

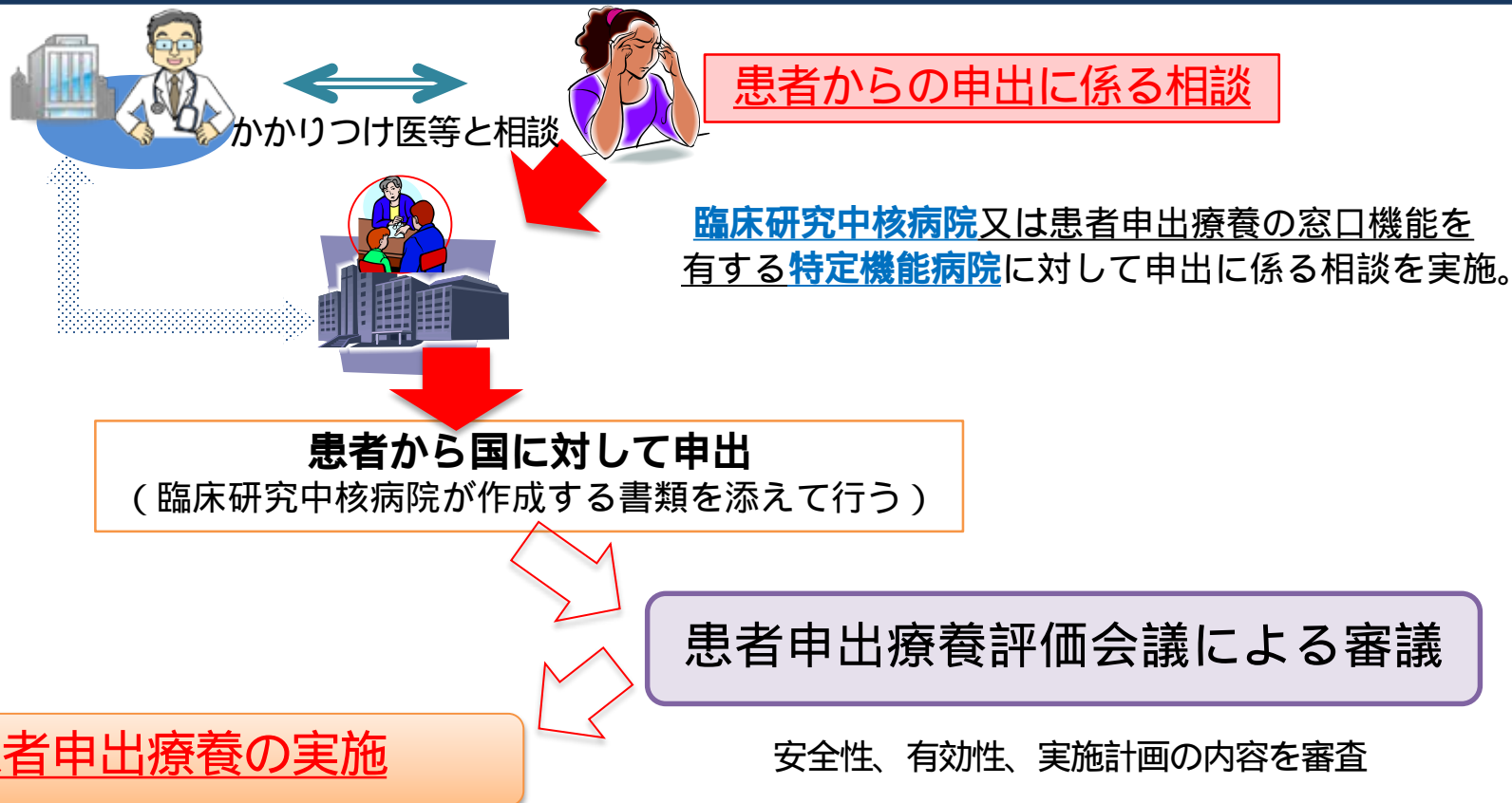
規制改革推進会議 医療・介護WG資料

患者申出療養制度の現状について

平成30年4月3日
厚生労働省

患者申出療養について

国内未承認の医薬品等を迅速に保険外併用療養として使用したいという患者の思いに応えるため、患者からの申出を起点とする新たな保険外併用療養の仕組みとして、患者申出療養を創設（平成28年4月～）
保険外併用療養の適用に当たっては、保険収載に向けた技術として、国において安全性・有効性を確認
することとされている。



原則
6
週間
()

