

医政発 0304 第 2 号
薬生発 0304 第 2 号
保発 0304 第 16 号
平成 28 年 3 月 4 日

(別 記) 殿

厚生労働省医政局長
(公 印 省 略)

厚生労働省医薬・生活衛生局長
(公 印 省 略)

厚生労働省保険局長
(公 印 省 略)

厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準の制定等に伴う実施上の留意事項及び
先進医療に係る届出等の取扱いについて

先進医療に係る実施上の留意事項や届出等の取扱いについては、「新成長戦略」(平成 22 年 6 月 18 日閣議決定)、「規制・制度改革に係る対処方針」(平成 22 年 6 月 18 日閣議決定)、中央社会保険医療協議会での議論等を踏まえ、審査等の効率化・重点化を図ることを目的に、平成 24 年 10 月 1 日より従前の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議を一本化し、「厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準の制定等に伴う実施上の留意事項及び先進医療に係る届出等の取扱いについて」(平成 24 年 7 月 31 日医政発 0731 第 2 号、薬食発 0731 第 2 号、保発 0731 第 7 号。以下「旧局

長通知」という。)において示していたところである。

今般、先進医療における記載要領及び様式の改正に対して柔軟かつ迅速に対応するため、下記のとおり取り扱うこととしたので、御了知の上、その取扱いに遺漏のないよう関係者等に対し、周知徹底を図られたい。

本通知は平成 28 年 3 月 4 日より適用し、旧局長通知は本通知の適用に伴い平成 28 年 3 月 3 日限り廃止する。

記

第 1 先進医療に係る基本的な考え方

先進医療については、平成 16 年 12 月の厚生労働大臣と内閣府特命担当大臣（規制改革、産業再生機構、行政改革担当、構造改革特区・地域再生担当）との基本的合意に基づき、国民の安全性を確保し、患者負担の増大を防止するといった観点から踏まえつつ、国民の選択肢を広げ、利便性を向上するという観点から、以下について、安全性、有効性等を確保するために一定の施設基準を設定し、当該施設基準に該当する保険医療機関の届出により、又は安全性、有効性等を確保するために対象となる医療技術ごとに実施医療機関の要件を設定し、当該要件に適合する保険医療機関の承認により、保険診療との併用を認めることとしている。

- 1 未だ保険診療の対象に至らない先進的な医療技術（2 又は 3 を除く。）
- 2 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（昭和 35 年法律第 145 号。以下「医薬品医療機器法」という。）に基づく承認又は認証を受けていない（以下「未承認等」という。）医薬品、医療機器又は再生医療等製品の使用を伴う先進的な医療技術
- 3 承認又は認証を受けて製造販売されている医薬品、医療機器又は再生医療等製品について承認又は認証事項に含まれない用法・用量、効能・効果又は性能等（以下「適応外」という。）を目的とした使用を伴う先進的な医療技術

また、先進医療は、厚生労働大臣の定める評価療養、患者申出療養及び選定療養（平成 18 年厚生労働省告示第 495 号）第 1 条第 1 号において、健康保険法（大正 11 年法律第 70 号）第 63 条第 2 項第 3 号に掲げる評価療養とされ、将来的な保険導入のための評価を行うものとして位置付けられており、実施保険医療機関から定期的に報告を求めることとしている。

第 2 先進医療の対象となる医療技術の分類

先進医療の対象となる医療技術については、以下のとおり分類する。

- 1 未承認等の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の使用又は医薬品、医療

機器若しくは再生医療等製品の適応外使用を伴わない医療技術（４に掲げるものを除く。）

２ 以下のような医療技術であって、当該検査薬等の使用による人体への影響が極めて小さいもの

（１）未承認等の体外診断薬の使用又は体外診断薬の適応外使用を伴う医療技術

（２）未承認等の検査薬の使用又は検査薬の適応外使用を伴う医療技術

３ 未承認等の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の使用又は医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の適応外使用を伴う医療技術（２に掲げるものを除く。）

