

国内外ともに未承認の医薬品・医療機器を用いる医療技術を  
評価する際の観点について(案)

平成 21 年 7 月 23 日

高度医療評価会議において、国内外ともに未承認の医薬品・医療機器を用いる医療技術の評価の際には、原則として以下のすべての要件を満たされていることが必要であることとする。

I. 国内外ともに未承認の医薬品・医療機器を用いる新規技術の評価する際にとくに必要とする要件

1. 有効な代替治療法のない疾患を対象としていること
2. 関係法令又は指針(GCP もしくは該当する臨床研究指針など)を遵守のもとに行われた、数例以上の自施設での臨床使用実績があり、かつ 1 症例ごとに十分な検討がなされていること
3. 使用する試験薬／試験製品の品質を担保するため、試験薬／試験製品概要書が提出されていること(薬理毒性、薬物動態及び薬物代謝、非臨床試験成績、先行する臨床試験のデータ等を記載)

II. 高度医療評価制度に申請されるすべての医療技術に求められる要件ではあるが、国内外ともに未承認の医薬品・医療機器を用いる新規技術については特に厳密に考慮されるべき要件

4. 高度医療技術の試験実施計画(プロトコール)が、単なる未承認製品の試用にとどまらず、当該臨床試験を実施した結果、被験製品の有効性及び安全性について科学的なエビデンスが得られること、又は次に行われるべき治験、もしくはさらなる臨床試験の試験計画の設定根拠となるエビデンスを作り出せる設計となっていること
5. 高度医療として行われる臨床研究は、医師が主体となって計画・実施されるものであること

III. 国内外ともに未承認の医薬品・医療機器を用いる新規技術の採択後に求められる要件

6. 安全性・有効性が確立しておらず、その評価が特に不足した医療技術であることに鑑み、定期的に(高度医療評価会議が指定する期間毎に)試験結果を報告し、試験の継続の可否について高度医療評価会議の判断を仰ぐこと
7. 高度医療技術の評価期間中(実施中)は、当該高度医療技術については、実施医療機関(協力医療機関を含む)においては、高度医療評価会議で承認された試験計画以外に実施しないこと。

## 新規申請技術（1月受付分）の評価結果

整理 番号	高度医療名	適応症	承認状況	医薬品・医療機器情報	実施又は調整医療機関	審査担当構成員				総評
						主担当	副担当	副担当	技術委員	
006	個人に適切なワクチン選択技術を用いるがんペプチドワクチン療法	再発前立腺癌、神経膠芽腫	未承認・ 医薬品	(株)グリーンペプチド (薬剤コード：KVAC- 1)	久留米大学附属病院	伊藤	猿田	田島	/	条件付 適

## 高度医療 評価表 (番号 006)

評価委員 主担当： 伊藤  
副担当： 猿田 副担当： 田島 技術委員： \_\_\_\_\_

高度医療の名称	個人に適切なワクチン選択技術を用いるがんペプチドワクチン療法
申請医療機関の名称	久留米大学附属病院
医療技術の概要	再発前立腺癌及び神経膠芽腫に対して、多種類のがんペプチドワクチン候補の中からがん免疫状態に適したものを最大4種類選択及び投与することにより、がん細胞に対する特異免疫を賦活させる技術。

### 【実施体制の評価】 評価者： 猿田

1. 実施責任医師等の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
2. 実施医療機関の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
3. 医療技術の有用性等	<input checked="" type="checkbox"/> 一部適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）	
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）	

### 【倫理的観点からの評価】 評価者： 田島

4. 同意に係る手続き、同意文書	<input type="checkbox"/> 適 ・ <input checked="" type="checkbox"/> 不適
5. 補償内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。） 別紙のとおり （患者相談等の対応が整備されているか、についても記載下さい。）	
実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。） 別紙のとおり	

