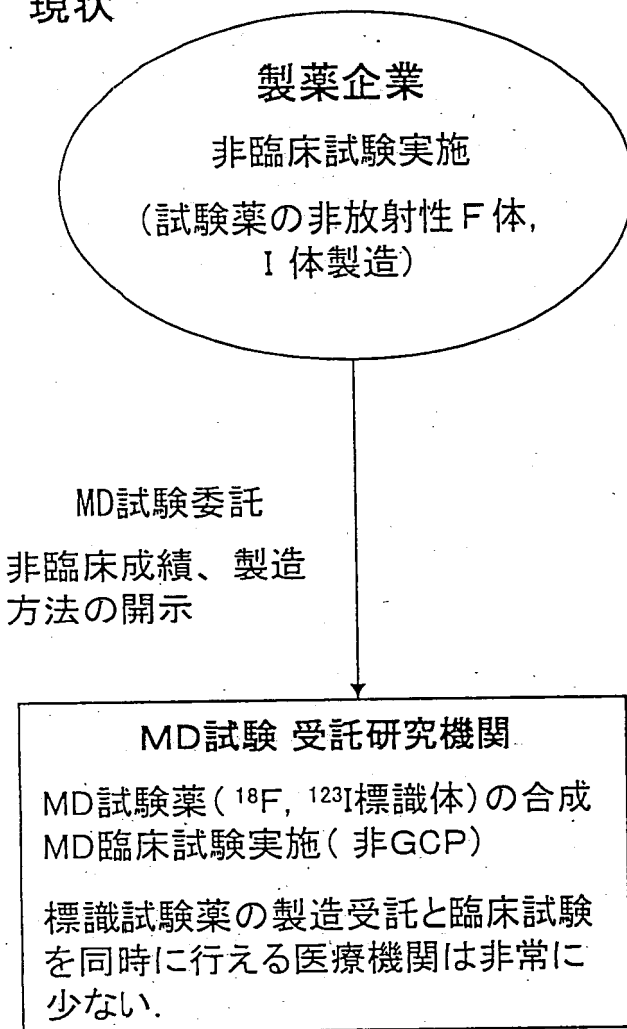
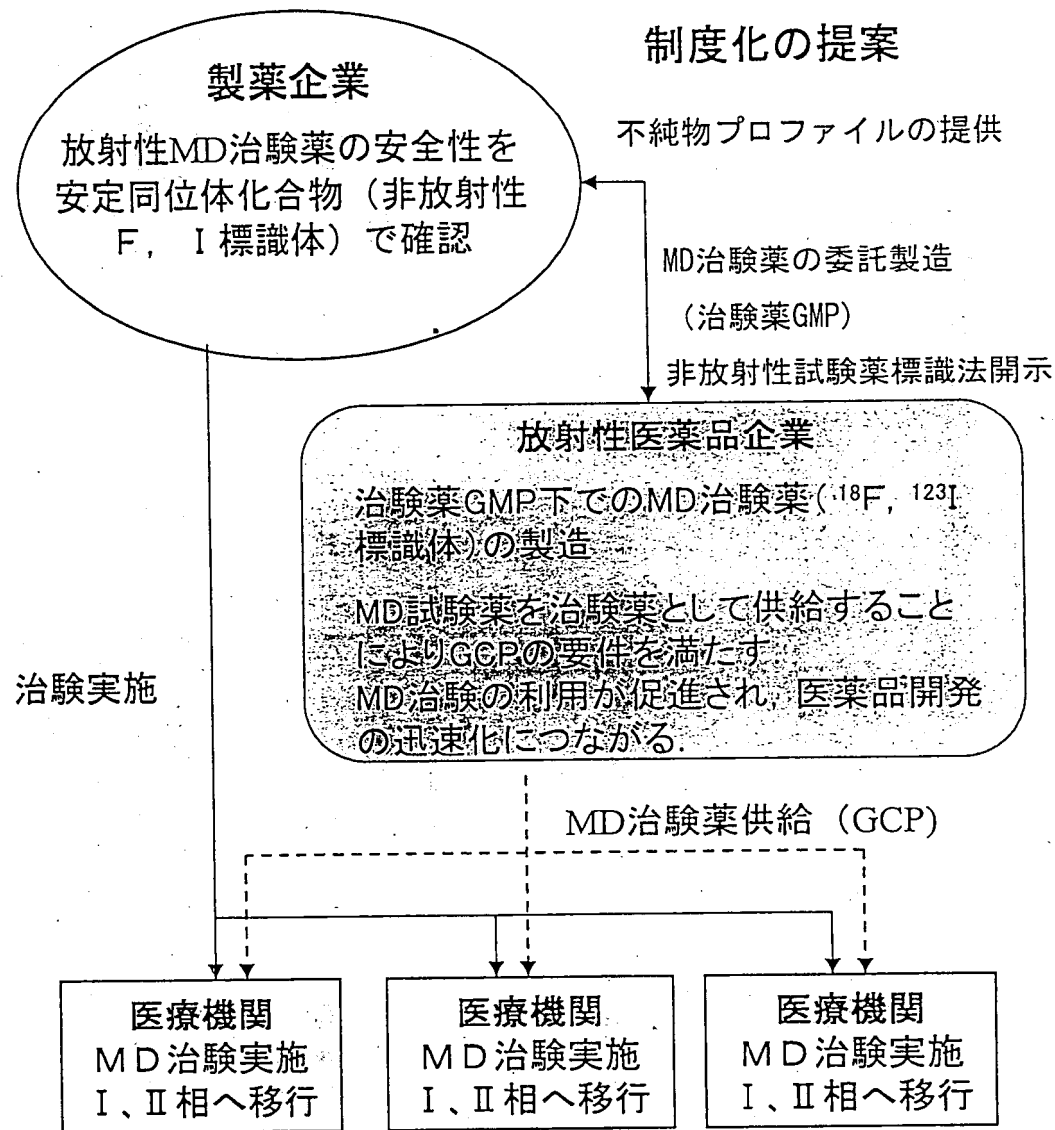


