

先 - 1 2 5 . 9 . 6

第5回先進医療技術審査部会 平成25年3月26日	資料4 (改)
-----------------------------	------------

先進医療Bの申請に必要な数例以上の臨床使用実績の効率化について（案）

先進医療Bの申請に必要な数例以上の臨床使用実績の効率化については、平成24年7月31日付「厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準の制定等に伴う実施上の留意事項及び先進医療に係る届出等の取扱いについて」に示されているところであるが、具体的な運用については下記1.～6.の通りとしてはどうか。

「厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準の制定等に伴う実施上の留意事項及び先進医療に係る届出等の取扱いについて」（平成24年7月31日付医政発0731第2号、薬食発0731第2号、保発0731第7号）

11 未承認若しくは適応外の医薬品又は医療機器を用いる医療技術に係る留意事項

関係する法令又は指針の遵守の下で行われた当該施設において数例以上の臨床使用実績があること及びその1症例ごとに十分な検討がなされていることが必要である。

申請された個々の医療技術の特性に応じて、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究中核病院等の高度で質の高い臨床研究を実施することができる医療機関において、当該医療技術を有効かつ安全に実施できることが明らかである場合には、この限りではない。

1. 申請医療機関の要件

申請医療機関が早期・探索的臨床試験拠点整備事業又は臨床研究中核病院整備事業の対象病院（以下「早期・探索的臨床試験拠点等」という。）に該当する医療機関であって、当該医療機関において整備する臨床研究の支援部門が、試験実施計画書等の作成及び試験の実施等に携わっている場合には、数例以上の臨床使用実績がない場合であっても、申請は可能であることとする。

早期・探索的臨床試験拠点整備事業又は臨床研究中核病院整備事業の対象病院（一覧）

【早期・探索的臨床試験拠点整備事業】

- ・ 国立がん研究センター
- ・ 大阪大学医学部附属病院
- ・ 国立循環器病研究センター
- ・ 東京大学医学部附属病院
- ・ 慶應義塾大学病院

【臨床研究中核病院整備事業】

- ・ 北海道大学病院
- ・ 千葉大学医学部附属病院
- ・ 名古屋大学医学部附属病院
- ・ 京都大学医学部附属病院
- ・ 九州大学病院
- ・ 東北大学病院
- ・ 群馬大学医学部附属病院
- ・ 国立成育医療研究センター
- ・ 国立病院機構 名古屋医療センター
- ・ 岡山大学病院

（平成25年5月13日現在）

第5回先進医療技術審査部会	資料4 (改)
平成 25 年3月 26 日	

2. **協力医療機関の要件**

協力医療機関は、早期・探索的臨床試験拠点等であることとする。

3. **数例の臨床使用実績の効率化の可否の評価**

先進医療技術審査部会において技術的妥当性の評価を行う際に、数例の臨床使用実績の効率化の可否について評価を行う。この場合、当該技術の安全性、有効性、先行研究の内容、申請医療機関等の実施体制等を勘案する。

4. **先進医療の継続の可否の評価に必要な症例数等**

3. で数例の臨床使用実績の効率化が可とされた場合は、先進医療として数例の実施を行った後に、先進医療の継続の可否を評価する。そのため、先進医療の継続の可否の評価に必要な症例数および評価項目を先進医療技術審査部会において定める。

5. **先進医療の継続の可否の評価に必要な症例数に達した際の報告**

申請医療機関は、先進医療において4. で定めた症例数まで実施し、その結果について独立データモニタリング委員会※等で審議した後、先進医療技術審査部会へ報告する。

6. **報告結果を踏まえた先進医療継続の可否の評価**

- ① 先進医療技術審査部会において、4. で定めた評価項目と5. の報告に基づいて、先進医療の継続の可否を評価し、結果を先進医療会議に報告する。
- ② 先進医療として継続することが可とされた場合は、早期・探索的臨床試験拠点等以外に協力医療機関の範囲を拡大することを可能とする。

※ 独立データモニタリング委員会

(医薬品の臨床試験の実施に関する基準 (GCP) のガイドライン (ICH E6 GCP 日本語訳) より抜粋)

1.25 独立データモニタリング委員会 (IDMC) Independent Data-Monitoring Committee (IDMC) (効果・安全性モニタリング委員会、モニタリング委員会、データモニタリング委員会)

治験の進行、安全性データ及び重要な有効性エンドポイントを適当な間隔で評価し、治験依頼者に治験の継続、変更、又は中止を提言することを目的として、治験依頼者が設置することができる独立したデータモニタリング委員会。

先-1 (参考資料1) 2 5 . 9 . 6	先 - 5 2 4 . 3 . 1 6	第30回高度医療評価会議 平成24年3月14日	資料4
----------------------------	------------------------	----------------------------	-----

先進医療制度・高度医療制度の見直しについて（案）

1. 問題の所在

- これまで、先進医療専門家会議等において、
 - ・ 第2項先進医療の技術の中で、特に有効性の評価が確立していない段階の技術については評価体制を充実すべき（適切な実績評価を行うための手順の明確化や高度医療（第3項先進医療）のような施設個別承認制の導入等）
 - ・ 先進医療として保険併用が認められた技術についても、一定期間の実績に基づく評価を徹底すべき（漫然と保険併用を継続するべきでない）
 - ・ 高度医療の技術の審査における先進医療専門家会議及び高度医療評価会議の連携を強化すべき（役割分担の明確化）
 などについて、問題提起をされたところ。

- また、新成長戦略（平成22年6月18日閣議決定。別紙1）及び規制・制度改革に係る対処方針（平成22年6月18日閣議決定。別紙2）においても、先進医療に対する規制緩和を図り、患者保護、最新医療の知見保持の観点で選定した医療機関において、先進医療の評価・確認手続きを簡素化することが求められた。

具体的には、

- ① 現在の先進医療制度よりも手続きが柔軟かつ迅速な新たな仕組みを検討
- ② 一定の施設要件を満たす医療機関において実施する場合には、その安全性・有効性の評価を厚生労働省の外部の機関において行うこととされている。

2. 中医協におけるこれまでの検討状況

中医協において、「医療保険における革新的な医療技術の取扱いに関する考え方について」と題して、平成22年10月15日から平成23年2月16日までの7回にわたり検討を重ね、平成23年5月18日の中医協において、「医療保険における革新的な医療技術の取扱いに関する考え方（案）（先進医療制度の手続、評価、運用の見直し）」（別紙3）として報告され、了承されたところ。

具体的には、

- ① 現行の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議における審査の効率化、重点化を図ることを目的として、両会議における審査を一つの会議において行うこととする。
- ② 医療上の必要性の高い抗がん剤に関する先進医療の実施について、当該実施計画書の審査については、先進医療会議（仮称）が適当と認めた場合には、一定の要件を満たす機関（がん治療に高度の知見を有し、実施機関の申請及び実施段階での監査を行う機能を有する機関）に委託できることとし、当該審査の結果を踏まえて先進医療会議（仮称）において適否を判断することが出来ることとする。
- ③ 先進医療の申請に必要な国内での数例の実績の効率化について、国内において数例の実績がない場合であっても、申請された個々の技術や医療機関の特性に応じて、先進医療の実施を認めることとする。

3. 今後の対応案（別紙 4）

以上の中医協での検討結果を踏まえ、平成 24 年度より、現行の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議を統合し、先進医療会議（仮称）（以下「本会議」という。）を設置することとする。また、本会議に先進医療技術審査部会（仮称）（以下「部会」という。）を置くこととする。

（1）先進医療実施のための審査について

① 審査体制について

- ・ 有効性が一定程度明らかな技術（以下「技術 A」という。）

本会議における審査は、技術的妥当性（有効性、安全性、技術的成熟度）及び社会的妥当性（倫理性、普及性、費用対効果）とし、その技術の有効性、安全性等の適切な評価に必要と考えられる実施期間及び症例数を対象となる疾患の状況に応じて設けることとする。