申出を受けた臨床研究中核病院又は特定機能病院に加え、患者に身近な医療機関において患者申出療養が開始

対象となった医療及び当該医療を受けられる医療機関は国がホームページ等で公開

既に患者申出療養として前例がある医療を他の医療機関が実施する場合には臨床研究中核病院において原則 2 週間以内に実施体制等进行评估。

情報収集 (注1)

国立保健医療科学院の「臨床研究情報ポータルサイト」で治験、先進医療を含む、各種臨床試験の情報を検索可能。
(<https://rctportal.niph.go.jp/>)

患者からの相談

→ Yes
.....> No

治験

該当試験なし

PMDA (医薬品医療機器総合機構)のHP上に、現在実施されている主たる治験情報が公開されている。
(<https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0019.html>)

該当試験あり

実施企業(注2)に参加可能かどうか確認

実施企業(注2)に拡大治験の可否につき確認

拡大治験 () に参加

(人道的見地から実施される治験)

治験に参加

先進医療

該当試験なし

厚生労働省のHP上に、現在実施されている先進医療の技術の概要及び実施可能施設を公開している。
(<http://www.mhlw.go.jp/topics/bukyoku/isei/sensiniryu/kikan.html>)

該当試験あり

実施医療施設に適格基準等から参加可能かどうか確認

実施医療施設に通院可能か否か

患者が希望する医療機関が協力医療機関として参加可能かどうか確認

先進医療の計画変更により対応可能かどうか確認

先進医療に参加

患者申出療養 (既に告示されている技術)

該当試験なし

厚生労働省のHP上に現在実施されている患者申出療養の技術の概要及び実施可能施設を公開している。
(<http://www.mhlw.go.jp/topics/bukyoku/isei/kanja/kikan.html>)

該当試験あり

実施医療施設に適格基準等から参加可能かどうか確認

実施医療施設に通院可能か否か

患者が希望する医療機関が協力医療機関として参加可能かどうか確認

患者申出療養の計画変更により対応可能かどうか確認

患者申出療養に参加 (既に告示されている技術)

それ以外の臨床研究

各医療機関および、近隣の医療機関で実施されている臨床研究につき可能な範囲で情報収集。

該当試験あり

該当試験なし

適格基準等から参加可能かどうか確認

臨床研究に参加

試験実施可能なエビデンス (欧米での承認等) があるか

医薬品等の入手が可能か

実施体制等の観点から実施可能か (*計画作成の実現可能性等を踏まえる)

既存の技術で対応

新たな患者申出療養として実施

(注1) 情報収集に関しては、かかりつけ医、特定機能病院、臨床研究中核病院のいずれの医療機関で実施してもよい。

(注2) 医師主導治験の場合には実施医療機関 (または医師) に確認。主たる治験実施者の連絡先に関しては下記リンクに公開されている。

(<https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0017.html>)

前回のWG（平成29年11月）を踏まえて

- 1．制度の運用状況及び患者からの相談事例の現状について
- 2．本制度の運用に係る、臨床研究中核病院へのヒアリング結果等について
- 3．本制度の運用に関する対応について（案）

1 . 制度の運用状況及び患者からの相談事例の現状について

現在までに承認された患者申出療養は、4件。

特定機能病院及び臨床研究中核病院には、患者から相談があった場合にはその内容等を報告していただくこととしており、平成30年2月末時点までに計91件()の相談が来ている。

患者からの相談については、これまでと同様、先進医療や治験など他の制度での治療実施も含め、患者申出療養としての実施可能性について、丁寧かつ適切に相談に乗り、対応している。

() 前回WG時点(平成29年7月末時点)では計78件であった。

1 . 制度の運用状況及び患者からの相談事例の現状について

平成30年2月末時点

特定機能病院等への
患者からの相談件数
(H28.4月からH30.2月末まで)
91件

④ 制度一般に関する照会等、
具体的な技術に関する
相談ではなかったもの
34件

⑤ 一度相談があったが、
その後、現在までに
相談がないもの
14件

⑥ 医療機関等において患者
申出療養として実施困難と
判断したもの
19件

② 拡大治験（日本版コンパッ
シヨネートユース）等の
治験、先進医療等、他の
臨床試験へ参加
11件

③ 既承認の患者申出
療養に参加
4件

⑦ 相談継続中
5件

患者申出療養
評価会議
における審議

① 患者申出療養
として実施
4件

(患者数合計142人)

(参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (19件)

