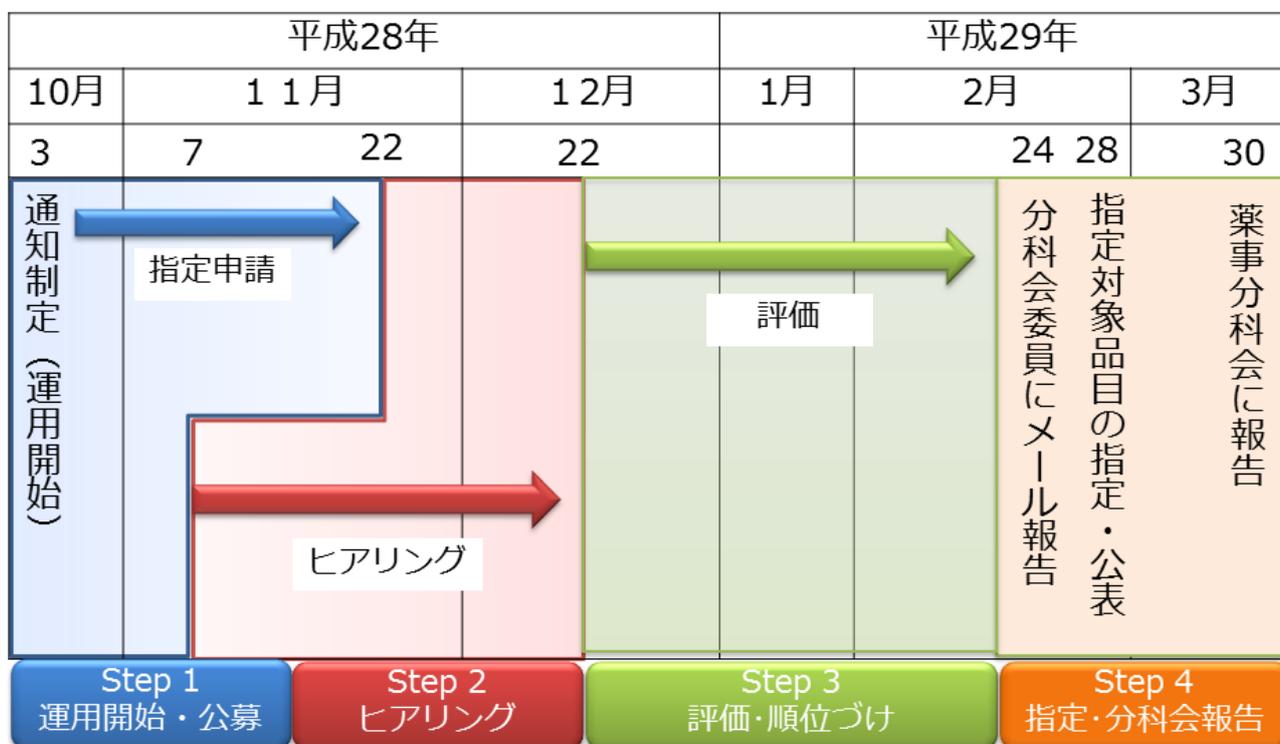


医療機器、体外診断用医薬品及び再生医療等製品に係る

平成 28 年度先駆け審査指定制度の対象品目の指定について

平成 29 年 3 月 30 日
 厚生労働省医薬・生活衛生局
 医療機器審査管理課

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

指定申請された品目数は、以下の通り：

- 医療機器 **9 品目**
- 体外診断用医薬品 **6 品目**
- 再生医療等製品 **13 品目**

3. 指定品目

別添の別紙にある7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28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29年2月28日

【照会先】

医薬・生活衛生局

医療機器審査管理課

課長 磯部 総一郎（内線 2911）

課長補佐 小池 紘一郎（内線 2901）

（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（3品目）、体外診断用医薬品（1品目）及び再生医療等製品（3品目）を指定