別添資料：PET/SPECTを用いたマイクロドーズ試験の制度化について

現状



制度化の提案



承認審査のあり方や実施体制、安全対策等にかかる事項に関する意見

研究対象者保護を考える会

承認審査のあり方や実施体制、安全対策等に係る事項等に関する意見内容

<意見の趣旨>

1. 「有効で安全な医薬品を迅速に提供する」ためには、審査や市販後安全対策についてのみ検討しても意味がない。「治験のあり方に関する検討会」における治験制度全般の検討を前提に、将来は薬事法上の治験に限らず、研究対象者保護法の立法を目指すことを視野に入れて、検討すべきである。

2. 検討会資料の中に審査官人数の比較があるが、これは、日本以外の国は、新薬承認申請を目的としない臨床試験の、開始時の審査を行う審査官も含めた人数であると思われる。審査官の人数は、承認審査の迅速化の最重要課題なので、この点を明確にして議論すべきである。

<意見 1. 2. の理由>

本検討会の設置は、「治験のあり方に関する検討会」において、被験者保護法の立法を求める意見が複数提出されたことによって、「治験のあり方に関する検討会」における議論を停止し、本検討会で治験迅速化のための制度改正まで視野に入れた検討を行うことを意図している恐れがある。一つの検討会で都合の悪い意見が出されると別の検討会を設けるという慣習は改めるべきである。

もしそうでないとしたら、治験制度全般の改正を検討せずに、承認審査のあり方や安全対策のみを検討しても意味がない。このため、本検討会においては承認審査と市販後安全対策に限って検討することになるだろうが、「治験のあり方に関する検討会」で、治験制度全般の見直しをすることを前提とすべきである。

有効で安全な医薬品を迅速に提供するためには、何よりも、米国、EU 25 개국（東欧諸国などの新規加盟国も含む）、東アジア、オセアニアなどの諸国において、臨床試験・医学研究の法律、または被験者保護法が、新薬承認申請を目的とする臨床試験に限定せずに整備されているという事実を明確に認識すべき

である。審査官や実施中の臨床試験、国際共同臨床試験の数についての検討も、この認識を誤ると、あらゆる認識を誤ることになる。

薬事法上の「治験」に限って、新薬承認申請目的の資料収集のための過剰な規制が適用され、これ以外の臨床試験は法的拘束力のある規制がないため将来の申請用データとして使えない、という制度を改めない限り、詳細な規程の改訂を繰り返しても、研究現場は混乱するばかりであり、医学研究・臨床試験に対する社会一般の信頼は得られない。従って、「治験のあり方に関する検討会」および本検討会において、将来は臨床試験または人を対象とする研究全般を法的に管理する制度を設立することを中長期目標として視野に入れ、これを前提として、現状で解決できる問題から着手する、という、中長期目標と短期目標の相互関係を明確にした手法をとるべきである。

「承認審査のあり方や実施体制、安全対策等に係わる事項等に関する意見」

東京大学医療政策人材養成講座

【承認審査のあり方や実施体制、安全対策等に係る事項等に関する意見内容、検討課題(3)】
一適応外使用の医薬品、医療機器を適切に評価し、正規な医療として認め、保険適用に導くための方策一

