

|                   |     |
|-------------------|-----|
| 第 28 回高度医療評価会議    | 資料4 |
| 平成 23 年 12 月 21 日 |     |

## 先進医療制度・高度医療制度の見直しについて（案）

### 1. 問題の所在

- これまで、先進医療専門家会議等において、
  - ・ 第 2 項先進医療技術の中で、特に有効性の評価が確立していない段階の技術については評価体制を充実すべき（適切な実績評価を行うための手順の明確化や高度医療のような施設個別承認制の導入等）
  - ・ 先進医療として保険併用が認められた技術についても、一定期間の実績に基づく評価を徹底すべき（漫然と保険併用を継続するべきでない）
  - ・ 第 3 項先進医療（高度医療）技術の審査における先進医療専門家会及び高度医療評価会議の連携を強化すべき（役割分担の明確化）などについて、問題提起がなされたところ。
  
- また、新成長戦略（平成 22 年 6 月 18 日閣議決定。別紙 1）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。別紙 2）においても、先進医療に対する規制緩和を図り、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、具体的には、
  - ① 現在の先進医療制度よりも手続きが柔軟かつ迅速な新たな仕組みを検討
  - ② 一定の施設要件を満たす医療機関において実施する場合には、その安全性・有効性の評価を厚生労働省の外部の機関において行うこととされている。

### 2. 中医協におけるこれまでの検討状況

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 回にわたり検討を重ね、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（案）（先進医療制度の手続、評価、運用の見直し）」（別紙 3）として報告され、了承されたところ。

具体的には、

- ① 現行の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効率化、重点化を図ることを目的として、両会議における審査を一つの会議において行うこととする。
  
- ② 医療上の必要性の高い抗がん剤に関する先進医療の実施について、当該実施計画書の審査については、先進医療会議（仮称）が適当と認めた場合には、

|                   |     |
|-------------------|-----|
| 第 28 回高度医療評価会議    | 資料4 |
| 平成 23 年 12 月 21 日 |     |

一定の要件を満たす機関（がん治療に高度の知見を有し、実施期間の申請及び実施段階での監査を行う機能を有する期間）に委託できることとし、当該審査の結果を踏まえて先進医療会議（仮称）において適否を判断することが出来ることとする。

- ③ 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、国内において数例の実績がない場合であっても、申請された個々の技術や医療機関の特性に応じて、先進医療の実施を認めることとする。

### 3. 今後の対応案（別紙4）

以上の中医協での検討結果を踏まえ、平成 24 年度より、以下のとおりとはどうか。

- 現行の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統合

- ・ 審査体制について

今回の統合により、現行の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を先進医療会議（仮称）で行うこととする。ただし、実施計画等を厳格に審査する必要のある技術については、先進医療技術審査部会（仮称）を設置し審査することとする。

これにより、有効性・安全性の重複審査等の問題の解決が期待される。また、本会議及び部会の開催日程を予め決めておくことにより、本会議の審査から部会の審査へのスムーズな移行が期待される。

- ・ 申請書及び申請窓口について

申請書の様式を統一し、申請窓口となる事務局についても統一することとする。

これにより、申請誤りによる返戻がなくなり、申請書を最初から作成し直すという医療機関の手間が省くことができることが期待される。

なお、「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の高い抗がん剤とされた薬剤に関する先進医療の実施については、技術の安全性等の確認方法、実施可能な医療機関の要件、プロトコール審査が可能な外部機関の選定要件などを、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の第2回開発要望（平成 23 年 9 月 30 日締め切り）の検討状況も踏まえながら、今後検討。

また、先進医療の申請に必要な国内での数例の実績の効率化等についても、臨床研究中核病院（仮称）等の制度化に向けた検討状況等も踏まえながら、今後検討。

以上

## 「新成長戦略」(抜粋)

(平成22年6月18日閣議決定)