- ・ 有効性が必ずしも十分に明らかではないため、関連する他の医療技術との比較等により有効性を明らかにする必要がある技術（以下「技術 B」という。）

本会議での審議に先立ち、部会において、技術的妥当性（有効性、安全性、技術的成熟度）を審査することとする。その際、実施期間及び症例数について、統計学的な検討を行うこととする。なお、技術的妥当性（有効性、安全性、技術的成熟度）の状況により、部会での審査体制等については柔軟に対応ができるよう検討する。

部会で承認された技術については、本会議において、部会での技術的妥当性（有効性、安全性、技術的成熟度）の審査を踏まえ、社会的妥当性（倫理性、普及性、費用対効果）を中心に審査することとする。

② 手続きについて（技術 A、技術 B 共通）

実施計画書等の書類とともに様式を統一した申請書を、事務局に申請することとする。

③ 開催日程について

本会議及び部会の開催日程は予め決めておくこととする。

(2) 実施医療機関について

・ 技術 A

申請技術と施設要件を本会議において承認することとする。その後、施設基準を満たす医療機関は各施設での評価方法を届出ることによって実施可能とする。

・ 技術 B

申請医療機関及び協力医療機関については、部会での審査を経て、本会議において承認することとする。

協力医療機関の追加については、部会において承認することとする。

(3) 先進医療実施後の評価について

① 報告について

・ 技術 A

届出を行っている全ての医療機関は、毎年実績報告を行うこととする。また、診療報酬改定での保険導入の検討に向けて、予め届け出た各施設での評価方法と照らして、報告時点での評価結果を報告することとする。なお、評価については、施設間で協力して実施する方法についても検討する。

・ 技術 B

申請医療機関については、総括報告として、予定した実施期間または症例登録が終了した場合等には、総括報告書を提出することとする。また、総括報告とは別に中間報告として、毎年中間報告書を提出することとする。

協力医療機関については、実施計画書等に基づき、実施症例や結果

等のデータを、申請医療機関へ提出することとなる。

② 評価体制について

・ 技術A

診療報酬改定での保険導入に向けて、技術的妥当性（有効性、安全性、技術的成熟度）及び社会的妥当性（倫理性、普及性、費用対効果）の評価を本会議において実施し、保険収載の必要性、実施状況等を踏まえた先進医療としての継続の可否等を検討することとする。

・ 技術B

まず、予定した実施期間または症例登録が終了した場合等には、技術的妥当性（有効性、安全性、技術的成熟度）の評価を部会において実施する。

次に、部会で評価を実施した技術については、本会議において、部会での技術的妥当性（有効性、安全性、技術的成熟度）の評価を踏まえ、社会的妥当性（倫理性、普及性、費用対効果）の評価、実施状況等を踏まえた先進医療としての継続の可否等を検討することとする。

これらの対応案を実施することにより、

- ・ 技術のエビデンスレベル（科学的根拠の水準）に応じた評価体制の充実
- ・ 一定期間の実績に基づく適切な評価の実施
- ・ 現行の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議の一体的な運営と連携の強化

を図ることが期待できる。

4. 今後の検討課題

(1) 「2. 中医協におけるこれまでの検討状況」の②について

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において医療上の必要性の高い抗がん剤とされた薬剤（技術C）に関する先進医療の実施については、技術の安全性等の確認方法、実施可能な医療機関の要件、実施計画書の審査が可能な一定の要件を満たす機関（以下、「外部機関」という。）の選定要件などを現在、検討しているところである。特に、外部機関の選定にかかる調整事項が多岐にわたり、調整が難航することが予想されるが、できる限り、速やかに実施できるように努めてまいりたい。

また、医療機器に関する先進医療の実施についても、医療上の必要性の高い抗がん剤と同様の枠組みを利用できないか、今後検討していくこととする。

(2) 「2. 中医協におけるこれまでの検討状況」の③について

先進医療の申請に必要な国内での数例の実績の効率化についても、臨床
研究中核病院等における臨床研究の体制整備の状況などを踏まえ、先進医
療のより柔軟な運用が可能となるよう検討を行うこととする。

以上

「新成長戦略」(抜粋)

(平成22年6月18日閣議決定)

・ライフ・イノベーションにおける国家戦略プロジェクト

今後、飛躍的な成長が望まれる医薬品・医療機器・再生医療等のライフサイエンス分野において、我が国の技術力・創造力を発揮できる仕組みづくりに重点に置いたプロジェクトに取り組む。また、医療分野での日本の「安心」技術を世界に発信し、提供する。

4. 医療の実用化促進のための医療機関の選定制度等

がんや認知症などの重点疾患ごとに、専門的医療機関を中心としたコンソーシアムを形成し、研究費や人材を重点的に投入するほか、先進医療に対する規制緩和を図ることにより、国民を守る新医療の実用化を促進する。

また、患者保護、最新医療の知見保持の観点で選定した医療機関において、先進医療の評価・確認手続を簡素化する。

これにより、必要な患者に対し世界標準の国内未承認又は適応外の医薬品・医療機器を保険外併用にて提供することで、難治療疾患と闘う患者により多くの治療の選択肢を提供し、そのような患者にとってのドラッグ・ラグ、デバイス・ラグを解消する。

新たな医薬品・医療機器の創出、再生医療市場の顕在化などにより、2020年までに年間約7,000億円の経済効果が期待される。

「規制・制度改革に係る対処方針」(抜粋)

(平成22年6月18日閣議決定)

・各分野における規制改革事項・対処方針

2. ライフイノベーション

規制改革事項	保険外併用療養の拡大
対処方針	<p>・現在の先進医療制度よりも手続が柔軟かつ迅速な新たな仕組みを検討し、結論を得る。具体的には、例えば、再生医療等を含めた先進的な医療や、我が国では未承認又は適応外の医薬品を用いるものの海外では標準的治療として認められている療法、或いは、他に代替治療の存在しない重篤な患者に対する治験中又は臨床研究中の療法の一部について、一定の施設要件を満たす医療機関において実施する場合には、その安全性・有効性の評価を厚生労働省の外部の機関において行うこと等について検討する。 <平成22年度中に結論></p>

医療保険における革新的な医療技術の取扱いに関する考え方について(案)

(先進医療制度の手続、評価、運用の見直し)

我が国における、いわゆるドラッグラグ、デバイスラグや、我が国発の新医薬品の開発及び実用化の促進等といった課題については、研究開発の支援や、薬事承認の迅速化等が直接のアプローチとなるが、これに加えて、医療保険制度における先進医療制度についても、こうした課題に資するよう、その運用の見直しを以下のとおり行うこととする。

1. 医療上の必要性の高い抗がん剤に関する先進医療の実施について

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」(以下「未承認薬等検討会議」という)において医療上の必要性が高いとされた医薬品については、開発要請を受けた企業又は開発の意思を申し出た企業により治験が着手され、又は薬事承認に係る公知申請がされることが原則であるが、これに加え、海外の実績等から一定の安全性等が確認されている抗がん剤については、開発企業の公募中等、長期間治験が見込まれない場合に、これに係る技術を先進医療の対象とすることとする。

未承認薬等検討会議における開発要望の募集の際に、海外における標準的使用状況(米国の承認状況等)の記載欄を設けることとしているが、医療上の必要性が高いとされた抗がん剤については、この海外における標準的使用状況の情報を活用し、先進医療としての適格性等を先進医療会議(仮称)において確認することにより、先進医療の対象技術として告示することとする。(中医協へ報告)

また、先進医療会議(仮称)において、当該抗がん剤を用いた先進医療を実施可能な医療機関の属性をあらかじめ特定し(医療機関群)、これに該当する医療機関については、実施計画書を審査することにより、実施可能とする。(中医協へ報告)

- ・ 医療機関の施設属性・・・臨床研究中核病院(ICH-GCP水準の臨床研究を実施)都道府県がん診療連携拠点病院、特定機能病院等
- ・ 医療機関の施設要件・・・治験が適切に実施できる体制が整備されていること等
- ・ 当該実施計画書の審査については、先進医療会議(仮称)が適当と認めた場合には、一定の要件を満たす機関(がん治療に高度の知見を有し、実施機関の申請及び実施段階での監査を行う機能を有する機関)に委託できるとし、当該審査の結果を踏まえて先進医療会議(仮称)において適否を判断することができることとする。

