

先進医療制度の運用の見直しについて（案）

（「医療上の必要性の高い抗がん剤」を用いる先進医療の外部機関における評価について）

1. 背景

我が国における、いわゆるドラッグラグ、デバイスラグや、我が国発の新医薬品の開発及び実用化の促進等といった課題については、研究開発の支援や、薬事承認の迅速化等が直接のアプローチとなるが、これに加えて、医療保険制度における先進医療制度についても、こうした課題に資するよう、下記のような見直しを行ってきた。

（1）これまでの経緯

- ① 新成長戦略（平成22年6月18日閣議決定）及び規制・制度改革に係る対処方針（平成22年6月18日閣議決定）において、新たな医薬品の創出等、医療の実用化促進を目的として、患者保護、最新医療の知見保持の観点で選定した医療機関において、先進医療の評価・確認手続きを簡素化することが求められた。
- ② 中医協において、「医療保険における革新的な医療技術の取扱いに関する考え方について」と題して、平成22年10月15日から平成23年2月16日までの7回にわたり検討され、平成23年5月18日の中医協において「医療保険における革新的な医療技術の取扱いに関する考え方」として報告され、以下の3点について了承された。（参考①）
 - （ア） 「医療上の必要性の高い抗がん剤」を用いる先進医療の外部機関における評価について
 - （イ） 先進医療の申請に必要な国内での数例の実績の効率化について
 - （ウ） 先進医療専門家会議及び高度医療評価会議における審査の整理について（先進医療・高度医療一本化）
- ③ 上記（イ）及び（ウ）については、平成24年10月1日より、運用を開始しているところ。
- ④ 日本再興戦略（平成25年6月14日閣議決定）において、「保険診療と保険外の安全な先進医療を幅広く併用して受けられるようにするため、新たに外部機関等による専門評価体制を創設し、評価の迅速化・効率化を図る」とされた。（【本年秋を目途に抗がん剤から開始】）

2. 医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部機関における技術的評価に関する基本的考え方(案)

抗がん剤の外部機関における技術的評価について、本年秋を目途に開始するとされていることから、その実施に係る基本的考え方を下記の通り定めてはどうか。

(1) 外部機関について

① 先進医療会議（先進医療技術審査部会を含む。）と外部機関の関係について

(ア) 平成23年5月18日の中医協「医療保険における革新的な医療技術の取扱いに関する考え方」においては、「がん治療に高度の知見を有し、実施機関の申請及び実施段階での監査を行う機能を有する機関に委託するとされていること」とされていることから、当該条件を満たす医療機関に先進医療技術審査部会の業務を外部委託するという形式で実施する。

(イ) 外部委託を受けた機関は、下記の領域の専門家を含む専門家を参集し、評価委員会を設置することとする。

- i 各臓器のがん臨床の専門家
- ii 生物統計家・臨床評価の専門家
- iii 生命倫理の専門家

(ウ) 外部委託を受けた機関内に評価委員会の事務局を設置することとする。

(エ) 評価委員会の開催要綱等については、先進医療技術審査部会に準じることとする。

② 外部機関における技術的評価の質の担保について

(ア) 先進医療技術審査部会の構成員は、上記評価委員会の傍聴等により、上記評価委員会における技術的評価のあり方について確認を行うとともに、必要に応じて外部機関に助言等を行い、外部機関における技術的評価の質を担保することとする。

③ 外部機関の体制及び利益相反について

(ア) 外部機関は、「がん治療に高度の知見を有し、実施機関の申請及び実施段階での監査を行う機能を有する機関」であり、がん領域の研究・開発に対して重要な役割を担っていることが想定されるため、「医療上の必要性の高い抗がん剤」を用いる先進医療を申請することが可能であることとする。

(イ) 外部機関の評価体制については、下記の要件を満たすこととする。

i 事務局の設置について

- ・ 先進医療の技術的評価を行う評価委員会の事務局を行う部署は、抗がん剤の臨床や研究開発を行う部署とは別な部署とし、異なる責任者を置いていること。

ii 評価委員会の構成員について

- ・ 構成員については、厚生労働省が指名すること。
- ・ 外部機関に所属する者は若干名とすること。

iii 外部機関自らが申請した医療技術の評価について

- ・ 外部機関が申請した医療技術の技術的評価を行う際は、当該外部機関に所属する評価委員会の構成員は評価に加わらないこと。

(2) 外部機関による評価の対象となる抗がん剤について

①前提

(ア) 平成 23 年 5 月 18 日の中医協「医療保険における革新的な医療技術の取扱いに関する考え方」においては、下記の通り定められている。

- i 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」（以下「未承認薬等検討会議」という）において医療上の必要性が高いとされた医薬品については、開発要請を受けた企業又は開発の意思を申し出た企業により治験が着手され、又は薬事承認に係る公知申請がされることが原則であるが、これに加え、海外の実績等から一定の安全性等が確認されている抗がん剤については、開発企業の公募中等、長期間治験が見込まれない場合に、これに係る技術を先進医療の対象とすることとする。
- ii 未承認薬等検討会議における開発要望の募集の際に、海外における標準的使用状況（米国の承認状況等）の記載欄を設けることとしているが、医療上の必要性が高いとされた抗がん剤については、この海外における標準的使用状況の情報を活用し、先進医療としての適格性等を先進医療会議において確認することにより、先進医療の対象技術として告示することとする。

