

## 先進医療制度の運用の見直しの具体的方法について（案）

### 1. 検討の必要性

- (1) 平成25年9月4日に行われた中央社会保険医療協議会総会（以下、「中医協」という。）において、「先進医療制度の運用の見直しについて」が了承され、今後、「医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部機関における技術的評価に関する基本的考え方」に沿って先進医療会議において、具体的な運用方法について検討することとされているため、具体的運用方法の検討を行う必要がある。

### 2. 具体的な検討内容

- (1) 先進医療の対象となる抗がん剤の公表について

『「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抗がん剤については、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において確認する』とされていることから、下記のような方法・手続きにより、確認を行い、結果を公表してはどうか。

- ①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は、原則、翌々月までの先進医療会議において、必要な検討を行う。
- ②具体的には、未承認薬等検討会議に提出された「海外における標準的使用状況」（米国の承認状況等）の記載欄や未承認薬等検討会議の検討結果に記載されている『「医療上の必要性に係る基準」への該当性へのWGの評価』などを参考に、当該技術の先進医療としての適格性（安全性、有効性、技術的成熟度等）等を判断し、先進医療の外部評価の対象となる場合には、結果を公表するとともに、実施医療機関群（臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点、特定機能病院及び都道府県がん診療連携拠点病院）に通知することとする。

(2) 医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療を外部機関における技術的評価によって実施する際の治験との連携について

- ①新薬創出・適応外薬解消等促進加算（以下、「新薬創出等加算」という。）の要件として、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後に開発要請を受けた企業は、開発要請後 1 年以内に治験を開始することとされている。
- ②一方、医療上の必要性が高いとされた抗がん剤は、速やかに先進医療の外部評価の対象とすることとされている。

※「企業に対する開発要請後 1 年を経過しても、特段の合理的理由無く治験に着手されなかった際は、新薬創出等加算を適応しない」等、これら従来の新薬創出等加算の取り扱いを変更するものではない。

- ③①及び②のいずれにも該当する同一の抗がん剤については、治験に先立って実施される先進医療の臨床データが薬事承認申請に活用されるように、先進医療、治験に携わるそれぞれの実施者が、先進医療を実施するに当たって事前に十分な連絡・調整等を行う必要がある。
- ④これを踏まえ、①及び②のいずれにも該当する抗がん剤について、先進医療の実施を計画している保険医療機関が、円滑に開発要請を受けた企業と十分に連絡・調整を行うことができるよう、外部機関は、事前相談等を行う際に、連絡・調整の状況を確認するものとしてはどうか。
- ⑤④に加えて、開発要請を受けた企業は、先進医療の実施を計画している保険医療機関から相談があった場合には、開発に係る情報提供を行うなど必要な対応を行うこととしてはどうか。

※例えば、治験が開始されることを受けて、先進医療を終了する際の連携のあり方等についての連絡・調整

(3) その他（外部機関について）

- ①平成 25 年 9 月～10 月に公募を行い、「独立行政法人国立がん研究センター」を外部機関に選定したところ。
- ②今後、「先進医療制度の運用の見直しについて（案）」（参考資料 1）の 2.（1）「外部機関について」に定められた基本的考え方に従って、評価委員会の運営等を進めていく。

(4) 今後のスケジュール等について

平成 25 年 11 月末～（予定）医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部機関における技術的評価の運用を開始

# 先進医療の申請から保険適用までの流れについて



## 先進医療制度の運用の見直しについて（案）

（「医療上の必要性の高い抗がん剤」を用いる先進医療の外部機関における評価について）

### 1. 背景

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、下記のような見直しを行ってきた。

#### （1）これまでの経緯

- ① 新成長戦略（平成 22 年 6 月 18 日閣議決定）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）において、新たな医薬品の創出等、医療の実用化促進を目的として、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。
- ② 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 回にわたり検討され、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」として報告され、以下の 3 点について了承された。（参考①）
  - （ア） 「医療上の必要性の高い抗がん剤」を用いる先進医療の外部機関における評価について
  - （イ） 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
  - （ウ） 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（先進医療・高度医療一本化）
- ③ 上記（イ）及び（ウ）については、平成 24 年 10 月 1 日より、運用を開始しているところ。
- ④ 日本再興戦略（平成 25 年 6 月 14 日閣議決定）において、「保険診療と保険外の安全な先進医療を幅広く併用して受けられるようにするため、新たに外部機関等による専門評価体制を創設し、評価の迅速化・効率化を図る」とされた。（【本年秋を目途に抗がん剤から開始】）

