

患者申出療養の実施状況及び位置づけ等について（令和4年1月時点）

患 - 1 - 2
4 . 1 . 2 1

通し 番号	告示 番号	技術名	対象疾患	臨床研究 中核病院	告示日	実施状況	位置づけ※
1	1	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	腹膜播種 又は進行性胃がん	東京大学医学部 附属病院	H28.10. 14	新規患者の 受入は終了	③
2	—	耳介後部コネクターを用いた 植込み型補助人工心臓による療法	重症心不全	大阪大学医学部 附属病院	H29.3.3	R3.10.18 取り下げ済	⑤
3	3	リツキシマブ静脈内投与療法	難治性天疱瘡	慶應義塾大学病院	H29.5.2	継続中	⑤
4	—	チオテパ静脈内投与、カルボプラチン静脈内 投与及びエトポシド静脈内投与並びに自家末 梢血幹細胞移植術の併用療法	再発または難治性の髄芽腫、 PNET（原始神経外胚葉性腫 瘍）、ATRT（非定型奇形腫様/ ラブドイド腫瘍）	名古屋大学医学部附 属病院	H29.5.2	R1.8.26 取り下げ済	④
5	—	レジパスビル・ソホスブビル経口投与療法	Genotype1型C型肝炎 ウイルス感染に伴う 非代償性肝硬変	大阪大学医学部 附属病院	H30.9.1 9	R1.7.31 取り下げ済	④
6	4	インフィグラチニブ経口投与療法	進行固形がん	名古屋大学医学部附 属病院	H30.12. 14	継続中	④
7	5	経皮的乳がんラジオ波焼灼療法	早期乳がん	国立がん研究セン ター中央病院	H31.3.6	継続中	③
8	6	マルチプレックス遺伝子パネル検査による遺 伝子プロファイリングに基づく分子標的治療	根治切除が不可能な 進行固形がん	国立がん研究セン ター中央病院	R1.10.1	継続中	④
9	7	トラスツズマブエムタンシン静脈内投与	乳房外パジェット病	慶應義塾大学病院	R2.6.18	継続中	④
10	8	エヌトレクチニブ経口投与療法	脳腫瘍	名古屋大学医学部附 属病院	R2.7.20	継続中	④
11	9	リツキシマブ静脈内投与療法	難治性慢性炎症性脱 髄性多発神経炎	名古屋大学医学部附 属病院	R3.8.11	継続中	⑤
12	10	ダブラフェニブ経口投与及びトラメチニブ経 口投与の併用療法	神経膠腫	九州大学病院	R3.9.16	継続中	⑤

【※ 「患者申出療養の対象となる医療のイメージ」を参照】

- | | |
|--|---------------------|
| 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 | ④ 先進医療として実施されていない療養 |
| 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 | ⑤ 現行の治験の対象とならないもの |
| ③ 既に実施されていて新規組入が終了した先進医療を実施することを希望する患者に対する療養 | |

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 既に実施されていて新規組入が終了した先進医療を実施することを希望する患者に対する療養
- ④ 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）

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

対象を拡大

現在も対象

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

薬事申請

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）

薬事承認

治験

⑤ 現行の治験の対象とならないもの

治験の枠組み内での柔軟な運用による対応
（日本版コンパッションエートユース）

※医薬品・
医療機器等に
係るプロセス

薬事承認に向けた準備状況等（令和4年1月時点）

通し 番号	告示 番号	技術名	薬事申請及び公知申請の準備状況等
1	1	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	先進医療制度下の第Ⅲ相試験の結果等を基に日本胃癌学会より要望書を提出したが、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議ではエビデンス不十分と判断され、公知申請には至らなかった。その後の国内外の臨床試験の結果および現在実施中の本患者申出療養の中間解析の結果を基に今後の進め方について関連各所に相談する予定である。
2	—	耳介後部コネクターを用いた 植込み型補助人工心臓による療法	センチュリー社の薬事承認申請にあたり、本患者申出療養における解析データ等を共有予定である。
3	3	リツキシマブ静脈内投与療法	令和3年12月24日に薬事承認を取得した。
4	—	チオテパ静脈内投与、カルボプラチン静脈内 投与及びエトポシド静脈内投与並びに自家末 梢血幹細胞移植術の併用療法	2019年3月同種同効薬リサイオ®承認
5	—	レジパスビル・ソホスブビル経口投与療法	非代償性肝硬変に対してベルパタスビル・ソホスブビル併用（エブクルーサ）療法が保険適用となったため、本試験のプロトコールに従い、試験中止を予定していた。本試験対象患者の治療終了24週時点を確認の上、退院日である2019年7月20日をもって試験中止とした。そのため、薬事申請に向けた準備を予定していない。
6	4	インフィグラチニブ経口投与療法	2021年5月再発胆管癌に対しFDA承認
7	5	経皮的乳がんラジオ波焼灼療法	日本乳癌学会より、Cool-tip RFA システム E シリーズ(コヴィデエンジャパン株式会社)は、早期乳癌（腫瘍径1.5cm以下の単発、触診及び画像診断による腋窩リンパ節転移及び遠隔転移を認めない早期乳癌患者）に対する乳房内の腫瘍の凝固及び焼灼（ラジオ波熱焼灼療法）を使用目的とし医療上の有用性が期待できると判断され、医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会に要望書が提出された。第32回同検討会（2021年11月1日開催）の審議の結果、早期導入品目として選定された。現在、先進医療B制度を利用した臨床試験データで薬事承認申請に向け準備を行っている。
8	6	マルチプレックス遺伝子パネル検査による遺 伝子プロファイリングに基づく分子標的治療	本試験の医薬品コホートのうち、2コホート（タフィンラー・メキニスト併用コホート、オブジーボコホート）において、予定登録数に達し、登録が終了した。現在、最終解析に向けて追跡調査中であり、高い有効性が認められれば、その結果を元に、薬事申請を目指した治験等の立案や、公知申請の検討、未承認薬・適応外薬検討会議への要望等を行う予定である。上記の2コホート以外については、引き続き登録を継続し、有効性について探索する予定である。
9	7	トラスツズマブエムタンシン静脈内投与	一部対象及び治験デザインを変更して医師主導治験実施中。 「HER2陽性の進行期乳房外パジェット病に対するトラスツズマブエムタンシン治療の第Ⅱ相臨床試験」
10	8	エヌトレクチニブ経口投与療法	STARTRK-2試験ならびに海外STARTRK-NG試験は継続中。海外にて第2相試験（TAPISTRY試験）を開始
11	9	リツキシマブ静脈内投与療法	免疫グロブリンGサブクラス4（IgG4）自己抗体陽性の難治性慢性炎症性脱髄性多発神経炎（CIPD）患者に対するリツキシマブ（遺伝子組換え）の有効性及び安全性を検討する探索的臨床試験（RECIPE trial: jRCT2041180037, NCT03864185）（国内医師主導治験）の総括報告書を作成中である。
12	10	ダブラフェニブ経口投与及びトラメチニブ経 口投与の併用療法	「BRAF V600変異陽性の低悪性度神経膠腫（LGG）、若しくは再発又は難治性高悪性度神経膠腫（HGG）を有する小児及び青少年患者を対象にトラメチニブとの併用によるダブラフェニブの効果を評価する第Ⅱ相、非盲検、国際共同試験（ClinicalTrials.gov Identifier: NCT02684058）」は2021年8月にprimary completion（データカットオフ）を達成し、2023年5月に試験終了予定である。