４ 未承認等の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の使用又は医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品の適応外使用を伴わない医療技術であって、当該医療技術の安全性、有効性等に鑑み、その実施に係り、実施環境、技術の効果等について特に重点的な観察・評価を要するものと判断されるもの。

第３ 厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準(平成 20 年厚生労働省告示第 129 号。以下「先進医療告示」という。) 第 2 各号に掲げる先進医療に係る実施上の留意事項、届出等の取扱い

１ 実施上の留意事項

先進医療告示第 2 各号に掲げる先進医療（以下「先進医療 A」という。）については、以下の点に留意すること。

（１） 取り扱う医療技術は、第 2 の 1 又は 2 に掲げるものであること。

（２） 保険医療機関において実施することとし、原則として、先進医療の一部を当該保険医療機関以外の場で実施することは認められないこと。

（３） 実施に当たり責任を有し、主として当該療養を実施する医師（以下「実施責任医師」という。）は、当該療養を実施する診療科において常勤の医師であること。

（４） 実施するに当たっては、当該先進医療に係る施設基準に適合する体制で行うこと。

（５） 先進医療告示第 2 各号に掲げる施設基準の細則は次のとおりである。

① 実施責任医師は、実施診療科に現に所属していること。なお、実施診療科における責任者は、実施責任医師の要件を満たしていなくても差し支えない。

② 医師に関する経験年数及び経験症例数については、現に当該医師が所属している保険医療機関以外の医療機関における経験を含めたものであること。

③ 倫理審査委員会については、人を対象とする医学系研究に関する倫理指針（平成 26 年文部科学省・厚生労働省告示第 3 号。以下「倫理指針」という。）第 4 章に規定する「倫理審査委員会」に準ずるものであること。

なお、この通知において、倫理指針の施行日（平成 27 年 4 月 1 日）より前に着手された研究については、従前の臨床研究に関する倫理指針の規定によることができるものとする。また、再生医療等を提供する場合にあつては再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成 25 年法律第 85 号。以下「再生医療等安全性確保法」という。）の定めるところに適合する実施体制を有すること。また、医療技術の内容に応じた指針に適合する実施体制を有すること。

④ 遺伝カウンセリングについては、遺伝医学関連学会による「遺伝学的検査に関するガイドライン」に則した遺伝カウンセリングであること。

2 新規技術に係る手続

(1) 先進医療実施届出書の提出

新規技術について、先進医療 A として保険診療との併用を希望する保険医療機関の開設者は、別に定める先進医療実施届出書を、別に定めるところにより提出すること。

(2) 新規施設届出書の提出

新規技術について、先進医療 A として保険診療との併用を希望する保険医療機関の開設者は、別に定める新規施設届出書を、別に定めるところにより提出すること。

(3) 届出書提出後の手続

① 提出された新規技術については、先進医療会議において科学的評価を行うこととし、その結果（「適」又は「不適」）について通知された地方厚生（支）局長は、届出書を提出した保険医療機関にその結果を速やかに通知すること。

② 当該通知を受けた保険医療機関は、地方厚生（支）局長が新規施設届出書を受理した日の属する月の翌月（受理した日が月の初日であるときは、その日の属する月）より、当該新規技術について保険診療と併用できるものとする。

③ 提出された新規技術に係る科学的評価の結果、実施が認められた医療技術であっても、届出書を提出した保険医療機関が当該新規技術について設定された施設基準に適合していない場合には、地方厚生（支）局長は、適合していない旨を当該保険医療機関に対して文書により速やかに通知す

ること。

- 3 先進医療告示において既に規定されている先進医療（以下「既評価技術」という。）の適応症の変更に係る手続

「2 新規技術に係る手続」と同様に取り扱うこと。

- 4 既評価技術（検体検査に係る技術に限る。）の新規共同実施に係る手続

対象技術については、各先進医療に係る施設基準に適合している保険医療機関において当該先進医療に関する医療技術の全てを実施することを原則としているが（1の（2））、検体検査に係る医療技術については、例外的に、あらかじめ連携した保険医療機関間で業務委託契約を締結することにより、複数の保険医療機関において共同で実施をすることができるものとする。

