

## 第1回 先進医療評価委員会

(評価対象:「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が高いとされた抗がん剤)

### 議事次第

開催日 平成26年3月11日(火)10:00~12:00

場所 航空会館 5階 501+502会議室

- 議題
1. 先進医療評価委員会の概要について
  2. 座長の選出について
  3. 候補薬の進捗について
  4. その他

#### <配布資料>

議事次第

座席表

資料 1: 「先進医療評価委員会」開催要綱

資料 2: 「先進医療評価委員会」運営細則

資料 3: 先進医療評価委員会名簿

資料 4-1: 先進医療制度の運用の見直しについて

資料 4-2: 医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部評価の対象について

資料 4-3: 医療上の必要性の評価の基準について

資料 5: 「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」の一部改正について

資料 6: 医療上必要性が高いとされた抗がん剤を用いた先進医療について

資料 7-1: 外部評価の対象となる「医療上の必要性が高い抗がん剤」

資料 7-2: 先進医療の外部評価の対象①

資料 7-3: 先進医療の外部評価の対象②

# 第1回 先進医療評価委員会

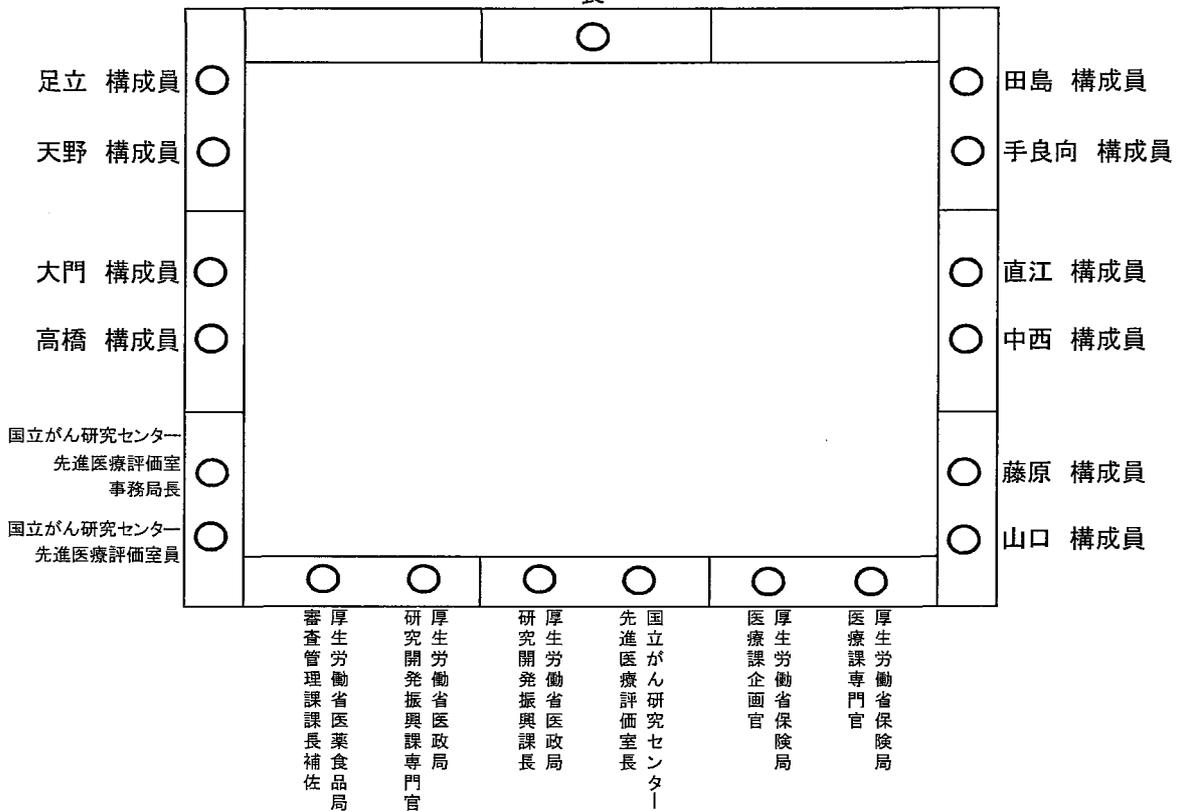
(評価対象:「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において医療上の必要性が高いとされた抗がん剤)

平成26年3月11日(火) 10:00 ~ 12:00 航空会館 5階 501+502会議室

(敬称略五十音順)

出入口

座  
長



事務局・関係部局席

出入口

傍聴席

## 「先進医療評価委員会」開催要綱

## 1 目的

がん治療に高度の知見を有する機関（以下「外部評価機関」という。）に設置された先進医療評価委員会（以下「評価委員会」という。）は、厚生労働省の委託を受け、先進医療技術の評価の迅速化・効率化を図ることを目的として、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の高いとされた抗がん剤（以下「必要性の高い抗がん剤」という。）の技術的妥当性・試験実施計画等の審査等を行い、先進医療会議に報告することを目的とする。

## 2 検討項目

評価委員会は、次の各号に掲げる事項について専門的な検討を行う。

- ① 抗がん剤を用いた先進医療の実施届出書の提出を先進医療会議に認められた保険医療機関（以下「保険医療機関」という。）から保険給付との併用の希望があった必要性の高い抗がん剤を用いた先進医療Bの対象となる医療技術（以下「必要性の高い抗がん剤を用いた医療技術」という。）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必要性の高い抗がん剤を用いた医療技術の実績報告・総括報告等に関する事項
- ③ その他、必要性の高い抗がん剤用いた医療技術に関する事項

## 3 組織

(1) 評価委員会は、外部評価機関の長が選定した者であって、厚生労働省が承認した者の中から外部評価機関の長が任命した、先進医療に係る専門的学識経験を有する者（以下「構成員」という。）により構成される。また、必要に応じて評価委員会に、外部評価機関の長が選定した者であって、厚生労働省が承認した者の中から外部評価機関の長が任命した、個々の必要性の高い抗がん剤を用いた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。

なお、

- ① 構成員には、各臓器のがん臨床の専門家、生物統計家・臨床評価の専門家及び生命倫理の専門家が含まれていること、
- ② 外部機関に所属する構成員及び技術委員は、それぞれ若干名であることを満たしていなければならない。

- (2) 評価委員会の座長は、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。）を参加させることができる。
- (3) 座長は、各構成員の中から互選により選出する。
- (4) 座長は、評価委員会の事務を総理し、代表する。
- (5) 座長は、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) 評価委員会の構成員及び技術委員の任期は、一年度以内とする。ただし再任を妨げない。
- (8) 評価委員会の構成員又は技術委員に欠員が生じたとき、新たに任命された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) 評価委員会の有識者は、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

評価委員会は、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、評価委員会の構成員については、9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

評価委員会の議事は、座長を除く出席した構成員及び技術委員並びに構成員及び技術委員が9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 特定医療技術の評価

- (1) 評価委員会の構成員、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必要性の高い抗がん剤を用いた医療技術（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必要性の高い抗がん剤を用いた医療技術
  - 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必要性の高い抗がん剤を用いた医療技術
- (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、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、この場合にあっては、当該構成員等は、5の議事の取りまとめには参加することができない。

## 7 事前評価について

2①の検討については、評価を担当する構成員等を定め、事前評価を行うことができる。

## 8 審査の留意事項

構成員等は、必要性の高い抗がん剤を用いた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、当該医療技術に使用される抗がん剤の開発企業及び関係する医療機関から直接資料提供を受けてはならない。

## 9 欠席構成員等の意見提出

評価委員会の構成員及び座長が検討のため必要と認めた技術委員は、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。

## 10 議事の公開

評価委員会は公開とする。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っては、会議を非公開とすることができる。

## 11 議事録の公開

- (1) 評価委員会における議事は、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っては、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。