平成30年2月末時点

| | 医療技術名 (対象疾患) | 経過等 | |
|--|--|--|--------------------------------------|
| | 自家嗅粘膜移植による 損傷脊髄機能の再生治療 (頸髄損傷) | 脳神経外科医の評価では、受傷の状況等の患者の状態からは技術の対象外であることから、安全性や有効性等に疑義があり(症状が改善しない可能性)、申出療養での実施は困難と判断。なお先進医療で実施中の技術であるが、当該患者は適応外。 | 患者の状態 からは適応外 |
| | ラジオ波焼灼術 (腎細胞癌の多発転移) | 相談を受けた臨床研究中核病院としては、患者の状態及び技術的な問題等から実施が不可能と判断し、見送り。 | |
| | イソプロテレノール (β刺激薬)投与 (アルツハイマー型認知症) | 当該患者の診断が未確定であること、当該治療薬は国内で承認されている薬剤であるが、当該疾患に対する効果は細胞・動物レベルで確認されたのみであり、ヒトでの効果が全く確認されていないことから、患者申出療養での実施は困難と判断。 <i>(“Toxic tau oligomer formation blocked by capping of cysteine residues with 1,2-dihydroxybenzene groups”. Nature Communications, 2015)</i> | 患者の診断が 未確定かつ ヒトでの 効果が未確認 |
| | ペランパネル (抗てんかん薬)投与 (筋萎縮性側索硬化症) | ヒトでの効果が全く確認されていないこと、近々、多施設共同の医師主導治験が他院で開始される予定であったため、そちらを案内。 | ヒトでの 効果が未確認 治験を案内 |
| | メラトニン投与 (認知症) | メラトニンは現時点で医薬品の入手が困難であること、動物モデルにおける使用経験はあるものの、ヒトに対する効果が確認されていないことから、患者申出療養として実施困難と判断。 <i>(“Effect of Melatonin and Resveratrol against Memory Impairment and Hippocampal Damage in a Rat Model of Vascular Dementia.” Neuroimmunomodulation, 2017)</i> | 医薬品の入手 が困難であり かつヒトでの 効果が未確認 |

(参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (19件)

平成30年2月末時点

| | 医療技術名 (対象疾患) | 経過等 | |
|--|-----------------------------------|--|--------------------------|
| | スニチニブ (抗がん剤) 投与 (悪性褐色細胞腫) | 本疾患に対する当該治療は以前、国内で医師主導臨床試験が実施されていた。本制度では自費診療部分 (薬剤費用等) は患者負担となり、高額な負担が予想されることから患者自身が断念。 | 費用面から 患者自身が 断念 |
| | 経皮的ラジオ波凝固療法 (左大腿骨骨腫瘍) | 本制度では自費診療部分 (薬剤費用等) は患者負担となり、高額な負担が予想されることから患者自身が断念。 | |
| | ニボルマブ投与 (頭頸部癌stage IVA) | | |
| | リツキシマブ投与 (CIDP: 慢性炎症性脱髄性多発神経炎) | 海外・国内とも当該疾患に対する本治療の適応は無く、治験実施もなし。スペインでCIDPに対して当該治療を実施し、有効例を認めたとの報告あり (4例中2例が著明に改善)。高額な負担が予想されることから患者自身が断念。 (<i>"Rituximab in treatment-resistant CIDP with antibodies against paranodal proteins."</i> Neurol Neuroimmunol Neuroinflamm., 2015) | |
| | 腹腔内温熱化学療法 (腹膜偽粘液腫) | 腹膜偽粘液腫に対する当該治療は先進医療として実施していたが、当該技術は医療機関の人的負担等が非常に大きく、患者申出療養として臨床研究を継続することは困難と判断した。 | 当該施設での 実施体制の 整備が困難 |
| | 腹腔内温熱化学療法 (大腸癌) | | |
| | 脳神経再生治療の治験 (脳出血後) | 他医療機関で治験を実施中。相談を受けた医療機関では実施体制が整っておらず、実施医療機関への相談を勧めた。 | |
| | 骨髄間葉系幹細胞の静脈内投与 (脊髄損傷) | | |
| | 培養幹細胞 (Nurown) 移植術 (筋萎縮性側索硬化症) | 米国で第 相試験が終了したもの。当該治療の実施にあたっては「再生医療等安全性確保法」に適合する医療機関または企業の工場において細胞の加工・保存を行う必要があり、さらに、幹細胞の海外への輸送等の問題もあり、医療機関として実施体制の整備が難しいと判断した。 | |

(参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (19件)

