

第185回先進医療技術審査部会	資料5
令和8年3月12日	

第184回先進医療技術審査部会	資料4
令和8年2月9日	

先進医療Bの試験実施計画の変更について

【申請医療機関】

大阪大学医学部附属病院

【先進医療告示番号と名称】

大臣告示番号 56

脊髄髄膜瘤胎児手術

【適応症】

脊髄髄膜瘤

【試験の概要】

従来新生児期に施行している脊髄髄膜瘤閉鎖術を胎児期に行い、髄膜瘤への羊水による化学的刺激や子宮壁への接触による物理的な刺激を早期に途絶することで、脊髄神経損傷の程度を軽減でき、出生後の神経予後や水頭症やキアリ奇形II型などの合併症が改善する

【医薬品・医療機器情報】

【実施期間】

被験者登録期間：2025年3月1日～2027年10月31日

研究実施期間：2025年3月1日～2029年2月28日

【予定症例数】

症例 10 例

【現在の登録状況】

4 症例（2025年12月26日現在）

【主な変更内容】

先進医療実施届出書（様式第6号、第7-1号、第7-2号）に記載していた金額が正式な金額でなかったため。

【変更申請する理由】

先進医療実施届出書（様式第6号、第7-1号、第7-2号）に記載していた金額が正式な金額でなかったため。尚、先進医療に係る費用は研究費等

から支出されており、患者に負担は生じない。

【試験実施計画の変更承認状況】

具体的な費用については、倫理委員会の審議事項ではなかったため、変更申請は発生していない。

令和8年1月16日

先進医療技術審査部会
構成員各位

大阪大学医学部附属病院
病院長 野々村 祝夫

先進医療実施届出書における金額の誤りについて

大阪大学医学部附属病院（以下、当院という）にて先進医療として実施している臨床研究「脊髄髄膜瘤胎児手術」について、先進医療実施届出書で記載していた金額に誤りがありましたので、報告いたします。なお、先進医療実施にかかる費用については、全て研究者らの研究費等から支出しており、患者様に負担は生じていないことを申し添えます。また、先進医療以外の費用についても、請求は正しく行われており、追加で患者様に負担が生じることもございません。

このような事案が発生したことは誠に遺憾であり、関係する皆様に多大なご迷惑をおかけしたことを深くお詫び申し上げます。引き続きご指導ご鞭撻を、何卒よろしくお願いいたします。

【経緯】

(1)平成30年11月

脊髄髄膜瘤胎児手術を先進医療Aとして申請するための手続き開始。当院の事務部医事課先進医療担当者が費用の積算作業を行い、様式第6号別紙の他、費用に関する箇所を作成する。

諸事情により、届出には至らなかった。平成30年においては脊髄髄膜瘤胎児手術を実施した経歴が無かったため、様式6号には、一般的な帝王切開術の症例の費用を記載していた。

(2)令和5年12月

中断していた脊髄髄膜瘤胎児手術の申請について、先進医療Bとして手続きを再開。平成30年に作成した資料を参考に進める。様式第6号作成に当たり、典型的な症例として、令和5年8月に脊髄髄膜瘤胎児手術を実施した症例を選出し、入院期間を64日と記載していた。しかし様式第6号別紙（保険外併用療養費分の内訳）について症例の変更作業から漏れてしまい、平成30年作成当時の一般的な帝王切開術の症例の記載のままとなった。一般的な帝王切開術と、令和5年8月に実施した典型的な症例では、入院期間が55日間異なり、保険外併用療養費分の費用に大きな齟齬が生じた。その後、症例の誤りに気付かないまま、様式第6号別紙について保険点数の更新分のみ修正し、申請した。

(3)令和7年1月

当院より先進医療Bとして先進医療実施届出書を提出。

(4)令和7年2月

厚生労働省先進医療会議にて承認。3月1日より適用開始。

その後、院内にて諸料金規則の一部改正手続きを行う際、先進医療の費用が内容に対して低額ではないかとの指摘を受ける。指摘以降、ただちに関連部署（診療科、手術部、医事課、等）で確認作業を開始した。確認過程で、先進医療に係る費用が正しく記載されていないことが判明した。

