

2. (1) 再生医療については、「規制改革推進のための3か年計画（再改定）」において、『現行の法制度にとらわれることなく、臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする最適な制度的枠組みについて、産学官の緊密な連携のもとに検討する場を設け、結論を得る』とされているが、細胞治療・再生医療については、無機物である医薬品との違いを踏まえ、薬事法と別の法制度を設けるか、あるいは薬事法の中で別に基準を設けるなどが考えられるがどうか。

(答)

規制改革推進のための第3次答申『現行の法制度にとらわれることなく、臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする最適な制度的枠組みについて、産学官の緊密な連携のもとに検討する場を設け、結論を得る』を受けて、本年4月に「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」を立ち上げたところであり、ご質問の、薬事法と別の法制度を設けるか、あるいは薬事法の中で別に基準を設けるなどについては、今後、この検討会における議論を踏まえ、結論を得るべきものと考えている。

2. (2) 米国のHUD制度やいわゆるコンパッショネート・ユースなど、代替療法がない等の限定的状況において未承認の医薬品、治療法、医療機器の使用を認める制度の導入についてどう考えるか。

(答)

- 1 HUD (Humanitarian Use Device:人道的使用機器) とは、米国内の対象患者数が年間4000人以下と極端に少なく、他に治療法がない疾患に対する医療機器であって、当該医療機器使用の科学的な論拠、重大な危険性が無いこと等を米国食品医薬品局 (FDA) が確認することにより、医療機関ごとの倫理審査委員会による承認等の条件付きの承認を与えるものと承知している。
- 2 米国においてHUDとして承認を得た胸郭不全症候群用矯正器具などの医療ニーズの高い製品については、日本では限られた臨床試験成績等を活用しつつ、市販後の臨床試験や全例調査を条件として承認されているところ。また、医療ニーズの高い製品が迅速に医療現場へ提供されるよう、医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会を開催するなどその促進に努めているところ。
- 3 コンパッショネート・ユースについては、人道的な見地から、未承認医薬品、医療機器の使用を認める制度と承知している。「有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会」の報告書において別添の通り提案されている。
また、「薬害肝炎事件の検証及び再発防止のための医薬品行政のあり方検討委員会」の「薬害再発防止のための医薬品行政等の見直しについて (第一次提言)」においては、コンパッショネート・ユースに関し「安易な導入によってかえって薬害を引き起こすことにならないよう、慎重な制度設計と検討が必要である。」と提言されている。

(別添)

有効で安全な医薬品を迅速に提供するための検討会 報告書
(抜粋)

- 品質、有効性及び安全性が確保された医薬品を国民に提供するためには、国内で必要な治験を実施し、その結果等に基づき科学的に検証して承認することが基本であり、この原則は堅持すべきである。
- 一方で、重篤な疾患で代替治療法がない場合などやむを得ない場合に限っては、「治験を実施して承認する」との原則を阻害しない範囲で未承認薬を使用せざるを得ないと考えられ、このための制度（いわゆるコンパッション・ユース制度）の導入に向けて検討すべきである。
- 具体的には、重篤な疾病を対象とするもので他に代替治療法がない医薬品について、その治験の第Ⅲ相試験の対象外の患者や、治験が終了してから承認までの間の患者に対して使用するなどの限定的な範囲での使用が考えられるが、諸外国の制度やその運用などをも参考にさらなる検討が必要と考えられる。また、その制度の実施に当たり国、製薬企業、医師のそれぞれが担う役割、治験審査委員会等の活用、薬剤部門の関与等についても詳細な検討が求められる。また、医療保険上の取扱いについても併せて検討されることが望ましい。
- なお、本制度により供給される医薬品については、その安全性等につき検討が十分ではない段階で提供されるものであるという趣旨にかんがみ、副作用被害救済制度等の対象外とせざるを得ないものと考えられる。また、製薬企業の承認申請のために実施される治験と異なり、本制度を通じて提供される未承認薬は患者の治療のために提供されるものであることから、その治療に係る費用負担を製薬企業に求めることは適当でないと考えられる。

薬害再発防止のための医薬品行政等の見直しについて（第一次提言）
（抜粋）

- ・患者数が極めて少ないことなどにより製薬企業による承認申請等が進まない国内未承認薬について、適正な管理、安全性情報等の収集・提供及び適正な使用が行われるよう、欧米で制度化されているコンパッショネート・ユース等の人道的な医薬品の使用手続の国内導入を検討することが提案されているが、安易な導入によってかえって薬害を引き起こすことにならないよう、慎重な制度設計と検討が必要である。

2. (3) 我が国の医療分野における国際競争力強化に向け、公費での治験ベッドの確保・充実、臨床研究費への流用など研究費の使途の柔軟化の要望も寄せられているが、どう考えるか。

(答)

1 公費での治験ベッドの確保・充実については、治験等を推進するため、医療産学官共同研究施設の設備整備費として、平成20年度より支援を開始した。

<医療クラスター整備事業>

平成20年度 36億円（うち、補正18億円）

2 臨床研究費への流用など研究費の使途の柔軟化については、

① 他の目的で実施されている研究事業の研究費を臨床研究の研究費に使用することについて、厚生労働科学研究費補助金が「使途が特定されている」との特定性を有する補助金適正化法上の補助金である以上、補助金適正化法に抵触するため、ご指摘のような使途の柔軟化を図ることは困難である。

