

# 保険医療材料制度の見直しの検討

論点① イノベーションの評価  
(その1)

平成29年4月12日

## 論点① イノベーションの評価

1. 使用実績を踏まえた評価が必要な製品について
2. 先駆け審査指定制度に指定された製品について
3. ニーズ選定されたが開発に至らない製品について

## 論点① イノベーションの評価

1. 使用実績を踏まえた評価が必要な製品について
2. 先駆け審査指定制度に指定された製品について
3. ニーズ選定されたが開発に至らない製品について

## 具体事例① 吸収性冠動脈ステント (販売名「Absorb GT1 生体吸収性スキャフォールドシステム」)



- 冠動脈病変の治療に使用する、薬剤(エベロリムス)溶出型の生体吸収性スキャフォールド及びデリバリーシステム。
- 従来の金属製ステントは遺残するが、本品は約3年で生分解し消失することが特徴。

### 国内臨床成績

XIENCE (薬剤(エベロリムス)溶出型冠動脈用金属製ステント)との比較試験が行われ、主要評価項目(12ヶ月における標的病変不全(TLF))において非劣性が示された。

	本品群 (N=266)	XIENCE 群 (N=134)	両群間の差 (片側 95% 信頼区間上限値)	非劣性 p値
主要評価項目 12カ月時点のTLF 発生率*	4.2% (11/265)	3.8% (5/133)	0.39% (3.95%)	<0.0001

\*TLF: 心臓死、虚血性標的病変血行再建、標的血管心筋梗塞から成る複合評価項目

- 臨床試験においては、1年間の観察期間で既収載品に非劣性であることが示された。
- 「生分解し、消失する」という本品のメリットはさらに長期経過後にあることが想定される。
  - ・長期経過後のイベントの低減
  - ・再治療時の治療選択肢の温存 等

## 具体事例② 生体弁

(販売名「カーペンターエドワーズ牛心のう膜僧帽弁プラスTFX」)

- 僧帽弁置換術に使用する、ウシ心のう膜生体弁
- 生体弁の課題は石灰化による弁機能不全、再手術をいかに防ぐか
- 従来品に対してさらに生体組織に熱処理を加えることによる石灰化抑制処理



- 従来品の20年長期臨床成績(埋植1984年から)が2014年に発表されたところ
- 本品(2011年保険収載)の長期臨床成績を得るには、同様の時間が必要
- 石灰化抑制処理の改善により、従来品との臨床上的効果の差を示すにはさらなる観察期間が必要

○「石灰化抑制」という本品のメリットは長期経過後の成績で示されることが想定される

- ・再弁置換のための再手術回避
- ・血行動態の長期的な維持

## 使用実績を踏まえた評価が必要な製品に対する対応について

- 保険医療材料には、長期に体内に埋植するものや、革新性の高い技術を伴うもの等があり、薬事承認を得るまでの評価において最終的な評価項目を検証することが困難な場合がある。
- エビデンスを得るのに時間がかかり、価格に反映させることが困難。



### 【論点】

- 長期に体内に埋植する製品等、使用実績を踏まえて長期経過後に再評価できる仕組みを検討してはどうか。
- 例えば、製品導入時には評価できなかった部分について、使用実績を踏まえて、保険収載後に再度新機能区分の申請ができる運用について検討してはどうか。

## 論点① イノベーションの評価

1. 使用実績を踏まえた評価が必要な製品について
2. 先駆け審査指定制度に指定された製品について
3. ニーズ選定されたが開発に至らない製品について

# 先駆け審査指定制度

世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本で早期に実用化すべく、世界に先駆けて開発され、早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる医薬品等を指定し、各種支援による早期の実用化（例えば、医薬品・医療機器では通常の半分の6ヶ月間で承認）を目指す「先駆け審査指定制度」を平成27年4月1日に創設。

