

厚生労働科学特別研究事業（令和 6 年度）
臨床研究のさらなる適正化に向けた諸課題に係る調査研究
分担研究「適応外使用について」
添付資料 2：アンケート結果まとめ（Ⅱ．適応外使用の事例）

1) アンケート実施について

アンケートは研究班で検討の上、下記計 119 団体に送付した。

- ・ 臨床研究中核病院（15 病院）
- ・ 国立高度専門医療研究センター（6 センター）
- ・ Japanese Cancer Trial Network (JCTN)に参加するグループ（9 グループ）
- ・ 認定臨床研究審査委員会（86 委員会）
- ・ 学会（日本小児科学会、日本臨床腫瘍学会及び日本癌治療学会）

アンケートは Google Forms を使用し、アンケート依頼期間は、2024 年 7 月 2 日～8 月 13 日とした。

2) アンケート依頼文について

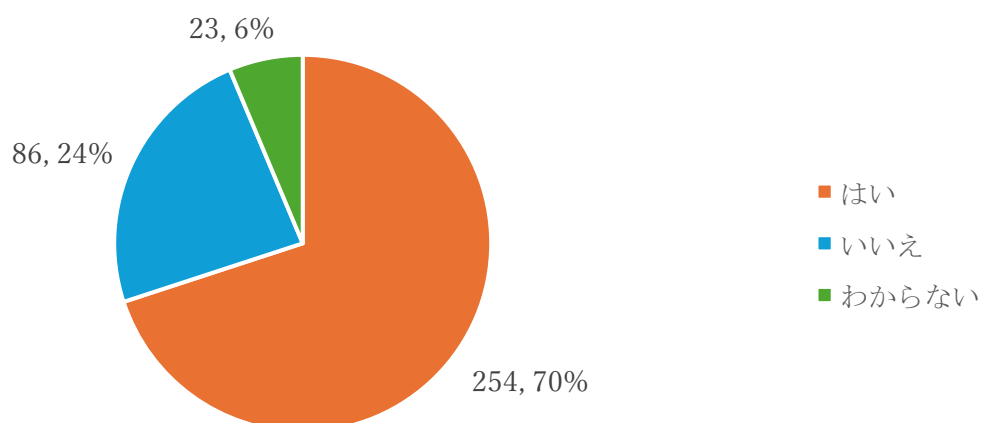
アンケートは研究班で依頼文と参考資料を検討の上、提示して実施した。

アンケート依頼文とアンケート内容は別紙 1 に示した。

3) アンケート結果について

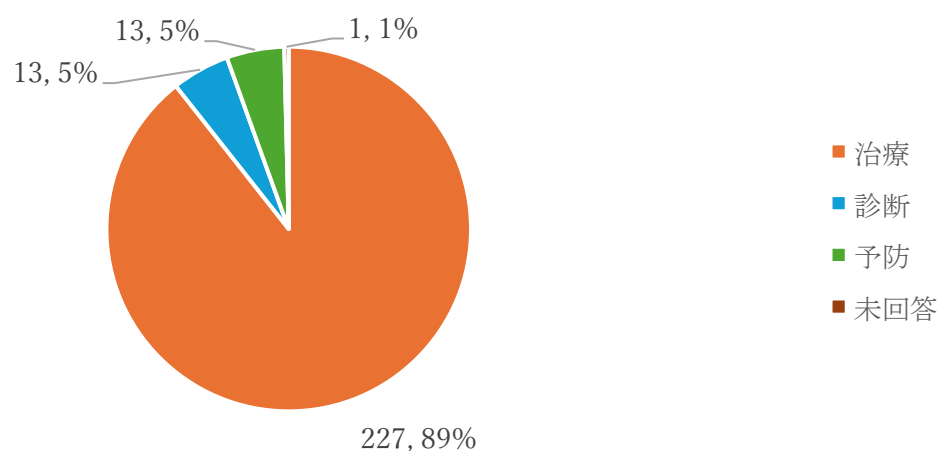
- ・ 回答数最終 363 件
- ・ 薬事承認済みの用法等と少しでも異なる（適応外使用）ために特定臨床研究に該当した事例は 254 件収集できた。

