

## 第2回 先進医療評価委員会

- (1) 日時：平成27年12月1日(火) 18:00~18:40
- (2) 場所：航空会館7階 701+702会議室  
(東京都港区新橋1丁目18番1号 TEL:03-3501-1272)
- (3) 出席者：山口座長、直江座長代理、天野構成員、大門構成員、佐藤構成員、  
高橋構成員、田島構成員、手良向構成員、藤原構成員  
(厚生労働省)  
(事務局)  
国立がん研究センター先進医療評価室長  
国立がん研究センター先進医療評価室長補佐  
国立がん研究センター先進医療評価室事務局長  
国立がん研究センター先進医療評価室員  
国立がん研究センター先進医療評価室員
- (4) 議 題：1. 新規申請技術の評価について  
2. その他

### ○先進医療評価室長(国立がん研究センター)

定刻となりましたので、第2回先進医療評価委員会を開催させていただきます。

第1回が平成26年3月11日ということで、1年9カ月ぶりの開催となって大変申しわけないところもございますが、今回、長らくいろいろな検討を踏まえた上でいい申請が上がってきたように事務局としては考えておりますので、各構成員の先生方、よろしくご審議のほどお願いしたいと思います。では座長の山口先生、よろしくお願いいたします。

### ○山口座長

皆様、お忙しいところありがとうございます。今、藤原室長がおっしゃったように、1年9カ月ぶりの会議となります。待望の事案が出ましたので、ぜひ慎重に検討して先に進めたいと思います。

定刻となりましたので、第2回先進医療評価委員会を始めさせていただきます。

本日は足立構成員、上田構成員、中西構成員よりご欠席のご連絡をいただいております。12名の構成員のうち9名の構成員のご出席をいただいておりますので、開催要件を満たしているということで、本委員会が成立していることを申し上げます。

それでは、まず議事に先立ちまして、事務局より配付資料と本日の利益相反の確認をお願いします。

### ○先進医療評価室長

事務局から配付資料について確認させていただきます。1枚紙で議事次第と配付資料の一覧を記載した用紙があります。それに沿って確認いただければと存じます。

議事次第に続きまして、座席表、開催要項及び運用細則、構成員名簿、資料1-1：新規申請技術の評価結果、資料1-2：先進医療B 実施計画等評価表(番号NCC01)、資料1-3：事前評価に対する回答書、資料1-4：

医療技術の概要図・ロードマップ、資料1-5：先進医療を実施可能とする保険医療機関の要件として考えられるもの、以上になります。その他、構成員の先生方には机上配付資料として、申請機関から提出されました先進医療実施届出書、実施計画書、説明同意文書等の審査資料一式をファイルにしてご用意させていただいております。落丁等がありましたら事務局までお知らせください。よろしいでしょうか。

続きまして、利益相反の確認をさせていただきます。申請医療機関や対象となる医薬品の将来の申請予定企業については、様式1-1の申請医療機関、医薬品・医療機器・再生医療等製品情報をごらんください。

申請医療機関との関係、対象となる国内の企業に関しては、利益相反はないことを事前に確認をさせていただいております。なお、POLATOM社については海外の企業でしたので事前の確認は行いませんでしたが、POLATOM社も含め、事前の届け出以外にももし何らかの利益相反がございましたら、この場でご報告をお願いいたします。該当なしということでもよろしいでしょうか。以上です。

○山口座長

ありがとうございました。では該当なしということで、早速議事に入りたいと思います。

まず、新規申請技術の事前の評価について、事務局から説明をお願いいたします。

○先進医療評価室長補佐

新規申請技術の評価について、事務局より説明させていただきます。

なお、撮影されている傍聴者の方はここまでとさせていただきますのでご協力をお願いいたします。

では、資料1-1をごらんください。ご評価いただく技術は、整理番号 NCC01「難治性褐色細胞腫患者に<sup>131</sup>I-MIBGを用いる内照射療法」です。適応症は難治性褐色細胞腫、申請医療機関は金沢大学附属病院です。審査担当委員は、主担当を直江構成員にお願いし、副担当は田島構成員、大門構成員にお願いしています。