実施医療機関において、当該先進医療のデータの質を確保することにより、薬事承認の一定の効率化を図ることとする。

なお、データの質の確保のためには、一定の要件を満たすような臨床試験が実施される必要があり、具体的な要件については、今後関係部局と調整することとする。

次回の未承認薬等検討会議における要望募集が夏に行われる予定であるため、医療上の必要性の議論の結果や、企業による開発状況等に応じて適宜実施する。

2．先進医療の申請に必要な国内での数例の実績の効率化について

現在、先進医療の対象技術の申請においては、国内において数例の実績があることが求められているが、これを満たさない場合であっても、申請された個々の技術や医療機関の特性に応じて、先進医療の実施を認めることとする。

この場合には、申請書における実績の記載に替えて、当該技術を有効かつ安全に実施することができる旨の記載を行うこととし、先進医療会議（仮称）において、この適否を判断する。

- ・安全性等の確認において必要な項目の例・・・臨床研究中核病院等であること、治験が適切に実施できる体制が整備されていること等

この申請方法により先進医療を実施することができる医療機関としては、特に臨床研究中核病院等の高度な臨床研究を、安全かつ有効に行うことができる機関とするよう適切に審査を行う。

当該スキームを認めるに当たっては、分野ごとに以下の取扱いとする。

- ・適応外薬、未承認薬

新薬の創出、実用化等の促進の観点等を踏まえて、審査を行うこと。また、1の未承認薬等検討会議において医療上の必要性が高いとされた先進医療に係るものについても個別にこの取扱いの適用を検討すること。

- ・上記以外の医療技術

対象となる医療技術の医療上の必要性や、実施機関が、臨床研究中核病院等の安全かつ有効に当該技術を実施することができる医療機関であること等について慎重な審査を行うこと。なお、医療機器については、製品の改良・改善が継続される特性を踏まえ、医療上のニーズが高い分野が特定され、医療上の必要性の高い機器が選定される仕組みを整備した上で、この取扱いを適用する。

3．現行の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議における審査の整理について

現行の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議における審査の効率化、重点化を図ること、上記1の取扱いを迅速に行うことを目的として、両会議における審査を一つの会議において行うこととする。

新たな会議体（「先進医療会議（仮称）」）においては、以下の項目について審査を行う

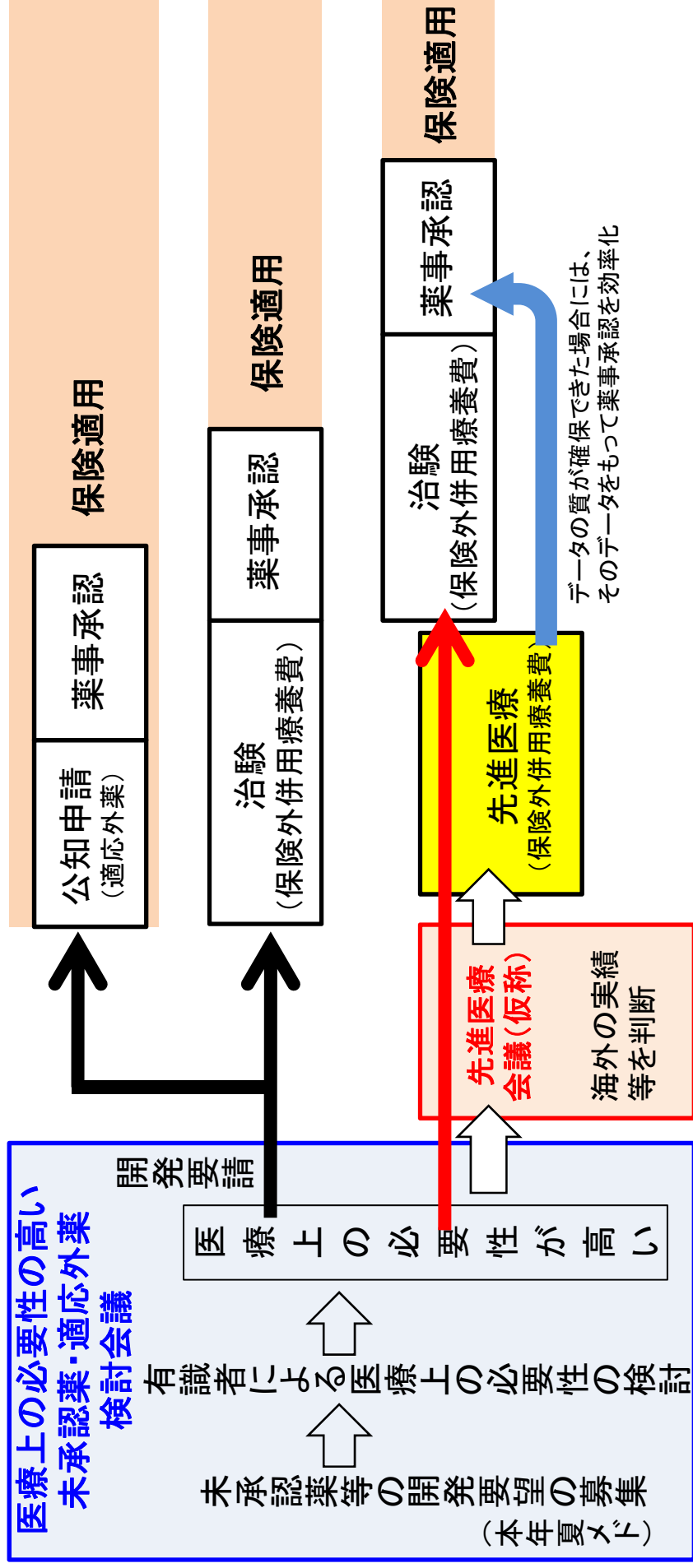
- ・ 個別の医療機関から申請のあった技術（未承認の医薬品、医療機器等を用いたものを含む。）について、倫理性、安全性、有効性、効率性、社会的妥当性、将来の保険導入の必要性等を審査【従来の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議において行っていたもの】
- ・ 当該技術を実施する医療機関について、実施機関の施設要件の設定又は個別の医療機関の実施の可否を審査。【従来の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議において行っていたもの】
- ・ 上記1のスキームにおいて、未承認薬等検討会議において医療上の必要性が高いとされた抗がん剤について、海外の実績等に鑑み、先進医療の対象とすることの可否の審査。実施可能な医療機関群の設定。また、当該技術を実施する医療機関の申請による実施計画書の審査。

当該会議は、医療技術に関し専門的学識を有する者、保険診療に精通した者、臨床試験、生物統計に精通した者、医療経済学的な評価に精通した者、法律学の専門家等により構成する。

