

3. 医療機器等を適応外使用する技術等の先進医療における取扱いについて

- ・ 先進医療に係る届出等の取扱いについて — P2
- ・ 先進医療専門家会議における科学的評価結果 — P7
- ・ 医療機器等の適応外使用又は医療機器等が未承認であった技術 — P9
- ・ 国内未承認薬の使用について — P11
- ・ 医療機器に関する臨床試験の試験成績のうち外国で実施したものの取扱いについて — P14

(参考)

- ・ 適応外使用に係る医療用医薬品の取扱いについて — P16
- ・ 適応外使用に係る医家向け医療機器の取扱いについて — P31

地方社会保険事務局長 殿

厚生労働省保険局医療課長
(公印省略)

先進医療に係る届出等の取扱いについて

今般、「健康保険法第63条第2項の規定に基づき厚生労働大臣の定める療養の一部を改正する件」(平成17年厚生労働省告示第305号)及び老人保健法第17条第2項の規定に基づき厚生労働大臣の定める療養の一部を改正する件」(平成17年厚生労働省告示第306号)及び「療担規則及び薬担規則並びに療担基準に基づき厚生労働大臣が定める掲示事項等の一部を改正する件」(平成17年厚生労働省告示第307号)が公布され、平成17年7月1日より適用することとされたところである。

また、先進医療に係る届出等の取扱いについては、「「療担規則及び薬担規則並びに療担基準に基づき厚生労働大臣が定める掲示事項」及び「選定療養及び特定療養費に係る厚生労働大臣が定める医薬品等」の制定に伴う実施上の留意事項について」の一部改正について」(平成17年6月30日保医発第0630001号)において、本通知によるものとされているところである。

これに伴い、先進医療に係る届出の取扱いについては、下記のとおりとするので、その取扱いに遺漏のないよう関係者に対し周知徹底を図られたい。

記

1 先進医療に係る基本的な考え方

先進医療については、昨年末の厚生労働大臣と内閣府特命担当大臣(規制改革、産業再生機構)、行政改革担当、構造改革特区・地域再生担当との基本的合意に基づき、国民の安全性を確保し、患者負担の増大を防止するといった観点も踏まえつつ、国民の選択肢を拡げ、利便性を向上するという観点から、選定療養として位置付け、保険診療との併用を認めることとしたものである。

具体的には、有効性及び安全性を確保する観点から、医療技術ごとに一定の施設基準を設定し、施設基準に該当する保険医療機関及び特定承認保険医療機関(以下「保険医療機関」という。)は届出により保険診療との併用ができることとしたものである。

また、先進医療については、将来的な保険導入のための評価を行うものとして、保険診療との併用を認めたものであり、実施保険医療機関から定期的に報告を求めることとしている。

2 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の取扱い

薬事法(昭和35年法律第145号)第14条第1項又は第19条の2第1項の規定による承認を受けていない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。)及び承認を受けている医療機器又は医薬品を承認外の効能又は効果等を目的として使用する医療技術(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、以下のとおり取り扱うこととする。

- (1) 使用する医療機器又は医薬品はその有効性及び安全性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いること。
- (2) 未承認医療機器等を使用する技術については、臨床試験(治験)を実施するなど、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。
- (3) 医療機器等を適応外使用する技術については、臨床試験(治験)を実施するなど、当該適応外の効能又は効果等に係る一部変更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。

3 新規(既に施設基準が告示されている先進医療(以下「既評価技術」という。)の適応症の変更を含む。)の先進医療に係る届出及び施設届出

(1) 届出

- ① 保険医療機関の開設者は、別紙新規技術様式第1号による先進医療届出書(新規技術)(以下「新規届出書」という。)正本1通(添付書類及び添付文献を含む。)及び副本5通(添付書類及び添付文献を含む。)を保険医療機関の所在地の地方社会保険事務局長を経由して厚生労働大臣に提出すること。
- ② 併せて、保険医療機関の開設者は、別紙新規技術様式第1-2号による先進医療施設届出書(新規技術)(以下「新規施設届出書」という。)正本1通(添付書類を含む。)及び副本1通(添付書類を含む。)を地方社会保険事務局長に提出すること。
- ③ 地方社会保険事務局長への届出については、毎月15日(土曜日、日曜日又は祝祭日に当たるときはその直前の平日)締めとし、16日以降に届出のあったものについては、翌月分として取り扱うこと。
- ④ 地方社会保険事務局長は、新規届出書の提出があった場合は、記載事項を確認し、速やかに厚生労働大臣に送付すること。
- ⑤ 新規届出書については、厚生労働省保険局医療課において記載事項を確認したものに限り受理することとし、また、保険医療機関から提出のあった月(同月16日以降に届出のあった場合は翌月)の15日に受理されたものとみなすこと。

