

資料 3

医療機器及び再生医療等製品に係る

先駆け審査指定制度の対象品目の指定について

平成 28 年 3 月 25 日
 厚生労働省医薬・生活衛生局
 医療機器・再生医療等製品担当参事官室

1. 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制度の試行的運用の状況について



2. 指定申請品目

- (1) 指定希望品目として登録申込がなされた品目数は、以下の通り：
- 医療機器 **6品目**
 - 体外診断用医薬品 **2品目**
 - 再生医療等製品 **13品目**
- (2) (1)のうち、全ての品目が正式に指定申請された。

3. 指定品目

別添1の別紙にある5品目について、指定要件^{*1}に照らして特に優れていると判断できることから、2月10日付けで対象品目として指定し、公表した。

※1：指定要件

① 治療法／診断法の画期性

原則として、医療機器にあつては新規原理（新医療機器等）、体外診断用医薬品にあつては新規原理／新規測定項目、再生医療等製品にあつては新規作用機序を有すること。

② 対象疾患の重篤性

以下のいずれかの疾患に該当するものであること

- ・ 生命に重大な影響がある重篤な疾患
- ・ 根治療法がなく症状（社会生活が困難な状態）が継続している疾患

③ 対象疾患に係る極めて高い有効性

既存の治療法／診断法がない、又は、既存の治療法／診断法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれること（著しい安全性の向上が見込まれる場合も含む）

④ 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思

日本における早期からの開発を重視し世界に先駆けて日本で申請される（同時申請も含む）予定のものであること。なお、非臨床試験の結果等により、有効性等が一定程度期待できる製品であつて、日本を含めた形で治験を実施するものが望ましい。

Press Release

報道関係者 各位

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

「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。

「先駆け審査指定制度*」とは、平成 26 年 6 月に厚生労働省が取りまとめた「先駆けパッケージ戦略」の重点施策や、「日本再興戦略」改訂 2014 を踏まえて導入したものであり、この制度は、対象疾患の重篤性など、一定の要件を満たす画期的な医療機器、再生医療等製品について、開発段階から対象品目に指定し、承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで、承認審査の期間を短縮することを目的としたものです。

通常の新医療機器の場合、12 か月を目標に審査を行っているところ、この制度を活用することで、審査期間の目標をこれまでの半分の 6 か月に短縮することが可能になります。

今回の指定品目には、日本の大学発のシーズや、国内中小企業・ベンチャー企業が開発に携わるものもあり、日本における早期実用化を支援することで成長戦略に掲げるイノベーションの促進にもつながることが期待できます。

[参考] 先駆け審査指定制度について

* 指定制度の内容は、①優先相談、②事前評価の充実、③優先審査の 3 つの取組で期間の短縮を実施。これらの取組に加え、④審査パートナー制度（独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）が実施）、⑤製造販売後の安全対策充実の 2 つの取組で、開発の促進を支援。

医療機器の指定品目

	品目名	品目概要	指定理由
1	チタンブリッジ（甲状軟骨形成術2型）	発声時に声帯が過剰に閉鎖することで声に障害の出る内転型痙攣性発声障害において、その閉鎖を防止する手術法（甲状軟骨形成術2型）で用いられるチタン製の蝶番型プレートであり、複数の国内大学と共同でノーベルファーマ（株）が開発を行っている。	<p>① 既存の治療法とは異なる新規原理に基づく治療法である。</p> <p>② 内転型痙攣性発声障害は、若年女性に多い、原因不明の難治性疾患であり、社会生活が困難な状況が継続することにより、うつや引きこもり、自殺企図にまで発展する場合がある。</p> <p>③ 臨床研究により、高い有効性を示唆する結果（VHI-10スコア（声の障害の程度）の改善）が得られている。</p> <p>④ 医師主導で国内臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。また、優れた技術を有する国内地方の企業により製造されるものである。</p>
2	癒着防止吸収性バリア	トレハロースを腹腔内全体に注入し、腹腔内の細胞膜に結合（水素結合）させることで、臓器や腹膜の術後癒着を低減させるものであり、東京大学・大学院工学系研究科バイオエンジニアリング専攻・鄭 雄一教授らのシーズを元に、(株)大塚製薬工場が開発を行っている。	<p>① 切開創部以外の腹腔内全体の癒着を軽減させる製品は存在しておらず、本製品は新規性を有する。</p> <p>② 術後癒着に伴って起こる主な疾患である癒着性腸閉塞は、重症化した場合に生命に重大な影響を及ぼす可能性がある。</p> <p>③ 探索的臨床試験により、癒着軽減効果が示されており、癒着性腸閉塞の発生を大幅に下げることが見込まれる。</p> <p>④ 国内で検証的臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>

