

### 第3回 先進医療技術審査部会 議事次第

日 時：平成25年2月7日（木）16:30～18:30

場 所：中央合同庁舎第5号館 専用23会議室（19階）

（東京都千代田区霞が関1丁目2番2号 TEL：03-5253-1111）

#### 議 題

1. 新規申請技術の評価結果について
2. 協力医療機関の追加について
3. 平成24年度の定期報告について
4. 先進医療会議の審査結果について（報告事項）
5. その他

#### 〔配付資料〕

議事次第

座席表

開催要綱

構成員及び技術委員名簿

- 資料1－1 新規申請技術の評価結果
- 資料1－2 先進医療B評価表（番号004）
- 資料1－3 指摘事項への回答
- 資料1－4 佐藤構成員の意見書
- 資料1－5 村田技術委員の意見書
- 資料1－6 新規申請技術の概要及びロードマップ
- 資料2 協力医療機関の追加について
- 資料3 平成24年度の定期報告について
- 資料4 先進医療会議の審査結果について
- 資料5 平成25年度先進医療技術審査部会日程調整表

参考資料 厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準の制定等に伴う実施上の留意事項及び先進医療に係る届出等の取扱いについて（平成24年7月31日付医政研発0731第2号、医薬発0731第2号、保医発0731第7号）

第3回 先進医療技術審査部会  
平成25年2月7日(木) 16:30~18:30  
中央合同庁舎第5号館 専用23会議室(19階)

山口座長代理

猿田座長

一色 構成員

伊藤 構成員

金子 構成員

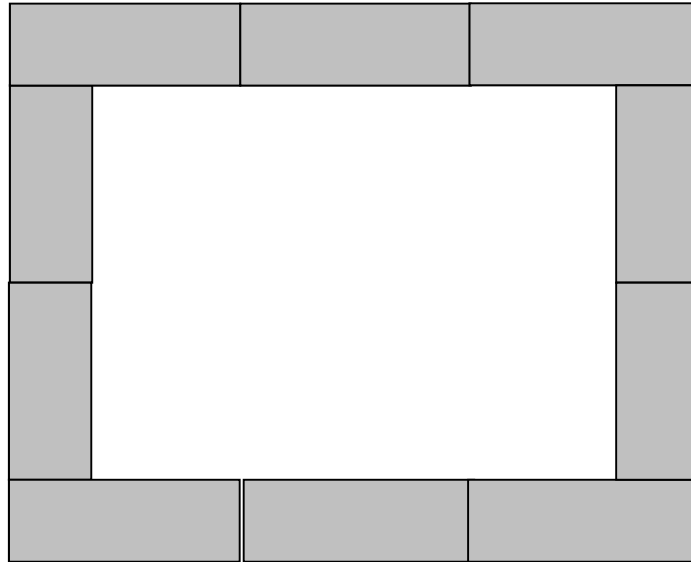
田島 構成員

藤原 構成員

山中 構成員

大門 構成員

関原 構成員



保険局医療課専門官

医政局研究開発振興課長

治験推進室長  
医政局研究開発振興課

医政局研究開発振興課課長補佐

医政局研究開発振興課専門官

出入口

事務局・関係部局席

傍聴席

## 「先進医療会議」開催要綱

### 1 目的

「新成長戦略」（平成 22 年 6 月 18 日閣議決定）、「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）、中央社会保険医療協議会での議論等を踏まえ、従前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等の効率化・重点化を図ることを目的として、平成 24 年 7 月 31 日に厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準の制定等に伴う実施上の留意事項及び先進医療に係る届出等の取扱いについて（医政発 0731 第 2 号、薬食発 0731 第 2 号、保発 0731 第 7 号。以下「先進医療通知」という。）を発出し、平成 24 年 10 月 1 日より両会議を一本化し、今後は、先進医療会議（以下「本会議」という。）において審査等を行うこととする。

本会議は、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を踏まえつつ、国民の選択肢を広げ、利便性を向上するといった観点から、先進医療への対応として、厚生労働大臣が、先進医療を実施可能な保険医療機関の要件設定等を行うため、医療技術の審査等を行うことを目的とする。

また、本会議の下に先進医療技術審査部会（以下「部会」という。）を設置し、主に未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴う医療技術の審査等を行い、その結果を本会議に報告するものとする。

### 2 検討項目

（1）本会議は、次に掲げる事項について専門的な検討を行う。

- ① 先進医療通知第2の1又は2に掲げる先進医療（以下「先進医療 A」という。）及び先進医療通知第2の3又は4に掲げる先進医療（以下「先進医療 B」という。）の振り分け
- ② 保険医療機関から保険給付との併用の希望があった先進医療 A の対象となる医療技術（共同実施分も含む。）に関する次のア及びイに掲げる事項  
ア 当該医療技術の有効性、安全性、先進性、効率性、社会的妥当性、将来の保険収載の必要性等の観点から見た保険給付との併用の適否  
イ 当該医療技術を届出により実施可能とする場合の実施可能な保険医療機関の要件
- ③ 保険医療機関から保険給付との併用の希望があった先進医療 B の対象となる医療技術に関する当該医療技術の効率性、社会的妥当性、将来の保険収載の必要性等の観点から見た保険給付との併用の適否
- ④ 保険給付との併用が認められた先進医療 A の対象となる医療技術に関する次のアからオまでに掲げる事項  
ア 当該医療技術の実績報告等に基づく確認及び評価

- イ 当該医療技術の有効性、安全性、先進性、効率性、社会的妥当性、将来の保険収載の必要性等の観点から見た保険給付との併用の継続の適否
- ウ 当該医療技術と保険給付との併用を継続させることを適当とする場合の実施可能な保険医療機関の要件
- エ 当該医療技術の普及性、有効性、効率性、安全性、技術的成熟度、社会的妥当性等の観点から見た保険収載の適切性
- オ 当該医療技術を保険収載することを適切とする場合の実施可能な保険医療機関の要件

⑤ 保険給付との併用が認められた先進医療Bの対象となる医療技術に関する次のアからエまでに掲げる事項

- ア 当該医療技術の実績報告等に基づく確認及び評価
- イ 当該医療技術の有効性、安全性、先進性、効率性、社会的妥当性、将来の保険収載の必要性等の観点から見た保険給付との併用の継続の適否
- ウ 当該医療技術（試験が終了し、総括報告書が提出されたものに限る。）の普及性、有効性、効率性、安全性、技術的成熟度、社会的妥当性等の観点から見た保険収載の適切性（但し、未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴う医療技術を除く。）
- エ 当該医療技術を保険収載することを適切とする場合の実施可能な保険医療機関の要件（但し、未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴う医療技術を除く。）

⑥ その他、先進医療に関する事項

(2) 部会は、次の各号に掲げる事項について専門的な検討を行う。

- ① 保険医療機関から保険給付との併用の希望があった先進医療Bの対象となる医療技術に関する次のア及びイに掲げる事項
  - ア 当該医療技術の有効性、安全性等の技術的妥当性及び試験実施計画等の妥当性
  - イ 当該医療技術を実施する保険医療機関の適格性
- ② 保険給付との併用が認められた先進医療Bの対象となる医療技術に関する実績報告・総括報告等に基づく確認及び評価
- ③ その他、先進医療Bに関する事項

### 3 組織

(1) 本会議は、先進医療に係る専門的学識経験を有し、かつ、保険診療に精通した者（以下「本会議の構成員」という。）により構成する。

部会は、先進医療に係る専門的学識経験を有する者（以下「部会の構成員」という。）により構成する。

本会議及び部会の審査のため、必要に応じ個々の医療技術について技術的な観点から検討する者（以下「技術委員」という。）を置く。

- (2) 本会議及び部会の座長（以下「座長」という。）は、検討のため必要があると認めるときは、技術委員及び個々の医療技術に精通する者（以下「有識者」という。）をそれぞれ本会議又は部会に参加させることができる。
- (3) 座長は、それぞれ各構成員の中から互選により選出する。
- (4) 座長は、それぞれ本会議又は部会の事務を総理し、それぞれ本会議又は部会を代表する。
- (5) 座長は、それぞれ各構成員の中から座長代理を指名する。
- (6) 座長代理は座長を補佐し、座長不在のときは、座長に代わってその職務を代行する。
- (7) 本会議及び部会の構成員並びに技術委員の任期は、2年以内とする。ただし、再任を妨げない。
- (8) 本会議及び部会の構成員又は技術委員に欠員を生じたとき新たに任命されたそれぞれの各構成員又は技術委員の任期は、前任者の残任期間とする。
- (9) 本会議及び部会の有識者は、その参加する検討事項に関する審査が終了したときに、解任されるものとする。

#### 4 定足数

本会議及び部会は、それぞれの各構成員の総数の2分の1以上の出席がなければ、会議を開き、取りまとめを行うことができない。ただし、本会議及び部会の構成員については、8による意見書の提出があった場合は、出席したものとみなす。

#### 5 議事の取りまとめ

本会議及び部会の議事は、座長を除く出席したそれぞれの各構成員及び技術委員並びにそれぞれの各構成員及び技術委員が8による意見書に議事の可否を記載したもの（但し、6（1）①及び②に該当するそれぞれの各構成員及び技術委員を除く。）の過半数をもって取りまとめ、可否同数のときは、座長の取りまとめるところによる。但し、技術委員については、検討のために関わった医療技術に係る議事に限る。

#### 6 特定医療技術の検討

- (1) 本会議及び部会の構成員、技術委員及び有識者（以下「構成員等」という。）は、次のいずれかに該当する医療技術（以下「特定医療技術」という。）に関する検討には参加することができない。
  - ① 自らが所属する保険医療機関からの届出に係る医療技術
  - ② 自らが関与又は特別の利害関係を有する医薬品・医療機器等が使用される医療技術
- (2) (1)にかかわらず、座長（3（6）によりその職務を代行する者を含む。以下同じ。）が必要と認めた場合にあっては、当該構成員等は、特定医療技

術に関する検討に参加することができる。ただし、この場合にあっても、当該構成員等は、5の取りまとめには参加することができない。

## 7 審査の留意事項

構成員等は、担当する医療技術の検討のために必要な資料は事務局等から入手することとし、担当する医療技術に使用される医薬品・医療機器等の開発企業及び担当する医療技術に係る保険医療機関から直接資料提供を受けることができない。

## 8 欠席構成員等の意見提出

本会議及び部会の構成員及び技術委員（座長が検討のため必要があると認めたときに限る。）は、やむを得ない理由により出席できない場合にあっては、議事となる事項について、予め意見書を提出することができる。ただし、座長が必要と認めた場合を除き、特定医療技術に係る意見書は提出することができない。

## 9 議事の公開

本会議及び部会は公開とする。ただし、座長は、対象となる患者が特定されるなど、個人情報保護の観点から特別な配慮が必要と認める場合等にあつては、会議を非公開とすることができる。

## 10 議事録の公開

- (1) 本会議及び部会における議事は、次の事項を含め、議事録に記載するものとする。
  - ① 会議の日時及び場所
  - ② 出席した構成員等の氏名
  - ③ 議事となった事項
- (2) 議事録は公開とする。ただし、座長は、対象となる患者が特定されるなど、個人情報保護の観点から特別な配慮が必要と認める場合等にあつては、議事録の全部又は一部を非公開とすることができる。
- (3) (2)の規定により議事録の全部又は一部を非公開とする場合にあっては、座長は、非公開とした部分について議事要旨を作成し、これを公開するものとする。

## 11 庶務

本会議の庶務は、医政局研究開発振興課及び保険局医療課において処理する。必要に応じて、医薬食品局の協力を得る。

部会の庶務は、医政局研究開発振興課において処理する。必要に応じて、医薬食品局及び保険局の協力を得る。

## 12 補足

- (1) この要綱に定めるもののほか、本会議及び部会の議事運営に関して必要な事項は、座長がそれぞれ本会議又は部会に諮って定める。
- (2) この要綱は、平成24年10月1日から施行する。

## 先進医療技術審査部会構成員

氏 名	役 職	分 野
一色 高明	帝京大学医学部附属病院 循環器内科 教授	循環器内科
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	臨床評価・ 総合内科
金子 剛	国立成育医療研究センター 感覚器・形態外科部長	形成外科
佐藤 雄一郎	東京学芸大学教育学部 准教授	倫理
◎ 猿田 享男	慶應義塾大学 名誉教授	内科（内分 泌）
柴田 大朗	国立がん研究センター 多施設臨床試験支援センター 薬事安全管理室長	生物統計
関原 健夫	CDI メディカル 顧問	一般
竹内 正弘	北里大学薬学部臨床医学（臨床統計学・医薬開発）教授	生物統計
大門 貴志	兵庫医科大学医学部医学科数学教室 准教授	生物統計
田島 優子	さわやか法律事務所 弁護士	倫理
直江 知樹	名古屋大学大学院医学系血液腫瘍内科学 教授	血液内科
藤原 康弘	国立がん研究センター 執行役員 企画戦略局長	臨床評価・ 腫瘍内科
三上 裕司	日本医師会 常任理事	内科
○ 山口 俊晴	がん研究会有明病院 副院長	消化器外科
山中 竹春	国立がん研究センター東病院 臨床開発センター 先端医療開発支援室/生物統計学 室長	生物統計
山本 晴子	国立循環器病研究センター 研究開発基盤センター 先進医療・治験推進部長	臨床評価・ 神経内科

◎ 座長      ○ 座長代理



## 先進医療会議技術委員

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
渥美 義仁	東京都済生会中央病院糖尿病臨床研究センター 一長	内分泌・代謝
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医学部長	脳神経外科
飯島 正文	昭和大学名誉教授	皮膚科
磯部 光章	東京医科歯科大学循環器内科教授	循環器内科
岩中 督	東京大学小児外科学教授	小児外科
上田 孝文	国立病院機構大阪医療センター統括診療部入 院診療部長	骨軟部腫瘍
小川 郁	慶應義塾大学医学部耳鼻咽喉科教授	耳鼻咽喉科
越智 光夫	広島大学学長特命補佐	整形外科
川村 雅文	帝京大学呼吸器外科	呼吸器外科
北川 雄光	慶應義塾大学外科学教授	消化器外科
斎藤 忠則	東京臨海病院副院長	泌尿器科
坂井 信幸	神戸市立医療センター中央市民病院脳神経外 科部長	脳血管外科
笹子 三津留	兵庫医科大学教授	消化器外科
澤 芳樹	大阪大学大学院医学系研究科外科学講座心臓 血管外科学教授	心臓血管外科
珠玖 洋	三重大学大学院医学系研究科がんワクチン治 療学／遺伝子・免疫細胞治療学教授	がんワクチン 遺伝子・免疫 細胞療法
高嶋 成光	国立病院機構四国がんセンター 名誉院長	乳がん
高橋 信一	杏林大学医学部第三内科	消化器内科

氏 名	役 職	分 野
高橋 政代	理化学研究所神戸研究所チームリーダー	眼科
田上 順次	東京医科歯科大学大学院医歯学総合研究科研究科長	歯科
竹中 洋	大阪医科大学長	耳鼻咽喉科
田代 志門	昭和大学研究推進室講師	生命倫理
田中 憲一	新潟県厚生連新潟医療センター院長	産婦人科
田中 良明	川崎幸病院副院長・放射線治療センター長	放射線科
谷川原 祐介	慶應義塾大学医学部臨床薬剤学教授	薬学
辻 省次	東京大学大学院医学系研究科教授	神経内科
出口 修宏	東山医師会東松山医師会病院院長	泌尿器科
寺本 明	東京労災病院院長	脳神経外科
戸山 芳昭	慶應義塾大学教授	整形外科
長瀬 隆英	東京大学大学院医学系研究科呼吸器内科学教授	呼吸器内科
樋口 輝彦	国立精神・神経医療研究センター名誉総長	精神科
本田 浩	九州大学大学院医学研究院臨床放射線科教授	臨床放射線科学
松井 健志	国立循環器病研究センター研究開発基盤センター予防医学・疫学情報部研究倫理研究室長	生命倫理
松原 和夫	京都大学医学部教授	薬学
松山 晃文	先端医療振興財団再生医療研究開発部門部門長補佐	再生医療
宮澤 幸久	帝京大学医療技術学部臨床検査学科長	臨床病理
村田 満	慶應義塾大学医学部臨床検査医学教授	臨床検査
山口 芳裕	杏林大学医学部救急医学	救急
山田 芳嗣	東京大学大学院医学系研究科麻酔学教授	麻酔科

