

## 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 開催要領

### 1. 目的

- (1) 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(以下「未承認医療機器等」という。)について、欧米での承認実績や論文等で公表された優れた試験成績等のエビデンスに基づいて我が国の医療ニーズの高いものを選定し、これらの迅速な医療現場への導入について検討すること。
- (2) 人道的見地から実施される治験(医療機器又は再生医療等製品に係るものに限る。以下同じ。)について、患者が治療を受けたいにもかかわらず治験に参加できない場合に、その妥当性について、各診療科の専門家により客観的な判断を行うこと。
- (3) 製造販売後の厳密なリスク管理を前提に、限られた臨床データにより早期の承認申請を認める「医療機器等条件付き承認制度」の運用に当たり厚生労働省から依頼があった場合に、当該制度の候補品目の対象疾患の重篤性及び代替治療法等の有無について客観的な判断を行うこと。
- (4) 特定用途医療機器、特定用途医薬品(体外診断用医薬品に限る。)及び特定用途再生医療等製品(以下「特定用途医療機器等」という。)、の指定に係る要望等がなされた医療機器、体外診断用医薬品及び再生医療等製品に関し、当該品目が対象とする特定の用途における医療上の需要が著しく充足されていないこと及びその用途に係る当該製品の使用価値について客観的な判断を行うこと。

### 2. 主な検討事項

医療ニーズの高い未承認医療機器等の早期導入に向けた以下の事項について検討を行う。

- ・学会等の要望の把握
- ・医療上の必要性の評価
- ・早期導入のための方策 等

また、人道的見地から実施される治験への参加の妥当性や医療機器等条件付き承認制度への該当性、特定用途医療機器等への指定基準の充足性について検討する。

### 3. 検討会の構成等

- (1) 検討会は、医学、薬学、臨床工学等の有識者により構成する。
- (2) 検討会の座長は、必要に応じ、検討に必要な有識者の参加を求めることができる。
- (3) 検討会は、個別の検討事項について具体的な評価を行うため、各疾患領域に係るワーキンググループを設けることができる。ワーキンググループの構成員は座長が指名する。
- (4) 70 歳以上の有識者は原則として検討会及びワーキンググループの構成員に選任しないこととする。

### 4. 運営等

- (1) 検討会は、年4回を目処に開催するが、必要に応じて随時開催することができる。また、人道的見地から実施される治験及び医療機器等条件付き承認制度、特定用途医療機器等の指定についての検討など、迅速な対応が必要な場合には、検討会の座長の了解を得て、メール等による書面での検討を可能とする。
- (2) 検討会は、知的財産・個人情報等に係る事項を除き、原則公開するとともに、議事録を作成し、公表する。
- (3) 検討会の庶務は、医薬・生活衛生局医療機器審査管理課で行い、必要に応じ、医政局経済課の協力を得る。

# 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

## 第1章 医療ニーズの高い医療機器等の早期導入

検討会は、以下の進め方により、我が国での医療ニーズが高く、優先して早期導入すべき医療機器等を検討する。

### 1. 学会等からの要望に関する意見募集

- ① 厚生労働省は、「検討会における対象医療機器等の選定基準」(別紙1、以下同じ。)に該当する医療上の必要性の高い医療機器等について学会等(患者団体を含む)から要望に関する意見を募集する。
- ② 学会等は、早期導入を要望する医療機器等の有効性・安全性等を示す公表論文等の根拠資料を収集し、当該資料に基づいて選定基準への該当性を要望書に記載する。なお、要望する医療機器等について新たにデータを収集する必要がある場合などの学会としての協力の可否について要望書に記載する。
- ③ 厚生労働省は、要望を提出する学会(以下「要望提出学会」という。)等に対するヒアリングを行い、当該医療機器等の有効性・安全性等を示す公表論文等の根拠資料が明らかに不足している場合は、要望書として受理せず、資料不十分として返戻とする。
- ④ 患者団体から要望があった場合は、要望書の作成やヒアリングの対応等について関連する学会に協力を依頼する。
- ⑤ 厚生労働省は、要望のあった医療機器等の早期導入の可能性を確認するため、国内開発企業(要望提出時に国内開発企業が存在しない場合は、関連する業界団体)に対し、要望内容に対する見解を確認する。

