



未承認薬のコンパッションネート使用制度 日本でも 2015 年度末にスタート

寺岡章雄

コンパッションネート使用 (CU) 制度とは

医薬品は、臨床試験で有効性安全性を確認し、国による承認審査を経て初めて医療に用いられる。これには長い年月がかかる。命を脅かされるなどの重い疾患を患い、他に治療手段がなく、臨床試験にも参加できない患者が、自分の命を救うかもしれない未承認薬を試したいと思うのは自然な成り行きである。

そのような患者に、開発段階にある未承認薬へのアクセスを例外的に可能とする公的制度が、欧米や韓国など世界各国にあり、コンパッションネート使用 (CU) 制度と呼ばれている。

“compassionate” は「情け深い」などの意味で、CU の名称は、この制度がもつ倫理的・例外的な本質をあらわしている。

未承認薬へのアクセスでは、①患者のアクセスの保証、②安全性の確保、③医薬品の販売承認に必要な臨床試験の実施を阻害しない、の相反する 3 要素の過不足のないバランスが求められる。

日本にはこの制度がなく、未承認薬へのアクセスは安全管理など問題が多い「個人輸入」に頼らねばならない状況が続いている。

2010 年 4 月に、厚生労働省の「薬害肝炎事件の検証及び再発防止のための医薬品行政の在り方検討委員会」が、CU 制度など的人道的な未承認薬の例外的使用手続きの構築を提言し、これを受けて具体化の検討が進められてきた。

日本版 CU 制度

厚生労働省は 2014 年 12 月、「日本版 CU 制度」として、実施中の治験に参加できない患者に対し、治験の組み入れ基準を安全性面で許容できる範囲まで緩和することにより、未承認薬へのアクセスを可能とする「人道的見地からの治験参加」（以下、「人道的治験」）の仕組みの概要を、薬事・食品衛生審議会薬事分科会に提案し、了解を得た。さらに、2015 年 9 月、同分科会に実施に向けた骨子案を示し、了解を得た。

厚生労働省は治験の枠内で実施するため法改正は不要で、治験実施者の負担軽減を目的に GCP 手順を簡略化する GCP 省令の一部改正を 2015 年内に行い、2015 年度末の人道的治験の運用開始をめざしている。

厚生労働省は、人道的治験のスタートにあたり、治験届のうち CU 制度の対象となる新薬の国内開発の最終段階にある治験の情報を公的機関のウェブサイト公表するとしている。

将来的に改善が必要

日本には CU 制度がなく、問題の多い「個人輸入」に頼らねばならない状況にあるだけに、日本版 CU 制度がスタートする意義は大きく、患者本位の医薬品利用の観点から喜ぶたい。しかし、CU 制度の定着には、将来的に改善が必要であり、指摘しておきたい。

① CU 制度と治験（臨床試験）とはその目的が異なり、組み合わせるにはもともと無理がある。CU 制度は診療の現場において、現在の患者のために未承認薬へのアクセスを例外的に認めるものである。一方、治験は医薬品の販売承認に必要な資料のうち、将来の患者のために、有効性安全性などのデータを集めるための臨床試験である。目的が明らかに異なるものを組み合わせることは、種々の矛盾や困難を来たすであろう。

② CU 制度には根拠となる法律が必要である。今回の人道的治験は、薬機法に定める「治験」に該当せず、これを治験として行うことは違法であるとの批判がある。今回スタートする CU 制度は、新薬開発の最終段階にある治験の対象患者の組み入れ基準をわずか広げる範囲のものなので、「違法」と言いきれるかは微妙である。

しかし、本来、CU 制度は薬機法の根幹をなす医薬品承認制度の例外措置であるので、導入に際しては法改正ないし新規立法が必要であると考えるのが自然である。画期的な制度であるだけに、将来的には未承認薬への例外的アクセスに特化した独自の法律に整備発展させることを期待したい。

現在行うべきこと

① 今回の日本版 CU 制度（人道的治験）の具体的内容は、通達・通知でなく、法令（省令）で示されねばならない。

パブリックコメント募集で示されている GCP 省令改正骨子案は、治験実施者の負担軽減の規制緩和措置を定めているだけで、制度の具体的内容は全く示していない。人道的治験が薬機法の「治験」に該当するという考え方を前提に、制度の具体的内容は治験の運用の問題であるとして、法令によらず通達・通知などによって定めることを予定しているとみられる。しかし、

その重要性から言って通達・通知でなく省令で示すべきである。

② GCP 省令改正骨子案で、日本版 CU 制度を「拡大治験」としているのは適当でなく、「コンパッショネート治験」または「人道的治験」とする方がよい。

名称は重要である。「拡大治験」の名称ないし略称は無機的で、未承認薬の例外的アクセスを可能にする公的制度をイメージすることは困難である。

(てらおか・あきお 東京大学大学院薬学系研究科)