(2) 届出書の添付書類

各届出書には、それぞれ次の書類を添付すること。

- ① 新規届出書(厚生労働大臣あて)
 - ア 先進医療の内容(概要)(別紙新規技術様式第2号)
 - イ 先進医療の内容(詳細)(別紙新規技術様式第3号)
 - ウ 当該保険医療機関における実績(別紙新規技術様式第4-1号及び第4-2号)
 - エ 先進医療に関する文献リスト(別紙新規技術様式第5号)

- オ 先進医療で使用する医療機器又は医薬品（別紙新規技術様式第6号）
- カ 先進医療に要する費用（別紙新規技術様式第7号）
- キ 先進医療に係る費用の積算根拠
（別紙新規技術様式第8-1号及び第8-2号）
- ク 先進医療の実施科及び実施体制
（別紙新規技術様式第9-1号及び第9-2号）
- ケ 先進医療としての適格性について（別紙新規技術様式第10号）
- コ 先進医療を実施可能とする保険医療機関の要件として考えられるもの
（別紙新規技術様式第11号）

② 新規施設届出書(地方社会保険事務局長あて)

- ア 先進医療の内容（概要）（別紙新規技術様式第2号）
- イ 先進医療で使用する医療機器又は医薬品（別紙新規技術様式第6号）
- ウ 先進医療に係る費用の積算根拠
（別紙新規技術様式第8-1号及び第8-2号）
- エ 先進医療の実施科及び実施体制
（別紙新規技術様式第9-1号及び第9-2号）

(3) 届出書の添付文献

新規届出書には、次の文献を添付すること。

- ① 先進医療の内容を論述した論文
（実施結果の分析について言及しているものであること。）1編以上
- ② 先進医療の有効性及び安全性を評価した原著論文
（著者自らの研究結果に基づく論文をいう。）1編以上
- ③ 当該保険医療機関における実績に基づく論文又は報告書
（実施結果の評価について言及しているものであること。）1編以上

(4) 科学的評価結果等の手続き

- ① 地方社会保険事務局長は、厚生労働大臣から先進医療に係る科学的評価結果（「支障なし」、「中止又は変更」、「保留（期間の延長）」）について通知を受けた場合は、速やかに届出者に送付すること。
- ② 地方社会保険事務局長は、①の先進医療に係る科学的評価結果が「支障なし」であって、新規届出書を提出した保険医療機関が先進医療の施設基準に適合している場合には、当該施設基準が官報により告示された日に受理したものとみなし、受理した旨を速やかに届出者に文書により通知するとともに、副本1通及び受理通知の複写を厚生労働省保険局医療課に送付すること。なお、届出を受理したものとみなされた日の属する月の翌月（官報により告示された日が1日の場合は当月）1日より保険診療と併用できるものであること。
- ③ ①の先進医療に係る科学的評価結果が「支障なし」であっても、新規届出書を提出した保険医療機関が先進医療の施設基準に適合していない場合には、地方社会保険事務局長はその旨を届出者に文書により通知すること。

4 既評価技術に係る施設届出

(1) 届出

既評価技術の届出を行うときは、保険医療機関の開設者は、別紙既評価技術様式第1号による先進医療施設届出書（既評価技術）（以下「既評価技術施設届出書」という。）正本1通（添付書類を含む。）及び副本1通（添付書類を含む。）を、当該保険医療機関の所在地の地方社会保険事務局長に提出すること。

(2) 届出書の添付書類

既評価技術施設届出書には、次の書類を添付すること。

- ① 先進医療の内容（概要）（別紙既評価技術様式第2号）
- ② 先進医療の実施科及び実施体制
（別紙既評価技術様式第3-1号及び第3-2号）
- ③ 先進医療で使用する医療機器又は医薬品（別紙既評価技術様式第4号）
- ④ 先進医療に係る費用の積算根拠
（別紙既評価技術様式第5-1号及び第5-2号）

(3) 届出受理の手続き

地方社会保険事務局長は、届出があった場合は、記載事項及び施設基準に適合している旨を確認して受理することとし、受理した旨を速やかに届出者に文書により通知するとともに、副本1通及び受理通知の複写を厚生労働省保険局医療課に送付すること。なお、届出を受理した日の属する月の翌月1日より保険診療と併用できるものであること。

