

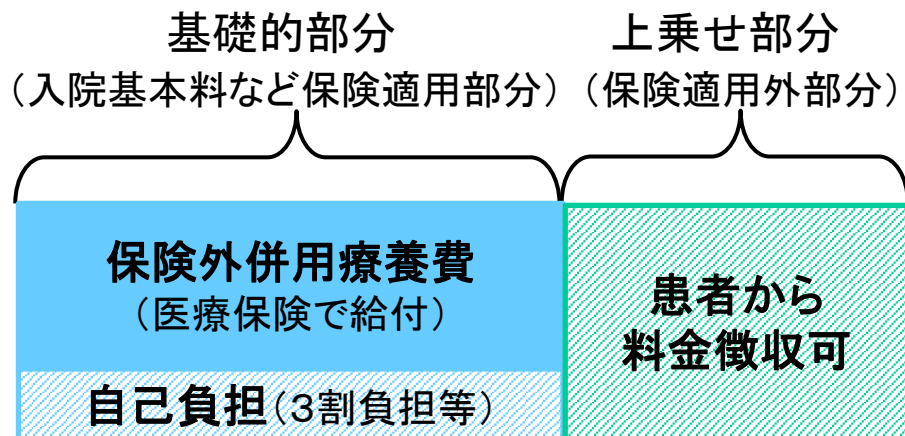
# 保険外併用療養費制度について

平成18年の法改正により創設  
(特定療養費制度から範囲拡大)

## ○ 保険診療との併用が認められている療養

- ① 評価療養
  - ② 患者申出療養
  - ③ 選定療養
- ① ② } 保険導入のための評価を行うもの
- ③ → 保険導入を前提としないもの

## 保険外併用療養費の仕組み



※ 保険外併用療養費においては、患者から料金徴収する際の要件(料金の掲示等)を明確に定めている。

## ○ 評価療養

- ・ 先進医療
- ・ 医薬品、医療機器、再生医療等製品の治験に係る診療
- ・ 薬事法承認後で保険収載前の医薬品、医療機器、再生医療等製品の使用
- ・ 薬価基準収載医薬品の適応外使用  
(用法・用量・効能・効果の一部変更の承認申請がなされたもの)
- ・ 保険適用医療機器、再生医療等製品の適応外使用  
(使用目的・効能・効果等の一部変更の承認申請がなされたもの)
- ・ プログラム医療機器の使用  
(薬事の第1段階承認後のもの、チャレンジ申請で再評価を目指すもの)

## ○ 患者申出療養

## ○ 選定療養

- ・ 特別の療養環境(差額ベッド)
- ・ 予約診療
- ・ 時間外診療
- ・ 大病院の初診
- ・ 大病院の再診
- ・ 180日以上入院
- ・ 制限回数を超える医療行為
- ・ 歯科の金合金等
- ・ 金属床総義歯
- ・ 小児う蝕の指導管理
- ・ 水晶体再建に使用する多焦点眼内レンズ
- ・ 保険適用期間終了後のプログラム医療機器
- ・ 間歇スキャン式持続血糖測定器
- ・ 精子の凍結及び融解
- ・ 長期収載品

# 治験とは

- 「くすりの候補」の開発の最終段階では、健康な人や患者さんの協力によって、人での有効性と安全性を調べることが必要です。こうして得られた成績を国が審査して、病気の治療に必要で、かつ安全に使っていけると承認されたものが「くすり」となります。
- 人における試験を一般に「臨床試験」といいますが、「くすりの候補」を用いて国の承認を得るための成績を集める臨床試験は、特に「治験」と呼ばれています。
- 治験は病院で行われますが、実施できる病院は、「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」という規則に定められた要件を満足する病院だけが選ばれます。その要件とは以下のとおりです。
  - ①医療設備が十分に整っていること
  - ②責任を持って治験を実施する医師、看護師、薬剤師等がそろっていること
  - ③治験の内容を審査する委員会を利用できること
  - ④緊急の場合には直ちに必要な治療、処置が行えること
- 治験には一般的に3つのステップ(相)があり、各段階で安全性・有効性を確認します。3つのステップが終了した後に、薬を開発している製薬企業が結果をまとめて厚生労働省に提出し、審査を受けます。審査の結果、承認を受けたものが薬として製造販売を許可されます。

