

## 患者申出療養の制度設計について

### はじめに

我が国においては、国民皆保険の理念の下、必要かつ適切な医療は基本的に保険収載している。その上で、保険収載されていないものの、将来的な保険収載を目指す先進的な医療等については、保険外併用療養費制度として、安全性・有効性等を確認するなどの一定のルールにより保険診療との併用を認めている。

今般の患者申出療養は、困難な病気と闘う患者の思いに応えるため、先進的な医療について、患者の申出を起点とし、安全性・有効性等を確認しつつ、身近な医療機関で迅速に受けられるようにするものである。

これは、国において安全性・有効性等を確認すること、保険収載に向けた実施計画の作成を臨床研究中核病院に求め、国において確認すること、及び実施状況等の報告を臨床研究中核病院に求めることとした上で、保険外併用療養費制度の中に位置付けるものであるため、いわゆる「混合診療」を無制限に解禁するものではなく、国民皆保険の堅持を前提とするものである。

### I 患者申出療養としては初めての医療の実施までの取扱いについて

#### 1. 患者申出療養に係る申出について

##### (1) 患者申出療養に係る申出の主体について

- 患者申出療養に係る申出は、療養を受けようとする者が、厚生労働大臣に対して行うこととされている。
- 法律上の行為である患者申出療養に係る申出については、患者が行為能力の制限を受ける者（未成年者、成年被後見人等）である場合、法的な保護者の同意を求めることとする。
- 患者申出療養は基本的に臨床研究として実施されることから、申出に当たっては、基本的に「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に規定する「侵襲を伴う臨床研究」において必要とされる手続に基づくインフォームド・コンセントが行われることを前提とすることとする。

##### (2) 臨床研究中核病院等における相談の応需体制等について

- 患者申出療養に係る申出は、患者が安全性・有効性等について理解・納得した上で行われることが重要であり、臨床研究中核病院等はそうした観点から申出の支援を行うこととする。
- 臨床研究中核病院においては、患者申出療養に係る患者の相談について、専門的・

総合的に対応することとし、申出の支援を行う際には、安全性・有効性等のエビデンスを用いた説明を行うこととする。安全性・有効性等のエビデンスが不足している場合には、患者にその旨を説明することとする。

- 患者申出療養に係る患者の相談について専門的・総合的に対応する窓口を有する特定機能病院においては、安全性・有効性等のエビデンスを用いた説明を行うとともに、臨床研究中核病院に対して共同研究の提案を行うことができることとする。
- 特定機能病院における対応窓口については、
  - ① 患者申出療養に係る相談に対応する窓口であることが分かりやすく掲示されていること
  - ② 患者申出療養に係る医学的な相談への対応とともに、その他関係する臨床研究等に係る相談にも総合的に対応できることを求めることとする。
- かかりつけ医を含む患者に身近な医療機関においては、例えば、専門的内容の分かりやすい説明や、患者の症状等を踏まえた助言を行うこととする。

### (3) 患者申出療養に係る申出に必要な書類について

- 患者申出療養に係る法律上の申出は、臨床研究中核病院の開設者の意見書その他必要な書類を添えて、患者が国に対して行うこととされている。
- 臨床研究中核病院の開設者の意見書には、患者申出療養の実施計画、倫理審査委員会の開催要綱、当該医療技術の実施の適否等が審議された内容等を含めることとする。
- 患者申出療養の実施計画は、①実施届出書、②臨床研究計画書、③患者説明同意文書、④医療技術の概要図、⑤薬事承認又は保険収載までのロードマップで構成することとする。
- 患者申出療養は基本的に臨床研究として実施されることから、臨床研究計画書を含む実施計画を作成して対応することとする。なお、例外的に、臨床研究の形式で実施することが難しい場合には、臨床研究計画書が含まれないなど、意見書に含まれる書類は臨床研究として実施される場合と異なることとなる。
- 臨床研究中核病院の開設者の意見書の他に必要な書類は、患者の申出を担保するための書類とする。患者の申出を担保する書類には、①患者の署名入りの申出書、②患者と臨床研究中核病院の面談記録、③当該申出を行う医療の安全性・有効性等を理解・納得したことが分かる書類、④患者がこれらの書類の内容の確認を行ったこ

とが分かる書類を含めることとする。

(4) 申出の支援に係る臨床研究中核病院等の連携等について

- 厚生労働省は、臨床研究中核病院等が患者の相談に応じるためのマニュアルの整備及び研修の実施を行うこととする。また、厚生労働省は、臨床研究中核病院等が相談に対応した記録及び実施することとした医療の内容を共有できる仕組みを設けることとする。専門的な知見が不足しているなどにより患者からの相談に対応することが難しい医療機関においては、当該仕組み等を利用して対応可能な医療機関に紹介するよう努めることとする。
- 患者が適切に申し出るために必要な情報を入手できるような仕組みが必要であることから、候補となる医薬品等のリストの作成等について、利益相反に留意しつつ、厚生労働省から関係学会、国立高度専門医療研究センター等に対して要請を行うこととする。