5 先進医療の取下げ

- (1) 新規届出書を提出後、先進医療専門家会議における科学的評価が行われるまでの間に、何らかの理由により届出を取り下げる場合には、別紙取下様式第1号により地方社会保険事務局長を経由して厚生労働大臣に提出すること。
- (2) 新規施設届出書及び既評価技術施設届出書を提出後に、何らかの理由により届出を取り下げる場合には、別紙取下様式第2号により地方社会保険事務局長に提出すること。また、6の「ア」に係る変更が生じた場合であって、先進医療ごとの施設基準を満たさなくなった場合においても、別紙取下様式第2号を地方社会保険事務局長に提出すること。

6 既評価技術に係る先進医療施設届出の変更届出

既に届出が受理されている先進医療について次に掲げる事項に変更が生じた場合には、別紙既評価技術様式第6号による先進医療施設届出に係る変更届出書により変更届出を前記4に準じて行うこと。

- ア 先進医療の実施体制
- イ 使用する医療機器又は医薬品
- ウ 先進医療に係る費用

なお、変更届出に係る添付書類、添付文献及び提出部数については次のとおりであること。

変更届出の事由	添付書類	添付文献	提出部数
実施体制の変更	別紙既評価技術様式第3-1号 別紙既評価技術様式第3-2号	不要	正本1通 副本1通
使用する医療機器 又は医薬品の変更	別紙既評価技術様式第4号 別紙既評価技術様式第5-1号 別紙既評価技術様式第5-2号	医療機器の説明書、 医薬品の添付書	正本1通 副本1通
先進医療に係る 費用の変更	別紙既評価技術様式第5-1号 別紙既評価技術様式第5-2号	不要	正本1通 副本1通

7 先進医療の実績報告

(1) 定期報告

当該年6月30日までに厚生労働大臣が定めた先進医療を実施している保険医療機関を対象とし、前年の7月1日から当該年6月30日までの間に行った先進医療について、別紙報告様式第1号から第4号により当該年8月末までに地方社会保険事務局長を経由し、厚生労働大臣に報告すること。

(2) 先進医療ごとの施設基準に基づく実績報告

該当する先進医療の施設基準として、別途の実績報告が定められている場合は、当該基準に従い、別紙報告様式第1号から第4号により速やかに地方社会保険事務局長を経由し、厚生労働大臣に報告すること。

(3) 安全性報告

先進医療について、安全性の問題が生じた場合は、別紙報告様式第4号により直ちに地方社会保険事務局長及び厚生労働大臣に報告すること。なお、代替可能な既に保険収載されている治療法等においても同様の副作用・合併症が発生することが明らかにされている場合にあっても報告すること。

8 先進医療の取消の手続き

地方社会保険事務局長は、既評価技術について、厚生労働大臣から取消す旨の通知を受けた場合は、速やかに既評価技術を届け出ている保険医療機関に対し、文書により通知すること。通知に当たっては、取消の告示の適用日から、保険診療との併用ができない旨を併せて通知すること。