審議に先立ち、先進医療を実施可能とする保険医療機関の要件について、事務局よりご説明申し上げます。資料1-5をご参照ください。

I. 実施責任医師の要件については、診療科は、放射線科、放射線診断科、放射線治療科、またはこれらに相当する診療科とされています。核医学専門医の資格が必要とされています。当該診療科での経験年数は5年以上が必要とされています。当該技術の経験年数も5年以上が必要とされています。当該技術の経験症例数は、術者として1例、助手として1例以上が必要とされています。

続いて、II. 医療機関の要件としては、診療科は、責任医師と同様、放射線科、放射線診断科、放射線治療科、またはこれらに相当する診療科であることが必要とされています。医師数については、放射線科に常勤医1名以上必要、他の診療科として、循環器内科、内分泌内科、内分泌・代謝内科またはこれらに相当する診療科に常勤医1名以上が必要とされています。その他、第1種放射線取扱主任者資格を有する医師もしくは診療放射線技師もしくは薬剤師が必要とされています。病床数は400床以上とされています。看護配置の基準は10対1看護以上、当直体制は実施診療科における診療科当直が必要とされています。緊急手術の実施体制は不要、24時間の院内検査実施体制は必要、他の医療機関との連携体制は不要、医療機器の保守管理体制は必要、倫理審査委員会による審査体制は原則として月1回開催、医療安全管理委員会の設置は必要、医療機関としての当該技術の実施症例数は1例以上となっております。以上になります。

○山口座長

ありがとうございました。今、ご説明いただいた保険医療機関の要件につきまして、どなたかご意見はあります

でしょうか。どうぞ、藤原構成員。

○藤原構成員

埼玉医大の藤原です。当直体制のところですが、放射科単独で当直されているというのは非常に珍しいという印象を受けました。

○山口座長

ありがとうございました。放射線科の医師がそもそも少ないのに、当直をずっとやらせるというのは非現実的ではないでしょうか。また、大手術のあとのように合併症が施行後大分たってから起きるということは余り考えにくいので、普通の当直の方がおられたら多分対応できるのではないのでしょうか。私も藤原構成員と同じように思いました。この点はいかがでしょう。そこまで要件がきつなくてもいいのではないかとのご意見です。直江構成員、いかがでしょうか。

○直江構成員

オンコールでいいのではないかと感じがいたします。というのは、当該はいいかもしれませんが、ほかの実施機関に拡大するときにそれが結構きつい条件になりませんか。

○山口座長

いかがでしょうか。

○高橋構成員

私もそう思います。実際無理だと思うのです。

○山口座長

その先生にかなり負担がかかりますね。大学病院のように核医学の医者が潤沢にいるところはいいですけども、一般には少ないと考えたほうがいいと思います。それで安全性が損なわれるわけでもないように思うのです。ではこの要件は普通の当直があればいいという形でよろしいでしょうか。よろしいですか。

○先進医療評価室長補佐

当直体制につきましては通常の当直ということで訂正するようにいたします。

○山口座長

どうもありがとうございます。そのほかにご意見をごいませんか。

では、要件につきましてはこれで終わりまして、続いてM I B Gの評価結果について、主担当の直江委員より、概要の説明と実施体制の評価をお願いします。

○直江構成員

お手元に配付している評価表をごらんください。褐色細胞腫はそもそも大変希少ながんである、100万人当たり年間数例程度という記載がございました。その中でも難治性というのは、そこにありますように、初診時に原発巣の高度な局所進展がある、あるいは初診時に既に遠隔転移がある、あるいは外科的に切除した後に局所再発を来している、あるいは外科的切除後に遠隔転移を生じたもののいずれかであるということをございまして、外科的切除や根治的放射線外照射が不可能なものは難治性と考えられるところであります。

この難治性に対しての標準療法というのはございませんが、一つは化学療法、一つは当該医療技術、ヨード 131ラベルのM I B G、ヨードベンジルグアニジンの静注ということになっておりますが、日本ではまだ承認されていないという技術でございます。

本技術は、最初にイメージングを、ヨード 123 を用いまして集積の有無を確認し、その集積があるという陽性のものについて、この放射線内照射療法の薬剤でありますヨード 131 を投与して、その安全性と有効性を評価するという技術でございます。既に申請機関は自費診療ということで症例経験があるという施設でございます。