私は東京大学医療政策人材養成講座二期生の課題として、先進医療制度のあり方について取り組み、報告書をまとめた(参考1)。本年10月には高度先進医療が先進医療制度に統合され、その過程において、先進医療に用いられている適応外使用の医薬品、医療機器の扱いについても適切なものは先進医療として認め、その中で評価され、保険適用への道が開かれていくものと信じていた。ところが先進医療専門家会議の多くの専門委員の反対を押し切る形で、厚生労働省の担当部門は、適応外医薬品、医療機器が含まれる技術については先進医療として認めなかった。さらに、すでに高度先進医療として認められた18技術についても、一定の条件を満たさない限りは、平成20年3月までに高度先進医療から削除する方針(時限的高度先進医療)を決定した(参考2)。

これから新しい医療技術を研究開発しようとする際に、その中に全く医薬品や医療機器の使用が含まれていない、というのは極めて例外的である。それらの多くは、既存の医薬品や医療機器の特性を利用、工夫して、特殊な使い方をしており、製造販売企業がその正規の業務として取り組むことは考えにくい。前述の時限的高度先進医療で用いられている医薬品、医療機器がまさにそうしたものであり、製造販売企業が自ら治験、そして申請することは実質的に考えにくい。これらには、海外での承認データや著名な発表論文などに基づいた、いわゆる二課長通知に沿った申請の道なども指導されたりするが、二課長通知が適用できるのは、相当のエビデンスがすでに蓄積されているものには実際には限られている。このままでいくと、新しい医療の技術が正規に医療として認められ、保険適用されていく道は閉ざされてしまう。医療の現場でいくつかの問題点が浮かび上がってくる。

- (1) 医薬品、医療機器の適応外使用が含まれるとして先進医療適用を拒絶された技術、また同様に平成20年3月には高度先進医療から削除される18技術は、適用されなかったとして医療の場で取りやめられるのではなく、医師と患者の自己責任の下で行われる。これらの成績は正規に管理、評価されることがないので、有効性、安全性の結論が明確にならないまま延々と続けられる。
- (2) 制度としては医師主導治験が認められたが、これが遂行できるのは限られている。治験については医薬品機構の適合性審査その他で膨大な作業が要求され、無過失といえる責任が伴うため、企業としても相当の覚悟とリターンがない限り踏み切れない。また薬事法上、治験は一定期間前に届けばよいことになっているが、医薬品

機構は申請に近い十分なデータと体制を用意しない限り、治験実施を認めていない。

- (3) 治験と医師の自主臨床研究の落差があまりにも大きい。上述のように治験については欧米に比べても厳しすぎる規制があるものの、承認を目的とする以上、企業はこれに従わざるを得ない。ところが医師の臨床研究については、いくつかの領域では公的なガイドラインが示されているものの、実質的な強制規制はない。適応外使用の医薬品、医療機器を含むいくつかの技術が先進医療を申請したのは例外的な事例で、実際には医師の判断によって、医薬品、医療機器の様々な適応外使用が医療の現場では行われている。適応外使用を明示した場合には全額自費診療とすれば規制はされない。適応外使用は含まれない形で診療報酬請求されれば保険下で行われ、適応外使用での有効性、安全性の評価は明確にされないまま延々と続けられる。

このような状況で、最も損害をこうむるのはこうした治療をうけている患者である。

適応外使用の医薬品、医療機器を適切に評価し、正規な医療として認め、保険適用に導くために、以下のように提案する。

- (1) 先進医療専門家会議の機能を拡大し、適応外使用の医薬品、医療機器を含む技術についても保険外併用の可否を判断できるようにする。そして医療上価値あると判断されたものは、積極的に保険外併用治療を認め、その中で治験同様に全例を詳細に報告、評価する。その結果、拡大された先進医療専門家会議で有効性、安全性が十分に認められたものは保険併用を勧告すると共に、該当する製造販売企業にその医薬品、医療機器の適応追加申請を促す。有効性、安全性に問題があることが判明した技術についてはその結果を公開し、今後実施されないようにする。
- (2) 有効性、安全性が十分に認められた場合には、厚生労働省／医薬品機構は、該当する製造販売企業にその資料を提供し、新たな試験を実施することなく、適応追加の承認申請が得られるよう協力する。企業としても自ら治験することのコスト／リスクから開放され、適正使用に結びつくために、積極的に対応できる。
- (3) 一定の基準を満たす「臨床的な使用確認試験」をどのように構成するか。例えば時限的高度先進医療の 18 の医薬品／医療機器について、製造販売企業もしくは医師が治験申請しても、医薬品機構の現行の審査基準に従えば、前臨床データが不十分で、認められることは至難と思われる。これらについては既にヒトにかなり使われていることからそのデータを中心に、既存の前臨床データを評価して判断する。保険外併用療法として認められた後は、全症例を登録し、有効性、安全性を厳しく追跡、評価する。データが集積された後に、拡大された先進医療専門家会議が、適応外使用承認の可否を判断する。こうした方策は、企業による医薬品／医療機器の承認審査基準とダブルスタンダードになることは否定できない。「臨床的な使用確認試験」および適応外使用が承認された後も、患者には不十分な点があることを伝える。こうした適応追加の承認には、市販後の再審査期間を延長することも考慮する。

