

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 26 年 11 月 18 日（火） 9：04～ 9：30
- 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 大阪大学社会経済研究所招聘教授

<関係省庁>

磯部 総一郎 厚生労働省大臣官房参事官
中山 智紀 厚生労働省大臣官房厚生科学課企画官
藤井 大資 厚生労働省大臣官房厚生科学課専門官
井本 昌克 厚生労働省医薬食品局審査管理課課長補佐
安川 孝志 厚生労働省保険局医療課課長補佐
千田 崇史 厚生労働省保険局医療課係長

<提案者>

金田 安史 大阪大学医学部研究科長
澤 芳樹 大阪大学医学部副研究科長
中谷 光良 大阪大学医学部特任准教授
彦惣 俊吾 大阪大学医学部特任准教授
岡田 潔 大阪大学医学部特任講師
北野 義幸 大阪府特区推進監

<事務局>

内田 要 内閣府地域活性化推進室長
富屋 誠一郎 内閣府地域活性化推進室室長代理
藤原 豊 内閣府地域活性化推進室次長

（議事次第）

- 1 開会
- 2 議事 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（関西圏）
- 3 閉会

○藤原次長 それでは、国家戦略特区のワーキンググループヒアリングということで、ワーキンググループの八田座長のもとで、大阪府、大阪大学医学部と厚生労働省との意見交

換という形にさせていただきたいと思います。

先ほど、大阪府、阪大医学部のほうからはお話をお聞きしましたので、今日は二つのテーマでございますが、最初に「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」ということで、提案内容は厚生労働省の方々にはよく御存じだと思いますので、それについての御説明をしていただいた上で、2番目のテーマを20～30分後からスタートして、9時45分終了という形にさせていただきたいと思います。

それでは、八田座長、よろしく申し上げます。

○八田座長 早朝からお越しくささいまして、どうもありがとうございます。

それでは、今藤原次長から話がありましたように、厚生労働省から3ページの3について、御説明をお願いしたいと思います。よろしく申し上げます。

○安川課長補佐 厚生労働省保険局医療課の課長補佐をしております安川と申します。

私のほうから、薬事申請から承認までの期間の保険外併用療養の対象ということでの御提案に関しまして、御説明したいと思います。

資料のほうですけれども、皆様は御承知とは思いますが、保険外併用療養費の1枚紙を付けさせていただいております。今まで書面のほうでもやり取りはさせていただいているのですけれども、具体的な話は、今日こういった場で意見交換をしたほうがいいかなとは思いますが、書面でのやり取りも踏まえて、繰り返しになりますけれども、こちらとしての考えというか、そこを御紹介したいと思います。

保険外併用療養費の中にも評価療養という形で7種類ほど、この資料の中で挙げておりますけれども、ここで医薬品の治験に係る診療については、評価療養の対象ということにしております。御指摘の御要望のところの薬事承認申請から承認までの間というところのタイミングですけれども、こちらのほうも申請された医薬品等を用いた治験とすることで使用可能でございますので、それによって保険外併用療養費制度としての対象になると考えております。

承認申請後でも治験を継続することも差し支えないというような扱いをしておりますので、そういったことで治験の対応は可能ではないかと。そういった形を行うことで、御要望に関しましては、新たな制度をこういった形で特区の中で設けるというのではなくて、現状の治験の枠組みとか、そういったところで対応可能ではないのかなということ、厚生労働省としては考えているところでございます。とおり一遍の説明にはなっておりますけれども、そのような形で考えております。

以上でございます。

○八田座長 ありがとうございます。

それでは、大阪大学から詳しい御説明をお願いいたします。

○岡田特任講師 ありがとうございます。今回の要望に関しましては、今御指摘がありましたけれども、もう一つ、一歩進んだところで何とかできないかというところでございまして、薬事申請から医薬承認までの期間を治験外で何とか保険外併用療養費制度を使った

仕組みというものを作れないかどうかという形の御提案でございまして、現状、御指摘のとおり、治験であれば、製造販売承認申請後のいわゆる長期安全性確認試験等で実施されているものと理解しておりますけれども、現実問題といたしましては、例えば、希少疾病の分野であったりとか、医療機器の分野であったり、承認申請後の治験をメーカーのほうでは中々組んでいけない。しかし、これは今使うものがダメになってしまうと救えない患者が出てくるというものが現実としてございまして、こういったものに対して、では、どうすればいいかということで、結局何とか予算とかをあちらこちらから集めてきて、医師主導治験を何とかやろうという形で、現場では対応しているところでございます。

