

# 制度の運用状況及び患者からの相談事例の現状について

令和元年8月末時点

特定機能病院等への患者からの  
相談件数  
(H28.4月からR1.8月末まで)  
**129件**

35件

患者申出療養  
評価会議  
における審議

① 患者申出療養  
として実施  
7件

④ 制度一般に関する照会等、  
具体的な技術に関する  
相談ではなかったもの  
**44件**

② 拡大治験（日本版コンパッ  
シヨネートコース）等の  
治験、先進医療等、他の  
臨床試験へ参加  
**20件**

⑤ 一度相談があったが、  
その後、現在までに  
相談がないもの  
**25件**

③ 既承認の患者申出  
療養に参加  
**4件**

⑥ 医療機関等において患者  
申出療養として実施困難と  
判断したもの  
**25件**

⑦ 相談継続中  
**4件**

(参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (25件)

令和元年8月末時点

	医療技術名 (対象疾患)	経過等	
①	自家嗅粘膜移植による 損傷脊髄機能の再生治療 (頸髄損傷)	脳神経外科医の評価では、受傷の状況等の患者の状態からは技術の対象外であることから、安全性や有効性等に疑義があり(症状が改善しない可能性)、患者申出療養での実施は困難と判断。なお先進医療で実施中の技術であるが、当該患者は適応外。	患者の状態 からは適応外
②	ラジオ波焼灼術 (腎細胞癌の多発転移)	相談を受けた臨床研究中核病院としては、患者の状態及び技術的な問題等から実施が不可能と判断し、見送り。	
③	イソプロテレノール (β刺激薬) 投与 (アルツハイマー型認知症)	当該患者の診断が未確定であること、当該治療薬は国内で承認されている薬剤であるが、当該疾患に対する効果は細胞・動物レベルで確認されたのみであり、ヒトでの効果が全く確認されていないことから、患者申出療養での実施は困難と判断。( <i>"Toxic tau oligomer formation blocked by capping of cysteine residues with 1,2-dihydroxybenzene groups". Nature Communications, 2015</i> )	患者の診断が未 確定かつ ヒトでの 効果が未確認
④	ペランパネル (抗てんかん薬) 投与 (筋萎縮性側索硬化症)	ヒトでの効果が全く確認されていないこと、近々、多施設共同の医師主導治験が他院で開始される予定であったため、そちらを案内。	ヒトでの 効果が未確認 治験を案内
⑤	メラトニン投与 (認知症)	メラトニンは現時点で医薬品の入手が困難であること、動物モデルにおける使用経験はあるものの、ヒトに対する効果が確認されていないことから、患者申出療養として実施困難と判断。( <i>"Effect of Melatonin and Resveratrol against Memory Impairment and Hippocampal Damage in a Rat Model of Vascular Dementia." Neuroimmunomodulation, 2017</i> )	医薬品の入手が 困難でありかつ ヒトでの 効果が未確認
⑥	ニボルマブ投与 (卵巣癌脳転移)	現時点では当該疾患に対する有効性の科学的根拠がないことから、患者申出療養の対象とはならないと判断。	有効性に関する 科学的根拠無し

(参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (25件)