## 2. 医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部機関における技術的評価に関する基本的考え方(案)

抗がん剤の外部機関における技術的評価について、本年秋を目途に開始するとされていることから、その実施に係る基本的考え方を下記の通り定めてはどうか。

### (1) 外部機関について

#### ① 先進医療会議（先進医療技術審査部会を含む。）と外部機関の関係について

(ア) 平成23年5月18日の中医協「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」においては、「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するとされていること」とされていることから、当該条件を満たす医療機関に先進医療技術審査部会の業務を外部委託するという形式で実施する。

(イ) 外部委託を受けた機関は、下記の領域の専門家を含む専門家を参集し、評価委員会を設置することとする。

i 各臓器のがん臨床の専門家

ii 生物統計家・臨床評価の専門家

iii 生命倫理の専門家

(ウ) 外部委託を受けた機関内に評価委員会の事務局を設置することとする。

(エ) 評価委員会の開催要綱等については、先進医療技術審査部会に準じることとする。

#### ② 外部機関における技術的評価の質の担保について

(ア) 先進医療技術審査部会の構成員は、上記評価委員会の傍聴等により、上記評価委員会における技術的評価のあり方について確認を行うとともに、必要に応じて外部機関に助言等を行い、外部機関における技術的評価の質を担保することとする。

#### ③ 外部機関の体制及び利益相反について

(ア) 外部機関は、「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」であり、がん領域の研究・開発に対して重要な役割を担っていることが想定されるため、「医療上の必要性の高い抗がん剤」を用いる先進医療を申請することが可能であることとする。

(イ) 外部機関の評価体制については、下記の要件を満たすこととする。

**i 事務局の設置について**

- ・ 先進医療の技術的評価を行う評価委員会の事務局を行う部署は、抗がん剤の臨床や研究開発を行う部署とは別な部署とし、異なる責任者を置いていること。

**ii 評価委員会の構成員について**

- ・ 構成員については、厚生労働省が指名すること。
- ・ 外部機関に所属する者は若干名とすること。

**iii 外部機関自らが申請した医療技術の評価について**

- ・ 外部機関が申請した医療技術の技術的評価を行う際は、当該外部機関に所属する評価委員会の構成員は評価に加わらないこと。

(2) 外部機関による評価の対象となる抗がん剤について

①前提

(ア) 平成 23 年 5 月 18 日の中医協「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」においては、下記の通り定められている。

- i 「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。
- ii 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。

(イ) 新薬創出・適応外薬解消等促進加算（以下、「新薬創出等加算」という。）の要件として、開発要請を受けた企業は、開発要請後 1 年以内に治験を開始することとされている。

- (ウ) 公募を行い、企業が開発の意思を申し出る場合は概ね1年以内に申し出が行われている。

## ② 考え方

- (ア) 下記の条件を満たす場合に、医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部機関における技術的評価の対象とする。
  - i 企業に対する開発要請後、1年を経過しても治験に着手されなかった未承認薬または適応外薬  
(適応外薬については、新薬創出等加算の適用の有無を問わない)
  - ii 開発企業の公募後、1年を経過しても開発の申し出がない未承認薬
  
- (イ) 開発要請又は公募から1年を経過した場合、先進医療の対象として告示するための手続きを速やかに進めるものとする。

## (3) 実施医療機関群の要件について

### ① 前提

平成23年5月18日の中医協「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」においては、下記の通り定められている。

