人道的使用

人道的使用とは何ですか？

「人道的使用」とは、特別なプログラムで未承認薬を患者に利用可能にすることです。特に、有望でもまだ承認されていない医薬品を次のような患者に利用可能にする方法です。

承認薬では現在満足に治療できない、
承認されている薬がない疾患がある、
現在進行中の治験に登録できない。

医薬品はすべて特定の使い方に対して承認されています。異なる方法で使用するために処方される場合、これを「適用外」使用といいます。本稿では人道的使用について扱います。

どの医薬品が人道的使用を通して利用可能となりますか？

人道的使用プログラムは、命に関わる、長期に及ぶまたは重篤な障害をもたらす疾患の患者を支援できそうな医薬品にのみ実行すべきです。

人道的使用プログラムの医薬品は概して、毒性学試験やヒト初回投与試験など早期臨床開発を問題なく経ています。医薬品の安全性プロフィールに一部疑問が残る場合や、至適用量や投与計画が不確定の場合があります。

どのようにして人道的使用プログラムは機能しますか？

人道的使用プログラムの調整や実施は国が行い、国内規制や法律に基づき、プログラム開始の方法や時期を独自に決定しています。

有望な医薬品を重篤な疾患の患者のために入手を希望する医師は、自国の規制当局に連絡を取り、所定の手続きに従わなければなりません。国の当局は人道的使用プログラムの範囲で治療する患者を登録し、システムを実行して患者または医師から報告のある副作用を記録します。

どのように患者は人道的使用プログラムへ参加できますか？

人道的使用プログラムへ参加するには、患者は医師に相談しなければなりません。まだ承認されていない薬は概して治験を通して患者が利用できるため、最初に医師は、患者に国内に参加できる適切な治験があるかどうかを助言する場合があります。また医師は、人道的使用プログラムの国内でどのように機能するかについて患者に助言する場合もあります。

医師は適宜、国内の人道的使用プログラムを管轄する規制当局に相談し、利用可能なプログラムはないか探すことができます。

人道的使用での欧州医薬品庁の役割は何ですか？

欧州医薬品庁 (EMA) のヒト用医薬品委員会 (CHMP) は、EU 全加盟国に人道的使用での特定医薬品の投与、配布、使用を勧告することができます。また、人道的使用プログラムでベネフィットを得る可能性のある患者を特定します。

CHMP は加盟国の要望でこれらの勧告を提供することができます。指定の医薬品を用いた多くの人道的使用プログラムが加盟国内で手配中と認識した場合も、こうして勧告する場合があります。

CHMP による勧告は、EU 全体の人道的使用プログラムの標準化が目的で、既存の人道的使用プログラムをより明確にするのにも役立つかもしれません。しかし、CHMP の推奨事項には法的な意味合いはなく、従うことを希望する加盟国によってのみ実施されています。

EMA は人道的使用について CHMP が採用した意見の一覧をウェブサイトで公表しています。このレジストリーには、医薬品の使用方法や対象患者などに関する EMA の勧告も含まれます。

人道的使用以外に承認前の薬を入手する方法はありますか？

医師は患者のために有望な薬を、直接の責任のもと使用するため、製造業者から供給をリクエストすることで入手することもできます。「指定患者での」治療と呼称されることが多く、人道的使用プログラムと混同すべきではありません。この場合、治療に責任をもつ医師が直接製造業者と連絡を取ります。製造業者は供給品を記録しますが、この方法で治療を受ける患者の中央登録はありません。

患者は「拡大アクセスプログラム」に参加することもできます。有望な薬を製造する企業は、薬への早期アクセスを可能にし、そこからベネフィットを得ることができる患者に使用を拡大するために、これらのプログラムから 1 つを実行することを選択するかもしれません。たとえば、治験中に薬で治療を受け、継続したいと希望する患者には、拡大アクセスプログラムによりそれが可能になる場合があります。このプログラムは治験同様、国内の規制当局が承認し、患者も治験と同様に観察されます。

FDA では「拡大アクセス」と「人道的使用」を同義として使用しますが、欧州では同義ではありません。

ここに記載された文の多くの抜粋元は、EMA の欧州連合の医薬品の人道的使用に関する質疑応答集、規則 (EC) No 726/2004 の 83 条準拠の医薬品の人道的使用におけるガイドライン、およびウェブサイトです。

A2-5.14.2-V1.0