

最先端医療迅速評価制度に係る 先進医療の外部評価の対象となる抗がん剤について

1. 背景

- 「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に係る専門評価体制（先進医療評価委員会）を創設し、平成 25 年 11 月 29 日から運用を開始している。
- さらに、医療機器や再生医療についても、専門評価体制を平成 26 年度内に、運用開始することとしている。

2. 現状

- 平成 26 年度において、医療上の必要性の高いとされた抗がん剤の外部評価機関における評価等業務は、国立がん研究センターに委託を行っていた。
（委託内容）
 - ・ 医療上の必要性の高いとされた抗がん剤の外部評価機関の設置
 - ・ 先進医療申請に係る事前相談の実施
 - ・ 先進医療評価委員会の運営 など
- 現在、先進医療の外部評価の対象となる医療上の必要性の高いとされた抗がん剤は以下の 3 薬剤 5 案件のみ。

① 25 年 11 月 14 日先進医療会議において、外部評価の対象とすることを承認

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"> ・ 臨床研究中核病院（全て） ・ 早期・探索的臨床試験拠点（全て） ・ 特定機能病院（全て） ・ 都道府県がん診療連携拠点病院（全て）
3-ヨードベンジルグアニジン(1311)	神経芽腫	未承認	外部評価可能	<ul style="list-style-type: none"> ・ 臨床研究中核病院（全て） ・ 早期・探索的臨床試験拠点（全て） ・ 特定機能病院（全て）
3-ヨードベンジルグアニジン(1311)	褐色細胞腫	未承認	外部評価可能	<ul style="list-style-type: none"> ・ 臨床研究中核病院（全て） ・ 早期・探索的臨床試験拠点（全て）

				・ 特定機能病院（全て）
3-ヨードベンジルグアニジン(1311)	甲状腺髄様癌	未承認	外部評価可能	・ 臨床研究中核病院（全て） ・ 早期・探索的臨床試験拠点（全て） ・ 特定機能病院（全て）

②26年12月4日先進医療会議において、外部評価の対象とすることを承認

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
パクリタキセル	胃癌 (1週間間隔投与の用法・用量の追加)	適応外	外部評価可能	・ 臨床研究中核病院（全て） ・ 早期・探索的臨床試験拠点（全て） ・ 特定機能病院（全て） ・ 都道府県がん診療連携拠点病院（全て）

○ これまで、外部評価機関においては、

- ① 先進医療の実施に係る申請医療機関等との調整
- ② 先進医療の有効性・安全性等を審査する先進医療評価委員会の開催等
- ③ 米国か欧州で承認され、日本国内で薬事法上未承認・適応外である抗がん剤の調査

などを実施していたところであるが、この制度により先進医療として実施可能となった医療技術は、現在のところ0件である。

- なお、平成26年11月6日に開催された第24回先進医療会議においても、構成員より「『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ることに一定の難しさがあるのではないか」との意見があったところ。

3. 今後の対応等（案）

- そもそも、本制度においては、抗がん剤を用いた医療技術を先進医療として迅速に評価を行うことを目指しているが、この際、評価の迅速化を担保する目的から、「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ることと、一定程度の安全性が担保される医療機関からの申請を条件としているところ。
- 今後、一定の安全性を担保しつつ、抗がん剤を用いた医療技術を先進医療として迅速に評価を行う取組をさらに進める目的から、先進医療評価委員会において評価の対象

とする技術（先進医療の外部評価の対象となる抗がん剤）を「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を使用する技術に加え、抗がん剤の適応外使用を伴う技術についても、先進医療の迅速評価に必要なエビデンスを一定程度有していると考えられることから、先進医療評価委員会で審査できることとしてはどうか。

- なお、「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、これらの従来の新薬創出等加算の取扱いを変更するものではない。
- 上記の考え方に沿って、先進医療評価委員会において審査の対象とすることが可能かどうかについては、申請が行われた段階で先進医療会議において確認することとしてはどうか。
- なお、申請可能な医療機関については、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において評価されていない抗がん剤を扱うことを踏まえ、予算事業対象病院等（※）及び特定機能病院とすることとしてはどうか。

（※）早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究品質確保体制整備病院及び臨床研究中核病院

	現行	新たに追加（案）
対象技術	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を用いる技術	抗がん剤の適応外使用を伴う技術
先進医療会議の関与	医療上の必要性が高いとされたら速やかに先進医療会議としての適格性を検討し、公表	申請が行われた段階で、外部評価の対象としてよいかを検討
申請可能な医療機関	<p>【未承認】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 予算事業対象病院等 ・ 特定機能病院 <p>【適応外】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 予算事業対象病院等 ・ 特定機能病院 ・ 都道府県がん診療連携拠点病院 	<ul style="list-style-type: none"> ・ 予算事業対象病院等 ・ 特定機能病院