## 指定基準

※医薬品の例

1. **治療薬の画期性**: 原則として、既承認薬と異なる作用機序であること(既承認薬と同じ作用機序であっても開発対象とする疾患に適応するのは初めてであるものを含む。)
2. **対象疾患の重篤性**: 生命に重大な影響がある重篤な疾患又は根治療法がなく社会生活が困難な状態が継続している疾患であること。
3. **対象疾患に係る極めて高い有効性**: 既承認薬が存在しない又は既承認薬に比べて有効性の大幅な改善が期待できること。
4. **世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思**(同時申請も含む。)

## 指定制度の内容

 : 承認取得までの期間の短縮に関するもの

 : その他開発促進に関する取組

### ①優先相談

[ 2か月 → 1か月 ]

- 相談者との事前のやりとりを迅速に行い、資料提出から治験相談までの期間を短縮。

### ②事前評価の充実

[ 実質的な審査の前倒し ]

- 事前評価を充実させ、英語資料の提出も認める。

### ③優先審査

[ 12か月 → 6か月 ]

- 総審査期間の目標を、6か月に。  
※場合によっては第Ⅲ相試験の結果の承認申請後の提出を認め、開発から承認までの期間を短縮

### ④審査パートナー制度

[ PMDA版コンシェルジュ ]

- 審査、安全対策、品質管理、信頼性保証等承認までに必要な工程の総括管理を行う管理職をコンシェルジュとして設置。

### ⑤製造販売後の安全対策充実

[ 再審査期間の延長 ]

- 通常、新有効成分含有医薬品の再審査期間が8年であるところを、再審査期間を延長し、最長10年までの範囲  
8 内で設定する。



# 医療機器、再生医療等製品の先駆け審査指定品目（第一回）

■ **開発段階の5品目を先駆け審査指定制度の対象として、平成28年2月10日に指定**

■ **今後承認申請された場合、審査目標期間を大幅に短縮（医療機器で12か月→6か月）**

No.	品目	概要	申請者
機器①	<b>チタンブリッジ</b> (チタン製の蝶番型プレート)	<b>内転型痙攣性発声障害</b> (発声時に声帯が過剰に閉鎖することで声に障害) ・アカデミア発シーズ(京大・一色名誉教授。臨床試験は熊本大学・讃岐講師中心に実施。地方の中小企業(若吉製作所、福井県)が製造。)	ノーベルファーマ(株)
機器②	<b>癒着防止吸収性バリア</b> (トレハロース水溶液)	<b>腹腔内に注入し、臓器の癒着を低減</b> ・アカデミア発シーズ(東大工学系研究科・鄭教授ら) ※平成29年3月、開発中止により指定取消し。	(株)大塚製薬工場
再生①	<b>STR01</b> (自家骨髄由来幹細胞)	<b>脊髄損傷に伴う神経症候・機能障害の改善</b> ・アカデミア発シーズ(札幌医科大・本望教授)	ニプロ(株)
再生②	<b>G47Δ</b> (遺伝子組換えヘルペスウイルス)	<b>悪性脳腫瘍(神経膠腫)</b> ・アカデミア発シーズ(東大医科研・藤堂教授)	第一三共(株)
再生③	<b>自家心臓内幹細胞</b>	<b>小児先天性心疾患の心機能改善</b> ・アカデミア発シーズ(岡山大再生医療部・王教授)	(株)日本再生医療



## Press Release

平成28年2月10日  
【照会先】  
医薬・生活衛生局  
医療機器・再生医療等製品担当参事官室  
参事官 磯部 総一郎 (内線2911)  
係長 荒川 裕司 (内線2916)  
(代表電話) 03(5253)1111  
(直通電話) 03(3595)2419

報道関係者 各位

「先駆け審査指定制度」に基づき、医療機器及び再生医療等製品を指定

～日本発の画期的なシーズの開発を促進～

厚生労働省は、昨年12月までに指定申請があった医療機器6品目、再生医療等製品13品目、体外診断用医薬品2品目について評価を行い、本日付けで別紙の5品目を「先駆け審査指定制度」の対象品目として指定しました。