(イ) 新薬創出・適応外薬解消等促進加算（以下、「新薬創出等加算」という。）の要件として、開発要請を受けた企業は、開発要請後 1 年以内に治験を開始することとされている。

- (ウ) 公募を行い、企業が開発の意思を申し出る場合は概ね1年以内に申し出が行われている。

② 考え方

- (ア) 下記の条件を満たす場合に、医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部機関における技術的評価の対象とする。
 - i 企業に対する開発要請後、1年を経過しても治験に着手されなかった未承認薬または適応外薬
(適応外薬については、新薬創出等加算の適用の有無を問わない)
 - ii 開発企業の公募後、1年を経過しても開発の申し出がない未承認薬

- (イ) 開発要請又は公募から1年を経過した場合、先進医療の対象として告示するための手続きを速やかに進めるものとする。

(3) 実施医療機関群の要件について

① 前提

平成23年5月18日の中医協「医療保険における革新的な医療技術の取扱いに関する考え方」においては、下記の通り定められている。

- (ア) 先進医療会議において、当該抗がん剤を用いた先進医療を実施可能な医療機関の属性をあらかじめ特定する。(医療機関群)
- (イ) 医療機関の施設属性・・・臨床研究中核病院(ICH-GCP水準の臨床研究を実施) 都道府県がん診療連携拠点病院、特定機能病院等
- (ウ) 医療機関の施設要件・・・治験が適切に実施できる体制が整備されていること等

② 考え方

- (ア) 先進医療会議において、当該抗がん剤を用いた先進医療を実施可能な医療機関の属性をあらかじめ特定する際は、施設属性に沿って以下の取り扱いとする。
 - i 臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点 … 質の高い臨床研究等を実施する体制や科学性、安全性、信頼性の観点から適切かつ透明性の高い倫理審査ができる体制、治験・臨床研究に精通する医師、臨床研究コーディネーター等人員の確保等の整備を行っていることから、原則として、全ての技術を実施可能とする。

ii 特定機能病院 … 施設の実情に応じて、技術ごとに先進医療の実施の可否を先進医療会議において検討する。

iii 都道府県がん診療連携拠点病院 … 施設の実情に応じて、技術（適応外薬を用いるものに限る）ごとに先進医療の実施の可否を先進医療会議において検討する。

(イ) 先進医療としての実施が認められた後は、従前と同様の取り扱いとして、協力医療機関の追加の可否を先進医療技術審査部会において検討する。

3. 今後の進め方について

(1) 「医療上の必要性の高い抗がん剤」を用いる先進医療の外部機関における評価について

上記2.(2)の「医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部機関における技術的評価に関する基本的考え方」に沿って先進医療会議において、具体的な運用方法について検討し、結果を中医協総会に報告し、了承を得ることとする。

(2) 再生医療、医療機器等の先進医療の申請に係る専門評価体制について

再生医療、医療機器等については、専門評価体制を創設し、評価の迅速化・効率化を図ることとされていることから、今後、薬事法改正や再生医療の安全性の確保に関する法律案の国会審議状況等を踏まえ、その具体的なあり方を検討していくこととする。

4. 「外部機関による評価の対象となる抗がん剤」に係る今後の考え方について

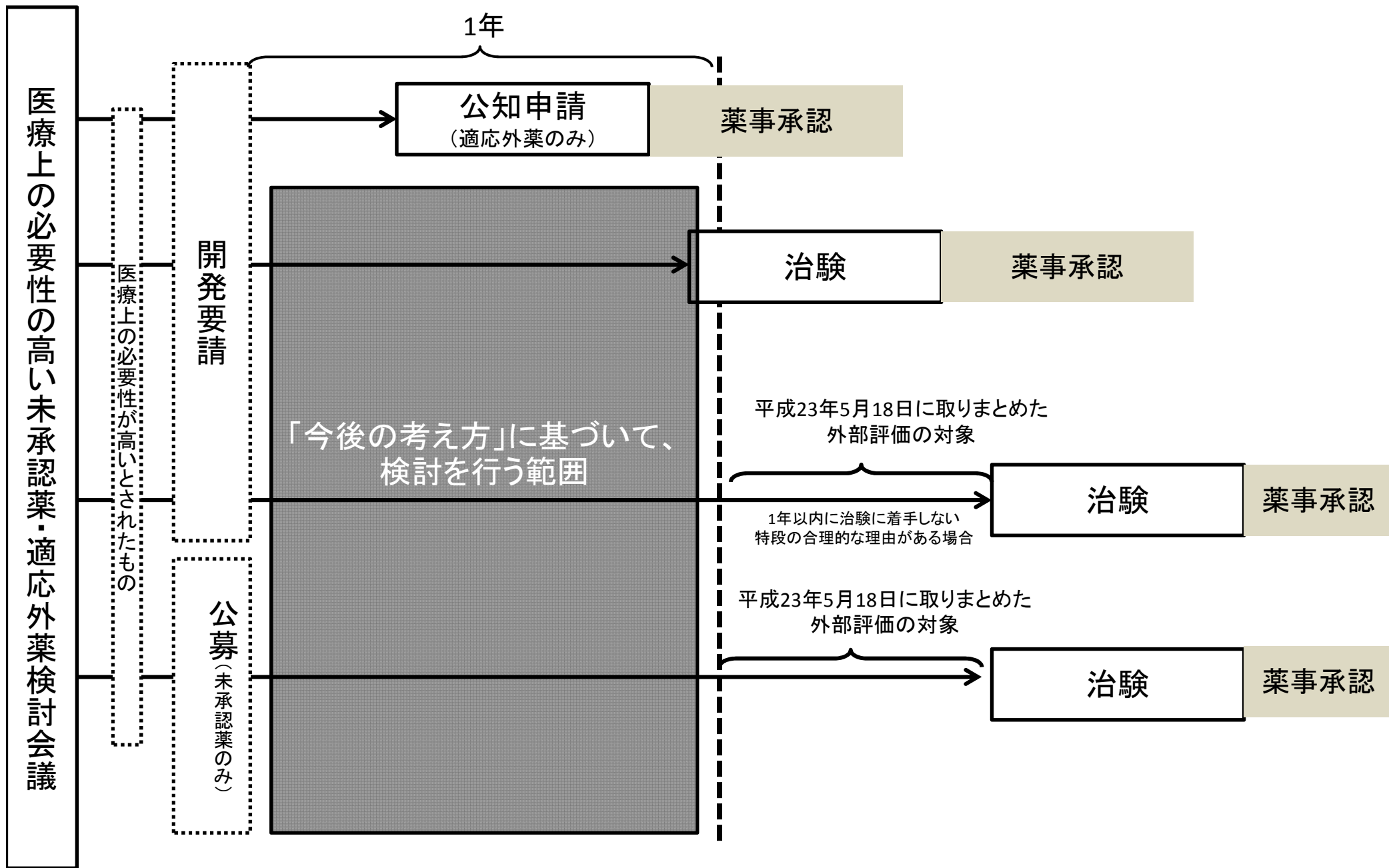
引き続き、抗がん剤への迅速なアクセスを求める声が強いことや「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において、患者や学会等から抗がん分野（小児がんを含む。）に係る多くの要望があることを踏まえ、「外部機関による評価の対象となる抗がん剤」について、今後、下記のように取り扱うことをどのように考えるか。