### 2. 要望品目等の評価と早期導入品目の選定

- ① 学会等から要望のあった医療機器等について、「検討会における対象医療機器

等の選定基準」に基づく評価を行う。

- ② 個別の検討事項は、検討会の下に設置するワーキンググループにて評価する。評価結果は要望書様式「8. ワーキンググループにおける評価結果」に記載する。
- ③ ワーキンググループは、要望内容を的確に把握するため、必要に応じて、要望提出学会等にワーキンググループへの参加を求めることができる。
- ④ ワーキンググループの評価結果をもとに、検討会にて学会等からの要望について評価を行い、早期導入が必要な医療機器等(選定品目)を決定する。
- ⑤ 要望提出学会等で根拠となる資料について、追加のデータが必要な場合など、ワーキンググループにおいて「保留」と判断されている場合には、「保留」と判断した理由を明確にした上で必要なデータを要望提出学会に要求するとともに、その進捗状況を検討会に定期的に報告する。
- ⑥ 選定過程において、要望のあった医療機器等の類似品が上市されるなど、医療環境の変化が生じた場合には、要望提出学会等に対して要望内容の再検討を依頼し、医療上の必要性を再評価する。
- ⑦ 検討会において選定基準に該当しないとされた医療機器等について、新たな根拠資料を追加すること等により、再度要望を提出する場合は、追記・変更箇所が明確になるよう要望書を記載する。
- ⑧ なお、検討会の委員は、検討対象品目について関与又は特別の利害関係を有する場合は検討会の座長に申し出ることとし、関与等がある場合は当該品目に関する議論及び選定可否に係る議決には参加してはならない。
- ⑨ また、要望提出学会の執行部に在籍する委員は、当該品目の選定可否に係る議決には参加してはならない。ただし、当該品目に関する議論に参加することは可とする。

### 3. 選定品目を開発する企業の募集

- ① 厚生労働省は、選定品目の国内開発企業及び海外製造元に開発要請を行う。
- ② 選定時に国内の開発企業が存在しない場合は、厚生労働省ホームページを通じて、選定品目の国内早期導入を行う意思がある企業を募集するとともに、国内の業界団体に対して開発要請を行う。

### 4. 選定品目に対する早期承認申請に向けた助言等

- ① 選定品目の早期承認申請に向けて、検討会は以下の助言等を行う。
  - ・ 早期導入に向けた助言（治験の必要性、学会ガイドラインの必要性など）
  - ・ 早期導入の可能性や妥当性に関する意見
  - ・ 市販後の安全確保策に関する助言
- ② 開発企業に対し、既存のデータの活用を図りつつ、必要により臨床データの収集等も含め、医薬品医療機器総合機構での個別相談を受け早期申請を行うことを勧奨し、早期導入に向けた個別の取り組みを進める。
- ③ 厚生労働省は、開発企業に対し、選定品目に係る開発計画の提出を依頼し、当該開発計画を基に選定品目の進捗状況を確認する。その進捗状況について検討会に報告し、検討会は必要な助言等を行う。
- ④ 承認申請後は、優先審査等を行い、その進捗状況について検討会に報告し、検討会は必要な助言等を行う。
- ⑤ 開発企業の公募又は開発要請を行ってから一定期間経過した品目等について、標準的な治療法の変化など、その時点での医療環境も踏まえ、医療上の必要性の再評価を行う。  
（再評価を行う場合の例）
  - ・ 公募を行ってから一定期間経過しても、開発企業がみつからない場合
  - ・ 開発要請を行ってから一定期間経過しても、治験の開始など具体的な開発に着手できていない場合
  - ・ 一つの要望で複数の医療機器等を選定した場合であって、そのうち1つの医療機器等が承認された場合

## 第2章 人道的見地から実施される治験についての検討

検討会は、以下の進め方により、人道的見地から実施される治験（以下「拡大治験」という。）について、既存の治療法に有効なものが存在しないかどうか及び患者の生命に重大な影響を与える重篤な疾患かどうかを検討する。

