

国家戦略特区ワーキンググループ ヒアリング（議事要旨）

（開催要領）

- 1 日時 平成27年2月20日（金）11:53～12:58
- 2 場所 永田町合同庁舎7階特別会議室
- 3 出席

<WG委員>

- 座長 八田 達夫 アジア成長研究所所長
大阪大学社会経済研究所招聘教授
- 委員 阿曾沼 元博 医療法人社団混志会瀬田クリニックグループ代表
- 委員 鈴木 亘 学習院大学経済学部経済学科教授
- 委員 本間 正義 東京大学大学院農学生命科学研究科教授

<有識者>

- 澤 芳樹 大阪大学大学院医学系研究科副研究科長
- 岡田 潔 大阪大学医学部特任講師
- 彦惣 俊吾 大阪大学医学部特任准教授

<関係省庁>

- 磯部 総一郎 厚生労働省大臣官房参事官(医療機器・再生医療等製品審査管理担当)
- 森 和彦 厚生労働省医薬食品局審査管理課長
- 井本 昌克 厚生労働省医薬食品局審査管理課課長補佐
- 吉田 拓野 厚生労働省保険局医療課課長補佐
- 安川 孝志 厚生労働省保険局医療課課長補佐

<事務局>

- 内田 要 内閣府地方創生推進室長
- 富屋 誠一郎 内閣府地方創生推進室長代理
- 藤原 豊 内閣府地方創生推進室次長

（議事次第）

- 1 開会
- 2 議事 条件・期限付き早期薬事承認（保険外併用療養の拡充）
薬事申請から承認までの期間の保険外併用療養の対象化
- 3 閉会

○藤原次長 それでは、早速始めさせていただきます。

「条件・期限付き早期薬事承認（保険外併用療養の拡充）」、それから「薬事申請から承認までの期間の保険外併用療養の対象化」という2つのテーマでございますが、今、提案者でございます大阪大学、それから、大阪府のほうからはお話をお聞きしましたので、早速、厚労省を交えて、実現のための議論をさせていただくようなことかと思えます。

それでは、八田座長、よろしくお願ひいたします。

○八田座長 どうも、いつもお忙しいところをお越しくささいましてありがとうございます。

それでは、御説明をお願いしたいと思います。

○磯部参事官 早速、今、お配りした資料で御説明したいと思います。私は医薬食品局で医療機器・再生医療の担当をさせていただいています、磯部と申します。どうぞよろしくお願ひいたします。

いただいたお題を頭を書いてございますが「再生医療等製品の期限・条件付き承認と、医薬品、医療機器の承認審査における対応について」ということでございます。

1枚めくっていただきまして、まずそもそも、薬事の承認というものはどういうことかということでございます。法律では、品質、有効性、安全性を審査して、有効性がリスクを上回る個別の製品について承認を与える。この考え方は医薬品・医療機器、再生医療等製品、どれも共通でございます。

再生医療等製品で、今回、法改正で期限・条件つき承認という制度を導入いたしました。これはどういうことかということで簡単に御説明させていただいております。

1つが、ヒトの細胞を用いるということで、持ってくるソースがいろいろ、どうしても個人差を反映してしまうということで、品質が不均一になって、なかなかそういった検証的なものは非常に難しいという点が1つございます。

また、特に今、取りかかられている臨床分野、対象の疾病が非常に難病的なものも多く、それについて統計的な解析をするようなデータまで集めようとすると長時間を要して、実用化まで非常に時間がかかってしまうということもございまして、法律では有効性が推定され、安全性が確認できれば、条件及び期限をつけて早期に承認して実用化できる仕組みを導入するというのを入れさせていただいております。

それから、医薬品・医療機器では、今回導入させていただいてございませぬけれども、特に臨床データから有効性がリスクを上回るか確認できるにもかかわらず、確認をせずに、健康被害が発生した場合に国の責任は免れないということでございます。

次の3ページは、それをポンチ絵であらわすという形でございます。これは御参考いただければと思います。

次の4ページをごらんいただきまして、では、再生医療等製品と医薬品・医療機器とはどういう部分が違うのかということでございます。

特に再生医療等製品、今、御説明しましたけれども、品質の不均一性、それから、ヒトで使ってみないと予測がなかなか難しいという点。しかも、ウルトラオフアンといいま

しょうか、非常にこれしか治療が難しいという分野を中心にということで、ある程度の症例数で申請できるような形を、ほぼ多くの再生医療等製品がそういうことであることから、再生医療等製品ということでそういった制度をつくらせていただきました。

あとは、医薬品・医療機器の場合、右側にございますけれども、物としての性質の均一性はあるということがありまして、患者が少ないような場合でも一定の有効性は確認が可能ということでございます。

その上で、医薬品や医療機器の場合、非常に患者さんが多い分野での対象のものもございますし、再生医療等製品と比べて、非常に患者数が多いような場合、それから、少ないような場合、いろいろなものが入っているということもございまして、そのような再生医療等製品との特性が違うということで、今回の法改正でもそれは導入しなかったという考え方でございます。

「医療機器の分類と規制」ということで、5ページでさせていただきます。

特に医療機器についての御意見が多いということで理解してございますので、医療機器については、もともと医療機器の特性の大きいものとして、リスクの大小が非常に大きく差があるということもございまして、リスクに応じた規制の区分というものを変えている。それから、特に医療機器の場合、中小企業が非常に多く参入してくる分野でございますけれども、中小企業が開発するような場合については、どちらかといいますと、リスクの低いものが非常に多くなっているということがございます。

6ページからで、何とかいい医療機器のものを早く出す。それで、中小企業のいろいろ大変な御苦労にもどうやって応えていくのかということ、私どもとして幾つか取り組んでいることを御説明させていただきます。

最初が、中小企業の多くは改良品が多いということでございます。確かにもともとリスクの低いものが多いわけですが、一部、どうしてもハイリスクなものにも当たるようなものがあります。それについても、どういうことのポイントがあるのかということで、認証基準をいろいろつくって、なるべく認証機関のほうで判断しやすいようなもので進めていきたいということで、高度管理医療機器についても認証基準の策定を着実に進めるということでございます。

それから、薬事の問題だけではなく、マーケティングもどうするかとか、いろいろなことがあって、製品化までのロードマップの立案がどうしても難しい。いろいろな課題については昨年、経産省、厚労省、文科省、内閣官房で作りしました医療機器開発支援ネットワークの中で全体としてはやっていくわけですが、特に薬事の問題につきまして、どのようなステップをとって薬事をクリアして実用化を目指していくのかということにつきましても、きちんと薬事戦略相談の中で対応していこうということでございます。これは新しい取り組みでございます。