後で副担当の田島構成員、大門構成員にお話をさせていただきますが、私のほうで、まず実施体制を評価いたしました。責任医師、実施医療機関、医療技術の有用性はいずれも適といたしました。先ほど言いましたように、難治性という極めて少ない腫瘍でございますけれども、予後も大変不良でございますし、先ほど述べましたように、化学療法のほかはM I B Gの内照射療法が適応とされているところがございますけれども、我が国ではその技術は承認されていないということでございます。申請者らはこれまで当該技術の実施の経験を積んでおり、医療機関としてもその体制にも問題はないと考えたところがございます。以上でございます。

○山口座長

ありがとうございました。それでは引き続いて田島構成員から倫理的観点からの評価のご説明をお願いします。

○田島構成員

同意に係る手続き、同意文書につきましては全体として大きな問題はございませんでしたので、適の評価にいたしました。ただ訂正をお願いしたい点が3点ございましたのでコメント欄に記載をしております。

1点目は、難治性褐色細胞腫を対象とする臨床試験のため補償がないことはやむを得ないと思っておりますが、説明文書の12ページ6項本文中に、副作用に限らず健康被害が生じた場合に補償がないことを明記する必要があります。

2点目は、説明文書に、臨床試験と関係のない患者さんの一般相談窓口の電話番号も記載してください。

3点目は、字句の細かな訂正の点でございます。

これらにつきましては、適切にご対応いただけるという回答をいただいておりますので、全体として問題はなくなったと考えております。

補償内容につきましては、先ほど申しましたように、このケースは補償がございませんが、やむを得ないということで適と判断いたしました。以上でございます。

○山口座長

ありがとうございました。続いて、大門構成員から実施計画書等の評価のご説明をお願いします。

○大門構成員

試験実施計画書等の評価を担当いたしました大門でございます。評価表の2ページ～3ページにわたって評価結果を示しております。結果といたしましては、いずれの項目も「適」とさせていただいております。試験実施計画書等は丁寧に仕上げられていると考えましたので、そのように評価いたしました。

ただ、1点、気になる点としまして、実施条件欄にお示ししたとおり、本試験における試験薬の投与量は、単一の用量として「一応の」7,400MBqと設定しておられる点です。具体的には、当初の実施計画書では、いわゆる phase I の位置づけであるものの dose-escalation 又は dose de-escalation は行わないとして7,400MBqの単一用量で原則的に投与することを計画されておられる一方、施設基準数量が7,400MBqを下回る施設においては、例外的に、それを超えない最大量を投与することを許容されておられました。すなわち、7,400MBqで投与する施設もあれば、それよりも低い投与量を投与する施設もあるということで、この施設間差が、安全性及び有効性の評価並びにそれらの結果の解釈や実地への還元可能性に影響を及ぼさないか幾分気になりました。その点について申請者の先生にご質問させていただきました。

回答結果は、資料1-3をご覧ください。資料1-3の2ページにわたって丁寧に回答いただきました。要点を申し上げますと、もともと当該用量では、用量制限毒性の頻度はそれほど高くないということで、影響はないというご見解でした。

また、投与量と関連して投与スケジュールが有効性に及ぼす影響に関しましては、単回投与という点では差はないと考えられるものの、本試験では複数回投与が行われるため、この意味では有効性に影響を及ぼす可能性があるとのことでした。この点については、事後的な解析で評価されるとご回答いただきましたので、明確にご回答いただいたものと判断しております。以上でございます。

○山口座長

ありがとうございます。全体のご説明がございましたが、これは極めて珍しい病気ということが一つポイントで、しかも非常に難治性で、我が国で使える治療の選択肢は極めて限られているということがさらに大きなポイントだと思います。それがここに出てきた一つの大きな理由かと思います。

まず、この体制とか研究全般について、直江構成員の説明に対して何かご質問がございますか。

○手良向構成員

今、お話しされましたように、非常に希少な疾患ということですが、特に難治性の発症は年間100人程度と記載されていますけれども、被験者の登録の見込みというのがプロトコールに書かれていないような気がしました。その点について、要するに1年半の登録期間で20名を登録できるのかということについて、確認したいと思います。