### 1. 患者及び主治医からの検討依頼

- ① 拡大治験への参加を希望する患者は、治験依頼者又は自ら治験を実施する者（以下「治験実施者」という。）から「新しい治療法・重篤な疾患の判断基準」（別紙2、以下同じ。）に該当しないため拡大治験を実施できないという回答を受け、この回答に不満がある場合、主治医をとおして厚生労働省に対し検討を依頼する。
- ② 主治医は、治験実施者による「新しい治療法・重篤な疾患の判断基準」に該当しないと判断した理由及び主治医が「新しい治療法・重篤な疾患の判断基準」に該当すると判断した理由について、検討依頼書に記載する。

### 2. 「新しい治療法・重篤な疾患の判断基準」への該当性検討

- ① 主治医からの検討依頼書について、「新しい治療法・重篤な疾患の判断基準」への該当性を検討する。
- ② 併せて、検討会の委員は、「新しい治療法・重篤な疾患の判断基準」への該当性以外の、以下に示すような内容について、気づいた点があれば意見を述べる。
  - ・患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高く、安全性の観点から治験機器又は治験製品の使用が勧められない等の問題がないか。
  - ・承認を申請する予定の使用目的、効果、効能又は性能を外れる使用方法を想定していないか。など

### 3. 検討結果による対応

- ① 検討の結果「新しい治療法・重篤な疾患の判断基準」に該当すると判断された場合に、厚生労働省は、治験実施者に対して拡大治験の実施の再検討を

要請する。また、その他検討会の委員の意見について、参考情報として治験実施者に伝える。

- ② 厚生労働省からの要請を受けた治験実施者は、改めて拡大治験の実施の可否を検討し、主治医に対し検討の結果を回答する。

### 第3章 医療機器等条件付き承認制度に関する検討

検討会は、以下の進め方により、医療機器等条件付き承認制度の候補品目の対象疾患について、既存の治療法に有効なものが存在しないかどうか及び患者の生命に重大な影響を与える重篤な疾患かどうかを検討する。

#### 1. 検討依頼

医療機器等条件付き承認制度によって承認申請を行うことを希望する申請予定者は、開発品目が、①生命に重大な影響がある疾患又は(病気の進行が不可逆的で、)日常生活に著しい影響を及ぼす疾患を対象とすること(疾患の重篤性)、②既存の治療法、予防法もしくは診断法がないこと又は既存の治療法等と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待されること(代替法の有無等)等の要件に合致していることを、資料を提示の上、厚生労働省及び独立行政法人医薬品医療機器総合機構(以下「総合機構」という。)に相談する。この際、必要に応じ、厚生労働省は、疾患の重篤性及び代替法の有無等について検討会に評価を依頼する。

#### 2. 検討

検討会は、申請予定者が作成した「医療機器等条件付き承認制度該当性概要」等に基づき、別紙1のc)の判断基準を参考に、疾患の重篤性及び代替法の有無等について検討する。

検討会の委員は、上記のほか、開発中の品目の安全性や有効性、また開発品目の治験の実施が難しい点等について気づいた点があれば意見を述べる。

なお、検討会の委員は、検討対象品目について関与又は特別の利害関係を有する場合は検討会の座長に申し出ることとし、関与等がある場合は当該品目に関する議論及び評価に係る議決には参加してはならない。

また、検討対象品目に係る関連学会の執行部に在籍する委員は、当該品目の評価に係る議決には参加してはならない。ただし、当該品目に関する議論に参加することは可とする。

### **3. 検討結果による対応**

厚生労働省及び総合機構は、検討会の検討結果を踏まえ、開発品目が医療機器等条件付き承認制度の対象品目の要件に合致しているかどうかを判断する。この際、厚生労働省は、申請予定者に対して、検討会の検討結果、その他検討会の委員の意見を、参考情報として申請予定者に伝える。

## **第4章 特定用途医療機器等の指定基準に関する検討**

検討会は、以下の進め方により、特定用途医療機器、特定用途医薬品（体外診断用医薬品に限る。）及び特定用途再生医療等製品（以下「特定用途医療機器等」という。）の指定候補品目について、特定用途医療機器等の指定要件への該当性を検討する。

### **1. 検討依頼**

特定用途医療機器等の指定を希望する要望提案者は、当該品目が、特定用途医療機器等の指定要件に合致していることを、資料を提示の上、厚生労働省及び独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「総合機構」という。）に相談する。この際、必要に応じ、厚生労働省は、特定用途医療機器等の指定要件への該当性について検討会に評価を依頼する。