また、どうしても我々は敷居が高いという御意見もいただいているものですから、私どもから地方のほうに、地域にお伺いいたしまして、直接、その現地でいろいろなお話を

伺おうということもさせていただいているところでございます。

次の7ページで、特にいいもの、画期的なものが出た場合には当然、優先審査をすること、ほかのものよりも早く審査を進めていくということでございます。

それから、特に中小企業の関係で言いますと手数料も、医療機器で申し上げますと、今、医療機器で1,000万円ぐらいの手数をいただいていることが多いと思います。その下でございすけれども、そういうことで、申請手数料に関しましては半額の補助をさせていただくような仕組みを持ってございすし、薬事戦略相談に関しましては、特に大学や研究機関、ベンチャーの方々を対象ということもございまして、より多くの手数料の減免もさせていただいているということでございます。

あと申し上げますことで、資料はあれなのですが、特に今回御指摘があるような、患者数が非常に少ない希少疾病のオーファンドラッグとかオーファンデバイスに関しましては、今日いただいている資料にもありますが、いわゆる第Ⅲ相試験と言われている検証的な試験というものはそもそも求めていないということがございます。それで、実際にはなかなか症例も確保できませんし、それを求めていたら、いつまでたっても治験が終わらない。

そういうこともございすので、既にそのような検証試験の実施を求めることなく、我々の審査においても、実際に常識的な、また実現可能性のあるようなレベルということで、実際には全体として数例から20例ぐらいの症例数で審査も進め、承認しているものが大多数でございまして、そのようなことで今、対応もさせていただいているということも最後に加えて御説明をさせていただきます。

一応、私どもの説明は以上でございます。

○八田座長 どうもありがとうございました。

そうしますと、どうお考えになりますか。保険のほうも御説明願ってからにしますか。今、これはこれで。

○阿曾沼委員 これは大きい課題だと思いますので、先ずはこの点を議論したいと思ひます。

○八田座長 そうしますと、まずこの問題をやりましょう。これは委員の方、それから、阪大の方にも御質問・御意見を言っていたきたいのですが、私の理解する範囲で阪大のご提案前提をまとめると、次のようになります。まず、基本的には、例えばドイツのCEマークをやったことで非常に医療産業自体が盛んになり、世界の医療産業の中心になってきたということの認識がまずある。それから、安全性確保は絶対必要である。それは当然であると認識されている。

その上で、提案が二つある。

第一は、有効性の検証のところ、市販をして、そして、そこで症例をちゃんとレポートさせながら、有効であればそれを検証しながらやるということ、その治験のコスト・手間を下げようという御提案です。

第二は、オーファンだけではなくて、アンメットニーズについても、今の政策をちょっと広げてほしい。そうすると、そういうところに対するニーズも広がるのではないか。

そういう2点だと思うのですけれども、したがって、余り乖離していないのではないかとと思うのです。

どうぞ。

○磯部参事官 欧州の制度とのお話があったので、ちょっとその点だけ少し、事実関係も含めて御説明させていただいてもよろしいでしょうか。

○八田座長 はい。

○磯部参事官 実は今、八田座長からお話がありましたように、欧州の制度は日米と非常に大きく違う制度設計でございます。もともとEU単一市場をつくる際に、医療機器については承認制度を持っている国と持っていない国とがございまして、どういう制度をつくるかということでEUの中でも非常に議論がありまして、結果的に全部、第三者認証で、民間の機関で認証する。国の承認はやらないということで始まったのが、このCEマーキングの制度でございます。

実際には、このCEマーキングは医療機器以外にもいろいろな製品についてやられている制度でございますけれども、私ども彼らとも、いろいろお話も聞いておりますと、基本的には製品の品質、いわゆるISOの品質保証の基準がございまして、それにちゃんと適合しているのかが一番基本の審査の部分で、いわゆる製品としての有効性の審査については事実上ほとんどない。例えば非臨床の、ISOのいろいろな規格の基準がございまして、ISOスタンダードでございまして、そういったものの適合性を見ているのは事実でございまして、新しいイノベーティブなものについて、その段階で臨床試験をどうするか、有効性の評価をどうするかというところまではCEマーキングの中では求めていないという制度でございます。

現実の運用といたしましては、CEマーキングをとった後、ヨーロッパにおいては保険制度が各国にございまして、各国の保険を適用してもらうために、それ以後、臨床試験を開始するということが実際には行われておりまして、ヨーロッパの企業たちに聞きますと、CEマーキングは誰でもとれるのだけれども、それから保険適用してもらうまでがすごく大変で、日本の制度は本当にいいですねということをやヨーロッパの企業からはよく言われることとございます。

そういうことで、そういう意味では実際に患者さんのアクセスということを考えますと、保険適用まで含めて考えないといけませんので、そういう意味ではヨーロッパは保険適用の部分についてかなり苦しみがあって、そういうところがあるということだけ御説明させていただきたいと思っております。

○八田座長 ということは、日本で開発された機器が日本で承認されなくて、ドイツで承認されて、ドイツで実用化されているということは、ドイツの保険制度がかなり柔軟であるということをおっしゃるわけですか。

○磯部参事官 最近の事例で申し上げますと、日本ですごくあれなのが、テレビでもすごく報道されている、サイバーダイソ社のHALというリハビリテーションのロボットがございます。それが一つの大きな報道もされておりますので、その事例で申し上げますと、確かに日本では、介護用ロボットとしては既に使っております。それでサイバーダイソ社は、ドイツが非常にこれを熱心に見てくれて、労災保険での適用はあって、脊髄損傷の患者さんのリハビリ用としてやられてございます。

まだドイツでも医療用としては認められておりませんが、CEマーキングはとっているのですが、医療用としての保険適用はまだでございます、ドイツで今、治験を始めているところでございます。日本ではほぼ治験が終わりまして、近いうちに医療用の用途として、治療機器としての承認申請が私どもに来る予定で、ドイツでの治療用としてのHALのあれについては、まだ治験が始まったところと理解してございますので、そういう事情の違いもございます。

○八田座長 わかりました。

この脊髄損傷というものは治療ではないということなのですか。

○磯部参事官 一応リハビリとして使っているのですが、いわゆる治療効果としてはまだ確認できていないと聞いてございます。

○八田座長 では、リハビリ機器としては、日本ではそれは承認されていない。

○磯部参事官 はい。介護用の、例えば脊髄損傷の方にリハビリとして使うのは使われていると思っております。

○八田座長 今でも日本で用いられていると。

○磯部参事官 はい。いわゆる介護用で、実際いろいろな方で、手足が動かない方がおられますので、介護用機器としては実際に使われておりますので、多分その中に、私どもどういう患者さんが入っているか、よく聞いておりませんが、多分、脊髄損傷の患者さんでも使われているケースがあると思います。いろいろな病院で、介護用としては使われてございますので、多分そういう患者さんにも使われているのではないかなと思っております。

○八田座長 結果的に、日本でも脊髄損傷にも使えるようになっていけば問題ないのですけれども、それは医療機関で使われていない。ドイツでは使われている。その違いがあるわけですね。