～画期的な医療機器等の日本における開発を促進～

厚生労働省は、昨年11月までに指定申請があった医療機器9品目、体外診断用医薬品6品目、再生医療等製品13品目について評価を行い、本日付けで別紙の7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、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、早期の開発段階で有効性が見込まれる医薬品、医療機器等を指定し、各種支援*による早期の実用化を目指すものです。今回、このうち医療機器3品目、体外診断用医薬品1品目、再生医療等製品3品目を指定します。

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ものを、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から開発が始まったものや、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、日本における医療機器、体外診断用医薬品、再生医療等製品の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。

なお、前回（平成28年2月）に指定を行った癒着防止吸収性バリアは、開発企業（株式会社大塚製薬工場）から開発中止の報告があったため、今後速やかに薬事・食品衛生審議会薬事分科会へ報告し、指定を取り消す予定としています。

〔*〕先駆け審査指定されることによる優遇措置

指定を受けることで、以下の優遇措置が得られる。

- ①優先相談（承認前の相談を優先的に行う）
- ②事前評価（承認申請前でも提出されたデータに基づいて順次事前評価を行う）
- ③優先審査（優先的に審査して総審査期間の目標を6ヶ月とする）
- 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）の管理職を承認までの開発の進捗管理等を行うコンシェルジュとして設置する）

医療機器の指定品目

	品目名	品目概要	指定理由
1	人工気管	<p>悪性腫瘍や狭窄性疾患のために切除した気管を再建するために用いる、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である。</p> <p>京都大学他と共同で第一医科(株)が開発を行っている。</p>	<p>①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る点に新規性があり、画期性が高い。</p> <p>②気管欠損は、再建治療の長期化によるQOL低下、不完全な気管再建による呼吸不全や嚥下障害等により、最悪の場合、生命に直結する事象が発生する可能性もある。</p> <p>③臨床研究(12例)により、全例で高い有効性を示唆する結果(形態的・機能的に気管としての機能を保っている。)との報告がある。</p> <p>④国内での治験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
2	ホウ素中性子捕捉療法(BNCT)システム	<p>ホウ素中性子捕捉療法(BNCT)※に用いる中性子線を照射するための装置である。適応疾患は、悪性神経膠腫と頭頸部癌である。</p> <p>京都大学他及びステラファーマ(株)と協同で住友重機械工業(株)が開発を行っている。</p> <p>※ホウ素薬剤を腫瘍組織に集積させた後、体外から中性子線を照射し、ホウ素と中性子の核反応を利用して腫瘍細胞を破壊する治療法。</p>	<p>①ホウ素薬剤と中性子の核反応を利用することで、正常細胞をほぼ傷つけることなく腫瘍細胞を破壊できる点に新規性があり、画期性が高い。</p> <p>②悪性神経膠腫及び頭頸部癌は、生命に重大な影響を及ぼす重篤な疾患である。</p> <p>③京都大学で実施した悪性神経膠腫を対象とした国内第Ⅰ相治験(12例)で確認した1年生存率は66.7%、同大学で実施した頭頸部癌を対象とした臨床研究(62例)で確認した奏効率は58%であるとの報告があり、高い有効性が示唆されている。</p> <p>④国内で実施中の第Ⅱ相治験の結果を踏まえ、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
3	UT-Heart	<p>本品は、病院で取得した心電図、心エコー、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、植込みデバイスを使用した心臓再同期療法の効</p>	<p>①心臓再同期療法※を行った重症心不全患者の中で約30%が無効例と報告されており、無効例の診断は困難である。本品は心臓再同期療法の効果予測の判断を補助できる点に新規性があり、画期性が高い。</p> <p>※両室ペーシングを行うことで心室収縮の</p>

		<p>果予測の判断を補助する医療機器プログラムである。</p> <p>東京大学発のベンチャー企業である(株) UT-Heart 研究所の久田俊明東京大学名誉教授、杉浦清了東京大学特任教授のシーズを元に富士フィルム(株)と共同で開発を行う。</p>	<p>タイミングをそろえ、低下した心臓のポンプ機能を改善する治療法。</p> <p>② 重症心不全は、生命に重大な影響を及ぼす重篤な疾患である。</p> <p>③ 臨床研究(11例)の結果から、本品を使用した心臓のポンプ機能の改善の効果予測は実際の効果と高い相関(相関係数※0.94)を示したとの報告があり、高い有効性が期待できる。</p> <p>※ 相関関係の程度を表す数値(0~1)。</p> <p>④ 国内での治験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
--	--	---	---