2. 患者申出療養の対象とする医療について

(1) 患者申出療養の対象とする医療の考え方について

- 患者申出療養は、保険収載を目指すことを前提としていることから、保険収載を目指さないものは患者申出療養の対象とはせず、保険収載を前提に、一定の安全性・有効性等が確認されたものについて、患者申出療養の対象とすることとする。
- 患者申出療養は基本的に「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に基づいた臨床研究として実施することとする。患者申出療養の実施に係るインフォームド・コンセントについては、基本的に侵襲を伴う臨床研究におけるインフォームド・コンセントと同様とすることとする。

(2) 患者申出療養の対象とする医療の類型について

- 患者申出療養として実施されることが想定される医療の類型と、それに応じた対応は以下のとおりとする。
  - 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医療  
前例のない患者申出療養として、新たに実施計画の作成（先進医療の実施計画を用いる。）を求め、国で審査（※）を行う。  
※ 先進医療としての実施医療機関追加や実施計画変更につながる場合もある。
  - ② 既に実施されている先進医療の実施計画対象外の患者に対する医療  
前例のない患者申出療養として、新たに実施計画の作成（先進医療の実施計画

を変更する場合を含む。)を求め、国で審査(※)を行う。

※ 先進医療としての実施医療機関追加や実施計画変更につながる場合もありうる。

- ③ 先進医療としても患者申出療養としても実施されていない医療  
前例のない患者申出療養として、新たに実施計画の作成を求め、国で審査を行う。
- ④ 現在行われている治験の対象とならない患者に対する治験薬等の使用
  - 1) 人道的見地からの治験の実施につなげることを検討する。
  - 2) 前例のない患者申出療養として、新たに実施計画の作成を求め、国で審査を行う。

### (3) 人道的見地からの治験との連携について

- 既に治験において使用されている未承認薬を使用したいという相談があった場合には、まずは主たる治験又は人道的見地からの治験につなげることを検討することとする。すなわち、未承認薬を使用する患者申出療養に係る相談があった場合には、公開されている治験の情報を参考に、臨床研究中核病院等が主たる治験が実施中であるかどうかを確認し、実施中である場合にはその情報を患者から相談を受けたかかりつけ医等に提供する。当該かかりつけ医等が実施企業・主たる治験実施医療機関に治験への参加の可能性を照会して、進行中の治験に参加する方向で連携することとする。
- 主たる治験を実施中でない場合又は人道的見地からの治験を実施中(人道的見地からの治験を準備中の場合を含む。)でない場合には、患者申出療養として実施できるか否かについて、臨床研究中核病院が検討を行うこととする。

## 3. 国における患者申出療養に係る審議について

### (1) 新たに開催する会議体について

- 患者申出療養について、安全性・有効性等を審査するため、国において患者申出療養評価会議を開催することとする。患者申出療養評価会議における審議の結果、患者申出療養としての実施が承認された医療については、告示するとともに、意見書を作成した臨床研究中核病院を経由し、申出を行った患者に通知することとする。告示は、患者の申出を受理した日から原則6週間以内に適用することとする。
- 患者申出療養評価会議は、定期的で開催することとし、原則として公開で行うこととする。また、必要に応じて持ち回り開催も活用できることとするが、その場合であっても審議過程及び結果を事後的に公開するなど(審議に参加した者の意見を明確に記録するなどの対応を含む。)、全体会議の開催と同等の透明性を確保することとする。

- 患者申出療養評価会議の構成員は、約20名とし、臨床医、薬学に関する有識者、生物統計の専門家、倫理に関する専門家、一般・患者に関係した有識者等とする。構成員に加え、申出のあった医療の属する領域に関して専門知識を有する者が議論に参加できるよう、技術専門員が案件に応じて参加できることとする。必要に応じて、患者申出療養評価会議は、案件によって領域ごとの分科会を開催できることとする。
- 安全性・有効性等の観点など、基本的に先進医療と同様の観点から議論を行うこととするが、患者の申出に基づくものであることが担保されるよう、患者が理解・納得して申し出たことが担保されているかといった観点からも議論を行うこととする。
- 医学的判断が分かれるなどにより、患者の申出が受理された日から6週間以内に告示を適用することができない場合には、その理由を明確にするとともに、持ち回り開催でなく全体会議を開催して、慎重に議論を行うこととする。
- 患者申出療養評価会議における評価の際に、同会議は当該医療について、実施医療機関追加の判断の指標として、「実施可能な医療機関の考え方」を定めておくこととする。
- 患者申出療養として使用される医薬品等の特性やリスク（特に海外・国内ともに未承認の医薬品等を使用する場合）によっては、安全性等の観点から、実際に投与された結果を告示後に検証するなどのプロセスを経て実施医療機関を追加する場合もあると考えられることから、患者申出療養評価会議における評価の際に、同会議は当該医療について、こうした考え方を示すものとして、「実施医療機関の追加に係る取扱い」を定めておくこととする。