### ・ライフ・イノベーションにおける国家戦略プロジェクト

今後、飛躍的な成長が望まれる医薬品・医療機器・再生医療等のライフサイエンス分野において、我が国の技術力・創造力を発揮できる仕組みづくりに重点に置いたプロジェクトに取り組む。また、医療分野での日本の「安心」技術を世界に発信し、提供する。

#### 4. 医療の実用化促進のための医療機関の選定制度等

がんや認知症などの重点疾患ごとに、専門的医療機関を中心としたコンソーシアムを形成し、研究費や人材を重点的に投入するほか、先進医療に対する規制緩和を図ることにより、国民を守る新医療の実用化を促進する。

また、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・確認手続を簡素化する。

これにより、必要な患者に対し世界標準の国内未承認又は適応外の医薬品・医療機器を保険外併用にて提供することで、難治療疾患と闘う患者により多くの治療の選択肢を提供し、そのような患者にとってのドラッグ・ラグ、デバイス・ラグを解消する。

新たな医薬品・医療機器の創出、再生医療市場の顕在化などにより、2020年までに年間約7,000億円の経済効果が期待される。

## 「規制・制度改革に係る対処方針」(抜粋)

(平成22年6月18日閣議決定)

### ・各分野における規制改革事項・対処方針

#### 2. ライフイノベーション

|        |   |
|--------|---|
| 規制改革事項 | 保険外併用療養の拡大  |
| 対処方針   | <p>・現在の先進医療制度よりも手続が柔軟かつ迅速な新たな仕組みを検討し、結論を得る。具体的には、例えば、再生医療等を含めた先進的な医療や、我が国では未承認又は適応外の医薬品を用いるものの海外では標準的治療として認められている療法、或いは、他に代替治療の存在しない重篤な患者に対する治験中又は臨床研究中の療法の一部について、一定の施設要件を満たす医療機関において実施する場合には、その安全性・有効性の評価を厚生労働省の外部の機関において行うこと等について検討する。 &lt;平成22年度中に結論&gt;</p> |

## 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(案)

## (先進医療制度の手続、評価、運用の見直し)

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、その運用の見直しを以下のとおり行うこととする。

## 1. 医療上の必要性の高い抗がん剤に関する先進医療の実施について

「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。

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(仮称)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。(中医協へ報告)

また、先進医療会議(仮称)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し(医療機関群)、これに該当する医療機関については、実施計画書を審査することにより、実施可能とする。(中医協へ報告)

- ・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
- ・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
- ・当該実施計画書の審査については、先進医療会議(仮称)が適当と認めた場合には、一定の要件を満たす機関(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)に委託できるとし、当該審査の結果を踏まえて先進医療会議(仮称)において適否を判断することができることとする。

実施医療機関において、当該先進医療のデータの質を確保することにより、薬事承認の一定の効率化を図ることとする。

なお、データの質の確保のためには、一定の要件を満たすような臨床試験が実施される必要があり、具体的な要件については、今後関係部局と調整することとする。

次回の未承認薬等検討会議における要望募集が夏に行われる予定であるため、医療上の必要性の議論の結果や、企業による開発状況等に応じて適宜実施する。

## 2．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

現在、先進医療の対象技術の申請においては、国内において数例の実績があることが求められているが、これを満たさない場合であっても、申請された個々の技術や医療機関の特性に応じて、先進医療の実施を認めることとする。

この場合には、申請書における実績の記載に替えて、当該技術を有効かつ安全に実施することができる旨の記載を行うこととし、先進医療会議（仮称）において、この適否を判断する。

- ・安全性等の確認において必要な項目の例・・・臨床研究中核病院等であること、  
治験が適切に実施できる体制が整備されていること等

この申請方法により先進医療を実施することができる医療機関としては、特に臨床研究中核病院等の高度な臨床研究を、安全かつ有効に行うことができる機関とするよう適切に審査を行う。

当該スキームを認めるに当たっては、分野ごとに以下の取扱いとする。

- ・適応外薬、未承認薬

新薬の創出、実用化等の促進の観点等を踏まえて、審査を行うこと。また、1の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先進医療に係るものについても個別にこの取扱いの適用を検討すること。