## 治験の流れ(一般的な医薬品などの場合)



第Ⅰ相: 少数の健康な人を対象とし、主に薬の安全性を調べる段階。

第Ⅱ相: 比較的少数の患者さんを対象とし、薬の有効性・安全性を評価するとともに、薬の投与量等を確認する段階。

第Ⅲ相: 多数の患者さんを対象とし、有効性・安全性を最終適に確認する段階。すでに使用されている標準的な薬や偽薬(プラセボ)との比較を行うことが一般的。

# 人道的見地から実施される治験(拡大治験)とは

## <制度の趣旨>

- 今般、治験の参加基準に満たない患者に対する人道的見地からの未承認薬等の提供のあり方について、関係者の意見を聴取して実施可能性も考慮の上、「人道的見地から実施される治験」(以下「拡大治験」という。)として整理しました。
- 本制度は、法令的には既存の枠組みである治験制度の下に実施されることから、主治医からの要望に基づいて国が治験依頼者又は自ら治験を実施する者に対して拡大治験の実施の検討を要請する点や患者さんに一部の費用負担を求めることもあり得る点等を除き、原則として既存の治験の取扱と同様です。

## <対象範囲>

- 欧米の類似の制度と同様に、生命に重大な影響がある重篤な疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない未承認又は適応外の治療薬を使用するもの。
- 未承認薬の投与によるベネフィットの蓋然性が高いと考えられる新薬の国内開発の最終段階である治験(以下「主たる治験」)の終了後あるいは実施中(ただし、組入れ終了後)に実施されます。  
※主たる治験:通常、効能・効果及び用法・用量が一連の開発を通じて設定された後に実施される有効性や安全性の検証を目的とした治験