現行の評価療養の枠組みを変更するものではない。

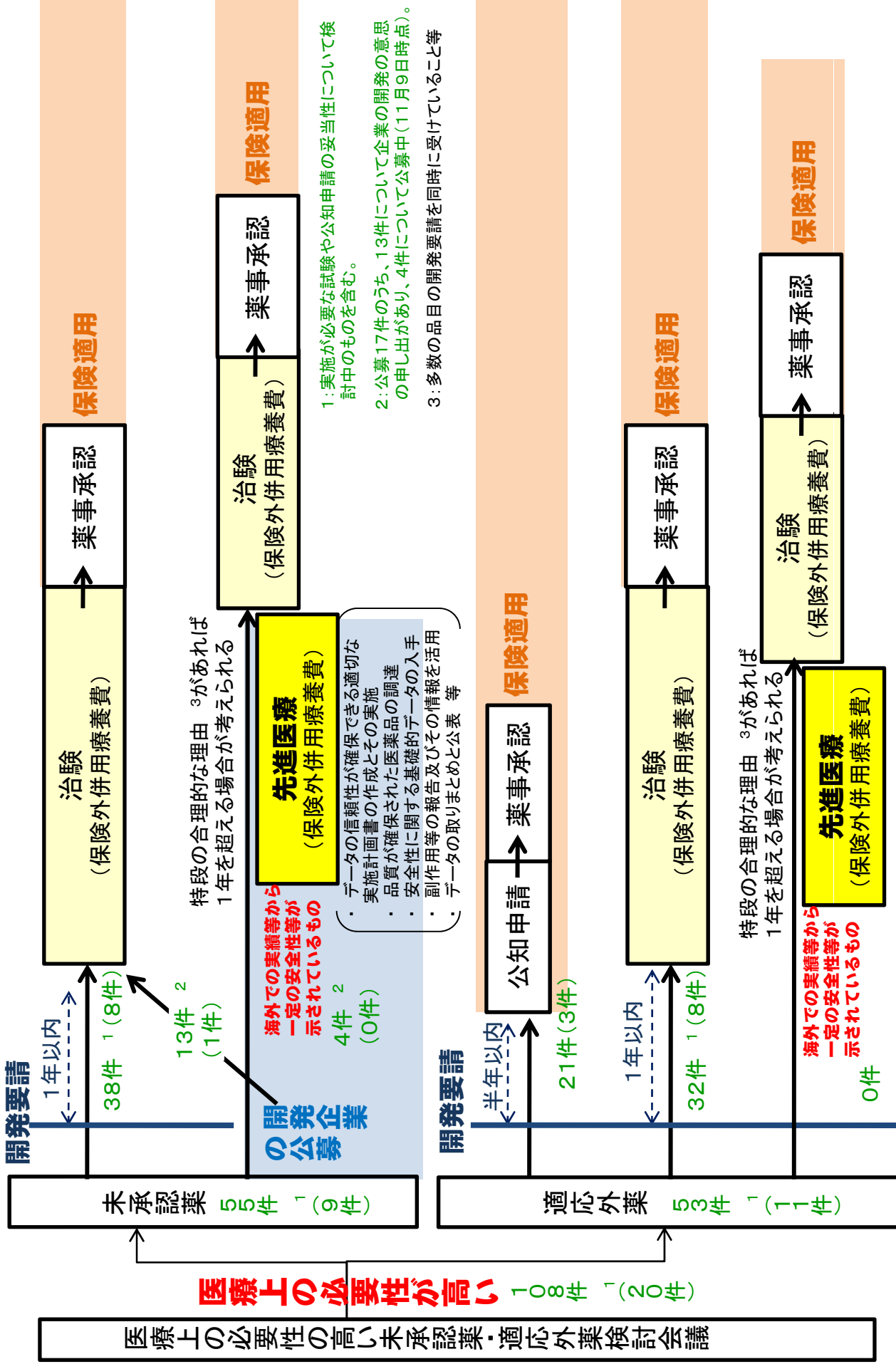
医療保険における革新的な医療技術の取扱いに関する考え方について (先進医療制度の手続、評価、運用の見直し)

1. 医療上の必要性の高い抗がん剤に係る先進医療の実施について



- ① 医療上の必要性が高いとされた抗がん剤について、海外の実績等を判断した上で、あらかじめ先進医療の対象として告示
 - ② 実施可能な医療機関の属性(医療機関群)をあらかじめ特定
 - ③ 医療機関は、実施計画書(プロトコル)審査のみで実施可能(外部機関の審査を活用可能)
- 【①～③は先進医療会議(仮称)で審査し、中医協に報告】

未承認薬等検討会議において医療上の必要性が高いとされたものに係る先進医療の活用のイメージ



数字は、検討会議に要望として集まったものうち医療上の必要性が高いとされたものとして第1弾として5月に開発要請等したものの。()内は抗がん剤。年内を目標に第2弾として74件(うち、抗がん剤は22件)を開発要請等予定。

現行の第3項先進医療の手続

未承認薬等検討会議において医療上の必要性が高いとされたものに係る先進医療の手続（案）

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議
○医療上の必要性が高い

先進医療会議（仮称）
○海外の実績等から技術の安全性等を確認
○実施可能な機関群を設定

医療機関の申請

高度医療評価会議
○実施技術の適否
○実施機関の適否
○実施計画書の適否
安全性、有効性等の観点

先進医療専門家会議
○実施技術の適否
将来の保険導入の必要性等の観点

先進医療として実施可能

設定された機関群に該当する医療機関の申請

先進医療会議（仮称）
○実施計画書の適否

外部機関

当該会議が適切と認めた場合には
審査を外部機関に委託可能

先進医療として実施可能

まずは、抗がん剤から当該運用を適用
外部機関は、当該分野について高度な知見等を有する機関とする。

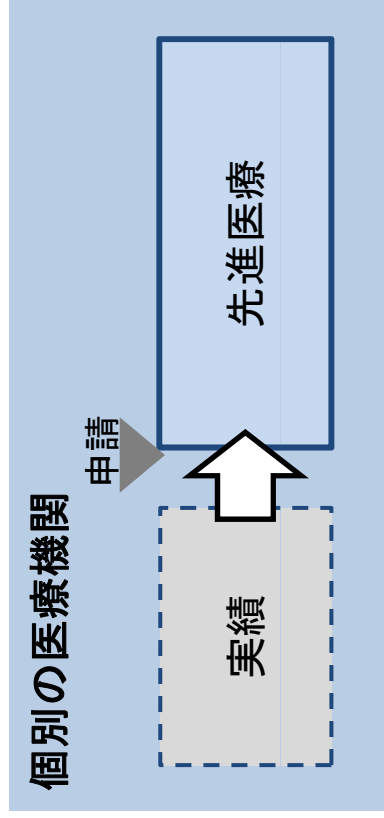
2. 先進医療の申請に必要な国内での数例の実績の効率化について

- 先進医療の対象技術の申請においては、数例の実績があることが求められているが、これを満たさない場合であっても、申請された個々の技術や医療機関の特性に応じて、先進医療の実施を認めることとする。
- 申請書における実績の記載に替えて、当該技術を有効かつ安全に実施することができる旨の記載を行うこととする。

【先進医療会議(仮称)で審査し、中医協に報告】

【通常の先進医療】

申請に当たっては、国内における実績が必要



(例) 臨床研究中核病院

申請

実績

先進医療

① 未承認薬、適応外薬

新薬の創出、実用化等の促進の観点を踏まえて、審査を行うこと。また、1の未承認薬等検討会議において医療上の必要性が高いとされた先進医療に係るものについても個別に当該スキームの適用を検討すること。

② 上記以外の技術

対象となる医療技術の医療上の必要性や、実施機関が、臨床研究中核病院等の安全かつ有効に当該技術を実施することができる医療機関であること等について慎重な審査を行うこと。

なお、医療機器については、製品の改良・改善が継続される特性を踏まえ医療上のニーズが高い分野が特定され、医療上の必要性の高い機器が選定される仕組みを整備した上で、この取扱いを適用する。

3. 先進医療会議（仮称）の審査体制等について

従来の審査体制

新たな審査体制

① 通常の先進医療に係る審査

② 医療上の必要性の高い抗がん剤に係る先進医療の審査

個別の医療機関からの申請
未承認薬、適応外薬等の使用を伴わない技術
(高度医療)
(第2項先進医療)

高度医療評価会議
① 技術の審査
安全性、有効性等を審査
② 実施機関の審査
個別の実施機関の適否を審査

先進医療専門家会議
① 技術の審査
効率性、社会的妥当性、将来の保険導入の必要性等を審査
② 実施機関の審査
実施機関の要件を設定

個別の医療機関からの申請
・未承認薬、適応外薬等の使用を伴う技術
・未承認薬、適応外薬等の使用を伴わない技術

先進医療会議（仮称）
① 技術の審査
倫理性、安全性、有効性、効率性、社会的妥当性、将来の保険導入の必要性等を審査
② 実施機関の審査
・実施機関の要件を設定
・実施機関の適否を個別に審査

未承認薬等検討会議
(医療上の必要性が高いとされた抗がん剤)