## 12 庶務

評価委員会の庶務は、外部評価機関の事務局において処理し、必要に応じて、

厚生労働省の助言を得る。

13 補足

- (1) この要綱に定めるもののほか、評価委員会の議事運営に関して必要な事項は、厚生労働省が定める。
- (2) この要綱は、平成25年11月29日から施行する。

## 「先進医療評価委員会」運営細則

## (通則)

第1条 先進医療評価委員会（以下「評価委員会」という。）の議事運営に関し必要な事項は、「先進医療評価委員会」開催要綱（以下「開催要綱」という。）に定めるもののほか、この細則の定めるところによる。

## (適用対象構成員等)

第2条 構成員、技術委員及び有識者（以下「構成員等」という。）に適用する。

## (定義)

第3条 この細則において「寄附金・契約金等」とは、コンサルタント料・指導料、特許権・特許権使用料・商標権による報酬、講演・原稿執筆その他これに類する行為による報酬及び構成員等が実質的に用途を決定し得る寄附金・研究契約金（実際に割り当てられた額をいい、教育研究の奨励を目的として大学等に寄附されるいわゆる奨学寄附金を含む。）等や、保有している当該企業の株式の株式価値（申告時点）をいう。ただし、構成員等本人宛であっても、学部長あるいは施設長等の立場で学部や施設などの組織に対する寄附金・契約金等を受け取っていることが明らかなものは除くものとする。

2 前項に規定するもののほか、この細則において使用する用語は、開催要綱において使用する用語の例による。

## (評価不参加の基準)

第4条 構成員等は、本人自らが所属する保険医療機関からの届出に係る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抗がん剤を用いた先進医療Bの対象となる医療技術（以下、「必要性の高い抗がん剤を用いた医療技術」という。）の場合は、当該医療技術に関する評価（議事の取りまとめを含む。）及び事前評価には加わらない。

2 構成員等本人又はその家族（配偶者及び一親等の者（両親及び子ども）であって、構成員等本人と生計を一にする者をいう。以下同じ。）が、第6条第1項に規定する申告対象期間（以下単に「申告対象期間」という。）において評価対象となる必要性の高い抗がん剤を用いた医療技術に含まれる抗がん剤の製造販売業者及び当該医療技術を実施する保険医療機関からの寄附金・契約金等の受取（又は割当て。以下同じ。）の実績を有し、個別企業からの受取額について、申告対象期間中に年度当たり500万円を超える年度がある場合は、当該構成員等は、当該医療技術に関する評価（議事の取りまとめを含む。）及び事前評価には加わらない。

3 構成員等本人又はその家族が、申告対象期間において評価対象となる必要性の高い抗がん剤を用いた医療技術に含まれる抗がん剤の製造販売業者及び当該医療技術を実施

する保険医療機関からの寄附金・契約金等の受取の実績を有し、個別企業からの受取額について、申告対象期間中のいずれの年度も500万円以下である場合は、当該構成員等は、当該医療技術に関する評価に加わることができるが、議事の取りまとめ及び事前評価には加わらない。

- 4 前項の規定にかかわらず、寄付金・契約金等が、申告対象期間中のいずれの年度も50万円以下の場合、議事の取りまとめ及び事前評価にも加わることができる。
- 5 前4項のほか、当該医療技術の評価の公平性に疑念を生じさせると考える構成員等は、座長にその旨を申し出るものとし、当該申出があったときは、当該構成員等は、当該医療技術に関する評価（議事の取りまとめを含む。）及び事前評価に加わらない。
- 6 前5項のほか、当該医療技術の評価の公平性に著しい疑念を生じさせる可能性があるとして座長が認めた場合にあっては、当該構成員等の評価への参加について、座長が評価委員会にはかつて、第1項から第4項までの規定に準じて取り扱うこととする。
- 7 当該医療技術に含まれる抗がん剤の製造販売業者の競合企業（部会において申告対象となった競合品目を開発中又は製造販売中の企業に限る。）についても、第1項から第6項まで規定を適用する。

#### （申告対象期間）

第6条 申告対象期間は、原則として、評価が行われる会議の開催日の属する年度を含む過去3年度とする。

- 2 構成員等は、会議の開催の都度、その寄附金・契約金等について、申告対象期間において最も受取額の多い年度につき、自己申告するものとする。

#### （報告）

第7条 第4条の規定に基づく構成員等の参加の可否については、会議において、事務局より報告するものとする。

#### 附 則

この細則は、平成25年11月29日から施行する。

第1回先進医療評価委員会	資料 4-1
平成 26 年 3 月 11 日	

先 - 6 - 1
2 5 . 9 . 6

中医協 総 - 2 - 1
2 5 . 9 . 4

## 先進医療制度の運用の見直しについて（案）

（「医療上の必要性の高い抗がん剤」を用いる先進医療の外部機関における評価について）

### 1. 背景

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、下記のような見直しを行ってきた。

#### （1）これまでの経緯

- ① 新成長戦略（平成 22 年 6 月 18 日閣議決定）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）において、新たな医薬品の創出等、医療の実用化促進を目的として、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た。
- ② 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 回にわたり検討され、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」として報告され、以下の 3 点について了承された。（参考①）
  - （ア） 「医療上の必要性の高い抗がん剤」を用いる先進医療の外部機関における評価について
  - （イ） 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
  - （ウ） 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（先進医療・高度医療一本化）
- ③ 上記（イ）及び（ウ）については、平成 24 年 10 月 1 日より、運用を開始しているところ。
- ④ 日本再興戦略（平成 25 年 6 月 14 日閣議決定）において、「保険診療と保険外の安全な先進医療を幅広く併用して受けられるようにするため、新たに外部機関等による専門評価体制を創設し、評価の迅速化・効率化を図る」とされた。（【本年秋を目途に抗がん剤から開始】）

## 2. 医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部機関における技術的評価に関する基本的考え方(案)

抗がん剤の外部機関における技術的評価について、本年秋を目途に開始するとされていることから、その実施に係る基本的考え方を下記の通り定めてはどうか。

### (1) 外部機関について

#### ① 先進医療会議（先進医療技術審査部会を含む。）と外部機関の関係について

- (ア) 平成 23 年 5 月 18 日の中医協「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」においては、「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するとされていること」とされていることから、当該条件を満たす医療機関に先進医療技術審査部会の業務を外部委託するという形式で実施する。
- (イ) 外部委託を受けた機関は、下記の領域の専門家を含む専門家を参集し、評価委員会を設置することとする。
  - i 各臓器のがん臨床の専門家
  - ii 生物統計家・臨床評価の専門家
  - iii 生命倫理の専門家
- (ウ) 外部委託を受けた機関内に評価委員会の事務局を設置することとする。
- (エ) 評価委員会の開催要綱等については、先進医療技術審査部会に準じることとする。

#### ② 外部機関における技術的評価の質の担保について

- (ア) 先進医療技術審査部会の構成員は、上記評価委員会の傍聴等により、上記評価委員会における技術的評価のあり方について確認を行うとともに、必要に応じて外部機関に助言等を行い、外部機関における技術的評価の質を担保することとする。

#### ③ 外部機関の体制及び利益相反について

- (ア) 外部機関は、「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」であり、がん領域の研究・開発に対して重要な役割を担っていることが想定されるため、「医療上の必要性の高い抗がん剤」を用いる先進医療を申請することが可能であることとする。