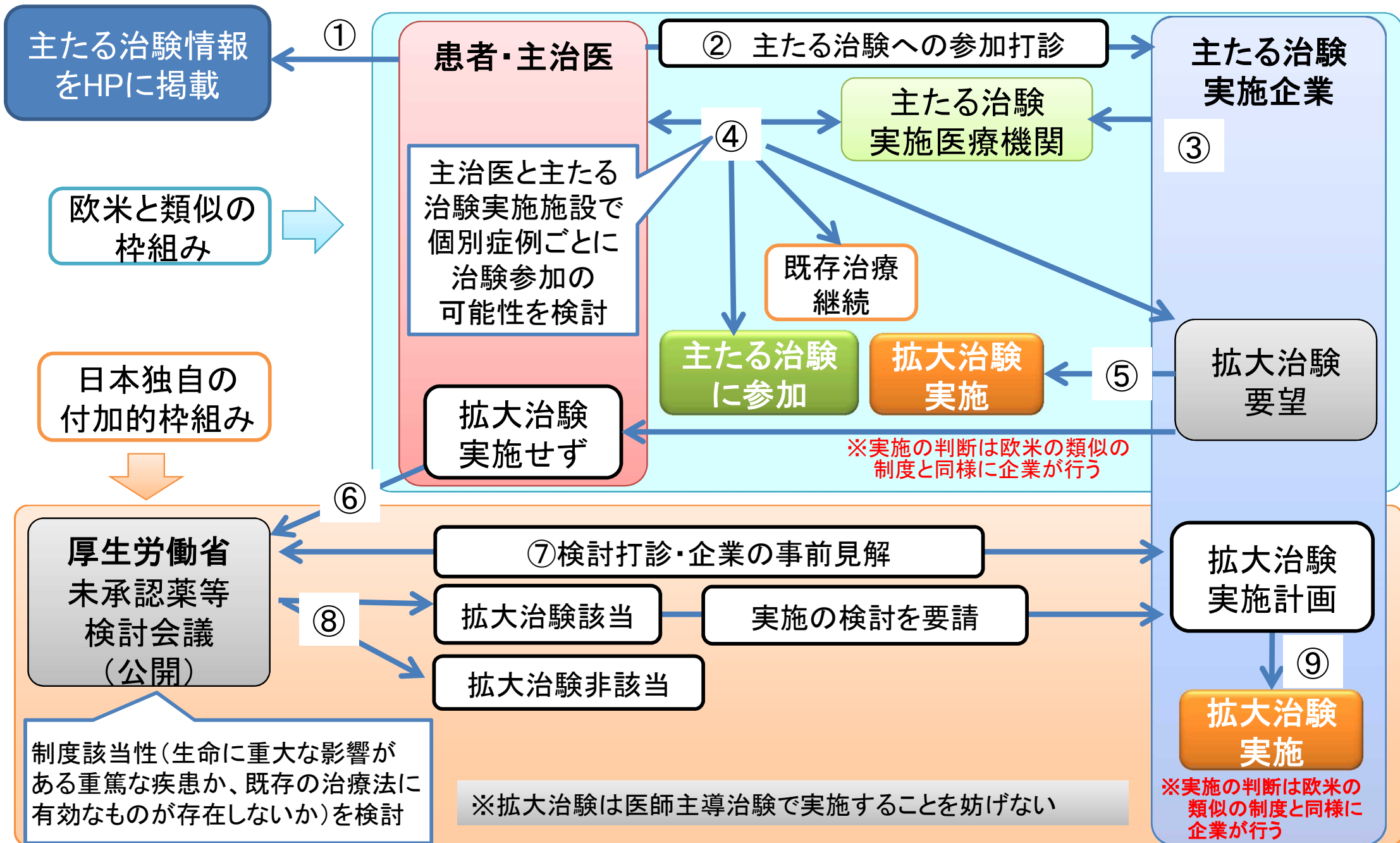
## <法的位置づけ>

- 未承認の医薬品を患者に適用するため、被験者の安全性確保等の観点から、治験の枠内で実施します。

## <取扱い>

- 主たる治験のプロトコールを基に、安全性に主眼を置いた、実薬単群非盲検試験を基本となります。

# 拡大治験実施の全体的な流れ

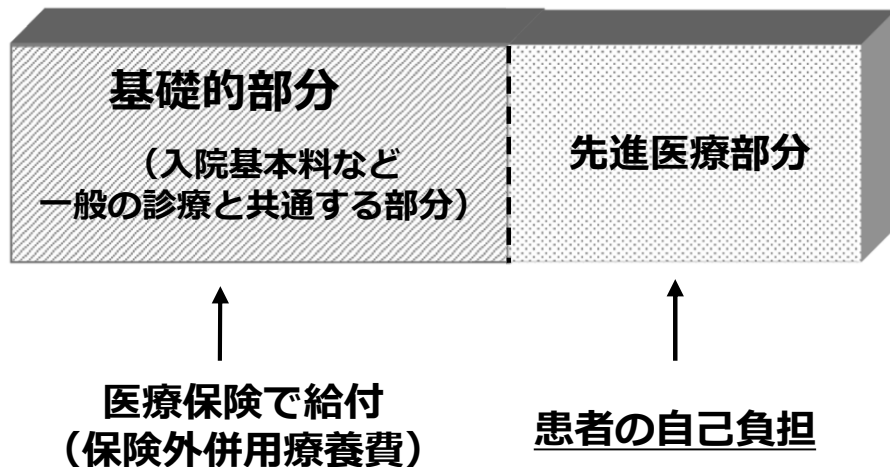


# 先進医療について

## 先進医療とは

- 未だ保険診療として認められていない先進的な医療技術等について、**安全性・有効性等を確保するための施設基準等を設定し、保険診療と保険外診療との併用を認め、将来的な保険導入に向けた評価を行う制度。**
- 入院基本料など一般の診療と共通する部分（基礎的部分）については保険が適用され、先進医療部分は患者の自己負担。
- 個別の医療技術が先進医療として認められるためには、**先進医療会議で安全性、有効性等の審査を受ける必要**があり、実施する医療機関は厚生労働大臣への届出又は承認が必要。