## 新規申請技術の評価

整理 番号	先進医療名	適応症	受付日	承認 状況	医薬品・医療機器情報	申請医療機関	審査担当構成員				総評
							主担当	副担当	副担当	技術 委員	
004	成人T細胞白血病・リンパ腫に対するインターフェロン $\alpha$ /ジドブジン併用療法	成人T細胞白血病リンパ腫(ATL)のくすり型と慢性型	H24.12.17	適応外 医薬品	スミフェロン <sup>®</sup> 注DS 300万IU スミフェロン <sup>®</sup> 注DS 600万IU 大日本住友製薬株式会社 レトロビル <sup>®</sup> カプセル 100mg グラクソ・スミスクライン株式会社	独立行政法人国立がん 研究センター東病院	大門	伊藤	佐藤	村田	条件付 き適

## 先進医療 B 実施計画等評価表 (番号 B004 )

評価委員 主担当：大門  
副担当：伊藤 副担当：佐藤 技術委員：村田

先進医療の名称	成人T細胞白血病・リンパ腫に対するインターフェロン $\alpha$ /ジドブジン併用療法
申請医療機関の名称	独立行政法人国立がん研究センター東病院
医療技術の概要	成人T細胞白血病・リンパ腫に対し、抗悪性腫瘍薬あるいは抗ウイルス薬である「インターフェロン $\alpha$ 」と、抗ウイルス薬である「ジドブジン」を組み合わせた併用療法「インターフェロン $\alpha$ /ジドブジン併用療法」を行う。

【実施体制の評価】 評価者：伊藤

1. 実施責任医師等の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
2. 実施医療機関の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
3. 医療技術の有用性等	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
<p>コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）</p> <p>スミフェロンがATLに対して有効か否かが確認されないまま、高度先進医療として実施される妥当性があるのかは議論の余地があると思われるが、疾患の重篤性を鑑み、研究の妥当性と被験者の負担が最小化されていることから適とした。中央モニタリングと必要に応じての施設監査で十分であるかも議論の余地があるが、従来の JCOG グループとしての実績に基づく実施施設の選定をしていただきたい。</p>	
<p>実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）</p>	

【実施体制の評価】 評価者：村田

1. 実施責任医師等の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
2. 実施医療機関の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
3. 医療技術の有用性等	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。） 実施責任医師等の体制と実施医療機関の体制について：特に問題なし。 医療技術の有用性について：ランダム化比較試験がこれから行われるので現時点では不明であるが、この試験を行うことの意義は過去のデータから明らかである。	
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。） 特になし	

【倫理的観点からの評価】 評価者：佐藤

4. 同意に係る手続き、同意文書	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
5. 補償内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。） 説明同意文書は患者相談等の説明も含めて、適切である。副作用に対する金銭補償はないが、一定の効果が期待される反面での副作用であるので、許容されるものと判断した。 （患者相談等の対応が整備されているか、についても記載下さい。）	
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）	

【試験実施計画書等の評価】 評価者：大門

6. 期待される適応症、効能及び効果	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
7. 予測される安全性情報	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
8. 被験者の適格基準及び選定方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
9. 治療計画の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
10. 有効性及び安全性の評価方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
11. モニタリング体制及び実施方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
12. 被験者等に対して重大な事態が生じた場合の対処方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
13. 試験に係る記録の取扱い及び管理・保存方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
14. 患者負担の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
15. 起こりうる利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
16. 個人情報保護の方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適

コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）

事前の確認・指摘事項へも概ね適切にご回答いただき、実施計画書も洗練されたものであると判断します。ただし、以下の実施条件欄に示す事項について、修正が必要であると判断します。

実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）

- 指摘事項 6 へのご回答に関して：モニタリングは中央モニタリングで実施することで善処されていますが、やはり実施体制（主語）を実施計画書内で明記すべきと考えます。
- 指摘事項 3 へのご回答に関して：実施計画書では、プロトコル治療の中止基準に該当しない限りプロトコル治療は継続されるとして、「プロトコル治療完了は定義しない」と規定されています。しかしながら、先進医療制度内の評価のために計画された本試験自体の実施期間は、試験開始後から登録期間を経て追跡期間終了時点までであると考えられます。このことを意識しますと、個々の患者さんに対するプロトコル治療完了の時点は定まるはずですので、実施計画書内で規定すべきと考えます。

#### 【1～16の総評】

総合評価	適	条件付き適	継続審議	不適
予定症例数	各群 37 例，両群計 74 例	予定試験期間	登録期間：3 年， 追跡期間：登録終了後 2 年	
<p>実施条件：（修正すれば適となる場合は、修正内容を記載ください。）</p> <p>以下のとおりとする</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>● 中央モニタリングの実施主体者を実施計画書内で明らかにすること。</li> <li>● 個々の患者さんにおけるプロトコル治療完了時点を実施計画書内で明らかにすること。</li> </ul>				
<p>コメント欄（不適とした場合は、その理由を必ず記載ください。）</p>				

## 先進医療審査の照会事項（大門構成員）に対する回答

先進医療技術名：成人T細胞白血病・リンパ腫に対するインターフェロン $\alpha$ /  
ジドブジン併用療法

2013年1月31日

JCOG1111 研究代表者（申請医療機関 実施責任医師）

国立がん研究センター東病院

血液腫瘍科 科長

塚崎 邦弘

JCOG1111 研究事務局

福岡大学 腫瘍・血液・感染症内科

石塚 賢治

JCOG1111 研究事務局

琉球大学医学部保健学科

病態検査学講座 血液免疫検査学分野

福島 卓也

1. day11以降は患者さん自身でIFN $\alpha$ を投与し、AZTを内服することになりますが、このプロトコル治療の遵守状況(compliance)の把握について、実施計画書やCRFに記述がないですが、この点について本試験では特別な対応はとられるでしょうか。とられるようでしたら実施計画書に記述することが望ましいと考えます。

**【回答】**

本試験では、外来治療時の服薬状況は日誌を用いて把握し、その内容を元にCRFを作成します。CRFにはコース毎の服薬量、休止の有無を記入する欄があるため、遵守状況(compliance)として「実投与量/予定投与量」を把握することが可能です。

試験実施計画書に以下内容を追記しました。

**「11.3.11. 服薬コンプライアンス**

試験治療群（IFN/AZT療法群）の全治療例を対象として、IFN $\alpha$ 、AZTのそれぞれについて、被験者毎に予定投与量を分母とし実投与量を分子とする割合を算出し、その要約統計量として全治療例の中央値、範囲、四分位点

を算出する。」

ただし、本試験は中止規準に該当するまで継続投与するというプロトコル治療期間が決まっていない試験であり被験者毎の予定投与量を定める際にこの期間をどう考慮するか、また、被験者毎の予定投与量を定める際に減量規準や元量復帰規準を考慮するか否か、など、探索的に解析する際の論点は多々有り、服薬コンプライアンスの解析のための詳細な取り決めは、今後検討したいと考えております。

2. 実施計画書, p. 20: 「2. 4. 2. 臨床的仮説と登録数設定根拠」について、本試験の無イベント生存期間は本試験特異的な定義を用いているため過去のデータがなく、厳密な設定を行うことは困難であることはよく理解できます。(本項の記述に異議を唱えるものではなく)以下の点について念のためご確認させてください。

a) 「両病型がほぼ同数登録されるとすると2年生存割合は67.5%程度と見込まれる」と記載されていますが、前述の過去の成績からこの値はどのように算出されたのでしょうか。

b) 「試験治療(IFN $\alpha$ /AZT療法)の毒性を考えると20%の上乗せが必要」と記載されていますが、過去の成績などでのこの数値の根拠付けは難しく、あくまで現行の標準治療と比較して20%上乗せがあれば、試験治療の毒性があったとしても臨床的には意味のある改善と見做すという理解でよろしいでしょうか。

c) 比較試験でよく用いられる値(80%, 90%)と比較すると、検出力は少し低めの70%と設定されています。この意味で、80%, 90%の検出力を設定した場合の試験と比較すると、試験治療が標準治療よりも真に優れている場合にそのことを検出する機会が減ってしまいますが、研究代表者らはこのリスクを受け入れているという理解でよろしいでしょうか。ATLは希少疾患であり症例集積が困難であるといった背景などから、検出力を80%や90%に設定することは視野に入らないということでしょうか。

【回答】

a) ご指摘の「67.5%」は「72.5%」の計算間違いです。

本試験の無イベント生存期間は本試験特異的な定義を用いているため過去のデータがなく、厳密な設定を行うことはできませんが、2年生存割合は72.5%程度であると見込まれます。無イベント生存期間は全生存期間よりイベントが多く発生するため、2年生存割合が見込みどおり70%強とすると標準治療群(Watchful Waiting群)の2年無イベント生存割合は60%



程度であると考え、このように設定しました。

試験実施計画書の記載を以下のように修正しました。

「2.4.2. 臨床的仮説と登録数設定根拠

…。本試験の無イベント生存期間は本試験特異的な定義を用いているため過去のデータがなく、厳密な設定を行うことはできないが、両病型がほぼ同数登録されるとすると2年生存割合は70%強と見込まれる。…」

b) 「20%上乗せ」とした根拠については、ご指摘のとおり見込みではなく、毒性に見合った差として設定いたしました。本試験では標準治療群が無治療経過観察ですので、試験治療である IFN $\alpha$ /AZT 療法の実施によって上乗せされる毒性は相当のものがああります。そのため、2年無イベント生存割合で標準治療 (Watchful Waiting) より 20%上回っていれば、臨床的に意義がある、コミュニティーで受け入れられると判断しました。

c) 検出力について、本試験が検証的の第Ⅲ相試験であることから 80%、90%を確保すべきであるのご指摘はごもっともで、本来そのようにあるべきであると考えます。すなわち、本来、有意水準片側 2.5%とし、検出力 80%が確保出来るような必要症例数で実施すべき試験です。

しかしながら、この可能性も検討はしましたが、対象となる疾患の希少性から現時点では実現可能性が低いと判断せざるを得ません。一方で、検出力を損なうことの無いよう、

- ① 登録直後の症例も含む半年に1度の追跡調査により lost-to-follow up を回避する、
- ② イベント定義を可能な限り明文化し担当医の判断のぶれを小さくする、
- ③ 変数毎のロジカルチェックに留まらず、被験者毎に CRF 上に記録される情報の推移をデータマネージャーが確認し変数間の臨床的不整合のチェックを行うことでノイズを小さくする
- ④ 半年に1度作成するモニタリングレポートをもとに研究グループ内でプロトコル治療や検査等の逸脱状況の確認及びフィードバックを行うことでばらつきを小さくする

ことを行っております。

そのためご指摘の件は、検出力の高い臨床試験を組むことができないために本対象集団における治療開発を諦めるか、取り得る対応を可能な限り取った上で検出力の小さな臨床試験でもやむを得ないと考えるか、いずれを選択するかという研究倫理の問題に帰着すると考えております。すなわち、本件は、Emanuel (米国 National Cancer Institute) の7原則でいうとこ

ろの、Social value と、Scientific validity との間の比較考量に帰着すると考えておりますが、本試験においても前述の通り科学的に取り得る対応は取った上で行うものであることから、Scientific validity の面で完璧な研究計画とは言えないものの、そのデメリットが Social value を否定するまでのものとは考えておりません。

3. 実施計画書, p. 34: 「6. 2. 1. プロトコール治療完了の定義」についてですが、追跡期間(本試験)終了後のプロトコール治療のとり扱い(継続するの否か、薬剤の提供など)について記述した方がよいと考えます。

【回答】

まず、本試験では、追跡期間終了後も、試験結果(主たる解析結果)が判明するまでは、試験治療群(IFN $\alpha$ /AZT 療法)の患者に対して、IFN $\alpha$ 、AZT の投与を継続する予定です。

主たる解析の結果、IFN $\alpha$ /AZT 療法の有効性が示された場合は、両群の患者に対して、IFN $\alpha$ 、AZT を投与することを検討したいと考えていますが、本件については、過去に実施の事前相談で研究開発振興課(開発課)より、

「試験結果判明後の対応については、流動的な点が多く、現時点で決めることは難しい。本試験結果が判明する前のタイミングで、再度相談願いたい。」との意見がありましたので、主たる解析が終了する少し前のタイミングであらためて開発課に相談予定です。

以上の理由から、試験実施計画書には明記しておりません。

4. 実施計画書, p. 36: 「6. 3. 2. 減量/休止/再開規準」, 「4 週以上となった場合」  
→ 「4 週を超えた場合」

【回答】

ご指摘ありがとうございました。

「4 週以上となった場合」→ 「4 週を超えた場合」と修正しました。

5. 実施計画書, p. 64: 「11. 3. 8. Grade4 の非血液毒性発生割合」, 「11. 3. 8 の定型項目」  
→ 「11. 3. 7 の定型項目」

【回答】

ご指摘ありがとうございました。

「11. 3. 8 の定型項目」→ 「11. 3. 7 の定型項目」と修正しました。

6. 実施計画書, p. 75: 「14. モニタリング」の記載において, 定期モニタリングレポートはデータセンターが作成すると読み取ることができますが, モニタリングは誰が実施するのか(主語)を読み取ることができませんでした. この点について実施組織・体制など明らかにした方がよいです.

【回答】

JCOG データセンターが定期モニタリングレポートを作成し、班会議で研究事務局、研究代表者、各施設研究責任者がその内容を検討し、問題点が認められた場合にはその改善に努めますので、モニタリングの主語は、研究事務局、研究代表者、各施設研究責任者およびJCOGデータセンターになると考えます。狭義ではレポートを作成するデータセンターが主体になりますが、広義では試験にかかわる研究者すべてを含むこととなりますので、ご指摘の箇所は、修正せずにそのままの記載にさせていただきたいと存じます。

7. 実施計画書, p. 87: 「17. 研究結果の発表」の記載において, 「放射線治療研究事務局」も著者に入りますでしょうか. もし入らないのであれば, 削除した方がよいです

【回答】

ご指摘ありがとうございました。

本試験では、「放射線治療研究事務局」は該当しませんので削除しました。

8. 届出書別紙 1, 様式第 2 号: 申請医療機関(国立がん研究センター東病院)の実施責任医師として本臨床試験の研究代表者(JCOG リンパ腫グループ代表者でもある)のお名前が記述されていますが, 実施計画書の表紙や「16. 研究組織」を拝見しますと, 現在, 協力機関(長崎大学)へ所属しておられるようです. これに関しまして以下の点についてご確認させてください.

a) 申請医療機関は長崎大学ではなく国立がんセンター東病院ということでしょうか.

b) 国立がんセンター東病院の実施責任医師は, 申請資料の記載どおりのままでよいでしょうか. あるいは本臨床試験の研究代表者とは別の方が実施責任医師となりますでしょうか.

c) b) に付随して, 長崎大学の実施責任医師は, 申請資料の記載どおりのままでよいでしょうか. あるいは本臨床試験の研究代表者が実施責任医師となりますでしょうか.

申請資料の記載とは異なる実施体制で本試験を実施されるとすれば, 申請資料又は実施計画書を修正する必要があると考えます.

