

令和7年7月9日

各認定臨床研究審査委員会 御中

厚生労働省医政局研究開発政策課

「未承認又は適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究における保険診療について」
について

平素より厚生労働行政に御協力いただき、厚く御礼申し上げます。

今般、未承認・適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究を実施する際の注意事項として、別添のとおり「未承認又は適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究における保険診療について」（令和7年7月9日付け 厚生労働省医政局研究開発政策課、保険局医療課）周知文を発出致しました。

下記の通り、今後の対応について御了知の上、適切な御活用をお願いいたします。

記

1. 「未承認又は適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究における保険診療について」

別添の「未承認又は適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究における保険診療について」をご確認の上、未承認又は適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究における費用のあり方について、再度ご確認ください。

2. 特定臨床研究の新規申請及び定期報告時の対応について

臨床研究法施行規則第40条第1項第9号の規定により、統括管理者が認定臨床研究審査委員会に意見を求める際には、「認定臨床研究審査委員会が求める書類」の提出が必要となります。

このため、特定臨床研究の新規申請のみならず、定期報告際にも同様に別紙のチェックシートの提出を求め、特定臨床研究の費用に関する適切な運用に関してご確認ください。

3. チェックシートの確認について

なお、別紙のチェックシートにおいて「③ 上記のいずれにも該当しません」にチェックがあり、適切な対応方針等に迷う場合には、厚生労働省医政局研究開発政策課に御相談ください。

未承認又は適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究における保険診療について

令和 7 年 7 月 9 日
医政局研究開発政策課
保 険 局 医 療 課

特定臨床研究立案の際の注意事項

未承認・適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究を実施する際には、全て保険外診療として行うか、先進医療等の保険外併用療養費制度の枠組みで行っていただく必要がある。

保険外併用療養費制度とは、原則として禁止されている「混合診療」の例外として、保険適用されていない医療と保険診療の併用を認めるものである。保険外併用療養費制度には、評価療養、患者申出療養と選定療養があり、評価療養の中には、先進医療や治験に係る診療などが含まれる。詳細については、下記のURLをご確認の上、準備中の臨床研究の一部を保険診療として行う際には、必ず先進医療等、保険外併用療養費制度の枠組みで行うよう、徹底いただきたい。

- ・ 保険診療と保険外診療の併用について

<https://www.mhlw.go.jp/topics/bukyoku/isei/sensiniryo/heiyou.html>

- ・ 先進医療について

https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryoku/iryohoken/sensiniryo/index.html

- ・ 保険外併用療養費制度及び患者申出療養制度について：

<https://www.mhlw.go.jp/moushideryouyou/professional.html>

原則として禁止されている「混合診療」や、その例外としての保険外併用療養費制度については、下記もご参照ください。

1. 我が国の医療保険制度の基本的考え方

国民皆保険のもとで、必要な時に必要な医療にアクセスできることが重要であり、こうした考え方のもと、有効性・安全性が確認された治療については、保険適用をすることとしている。

2. 特殊な療法等の禁止とその例外について

保険適用されていない医療と保険診療の併用を認めると、

- ・ 先進的な医療が保険外にとどまり続け、患者の負担が不当に拡大するおそれがあることや、
- ・ 科学的根拠のない特殊な医療の実施を助長するおそれがあることから、

保険適用されていない医療と保険診療との併用（いわゆる「混合診療」）は原則として認められておらず、実施した場合には保険適用されている医療も含めて、費用は全額自己負担となる。

ただし、この例外として、保険適用されていない医療のうち、保険外併用療養費制度（評価療養、患者申出療養、選定療養がある）に位置づけられたものは、患者の選択の幅を広げる観点から、保険診療との併用を可能としている。

保険医療機関及び保険医療養担当規則（昭和 32 年厚生省令第 15 号。以下「療担規則」という。）において、保険医が特殊な療法又は新しい療法等を行うこと及び所定の医薬品以外の薬物を患者に処方等することが禁止されている（療担規則第 18 条・第 19 条）。また、保険医療機関が患者から一部負担金を超える支払を受けることは原則として禁止されている。ただし、例外的に、評価療養等の要件に該当するものとして行われた場合にのみ、上記の各禁止が解除される。

例)

- ① 未承認薬を用いた特定臨床研究を先進医療として行う。→○
- ② 未承認薬を用いた特定臨床研究に係る費用をすべて研究費または患者負担で行った。→○
- ③ 未承認薬を用いた特定臨床研究の中で、入院などは保険診療として行う予定だが、認定臨床研究審査委員会で認められたため、保険外併用療養費制度の枠組みを用いずに行った。→×混合診療に該当する。

未承認又は適応外使用の医薬品等※を用いる特定臨床研究の
研究対象者負担の費用に関するチェックシート

(※ 医薬品等：医薬品、医療機器、再生医療等製品)

記入年月日： 年 月 日

このチェックシートは、未承認又は適応外使用の医薬品等を用いる特定臨床研究の研究対象者が負担する費用に関して確認するためのものです。

特定臨床研究の新規申請及び定期報告時に、以下の項目を記載し（□のうち、当てはまるものに✓）、認定臨床研究審査委員会に提出してください。

（特定臨床研究における研究対象者負担の費用については、「未承認又は適応外使用の医薬品等を用いる特定臨床研究における保険診療について」をご参照ください。）

研究名称：
JRCT 番号（発行済みの場合）：
統括管理者の氏名又は名称：
当該特定臨床研究は、 ☐ ① 全て保険外診療（全額研究費又は患者負担）で実施します ☐ ② 保険外併用療養費制度（評価療養（先進医療等）、患者申出療養又は選定療養）で実施します ☐ ③ 上記のいずれにも該当しません
該当しない場合は、研究対象者の費用負担について記載してください。