対応の方向性

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議において医療上の必要性が高いとされた抗がん剤は、速やかに先進医療の外部評価の対象とする。

（「企業に対する開発要請後 1 年を経過しても、特段の合理的理由無く治験に着手されなかった際は、新薬創出等加算を適応しない」等、これら従来の新薬創出等加算の取り扱いを変更するものではない。）

医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部評価の対象について



医療保険における革新的な医療技術の取扱いに関する考え方について(案)

(先進医療制度の手続、評価、運用の見直し)

我が国における、いわゆるドラッグラグ、デバイスラグや、我が国発の新医薬品の開発及び実用化の促進等といった課題については、研究開発の支援や、薬事承認の迅速化等が直接のアプローチとなるが、これに加えて、医療保険制度における先進医療制度についても、こうした課題に資するよう、その運用の見直しを以下のとおり行うこととする。

1. 医療上の必要性の高い抗がん剤に関する先進医療の実施について

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」(以下「未承認薬等検討会議」という)において医療上の必要性が高いとされた医薬品については、開発要請を受けた企業又は開発の意思を申し出た企業により治験が着手され、又は薬事承認に係る公知申請がされることが原則であるが、これに加え、海外の実績等から一定の安全性等が確認されている抗がん剤については、開発企業の公募中等、長期間治験が見込まれない場合に、これに係る技術を先進医療の対象とすることとする。

未承認薬等検討会議における開発要望の募集の際に、海外における標準的使用状況(米国の承認状況等)の記載欄を設けることとしているが、医療上の必要性が高いとされた抗がん剤については、この海外における標準的使用状況の情報を活用し、先進医療としての適格性等を先進医療会議(仮称)において確認することにより、先進医療の対象技術として告示することとする。(中医協へ報告)

また、先進医療会議(仮称)において、当該抗がん剤を用いた先進医療を実施可能な医療機関の属性をあらかじめ特定し(医療機関群)、これに該当する医療機関については、実施計画書を審査することにより、実施可能とする。(中医協へ報告)

- ・ 医療機関の施設属性・・・臨床研究中核病院(ICH-GCP水準の臨床研究を実施) 都道府県がん診療連携拠点病院、特定機能病院等
- ・ 医療機関の施設要件・・・治験が適切に実施できる体制が整備されていること等
- ・ 当該実施計画書の審査については、先進医療会議(仮称)が適当と認めた場合には、一定の要件を満たす機関(がん治療に高度の知見を有し、実施機関の申請及び実施段階での監査を行う機能を有する機関)に委託できるとし、当該審査の結果を踏まえて先進医療会議(仮称)において適否を判断することができることとする。

実施医療機関において、当該先進医療のデータの質を確保することにより、薬事承認の一定の効率化を図ることとする。

なお、データの質の確保のためには、一定の要件を満たすような臨床試験が実施される必要があり、具体的な要件については、今後関係部局と調整することとする。

次回の未承認薬等検討会議における要望募集が夏に行われる予定であるため、医療上の必要性の議論の結果や、企業による開発状況等に応じて適宜実施する。

2．先進医療の申請に必要な国内での数例の実績の効率化について

現在、先進医療の対象技術の申請においては、国内において数例の実績があることが求められているが、これを満たさない場合であっても、申請された個々の技術や医療機関の特性に応じて、先進医療の実施を認めることとする。

この場合には、申請書における実績の記載に替えて、当該技術を有効かつ安全に実施することができる旨の記載を行うこととし、先進医療会議（仮称）において、この適否を判断する。

