

## 患者申出療養第一例目に係る当会議の議論と今後の対応について

### 1. 患者申出療養第一例目について

#### <技術の概要>

- ・ 技術名：パクリタキセル腹腔内投与及び静脈内投与並びにS—1内服併用療法
- ・ 申出患者：胃がん腹膜転移の患者
- ・ 臨床研究中核病院：東京大学医学部附属病院

- 第3回患者申出療養評価会議（平成28年9月21日開催）において患者申出療養制度の考え方等につき、構成員より以下のような指摘がなされた。
  - ・ 先進医療を継続している患者さんを本研究に組み入れるという話であれば、それは別の先進医療を立ち上げることとどこが違うのか。患者の申し出を起点とするという本制度の主旨や、申し出た患者さんの患者背景をどのように考えるべきか。
  - ・ 前治療歴があるなどの基準を広げることについては、有効性・安全性に問題がない範囲で、そういったことを検討いただきたい。かつ、その場合、リスクが広がるのであれば、説明文書にもその旨をしっかりと記載していただきたい。
  - ・ 「困難な病気と闘う患者の思いに応えるため」ということが、本制度の精神だと思ふ。（中略）申出療養を研究の位置づけにするのかどうか。
  - ・ 臨床研究の科学的厳密性をどの程度担保する必要があるかということと、患者さんの意向とのバランスということになるので、研究データとして本当にどの程度の厳密性を求めるのかがはっきりしない。
  - ・ シングルアームの試験であれば、有効性についてはきちんとしたエビデンスは出ないと思う。最初から安全性を目指すという形に整理することも考慮してはどうか。
  - ・ 安全性と科学性の話があったが、あくまでも探索的な臨床試験仕立てでやらないと、個々の施設が独自のプロトコルでやって、後で何も生み出さないということを行わせないための制度だと考えている。少なくとも安全性についてのデータは出るのではないか。
  - ・ 患者申出というものはある程度コンパッションエト的のところがあるが、試験だということの歯止めは必要ではないか。
- これらの指摘については引き続き検討を行っていくこととした上で、安全性を主評価とする第一例目の臨床研究計画については条件付きで承認された。
- なお、患者の適格基準について過度に拡大しているのではないかと指摘を受け、安全性を担保するという考えのもと、患者適格基準は下表のように修正を行った。

## 患者適格基準の対応表

	先進医療制度下	患者申出療養届出時	患者申出療養評価会議終了後
1) 初発かどうか	初発のみ	規定なし	規定なし
2) 前化学療法に関する規定	あり	なし	なし
3) ECOG Performance Status	0～1	0～3	<u>0～2</u>
4) 年齢	20歳以上 75歳未満	85歳未満	<u>20歳以上 85歳未満</u>
5) 遠隔転移	卵巣のみ可	卵巣以外の転移も可	<u>腹膜、卵巣、腹部リンパ節の転移のみ可</u>
6) 胃切除術施行症例	除外	組み入れ可	組み入れ可
7) 多量の腹水貯留例	除外	組み入れ可	組み入れ可

○スケジュールは以下のとおりであった。



9月7日 患者から厚労省へ申請書類の提出

- ・ 申請書の事前審査

9月21日 患者申出療養会議で評価

- ・ 「条件付き適」と評価され、申出療養の開始に向けた手続き開始

～10月14日 申出療養の開始（告示公布）

### 2. 患者申出療養制度の趣旨

<制度の趣旨>

- ・ 患者申出療養は、困難な病気と闘う患者の思いに応えるため、先進的な医療について、患者の申出を起点とし、安全性・有効性等を確認しつつ、身近な医療機関で迅速に受けられるようにするものであるが、これは、保険外併用療養費制度の中に位置づけるものであるため、いわゆる「混合診療」を無制限に解禁するものではなく、国民皆保険の堅持を前提とするものである。
- ・ 本制度は治験、先進医療といったこれまでの評価療養制度のもとでは先進的な医療にアクセスできなかった患者も、一定の要件のもとで当該医療を受けられるような制度設計となっている。

#### <保険収載に向けた対応について>

- ・一方で、本制度は医療保険財源からの支出を伴うことから、将来的な保険収載を目指すことを前提とし、基本的に臨床研究として実施する必要があり、このため、一定の臨床的エビデンスを集積可能な形の臨床研究計画に基づいて実施する必要がある。

#### <課題>

- ・本制度は、上記のような困難な病気と闘う個別の患者の思いに応えると同時に、一定のエビデンスの水準を保つために症例を集積するという2つの目的を達成するという困難さを有している。

### 3. 中医協からの指摘

- 第337回中央社会保険医療協議会総会（平成28年10月19日開催）において患者申出療養第一例目について報告した際に、委員より以下のような発言がなされた。
  - ・今回承認された第一例目は、形を変えた先進医療Bと受け取られかねない。
  - ・患者申出療養は、患者さんを起点にして、個別に丁寧に慎重に評価して治療を受けていただくという仕組みとして設計したもの。
  - ・臨床研究の実施計画は、患者申出療養に申し出た患者さんのための計画をつくるべきであって、適格基準を拡大し、症例数を増やすのは主旨と異なるのではないか。
  - ・事務局は、「臨床研究」というところに、有効性・安全性の観点から強く引っ張られ過ぎてしまったのではないか。（先進医療と同レベルの臨床研究計画にする必要はないのではないか。）

### 4. 対応方針（案）

- 上記の趣旨に則り、既存の制度で先進的な医療にアクセスできない中で困難な病気と闘う患者の思いに応えると同時に、一定のエビデンスの水準を保つために症例を集積するという臨床研究としての妥当性も考慮し、両者のバランスを取りながら、さらに、混合診療の解禁ではない形で、臨床研究計画書の作成を求めていく必要があると考える。
- 今後、具体例を蓄積していく中で、この両者についてどのようにバランスを取るかに関して、引き続き検討してはどうか。