- ・上記以外の医療技術

対象となる医療技術の医療上の必要性や、実施機関が、臨床研究中核病院等の安全かつ有効に当該技術を実施することができる医療機関であること等について慎重な審査を行うこと。なお、医療機器については、製品の改良・改善が継続される特性を踏まえ、医療上のニーズが高い分野が特定され、医療上の必要性の高い機器が選定される仕組みを整備した上で、この取扱いを適用する。

### 3．現行の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

現行の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効率化、重点化を図ること、上記1の取扱いを迅速に行うことを目的として、両会議における審査を一つの会議において行うこととする。

新たな会議体（「先進医療会議（仮称）」）においては、以下の項目について審査を行う

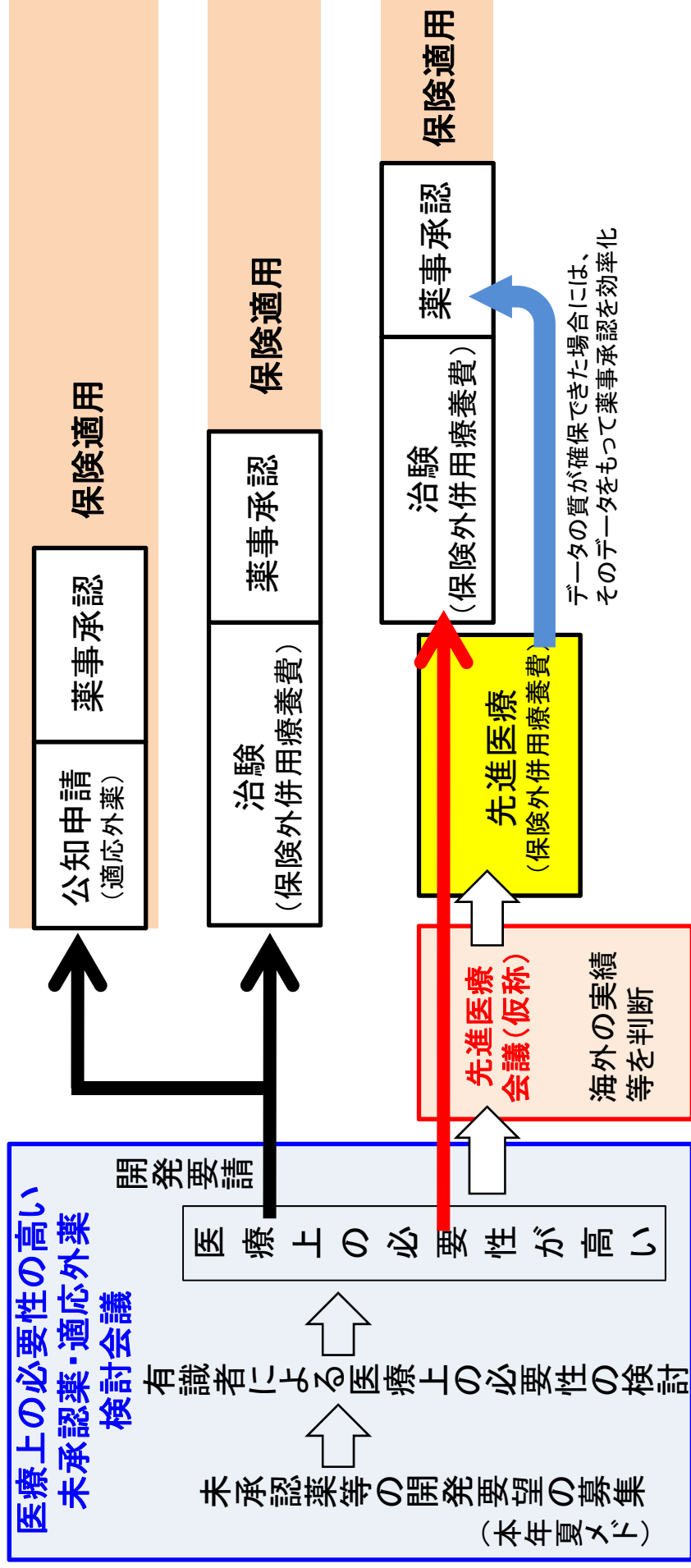
- ・ 個別の医療機関から申請のあった技術（未承認の医薬品、医療機器等を用いたものを含む。）について、倫理性、安全性、有効性、効率性、社会的妥当性、将来の保険導入の必要性等を審査【従来の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議において行っていたもの】
- ・ 当該技術を実施する医療機関について、実施機関の施設要件の設定又は個別の医療機関の実施の可否を審査。【従来の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議において行っていたもの】
- ・ 上記1のスキームにおいて、未承認薬等検討会議において医療上の必要性が高いとされた抗がん剤について、海外の実績等に鑑み、先進医療の対象とすることの可否の審査。実施可能な医療機関群の設定。また、当該技術を実施する医療機関の申請による実施計画書の審査。