○磯部参事官 はい。

○八田座長 その差はどうやって埋めたらいいのですか。

○磯部参事官 ですから、最後に申し上げましたように、病院でも介護をやっておりますので、実際にそういう介護用のリハビリもやっておりますから、そこは実際にいろいろな病院でHALを使ってやられてございます。

それで、ドイツは非常に限られた病院だけでやっておられまして、それをもう少し広げるかどうかはやっておりますが、そういう状況でございます。

○八田座長 わかりました。

私からはそれだけです。

どうぞ。

○阿曾沼委員 再生医療分野の新たな制度的枠組みを創る事に私も少なからずかかわってききましたが、当局には本当に大変な英断をしていただきました。扱う細胞によって違ってくるでしょうが、非常に少ない症例数で安全性を確認し有効性を推定するという条件で期限つきで承認するという、いわゆる早期承認制度が出来ました。一方で、厚労省は早期探索や臨床研究中核の15医療機関を認定し、医師主導治験や企業治験をどんどん活性化し、本邦発の医薬品や医療機器を世の中に出していこうとしています。大学発の臨床研究等の出口を早く見つけて市場に、世界に出していこうとされてきているわけです。

私はこれらの臨床研究中核病院等に限って、再生医療分野同様の、いわゆる早期承認制度を実施したら良いと思います。大阪圏特区内でも、阪大や京大、国立循環器などがありますし、東京圏特区内でも東大、国立がんセンター、国立成育医療センター、慶應義塾大学等があります。加えて今回、特区内にはその同等機関として、順天堂大学、医科歯科大学、がん研有明病院等が加わりました。しかもそれ以外にも、治験中核病院等もあります。そういったところに限って、医療機器や医薬品に対しても早期承認を実施することに何か問題があるのでしょうか。

○磯部参事官 多分、先生のおっしゃっていることで言いますと、保険外併用の先進医療という形での話になると思うのです。

○阿曾沼委員 いや、そうではなくて、治験承認という意味です。

○磯部参事官 例えばこの機関、つまり私どもの制度から行きますと、有効性がちゃんと確認できるのかということでございますから、では、その医療機関でやるから、非常に立派な医療機関でやるので有効性は確認できているのだという論理が成り立つのかということになると思うのです。それは必ずしも機関が素晴らしいから、そのものの有効性が確認できているとは、それはロジックとしては成り立たないのではないかなと私どもは思っております。

○阿曾沼委員 いや、機関というのはその病院という外形的な条件ではなくて、当然シーズと想いを持っている医師グループということですよ。

○磯部参事官 わかります。ですから、手技とかもしっかりしていますし、体制も整えておられますが、より安全に使えるということはよく理解をしているつもりでございますが、私どもが言っている承認というものは、有効性がちゃんとあるかどうかということ、物としての評価をするというのが前提でございますので、そうなったときに、では、この使う機関が素晴らしいから、その機関で使う分には薬事の承認というものは多分、論理的には成り立たないと私は思うのです。

○阿曾沼委員 確かに、先駆けパッケージ戦略もあればオーファンのバイパスもあれば、現在でも色々な制度を活用して、ご要望のことは出来ますということになるのだろうと思

います。しかし、色々な制度があるということで、実際の医療の現場からすれば使いにくい制度、判りにくいということにもなってしまふ訳です。特区においてのみ非常にシンプルにわかりやすく、そして透明性を持った制度を設計し、それを通常の制度として運用していくということが重要と考えています。大きな阻害要因はないのではないかなとは思いますが。

なおかつ、日本は今後世界に冠たる医療技術先進国になるという目的で、再生医療におけるいわゆる早期承認制度を作り、治験促進の為に早期探索や臨床研究中核病院を選定し、なおかつ、そこに相当なグラントを与える訳です。その成果としては、やはり早期に出口を求めていく事が求められる訳です。今回の大阪圏のご提案は、そのために必要な制度だと強く思うのですが。

○磯部参事官 ですから、まさしく臨床研究中核病院の役割から行きますと、まずはそういうところはレベルも高いですし、患者さんも集まられて、そういうところで治験なり臨床研究が早く進んで、その結果がすぐ、また薬事の承認につながって行って、保険にもつながっていくという意味で、非常に意味がある制度だと思いますし、患者さんがなかなかエントリーしにくい。日本の医療制度の問題として、いろいろなところで同じようなことをやっていて、それを臨床研究とか治験というものを集約化して、そこで体制を投入して、国費も入れ込んで、そこではきちんとしたものがスピード感を持って症例数も集められるということで非常に意味があって、我々もその結果を受けて早く承認するという流れが大事であると思っております。申しわけございません。

○阿曾沼委員 澤先生が後でおっしゃると思いますが、新たな有効な技術を早期に上市して早く患者さんに届けるためには、臨床研究から出口まで一貫した支援が必要であるわけです。そうしますと、今、一番出口のところの問題が大きいと思いますし、またリスクを取れないベンチャー企業が新たな医療技術開発に参加出来にくいということも問題です。ですから、このご提案の早期承認制度があることによってベンチャー企業も多くのトライアルができると思いますので、その辺はぜひ何か、可能な方法を考えてほしいと思います。

○八田座長 では、澤先生どうぞ。

○澤副研究科長 厚労省のほうの対応といいますか、いろいろなことを努力されて、近年の本当に核心的にいろいろな取り組みをされているのは敬意を表するばかりですし、確かにCEマークとの対比をしても非常に、CEマークも確かにいろいろ欠点はあるという事実なのです。

ところが、なぜそう言いながらドイツがあれだけ強いのか。結局、要するに厚労省の対応から見ますとこんなことは、できるものは当然できそうであると私は思っていて、そうしますと、では、なぜそれが産業化に結びつかないかという、そこがポイントで、これは厚労省と我々の対立構図ではなくて一緒に、先ほど阿曾沼さんがおっしゃったように、どうしたら本当に日本が元気になるように、医療費の過重な部分の、本当に多くの部分を海外に持っていかれているわけですから、そこも何とかしないといけないとしたら、日本

発で新しい医療をつくらないといけない。

それが、大阪大学が今、この10年間経験してきた未来医療センターにおける、ほとんどアンメットニーズですけれども、大学が今までこんな医薬品を治験して、その意味ではそんなものはやっていなかったのです。それをやる仕組みを国が支援していただいで、これは文科省が支援していただきましたし、中身については経済産業省だけれども、最後は厚労省が物すごく応援してくれたのです。そこまで来ていて、かつ厚労省も対応ができるという中で、やはりもう一息、産業化に結びつくポイントが何かとしたら、やはり国としてこういう大きな仕掛けをしていくのだという、そのプロパガンダ的な、こういう仕組みをつくったからみんなでやりましょうという、そのポイントが一番大事ではないか。