(イ) 外部機関の評価体制については、下記の要件を満たすこととする。

i 事務局の設置について

- ・ 先進医療の技術的評価を行う評価委員会の事務局を行う部署は、抗がん剤の臨床や研究開発を行う部署とは別な部署とし、異なる責任者を置いていること。

ii 評価委員会の構成員について

- ・ 構成員については、厚生労働省が指名すること。
- ・ 外部機関に所属する者は若干名とすること。

iii 外部機関自らが申請した医療技術の評価について

- ・ 外部機関が申請した医療技術の技術的評価を行う際は、当該外部機関に所属する評価委員会の構成員は評価に加わらないこと。

(2) 外部機関による評価の対象となる抗がん剤について

①前提

(ア) 平成 23 年 5 月 18 日の中医協「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」においては、下記の通り定められている。

i 「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。

ii 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。

(イ) 新薬創出・適応外薬解消等促進加算（以下、「新薬創出等加算」という。）の要件として、開発要請を受けた企業は、開発要請後 1 年以内に治験を開始することとされている。

- (ウ) 公募を行い、企業が開発の意思を申し出る場合は概ね1年以内に申し出が行われている。

## ② 考え方

- (ア) 下記の条件を満たす場合に、医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部機関における技術的評価の対象とする。
  - i 企業に対する開発要請後、1年を経過しても治験に着手されなかった未承認薬または適応外薬  
(適応外薬については、新薬創出等加算の適用の有無を問わない)
  - ii 開発企業の公募後、1年を経過しても開発の申し出がない未承認薬
- (イ) 開発要請又は公募から1年を経過した場合、先進医療の対象として告示するための手続きを速やかに進めるものとする。

## (3) 実施医療機関群の要件について

### ① 前提

平成23年5月18日の中医協「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」においては、下記の通り定められている。

- (ア) 先進医療会議において、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する。(医療機関群)
- (イ) 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
- (ウ) 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

### ② 考え方

- (ア) 先進医療会議において、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する際は、施設属性に沿って以下の取り扱いとする。

- i 臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点 … 質の高い臨床研究等を実施する体制や科学性、安全性、信頼性の観点から適切かつ透明性の高い倫理審査ができる体制、治験・臨床研究に精通する医師、臨床研究コーディネーター等人員の確保等の整備を行っていることから、原則として、全ての技術を実施可能とする。

ii 特定機能病院 … 施設の実情に応じて、技術ごとに先進医療の実施の可否を先進医療会議において検討する。

iii 都道府県がん診療連携拠点病院 … 施設の実情に応じて、技術（適応外薬を用いるものに限る）ごとに先進医療の実施の可否を先進医療会議において検討する。

(イ) 先進医療としての実施が認められた後は、従前と同様の取り扱いとして、協力医療機関の追加の可否を先進医療技術審査部会において検討する。

### 3. 今後の進め方について

(1) 「医療上の必要性の高い抗がん剤」を用いる先進医療の外部機関における評価について

上記2.(2)の「医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部機関における技術的評価に関する基本的考え方」に沿って先進医療会議において、具体的な運用方法について検討し、結果を中医協総会に報告し、了承を得ることとする。

(2) 再生医療、医療機器等の先進医療の申請に係る専門評価体制について

再生医療、医療機器等については、専門評価体制を創設し、評価の迅速化・効率化を図ることとされていることから、今後、薬事法改正や再生医療の安全性の確保に関する法律案の国会審議状況等を踏まえ、その具体的なあり方を検討していくこととする。

4. 「外部機関による評価の対象となる抗がん剤」に係る今後の考え方について

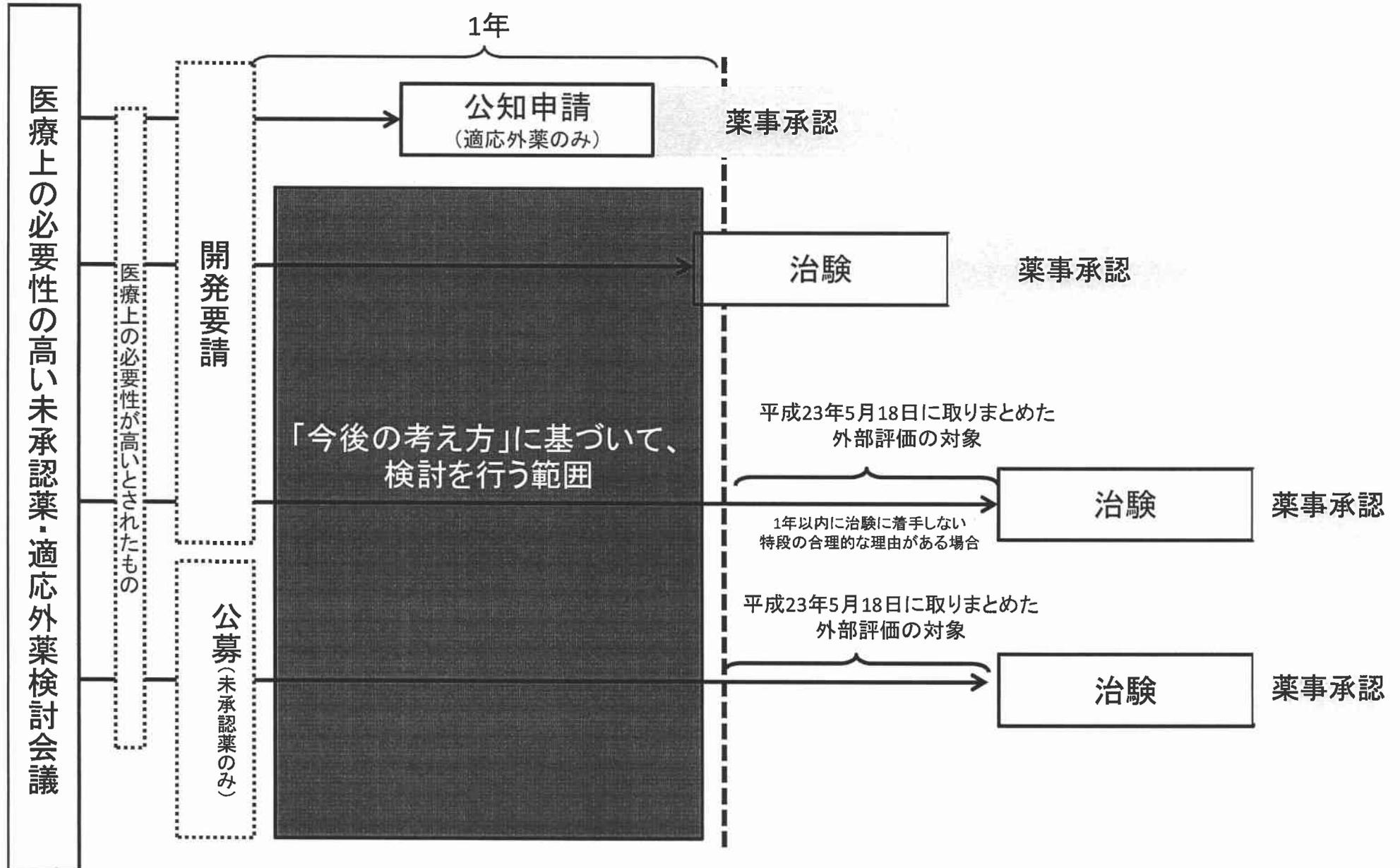
引き続き、抗がん剤への迅速なアクセスを求める声が強いことや「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において、患者や学会等から抗がん分野（小児がんを含む。）に係る多くの要望があることを踏まえ、「外部機関による評価の対象となる抗がん剤」について、今後、下記のように取り扱うことをどのように考えるか。

**対応の方向性**

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が高いとされた抗がん剤は、速やかに先進医療の外部評価の対象とする。

（「企業に対する開発要請後1年を経過しても、特段の合理的理由無く治験に着手されなかった際は、新薬創出等加算を適応しない」等、これら従来の新薬創出等加算の取り扱いを変更するものではない。）

# 医療上の必要性の高い抗がん剤を用いる先進医療の外部評価の対象について



## 医療上の必要性の評価の基準について

医療上の必要性の評価の基準について、下記のとおり分類している。

### (1) 適応疾病の重篤性

- 重篤性あり {
- ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）
  - イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
  - ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
  - エ 該当しない