以下、既評価技術を従前より実施し、かつ、当該技術に係る業務受託に同意した保険医療機関を「受託側医療機関」といい、受託側医療機関との共同実施を希望する保険医療機関を「委託側医療機関」という。

- （1）委託側医療機関による手続

委託側医療機関の開設者は、別に定める委託側新規共同実施届出書を、別に定めるところにより提出すること。

- （2）受託側医療機関による手続

委託側新規共同実施届出書を提出する委託側医療機関と共同実施を予定している受託側医療機関の開設者は、別に定める受託側新規共同実施施設届出書を、別に定めるところにより提出すること。

- （3）届出書提出後の手続

① 提出された新規共同実施の医療技術については、先進医療会議において科学的評価を行うこととし、その結果（「適」又は「不適」）について通知された地方厚生（支）局長は、届出書を提出した委託側医療機関及び受託側医療機関にその結果を速やかに通知すること。

② 当該通知を受けた委託側医療機関は、地方厚生（支）局長が委託側新規共同実施施設届出書を受理した日の属する月の翌月（受理した日が月の初日であるときは、その日の属する月）より、当該医療技術について共同実施により保険診療と併用できるものとする。

③ 当該通知を受けた受託側医療機関は、地方厚生（支）局長が受託側新規共同実施施設届出書を受理した日の属する月の翌月（受理した日が月の初日であるときは、その日の属する月）より、当該医療技術に係る業務の受託を開始できるものとする。

- ④ 提出された新規共同実施の医療技術に係る科学的評価の結果、実施が認められた医療技術であっても、届出書を提出した委託側医療機関又は受託側医療機関が当該医療技術について設定された施設基準に適合していない場合には、地方厚生（支）局長は、適合していない旨を当該委託側医療機関及び当該受託側医療機関に対して文書により速やかに通知すること。

5 既評価技術の実施に係る手続

既評価技術施設届出書の提出については、既評価技術について保険診療との併用を希望する保険医療機関の開設者は、別に定める既評価技術施設届出書を、別に定めるところにより提出すること。

なお、受託側医療機関との共同実施による既評価技術の保険診療との併用を希望する場合には、既評価技術施設届出書に代えて、別に定める委託側共同実施施設届出書を、別に定めるところにより提出すること。

また、共同実施による既評価技術の保険診療との併用を希望する受託側医療機関の開設者は、別に定める受託側共同実施施設届出書を、別に定めるところにより提出すること。

6 届出書の取下げに係る手続

(1) 保険医療機関が先進医療実施届出書、新規施設届出書又は委託側新規共同実施届出書を提出後、先進医療会議における科学的評価が行われるまでの間に、何らかの理由により届出書を取り下げる場合には、別に定める書類を、別に定めるところにより提出すること。

(2) 保険医療機関が先進医療実施届出書、新規施設届出書、委託側新規共同実施施設届出書、受託側新規共同実施施設届出書、既評価技術施設届出書、委託側共同実施施設届出書又は受託側共同実施施設届出書を提出後に、何らかの理由（例：保険医療機関廃止届の提出、等）により届出書を取り下げる場合には、別に定める書類を、別に定めるところにより提出すること。

7 既評価技術に係る届出事項の変更に係る手続

既に届出書が受理されている保険医療機関において、届け出ている先進医療技術について届出事項に変更が生じた場合には、別に定める書類を用いて、別に定めるところにより提出すること。

8 先進医療の取消しに係る手続

地方厚生（支）局長は、既評価技術について、厚生労働大臣から取り消す旨の

通知を受けた場合は、当該既評価技術に係る届出を行った保険医療機関に対して文書によりその旨を速やかに通知すること。なお、保険医療機関への通知に当たっては、先進医療告示から当該既評価技術に係る規定が削除された日から、保険診療との併用ができない旨を併せて通知すること。

