

「有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会ヒアリング意見書」

1 団体の名称 EMBOFORUM(エンボフォーラム)

2 代表者の氏名 栗原晶子

3 団体の概要

(1) 目的：子宮筋腫の動脈塞栓術(UAE)について自由に話し合うフォーラム。

UAEに関心があり、子宮筋腫治療の選択肢の一つとして考えている方に情報提供すると共に、実際に治療を受けられた方の体験などを通して、この治療法に対する理解を深めることを目的。

(2) 組織構成：Web上2000年に開設した組織（<http://www3.ocn.ne.jp/~embo/index.html>）で、目的に賛同される方の自由参加。

2006年11月現在、参加者は約825名。

うち'02年UAE体験者は約250名、放射線科医・産婦人科医も30名参加。

(3) 事業又は活動の内容：メールによる情報交換等を実施。また、各地でオフ会を開催（2001年5回、'02年9回、'03年4回、'04年3回、'05年2回、'06年1回を実施）

4 承認審査のあり方や実施体制、安全対策等に係る事項等に関する意見内容

(1) 問題の概要

医療用医薬品は、医療の現場では薬事法上の適応外でいろいろな有用な使い方が為されていますが、製薬企業にはそれらを治験し、適応拡大するインセンティブがないものがあります。

適応外の医薬品であっても、保険診療の場合は、「効能効果等を機械的に適用することのないよう」指導されています（昭和55年保険局長通知）が、保険診療でない場合は、自由診療となつて、患者が多額の負担をしているのみならず、実施する医師や医療機関の要件等もないため、患者は、限られた不確かな情報の下で選択することが余儀なくされています。

昨年からは開始された先進医療は、自由診療等で実施されている新しい医療技術について、いわゆる混合診療として認めるものです。一部保険適用が認められ、また、実施する医師や医療機関の要件を定めるもので、患者として、大いに期待していました。

しかし、昨年9月から今年5月までに専門家の会議で検討された31件のうち、薬事法上の未承認が5件（医薬品3件・医療機器2件）、適応外使用が7件（医薬品4件・医療機器3件）で計12件（38.7%）が、先進医療の対象外とされました。また、この例からも、未承認より適応外使用のケースが多いことも注目されます。

貴検討会では、新薬だけでなく、適応外使用も対象としてご検討頂くことをお願いします。そして、このような薬剤をどういう枠組みにして、迅速に医療の場で使用し、保険適用とするか、という観点から、「適応外使用に係る医療用医薬品の取扱いについて」

を中心にして、制度の見直しを提案いたします。

(2) 「適応外使用に係る医療用医薬品の取扱いについて」の問題点

適応外使用の薬剤については、「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日付け厚生省健康政策局研究開発振興課長・医薬安全局審査管理課長の連名通知。いわゆる2課長通知)で取り扱われています。

しかし、この通知の方法では、いくら病院側が臨床的に安全なデータをそろえても製薬会社が乗り出してくれなければ、その薬剤が保険収載される道は閉ざされてしまいます。それらの多くの薬剤は安い薬、治験に要する莫大な費用と時間等を比較して、製薬会社は治験をしてはくれません。

また、2課長通知にのっとりながらも、そこには様々な問題点が存在します。

ここでその問題点を、現在UAEで使用されており、今年5月、適応外使用ということで先進医療申請が拒絶された「スポンゼル」の血管内投与を例として別紙参考資料に挙げます。

(3) 適応外使用医薬品の取扱いについての改善案

- ① 参考資料の例からも判明するように、安価なことから製薬会社の治験協力が得られない薬剤、外国に例がなく、日本独自の開発使用の薬剤、医師の自主的な臨床試験の薬剤であって、適応外使用されているものに関しては、2課長通知では対応できません。

そこで、一定の要件の下で、これらを使用する医療は先進医療の対象とする一方、これらの臨床試験は治験に準ずるものとして取り扱う改善案を提案します。

- ② 「一定の要件」は、それぞれの薬剤及びこれを使用する医療によって、医師、医療機関の要件を異にするので、個別に専門家の会議(公開)で決める。その際、先進医療の要件と臨床試験の要件は整合性をとる。

また、両者に共通する要件として、医師からの使用薬剤や医療の内容・リスク等の説明、患者の同意、先進医療承認後の全例実績報告、有害事象報告は必須の要件とする。

合併症等の問題が生じた場合は再審査し、必要な改善策を取る。場合によっては中止措置を取る等の安全対策を徹底する。

- ③ 必要な実績が集積された段階で、当該医薬品の効能効果等の見直しとこれを使用する医療の保険収載について、検討対象とする。

この場合、どの程度の実績の集積が必要かは、治験との関係を考慮して定める。その際、全体数は何例必要で、何%の安全、有効な治療成績で保険収載となるか、何%の重篤な合併症で危険と判断するかなどを明確にする。