ですから、決して厚労省を追い詰めているようなことではなくて、これは厚労省がやろうと思ったら、磯部さんがうんと言ったらすぐできそうな仕掛けであると私は思っていますし、本当に考え方も実力もついてきているのですけれども、やれますと言うだけで終わっていたら世界から見て、世界の視点から見たら日本は全然変わっていないのですよ。やはり世界に見えるようにしよう、発信しようとしたら、先ほど出したのですけれども、再生医療はまさに世界から注目されています。

私、ケネディ大使に呼ばれまして、いろいろ根掘り葉掘り聞かれたのですが、やはりそれぐらいのインパクトが、ああやって出すことが物すごいことなのだなという実感、経験があるものですから、別にこれは特区でなくてもいいのですが、まず特区から始めながら、特区だけでやるのではなくて、先ほどの臨床中核を巻き込んでやる仕掛けであると私は思っています。ですから、そこからやる試行を特区から始めながら日本中にやっていく。こういうことで世界にアピールするというのが一番大事かな。ですから、やれる実力は十分お持ちなのは、私どもは物すごい厚労省への期待感のあるところですから、ここは一緒にやってやりましょう。

それで、私どもの期待としては、例えば関西ですとPMDA-WESTも、今でしたら本当に活用しにくい状況ですので、これも何とかできるようになるとか、そういうことは大阪府も考えています。そこがやはり一番ポイントなのかなと。仕掛け的にはいろいろなことは、議論は大体わかっていますので、お互い多分同じ側にいるのだと思うのです。日本人同士といえますか、同じ側の立場でどうしたらいいかというのを一緒に考えてほしい。

○阿曾沼委員 例えば、ダビンチですね。その部品の多くが日本製部品だと云われています。日本でも、手術ロボットを作りたいという発想をしていた人は20年前から多くいたわけですが。しかし残念ながら製品としては海外が先になってしまいました。こういう医療製品が日本から発信できない。これは物すごい損失だと思います。

今、オリンパス等の日本企業も挑戦されようとしています。二番手となってしまいます。結局はこういった制度が我が国にないから、米国や欧州でやらなければいけない、ドイツでCEマークをとらないといけないのかという企業の発想になってしまうのです。ですから、この日本企業の呪縛を開放するために、このご提案が有効になりますし、私は日本企業が

これで覚醒すると思うのです。そこを是非後押ししてほしいと思います。

なおかつ、きちんとした臨床研究中核病院である阪大からのご提案です。今まで責任を持って、きちんと技術開発をしてきた方々が中心になるわけです。臨床研究中核病院がより活性化する為にも、こういった早期承認制度があることが重要であると思います。日本の医療技術を世界に示していく上で非常に大きなポイントになると思います。

当局としては、せっかく再生医療でこれから始める訳で、先駆け戦略パッケージも始まるので、ちょっと待ってくださいという気持ちがあるのではないかと思います。それは同時並行的にやっていくことが重要であると思います。

○磯部参事官 似たような考えの方たちで似たようなことを議論しているので、特に澤先生とも年がら年中お話もさせていただいてあれなのですけれども、お気持ちはすごくわかってはいるのですが、私どもは、結局こういうことなのです。今の我々のやり方でも十分同じようなことはできるというのが一番なのです。

それで実際、先ほども御説明させていただきましたように、もともと再生医療で期限・条件をつくって、有効性を推定と言っていますが、これは保険のこともありまして、澤先生なんかともいろいろお話もさせていただいて、オーファンドラッグ、オーファンデバイスのレベルはちゃんと確保しないとイケない。そうでないと、保険のほうで償還してもらうことは難しいだろう。そういったことで御説明もして、認めていただいたのです。

逆に言えば、期限・条件つき承認もオーファンドラッグ、オーファンデバイスのレベルでやるということですので、再生医療の場合はまさしくそういうものが圧倒的に多いということで、それを明示したような制度にいたしました。医薬品・医療機器の場合は必ずしもそうでなくて、実は再生医療でも非常に逆の誤解があるのが、そういう制度をつくったのだから、何でも認めてくれるのではないか。症例は幾らでもとれるような分野でさえ、例えば脳卒中とかなんとかは知りませんが、ほとんど症例なんかとらなくても認めてくれるのではないか。

逆にそういうハレーションも起こったりして、そういったことをまた引き戻すのも非常に大変なのですが、特に医薬品・医療機器の場合は非常に症例数が多いものがあるので、そういうことを入れることによって、そういうハレーションもどう考えるのかとか、やはり再生医療というものはそういう意味で特性がちょっと違うので、私どもとしては今、できることで実際にどのくらいの症例でもできる、また前例もどう書けるのか。そういったことをきちんとお示しして、皆さんによくわかるような形での周知をすることは当然やらせていただきたいと思っていますので、そんなことでもしお願いできたらありがたいなと思っていますのでございます。

○八田座長 時間がないので、保険のほうにもお話を伺おうと思いますけれども、当然、ある程度、症例数をちゃんと規定することは絶対に必要だろうと思います。それを従来よりも柔軟にということだろうと思います。

○阿曾沼委員 一つの提案ですが、例えば薬事戦略相談にしても、PMDAの中で技術を評価

する専門家会議というものもあると思います。当然特区内でも、人材や英知を集めて、特区内での専門家会議を組閣して、この中でも責任を持って評価していくこととするのでしょうか。先生たちの御提案ではPMDA-WESTの機能をもっと上げて許認可の機能も底上げしてくれということもありますが、それらと連携して実施していくのも一つの手であると思います。特区内で勝手にやれという話ではないので、やり方は色々あるのではないかなとは思っています。

○彦惣特任准教授 済みません。私もお薬を使う医師なのですけれども、その立場から少しお話しさせてもらいたいです。

そもそも、今回こういう提案があったのは、第Ⅲ相試験というものの意義がどうなのか。現場のそういう考えもあります。第Ⅲ相試験はランダム化の大規模のトライアルでされていますが、実際は非常に適応疾患の患者さんのうち、ごく一部の患者さんだけしかエントリーされない状況で、その患者さんを対象に有効性が認められているということなのですけれども、実際は臨床で使う場合にはもっとたくさんの患者さんがいる。ほかにいろいろな合併症を持っている患者さんがいて、第Ⅲ相では対象にならなかった患者さんまで実際は使われている現状があります。

その第Ⅲ相試験のランダム化トライアルで有効性を確認することが全てなのかどうか。そこに非常に多額の費用がかかっている現状をどう捉えるのかという問題点があるかだと思います。そういう観点から今回、オーファンドラッグを最初に中心にということですけれども、それからさらに広げて、日本全体の医療の新しい医薬品・医療機器の制度全体をこういう方向で進めてはどうかという御提案という形でお考えいただければと思っています。