○山口座長

何かわかりますか。この施設は前にもやっているもので、多分、前にやった経験からだったと思うのです。前は60何例かやっていたりしています。そのように理解しています。それでよろしいですか。

○先進医療評価室長補佐

事務局から回答いたします。今回の研究に参加する施設は国内でMIBGの治療が実施できる施設が参加しており、この施設におけるこれまでの実施の実態について添付の論文が資料のほうにありますけれども、2つの報告があり、その経験から実際に集積ができるという見通しを立てて、症例数が算出されております。実態としましては、日本全国からこの治療を受ける場合にこの施設に紹介されて受けているということなので、もし適用になる場合には、これらの施設に患者さんが行かれるという形をとっております。

○山口座長

よろしいでしょうか。ありがとうございます。ほかに何か。どうぞ。

○天野構成員

ありがとうございます。1点質問がございます。この特殊な薬剤ということで安定供給という問題等があり得るかと思えます。今までそういった経験のある施設なのでそういった対処もされてきたかと思うのですが、例えば事前に定められた投与スケジュール等が何か供給上の問題で変わり得るとか、そういった可能性というのはあるのかどうかということについて質問させていただければと思います。

○山口座長

半減期が短いので安定した供給ができているかということも含めて。

○先進医療評価室事務局長（国立がん研究センター）

これまでに申請機関とお話をした中では、ポーランドのPOLATOM社からの輸入という形で今までの自費診療も行

ってきたと伺っております。実際、ポーランドからフランクフルトを経由して成田に入るというような感じで輸入されているようですが、時折、重量オーバーの場合などで機長の判断で荷物をおろされたこともかつてはあったようで、若干到着が遅延することは今までもあったということでした。ただ、半減期の関係で、再度そこで送り直して、患者さんの治療の計画には大きな影響を与えずに今までも実施してこられたとは伺っております。

#### ○山口座長

天野構成員が心配されたように、そういうことはやはりあったようで、それがこの試験を立ち上げる一つの大きなきっかけにもなったようです。将来の話ですけれども、やはり国産でつくって、安定供給を確立させるためにもこういう試験をやりたいということのようです。

#### ○高橋構成員

ちょっとお聞きしたいのですが、施設としては最終的に4施設、鹿児島と群馬と北海道が加わるということです。まず金沢で承認されて、通常の多施設共同試験のように、その後すぐ申請されるというタイムフレームでしょうか。どういう経過になるのか教えていただければと思います。

#### ○先進医療評価室事務局長

事務局より回答させていただきます。今回、この委員会において承認されて、その後親会議で認められましたら、そのプロトコルをもってほかの医療機関の学内の研究実施申請がこれから行われることとなります。各医療機関で多施設共同研究の形で研究倫理審査委員会の審査を経て、承認を受けた後に、またこちらのほうに追加申請がなされるという形になります。したがって、当面は金沢大学だけで先行して実施すると伺っております。

#### ○山口座長

やはり希少な疾患なので、できれば網を広げたほうがいいと思いますし、患者さんにもいいと思うのです。そういう意味でも、先ほど施設のところで言いましたけれども、余り厳密にしすぎるといろいろなところでできないということもあるかと思えます。

ほかにご質問はございませんか。

それでは、倫理的観点に関して、田島構成員のほうからお話がありましたけれども、患者さんの相談窓口を別個に設けるということです。これはいろいろな病気で意外にそこが不明瞭になっていて、田島先生らしいご指摘だと思います。そのあたりも整理しているという回答で、一応よろしいと言われておりますけれども、何か、ご質問はございませんか。

では次は大門構成員からの実施計画書の説明の中で、投与量は低いのはどうかということで、これについても1カ所だけだと思うので、ご説明がございましたが、何かご質問はございませんか。

#### ○天野構成員

ありがとうございます。1点、机上配付資料になってしまいますが、186 ページ、患者説明文書の最後の部分で利益相反についての記載があるかと思えます。細かいところになるのですが、「研究代表者とFRI社との間では、FRI社協賛の勉強会、研究会等における講演に対する謝金の授受等が生じることがありますが、この試験とはいっさいかわりなく行われるものです。」ということが書かれていますが、どういったことを想定しているのか、これを一読しただけではわからなくて、場合によってはむしろ利益相反となり得る可能性もあるのかと感じながら読ませていただいたのですが、このあたりはどういったことを実施施設は考えているのか、もしご存じでしたら教えていただければと思いますがいかがでしょうか。

