

## 開発中の治療法への早期アクセスと臨床試験後のアクセスについての基本的な考え方

最終更新日 2022年2月17日

### 背景

アステラスは、先端・信頼の医薬で、世界中の人々の健康の向上に取り組んでいます<sup>1</sup>。臨床試験への登録は、アステラスが開発している治療法に、その国での製造販売が承認される前にアクセスしていただくための最も効果的な方法です。しかし、重篤な生命を脅かす疾患では、臨床試験への登録は、患者さんとそのご家族、あるいは介護者の方々にとって、必ずしも選択肢の1つとはならない場合があります<sup>2</sup>。そのような患者さんに配慮し、実施可能な場合は、アステラスは、医薬品の開発プロセスを通じて、早期アクセスプログラムと臨床試験後アクセスプログラムを含む、適切な別のアクセスマートの提供を計画しています。製品のライフサイクルのそれぞれの段階における治療法へのアクセスについて、アステラスがどのように評価し、計画しているかの詳細は、「医薬品へのアクセス向上のための当社のコミットメント」[4月初旬公開予定]をご覧ください。

### 基本的な考え方

#### 早期アクセスプログラム

早期アクセスプログラムは、処方医から自発的な要請を受けた後に、製造販売承認前のアステラスの治療法へのアクセスを可能にします。アステラスは、利用できるすべての治療選択肢を使い果たし、なおかつ臨床試験に参加できない、重篤な生命を脅かす疾患に苦しむ患者さんに対する重要なアクセスマートとして、これらのプログラムを設けています。アステラスは、どの疾患と治療法が早期アクセスプログラムを提供するための基準を満たすかを継続的に検討し、選択したプログラムを製造販売承認前に確立し、それらのプログラムを通常は治療薬が市販されるまでの期間提供します。早期アクセスプログラムは、すべての国で実施できるとは限らず、また、プログラムが実施される現地の規制、診断法、製造能力、ならびに製品供給の制限などの要素により影響を受ける場合があります。可能な限り、当社は、治療法開発のための主要な臨床試験が実施されている国と市販が計画されている国を含めるよう努力しています。

#### 臨床試験後アクセスプログラム

アステラスは、アステラスの臨床試験を完了し、なおかつ市販の治療法のない、重篤な生命を脅かす疾患に苦しむ患者さんが、お住まいの国でその治療法の販売が開始されるまでの間、中断することなく確実にその治療法にアクセスできるよう取り組んでいます。該当する場合、臨床試験後アクセスプログラムは臨床試験実施計画書で説明されています。いずれの場合も、臨床試験後アクセスプログラムに関する情報は、臨床試験参加前または参加中に、該当する医師・医療従事者と臨床試験参加者の皆さまにお伝えしています。

#### 早期アクセスプログラムと臨床試験後アクセスプログラムの適格性判断

アステラスは、以下の基準を満たす患者さんのために、開発中の治療法への早期・臨床試験後のアクセスプログラムの構築に取り組んでいます。

#### 早期アクセスプログラムと臨床試験後アクセスプログラムを実行するために定められた基準

- 重篤な生命を脅かす疾患の治療を目的として開発が行われている治療法である
- 選択された用量で承認取得のために開発を継続することを支持する安全性および有効性データがある
- 治験と登録プロセスに遅延や妥協を生じさせない
- 患者さんの居住国ではその開発中の治療法が市販されていない
- 製品供給が十分あり、開発中の治療法の入手、ラベル表示、ならびに提供の障壁となるものがない
- プログラムが既存の法規制の下で保健当局による許可を得ている

### 患者さんの適格性を判断するために定められた基準

- 患者さんが重篤な生命を脅かす疾患を有する
- 代用となる市販薬がない
- アステラスの早期アクセスプログラム担当メディカルリードと協議した患者さんの主治医の判断により、有用性がリスクを上回っている
- 患者さんがその治療法の適格性基準を満たしている
- 該当する国・地域の規制に従っており、その開発中の治療法を提供するために必要な承認が得られている
- その治療法を提供するために必要な診断法、装置、ならびに医師の専門知識に患者さんがアクセスできる
- 市販後も、早期アクセスまたは臨床試験後アクセスから種々の市販後アクセスの方法へ移行することにより、患者さんが必要に応じて市販薬の利用により治療を継続することができる

### 早期アクセスプログラムの要請

早期アクセスプログラムの要請はすべて、患者さんの主治医が行わなければなりません。したがって、アステラスが提供する早期アクセスプログラムを通して治療法へのアクセスを希望する患者さんは、主治医に直接問い合わせさせていただく必要があります。アステラスは、全ての要請を確認し、5日以内に、要請を行った医師と、患者さんの適格性についての話し合いを開始します。患者さんに治療への早期アクセスプログラムを提供するかどうかの決定は、個々の症例に応じて、患者さんの主治医とアステラスの早期アクセスプログラム担当メディカルリードとの協議のうえ、アステラスが行います。

早期アクセスプログラムの要請は、下記連絡先を通じて、医師が提出することができます。

- [early.access@astellas.com](mailto:early.access@astellas.com)
- 医師向け電話番号（米国）：800-727-7003
- 米国外の医師は、<https://www.astellas.com/jp/worldwide> から現地の連絡先情報をご覧ください。

### 追加情報

#### 当社の基本原則

アステラスでの医薬品アクセスに関する基本的理念は、ヘルシンキ宣言、ICH 医薬品の臨床試験の実施に関する基準、ならびに関連するその他国際ガイドラインなどの国際的な倫理的枠組みの原則に基づいています<sup>3, 4</sup>。アステラスでは、迅速で公平な意思決定を可能にする手順を規定しており、世界各地でこのようなプログラムに適用される法規制に準拠して一貫した管理を行っています。

#### 細胞治療および遺伝子治療へのアクセス

アステラスが提供するアクセス方法は多面的であり、綿密な評価を必要とし、国ごとの規制によって形作られる場合があります。これは、さまざまな臨床的要件と規制要件が存在し、急速に進化している細胞治療と遺伝子治療のようなより複雑な治療形態に特に当てはまります。

さらに、細胞治療と遺伝子治療では、通常、可能な限り高い安全性を確保するために必要とされる診断法、装置ならびにリソースにアクセスできる、高度な訓練を受けた医師による投与を必要とします。そのため、アステラスは、このような革新的な治療法を開発するために必要な品質管理により、安全で有効な細胞治療と遺伝子治療をできるだけ早く市場に届ける努力を続けています。

### 参考資料

1. アステラス：ビジョンと戦略。<https://www.astellas.com/jp/about/vision> からご覧いただけます。

2. FDA（米国食品医薬品局）：Information Program on Clinical Trials for Serious or Life-Threatening Diseases and Conditions。 <https://www.fda.gov/media/71927/download> からご覧いただけます。
3. WMA：ヘルシンキ宣言 <https://www.wma.net/policies-post/wma-declaration-of-helsinki-ethical-principles-for-medical-research-involving-human-subjects/> からご覧いただけます。
4. ICH：Guideline for Good Clinical Practice E6(R2) [医薬品の臨床試験の実施に関する基準 E6（R2）]。 [https://database.ich.org/sites/default/files/E6\\_R2\\_Addendum.pdf](https://database.ich.org/sites/default/files/E6_R2_Addendum.pdf) からご覧いただけます。

開示月：2022年3月