# 医療機器、体外診断用医薬品、 再生医療等製品の先駆け審査指定品目(第二回)

- 以下、開発段階の7品目を先駆け審査指定制度の対象として、平成29年2月28日に指定
- 今後承認申請された場合、審査目標期間を大幅に短縮(医療機器で12か月→6か月)

No.	品目	予定される性能・効果	申請者	備考
機器 ①	<b>人工気管</b> (ポリプロピレンメッシュとコラーゲンスポンジから成る人工気管)	気管欠損部位に留置し、気管の構造を保ち粘膜再建の足場となり、気管欠損部を狭窄なく代替する。	第一医科(株)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <u>アカデミア発シーズ</u> (京大・中村准教授)</li> <li>• <u>厚労省の研究費、経産省のAMED研究費等で支援</u></li> </ul>
機器 ②	<b>ホウ素中性子捕捉療法(BNCT)システム</b> (ホウ素化合物を腫瘍組織に集積させた後、中性子線を照射して腫瘍細胞を破壊する。)	ホウ素薬剤と中性子の核反応を利用し、以下に示す腫瘍細胞を破壊する。 <ul style="list-style-type: none"> <li>・再発悪性神経膠腫</li> <li>・切除不能な局所再発頭頸部癌並びに局所進行頭頸部癌(非扁平上皮癌)</li> </ul>	住友重機械工業(株)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <u>アカデミア発シーズ</u> (京大)</li> <li>• <u>厚労省、経産省、JSTの研究費等で支援</u></li> </ul>
機器 ③	<b>UT-Heart</b> (心臓シミュレーションプログラム)	CTデータ等を用いて、コンピュータ上で患者個別の心臓を擬似的に再現し、心臓再同期療法の効果予測の判断を補助する。	(株)UT-Heart研究所 富士フィルム(株)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <u>アカデミア発シーズ</u> (東大・久田名誉教授、杉浦特任教授)</li> <li>• <u>「京」の優先課題選定、JST、内閣府FIRSTの研究費等で支援</u></li> </ul>

No.	品目	予定される性能・効果	申請者	備考
体診・機器①	<b>がん関連遺伝子パネル検査システム</b> (体外診断用医薬品、DNAシーケンサー等から構成される、遺伝子検査システム)	固形がん患者の腫瘍組織中のDNAにおける遺伝子の異常(変異、増幅又は融合)を一括検出することで、がん患者の遺伝子異常プロファイリングを行い、診療方針決定の補助に用いる。	シスメックス(株)	<ul style="list-style-type: none"> <li>臨床現場開発品 (国立がん研究センター)</li> <li>厚労省のAMED研究費等で支援</li> </ul>
再生①	<b>口腔粘膜由来食道細胞シート</b> (患者自身の口腔粘膜から採取した上皮細胞から培養した細胞シート)	食道がん手術後の広範囲創傷部位に移植することにより、術後狭窄の抑制効果および再上皮化までの日数短縮を目的とする。	(株)セルシード	<ul style="list-style-type: none"> <li>アカデミア発シース (女子医大・岡野教授)</li> <li>JST、内閣府FIRSTの研究費等で支援</li> </ul>
再生②	<b>非自己iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞</b>	パーキンソン病患者に細胞を移植し、細胞から分泌・補充されるドパミンによりパーキンソン病の神経症候の改善を行う。	大日本住友製薬(株)	<ul style="list-style-type: none"> <li>アカデミア発シース (京大CiRA・高橋教授)</li> <li>厚労省、文科省、JSTの研究費、経産省のAMED研究費等で支援</li> </ul>
再生③	<b>ヒト(同種)成人骨髄由来多能性前駆細胞</b>	ドナーの骨髄から採取し増殖させた成人接着性幹細胞を投与することにより、急性期(発症後18~36時間)の脳梗塞患者の治療を行う	(株)ヘリオス	<ul style="list-style-type: none"> <li>海外において米国アサシス社が開発を行っているが、世界に先駆けて日本で承認を取得するべく、(株)ヘリオスが国内で臨床試験を実施中。</li> </ul>