## 仕組み（概要）



## 対象となる医療技術の分類

### ○ 先進医療 A

- 1 未承認等の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の使用又は医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の適応外使用を伴わない医療技術（4に掲げるものを除く。）
- 2 以下のような医療技術であって、その実施による人体への影響が極めて小さいもの（4に掲げるものを除く。）
  - (1) 未承認等の体外診断薬の使用又は体外診断薬の適応外使用を伴う医療技術
  - (2) 未承認等の検査薬の使用又は検査薬の適応外使用を伴う医療技術
  - (3) 未承認等の医療機器の使用又は医療機器の適応外使用を伴う医療技術であって、検査を目的とするもの

### ○ 先進医療 B

- 3 未承認等の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の使用又は医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の適応外使用を伴う医療技術（2に掲げるものを除く。）
- 4 医療技術の安全性、有効性等に鑑み、その実施に係り、実施環境、技術の効果等について特に重点的な観察・評価を要するものと判断されるもの

# 先進医療実施の流れ①

保険医療機関

事務局

先進医療会議

・申請受付の報告

・審査方法の検討

(先進医療A)

- ・ 未承認、適応外の医薬品、医療機器等の使用を伴わない医療技術
- ・ 未承認、適応外の体外診断薬の使用を伴う医療技術等であって、その実施による人体への影響が極めて小さいもの

(先進医療B)

- ・ 未承認、適応外の医薬品、医療機器等の使用を伴う医療技術
- ・ 医療技術の安全性、有効性等に鑑み、その実施に係り、実施環境、技術の効果等について特に重点的な観察・評価を要するものと判断されるもの

先進医療技術審査部会

技術的妥当性、試験実施計画書等の審査

- ・ 技術的妥当性(有効性、安全性、技術的成熟度)の審査  
先進医療Bは部会の審査結果を、外部機関で評価する技術は外部機関の評価結果を踏まえ検討
- ・ 社会的妥当性(倫理性、普及性、費用対効果)の審査 等

実施可能な医療機関の施設基準を設定

医療機関毎に個別に実施の可否を決定

先進医療の実施(保険診療との併用が可能)

# 先進医療実施の流れ②

(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

事務局

(先進医療A)

(先進医療B)

先進医療会議

先進医療技術審査部会

技術的妥当性(有効性、安全性、技術的成熟度)の評価

- ・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

中央社会保険医療協議会における検討  
(※診療報酬改定時)