体外診断用医薬品・医療機器の指定品目

	品目名	品目概要	指定理由
1	がん関連遺伝子パネル検査システム	<p>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)の一括検出を目的とした、DNAシーケンサー診断システム(DNAシーケンサー、テンプレートDNA調製試薬及び解析プログラム)である。複数の遺伝子異常を一括検出することにより、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。</p> <p>本システムは、国立がん研究センターにおいて開発したNCCオンコパネルを元に、同センターと共同でシスメックス(株)が開発を行っている。</p>	<p>①がん関連遺伝子の変異・増幅・融合を網羅的に検査するDNAシーケンサー診断システムであり、がん関連遺伝子の網羅的な測定を目的とした製品は、本邦ではこれまでに承認したものがない。</p> <p>②固形がんは、生命に重大な影響を及ぼす重篤な疾患である。</p> <p>③本システムによる遺伝子異常の一括検査は、組織採取による患者負担を大きく軽減させるとともに、遺伝子異常のプロファイリングを行うことにより、個々の患者に対する最適な診療方針の決定に資すると考えられる。</p> <p>④今後、がん関連遺伝子異常プロファイリングの有用性(がん診療方針決定の補助)を裏付けるために必要な試験を行い、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	CLS2702C/D（口腔粘膜由来食道細胞シート）	<p>患者自身の口腔粘膜から採取した上皮細胞を培養した細胞シートであり、食道がんにおける広範囲内視鏡的粘膜下層剥離術（ESD）後の狭窄の抑制及び再上皮化までの日数の短縮目的とするものである。</p> <p>東京女子医科大学の岡野光夫特任教授のシーズを元に、本大学と共同で（株）セルシートが開発を行っている。</p>	<p>①ESD 施術後の創傷部位に上皮細胞シートを用いる点に新規性があり、画期性が高い。</p> <p>②食道狭窄は、食物の通過障害やそれによる低栄養、誤嚥性肺炎を誘発し、患者の生活の質を著しく低下させる。また、現在の主な治療法である食道バルーン拡張術は、出血と穿孔のリスクを伴っている。</p> <p>③国内で2つの臨床研究（19例）が実施されており、高い有効性を示唆する結果（本品の使用による高い非狭窄率（64%））が得られたとの報告がある。</p> <p>④国内で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>
2	非自己 iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞	<p>パーキンソン病患者にドパミン神経前駆細胞を移植し、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状の改善を目的とした、iPS 細胞由来の細胞製品である。</p> <p>京都大学 iPS 細胞研究所の高橋淳教授のシーズを元に、大日本住友製薬（株）と共同で開発を行っている。</p>	<p>①iPS 細胞由来のドパミン神経前駆細胞を用いたパーキンソン病治療であり、従来の治療法とは異なる作用機序を有する。</p> <p>②パーキンソン病はドパミン神経細胞が変性・脱落する神経難病で、永続的かつ進行性の神経機能障害をもたらす難治性の疾患である。従来は、薬物治療が行われた後、病状進行後は手術で脳に電極を埋め込み電気刺激を与えるといった治療が行われているが、本品はこれと異なる新しい治療法を提供する。</p> <p>③本品による臨床使用経験はないが、パーキンソン病態モデルカニクイザル（10例）による非臨床有効性評価により、移植6か月後から症状の有意な改善（運動症状スコアで40%以上）と脳内移植部位でドパミン合成及びドパミン再取込み活性（PET 画像による）が認められたとの報告がある。</p> <p>④高橋教授中心に医師主導で国内臨床試験を実施予定であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>

