

患者申出療養制度下での新たな薬剤アクセススキームについて（報告）

- 第15回患者申出療養評価会議（令和元年3月14日開催）においてご承認頂いた「患者申出療養制度下での新たな薬剤アクセススキーム」について、関係通知を改正し令和元年11月1日より適用することとした。
- 本取組は、未承認薬や適応外の薬剤（以下、未承認薬等という。）を用いる患者申出療養の実施を検討するに当たっての、臨床研究中核病院等と製薬企業との薬剤の手配に係る交渉手続き等のルール整備を行い、患者の未承認薬等へのアクセス改善を期待するもの。

【本スキームの概要（別紙）】

(1) 製薬企業は、臨床研究中核病院等からの未承認薬等の手配に係る要望に対し、以下の理由により未承認薬等が手配できない場合には、別紙6様式第1号を用いて、手配できない理由を迅速かつ明瞭に臨床研究中核病院等に回答する。

ア 安全性・有効性等の科学的な根拠が不足している又は治験や先進医療等他の方法で対応ができること

イ 未承認薬等を手配する余裕がないこと

ウ 治験の組入れ期間中である等の理由で治験の実施に悪影響を与えるおそれがあること

エ 患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高いことから、安全性の観点から未承認薬等の投与が勧められないこと

オ その他

※ なお、臨床研究中核病院等から提供される情報が不十分なために、未承認薬等の手配の可否に係る検討ができない場合には、本様式は使用せず、別途、製薬企業から当該臨床研究中核病院等に問い合わせいただく。

(2) 上記の回答を受けた臨床研究中核病院等は、製薬企業が回答した理由に不服がある場合、患者申出療養として当該未承認薬等を使用する必要性等を述べた別紙6様式第2号による検討依頼書を、臨床研究計画書等の添付資料とともに、保険局医療課に提出することができる。

(3) 検討依頼書を受理した場合、患者申出療養評価会議において、患者申出療養として当該未承認薬等を使用する妥当性を検討し、妥当性が確認された場合には、保険局医療課は、製薬企業に対して未承認薬等の手配の再検討を要請する。

(4) ただし、最終的な未承認薬等の手配の可否の決定は製薬企業が行うものであり、(1)の理由により手配できない場合も想定されることに留意する必要がある。

(参考) 健康保険法及び高齢者の医療の確保に関する法律に規定する患者申出療養の申出等の手続の細則について(医政局研究開発振興課長、医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長、医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長、保険局医療課長連名通知、一部抜粋)

5 その他

(3) 未承認薬等の手配に係る検討要請について

① 未承認薬等の使用を伴う医療技術に係る患者申出療養の実施の検討に当たっては、患者申出療養実施計画を作成する臨床研究中核病院等が当該未承認薬等の製造販売業者(以下「製造販売業者」という。)に当該未承認薬等の手配を要望することが想定される。その際、未承認薬等の手配は、臨床研究中核病院等から提供される情報をもとに、製造販売業者がその可否を決定するものである。

② 製造販売業者は、可能な限り臨床研究中核病院等からの要望に応えることが期待されるものの、以下の理由により未承認薬等が手配できない場合には、別紙6様式第1号を用いて、手配できない理由を迅速かつ明瞭に臨床研究中核病院等に回答することとする。

ア 安全性・有効性等の科学的な根拠が不足している又は治験や先進医療等の方法で対応ができること

イ 未承認薬等を手配する余裕がないこと

ウ 治験の組入れ期間中である等の理由で治験の実施に悪影響を与えるおそれがあること

エ 患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高いことから、安全性の観点から未承認薬等の投与が勧められないこと

オ その他

③ 未承認薬等が手配できないと製造販売業者から回答を受けた臨床研究中核病院等は、製造販売業者が回答した理由に不服がある場合、患者申出療養として当該未承認薬等を使用する必要性等を述べた別紙6様式第2号による検討依頼書を、製造販売業者から提出された別紙6様式第1号による回答を添えて保険局医療課に提出することができるものとする。