9 権限の委任

国立高度専門医療センター等が届出する場合であって、内部で権限の委任が行われているときは、病院の管理者が届出書を提出しても差し支えない。

先進医療専門家会議における科学的評価結果の一覧（平成17年9月12日会議～平成18年5月12日会議）

※ 届出医療機関における典型的な症例に要した費用

先進医療名	適応症	先進医療費用※ (自己負担)	特定療養費※ (保険給付)	受付日	専門家 会議日	総評	その他(事務的対応等)
高周波切除器を用いた子宮筋腫核出術	子宮筋腫	18万6千円 (1回)	39万5千円 (入院16日間)	平成17年 7月15日	平成17年 9月12日	適	-
盲腸ポート造設術(2医療機関)	難治性便秘症及び難治性便失禁	15万9千円 (1回)	26万6千円 (入院12日間)			保留	使用される医療機器が、薬事法上の適応外使用に該当するため、臨床試験を実施する等の適応拡大に係る薬事法上の一部変更承認申請を受けることを優先すべきであり、承認を受けるまでの間、保留。
	神経障害に起因する高度の排便機能障害	17万8千円 (1回)	24万9千円 (入院11日間)				
凍結保存同種組織を用いた外科治療	心臓血管疾患等	171万9千円 (心臓弁、大動脈1回)	386万9千円 (入院57日間)	平成17年 8月15日	平成17年 10月7日	否	-
		114万9千円 (静脈1回)	500万2千円 (入院40日間)				
PPH法による直腸粘膜脱及び内痔核手術(2医療機関)	直腸粘膜脱、内痔核、不完全直腸脱	5万5千円 (1回)	8万8千円 (通院1日間)			-	書類不備のため再届出
		5万5千円 (1回)	16万4千円 (入院3日間)				
自動吻合器を用いた直腸粘膜脱又は内痔核手術(PPH)(2医療機関)	直腸粘膜脱、内痔核	5万5千円 (1回)	15万9千円 (入院3日間)			適	-
		7万9千円 (1回)	14万3千円 (入院2日間)				
遠赤外線均等低温サウナ浴による温熱療法	心不全	12万2千円 (20回)	129万1千円 (入院62日間)			-	医療機器について薬事法の承認が優先されることから、薬事法の承認後に再届出
画像支援ナビゲーションによる膝関節再建手術計画	前十字靭帯損傷、後十字靭帯損傷	13万3千円 (1回)	55万1千円 (入院13日間)			-	書類不備のため再届出
画像支援ナビゲーションによる膝関節再建手術	前十字靭帯損傷、後十字靭帯損傷	9万3千円 (1回)	50万1千円 (入院11日間)			適	-
小児期炎症性疾患における血漿交換療法	大量γグロブリン療法不応の川崎病	36万円 (4回)	47万6千円 (入院11日間)			否	適切なデザインによる臨床研究が行われ、作用機序ならびに有効性が明らかにされる必要がある。
強度変調放射線治療	固形悪性腫瘍	226万2千円 (一連)	209万4千円 (入院104日間)			-	医療機関が、費用の積算について記載上の不備があったことから取下げ
臨床的限局性前立腺癌に対する根治的前立腺全摘術における陰茎海綿体神経(勃起神経)切除後の自家腓腹神経移植術	限局性前立腺癌	8万7千円 (1回)	69万3千円 (入院14日間)			-	既に保険適用されている技術である旨連絡
ケミカルピーリングを用いた皮膚腫瘍の非観血的療法	脂漏性角化症、皮膚悪性腫瘍	21万円 (7回)	2万円 (通院7日間)			-	医薬品について薬事法の承認が優先されることから、薬事法の承認後に再届出
ケミカルピーリングを用いたざ瘡の治療	ざ瘡	6万円 (10回)	3千円 (通院10日間)			-	医薬品について薬事法の承認が優先されることから、薬事法の承認後に再届出
経皮的椎体形成術	脊椎圧迫骨折	22万6千円 (1回・1椎体)	6万2千円 (入院3日間)			-	高度先進医療とされている技術である旨連絡
歯科用小照射X線CT及び歯科用実体顕微鏡を用いた根尖周囲外科手術のための検査	難治性の慢性根尖性歯周炎	4万8千円 (1回)	3万2千円 (通院7日間)	-	書類不備のため再届出		
凍結保存同種組織を用いた外科治療	心臓弁又は血管を用い、同一施設内で行うもの	78万7千円 (1回)	412万7千円 (入院57日間)	適	-		
特発性肥大型心筋症の遺伝子スクリーニング検査	特発性肥大型心筋症	6万8千円 (1回)	53万8千円 (入院21日間)	否	遺伝子異常の検出率が低く、異常が発見されても治療法に変化がない。本スクリーニングは研究段階である。		
アクリジンオレンジを用いた光線および放射線力学的療法	悪性骨軟部腫瘍(転移性腫瘍含む)、難治性良性骨軟部腫瘍	19万8千円 (1回)	166万5千円 (入院81日間)	-	医薬品について薬事法の承認が優先されることから、薬事法の承認後に再届出		
組織拡張器(tissue expander)による乳房再建	乳癌(大胸筋温存のものに限る)	8万9千円 (1回)	44万2千円 (入院9日間)	-	医療機器について薬事法の承認が優先されることから、薬事法の承認後に再届出		
18FDG-PETを用いた胃癌、食道癌、子宮癌、卵巣癌、胆管癌、胆管細胞癌の診断	胃癌、食道癌、子宮癌、卵巣癌、胆管癌、胆管細胞癌(早期胃癌、早期食道癌は除く)	11万7千円 (1回)	104万8千円 (入院12日間、通院5日間)	-	医療機関から取り下げ		
18FDG-PETを用いたアルツハイマー病の鑑別診断	認知症におけるアルツハイマー病の鑑別診断	12万1千円 (1回)	5万3千円 (通院16日間)	-	医療機関から取り下げ		