### (2) 医療上の有用性

- 有用性あり {
- ア 既存の療法が国内にない
  - イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
  - ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる
  - エ 該当しない

※1 ア、イ、ウのうち複数に該当すると考えられる場合には、もっとも適切と判断されるものにあてはめることとした。

(1)(2)の両方について、ア、イ又はウと評価された場合には、「医療上の必要性の基準に該当」とし、国が企業に開発要請又は開発企業の募集を行う。

第1回先進医療評価委員会	資料5
平成26年3月11日	

医政発1129第25号

薬食発1129第1号

保発1129第2号

平成25年11月29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

（公印省略）

厚生労働省医薬食品局長

（公印省略）

厚生労働省保険局長

（公印省略）

「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」の一部改正について

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、「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、審査等の効率化・重点化を図ることを目的に、平成24年10月1日より従前の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議を一本化し、「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。)において示しているところである。

今般、日本再興戦略(平成25年6月14日閣議決定)等を受けて、先進医療通知の「記」以下を別紙のとおり改正し、平成25年11月29日から適用することとするので、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。

## 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經由して、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ものとし、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）にあつては、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。

カ 当該試験計画と同様の試験計画で治験が実施されていないこと。

## 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經由して、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) 治験が開始された場合、企業から薬事法に基づく申請等が行われた場合又は企業が薬事法に基づく製造販売承認を受けた場合の報告

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、治験が開始された場合、企業から薬事法に基づく申請等が行われた場合又は企業が薬事法に基づく製造販売承認を受けた場合は、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若しく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（以下「部会」という。）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、協力医療機関の追加については、部会においてその妥当性を審査する。

9 「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が高いとされた抗がん剤を用いる先進医療Bに係る新規技術の審査等

(1) 基本的な考え方

- ① 「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抗がん剤は、速やかに先進医療会議で先進医療としての適格性を確認する。
- ② 先進医療会議で認められたものについては、8の規定にかかわらず、部会において実施する技術的妥当性・試験実施計画等の審査等を、がん治療に高度の知見を有する機関（以下「外部評価機関」という。）に設置された先進医療評価委員会（以下「評価委員会」という。）に委託することができ、その結果を先進医療会議に報告する。

なお、外部評価機関については、平成25年11月1日付けで独立行政法人国立がん研究センターに委託することとした。

(2) 先進医療実施届出書を提出できる保険医療機関

評価委員会における技術的妥当性・試験実施計画等の審査の対象となる抗がん剤を用いた先進医療の届出を提出できる保険医療機関については、以下の①から③のうち、先進医療会議が認めたものとする。

- ① 臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点
- ② 特定機能病院
- ③ 都道府県がん診療連携拠点病院（適応外薬を用いるものに限る。）

(3) その他

- ① 未承認薬等検討会議から開発要請を受けた企業が存在する場合、評価委員会での技術的妥当性、試験実施計画等の審査の対象となる抗がん剤を用いた先進医療の実施を希望する保険医療機関及び実施中の保険医療機関は、当該企業と連携を行い、治験と同様の試験実施計画による先進医療が実施されないように努める等、先進医療及び治験の適切な実施に努めること。
- ② 先進医療の実施を希望する保険医療機関が行う申請の手続き等については、外部評価機関の事務局から助言を行うことが可能であるため、実施を希望する場合は、可能な限り速やかに厚生労働省医政局研究開発振興課に相談すること。

## 10 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。

## 11 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。

## 12 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。

## 13 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。

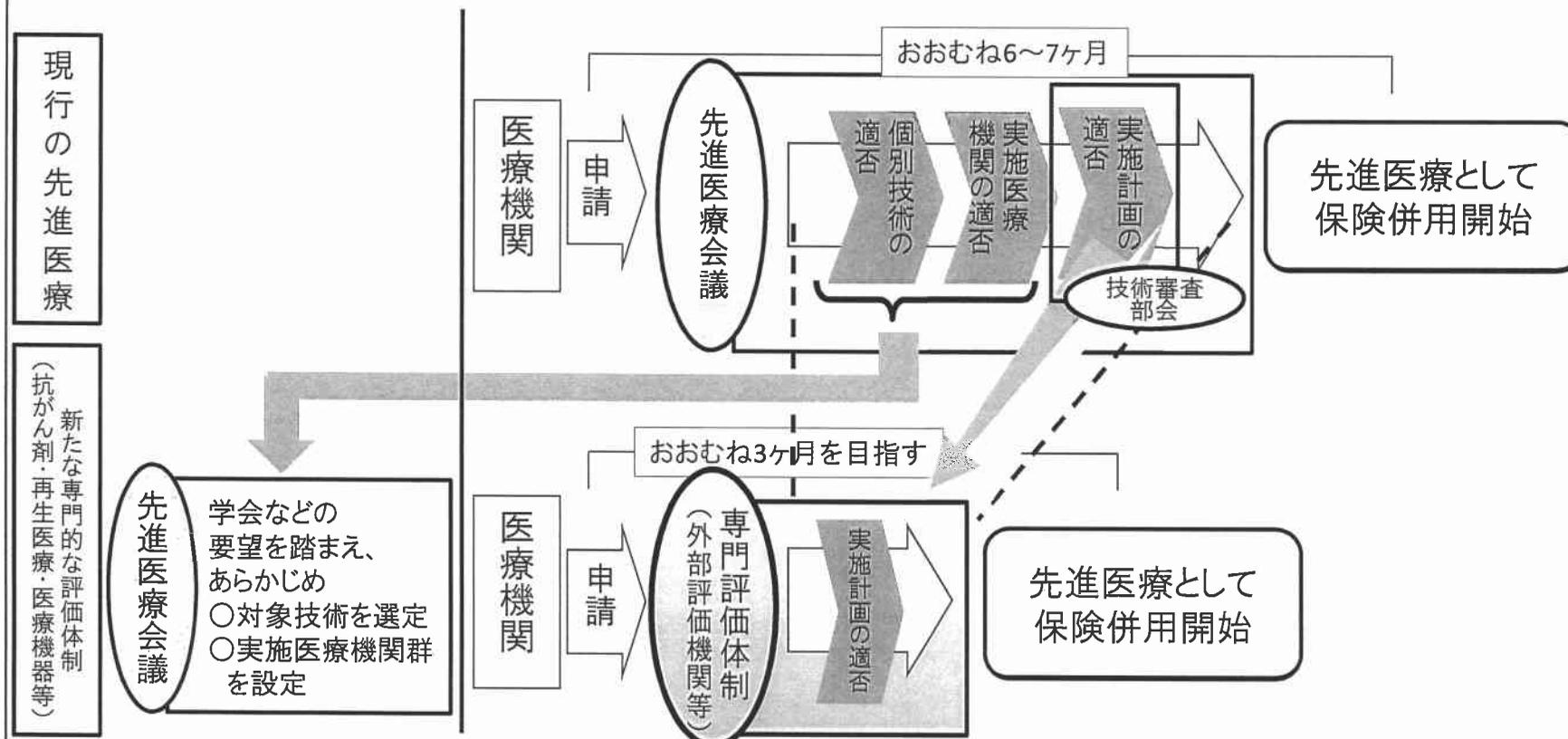
なお、薬事法の対象とならない再生医療、細胞医療等の技術についても、社会的妥当性等に留意しつつ、保険収載の必要性を検討する。