当該会議は、医療技術に関し専門的学識を有する者、保険診療に精通した者、臨床試験、生物統計に精通した者、医療経済学的な評価に精通した者、法律学の専門家等により構成する。

現行の評価療養の枠組みを変更するものではない。

# 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 (先進医療制度の手続、評価、運用の見直し)

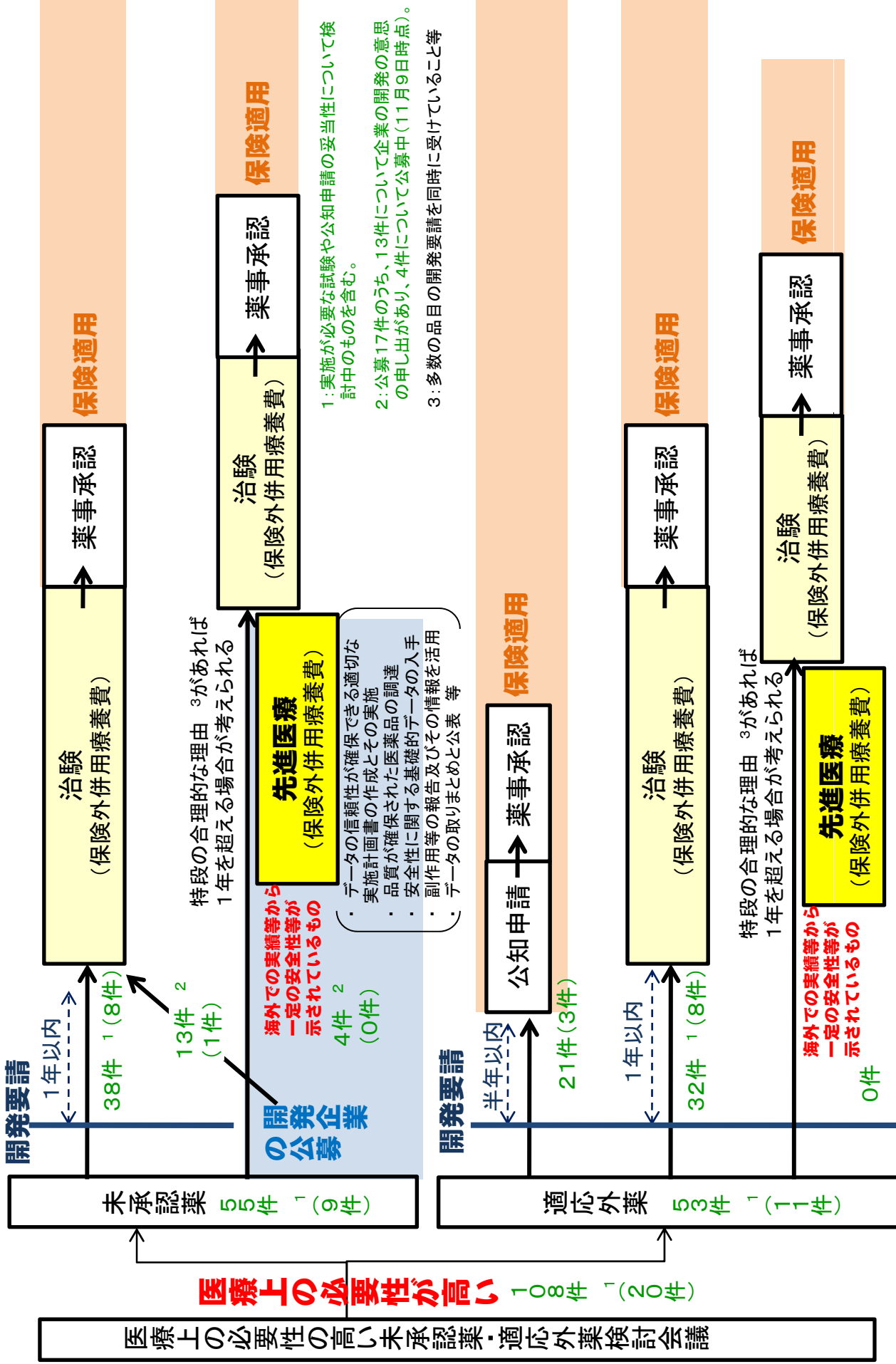
## 1. 医療上の必要性の高い抗がん剤に係る先進医療の実施について



- ① 医療上の必要性が高いとされた抗がん剤について、海外の実績等を判断した上で、あらかじめ先進医療の対象として告示
  - ② 実施可能な医療機関の属性(医療機関群)をあらかじめ特定
  - ③ 医療機関は、実施計画書(プロトコル)審査のみで実施可能(外部機関の審査を活用可能)
- 【①～③は先進医療会議(仮称)で審査し、中医協に報告】



# 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ものに係る先進医療の活用のイメージ



数字は、検討会議に要望として集まったものうち医療上の必要性が高いとされたものとして第1弾として5月に開発要請等したものの。( )内は抗がん剤。年内を目標に第2弾として74件(うち、抗がん剤は22件)を開発要請等予定。

