

高度医療評価制度の対象となる医療技術について

～第8回高度医療評価会議での議論を踏まえて～

1. 背景

- 今回申請のあったペプチドワクチン療法については、国内外の承認の全くない医薬品である点で、これまで高度医療評価制度の中です承された申請とは、有効性・安全性を判断すべきバックグラウンドが異なる。

(参 考)

承認又は認証状況		安全性・有効性における留意点	高度医療の承認実績
国内	海外		
適応外	○	当該適応に関し、海外において有効性及び安全性について評価が定まっている。	あり
	×	別の適応もしくは海外で、有効性及び安全性について評価が定まっている。	あり
未承認	○		
	×	国内外を問わず、有効性及び安全性についての評価が定まっていない。	なし

- 高度医療評価制度において、必ずしもこうした未承認医薬品・医療機器を用いる技術を一律に排除しているものではないが、とくに有効性・安全性の点でより慎重な評価が必要ではないか、との考え方から、第8回高度医療評価会議にて意見交換が行われた。

2. 第8回高度医療評価会議での主な意見（議事録より）

- それなりに体制整備がされているところでやっていただくとか、あるいは体制整備がされているところと組んでやっていただくとか、ノウハウがきちんと蓄積されているところとうまく連携しながらやっていくことが最低限必要。
- ある程度各施設で GCP に準拠した形で 2、3 例でも検討して、安全性や

効果を見た上で、ここへ出してもらえばありがたい。きちんとした施設で、しっかりと検討をしていただいで出してきていただくと、高度医療評価制度としてはやりやすいのではないかと。

○ 「この技術を何人かにやって安全だった。効果ははっきりしないが、副作用はなかった」、これだけで技術評価しろというのは無理。やはり、もっと細かい形、1例1例がどのように使われて、どのような症例でどうだったかということを見て初めて技術評価できる。

○ 試験製品の概要書、非臨床試験のデータ、先行する事例の臨床データも国内で実施されている情報をできるだけ収集していただいで、それらをきちんと取りまとめていただいで必要がある。

○ 臨床試験が成り立つためには、有効性が評価できる、そして安全性が担保できないといけない。試験製品の概要書の情報に基づいて、適切な臨床試験のデザイン、計画書ができることであると思っています。ここにいろいろな知恵を出さないといけない部分があつて、この部分について、関係者が集つて、知恵を出し合つて、(安全性・有効性が)担保されるのであれば、高度医療で認めていく1つの条件にはなる。

○ 高度医療制度の最終的な目的は、高度医療と称されるものがどのようなものであるかという結論を出すこと。高度医療評価会議で高度医療をこれだけ行つたが有用であつたとか、有用でないとか、やはり評価をする必要がある。

○ 評価できないような形でだらだらとやりたくないということ。そこさえ押さえれば、他の治療法が提示できないようなものに対して(高度医療評価制度を)使つてもいいのではないかと。

○ 本当に大切な技術だがそれほどたくさんできない技術は企業も乗らないので、そういったときに高度医療として受けてやつていくかどうかを十分に議論していく。本当に大切な技術であつて、安全性も大丈夫だということであれば、高度医療としてやつていくのは可能ではないかと。

○ 我が国がサポートしてある程度の研究成果が出たものの薬事承認されていないものについては、適切な形できちんとゴールを規定して、高度医療評価制度で評価してもいいのではないかと。