## 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。

## 最先端医療迅速評価制度(抗がん剤・再生医療・医療機器等)(仮称)の創設(案) ～保険外併用の評価の迅速化、効率化～

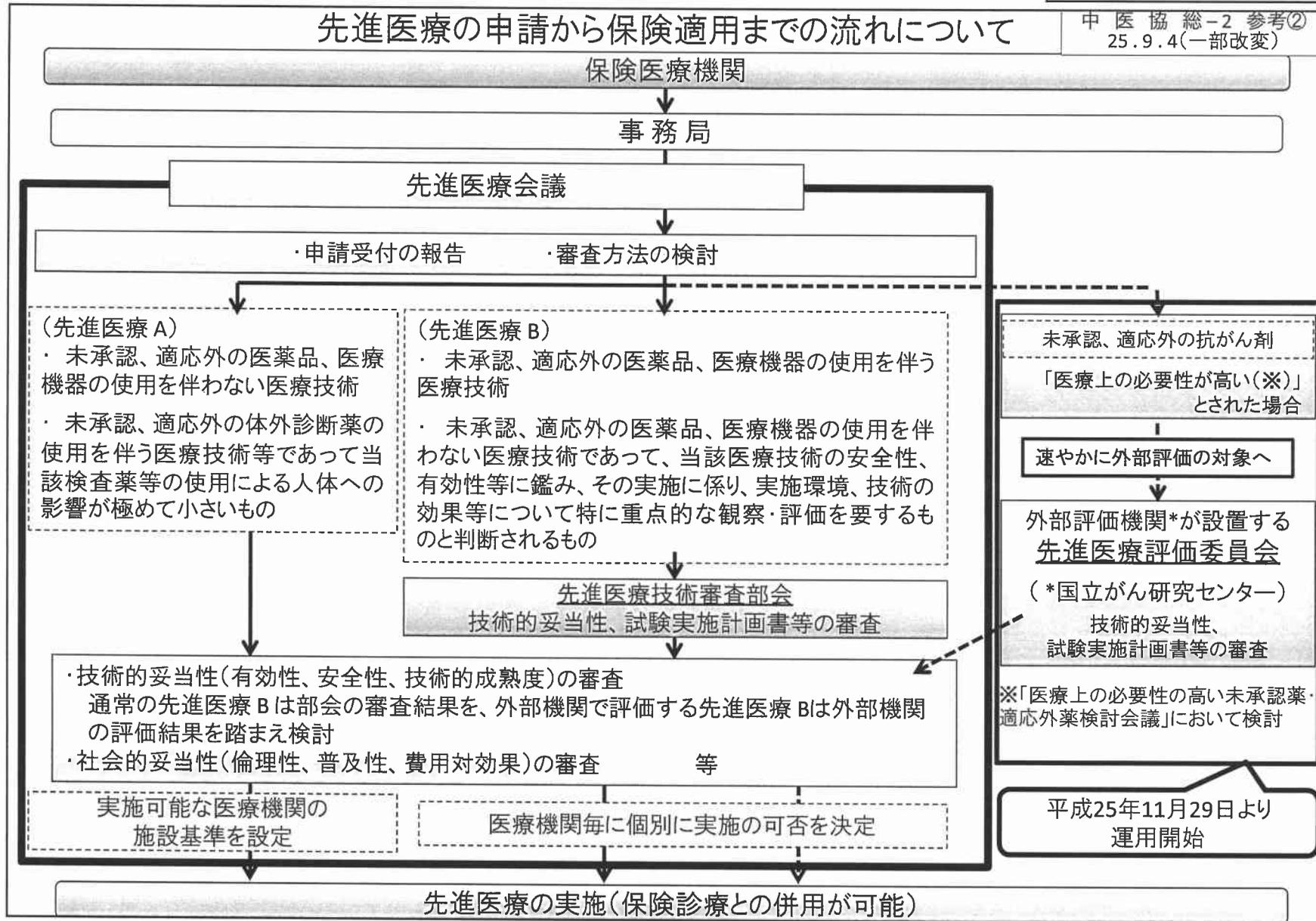
患者が安全かつできるだけ早期に、最先端の医療を受けられるよう、  
最先端の医療(抗がん剤・再生医療・医療機器等)に関して新たに専門的な評価体制を創設。



まずは抗がん剤について上記の専門評価体制をH25秋頃を目途に整備。  
再生医療、医療機器等についても、専門評価体制を創設し、評価の迅速化、効率化を図っていく。

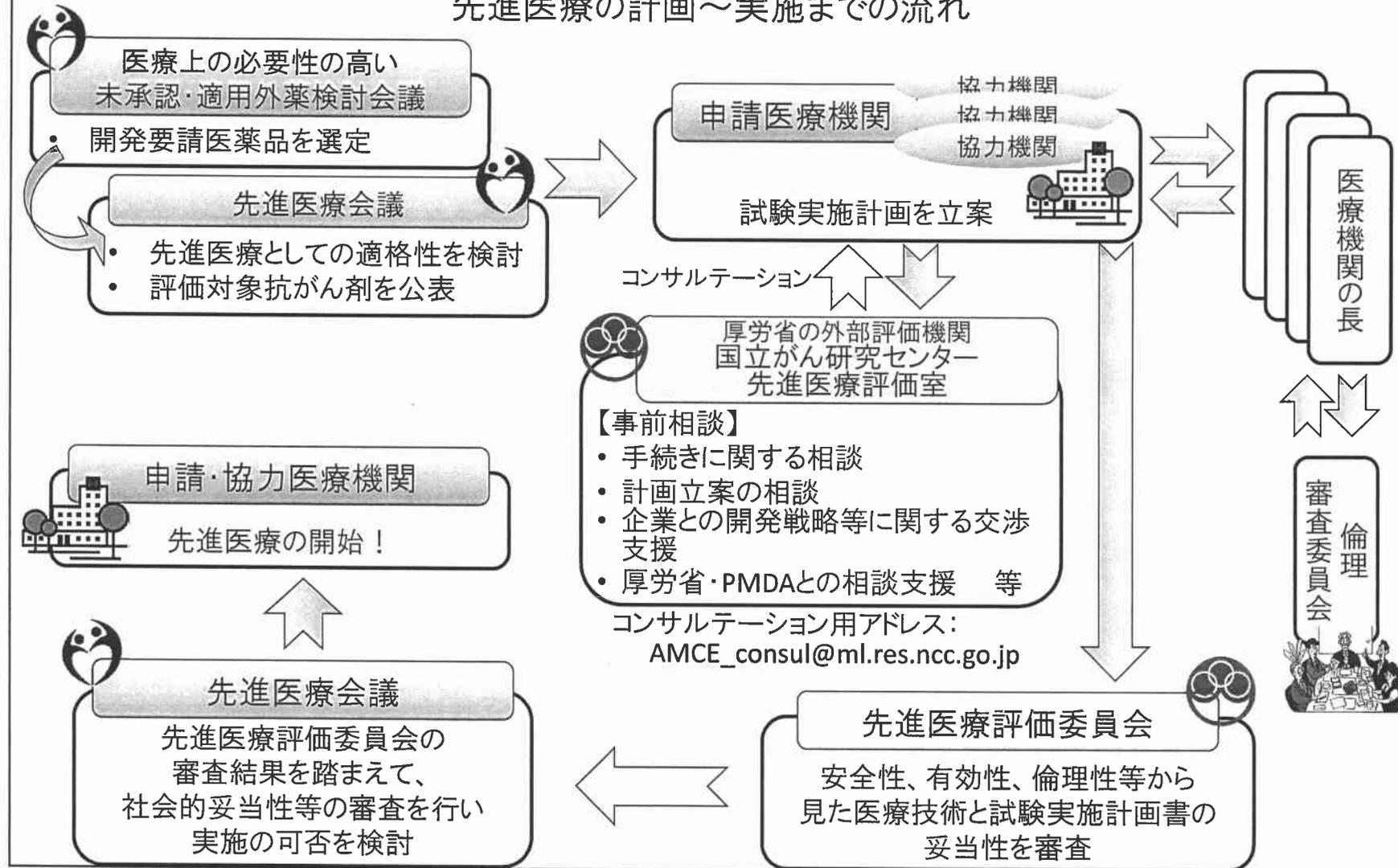
# 先進医療の申請から保険適用までの流れについて

中 医 協 総-2 参考②  
25.9.4(一部改変)



