

# 制度の運用状況及び患者等からの相談事例の現状について

特定機能病院等への患者等からの  
相談件数  
(H28.4月からR3.12月末まで)  
**158件 (+13件)**

患者申出療養  
評価会議  
における審議

**① 患者申出療養  
として実施  
12件 (+2件)**

④ 制度一般に関する照会等、  
具体的な技術に関する  
相談ではなかったもの  
**50件 (+4件)**

⑤ 一度相談があったが、  
その後、現在までに  
相談がないもの  
**29件 (+0件)**

② 拡大治験（日本版コンパッ  
ションネートユース）等の  
治験、先進医療等、他の  
臨床試験を紹介  
**24件 (+2件)**

⑥ 医療機関等において患者  
申出療養として実施困難と  
判断したもの  
**35件 (+5件)**

③ 既承認の患者申出  
療養を紹介  
**5件 (+0件)**

⑦ 相談継続中  
**3件 (+0件)**

※ 令和3年12月末時点で報告があった件数  
※ 括弧内は昨年報告時からの増加分

# (参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (35件)

令和3年12月末時点

	医療技術名 (対象疾患)	経過等	
①	自家嗅粘膜移植による 損傷脊髄機能の再生治療 (頸髄損傷)	脳神経外科医の評価では、受傷の状況等の患者の状態からは技術の対象外であることから、安全性や有効性等に疑義があり(症状が改善しない可能性)、患者申出療養での実施は困難と判断。なお先進医療で実施中の技術であるが、当該患者は適応外。	<b>患者の状態 からは適応外</b>
②	ラジオ波焼灼術 (腎細胞癌の多発転移)	相談を受けた臨床研究中核病院としては、患者の状態及び技術的な問題等から実施が不可能と判断し、見送り。	
③	イブランス、ベージニオ投与 (肉腫)	遺伝子パネル検査を実施した結果、当該薬剤が有効である可能性が考えられたが、患者の状態を考慮し、治療を断念。	
④	ゼルボラフ投与 (癌)	患者の状態を考慮し、治療を断念	
⑤	オラパリブ投与 (大腸がん)	既に他院にて、当該医薬品の治療歴があったため、適応なしと判断。	
⑥	イソプロテレノール (β刺激薬) 投与 (アルツハイマー型認知症)	当該患者の診断が未確定であること、当該治療薬は国内で承認されている薬剤であるが、当該疾患に対する効果は細胞・動物レベルで確認されたのみであり、ヒトでの効果が全く確認されていないことから、患者申出療養での実施は困難と判断。( <i>"Toxic tau oligomer formation blocked by capping of cysteine residues with 1,2-dihydroxybenzene groups". Nature Communications, 2015</i> )	<b>患者の診断が未確定 かつヒトでの 効果が未確認</b>
⑦	ペランパネル (抗てんかん薬) 投与 (筋萎縮性側索硬化症)	ヒトでの効果が全く確認されていないこと、近々、多施設共同の医師主導治験が他院で開始される予定であったため、そちらを案内。	<b>ヒトでの 効果が未確認 治験を案内</b>
⑧	メラトニン投与 (認知症)	メラトニンは現時点で医薬品の入手が困難であること、動物モデルにおける使用経験はあるものの、ヒトに対する効果が確認されていないことから、患者申出療養として実施困難と判断。( <i>"Effect of Melatonin and Resveratrol against Memory Impairment and Hippocampal Damage in a Rat Model of Vascular Dementia." Neuroimmunomodulation, 2017</i> )	<b>医薬品の入手が困難 でありかつヒトでの 効果が未確認</b>

# (参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (35件)

令和3年12月末時点

	医療技術名 (対象疾患)	経過等	
⑨	ニボルマブ投与 (卵巣癌脳転移)	現時点では当該疾患に対する有効性の科学的根拠がないことから、患者申出療養の対象とはならないと判断。	有効性・安全性に関する科学的根拠無し
⑩	CL2020投与 (脳内出血後の後遺症 (慢性期))	脳出血慢性期後遺症に対する当該製品の投与について、安全性に係る懸念があったことから、患者申出療養としての実施は不相当と判断。また、製品の供給についても懸念あり。	
⑪	スニチニブ (抗がん剤) 投与 (悪性褐色細胞腫)	本疾患に対する当該治療は以前、国内で医師主導臨床試験が実施されていた。本制度では自費診療部分 (薬剤費用等) は患者負担となり、高額な負担が予想されることから患者自身が断念。	費用面から患者自身が断念
⑫	経皮的ラジオ波凝固療法 (左大腿骨骨腫瘍)	本制度では自費診療部分 (薬剤費用等) は患者負担となり、高額な負担が予想されることから患者自身が断念。	
⑬	ニボルマブ投与 (頭頸部癌stage IVA)		
⑭	リツキシマブ投与 (CIDP: 慢性炎症性脱髄性多発神経炎)	海外・国内とも当該疾患に対する本治療の適応は無く、治験実施もなし。スペインでCIDPに対して当該治療を実施し、有効例を認めたとの報告あり (4例中2例が著明に改善)。高額な負担が予想されることから患者自身が断念。 (“Rituximab in treatment-resistant CIDP with antibodies against paranodal proteins.” <i>Neurol Neuroimmunol Neuroinflamm.</i> , 2015)	
⑮	免疫吸着療法 (拡張型心筋症)	他院の臨床試験で行ったものが研究終了のため施行不可となった。費用が高額になることが予想され、患者自身が断念。	
⑯	トラスツズマブ エムタンシン投与 (子宮頸がん)	本制度では自費診療部分 (薬剤費用等) は患者負担となり、高額な負担が予想されることから患者自身が断念。	
⑰	パクリタキセル腹腔内投与 (胃がん腹膜播種)	左記治療を患者申出療養として受けたいと希望されたものの、主治医等と相談した上で、まずは標準治療の実施が望ましいと判断され、ご本人様も納得された。	医師との相談の結果、患者自身が判断
⑱	耳介後部コネクターを用いた植え込み型補助心臓による療法 (拡張型心筋炎・皮膚筋炎)	左記治療を患者申出療養として受けたいと希望されたものの、治療状況等から、主治医等と相談した上で、まずは標準治療の実施が望ましいと判断され、患者自身も納得した。	

