

小児用補助人工心臓の早期薬事承認について

医薬食品局 医療機器・再生医療等製品担当参事官室

1. 背景

- 重症心不全は生命に関わる重篤な疾患であり、完治のための治療法は心臓移植のみである。心臓移植はドナーからの臓器提供が必要であり、諸外国においては数ヶ月、日本においては数年にも渡る待機をすることもある。待機期間中に心機能が低下し、生命の危険が高まった場合でも、補助人工心臓を使用することにより、心臓移植までの待機期間を乗り切ることができる可能性がある。
- 複数の成人用の補助人工心臓が国内で使用されているが、小児用の補助人工心臓はない。成人用の補助人工心臓を小児に利用することは、患者の心臓に過度な負担を与える可能性があるだけでなく、血栓形成やそれに伴う脳梗塞などの合併症のリスクを高めることになるため、小児用の補助人工心臓の早期承認が望まれている。

2. 特例的に取り扱う理由

- 小児用補助人工心臓は、医療機器・体外診断薬部会(平成23年5月)において、重症心不全小児患者に対する有効な救命及び延命手段として、代替する適切な医薬品等又は治療方法がないものと評価され、希少疾病用医療機器に指定されている。
- 医療現場においては、長期の使用にリスクを伴う既存の補助循環装置を使用せざる得ない状況にあり、これにより小児患者における死亡事例が発生しているなど、一刻も早く長期使用可能な補助人工心臓が提供される必要がある。
- 医師主導国内治験(平成24年3月～継続中)では、承認申請後についても、患者が必要な治療を受けられるよう治験を継続しており、疾病の重

篤性等に鑑み、患者の救命を優先して医学的な判断に基づき治験に参加できるようにしている。

- 日本心臓血管外科学会からの要望を受けて、医療ニーズの高い医療機器の早期導入に関する検討会(平成 21 年 10 月)において審議され、早期導入がなされるべき品目とされている。
- 上述の医療ニーズの高い医療機器の早期導入に関する検討会に対する要望の他、日本小児循環器学会をはじめとした複数の学会及び患者団体からも、早期承認等の要望書が提出されている。

3. 本品の取扱い

上記の背景を踏まえ、EXCOR Pediatric 小児用体外設置式補助人工心臓システム(平成 26 年 11 月 18 日申請)については、薬事承認審査の迅速化に努め、優先審査品目の処理期間(通常審査品目の審査目標期間12ヶ月に対し、9カ月)からさらに審査期間を短縮し、平成 27 年 6 月 18 日付けで承認した。(審査期間7ヶ月)

(参考) 承認された小児用補助人工心臓の使用目的及び承認条件

使用目的: 本品は、従来の投薬治療、外科手術及び補助循環では症状の改善が見込めない小児の重症心不全患者であって、本品による治療が当該患者にとって最善であると判断された患者に対して、心移植に達するまで又は心機能が回復するまでの循環改善を目的に使用される。

承認条件:

1. 小児重症心不全治療及び体外型補助人工心臓に関する十分な知識・経験のある医師により、本品を用いた治療に伴う合併症への対応ができる体制が整った医療機関において、本品が使用されるよう、関連学会と連携の上で必要な措置を講ずること。
2. 1.に掲げる医師が、適応を遵守し、講習の受講等により、本品の操作に関する十分な技能や手技に伴う合併症等に関する十分な知識を得た上で、本品が用いられるよう、関連学会と連携の上で必要な措置を講ずること。
3. 関連学会と連携の上、一定期間は本品を使用する症例(治験症例であって、補助継続中の症例を含む)全例を対象として、使用成績調査を行い、必要に応じ適切な措置を講ずること。