作成： 国立がん研究センター

### 医療上必要性が高いとされた抗がん剤を用いた 先進医療の計画～実施までの流れ



## 先進医療の外部評価の対象となる「医療上の必要性が高い抗がん剤」 について

- 現時点では、「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、医療上の必要性が高いとされた抗がん剤であって、治験の実施又は薬事承認に係る公知申請がなされていないものは、下記の通りであるため、これらについて、先進医療の外部評価が可能であるか等について検討を行う。

### 検討の対象となる抗がん剤（一覧）

成分名	開発内容 (対象疾患等)	未承認/ 適応外の 別	外部評価の可 否に関する 事務局案	実施医療機関に関する 事務局案
ドキソルビシン塩酸 塩リポソーム注射剤	多発性骨髄腫	適応外	外部評価可能	<ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床研究中核病院(全て)</li> <li>・早期・探索的臨床試験拠点(全て)</li> <li>・特定機能病院(全て)</li> <li>・都道府県がん診療連携拠点病院(全て)</li> </ul>
3-ヨードベンジルグ アニジン(131I)	神経芽腫	未承認	外部評価可能	<ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床研究中核病院(全て)</li> <li>・早期・探索的臨床試験拠点(全て)</li> <li>・特定機能病院(全て)</li> </ul>
3-ヨードベンジルグ アニジン(131I)	褐色細胞腫	未承認	外部評価可能	<ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床研究中核病院(全て)</li> <li>・早期・探索的臨床試験拠点(全て)</li> <li>・特定機能病院(全て)</li> </ul>
3-ヨードベンジルグ アニジン(131I)	甲状腺随様癌	未承認	外部評価可能	<ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床研究中核病院(全て)</li> <li>・早期・探索的臨床試験拠点(全て)</li> <li>・特定機能病院(全て)</li> </ul>

先 - 2 (参考資料1)  
25.11.14

「第17回 医療上必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」会議資料(抜粋)  
平成25年10月7日

第1回先進医療評価委員会  
平成26年3月11日

資料 7-2

## 企業から提出された開発工程表の概要等(第I回要望)(平成25年9月17日現在)

### 1. 企業から提出された開発工程表に基づく情報

(単位:件)

	第1回開発要請分※ (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	計
承認済み	80	41	3	124
承認申請済み	9	5	0	14
治験計画届提出済み	15	25	2	42
公知申請予定	0	1	0	1
治験計画届提出予定	0	0	0	0
その他	3	2	0	5
合計	107	74	5	186

※要望番号176(デキサメタゾン)については2010年10月に開発要請

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの

第1回開発要請分 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	計
0	0	0	0

g. その他

第1回開発要請分 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	計
3	2	0	5

g. その他(5件)

＜第1回開発要請分(3件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	治験計画届提出予定 (予定月)	個別事情	医療上の必要性が 高いと評価された日
189	ヤンセンファーマ	ドキソルビシン塩酸 塩リポソーム注射剤	ドキシル	多発性骨髄腫	2013年第1四半期	治験の中止基準に該当したため、治 験中止し、再度、開発計画を検討中	平成22年4月27日

「医療上の必要性に係る基準」への該当性  
に関する専門作業班（WG）の評価

＜抗がんWG＞

目次

＜抗がん剤分野＞	小児分野
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】	との関係
本邦における未承認薬	
アザシチジン（要望番号；15）	1
アナグレリド（要望番号；26）	9
カルムスチン（要望番号；104）	15
ストレプトゾシン（要望番号；157）	21
タルク（要望番号；171）	27
デニロイキン ディフテイトックス（要望番号；182）	33
フルベストラント（要望番号；266）	37
ポリノスタット（要望番号；291）	41
レナリドミド（要望番号；350）	45
アルデスロイキン（要望番号；359.3）	49

## 目次(つづき)

＜抗がん剤分野＞	小児分野
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】	との関係
本邦における適応外薬	
インターフェロン アルファ-2b (要望番号; 53) .....	53
エルロチニブ (要望番号; 76) .....	57
カペシタビン (要望番号; 95) .....	61
ゲムシタビン (要望番号; 122) .....	67
セツキシマブ (要望番号; 159) .....	71
ドキソルビシン塩酸塩リポソーム注射剤 (要望番号; 189) .....	77
ドセタキセル (要望番号; 190) .....	81
ノギテカン (要望番号; 212) .....	87
ベバシズマブ (要望番号; 278) .....	93
ボルテゾミブ (要望番号; 292) .....	99
【医療上の必要性の基準に該当しないと考えられた品目】	
本邦における未承認薬	
イキサベピロン (要望番号; 44) .....	103
本邦における適応外薬	
ダルベポエチン アルファ (要望番号; 74.2) .....	107
テモゾロミド (要望番号; 185) .....	113 ○
レノグラスチム (要望番号; 351.1) .....	117
フィルグラスチム (要望番号; 351.2) .....	121

注) 「小児分野との関係」列の「○」について

要望内容に、小児に関連する内容が含まれるが、成人と小児に共通する疾患等であることから、各疾患分野のWGが主に担当する品目

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本骨髄腫患者の会		189
2)	要望された 医薬品	一般名	ドキシルビシン塩酸塩リポソーム注射剤
		販売名	ドキシル
		会社名	ヤンセン ファーマ株式会社
3)	要望内容	効能・効果	追加要望：多発性骨髄腫  本邦承認済 効能又は効果 1.がん化学療法後に増悪した卵巣癌 2.エイズ関連カポジ肉腫
		用法・用量	本邦承認済 用法及び用量 1.*がん化学療法後に増悪した卵巣癌 通常、成人にはドキシルビシン塩酸塩として1日1回 50mg/m <sup>2</sup> を 1mg/分の速度で静脈内投与し、その後4週間休薬する。これを1コースとして投与を繰り返す。なお、患者の状態により適宜減量する。 2.*エイズ関連カポジ肉腫 通常、成人にはドキシルビシン塩酸塩として1日1回 20mg/m <sup>2</sup> を 1mg/分の速度で静脈内投与し、その後2～3週間休薬する。これを1コースとして投与を繰り返す。なお、患者の状態により適宜減量する。  追加：多発性骨髄腫 (米国ラベルより) 30 mg/m <sup>2</sup> IV on day 4 following bortezomib which is administered at 1.3 mg/m <sup>2</sup> bolus on days 1, 4, 8 and 11, every 3 weeks (2.4)
	要望の分類 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 未承認薬 <input checked="" type="checkbox"/> 適応外薬 (剤形追加も含む)  [特記事項] なし	

<p>4) 「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見</p>	<p>1. 適応疾病の重篤性 多発性骨髄腫について 多発性骨髄腫： 造血器腫瘍（血液がん）のひとつ。</p> <p>発症率： 人口 10 万人あたり 2.85 人で、現在日本国内に 13,000 人～14,000 人程度の患者を有するとされる。</p> <p>患者の年齢層： 40 歳未満の発症は稀で診断時年齢の中央値は男性 65 歳、女性 67 歳との統計がある。</p> <p>死亡率： 1970 年における人口 10 万人あたりの死亡率は 0.5 人、死亡者数 498 人であったが 2004 年には 10 万人比 2.96 人、3,779 人の命がこの病気によって失われた。今後、人口の高齢化が進行するとともに患者数、死亡者数とも更なる増加が予測される。</p> <p>症状： 特徴的かつ深刻な症状は骨痛。骨の病変は 80%近い患者に認められる。腰部、背部、胸部、四肢などの痛みを訴え、脊椎の圧迫骨折で身長が十数センチ縮む例、神経を圧迫して下半身不随となる例は稀ではない。そのほか、貧血、腎機能障害、易感染性などが代表的な症状。</p> <p>治療法： 化学療法（抗がん剤治療）が中心。自家造血幹細胞移植を伴う大量化学療法など 10 数年前と比較し格段に整備されたといえ、未だ不治の病であることに変わりない。抗がん剤に抵抗性となれば治療の手段が失われ、診断後、平均 3.5 年で死亡する。従来抗がん剤と機序の違う治療薬の開発が待たれる。</p> <p>2. 医療上の有用性 国際的な第 III 層無作為化比較試験にて、ドキシル+ベルケイドをベルケイド単剤と比較。結果、併用治療が率及び深さにおいて優位な奏効を示し、より長期な進行までの期間、奏効維持期間、無増悪生存期間、全生存期間を得た（文献注 1）。</p> <p>また、サリドマイドとの併用により、5 回以上と治療歴が長い患者群においても全奏効率 55.5%、無増悪生存期間中央値 10.9 カ月、全生存期間中央値 15.7 カ月という成績が得られた報告もある。 （文献注 2）</p>
--	--