○山口座長

事務局のほうでわかりますか。M I B G以外のことであるという意味でしょうか。あるいはこれに関してのことでしょうか。

○先進医療評価室長

恐らく核医学の先生なのでR Iをつくっている会社からいろいろな講演を頼まれて、それについてお話をすることになると思います。それをここで開示しているという理解です。ただし、通常の講演料であれば額は何百万ということには多分ならないと思います。

○天野構成員

利益相反には当たらないという判断でよろしいのでしょうか。

○先進医療評価室長

利益相反には当たるとは思いますが、ここで述べているということなるとは思います。

○天野構成員

つまり適正に行われるということ、一切かわりなく行われるという記述で担保しているという理解ですか。

○先進医療評価室長

そうだと思います。

○天野構成員

かしこまりました。

○山口座長

ほかございませんか。直江構成員、どうぞ。

○直江構成員

私も後でそこを述べようかと思っていました。後でもいいのですが、これは全体とかかわるのですけれども、ポーランドのPOLATOM社のもので今回先進医療をやった後、国内メーカーがヨード製剤をつくる話になっているというご説明で、この先進医療の結果を受けて、プロトコールデザインを考えるという記載がこの中にありました。その場合に、先進医療の結果を活用するという意味では、今、名前の出たF R I社がデータをどのように利活用するのかという観点からいうと、一方では、このデータは次の治験に生かされるとききちんと書いたほうがいいのかとも思います。二次活用については改めて本人同意を得ますと以前のページでは48ページに書いてあるのですが、今の資料の通し番号だと何ページになりますか。そうすると、これは何のために先進医療をやっているのかというところがぼけてしまうことにもなるので、ここはちょっと検討の余地があるのかと思っています。

○山口座長

ありがとうございます。二次利用はお願いする形になっているのですか。

○先進医療評価室事務局長

通し番号148ページに、16項の研究に関する資料の取り扱いの一番下のところに、二次利用に関する記載がございます。

○山口座長

二次利用する可能性があって、そのときにはもう一度同意をとりますという記載ですね。

○先進医療評価室事務局長

ここには「本試験で得られたデータ・資料については、個人識別情報とリンクしない形で二次利用する可能性がある。二次利用の際にはあらためて同意を得ることを原則とするが、該当する指針に基づき研究の情報の公開等を行う。」という一般的な記載が書かれていて、本試験が次に治験に使われるといったような具体的な記載はございません。

○山口座長

ロードマップに今言った流れが書いてありますけれども、今の先進医療の次は治験が予定されていて、やはり二次利用できるような形にするためにも、こういう文言を入れておいて、次のときには生きるようにしないとこの研究を行う意味がないと思います。ただ、そのときは改めて同意をとるという形ですね。○先進医療評価室事務局長

今の記載のままですと、改めてとるという形になっておりますが、ご指摘を踏まえてプロトコルを修正していただくということも、あとは説明同意文書にも明記していただくという選択肢もあるかと思います。

○山口座長

治験の細部はまだ明確になっていないので、今の時点でとることはできないので、これぐらいのところまでしか言えないような気もするのですが、いかがでしょうか。

○先進医療評価室長補佐

もしその指示がありましたら、ロードマップにありますとおり、この先進医療の流れとしては、治験を実施することを想定の上で、富士フィルムR I ファーマと POLATOM 社の間では技術移管契約を締結して、POLATOM 社と同じ製法・同等品質とする製剤を作成して、そして同等性を説明して、この先進医療で得られたデータを治験の計画の立案の根拠として用いるという方向性になっておりますので、この先進医療で実際に行われたデータを二次利用という形で持っていく場合には、今の記載はありますけれども、プロトコルのほうを改訂して、もう明記してしまうということも確実な方法になるかと思っておりますので、そこのところをしっかりと連結をすることで記載の改訂を指示するというのであればそのように伝えるようにします。