② 一方で、補助金適正化法上、補助金の経費の配分の変更を認めており、厚生労働科学研究費補助金においては、その研究費のうちであれば、当初と異なる経費への流用を行うことができる。

なお、この場合において、当該経費の20%以上の額の配分変更を行う場合は、厚生労働大臣に経費変更申請書を提出し承認を得る必要があるが、当該経費の20%以内であれば、厚生労働大臣へ経費変更申請書を提出せずに実施することができる。

(参考)

補助金等に係る予算の執行の適正化に関する法律 (抜粋)

(補助金等の交付の条件)

第七条 各省各庁の長は、補助金等の交付の決定をする場合において、法令及び予算で定める補助金等の交付の目的を達成するため必要があるときは、次に掲げる事項につき条件を附するものとする。

一 補助事業等に要する経費の配分の変更(各省各庁の長の定める軽微な変更※を除く。)をする場合においては、各省各庁の長の承認を受けるべきこと。

二～五 略

※補助金等適正化法講義(財団法人大蔵財務協会)より

補助金中央連絡会議において「軽微な変更」の基準が以下のとおり定められてる。

- ① 経費の目的を実質的に変更するものではない場合
- ② 経費の配分の変更が経費使用の効率化に貢献するものであり、補助目的の達成に何等の支障がないと認められる場合
- ③ 種目別配分の固定化がかえって経費の能率的な使用を防げるおそれがあり、かつ、補助事業者等の創意に基づく配分の変更を認めても補助目的の達成に支障がないものと認められる場合

(補助事業等及び間接補助事業等の遂行)

第11条 補助事業者等は、法令の定並びに補助金等の交付の決定の内容及びこれに附した条件その他法令に基く各省各庁の長の処分に従い、善良な管理者の注意をもつて補助事業等を行わなければならないが、いやしくも補助金等の他の用途への使用(利子補給金にあつては、その交付の目的となつている融資又は利子の軽減をしないことにより、補助金等の交付の目的に反してその交付を受けたことになることをいう。以下同じ。)をしてはならない。

○厚生労働科学研究費補助金取扱規程(抜粋)

(交付の条件)

第12条 補助金の交付の決定には、次の条件を付すものとする。

- (1) 略
- (2) 略

(3) 研究事業又は推進事業に要する経費の配分の変更（第4条第1項第1号若しくは第2号又は第2項各号に掲げる経費の増減額が変更前の当該経費の額に0.2を乗じた額を超えない場合を除く。）をしようとする場合には、別に定める様式による経費変更申請書を厚生労働大臣に提出し、その承認を受けなければならないこと。

2. (4) 我が国における最先端医療の研究・実用化促進のために、特定機能病院など、一定の範囲を定めた上で、臨床研究における保険外併用療法を可能とすることについてどう考えるか。

(答)

- 1 臨床研究段階における保険診療と保険外診療の併用については、平成20年4月に創設された高度医療評価制度において、薬事法未承認・適用外の薬物等を用いた医療技術であっても、一定の安全性・有効性等が確認されたものについては、認められているところである。
- 2 さらに、平成21年3月に閣議決定された「規制改革推進のための3カ年計画（再改定）」においても、高度医療評価制度の積極的な運用に取り組むこととしており、今後もこの枠組みを適切に運用していくべきものと考えている。
- 3 一方、特定機能病院など、一定の範囲を定めた上で、臨床研究における保険外併用を包括的に可能とすることについては、
 - ・個々の医療技術ごとに必要な要件は異なることから、当該技術を適切に実施できる体制については、その要件を一律としてしまうことは不適當であるとともに
 - ・医療技術ごとの事前評価が行われなことから、安全性・有効性等が担保されない医療が提供されてしまうといった問題があると考えている。
- 4 いずれにしても、最先端医療の研究・実用化促進に取り組む上で具体的に障害となっている点があれば、学会より省内の担当部局に相談いただきたい。

2. (5) 臓器移植法案が国会で審議中であるが、同法施行規則第4条に、「法第九条の規定による臓器（法第五条に規定する臓器をいう。以下同じ。）の処理は、焼却して行わなければならない。」とある。この条文の趣旨はどうか。また、欧米等では、移植に用いられなかった臓器等を提供者の同意の上で研究に用いられることが広く行われており、我が国でも提供者の同意を前提としてこうした道を開くべきとの意見もあるが、どう考えるか。

(答)

1 臓器の移植に関する法律施行規則（平成9年厚生省令第78号）（以下「施行規則」という。）第4条の趣旨については、臓器の移植に関する法律（平成9年法律第104号）（以下「臓器移植法」という。）第9条の規定により、「臓器移植法第6条の規定により死体から摘出された臓器であって、移植術に使用されなかった部分の臓器については、厚生労働省令で定めるところにより処理しなければならない」旨規定されているところ、臓器移植法施行規則第4条は、当該処理方法を定めたものである。

2 移植に用いられなかった臓器等を研究に用いることについては、臓器移植法制定時の国会審議を踏まえれば、臓器移植法では摘出された臓器が研究に用いられることを認めていないと解され、現行法の下では、移植に用いられなかった臓器等も研究に用いることはできない。

この点については、現在国会で審議中の臓器移植法改正案等の内容に係る事項であるため、国会での審議の状況を見定めたいと考えている。