ですので、そういう第Ⅲ相試験の意義自体がどうなのか。そこが余り有効性を推定するのに十分ではないということであれば、むしろ早期に承認をして、全例で調査をすることで有効性を明らかにすることのほうが本当の患者さんのためになる可能性はないかということの一つ問題提起として今回出させていただいているということで御理解をいただければと思いますので、その有効性の確認の仕方自体の今後のあり方について、ぜひ御検討をいただければと思っておるところでございます。

○八田座長 どうぞありがとうございました。

どうぞ。

○森課長 済みません。その点について、ちょっとだけコメントさせていただきます。審査管理課の森と申します。

第Ⅲ相試験は、ランダム化比較試験で選び抜かれた患者さんを対象にしてやる試験で、これのできることに確かに限界があります。ですから、市販されてからリアルなコンディションの、リアルワールドのデータで、実際に存在するいろいろなケースの患者さんでどうなのかが市販後の課題になっていることは先生がおっしゃるとおりですし、そういった形のデータをより早いステージからどうやってとっていくのが国際的にも課題になって

いまして、2013年ぐらいのNew England Journal of Medicineにも、ランダム化レジストリートライアルというような、患者レジストリーを、しかもランダム化した格好で評価をしていくような方法論の提案とか、そういうものが始まっています。そういった新しい科学的な方法が、国際的にもそれがエビデンスとして信頼できるというふうに今後展開していくことを非常に私どもは期待していますし、そういう手法を取り入れていくことに対して積極的でありたいと考えています。

これはFDAもヨーロッパのEMAも言っていますが、レギュラトリーサイエンスの切なる課題であって、それに取り組むことが世界的に重要な課題になっています。日本で生まれたものを世界に出していくことを、先生方もおっしゃっていますし、我々もそれを目指しています。そのときに、世界が受け入れるエビデンスをどうつくるのかということに関する取り組みがとても大事になってまいりますので、健康医療戦略のそういう法制化の中でも、いわゆるそういった有効性、安全性、品質について、予測、評価、判断する科学の振興をしろということが法律に盛り込まれています。それを私どもはレギュラトリーサイエンスという呼び名で進めることが大事と考えていますし、それが今のPMDAにも科学委員会が設けられて、まさしくそういった新しい評価手法についての検討が行われている現状がございます。ここを推進することについて、私どもも一生懸命やりたいと思っていますので、ぜひそこについては応援いただきたいと思っております。

○阿曾沼委員 結局、企業の開発投資の回収がおくれて、医療機器とか医薬品で日本企業が世界と戦えていない状況があるわけです。何か新しいルールを提案できるような形の端緒にしてほしいと切に思います。よろしくをお願いします。

○八田座長 ですから、ある意味では、ドイツはその壁に対して立ち向かった面もあるのかもしれませんが、それから、再生医療製品の早期実用化の今度のもので大変注目を浴びているというのも、やはり潜在的にはそういう理屈があるからではないかと思うのですよ。

それでは、保険のほうのお話を伺いたしたいと思います。

どうも、よろしくお願ひいたします。

(説明者交代)

○八田座長 お待たせしました。それでは、早速御説明をお願いいたします。

○吉田課長補佐 厚生労働省保険局でございます。よろしくお願ひいたします。

前回の議論の続きということでありますけれども、患者申出療養という枠組みの資料を1枚お出ししております。

まさに今、国会で法案提出に向けて手続をしているところでありますけれども、枠組みについては皆さんよく御存知の部分はあるかと思いますが、臨床研究中核病院または特定機能病院を核として、患者に身近な医療機関でもこういう先進的な医療を迅速にできる仕組みということで法律上の手当てをしてやっていくということです。

具体的には、臨床研究中核病院から国に患者申出療養の申請をしていただく。実施計画を書いていただいて、それを国のほうで安全性、有効性について、実施計画なりエビデン

スをもとに審査をして、原則6週間で患者さんがその療養を実施できるようにするという枠組みということで御用意して、今、準備をしているところでございます。

前回の承認申請後・承認までの期間ということについても、2つの考え方があると思いますが、これまでどおり、安全性確認試験ということで治験を続けていくというのは従来からの枠組みでありますけれども、考え方としては安全性をどのように確保してやっていただくかということなのだと思っておりますが、そこはまさに治験という枠組みでやるという方法。

それから、今回の患者申出療養という枠組みの中でも、安全性、有効性についても、実施計画の中を審査させていただくことで安全性の確保というものをどのように担保しているのかを確認できるというスキームになりますので、基本的にこういう患者申出療養の枠組みの中で出していただくことがいいのではないかと考えているところでございます。

考え方としては、安全性の確保というものは治験という枠組みの中で、それを一定、承認申請後という期間ということで、ある程度、スリム化するという形でのコストダウンをして続けるのか。患者申出療養としての実施計画として、安全性をどのように確保しているのかを確認するか。側面といいますか、アスペクトは違いますけれども、安全性の確認というところはそういうふうな形で確保することで、いずれにしても保険との併用をそのフェーズにおいても実施することができるのではないかと考えている。そういうことであると思っております。

こちらからの説明は以上でございます。

○八田座長 どうもありがとうございました。

それでは、これは阿曾沼先生、何か御意見はありますか。

○阿曾沼委員 申請から承認まで保険外併用ができるようにする為に、外形的に患者さんから申し出をさせると云う点に多少違和感を覚えます。こういった患者起点の物があるのは良いのですが、何か全体的な制度の流れの整合性やシームレス運用を求める上で、ちょっと違和感を感じてしまいます。制度としてできますよ、といことはよくわかるのですが、制度として考えるなら、もっとわかりやすい、医療者にも患者にもわかりやすく、手続きがシンプルなやり方でできることが重要だと思います。突然、患者さんに、治療を継続したいなら、制度届出が違うので申請してくださいということが果たして本当に患者さんにとっていい事なのかなという点が非常に気にはなるところであります。

○吉田課長補佐 その点については、2点論点があるかと思えます。

まず1つは、シームレスということ言えば、これまで治験で受けてこられた患者さんがそのまま受け続けるということ、例えば引き続き治験でやるという考え方もあるという観点で1点で、そこの治験の部分での、どういうふうにコストカットをするか。そういう論点はもちろんあると思えます。

もう一つは、患者からの申出ということについて、極めて患者さんが具体的に患者申出療養をしようと思えますと、臨床研究中核病院なり医療機関と一緒にやっていただかない

といけないということで言いますと、そういうところは何も患者さんに改めて、書類は1枚書いてもらうかもしれませんが、そういう中で継続的にできるように相談していただく。そういう形でナビゲートしていただくということを医療機関にはいずれにしてもお願いしなければならない。何らかの枠組みとしての安全性の確認というものを最初からやっているというところと言いますと、そういうことでやりとりしながら進めていくということなのかなと思います。