## 現行の第3項先進医療の手続

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ものに係る先進医療の手続（案）

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議  
○医療上の必要性が高い

先進医療会議（仮称）  
○海外の実績等から技術の安全性等を確認  
○実施可能な機関群を設定

## 医療機関の申請

高度医療評価会議  
○実施技術の適否  
○実施機関の適否  
○実施計画書の適否  
安全性、有効性等の観点

先進医療専門家会議  
○実施技術の適否  
将来の保険導入の必要性等の観点

先進医療として実施可能

## 設定された機関群に該当する医療機関の申請

先進医療会議（仮称）  
○実施計画書の適否

外部機関

当該会議が適切と認められた場合には  
審査を外部機関に委託可能

先進医療として実施可能

まずは、抗がん剤から当該運用を適用  
外部機関は、当該分野について高度な知見等を有する機関とする。

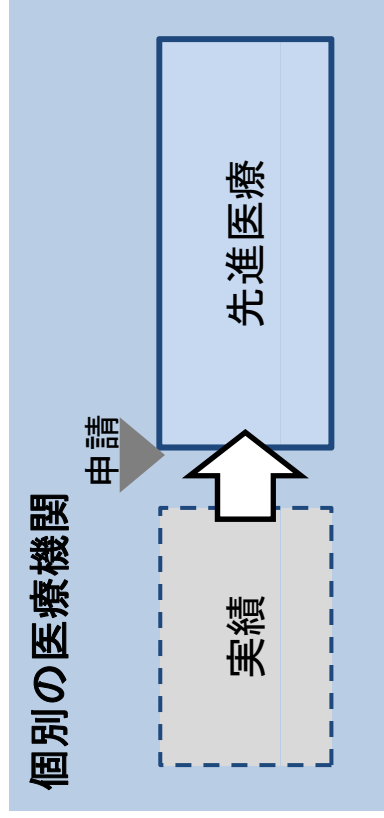
## 2. 先進医療の申請に必要な国内での数例の実績の効率化について

- 先進医療の対象技術の申請においては、数例の実績があることが求められているが、これを満たさない場合であっても、申請された個々の技術や医療機関の特性に応じて、先進医療の実施を認めることとする。
- 申請書における実績の記載に替えて、当該技術を有効かつ安全に実施することができる旨の記載を行うこととする。