3	ヒト(同種)成人骨髄由来多能性前駆細胞	急性期(発症後18~36時間)の脳梗塞の治療を目的とした、ドナーの骨髄から採取して増殖させた成人接着性幹細胞に由来する幹細胞製品である。 海外において米国アサシス社が開発を行っており本邦では(株)ヘリオスが臨床試験を実施している。	<p>①ドナーの骨髄から採取・加工した接着性幹細胞の懸濁液であり、急性期の脳梗塞に伴う機能障害の改善を目的とする点に新規性があり、画期性が高い。</p> <p>②脳梗塞は死亡又は永続的な機能障害をもたらす難治性の疾患である。</p> <p>③海外で臨床試験(118例)が実施されており、高い有効性を示唆する結果(プラセボ群に比して有意な症状回復(29%))が得られているとの報告がある。</p> <p>④国内で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>
---	---------------------	--	--

医療機器・体外診断用医薬品 ・再生医療等製品 先駆け審査指定品目

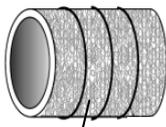
機器① 人工気管（第一医科）

人工気管 開発メーカー：第一医科（株）

悪性腫瘍、外傷、炎症等により生じた気管欠損を再建する

年間約200人

構造を
支える



ポリプロピレンメッシュ
(この内側と外側にコラーゲン
スポンジを付着させる)