## (2) 会議体における審議後の取扱いについて

- 患者申出療養評価会議における審議結果（患者申出療養として定めないこととした場合は、その理由を含む。）について、国は、意見書を作成した臨床研究中核病院を通じて患者に通知することとする。
- 告示された医療は、意見書を作成した臨床研究中核病院において、患者申出療養評価会議において認められた実施計画に沿って実施することができる。また、当該医療は、あらかじめ実施医療機関として実施計画に記載された医療機関（特定機能病院及び患者に身近な医療機関を含む。）においても実施することができる。

## II 患者申出療養として前例がある医療の実施までの取扱いについて

## 1. 実施医療機関の追加について

### (1) 患者の申出について

- 患者申出療養評価会議における審議の結果、告示されて患者申出療養として実施が可能となった医療については、前例がある患者申出療養として、実施医療機関を臨床研究中核病院が個別に審査し、追加することが可能となる。
- 実施医療機関の追加を行う場合も、患者から臨床研究中核病院に対して申出を行うこととする。その際、法律上の申出の場合と同様に、患者が行為能力の制限を受ける者（未成年者、成年被後見人等）である場合は法的な保護者の同意を求めるとし、患者の申出を担保する書類についても、実施医療機関となることを希望する医療機関を経由して提出を求めるとする。
- 実施医療機関の追加について患者が申出を行う場合も、患者が安全性・有効性等について理解・納得した上で申出が行われることが重要であり、臨床研究中核病院等はそうした観点から申出の支援を行うこととする。

### (2) 実施医療機関の追加に係る審査について

- 当該申出に係る医療について、患者申出療養評価会議における評価の際に定められた「実施可能な医療機関の考え方」を参考として、臨床研究中核病院が原則2週間で審査を行うこととする。審査に2週間を超えて必要な場合は、その理由を明らかにすることとする。
- 患者申出療養として使用される医薬品等の特性やリスク（特に海外・国内ともに未承認の医薬品等を使用する場合）を踏まえた安全性等の観点から、患者申出療養評価会議においてあらかじめ定めた「実施医療機関の追加に係る取扱い」も参考に審査を行うこととする。
- 臨床研究中核病院は、実施医療機関の追加について判断した後、その旨を速やかに地方厚生（支）局に届け出ることとする。臨床研究中核病院が審査した結果、実施が認められた医療機関においては、実施計画に沿って当該医療を実施することができる。追加した医療機関に係る報告は患者申出療養評価会議に報告することとする。

## 2. 患者申出療養の実施計画対象外の患者について

### (1) 患者の申出について

- 前例のある患者申出療養については、患者申出療養評価会議において認められた実施計画に沿って当該医療を実施することができ、実施計画で定められている患者適格基準から外れる患者など、実施計画対象外の患者に対して、当該医療を実施することはできない。

※ 患者適格基準においては、年齢、疾患の重症度、合併症の有無等について、要件を設けることとしている。

- 前例のある患者申出療養について、実施計画対象外の患者に実施する場合には、患者から国に対して申出を行うこととする。その際、法律上の申出の場合と同様に、患者が行為能力の制限を受ける者（未成年者、成年被後見人等）である場合は法的な保護者の同意を求めるとし、臨床研究中核病院の意見書及び患者の申出を担保する書類についても、初めての医療の申出に係る意見書を作成した臨床研究中核病院を経由して提出を求めるとする。
- 患者申出療養の実施計画対象外の患者からの申出については、安全性・倫理性等について慎重な対応が求められることが多いことが想定されるため、患者が安全性等について理解・納得した上で申出することが重要であり、臨床研究中核病院等はそうした観点から申出の支援を行うこととする。

#### （２）患者申出療養の実施計画対象外の患者への対応について

- 患者申出療養として定められた医療について、実施計画の対象外の患者から相談があった場合の対応としては、具体的には、①既存の実施計画を変更することによって対応を求める場合と②新たな実施計画を作成することによって対応を求める場合があるものと考えられる。②の場合は、臨床研究として実施することとする。
- なお、例外的に臨床研究の形式で実施することが難しい場合にも、実施計画の作成を求めることとする。  
※ 実施計画の内容は、臨床研究として実施される場合と臨床研究の形式で実施することが難しい場合とで異なることとなる。
- 患者申出療養の実施計画対象外の患者からの申出については、臨床研究中核病院の倫理審査委員会等で安全性・倫理性等の観点から審査された結果を踏まえ、患者申出療養評価会議の全体会議を開催して、審議することとする。