【先進医療会議(仮称)で審査し、中医協に報告】

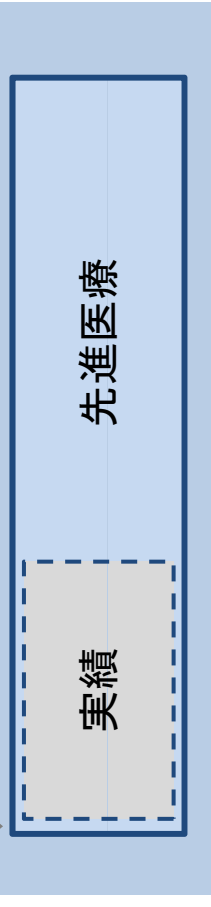
### 【通常の先進医療】

申請に当たっては、国内における実績が必要



### (例) 臨床研究中核病院

申請



### ① 未承認薬、適応外薬

新薬の創出、実用化等の促進の観点を踏まえて、審査を行うこと。また、1の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先進医療に係るものについても個別に当該スキームの適用を検討すること。

### ② 上記以外の技術

対象となる医療技術の医療上の必要性や、実施機関が、臨床研究中核病院等の安全かつ有効に当該技術を実施することができる医療機関であること等について慎重な審査を行うこと。

なお、医療機器については、製品の改良・改善が継続される特性を踏まえ医療上のニーズが高い分野が特定され、医療上の必要性の高い機器が選定される仕組みを整備した上で、この取扱いを適用する。

### 3. 先進医療会議（仮称）の審査体制等について

#### 従来の審査体制

#### 新たな審査体制

① 通常の先進医療に係る審査

② 医療上の必要性の高い抗がん剤に係る先進医療の審査

個別の医療機関からの申請  
未承認薬、適応外薬等の使用を伴わない技術  
(高度医療)  
(第2項先進医療)

**高度医療評価会議**  
① 技術の審査  
安全性、有効性等を審査  
② 実施機関の審査  
個別の実施機関の適否を審査

**先進医療専門家会議**  
① 技術の審査  
倫理性、安全性、有効性、効率性、社会的妥当性、将来の保険導入の必要性等を審査  
② 実施機関の審査  
実施機関の要件を設定

個別の医療機関からの申請  
・未承認薬、適応外薬等の使用を伴う技術  
・未承認薬、適応外薬等の使用を伴わない技術

**先進医療会議（仮称）**  
① 技術の審査  
倫理性、安全性、有効性、効率性、社会的妥当性、将来の保険導入の必要性等を審査  
② 実施機関の審査  
・実施機関の要件を設定  
・実施機関の適否を個別に審査

未承認薬等検討会議  
(医療上の必要性が高いとされた抗がん剤)

**先進医療会議（仮称）**  
① 技術の審査  
海外等の実績から適否を審査  
② 実施機関の審査  
実施可能な医療機関の属性  
(医療機関群)を設定

設定された医療機関群に該当する  
個別の医療機関からの申請

**先進医療会議（仮称）**  
実施計画書(プロトコール)審査

当該会議が適切と認められた場合には  
審査を外部機関に委託可能

新たな会議は、医療技術に関し専門的学識を有する者、保険診療に精通した者、臨床試験、生物統計に精通した者、医療経済学的な評価に精通した者、法律学の専門家等により構成する。