適応外使用の事例あり



- ・ 使用する医薬品又は医療機器は、9割が治療目的だった。

使用する医薬品等の使用目的

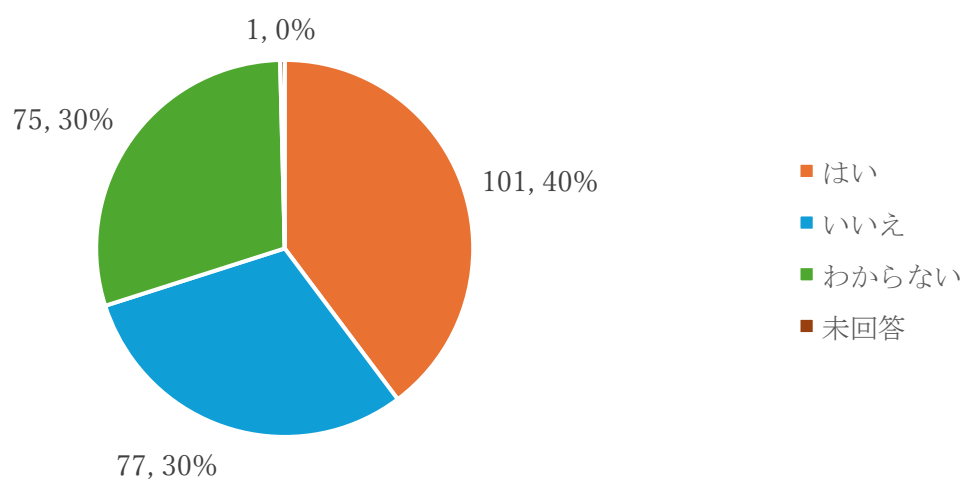


(1) 適応外使用の内容

医薬品の適応外使用が233件（効能・効果が適応外124件、用法・用量が適応外148件（重複あり39件））、医療機器の適応外使用19件であった。

(2) 診療ガイドラインへの掲載有無

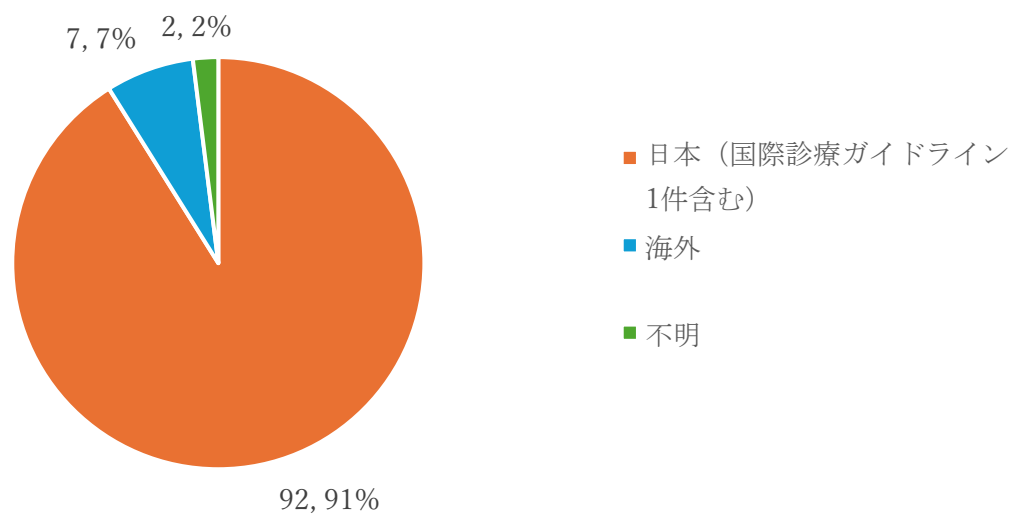
診療ガイドラインへ掲載ありが4割程度あった。また、3割程度が不明と回答されたのは、CRB委員・事務局又は臨床研究支援業務従事者など研究責任医師・研究分担医師以外からの回答によるためである。