粘膜
再構築
の足場



コラーゲンスポンジ

- 京都大学・中村達雄准教授の
シーズ
- 京都大学・福島県立医大で、
臨床試験を実施中
- 厚労省の研究費、経産省の
AMED研究費等で支援

気管欠損の閉鎖



人工気管

病変切除後の再建



気管切除部位

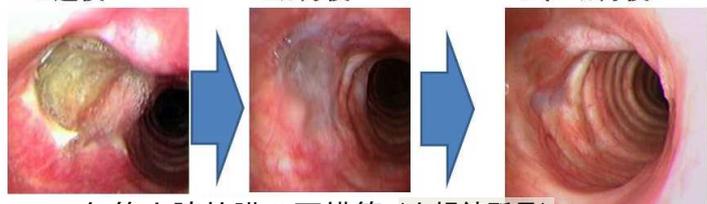
自己血液で湿潤

移植

2週後

2ヵ月後

3年4ヵ月後

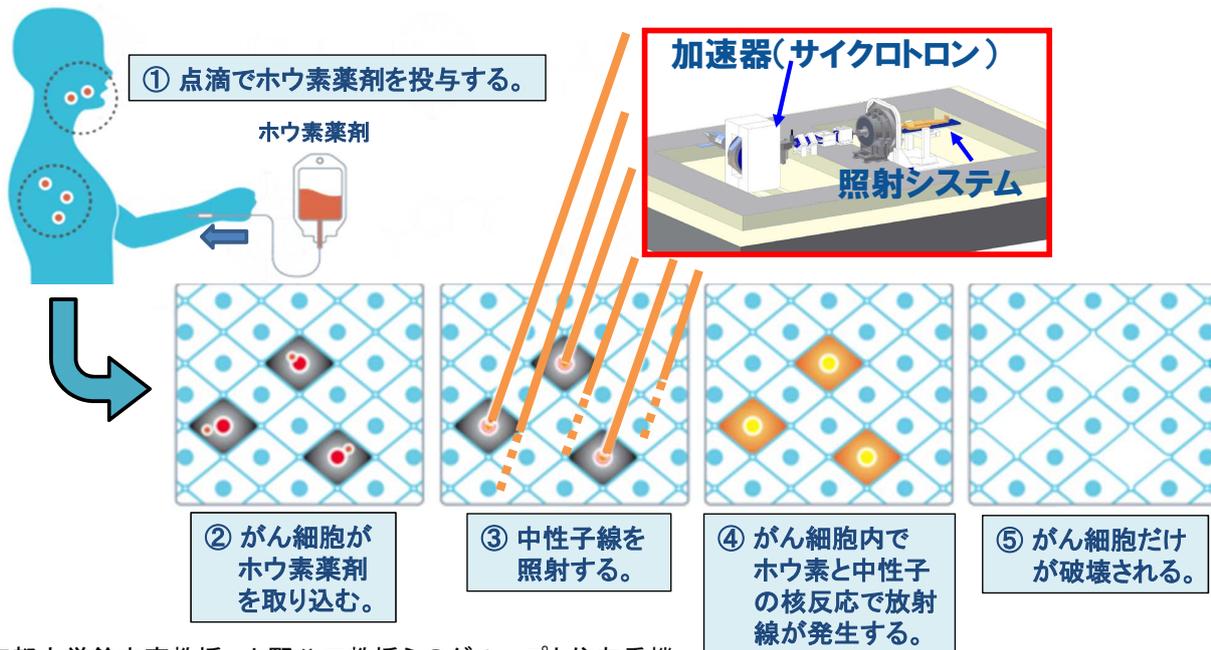


気管内腔粘膜の再構築（内視鏡所見）

機器② ホウ素中性子捕捉療法(BNCT)システム (住友重機械)

ホウ素中性子捕捉療法(BNCT)システム

開発メーカー : 住友重機械工業 (株)
 品目 : 中性子を照射する粒子線治療システム
 開発中の効能 : ・再発悪性神経膠腫
 ・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)



(京都大学鈴木実教授、小野公二教授らのグループと住友重機械とで共同開発をした粒子線治療システムを用いて臨床開発中)

(出典: 大阪府立大学・京都大学ホームページ)

機器③ UT-Heart (UT-Heart 研究所、富士フィルム)

心臓シミュレーション

開発メーカー : (株)UT-Heart 研究所
 富士フィルム(株)
 品目 : UT-Heart
 開発中の効能 : 患者個別のシミュレーションで心臓再同期療法の効果予測

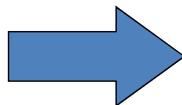
- スーパーコンピューター「京」により、細胞内の分子の運動から心臓の拍動までを再現するシミュレーター UT-Heart を開発。東大久田俊明名誉教授、杉浦特任教授のシーズ。
- この成果を臨床医学に応用し、患者ごとの病気の心臓をCT画像等から作成し、コンピュータの中で治療シミュレーションを行うことが可能。

病院で取得した医療情報

CT data

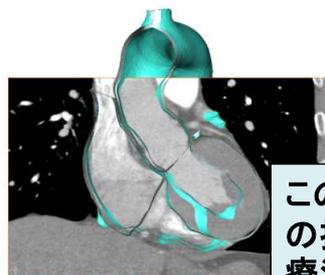
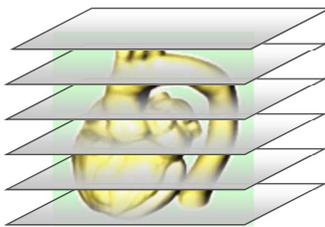