## 先駆け審査指定制度に指定された製品について

- 新規の原理を有し、世界に先駆けて日本で早期開発し、承認を取得するものとして「先駆け審査指定」された医療機器（先駆け審査指定された再生医療等製品のうち、医療機器の例により算定されるものを含む）について、特定保険医療材料として評価する仕組みがない。
- 先駆け指定される製品の開発企業にはベンチャー企業もあり、インセンティブが必要との指摘がある。
- 医薬品においては、「先駆け審査指定制度加算」が設定されている。



### 【論点】

- 「先駆け審査指定」された医療機器（先駆け審査指定された再生医療等製品のうち、医療機器の例により算定されるものを含む）について、評価のあり方を検討してはどうか。

## 論点① イノベーションの評価

1. 使用実績を踏まえた評価が必要な製品について
2. 先駆け審査指定制度に指定された製品について
3. ニーズ選定されたが開発に至らない製品について

# 医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討の進め方

- 医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会（以下、ニーズ検討会という。）では、国内で未承認又は適応外の医療機器及び体外診断用医薬品について、我が国の医療ニーズの高いものを選定し、企業に対する開発要請を行うことで、これらの迅速な医療現場への導入を促進している。

## 医療ニーズの高い早期導入を要望する医療機器等に関する**要望書の募集**※

【学会等】  
※平成18年から実施

↓ 選定基準に該当する医療機器等について学会等から要望書を募集。

### 医療上の必要性を評価

ワーキンググループ  
(診療科ごとに設置)

医療ニーズの高い医療機器等の  
早期導入に関する検討会

開発企業の募集  
・開発要請

○検討会は、厚生労働省から定期的な報告を受けて、**早期の承認申請に向けて**、  
・早期導入に向けた**助言**(学会がドラインの必要性等)  
・早期導入の妥当性に関する**意見**  
・市販後の**安全確保策に関する助言** 等を行う。  
○承認申請後についても、検討会は、審査等の進捗状況の報告を受け、**必要な助言**等を行う。

