

4 日本版コンペンディア制度の構築に向けて

堀田 知光

独立行政法人国立がん研究センター 理事長

未承認薬のラグを解消し、医薬品開発で世界をリードするためには、わが国初の革新的な創薬とわが国主導の国際共同治験の促進が不可欠であることは論を待たない。一方、適応外薬問題の解決には、薬事承認を前提とした現在の保険償還の運用を弾力化することが有効である。欧米諸国においては、薬剤の使い方について個々の薬事承認がなくても公的医療保険が償還する仕組みがある。例えば、米国ではFDAが承認していない適応外使用であっても、エビデンスがあれば Medicare / Medicaid で使用可能となっている。わが国においても適応外使用に対する保険償還が一律に禁止されているわけではない。いわゆる「55年通知」により、薬事承認後一定期間を経た医薬品の適応外使用については、学術上の根拠に基づく医師の裁量を保険上で認めている。社会保険診療報酬支払基金は、これまでに審査上で認める 211 適応の情報提供を行ってきた。しかし、この対応は、①再審査期間が終了した医薬品に限定、②情報提供の根拠や審査のプロセスが非公開、③副作用が生じたときの責任の所在が不明確などの限界がある。適応外使用問題の解決策として筆者は、①55年通知の弾力的な運用として再審査

期間を絶対視せず、透明性のある機関によるエビデンス評価により保険償還可能とする、②臨床上の重要な設問に対して答えを出すための臨床試験は評価療養として保険診療範囲内もしくは保険併用を可能とする、③用法や用量が明らかに異なる適応外使用は治験を原則とし、先進医療評価制度を弾力的に運用する、④ICH-GCP 対応可能な施設で実施された臨床試験の成果は薬事承認もしくは保険償還の判断材料として利用可能とすることなどは、現法体系下でも可能である。こうした日本版コンペンディアというべき制度によって、適応外薬のラグの抜本的な解消を図るとともに、企業負担を軽減し、PMDA のリソースを新薬の承認審査と安全性確保に傾注できることが期待される。