心エコー 心電図



患者個別のシミュレーションモデルを作成

コンピュータの中の心臓



治療法A

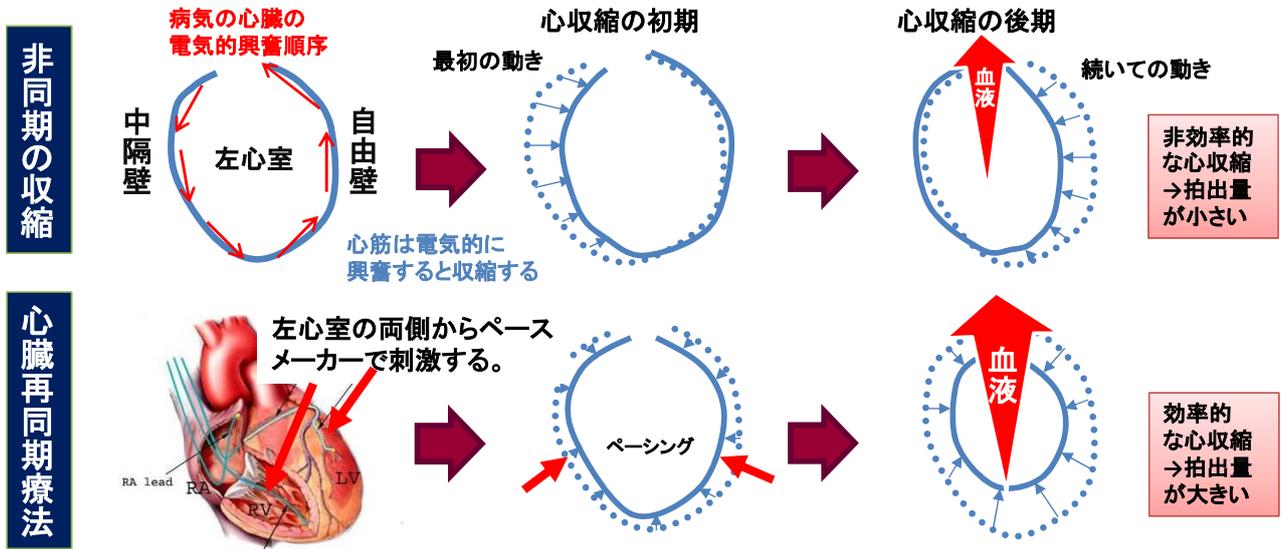
治療法B

治療法C

このテーラーメイド医療の技術を「心臓再同期療法」に適用する

心臓再同期療法の治療効果の予測

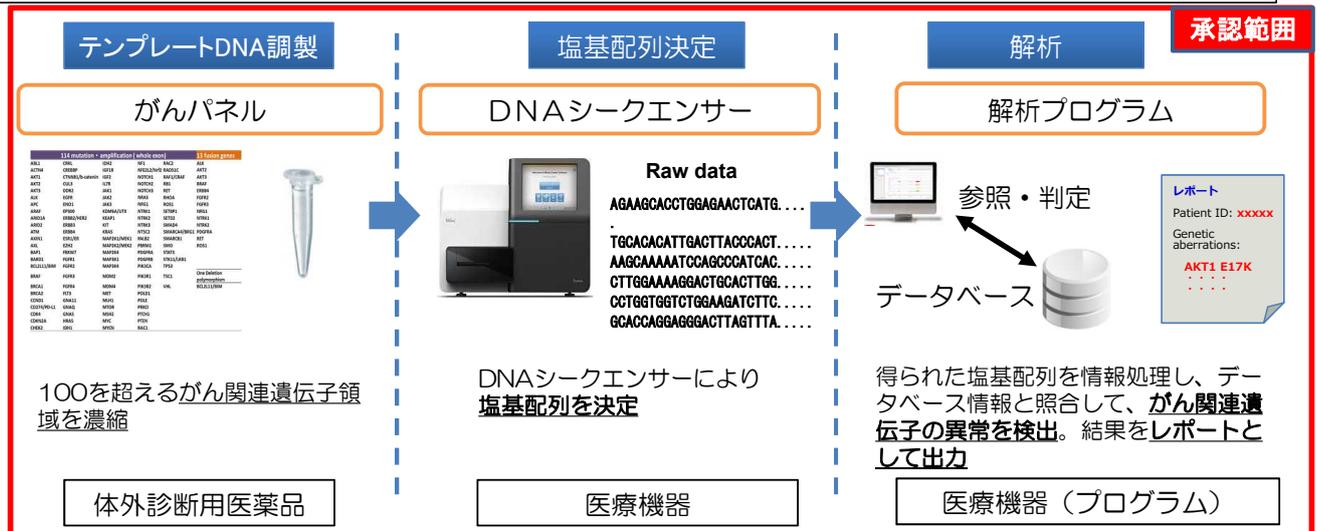
- 心臓の壁の動きのタイミングが一致しないため(非同期の収縮)十分な血液を拍出できない心不全患者が存在する。このような患者にペースメーカーによる心臓再同期療法が行われるが、**約30%は無効**と報告されている。
- 本品を用い、**術前に心臓再同期療法の効果を予測することで、無駄な治療を回避し、有効例においては刺激を加える最適な位置を推奨できる可能性**がある。 2016年の心臓再同期療法の治療件数:日本約4700件



体診① がん関連遺伝子パネル検査システム (シスメックス)

がん関連遺伝子パネル検査システム

開発メーカー:シスメックス(株) 国立がん研究センター開発のNCCオンコパネルと解析プログラムを元に開発



DNA抽出



期待される効果

検査結果を活用し、**個々の患者に対する最適な治療方針を決定**

- ・ 治療効果が期待される医薬品の選択
- ・ がん種の診断
- ・ 予後に係る情報の入手 など

レポート出力



再生① 口腔粘膜由来食道細胞シート (セルシード)