### **2. 検討**

検討会は、要望提案者が作成した「特定用途医療機器の指定要件該当性に関する概要」等に基づき、別紙3の判断基準を参考に、特定用途医療機器等の指定要件への該当性について検討する。

なお、検討会の委員は、検討対象品目について関与又は特別の利害関係を有する場合は検討会の座長に申し出ることとし、関与等がある場合は当該品目に関する議論及び評価に係る議決には参加してはならない。



また、検討対象品目に係る関連学会の執行部に在籍する委員は、当該品目の評価に係る議決には参加してはならない。ただし、当該品目に関する議論に参加することは可とする。

### **3. 検討結果による対応**

厚生労働省及び総合機構は、検討会の検討結果を踏まえ、検討対象品目が特定用途医療機器等の指定要件に合致しているかどうかを判断する。この際、厚生労働省は、開発希望者に対して、検討会の検討結果、その他検討会の委員の意見を、参考情報として伝える。

## 検討会における対象医療機器等の選定基準

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等
  - 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

※海外で既に承認等されている医療機器等について、学会等からの要望があるにもかかわらず、当該品目が我が国で開発中止となった場合等であって、国内で代替品を製造販売しようとする企業が現れたときは、選定候補の対象として取り扱うことができるものとする。

※欧米等において、要望された適応が承認されていない場合でも、医療保険の保険償還の対象とされ、広く使用されている場合は、b)の要件を満たすものとして取り扱うことができるものとする。

- c) 医療上特に必要性が高いと認められるもの

医療上の有用性と適応疾病の重篤性の観点から総合的に評価し、以下の(1)のア又はイと評価され、かつ、(2)のア、イ又はウと評価された場合には、医療上特に必要性が高いと認められるものとする。

(1)医療上の有用性

- ア 既存の治療法、予防法もしくは診断法がないこと
  - イ 有効性、安全性、肉体的・精神的な患者負担、操作性等の観点から、治療法、予防法もしくは診断法として医療上の有用性が期待できること
- \*/\*\*

- ウ 該当しない

(2)適応疾病の重篤性

- ア 生命に重大な影響がある疾患(致死的な疾患)であること
- イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患であること

ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患であること

エ 該当しない

\* 要望された医療機器等について、既存の治療法、予防法もしくは診断法に比して、侵襲性の低下、合併症の発生の減少、小型化・軽量化による小児への適応、手技の安全性・簡便性の向上、耐久性の向上、操作性の向上、医療従事者への安全性の向上などが期待できる場合、医療上の有用性の評価基準イに該当するものとする。

\*\*医療上の有用性の評価基準イについて、欧米承認医療機器等の場合は、既存の治療法、予防法もしくは診断法に比した医療上の有用性について、欧米承認時に提出された臨床試験成績等により示されていること。

## 新しい治療法・重篤な疾患の判断基準

以下の(1)及び(2)の両方について、アと評価された場合には、「既存の治療法に有効なものが存在しない及び患者の生命に重大な影響を与える重篤な疾患を対象としたものである」とする。

### (1)医療上の有用性

- ア 既存の治療法に有効なものが存在しないこと
- イ 該当しない

### (2)適応疾病の重篤性

- ア 生命に重大な影響がある重篤な疾患(致死的な疾患)であること
- イ 該当しない

## 特定用途医療機器等の指定要件

各々の品目について、該当する項目の1)、2)、3)全てを満たすこと。

## (1) 医療機器

- 1) 小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いるもの(いずれかを満たすこと)
  - ア 新規承認申請予定
  - イ 既承認品目の形状、構造及び原理又は使用方法の変更
  - ウ 該当しない
- 2) 対象とする用途の需要が著しく充足されていないもの(いずれかを満たすこと)
  - ア 既存の治療法、予防法又は診断法がないもの
  - イ 有効性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の治療法等より有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの
  - ウ 該当しない
- 3) 対象とする用途に対する特に優れた使用価値(ア、イ、双方を満たすこと)
  - ア 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの
  - イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの
  - ウ 該当しない

