

薬食審査発0901第1号  
平成23年9月1日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬食品局審査管理課長

### 優先審査等の取扱いについて

優先審査の取扱いについては、平成5年8月25日付け薬発第725号厚生省薬務局長通知「薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律の施行について」（以下「局長通知」という。）及び平成5年10月1日付け薬新薬第92号厚生省薬務局新医薬品課長、医療機器開発課長、安全課長通知「薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律の施行について」並びに平成16年2月27日付け薬食審査発第0227016号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知「優先審査等の取扱いについて」で示してきたところである。

今般、優先審査を希望する新医薬品の優先審査の適用の可否の決定について迅速な対応を行う観点から、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「総合機構」という。）において優先審査品目該当性相談が新設されること等を踏まえ、優先審査の取扱いについては下記によることとしたので、貴管下関係業者に対し指導方御配慮願いたい。

また、これに伴い、平成16年2月27日付け薬食審査発第0227016号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知「優先審査等の取扱いについて」は廃止する。

なお、本通知は平成23年10月1日に施行する。

記

## 第1 優先審査に関する事項

### 1 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器（以下「希少疾病用医薬品等」という。）を除く新医薬品及び新医療機器に対する優先審査の適用の可否の考え方

薬事法第14条第7項の規定により優先的に審査を行うことができる医薬品又は医療機器として局長通知に規定する「その他重篤な疾病等を対象とする新医薬品又は新医療機器（以下「新医薬品等」という。）であって医療の質の向上に明らかに寄与すると認められるもの」（以下「希少疾病外優先審査品目」という。）については、（1）適応疾病の重篤性及び（2）医療上の有用性を総合的に評価して適用の可否を決定する。

（1）適応疾病の重篤性については、以下に分類して評価する。

ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）であること。

イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患であること。

ウ その他

（2）医療上の有用性については、以下に分類して評価する。

ア 既存の治療法、予防法若しくは診断法がないこと。

イ 有効性、安全性、肉体的・精神的な患者負担の観点から、医療上の有用性が既存の治療法、予防法若しくは診断法より優れていること。

### 2 承認申請時の取扱い

（1）希少疾病用医薬品等に該当し、優先審査の適用を受けようとする者は、当該新医薬品等の承認申請書の備考欄に「〇年〇月〇日希少疾病用医薬品（又は希少疾病用医療機器）に指定」との記載の上、総合機構に提出すること。

（2）希少疾病用医薬品等以外で優先審査の適用を受けようとする者は、当該新医薬品等の承認申請書の備考欄に「別記の理由により優先審査を希望」と記載し、希少疾病外優先審査品目に該当すると判断した理由を添付すること。（（3）に掲げる場合を除く。）

（3）希少疾病用医薬品等以外で優先審査の適用を受けようとする者であって、総合機構の実施する医薬品優先審査品目該当性相談を実施した場合には、上記備考欄に「医薬品優先審査品目該当性相談を実施」との記載を併せて行い、総合機構の作成した評価報告書を承認申請書に添付すること。ただし、当該相談を実施したもので、承認申請後に評価報告書が作成された場合は、この限りでないこと。

### 3 優先審査の適用の可否の決定及び承認審査時の取扱い

(1) 希少疾病外優先審査品目については、申請後速やかに総合機構において専門家からの意見を聴取した上で適用の可否に関する意見をまとめ、厚生労働省に報告し、厚生労働省医薬食品局審査管理課（以下「審査管理課」という。）は当該報告をもとに適用の可否を決定すること。

なお、優先審査品目該当性相談が実施され、申請時点で当該品目の優先審査の該当性を判断するに当たっての状況に特段の変化が無いなど、その評価が変わらない場合には、その評価をもとに適用の可否に関する意見をまとめ、厚生労働省に報告し、審査管理課は当該報告をもとに適用の可否を決定すること。また、その可否は審査管理課から申請者及び総合機構に通知すること。

(2) 上記(1)の適用について、審査管理課は、直近の薬事・食品衛生審議会の担当部会に報告の上、了承を得ること。

(3) 優先審査対象品目について、総合機構は、審査の各段階において、可能な限り審査順位を優先すること。

(4) 優先審査対象品目は、当該新医薬品等の承認時にその旨を公表すること。

### 4 複数効能を有する場合の申請について

(1) 同一品目が優先審査対象効能とそれ以外の一般効能を両方有する場合には、優先審査対象効能とそれ以外の効能に分け、それぞれを別個の独立した申請とすること。

(2) 優先審査対象効能に関する申請とそれ以外の効能に関する申請を同時に行う場合には、承認申請書及び添付資料は別々に作成することとするが、共通する資料については、優先審査対象効能に関する申請書への添付のみで差し支えない。また、それぞれの承認申請書の備考欄に申請時点で申請中の他の効能についての情報を記載すること。

## 第2 優先的な治験相談に関する事項

### 1 優先的な治験相談の適用の可否の考え方

優先的に治験相談を行うことができる医薬品又は医療機器（以下「優先的な治験相談品目」という。）については、薬事法第14条第7項及び本通知第1の1の規定を準用する。なお、適用の可否の決定にあたっては、医療上の有用性を推定できるデータ（医薬品の場合は原則として後期第II相試

験までの試験結果)を用いて行うこととする。

## 2 優先的な治験相談の適用の可否の決定及び治験相談時の取扱い

- (1) 優先的な治験相談品目の適用を受けようとする者は、総合機構の定めるところによる優先的な治験相談の指定申請書を総合機構に提出すること。なお、希少疾病医薬品等に既に指定されているものは、指定申請書を提出することなく優先的な治験相談品目として取り扱われるものであること。
- (2) 総合機構においては、(1)の指定申請書を受理後速やかに専門家からの意見を聴取した上で適用の可否の決定を行い、その可否を申請者に通知するとともに、総合機構は厚生労働省へ報告すること。
- (3) 上記(1)の適用について、審査管理課は、直近の薬事・食品衛生審議会の担当部会に報告の上、了承を得ること。
- (4) 優先的な治験相談品目について、総合機構は、可能な限り相談順位を優先すること。
- (5) 優先的な治験相談の具体的な進め方については、平成23年9月1日付け薬機発第0901001号独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長通知「独立行政法人医薬品医療機器総合機構が行う対面助言、証明確認調査等の実施要領等について」を参照されたいこと。

## 第3 優先審査を希望する医薬品に関する事項

### 1 優先審査を希望する医薬品の申請前の対面助言の実施の考え方

希少疾病用医薬品又は希少疾病外優先審査品目として優先審査を希望する医薬品については、審査上の課題を早い段階で整理し解決するため、可能な限り、総合機構が行う申請前相談や事前評価相談を利用することが望ましい。

### 2 希少疾病外優先審査品目として優先審査を希望する医薬品の優先審査品目該当性相談の実施の考え方

希少疾病外優先審査品目として優先審査を希望する医薬品については、当該医薬品の優先審査の適用の可否を申請後速やかに審査管理課において決定するために、可能な限り、申請前に総合機構が行う医薬品優先審査品目該当性相談を受けその該当性についての評価を得ておくことが望ましい。