○山口座長

いかがでしょうか。

○直江構成員

最初からそういうロードマップが描かれていて、本データは例えば新薬開発のデータとして活用することがあります、ただ、個人情報とは切り離しますということで、きちんと書いておいたほうが、先進医療の位置づけもはっきりするのかと私は個人的には思っています。

○山口座長

ほかの構成員の方はいかがでしょうか。どうぞ。

○藤原構成員

私も直江構成員のご意見に全く賛成で、この計画書を見たときに、この試験そのものの立ち位置がさっぱりわからなかったということがございます。きょういろいろと背景を伺ってその全体像が見えてきたということですので、やはり患者さんにもそういったことが理解しやすいように説明されるほうがよろしいのではないかと思います。

○山口座長

ありがとうございました。ほかに。どうぞ。

○天野構成員



今のことに関連して質問ですが、私もこういった貴重な患者さんのデータが将来の承認等に活用できることをぜひ願っているのですが、5月の時点の机上配付資料ですが、PMDAの薬事戦略相談の項、289ページを見ますと、「先進医療試験を Non-GCP として行うのであれば参考資料扱いのデータであり、試験デザインについてPMDAから特段の意見はない。」という意見が出ていて、これをどうやって活用されていくのか、ちょっと心配になるようなところを素人ながらに感じるのですが、このあたりはどのように活用していただけるのか、もしわかっていることがあれば教えていただければと思います。

○先進医療評価室長

事務局ですが、これは先進医療を解説する局長通知の中で、申請資料には先進医療Bの結果は効率的に使用するという文言しかないのですが、事前面談ですと無料の面談の中でPMDAからそういう指摘を受けているという状況だと私は理解しております。実際、これが終わって、申請になるところでは、事前には対面助言とか有料相談を受けられて、その中で進められるということになりますので、この議事録自体はまだ事前面談記録なので、あくまでも記録ですから、もう少し詰めたディスカッションは今後行われると思いますし、先進医療Bのできた仕組みから考えますと、間違いなくきちんと使っていただかないと困るというのは通知上書き込まれているので、今後ご期待というところではないかと思えます。

○山口座長

多分皆さんの意見は一致していて、これが生きるようにということで、そのためには何がベストかということを考えて、ある程度書き込んでおいたほうがいいということかと思うのですが、いかがでしょうか。

こういう点をPMDAから指摘されないようにするためにも、この時点では慎重に判断されたと思うのですが、よく話していただいて、前に進めるという意味でもきちんとしておいたほうがいいということでもよろしいでしょうか。

○先進医療評価室長補佐

了解いたしました。改訂を指示するようにいたします。

○山口座長

ありがとうございました。そのほかございませんか。全般でどなたの部分でもいいですけども何か。どうぞ。

○藤原構成員

言葉の問題でちょっと教えていただきたいのですが、DLTという言葉がプロトコールの中で使われているのですが、単用量で行っている試験に対してDLTという言葉が使えるのかどうかというのは、ちょっとここは試験の方法論みたいなのがあると思いますので、どなたかご説明いただければと思います。

○山口座長

大門構成員、お願いします。

○大門構成員

私も実はこの計画書を当初読んでいて、その部分を指摘しようかどうか迷っていましたが。抗がん剤の試験の場面を考えると、通常ですと、dose-escalation 又は dose de-escalation が行われる過程で、用量制限毒性やそれ以上投与できない制限を課すべき用量が同定されることになろうかと思えます。しかしながら、この場面を拡大解釈しますと、恐らく今回の試験で設定された単一の用量はすでに投与可能な最大用量である一方、その用量での用量制限毒性の頻度は過去の知見からそれほど高くないことが予見されるということで、その最大用量自体が用量

制限毒性の頻度の観点から許容可能かを決めようというスタンスをとっておられると見做しました。それ故、現行の記載でも許容し得ると考えた次第でして、その部分はあえて指摘いたしませんでした。藤原構成員のご指摘は、まったくもって同感であるものの、私はそのように解釈いたしました。