- ・安全性等の確認において必要な項目の例・・・臨床研究中核病院等であること、治験が適切に実施できる体制が整備されていること等

この申請方法により先進医療を実施することができる医療機関としては、特に臨床研究中核病院等の高度な臨床研究を、安全かつ有効に行うことができる機関とするよう適切に審査を行う。

当該スキームを認めるに当たっては、分野ごとに以下の取扱いとする。

- ・適応外薬、未承認薬

新薬の創出、実用化等の促進の観点を踏まえて、審査を行うこと。また、1の未承認薬等検討会議において医療上の必要性が高いとされた先進医療に係るものについても個別にこの取扱いの適用を検討すること。

- ・上記以外の医療技術

対象となる医療技術の医療上の必要性や、実施機関が、臨床研究中核病院等の安全かつ有効に当該技術を実施することができる医療機関であること等について慎重な審査を行うこと。なお、医療機器については、製品の改良・改善が継続される特性を踏まえ、医療上のニーズが高い分野が特定され、医療上の必要性の高い機器が選定される仕組みを整備した上で、この取扱いを適用する。

3．現行の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議における審査の整理について

現行の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議における審査の効率化、重点化を図ること、上記1の取扱いを迅速に行うことを目的として、両会議における審査を一つの会議において行うこととする。

新たな会議体（「先進医療会議（仮称）」）においては、以下の項目について審査を行う

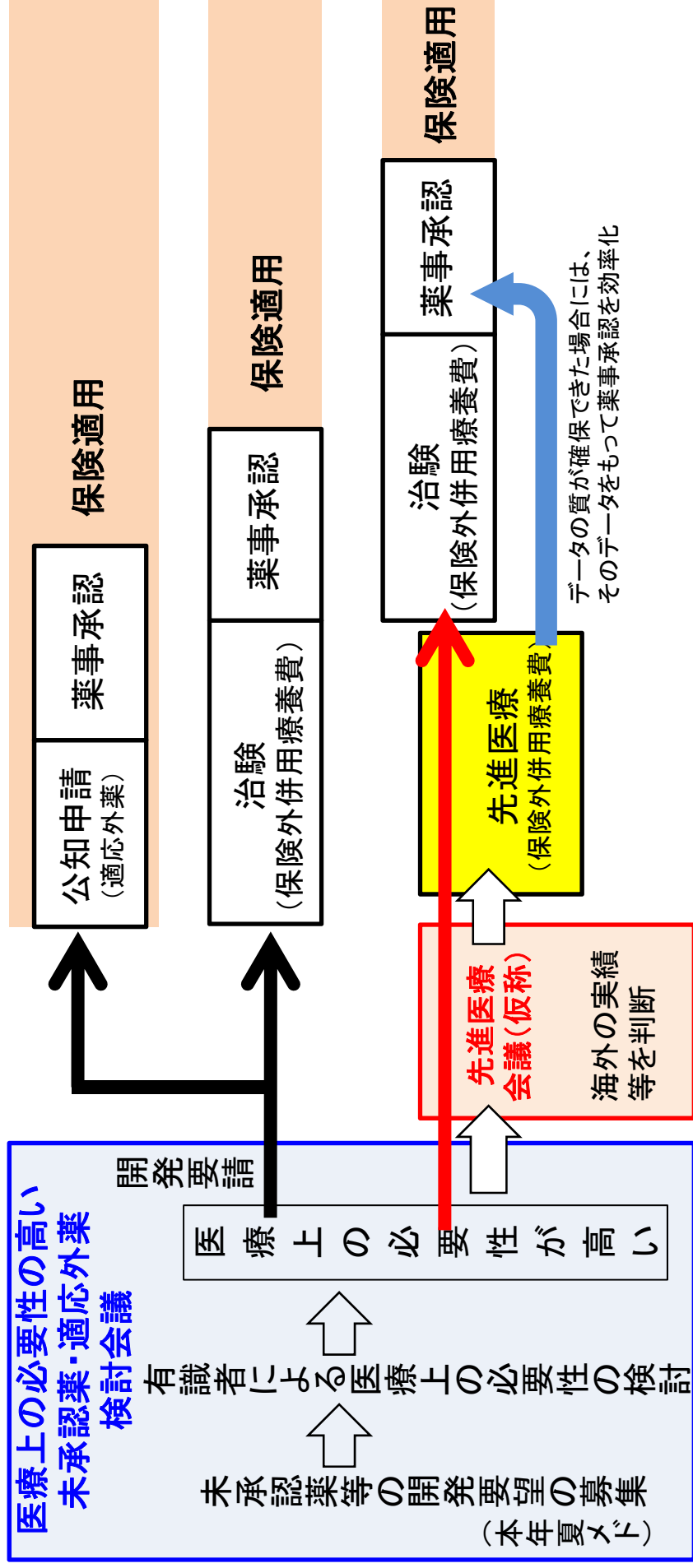
- ・ 個別の医療機関から申請のあった技術（未承認の医薬品、医療機器等を用いたものを含む。）について、倫理性、安全性、有効性、効率性、社会的妥当性、将来の保険導入の必要性等を審査【従来の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議において行っていたもの】
- ・ 当該技術を実施する医療機関について、実施機関の施設要件の設定又は個別の医療機関の実施の可否を審査。【従来の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議において行っていたもの】
- ・ 上記1のスキームにおいて、未承認薬等検討会議において医療上の必要性が高いとされた抗がん剤について、海外の実績等に鑑み、先進医療の対象とすることの可否の審査。実施可能な医療機関群の設定。また、当該技術を実施する医療機関の申請による実施計画書の審査。