※ 届出医療機関における典型的な症例に要した費用

先進医療名	適応症	先進医療費用※ (自己負担)	特定療養費※ (保険給付)	受付日	専門家 会議日	総評	その他(事務的対応等)
強度変調放射線治療	固形悪性腫瘍	72万3千円 (1連)	126万3千円 (通院30日間)	平成17年 11月15日	-	-	書類不備のため再届出
マイクロ波子宮内膜アブレーション	機能性及び器質性過多 月経(但し、妊よう性の 温存が不要な患者で子 宮悪性疾患が除外され ている場合)	4万5千円 (1回)	12万1千円 (入院3日間)			-	-
H. pylori除菌療法に係る遺伝子解析	H. pylori感染症	1万6千円 (1回)	5万9千円 (通院3日間)	平成17年 12月15日	平成18年 2月9日	否	評価結果「適」であったが、先 進医療専門家会議における 議論の結果、薬剤の使用量 が薬事法承認の用量を上回 ること、薬事法適応外の薬剤 使用に関する症例が含まれ ていたため、今回は否。
気管・気管支周囲病変に対するコンベックス 走査式超音波気管支鏡ガイド下針生検	気管・気管支周囲病変 の診断、即ち 1)肺癌症例における肺 門・縦隔リンパ節転移 の診断、 2)原因不明肺門・縦隔 リンパ節腫脹症例の質 的診断、 3)縦隔腫瘍の診断	6万5千円 (1回)	126万4千円 (入院33日間)			-	すでに保険適用されている技 術であることを確認
強度変調放射線治療	限局性固形悪性腫瘍	72万3千円 (1連)	37万3千円 (通院30日間)	平成18年 2月15日	平成18年 4月6日	適	-
慢性創傷・難治性潰瘍に対する自己骨髄細胞 を用いた組織再生療法	糖尿病性足病変、閉塞 性動脈硬化症、バー ジャー病、静脈還流不 全、膠原病、放射線傷 害、褥瘡などに伴う難 治性の皮膚潰瘍	10万円 (1回)	99万2千円 (入院34日間)			-	当該技術に係る材料(真皮欠 損用グラフト)の使用方が 薬事法上の適応外使用に該 当。
伝送心電図による発作性不整脈および狭心 症の在宅先進医療	発作性不整脈、狭心症	12万4千円 (4回)	196万9千円 (入院31日間)			-	すでに保険適用されている技 術であることを確認。
笹田式屈曲生検鉗子(STAF)を用いた経気 管支生検法	胸部異常陰影	1万3千円 (1回)	6万9千円 (入院2日間)			-	すでに保険適用されている技 術であることを確認。
難治性自己免疫疾患における抗CD20抗体 療法	既存の治療法に難治性 の自己免疫疾患(全身 性エリテマトーデス、関 節リウマチ、皮膚筋炎、 強皮症、血管炎症候 群、自己免疫性血液疾 患(特発性血小板減少 性紫斑病、自己免疫性 溶血性貧血))	36万3千円 (1回)	94万7千円 (入院57日間)			-	当該技術で使用する薬剤(リ ツキサン)が薬事法上の適 応外使用に該当。
骨髄由来幹細胞を用いた歯槽骨再生療法	重度歯槽骨萎縮症	59万3千円 (1回)	39万5千円 (入院18日間 ・通院1日間)			-	記載不備のため返戻。
顕微鏡統合型手術支援システムによる脳神 経外科手術	脳腫瘍、脳腫瘍性病 変、脳血管障害(脳動 脈瘤、脳動静脈奇形、 脳葉出血)、難治性て んかん、脳生検等	4万9千円 (1回)	200万9千円 (入院28日間 ・通院1日間)			-	高度先進医療「画像支援ナビ ゲーション手術」と同一技術 であるため、高度先進医療と して申請するよう説明。
胎児心超音波検査	産科スクリーニング胎 児超音波検査において 心疾患が強く疑われる 症例	8千円 (1回)	3万9千円 (入院2日間)			適	-
仙骨表面治療的電気刺激療法	頻尿・尿失禁	1万3千円(1月目) 9千円(2月目以降)	4千円 (通院3日間)			-	当該技術に係る医療機器が 薬事法上の適応外使用に該 当。
培養骨髄細胞移植の併用による脚延長術	軟骨無形成症、軟骨低 形成症、脚長不等、プ ロント病	22万7千円 (1回)	454万9千円 (入院263日間)			平成18年 3月15日	平成18年 5月12日
子宮動脈塞栓術による子宮筋腫治療	過多月経、月経困難症 などの症状を有する子 宮筋腫症例のうち、外 科的治療を希望しない 症例又は合併症のため 手術不能な症例	21万円 (1回)	13万9千円 (入院2日間)	-	-	-	当該技術に係る薬剤(スポン ゼル)が薬事法上の適応外 使用に該当。