しかし、やはり医師主導治験ができるようになってきますと、施設もかなり限定されてきますし、医師主導治験に対する公的な予算、いわゆる研究費等も現状はまだまだ限られている現状でなかなか実施できずに、実際には治験に組み込めずに地方病院で、こういう言葉は悪いですが、病状が悪化していくのを結局待たざるを得ない患者も事実存在しているという現状でございまして、もう少しアクセス良く、しかも、この点に関しましては何も安全性も有効性も全く分かっていないようなものを保険外併用療養で使わせてほしいという話ではなく、もう製造販売承認申請まで来ていて、まだ確認は終わっていないけれども、申請資料としてのレベルとしてはもう十分にあるようなものを保険外併用療養で使えるような形にさせていただきたいという要望でございまして。例えば、現在やられているような先進医療とか、治験以外の保険外併用療養の枠組みの中で、例えば、製造販売承認申請があったら、それとほとんど間を置かずに切替えてこちらを使えるという形のシステムとして、何とか保険外併用療養で使えるような枠組みというのを御検討いただけないかというところを考えている次第でございまして。

○八田座長 現場からは非常に切実なニーズがあるということですが、これについてはどうでしょうか。

○安川課長補佐 制度としてのお話なのかもしれませんが、具体例がもしあればということもあるのですが、どういう枠組みであっても、結局医薬品などの製品が企業側から提供されないことには、どういった形でも使えないとは思いますが。そういうときに一定のルールのもとでやるというところが、企業も御自由にどうぞみたいな形では出さないと考えます。

その中で、承認される前のタイミングであれば、こういった治験の枠で企業としては治験薬を提供して使っているとか、そういうことはあると思いますけれども、仮に承認申請の後で、こういう継続してという話とか治験の枠でない場合に、企業側からどういうふうに入手できるのかということも気にはなるところなのですが、そのあたりはどうですか。

○岡田特任講師 これは現実問題としまして、例えば、外資系メーカーなどは先進医療というのも、実はいわゆる IND とあまり区別されていないメーカーの方が多いようでございまして、先進医療でやるので提供していただきたいという形に関しては、実はアクセプトな企業が結構実例としてございまして。実際に先進医療でやるので、この機器を提供してい

ただきたいという方に関して、例えば、具体例をあまり挙げるのもよくないと思いますが、アメリカの某医療機器メーカーなどは、先進医療、とにかく何か公的なものでやっているのであれば、一応医療機器は提供しましょうと言っていた実例は2～3例経験しております。ただ、医者が勝手にやりたいからというのは確かにメーカー側もアグリーはしないと思いますけれども、治験ではないけれども、こういう制度のもとでやっているのだというところの何か文書を出せば、では、提供しましょうというお話に持っていくのは現実的に可能なのではないかと考えております。

○安川課長補佐 もし、そういったときにお聞きしたい点としては、もちろん企業側として公的なルールがあれば提供しやすいというのは多分そうなのだろうなと思いますけれども、仮に治験の枠を使うということ自体を企業側が嫌がるのかもしれませんが、治験の枠を、それが企業主導なのか、医師主導なのかというのはあるのでしょうかけれども、一定のルールがもう既にあるので、そこをうまく活用するということでは対応が全くできなくはないのかなと。もちろんハードルという意味ではあるのかもしれませんが、それは承認される前のハードルでございますので、一定のルールが必要とは思いますが、治験でやるということであれば、保険外併用療養も同じ枠でもできますので、そうすると別で何かルールを決めるみたいな話よりもやりやすいのではないかとと思うのですが、そのあたりはいかがですか。

