

## 規制の事前評価書

法律又は政令の名称：再生医療等の安全性の確保等に関する法律及び臨床研究法の一部を改正する

法律案

規制の名称：医薬品等の適応外使用に関する法の適用範囲の見直し

規制の区分：新設、改正（拡充、緩和）、廃止 ※いずれかに○印を付す。

担当部局：厚生労働省医政局研究開発政策課

評価実施時期：令和6年2月

### 1 規制の目的、内容及び必要性

#### ① 規制を実施しない場合の将来予測（ベースライン）

「規制の新設又は改廃を行わない場合に生じると予測される状況」について、明確かつ簡潔に記載する。なお、この「予測される状況」は5～10年後のことを想定しているが、課題によっては、現状をベースラインとすることもあり得るので、課題ごとに判断すること。

（現状をベースラインとする理由も明記）

薬事承認を受けている医薬品等の適応外使用を行う臨床研究について、人の生命及び健康へのリスクが薬事承認済みの用法等と同程度以下の場合には、臨床研究法（平成29年法律第16号）の特定臨床研究から除外することとし、実施計画の提出等の義務を課さないこととする。また、これに伴い、人の生命及び健康へのリスクが薬事承認済みの用法等と同程度以下の用法等により医薬品又は再生医療等製品のみを用いて行われる再生医療等について、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。）の対象となる再生医療等から除外することとし、その提供に際して、提供計画の提出等の義務を課さないこととする。

当該措置を講じない場合、研究対象者の生命及び健康へのリスクが薬事承認済みの用法等による場合と同程度以下であるにもかかわらず、一律に特定臨床研究や再生医療等安全性確保法の対象となる再生医療等として取り扱うことにより、医療上必要な研究等の円滑な実施が困難となる可能性がある。

#### ② 課題、課題発生の原因、課題解決手段の検討（新設にあつては、非規制手段との比較により規制手段を選択することの妥当性）

課題は何か。課題の原因は何か。課題を解決するため「規制」手段を選択した経緯（効果的、合理的手段として、「規制」「非規制」の政策手段をそれぞれ比較検討した結果、「規制」手段を選択したこと）を明確かつ簡潔に記載する。

現行の臨床研究法においては、薬事承認を受けている医薬品等について適応外使用を行う臨床研究など、臨床研究のうち特に研究対象者の生命及び健康へのリスクが高い臨床研究を「特定臨床研究」とし、実施計画の提出等を義務付けている。この点、医薬品等の適応外使用を行う臨床研究のうち、例えば、学会の診療ガイドライン等で推奨されており、日常診療で問題なく使用されている用法等により医薬品等の適応外使用を行う臨床研究についても、研究対象者の生命及び健康へのリスクが薬事承認に係る用法等による場合と同程度以下であるにもかかわらず、一律に特定臨床研究として取り扱われ、実施計画の提出等が必要となるため、医療上必要な研究の円滑な実施が阻害されているとの指摘がある。

このため、医薬品等の適応外使用を行う医療上必要な研究の円滑な実施を推進するべく、医薬品等の適応外使用を行う臨床研究のうち、人の生命及び健康へのリスクが薬事承認済みの用法等と同程度以下の用法等により医薬品等を用いるものについては、特定臨床研究から除外することが適当である。

また、臨床研究のうち、再生医療等安全性確保法の適用を受けるものについては、臨床研究法の規定に基づく臨床研究の実施に係る規制の適用が除外されており、臨床研究法と再生医療等安全性確保法の両法をもって臨床研究に係る一体的な規制体系が講じられていることから、両法における取扱いは整合性のとれたものとするのが適当である。この点、上記のとおり、臨床研究法について、医薬品等の適応外使用に関する法の適用範囲の見直しに関する改正を行うこととしているため、当該改正事項について臨床研究法のみを改正し、再生医療等安全性確保法を改正しない場合、臨床研究に係る規制が両法の間で不整合なものとなることから、再生医療等安全性確保法についても、同旨の改正を行う必要がある。また、再生医療等安全性確保法の適用対象について、再生医療等が臨床研究として実施される場合と自由診療として実施される場合で異なるものとすべき特段の理由はないため、自由診療として実施される場合も含めて改正を行う必要がある。

このため、人の生命及び健康へのリスクが薬事承認済みの用法等と同程度以下の用法等により医薬品又は再生医療等製品のみを用いて行われる再生医療等について、再生医療等安全性確保法の対象となる再生医療等から除外することが適当である。

## 2 直接的な費用の把握

### ③ 「遵守費用」は金銭価値化（少なくとも定量化は必須）

「遵守費用」、「行政費用」について、それぞれ定量化又は金銭価値化した上で推計することが求められる。しかし、全てにおいて金銭価値化するなどは困難なことから、規制を導入した場合に、国民が当該規制を遵守するため負担することとなる「遵守費用」については、特別な理由がない限り金銭価値化を行い、少なくとも定量化して明示する。

当該規制緩和に伴う遵守費用は生じない。

④ 規制緩和の場合、モニタリングの必要性など、「行政費用」の増加の可能性に留意

規制緩和については、単に「緩和することで費用が発生しない」とするのではなく、緩和したことで悪影響が発生していないか等の観点から、行政としてモニタリングを行う必要が生じる場合があることから、当該規制緩和を検証し、必要に応じ「行政費用」として記載することが求められる。