以上

「患者の視点からみた、評価療養等保険外併用療法のあり方」

東京大学医療政策人材養成講座

平成 18 年度に行われた医療制度改革の中から、評価療養等の保険外併用療養の改正点を取り上げ、患者の声をいかに医療政策決定プロセスに反映させるかを考察する。

1. 制度の概要

我が国は国民皆保険制度をとっており、健康保険制度で認められていない医療がひとつでも含まれた場合には、保険医療と認められず、原則として全額自費診療の扱いとなる。

国は医学の進歩や国民が普遍的に求める医療を把握し、そうした医療をすみやかに保険適用していくべきであるが、正規に保険適用する前に実際の医療の場で保険適用と併用を認め、保険適用することの評価を行う仕組みを作っている。

保険では認められていないが、特に保険との併用が認められる医療を従来は特定療養といていたが、今回の健康保険法改正により、保険外併用療養と呼称を改めた。保険外併用療養には、評価療養と選定療養があるが、ここでは評価療養（現在は保険の対象ではないが、保険との併用を個別に認める中で、厚生労働大臣が保険給付の対象とすべきか否かを評価する）を中心に考察する。

評価療養については、厚生労働省がその医療内容、また行う施設を事前に審査して、限定的に認められる。評価療養には以前から高度先進医療という制度があったが、内閣府の経済財政諮問会議/総合規制改革会議の混合診療拡大の要望にこたえる形で、必ずしも高度でない医療にも保険との併用を拡大するために、先進医療という制度も創設された。

平成 18 年度の健康保険法改正により、高度先進医療と先進医療制度は平成 18 年 10 月に統合される予定である。先進医療はいわゆる混合診療問題を解決するものとして、その対象の拡大が期待され、制度発足当初は 100 以上の導入が見込まれていたが、実際には求められる要件は厳しい。これまでに 42 件の先進医療申請が受け付けられた（平成 18 年 7 月 7 日、第 11 回先進医療専門家会議の時点）ものの、先進医療として承認に至ったのは 7 件のみである。

国民の安全性を確保するために制度が厳しいのであれば問題ないが、患者が求める医療を阻害することになってはいないだろうか。

この制度の問題点を調査、考察し、解決策を提案する。

2. 高度先進医療は公開されず、先進医療の公開も十分とはいえない

先進医療については、審議する先進医療専門家会議は公開され、会議に用いられた資料および議事録は公開されている。しかし高度先進医療専門家会議は非公開であり、資料も非

公開である。実際に厚生労働省行政公開室に、高度先進医療専門家会議に用いられた資料および議事録の公開を請求したが、高度先進医療は非公開の対象であるとして、一切資料は提供されなかった。

高度先進医療専門家会議については、平成18年2月15日の中央社会保険医療協議会総会（以下、中医協）において、勝村委員よりこれを公開するようにとの発言があった。以下に2月15日中医協議事録より該当部分を示す。

○勝村委員 特にこの件に関してということではないのですが、高度先進医療全体に関して、1年の最後ですのでちょっと思うのですが、先ほど大島専門委員からも御指摘があったのですが、専門家の皆さんが非常に御尽力いただいて議論していただいた結果であるということに尊重したいとももちろん思っておるのですが、今の時代、専門家の皆さんには、だからこそ、国民への説明というものをきちんとしていただく役割を担ってほしいというふうに思っておるわけです。

それで、私は昨年夏ごろにも、この高度先進医療の専門家会議からこういう案が出てきてここで承認をということだったので、あまりに情報がなくて、専門家ではないのだから理解することは不可能という話ではなしに、ここに出てくるということは、この資料がホームページを通じて国民に公開され、ここが公開の場であるということも踏まえて、できるだけ皆さんの資料を出せる範囲で出してほしいとお願いして、この間随分力を尽くしてきていただいているところだと感じています。先日は、脳死臓器移植の問題でも、新聞に大きく載るようなことが議論を経ないでなってしまうということとかもあつたりしたわけです。

今後なので、専門家の皆さんには非常に恐縮なのですが、一応粟害エイズの事件の反省を受けて、それまで非公開だった厚生労働省の専門家の皆さんの審議会がどんどん公開されたという経緯がありました。その中でも、この中医協の公開が一番おくれたわけです。そのときには、一応中医協が公開できない理由というのでも私は厚生労働省から随分聞かされたこともありましたが、今こうして現に公開されておいて特に支障はないわけです。私が不信を持っているとか、そういうことではなしに、先進医療専門家会議は既に公開されておりますし、昨年夏には課長さんの方から、先進医療も議事を公開しているからその流れで高度先進医療の方もというようなニュアンスのお話をいただいたと思うのですが、それを私が見てどれだけ理解できるかというようなレベルの議論を超えて、できればこの際、高度先進医療専門家会議の中身も、今後のために公開していくような手続というか、何らかのそういう方法というのをとっていただくことはできないものかということ、ちょっとこの機に御提案させていただきたいと思っております。