【回答】

a) 本試験の申請医療機関は、「国立がん研究センター東病院」です。

b) 国立がん研究センター東病院の実施責任医師は、届出書に記載のとおり、「血液腫瘍科 科長 塚崎 邦弘」です。

c) 長崎大学の実施責任医師は、申請資料の記載どおり、「血液内科 教授 宮崎 泰司」です。

本試験の研究代表者 塚崎邦弘の所属が、試験実施計画書完成時は長崎大学病院でしたが、2012年9月より国立がん研究センター東病院に異動となりましたので、

	医療機関	実施責任医師
申請医療機関 (本試験 研究代表者 所属医療機関)	国立がん研究センター東病院	塚崎 邦弘
協力医療機関	長崎大学病院	宮崎 泰司

としました。

試験実施計画書 (v1.0) の記載が古い情報のままとなっていましたので、改訂版 (v1.01) を提出いたします。

9. 届出書別紙 1(様式第 3 号) : p. 12 で「IFN $\alpha$ /AZT 療法の既報(総数 83 例)で報告された上記以外の副作用(21-24)」という文言の 21-24 の文献情報は、おそらく実施計画書で記載されている参考文献だと思いましたが、申請書内にも付与していただいた方がよいです。

【回答】

ご指摘の箇所ですが、試験実施計画書の参考文献 (~~21-24~~ → 23-26) を指します。これら 4 文献は、届出書に添付の文献

23 : Gill PS, Harrington W Jr, Kaplan MH, et al: Treatment of adult T-cell leukemia-lymphoma with a combination of interferon alpha and zidovudine. New Engl J Med 332:1744-8, 1995. (文献 2)

24 : Hermine O, Allard I, Levy V, et al: A prospective phase II clinical trial with the use of zidovudine and interferon-alpha in the acute and lymphoma forms of adult T-cell leukemia/lymphoma. Hematol J 3:276-82, 2002. (文献 7)

25 : Matutes E, Taylor GP, Cavenagh J, et al: Interferon alpha and zidovudine therapy in adult T-cell leukaemia lymphoma: response and outcome in 15 patients. Br J Haematol 113:779-84, 2001. (文献 6)

26 : White JD, Wharfe G, Stewart DM, et al: The combination of zidovudine and interferon alpha-2B in the treatment of adult T-cell leukemia/lymphoma. Leuk Lymphoma. 40::287-94, 2001. (文献 5)

にそれぞれ該当しますので、届出書別紙 1(様式第 3 号) : p. 12 の記載を以下のように修正しました。

「IFN $\alpha$ /AZT 療法の既報(総数 83 例)で報告された上記以外の副作用(2, 5-7)」

10. 届出書別紙 1(様式第 3 号) : p. 15 の「6. 治療計画」「2) プロトコール治療」の投与レベルの表において、「day 8-112」, 「day113-」は、それぞれ、「day 8-84」, 「day 85-」の誤りであるようです。

【回答】

ご指摘ありがとうございました。

「day 8-112」, 「day113-」 → 「day 8-84」, 「day 85-」 と修正しました。

11. 届出書別紙1(様式第3号): p. 16-19の無イベント生存期間, 無急性転化生存期間, 無追加治療生存期間, 無全身療法生存期間の定義において, 「転院後に転院先の医療機関などで... 診断の根拠や記載された診療情報提供書を受け取り保管すること. 電話連絡のみは不可とする。」と記載されていますが, これらのデータは保管されるのみで, イベントとして活用されないのでしょうか. 活用されるとすれば, その旨を記載されると良いと考えます. 実施計画書も同様.

**【回答】**

ご指摘の箇所は、「転院後に転院先の医療機関などで無イベント生存期間のイベントについての情報が得られた場合は、診断の根拠が記載された診療情報提供書を受け取り保管すること。電話連絡のみは不可とする。」という文章かと存じます。この文章は文字通り「イベントについての情報」が得られた場合について記載しておりますので、イベントとしてカウントすることになります（修正なしとさせていただきます）。仮に死亡であった場合には、死亡診断書などの情報を元にイベントとします。

12. 申請資料の届出書の別紙1の様式第3号: p. 22の「15. 技術的成熟度」で「欧米伯」と記載されています。伯国(ブラジル)でも汎用されているということでしょうか。もしそうであれば, p. 8の「2-2. 海外での承認に関する情報」で承認状況を記述していただいた方がよいです。

**【回答】**

ご指摘の件ですが、申請医療機関 実施責任医師とブラジルの研究者 (Dr. Achiléia L. Bittencourt, ATLに関するコンセンサスレポート[6]の著者のひとり) との personal communication で、伯国 (ブラジル) でも IFN/AZT 療法が汎用されていることを把握しております。

しかし、今回ブラジルにおける正確な状況 (ATL に対する薬事承認および保険償還の有無) をお示しするのは時間的に難しいため、本届出書から記載を削除させていただきます。

## 先進医療審査の照会事項（伊藤構成員）に対する回答

先進医療技術名：成人T細胞白血病・リンパ腫に対するインターフェロン $\alpha$ /  
ジドブジン併用療法

2013年2月1日

JCOG1111 研究代表者（申請医療機関 実施責任医師）

国立がん研究センター東病院

血液腫瘍科 科長

塚崎 邦弘

JCOG1111 研究事務局

福岡大学 腫瘍・血液・感染症内科

石塚 賢治

JCOG1111 研究事務局

琉球大学医学部保健学科

病態検査学講座 血液免疫検査学分野

福島 卓也

1. リバビリン併用前のC型肝炎治療において、同じインターフェロン $\alpha$ であっても製品ごとに治療成績が異なっていたことが知られている。提出された文献データ上はイントロンAやロフェロンなど必ずしも同じインターフェロンが用いられているわけではなく、製品ごとの違いを論じることは困難だが、この試験ではイントロンの情報提供が得られないことを理由にスミフェロンが使われることになっており、投与量の設定も行われていない。疾患の重篤性やインターフェロン、AZTの豊富な安全性情報を鑑みると、スミフェロンを用いた用量設定、インターフェロンの製品ごとの差異などについての検討はどこまで必要か議論の余地があると思われるが、スミフェロンを用いたパイロット研究に基づいた治療成績に基づき保険診療の一步手前として多くの医療機関が参加可能な先進医療制度がなじむのではないかと思慮する。スミフェロンによる治療が他のインターフェロン製剤と同様であるとする治療成績があるのか（あるいは比較表など）を提示していただきたい。

## 【回答】

まず、ATLを含むすべての疾患においてスミフェロン<sup>®</sup>注DS（天然型IFN $\alpha$ ）の治療成績と他のインターフェロン $\alpha$ 製剤（遺伝子組み換え型IFN $\alpha$ ）の治療成績とを直接比較したデータがないため、製品ごとの差異はわかりません。

経験的に、また本邦で承認されている最大投与量も遺伝子組み換え型 IFN $\alpha$  1000 万単位に対して天然型 IFN $\alpha$  は 600 万単位であることから、遺伝子組み換え型 IFN $\alpha$  1000 万単位が天然型 IFN $\alpha$  600 万単位に相当し、有効性および安全性は同等であると考え、用法・用量を設定しました。

本試験でスミフェロン<sup>®</sup>注 DS を選択した理由は、available であることに加え、過去に ATL に対して天然型 IFN $\alpha$  の治験が実施されたことがあるためです。

この治験では、天然型 IFN $\alpha$  (600 万単位/日) 単剤の連日投与が行われましたが、適格例 31 名中、27 名に発熱 (41.9%)、全身倦怠感 (35.5%)、顆粒球減少 (38.7%)、血小板減少 (38.7%) 等の副作用が認められたものの、重篤な有害反応は認められず、27 名中 21 名は有害反応出現後も投与継続が可能であったと報告されております (1)。

さらに本試験では、安全性の担保のため、プロトコール治療開始後少なくとも 10 日間は入院治療とし、退院後もプロトコール治療開始後 12 週目までは 2 週毎に受診することで、毒性が出現した場合に迅速に対応できる設定としております。

以上の理由から、安全性に十分注意しつつ本試験の実施は可能であると考えています。

2. 参加施設を拡大する際に十分な実績がある施設で実施されるべきであり、様式第9号の実施責任医師の要件及び医療機関の要件を見直した方がいいのではないか (実施施設の要件を簡略化するなら施設での症例モニタリングを実施するか、少なくとも中央モニタリングで信頼性が担保できる施設に限定するなど)。

【回答】

実施責任医師の要件、医療機関の要件はどちらも本試験に参加の研究者 (各医療機関 実施責任医師、実施者) 間で検討を重ねたものであり、安全性に十分注意しつつ本試験の実施が可能な要件と考えています。

いずれの医療機関も十分な実績があるとは言えませんが、例えば、実施責任医師の要件の要件として設けた、

「当該技術の経験年数 不要：ただし研修を要する」

については、2012/11/5 に本試験のスタートアップミーティングを開催し、参加予定の実施責任医師および実施者向けに主に以下内容を周知いたしました。

- ・薬剤提供企業による各薬剤の使用上の注意
- ・薬剤使用経験のある研究者 (IFN $\alpha$  については血液内科医、AZT については感染症内科医) による投与方法や有害事象など注意すべき点



・皮膚科医による病変の評価方法について など

また、年2回グループ班会議（各医療機関 実施責任医師および実施者が参加）を開催していますので、その都度、進捗や安全性情報などを周知していきたいと考えております。

ご意見

-----  
実施施設の要件を簡略化するなら施設での症例モニタリングを実施するか、少なくとも中央モニタリングで信頼性が担保できる施設に限定するなど  
-----

-----  
に関しては、本試験を含む JCOG 試験では、試験が安全に、かつプロトコールに従って実施されているか、データが正確に収集されているかを確認する目的で、参加全医療機関に対して中央モニタリングを実施しており、年2回定期モニタリングレポートを発行しています。

定期モニタリングレポートは、前述のグループ班会議で配付し、レポートで指摘された問題点の改善に努めています。また、重篤な有害事象が発生した場合など早急な周知が必要な場合には、メーリングリストで対応しています。さらに JCOG 試験では結果の信頼性を確保するため、質的向上を目的とした、参加医療機関施設等に対する訪問監査を実施しています。

以上の理由から、様式第9号に定めた要件で本試験の実施が可能と考えております。修正せずにそのままの記載にさせていただきたいと存じます。

平成 25 年 2 月 7 日

B004 「成人T細胞白血病・リンパ腫に対するインターフェロン $\alpha$ /ジドブジン併用療法」（独立行政法人国立がん研究センター東病院）について実施体制に係るコメント

佐藤 雄一郎

本日の先進医療技術審査部会を欠席させていただきますので、書面にて、倫理的観点からコメントを提出させていただきます。

4. 同意に係る手続き、同意文書

5. 補償内容

について、全て「適」と判断いたします。

説明同意文書は患者相談等の説明も含めて、適切です。副作用に対する金銭補償はないが、一定の効果が期待される反面での副作用であるので、許容されるものと判断いたしました。

以上

平成 25 年 2 月 7 日

B004「成人T細胞白血病・リンパ腫に対するインターフェロン $\alpha$ /ジドブジン併用療法」（独立行政法人国立がん研究センター東病院）について実施体制に係るコメント

村田 満

本日の先進医療技術審査部会を欠席させていただきますので、書面にて、実施体制に係るコメントを提出させていただきます。

1. 実施責任医師等の体制
2. 実施医療機関の体制
3. 医療技術の有用性等

について、全て「適」と判断いたします。

実施責任医師等の体制と実施医療機関の体制については、特に問題ありません。また、医療技術の有用性については、ランダム化比較試験がこれから行われるので現時点では不明ですが、この試験を行うことの意義は過去のデータから明らかと判断いたします。

以上



# 薬事承認申請までのロードマップ

欧米での現状 海外での後ろ向き調査で少数例に明らかな有効性が報告されている  
 薬事承認: 米国(有・無) 欧州(有・無)  
 ガイドライン記載: (有・無) 進行中の臨床試験(有・無)  
 →米国NCCNガイドライン  
 くすぶり型・慢性型・急性型ATLに対する初回治療と維持投与(category 2A)

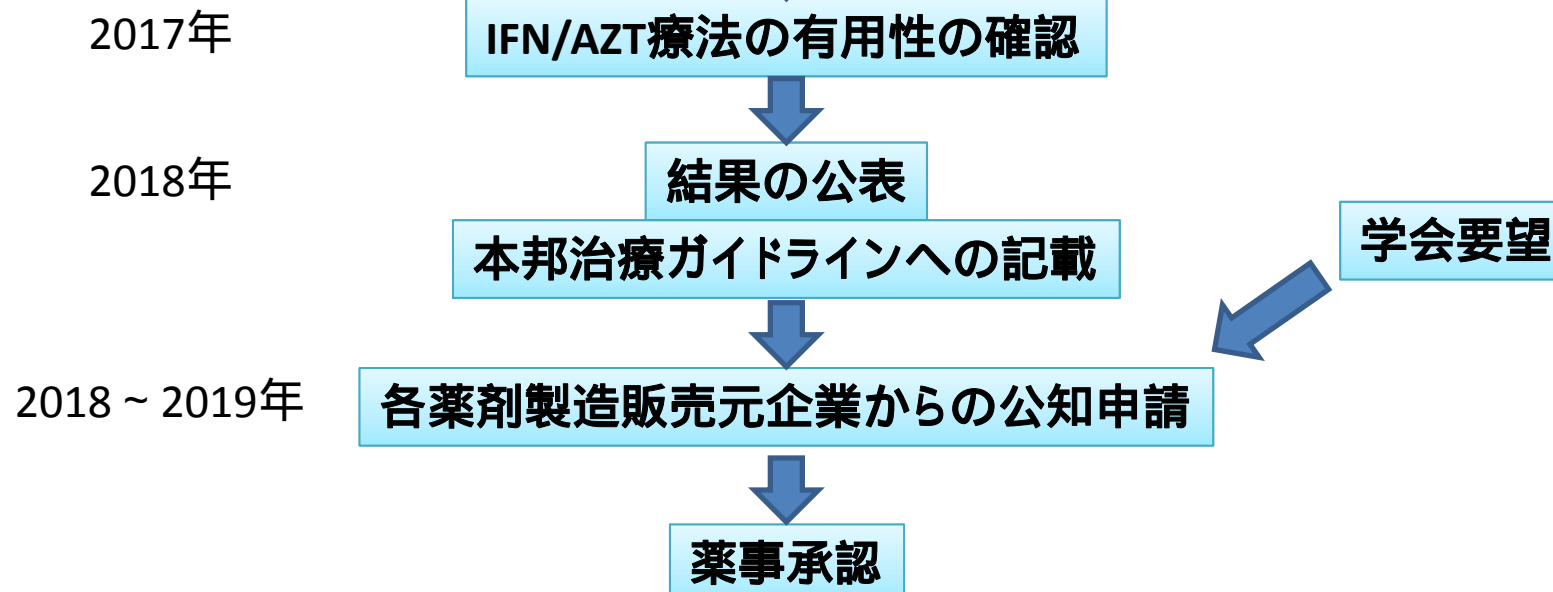
## 先進医療B下第 相試験

成人T細胞白血病・リンパ腫に対するインターフェロンα/ジドブジン併用療法と  
 Watchful Wating療法のランダム化比較試験

主要評価項目: 無イベント生存期間

副次的評価項目: 全生存期間、無全身療法生存期間、無追加治療生存期間、奏効割合、有害事象発生割合

登録期間: 3年 追跡期間: 登録終了後2年 総研究期間: 5年 (2012年~2017年)



## 追加協力医療機関について

番号	先進医療名	適応症	承認状況	受付日	申請医療機関	追加協力医療機関
020	パクリタキセル静脈内投与（一週間に一回投与するものに限る。）及びカルボプラチン腹腔内投与（三週間に一回投与するものに限る。）の併用療法	上皮性卵巣がん、卵管がん又は原発性腹膜がん	適応外医薬品	H25. 1. 29	埼玉医科大学国際医療センター	<ul style="list-style-type: none"><li>・静岡県立静岡がんセンター</li><li>・信州大学医学部附属病院</li><li>・鳥取大学医学部附属病院</li></ul>
033	術後のホルモン療法及びS-1内服投与の併用療法	原発性乳がん（エストロゲン受容体が陽性であって、HER2が陰性のものに限る。）	適応外医薬品	H25. 1. 30	京都大学医学部附属病院	<ul style="list-style-type: none"><li>・東北大学病院</li><li>・静岡県立静岡がんセンター</li><li>・大阪大学医学部附属病院</li><li>・医療法人啓明会 相原病院</li></ul>

## 平成 24 年度の定期報告について

- 先進医療 A 及び先進医療 B として実施されている技術の定期報告については、毎年 1 回行うこととしており、年間実施件数が著しく少ない技術等については、必要があれば事務局はその要因等を確認し、実施医療機関に実施体制やプロトコルの見直しの提案等を含めた指摘を行うこととされている（先-3（参考）参照）。
- 事務局がとりまとめた平成 24 年度の定期報告（平成 23 年 7 月 1 日～平成 24 年 6 月 30 日の実績報告）については、別添（先-3-2）の通りとなっている。
- このうち、先進医療 A については、平成 25 年 1 月 16 日の第 3 回先進医療会議にて別添（先-3-1）のとおり報告している。
- 先進医療 B の技術のうち、以下に掲載する技術に係る今後の対応について、本日、先進医療技術審査部会において確認することとする。