		<p>(文献注 1) Role of combination bortezomib and pegylated liposomal doxorubicin in the management of relapsed and/or refractory multiple myeloma</p> <p>(文献注 2) Bortezomib in combination with pegylated liposomal doxorubicin and thalidomide is an effective steroid independent salvage regimen for patients with relapsed or refractory multiple myeloma: results of a phase II clinical trial.</p>
5)	備考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についての み、該当国にチェック する)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の 必要性に係 る基準」へ の該当性 に関する企 業側の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性 「ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）」に該当 (根拠) 多発性骨髄腫は治癒が期待できない B 細胞リンパ系腫瘍の一つであり、日本における死亡者数は 3,779 名 (2004 年) におよぶ致命的疾患である (厚生労働省平成 16 年度人口動態統計)。</p> <p>2. 医療上の有用性 「イ 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている」に該当 (根拠) 比較第Ⅲ相試験によりボルテゾミブと本剤を併用することによりボルテゾミブ単剤と比較して有意な腫瘍増悪までの期間 (Time to Progression) の延長を認めていることから、医療上の有用性は高いと考える。</p>
----	---	---

9)	国内開発の 状況 (該当するも のにチェック する)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input checked="" type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 〔特記事項〕 なし
10)	企業の開発 の意思 (該当するも のにチェック する)	<input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班 (WG) の評価

12)	「医療上の 必要性に係 る基準」へ の該当性に 関する WG の評価 (該当するも のにチェック する)	(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患) <input type="checkbox"/> イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 <input type="checkbox"/> ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない 〔特記事項〕 なし  (2) 医療上の有用性についての該当性 <input type="checkbox"/> ア 既存の療法が国内にない <input type="checkbox"/> イ 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて 明らかに優れている <input checked="" type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない 〔特記事項〕 なし
13)	備 考	

第1回先進医療評価委員会	資料 7-3
平成 26 年 3 月 11 日	

先 - 2 (参考資料 2)  
2 5 . 1 1 . 1 4

「第17回医療上必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」会議資料（抜粋）  
平成 25 年 10 月 7 日

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議での検討結果を受けて  
開発企業の募集を行った医薬品のリスト(平成25年9月25日時点)

○ 下表の医薬品については、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議で医療上の必要性が高いという評価を得て、開発企業の募集を行った医薬品のリストです。

<第II回要望募集>

No.	医薬品名	対象疾病	医療上の必要性が高いと評価された日
15	3-ヨードベンジルグアニジン( <sup>131</sup> I)	神経芽腫	平成24年12月16日
16	3-ヨードベンジルグアニジン( <sup>131</sup> I)	褐色細胞腫	平成24年12月16日
17	3-ヨードベンジルグアニジン( <sup>131</sup> I)	甲状腺髄様癌	平成24年12月16日

「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する  
専門作業班（WG）の評価  
＜抗がんWG＞

目次

＜抗がん剤分野＞ 【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】	小児分野 との関係	小児分野 との関係
本邦における未承認薬 3-ヨードベンジルグアニジン ( <sup>131</sup> I) (要望番号;II-5).....	1 ○	3-ヨードベンジルグアニジン ( <sup>131</sup> I) (要望番号;II-6.4)..... 9
3-ヨードベンジルグアニジン ( <sup>131</sup> I) (要望番号;II-6.1).....	3	3-ヨードベンジルグアニジン ( <sup>131</sup> I) (要望番号;II-7)..... 11
3-ヨードベンジルグアニジン ( <sup>131</sup> I) (要望番号;II-6.2).....	5	
3-ヨードベンジルグアニジン ( <sup>131</sup> I) (要望番号;II-6.3).....	7	

## 目次（つづき）

【医療上の必要性の基準に該当しないと考えられた品目】	小児分野 との関係	【医療上の必要性の基準に関する評価の対象外と考 えられた品目】	小児分野 との関係
本邦における適応外薬		本邦における適応外薬	
エトポシド(要望番号;II-46)……………	13	オキサリプラチン(要望番号;II-53)……………	21
オキサリプラチン(要望番号;II-54)……………	15	フルオロウラシル(要望番号;II-192)……………	22
シスプラチン(要望番号;II-99)……………	17		
フルオロウラシル(要望番号;II-193)……………	19		

注) 「小児分野との関係」列の「○」について

要望内容に、小児に関連する内容が含まれるが、成人と小児に共通する疾患等であることから、各疾患分野のWGが主に担当する品目

要望番号	II-5	要望者名	個人
要望された医薬品	一般名	3-ヨードベンジルグアニジン ( <sup>131</sup> I)	
	会社名	富士フイルム RI ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	神経芽腫の治療	
	用法・用量	3.7~7.4GBq 静脈投与	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>「神経芽腫」は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床研究成績等から、欧州において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>欧州の承認内容、及び診療ガイドラインでは、要望された医薬品の対象としては<sup>131</sup>Iを取り込む神経内分泌細胞に由来する悪性腫瘍である、神経芽腫、褐色細胞腫及び甲状腺髄様癌等が記載されていることから、要望番号II-5、II-6及びII-7について、併せて検討を行った。</p> <p>要望された医薬品については、既存の診断用製剤と比較して、高い放射エネルギーを有する製剤であり、国外の原子炉で製造される原材料を確保した上で、輸送・製造等に係る薬事法以外の各種法令に基づき輸入製造する必要がある。当該製剤は、高率に高エネルギーガンマ線を放出し、投与された相当量が尿、唾液、汗などの体液中に排泄される特徴を持つ。このため、医療現場において、その取扱いにあたり、医療法等に基づく診療用放射線の防護に関する規定に準拠した専門的な設備内での治療が必要とされており、現時点では、要望された医薬品が使用可能な国内施設は数施設程度との指摘がある。</p> <p>以上を踏まえて、WGでは、「公募の可能性を検討して欲しい。」及び「本邦で当該要望の治療が実施可能な施設数は限られてお</p>		

	り、かつ極めて稀な疾患に対する治療であることも考慮すると、薬事承認以外の手段で対応の余地はないか。」との意見も出された。
--	--

要望番号	II-6.1	要望者名	褐色細胞腫を考える会
要望された医薬品	一般名	3-ヨードベンジルグアニジン ( $^{131}\text{I}$ )	
	会社名	富士フイルム RI ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	褐色細胞腫	
	用法・用量	3.7 から 11.2GBq の範囲で 45 分から 4 時間かけて静脈投与する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>「褐色細胞腫」は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床研究成績等から、欧州において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>欧州の承認内容、及び診療ガイドラインでは、要望された医薬品の対象としては <math>^{131}\text{I}</math> を取り込む神経内分泌細胞に由来する悪性腫瘍である、神経芽腫、褐色細胞腫及び甲状腺髄様癌等が記載されていることから、要望番号 II-5、II-6 及び II-7 について、併せて検討を行った。</p> <p>要望された医薬品については、既存の診断用製剤と比較して、高い放射エネルギーを有する製剤であり、国外の原子炉で製造される原材料を確保した上で、輸送・製造に係る薬事法以外の各種法令に基づき輸入製造する必要がある。当該薬剤は、高率に高エネルギーガンマ線を放出し、投与された相当量が尿、唾液、汗などの体液中に排泄される特徴を持つ。このため、医療現場において、その取扱いにあたり、医療法等に基づく診療用放射線の防護に関する規定に準拠した専門的な設備内での治療が必要とされており、現時点では、要望された医薬品が使用可能な国内施設は数施設程度との指摘がある。</p> <p>以上を踏まえて、WG では、「公募の可能性を検討して欲しい。」及び「本邦で当該要望の治療が実施可能な施設数は限られてお</p>		