もう一点、補足ですが、前回の議論の中で、治験の申請後、その治験をしていますというホームページの情報を見て、新たな患者さんが来て、この薬を使いたいのですけれどもというニーズがあることも聞いておりますが、そういったところについては、やはり改めて、初めていらした患者さんですから、そういう状態もよく診ていただかなければならないということで言いますと、そういったところは少し、ある程度、一定の申出みたいなどころから始まる相談といったところはしていただくような形になるのかなと思っております。

○八田座長 では、大学側のほうから御意見はございますか。

○岡田特任講師 こちらの患者申し出療養が創設されるということで、今、動かれていることはよく承知しておりまして、おっしゃることもよくわかります。

それで、前回議論させていただいて、また安全性の承認審査をしている段階ですから、まだ安全性がわからないもので、結論が出ていない。ですから、やはりその部分が問題であるということで、こちらも宿題を預かって帰ってきたと理解しております。

現状のお話で考えますと、まず安全性の部分というところに関しましては、我々のほうでもいろいろ調べさせていただいたのですが、基本的に日本では運用上、承認申請前になりますと、普通、企業は申請前相談にPMDAに行かれて、それで出してもいいという合意のもとで出されているところがございまして、実際データを見ますと、申請から承認まででうまくいかなかったものはほとんどない。ほぼ100%承認されているということは、要は申請の段階ではニアリーイコール承認の段階に来ていると考えられるということで、さらに我々の提案といたしましては、臨床研究中核等の、ある程度、安全性は確保できる病院でさせていただきたいということでございまして、安全性上の懸念というものはなかなか、逆にあとはどこの部分に残っているのかという問題があるかと思えます。

患者申し出療養に関しましては、すばらしい制度をいろいろ考えていただいてありがたいと思っているのですが、内容を見ますと、やはり先進医療の今あるものの一類型のように見受けられるものでございまして、今回提案しているようなものももし先進医療と同レベルの、まだ有効性、安全性がわかっていない段階のものであれば、この仕組みでやるべきという理屈はわかるのですが、もうそういう段階を越えて、ほぼ承認が見えている段階のもの。要は有効性も安全性もほぼわかっている段階のものに、この枠組みを当てはめることが果たして適切なのかどうかというところは議論のあるところだと思います。

さらに、原則6週間とあって、かなり早い手続で診ていただけるというところござい

ますから、実際には患者からの申し出、かかりつけ医との相談、臨床研究中核病院に来て、そこから計画を練ってというふうにしますと、普通に我々の現場感で申しますと、絶対ここで半年ぐらい簡単にたってしまうというところで、患者さんが思うように、ぱっと治験が終わって使えなくなったから使ってほしいというのではちょっと間に合わないといって、準備している間に1年ぐらいたって承認されてしまいましたということになりかねなくて、正直、この制度を利用して患者さんが助かるという形にはならないのではないかというふうに考える次第でございます。

その辺を含めて御検討いただけたらと考えております。

○八田座長 よろしいですか。

どうぞ。

○吉田課長補佐 3点ほどいただいているのですけれども、まず2点目の、これは先進医療としての技術ではないかというところにつきましては、決してそういうことではありませんということをお答えしておくのかなと思います。

もちろん、そういう意味で1点目の御質問にもかかわってくるのですが、安全性確認試験というフェーズになるわけですね。そういう意味では、安全性はある程度推認されているけれども、それを確認し続けるフェーズであるということですから、同等のことをどういう形では担保する必要がある。そこがまさに、患者申出療養であれば実施計画というレベルであると思います。

そういうところで言いますと、原則6週間ですとか原則2週間という話がありますが、例えばこの患者申出療養の中でも少し議論としてあるのは、現にほかの医療機関で先進医療として行われている医療技術を、そこでやっていない医療機関で患者さんが受けたいとなった場合というものも大いに想定されるわけです。ですから、そういう場合というのは既に実施計画があったりとか、相応のエビデンスが既に先例のほうで確立されていますので、そういうところは相当早くなるということが予想されています。

今回のおっしゃっているようなところも、安全性の確認とかそういう計画というものが、そういう実施計画の中では既に治験で積み重ねて得られたデータというものを使っただけならば、相当早く承認といえますか、この患者申出療養の実施につながるといえますし、ある意味ではプロトコルがそうやって1個固まっていれば、医療機関からすれば新しく患者さんが来られたときにも、その患者さんの状態像を診て、このプロトコルでいけるというところを確認できればスムーズにそのまま申請していただけるといえますか、2例目は、右側の図にありますように原則2週間でできますし、既に実施している医療機関で2例目にやることは、申請は必要ありません。

新しく別の医療機関が同じ技術でやろうとする場合には2週間でできますということですから、2例目以降であればもう既に、例えば特定の臨床研究中核病院でやられていましたら、そこに入ってくると、そこは新たに申請行為というものは要らないわけです。そうなりますと、そこは実質上、そういう御提案されているようなことが患者申出療養の中で

全て実現できている状態になっているのではないかと。

そういうふうに考えていますので、あとはそういう意味ではこれからまさに、来年の実施に向けて、ここは運用を詰めていく段階にあるわけですから、そういうところと言えば、どういう事例があって、どういうふうにそれを使いやすくするかというところは、まさに現場の皆さんからお伺いしながら進めていかなければいけない部分で、そこは間違いないと思いますので、そういったところをぜひいろいろ、また御意見をいただいて、本当に真に患者さんに有用な、総理もおっしゃっているような、そういう制度としてやっていくことがいいのではないかなと考えております。

○阿曾沼委員 原則2週間でしたら、治験をやっていたら、届出だけでいいということとは考えられませんか。申請をして2週間待つのではなくて、届出でいいとする訳です。条件としては全例報告であるとか、安全対策をしてくださいということとする。そういう考え方はないですか。

○吉田課長補佐 例えば、既に治験をやられていた医療機関が初めてこの患者申出療養として申請したときにやろうとするときには、例えば申請に向かって間に合うように、この患者申出療養ができるように進めていただければいいのですけれども、既にエビデンスが相当あると思いますので、原則6週間ですから、早いものはどんどん処理していきたいと思っています。

そういう意味で言いますと、審査というよりは、我々としてもそういうものは相当程度、確認というレベルに、議事録上残していいかは別として、そういう形での行為になると思います。

○阿曾沼委員 確認ということであれば、それは制度的に、届出でもいいわけですね。

○吉田課長補佐 届出は行政的にどうかというのはありますが、届出の中で、でも一応、中身は確認して、ちゃんと要件が整っていますねということを見ることはありますので、それは確認ということになるのだと思いますので、それを何か用語として届出と言うかどうかは別としまして、一応、そういうことを経てやっていただくことに対して、そんなに時間をとらせるということは考えていません。

