

提案主体の氏名 又は団体名	提案名	事業の 実施場所	具体的な事業の実施内容	事業を実施した場合に想定される 経済的社会的効果	事業の実施を不可能又は困難と させている規制等の内容	規制等の根拠法令等	規制・制度改革のために提案する新たな措置の内容
国立研究開発法人 国立がん研究セン ター東病院 柏市 三井不動産株式会 社	柏の葉ヘルス・イノ ベーション拠点構想	千葉県柏市	Precision Medicineにより多くの疾患が希少 疾患化する近未来に備えて、患者単位での 未承認薬使用を可能とし、治療機会の提供 と共に治療開発につなげる場を創造する。 1.患者単位での未承認/適応外薬の安全な 提供の実現 1-1: Single patient access制度の創設 ・希少疾患患者への未承認/ 適用外使用を実現 1-2: 真の医療ツーリズムの実現 ・公的機関敷地内への民間旅行 会社/宿泊施設の設置 ・海外患者の受診後のフォロー アップ体制の整備 ・海外患者のWeb診療によるスク リーニング/フォローアップ 2.患者一人での治療をグローバル開発につ ながる場の創造 ・Open innovationの「場」を構築す る為の規制緩和	【本事業の定性的な経済的・社会的 効果】 がん研究センター東病院が研究を 実施することで、グローバルガン パニーの誘致及び育成の中心地と なり得るほか、希少疾患に対する 治療法確保により、内外からの患 者及び家族の中長期滞在による経 済効果が期待できる。 【本事業の定量的な経済的・社会的 効果】 希少疾患1疾患に対して1剤の有効 性が認められて治療法確立につな がった場合 500億円/年(売上げベース) 前提条件: 希少疾患(例:消化管間質性腫瘍 GIST 年間発症数11-20名/100万 人) 新規分子標的治療薬(薬剤費 500万円/年) 先進地域(北米・欧州・日本・オー ストラリア/ニュージーランド人口 12 億人) 試算方法: 1.先進地域での総患者数=13,200 ~24,000人/年=11-20名/100万人 ×12億人 2.治療対象患者数= 10,000人 /13,200~24,000人 3.年間薬剤費= 500億円 = 10,000 人×500万円	現在、治験に関しては、製造販売 承認を目的とした治験を想定して 制度が構築されており、「患者単 位」での簡略化した医師主導治験 を可能とする「single patient access 制度」がない。また、H27年度に制 度設計及び施行が予定されている 「日本版コンパッションネートユ ース制度」においても患者単位で医師 主導治験が可能となるかは不明で ある。 国立研究開発法人内に営利を目的 とした、民間旅行会社・ホテルの 設置が困難 海外患者のWeb診療によるスク リーニング/フォローアップが出来 ない 医療機器などの改良が保険点数に 反映されにくい (機器メーカーは規模が小さく治験 が困難な為)	制度提案 (1)医薬品、医療機器等 の品質、有効性及び安 全性の確保等に関する 法律(医薬品医療機器 法)第80条の2(治験の 取り扱い)、医薬品、医 療機器等の品質、有効 性及び安全性の確保等 に関する法律施行規則 (薬機法施行規則)第 269条 (2)医薬品の臨床試験の 実施の基準に関する省 令(GCP省令)第15条 高度専門医療に関する 研究等を行う独立行政 法人に関する法律 医師法(第20条)および 「情報通信機器を用いた 診療(いわゆる「遠隔診 療」)について」(健政発 1075号一部改正 H23/3/31) 健康保険法および「医療 機器の保険適用等に関 する取り扱いについて」 (医政発第0215008号)な ど	「single patient access制度」及び「日本版コンパッションネ ートユース制度」を創設し、 (1)治験の届けにsingle patient access/コンパッションネ ートユース制度用の治験届けを規定する(①「患者単位」の医師 主導治験を可能とする。②初回治験届:30日/n回申請:15日 を7日に短縮③治験届けの内容及び添付文書の簡略化な ど)。※患者の薬剤費の個人負担も可とする。 (2)安全性以外のデータの品質管理/品質保証に関する条文 の弾力的運用。具体的には、必須文書、データ管理、モニタ リング、監査等のデータの質の担保を目的とした規定に関し ては、関連通知を含め簡略化した運用を求めるもの。 民間旅行会社店舗やホテルを設置させることが第3条に規 定する独立行政法人の目的を達成するための手段と解する (または第13条に規定する業務の範囲に含まれるものと解 する) ・特区内の医療機関において受診・治療を受けた後のスク リーニング/フォローアップとして当該医療機関が行う海外 在住患者への遠隔診療の許容 ・遠隔診療の対象に「在宅難病患者」「在宅がん患者」に加え て、診断目的のスクリーニング項目を追加 以下を可能とし医療機器の改良を保険で評価できるようにす る。 ・保険適用前に、評価療養(5号)で臨床試験(ICH-GCP レ ベル)を実施して、その後に 保険適用希望書を提出 ・保険適用後に臨床試験(ICH-GCPレベル)を実施し、診療 報酬改定とは別タイミングで保険適用希望書を再提出