先進医療会議（仮称）
① 技術の審査
海外等の実績から適否を審査
② 実施機関の審査
実施可能な医療機関の属性
(医療機関群)を設定

設定された医療機関群に該当する
個別の医療機関からの申請

先進医療会議（仮称）
実施計画書（プロトコール）審査

当該会議が適切と認めた場合には
審査を外部機関に委託可能

新たな会議は、医療技術に関し専門的学識を有する者、保険診療に精通した者、臨床試験、生物統計に精通した者、医療経済学的な評価に精通した者、法律学の専門家の等により構成する。

高度医療評価会議 構成員名簿

氏 名	役 職
いとう すみのぶ 伊藤 澄信	国立病院機構本部 総合研究センター臨床研究統括部長
かねこ つよし 金子 剛	国立成育医療研究センター 形成外科医長
かわかみ こうじ 川上 浩司	京都大学大学院医学研究科 薬剤疫学 教授
さとう ゆういちろう 佐藤 雄一郎	東京学芸大学教育学部 准教授
さるた たかお 猿田 享男	慶應義塾大学 名誉教授
しばた たろう 柴田 大朗	国立がん研究センター がん対策情報センター 臨床試験支援部 薬事安全管理室長
せきはら たけお 関原 健夫	CDI メディカル 顧問
たけうち まさひろ 竹内 正弘	北里大学薬学部臨床医学（臨床統計学・医薬開発学）教授
たじま ゆうこ 田島 優子	さわやか法律事務所 弁護士
ながい りょうぞう 永井 良三	東京大学大学院医学系研究科循環器内科学 教授
はなし ゆきとし 葉梨 之紀	日本医師会 常任理事
はやし くにひこ 林 邦彦	群馬大学 医学部保健学科医療基礎学 教授
ふじわら やすひろ 藤原 康弘	国立がん研究センター中央病院 副院長
ほった ともみつ 堀田 知光	国立病院機構名古屋医療センター 院長
むらかみ まさよし 村上 雅義	先端医療振興財団 専務理事
やまぐち としはる 山口 俊晴	癌研究会有明病院 副院長
やまなか たけはる 山中 竹春	国立病院機構九州がんセンター 臨床研究センター 臨床研究部 腫瘍統計学研究 室長
やまもと はるこ 山本 晴子	国立循環器病研究センター 先進医療・治験推進部長

座長

座長代理

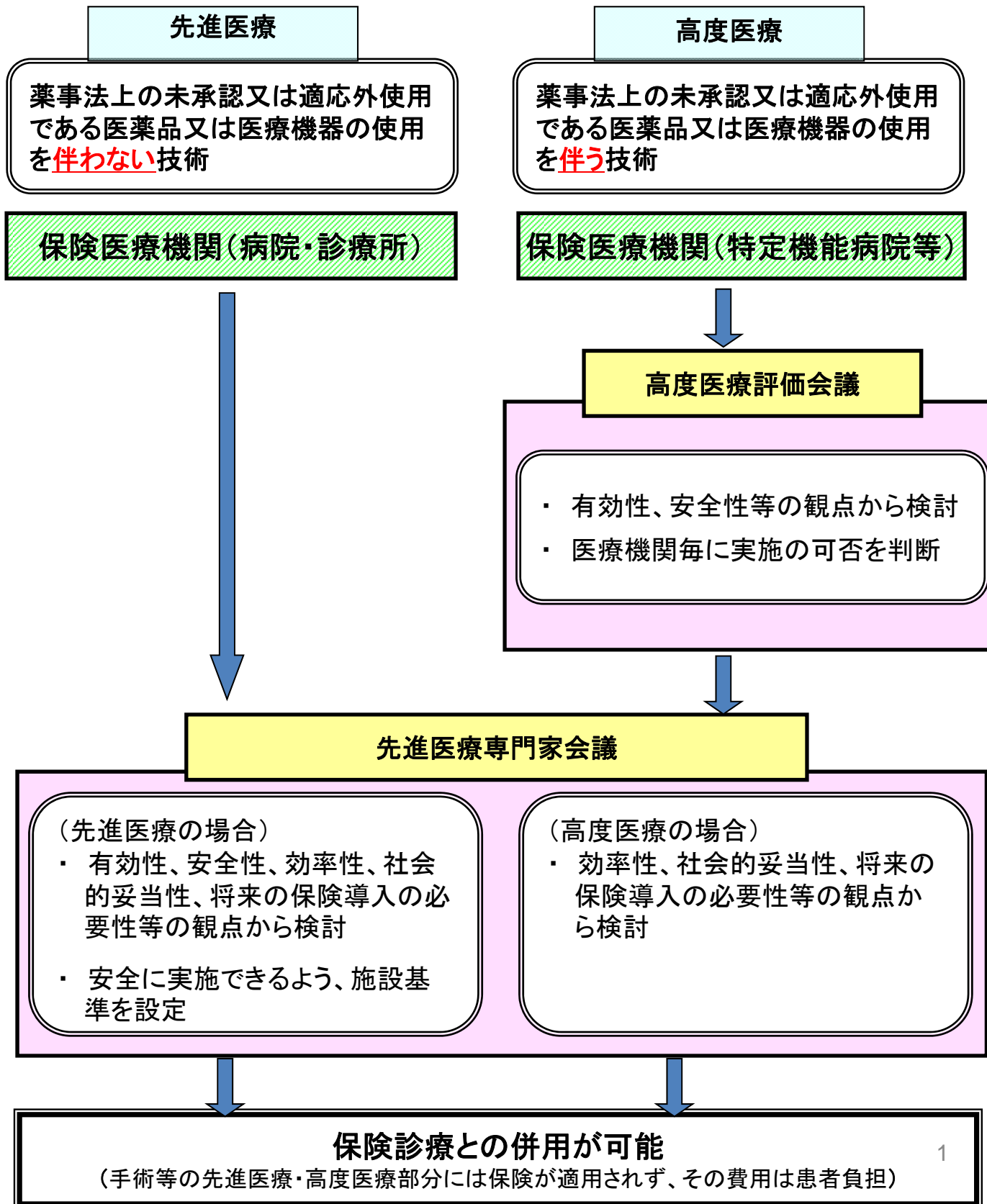
先進医療専門家会議構成員

氏 名	役 職	分 野
赤川 安正	広島大学大学院医歯薬学総合研究科教授	歯科
天野 史郎	東京大学教授	眼科
新井 一	順天堂大学医学部附属順天堂医院長	脳神経外科
飯島 正文	昭和大学教授	皮膚科
加藤 達夫	国立成育医療研究センター総長	小児科
金子 剛	国立成育医療研究センター医長	形成外科
北村 惣一郎	国立循環器病研究センター名誉総長	心臓血管外科
笹子 三津留	兵庫医科大学教授	消化器科
◎ 猿田 享男	慶應義塾大学名誉教授	内科（内分泌）
竹中 洋	大阪医科大学長	耳鼻咽喉科
田中 憲一	新潟大学教授	産婦人科
田中 良明	日本大学客員教授	放射線科
辻 省次	東京大学大学院医学系研究科教授	神経内科
戸山 芳昭	慶應義塾大学教授	整形外科
中川 俊男	新さっぽろ脳神経外科病院理事長・院長	治験
永井 良三	東京大学教授	循環器内科
樋口 輝彦	国立精神・神経研究センター総長	精神科
福井 次矢	聖路加国際病院長	医療経済
松原 和夫	旭川医科大学医学部教授	薬学
○ 吉田 英機	昭和大学名誉教授	泌尿器科
渡邊 清明	国際医療福祉大学教授	臨床検査