○岡田特任講師 こちらのところに関しましては、特に今度は国内の企業になってくるのですけれども、国内の特に医療機器メーカーなどは治験というふうに名前を聞くと、やはり腰が引けてしまうというメーカーが多くて、不思議なのですけれども、最近、先進医療と言うと、では、提供しますと。一体どういう実例があって、そういう流れになってきたのか、私も具体的にまだお聞きしたことがないのですが、そういった流れになってきて、これはあくまで私の想像ですが、おそらくそういった形で提供するとあってこられるメーカーが増えているのは、先進医療に関しましては一定の枠が、例えば、患者負担という形にしても、その方が先進医療特約で医療保険等をされていると、患者のほうにも民間保険会社からのペイバックがあるので、患者負担に少ししやすいという枠組みが日本の中に出てきているので、そういう形であれば、ひょっとしたら企業も全くの持ち出しではなくて、ある程度リスクの部分のマネジメントをしながら提供できるのではないかと期待があるのではないかと勝手に想像しているところでございます。

ですので、治験という形ではなくて、それ以外の枠組みの中でやるというところは、こういった製造販売承認申請から承認までの期間のいわゆるギャップを埋める中でのアクセスをより良くする制度として、何か枠組みがあるべき。あるべきというよりは、あったほうがいいなというところを考えている次第でございます。

○安川課長補佐 どういった枠の中でやるかと言うと、こちらのスタンスからすると先進医療であっても治験であっても、もちろんハードルのルールの違いはあれども、そんなにすごく抜本的に変わっているというものではないし、先進医療だって準じた形でちゃんと

やるという話があるので、先進医療になったら思い切りハードルが低くなるとかいう話は当然ないと思います。あとは企業側の抵抗感というか、治験という単語に色々と何かを示しているのかもしれませんが、あまりそこまですごいハードルが違っているものでもありません。そうであれば、現在使える枠があるのだったら、その制度の中で活用するというのも一つの方策ではないのかなとは思いますが。

結局、別のルールを決めようということであっても同じような議論は出てきてしまうので、結局は承認されるまでにどうやってフォローができるかというところの枠で、対応の仕方の問題ですので、結果的に患者にとってどうかというところであれば、企業側のほうで納得の行く形で対応できるというところで、あとはやり方というか、その考え方とか、そういったところで行けるのではないかと思うので、現行制度でうまくやれば可能ではないかなというところで御説明をさせていただいているところでございます。

○澤副研究科長 現行制度というと、何も変えなくても、今もいくらでもできるということですか。

○安川課長補佐 治験の枠でうまく使ってもらえれば。

○澤副研究科長 治験の枠というのは、申請してから承認までの大体1年か1年半くらいの間を、具体的にはどういうふうにするというのですか。

○安川課長補佐 そういった期間でも、結局は治験届を出してもらって、こういった試験を継続しますとかいうやり方です。

○澤副研究科長 治験の継続で行くということですか。

○安川課長補佐 色々なパターンがあると思いますけれども、もちろん、それは薬によっても機器によっても扱いはさまざまかもしれませんが、今承認申請をされたことをもって、治験が一切できなくなるというルールではないので。ただ、有効性、安全性のデータを引き続き収集するという目的が治験にはありますので、そこが前提にはなっていますけれども、そこを名目にして使ってもらおうということは、制度的には可能になっていると聞いていますので、その中で対応できればいいのかなと。

そういうことであれば、個別のケースによって、どういうふうに進められたほうがいいのかとか、そういった試験として使えるようなルールを決めたほうがいいのかとか、個別の製品ごとに相談をしていったほうが早いかなと思うのですが、全くできなくなるとか、一切できませんとかいう配慮ではないと。治験でやれば、保険外併用療養のほうも治験の枠で拾えますので、そうであればルールを変えずとも対応が可能だということ考えているところでございます。

○岡田特任講師 御指摘の点は非常によく分かりますし、ケース・バイ・ケースでうまく立ち回れば、現行制度でできなくはないという部分もあるとは思いますが、実際に結局ケース・バイ・ケースで非常に難しくて検討に時間がかかってしまって、現状の制度のままでは、その切替えがうまく行かずに色々なギャップが途中で開いてしまって、結論としては患者に必要な薬や機器が提供できない期間はどうしても出現するというのが現状だ

と考えております。

これは実施する側や提供する側はもっと前から規制当局と相談して、うまく切替えるようにしていけば良かったのではないかという話がありますが、現状ケース・バイ・ケースで全て対応するのは中々難しく、我々の希望としては、もう一歩進んで、例えば、製造販売承認申請が出された場合に関しては、製造販売承認申請後調査みたいな形でシステムが切替わって、これをいきなり全国でやるのが危ないという話であれば、特区内で調査として保険外併用療養で使用をします。その代わりに、データの信頼性等は先進医療とかが同じ枠組みできちんと責任を持ってやってくださいみたいな形で何とかできないものかと。