- (ア) 先進医療会議において、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する。(医療機関群)
- (イ) 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
- (ウ) 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

### ② 考え方

- (ア) 先進医療会議において、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する際は、施設属性に沿って以下の取り扱いとする。
  - i 臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点 … 質の高い臨床研究等を実施する体制や科学性、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、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等の整備を行っていることから、原則として、全ての技術を実施可能とする。

ii 特定機能病院 … 施設の実情に応じて、技術ごとに先進医療の実施の可否を先進医療会議において検討する。

iii 都道府県がん診療連携拠点病院 … 施設の実情に応じて、技術（適応外薬を用いるものに限る）ごとに先進医療の実施の可否を先進医療会議において検討する。

(イ) 先進医療としての実施が認められた後は、従前と同様の取り扱いとして、協力医療機関の追加の可否を先進医療技術審査部会において検討する。

### 3. 今後の進め方について

(1) 「医療上の必要性の高い抗がん剤」を用いる先進医療の外部機関における評価について

上記2.(2)の「医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部機関における技術的評価に関する基本的考え方」に沿って先進医療会議において、具体的な運用方法について検討し、結果を中医協総会に報告し、了承を得ることとする。

(2) 再生医療、医療機器等の先進医療の申請に係る専門評価体制について

再生医療、医療機器等については、専門評価体制を創設し、評価の迅速化・効率化を図ることとされていることから、今後、薬事法改正や再生医療の安全性の確保に関する法律案の国会審議状況等を踏まえ、その具体的なあり方を検討していくこととする。



#### 4. 「外部機関による評価の対象となる抗がん剤」に係る今後の考え方について

引き続き、抗がん剤への迅速なアクセスを求める声が強いことや「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、患者や学会等から抗がん分野（小児がんを含む。）に係る多くの要望があることを踏まえ、「外部機関による評価の対象となる抗がん剤」について、今後、下記のように取り扱うことをどのように考えるか。