企業による承認申請

PMDAによる優先審査等

厚生労働大臣の承認

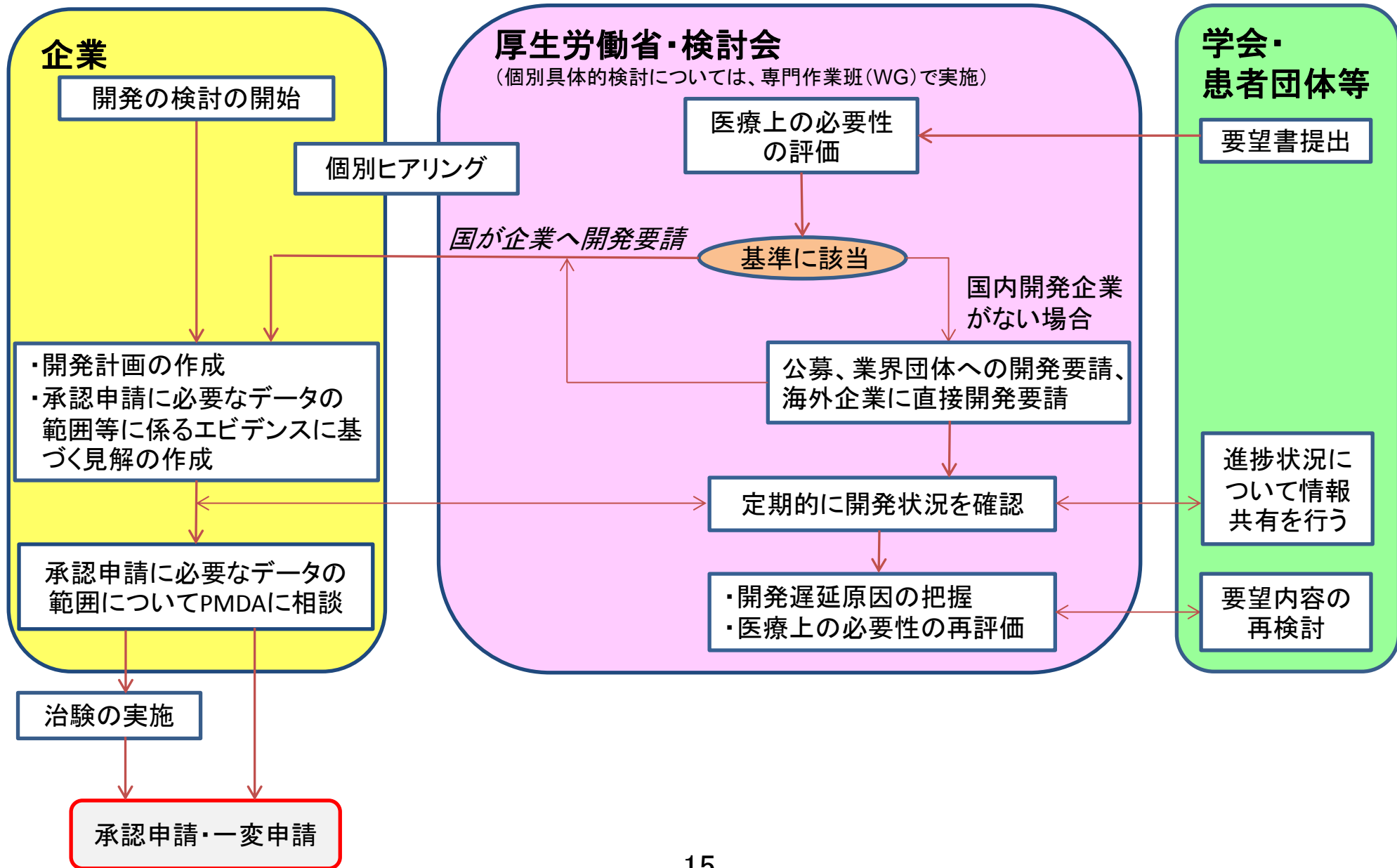
市販後の安全確保策

【選定基準】 以下のa)～c)のいずれの条件も満たす医療機器等とする。

- a) 学会等からの要望があるもの
  - b) 欧米等において承認されているもの、又は一定の要件※を満たす欧米未承認医療機器
- ※以下の①～③のいずれかの要件を満たす欧米未承認医療機器
- ①優れた試験成績が論文等で公表されているもの ②医師主導治験を実施中または終了したもの
  - ③先進医療Bで一定の実績があるもの
- c) 医療上特に必要性が高いと認められるもの
- (1)適応疾病の重篤性 (2)医療上の有用性

学会の協力等  
・市販後臨床試験等への協力  
・適正使用の確保  
(施設要件、研修等)

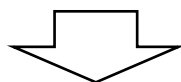
# 医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討の進め方





### ニーズ検討会からの開発要請及び公募について

- ニーズ検討会では、国内で未承認又は適応外の医療機器及び体外診断用医薬品について、我が国の医療ニーズの高いものを選定し、企業に対する開発要請を行うことで、これらの迅速な医療現場への導入を促進している。
- さらに、国内開発企業がない場合等には、開発企業を公募することとしている。
- しかし、開発要請や公募が行われても一定期間以上開発されない製品が存在しており、医療ニーズの高い医療機器の開発をさらに推進していく必要がある。



