

いわゆる非劣性試験の先進医療 B における取り扱いについて

1. 背景等

- 先進医療とは、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ものとしている。
 - 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、医療機器又は再生医療等製品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、医療機器又は再生医療等製品について承認又は認証事項に含まれない用法・用量、効能・効果又は性能等を目的とした使用を伴う先進的な医療技術
- これまで先進医療 B として承認された医療技術の試験計画は、保険収載されている標準治療が存在する場合、「先進性」の観点から、少なからず例外はあるものの、原則、有効性において標準治療に対する優越性を証明するための試験計画（以下、「優越性試験」という。）を求めていた。
- 一方で、昨今の医療技術の進歩から、高い有効性を有する標準治療が増えると共に低侵襲性等を主眼とする新規医療技術の開発も進められており、優越性試験を計画することが困難な技術が増加する傾向にある。
- こうした状況から、優越性試験を計画できない場合に、有効性において非劣性を証明するための試験計画（以下、「いわゆる非劣性試験」という。）を選択し、事前相談に至る技術が増えている。

2. 対応方針（案）

- 従来通り、原則として「有効性」における優越性試験を求めることとした上で、優越性試験を計画できない場合に、低侵襲化による QOL 改善等を先進性の一つと位置づけ、低侵襲化による QOL 改善等を主眼とする新規医療技術に係るいわゆる非劣性試験についても新たに対象とすることとしてはどうか。

○ また、いわゆる非劣性試験（単群試験も含め、有効性に関して非劣性仮説の試験）を対象にする際には、以下のすべてを満たすこととしてはどうか。（但し、対象が希少疾患である等、特殊な事情がある場合はこの限りではない。）

- 1 「有効性」において優越性試験を計画することが困難な技術であること。
- 2 保険収載されている標準治療と比較し、予め設定した副次評価項目において臨床的有用性を示しうる試験計画であること。
- 3 先進医療部分に係る費用が保険収載されている標準治療の費用と比較し、概ね同水準以下であること。
- 4 非劣性試験において設定される「非劣性マージン（下側同等限界）」が妥当である臨床的根拠が示されること。

3. その他

○ いわゆる非劣性試験を対象とした場合、申請数の増加が想定されるが、適切な事務処理期間を確保するため、必要に応じて、申請状況等を踏まえた対応につき検討してはどうか。