	り、かつ極めて稀な疾患に対する治療であることも考慮すると、薬事承認以外の手段で対応の余地はないか。」との意見も出された。
--	--

要望番号	II-6.2	要望者名	一般社団法人日本癌治療学会
要望された医薬品	一般名	3-ヨードベンジルグアニジン ( <sup>131</sup> I)	
	会社名	富士フイルム RI ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	褐色細胞腫	
	用法・用量	3.7 から 11.2GBq の範囲で 45 分から 4 時間かけて静脈投与する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>「褐色細胞腫」は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床研究成績等から、欧州において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>欧州の承認内容、及び診療ガイドラインでは、要望された医薬品の対象としては <sup>131</sup>I を取り込む神経内分泌細胞に由来する悪性腫瘍である、神経芽腫、褐色細胞腫及び甲状腺髄様癌等が記載されていることから、要望番号 II-5、II-6 及び II-7 について、併せて検討を行った。</p> <p>要望された医薬品については、既存の診断用製剤と比較して、高い放射エネルギーを有する製剤であり、国外の原子炉で製造される原材料を確保した上で、輸送・製造等に係る薬事法以外の各種法令に基づき輸入製造する必要がある。当該薬剤は、高率に高エネルギーガンマ線を放出し、投与された相当量が尿、唾液、汗などの体液中に排泄される特徴を持つ。このため、医療現場において、その取扱いにあたり、医療法等に基づく診療用放射線の防護に関する規定に準拠した専門的な設備内での治療が必要とされており、現時点では、要望された医薬品が使用可能な国内施設は数施設程度との指摘がある。</p> <p>以上を踏まえて、WG では、「公募の可能性を検討して欲しい。」及び「本邦で当該要望の治療が実施可能な施設数は限られてお</p>		

	り、かつ極めて稀な疾患に対する治療であることも考慮すると、薬事承認以外の手段で対応の余地はないか。」との意見も出された。
--	--

要望番号	II-6.3	要望者名	社団法人 日本内分泌学会
要望された医薬品	一般名	3-ヨードベンジルグアニジン ( <sup>131</sup> I)	
	会社名	富士フイルム RI ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	褐色細胞腫（傍神経節細胞腫を含む）	
	用法・用量	3.7 から 11.2GBq の範囲で 45 分から 4 時間かけて静脈投与する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>「褐色細胞腫」は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床研究成績等から、欧州において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>欧州の承認内容、及び診療ガイドラインでは、要望された医薬品の対象としては <sup>131</sup>I を取り込む神経内分泌細胞に由来する悪性腫瘍である、神経芽腫、褐色細胞腫及び甲状腺髄様癌等が記載されていることから、要望番号 II-5、II-6 及び II-7 について、併せて検討を行った。</p> <p>要望された医薬品については、既存の診断用製剤と比較して、高い放射エネルギーを有する製剤であり、国外の原子炉で製造される原材料を確保した上で、輸送・製造に係る薬事法以外の各種法令に基づき輸入製造する必要がある。当該薬剤は、高率に高エネルギーガンマ線を放出し、投与された相当量が尿、唾液、汗などの体液中に排泄される特徴を持つ。このため、医療現場において、その取扱いにあたり、医療法等に基づく診療用放射線の防護に関する規定に準拠した専門的な設備内での治療が必要とされており、現時点では、要望された医薬品が使用可能な国内施設は数施設程度との指摘がある。</p> <p>以上を踏まえて、WG では、「公募の可能性を検討して欲しい。」及び「本邦で当該要望の治療が実施可能な施設数は限られてお</p>		

	り、かつ極めて稀な疾患に対する治療であることも考慮すると、薬事承認以外の手段で対応の余地はないか。」との意見も出された。
--	--

要望番号	II-6.4	要望者名	個人
要望された医薬品	一般名	3-ヨードベンジルグアニジン ( <sup>131</sup> I)	
	会社名	富士フイルム RI ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	褐色細胞腫	
	用法・用量	3.7 から 11.2GBq の範囲で 45 分から 4 時間かけて静脈投与する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>「褐色細胞腫」は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床研究成績等から、欧州において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>欧州の承認内容、及び診療ガイドラインでは、要望された医薬品の対象としては <sup>131</sup>I を取り込む神経内分泌細胞に由来する悪性腫瘍である、神経芽腫、褐色細胞腫及び甲状腺髄様癌等が記載されていることから、要望番号 II-5、II-6 及び II-7 について、併せて検討を行った。</p> <p>要望された医薬品については、既存の診断用製剤と比較して、高い放射エネルギーを有する製剤であり、国外の原子炉で製造される原材料を確保した上で、輸送・製造等に係る薬事法以外の各種法令に基づき輸入製造する必要がある。当該薬剤は、高率に高エネルギーガンマ線を放出し、投与された相当量が尿、唾液、汗などの体液中に排泄される特徴を持つ。このため、医療現場において、その取扱いにあたり、医療法等に基づく診療用放射線の防護に関する規定に準拠した専門的な設備内での治療が必要とされており、現時点では、要望された医薬品が使用可能な国内施設は数施設程度との指摘がある。</p> <p>以上を踏まえて、WG では、「公募の可能性を検討して欲しい。」及び「本邦で当該要望の治療が実施可能な施設数は限られてお</p>		

	り、かつ極めて稀な疾患に対する治療であることも考慮すると、薬事承認以外の手段で対応の余地はないか。」との意見も出された。
--	--

要望番号	II-7	要望者名	個人
要望された医薬品	一般名	3-ヨードベンジルグアニジン ( <sup>131</sup> I)	
	会社名	富士フイルム RI ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	甲状腺髄様癌	
	用法・用量	3.7 から 11.2GBq の範囲で 45 分から 4 時間かけて静脈投与する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>「甲状腺髄様癌」は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床研究成績等から、欧州において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>欧州の承認内容、及び診療ガイドラインでは、要望された医薬品の対象としては <sup>131</sup>I を取り込む神経内分泌細胞に由来する悪性腫瘍である、神経芽腫、褐色細胞腫及び甲状腺髄様癌等が記載されていることから、要望番号 II-5、II-6 及び II-7 について、併せて検討を行った。</p> <p>要望された医薬品については、既存の診断用製剤と比較して、高い放射エネルギーを有する製剤であり、国外の原子炉で製造される原材料を確保した上で、輸送・製造等に係る薬事法以外の各種法令に基づき輸入製造する必要がある。当該薬剤は、高率に高エネルギーガンマ線を放出し、投与された相当量が尿、唾液、汗などの体液中に排泄される特徴を持つ。このため、医療現場において、その取扱いにあたり、医療法等に基づく診療用放射線の防護に関する規定に準拠した専門的な設備内での治療が必要とされており、現時点では、要望された医薬品が使用可能な国内施設は数施設程度との指摘がある。</p>		

	<p>以上を踏まえて、WGでは、「公募の可能性を検討して欲しい。」及び「本邦で当該要望の治療が実施可能な施設数は限られており、かつ極めて稀な疾患に対する治療であることも考慮すると、薬事承認以外の手段で対応の余地はないか。」との意見も出された。</p>
--	---