当該会議は、医療技術に関し専門的学識を有する者、保険診療に精通した者、臨床試験、生物統計に精通した者、医療経済学的な評価に精通した者、法律学の専門家等により構成する。

現行の評価療養の枠組みを変更するものではない。

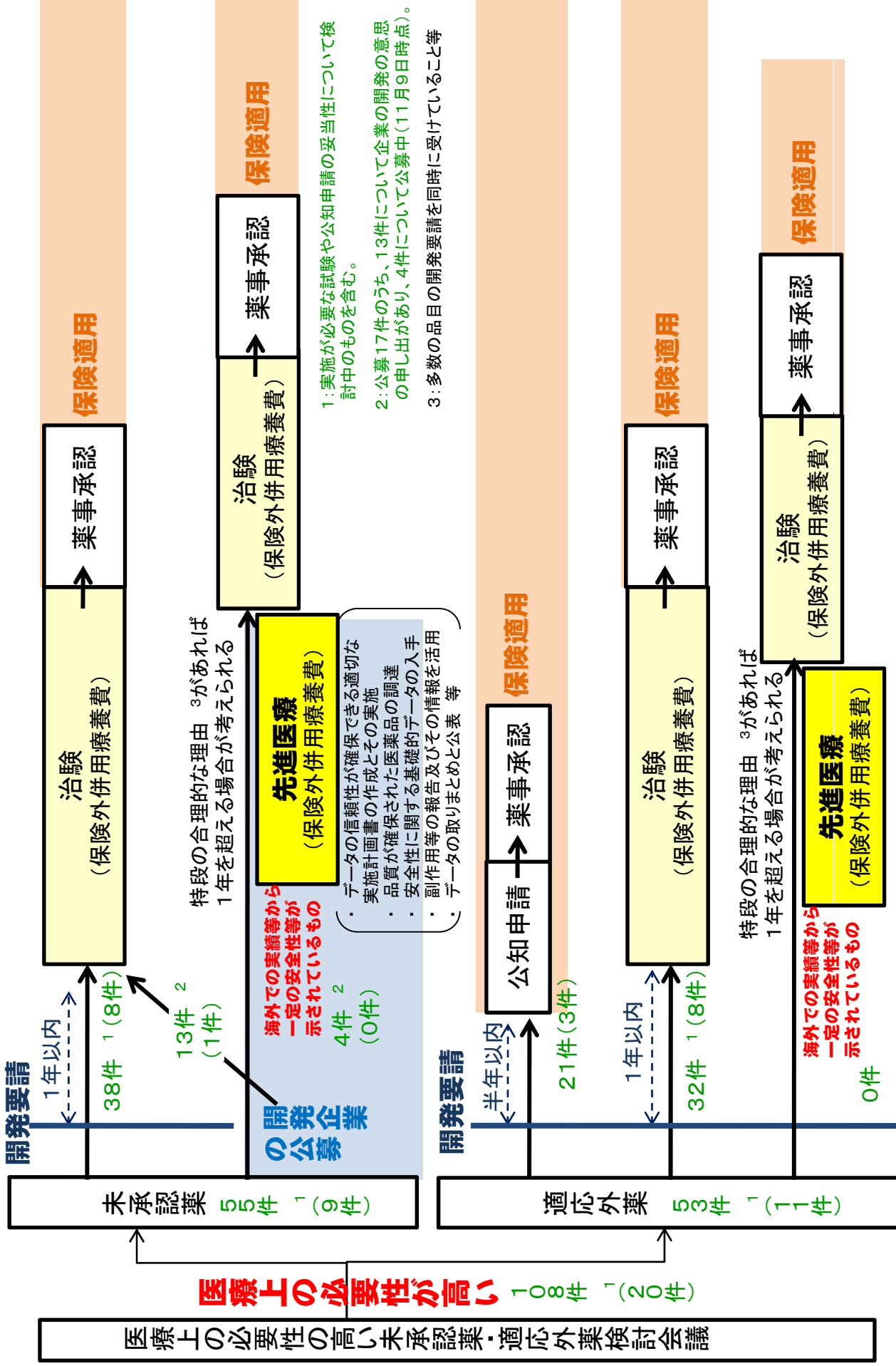
医療保険における革新的な医療技術の取扱いに関する考え方について (先進医療制度の手続、評価、運用の見直し)

1. 医療上の必要性の高い抗がん剤に係る先進医療の実施について



- ① 医療上の必要性が高いとされた抗がん剤について、海外の実績等を判断した上で、あらかじめ先進医療の対象として告示
 - ② 実施可能な医療機関の属性(医療機関群)をあらかじめ特定
 - ③ 医療機関は、実施計画書(プロトコル)審査のみで実施可能(外部機関の審査を活用可能)
- 【①～③は先進医療会議(仮称)で審査し、中医協に報告】

未承認薬等検討会議において医療上の必要性が高いとされたものに係る先進医療の活用のイメージ



数字は、検討会議に要望として集まったものうち医療上の必要性が高いとされたものとして第1弾として5月に開発要請等したものの。()内は抗がん剤。年内を目標に第2弾として74件(うち、抗がん剤は22件)を開発要請等予定。