平成30年2月末時点

| 医療技術名 (対象疾患) | 経過等 | |
|-------------------------------------|--|--|
| ニボルマブ投与 (卵巣癌脳転移) | 現時点では当該疾患に対する有効性の科学的根拠がないことから、患者申出療養の対象とはならないと判断。 | |
| NC-6004ナノプラチン治療 (膵臓癌) | ナノプラチンの治験が国内で実施中。企業に確認したところ、拡大治験は予定していない。患者申出療養としての実施を検討したが、企業からの薬剤入手が困難であり、実施困難と判断。 | |
| パクリタキセル腹腔内投与 (胃がん腹膜播種) | 左記治療を患者申出療養として受けたいと希望されたものの、主治医等と相談した上で、まずは標準治療の実施が望ましいと判断され、ご本人様も納得された。 | |
| | 相談時点で、左記治療は既に患者申出療養として実施組み入れが終了し、評価中の療養(第1番目の療養)であり、患者と相談し実施しないこととした。 | |
| 自己心膜製ステントレス 僧帽弁置換術治療 (僧帽弁狭窄症) | 別の疾患に対して、先進医療として同様の技術が実施されており、そちらの適格基準の変更等を検討することとなった。 | |

有効性に関する科学的根拠無し

薬剤入手が困難

医師との相談の結果、患者自身が判断

患者組入が終了し評価中の患者申出療養であり実施せず

先進医療としての実施を検討

2. 本制度の運用に係る、臨床研究中核病院へのヒアリング結果等について

目的：患者申出療養制度の制度設計や運用について、聴取・意見交換を行う。

ヒアリング先：国立がん研究センター中央病院、同センター東病院、
慶應義塾大学病院、東京大学医学部附属病院

時期：平成29年11月から12月

主な意見は以下のとおり。

1. 制度に関する理解について

- ・患者、医師ともに本制度についての理解が不足していると思われることから、本制度について、具体的な実施事例を含め、患者及び医療従事者へのさらなる周知が必要ではないか。

2. 医療機関の負担について

- ・研究計画等作成に当たって医療機関の負担が大きい。
- ・臨床研究の実施に当たって実施医療機関の事務負担が大きい。

2 . 本制度の運用に係る、臨床研究中核病院へのヒアリング結果等について

3. 制度の対象とする技術について

- ・ 相談内容については、治験や先進医療の紹介で対応できる場合が多い。
- ・ 理論的には効果があると考えられる技術であっても、実臨床で効果が得られない例は多数ある。一定程度の安全性や有効性が認められる技術のみを実施すべきではないか。
- ・ いかにも患者の希望であっても、有効性が十分に確認できていない技術を実施するために患者に高額な費用負担を求めることに抵抗感がある。

4. 情報共有について

- ・ 患者からの相談に適切に対応するため、各病院が対応した相談内容について、臨床研究中核病院等において情報共有する仕組みを作るべきではないか。

3 . 本制度の運用に関する対応について（案）

1 . 対応の基本的考え方

ヒアリング結果を踏まえた対応の考え方は以下の通り。

（1）医療機関の負担軽減

平成26年の規制改革実施計画（閣議決定）において、本制度の対象となる医療については、将来の保険収載に向けた評価のための実施計画を作成することとされており、健康保険法においても、「適正な医療の効率的な提供を図る観点から評価を行うことが必要な療養」として規定されている。

このため、本制度の対象となる医療は、「臨床研究」として行う必要がある。

一方で、研究計画等の作成に係る医療機関の負担が大きいとの指摘もあることから、「臨床研究」としての要件は満たしつつ、可能な限り、負担軽減の方策を講じる必要がある。

（2）質の高い相談体制の構築

患者、医師ともに本制度の理解が不足している、さらなる周知が必要との指摘があることから、患者の相談に対応する相談員や医師の知識を深めることが必要。

また、患者からの相談等に対し、より迅速かつ統一的に対応できるよう、実際の具体的な相談事例を、臨床研究中核病院等の間で迅速に共有できる仕組みが必要。

（3）制度についての普及啓発

制度がより一層活用されるようにするため、患者申出療養の制度内容について、患者及び医療従事者に対する更なる普及啓発が必要。

3 . 本制度の運用に関する対応について（案）

2 . 対応案

（1） 医療機関の負担軽減

- ・ 以下の場合について、既にある先進医療の実施計画書を活用することにより、計画書作成に係る医療機関の負担軽減を検討する。【P. 13上段 及び を参照】
 - 既の実施されている先進医療を、身近な医療機関で実施することを希望する患者に対して、患者申出療養として実施する場合
 - 既の実施されている先進医療を、先進医療の実施計画（適格基準）対象外の患者に対して、患者申出療養として実施する場合

（2） 質の高い相談体制の構築

- ・ 医療機関の相談員（患者からの相談等に対応する方）及び医師に対し、患者からの相談等への対応についての研修を行う。
- ・ 実際の相談事例等を医療機関間で効果的に情報共有するための、「患者申出療養相談窓口ネットワーク」の構築について検討する。

