

## 医薬品医療機器等法改正に伴う変更点

二一ズ検討会にて該当性をご評価いただく制度について

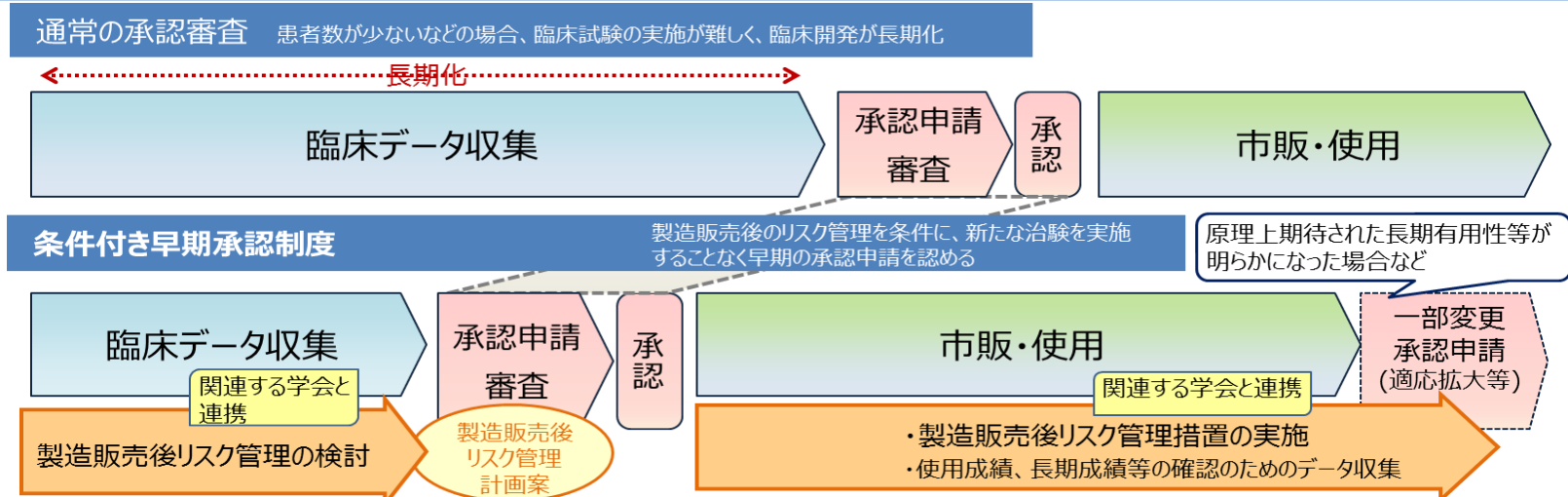
厚生労働省医薬・生活衛生局  
医療機器審査管理課

# 条件付き承認制度【類型1】

(従来の条件付き早期承認制度の法制化)

治験の実施が困難だが医療上の必要性が高い医療機器・体外診断用医薬品

- A) 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。
- B) 既存の治療法、予防法若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。
- C) 一定の評価を行うための適切な臨床データを提示できること。
- D) 新たな臨床試験又は臨床性能試験の実施に相当の困難があることを合理的に説明できること。
- E) 関連学会と緊密な連携の下で、適正使用基準を作成することができ、また、市販後のデータ収集及びその評価の計画を具体的に提示できること。



「医療機器及び体外診断用医薬品の条件付き承認の取扱いについて」(令和2年8月31日付け薬生機審発0831第2号)

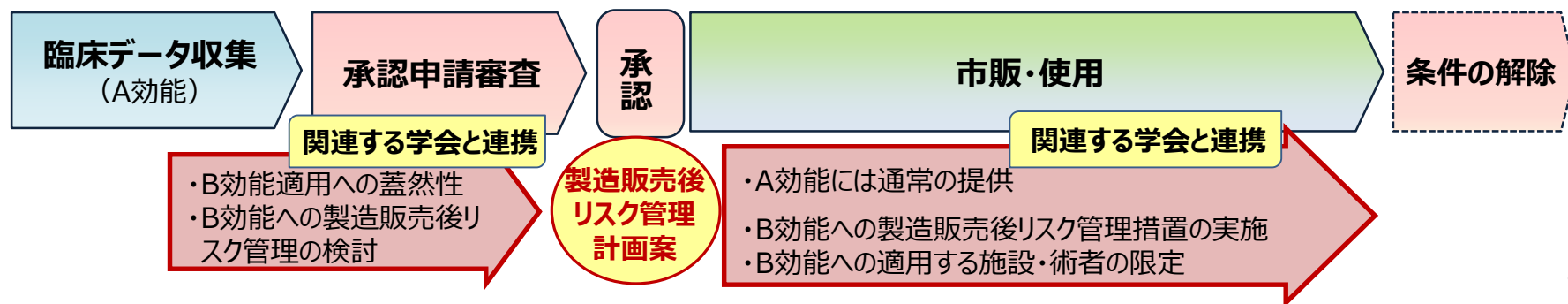
# 条件付き承認制度【類型2】

(機器の機能に着目した他部位への適応追加)