### 【平成28年度改定における対応】

- ✓ 公募に応じて開発された一定の要件を満たす新規医療材料、及び当該企業から次に保険適用希望申請される新規医療材料について、機能区分の特例の対象とした。
- ✓ 開発要請又は公募に応じて開発された一定の要件を満たす品目については、価格調整の比較水準を1.5倍に緩和、及び外国平均価格比が著しく低い場合に原価計算方式にて算定できる基準を0.8倍とすることとした。



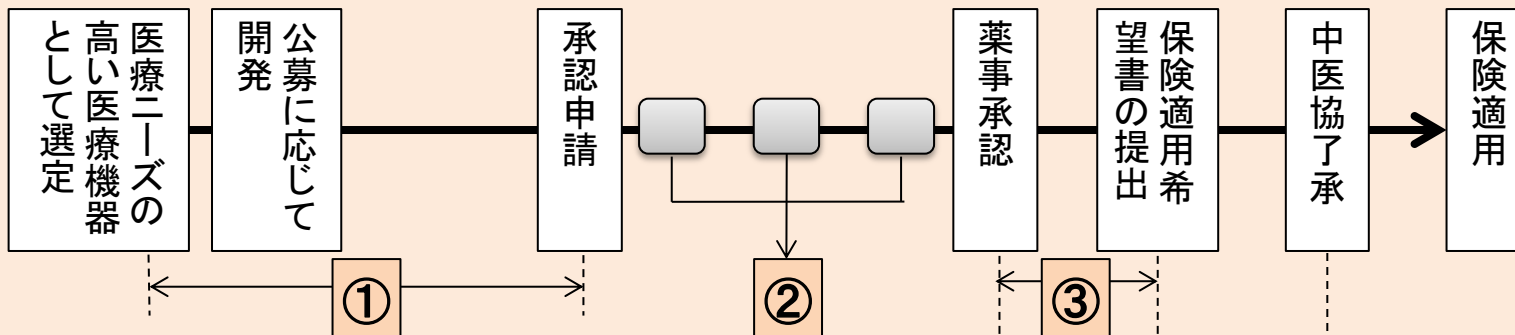
## 医療ニーズの高い医療機器の評価

- ニーズ検討会において選定された品目について、デバイスラグを解消する観点から、以下の評価を行う。
- ① 機能区分の特例の対象への追加について  
以下のいずれかを満たす品目であって、決定区分C1(新機能)又はC2(新機能・新技術)と決定された特定保険医療材料を、機能区分の特例の対象に加える。
    - i) ニーズ検討会における検討結果を踏まえ厚生労働省が行った公募に応じて開発されたもの(ニーズ検討会に係る評価を行う場合の要件を満たすものに限る。)
    - ii) i)に該当する医療機器について中央社会保険医療協議会総会で保険適用の了承を得た製造販売業者から、当該公募品目の次に保険適用希望書が提出されたもの(別に定める要件を満たすものに限る。)
  - ② 価格調整の比較水準の緩和  
ニーズ検討会における検討結果を踏まえ厚生労働省が行った開発要請又は公募に応じて開発されたもの(ニーズ検討会に係る評価を行う場合の要件を満たすものに限る。)の場合は、新規収載品に係る外国価格調整の比較水準を、「外国価格の相加平均の1.5倍を上回る場合に1.5倍の価格」とする。
  - ③ 外国平均価格比が著しく低い製品への対応の精緻化  
ニーズ検討会における検討結果を踏まえ厚生労働省が行った開発要請又は公募に応じて開発されたもの(ニーズ検討会に係る評価を行う場合の要件を満たすものに限る。)について、当該品目の属する新規機能区分の基準材料価格が外国平均価格の0.8倍以下となる場合は、外国平均価格を上限として原価計算方式での算定を申請できることとする。