○先進医療評価室長

事務局ですが、phase I の最近のテキストブックなんかによりますと、DLTの定義というのは、重篤かつ可逆性の毒性というような定義で、用量をふってみろというふうには書いていないので、広く考えれば、ちゃんと科学性があつて、でも重篤な毒性をちゃんと観察するという意味にとらえられる。最近出た教科書には大体そのように書いてあるので、その観点から私どもとしては許容したというところだと思います。

○山口座長

ありがとうございました。どうぞ。

○大門構成員

藤原室長のおっしゃるとおりです。いろいろな原著論文を見ている、DLTの定義は必ずしも決まったものではないようです。両先生のご見解は、本当によくわかります。補足でございます。

○山口座長

私も藤原構成員と同じような意味にとっておりました。ほかにございせんか。

ただいまの質疑応答も踏まえて直江構成員に総括的なご説明、まとめをお願いしたいと思います。よろしく願います。

○直江構成員

幾つか議論がありますが、総合的に判断しましてこの申請は適といたしました。予定症例数 20 例、予定試験期間は 2 年となっております。先ほど手良向構成員からこれは集積可能症例かという議論がありまして、実は私もそのところが若干留意しなければいけない点であると思います。というのは、多施設共同研究の日本の例の論文は、10 年で 48 例、金沢大学の後ろ向き研究は 7 年間で 26 例ということですので、過去の実績よりは相当スピードを上げないと 2 年間で 20 例というのはなかなか難しいということになります。できるだけ早く施設をふやすことが必要ではないかと考えております。

それから、先ほどは申し上げませんでしたけれども、このプロトコールを読みますと、増悪がない限り、あるいは中止基準に満たない場合はずっと繰り返すということに今はなっていて、普通、試験というのは永遠に続くということはないので、その辺はどうなのかということで問い合わせをしたわけです。文献を見ますと、最大 12 回やったことがあるということですが、問い合わせましたところ、施設側から、毎回有害事象はきちんと把握し、モニタリング・監査も厳密に行われるようにしますということと、選択肢がない中での治療ですので、利益が不利益を上回るということであれば上限は設定しないでいきたいということでした。これは確かにそのとおりであろうということでございます。

それから 2 番目は、既に議論が行われたところですが、今回の先進医療の目的としては、「治験に先立って実施し、PMDA での承認申請の効率化に寄与する」と記載しているということで、2 つの質問、後者はもう既に議論したところですが、今回使用する POLATOM 社製薬剤の結果はこの後に予定をしている F R I 社の薬剤と同じものなのかどうかということです。そもそも違う薬であれば PMDA に相談しても取り合ってくれないだろうということで、先ほど技術委員会の話がちょっと事務局のほうから出ましたけれども、その辺がどうなのかということです。

普通ですと、同じものを使ってやるということなので、ではなぜPOLATOM社のものをそのまま承認して、これはたしかヨーロッパは承認されているのですか？ フランスのものですか。それをポーランドのものを使っているのですか？

○先進医療評価室長補佐

ポーランドで生産しているものです。

○直江構成員

ということなので、国産に切りかえるというあたりの背景がちょっとよくわからなかったので、若干そこは尋ねてみたいということでございます。ただ、評価としては適ということにしました。以上です。

○山口座長

ありがとうございました。ただいま直江構成員が総括していただきましたけれども、MIBGの技術については適という結論でよろしいでしょうか。ありがとうございました。それではMIBGの技術については適という結論とさせていただきます。

皆様から貴重ないい議論をいただきまして、なるべくこういう技術を広く使ってほしいと思います。症例数の問題はありますけれども、先進医療に採用されることで多くの人に知れ渡って、今まで知らなかった人がやれたり、今までできなかった施設ができるようになればスピードもアップすることが期待されますので大変いいことだと思います。

以上で本日の審議は終了いたします。今後の流れについて事務局よりご説明をお願いします。

○先進医療評価室長

活発なご議論をありがとうございました。今後はこの申請資料をもって次の先進医療会議、親会議のほうへ報告という手順になりますけれども、なるべく早く次の会議に諮っていただければと思いますが、いつかは私もまだわかっておりません。また、それがわかりましたら、先生方にもご連絡を差し上げたいと思います。

○山口座長

それでは第2回先進医療評価委員会を終了いたします。本当にきょうはどうもありがとうございました。

(了)