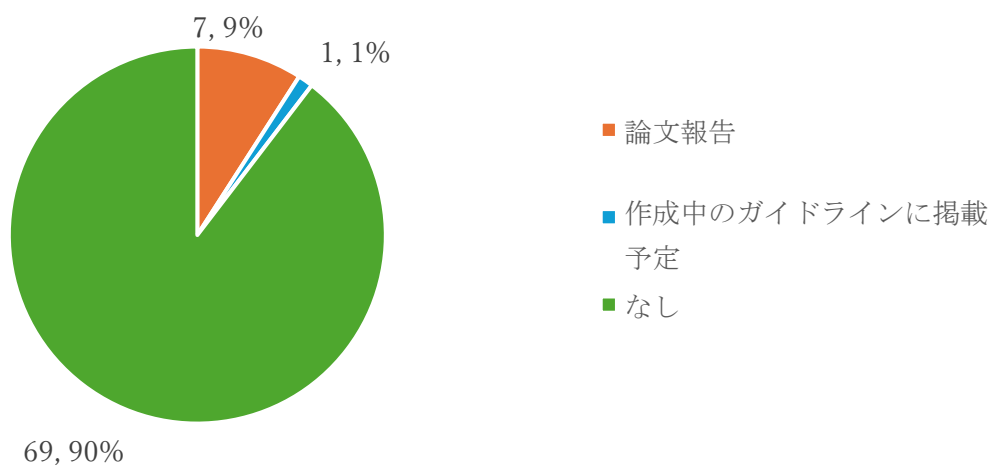
(3) ((3)が「はい」の場合) 掲載されているガイドライン

国内の診療ガイドラインが9割を占めた一方、海外のガイドラインのみに掲載されている事例

が7件あった。7件の内訳は、NCCN ガイドライン 4 件、Difficult Airway Society、British Society for Haematology、Cochrane library が各 1 件。

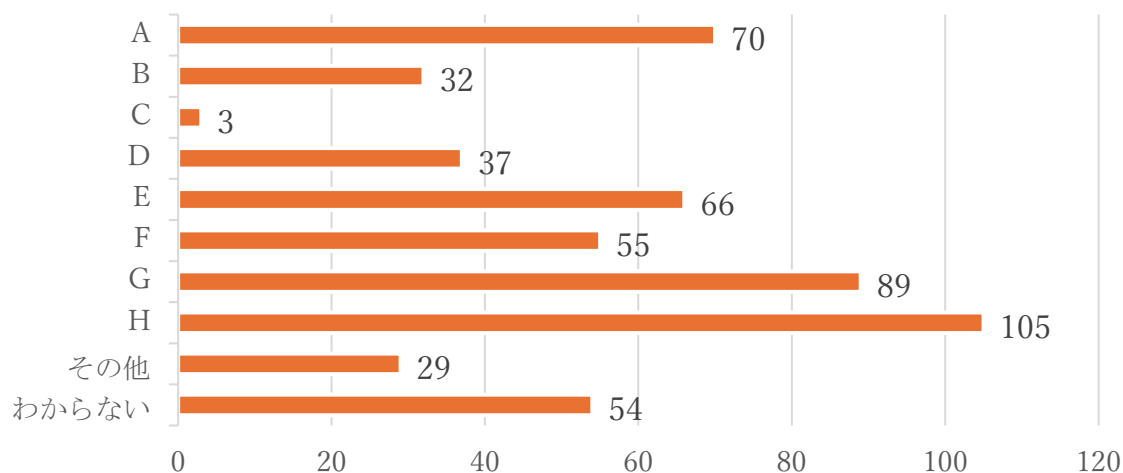


(4) ((3)が「いいえ」の場合)、ガイドライン以外に掲載されている文書の有無
ガイドライン以外の文書は論文報告が 1 割弱あるのみだった。



(5) 適応外使用目的のエビデンス

既存の臨床研究において日本人の有効性又は安全性が示されている、国内の診療ガイドラインにおいて推奨されていることを根拠にされている事例が多かった。また、本調査を通して、診療ガイドラインに用法・用量や使用方法が記載されている例は少ないことが分かった。