# ニーズ検討会に係る評価を行う場合の要件

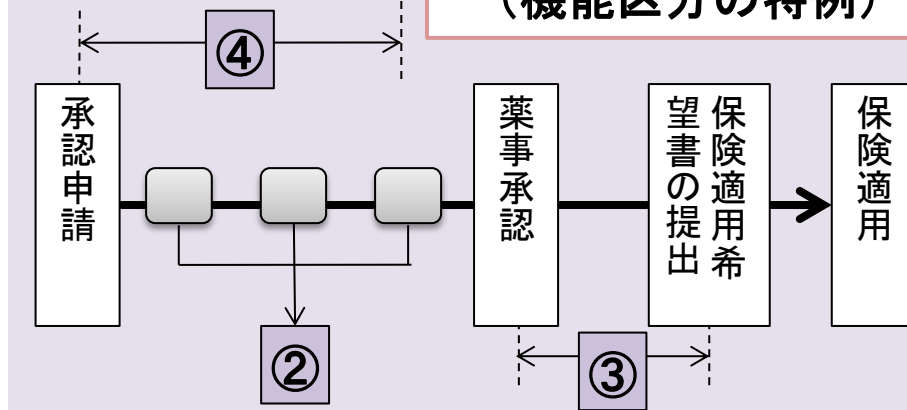
平成28年度診療報酬  
改定説明資料より

## ニーズ検討会に係る評価を行う場合の要件



期間	要件	
①医療ニーズの高い医療機器として選定されてから薬事承認申請までの期間	3年以内	
②審査期間 うち申請者側の期間	新医療機器の優先品目 改良医療機器の臨床ありの場合	120日以内
	新医療機器の通常品目の場合	210日以内
③承認から希望書提出までの期間	120日以内	
④中医協了承までの間に申請された品目であること		

## ニーズ選定品目の次の品目に係る要件 (機能区分の特例)



# これまでの選定品目の現状

- 平成29年1月31日までに127品目が選定された。
- 開発要請や公募を行ったもののうち、半数以上は開発が促進され、承認施行済みとなっている一方で、いまだ開発に至っていないものもある。

選定品目数(総数)	状況	品目数
127品目	承認施行済み	64品目
	承認審査中	3品目
	開発中止	1品目
	要望取り下げ	22品目
いまだ開発に至っていないもの	開発要請中	33品目
	公募中	4品目

(平成29年1月31日まで)

議題：開発要請中や公募中の品目がかなり残っている。これを解消する方策を考えていただきたい。

主な意見：一番の原因は企業のインセンティブがないこと。品目のニーズや有用性をいくら説明しても最終的には企業が引き受けるかどうかにかかっている。

(平成27年3月13日医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会第24回ワーキンググループ)

# ニーズ選定されてから5年以上経過した公募中、 開発要請中の品目について

(平成29年1月31日まで)