機能から他領域に応用が検討される機器・体外診断用医薬品

- A) 焼灼その他の物的な機能により人体の構造又は機能に影響を与えることを目的とする医療機器又は体外診断用医薬品であって、医療上特にその必要性が高いと認められるものであること。
- B) 既存の臨床データでは直接的に評価されていない適用範囲に関する有効性及び安全性について、一定の外挿性をもって評価を行うための適切な臨床データを提示できること。
- C) 新たな臨床試験又は臨床性能試験を実施しなくとも、その適正な使用を確保できることを合理的に説明できること。
- D) 関連学会と緊密な連携の下で、適正使用基準を作成することができ、また、市販後のデータ収集及びその評価の計画を具体的に提示できること。

■ 施設や術者等の限定や市販後安全対策の充実強化により、機器のもつ機能に着目した他臓器や部位への迅速な適用追加を実現



# 特定用途医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の指定制度

## 〔指定要件〕

1. 対象疾患
2. 対象とする用途への需要の充足性
3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値

## 1. 対象疾患

### (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

### (2) 体外診断用医薬品

- 1) 小児の疾病の診断の用途に用いるもの
- 2) 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による疾病の診断に用いるもの
  - ② 薬剤耐性を有する病原体の発生の抑制に用いるもの

### (3) 再生医療等製品

- 1) 小児の疾病の治療又は予防の用途に用いるもの
- 2) 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による疾病の治療に用いるもの
  - ② 薬剤耐性を有する病原体の発生の抑制に用いるもの

## 2. 対象とする用途への需要の充足性

### 1) 小児の疾病の診断、治療又は予防の用途

既存の診断法、治療法又は予防法がないもの、若しくは、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方法が必要とされているもの。

### 2) 薬剤耐性を有する病原体に対する用途

薬剤に耐性を有する病原体又は既承認の用法及び用量で使用すると薬剤耐性を生じさせるおそれがある病原体を対象とし、代替するものが存在しない又は国際的なガイドライン等では標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、承認を得ていないもの。

## 3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値

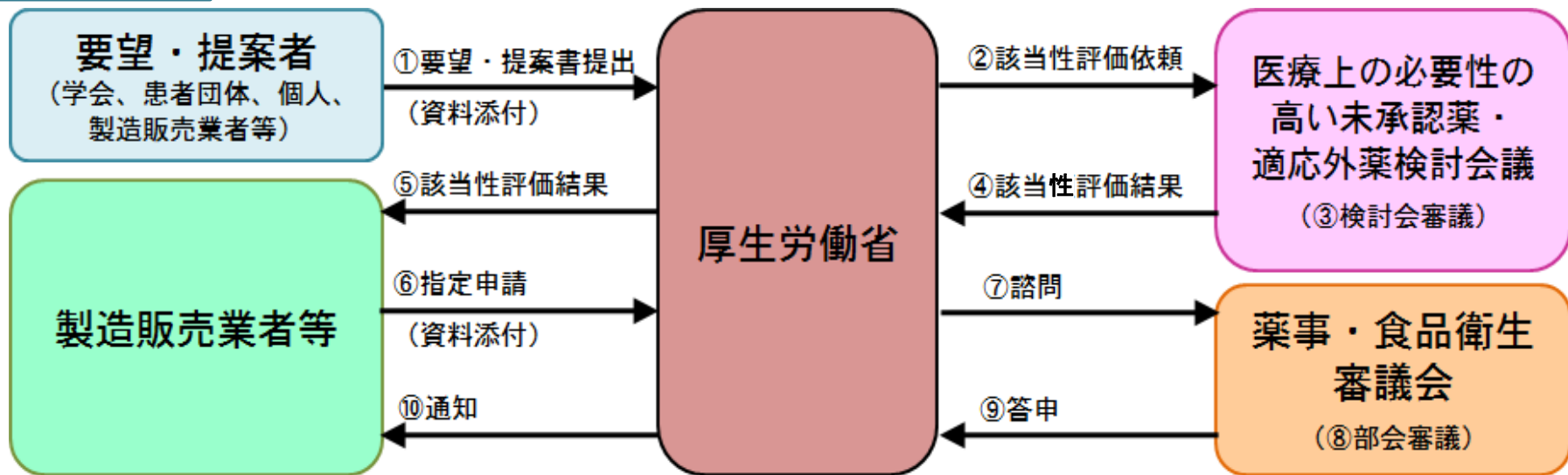
### 1) 小児の疾病の診断、治療又は予防の用途

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られ、かつ、国際的なガイドライン等で標準的な方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。

### 2) 薬剤耐性を有する病原体に対する用途

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観点から必要性が高く、かつ、国際的なガイドライン等で標準的な方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。

## 指定の手順



## 指定された品目の優先的な取扱い

- 優先相談、優先審査
- 研究開発に係る助成金の交付、税制上の優遇。（その用途に係る患者数が少ないものに限る）

## 指定の取消

- 他の医療機器等が承認されたことなどにより、指定要件②又は③を欠くと認められるとき。
- 指定申請書の虚偽記載等不正、法令違反があったとき。正当な理由なく試験研究や製造販売が行われないうとき。

※「特定用途医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の指定に関する取扱いについて」(令和2年8月31日付け薬生機審発0831第5号)