◎ 座長

○ 座長代理

先進医療・高度医療の審査の流れについて

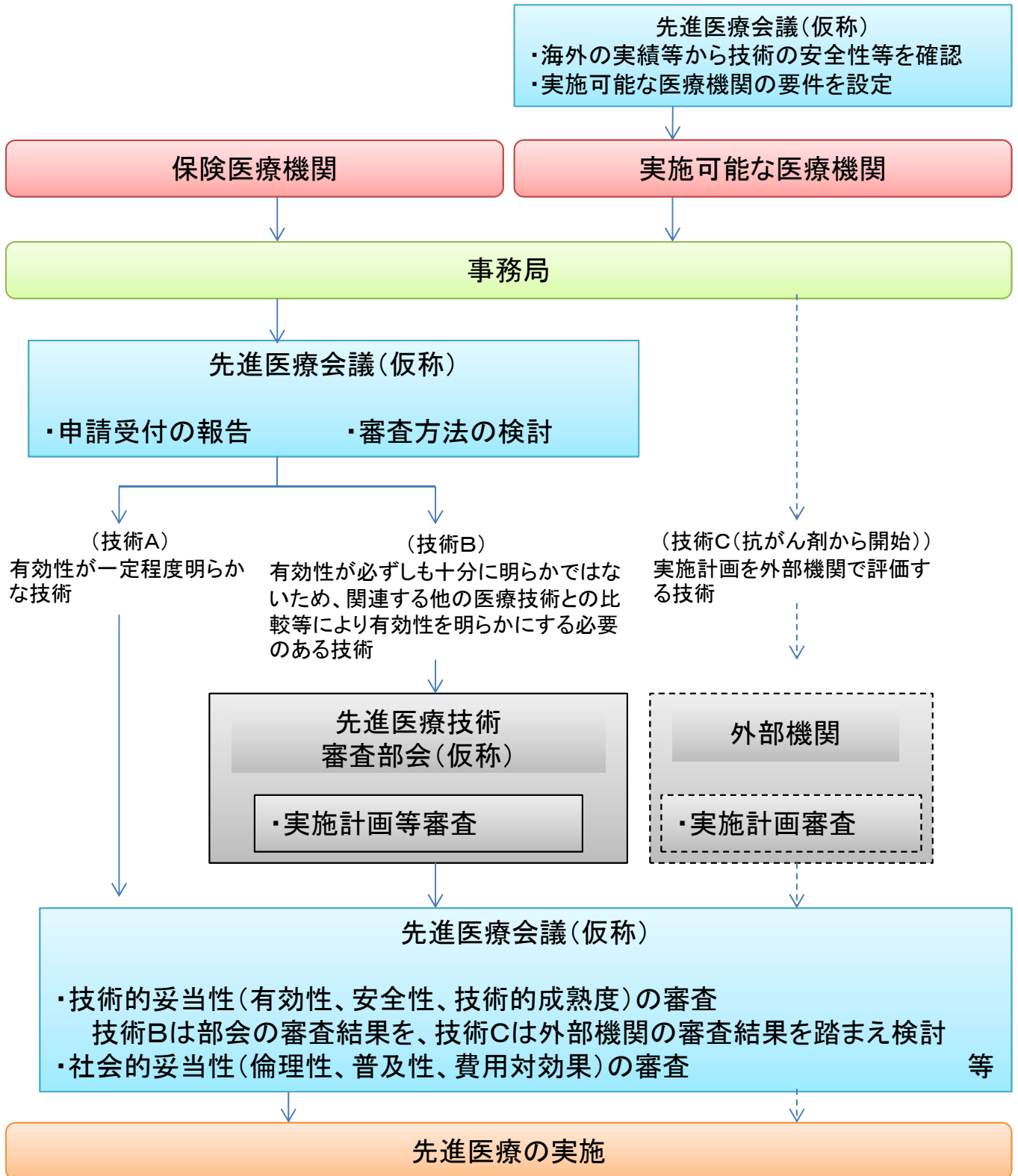


今後の対応案

先進医療会議(仮称)における審査の流れについて

左記以外の現行の第2項、第3項案件

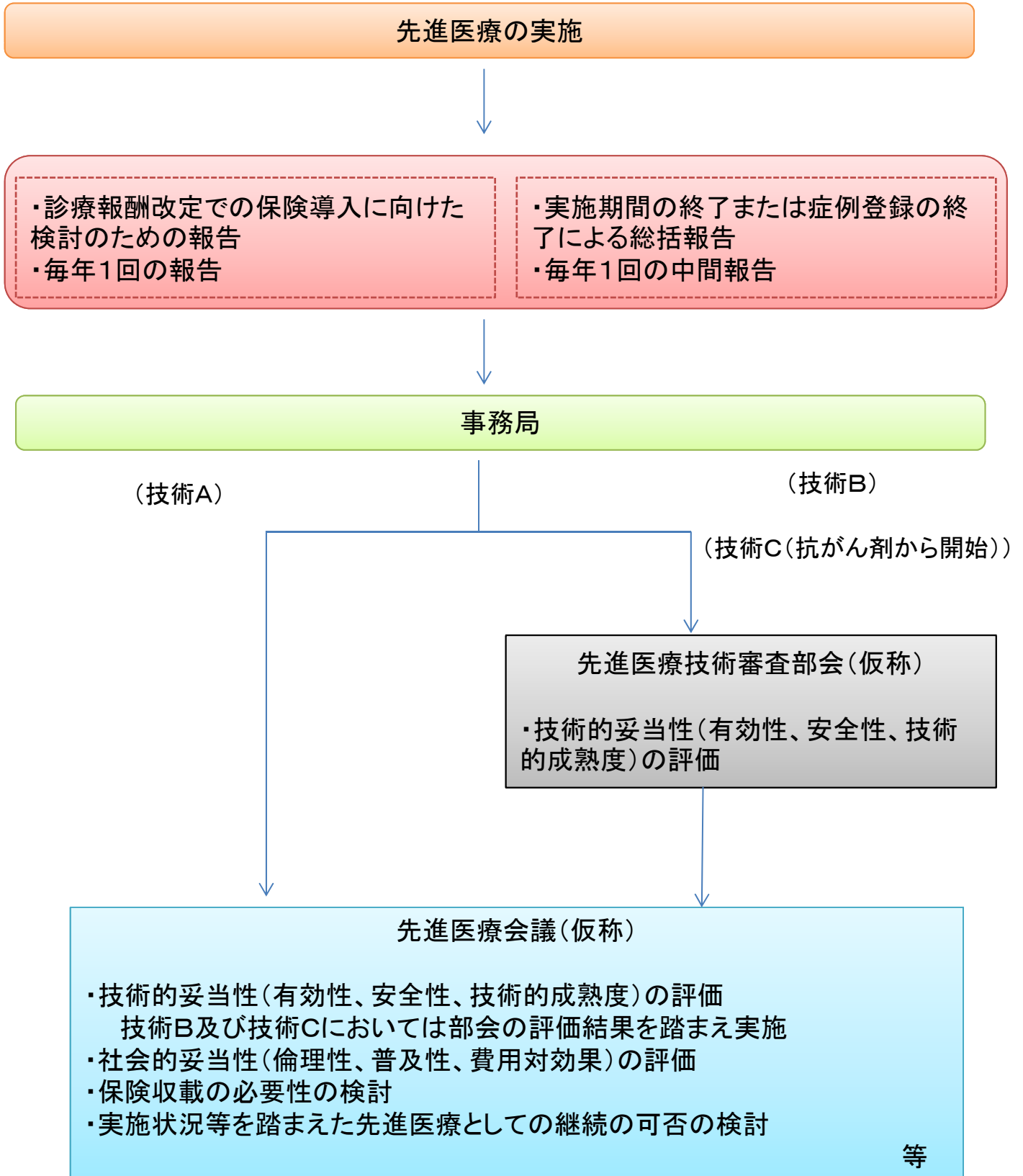
未承認薬等検討会議において医療上の必要性が高いとされた抗がん剤



(次ページに続く)

先進医療実施後の技術の評価について

(前ページからの続き)



先-1 (参考資料2)
25.9.6

先-3
24.7.19

中医協 総-2-1
24.7.18

先進医療制度の見直し（先進医療・高度医療の一本化）の具体的な内容

1. これまでの経緯

中医協（平成23年5月18日）において、①先進医療専門家会議と高度医療評価会議の一本化、②医療上必要性の高い抗がん剤に関する取扱いの柔軟化、③先進医療実施前に必要な数例の実績の効率化について、了承され、これらの内容について、引き続き通知等の具体的な見直し作業を進めていくこととされた。

