

未承認若しくは適応外の医薬品、医療機器又は再生医療等製品を 用いる医療技術に係る留意事項について

1. 経緯

- 未承認若しくは適応外の医薬品、医療機器又は再生医療等製品を用いる医療技術に係る留意事項については、現在の運用は別添の通りとしている。
- この運用の中で、高度で質の高い臨床研究を実施することができる保険医療機関において、当該医療技術を有効かつ安全に実施できることが明らかである場合には、数例以上の臨床使用実績が無い場合であっても、申請は可能としている。
- 具体的には、先進医療技術審査部会において、先進医療の継続の可否の評価に必要な症例数および評価項目を定め、評価に必要な症例数に達した際の部会への報告に基づいて、先進医療の継続の可否を評価している。
- しかしながら、先進医療技術審査部会の開催が概ね月に1回であることから、継続の可否の評価までに最長で1ヶ月を要することとなる。患者安全をより厳格に担保するためにも、できるだけ迅速化することが望ましい。また同時に適正に安全性を担保できる評価体制を維持することも重要である。

2. 対応方針（案）

- 先進医療技術審査部会に先立ち、評価に必要な数症例の試験結果および、その結果について独立データモニタリング委員会等で審議された結果を、評価担当構成員（申請時の主担当、副担当（生物統計担当））※の先生方に1週間程度でご確認いただき、先進医療継続の可否についてご評価（メール稟議）いただくこととしてはどうか。そして継続可となれば速やかに試験を再開してよいこととし、後日先進医療技術審査部会に報告することとしてはどうか。

※諸事情により申請時の構成員にお引き受けいただくことが難しい場合、適宜別の構成員にご確認いただくこととする。

- 評価のために提出を求める独立データモニタリング委員会等に関する資料としては、以下のものとしてはどうか。

◇ 議事録

◇ 当該審議結果に至った判断根拠（研究事務局から独立データモニタリング委員会等に提出された資料など）

◇ 承認時からの改訂の履歴が残った実施計画書

◇ 委員会等構成員リスト

(別添)

未承認若しくは適応外の医薬品、医療機器又は再生医療等製品を用いる医療技術に係る留意事項について

未承認若しくは適応外の医薬品、医療機器又は再生医療等製品を用いる医療技術に係る留意事項については、平成 28 年 3 月 4 日付「厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準の制定等に伴う手続き等の取扱いについて」に示されているが、今後の運用については下記 1. ～ 7. の通りとしてはどうか。

「厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準の制定等に伴う手続き等の取扱いについて」（平成 28 年 3 月 4 日付医政研発 0304 第 1 号、薬生審査発 0304 第 2 号、薬生機発 0304 第 2 号、保医発 0304 第 17 号）

第 2 の 6 国家戦略特別区域内で実施する新規技術に係る手続き等

②実施保険医療機関

臨床研究中核病院、臨床研究品質確保体制整備病院若しくは早期・探索的臨床試験拠点である保険医療機関又はそれらの保険医療機関と同水準以上と認められる臨床研究実施体制（臨床研究の実施及び管理に関する体制並びに安全性の確保に関する体制等をいう。以下同じ。）を有する保険医療機関であること。

第 2 の 7 未承認若しくは適応外の医薬品、医療機器又は再生医療等製品を用いる医療技術に係る留意事項

関係する法令又は指針の遵守の下で行われた当該施設において数例以上の臨床使用実績があること及びその 1 症例ごとに十分な検討がなされていることが必要である。

ただし、これを満たさない場合であっても、申請された個々の医療技術の特性に応じて、臨床研究中核病院、臨床研究品質確保体制整備病院又は早期・探索的臨床試験拠点及び先進医療会議において、第 2 の 6 ②に規定する実施保険医療機関としての要件を満たしていると判断された保険医療機関等の高度で質の高い臨床研究を実施することができる保険医療機関において、当該医療技術を有効かつ安全に実施できることが明らかである場合には、この限りではない。

1. 申請医療機関の要件

申請医療機関が臨床研究中核病院、臨床研究品質確保体制整備病院（以下、「臨床研究中核病院等」という。）又は先進医療会議において、国家戦略特別区域内で「保険外併用療養に関する特例」を利用可能と判断された医療機関等（以下、「国家戦略特区内における先進医療の特例を利用可能な医療機関」という。）であって、当該医療機関において整備する臨床研究支援部門が、試験実施計画書等の作成及び試験の実施等に携わっている場合には、数例以上の臨床使用実績が無い場合であっても、申請は可能とする。