A：国内の診療ガイドラインにおいて推奨されている

B：国内の診療ガイドラインに適応外と判断された医薬品の用法及び用量が記載されている

C：国内の診療ガイドラインに適応外と判断された医療機器の使用 방법이記載されている

D：上記のガイドライン推奨の根拠となるエビデンスにおいて、日欧米等の先進国における臨床研究の成績がある。

E：上記の臨床研究は比較試験である

F：上記の比較試験において有意差が示されている

G：臨床研究において日本人の有効性が示されている

H：臨床研究において日本人の安全性が示されている

その他の回答（抜粋）

- ・ ほぼ全ての臨床試験で投与量は AUC で規定されている。体表面積当たりと AUC でどちらが有効か、あるいは安全かを比較した試験は思い当たらない。
- ・ 体表面積換算や体重での投与量等は臨床試験で実施され論文化しています。
- ・ メカニズムや承認試験のデータからリスクが低いと想定されるため
- ・ 海外で一般的治療法として使用されている。
- ・ 海外での比較試験があり、システマティック・レビューにおいて有用性が示されている。
- ・ 現在作成中の国内診療ガイドラインにて推奨の予定。
- ・ 国内ガイドラインには未記載、次版掲載予定
- ・ 海外の臨床研究で有効性が示され、FDA 承認を得ている。
- ・ 海外の診療ガイドラインにおいて推奨されている。そのガイドライン推奨の根拠となるエビデンスにおいて、日欧米等の先進国における臨床研究の成績がある。
- ・ ガイドラインに具体的な用法及び用量の記載はないが、根拠となる論文出典が掲載されている。

以上

特定臨床研究の適応外使用の事例に関するアンケート

臨床研究法では、使用する医薬品等が承認された医薬品等の用法、用量、効能及び効果（以下、「用法等」）と少しでも異なる場合には、適応外使用として全て特定臨床研究と定義され、医療上必要な臨床研究の実施が困難となり、結果として医療の向上を阻害しているとの意見があり、見直しが議論され（※1）、今般、この議論の内容を踏まえた改正法案が第213回国会において成立し、[令和6年6月14日に改正臨床研究法が公布されました](#)。

※1 厚生科学審議会臨床研究部会「[臨床研究法施行5年後の見直しに係る検討のとりまとめ](#)」（令和4年6月3日）

現在、令和6年度厚生労働科学特別研究事業「臨床研究のさらなる適正化に向けた諸課題に係る調査研究班」において、法改正事項のうち、適応外医薬品等を使用する研究であっても、各種の根拠情報に基づき、そのリスクが承認を受けた用法等と同程度以下のもの（※2）については、特定臨床研究の範囲から除外することについて具体的な要件を検討しています。

※2 改正臨床研究法の記載：

人の生命及び健康に影響を与えるおそれが当該承認、認証又は届出に係る使用方法等と同程度以下のもの

これまで適応外使用と判断され特定臨床研究に該当すると判断されたものの、薬事承認済の用法等による場合と同程度以下のリスクと考えられる事例を把握するために、アンケートを作成いたしました。以下の設問にご回答のほど、どうぞよろしくお願い申し上げます。

[回答例1](#)、[回答例2](#)

個人情報の利用方針：回答いただいた個人情報は、アンケート内容について問い合わせが必要な場合に使用することがあります。同意を得ずに研究班の関係者（厚生労働省を含む）以外の第三者に提供することはありません。このアンケートの結果は、研究報告書、医学関係の学会・雑誌などで公表・発表することを予定していますが、公表や発表に際し、氏名など個人を特定できる情報を使用することはありません。