○事務局（福田企画官） 今お話がございましたように、先進医療専門家会議の方は既に公開になってございますので、そこでの新しい技術についてのいろいろな蓄積の方も、いわゆる新規技術の独自性みたいな、そういった議論も一方ではあるわけがございますけれども、基本的には高度先進医療につきましても公開をしていくという方向でも検討していきたいというふうに考えてございます。

○土田会長 よろしいですね。

○勝村委員 はい

先進医療専門家会議については、全体会議は公開され、全体会議に提出されたまとめの資料とその議事録は公開されている。ただし公開される資料は、申請された資料を担当委員が検討した結果を短く要約したもののみであり、実際にどのような技術で、これまでどのように適用されたか、先進医療として認めるに際し、何が問題かを理解することは困難である。実際に幾度か先進医療専門家会議を傍聴してみたが、公開された資料をみながら会議を聞き、その後まとめられた議事録を読んでも、その内容や問題点を明確につかむことはできなかった。プライバシーやノウハウ技術などに関する部分を除き、もっと情報を公開できるのではないだろうか。

3. 患者が求める医療が現行の先進医療の中で認められることはむずかしい

先進医療専門家会議には毎月幾つかの案件が申請されている。申請される先進医療には医師が患者の求めに応じて工夫した技術が多く、該当する患者は保険の下でその治療をうけられるよう、強い期待をもって見つめている。ところが施設が資料を整えて申請しても、認められないケースが続いている。その多くの場合が、薬事法の適応外使用という理由である。「先進医療に係る届出等の取り扱いについて」（保医発 0630002 号、平成 17 年 6 月 30 日）において、以下のように示されている。

2 薬事法上未承認である医療機器又は医薬品を使用する医療技術の取扱い

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

- (1) 使用する医療機器又は医薬品はその有効性及び安全性が確立していることが必要であり、薬事法上の承認を受けていること。
- (2) 未承認医療機器等を使用する技術については、臨床試験（治験）を実施するなど、承認を受けることが優先されることから、先進医療の対象とはしないこと。
- (3) 医療機器等を適応外使用する技術については、臨床試験（治験）を実施するなど、当該適応外の効能又は効果等に係る一部変更承認を受けることが優先されることから、先進医療の対象とはしないこと。

先進医療専門家会議の議事録をみると、第1回から3回目までで、制度のあり方や審査の基準を議論している。先進医療申請に薬事法上の承認を得ていることを求めることに対して、多くの専門委員が懸念を述べている。

新しい医療技術を考案していく場合に、現在使われている医薬品や医療機器を全く使っていないようなことは考えにくい。また、先進医療に用いられているような特殊な使い方に対して、医薬品/医療機器の製造販売業者が、自らの意思で治験を行い、申請することは、

企業としては無理である。

このような理由で、先進医療に申請されても、現行の条件では新たに認められるものはきわめてわずかである。

また、先進医療の申請を行えるのは医療施設のみであり、現に患者が自身の費用と責任で受けている保険外の医療について、将来の保険適用を目指して、まずは保険外併用療養をと望んでも、その声を反映させるすべがない。

4: 先進医療申請が認められなかった事例で探る、現行制度の問題点

先進医療を申請しながら、認められなかった1事例をとりあげて、その経緯を述べる。

「子宮動脈塞栓術による子宮筋腫治療」が先進医療として申請され、平成18年5月12日の先進医療専門家会議で議論されたが、最終的には、使用するゼラチンについて薬事法上の適応外使用が含まれているとの理由で返戻された。

子宮筋腫の治療には、外科的には筋腫核手術または子宮全摘術が行われるが、外科的方法によらず、血管内に挿入したカテーテルを用いて選択的に子宮動脈を塞栓することによって、非侵襲的に子宮筋腫を縮小することができる。この治療法は保険適用が認められていないため、多くは自由診療として患者の全額費用負担で行われているが、一部は保険扱いが黙認されている場合もある。この治療を知る子宮筋腫患者は、グループを作って情報を交換し、その普及を求めて、先進医療を願ってきた。

今回の先進医療申請は、まず保険外併用で正しくこの治療法の成績を集積し、将来の保険適用を目指すものであった。平成18年5月12日の先進医療専門家会議議事録より、関連する部分の議論を以下に示す。

○猿田座長

この前からの宿題事項ですが、早急に詰めないと進んでいきません。4月は受付が止まっちゃってるんですね。私が責任をもって相談させていただいて、構成員の先生方にも必ず連絡をとられていただくということで対応させていただきます。