1. 先進医療 B のうち、1 年間の実施件数が 0 件である技術

告示番号 4：胎児尿路・羊水腔シャント術

告示番号 5：筋過緊張に対する筋知覚神経ブロック治療

告示番号 15：ラジオ波焼灼システムを用いた腹腔鏡補助下肝切除術

告示番号 19：経カテーテル大動脈弁留置術

告示番号 30：重症低血糖発作を伴うインスリン依存性糖尿病に対する心停止ドナーからの膵島移植

告示番号 40：ゾレドロン酸誘導  $\gamma\delta$ T 細胞を用いた免疫療法

**【今後の対応案】**

医療機関に対して、1 年間の実施件数が 0 件である理由、平成 24 年 7 月～平成 24 年 12 月末までの実績及び今後の方針について確認する。その結果は、次回の先進医療技術審査部会に報告する予定。

2. 先進医療 B のうち、平成 19 年度以前からある技術

告示番号 1：頸部内視鏡手術 甲状腺濾胞腺腫、腺腫様甲状腺腫、バセドウ病又は原発性上皮小体機能亢進症

告示番号 3：化学療法に伴うカフェイン併用療法 悪性骨腫瘍又は悪性軟部腫瘍

告示番号 4：胎児尿路・羊水腔シャント術

告示番号 5：筋過緊張に対する筋知覚神経ブロック治療

告示番号 6：経皮的肺がんラジオ波焼灼療法 原発性又は転移性肺がん（切除が困難なものに限る。）

告示番号 7：経皮的乳がんラジオ波焼灼療法 早期乳がん

→ 【平成 24 年 12 月に先進医療技術審査部会で新しい先進医療実施計画等を審査】

第3回先進医療技術審査部会	資料3
平成 25 年2月7日	

告示番号 8 : 経皮的腎がんラジオ波焼灼療法 原発性又は転移性腎がん（切除が困難なものに限る。）

告示番号 9 : 内視鏡下甲状腺切除術 甲状腺乳頭癌

告示番号 10 : C T透視ガイド下経皮的骨腫瘍ラジオ波焼灼療法 転移性骨腫瘍（既存の治療法により制御不良なものに限る。）又は類骨腫（診断が確定したものに限る。）

→ 【平成 24 年 10 月に告示から削除】

告示番号 12 : 胎児胸腔・羊水腔シャントチューブ留置術 原発性胎児胸水又は肺分画症による続発性胎児胸水（胎児水腫又は羊水過多であって、胸腔穿刺後に速やかな胸水の再貯蓄が認められるもの（妊娠二十週以上三十四週未満のものに限る。）に限る。）

→ 【保険収載されたため、平成 24 年 6 月に告示から削除】

告示番号 13 : 腹腔鏡下センチネルリンパ節生検 早期胃がん

告示番号 14 : 副甲状腺内活性型ビタミンDアナログ直接注入療法 二次性副甲状腺機能亢進症（維持透析を行っているものに限る。）

告示番号 15 : ラジオ波焼灼システムを用いた腹腔鏡補助下肝切除術 原発性若しくは転移性肝がん又は肝良性腫瘍

→ 【平成 24 年 6 月に先進医療実施計画を変更】

【対応中】

現在、医療機関に対して、今後の方針について確認を行っている。その結果は、とりまとめ次第、先進医療技術審査部会に報告する予定。



## 平成 24 年度の定期報告について（案）

- 先進医療 A 及び先進医療 B として実施されている技術の定期報告については、毎年 1 回行うこととしており、年間実施件数が著しく少ない技術等については、必要があれば事務局はその要因等を確認し、実施医療機関に実施体制やプロトコルの見直しの提案等を含めた指摘を行うこととされている（先-3（参考）参照）。
- 事務局がとりまとめた平成 24 年度の定期報告（平成 23 年 7 月 1 日～平成 24 年 6 月 30 日の実績報告）については、別添（先-3-2）の通りとなっている。
- 先進医療 A の報告内容については、本日、本会議において確認することとし、先進医療 B の報告内容については、後日、技術審査部会において確認し、結果を本会議へ報告することとする。

## （参考）

先進医療 A のうち、年間実施件数が 0 件である技術

- (1) 告示番号 4：造血器腫瘍細胞における薬剤耐性遺伝子産物 P 糖蛋白の測定
- (2) 告示番号 9：成長障害の遺伝子診断
- (3) 告示番号 12：ミトコンドリア病の遺伝子診断
- (4) 告示番号 21：Q 熱診断における血清抗体価測定及び病原体遺伝子検査
- (5) 告示番号 23：腹腔鏡下膀胱尿管逆流防止術
- (6) 告示番号 38：フェニルケトン尿症の遺伝子診断
- (7) 告示番号 39：培養細胞によるライソゾーム病の診断
- (8) 告示番号 41：培養細胞による脂肪酸代謝異常症又は有機酸代謝異常症の診断
- (9) 告示番号 49：網膜芽細胞腫の遺伝子診断
- (10) 告示番号 55：急性リンパ性白血病細胞の免疫遺伝子再構成を利用した定量的 PCR 法による骨髄微小残存病変（MRD）量の測定
- (11) 告示番号 59：短腸症候群又は不可逆的な機能性小腸不全に対する生体ドナーからの小腸部分移植
- (12) 告示番号 60：自家嗅粘膜移植による脊髄再生治療

# 平成24年6月30日時点で実施されていた先進医療の実績報告について

平成24年度（平成23年7月1日～平成24年6月30日）実績報告より

先 - 3 - 2  
25. 1. 16

	第2項先進医療 (先進医療A)	第3項先進医療 (先進医療B)	計
① 先進医療技術数（平成24年6月30日現在）	63種類	39種類	102種類
② 実施医療機関数（平成24年6月30日現在）	434施設 <sup>※1</sup>	119施設 <sup>※1</sup>	553施設 <sup>※2</sup>
③ 全患者数	13,739人	740人	14,479人
④ 総金額（⑤+⑥）	約134.5億円	約11.4億円	約145.9億円
⑤ 保険外併用療養費の総額（保険診療分）	約36.8億円	約9.1億円	約45.9億円
⑥ 先進医療費用の総額	約97.7億円	約2.3億円	約100億円
⑦ 1入院全医療費のうち先進医療分の割合（⑥ / ④）	72.6%	20.2%	68.5%

※1 1施設で複数の先進医療技術を実施している場合でも、1施設として計上している。

※2 1施設で第2項先進医療(先進医療A)と第3項先進医療(先進医療B)の両方を実施している場合でも、1施設として計上している。

< 過去5年間の実績 >

	実績報告 対象期間	技術数	実施医療 機関数	全患者数	総金額	保険外併用療養 費の総額 (保険診療分)	先進医療の総 額	1入院全医療費のう ち先進医療の割合
平成20年6月30日時点で実施され ていた先進医療の実績 <sup>※1、2</sup>	H19.7.1～H20.6.30	91	448施設	9,579人	約102億円	約54億円	約47億円	46.5%
平成21年6月30日時点で実施され ていた先進医療の実績	H20.7.1～H21.6.30	107	519施設	20,013人	約173億円	約107億円	約65億円	37.8%
平成22年6月30日時点で実施され ていた先進医療の実績 <sup>※3</sup>	H21.7.1～H22.6.30	110	488施設	9,775人	約132億円	約54億円	約78億円	59.0%
平成23年6月30日時点で実施され ていた先進医療の実績	H22.7.1～H23.6.30	123	522施設	14,505人	約173億円	約75億円	約98億円	56.5%
平成24年6月30日時点で実施され ていた先進医療の実績 <sup>※4</sup>	H23.7.1～H24.6.30	102	553施設	14,479人	約146億円	約46億円	約100億円	68.5%

※1 平成20年度診療報酬改定の際、一部の技術が保険導入又は廃止されたことに留意する必要がある。

※2 第3項先進医療制度が平成20年4月に創設されたため、それ以降は第2項先進医療と第3項先進医療の合計値となる。

※3 平成22年度診療報酬改定の際、一部の技術が保険導入又は廃止されたことに留意する必要がある。

※4 平成24年度診療報酬改定の際、一部の技術が保険導入又は廃止されたことに留意する必要がある。

平成24年6月30日時点における  
第2項先進医療技術(先進医療A)に係る費用

先-3-2  
(参考資料 1)  
25. 1. 16

平成24年度実績報告(平成23年7月1日～平成24年6月30日)

整理番号	技術名	適用年月日	総合計(円)	先進医療総額(円)	平均入院期間(日)	年間実施件数(件)
1	高周波切除器を用いた子宮腺筋症核出術	平17. 10. 1	115,634,653	34,188,883	11.5	154
2	膝靭帯再建手術における画像支援ナビゲーション	平17. 12. 1	77,851,642	2,536,000	16.0	59
3	凍結保存同種組織を用いた外科治療	平18. 1. 1	360,034,122	31,910,826	63.5	41
4	造血管腫瘍細胞における薬剤耐性遺伝子産物P糖蛋白の測定	平8. 12. 1	-	-	-	-
5	悪性高熱症診断法(スキンドファイバー法)	平9. 7. 1	1,594,410	1,551,200	-	10
6	先天性血液凝固異常症の遺伝子診断	平10. 10. 1	83,970	77,400	-	2
7	三次元形状解析による体表の形態的診断	平11. 9. 1	24,468,670	697,400	14.4	22
8	陽子線治療	平13. 7. 1	4,867,483,786	4,200,541,000	18.3	1,628
9	成長障害の遺伝子診断	平13. 3. 1	-	-	-	-
10	経頸静脈肝内門脈大循環短絡術	平15. 4. 1	34,580,934	6,276,680	44.6	14
11	骨髄細胞移植による血管新生療法	平15. 7. 1	62,272,587	8,846,929	34.4	26
12	ミトコンドリア病の遺伝子診断	平15. 9. 1	-	-	-	-
13	神経変性疾患の遺伝子診断	平15. 9. 1	5,788,000	496,000	5.3	30
14	難治性眼疾患に対する羊膜移植術	平15. 11. 1	78,390,981	9,671,027	12.4	139
15	重粒子線治療	平15. 11. 1	3,481,414,285	3,148,618,000	21.4	1,053
16	硬膜外腔内視鏡による難治性腰下肢痛の治療	平16. 8. 1	23,804,290	9,446,645	6.7	60
17	重症BCG副反応症例における遺伝子診断	平16. 8. 1	9,526,580	30,000	120.0	1
18	自家液体窒素処理骨移植	平16. 11. 1	34,669,680	528,800	197.0	5
19	マントル細胞リンパ腫の遺伝子検査	平16. 11. 1	780,200	306,000	-	10
20	抗悪性腫瘍剤治療における薬剤耐性遺伝子検査	平16. 11. 1	185,276,536	1,677,100	73.5	40
21	Q熱診断における血清抗体価測定及び病原体遺伝子検査	平16. 11. 1	-	-	-	-
22	家族性アルツハイマー病の遺伝子診断	平16. 12. 1	155,130	124,800	-	2
23	腹腔鏡下膀胱尿管逆流防止術	平16. 12. 1	-	-	-	-
24	泌尿生殖器腫瘍後腹膜リンパ節転移に対する腹腔鏡下リンパ節郭清術	平17. 2. 1	7,928,198	2,995,300	14.6	7
25	末梢血幹細胞による血管再生治療	平17. 6. 1	30,314,059	5,622,767	22.7	26
26	末梢血単核球移植による血管再生治療	平17. 6. 1	42,893,718	6,792,370	50.5	22
27	CYP2C19遺伝子多型検査に基づくテラーメイドのヘリコバクター・ピロリ除菌療法	平19. 4. 1	1,245,240	379,600	-	32
28	非生体ドナーから採取された同種骨・靭帯組織の凍結保存	平19. 4. 1	335,907,126	25,125,240	38.7	96
29	X線CT画像診断に基づく手術用顕微鏡を用いた歯根端切除手術	平19. 4. 1	3,505,950	2,943,300	-	42
30	定量的CTを用いた有限要素法による骨強度予測評価	平19. 6. 1	22,341,453	1,566,000	9.2	85
31	歯周外科治療におけるバイオ・リジェネレーション法	平19. 10. 1	21,553,725	15,126,255	-	263

整理番号	技術名	適用年月日	総合計 (円)	先進医療総額 (円)	平均 入院期間 (日)	年間 実施件数 (件)
32	セメント固定人工股関節再置換術におけるコンピュータ支援フルオロナビゲーションを用いたセメント除去術	平19. 11. 1	2,159,030	118,000	13.0	1
33	樹状細胞及び腫瘍抗原ペプチドを用いたがんワクチン療法	平17. 2. 1	23,026,276	17,456,200	2.3	32
34	自己腫瘍・組織を用いた活性化自己リンパ球移入療法	平10. 2. 1	58,364,070	40,870,650	17.7	32
35	自己腫瘍・組織及び樹状細胞を用いた活性化自己リンパ球移入療法	平8. 11. 1	117,826,584	62,452,000	4.4	166
36	EBウイルス感染症迅速診断(リアルタイムPCR法)	平20. 2. 1	536,396,292	744,600	123.3	62
37	多焦点眼内レンズを用いた水晶体再建術	平20. 7. 1	2,262,521,683	2,019,278,857	1.4	4,023
38	フェニルケトン尿症の遺伝子診断	平20. 7. 1	-	-	-	-
39	培養細胞によるライソゾーム病の診断	平20. 7. 1	-	-	-	-
40	腹腔鏡下子宮体がん根治手術	平20. 7. 1	57,206,330	27,519,839	10.9	60
41	培養細胞による脂肪酸代謝異常症又は有機酸代謝異常症の診断	平20. 8. 1	-	-	-	-
42	RET遺伝子診断	平20. 9. 1	7,249,164	1,562,970	6.1	16
43	角膜ジストロフィーの遺伝子解析	平20. 12. 1	294,020	230,400	-	10
44	光トポグラフィー検査を用いたうつ症状の鑑別診断補助	平21. 4. 1	116,844,902	15,119,000	3.4	1,237
45	内視鏡下筋膜下不全穿通枝切離術	平21. 5. 1	48,973,962	8,975,786	14.3	78
46	歯科用CAD・CAMシステムを用いたハイブリッドレジンによる歯冠補綴	平21. 5. 1	1,003,270	857,720	-	35
47	実物大臓器立体モデルによる手術支援	平21. 7. 1	165,576,542	14,590,439	19.1	100
48	単純疱疹ウイルス感染症又は水痘帯状疱疹ウイルス感染迅速診断(リアルタイムPCR法)	平21. 9. 1	7,388,350	226,330	15.8	12
49	網膜芽細胞腫の遺伝子診断	平21. 11. 1	-	-	-	-
50	胸腔鏡下動脈管開存症手術	平22. 1. 1	12,880,750	756,000	10.0	9
51	腹腔鏡下スリーブ状胃切除術	平22. 1. 1	46,120,564	13,296,100	21.7	33
52	IL28Bの遺伝子診断によるインターフェロン治療効果の予測評価	平22. 8. 1	14,174,510	6,605,600	0.0	351
53	前眼部三次元画像解析	平23. 2. 1	117,937,360	13,752,072	0.5	3,593
54	有床義歯補綴治療における総合的咬合・咀嚼機能検査	平23. 3. 1	55,640	48,700	-	11
55	急性リンパ性白血病細胞の免疫遺伝子再構成を利用した定量的PCR法による骨髄微小残存病変(MRD)量の測定	平23. 7. 1	-	-	-	-
56	最小侵襲椎体椎間板搔爬洗浄術	平23. 7. 1	4,136,299	669,600	29.7	3
57	短腸症候群又は不可逆的な機能性小腸不全に対する脳死ドナーからの小腸移植	平23. 8. 1	6,197,760	1,228,600	158.0	1
58	多血小板血漿を用いた難治性皮膚潰瘍の治療	平23. 10. 1	8,355,522	334,500	64.7	3
59	短腸症候群又は不可逆的な機能性小腸不全に対する生体ドナーからの小腸部分移植	平23. 10. 1	-	-	-	-
60	自家嗅粘膜移植による脊髄再生治療	平23. 11. 1	-	-	-	-
61	デキストラン硫酸を用いた吸着型血漿浄化器を使用した血漿交換療法	平24. 4. 1	-	-	-	-
62	腹腔鏡下仙骨腔固定術	平24. 4. 1	2,816,960	534,000	20.0	2
63	硬膜外自家血注入療法	平24. 6. 1				
<b>合 計</b>			13,447,005,765	9,765,303,485		13,739

※未実施により実績報告がないものは「-」としている。

※整理番号63「硬膜外自家血注入療法」については、実施医療機関の適用開始日が平成24年7月1日のため、実績報告を求めている。

平成24年6月30日時点における  
第3項先進医療技術(先進医療B)に係る費用

平成24年度実績報告(平成23年7月1日～平成24年6月30日)