先進医療として届出があり、医療機器の使用法が薬事承認上の適応外使用に該当したものの

整理番号	先進医療名	医療機器	届け出られた使用方法	薬事承認上の使用目的、効能又は効果
2	盲腸ポート増設術	胃瘻用ボタン	盲腸瘻を通じて留置して使用	胃瘻を通じて留置して使用
22	慢性創傷・難治性潰瘍に対する自己骨髄細胞を用いた組織再生療法	皮膚欠損用グラフト	移植する骨髄液の媒体として使用	重度の皮膚・粘膜欠損修復
28	仙骨表面治療的電気刺激療法	低周波治療器	頻尿・尿失禁の治療	肩こり、末梢神経麻痺、マッサージ効果

先進医療として届出があり、使用する医療機器が未承認であったものの

整理番号	先進医療名	医療機器	届け出られた使用方法
5	遠赤外線均等低温サウナ浴による温熱療法	サウナ治療室	心不全患者に対する温熱療法
16	組織拡張期(tissue expander)による乳房再建	乳房インプラント	乳がん切除部位に挿入して乳房を再建

先進医療として届出があり、医薬品の使用法が薬事承認上の適応外使用に該当したもの

整理番号	先進医療名	医薬品	届け出られた使用方法	薬事承認上の効能又は効果
21	H.pylori除菌療法にかかる遺伝子解析	ラベプラゾール等	ヘリコバクター・ピロリの除菌	胃潰瘍等
25	難治性自己免疫疾患における抗CD20抗体療法	リツキサン	自己免疫疾患に対する抗体療法	CD20陽性のB細胞性非ホジキンリンパ腫
29	培養骨髄細胞移植の併用による脚延長術	トロンビン	多血小板血漿のゲル化	通常の結紮によって止血困難な出血
30	子宮動脈塞栓術に子宮筋腫治療	スポンゼル	子宮動脈の塞栓	各種外科領域における止血

先進医療として届出があり、使用する医薬品が未承認であったもの

整理番号	先進医療名	医薬品	届け出られた使用方法
10	ケミカルピーリングを用いた皮膚腫瘍の非観血的療法	トリクロロ酢酸等	患部皮膚に塗布
11	ケミカルピーリングを用いたざ瘡の治療	グリコール酸等	患部皮膚に塗布
15	アクリジンオレンジを用いた光線および放射線力学的療法	アクリジンオレンジ	腫瘍切除部に塗布した後に光線照射

1 国内未承認薬の使用

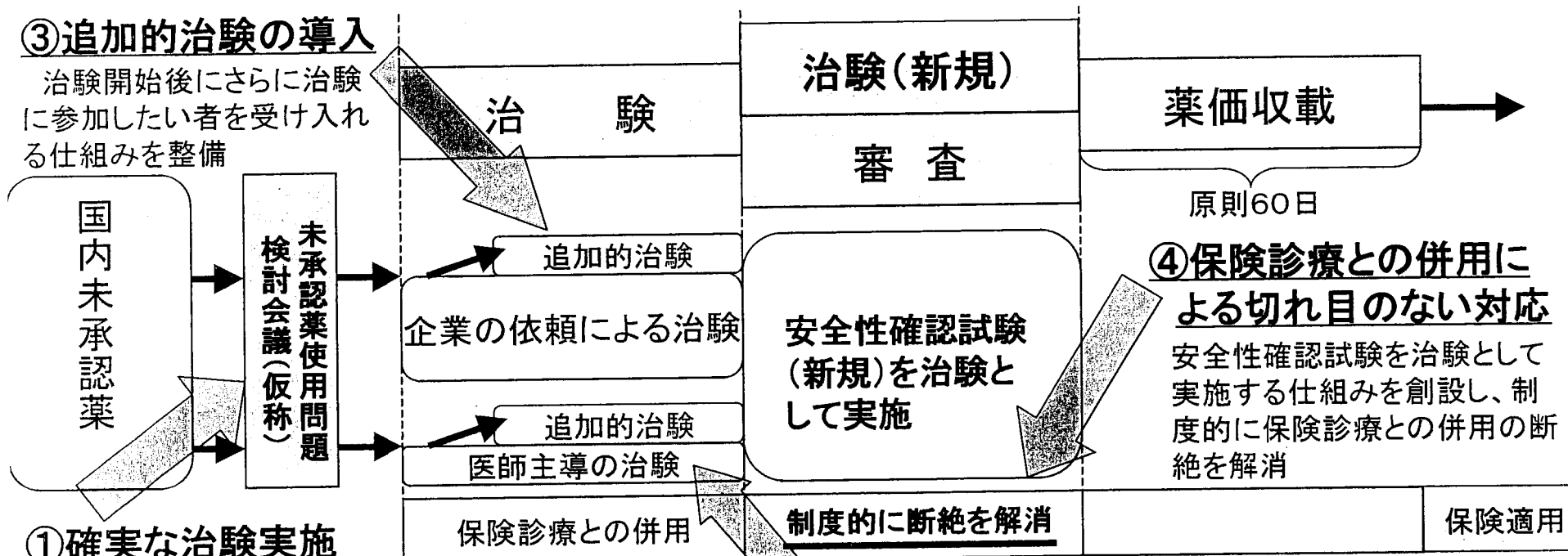
「国内で承認されるまでに時間がかかり、欧米で承認されているのに、全額自己負担でないと使えない。」