## (2) 体外診断用医薬品

## A. 小児への用途

- 1) 小児の疾病の診断の用途に用いるもの
  - ア 既承認品目の使用目的又は使用方法の変更
  - イ 該当しない
- 2) 対象とする用途の需要が著しく充足されていないもの(いずれかを満たすこと)
  - ア 対象とする疾病に対して診断を行うための方法が確立されていないもの
  - イ 有用性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の診断法等より有効性の高い診断法が必要とされているもの

ウ 該当しない

3) 対象とする用途に対する特に優れた使用価値(ア、イ、双方を満たすこと)

ア 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの

イ 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの

ウ 該当しない

B. 薬剤耐性を有する病原体に関わるもの

① 薬剤耐性を有する病原体を対象とするもの

1) 薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断の用途に用いるもの

ア 使用目的又は使用方法の変更に係る開発を行うもの

イ 該当しない

2) 対象とする用途の需要が著しく充足されていないもの(ア、イ、双方を満たすこと)

ア 薬剤に耐性を有する病原体又は有することとなる可能性がある病原体を対象とするもの

イ 当該薬剤以外に必要な性能を有す体外診断用医薬品が我が国において製造販売されていないもの

ウ 該当しない

3) 対象とする用途に対する特に優れた使用価値(ア、イ、双方を満たすこと)

ア 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の観点から、必要性が高いもの

イ 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの

ウ 該当しない

② 薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するためのもの

1) 薬剤耐性を有する病原体の発生の抑制の用途に用いるもの

ア その使用目的又は使用方法の変更に係る開発を行うもの

イ 該当しない

2) 対象とする用途の需要が著しく充足されていないもの(いずれかを満たすこと)

ア 既承認の用法及び用量で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせるおそれがあるもの

イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、

対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないもの

ウ 該当しない

3)対象とする用途に対する特に優れた使用価値(ア、イ、双方を満たすこと)

ア 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の総合的な観点から、必要性が高いもの

イ 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの

ウ 該当しない

(3)再生医療等製品

A. 小児への用途

1)小児の疾病の治療又は予防を用途とするもの(いずれかを満たすこと)

ア 新規承認申請予定品

イ 既承認品の用法、用量又は使用方法の変更

ウ 該当しない

2)対象とする用途の需要が著しく充足されていないもの(いずれかを満たすこと)

ア 既存の治療法又は予防法がないもの

イ 有効性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の治療法等よりも有用性の高い治療法又は予防法が必要とされているもの

ウ 該当しない

3)対象とする用途に対する特に優れた使用価値(ア、イ、双方を満たすこと)

ア 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの

イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

ウ 該当しない

B. 薬剤耐性を有する病原体に関わるもの

①薬剤耐性を有する病原体を対象とする場合(いずれかを満たすこと)

1)薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療の用途に用いるもの

ア 新規承認申請予定品

イ 既承認品の効能、効果、性能、用法、用量又は使用方法の変更

ウ 該当しない

- 2) 対象とする用途の需要が著しく充足されていないこと(ア、イ、双方を満たすこと)
- ア 現在主として用いられている薬剤に耐性を有する病原体又は薬剤に耐性をすることとなる可能性がある病原体を対象とするもの
  - イ 当該主として用いられている薬剤以外に有効性を持つ医薬品又は再生医療等製品が我が国において製造販売されていないもの
  - ウ 該当しない
- 3) 対象とする用途に対する特に優れた使用価値(ア、イ、双方を満たすこと)
- ア 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の観点から、必要性が高いもの
  - イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの
  - ウ 該当しない

②薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための場合

- 1) 薬剤耐性を有する病原体の発生の抑制の用途に用いるもの(いずれかを満たすこと)
- ア 新規承認申請予定品
  - イ 既承認品の効能、効果、性能、用法、用量又は使用方法の変更
  - ウ 該当しない
- 2) 対象とする用途の需要が著しく充足されていないもの(いずれかを満たすこと)
- ア 既承認の用法及び用量又は使用方法で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせることとなるおそれがあるもの
  - イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないもの
  - ウ 該当しない
- 3) 対象とする用途に対する特に優れた使用価値(ア、イ、双方を満たすこと)
- ア 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の総合的な観点から、必要性が高いもの
  - イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの
  - ウ 該当しない