# (参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (35件)

令和3年12月末時点

	医療技術名 (対象疾患)	経過等	
①⑨	ジヌツキシマブ投与 (神経芽細胞腫)	ジヌツキシマブの治験の患者登録が終了しており、患者申出療養としての実施について検討されたが、患者家族と主治医との相談の結果、患者の病勢を考慮し、患者申出療養の実施は困難と判断。	<b>医師との相談の結果、患者家族が判断</b>
②⑩	脳表ヘモジデリン沈着症の治験 (脳表ヘモジデリン沈着症)	治験を希望されたが実施施設が遠方であり、患者申出療養としての実施について検討されたが、患者家族と主治医との相談の結果、患者の病勢を考慮し、患者申出療養の実施は困難と判断。	
②⑪	神経膠腫の治験 (神経膠腫)	治験や拡大治験の可能性も含めて検討したが、小児への内服投与が難しく、全身状態も踏まえ実施困難と判断。	
②⑫	イデベノン投与 (レーベル病)	イデベノンは、レーベル病に対しては海外でも未承認であること、国内臨床研究の結果、視機能改善を認めた被験者は約30%であったこと、及び患者家族が早期の治療を希望したことを踏まえ、患者申出療養としての検討は見送った。	
②⑬	腹腔内温熱化学療法 (腹膜偽粘液腫)	腹膜偽粘液腫に対する当該治療は先進医療として実施していたが、当該技術は医療機関の人的負担等が非常に大きく、患者申出療養として臨床研究を継続することは困難と判断した。	<b>当該施設での実施体制の整備が困難</b>
②⑭	腹腔内温熱化学療法 (大腸癌)		
②⑮	脳神経再生治療の治験 (脳出血後)		
②⑯	骨髄間葉系幹細胞の静脈内投与 (脊髄損傷)	他医療機関で治験を実施中。相談を受けた医療機関では実施体制が整っておらず、実施医療機関への相談を勧めた。	
②⑰	培養幹細胞 (Nurown) 移植術 (筋萎縮性側索硬化症)	米国で第Ⅱ相試験が終了したもの。当該治療の実施にあたっては「再生医療等安全性確保法」に適合する医療機関または企業の工場において細胞の加工・保存を行う必要があり、さらに、幹細胞の海外への輸送等の問題もあり、医療機関として実施体制の整備が難しいと判断した。	
②⑱	NC-6004ナノプラチン治療 (膵臓癌)	ナノプラチンの治験が国内で実施中。患者申出療養としての実施を検討したが、企業からの薬剤入手が困難であり、実施困難と判断。	<b>薬剤入手が困難</b>

# (参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (35件)

令和3年12月末時点

	医療技術名 (対象疾患)	経過等	
②⑨	シトルリン投与 (CPS-1欠損症)	高アンモニア血症に対する既存治療が困難であり、薬事未承認であるシトルリンの投与を検討したが、緊急で薬剤が必要な状況であったため、患者申出療養の申請は断念した。	<b>早急に治療が必要な状態であり、医師の判断で断念</b>
③⑩	経皮的欠損孔塞栓用デバイスを用いた経カテーテル人工弁周囲逆流閉鎖術 (人工弁周囲逆流)	医師主導治験の患者登録期間が終了となったため、拡大治験や患者申出療養としての実施が検討されたが、早急に治療が必要な状態であったため、別の治療をすることとなった。	
③⑪	パクリタキセル腹腔内投与 (胃がん腹膜播種)	相談時点で、左記治療は既に患者申出療養として実施組み入れが終了し、評価中の療養 (第1番目の療養) であり、患者と相談し実施しないこととした。	<b>患者組入が終了し評価中の患者申出療養であり実施せず</b>
③⑫	自己心膜製ステントレス僧帽弁置換術治療 (僧帽弁狭窄症)	別の疾患に対して、先進医療として同様の技術が実施されており、そちらの適格基準の変更等を検討することとなったが、最終的に別の治療を選択した。	<b>先進医療としての実施を検討</b>
③⑬	カスタムメイド人工股関節置換 (先天性変形性股関節症)	医師主導治験を計画中であり、そちらへの参加を検討することとなった。	<b>医師主導治験としての実施を検討</b>
③⑭	オラパリブ投与 (膵癌)	当該薬剤について近日中に保険適用の見込みがあるとの情報があり、保険適用を待って使用する方針となった。	<b>保険適用後の使用を検討</b>
③⑮	酵素製剤の脳室内投与 (ムコ多糖症Ⅱ型)	酵素製剤の脳室内投与に係る治験が終了した段階であり、保険適用される見込みであることを踏まえ、保険適用を待って使用する方針となった。	