当該規制緩和に伴う影響についてモニタリングを行うための費用が行政費用として生じる可能性がある。

### 3 直接的な効果（便益）の把握

⑤ 効果の項目の把握と主要な項目の定量化は可能な限り必要

規制の導入に伴い発生する費用を正当化するために効果を把握することは必須である。定量的に記載することは最低限であるが、可能な限り、規制により「何がどの程度どうなるのか」、つまり定量的に記載することが求められる。

今般臨床研究法の特定臨床研究から除外される研究を実施しようとする者や再生医療等安全性確保法の対象となる再生医療等から除外される再生医療等を提供しようとする医療機関において、厚生労働大臣への計画の提出等の手続に係る事務的負担や認定委員会の審査料等の経済的負担の軽減など、研究の実施等に当たり生じる負担が軽減され、医薬品等の適応外使用を行う医療上必要な研究等の円滑な実施が推進される。

⑥ 可能であれば便益（金銭価値化）を把握

把握（推定）された効果について、可能な場合は金銭価値化して「便益」を把握することが望ましい。

金銭価値化することは困難。

⑦ 規制緩和の場合は、それにより削減される遵守費用額を便益として推計

規制の導入に伴い要していた遵守費用は、緩和により消滅又は低減されると思われるが、これは緩和によりもたらされる結果（効果）であることから、緩和により削減される遵守費用額は便益として推計する必要がある。また、緩和の場合、規制が導入され事実が発生して

いることから、費用については定性的ではなく金銭価値化しての把握が強く求められている。

金銭価値化することは困難。

#### 4 副次的な影響及び波及的な影響の把握

- ⑧ 当該規制による負の影響も含めた「副次的な影響及び波及的な影響」を把握することが必要

副次的な影響及び波及的な影響を把握し、記載する。

※ 波及的な影響のうち競争状況への影響については、「競争評価チェックリスト」の結果を活用して把握する。

副次的な影響及び波及的な影響は想定されない。

#### 5 費用と効果（便益）の関係

- ⑨ 明らかとなった費用と効果（便益）の関係を分析し、効果（便益）が費用を正当化できるか検証

上記2～4を踏まえ、費用と効果（便益）の関係を分析し、記載する。分析方法は以下のとおり。

- ① 効果（便益）が複数案間でほぼ同一と予測される場合や、明らかに効果（便益）の方が費用より大きい場合等に、効果（便益）の詳細な分析を行わず、費用の大きさ及び負担先を中心に分析する費用分析
- ② 一定の定量化された効果を達成するために必要な費用を推計して、費用と効果の関係を分析する費用効果分析
- ③ 金銭価値化した費用と便益を推計して、費用と便益の関係を分析する費用便益分析

本措置により、当該規制緩和に伴う影響についてモニタリングを行うための費用が追加の行政費用として生じる可能性がある一方、追加の遵守費用が生じることが想定されないことや、研究の実施等に当たり生じる負担が軽減され、医薬品等の適応外使用を行う医療上必要な研究等の円滑な実施が推進されることの便益（効果）の方が、費用を大きく上回るものと考えられることから、本措置は適当である。

#### 6 代替案との比較

- ⑩ 代替案は規制のオプション比較  
であり、各規制案を費用・効果（便益）の観点から  
比較考量し、採用案の妥当性を説明

代替案とは、「非規制手段」や現状を指すものではなく、規制内容のオプション（度合い）を差し、そのオプションとの比較により導入しようとする規制案の妥当性を説明する。

厚生労働大臣への計画の提出等の手続に係る事務的負担や認定委員会の審査料等の経済的負担の軽減など、研究の実施等に当たり生じる負担の軽減を通じて、医薬品等の適応外使用を行う医療上必要な研究等の円滑な実施を推進するという今般の規制緩和の目的に鑑みると、当該目的を達成し得る代替案は想定されない。

## 7 その他の関連事項

- ⑪ 評価の活用状況等の明記

規制の検討段階やコンサルテーション段階で、事前評価を実施し、審議会や利害関係者からの情報収集などで当該評価を利用した場合は、その内容や結果について記載する。また、評価に用いたデータや文献等に関する情報について記載する。

本措置は、厚生科学審議会臨床研究部会において令和4年6月3日にとりまとめられた「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」を踏まえたものである。

## 8 事後評価の実施時期等

- ⑫ 事後評価の実施時期の明記

事後評価については、規制導入から一定期間経過後に、行われることが望ましい。導入した規制について、費用、効果（便益）及び間接的な影響の面から検証する時期を事前評価の時点で明確にしておくことが望ましい。

なお、実施時期については、規制改革実施計画（平成26年6月24日閣議決定）を踏まえることとする。

本法案の施行後5年を目途として、本法案による改正後のそれぞれの法律の施行の状況等を勘案し、必要があると認めるときは、本法案による改正後のそれぞれの法律の規定について検討を加え、その結果に基づいて必要な措置を講ずるものとしている。

- ⑬ 事後評価の際、費用、効果（便益）及び間接的な影響を把握するための指標等をあら

かじめ明確にする。

事後評価の際、どのように費用、効果（便益）及び間接的な影響を把握するのか、その把握に当たって必要となる指標を事前評価の時点で明確にしておくことが望ましい。規制内容によっては、事後評価までの間、モニタリングを行い、その結果を基に事後評価を行うことが必要となるものもあることに留意が必要

指標の設定は困難。