<参考：先進医療について>

先進医療については、平成16年12月の厚生労働大臣と内閣府特命担当大臣（規制改革、産業再生機構、行政改革担当、構造改革特区・地域再生担当）との基本的合意に基づき、国民の安全性を確保し、患者負担の増大を防止するといった観点を踏まえつつ、国民の選択肢を広げ、利便性を向上するという観点から、以下について、安全性、有効性等を確保するために一定の施設基準を設定し、当該施設基準に該当する保険医療機関の届出により、又は安全性、有効性等を確保するために対象となる医療技術ごとに実施医療機関の要件を設定し当該要件に適合する保険医療機関の承認により、保険診療との併用を認めることとしている。

- 1 未だ保険診療の対象に至らない先進的な医療技術（2又は3を除く。）
- 2 承認又は認証を受けていない医薬品又は医療機器の使用を伴う先進的な医療技術
- 3 承認又は認証を受けて製造販売されている医薬品又は医療機器について承認又は認証事項に含まれない用量、用法、適応等による同一の又は他の効能、効果等を目的とした使用を伴う先進的な医療技術

2. 見直しの概要

(1) 審査及び実施後の再評価までの流れ

ポイント	具体的な内容	通知文書の関連部分
先進医療 A 及び先進医療 B の分類について	第 2 項先進医療と第 3 項先進医療の分類から、先進医療 A と先進医療 B の分類とする。 なお、先進医療 B については、技術的妥当性等の評価については、外部機関における評価を実施可能とする。	(先進医療 A) 1 未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴わない医療技術 (4 に掲げるものを除く。) 2 以下のような医療技術であって、当該検査薬等の使用による人体への影響が極めて小さいもの (1) 未承認等の体外診断薬の使用又は体外診断薬の適応外使用を伴う医療技術 (2) 未承認等の検査薬の使用又は検査薬の適応外使用を伴う医療技術 (先進医療 B) 3 未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴う医療技術 (2 に掲げるものを除く。) 4 未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴わない医療技術であって、当該医療技術の安全性、有効性等に鑑み、その実施に係り、実施環境、技術の効果等について特に重点的な観察・評価を要するものと判断されるもの。

		<p>(外部機関で評価する技術)</p> <p>○ 先進医療Bに係る新規技術の審査、協力医療機関の追加又は総括報告書等の評価については、先進医療会議の先進医療技術審査部会において技術的妥当性、試験実施計画等を審査し、その結果を先進医療会議に報告する。また、当該技術的妥当性、試験実施計画等の審査については、評価対象技術の安全性等に鑑み先進医療会議が認めた場合には、高度の知見を有する外部機関に行わせることができる。なお、外部機関における評価の実施については、その具体的なあり方を厚生労働省において検討し、その結論を得てから、行うこととする。</p>
事務局の資料提出窓口一本化について	先進医療会議での審査が必要なものについての資料提出窓口は医政局研究開発振興課に一本化する。	<p>先進医療実施届出書の提出</p> <p>先進医療実施届出書（正本1通及び副本9通（添付書類を含む。以下同じ。））を、厚生労働省医政局長を経由して、厚生労働大臣に提出すること。</p>
先進医療の事前相談について	先進医療について、事前相談を実施する。	先進医療の事前相談については、医政局研究開発振興課及び保険局医療課において分担・連携して行う。

<p>先進医療会議の役割について</p>	<p>先進医療会議は以下の役割を担う。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 先進医療 A 及び先進医療 B の振り分け ・ 先進医療の技術的妥当性、社会的妥当性の審査、施設基準の設定等 ・ 先進医療実施後の再評価 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 当該技術的妥当性、試験実施計画等の審査については、評価対象技術の安全性等に鑑み先進医療会議が認めた場合には、高度の知見を有する外部機関に行わせることができる。 ○ 提出された新規技術については、先進医療会議において科学的評価を行うこととし、その結果（「適」、「不適」）について通知された地方厚生（支）局長は、届出書を提出した保険医療機関にその結果を速やかに通知すること。 ○ 先進医療については、診療報酬改定、所定の評価期間等の終了に合わせて、その有効性、安全性等を評価するとともに、必要に応じて薬事承認の状況等を踏まえ、保険導入、先進医療告示からの取消等（実施計画書の変更を含む。）の検討を行う。 なお、薬事法の対象とならない再生医療、細胞医療等の技術についても、社会的妥当性等に留意しつつ、保険収載の必要性を検討する。
----------------------	--	--

<p>先進医療技術審査部会の役割について</p>	<p>先進医療技術審査部会は以下の役割を担う。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 先進医療Bの技術的妥当性、試験実施計画書等の審査 ・ 先進医療Bの先進医療実施後の再評価 	<p>先進医療Bに係る新規技術の審査、協力医療機関の追加又は総括報告書等の評価については、先進医療会議の先進医療技術審査部会において技術的妥当性、試験実施計画等を審査し、その結果を先進医療会議に報告する。</p>
<p>定期報告・総括報告について</p>	<p>全ての医療技術に対して、毎年1回の定期報告を求める。</p> <p>先進医療Bについては、試験期間の終了又は症例登録の終了にあわせて総括報告を求める。</p>	<p>(定期報告)</p> <p>当該年6月30日までに先進医療を実施している保険医療機関を対象とし、前年の7月1日から当該年6月30日までの間に行った先進医療の実績について、別紙7の様式第1号から第2号までを用いて、当該年8月末までに地方厚生(支)局長に報告すること。</p> <p>(総括報告)</p> <p>先進医療会議において承認された試験期間若しくは症例登録が終了した場合又は試験期間若しくは症例登録が終了していない場合でも、試験を終了する場合には、別紙7の様式第1号を厚生労働省医政局長を経由して厚生労働大臣に報告すること。</p> <p>ただし、平成24年9月30日時点で、先進医療告示第3各号に掲げる先進医療として実施しているものについては、この限りではない。</p>

(2) これまでの審査の要件について、本通知にて改めて明記したもの

ポイント	具体的な内容	通知文書の関連部分
<p>先進医療Bに求められる水準について</p>	<p>試験計画のデータの信頼性については、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令(平成9年厚生省令第28号。以下「GCP省令」という。)等を参考にする。</p>	<p>○ 試験計画(試験期間、症例数、評価基準等に関する記載を含む。)については、過去の使用実績等における有効性及び安全性に関する知見に応じて、予定試験期間、予定症例数、モニタリング体制、実施方法、文書の保存期間等を設定すること。</p> <p>○ 試験計画のデータの信頼性については、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令(平成9年厚生省令第28号。以下「GCP省令」という。)等を参考にする。</p>
<p>医薬品・医療機器を用いる医療技術の取扱いについて</p>	<p>数例以上の当該施設での臨床使用実績が必要とされているが、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究中核病院等の高度な臨床研究が実施できる医療機関で、当該医療技術を有効かつ安全に実施できることが判明した場合には、数例以上の当該医療機関での臨床使用実績の要件を効率化する。</p>	<p>関係する法令又は指針の遵守の下で行われた当該施設において数例以上の臨床使用実績があること及び1症例ごとに十分な検討がなされていることが必要である。</p> <p>ただし、これを満たさない場合であっても、申請された個々の医療技術の特性に応じて、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究中核病院等の高度で質の高い臨床研究を実施することができる医療機関において、当該医療技術を有効かつ安全に実施できることが明らかである場合には、この限りではない。</p>
<p>医薬品又は医療機器の入手等について</p>	<p>未承認等若しくは適応外の医薬品又は医療機器の入手は、「臨床研究において用いられる未承認医療機器の提供等に係る薬事法の適用について」(平成22年3月31日付薬食発0331第7号)及びそのQAの考え方に基づいて行うこと。</p>	<p>未承認等若しくは適応外の医薬品又は医療機器の入手については、「臨床研究において用いられる未承認医療機器の提供等に係る薬事法の適用について」(平成22年3月31日付薬食発0331第7号)及び「臨床研究において用いられる未承認医療機器の提供等に係る薬事法の適用について」に関する質疑応答集(Q&A)について」(平成23年3月31日付薬食監麻発0331第7号)の考え方に基づき、適切に行うこと。</p>