再生医療等製品の指定品目

	品目名	品目概要	指定理由
1	STR01（自家骨髄間葉系幹細胞）	脊髄損傷に伴う神経症候や機能障害の改善を目的とする、患者自身の骨髄から採取した骨髄液から分離、培養した間葉系幹細胞であり、札幌医科大学・医学部附属フロンティア医学研究所・神経再生医療学部門・本望 修教授のシーズを元に、本大学と共同でニプロ（株）が開発を行っている。	<ul style="list-style-type: none"> ① 間葉系幹細胞を脊髄損傷の治療に用いた製品はなく、本製品は新規性を有する。 ② 脊髄損傷は、下半身麻痺や四肢麻痺を引き起こし、社会生活が困難な状況が継続する重篤な疾患である。 ③ 探索的臨床試験により、極めて高い有効性を示唆する結果（AIS（American Spinal Injury Association Impairment Scale）の改善）が得られている。 ④ 札幌医科大の本望教授、山下教授中心に医師主導で国内臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。
2	G47Δ	悪性脳腫瘍（神経膠腫）への適応を目的とした、制限増殖型遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス1型であり、東京大学・医科学研究所・先端がん治療分野・藤堂 具紀教授のシーズを元に、藤堂教授と共同で第一三共（株）が開発を行う予定。	<ul style="list-style-type: none"> ① ウイルスを用いたがん治療法（ウイルス療法）であり、新規作用機序を有する。 ② 悪性神経膠腫は、生命に重大な影響がある重篤な疾患である。 ③ 臨床研究により、極めて高い有効性を示唆する結果（1年生存率の向上）が得られている。 ④ 藤堂教授中心に医師主導で国内臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。
3	自家心臓内幹細胞	小児先天性心疾患（機能的単心室症）患者に実施する外科的修復術後の心機能改善を目的とした、患者自身の心臓から採取した組織から分離、培養した心臓内幹細胞懸濁液であり、岡山大学病院・新医療研究開発センター再生医療部・王 英正教授のシーズを元に、（株）日本再生医療が開発を行う予定。	<ul style="list-style-type: none"> ① 心組織から心筋細胞に分化しうる心臓内幹細胞を利用するものであり、従来の治療法とは異なる作用機序を有する。 ② 小児先天性心疾患（機能的単心室症）は、外科的修復術後も酸素飽和度や心機能が改善されず、最終的に心臓移植以外に治療選択肢がなくなる場合もある重篤な疾患である。 ③ 臨床試験により、極めて高い有効性を示唆する結果（心機能の改善や心不全症状の改善）が得られている。 ④ 王教授中心に医師主導で国内臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。

医療機器・再生医療等製品 先駆け審査指定品目

チタンブリッジ

開発メーカー：ノーベルファーマ(株)

