

薬生機審発 0907 第 1 号
平成 3 0 年 9 月 7 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

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実施（第四回）について

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、その開発を促進するため、「日本再興戦略」改訂 2014（平成 26 年 6 月 24 日閣議決定）及び「先駆けパッケージ戦略」（平成 26 年 6 月 17 日厚生労働省取りまとめ）を受け、「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実施について」（平成 27 年 7 月 1 日付け薬食機参発 0701 第 1 号厚生労働省大臣官房参事官（医療機器・再生医療等製品審査管理担当）通知）、「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実施（第二回）について」（平成 28 年 10 月 3 日付け薬生機審発 1003 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知）及び「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実施（第三回）について」（平成 29 年 10 月 5 日付け薬生機審発 1005 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知）のとおり、平成 27 年度より、先駆け審査指定制度を試行的に実施しました。

本年度も、医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品について、下記のとおり試行的に先駆け審査指定制度を実施することとしますので、貴管下関係業者に対して周知願います。

記

1. 制度の趣旨等

これまで、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を解消するため、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）の審査員の増員を通じて審査期間の短縮を図るとともに、学会等からの要望に基づき、医療上の必要性を評価した上で未承認医療機器等の開発要請を通じてこれらの解消に努めてきた。

今般、この考えを更に推し進め、患者に世界で最先端の医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品を最も早く提供することを目指し、先駆け審査指定制度（以下「本制度」という。）として、開発早期の段階から一定の要件を満たす画期的な医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品（以下「対象品目」という。）を指定し、承認に係る相談・審査における優先的な取扱いの対象とすると

ともに、申請者が承認審査のスケジュールに沿って法令上求められる製造体制を整備することや承認後円滑に医療現場に提供するための対応が十分になされることで、更なる迅速な実用化を促すものである。

この制度では、原則として新規原理、新規作用機序等により、生命に重大な影響がある重篤な疾患等に対して、極めて高い有効性が期待される医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品を指定することとする。

また、本制度では PMDA において指名される審査パートナー（以下「コンシェルジュ」という。）が、厚生労働省及び PMDA 関係各部との連携を強化するとともに定期的な進捗管理を通じて開発の迅速化を可能とし、先駆け総合評価相談により事前評価を充実し、かつ優先審査の対象にすること等で、審査期間の短縮を目指す。

2. 指定の要件

指定を受ける医療機器、体外診断用医薬品又は再生医療等製品は、以下の4つのすべての要件を満たすこと。

(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) 指定要件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) 指定要件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、若しくは、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、又は、著しい安全性の向上が見込まれること。

(4) 指定要件4：世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制

日本における早期開発を重視し、世界に先駆けて日本で承認申請される（同時申請も含む）予定のものであり、承認申請できる体制を有していること。

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医療機器、体外診断用医薬品又は再生医療等製品であつて、日本を含めた形で治験を実施するものが望ましい。

3. 指定の手続

(1) 対象品目への指定申請

対象品目への指定を希望する場合は、平成30年10月1日～11月30日の公募期間を設定するので、所定期間内に様式1（先駆け審査指定制度対象品目指定申請書）（別紙及び根拠資料を含む。）により厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課（以下「医療機器審査課」という。）に当該候補品目の指定申請をすること。様式1は紙媒体（正本1部、副本9部）及び電子媒体で郵送

又は持参により提出すること。（平成 30 年 11 月 30 日必着）
なお、1 社で複数申請する場合は、まとめて提出すること。

郵送の場合

〒100-8916 東京都千代田区霞が関 1-2-2
厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課
先駆け審査指定制度担当宛て

(2) ヒアリング

(1) により申請された各品目について、平成 30 年 11 月 5 日～平成 31 年 1 月 18 日までを目処に医療機器審査課においてヒアリングを実施する。ヒアリングは様式 1 及びその根拠資料に基づき実施する。ヒアリングで申請資料の修正等の指示があった場合には、その指示に応じること。

(3) 予備的審査

今回の試行では指定申請が多く行われる可能性があることから、先駆け審査指定に係る評価を適当な期間内に完了するため、また、特定の分野で候補品目が過度に多くならないようにするため、医療機器審査課で予備的審査を行うことがある。

(4) 候補品目の評価及び指定

予備的審査を実施した場合には通過した候補品目、予備的審査を実施しなかった場合には全候補品目に対して、申請資料を PMDA と共有し、PMDA の評価も踏まえた上で、特に優れていると判断されたものについて医療機器審査課で最終的な指定の可否の判断を行い、公表する。なお、これまでの指定品目も含め、特定の分野ごとの総指定数も考慮する。また、薬事・食品衛生審議会薬事分科会に選定結果を報告する。