(5)令和7年7月

確認作業で判明した内容を踏まえ、「脊髄髄膜瘤胎児手術」の費用の見直し作業を行った。修正前、修正後の費用については以下に示すとおり。

【本先進医療に要する費用】

誤	正
---	---

<p>① 保険外併用療養費分 入院費（64日）307,070円×7割 ≒ 214,950円 入院時食事療養費 = 4,000円 計 218,950円</p> <p>② 先進医療にかかる費用 医療機器使用料 0円 + 人件費 155,184円 + 医療材料、医薬品、再生医療等製品等 306,442円 + その他 47,552円 = 509,178円 ≒ 509,000円</p> <p>③ 保険外併用療養費分に係る一部負担金 入院費（64日）307,070円×3割 ≒ 92,120円 入院時食事療養費 = 9,200円 計 101,320円</p> <p>総費用（①+②+③） 829,270円</p>	<p>① 保険外併用療養費分 入院費（64日）3,318,940円×7割 ≒ 2,323,260円 入院時食事療養費 = 76,340円 計 2,399,600円</p> <p>② 先進医療にかかる費用 医療機器使用料 33,676円 + 人件費 305,000円 + 医療材料、医薬品、再生医療等製品等 354,716円 + その他 230,374円 = 923,766円 ≒ 924,000円</p> <p>③ 保険外併用療養費分に係る一部負担金 入院費（64日）3,318,940円×3割 ≒ 995,680円 入院時食事療養費（標準負担額） = 44,620円 計 1,040,300円</p> <p>総費用（①+②+③） 4,363,900円</p>
--	--

①保険外併用療養費分については、正しく計算した結果が 2,399,600 円で、修正前の数値が不適切に少額であったと考えられる。

②については、積算漏れのあった医療機器使用料、人件費（看護師 2 名→7 名に変更）、医療材料及び消耗品等（積算漏れを追加）を含め正しく計算した結果が 924,000 円で、修正前の数値が不適切に少額であったと考えられる。

③保険外併用療養費分に係る一部負担金については、正しく計算した結果が 1,040,300 円で、修正前の数値が不適切に少額であったと考えられる。

①、③について、上記（2）で記載したとおり、修正前に記載していた額は帝王切開術の症例を元にした金額であったため、金額に大きな乖離が生じたものと考えられる。なお、実際の診療においては正しく計算した額で請求されており、本修正によって患者様に追加請求等は発生しない。

【原因】

上記(2)の申請書類作成に期間を要したことにより、人的要因も含め業務引継等が脆弱となり関連項目の精査が不足していた。

【今後の対策】

今回発生した誤記載の原因は、過去の申請準備段階で用意していた数値をそのまま用いたことに加え、その数値の根拠となった症例背景の確認が十分でなかったこと、届出書提出前に書類作成に関わった担当者間で相互にチェックできていなかったこと等が考えられた。今後の対策について、書類の作成に当たっては、過去の記載を踏襲することは廃止

し、担当者が当事者意識を持って全ての記載項目を精査して行うようにする。また、その作成においては、根拠となっている数値等について、確認を徹底し最新の情報を元に行うようにする。その際、申請にかかる期間を念頭に置き、診療科、関連部署にて最新の情報を共有するようにする。さらに、作成した書類の内容について、関連する部署の立場にとらわれることなく、診療科と事務部の相互におけるチェック体制を強化し、多職種間の連携を密に行い、正確を期すことを徹底する。本件は極めて重大な事案であることを踏まえ、本学で実施しているすべての先進医療について、記載金額の妥当性に関する全件点検を速やかに実施する。

先進医療技術審査部会
構成員各位

大阪大学医学部附属病院
研究責任者 遠藤 誠之

この度は、先進医療実施届出書における重大な記載誤りを起こし、大変申し訳ございません。審査に携わられた先生方の信頼を損なう結果となりましたことについて、研究責任者として深く反省しております。ここに謹んでお詫び申し上げます。

2月9日（月）にご審議いただいた際にお示しいただいた懸念事項について、ここにご説明させていただきます。本来であれば直接ご説明に上がるべき内容ではありませんが、書面での回答となりますこと、お許しください。

【経緯】

本技術は2025年3月1日付で先進医療として告示され、開始いたしました。その後、胎児出生後の管理、評価を行う小児科、整形外科が実施者として記載されていないことが判明し、2025年6月に変更申請を行いました。変更申請完了後、2025年7月に成育医療センターを協力医療機関として申請すべく事務局に連絡させていただきました。その際、事務局にて書類を確認いただいたところ、先進医療にかかる費用について、大阪大学と成育医療センターに大きな乖離があることが判明しました。金額の乖離について、大阪大学及び成育医療センターの算出根拠を全面的に見直したところ、大阪大学の金額が誤っていたことが判明しました。正しい金額を算出すべく、これまでの症例を全て見直し手術に必要な材料一式、関わる職種とその人数の確認を事務部門と手術部門を中心に進めましたが、この作業に多くの時間を要することになり、確定したのが2025年12月でした。同じような誤りを繰り返さないよう、最大限に注意を払いながら確認を進めて参りましたが、結果として5ヶ月もの時間を要してしまったことを、大いに反省しております。本先進医療は、告示後からお問い合わせいただくこともあり、現在までに4症例に対して本手術を実施して参りました。病院長から詳細に説明がありました通り、先進医療を志した書類作成初期（2019年）から数年以上経過しており、費用計算の経緯や内容を把握する担当者が不在のまま申請書作成が行われたことにより、費用の積算の誤りの発覚に時間を要しました。