先-3-2  
(参考資料 2)  
25. 1. 16

整理番号	技術名	適用年月日	総合計(円)	先進医療総額(円)	平均入院期間(日)	年間実施件数(件)
1	頸部内視鏡手術 甲状腺濾胞腺腫、腺腫様甲状腺腫、パセドウ病又は原発性上皮小体機能亢進症	平11. 6. 1	30,147,398	7,499,398	6.3	61
2	経皮的骨形成術 有痛性悪性骨腫瘍	削除				
3	化学療法に伴うカフェイン併用療法 悪性骨腫瘍又は悪性軟部腫瘍	平16. 1. 1	270,860,775	5,945,700	118.5	53
4	胎児尿路・羊水腔シャント術 胎児閉塞性尿路疾患	平16. 12. 1	-	-	-	-
5	筋過緊張に対する筋覚神経ブロック治療 ジストニア、痙性麻痺その他の局所の筋過緊張を呈するもの	平16. 11. 1	-	-	-	-
6	経皮的肺がんラジオ波焼灼療法 原発性又は転移性肺がん(切除が困難なものに限る。)	平16. 12. 1	56,073,930	16,043,100	13.4	77
7	経皮的乳がんラジオ波焼灼療法 早期乳がん	平16. 12. 1	11,542,720	3,181,000	6.6	21
8	経皮的腎がんラジオ波焼灼療法 原発性又は転移性腎がん(切除が困難なものに限る。)	平16. 12. 1	9,611,096	2,444,558	8.0	20
9	内視鏡下甲状腺切除術 甲状腺乳頭癌	平17. 2. 1	6,985,506	1,961,400	6.9	14
10	CT透視ガイド下経皮的骨腫瘍ラジオ波焼灼療法 転移性骨腫瘍(既存の治療法により制御不良なものに限る。 )又は類骨腫(診断が確定したものに限る。)	平17. 2. 1	17,439,528	813,000	12.3	4
11	下肢静脈瘤に対する血管内レーザー治療法	削除				
12	胎児胸腔・羊水腔シャントチューブ留置術 原発性胎児胸水又は肺分画症による続発性胎児胸水(胎児水腫又は羊水過多であって、胸腔穿刺後に速やかな胸水の再貯蓄が認められるもの(妊娠二十週以上三十四週未満のものに限る。))に限る。)	平17. 4. 1	16,489,847	1,736,671	23.9	17
13	腹腔鏡下センチネルリンパ節生検 早期胃がん	平17. 4. 1	26,076,864	830,180	27.5	13
14	副甲状腺内活性型ビタミンDアナログ直接注入療法 二次性副甲状腺機能亢進症(維持透析を行っているものに限る。)	平17. 6. 1	454,312	107,820	7.0	1
15	ラジオ波焼灼システムを用いた腹腔鏡補助下肝切除術 原発性若しくは転移性肝がん又は肝良性腫瘍	平17. 9. 1	-	-	-	-
16	根治的前立腺全摘除術における内視鏡下手術用ロボット支援前立腺がん	平21. 1. 1	107,930,822	31,591,500	16.6	79
17	内視鏡下手術用ロボットを用いた冠動脈バイパス手術(一箇所のみを吻合するものに限る。 ) 虚血性心疾患	平21. 8. 1	17,251,436	5,028,000	20.5	6
18	パクリタキセル腹腔内投与及び静脈内投与並びにS-1内服併用療法 腹膜播種又は進行性胃がん(腹水細胞診又は腹腔洗浄細胞診により遊離がん細胞を認めるものに限る。)	平21. 12. 1	70,027,316	9,510,250	10.4	46
19	経カテーテル大動脈弁留置術 重度大動脈弁狭窄症(弁尖の硬化変性に起因するものに限る。)	平22. 4. 1	-	-	-	-
20	パクリタキセル静脈内投与(一週間に一回投与するものに限る。 )及びカルボプラチン腹腔内投与(三週間に一回投与するものに限る。 )の併用療法 上皮性卵巣がん、卵管がん又は原発性腹膜がん	平22. 5. 1	167,350,416	34,650,638	40.6	89
21	パクリタキセル静脈内投与、カルボプラチン静脈内投与及びペバシズマブ静脈内投与の併用療法(これらを三週間に一回投与するものに限る。 )並びにペバシズマブ静脈内投与(三週間に一回投与するものに限る。 )による維持療法 再発卵巣がん、卵管がん又は原発性腹膜がん	平22. 5. 1	67,030,222	49,797,567	24.1	16
22	蛍光膀胱鏡を用いた5-アミノレブリン酸溶液の経口投与又は経尿道投与による膀胱がんの光学的診断 筋層非浸潤性膀胱がん	平22. 6. 1	26,331,016	2,266,000	7.8	56
23	十二種類の腫瘍抗原ペプチドによるテーラーメイドのがんワクチン療法 ホルモン不応性再発前立腺がん(ドセタキセルの投与が困難な者であって、HLA-A24が陽性であるものに限る。)	平22. 6. 1	11,367,145	9,206,200	-	15
24	パクリタキセル腹腔内反復投与療法 胃切除後の進行性胃がん(腹膜に転移しているもの、腹腔洗浄細胞診が陽性であるもの又はステージⅡ若しくはⅢであって肉眼型分類が3型(長径が八センチメートル以上のものに限る。 )若しくは4型であるものに限る。)	平22. 7. 1	21,832,426	508,800	24.8	10

整理番号	技術名	適用年月日	総合計(円)	先進医療総額(円)	平均入院期間(日)	年間実施件数(件)
25	生体内吸収性高分子担体を用いた塩基性線維芽細胞増殖因子による血管新生療法 慢性閉塞性動脈硬化症又はパージャージャー病(いずれも従来の治療法による治療が困難なものに限る。)	平22. 7. 1	13,874,426	6,810,000	42.5	6
26	経胎盤的抗不整脈薬投与療法 胎児頻脈性不整脈(胎児の心拍数が毎分百八十以上で持続する心房粗動又は上室性頻拍に限る。)	平22. 7. 1	4,271,272	63,904	28.0	3
27	低出力体外衝撃波治療法 虚血性心疾患(薬物療法に対して抵抗性を有するものであって、経皮的冠動脈形成術又は冠動脈バイパス手術による治療が困難なものに限る。)	平22. 7. 1	11,494,610	1,593,000	21.5	6
28	残存聴力活用型人工内耳挿入術 両側性感音難聴(高音障害急墜型又は高音障害漸傾型の聴力像を呈するものに限る。)	平22. 8. 1	6,671,860	850,500	16.1	11
29	脂肪萎縮症に対するレプチン補充療法 脂肪萎縮症	平22. 8. 1	1,812,370	1,115,150	0.3	15
30	重症低血糖発作を伴うインスリン依存性糖尿病に対する心停止ドナーからの膵島移植 重症低血糖発作を伴うインスリン依存性糖尿病	平22. 11. 1	-	-	-	-
31	転移性又は再発の腎細胞がんに対するピロリン酸モノエステル誘導γδT細胞及び含窒素ビスホスホン酸を用いた免疫療法 サイトカイン不応性の転移性又は再発の腎細胞がん	平22. 11. 1	7,864,420	3,565,910	-	4
32	神経症状を呈する脳放射線壊死に対する核医学診断及びペバンズマブ静脈内投与療法 神経症状を呈する脳放射線壊死(脳腫瘍又は隣接する組織の腫瘍に対する放射線治療後のものに限る。)	平23. 4. 1	52,742,357	20,539,159	25.9	31
33	術後のホルモン療法及びS-1内服投与の併用療法 原発性乳がん(エストロゲン受容体が陽性であって、HER2が陰性のものに限る。)	平23. 4. 1	284,687	241,697	-	3
34	血液透析併用バルーン塞栓動脈内抗がん剤投与及び放射線治療の併用療法 局所浸潤性膀胱がん(尿路上皮がんを組織型とするものであって、従来の治療法による治療が困難なものに限る。)	平23. 7. 1	47,889,442	5,400,000	34.2	30
35	急性心筋梗塞に対するエポエチンベータ投与療法 急性心筋梗塞(再灌流療法の成功したものに限る。)	平23. 8. 1	39,524,430	986,435	12.4	20
36	ボルテゾミブ静脈内投与、メルフェラン経口投与及びデキサメタゾン経口投与の併用療法 原発性ALアミロイドーシス	平23. 10. 1	9,827,481	2,789,091	86.7	3
37	培養骨髄細胞移植による骨延長術 骨系統疾患(低身長又は下肢長不等である者に係るものに限る。)	平23. 11. 1	6,223,090	721,800	47.0	2
38	NKT細胞を用いた免疫療法 肺がん(小細胞肺がんを除き、切除が困難な進行性のもの又は術後に再発したものであって、化学療法が行われたものに限る。)	平23. 12. 1	3,969,850	3,597,000	2.7	3
39	ペメトレキセド静脈内投与及びシスプラチン静脈内投与の併用療法 肺がん(扁平上皮肺がん及び小細胞肺がんを除き、病理学的見地から完全に切除されたと判断されるものに限る。)	平23. 12. 1	3,551,311	779,001	21.2	5
40	ゾレドロン酸誘導γδT細胞を用いた免疫療法 非小細胞肺がん(従来の治療法に抵抗性を有するものに限る。)	平24. 6. 1	-	-	-	-
合 計			1,144,804,381	232,174,429		740

※未実施により実績報告がないものは「-」としている。

## 先進医療として実施されている技術の報告とその評価について（一部抜粋）

## ○ 定期報告（毎年1回）

## 【対象技術】

先進医療 A 及び B の全ての技術

## 【方法】

- ・ 医療機関は、前年7月1日から当該年の6月30日までの実施状況を当該年8月末までに報告する。
- ・ 各技術の報告内容は、事務局の取りまとめを元に、年間実施件数、1件当たり医療費等について確認する。なお、先進医療 A については、本会議において確認することとし、先進医療 B については、技術審査部会において確認した後、結果を本会議へ報告することとする。
- ・ 年間実施件数が著しく少ない技術等については、必要があれば事務局はその要因等を確認し、実施医療機関に実施体制やプロトコルの見直しの提案等を含めた指摘を行う。
- ・ 結果については、中医協へ報告する。



## 先進医療会議の審査結果について

別紙5

(別添様式第3-1号)

高度医療の名称	自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植術
適応症	
角膜上皮幹細胞疲弊症	
内容	<p>(先進性)</p> <p>従来の角膜移植で根治させることが困難である角膜上皮幹細胞疲弊症の視力回復が長期的に得られ、また自家移植であるため、免疫抑制剤の投与が不要になる。</p> <p>(概要)</p> <p>本方法は、患者本人の口腔粘膜組織を採取し単離した上皮細胞を、温度応答性培養皿状で約2週間培養し、培養上皮細胞シートを作製する。角膜表面から結膜癒痕組織を外科的に除去した後、この細胞シートを露出させた角膜実質に縫合する。</p> <p>これにより、角膜表面は上皮組織により完全に再建され、角膜の透明性が回復し、視力回復が長期的に得られる事が期待できる。</p> <p>(効果)</p> <p>従来の角膜移植では根治が困難である疾患に対し、視力回復が長期的に得られ、拒絶反応が回避できるため、免疫抑制剤の投与も不要となる。</p> <p>(高度医療に係る費用)</p> <p>先進医療に係る費用1,939,998円のうち、患者負担は550,000とし、差額は校費もしくは研究費で支払う。</p>
申請医療機関	大阪大学医学部附属病院
協力医療機関	なし

## 【別添】「自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植術」の被験者の適格基準及び選定方法（申請書類より抜粋）

角膜上皮幹細胞疲弊症の患者で、同意取得時に以下に挙げたすべての項目を満たす患者を対象とする。

- 1) 対象眼が全周に及び角膜上皮幹細胞が疲弊している患者
- 2) 対象眼の角膜表面全体が結膜組織で被覆されている患者
- 3) 同意取得時年齢が20歳以上の男女
- 4) 被験者本人の書面による同意が得られている患者

### 除外基準

- 1) 妊娠あるいは妊娠している可能性のある患者、及び授乳中の患者
- 2) 感染症（HBV、HCV、HIV、HTLV-1）に罹患している患者
- 3) 治療に抵抗する極端な涙液減少症の患者
- 4) 採取部位の口腔粘膜に明らかな癒痕化がある、或いは炎症所見があり採取が不可能な患者
- 5) 活動状態（PS\*）のScoreが3以上のもの
- 6) その他、合併症等のため、担当医師が不相当と判断した患者

\*注釈）PS（Performance Status）：Common Toxicity Criteria, Version 2.0 Publish Date April 30, 1999の規定する

PS Score:	0	全く問題なく活動できる。
	1	肉体的に激しい活動は制限されるが、歩行可能で、軽作業や座っての作業は行うことができる。（例：軽い家事、事務作業）
	2	歩行可能で自分の身の回りのことはすべて可能だが作業はできない。（日中の50%以上はベッド外で過ごす）
	3	限られた自分の回りのことしかできない。日中の50%以上をベッドか椅子で過ごす。
	4	全く動けない。自分の身の回りのことは全くできない。完全にベッドか椅子で過ごす。

### 選定方法

角膜上皮幹細胞疲弊症の患者が、本治療法を希望されれば、選定基準のすべてを満たし、除外基準のすべてを満たさないことが確認してうえで、文章による説明同意を得て対象患者として選定する。

評価者 構成員： 北村 惣一郎

技術委員：

先進技術としての適格性

先進医療 の名称	自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植術
社会的妥当性 (社会的倫理 的問題等)	<p>Ⓐ. 倫理的問題等はない。</p> <p>B. 倫理的問題等がある。</p>
現時点での 普及性	<p>A. 罹患率、有病率から勘案して、かなり普及している。</p> <p>B. 罹患率、有病率から勘案して、ある程度普及している。</p> <p>Ⓒ. 罹患率、有病率から勘案して、普及していない。</p>
効率性	<p>既に保険導入されている医療技術に比較して、</p> <p>Ⓐ. 大幅に効率的。</p> <p>B. やや効率的。</p> <p>C. 効率性は同程度又は劣る。</p>
将来の保険収 載の必要性	<p>Ⓐ. 将来的に保険収載を行うことが妥当。なお、保険導入等の評価に際しては、以下の事項について検討する必要がある。</p> <p style="text-align: center;">〔患者個人からの口腔粘膜の培養をプロトコールを遵守して行える施設のみで行う施設限定の保険医療とするか、CPC など細胞培養過程の GMP 対応可能企業が成立するか見極める必要がある。〕</p> <p>B. 将来的に保険収載を行うべきでない。</p>
総 評	<p>総合判定： Ⓒ ・ 条件付き適 ・ 否</p> <p>コメント： 先進医療Bで進める臨床研究の本プロトコールをPMDAとも早期検討し、治験をせずとも薬事承認を可とする新しい先進医療の道筋の成功例になってもらいたい。</p>

「自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植術（整理番号 046）」の有効性・安全性にか  
かる評価について

先進医療技術審査部会

座長 猿田 享男

大阪大学医学部附属病院から申請のあった新規技術について、高度医療評価会議で  
安全性・有効性について検討を行い、その結果を以下の通りとりまとめたので報告い  
たします。

1. 先進医療の概要

先進医療の名称：自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植術	
適応症：角膜上皮幹細胞疲弊症	
内容： (先進性) 従来の角膜移植で根治させることが困難である角膜上皮幹細胞疲弊症の視力回復が長 期的に得られ、また自家移植であるため、免疫抑制剤の投与が不要になる。  (概要) 本方法は、患者本人の口腔粘膜組織を採取し単離した上皮細胞を、温度応答性培養皿 上で約2 週間培養し、培養上皮細胞シートを作製する。角膜表面から結膜瘢痕組織を外 科的に除去した後、この細胞シートを露出させた角膜実質に縫合する。 これにより、角膜表面は上皮組織により完全に再建され、角膜の透明性が回復し、視 力回復が長期的に得られることが期待できる。  (効果) 従来の角膜移植では根治が困難である疾患に対し、視力回復が長期的に得られ、拒絶 反応が回避できるため、免疫抑制剤の投与も不要となる。  (先進医療に係る費用) 先進医療に係る費用 1,939,998 円のうち、患者負担は 550,000 円とし、差額は校費も しくは研究費で支払う。	
申請医療機関	大阪大学医学部附属病院
協力医療機関	なし