臨床研究中核病院及び臨床研究品質確保体制整備病院（事業実施機関一覧）

【臨床研究中核病院】

- ・ 国立がん研究センター中央病院
- ・ 国立がん研究センター東病院
- ・ 東北大学病院
- ・ 大阪大学医学部附属病院
- ・ 名古屋大学医学部附属病院
- ・ 九州大学病院
- ・ 東京大学医学部附属病院
- ・ 慶應義塾大学病院
- ・ 千葉大学医学部附属病院
- ・ 京都大学医学部附属病院
- ・ 岡山大学病院

【臨床研究品質確保体制整備病院】

（臨床研究中核病院に移行したものは除く）

<平成 24 年度選定機関>

- ・ 北海道大学病院

<平成 25 年度選定機関>

- ・ 国立成育医療研究センター
- ・ 国立病院機構 名古屋医療センター

（平成 29 年 6 月現在）

国家戦略特区内における先進医療の特例を利用可能な医療機関（一覧）

【東京圏】

- ・ 国立がん研究センター
- ・ 慶應義塾大学病院
- ・ 東京大学医学部附属病院
- ・ がん研究会有明病院
- ・ 順天堂大学順天堂医院
- ・ 東京医科歯科大学医学部附属病院
- ・ 横浜市立大学附属病院
- ・ 東京都立小児総合医療センター

（平成 29 年 6 月現在）

【関西圏】

- ・ 大阪大学医学部附属病院
- ・ 国立循環器病研究センター病院
- ・ 京都大学医学部附属病院

【愛知県】

- ・ 名古屋大学医学部附属病院
- ・ 独立行政法人国立病院機構名古屋医療センター
- ・ 名古屋市立大学病院

【福岡市・北九州市】

- ・ 九州大学病院

【仙台市】

- ・ 東北大学病院

2. 協力医療機関の要件

協力医療機関は、臨床研究中核病院等又は国家戦略特区内における先進医療の特例を利用可能な医療機関であることとする。

3. 数例の臨床使用実績の効率化の可否の評価

先進医療技術審査部会において技術的妥当性の評価を行う際に、数例の臨床使用実績の効率化の可否について評価を行う。この場合、当該技術の安全性、有効性、先行研究の内容、申請医療機関等の実施体制等を勘案する。

4. 先進医療の継続の可否の評価に必要な症例数等

3. で数例の臨床使用実績の効率化が可とされた場合は、先進医療として数例の実施を行った後に、先進医療の継続の可否を評価する。そのため、先進医療の継続の可否の評価に必要な症例数および評価項目を先進医療技術審査部会において定める。

5. 先進医療の継続の可否の評価に必要な症例数に達した際の報告

申請医療機関は、先進医療において4. で定めた症例数まで実施し、その結果について独立データモニタリング委員会※等で審議した後、先進医療技術審査部会へ報告する。

6. 報告結果を踏まえた先進医療継続の可否の評価

- ① 先進医療技術審査部会において、4. で定めた評価項目と5. の報告に基づいて、先進医療の継続の可否を評価する。
- ② 先進医療として継続することが可とされた場合は、臨床研究中核病院等又は国家戦略特区内における先進医療の特例を利用可能な医療機関以外に協力医療機関の範囲を拡大することを可能とする。

7. 臨床研究品質確保体制整備病院の取り扱いについて

臨床研究品質確保体制整備病院の補助期間は5年間の予定とされており、平成24年度に選定された医療機関は平成29年3月末、平成25年度に選定された医療機関は平成30年3月末で補助等は終了予定である。

当該医療機関について、上記 1.、2. で申請医療機関又は協力医療機関として既に承認されている場合には、補助期間が終了後も、承認済みの技術に限り、そのまま申請医療機関、協力医療機関として継続可能とする。

※独立データモニタリング委員会

(医薬品の臨床試験の実施に関する基準 (GCP) のガイドライン (ICH E6 GCP 日本語訳) より抜粋)

1.25 独立データモニタリング委員会 (IDMC) Independent Data-Monitoring Committee (IDMC)

(効果・安全性モニタリング委員会、モニタリング委員会、データモニタリング委員会)

治験の進行、安全性データ及び重要な有効性エンドポイントを適当な間隔で評価し、治験依頼者に治験の継続、変更、又は中止を提言することを目的として、治験依頼者が設置することができる独立したデータモニタリング委員会。