### Ⅲ 患者申出療養の実施後に係る運用について

#### 1. 有害事象等の発生時の対応について

##### （１）有害事象等の発生に備えた対応について

- 患者申出療養における有害事象等の発生に備えた対応は、先進医療と同様に行うこととする。すなわち、重篤な有害事象等の可能性、健康被害が生じた場合の補償及び治療の内容、費用等について、事前に患者又は家族に説明し文書により同意を得て、実施計画に記載することとする。

- 臨床研究の形式で実施することが難しい場合であっても、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」を参考に、健康被害が生じた場合の対応等について、実施計画に記載しておくこととする。

## (2) 有害事象等の発生時の対応について

- 有害事象等の発生時の対応も、先進医療と同様に行うこととする。すなわち、実施に伴う重篤な有害事象又は不具合が発生した場合、実施医療機関においては、速やかに倫理審査委員会等の意見を聴き、その対応や実施に係る妥当性の検討等を行うとともに、臨床研究中核病院は、当該患者申出療養を実施している他の実施医療機関等に対して、情報提供を行うこととする。また、予測できない重篤な有害事象が発生し、当該医療との直接の因果関係が否定できない場合には、臨床研究中核病院は、速やかに国へ報告することとする。

## 2. 報告・情報公開の在り方について

### (1) 国に求める報告について

- 臨床研究中核病院等に対しては、以下の事項について、国に報告を求めることとする。
  - ① 臨床研究中核病院が実施医療機関として認めた医療機関
  - ② 臨床研究中核病院等で実施した患者の申出に係る支援の内容及び患者申出療養としての実績
  - ③ エビデンスが不十分であるなどにより、臨床研究中核病院で意見書を作成できなかった医療

### (2) 国における情報公開について

- 国に報告された事項については、原則として厚生労働省のホームページで公開することとする。
- 保険収載に向けた進捗状況を国が把握することが必要であることから、実績報告に基づき、今後の方針等について引き続き患者申出療養評価会議で審議することとする。その際、できるだけ迅速にエビデンスが集積され、安全性・有効性等の確認を経て保険収載されることが重要であることから、取組が不十分であるなどの場合には必要に応じて追加の報告を求めるなど、保険収載に向けた取組を促すこととする。さらに、計画から遅れが見られるにもかかわらず、合理的な対応を講じていない場合等には、患者申出療養から除外することとする。
- 実施計画に基づく実施期間が終了した際には、臨床研究中核病院に対し総括報告書の提出を求め、保険収載に必要な事項等について、患者申出療養評価会議で審議することとする。



### 3. 保険収載に向けた対応について

- 医薬品等を保険診療において使用するに当たっては、薬事承認を得ることが原則である。医薬品等の薬事承認を得るためには、厚生労働大臣の定める基準に従って収集かつ作成された資料を添付して申請することが必要であり、これを目的として実施される試験であれば、治験として実施することが必要である。
- 患者申出療養は、未承認の医薬品等を用いた医療については、保険収載を目指して、実施計画に基づいて一定の安全性・有効性等を国によって確認した上で実施されるものである点で先進医療と同様であることから、先進医療と同様に薬事承認に係る申請の効率化が可能となるよう、取組を進めることとする。
  - ※ なお、医療上必要な医薬品や適応（未承認薬等）を解消するため「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」が、未承認医療機器等の迅速な医療現場への導入について検討することを目的とする「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」が、それぞれ開催されており、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討等を行っている。当該会議においては、それぞれ本年7月及び8月より要望の対象拡大を行い、「先進医療Bで一定の実績があるもの」が追加されたところ。

### 4. 患者申出療養を実施する場合の費用の取扱いについて

- 患者申出療養は保険外併用療養費制度に位置付けられるものであり、その費用の額の算定に当たっては、先進医療と同様に、診療報酬の算定方法の例によることとする。
- 患者から患者申出療養に係る費用を特別の料金として徴収する場合は、先進医療と同様の取扱いとすることとする。すなわち、当該特別の料金の徴収を行った保険医療機関は、患者に対し、保険外併用療養費の一部負担に係る徴収額と特別の料金に相当する自費負担に係る徴収額を明確に区分した当該特別の料金の徴収に係る領収書を交付することとする。特別の料金については、その徴収の対象となる医療に要するものとして社会的にみて妥当適切な範囲の額とすることとする。

## IV 今後のスケジュール

- 平成28年4月より患者申出療養を施行するため、この制度設計を骨格として、更に詳細な運用について、必要な省令・告示・通知等を国において示すこととする。