保険収載

先進医療として継続

先進医療告示から取消し

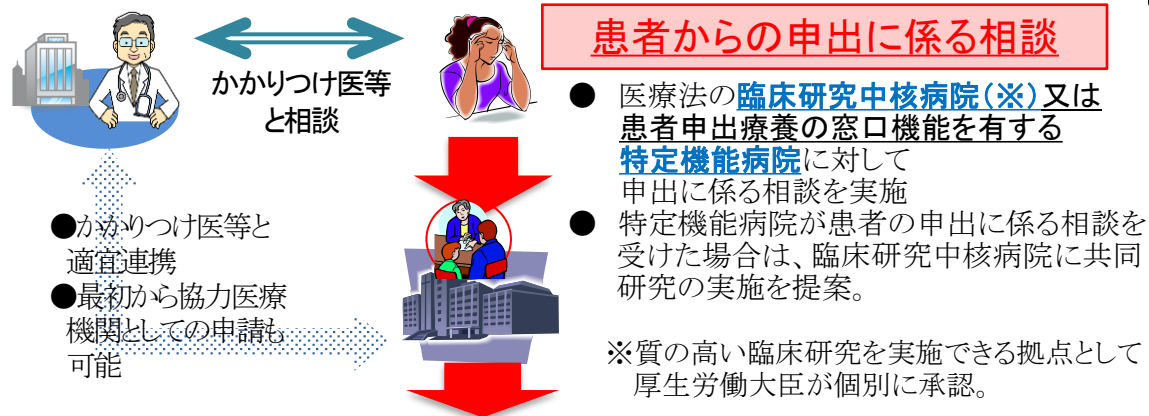
# 患者申出療養制度とは

- 未承認薬等を迅速に保険外併用療養として使用したいという困難な病気と闘う患者さんの思いに応えるため、患者さんからの申出を起点とする新たな仕組みとして創設されました。将来的に保険適用につなげるためのデータ、科学的根拠を集積することを目的としています。
- 本制度は、国において安全性・有効性等を確認すること、保険収載に向けた実施計画の作成を臨床研究中核病院に求め、国において確認すること、及び実施状況等の報告を臨床研究中核病院に求めることとした上で、保険外併用療養費制度の中に位置付けるものです。
- 患者申出療養として実施されることが想定される医療の類型と、それに応じた対応は以下のとおりです。
  - ①既に実施されている先進医療の実施計画対象外の患者に対する医療
    - 前例のない患者申出療養として、新たに実施計画の作成（先進医療の実施計画を変更する場合を含む。）を求め、国で審査（※）を行う。（※先進医療としての実施医療機関追加や実施計画変更につながる場合もありうる。）
  - ②先進医療としても患者申出療養としても実施されていない医療
    - 前例のない患者申出療養として、新たに実施計画の作成を求め、国で審査を行う。
  - ③現在行われている治験の対象とならない患者に対する治験薬等の使用
    - 1) 人道的見地からの治験の実施につなげることを検討する。
    - 2) 前例のない患者申出療養として、新たに実施計画の作成を求め、国で審査を行う。
- 患者申出療養として定められた医療について、実施計画の対象外の患者から相談があった場合は、①既存の実施計画を変更することによって対応を求める場合と②新たな実施計画を作成することによって対応を求める場合があります。
- 例外的に臨床研究の形式で実施することが難しい場合にも、実施計画の作成を求めることとしています。  
（※実施計画の内容は、臨床研究として実施される場合と臨床研究の形式で実施することが難しい場合とで異なることとなります。）
- 費用については、未承認薬等（保険診療の対象外）の金額など、「患者申出療養に係る費用」は全額自己負担になります。「患者申出療養に係る費用」以外の、一般の診療と共通する部分（診察・検査・投薬・入院料等）については保険が適用されます。

# 患者申出療養について

○国内未承認の医薬品等を迅速に保険外併用療養として使用したいという患者の思いに応えるため、**患者からの申出を起点とする新たな保険外併用療養の仕組み**として、**患者申出療養を創設**（平成28年度から実施）

〈患者申出療養としては初めての医療を実施する場合〉



原則6週間

患者から国に対して申出  
（臨床研究中核病院が作成する書類を添えて行う）

- 臨床研究中核病院は、特定機能病院やそれ以外の身近な医療機関を、協力医療機関として申請が可能

患者申出療養評価会議による審議

- 安全性、有効性、実施計画の内容を審査
- 医学的判断が分かれるなど、6週間で判断できない場合は全体会議を開催して審議

患者申出療養の実施

- 申出を受けた臨床研究中核病院又は特定機能病院に加え、患者に身近な医療機関において患者申出療養が開始
- 対象となった医療及び当該医療を受けられる医療機関は国がホームページで公開する