○井本課長補佐 医薬食品局審査管理課の井本でございます。

先ほど大阪大学のほうから、申請段階で承認確定というお褒めの言葉をいただいたと思っていますけれども、若干、事実と違うので、訂正させていただきます。

承認申請させていただいたものについては、申請後の審査の過程で承認効能が絞られる。要するに、この適応の患者はだめです。ここだけにしてくださいということも決して少ないわけではありません。また、承認申請する前に相談されることが必須ではないので、承認前相談の中でほとんどの論点が出ている場合もありますけれども、同時に並行して、まだ海外でやられているピボタル試験があいていないということでの相談がある場合においては、申請後に無理と言われるケースもまれにはございます。

ですので、事実関係として正確にお伝えするとしますと、申請する段階で承認が確定的

ではないかというのは、予見可能性の観点でPMDAの審査の精度が上がったという意味でのお褒めの言葉としてはありがたいのですが、真実ではないです。それは審査の過程で、この患者集団はやばいです。あるいはここについてはオーバードーズになるので、減量しなければいけませんねとか、禁忌になりますという形で、審査の過程でより分かれることも実際に存在する。だからこそ承認審査が必要なのであって、そういう意味からしますと、承認申請の段階になったから患者は全部オーケーということではないです。そういうことだけは訂正させていただきたいと思います。

○八田座長 では、今のははっきりさせるといいと思うのですが、申請した段階までに、ある程度、振り分けられているということですか。それとも、申請したもので最後承認されたものは、単純にこの数字を見ますと、申請されたものがほぼ100%承認ということなのですが、今のお話は、申請を許すかどうかという、その前での相談があるということですか。

○井本課長補佐 では、そこを正確にお話しします。

まず、薬事承認申請は、してはいけない規定がないので、何人も申請は可能です。ただ、具備要件として添付する資料を要件化していますので、資料は御用意いただく形になります。ただ、申請者としてはそれで承認されると思って資料を用意されるのでしょうかけれども、実際には評価したときに、有意差検定でだめです、2つのポイントのうちの1つを外したからだめですということもあります。

○八田座長 それは何日ぐらいかかるのですか。

○井本課長補佐 それは、トータルのものが1年間の評価の審査期間の中で全部確認することになります。薬事承認の審査期間の1年間というのは、基本的には申請資料の中をレビューすることになりますので、ついている臨床試験の成績の中で、申請者は効能が10欲しいといった場合に、10認められる場合もありますが、削られて8になったり、あるいは5になったり、最悪の場合、この承認はリジェクトですというふうに取り下げられたりすることがあります。

それで、最初に御指摘いただきましたように、取り下げられたものは少なくなりましたねというのはそのとおりです。各段階での、開発段階での相談を大分やっていたけるようになりまして、これは無理だというものは承認申請されないケースが多くなってきていますので、おっしゃるように、見てくれのパフォーマンスからしますと、承認申請されたものはほぼ全件承認を得られているというのは事実であると思います。

ただ、そのときにも落ちていくものもありますという話と、件数には見えないものがあるということ。

○八田座長 それは何%ぐらい落ちるのですか。

○井本課長補佐 昔はかなり落ちていたのですが、最近はほとんど通っています。件数はいっているのですが、注意してほしいのは、申請された効能全部が認められるのではなくて、こういう患者はその承認効能から落とされて承認される。件数としては常に全

件になって見えるかもしれませんが、申請された承認項目全部が承認されずに、一部承認でも承認されてしまいますので、目には見えない形で変形されたり、対象患者さんが縮小されていることはあるのです。

この事実を御存じいただかないと、申請されたものの全部をそのままのみにされて承認されるかに錯覚されますと大きな問題を起こしてしまいますので、訂正させてくださいということを申し上げたものです。

○八田座長 わかりました。

そうしますと、一つの側面は、今は申請の前にいろいろなチェックをしていますから、PMDAの機能も上がって、かなりの率が承認されるようになった。しかし、もう一方で、ここで承認というのは、一部承認も含まれていますから、全部が承認されているわけではない。その2点ですね。

ということは、2番目の点ですが、安全性についてはそんなに問題があるわけではなくて、有効性についての判断ということでしょうか。

○井本課長補佐 いえ、それも違います。有効性と安全性の両方で、この患者群には効いていないという形で落とされる群と、この患者群は危ないからだめという評価の落とされ方もしますので、結局、満額認められないケースにはいろいろありますというふうに御理解いただいたほうがよろしいかと思えます。

○阿曾沼委員 重要な指摘で、リスクがあったり問題があるということの確認は当然必要だと思いますが、患者申し出療養制度で原則、2週間で審査する場合には、同じようなチェックをする必要があるのですか、ないのですか。

○吉田課長補佐 同じようなといいますか、安全性、有効性の確認はいずれにしてもしますので、その確認の仕方は、例えば薬事のICHとか、そういうものでやるかどうかとは別だとは思いますが、いずれにしても、安全性、有効性の確認は何らかするということは間違いありません。

○井本課長補佐 これは、例えば追加で治験をする時のことにも匹敵するわけですが、最終的に薬事で不特定多数の大勢にリリースしていかどうかの評価をするために厳正な、国際水準と同じレベルでの審査という過程で1年間評価をするというものです。それが確定したときには、もはやそこではじかれたものをやることは恐らく許されないのだと思います。それは治験であっても、いろいろな評価療養であっても同じであると思えます。

ただ、評価中のときはまだ未確定なので、厳正な管理のもとで続けることとなりますので、いろいろなアクセス制度においても、効果を否定されたり、あるいはこの部分は危ないということが確定したときには、恐らく速やかにそういったものは論文にも載ったり、広報もされますので、中止されるのが一般的です。これは海外でもそうですけれども、治験のレビューが確定したときには、その部分のものは大体中止されてしまいますので、ですから、そういう評価が未確定のうちには未確定のものとしてシェアしていくのが本来のも

のとして現場もそういうふうには運用されていると理解しています。

ですから、未確定のものとして継続して可能なレベルと、確定した後には可能かどうかというのはまた別問題で、ですから、未確定のときには未確定のものとして動いているというのが評価ベースの試験状態というふうに御理解いただいたほうがいいと思います。

○八田座長 もちろん、市販しながら全ての例について報告してもらい、もし危ないものがあつたら、そこでやめようというのがもともとの提案ですから、それから、先ほどのお話で、今、混乱しているかもしれませんが、これの「死の谷」のところ、実際に市販したときに、これはそこでの報告ということは特に考えていないのですね。

ごめんなさい。今、私が混乱して、前のほうのところは全例報告ですけれども、ここのところは一応、申請する段階では、その後、この混合診療をするときには、別にそのさらなる報告は求めているということですか。