確実な治験実施に繋げ、制度的に切れ目なく保険診療との併用が可能な体制を確立

③追加的治験の導入

治験開始後にさらに治験に参加したい者を受け入れる仕組みを整備



④保険診療との併用による切れ目のない対応

安全性確認試験を治験として実施する仕組みを創設し、制度的に保険診療との併用の断絶を解消

①確実な治験実施

- ・未承認薬使用問題検討会議(仮称)を設置
- ・学会・患者の要望を把握し、臨床上の必要性和使用の妥当性を科学的に検証
- ・年4回定期的に開催するとともに、必要に応じ随時開催。最長でも3か月以内に結論を出す。
- ・欧米で新たに承認された薬は自動的に検証の対象とし、患者の要望に的確に対応
- ・「企業治験」と「医師治験」とに振り分け、確実な治験実施へ繋げる。

②医師主導の治験の支援体制整備

- ・治験導入時の医師への情報提供の充実、各種手続の簡素化による導入時の手続の負担の軽減
- ・医師が患者に薬剤料等の費用負担を求めることができることを明確化するとともに、保険給付を企業治験より拡大することにより、医師の負担を軽減
- * 料金が不当に高くないよう必要な措置を講じる。
- ・治験ネットワークの拡充

「未承認薬使用問題検討会議」開催要綱

1. 目的

- 欧米諸国で承認されているが、国内では未承認の医薬品（以下「未承認薬」という。）について、
 - ・ 欧米諸国での承認状況及び学会・患者要望を定期的に把握し、
 - ・ 臨床上の必要性と使用の妥当性を科学的に検証するとともに、
 - ・ 当該未承認薬について確実な治験実施につなげることにより、その使用機会の提供と安全確保を図ることを目的とする。

2. 検討事項

- (1) 欧米諸国での承認状況の定期的な把握
- (2) 学会及び患者の要望の定期的な把握
- (3) 未承認薬の臨床上の必要性と使用の妥当性に関する科学的検証
- (4) 「企業依頼」及び「医師主導」の治験への振り分けと確実な実施
- (5) 安全性確認試験の確実な実施 等

3. 構成員

- 検討会議の構成員は、がんや循環器等の重篤な疾患領域における薬物療法に関する医学的・薬学的な学識経験を有する者で構成する。
- 検討会議は、構成員のうち1人を座長として選出する。

4. 運営

- 検討会議は、年4回定期的に開催するが、必要に応じて随時開催することができる。
- 検討会議は、知的財産権等に係る事項を除き、原則公開するとともに、議事録を作成・公表する。
- 検討会議は、必要に応じて、個別検討事項に係る専門家からなる専門作業班を招集することができる。

5. 庶務

- 検討会議の庶務は医薬食品局で行い、医政局及び保険局がこれに協力する。

「未承認薬使用問題検討会議」

構 成 員

- 有吉 寛 愛知県がんセンター愛知病院名誉院長
- 岩砂 和雄 日本医師会治験促進センター長
- 大澤 真木子 東京女子医科大学医学部教授
- 川西 徹 国立医薬品食品衛生研究所薬品部長
- 栗山 喬之 千葉大学医学部教授
- 後藤 元 杏林大学医学部教授
- 篠山 重威 同志社大学心臓バイオメカニクスセンター教授
- 浜田 知久馬 東京理科大学工学部助教授
- 林 昌洋 虎の門病院薬剤部長
- ◎ 堀田 知光 独立行政法人国立病院機構名古屋医療センター院長
- 堀内 龍也 群馬大学医学部附属病院薬剤部長
- 吉田 茂昭 国立がんセンター東病院長

