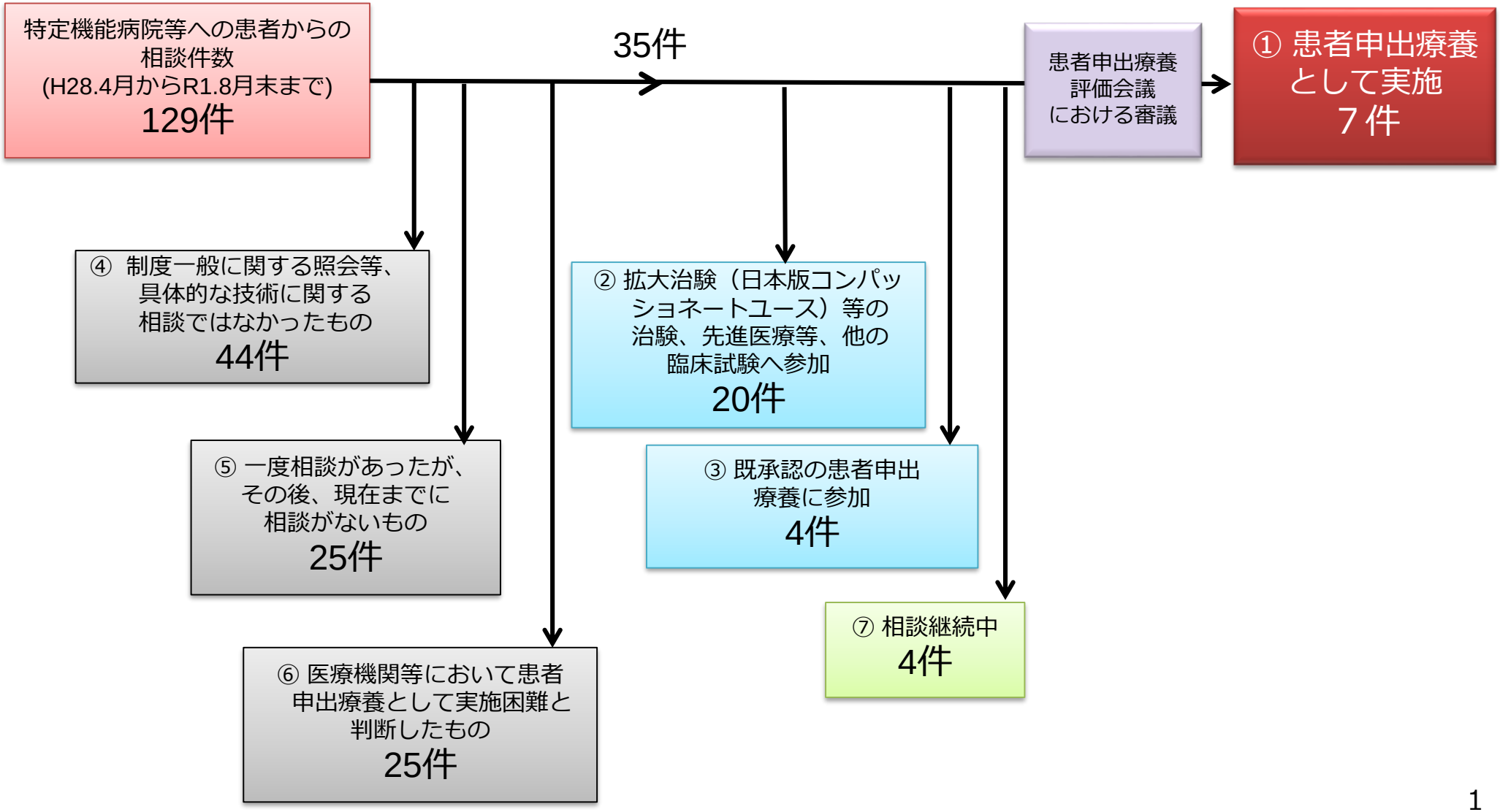
制度の運用状況及び患者からの相談事例の現状について

令和元年8月末時点



（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（頚髄損傷）	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。*("Toxic tau oligomer formation blocked by capping of cysteine residues with 1,2-dihydroxybenzene groups". Nature Communications, 2015)*	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。*("Effect of Melatonin and Resveratrol against Memory Impairment and Hippocampal Damage in a Rat Model of Vascular Dementia."Neuroimmunomodulation, 2017)*	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.“Neurol Neuroimmunol Neuroinflamm., 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

（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）	腹膜偽粘液種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	
㉓	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
㉔	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
㉕	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