現状、例えば、先進医療にすればいいではないか、治験にすればいいではないかという話があるのですが、治験に実際にその中で移行していくための準備は半年とか結局かかってしまうので、承認申請に合わせてうまく長期安全性の試験を出すとか、もしくは先進医療でうまく切れ目は出さずに出すというのは、中々実際にやるのは難しいところもあるので、そういったところを枠組み的にやりやすいという形にさせていただくことはできないものかと考えております。

○八田座長 見方によっては治験の一種だと。申請後に後々のためにひよっとしたら役に立つかもしれないから、治験の補強をしようと。そういう感じですね。

○井本課長補佐 審査管理課の井本でございます。

問題意識は我々も常々持っていて、ただ、問題意識の中で乗り越えられないハードルが厳然としていて、御指摘のように企業側からすると、これから承認を取って稼いでいこうという大事なものは大事に育てたいという意味で、提供には必ずハードルがあって、御指摘のように公的な枠組み、何かのシステムティックなものがないと出しにくいということは聞いております。

もう一方で、制度を新しくいじくっても、例えば、保険外併用療養はあるわけですがけれども、それは結局は枠組みができてなっているので、どの枠組みを使っても結果的にゴールに至ればいい。我々のボトルネックとしては、業界内が大事な薬を提供する枠組みだったら、どういう仕掛けをしていったらいいのか。あるいは、おっしゃったように、準備期間をどうやって短縮したらいいのか。公的な枠組みとして、みんなが認証できるような形に何とか成形できないか。そういった問題意識は持って、今後どうやったらいいかを検討しているところであります。

ですから、基本的には治験である、あるいは先進医療である以外の方法を作らなければいけないという言い方で決めてかかれてしまうと、我々も非常に動きにくいし、新たな制度設計をするためには、今まで以上に新しい制度は前との違うは何なのか、あるいはこれとの棲み分けはどうなるのですか、こちらはどうなるのですかと、色々なものがどんどん増えていくので、できる限り既存の枠組みを最大限に利用しながら、今言った問題意識を乗り越えることを検討しているという状況ではあります。

○澤副研究科長 分かります。その中でも、まだ現場では不自由があって、それをどう解

決するかというところが我々は特区の大事なところかなと思っていまして、そういう意味では、特区は世の中全部でやってしまうのではなくて、試み的にある一定の期間、一定の地域だけで、施設だけでやってみるということで、今回提案させていただいているところですよ。

ですから、そこはお試し期間という言い方はあれですけども、一度こういう形が妥当かどうかというテストケース的に、もしくは成功例を作りながら、最終的には全体に広げるとというのが特区という意味だと私は理解をしていますので、そういう意味から厚生労働省側から考えられていることと、私たちが考えていることはそう乖離してなくて、むしろ患者にどうやって早く届けて、かつ早く承認されて、良い医療が提供できるか。それは現場で本当にみんな思っているのは、治験が終わってから承認までの間の空白をどうやるのだというのは、安川さんがおっしゃったようなことはあるにしても、そんなに理解されていないです。むしろ、そういうきっちりとした制度が本当はあればいいと。いきなりここは今日、制度を作るというよりは、特区の中でこれができるかどうかということの議論だと理解していますので、そこをよく御理解いただきたいと思います。

○八田座長 先ほど伺ったところでは、結局、申請から承認の間は現在の先進医療制度そのものが使えれば一番いいということでした。そして、なぜ治験よりこちらのほうがいいのかと言うと、コストが丸っきり違うからだという御説明でした。それで治験を続けるということになると、製薬会社は必ずしもサポートしないかもしれないけれども、先進医療だと、そのハードルが低いと理解してよろしいでしょうか。

もう一つ、先ほどのお話で、ここでの議論で先進医療ならば患者に対して民間の保険があると。ところが、治験に対してはないと。そういうお話がありました。保険があるからこそ、今のコストの大幅な違いがあるというのは、先進医療を使うというのは確かに理屈が通るのかなと思えます。それがもし大きな要因だとしたら、他に代わるようなものをどう設計するかなどに辺について、もし補強することがございましたら。