## 2. 高度医療評価会議における審議概要

(1)開催日時：平成24年6月27日(水) 14:00～15:00  
(第32回 高度医療評価会議)

### (2)議事概要

大阪大学医学部附属病院から申請のあった新規医療技術について、申請書を基に、安全性・有効性等に関する評価が行われた。

その結果、当該技術を「適」として了承し、先進医療専門家会議に報告することとした。

(本会議での評価結果)

(別紙) 第32回高度医療評価会議資料1-2 参照

## 3. 高度医療評価会議での検討結果

大阪大学医学部附属病院からの新規医療技術に関して、高度医療評価会議は、主として有効性・安全性等にかかる観点から論点整理を進め、出席構成員等が確認を行った結果、当該新規技術の申請内容が高度医療として妥当であると判断した。

なお、高度医療評価会議終了後、臨床研究の保険への加入が可能となったため、保険への加入及びそれに伴う申請書等の修正を行ったことを申し添える。

## 高度医療 評価表 (番号 046 )

評価委員 主担当：柴田  
副担当：村上 副担当：田島 技術委員：高橋

高度医療の名称	自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植術
申請医療機関の名称	大阪大学医学部附属病院
医療技術の概要	<p>本方法は、患者本人の口腔粘膜組織を採取し単離した上皮細胞を、温度応答性培養皿上で約2週間培養し、培養上皮細胞シートを作製する。角膜表面から結膜瘢痕組織を外科的に除去した後、この細胞シートを露出させた角膜実質に縫合する。</p> <p>これにより、角膜表面は上皮組織により完全に再建され、角膜の透明性が回復し、視力回復が長期的に得られることが期待できる。</p>

## 【実施体制の評価】 評価者：村上

1. 実施責任医師等の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
2. 実施医療機関の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
3. 医療技術の有用性等	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）	
対象となる症例の数は多いものではないが、医療上の必要性が高い日本発の医療技術である。既にフランスにおいて臨床開発が進行していることから、高度医療で実施することで開発の Go/No go 判断を速やかに行い、治験に繋げていくことが肝要と考える。	
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）	

## 【実施体制の評価】 評価者：高橋

1. 実施責任医師等の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
2. 実施医療機関の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
3. 医療技術の有用性等	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）	
実施体制等については問題なく、「適」と判断する。	
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）	

【倫理的観点からの評価】 評価者：田島 \_\_\_\_\_

4. 同意に係る手続き、同意文書	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
5. 補償内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
<p>コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）</p> <p>説明文書については、質疑応答を経て所要の修正がなされた結果、問題点が解消されたので、適とする。</p> <p>（患者相談等の対応が整備されているか、についても記載下さい。）</p> <p>患者相談の対応は整備されている。</p>	
<p>実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）</p>	

【プロトコールの評価】 評価者：柴田 \_\_\_\_\_

6. 期待される適応症、効能及び効果	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
7. 予測される安全性情報	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
8. 被験者の適格基準及び選定方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
9. 治療計画の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
10. 有効性及び安全性の評価方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
11. モニタリング体制及び実施方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
12. 被験者等に対して重大な事態が生じた場合の対処方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
13. 試験に係る記録の取扱い及び管理・保存方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
14. 患者負担の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
15. 起こりうる利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
16. 個人情報保護の方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
<p>コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）</p> <p>本臨床試験を高度医療評価制度下で実施するに足るデータがあると思わせるか、逆に、現時点で治験ではなく高度医療評価制度下で本臨床試験を実施することにより、治験を実施するか否かの意思決定を（登録終了までに3年を要した場合、最終登録例の主要評価項目の評価終了まで4年程）漫然と先送りすることにならないか、の両面からの検討が必要と考える。プロトコールの評価に関連して後者について申請者の見解を照会したところ、回答より、本臨床試験実施で有効性に関する情報が追加されること、術後2年間までの有効性、安全性の情報が得られること、将来実施される治験で用いるべきエンドポイントの妥当性の検討等に寄与する情報を得られること等が考えられ、漫然と意思決定が先送りされるものではないと解釈した。</p> <p>本臨床試験の主要評価項目は「1年後の結膜化がなく、かつ上皮欠損のない面積」であり、術後1年時点でこの面積が10%以上であった場合に有効とし、有効となる症例の割合が従来法では2~3割程度であるのに対し本法では8~9割となることが見込まれている。この定義による「有効」の臨床的意義については議論の余地があると考えられるが、より厳密な治験の実施の Go/No go 判断を下すための探索的な臨床試験での有効性評価方</p>	

第 32 回高度医療評価会議	資料1-2
平成 24 年6月 27 日	

法としては問題ないと判断した。なお、有効性を評価する時期が術後 1 年時点で良いのかについては別途検討が必要であるが、この点については、術後 2 年までの追跡を行うよう臨床試験実施計画を変更する旨の回答がなされており、本臨床試験の結果にもとづきその妥当性を検討し得ると考える。

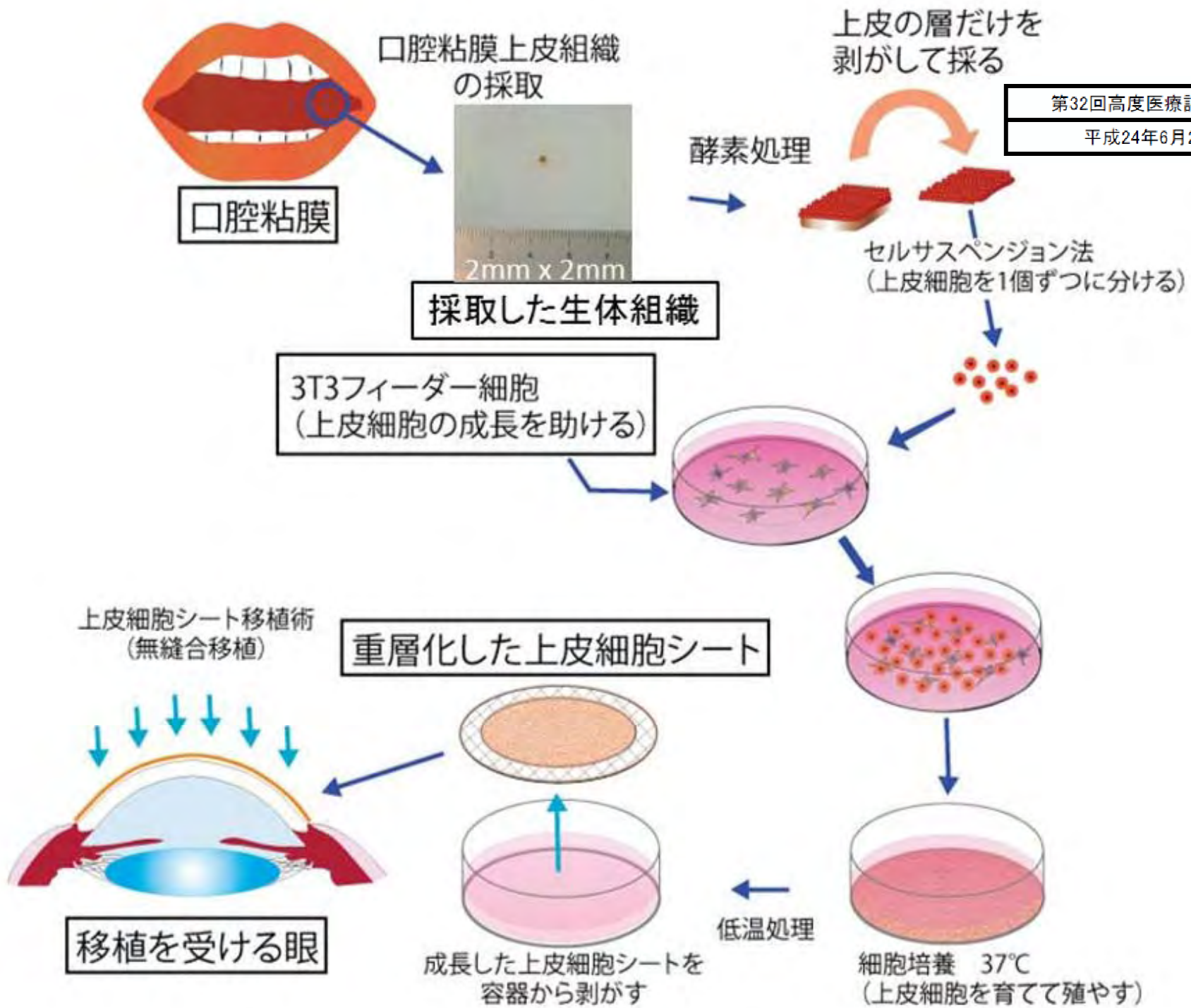
その他、有害事象発現時の対応に関する規定、本臨床試験の有効性を評価・解析する際の方法等について、指摘をしたところ、臨床試験実施計画書を改訂する旨の回答を得た。

実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）

【総評】（主担当の先生が御記載ください。）

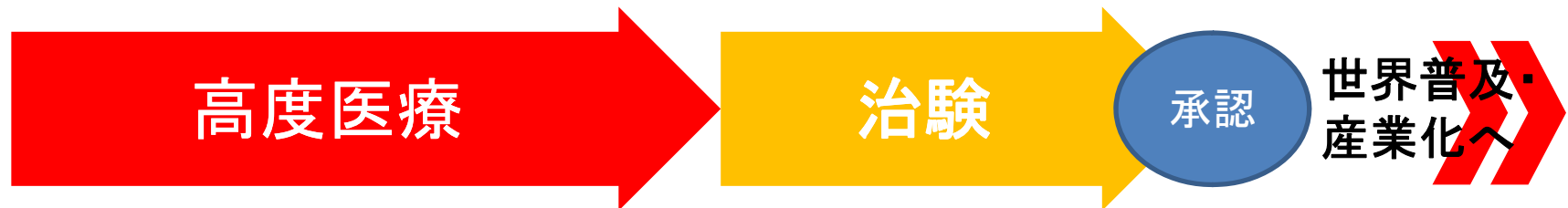
総合評価	<input checked="" type="checkbox"/> 適	<input type="checkbox"/> 条件付き適	<input type="checkbox"/> 継続審議	<input type="checkbox"/> 不適
予定症例数	10 例	予定試験期間	3 年	
実施条件：（修正すれば適となる場合は、修正内容を記載ください。）				
コメント欄（不適とした場合は、その理由を必ず記載ください。）				





# 自己培養口腔粘膜上皮細胞シート 薬事承認までのロードマップ

試験薬または試験機器: 自己培養口腔粘膜上皮細胞シート  
高度医療での適応疾患: 角膜上皮幹細胞疲弊症



試験名: 角膜上皮幹細胞疲弊症に対する自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植の臨床試験

試験デザイン: 単群非ランダム化試験

期間: 2010年10月～2013年10月

被験者数: 10例

評価項目: 結膜化がなく、かつ上皮欠損のない面積  
矯正視力、角膜混濁、角膜血管新生、安全性情報

欧米での現状

薬事承認: 米国(無) 欧州(無)

## 平成25年度先進医療技術審査部会日程調整表

ご都合の悪い日時に×を記載していただきますようお願いいたします。

平成25年4月 16:30～18:30	22日(月)	23日(火)	24日(水)	25日(木)	26日(金)
平成25年5月 16:30～18:30	20日(月)	21日(火)	22日(水)	23日(木)	24日(金)
平成25年6月 16:30～18:30	17日(月)	18日(火)	19日(水)	20日(木)	21日(金)
平成25年7月 16:30～18:30	22日(月)	23日(火)	24日(水)	25日(木)	26日(金)
平成25年8月 16:30～18:30	19日(月)	20日(火)	21日(水)	22日(木)	23日(金)
平成25年9月 16:30～18:30	9日(月)	10日(火)	11日(水)	12日(木)	13日(金)
平成25年10月 16:30～18:30	21日(月)	22日(火)	23日(水)	24日(木)	25日(金)
平成25年11月 16:30～18:30	18日(月)	19日(火)	20日(水)	21日(木)	22日(金)
平成25年12月 16:30～18:30	9日(月)	10日(火)	11日(水)	12日(木)	13日(金)
平成26年1月 16:30～18:30	20日(月)	21日(火)	22日(水)	23日(木)	24日(金)
平成26年2月 16:30～18:30	17日(月)	18日(火)	19日(水)	20日(木)	21日(金)
平成26年3月 16:30～18:30	17日(月)	18日(火)	19日(水)	20日(木)	21日(金)

所属 \_\_\_\_\_  
氏名 \_\_\_\_\_

富士テレコム株式会社 大堀宛て  
[電子メール\(koudo.mhlw@fujitelecom.co.jp\)](mailto:koudo.mhlw@fujitelecom.co.jp)又は  
 FAX (03-3355-7457) にてご回答ください。

平成25年2月7日

医政発0731第2号

薬食発0731第2号

保発0731第7号

平成24年7月31日

各都道府県知事 殿

地方厚生（支）局長 殿

独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長 殿

日本製薬工業協会会長 殿

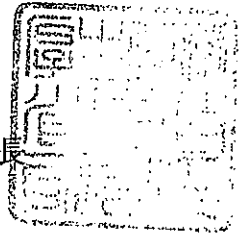
日本医療機器産業連合会会長 殿

独立行政法人国立高度専門医療研究センター理事長 殿

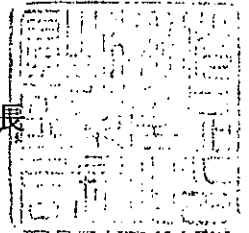
独立行政法人国立病院機構理事長 殿

文部科学省高等教育局医学教育課長 殿

厚生労働省医政局長



厚生労働省医薬食品局長



厚生労働省保険局長



厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準の制定等に伴う実施上の留意事項及び先進医療に係る届出等の取扱いについて

先進医療に係る実施上の留意事項や届出等の取扱いについては、「厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準の制定等に伴う実施上の留意事項及び先進医療に係る届出等の取扱いについて」（平成20年3月31日保医発第0331003号。以下「先進医療通知

」という。)及び「高度医療に係る申請等の取扱い及び実施上の留意事項について」(平成21年3月31日医政発第0331021号。以下「高度医療通知」という。)において示しているところである。今般、これまでの先進医療専門家会議等における構成員等からの問題提起、新成長戦略(平成22年6月18日閣議決定)、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)等を受けての中央社会保険医療協議会における検討結果及びこれを踏まえた先進医療専門家会議及び高度医療評価会議における検討結果等を受けて、先進医療に係る実施上の留意事項や届出等の取扱いについて下記のとおりとし、平成24年10月1日より適用することとしたので、その取扱いに遺漏のないよう関係者等に対し、周知徹底を図られたい。なお、先進医療通知及び高度医療通知は、平成24年9月30日限り廃止する。

## 記

### 第1 先進医療に係る基本的な考え方

先進医療については、平成16年12月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を踏まえつつ、国民の選択肢を広げ、利便性を向上するという観点から、以下について、安全性、有効性等を確保するために一定の施設基準を設定し、当該施設基準に該当する保険医療機関の届出により、又は安全性、有効性等を確保するために対象となる医療技術ごとに実施医療機関の要件を設定し当該要件に適合する保険医療機関の承認により、保険診療との併用を認めることとしている。

- 1 未だ保険診療の対象に至らない先進的な医療技術(2又は3を除く。)
- 2 承認又は認証を受けていない(以下「未承認等」という。)医薬品又は医療機器の使用を伴う先進的な医療技術
- 3 承認又は認証を受けて製造販売されている医薬品又は医療機器について承認又は認証事項に含まれない用法・用量、又は効能・効果、性能等(以下「適応外」という。)を目的とした使用を伴う先進的な医療技術

また、先進医療は、厚生労働大臣の定める評価療養及び選定療養(平成18年厚生労働省告示第495号)第1条第1号において、健康保険法(大正11年法律第70号)第63条第2項第3号に掲げる評価療養とされ、将来的な保険導入のための評価を行うものとして位置付けられており、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。

## 第2 先進医療の対象となる医療技術の分類

先進医療の対象となる医療技術については、以下のとおり分類する。

- 1 未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴わない医療技術（4に掲げるものを除く。）
- 2 以下のような医療技術であって、当該検査薬等の使用による人体への影響が極めて小さいもの
  - （1）未承認等の体外診断薬の使用又は体外診断薬の適応外使用を伴う医療技術
  - （2）未承認等の検査薬の使用又は検査薬の適応外使用を伴う医療技術
- 3 未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴う医療技術（2に掲げるものを除く。）
- 4 未承認等の医薬品若しくは医療機器の使用又は医薬品若しくは医療機器の適応外使用を伴わない医療技術であって、当該医療技術の安全性、有効性等に鑑み、その実施に係り、実施環境、技術の効果等について特に重点的な観察・評価を要するものと判断されるもの。