○岡田特任講師 今回に関しまして、まさに御指摘どおり、全ての承認の案件が企業の要望したとおりに通っていない。もちろん、それこそ中には、企業がどうしてもPMDAの指導に従わず、忠告に従わず最後まで行って、結局不承認となった案件もないわけではないということはこちらもよく理解していますので、一応こちらからの提案としては、何でも申請したら使わせて、その条件で全部使わせるという話ではなくて、臨床研究中核病院での仕組みを使って、特区内で試行をさせてほしいということを提案させていただいています。

それで、実施要件に関しましても幾つか考えているのですけれども、基本的に対象患者に関して、申請内容にちゃんと即して、臨床研究中核で医学的に許容な患者さんという形でちゃんと選定してやるということが1つ。さらに安全体制の確保というものもきちんとやっていくということと、もし安全性情報で問題があるようなものがあれば、これは市販後のものと同様にやはり届け出をするという、当然こういった対処はします。ですから、何でも使って、何か使いつ放しみたい形には決してするつもりはないということで今回こういった御提案をさせていただいている背景だけは御理解いただければと思います。

○八田座長 どうぞ。

○吉田課長補佐 一言だけ申し上げますと、まさに今、おっしゃられたようなところで、臨床研究中核病院を中心にして、安全性、有効性を推認してやっていくということをスピーディーにやろうというのが、ある意味、患者申出療養と我々は考えています。

つまり、これは国が1から10まで審査をするというところではなくて、臨床研究中核病院の研究機能、そういったアカデミックな機能を持って、エビデンスを集積できる、しっかりした実施計画を書きただけ。そういったところを、全幅の信頼を置いて、それで短期間でやりましょうというところですので、まさにこれを今回、総理は思いを持たれて、閣議決定の中でやって、法案を提出してやっていくという枠組みで今、まさにスタートしようとしているところで、そこの中をいかに使いやすくするかというのがはっきり言って我々の今の最大のミッションであると思いますし、まさにそういったところでこういったものを、今、おっしゃられたようなニーズも満たしていくことができなければまた同

じような議論が出てくるということだと思います。

我々としては、やはりそういうところをぜひ、この後もいろいろお話を伺いながら、この患者申出療養という枠組みの中で、これはまさに関係者がみんな合意して、こういうものやっけていきましょうという一つの新しいステージで、まさにフェーズといいますか、そういうところに入っているところですので、そこをよりクオリティーの高いものにするということの中でまたいろいろ考えていきたいなと思っているのが現状です。

○阿曾沼委員 議論の中で、臨床研究中核病院の仕組みをどうやって生かしていくかという点での戦略が重要だと思います。臨床研究中核でも現在色々と問題もあります。それはそれで苦しい立場であることはよく存じ上げていますが、臨床研究中核病院を国家戦略特区臨床研究中核病院という位置づけとして、患者申し出療養制度等も含めて、なおかつスピードアップしていく仕組みを考えていただきたいと思います。再度御検討いただければと思います。

○八田座長 どうぞ。

○鈴木委員 今日、いろいろお話を聞いているのですけれども、聞けば聞くほど、なぜ特区でできないか、全くわからないです。ですから、いろいろな例外措置をつくってやっていますという話で、ここまでするのですから特区を使う必要はありませんというロジックは、裏を返せば、特区でやって何が問題があるのかということだと思います。

今日、ずっと一般論で、ここは規制改革会議でしたらそういう議論でいいのですけれども、ここは特区ですから、要するに特区と規制改革会議といいますか、全国一律の話と何が違うかといいますと、まず申請する研究機関が非常にエスタブリッシュされたところが前提になってこういう申請をしているということがまず違うということ。

それから、全国一律の施策はステークホルダーが多いのですよ。ですから、幾ら口で使い勝手よくいろいろやりますと言っても、それが最後まで担保されるかどうかというのは全くわからない。つまり、厚生労働省はいろいろなステークホルダーを見てこれまで政策を打ってきていますから、幾ら言っていたいでも、それは信用できないです。ところが、特区ですとステークホルダーたちがまとめて持ってきていますので、この話はすぐ進むわけです。

ですから、ぜひ特区ということをもう一度、今日の議論は我々が規制改革会議でしたらそれで結構ですけれども、特区ですので、特区ということは要するにこういう厚労省が考えている例外措置の一つとして、この特区を考えていただいて、まずぜひ御検討いただけないかなと思います。

○吉田課長補佐 1点だけ、すみません。特区制度の意義を理解してはいるつもりですが、もちろん特区だけではなくて、いいものは全国的に迅速にお届けすることが同時に使命であると思いますので、そういう意味で言いますと、この患者申出療養の中でやっけていくことで、ある意味、時間の問題とエリアの問題という意味で言いますと、まさにこれは法律を出そうとしている。それで、これを来年からやろうとしている。そういうとこ

ろの中で、またさらに言えば、患者申出療養の中でフレームに入っている患者、臨床研究中核病院というものとまさに同等であったりとか、そういうことでやっているところですので、より多くの方に利益が享受できるようなこととかもあるのかなというふうに、これは私の完全に感想レベルではありません。

あと、もちろん関西圏、東京圏、いろいろな医療機関のニーズに沿って、我々、個別のところの運用を見直したりとか、それは前回の先進医療のハイウエーの話にしても、細かい部分とかの御要望もいただいたところをすぐに直してやるようにとか、そういうことはやってきていますので、そういった意味での全体的に対応はしているということは最後に我々としても一言アピールさせていただきたい。それだけですけれども、そういうことかなと思っています。

○八田座長 今日のお話を伺っていると、基本的には、この患者申し出療養制度というものが出て、これで相当にこれまでのものと比べて前進する。したがって、これの実施にまずプライオリティーを置きたいのだというのがお役所の考えであると思います。

それに対して、患者申し出療養制度は患者の対象についても違いがありますし、それから、原則6週間といっても、実際にはかなりの時間がかかるということが予想されるために、むしろシームレスにやっていただいて、そして実際に混合診療でもって続けるということを始めたら、それは格段に多くの患者さんにとっていいだろう。

それから安全面では、少なくとも申請されたものについては承認されている割合が非常に多くて、そして、物によっては一部承認ということがあるのかもしれませんが、基本的には今のPMDAの性能の向上によってかなり担保されている。これは阿曾沼先生も御指摘になったように、恐らくそういうことが背景にあるからこそ、この申し出制度でも割と早期にできることがあるのではないかとということがありますから、安全面では基本的にそこを注意しなければいけないということはわかりますけれども、そこは担保できるのではないかと思います。

さらに病院、阪大側が言われたのは、そここのところは特段の注意をあれしますということなわけです。そうしますと、これは特区の中で患者申し出療養とは別に、特区の中でこういう制度をつくるというのは、格段にこの使い勝手をよくして、しかも安全性を犠牲にしなくて済む可能性がありますので、これはぜひ、1つつくった後にすぐというのは大変かもしれませんが、御検討をお願いしたいと思います。

それでは、あとは事務局からは何かありますか。

では、よろしく願いいたします。どうもありがとうございました。