【費用についての記載誤りと患者様の負担について】

記載誤りは「保険外併用療養費」と「先進医療にかかる費用」に大別されます。「保険外併用療養費」は実際にかかりました医療費を計上しており、各症例によって費用が異なります。末尾に【これまでに先進医療として行った4症例の費用】を記載させていただきました。入院日数は46日～88日とばらつきがあり、それによってそれぞれで費用が異なっております。これは先進医療承認前に行った早期安全性評価試験10症例の入院日数と比較しても大きくは変わりません。しかし、従来の届出書に記

載しているような費用（入院9日分の費用でございます）で退院可能な症例は無く、我々の誤記載で、誤解の上御審議いただきましたこと、誠に申し訳ございませんでした。

なお、従来の届出書に記載していた入院9日の根拠ですが、当時はまだ日本での症例経験がなかったため、研究責任者が米国滞在当時に行われていた胎児手術の症例経験から用いましたが、その後、早期安全性評価試験での10症例での術後管理において、日本での入院日数がはるかに長く、後述するように典型的症例として新規に取り上げた症例の入院期間は64日間でした。

また、「先進医療にかかる費用」について、現在までに実施した4症例に対しては、従来記載しておりました509,000円としておりました。再度本技術に係る適切な人数と時間、使用している医療機器について計算し直した結果、924,000円係ることが判明いたしました。これまで行った4症例すべて研究費とクラウドファンディングにて賄っており、研究対象者に負担はかかっておらず、415,000円については、病院の持ち出しとなっている状況でございました。院内での費用の管理について、ずさんであったと認識しております。今回の変更申請として、924,000円とさせていただきます、適正な費用の元、今後は実施して参りたいと考えております。

本医療技術は現時点で保険適用外であり、公的資金の支援のもと実施されていることを厳粛に受け止めております。本誤りは、先進医療の申請の信頼を揺るがすものである重大な事案であると認識しております。

改めて今回の費用の記載誤りについて、非常に重大な問題と認識し、信頼を損ねることになったこと、誠に申し訳ございませんでした。当院としましては、国民の皆様に対する説明責任を十分に果たす所存です。また、本治療を必要とする妊婦および家族、ならびに胎児に対して適切に医療を提供できる体制を維持するため、研究実施体制の透明性向上および信頼回復に向け、研究チーム一同で再発防止策を徹底し、誠実に対応してまいります。

【積算根拠】

先進医療申請前に実施したAMED難治性疾患実用化研究事業における早期安全性評価試験では、計10症例の胎児手術を実施しました。先進医療に要する費用算出のため、申請書類様式第6号へ記載する典型症例として、様式第3号に登録された症例のうち整理番号2を選定いたしました。

当該症例は、先進医療に承認される前の令和5年8月に大阪大学医学部附属病院において実施した早期安全性評価試験の第3例目の胎児手術症例であり、妊娠25週時に手術を施行し、術後経過は良好でした。遠方から紹介で来られた患者様で、切迫早産に対して入院管理を継続して行いました。その後、妊娠34週に陣痛発来のため帝王切

開にて分娩に至りました。手術実施日から分娩日までの期間は 64 日間であり、米国におけるランダム化比較試験で報告された平均分娩週数（約 34 週）と概ね一致する経過であったことから、典型症例として選定いたしました。その後、先進医療として実施した 4 症例における入院期間は 46～88 日間であり、今後の症例集積にもよりますが、現時点では、選定した症例は典型症例であると認識しております。

【クラウドファンディングについて】

AMED 難治性疾患実用化研究事業の支援を受け、2020 年度から 2023 年度までの期間に早期安全性評価試験を実施し、この期間における研究参加者の診療費は研究費により全額負担しておりました。