9 先進医療において使用される未承認等又は適応外使用の医薬品、医療機器及び再生医療等製品について薬事承認があった場合の取扱い

先進医療A（第2の2に該当する場合に限る。）において使用される医薬品、医療機器及び再生医療等製品の全てについて医薬品医療機器法上の承認等が得られた結果、当該技術が保険適用の対象となる場合には、当該先進医療について、先進医療告示から削除するものとする。

第4 先進医療告示第3各号に掲げる先進医療に係る実施上の留意事項、届出等の取扱い

1 実施上の留意事項

先進医療告示第3各号に掲げる先進医療（以下「先進医療B」という。）については、以下の点に留意すること。

- (1) 取り扱う医療技術は、第2の3又は4に掲げるものであること。
- (2) 実施責任医師は、当該療養を実施する診療科において常勤の医師であること。
- (3) 次の①及び②の要件を満たす医療技術であること。なお、試験計画（試験期間、症例数、評価基準等に関する記載を含む。）については、過去の使用実績等における有効性及び安全性に関する知見に応じて、予定試験期間、予定症例数、モニタリング体制、実施方法、文書の保存期間等を設定すること。
 - ① 国内外の使用実績、有用性を示す文献等の科学的な根拠に基づき、有効性及び安全性の確保が期待できる医療技術であること。
 - ② 試験計画が、次の内容を全て満たすこと。
 - ア 倫理指針に適合していること。データの信頼性については、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成9年厚生省令第28号。以下「GCP省令」という。）等を参考にすること。また、医療技術の内容に応じた指針に適合していること。
 - イ 万が一不幸な転帰となった場合の責任と補償の内容、治療の内容、重篤な有害事象等の可能性、費用等について、事前に患者及びその家族に説明し文書により同意を得ること。
 - ウ 実施責任医師を明示すること。また、当該実施責任医師の下に、実施

する医師が管理されていること。

エ 有効性及び安全性が客観的に確認でき、医療機関内の倫理審査委員会等において認められた試験計画であること。

オ 多施設共同研究の場合は、先進医療Bに係る協力を行う医療機関（以下「協力医療機関」という。）の実施責任医師の氏名、所属科及び役職についても明示されていること。

カ 当該試験計画と同様の試験計画で治験が実施されていないこと。

(4) 次の①から⑤までの要件を満たす保険医療機関において実施すること。

① 実施に当たり必要な以下の全ての体制を有する保険医療機関であること。なお、その具体的な内容については、先進医療会議において、医療技術ごとに要件を設定する。

ア 緊急時の対応が可能な体制を有する。

イ 医療安全管理委員会を設置していることその他の医療安全対策に必要な体制を有する。

ウ 倫理審査委員会による審査体制を有する。

エ 医療機器を使用する医療技術の場合は、医療機器の保守管理体制を有する。

② 倫理審査委員会については、倫理指針第4章に規定する「倫理審査委員会」に準ずるものであること。

なお、この通知において、倫理指針の施行日（平成27年4月1日）より前に着手された研究については、従前の臨床研究に関する倫理指針の規定によることができるものとする。また、再生医療等安全性確保法の定めるところに適合する実施体制を有すること。また、医療技術の内容に応じた指針に適合する実施体制を有すること。

③ 実施される医療技術において使用する医薬品、医療機器又は再生医療等製品の管理体制、入手方法等が適切であること。

④ 先進医療Bを実施している医療機関（以下「先進医療B実施医療機関」という。）の開設者は、院内で行われる全ての先進医療Bについて実施責任医師、研究内容等を把握できる体制を確保すること。

⑤ 臨床研究のデータの信頼性確保のため、次の体制の確保に努めていること。

ア データマネジメント体制

イ 多施設共同研究を行う場合は、多施設共同研究としての実施可能なモニタリング体制等

2 新規技術に係る手続

(1) 先進医療実施届出書の提出

新規技術について、先進医療Bとして保険診療との併用を希望する保険医療機関（以下「申請医療機関」という。）の開設者は、別に定める先進医療実施届出書を、別に定めるところにより提出すること。