令和元年8月末時点

	医療技術名 (対象疾患)	経過等	
⑦	スニチニブ (抗がん剤) 投与 (悪性褐色細胞腫)	本疾患に対する当該治療は以前、国内で医師主導臨床試験が実施されていた。本制度では自費診療部分 (薬剤費用等) は患者負担となり、高額な負担が予想されることから患者自身が断念。	費用面から 患者自身が 断念
⑧	経皮的ラジオ波凝固療法 (左大腿骨骨腫瘍)	本制度では自費診療部分 (薬剤費用等) は患者負担となり、高額な負担が予想されることから患者自身が断念。	
⑨	ニボルマブ投与 (頭頸部癌stage IVA)		
⑩	リツキシマブ投与 (CIDP: 慢性炎症性脱髄性多発神経炎)	海外・国内とも当該疾患に対する本治療の適応は無く、治験実施もなし。スペインでCIDPに対して当該治療を実施し、有効例を認めたとの報告あり (4例中2例が著明に改善)。高額な負担が予想されることから患者自身が断念。 (“Rituximab in treatment-resistant CIDP with antibodies against paranodal proteins.” <i>Neurol Neuroimmunol Neuroinflamm.</i> , 2015)	
⑪	免疫吸着療法 (拡張型心筋症)	他院の臨床試験で行ったものが研究終了のため施行不可となった。費用が高額になることが予想され、患者自身が断念。	
⑫	パクリタキセル腹腔内投与 (胃がん腹膜播種)	左記治療を患者申出療養として受けたいと希望されたものの、主治医等と相談した上で、まずは標準治療の実施が望ましいと判断され、ご本人様も納得された。	医師との相談の 結果、患者自身 が判断
⑬	耳介後部コネクターを用いた植え込み型補助心臓による療法 (拡張型心筋炎・皮膚筋炎)	左記治療を患者申出療養として受けたいと希望されたものの、治療状況等から、主治医等と相談した上で、まずは標準治療の実施が望ましいと判断され、患者自身も納得した。	
⑭	ジヌツキシマブ投与 (神経芽細胞腫)	ジヌツキシマブの治験の患者登録が終了しており、患者申出療養としての実施について検討されたが、患者家族と主治医との相談の結果、患者の病勢を考慮し、患者申出療養の実施は困難と判断。	医師との相談の 結果、患者家族 が判断 3

(参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (25件)

令和元年8月末時点

	医療技術名 (対象疾患)	経過等	
⑮	腹腔内温熱化学療法 (腹膜偽粘液腫)	腹膜偽粘液腫に対する当該治療は先進医療として実施していたが、当該技術は医療機関の人的負担等が非常に大きく、患者申出療養として臨床研究を継続することは困難と判断した。	当該施設での実施体制の整備が困難
⑯	腹腔内温熱化学療法 (大腸癌)		
⑰	脳神経再生治療の治験 (脳出血後)	他医療機関で治験を実施中。相談を受けた医療機関では実施体制が整っておらず、実施医療機関への相談を勧めた。	
⑱	骨髄間葉系幹細胞の静脈内投与 (脊髄損傷)		
⑲	培養幹細胞 (Nurown) 移植術 (筋萎縮性側索硬化症)	米国で第Ⅱ相試験が終了したもの。当該治療の実施にあたっては「再生医療等安全性確保法」に適合する医療機関または企業の工場において細胞の加工・保存を行う必要があり、さらに、幹細胞の海外への輸送等の問題もあり、医療機関として実施体制の整備が難しいと判断した。	
⑳	NC-6004ナノプラチン治療 (膵臓癌)	ナノプラチンの治験が国内で実施中。患者申出療養としての実施を検討したが、企業からの薬剤入手が困難であり、実施困難と判断。	薬剤入手が困難
㉑	シトルリン投与 (CPS-1欠損症)	高アンモニア血症に対する既存治療が困難であり、薬事未承認であるシトルリンの投与を検討したが、緊急で薬剤が必要な状況であったため、患者申出療養の申請は断念した。	早急に治療が必要な状態であり、医師の判断で断念
㉒	経皮的欠損孔塞栓用デバイスを用いた経カテーテル人工弁周囲逆流閉鎖術 (人工弁周囲逆流)	医師主導治験の患者登録期間が終了となったため、拡大治験や患者申出療養としての実施が検討されたが、早急に治療が必要な状態であったため、別の治療をすることとなった。	

(参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (25件)

令和元年8月末時点

	医療技術名 (対象疾患)	経過等	
⑳	パクリタキセル腹腔内投与 (胃がん腹膜播種)	相談時点で、左記治療は既に患者申出療養として実施組み入れが終了し、評価中の療養 (第1番目の療養) であり、患者と相談し実施しないこととした。	患者組入が終了し 評価中の患者申出 療養であり 実施せず
㉑	自己心膜製ステントレス 僧帽弁置換術治療 (僧帽弁狭窄症)	別の疾患に対して、先進医療として同様の技術が実施されており、そちらの適格基準の変更等を検討することとなった。	先進医療としての 実施を検討
㉒	カスタムメイド人工股関節置換 (先天性変形性股関節症)	医師主導治験を計画中であり、そちらへの参加を検討することとなった。	医師主導治験とし ての実施を検討