○吉田座長代理

30番のスポンゼルは既に悪性腫瘍に対して幅広く使ってるわけですね。安全性、有効性についても出ているわけです。子宮動脈を詰めることだけがだめということですか。それをやっちゃいますと、ほとんど使えませんよね。良性疾患に対して手術じゃなくて、新しく侵襲もなくできるという技術がどんどん消えてっちゃう。特にスポンゼルは腎がん、肝臓がんで使ってますのでね。こういうものもすべて薬事法上の適応外といっちゃると、何もかもなくなってしまう。

いい例が、昨年でしたっけ、尿路上皮がんのMVACという治療法を学会から要望を出しまして、治験をやれというんですけど、症例数がなかなかないんですね。尿路上皮がんのMVACという治療と精巣腫瘍を特例的に認めましたよね。いくら治験をやれといわれたって、たくさんの症例がないのに、一方的に適応外だ

といわれちゃうと国民にとって非常に困るんですね。使えないので死んじゃうというわけですよ。それがあって、急きょエンバック療法が通ったわけです。

そういう事例があるので、一つのルールとしてこの会議で、スポンゼルみたいに安全に使ってるものはいんじゃないかという結論を出して、取り上げる。そういう方向でいった方がいいんじゃないですか。

○審査管理課長

吉田先生御指摘の抗がん剤の適応外の関係につきましては、海外も含めてエビデンスが収集されているのであれば、学会の協力もいただきまして、そのエビデンスを薬事法上の申請の根拠とする。必ずしも日本で新たに治験をしていただかなくても薬事法上の効能追加の資料として認めるということで柔軟な対応を図っているという状況でございます。したがって、この技術全体と、その一構成部分の薬事の承認の部分との全体をどんなふうに見ていただくかというのは、ここの御判断にお任せすることになるのかなと考えております。

○猿田座長

この問題は重要な問題ですので、きっちり相談しまして、こちらで議論していただくことにして、きょうのところはそういう形で進めさせていただきます。

<中略>

○審議官

先進医療として収載するということと、薬事の整理ということとを、もう一回、企画官から説明を。本質的な議論があったのかどうかということなのですが。

○医療課企画官

きょうの会議の冒頭でも御説明いたしました。現在の考え方、ルールというのは、薬事の適応をきちんと取っていることを前提とする。早くいろんな技術を入れたいという希望があることはもちろんですが、安全性が医療の基本である。この会議で安全性についてどこまで責任をとれるかという議論もありますので、議論を進める際には安全性について慎重な意見もあり、一方で新しい技術を入れたいという希望もある中で、薬事法の承認を取っているというところが出発点であるという形で整理をされたというふうに理解しております。

○審議官

保険に収載するということは、一般国民に広めてしまうということになるので、必ず薬事法上の承認を取るということが今まで前提できているわけです。先進医療の場合はちょっと違って、技術そのものについては保険でお金を払うわけではないのですが、入院費用とか初診料とか再診料とか基本的な部分は保険で認めてあげましょうということなので、薬事法上の承認を取ってなくてもいいのかということと、そこまでこの会議で言い切れるかどうかという話になってくると思うのです。

私どもも薬事法の承認をやっている審査課と話してみますが、最初の前提では今言ったようなことで、その判断はこの会議ではないという前提があったと思うのです。私どもの中で検討させていただいて、また御報告させていただくということとどうでしょうか。

○猿田座長

そうしていただくと助かります。これだけ問題になってますので、この会議をスタートさせる最初のころ議論をしていた時には薬事法の問題は出てたんですよね。こういうふうにはひっかかってくるとは思わなかったものですから。

○審議官

薬事法でひっかかるから、そういうものは最初から提出できないというのは、医療の進歩という面から見ると、若干ひっかかっているのですが、その辺も含めまして、よろしくをお願いします。

○猿田座長

越智先生がおっしゃったように、先生方は苦勞して書いてらっしゃるのに、戻されたら気の毒だという、その問題も申し上げたんですけどね。

○越智構成員

適応を拡大しろと言われても、少数ですから、企業はそのメリットがありませんので、適応拡大をしろという要求は事実上できないと思うんです。そのあたりを御検討いただけたらと思います。

○飯島構成員

どういふところが抵触するのか、それを解決するにはどういふ方法があるのか。希有な例であっても、例えば全国で10例あった場合、企業ベースではなくて、学会主導でもっていければいいのかとか、そういうところの御支援をいただければ非常にありがたいということです。