（3） 制度についての普及啓発

- ・ 患者、医療従事者の理解をより深めるため、制度の説明パンフレット及び説明用ホームページの改定を行う。

3 . その他

- ・ 制度運用について、引き続き臨床研究中核病院からのヒアリングを行い、運用改善に努める。

患者申出療養の対象となる医療のイメージ

中医協 総 - 3 (参考2)
28.10.19 (改)

現在評価療養の対象となっている医療

治験の枠組みで新たに評価療養の対象とする医療

患者申出療養が新たに対象とする医療

先進医療の実施計画書を活用し医療機関の負担軽減を検討する部分

対象外

先進医療・治験の対象にならず、安全性・有効性も確認されない医療

先進医療の対象にならないが、一定の安全性・有効性が確認された医療

既に実施されている先進医療を身近な医療機関で実施することを希望する患者に対する療養

先進医療の実施計画（適格基準）対象外の患者に対する療養

（対象年齢外の患者や、病期の進んだ患者、合併症を有する患者等）

先進医療として実施されていない療養

（一部の国内未承認・海外承認医薬品等の使用や、実施計画作成が進まなかった技術等）

先進医療 A

先進医療会議が審査した実施計画の対象の患者に対する医療
国の基準に適合した医療機関が届出（認められた療養は告示に規定）

先進医療 B

先進医療会議が審査した実施計画の対象の患者に対する医療
国が個別に認めた医療機関が届出（認められた療養は告示に規定）

治験等

薬事法
承認後
保険
収載前

保険
収載

対象を拡大

現在も対象

現在も対象

対象を拡大

薬事申請

薬事承認

第 相

（健康な人を
対象に実施）

第 相

第 相

長期継続投与治験

（治験を中止することにより
不利益を生じる場合等）

治験

医薬品・
医療機器に
係るプロセス

現行の治験の対象とならないもの

治験の枠組み内での柔軟な運用による対応
（日本版コンパッショネートユース）

(参考) 規制改革推進計画及び健康保険法における位置づけについて

<参考> 規制改革実施計画(平成26年6月24日閣議決定)(抜粋)

- 困難な病気と闘う患者からの申出を起点として、国内未承認医薬品等の使用や国内承認済みの医薬品等の適応外使用などを迅速に保険外併用療養として使用できるよう、保険外併用療養費制度の中に、新たな仕組みとして、「患者申出療養(仮称)」を創設し、患者の治療の選択肢を拡大する。
- 保険収載に向けた実施計画の作成及び実施計画の対象外の患者への対応
「患者申出療養(仮称)」においても、保険収載に向け、治験等に進むための判断ができるよう、実施計画を作成し、国において確認するとともに、実施に伴う重篤な有害事象や実施状況、結果等について報告を求める。
また、実施計画の対象外の患者から申出があった場合は、臨床研究中核病院において安全性、倫理性等について検討を行った上で、国において専門家の合議により実施を承認する。

<参考> 健康保険法 第六十三条

2 次に掲げる療養に係る給付は、前項の給付に含まれないものとする。

一・二 (略)

三 厚生労働大臣が定める高度の医療技術を用いた療養その他の療養であって、前項の給付の対象とすべきものであるか否かについて、適正な医療の効率的な提供を図る観点から評価を行うことが必要な療養(次号の患者申出療養を除く。)として厚生労働大臣が定めるもの(以下「評価療養」という。)

四 高度の医療技術を用いた療養であって、当該療養を受けようとする者の申出に基づき、前項の給付の対象とすべきものであるか否かについて、適正な医療の効率的な提供を図る観点から評価を行うことが必要な療養として厚生労働大臣が定めるもの(以下「患者申出療養」という。

五 (略)

3 (略)

4 第二項第四号の申出は、厚生労働大臣が定めるところにより、厚生労働大臣に対し、当該申出に係る療養を行う医療法第四条の三に規定する臨床研究中核病院(保険医療機関であるものに限る。)の開設者の意見書その他必要な書類を添えて行うものとする。

5 厚生労働大臣は、第二項第四号の申出を受けた場合は、当該申出について速やかに検討を加え、当該申出に係る療養が同号の評価を行うことが必要な療養と認められる場合には、当該療養を患者申出療養として定めるものとする。

6 厚生労働大臣は、前項の規定により第二項第四号の申出に係る療養を患者申出療養として定めることとした場合には、その旨を当該申出を行った者に速やかに通知するものとする。

7 厚生労働大臣は、第五項の規定により第二項第四号の申出について検討を加え、当該申出に係る療養を患者申出療養として定めないこととした場合には、理由を付して、その旨を当該申出を行った者に速やかに通知するものとする。