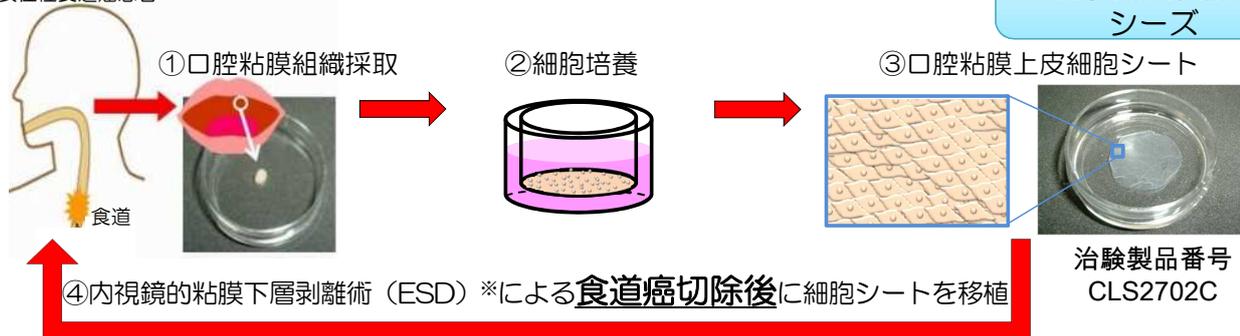
ヒト(自己)口腔粘膜由来食道細胞シート

開発メーカー:(株)セルシード

ヒトの口腔粘膜上皮細胞に由来したシート状の再生医療等製品

東京女子医科大学
岡野 光夫教授の
シーズ

表在性食道癌患者



治験製品番号
CLS2702C

期待される効果

- ESD後の狭窄の抑制 → 患者の生活の質の向上
- 創傷部位の再上皮化までの日数短縮

※内視鏡的粘膜下層剥離術 (ESD)

- 日本発の表在性食道癌に対する革新的低侵襲治療
- 広範囲切除時、高確率(68~92%)で術後狭窄 → 食物の通過障害による低栄養、誤嚥性肺炎の誘発 → 患者の生活の質の低下

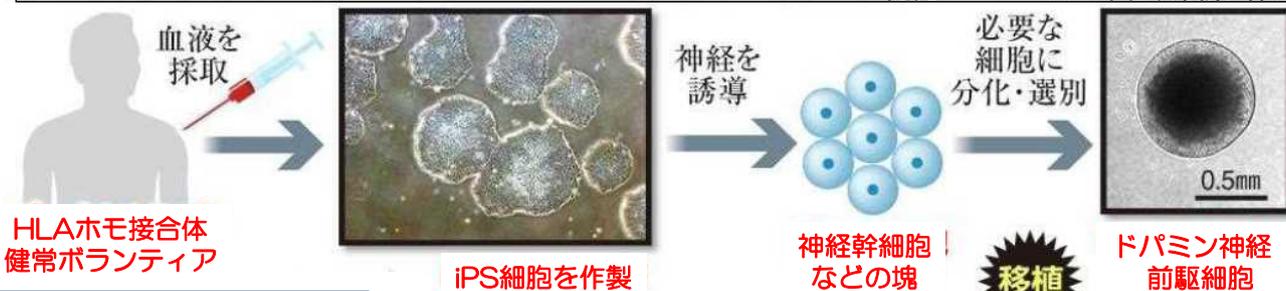
- 既に実施された臨床研究により、狭窄発現のリスクが高いとされる食道の広範囲切除のケースにおいて、高い非狭窄率が確認された。現在、臨床試験を実施中。
- 本製品以外に、広範囲ESD後の**狭窄発症抑制**に対する治療方法は確立していない。
- 現在行われている、物理的なバルーン拡張術やステロイド療法と異なり、安全かつ有効な治療方法として期待される。

* 食道癌の国内死亡者数は、年間11,746人(2008年 厚生労働省人口動態調査)