○吉田座長代理

この先進医療専門家会議をつくられた小泉さんの国会答弁というのは、薬についても技術についても海外ではやってるんだけど、日本では時間がかかって通らない。3カ月で結論を出せと言った首相の趣旨というのはそこなんですよ。国民が受容できない技術があるじゃないか。日本のいろんな法律があるんでできないから、混合診療としてやれというので、表谷さんに命令したと思うんですよね。そういう発端があるんですよ。

スポンゼルの場合、安全性は問題ないわけですよ。子宮動脈に使う場合は不適だ、そういう理由でしょうね。胃瘻ポートを盲腸に使う時に、それも適応外だと出ましたよね。

適応外ということは治験をやれという意味でしょ。先進医療として提出できるものとして、薬事法を通過しないとだめという基準がありますよね。あれに「原則」と入れて、原則薬事法を通過したものにするとしていただいて、提出してもらって、ここで議論する。企画官もいますので、この場できちんと結論を出して、通すなら通すという筋をつけてあげませんと、なかなか出てこないで、その辺を検討していただきたいと思います。

○猿田座長

ともかく相談させていただいて、この次までに結論を出したいと思います。

同様な理由で、多くの先進医療が申請され、委員からも希望されながら認められていない。これまでに認められなかった理由として、以下のように、医薬品の適応外使用が5件、医療機器の適応外使用が5件あったことが報告されている。

適応外医薬品 5 件：ラベプラゾール、リツキサン、トロンビン、スポンゼル、光線力学療法剤

適応外医療機器 5 件：胃ろう用ボタン、皮膚欠損用グラフト、低周波治療器、末梢血分離装置、磁気刺激装置

こうして先進医療を認められなかった医療は、患者が望みながら、有効性、安全性を評価し、正規な医療として認められるすべを見出されないまま続けられ、例数も確認できない。

5. 健康保険制度の概念と、医療における規制の考え方

保険制度は人類が考え出した叡智である。誰にもまれに起こりうるが、起きた場合には悲惨な状況を招くリスクに対して、リスクを避けたい者が費用を出し合って助け合う。ただし医療保険においては、リスクに遭遇した患者はそれに見合う保険料を支払えず、私的保険として成立しにくい。そこで、国家が国民全員を社会保険として強制加入させて保険料を徴収し、全国民に平等、均一な医療を提供して運営する、というのが国民皆保険の概念である。最近の流れは、国民それぞれに求める医療が異なり、そのためには自己負担の追加を惜しまなくなってきた。

医療に対する従来の規制は、パターンリズムによるものであった。どのような医療を提供し、また受けるかは、自由主義の国では個人の自由に属するものであるが、これらの権利を（無知な国民から）国が取り上げ、一定条件に合致したもののみで使用を許可する。最近の流れは、国民もみずから求める医療については非常によく学んでいること、また国が、国民に与えるべき医療の内容をすべて規制することは無理な状況になっている。

いずれにしても医療保険の概念と、医療における規制の考え方とは異なっている。すなわち、ある医療を保険として認めるか否かということは、その医療の有効性、安全性を認めるか否かということと必ずしも一致しない。

新しい医療の有効性、安全性を国が科学的に評価して認める（有効性、安全性が確認されない限り、提供することを許可しない）作業も大切であるが、これによって国民がよりよい医療を受ける可能性を遅らせてはいけない。薬事法は大切な法規であるが、安全性を100%確保しようとする様々な制度的要求が、却って、患者が望む選択肢を阻害する結果になっていないか、当事者である患者の意見を聞いて考えても良いのではないか。

先進医療は、ある意味で仮免許のような役割であり、その部分の費用は受益者が負担する。また希少、難治な疾患が対象とされていることもあり、保険財政へのインパクトは少ない。患者の希望を聞き、医学的にあまり大きな問題がなければ、まず仮免許として実際に路上を走らせ、その状況をすべて調査、確認し、その上で科学的に正しく判断して、本免許を与える（正規な医療として認め、保険の適用とする）ことを決定することを考えてもよいのではないだろうか。

6. 先進医療制度のあり方をどのように改正すべきか

平成 18 年 10 月には、高度先進医療制度と先進医療制度が一体化され、専門家会議も再編成されるが、以下のような点を要望したい。

(1) 先進医療専門家会議に、患者/市民の意見を反映する委員を入れる。

理由：すでに第 1 回の先進医療専門家会議において、委員の中から医療経済の委員を含めるべきと提起され、委員が追加された。先進医療専門家会議は、専門家の会議ではあるが、保険外併用の是非を議論し、実質的に決定する場でもある。医療費を支払い、医療を受ける患者/市民の立場からの意見を聞くことによって、専門家が気がつかないニーズが分かる。特に適応外使用を認めることは、患者にそのリスクをとらせることであり、当事者の意見が重要である

(2) 先進医療専門家会議の公開を促進し、申請された資料、専門委員/事務局などによる評価結果などについても、個人情報、知的所有権などに抵触するもの以外、原則的に情報は公開する。