④ 検討依頼書を受け付けた場合、患者申出療養評価会議において、患者申出療養として当該未承認薬等を使用する妥当性を検討することとする。患者申出療養評価会議において、当該未承認薬等の使用が妥当と評価された場合には、保険局医療課は、製造販売業者に対して未承認薬等の手配の検討を要請することとする。

⑤ 要請を受けた製造販売業者は、改めて未承認薬等の手配の可否を検討し、保険局医療課及び臨床研究中核病院等に対し、②に準じて回答することとする。なお、未承認薬等の手配の可否の決定は製造販売業者が行うものであるが、②アからオまでに掲げる理由により、手配できない場合も想定されるものである。

患者申出療養制度下での新たな薬剤アクセススキーム

患者・主治医・臨床研究中核病院等

適応外薬又は
未承認薬
による治療が
候補となる

当該薬剤を使用した
治験又は臨床試験
(先進医療等)への
参加が出来ない

既存治療を継続

患者が患者申出療養制度下での
適応外薬又は未承認薬による治療を
希望し、薬剤の手配を要望
(臨床研究中核病院等が代行)

薬剤手配不可

様式1を用いて回答

※手配の判断は企業が行う

製薬企業

薬剤手配の
可否について
検討

※必要な情報を提供

薬剤手配不可

薬剤手配の
可否につい
て再検討

薬剤手配可能
※手配の最終判断
は企業が行う

厚生労働省

様式2を提出

※企業からの回答に
不服がある場合

患者申出療養評価会議
(原則公開)

妥当性あり

薬剤手配の
検討を要請

※患者申出療養制度下での当該薬剤
の使用の妥当性等について検討

妥当性なし

臨床研究中核病院が作成する必要
書類を沿えて患者が国に対して申出

様式第1号

患者申出療養への医薬品手配に係る製造販売業者の回答

(要望した医療機関名) 宛

○年○月○日

管理番号	「欄外右上に記載の提出日（西暦8桁の数字）＋任意のアルファベット4文字」により提出者が決定して記載する 例) 20151225MHLW、20151225phar、20151225AbCd

1. 手配希望を受けた品目に関する情報
① 製造販売業者名：
② 承認番号：【該当する場合】
③ 治験成分記号：【該当する場合】
④ 医薬品名（一般名又は販売名）：【決定している場合】
⑤ 適応疾患名（治験等で開発中のものも含む）：
2. 手配できない理由
① 各事由への該当性（該当するもの全てにチェックする）
<input type="checkbox"/> ア 安全性・有効性等の科学的な根拠が不足している又は治験や先進医療等の方法で対応ができること <input type="checkbox"/> イ 当該医薬品を手配する余裕がないこと <input type="checkbox"/> ウ 治験の組入れ期間中である等の理由で治験の実施に悪影響を与えるおそれがあること <input type="checkbox"/> エ 患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高いことから、安全性の観点から当該医薬品の投与が勧められないこと <input type="checkbox"/> オ その他
② 理由（事由ごとに詳細な理由を分かりやすく記述する）

連絡先	氏名：	_____
	所属名：	_____
	住所：〒	_____
	連絡先：電話：	_____
		E-mail：_____

様式第2号

患者申出療養への医薬品手配に係る検討依頼書

厚生労働省保険局医療課 宛

○年○月○日

管理番号（製造販売業者の回答に記載の番号を記載する）

患者申出療養として当該医薬品を使用する必要があるとする根拠

（治験や先進医療等の他の方法では対応できない理由、正規の医薬品の評価・承認審査期間が待てない理由、当該治療薬による治療の便益がリスクを上回ると考える理由等を記載する）

依頼医師 氏名：

所属名：

住所：〒

連絡先：電話：

E-mail：

（注）製造販売業者から受けた別紙6様式第1号による回答を添えて厚生労働省に提出すること。