京都大学・一色名誉教授のシーズ

熊本大学・讃岐講師
中心に、臨床試験を実施

地方の中小企業である若吉製作所(福井県)が製造

ベンチャー企業であるノーベルファーマが
実用化



声門の過閉鎖防止

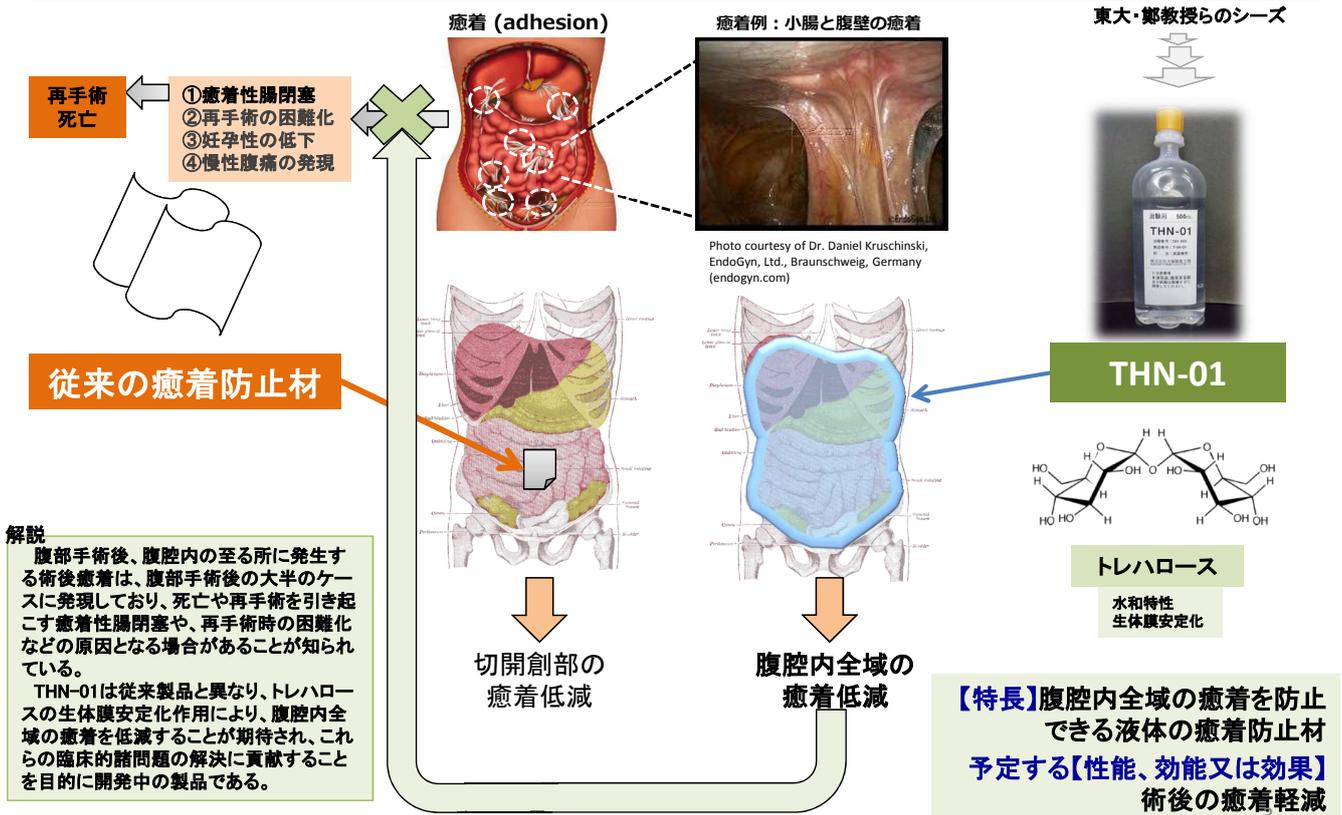
発声障害の改善

注)厚労省のAMED研究費支援あり。

癒着防止吸収性バリア

開発メーカー：(株)大塚製薬工場

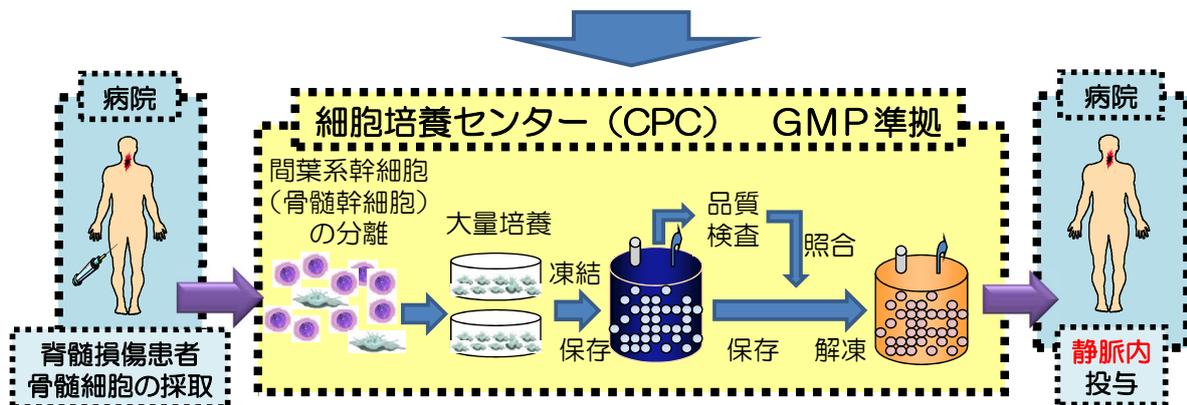
東大・鄭教授らのシーズ



STR01 (自家骨髄由来幹細胞)

開発メーカー：ニプロ(株)

札幌医科大学 本望教授のシーズ



注) 文科省のAMED研究費支援あり。

実施中の医師主導治験の概要

予定被験者数	30例
対象疾患	脊髄損傷患者 ※国内では年間約5000人が新規発生
実施期間	2013年11月1日～2016年10月31日
治験のフェーズ	Phase 2、非盲検試験、探索的試験

G47 Δ (遺伝子組換えヘルペスウイルス) 開発メーカー: 第一三共(株)

東大医科研・藤堂教授のシーズ

がん細胞

ウイルス感染

正常細胞では増殖しないよう遺伝子組換え

※ウイルスの増殖に関わる3つの遺伝子を欠失・不活性化

ウイルス増殖とがん細胞の破壊

周囲へのウイルス拡散

がん細胞を次々に破壊

関連する臨床試験の概要