理由：過去の高度先進医療制度の非公開に引きずられないよう、可能なかぎり情報を公開してほしい。新しい医薬品/医療機器については、承認された申請資料については、個人情報、知的所有権に関するものはマスキングされた上で、すべて医薬品医療機器総合機構のホームページに公開される。また機構による審査報告書も公開される。同様な公開方針を先進医療にも適用できるのではないか。

(3) 申請された先進医療に、薬事承認を得ていない医薬品/医療機器の使用が含まれていた場合には、個別にデータを評価して可否を決める。厚生労働省と該当する医薬品/医療機器製造販売業者が協議を続け、正規な保険適用までに適切な方法を見出す。

理由：抗がん剤の併用および未承認薬検討会議で用いられた方式を先進医療にも適用できるのではないか。患者の要望、学会の要望、そして保険外併用を認めるに十分なエビデンスがあるかなどを確認し、先進医療としてまず保険との併用を認める。その後公表文献、企業データ、研究者データ、海外データなどを総合的に評価し、正規に保険適用できるかどうかを厚生労働省および当該の企業が協議し、判断する。有効性、安全性が確認され、保険適用すべきと判断された段階で、該当企業にも先進医療のデータを提供し、適応追加の薬事申請を促す。

先進医療として承認されなくても、医師および患者は自己の責任で治療を受け続ける。その結果は集積して評価できず、また何の規制もかけられないため、危険な使用状況が続く。

(4) 先進医療専門家会議と高度先進医療専門家会議が合体される新しい専門家会議で内容を精査する。

理由：現在先進医療専門家会議の委員が 21 名、高度先進医療専門家会議が 19 名で、両会議の座長が共通である以外は各分野の委員は異なっている。高度先進医療専門家会議が廃止され、今後は先進医療専門家会議が評価を行なっていく。この機会に両会議を合体させれば、計 39 名の経験ある委員会が構成される。これまでは担当分野の委員が 1 人で申請資料を評価してきたが、合体により複数名の担当委員により資料を精査できる。そして申請された資料のみの審査でなく、適応外医薬品、医療機器を保険として併用して用いるのに問題ないかどうか、元データも含めて審査する。未承認医薬品検討会がワーキンググループを作って、入手できる内外の文献を精査したようなことを行なう。厚生労働省、医薬品機構もこうした作業に協力する。適応外使用の医薬品、医療機器を含む行為を先進医療として認めることにリスクはあるが、これを認めればその全例について、厚生労働省および専門家で、その有効性、安全性をチェックできる。

(5) 肝臓がんに対するエタノール注入療法の事例を参考とする。

肝臓がんの局所にエタノールを注入する療法は標準的に行われ、保険の適用も認められた。しかし、それに用いられていた消毒用エタノールは実はずっと適応外使用であった。厚生労働省は当該企業に後日申請を促し、別の製剤として薬事承認を与え、供給できるように適切な価格を付与した。先進医療の適応外使用問題を解決する良い先進事例ではないか。

「無水エタノール注」申請資料概要より、起源又は発見の経緯を以下に示す。

経皮的エタノール注入療法 (Percutaneous Ethanol Injection Therapy; 以下、PEIT) は、エタノールの脱水固定作用 (蛋白変性作用)¹⁾ を応用した肝細胞癌の治療法である。

PEIT は、1983 年に千葉大学第一内科の杉浦らにより最初に報告され²⁾、現在では医科診療報酬点数表 第 9 部処置の項に「J017 エタノールの局所注入」として収載されており、「第 15 回全国原発性肝癌追跡調査報告 (1998~1999)」³⁾ (以下、追跡調査報告) によれば、肝細胞癌に対する治療において 25.7% (4130 例/16055 例) の施行率を占め、現在に至るまで長期間施行されている⁴⁾。

このように、PEIT は、医学薬学上公知の療法であるにも係わらず、本治療法に使用されるエタノールは医薬品として既承認品がなく、医療現場において無水エタノールを調製しているのが実情であり、調製の煩雑さ等、種々の問題点が指摘されている⁵⁾。

このような状況を踏まえ、無水エタノールの PEIT への適用が、「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 研第 4 号、医薬審第 104 号) に該当するとして、厚生労働省に社団法人日本病院薬剤師会 (平成 12 年 11 月 15 日付) および日本肝癌研究会 (平成 13 年 4 月 8 日付) から肝細胞癌の経皮的エタノール注入療法に対する効能・効果の追加について、検討要望書が提出された。

上記要旨をふまえて、申請者である扶桑薬品工業株式会社、清水製薬株式会社およびメルク・ホエイ株式会社は、「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 研第 4 号、医薬審第 104 号) の通知に基づき、「肝細胞癌におけるエタノール注入療法」の効能で本剤を申請するに至った。