(※ 他の専門分野は、必要に応じて適宜参考人として出席を要請。)

薬食機発第 0331006 号
平成 18 年 3 月 31 日

各都道府県衛生主管部(局)長 殿

厚生労働省医薬食品局審査管理課
医療機器審査管理室長

医療機器に関する臨床試験の試験成績のうち外国で実施したものの取扱いについて

薬事法（昭和 35 年法律第 145 号、以下「法」という。）第 14 条第 3 項の規定に基づき、法第 14 条第 1 項の承認を受けようとする者は、申請書に臨床試験の試験成績に関する資料を添付する必要がある。従来、医療機器に関する臨床試験の試験成績に関する資料のうち我が国以外の国又は地域で実施されたものの取扱いについては、「外国で実施された医療用具の臨床試験データの取扱いについて（平成 9 年 3 月 31 日付薬発第 479 号薬務局長通知）」により取り扱ってきたところであるが、その後の「医療機器の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 17 年厚生労働省令第 36 号、以下「医療機器 GCP」という。）の公布などを踏まえ、その取扱いの詳細を下記のとおりとすることとしたので、御了知の上、貴管下各関係業者、関係団体等に周知徹底を図られたい。

なお、本通知の写しを独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長、日本医療機器産業連合会会長、在日米国商工会議所医療機器・IVD委員会委員長、欧州ビジネス協会医療機器委員会委員長及び薬事法登録認証機関協議会代表幹事あて送付することとしている。

記

1 受け入れ可能な国又は地域

臨床試験を実施した国又は地域における薬事に関する法令において、医療機器の臨床試験の実施基準が定められており、その基準が我が国の医療機器 GCP と同等以上のものであって、当該基準に従って実施された臨床試験及びそれと同等と考えられる臨床試験については、その試験成績に関する資料を承認の申請書に添付して

差し支えないこと。

2 外国で実施した臨床試験を利用する際の留意点

我が国以外の国又は地域において実施した臨床試験を承認申請資料として利用する際には、以下の諸点に留意すること。

(1) 臨床試験の実施及び管理について

- ① 法第14条第5項の規定に基づく書面又は実地の調査に際して確認できるよう、医療機器の臨床試験の実施の基準に係る必須文書と同等もしくはそれ以上の文書が作成されていること。
- ② 法第14条第5項の規定に基づく書面又は実地の調査に際し、臨床試験の依頼者、臨床試験実施医療機関その他の臨床試験に関与した者に対して、必要な協力が得られるようにしておくこと。
- ③ 監査あるいはその他の方法により、申請者により臨床試験全体の信頼性が保証されていること。
- ④ 試験実施国・地域の基準が、医療機器GCPより高い水準の被験者保護を要求する場合には、それに従っているものであること。

(2) 承認申請資料について

- ① 臨床試験の試験成績原著が日本語以外の言語で作成されている場合、添付する資料中の「総括報告書」については、原著の写しにその日本語による要約を添付することで差し支えないこと。なお、この場合、独立行政法人医薬品医療機器総合機構より、必要に応じ「総括報告書」の一部又は全部についての邦文訳を求められることがあること。
- ② 「総括報告書」には、臨床試験の依頼責任者の署名が記されていること。
- ③ 我が国以外の国又は地域による査察が終了しているときは、原則として、その結果を記載した通知文書等の写しを添付すること。
- ④ 我が国の医療機器GCPと臨床試験を実施した我が国以外の国又は地域の基準とで相違点がある場合、その相違点をまとめ、資料に添付すること。さらに、その相違点の当該試験の信頼性や治験に用いた医療機器の品質への影響などの有無について意見を付すこと。
- ⑤ カルテの保管場所、手術を実施した場所その他の臨床試験に関わる所在地が、臨床試験を実施した医療機関所在地と異なるような場合、その事実関係に関する資料を添付すること。
- ⑥ 臨床試験に用いた医療機器の品質に関する資料を添付すること。

(3) その他

我が国以外の国又は地域において実施した臨床試験のうち、我が国の医療機器GCPの施行前に実施したものについては、医療機器GCP附則第2条及び第3条に規定する経過措置に基づき従前の例によって取り扱われるものであること。

(参考)

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つて、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つ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つた場合には、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つて、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