<p>先進医療による成果の活用について</p>	<p>薬事承認申請に資するものとして、先進医療による成果を活用する。</p>	<ul style="list-style-type: none"> ○ 治験に先立って実施される未承認医薬品や再生医療、個別化医療に係る先進医療の成果については、薬事戦略相談を活用することにより、薬事承認申請の効率化を可能とする。 ○ 適応外薬に係る先進医療の成果については、国際的な論文等として公表された場合、効能追加に係る薬事承認申請の効率化を可能とする。 ○ 未承認又は適応外医療機器に係る先進医療の成果については、国際的な論文等として公表された場合、薬事承認申請の効率化を可能とする。なお、薬事戦略相談を活用することも可能である。
-------------------------	--	---

3. 今後のスケジュール

平成 24 年 6 月 27 日（水） 高度医療評価会議への報告
平成 24 年 7 月 18 日（水） 中医協への報告
平成 24 年 7 月 19 日（木） 先進医療専門家会議への報告
平成 24 年 7 月中 先進医療通知発出
平成 24 年 10 月 1 日（月） 先進医療・高度医療の一本化の施行

Press Release

平成 25 年 7 月 19 日

【照会先】

医政局研究開発振興課治験推進室

室 長 河野 (内線 4161)

室長補佐 本間 (内線 2590)

(代表電話) 03 (5253) 1111

(直通電話) 03 (3595) 2430

報道関係者 各位

「早期・探索的臨床試験拠点の選定結果について」における 実施機関名の一部修正

平成 23 年 7 月 22 日に、「早期・探索的臨床試験拠点の選定結果について」を公表したところです。

今般、この公表の内容のうち、実施機関名について、実態に則した形で、以下のとおり一部修正いたしましたので、お知らせいたします。

なお、この修正に伴う事業計画や事業実施内容に変更はありません。

○ 「国立がん研究センター 東病院」及び「慶應義塾大学医学部」について、それぞれ「国立がん研究センター」及び「慶應義塾大学病院」と表記の名称を変更しました。

※ 「国立がん研究センター」については、これまで「国立がん研究センター東病院」と表記していましたが、当初より国立がん研究センター全体として事業を実施していることから、表記の名称を「国立がん研究センター」と変更するものです。

※ 「慶應義塾大学医学部」については、早期・探索的臨床試験拠点整備事業の実施要綱における名称や実態を考慮して、「慶應義塾大学病院」と変更するものです。

平成 23 年 7 月 22 日

照会先：医政局研究開発振興課治験推進室

室長 佐藤（内線 4161）

室長補佐 宮田（内線 2586）

（代表電話） 03（5253）1111

（直通電話） 03（3595）2430

早期・探索的臨床試験拠点の選定結果について

日本発の革新的な医薬品・医療機器を創出するためには、我が国の基礎研究成果（シーズ）による薬物・機器について、世界に先駆けてヒトに初めて投与・使用する臨床試験の実施体制を国内に整備する必要があります。

このたび当該試験の拠点を5機関選定しましたので公表いたします。

- ・ 国立がん研究センター東病院（医薬品／がん分野）
- ・ 大阪大学医学部附属病院（医薬品／脳・心血管分野）
- ・ 国立循環器病研究センター（医療機器／脳・心血管分野）
- ・ 東京大学医学部附属病院（医薬品／精神・神経分野）
- ・ 慶應義塾大学病院医学部（医薬品／免疫難病分野）

※ 順不同：疾患分野別

1 事業概要

- 日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出を目的に、世界に先駆けてヒトに初めて新規薬物・機器を投与・使用する臨床試験の拠点として、「早期・探索的臨床試験拠点」を整備する事業。
- 選定された施設は、質の高い早期・探索的臨床試験を実施するために必要となる、以下の基盤構築を行う。
 - ・ 治験・臨床研究に精通する医師、臨床研究コーディネーター等人員の確保
 - ・ 医療機器等設備の整備
 - ・ 非臨床試験の実施 等
- 各施設から提出される整備計画に基づき、1機関当たり5億円程度を上限として基盤整備に必要な事業費を補助する。
- 整備事業と連動して、医師主導治験を行うための研究費を補助する。
- 補助期間は平成 23 年度からの 5 年間で予定。

2 選定の過程

- 全国の特設機能病院、国立高度専門医療研究センター等を対象に、6月17日から7月7日まで公募を行い、41機関から応募があった。
- 重点疾患領域、法律等関連分野の専門家、医薬品・医療機器各業界の代表及び一般代表の計14名から構成される会議を設置し、提出された事業計画書について、同会議構成員による書面評価を実施。
- 書面評価結果を踏まえ、同会議が上位12機関を対象としてヒアリングを行い評価。
- 会議の評価結果を踏まえ、厚生労働省において次の5機関を選定した。

機関名	医薬品／機器	疾病分野
国立がん研究センター東病院	医薬品	がん
大阪大学医学部附属病院	医薬品	脳・心血管
国立循環器病研究センター	医療機器	脳・心血管
東京大学医学部附属病院	医薬品	精神・神経
慶應義塾大学病院医学部	医薬品	免疫難病

※ 順不同：疾患分野別

平成 25 年 4 月 19 日
照会先：医政局研究開発振興課
課長 佐原（内線 2540）
治験推進室長 山田（内線 4161）
（代表電話） 03（5253）1111
（直通電話） 03（3595）2430

報道関係者 各位

臨床研究中核病院整備事業の公募結果

国際水準の質の高い臨床研究や難病等の医師主導治験を推進し、日本発の革新的な医薬品・医療機器を創出するためには、複数病院からなる大規模なネットワークの中核となり、臨床研究の拠点となる機関が必要です。

厚生労働省ではこのたび、この課題に対応するため、臨床研究中核病院整備事業の対象として、平成 24 年度に選定した 5 機関に加え、新たに次の 5 機関を選定しましたので公表いたします。

- ・ 東北大学病院
- ・ 群馬大学医学部附属病院
- ・ 国立成育医療研究センター
- ・ 国立病院機構 名古屋医療センター
- ・ 岡山大学病院

<参考：平成 24 年度に選定した 5 機関>

- ・ 北海道大学病院
- ・ 千葉大学医学部附属病院
- ・ 名古屋大学医学部附属病院
- ・ 京都大学医学部附属病院
- ・ 九州大学病院

※ 順不同

1 事業概要

- 日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出等を目的に、国際水準の臨床研究、難病等の医師主導治験及び市販後臨床研究等（以下「国際水準の臨床研究等」）の中心的役割を担う「臨床研究中核病院」を整備する事業。
- 選定された機関は、以下の基盤構築を行う。
 - ・ 自ら国際水準の臨床研究等を企画・立案し実施するとともに、他の医療機関が実施する臨床研究を支援できる体制
 - ・ 倫理性、科学性、安全性、信頼性の観点から適切かつ透明性の高い倫理審査ができる体制
 - ・ 関係者への教育、国民・患者への普及啓発、広報体制 等
- 各機関から提出される整備計画に基づき、基盤整備に必要な事業費を補助する。
- 整備事業と連動して、国際水準の臨床研究等を行うための研究費を補助する。
- 補助期間は平成 25 年度からの 5 年間を予定。
 - ※ 平成 24 年度に選定した 5 機関については、平成 24 年度からの 5 年間を予定している。

2 選定の過程

- 全国の特定機能病院、国立高度専門医療研究センター等を対象に事前説明会を実施した後、2月26日から3月5日まで公募を行い、45 機関から応募があった。
- 臨床研究・治験、法律等の専門家、医薬品・医療機器各業界の代表及び一般代表の計 15 名から構成される会議を設置し、提出された事業計画書について、同会議構成員による書面評価を実施。
- 書面評価結果を踏まえ、同会議が上位 10 機関を対象としてヒアリングを行い評価。
- 会議の評価結果を踏まえ、厚生労働省において 5 機関を選定した。