現行の第3項先進医療の手続

未承認薬等検討会議において医療上の必要性が高いとされたものに係る先進医療の手続（案）

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議
○医療上の必要性が高い

先進医療会議（仮称）
○海外の実績等から技術の安全性等を確認
○実施可能な機関群を設定

医療機関の申請

高度医療評価会議
○実施技術の適否
○実施機関の適否
○実施計画書の適否
安全性、有効性等の観点

先進医療専門家会議
○実施技術の適否
将来の保険導入の必要性等の観点

先進医療として実施可能

設定された機関群に該当する医療機関の申請

先進医療会議（仮称）
○実施計画書の適否

外部機関

当該会議が適切と認めた場合には
審査を外部機関に委託可能

先進医療として実施可能

まずは、抗がん剤から当該運用を適用
外部機関は、当該分野について高度な知見等を有する機関とする。

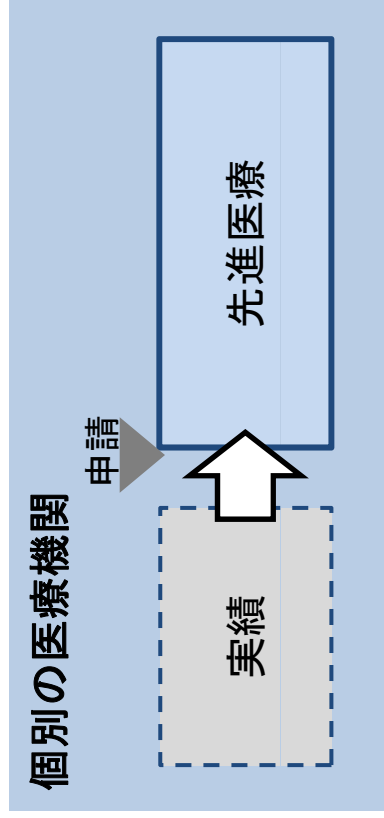
2. 先進医療の申請に必要な国内での数例の実績の効率化について

- 先進医療の対象技術の申請においては、数例の実績があることが求められているが、これを満たさない場合であっても、申請された個々の技術や医療機関の特性に応じて、先進医療の実施を認めることとする。
- 申請書における実績の記載に替えて、当該技術を有効かつ安全に実施することができる旨の記載を行うこととする。

【先進医療会議（仮称）で審査し、中医協に報告】

【通常の先進医療】

申請に当たっては、国内における実績が必要



(例) 臨床研究中核病院

申請

実績

先進医療

① 未承認薬、適応外薬

新薬の創出、実用化等の促進の観点を踏まえて、審査を行うこと。また、1の未承認薬等検討会議において医療上の必要性が高いとされた先進医療に係るものについても個別に当該スキームの適用を検討すること。

② 上記以外の技術

対象となる医療技術の医療上の必要性や、実施機関が、臨床研究中核病院等の安全かつ有効に当該技術を実施することができる医療機関であること等について慎重な審査を行うこと。

なお、医療機器については、製品の改良・改善が継続される特性を踏まえ医療上のニーズが高い分野が特定され、医療上の必要性の高い機器が選定される仕組みを整備した上で、この取扱いを適用する。

3. 先進医療会議（仮称）の審査体制等について

従来の審査体制

新たな審査体制

① 通常の先進医療に係る審査

② 医療上の必要性の高い抗がん剤に係る先進医療の審査

個別の医療機関からの申請
未承認薬、適応外薬等の使用を伴わない技術
(高度医療)
(第2項先進医療)

高度医療評価会議
① 技術の審査
安全性、有効性等を審査
② 実施機関の審査
個別の実施機関の適否を審査

先進医療専門家会議
① 技術の審査
効率性、社会的妥当性、将来の保険導入の必要性等を審査
② 実施機関の審査
実施機関の要件を設定

個別の医療機関からの申請
・未承認薬、適応外薬等の使用を伴う技術
・未承認薬、適応外薬等の使用を伴わない技術

先進医療会議（仮称）
① 技術の審査
倫理性、安全性、有効性、効率性、社会的妥当性、将来の保険導入の必要性等を審査
② 実施機関の審査
・実施機関の要件を設定
・実施機関の適否を個別に審査

未承認薬等検討会議
(医療上の必要性が高いとされた抗がん剤)

先進医療会議（仮称）
① 技術の審査
海外等の実績から適否を審査
② 実施機関の審査
実施可能な医療機関の属性
(医療機関群)を設定

設定された医療機関群に該当する
個別の医療機関からの申請

先進医療会議（仮称）
実施計画書（プロトコール）審査

当該会議が適切と認めた場合には
審査を外部機関に委託可能

新たな会議は、医療技術に関し専門的学識を有する者、保険診療に精通した者、臨床試験、生物統計に精通した者、医療経済学的な評価に精通した者、法律学の専門家等により構成する。

「新成長戦略」(抜粋)

(平成22年6月18日閣議決定)

・ライフ・イノベーションにおける国家戦略プロジェクト

今後、飛躍的な成長が望まれる医薬品・医療機器・再生医療等のライフサイエンス分野において、我が国の技術力・創造力を発揮できる仕組みづくりに重点に置いたプロジェクトに取り組む。また、医療分野での日本の「安心」技術を世界に発信し、提供する。

4. 医療の実用化促進のための医療機関の選定制度等

がんや認知症などの重点疾患ごとに、専門的医療機関を中心としたコンソーシアムを形成し、研究費や人材を重点的に投入するほか、先進医療に対する規制緩和を図ることにより、国民を守る新医療の実用化を促進する。

