

オピニオン

公知申請による未承認薬や薬剤の 適応外効能の保険適用

伊東重光*

保険診療は契約診療であり、給付の対象となる診療の範囲は健康保険法等で定められている。薬事承認された薬剤を、承認された効能効果を得るため承認された方法で用いた場合に限り、保険給付されるのが原則である。

しかし、医学の進歩は著しく、治療法の進歩に伴って用いられる薬剤も多様化し、多種の薬剤が使用されるようになった。多剤併用時には他剤の影響を除外する必要があるなど治療が困難な場合もあって以前は保険適用が得られていないことも多く、特に小児では家族の同意が得られにくい傾向があって保険適用となっていないものが少なくなかった。

実際、「ボンゾール[®]」や「ソル・メドロール[®]」など保険適用の範囲外の症例に使用されているものも多い。現場の医師は諸外国の論文を読んで諸外国で普通に使われているにもかかわらず、わが国では保険適用でない薬剤を投与する必要があることも多く、こうした場合に審査会で査定される可能性があることを承知の上で使用することも少なくなかった。こうした事情を承知している一部の審査委員は独自に審査を緩くして対応すること

もあったが、審査会で容認されていても厚生局の個別指導で不適切として指摘されれば、費用の返還が求められることになる。そのため、経営上の観点から管理者から注意されることも稀でなく、筆者も院長から「小児科はもうからんからやめよ」とまでいわれたことがある。こうした事態の対策として厚生労働省は2021年に「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」を設置し、薬事法未承認薬や保険適用が承認されていない効能についても、欧米独仏で広く使われていて有用性が公知で必要度の高い薬剤について、学会や患者団体に公知申請の公募を行い、医療上の必要性と公知申請の事前評価を行い、この評価終了時点で薬事承認を待たずに保険適用とすることにした。

この結果、実質的に多数の薬剤の保険の適用疾患が大幅に拡大された。ルール遵守は当然重要であるが、こうした運用が、なぜもっと早くできなかったかの疑問もある。

利益相反

本論文に関して、筆者が開示すべき利益相反はない。

* Shigemitsu Ito : 全国健康保険協会愛知支部