

2025年8月31日

会員 各位

公益社団法人日本小児科学会

臨床研究法の改正に伴う、特定臨床研究における適応外医薬品の取扱い、  
特に55年通知で認められた医薬品について

2025年5月31日施行の臨床研究法改正に伴い、特定臨床研究の対象が変更されております。この変更を踏まえて、個別の研究が臨床研究に該当するかの判断にあたっての注意点と、55年通知で保険上使用を認められている医薬品の取扱いについてお示しします。

いわゆる「55年通知」は、昭和55年に当時の厚生省（現厚生労働省）保険局長より、全国の社会保険診療報酬支払基金理事長宛に発出された通知のことです。有効性・安全性が確立された医薬品の一部に対し、今までの経験や薬理作用を踏まえ、適応外使用の医薬品であっても保険給付の対象とすることを認めるものです。この55年通知で保険適用が認められた薬剤は、[社会保険診療報酬支払基金のホームページの審査情報提供事例（薬剤）](#)から検索することができます。

## 臨床研究法の改正について

さて、1)「[臨床研究法の改正について](#)」の13ページから16ページをご覧ください。  
14ページにあるように、以下については特定臨床研究の対象からの除外となります。

- ① 医学医術に関する学術団体が、適切な診療等の実施に係る指針の公表その他これに類する方法によりその実施を推奨するもの  
又は
- ② 医薬品の効能・効果が薬事承認の範囲内であり、研究対象者に対して有効かつ安全であると判断された用法・用量である  
ただし、国内における診療の実績が乏しい又は保健衛生上の危害が発生している用法等は除く。

ここで注意が必要なのは、以下になります。

「その他これに類する方法によりその実施を推奨するもの」とは、学会のウェブサイト又は厚生労働科学研究報告書により公表されているものであって、診療ガイドライン策定手順と同等の有効性及び安全性のエビデンスが収集され、レビューにより推奨されることが明確である用法等、使用方法等のうち、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、使用方法等による場合と同程度以下と判断した用法等、使用方法等を根拠論文と共に分かりやすく示されているものとする。

日本小児科学会からは臨床研究法のパブリックコメントの際に、55年通知で認められた薬は特定臨床研究の対象としない旨の提案をしましたが、厚生労働省の担当課に問い合わせをした結果も踏まえて、以下のように判断しております。

「55年通知で認められている医薬品は、ガイドラインで推奨されているものから、古い薬で教科書等に記載されて一般的に使われているがガイドラインのない領域の薬までさまざまである。このため55年通知の対象「全て」が、特定臨床研究外とは必ずしも言えない可能性が厚生労働省から示されている。55年通知で認められているからといって全て承認品と同等に安全とは必ずしもいえないとの見解である。施行通知によると、学会ガイドラインに準じるものは、レビューボードがあり、個別にエビデンスを評価した上で、学会が推奨すると公表した使い方となる。従って、希少疾病や古い疾患などガイドラインがない場合においても、個別の根拠論文等のレビューなどに基づく推奨があれば問題なく、根拠論文・データは、介入試験ではなく、観察研究でも十分な場合もあるが、個別に評価し、見解を示す必要がある。

従いまして、例え55年通知で認められていても、ガイドラインでの推奨のないような医薬品（希少難病ではガイドラインのない疾患も多い）では、学会（日本小児科学会もしくは分科会）ホームページ等で、学会としての推奨を明示する必要があります。各分科会の先生方におかれましては、これまでに55年通知で認められた医薬品を精査頂き、必要と判断された場合は、関連の分科会にて推奨を明示される、もしくは当学会の55年通知に係る社会保険委員会・薬事委員会合同作業部会にご相談いただき、作業部会にて修正・承認された内容をしかるべき手続きの後に学会ホームページにて公開するために、作業を行っていたくよう推奨いたします。

「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

尚、2)「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」(課長通知などの公式通知ではない)が全国の認定臨床研究審査委員会に発出され、現在の法制上での取扱いが示されています。しかし、適応外使用薬の多い小児科領域では、保険外診療や保険外併用療養費制度の枠組みで行っていない臨床研究も少なからずあるかと思えます。厚生労働省もこの事実は把握しており、先進医療Bの制度見直しを含めて、今後対応を進められると聞いております。正式に問い合わせをすれば、この通知の通り

の内容の回答が返ってまいりますが、個別の研究が特定臨床研究に該当するか否かは各臨床研究審査委員会の判断になりますため、この現状を踏まえて、それぞれの担当の事務局とも相談しながら対応をお考えいただきますと幸いです。

- 1) 臨床研究法の改正について. 厚生労働省医政局研究開発政策課.
- 2) 「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. 厚生労働省医政局研究開発政策課. 令和7年7月9日付.