## 高度医療評価会議 構成員名簿

| 氏 名                  | 役 職   |
|----------------------|---|
| いとう すみのぶ<br>伊藤 澄信    | 国立病院機構本部 総合研究センター臨床研究統括部長                   |
| かねこ つよし<br>金子 剛      | 国立成育医療研究センター 形成外科医長                         |
| かわかみ こうじ<br>川上 浩司    | 京都大学大学院医学研究科 薬剤疫学 教授                        |
| さとう ゆういちろう<br>佐藤 雄一郎 | 東京学芸大学教育学部 准教授                              |
| さるた たかお<br>猿田 享男     | 慶應義塾大学 名誉教授                                 |
| しばた たろう<br>柴田 大朗     | 国立がん研究センター がん対策情報センター<br>臨床試験支援部 薬事安全管理室長   |
| せきはら たけお<br>関原 健夫    | CDI メディカル 顧問                                |
| たけうち まさひろ<br>竹内 正弘   | 北里大学薬学部臨床医学（臨床統計学・医薬開発学）教授                  |
| たじま ゆうこ<br>田島 優子     | さわやか法律事務所 弁護士                               |
| ながい りょうぞう<br>永井 良三   | 東京大学大学院医学系研究科循環器内科学 教授                      |
| はなし ゆきとし<br>葉梨 之紀    | 日本医師会 常任理事                                  |
| はやし くにひこ<br>林 邦彦     | 群馬大学 医学部保健学科医療基礎学 教授                        |
| ふじわら やすひろ<br>藤原 康弘   | 国立がん研究センター中央病院 副院長                          |
| ほった ともみつ<br>堀田 知光    | 国立病院機構名古屋医療センター 院長                          |
| むらかみ まさよし<br>村上 雅義   | 先端医療振興財団 専務理事                               |
| やまぐち としはる<br>山口 俊晴   | 癌研究会有明病院 副院長                                |
| やまなか たけはる<br>山中 竹春   | 国立病院機構九州がんセンター 臨床研究センター<br>臨床研究部 腫瘍統計学研究 室長 |
| やまもと はるこ<br>山本 晴子    | 国立循環器病研究センター 先進医療・治験推進部長                    |