【プロトコールの評価】 評価者： 伊藤

6. 期待される適応症、効能及び効果	<input checked="" type="checkbox"/> 一部適	・ 不適
7. 予測される安全性情報	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
8. 被験者の適格基準及び選定方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
9. 治療計画の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
10. 有効性及び安全性の評価方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
11. モニタリング体制及び実施方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
12. 被験者等に対して重大な事態が生じた場合の対処方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
13. 試験に係る記録の取扱い及び管理・保存方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
14. 患者負担の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 一部適	・ 不適
15. 起こりうる利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
16. 個人情報保護の方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適	・ 不適
<p>コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）</p> <p>前立腺がんを適応にするものについてはPSAの減少がみられる症例もあり、有効性が期待されるが、神経膠芽腫については提出された論文だけでは被験者から個人負担を徴収可能とするほどの有効性があるとは判断し難い。</p> <p>実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）</p> <p>検査費用に関わる被験者負担分を明示すること。</p>		

【総評】（主担当の先生が御記載ください。）

総合評価	適 ・ <input checked="" type="checkbox"/> 条件付き適 ・ 不適		
予定症例数	55例	予定試験期間	20年10月1日～25年9月30日
<p>実施条件欄：（修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。）</p> <p>効果が期待できそうな点は前立腺がんにおけるPSAの低下であり、現時点においては前立腺がんのみと考えます。</p> <p>有効性についての正確な評価ができるまでは、高度医療試験成績を臨床試験コーディネーターなどが関与する特定機能病院ならびに治験中核・拠点医療機関等に限定すべきと考えます。</p>			
<p>コメント欄：（「不適」とした場合には必ず記載ください。）</p>			

## 別紙

### 【1】コメント

1. 治療法及び臨床試験の目的の説明が一般人を対象としたものとしては分かりにくく、治療実績・効果の説明が具体性に欠けている。他の治療方法についての説明も、本試験に代わるものの説明とは言い難い。
2. 患者相談の対応は、試験責任医師の連絡先と氏名が書かれているのみなので、十分でない。
3. 利害衝突について具体的に書かれていないので不明確である。
4. 説明文書の文章に、用語の不統一や意味不明の表現があるので、全体的に文章を精査する必要がある。

### 【2】実施条件

次の点を改めれば適とする。

1. 治療法及び臨床試験の目的については、「久留米大学先端癌治療研究センター」のホームページ中の「がんワクチン臨床試験」の項目の例に倣い、一般人に理解させることを念頭に置いて、分かり易く説明すること。  
治療実績・効果については、過去の試験例の数と効果があった症例数、腫瘍の縮小割合と生存延長期間数を具体的に書くこと。特に前立腺癌は高齢者に多いというのであれば、費用対効果について判断する必要性が高まるため、検討材料を提供する必要性が高い。  
他の治療方法の有無を明確にする（がんペプチドワクチン療法以外に治療法の無い患者が対象ではないのか）。
2. 患者相談の対応として、担当医師1名のみでは必要な時に連絡が付かず、また多忙で時間が取れない可能性も高いため、患者がいつでも連絡を取れる事務局の窓口も設ける必要があると考える。
3. 臨床試験実施者の一人である伊東恭悟医師が使用ワクチンを製造販売する株式会社グリーンペプタイトの代表者かつ株主であるほか、研究事務局及び研究者の中に2名の同社株主が加わっている点に利益相反の可能性があり、ワクチンを販売して会社延いては株主や役員が利益を上げることを目的とした試験でないことが分かるよう、会社の収益や利益配分の内容を含めて具体的に本試験との関係を説明すること。
4. 同意文書中、①例えば「患者さん」「患者」「患者様」といった複数の異なる表現が同一対象に関して使われる用語の混乱があるので統一すること、②前立腺癌患者用同意文書「5. 臨床試験の方法について」の文頭に、「今回ご紹介する臨床試験にはいられる参加希望の場合には」といった削除漏れがあり、また「6. 予想される副作用とその対処(2)」中に「副作用が生じたときには、あなたに自覚症状がない場合も、こちらから速やかにお知らせください。」といった意味不明の文があるなど、訂正を要するものについては総て訂正し、文書全体を見直すこと。