また、患者保護、最新医療の知見保持の観点で選定した医療機関において、先進医療の評価・確認手続を簡素化する。

これにより、必要な患者に対し世界標準の国内未承認又は適応外の医薬品・医療機器を保険外併用にて提供することで、難治療疾患と闘う患者により多くの治療の選択肢を提供し、そのような患者にとってのドラッグ・ラグ、デバイス・ラグを解消する。

新たな医薬品・医療機器の創出、再生医療市場の顕在化などにより、2020年までに年間約7,000億円の経済効果が期待される。

「規制・制度改革に係る対処方針」(抜粋)

(平成22年6月18日閣議決定)

・各分野における規制改革事項・対処方針

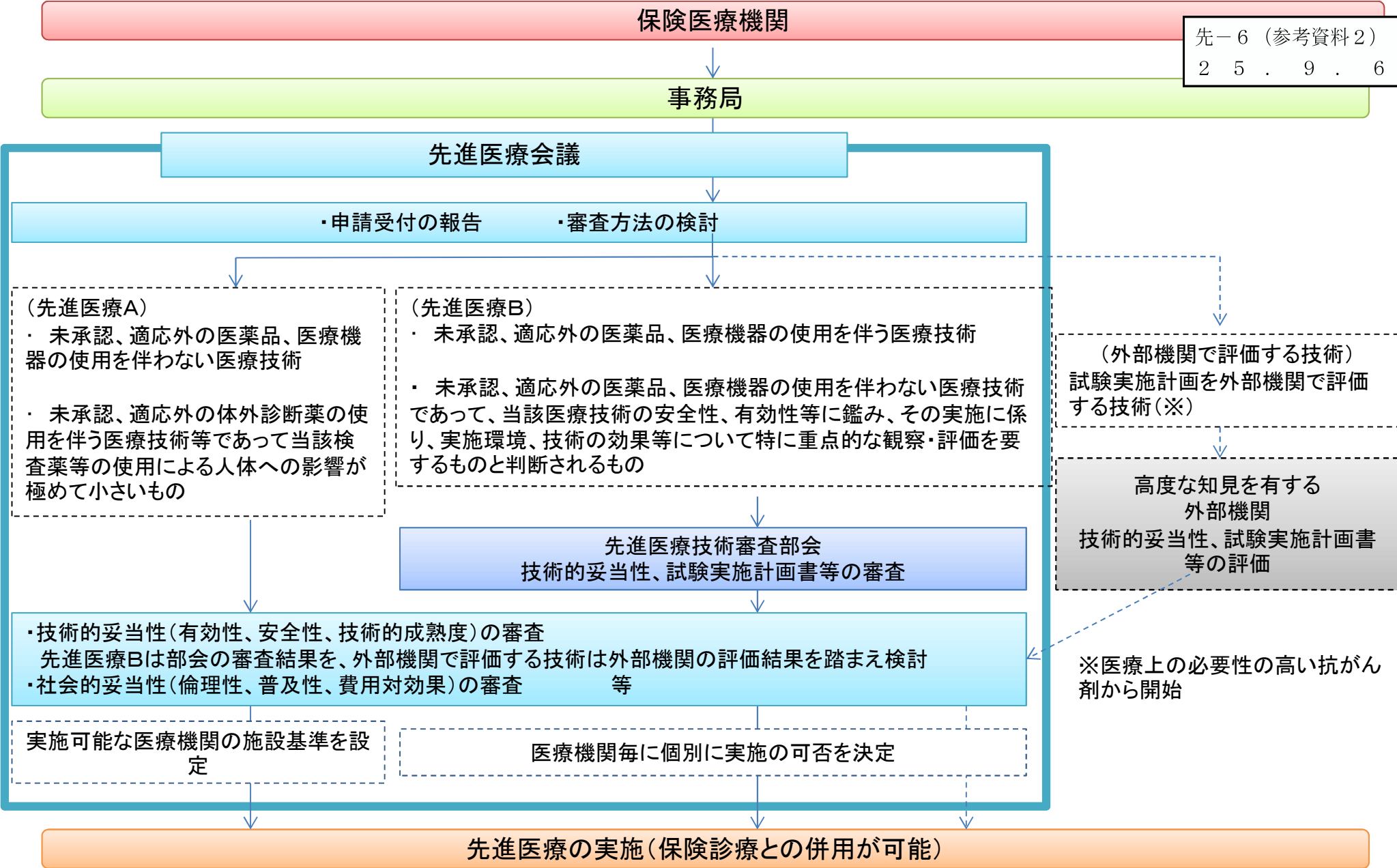
2. ライフイノベーション

規制改革事項	保険外併用療養の拡大
対処方針	<p>・現在の先進医療制度よりも手続が柔軟かつ迅速な新たな仕組みを検討し、結論を得る。具体的には、例えば、再生医療等を含めた先進的な医療や、我が国では未承認又は適応外の医薬品を用いるものの海外では標準的治療として認められている療法、或いは、他に代替治療の存在しない重篤な患者に対する治験中又は臨床研究中の療法の一部について、一定の施設要件を満たす医療機関において実施する場合には、その安全性・有効性の評価を厚生労働省の外部の機関において行うこと等について検討する。 <平成22年度中に結論></p>

先進医療の申請から保険適用までの流れについて

中医協 総-2 参考②
25.9.4

中医協 総-2-1
24.7.18 (改)