## 第3 先進医療告示第2各号に掲げる先進医療に係る実施上の留意事項、届出等の取扱い

### 1 実施上の留意事項

厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準（平成20年厚生労働省告示第129号。以下「先進医療告示」という。）第2各号に掲げる先進医療（以下「先進医療A」という。）については、以下の点に留意すること。

- （1） 取り扱う医療技術は、第2の1又は2に掲げるものであること。
- （2） 保険医療機関において実施することとし、原則として、先進医療の一部を当該保険医療機関以外の場で実施することは認められないこと。
- （3） 実施に当たり責任を有し、主として当該療養を実施する医師（以下「実施責任医師」という。）は、当該療養を実施する診療科において常勤の医師であること。
- （4） 実施するに当たっては、当該先進医療に係る施設基準に適合する体制で行うこと。
- （5） 先進医療告示第2各号に掲げる施設基準の細則は次のとおりである。
  - ① 実施責任医師は、実施診療科に現に所属していること。なお、実施診療科における責任者は、実施責任医師の要件を満たしていなくても差し支えない。
  - ② 医師に関する経験年数及び経験症例数については、現に当該医師が所属

している保険医療機関以外の医療機関における経験を含めたものであること。

- ③ 倫理審査委員会については、臨床研究に関する倫理指針（平成20年厚生労働省告示第415号）第1の3(16)に規定する「倫理審査委員会」に準ずるものであること。
- ④ 遺伝カウンセリングについては、遺伝医学関連学会による「遺伝学的検査に関するガイドライン」に則した遺伝カウンセリングであること。

第2第44号(2)①及び②の要件については、うつ症状に関する適切な鑑別診断を実施できる体制を有していることを担保するために設けられたものであり、精神科又は心療内科の常勤医師が1名以上配置されており、かつ、神経内科又は脳神経外科の常勤医師が1名以上配置されていることを求めるものであること。

## 2 新規技術に係る手続

### (1) 先進医療実施届出書の提出

新規技術について、先進医療Aとして保険診療との併用を希望する保険医療機関の開設者は、別紙1の様式第1-1号による先進医療実施届出書（厚生労働大臣あて。正本1通及び副本9通（添付書類及び添付文献を含む。））を、厚生労働省医政局長を経由して、厚生労働大臣に提出すること。

また、提出の際には、別紙1の様式第1-2号による新規施設届出書（地方厚生（支）局長あて。正本1通及び副本1通（添付書類を含む。以下同じ。））を同封すること。

### (2) 届出書の添付書類

- ① 先進医療実施届出書については、別紙1の様式第2号から第9号までによる書類を添付するとともに、以下の書類についても添付すること。
  - ア 実施計画書
  - イ 同意・説明文書
  - ウ 医療技術の概要図（1枚程度）
  - エ 薬事承認又は保険収載までのロードマップ
  - オ 倫理審査委員会の開催要項
- ② 新規施設届出書については、別紙1の様式第3号、第5号、第7-1号、第7-2号、第8-1号、第8-2号による書類を添付すること。また、先進医療実施届出書に倫理審査委員会の開催要綱を添付する場合には、新規施設届出書にも当該開催要綱を添付すること。

(3) 先進医療実施届出書の添付文献

① 先進医療実施届出書には、次の文献を添付すること。

- ア 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に限る。）1本以上
- イ 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本以上
- ウ 先進医療実施届出書を提出する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に限る。）1本以上

② 添付文献に関する留意事項

- ア 添付文献については、当該技術が個人的な研究段階ではなく、学会等で評価されているものであることを示すものでなければならないこと。  
このため、査読のある雑誌に掲載された原著論文であることが望ましい。
- イ 先進医療の内容を論述した論文及び先進医療の有効性及び安全性を評価した原著論文については、教科書の抜粋、学会抄録及び研究費の報告書は認められないこと。
- ウ 論文に示された技術は、当該技術と同一の内容でなければならないこと。

(4) 届出書提出後の手続

- ① 提出された新規技術については、先進医療会議において科学的評価を行うこととし、その結果（「適」、「不適」）について通知された地方厚生（支）局長は、届出書を提出した保険医療機関にその結果を速やかに通知すること。
- ② 地方厚生（支）局長は、提出された新規技術に係る科学的評価の結果が「適」であって、届出書を提出した保険医療機関が当該新規技術について設定された施設基準に適合している場合には、当該新規技術が先進医療告示に規定された日に新規施設届出書を受理したのとし、届出書を提出した保険医療機関に対して文書により受理した旨を速やかに通知するとともに、当該通知の写し及び新規施設届出書の副本1通を厚生労働省保険局医療課に送付すること。
- ③ 当該通知を受けた保険医療機関は、地方厚生（支）局長が新規施設届出書を受理した日の属する月の翌月（受理した日が月の初日であるときは、その日の属する月）より、当該新規技術について保険診療と併用できるものとする。
- ④ 提出された新規技術に係る科学的評価の結果が「適」であっても、届出



書を提出した保険医療機関が当該新規技術について設定された施設基準に適合していない場合には、地方厚生（支）局長は、適合していない旨を当該保険医療機関に対して文書により速やかに通知すること。

- 3 先進医療告示において既に規定されている先進医療（以下「既評価技術」という。）の適応症の変更に係る手続  
「2 新規技術に係る手続」と同様に取り扱うこと。

- 4 既評価技術（検体検査に係る技術に限る。）の新規共同実施に係る手続  
対象技術については、各先進医療に係る施設基準に適合している保険医療機関において当該先進医療に関する医療技術のすべてを実施することを原則としているが（1の（2））、検体検査に係る医療技術については、例外的に、あらかじめ連携した保険医療機関間で業務委託契約を締結することにより、複数の保険医療機関において共同で実施をすることができるものとする。

以下、既評価技術を従前より実施し、かつ、当該技術に係る業務受託に同意した保険医療機関を「受託側医療機関」といい、受託側医療機関との共同実施を希望する保険医療機関を「委託側医療機関」という。

（1）委託側医療機関による手続

委託側医療機関の開設者は、別紙2の様式第1-1号による委託側新規共同実施届出書（厚生労働大臣あて。正本1通及び副本9通（添付書類を含む。））を、厚生労働省医政局長を経由して、厚生労働大臣に提出すること。

また、提出の際には、別紙2の様式第1-2号による委託側新規共同実施施設届出書（地方厚生（支）局長あて。正本1通及び副本1通（添付書類を含む。））を同封すること。

（2）委託側医療機関が提出する届出書の添付書類

- ① 委託側新規共同実施届出書については、別紙2の様式第2号から第11-2号までによる書類を添付するとともに、以下の書類についても添付すること。

ア 実施計画書

イ 同意・説明文書

ウ 医療技術の概要図（1枚程度）

エ 薬事承認又は保険収載までのロードマップ

オ 倫理審査委員会の開催要項

- ② 委託側新規共同実施施設届出書については、別紙2の様式第3号、第5

号、第6-1号、第6-2号、第7-1号、第7-2号、第8号、第9号、第10-1号、第10-2による書類を添付すること。また、倫理審査委員会の開催要綱も併せて添付すること。

(3) 受託側医療機関による手続

委託側新規共同実施届出書を提出する委託側医療機関と共同実施を予定している受託側医療機関の開設者は、別紙2の様式第1-3号による受託側新規共同実施施設届出書（正本1通及び副本1通（添付書類を含む。））を地方厚生（支）局長に提出すること。

(4) 受託側医療機関が提出する届出書の添付書類

受託側新規共同実施施設届出書には、共同実施を予定している委託側医療機関が提出する届出書の添付書類のうち別紙2の様式第9号による書類に添付すべき書類（委託業務の実施方法について委託側及び受託側医療機関で取り交わした文書）を添付すること。

(5) 届出書提出後の手続

① 提出された新規共同実施の医療技術については、先進医療会議において科学的評価を行うこととし、その結果（「適」、「不適」）について通知された地方厚生（支）局長は、届出書を提出した委託側医療機関及び受託側医療機関にその結果を速やかに通知すること。

② 地方厚生（支）局長は、提出された新規共同実施の医療技術に係る科学的評価の結果が「適」であって、届出書を提出した委託側医療機関が当該医療技術について設定された委託側医療機関の施設基準に適合している場合には、当該施設基準が先進医療告示に規定された日に委託側新規共同実施施設届出書を受理したものとし、届出書を提出した委託側医療機関に対して文書により受理した旨を速やかに通知するとともに、当該通知の写し及び委託側新規共同実施施設届出書の副本1通を厚生労働省保険局医療課に送付すること。

③ 当該通知を受けた委託側医療機関は、地方厚生（支）局長が委託側新規共同実施施設届出書を受理した日の属する月の翌月（受理した日が月の初日であるときは、その日の属する月）より、当該医療技術について共同実施により保険診療と併用できるものとする。

④ 提出された新規共同実施の医療技術に係る科学的評価の結果が「適」であっても、届出書を提出した委託側医療機関が当該医療技術について設定された委託側医療機関の施設基準に適合していない場合には、地方厚生（支）局長は、適合していない旨を当該委託側医療機関に対して文書により速やかに通知すること。

- ⑤ 地方厚生（支）局長は、提出された新規共同実施の医療技術に係る科学的評価の結果が「適」であって、届出書を提出した受託側医療機関が当該医療技術について設定された受託側医療機関の施設基準に適合している場合には、当該医療技術が先進医療告示に規定された日に受理したのとし、届出書を提出した受託側医療機関に対して文書により受理した旨を速やかに通知するとともに、当該通知の写し及び受託側新規共同実施施設届出書の副本1通を厚生労働省保険局医療課に送付すること。
- ⑥ 当該通知を受けた受託側医療機関は、地方厚生（支）局長が受託側新規共同実施施設届出書を受理した日の属する月の翌月（受理した日が月の初日であるときは、その日の属する月）より、当該医療技術に係る業務の受託を開始できるものとする。
- ⑦ 提出された新規共同実施の医療技術に係る科学的評価の結果が「適」であっても、届出書を提出した受託側医療機関が当該医療技術について設定された受託側医療機関の施設基準に適合していない場合には、地方厚生（支）局長は、適合していない旨を当該受託側医療機関に対して文書により速やかに通知すること。

## 5 既評価技術の実施に係る手続

### (1) 既評価技術施設届出書の提出

既評価技術について保険診療との併用を希望する保険医療機関の開設者は、別紙3の様式第1号による既評価技術施設届出書（正本1通及び副本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厚生（支）局長に提出すること。

なお、受託側医療機関との共同実施による既評価技術の保険診療との併用を希望する場合には、既評価技術施設届出書に代えて、別紙4の様式第1号による委託側共同実施施設届出書（正本1通及び副本1通（添付書類を含む。））を提出すること。

また、共同実施による既評価技術の保険診療との併用を希望する受託側医療機関の開設者は、別紙4の様式第1-2号による受託側共同実施施設届出書（正本1通及び副本1通（添付書類を含む。））を提出すること。

### (2) 届出書の添付書類

- ① 既評価技術施設届出書については、別紙3の様式第2号から第5-2号までによる書類を添付すること。また、倫理審査委員会の開催要綱も併せて添付すること。
- ② 委託側共同実施施設届出書については、別紙4の様式第2号から第8-

2号までによる書類を添付すること。また、倫理審査委員会の開催要綱も併せて添付すること。

- ③ 受託側共同実施施設届出書には、共同実施を予定している委託側医療機関が提出する届出書の添付書類のうち別紙4の様式第7号による書類に添付すべき書類（委託業務の実施方法について委託側及び受託側医療機関で取り交わした文書）を添付すること。

### (3) 届出書提出後の手続

- ① 地方厚生（支）局長は、届出書の提出があった場合には、当該届出書の記載事項及び当該届出書を提出した保険医療機関が保険診療との併用を希望する先進医療に係る施設基準に適合していることを確認した上で、届出書を受理することとし、届出書を提出した保険医療機関に対して文書により受理した旨を速やかに通知するとともに、当該通知の写し及び当該届出書の副本1通を厚生労働省保険局医療課に送付する。
- ② 当該通知を受けた保険医療機関は、地方厚生（支）局長が当該届出書を受理した日の属する月の翌月（受理した日が月の初日であるときは、その日の属する月）より当該既評価技術について保険診療と併用できるものとする。

## 6 届出書の取下げに係る手続

- (1) 保険医療機関が先進医療実施届出書又は委託側新規共同実施届出書を提出後、先進医療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書を取り下げる場合には、別紙5の様式第1号による書類を、厚生労働省医政局長を経由して、厚生労働大臣に提出すること。
- (2) 保険医療機関が新規施設届出書、委託側新規共同実施施設届出書、受託側新規共同実施施設届出書、既評価技術施設届出書、委託側共同実施施設届出書又は受託側共同実施施設届出書を提出後に、何らかの理由により届出書を取り下げる場合には、別紙5の様式第2号による書類を、当該保険医療機関の所在地を管轄する地方厚生（支）局長に提出すること。

また、先進医療の実施体制に変更が生じ、当該先進医療に係る施設基準を満たさなくなった場合においても、別紙5の様式第2号により地方厚生（支）局長に提出すること。

## 7 既評価技術に係る届出事項の変更に係る手続

既に届出書が受理されている保険医療機関において、届け出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6の様式による書類を用い

て、変更する旨の届出を前記5に準じて行うこと。

- (1) 先進医療の実施体制
- (2) 使用する医療機器又は医薬品
- (3) 先進医療に係る費用

なお、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3の様式第3-1号又は別紙4の様式第3-1号 別紙3の様式第3-2号又は別紙4の様式第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3の様式第4号又は別紙4の様式第4号 別紙3の様式第5-1号又は別紙4の様式第5-1号 別紙3の様式第5-2号又は別紙4の様式第5-2号	医療機器の説明書、医薬品の添付文書	正本1通 副本1通
先進医療に係る費用の変更	別紙3の様式第5-1号又は別紙4の様式第5-1号 別紙3の様式第5-2号又は別紙4の様式第5-2号	不要	正本1通 副本1通
共同実施の内容・方法又は実施体制に係る変更	別紙4の様式第6号、様式第7号及び様式第8号	不要	正本1通 副本1通

## 8 先進医療の実績報告等

### (1) 定期報告

当該年6月30日までに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の実績について、別紙7の様式第1号を用いて、当該年8月末までに地方厚生（支）局長に報告すること。

なお、保険医療機関が実施している先進医療が当該年4月1日以降保険導入された場合又は削除された場合には、前年の7月1日から当該年3月31日までの間の実績について、当該年5月末までに地方厚生（支）局長に報告すること。

また、新規施設届出書、委託側新規共同実施施設届出書、受託側新規共同実施施設届出書、既評価技術施設届出書、委託側共同実施施設届出書又は受託側共同実施施設届出書を提出後に届出書を取り下げた場合、又は、当該届出に係る先進医療の取消しがあった場合には、当該年7月1日（取下げ又は取消しが1月1日から6月30日までの間に行われた場合にあっては、前年の7月1日）から取下げ又は取消しまでの間の実績について、遅滞なく地方厚生（支）局長に報告すること。

地方厚生（支）局長は、当該定期報告について速やかに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

保険医療機関が実施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7の様式第1号及び第2号（様式第2号を用いて報告する症例については、（3）の安全性報告において報告がなされたものを除く。）を用いて、当該保険医療機関の所在地を管轄する地方厚生（支）局長を経由して、速やかに厚生労働大臣に報告すること。

## （3） 安全性報告

先進医療の実施に伴う重篤な有害事象及び不具合（以下「重篤な有害事象等」という。）により、次に掲げる症例（①又は②に掲げる症例に該当の適否の判断に迷う場合を含む。）が発生したものについては、それぞれ①又は②に掲げる期日までに別紙7の様式第2号により地方厚生（支）局長及び厚生労働大臣に報告すること。

① 死に至る又は生命を脅かす症例については、発生を知った日より7日以内に届け出ること。

② 次に掲げる症例（①に掲げるものを除く。）であって、当該症例の発生又は発生数、発生頻度、発生条件等の発生傾向が実施計画書等から予測できないものについては、発生を知った日より15日以内に届け出ること。

