

資料2 対象とする医療技術等の要件及び調査内容について

特定医療技術等開発推進検討会 第1回

令和8年3月16日

厚生労働省 医政局研究開発政策課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

候補技術等の国内外調査

- 対象領域は、がん、精神神経疾患、小児疾患、感染症、再生・細胞医療、遺伝子治療を想定
- 調査項目は候補技術等の概要、本邦における医療上・公衆衛生上の必要性等、市場性の有無、臨床試験の実施可能性

臨床試験の実施スキームの検討と課題抽出

- 調査の結果明らかとなった有望な特定医療技術等について有効性・安全性に関する知見を収集する実施スキーム（入手方法や実施体制、最適な社会実装方策等を含む）、実施するうえでの規制・制度上の課題を検討・整理

プロトコール素案の検討

- 現実的に実施可能で結果について科学的に評価が可能なプロトコールの策定につながる素案の検討
- 具体的な倫理委員会等への申請、治験届若しくは再生医療等提供計画の提出又は独立行政法人医薬品医療機器総合機構の治験相談に向けた情報整理

対象とする技術等の要件について

超希少疾病に対する医薬品・医療技術の開発の現状と課題とともに、医療の質の向上と医療研究開発のイノベーションへの寄与という本事業の主旨をふまえ、対象領域として、がん、精神神経疾患、小児疾患、感染症、再生・細胞医療、遺伝治療を想定している。

1. 特定医療技術等について、対象とする候補技術等の要件についてはどのように考えるべきか。ご意見をいただきたい。

対象とする技術等の要件（案）

1. 医療上・公衆衛生上の必要性

対象疾患の重篤性、医療上の有用性、公衆衛生対策上の必要性

2. 市場性

患者数希少、平時の疾病発生なしor極稀、高額製造費用、コスト妥当性

3. 医療上・公衆衛生上の位置づけ

倫理的妥当性、医療経済性

4. 革新的な技術の日本への導入に対する寄与

本邦への技術的寄与、技術の革新性

5. 国内研究実施体制・製造体制（国内の再生医療等技術シーズ）

国内発シーズ、国内での研究実施体制・製造体制の確保、技術の応用の可能性

令和8年度候補技術等の国内外調査項目（案）

2. 支援すべき候補技術等の同定のため、事業において何を調査すべきか。下記の調査項目以外に調査対象とすべき事項があれば、ご意見をいただきたい。

1) 候補技術の基礎情報

- ・ 技術名／プラットフォーム
- ・ 対象疾患
- ・ 作用機序
- ・ 技術の特性
- ・ 治療実績
- ・ 治療による寛解・根治性
- ・ 開発段階

2) 海外承認・費用・使用状況

- ・ 承認状況
- ・ 償還・価格
- ・ 使用状況

3) 国内の医療上・公衆衛生上の必要性・意義

- ・ 既存治療の有無・比較
- ・ 有効性
- ・ 安全性
- ・ 科学的妥当性
- ・ 倫理的妥当性
- ・ 医療経済性

4) 市場性

- ・ 国内患者数
- ・ 患者発生数
- ・ 代替治療
- ・ 導入障壁

5) 臨床試験

- ・ 入手可能性
- ・ 試験実施に要する経費見込み
- ・ 法・倫理規制
- ・ 実施体制

6) 個別調査：国内発シーズの再生医療等技術 （細胞医療・遺伝子治療）

- ・ 研究段階
- ・ 臨床試験実施体制以外に研究に必要な体制
- ・ 製造体制
- ・ 製造開始から投与までの所要期間
- ・ 費用見込み
- ・ 技術の応用の可能性 等