再生② iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞 (大日本住友)

非自己iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞

開発メーカー:大日本住友製薬(株)



HLAホモ接合体
健常ボランティア

iPS細胞を作製

神経幹細胞
などの塊

ドパミン神経
前駆細胞

関連する非臨床試験の概要

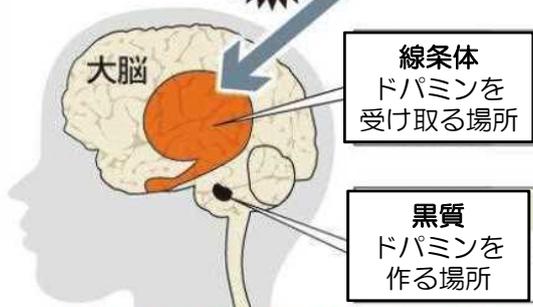
実験動物	改善内容
パーキンソン病モデルラット	・移植細胞の生着 ・左右不均衡症状の改善
パーキンソン病モデルカニクイザル	・症状の有意な改善 ・脳内移植部位におけるドパミン合成及びドパミン再取り込み活性

※パーキンソン病の国内総患者数は約16.3万人(2014年)

※今後、臨床試験を実施予定

本品の対象は、薬物治療による症状コントロールが困難であり、ドパミンを受け取る神経が完全に障害されていない患者(約3500人)

京都大学iPS細胞研究所 (CiRA)
高橋 淳 教授のシーズ



ドパミン神経細胞に分化・生着

- 線条体でドパミンを放出 → 枯渇したドパミンの補充
- 生着したドパミン神経細胞がドパミンを蓄積

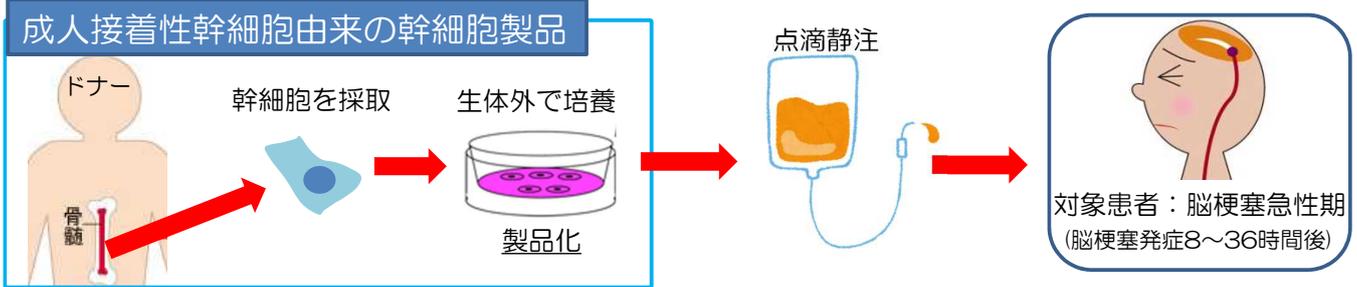
期待される効果

正常な生理的条件下に近いドパミン供給が可能に

再生③ 骨髄由来多能性前駆細胞 (ヘリオス)

ヒト(同種)成人骨髄由来多能性前駆細胞

開発メーカー:(株)ヘリオス



脳梗塞

- ・ 脳梗塞の国内死亡者数：約6.6万人（2014年）
- ・ 年間発症患者数：約20万人
- ・ 脳血管疾患：要介護の原因疾患第1位（2010年）
- ・ 要介護4、5の患者の32%（34万人）が脳卒中患者（2010年）



患者数が多く
症状も重篤

治療法の画期性

脳梗塞急性期の既存の治療法の作用：血栓溶解、抗血小板作用など

本製品で推測されている作用 免疫系機能の調節、炎症の軽減、損傷・傷害を受けた細胞や組織の保護、血管新生の保護 など 既存の治療法にはない作用

期待される効果

脳梗塞急性期（脳梗塞発症8~36時間後）の患者に対して、
脳卒中による症状（運動障害、感覚障害、言語障害、意識障害など）の改善