2024 年度以降は先進医療へ移行する計画としておりましたが、当初、研究資金の継続的確保が不透明であったことから、大阪大学未来基金「クラウドファンディング基金」へ申請し、2023 年 10 月に学内審査を経て採択されました。その後、大学が提携する仲介事業者（Readyfor 株式会社）を通じた資金調達の準備を行いましたが、規程上、先進医療承認前は募集開始が認められていないため、準備段階にとどめておりました。

その後、2024 年度に再度 AMED 研究費を獲得し研究実施体制は維持可能となりましたが、研究参加者への診療費全額補助を継続することは困難となりました。このため、患者自己負担分および来院に係る交通費について、大阪大学未来基金を通じて補填する仕組みを構築しました。また、協力医療機関で手術を受ける症例については不公平が生じないように、AMED 研究費から支出可能となるよう研究費配分を調整しております。

2025 年 3 月 1 日に先進医療として承認を受けた後、同年 3 月 4 日から 4 月 30 日までクラウドファンディングを実施し、391 名の方から総額 16,450,000 円の寄付を受領しました。特定の製薬企業または医療機器メーカーからの寄付は含まれておりません。現在までに 4 症例に対して本手術を実施しており、寄付金確定後に実施した症例について、上記の補填（先進医療にかかる費用：509,000 円に加え、本人及び家族の交通費・宿泊費）を行っております。クラウドファンディングで補填した症例と研究費で補填した症例については、先進医療分や交通費など、支援する内容については同一に定めており、すべての症例で等しく、「保険外併用療養費の一部負担金」以外の研究対象者の金銭的負担はございません。

【治療を行う意義について】

脊髄髄膜瘤は、胎生 4 週における神経管閉鎖不全に起因する二分脊椎の最重症型であり、脊髄が皮膚および支持組織に覆われず外表に露出する先天性疾患です。本疾患では、病変高位以下の運動・感覚障害および神経因性膀胱直腸障害を高頻度に認めます。さらに、キアリ II 型奇形による後脳ヘルニア、水頭症に伴う中枢神経障害や脳幹機能障害を合併することが多く、継続的かつ高度な医療管理を要する重篤な病態です。

(詳細を記載した資料(資料1)を添付いたしますので、ご参照ください)。

従来の標準治療は出生後早期の髄膜瘤閉鎖術であり、感染予防およびさらなる神経損傷の防止を主目的として実施されてきました。しかしながら、同手術は既存の神経障害に対する機能温存効果が限定的であることが課題とされています。これに対し、胎児期に実施する脊髄髄膜瘤修復術は、水頭症に対する脳室腹腔シャント術施行率の低下、後脳ヘルニアの改善、下肢運動機能の向上等の有効性が報告されており、患者および家族の生活の質(QOL)の改善に寄与する治療法として位置付けられています。現在、米国、英国、ベルギーを含む欧州諸国ならびに南米の一部の国々において、本術式は保険診療下で標準治療の一選択肢として提供されています。

本邦においても、胎児期に脊髄髄膜瘤と診断された症例に対し本治療を提供することは、患児および家族のQOL向上に資するものと考えられます。有効性および安全性に関するエビデンスのさらなる集積に努め、将来的な保険適用を目標として、今後も先進医療の実施を継続したいと考えております。本技術は海外では標準治療として実施されており、今後本邦でも保険収載され、多くの患者さまの合併症が軽減し、患者さまや家族のQOLに寄与することと思慮いたしますため、今後とも何卒ご指導・ご鞭撻をお願いいたします。

【これまでに先進医療として行った4症例の費用】

実施年月	症例	被験者負担(先進医療費は研究費等で負担)			入院日数	保険外併用療養費総額
		3割負担分	食事代	先進医療費		
令和7年3月	1例目	653,820	72,800	(509,000)	52日	2,179,400
令和7年4月	2例目	986,409	121,380	(509,000)	88日	3,288,030
令和7年5月	3例目	1,148,034	120,360	(509,000)	86日	3,826,780
令和7年12月	4例目	1,024,644	115,460	(509,000)	78日(3月4日時点)	3,401,320

【4例目の経過について】(2026年3月4日、追記)

成育医療センターを協力医療機関として追加することをお認めいただきたく申請していた背景に、4例目の患者さんが関東在住であることがございました。この患者さんですが、脊髄髄膜瘤手術後に切迫早産が確認され、大阪大学医学部附属病院において子宮収縮抑制薬投与を含めた全身管理を行っておりました。本年2月26日(妊娠35週4日)、午前4時30分に破水され、同日帝王切開を行いました。児は無事出生し、

令和8年3月4日

母子とも良好な術後経過を辿っております。ご審議の最中ではございますが、構成員の皆様にご報告させていただきたく、追記させていただきました。