

未承認医療機器等を使用する技術及び医療機器等を  
適応外使用する技術の取扱いについて（案）

薬事法上未承認である医療機器又は医薬品を使用する医療技術（以下「未承認医療機器等を使用する技術」という。）及び薬事法上承認を受けた医療機器又は医薬品について承認を受けた適応以外に使用する医療技術（以下「医療機器等を適応外使用する技術」という。）については、先進医療技術として以下のように取り扱うこととする。

1 原則

先進医療は将来的に保険導入を検討する医療であることから、使用される医療機器又は医薬品はその有効性、安全性等が確立していることが必要であり、薬事法上の承認を受けており、かつ承認を受けた適応に沿って使用することを原則とする。

2 未承認医療機器等を使用する技術について

「1」の観点から、未承認医療機器等を使用する医療技術については、臨床試験（治験）等の実施により薬事法上の承認を受けることが優先されることから、先進医療の対象とはしないこととする。

3 医療機器等を適応外使用する技術について

- (1) 薬事法上承認を受けた医療機器について、適応以外に使用する医療技術については、薬事法上の承認（適応拡大）を受ける、あるいはその承認に向けての治験を促すことが基本となる。
- (2) (1)に加え、医薬品の適応外使用の取扱いの分野では、「適応外使用に係る医療用医薬品の取扱いについて（平成11年2月1日厚生省健康政策局研究開発振興課長、厚生省医薬安全局審査管理課長通知）」（別添）において、薬事法における対応が定められおり、医療機器の適応外使用についても、医療機器業界において要望を取りまとめている最中であることから、本結果を踏まえ、今後の対応について検討することとする。

研 第 4号  
医薬審第 104号  
平成11年2月1日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生省健康政策局研究開発振興課長

厚生省医薬安全局審査管理課長

#### 適応外使用に係る医療用医薬品の取扱いについて

薬事法による製造又は輸入の承認を受けている医薬品であって、当該医薬品が承認を受けている効能若しくは効果以外の効能若しくは効果を目的とした又は承認を受けている用法若しくは用量以外の用法若しくは用量を用いた医療における使用（以下「適応外使用」という。）が行われているものについては、最近の厚生科学研究においてその科学的根拠の評価が実施されているところである。

これら適応外使用に係る医療用医薬品であって当該適応外使用に十分な科学的根拠のあるものについて、医療の中でより適切に使用されるためには、当該適応外使用に係る効能若しくは効果又は用法若しくは用量（以下「効能又は効果等」という。）について薬事法による製造又は輸入の承認を受けるべきであることなどから、貴管下関係業者に対し下記のとおり指導方御配慮願いたい。

#### 記

- 1 医療用医薬品について、承認された効能又は効果等以外の効能又は効果等による使用について関係学会等から要望がありその使用が医療上必要と認められ、健康政策局研究開発振興課より当該効能又は効果等の追加等について検討するよう要請があった場合には、臨床試験等の実施及びその試験成績等に基づく必要な効能又は効果等の承認事項一部変更承認申請を考慮すること。
- 2 次に掲げる場合であって、臨床試験の全部又は一部を新たに実施することなく、当該資料により適応外使用に係る効能又は効果等が医学薬学上公知で

あると認められる場合には、それらを基に当該効能又は効果等の承認の可否の判断が可能であることがあるので、事前に医薬安全局審査管理課に相談されたいこと。

- (1) 外国（本邦と同等の水準にあると認められる承認の制度又はこれに相当する制度を有している国（例えば、米国）をいう。以下同じ。）において、既に当該効能又は効果等により承認され、医療における相当の使用実績があり、その審査当局に対する承認申請に添付されている資料が入手できる場合
- (2) 外国において、既に当該効能又は効果等により承認され、医療における相当の使用実績があり、国際的に信頼できる学術雑誌に掲載された科学的根拠となり得る論文又は国際機関で評価された総説等がある場合
- (3) 公的な研究事業の委託研究等により実施されるなどその実施に係る倫理性、科学性及び信頼性が確認し得る臨床試験の試験成績がある場合