

未承認医薬品及び医療機器の臨床使用に関する研究

| | |
|-------|--|
| メタデータ | 言語: Japanese 出版者: 公開日: 2016-12-29 キーワード (Ja): キーワード (En): 作成者: 露木, 健一郎 メールアドレス: 所属: |
| URL | http://hdl.handle.net/10470/31611 |

東京女子医科大学大学院医学研究科および
早稲田大学大学院 先進理工学研究科

博士論文審査報告書

論文題目

未承認医薬品及び医療機器の臨床使用
に関する研究

Study on Clinical Use of
Unapproved Drugs and Medical Devices

申請者

| | |
|-----------|---------|
| 露木 | 健一郎 |
| Kenichiro | TSUYUKI |

共同先端生命医科学専攻
組織再生医療研究

2016年2月

本申請者は「未承認医薬品及び医療機器の臨床使用に関する研究」を博士課程の研究として実施し、本博士論文を提出した。2015年12月時点で、日本では、未承認の医薬品および医療機器の人道的臨床使用に関する制度が明確に定められていないことから、規制当局が未承認品の使用状況を監視できず、有害事象に関する情報の蓄積もできない状況にある。また未承認品の品質確保や、どこがコスト負担をするのか問題といった懸念も生じている。

本論文は、未承認品の人道的使用制度で先行している欧米の関連制度及びその事例を調査し、未承認品使用制度の設計に関する提言を行っている。まず第1章では、未承認品の定義と日欧米の使用制度に関する状況及び懸念点、本研究の目的と意義について述べている。第2章では米国の拡大アクセスプログラム及び欧州のコンパッション・ユースについて、実施要件、関連規制、事前承認必要の有無、有害事象の報告規制等を調査している。調査結果から、米国の医薬品では規制や適用できる開発フェーズ、適用人数の違いによって4つの制度が存在し、臨床試験開始前から販売承認まで様々な開発フェーズでの未承認品の臨床使用を考慮しているのに対し、欧州では適用人数の違い等によって各国に1つもしくは2つの制度が存在し、臨床試験開始以降を前提とした規制となっていることを示している。医療機器に関しては米国では医薬品と同様の制度が存在するが、欧州では例外的使用に関する制度はなく CE Marking 貼付後の臨床使用が前提となっていることを開発フェーズ毎に比較しながらまとめている。生物製剤に関しては、米国は医薬品と同じ制度を使用し、欧州には ATMP Hospital Exemption という特別な制度が存在することを示している。また、その他関連制度である米国の Right-to-Try 法、Custom Device Exemption、米国コンペンディア制度、パンデミック時の未承認品使用に適用される制度についても調査を行っている。第3章では、未承認品使用に関する具体的な事例について主にアメリカ国立衛生研究所の臨床試験データベース ClinicalTrials.gov からデータを抽出し、分析、考察を行っている。第4章では、日本の未承認品使用関連制度である「先進医療 B」、今後導入予定の「患者申出療養」及び「人道的見地からの治験」について調査し、日本で制度設計するときを考慮すべき項目について提言を行っている。

本博士学位論文審査の公聴会では、本研究が取り扱う未承認品の定義を明確するよう指摘があり、その後の修正で第1章に適切に追記が成された。また、未承認品で得られたデータの薬事への利用に関して医薬品と医療機器の違いについて整理するよう指摘があり、第4章に追記が適切に成された。類似性チェックにおいても問題となる剽窃、盗用は認められなかった。

以上により、本論文は、日欧米の未承認品に関する制度を網羅的に調査して比較評価しており、日本における未承認品の使用に関する制度の設計に貢献することが期待され、レギュラトリーサイエンスの視点から意義のあるものとする。博士(生命医科学)の学位論文として価値のあるものとする。

2016年1月

審査員

(主査) 早稲田大学客員教授・東京女子医科大学教授
博士（医学）（東京女子医科大学）

有賀 淳

早稲田大学客員教授、東京女子医科大学教授
博士（理学）（東京大学）

大和 雅之

早稲田大学教授
工学博士（早稲田大学）

武岡 真司