※医療上の必要性の高い抗がん剤から開始

先進医療の申請から保険適用までの流れについて

(前ページからの続き)

先進医療の実施

- ・診療報酬改定での保険導入に向けた検討のための報告
- ・毎年1回の定期報告

- ・試験期間の終了または症例登録の終了による総括報告
- ・毎年1回の定期報告

(先進医療A)

先進医療会議

(先進医療B)

先進医療技術審査部会
定期報告等を踏まえ、技術的妥当性(有効性、安全性、技術的成熟度)の評価

- 定期報告等を踏まえ、以下の内容を評価・検討。
- ・技術的妥当性(有効性、安全性、技術的成熟度)の評価
先進医療B及び外部機関で評価する技術においては部会の評価結果を踏まえ実施
 - ・社会的妥当性(倫理性、普及性、費用対効果)の評価
 - ・保険収載の必要性の検討
 - ・実施状況等を踏まえた先進医療としての継続の可否の検討 等

中医協

保険収載

※診療報酬改定時における検討

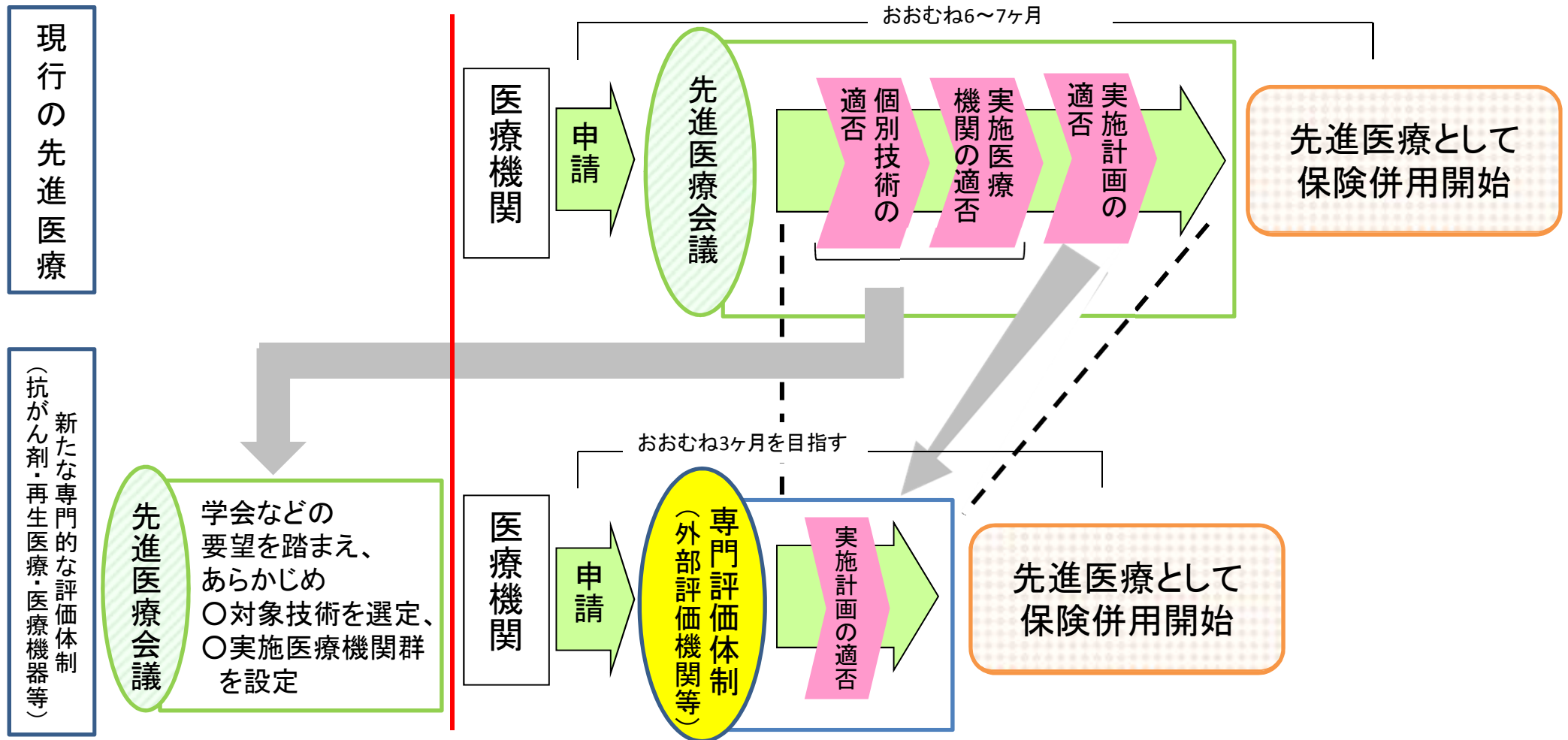
先進医療として継続

先進医療告示から取消し

最先端医療迅速評価制度(抗がん剤・再生医療・医療機器等)(仮称) の創設(案)～保険外併用の評価の迅速化、効率化～

中医協 総 - 7
25.6.12

患者が安全かつできるだけ早期に、最先端の医療を受けられるよう、最先端の医療(抗がん剤・再生医療・医療機器等)に関して新たに専門的な評価体制を創設。



まずは抗がん剤について上記の専門評価体制を本年秋頃を目途に整備。
再生医療、医療機器等についても、専門評価体制を創設し、評価の迅速化、効率化を図っていく。