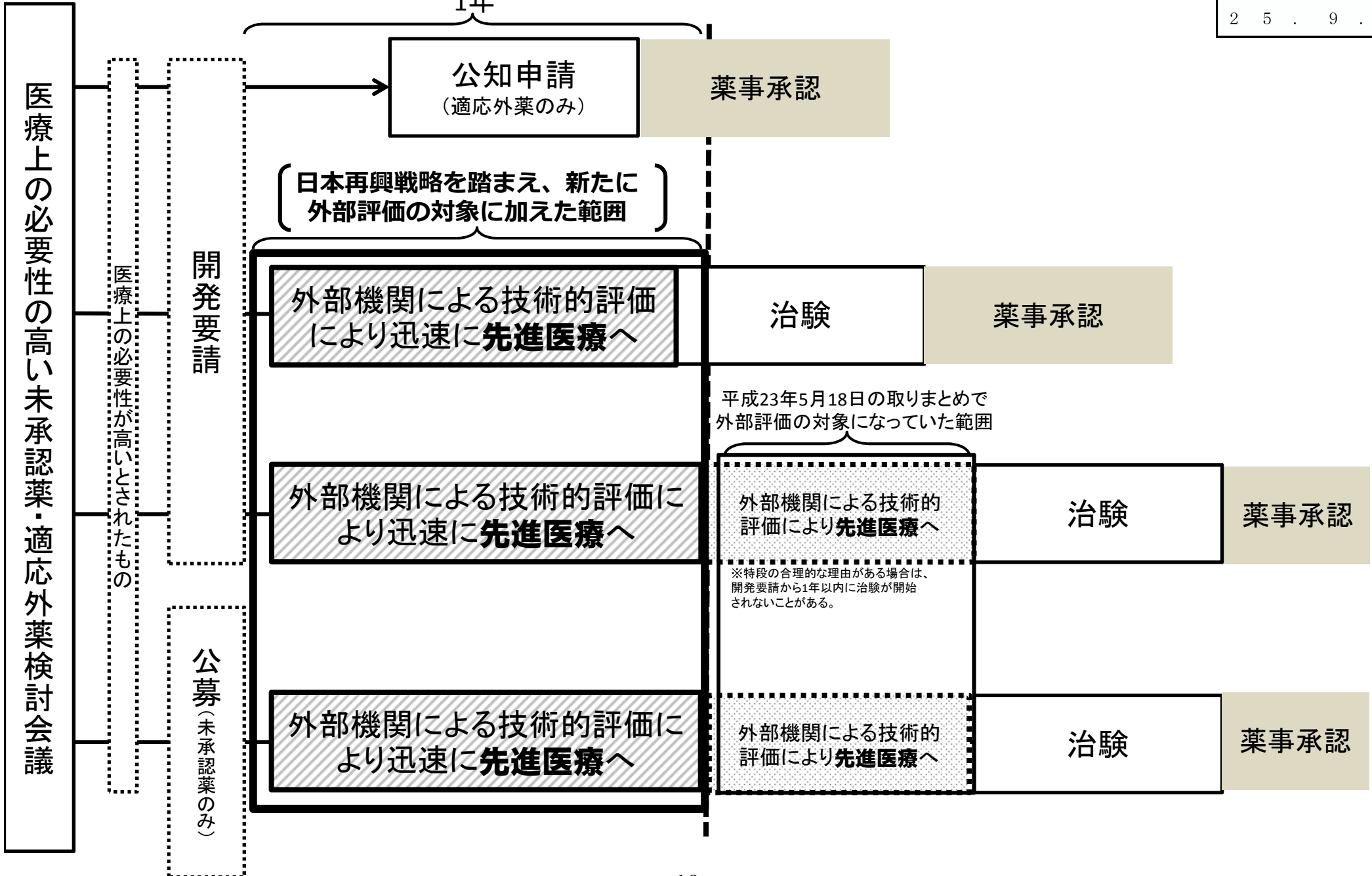
##### 対応の方向性

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が高いとされた抗がん剤は、速やかに先進医療の外部評価の対象とする。

（「企業に対する開発要請後 1 年を経過しても、特段の合理的理由無く治験に着手されなかった際は、新薬創出等加算を適応しない」等、これら従来の新薬創出等加算の取り扱いを変更するものではない。）

# 医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部評価の対象について

中医協 総-2-2 (改)  
2 5 . 9 . 4



## 先進医療の外部評価の対象となる「医療上の必要性が高い抗がん剤」 について

- 現時点では、「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、医療上の必要性が高いとされた抗がん剤であって、治験の実施又は薬事承認に係る公知申請がなされていないものは、下記の通りであるため、これらについて、先進医療の外部評価が可能であるか等について検討を行う。

### 検討の対象となる抗がん剤（一覧）

成分名	開発内容 (対象疾患等)	未承認/ 適応外の 別	外部評価の可 否に関する 事務局案	実施医療機関に関する 事務局案
ドキシソルビシン塩酸 塩リポソーム注射剤	多発性骨髄腫	適応外	外部評価可能	<ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床研究中核病院(全て)</li> <li>・早期・探索的臨床試験拠点(全て)</li> <li>・特定機能病院(全て)</li> <li>・都道府県がん診療連携拠点病院(全て)</li> </ul>
3-ヨードベンジルグ アニジン(131I)	神経芽腫	未承認	外部評価可能	<ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床研究中核病院(全て)</li> <li>・早期・探索的臨床試験拠点(全て)</li> <li>・特定機能病院(全て)</li> </ul>
3-ヨードベンジルグ アニジン(131I)	褐色細胞腫	未承認	外部評価可能	<ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床研究中核病院(全て)</li> <li>・早期・探索的臨床試験拠点(全て)</li> <li>・特定機能病院(全て)</li> </ul>
3-ヨードベンジルグ アニジン(131I)	甲状腺髄様癌	未承認	外部評価可能	<ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床研究中核病院(全て)</li> <li>・早期・探索的臨床試験拠点(全て)</li> <li>・特定機能病院(全て)</li> </ul>