ただし、多施設共同研究を行う場合、申請医療機関の開設者は、協力医療機関分もとりのまとめの上、提出すること。

(2) 届出書提出後の手続

① 提出された新規技術については、先進医療会議の先進医療技術審査部会（以下「部会」という。）その他別に定めるところにより技術的妥当性、試験実施計画等を審査した後、先進医療会議において科学的評価を行うこととし、その結果（「適」又は「不適」）について通知された地方厚生（支）局長は、届出書を提出した保険医療機関にその結果を速やかに通知すること。

② 当該通知を受けた保険医療機関は、地方厚生（支）局長が先進医療実施届出書を受理した日の属する月の翌月（受理した日が月の初日であるときは、その日の属する月）より、当該新規技術について保険診療と併用できるものとする。

3 既評価技術の実施に係る手続

先進医療実施届出書の提出については、既評価技術について保険診療との併用を希望する保険医療機関の開設者は、別に定める先進医療実施届出書を、別に定めるところにより提出すること。

4 届出書の取下げに係る手続

先進医療実施届出書を提出後に、何らかの理由により届出書を取り下げる場合には、別に定める書類を、別に定めるところにより提出すること。

5 既評価技術に係る届出事項の変更に係る手続

既に届出書が受理されている保険医療機関において、届け出ている先進医療技術について届出事項に変更が生じた場合には、別に定める書類を、別に定めるところにより提出すること。

6 取消しに係る手続

地方厚生（支）局長は、厚生労働大臣から先進医療Bを先進医療告示から削除

する旨の通知を受けた場合は、当該先進医療Bに係る届出を行っている保険医療機関に対して文書によりその旨を速やかに通知すること。なお、保険医療機関への通知に当たっては、先進医療告示から削除された日から、保険診療との併用ができない旨を併せて通知すること。

7 先進医療において使用される未承認等又は適応外使用の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品について承認があった場合の取扱い

(1) 先進医療B（第2の3に該当する場合に限る。）において使用される医薬品、医療機器又は再生医療等製品の全てについて、医薬品医療機器法上の承認等が得られた結果、当該先進医療が先進医療Bの対象ではなくなる場合であって、引き続き先進医療Aとして継続することが適当な場合には、当該先進医療について先進医療会議において科学的評価を行い、先進医療Aとして施設基準を設定することとする。この場合において、当該先進医療を実施していた保険医療機関については、第3に規定されている手続は要しないが、先進医療会議における科学的評価を適切に行うことを目的として、書類等について当該保険医療機関に対し適宜提出を求める場合があるので、留意すること。

(2) 先進医療B（第2の3に該当する場合に限る。）において使用される医薬品、医療機器又は再生医療等製品の全てについて、医薬品医療機器法上の承認等が得られた結果、当該技術が保険適用の対象となる場合には、当該先進医療について、先進医療告示から削除するものとする。

8 実施後の取扱い

先進医療会議等においては、先進医療B実施医療機関からの報告等に基づき、計画の実施状況、試験結果等について検討を行う。先進医療B実施医療機関は、先進医療会議等における当該試験結果等の検討を踏まえた新たな試験計画に基づく先進医療Bに係る申請、医薬品、医療機器及び再生医療等製品の製造販売業者との協力による「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日研第4号、医薬審第104号）等の適用や治験への可能性等について、厚生労働省医政局研究開発振興課に相談すること。

なお、先進医療会議等における検討の結果、当該先進医療Bの実施が不相当と判断された場合には、当該先進医療を中止若しくは先進医療告示から削除等できるものとする。

第5 先進医療の定期・報告等

(1) 実績の公表

先進医療B実施医療機関は、先進医療Bに係る実施状況等について公表すること。なお、厚生労働科学研究の募集要項（計画の公表）、倫理指針の実績の公表方法を準用すること。