* 必須の質問です

1. 個人情報の利用方針に *

1 つだけマークしてください。

- ☐ 同意する 質問2 にスキップします
- ☐ 同意しない（同意しない場合でも回答は可能です。）
質問4 にスキップします

Q1 あなたについて教えてください。

2。 Q1-1 氏名

3。 Q1-2 メールアドレス

4。 Q1-3 職種（択一、氏名及びメールアドレスを入力済み、かつ繰り返し回答する場合は、省略可）

1 つだけマークしてください。

☐ 医師・歯科医師

☐ CRB委員・事務局

☐ 臨床研究支援業務従事者

☐ その他:

5。 Q1-4 所属機関（氏名及びメールアドレスを入力済み、かつ繰り返し回答する場合は、省略可）

Q2 改正前の臨床研究法では、臨床研究における医薬品等の使用方法が、薬事承認済みの用法等と少しでも異なる場合（適応外使用）は一律に特定臨床研究に該当し、実施基準の遵守や実施計画の提出等が義務付けられています。

6。 Q2-1 実施予定、実施中、実施済又は実施を検討した研究の中に、**薬事承認 ***
済みの用法等と少しでも異なるがために、特定臨床研究に該当した事例を経験したことがありますか。（択一）

1 つだけマークしてください。

☐ はい

☐ いいえ

☐ わからない

Q2-2 該当する事例について教えてください。

7。 (実施中又は実施済みの場合) jRCTの臨床研究実施計画番号

8。 対象疾患

9。 使用する医薬品又は医療機器の使用目的 (択一)

1 つだけマークしてください。

☐ 診断

☐ 治療

☐ 予防

10。 (治療の場合) 臨床的位置付け (例: 術前化学療法、切除不能がんに対する化学療法など)

11。 使用する医薬品名 (併用薬やレジメン名がある場合は、その名称を含む。)

12。 使用する医療機器名

Q2-3 適応外使用になった理由を教えてください。

13。 使用する医薬品の「効能及び効果」が適応外
[記載例](#)

14。 使用する医薬品の「用法及び用量」が適応外
[記載例](#)

15。 使用する医療機器の「使用方法、効果及び性能」が適応外

- 16。 Q2-4 Q2-3で適応外と判断された用法等による医薬品又は医療機器を用いた診断、治療又は予防は、診療ガイドラインに載っていますか。(択一)

1 つだけマークしてください。

- ☐ はい
- ☐ いいえ
- ☐ わからない

- 17。 (Q2-4で「はい」を選択された方へ) 具体的なガイドライン名をお教えてください。

- 18。 (Q2-4で「いいえ」を選択された方へ) 診療ガイドライン以外に載っている場合、具体的な文書名(手引き、マニュアル等)をお教えてください。

- 19。 Q2-5 適応外と判断された医薬品又は医療機器を用いた診断、治療又は予防は、日常診療で保険診療として行われていますか。(択一)

1 つだけマークしてください。

- ☐ 行われている
- ☐ 行われていない
- ☐ わからない

- 20。 Q2-6 Q2-3で適応外と判断された医薬品又は医療機器を用いた診断、治療又は予防のエビデンスについて、当てはまるものにチェックしてください。（複数選択可）

当てはまるものをすべて選択してください。

- ☐ 国内の診療ガイドラインにおいて推奨されている
- ☐ 国内の診療ガイドラインに適応外と判断された医薬品の用法及び用量が記載されている
- ☐ 国内の診療ガイドラインに適応外と判断された医療機器の使用 방법이記載されている
- ☐ 上記のガイドライン推奨の根拠となるエビデンスにおいて、日欧米等の先進国における臨床研究の成績がある。
- ☐ 上記の臨床研究は比較試験である
- ☐ 上記の比較試験において有意差が示されている
- ☐ 臨床研究において日本人の有効性が示されている
- ☐ 臨床研究において日本人の安全性が示されている
- ☐ わからない
- ☐ その他: _____

アンケートへのご回答ありがとうございました。

このコンテンツは Google が作成または承認したものではありません。

Google フォーム