〈既に患者申出療養として前例がある医療を他の医療機関が実施する場合（共同研究の申請）〉



原則2週間

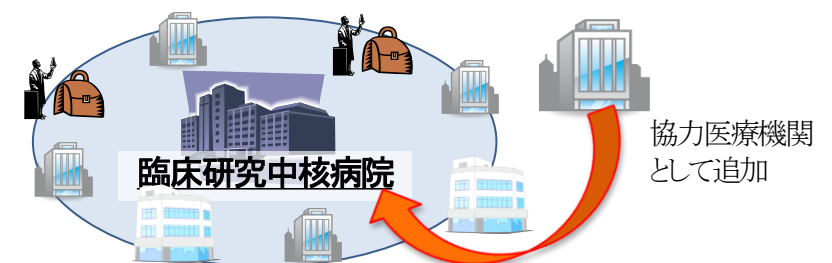
患者から臨床研究中核病院に対して申出

前例を取り扱った臨床研究中核病院

- 臨床研究中核病院は国が示した考え方を参考に、患者に身近な医療機関の実施体制を個別に審査
- 臨床研究中核病院の判断後、速やかに地方厚生局に届出

身近な医療機関で患者申出療養の実施

既に実施している医療機関



# 患者申出療養の対象となる医療のイメージ

現在評価療養の対象となっている医療

治験の枠組みで新たに評価療養の対象とする医療

患者申出療養が新たに対象とする医療

対象外

先進医療・治験の対象にならず、安全性・有効性も確認されない医療

## ○先進医療の対象にならないが、一定の安全性・有効性が確認された医療

- ① 既に実施されている先進医療を身近な医療機関で実施することを希望する患者に対する療養
- ② 先進医療の実施計画（適格基準）対象外の患者に対する療養  
（対象年齢外の患者や、病期の進んだ患者、合併症を有する患者等）
- ③ 先進医療として実施されていない療養  
（一部の国内未承認・海外承認医薬品等の使用や、実施計画作成が進まなかった技術等）

対象を  
拡大

現在も  
対象

### 先進医療A

- 先進医療会議が審査した実施計画の対象の患者に対する医療  
※国の基準に適合した医療機関が届出（認められた療養は告示に規定）

### 先進医療B

- 先進医療会議が審査した実施計画の対象の患者に対する医療  
※国が個別に認めた医療機関が届出（認められた療養は告示に規定）

治験等

薬事法  
承認後  
保険  
収載前

保険  
収載

現在も  
対象

対象を  
拡大

第Ⅰ相  
（健康な人を  
対象に実施）

第Ⅱ相

第Ⅲ相

長期継続投与治験

（治験を中止することにより  
不利益を生じる場合等）

薬事申請

薬事承認

※医薬品・  
医療機器に  
係るプロセス

治験

○現行の治験の対象とならないもの

人道的見地から実施される治験

情報収集(注1)

# 患者からの相談

→ Yes  
..... No

## 治験

該当試験なし

PMDA(医薬品医療機器総合機構)のHP上に、現在実施されている主たる治験情報が公開されている。  
(<https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0019.html>)

該当試験あり

実施企業(注2)に参加可能かどうか確認

実施企業(注2)に拡大治験の可否につき確認

### 拡大治験(※)に参加

(※人道的見地から実施される治験)

### 治験に参加

## 先進医療

該当試験なし

厚生労働省のHP上に、現在実施されている先進医療の技術の概要及び実施可能施設を公開している。  
(<http://www.mhlw.go.jp/topics/bukyoku/isei/sensiniryō/kikan.html>)

該当試験あり

実施医療施設に適格基準等から参加可能かどうか確認

実施医療施設に通院可能か否か

患者が希望する医療機関が協力医療機関として参加可能か確認

先進医療の計画変更により対応可能かどうか確認

### 先進医療に参加

## 患者申出療養

(既に告示されている技術)

該当試験なし

厚生労働省のHP上に現在実施されている患者申出療養の技術の概要及び実施可能施設を公開している。  
(<http://www.mhlw.go.jp/topics/bukyoku/isei/kanja/kikan.html>)

該当試験あり

実施医療施設に適格基準等から参加可能かどうか確認

実施医療施設に通院可能か否か

患者が希望する医療機関が協力医療機関として参加可能か確認

患者申出療養の計画変更により対応可能かどうか確認

### 患者申出療養に参加

(既に告示されている技術)

## それ以外の臨床研究

各医療機関および、近隣の医療機関で実施されている臨床研究につき可能な範囲で情報収集。

該当試験あり

該当試験なし

適格基準等から参加可能かどうか確認

### 臨床研究に参加

試験実施可能なエビデンス(欧米での承認等)があるか

医薬品等の入手が可能か

実施体制等の観点から実施可能か  
(\*計画作成の実現可能性等を踏まえる)

### 既存の技術で対応

## 新たな患者申出療養として実施

(注1) 情報収集に関しては、かかりつけ医、特定機能病院、臨床研究中核病院のいずれの医療機関で実施してもよい。

(注2) 医師主導治験の場合には実施医療機関(または医師)に確認。主たる治験実施者の連絡先に関しては下記リンクに公開されている。

(<https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0017.html>)