(2) 定期・総括等報告

実施している先進医療については、別に定めるところにより毎年の実施状況等について報告すること。

なお、先進医療会議において求められた場合は、速やかに厚生労働大臣に実績報告等を行うこと。

(3) 安全性報告等

先進医療の実施に伴う重篤な有害事象又は不具合が発生した場合、実施医療機関は別に定めるところにより報告すること。また、実施医療機関は、国内外を問わず、自ら実施する先進医療に係る国民の生命、健康の安全に直接係わる危険情報（以下「健康危険情報」という。）の収集に努め、健康危険情報を把握した場合は別に定めるところにより報告すること。

(4) 治験が開始された場合、企業から医薬品医療機器法に基づく申請等が行われた場合又は企業が医薬品医療機器法に基づく製造販売承認を受けた場合の報告

先進医療に係る医薬品等について、治験が開始された場合、企業から医薬品医療機器法に基づく申請等が行われた場合又は企業が医薬品医療機器法に基づく製造販売承認を受けた場合は、厚生労働省医政局長に報告すること。

(5) 立入調査

先進医療B実施医療機関は、試験実施中の試験実施計画書、症例記録の確認、倫理指針に規定する要件への適合状況の確認等のため、厚生労働省が事前の通告なく行う立入調査等に応じること。

(6) 説明責任

先進医療Bの個別の医療技術に関する説明責任は、実施医療機関にあるものとし、当該実施医療機関の開設者は、適切に説明責任を果たせるよう、予め、十分な検討を行い、必要な措置を講ずること。

(7) その他

厚生労働省からの指示等があった場合には、実施医療機関は、当該指示等に従うこと。

保険医療機関が先進医療実施届出書を提出するに当たっては、事前に厚生労働省に相談することとし、医政局研究開発振興課に事前相談申込書を提出すること。

第7 未承認等又は適応外の医薬品等の入手等

未承認等又は適応外の医薬品等の入手等については、「臨床研究において用いられる未承認医療機器の提供等に係る薬事法の適用について」（平成22年3月31日薬食発0331第7号）及び「臨床研究において用いられる未承認医療機器の提供等に係る薬事法の適用について」に関する質疑応答集（Q&A）について」（平成23年3月31日薬食監麻発0331第7号）の考え方にに基づき、適切に行うこと。

第8 先進医療による成果の活用

- 1 治験に先立って実施される未承認の医薬品や再生医療、個別化医療に係る先進医療の成果については、独立行政法人医薬品医療機器総合機構における薬事戦略相談を活用することにより、医薬品医療機器法上の承認の申請の効率化を可能とする。
- 2 適応外の医薬品に係る先進医療の成果については、国際的な論文等として公表された場合、効能追加に係る医薬品医療機器法上の承認の申請の効率化を可能とする。
- 3 未承認又は適応外の医療機器に係る先進医療の成果については、国際的な論文等として公表された場合、医薬品医療機器法上の承認の申請の効率化を可能とする。なお、独立行政法人医薬品医療機器総合機構における薬事戦略相談を活用することも可能である。

第9 既評価技術の再評価

先進医療については、診療報酬改定、所定の評価期間等の終了に併せて、その有効性、安全性等を評価するとともに、医薬品医療機器法上の承認の状況等を踏まえ、必要に応じて保険導入、先進医療告示からの削除等（試験実施計画書の変更を含む。）の検討を行う。

なお、医薬品医療機器法の対象とならない再生医療、細胞医療等の技術についても、社会的妥当性等に留意しつつ、保険収載の必要性を検討する。

(別記)

各都道府県知事

地方厚生（支）局長

独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長

日本製薬工業協会会長

一般社団法人日本医療機器産業連合会会長

一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム会長

国立高度専門医療研究センター理事長

独立行政法人国立病院機構理事長

独立行政法人地域医療機能推進機構理事長

文部科学省高等教育局医学教育課長

防衛省人事教育局衛生官