座長

座長代理

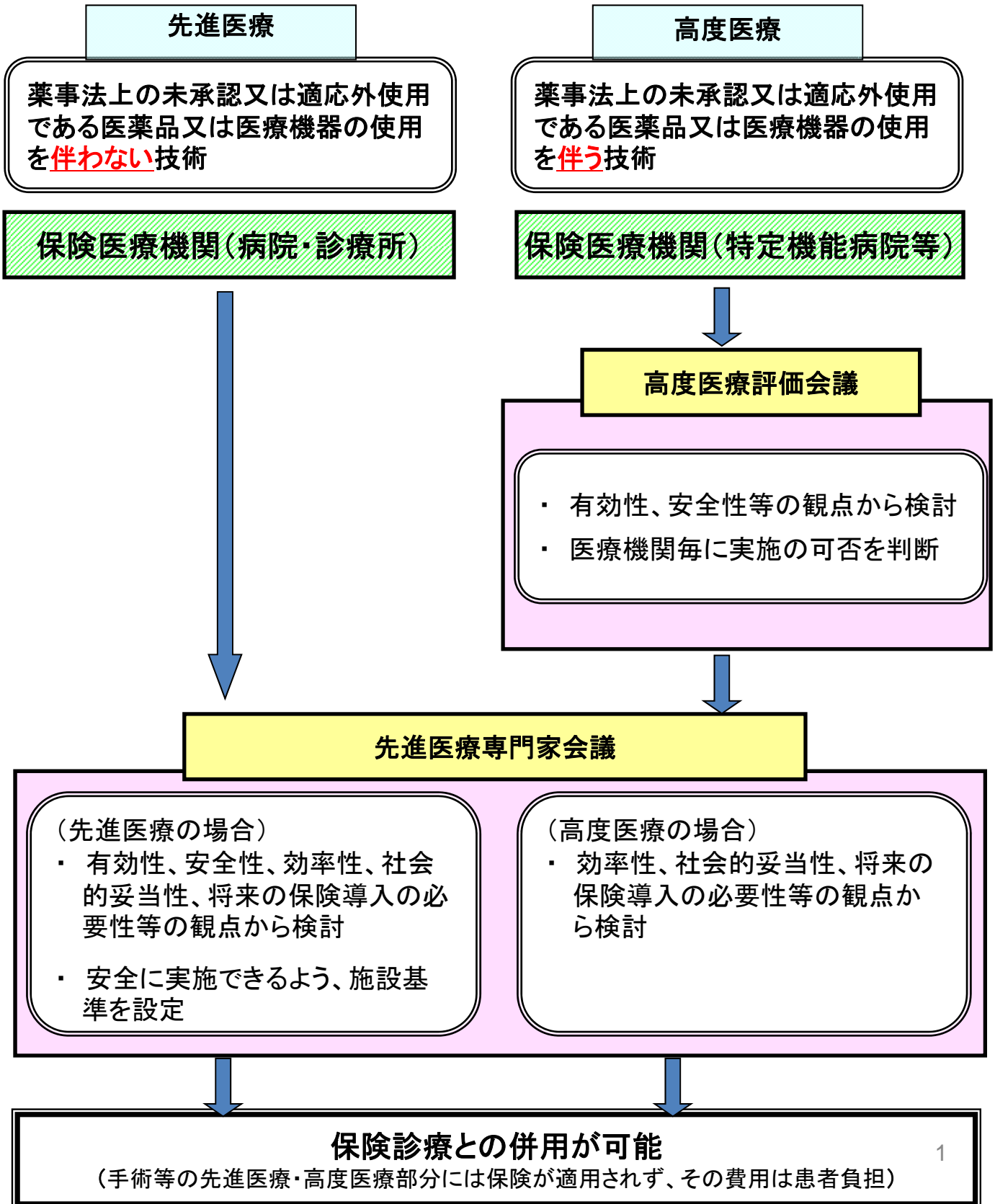
## 先進医療専門家会議構成員

| 氏 名     | 役 職                | 分 野     |
|---------|--------------------|---------|
| 赤川 安正   | 広島大学大学院医歯薬学総合研究科教授 | 歯科      |
| 天野 史郎   | 東京大学教授             | 眼科      |
| 新井 一    | 順天堂大学医学部附属順天堂医院長   | 脳神経外科   |
| 飯島 正文   | 昭和大学教授             | 皮膚科     |
| 加藤 達夫   | 国立成育医療研究センター総長     | 小児科     |
| 金子 剛    | 国立成育医療研究センター医長     | 形成外科    |
| 北村 惣一郎  | 国立循環器病研究センター名誉総長   | 心臓血管外科  |
| 笹子 三津留  | 兵庫医科大学教授           | 消化器科    |
| ◎ 猿田 享男 | 慶應義塾大学名誉教授         | 内科（内分泌） |
| 竹中 洋    | 大阪医科大学長            | 耳鼻咽喉科   |
| 田中 憲一   | 新潟大学教授             | 産婦人科    |
| 田中 良明   | 日本大学客員教授           | 放射線科    |
| 辻 省次    | 東京大学大学院医学系研究科教授    | 神経内科    |
| 戸山 芳昭   | 慶應義塾大学教授           | 整形外科    |
| 中川 俊男   | 新さっぽろ脳神経外科病院理事長・院長 | 治験      |
| 永井 良三   | 東京大学教授             | 循環器内科   |
| 樋口 輝彦   | 国立精神・神経研究センター総長    | 精神科     |
| 福井 次矢   | 聖路加国際病院長           | 医療経済    |
| 松原 和夫   | 旭川医科大学医学部教授        | 薬学      |
| ○ 吉田 英機 | 昭和大学名誉教授           | 泌尿器科    |
| 渡邊 清明   | 国際医療福祉大学教授         | 臨床検査    |

◎ 座長

○ 座長代理

先進医療・高度医療の審査の流れについて



見直し案

先進医療会議(仮称)における審査の流れについて

左記以外の現行の第2項、第3項案件

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