ニーズ選定日	現状	医療機器等の名称	対象疾患及び使用目的等	企業名	品目名
H20.3.18	承認申請検討中	顎関節人工骨	顎関節症	株式会社メディカルユアンドエイ	TMJ Joint Replacement System
H20.7.24	申請企業公募中	横隔神経ペースメーカ	先天性中枢性低換気症候群、高位頸椎損傷等による呼吸障害などの中枢性呼吸障害	Avery Lab,Inc	Implanted Breathing Pacemaker system
H20.7.24	承認申請検討中	血管血栓用ビーズ	肝臓癌・子宮筋腫及びその他の富血行性腫瘍、動静脈奇形等	ボストン・サイエンティフィック ジャパン株式会社	Embozene Microspheres
H21.10.23	承認申請検討中	末梢血管用カバードステント	腸骨動脈、浅大腿動脈における動脈瘤や外傷性或いは医原性血管損傷に対する血管内治療	日本ゴア株式会社	ゴアバイアパーステントグラフトシステム
H21.10.23	申請企業公募中	唾液腺内視鏡	唾石症(低侵襲的に唾石を摘出)	POLYDIAGNOST GmbH	SALIVASCOPE Flex PD-ZS-2001、 SALIVASCOPE T PD-ZS-2002
H22.9.10	承認申請準備中	完全閉鎖式血液体外循環装置	皮膚T-細胞リンパ腫 同種造血幹細胞移植のステロイド抵抗性急性及び慢性GVHD(aGVHD及びcGVHD)	ヴォーパル・テクノロジーズ株式会社	TherakosUVARXTS Photopheresis System TherakosCELLEX Photopheresis System
H23.7.7	申請企業公募中	間歇的中耳加圧装置	難治性メニエール病及び保存的療法で無効な内耳リンパ水腫による前庭症状を示す疾患(遅発性内リンパ水腫など)	Keboed	Meniett
H23.7.7	承認申請準備中	全血中の熱帯熱マリアHRP-2抗原及び全マリア抗原の検出	マリア	アーリア メディカル株式会社	Binax NOW Malaria
H23.11.2	承認申請準備中	[ <sup>11</sup> C]標識メチオニン合成装置	腫瘍(脳腫瘍、肺癌、乳癌、多発性骨髄腫、副甲状腺腺腫など)	住友重機械工業株式会社	[ <sup>11</sup> C]標識メチオニン合成装置(住友重機械工業:C-MET-100)
H23.11.2	承認申請準備中	[ <sup>18</sup> F]標識NaF合成装置	悪性骨腫瘍(原発性、転移性)	JFEエンジニアリング株式会社	[ <sup>18</sup> F]標識NaF合成装置
H23.11.2	承認申請検討中			住友重機械工業株式会社	
H23.11.2	承認申請準備中	FDG合成装置	アルツハイマー型認知症と非アルツハイマー型認知症の鑑別診断に使用する	住友重機械工業株式会社	FDG合成装置:F100、F200、F300
H23.11.2	承認申請準備中			GEヘルスケア・ジャパン株式会社	FDG合成装置:TRACERlab MX FDG
H23.11.2	承認申請検討中			株式会社CMI	FDG合成装置:Quad RX
H23.11.2	承認申請準備中			住友重機械工業株式会社	FDG合成装置:F100、F200、F300
H23.11.2	承認申請準備中	FDG合成装置	不明熱の原因病巣(熱源)を診断する	GEヘルスケア・ジャパン株式会社	FDG合成装置:TRACERlab MX FDG
H23.11.2	承認申請検討中			株式会社CMI	FDG合成装置:Quad RX

## 医療ニーズの高い医療機器(実績)

【平成28年度以降のニーズ選定品の収載実績】・・・0件

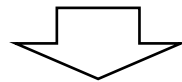
対象：平成28年4月1日～平成29年3月31日までに保険適用された新規医療材料

※この期間においてニーズ検討会において選定された品目が保険適用希望申請されていない。

開発状況	H29年1月31日時点	←	H28年3月18日時点
選定品目数	127品目	+9	118品目
承認施行済み	64品目	+1	63品目
承認審査中	3品目	+2	1品目
承認申請検討・準備中	33品目	-12	45品目
開発中止	1品目	-4	5品目
公募中	4品目	±0	4品目
ニーズ選定取り下げ (検討会にて了承済み)	22品目	+22	—

## 医療ニーズの高い医療機器

- 平成28年度診療報酬改定においては、医療ニーズの高い医療機器について開発が進むよう、ある一定の要件を満たしたものに対して対応を行った。
- 平成28年度診療報酬改定における宿題事項として、ニーズ検討会から開発要請を受けているにもかかわらず、一定期間以上開発を進めない企業に対する対応について検討することされていた。
- 平成28年度に導入された当該制度について、現時点で活用された製品はない。
- 制度が導入されてからの期間は1年間であり、開発を検討していた製品が薬事承認を取得し、保険収載されるまでには一定程度の期間が必要。



### 【論点】

- 平成28年度診療報酬改定における対応に対する実績を踏まえ、医療ニーズの高い医療機器について、どう考えるか。
- ニーズ検討会から開発要請を受けているにもかかわらず、一定期間以上開発を進めない企業について、どう考えるか。