注) 厚労省・文科省のAMED研究費支援あり。

対象疾患	投与方法	開始・終了	症例数	試験相	試験
膠芽腫 (悪性脳腫瘍)	定位脳手術による腫瘍内投与 2週間以内に2回	2009年11月 2014年11月終了	13例	I - II a	臨床研究
膠芽腫 (悪性脳腫瘍)	定位脳手術による腫瘍内投与 4週間毎に繰り返し投与(最大6回)	2015年5月～	30例 (予定)	II	医師主導治験

※膠芽腫の国内発症者数は、年間約1000人

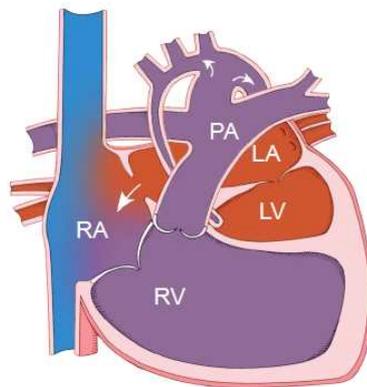
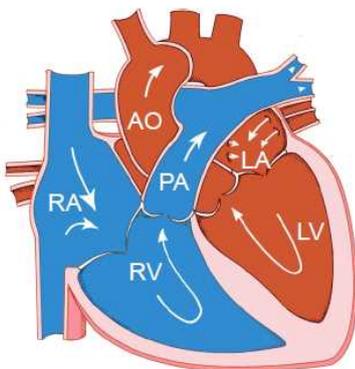
5

自家心臓内幹細胞

開発メーカー: (株)日本再生医療

正常な心臓

代表的な機能的単室症の病態:
左心低形成症候群(HLHS)



岡山大学
王教授のシーズ

手術時に微量の心組織を採取、
幹細胞分離

培養

製剤化

冠動脈ヘカテーテルで移植

心機能の改善

関連する臨床試験の概要

注) 厚労省のAMED研究費支援あり。

対象疾患	試験デザイン	開始・終了	症例数	試験相	試験
左心低形成症候群	非盲験群間比較試験	2011年1月開始 2013年1月終了	14例	I	臨床研究
左心低形成症候群	非盲験群間比較試験	2013年4月開始～	34例 (予定)	II	臨床研究

※機能的単心室症の国内発症者数は、年間数百人

※今後、企業治験を実施予定

6