ア 重篤な有害事象等の治療のために別の入院又は入院期間の延長が必要とされる症例（ただし、重篤な有害事象等の治療のために入院したが、安静治療等により特段の対応を行っていない場合等は当該症例に該当するが、重篤な有害事象等の検査を行うための入院又は入院期間の延長が行われた場合、重篤な有害事象等が治癒又は軽快しているものの経過観察のための入院が行われた場合等は、当該症例に該当しない。）

イ 日常生活に支障をきたす程度の永続的または顕著な障害・機能不全に陥る症例（先天異常を来すもの、機器の不具合を含む）

ウ ア又はイに掲げる症例のほか、患者を危機にさらすおそれがあるもの

、①又はア若しくはイに掲げる症例に至らないよう診療が必要となるもの等の重篤な症例（例：集中治療を要する症例等）

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同様の重篤な有害事象等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。

(4) 健康危険情報に関する報告（（3）安全性報告で報告しているものは除く。）

先進医療を実施している保険医療機関は、国内外を問わず、自ら実施する先進医療に係る国民の生命、健康の安全に直接係わる危険情報（以下「健康危険情報」という。）の収集に努め、健康危険情報を把握した場合は、別紙7の様式第3号により、直ちに地方厚生（支）局長及び厚生労働大臣に報告すること。

#### 9 先進医療の取消しに係る手続

地方厚生（支）局長は、既評価技術について、厚生労働大臣から取り消す旨の通知を受けた場合は、当該既評価技術に係る届出を行っている保険医療機関に対して文書によりその旨を速やかに通知すること。なお、保険医療機関への通知に当たっては、先進医療告示から当該既評価技術に係る規定が取り消された日から、保険診療との併用ができない旨を併せて通知すること。

#### 10 先進医療において使用される未承認等又は適応外使用の医薬品等について薬事承認があった場合の取扱い

先進医療A（第2の2に該当する場合に限る。）において使用される医薬品・医療機器のすべてについて薬事法上の承認等が得られた結果、当該技術が保険適用の対象となる場合には、当該先進医療について、先進医療告示から取り消すものとする。

#### 11 その他

上記の各届出書等の提出に当たっては、別添の「先進医療に係る届出書等の記載要領等について」を参考にすること。

### 第4 先進医療告示第3各号に掲げる先進医療に係る実施上の留意事項、届出等の取扱い

#### 1 実施上の留意事項

先進医療告示第3各号に掲げる先進医療（以下「先進医療B」という。）につ

いては、以下の点に留意すること。

(1) 取り扱う医療技術は、第2の3又は4に掲げるものであること。

(2) 次の①から⑤までの要件を満たす保険医療機関において実施すること。

① 医療法（昭和23年法律第205号）第4条の2に規定する特定機能病院又はその他実施に当たり必要な次のア及びイの体制を有する保険医療機関であること。なお、その具体的な内容については、先進医療会議において、医療技術ごとに要件を設定する。

ア 緊急時の対応が可能な体制を有すること。

イ 医療安全対策に必要な体制を有すること。

② 臨床研究に関する倫理指針に適合する実施体制を有すること。また、ヒト幹細胞を用いる医療技術等については、ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針（平成22年厚生労働省告示第380号）に適合する実施体制を有する等、医療技術に応じた指針に適合する実施体制を有すること。

③ 実施される医療技術において使用する医薬品・医療機器の管理体制、入手方法等が適切であること。

④ 実施医療機関の開設者は、院内で行われる全ての先進医療Bについて実施責任医師、研究内容等を把握できる体制を確保すること。

⑤ 臨床研究のデータの信頼性確保のため、次の体制の確保に努めていること。

ア データマネジメント体制

イ 多施設共同研究を行う場合は、多施設共同研究としての実施可能なモニタリング体制等

(3) 次の①及び②の要件を満たす医療技術であること。なお、試験計画（試験期間、症例数、評価基準等に関する記載を含む。）については、過去の使用実績等における有効性及び安全性に関する知見に応じて、予定試験期間、予定症例数、モニタリング体制、実施方法、文書の保存期間等を設定すること。

① 国内外の使用実績、有用性を示す文献等の科学的な根拠に基づき、有効性及び安全性の確保が期待できる医療技術であること。

② 試験計画が、次の内容をすべて満たすこと。

ア 臨床研究に関する倫理指針に適合していること。データの信頼性については、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成9年厚生省令第28号。以下「GCP省令」という。）等を参考にすること。また、ヒト幹細胞を用いる医療技術等については、ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針に適合していること等、医療技術に応じた指針に適合していること。



- イ 万が一不幸な転帰となった場合の責任と補償の内容、治療の内容、重篤な有害事象等の可能性、費用等について、事前に患者及びその家族に説明し文書により同意を得ること。
- ウ 実施責任医師を明示すること。また、当該実施責任医師の下に、実施する医師が管理されていること。
- エ 有効性及び安全性が客観的に確認でき、医療機関内の倫理審査委員会等において認められた試験計画であること。
- オ 多施設共同研究の場合は、先進医療Bに係る協力を行う医療機関（以下「協力医療機関」という。）の実施責任医師の氏名、所属科及び役職についても明示されていること。

## 2 新規技術に係る手続

### (1) 先進医療実施届出書の提出

新規技術について、先進医療Bとして保険診療との併用を希望する保険医療機関（以下「申請医療機関」という。）の開設者は、別紙1の様式第1-1号による先進医療実施届出書（正本1通及び副本9通（添付書類を含む。以下同じ。））を、厚生労働省医政局長を経由して、厚生労働大臣に提出すること。

ただし、多施設共同研究を行う場合、申請医療機関の開設者は、協力医療機関分もとりまとめの上、提出すること。

### (2) 届出書の添付書類

別紙1の様式第2号から様式第9号を添付するとともに、以下の書類についても添付すること。

- ① 文献情報に記載した全ての原文及び和訳概要
- ② 試験実施計画書
- ③ 同意・説明文書
- ④ 医療技術の概要図（1枚程度）
- ⑤ 薬事承認又は保険収載までのロードマップ
- ⑥ 症例報告書（CRF）
- ⑦ 医薬品・医療機器の概要書
- ⑧ 倫理審査委員会の開催要綱

### (3) 届出書提出後の手続

- ① 提出された新規技術については、先進医療会議において科学的評価を行うこととし、その結果（「適」、「不適」）について通知された地方厚生（支）局長は、厚生労働省保険局医療課から送付される届出書の正本をも

- とに、届出書を提出した保険医療機関にその結果を速やかに通知すること。
- ② 地方厚生（支）局長は、提出された新規技術に係る科学的評価の結果が「適」である場合には、当該新規技術が先進医療告示に規定された日に先進医療実施届出書を受理したものとし、届出書を提出した保険医療機関に対して文書により受理した旨を速やかに通知するとともに、当該通知の写しを厚生労働省保険局医療課に送付すること。
  - ③ 当該通知を受けた保険医療機関は、地方厚生（支）局長が先進医療実施届出書を受理した日の属する月の翌月（受理した日が月の初日であるときは、その日の属する月）より、当該新規技術について保険診療と併用できるものとする。

### 3 既評価技術の実施に係る手続

#### (1) 先進医療実施届出書の提出

既評価技術について保険診療との併用を希望する保険医療機関の開設者は、別紙1の様式第1-1号による先進医療実施届出書（正本1通及び副本9通（添付書類を含む。））を、申請医療機関の開設者に提出し、当該申請医療機関の開設者は、厚生労働省医政局長を経由して、厚生労働大臣に提出すること。

#### (2) 届出書の添付書類

別紙1の様式第2号、第4号、第6号、第7-1号、第7-2号、第8-1号、第8-2号、第9号及び倫理審査委員会の開催要項を添付すること。

#### (3) 届出書提出後の手続

- ① 既評価技術については、当該届出書を提出した保険医療機関が先進医療Bを実施する医療機関として認められた場合に、先進医療実施届出書を受理したものとする。
- ② 届出書を受理した旨の通知を受けた地方厚生（支）局長は、厚生労働省保険局医療課から送付される届出書をもとに、届出書を提出した保険医療機関宛に対して文書により受理した旨を速やかに通知すること。
- ③ 当該通知を受けた保険医療機関は、厚生労働大臣が当該届出書を受理した日の属する月の翌月（受理した日が月の初日であるときは、その日の属する月）より当該既評価技術について保険診療と併用できるものとする。

### 4 届出書の取下げに係る手続

先進医療実施届出書を提出後に、何らかの理由により届出書を取り下げる場合には、先進医療Bを実施しないこととなる日の60日前までに、別紙5の様式第1

号（添付書類を含む。）を、厚生労働省医政局長を経由して、厚生労働大臣に提出すること。

## 5 既評価技術に係る届出事項の変更に係る手続

既に届出書が受理されている保険医療機関において、届け出ている事項に変更が生じた場合には、別紙6の様式第1号（添付書類を含む。）を、厚生労働省医政局長を経由して、厚生労働大臣に提出すること。

なお、次に掲げる事項に変更が生じた場合には、別紙6の様式第2号（添付書類を含む。）を、届出書を提出した保険医療機関の所在地を管轄する地方厚生（支）局長に送付するものとする。

- (1) 先進医療の実施責任者
- (2) 先進医療に係る費用

## 6 先進医療において使用される未承認等又は適応外使用の医薬品若しくは医療機器について薬事承認があった場合の取扱い

(1) 先進医療B（第2の3に該当する場合に限る。）において使用される医薬品・医療機器のすべてについて、薬事法上の承認等が得られた結果、当該先進医療が先進医療Bの対象ではなくなる場合であって、引き続き先進医療Aとして継続することが適当な場合には、当該先進医療について先進医療会議において科学的評価を行い、先進医療Aとして施設基準を設定することとする。この場合において、当該先進医療を実施していた保険医療機関については、第3に規定されている手続は要しないが、先進医療会議における科学的評価を適切に行うことを目的として、書類等について当該保険医療機関に対し適宜提出を求める場合があるので、留意すること。

(2) 先進医療B（第2の3に該当する場合に限る。）において使用される医薬品・医療機器のすべてについて薬事法上の承認等が得られた結果、当該技術が保険適用の対象となる場合には、当該先進医療について、先進医療告示から取り消すものとする。

## 7 先進医療の定期・総括報告、立ち入り調査等

### (1) 実績の公表

先進医療Bを実施している医療機関（以下「実施医療機関」という。）は、先進医療Bに係る実施状況等について公表すること。なお、厚生労働科学研究の募集要項（計画の公表）、臨床研究に関する倫理指針の実績の公表方法を準用すること。

(2) 定期報告

定期報告については、第3の8の(1)の例によること。

(3) 実績報告

先進医療会議等において承認された試験期間中に実績報告を求められた技術については、求められた試験期間又は症例数に達した場合、速やかに厚生労働省医政局長を経由して厚生労働大臣に報告すること。

(4) 総括報告

先進医療会議において承認された試験期間若しくは症例登録が終了した場合又は試験期間若しくは症例登録が終了していない場合でも、試験を終了する場合には、別紙7の様式第1号を厚生労働省医政局長を経由して厚生労働大臣に報告すること。

ただし、平成24年9月30日時点で、先進医療告示第3各号に掲げる先進医療として実施しているものについては、この限りではない。

(5) 安全性報告

安全性報告については、第3の8の(3)の例によること。

(6) 健康危険情報に関する報告

健康危険情報に関する報告については、第3の8の(4)の例によること。

(7) 薬事法に基づく申請等が行われた場合の報告

第2の2又は3に該当する先進医療に係る医薬品・医療機器について、企業から薬事法に基づく申請等が行われた場合は、厚生労働省医政局長及び厚生労働省保険局長に報告すること。

(8) 立入調査

実施医療機関は、試験実施中の試験実施計画書、症例記録の確認、臨床研究に関する倫理指針に規定する要件への適合状況の確認等のため、厚生労働省が事前の通告なく行う立入調査等に応じること。

(9) 説明責任

実施医療機関は、先進医療Bの個別の医療技術に関する説明責任は、実施医療機関にあるものとし、当該実施医療機関の開設者は、適切に説明責任を果たせるよう、予め、十分な検討を行い、必要な措置を講ずること。

(10) その他

厚生労働省からの指示等があった場合には、実施医療機関は、当該指示等に従うこと。

8 先進医療技術審査部会による技術的妥当性、試験実施計画等の審査等

先進医療Bに係る新規技術の審査、協力医療機関の追加又は総括報告書等の評

価については、先進医療会議の先進医療技術審査部会において技術的妥当性、試験実施計画等を審査し、その結果を先進医療会議に報告する。また、当該技術的妥当性、試験実施計画等の審査については、評価対象技術の安全性等に鑑み先進医療会議が認めた場合には、高度の知見を有する外部機関に評価を行わせることができる。なお、外部機関における評価の実施については、その具体的なあり方を厚生労働省において検討し、その結論を得てから、行うこととする。

## 9 実施後の取扱い

先進医療会議等においては、実施医療機関からの報告等に基づき、計画の実施状況、試験結果等について検討を行う。実施医療機関は、先進医療会議等における当該試験結果等の検討を踏まえた新たな試験計画に基づく先進医療Bに係る申請、医薬品等の製造販売業者との協力による「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日付研発第4号厚生労働省医政局研究開発振興課長、医薬審発第104号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知）等の適用や治験への可能性等について、厚生労働省医政局研究開発振興課に相談すること。

なお、先進医療会議等における検討の結果、当該先進医療Bの実施が不相当と判断された場合には、先進医療告示から取り消すものとする。

## 10 取消しに係る手続

地方厚生（支）局長は、厚生労働大臣から先進医療Bを先進医療告示から取り消す旨の通知を受けた場合は、当該先進医療Bに係る届出を行っている保険医療機関に対して文書によりその旨を速やかに通知すること。なお、保険医療機関への通知に当たっては、先進医療告示から取り消された日から、保険診療との併用ができない旨を併せて通知すること。

## 11 未承認若しくは適応外の医薬品又は医療機器を用いる医療技術に係る留意事項

関係する法令又は指針の遵守の下で行われた当該施設において数例以上の臨床使用実績があること及びその1症例ごとに十分な検討がなされていることが必要である。

ただし、これを満たさない場合であっても、申請された個々の医療技術の特性に応じて、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究中核病院等の高度で質の高い臨床研究を実施することができる医療機関において、当該医療技術を有効かつ安全に実施できることが明らかである場合には、この限りではない。

## 12 その他

上記の各届出書等の提出に当たっては、別添の「先進医療に係る届出書等の記載要領等について」を参考にすること。

## 第5 先進医療実施届出書の提出に係る留意事項

保険医療機関が先進医療実施届出書を提出するに当たっては、事前に厚生労働省に相談することとし、医政局研究開発振興課に事前相談申込書を提出すること。

## 第6 医薬品及び医療機器の入手等

未承認等若しくは適応外の医薬品又は医療機器の入手については、「臨床研究において用いられる未承認医療機器の提供等に係る薬事法の適用について」（平成22年3月31日付薬食発0331第7号）及び「臨床研究において用いられる未承認医療機器の提供等に係る薬事法の適用について」に関する質疑応答集（Q&A）について」（平成23年3月31日付薬食監麻発0331第7号）の考え方にに基づき、適切に行うこと。

## 第7 先進医療による成果の活用

- 1 治験に先立って実施される未承認医薬品や再生医療、個別化医療に係る先進医療の成果については、薬事戦略相談を活用することにより、薬事承認申請の効率化を可能とする。
- 2 適応外薬に係る先進医療の成果については、国際的な論文等として公表された場合、効能追加に係る薬事承認申請の効率化を可能とする。
- 3 未承認又は適応外医療機器に係る先進医療の成果については、国際的な論文等として公表された場合、薬事承認申請の効率化を可能とする。なお、薬事戦略相談を活用することも可能である。

## 第8 既評価技術の再評価

先進医療については、診療報酬改定、所定の評価期間等の終了に合わせて、その有効性、安全性等を評価するとともに、薬事承認の状況等を踏まえ、必要に応じて保険導入、先進医療告示からの取消等（試験実施計画書の変更を含む。）の検討を行う。

なお、薬事法の対象とならない再生医療、細胞医療等の技術についても、社会的妥当性等に留意しつつ、保険収載の必要性を検討する。

## 第9 経過措置

平成24年9月30日までに、先進医療として申請された新規技術に係る取扱いにつ

いては、なお従前の例によることとする。ただし、当該技術の科学的評価等については、先進医療会議において行うものとする。