○岡田特任講師 コスト面に関しましては、やはり現実問題として、先進医療のほうが安く済んでいるというのが現実でございます。このあたりは、一つ一つは非常に細かい話になってくるのですが、例えば、監査を必須としていないので、最近は色々な事業のお陰で、医療機関独自でモニターまでは持っているところがございまして、自前である程度はできて、外注をしなくても自前で何とか実施ができるという部分。

あと、データシステムの問題も通常やはり治験となると、治験で実績があるデータシステムを非常に多額のレンタルフィーを使ってお借りしなければならない。これは1年間の使用料だけで数千万円とか購入するのではなく、レンタルするだけで数千万円とかいったデータシステムを使わなければならないですが、先進医療という形であれば、海外からも入ってきているような比較的安価に使えるシステムで、これは別に性能が落ちるわけではないのですが、実績とバリデーションの量がまだそれほど取れていないから、治験で使うのに企業が不安があると言って、使っていないだけのものが実は現状ございまして、こう

いったものであれば、正直数百万円の世界の中でできるとか、人件費の問題、システムの問題とかいった部分の色々な部分を計算していきますと、患者は一人当たりのコストが1/4、1/5となっていくという世界でございます。要は結局、実施可能性という部分で、先進医療のほうがコストではやりやすいというところは現状でございます。

正直この問題が、そのまま先進医療という名前の制度に定義上適しているかは分からないのですけれども、このように似たような枠組みの中を使うことによって、実際の患者様のアクセスが改善するというのは間違いないと考えております。

○八田座長 いかがでしょうか。今のコストの差は非常に大きいらしい。そこでのそういう先進医療に相当するようなチェックを続けていくということは、仮に申請が承認されなかった場合にも、将来に役に立つデータも提供できるので、治験の一種と見なすこともできるのではないかと思います。

○井本課長補佐 コストワークの話については、おそらく試験のデザインに依存してしまっていて、治験が異様にコスト高と言われるものは、より堅ろうなエビデンスを求めようとする設計をすればするほど高くなる。これは釈迦に説法ですけれども、あとは試験の位置付けによっては、本当に検証試験は誰が何と言おうとも、それは譲れない設計になるでしょうけれども、それ以外のサテライトというか、ピボタルではないものについては、試験さえ成立すれば、メインを安全性にシフトすると。多分お考えなのはそういうことだと思いますけれども、そういった設計をすることによって、それは先進医療であっても、治験の枠組みであっても客体は同じなので、問題はそういうような試験デザインを立案できるか、うまく調整できるかにかかっているだろうと思います。

先ほどの民間保険の話は後から付いてきたもので、基本的にはそこが先進医療は御承知のとおり保険診療部分とそうでない部分があって、その保険でない部分は何が払うかと言うと、実は研究費です。治験は大体企業がサポートしてくれていたり、医師主導治験であれば、公的研究費がサポートしているから、その分が入らないだけであって、医師主導治験で公的研究費でやっている場合に、実は企業負担はその分はない構造になっていますから、治験だからと言って企業負担が多いというのは必ずしも正しくないと思っているのが一つ。

公的保険以外の民間保険が入ってきたのは、そういう患者負担、あるいは研究費負担分が空いているところを保険商品として民間競争で入ってきただけであって、例えば、今言った治験の、医師主導治験の部分がどういう負担パターンになるかによっては、あるいはそういった商品も出てくる可能性が今後あり得るわけでありまして。

ですから、私たちが言っているのは、今の制度を壊して、新しいのでなければダメだというのに力点を置かれるよりは、今の制度をより有効活用して、その中で足りない部分の調整なり枠組みをある意味で作り上げていくことを考えたいのだということを言っているだけなので、そんなに遠くはないのですけれども。

○八田座長 分かりました。私もそう思います。したがって、言ってみれば、全く新しい

枠組みを作るというよりは、従来の枠組みを柔軟に使って、実質的にこの申請後の治験のコストを低くできるような仕組みを検討していただければと思います。今日は色々と新しい情報も入ったと思いますので、是非御検討をお願いしたいと思いますし、うちの事務局を通じて、更なる意見交換もやっていただきたいと思います。