4. 指定された医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の優先的な取扱い及び留意事項

(1) 優先相談

PMDA で実施されている対面助言等で、他の医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品に優先した取扱いを受けることができる。

(2) 事前評価の充実

PMDA で実施されている先駆け総合評価相談を受けることができる。ただし、申請から承認までの期間を短縮させるために（例えば、医療機器では 6 か月以内）申請前からこれらの枠組みを積極的に活用する必要があることから、コンシェルジュに相談し、指定を受けた後から承認申請までに、原則、全ての相談区分で先駆け総合評価相談を利用すること。

例えば、品質管理や信頼性調査については、承認申請後速やかに日程調整・調査が実施可能となるように、早期の段階から当該調査に必要な情報等を準備することを含め、積極的に相談等の枠組みを活用することに意義があると考えられる。

(3) 優先審査

指定品目はその内容に鑑み、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和 35 年法律第 145 号。以下「医薬品医療機器法」という。）第 23 条の 2 の 5 第 9 項及び第 23 条の 25 第 7 項に規定する「医療上特にその必要性が高いと認められるもの」に該当するため、対象品目への指定をもって優先審査の取扱いを行うこととする。

(4) コンシェルジュ

厚生労働省及び PMDA の連絡調整を行うことができる適当な者として、PMDA において指名される者が、当該対象品目の開発の進捗管理の相談、申請者及び承認審査関係部署との調整を行う。指定後 1 週間を目安に当該対象品目に係るコンシェルジュを対象品目の先駆け審査指定を受けた者に連絡する。

5. 指定の取消し

指定の取り消しは、2. の指定の要件のいずれかに該当しないことが明確になった時点で、先駆け審査指定を受けた者が指定の要件を充足しない旨コンシェルジュを通じて医療機器審査課に報告する。医療機器審査課はその後速やかに薬事・食品衛生審議会薬事分科会に報告する。

なお、医療機器審査課に指定要件を充足しない旨の報告がされた日をもって、4. に掲げる優先的な取扱いは停止することとし、薬事・食品衛生審議会薬事分科会への報告日をもって指定を取消すものとする。

6. その他

(1) 「医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第四回）について」（平成 30 年 9 月 7 日付け薬生薬審発 0907 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）に基づき先駆け審査指定を受けた医薬品の有効性又は安全性の向上等の目的で使用するコンパニオン診断薬等（体外診断用医薬品又は医療機器）については、当該指定を受けた医薬品の開発・承認に遅延が生じないように、2. の指定の要件及び 3. 指定の手續に関わらず、先駆け審査指定制度の指定を受けることがある。その場合、5. 指定の取消しについては、指定を受けた医薬品の取扱いに準ずることとする。

(2) 今後の運用等は、試行的実施の状況等を踏まえ、別途示すこととする。

医療機器先駆け審査指定制度対象品目指定申請書

| | | |
|-----------------------------|--------------------------|--|
| 申請者名 | | |
| 承認番号※ ¹ | | |
| 名称 | 一般的名称※ ² | |
| | 販売名※ ³ | |
| 予定される使用目的又は効果※ ⁴ | | |
| 形状、構造及び原理 | | |
| 予定される使用方法※ ⁵ | | |
| 指定要件への該当性※ ⁶ | | |
| 指定要件 1 | 治療法の画期性 | |
| 指定要件 2 | 対象疾患の重篤性 | |
| 指定要件 3 | 対象疾患に係る著明な有効性 | |
| 指定要件 4 | 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 | |
| ヒアリング希望日※ ⁷ | 第 1 希望 | |
| | 第 2 希望 | |
| | 第 3 希望 | |
| | 第 4 希望 | |
| | 第 5 希望 | |
| | 第 6 希望 | |
| 担当者連絡先 | 氏名 | |
| | 部署名 | |
| | 電話番号 | |
| | FAX 番号 | |
| | E-mail | |
| 特記事項 | | |

上記により、先駆け審査の指定を申請します。

平成 30 年〇月〇日

住所 〒 法人にあつては主たる事務所の所在地

氏名 法人にあつては名称及び代表者の氏名 印

厚生労働大臣 殿

注：※¹～※⁷までは可能な限り、A4 一枚に収まるように記載する。ただし、本様式に収まらない場合については、別紙に添付する旨を記載した上で、指定した別紙にて記載することで可。

※¹：既に承認を取得している場合に記載、未承認の場合には「－」と記載。

※²：一般的名称が決まっている場合には「新設」と記載。

※³：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっている場合には仮称を記載。

※⁴：申請時点で予定している使用目的又は効果を記載。

※⁵：申請時点で予定している使用方法を記載。

※⁶：指定要件への該当性について、端的に根拠に基づいて記載。根拠となる臨床又は非臨床試験成績の概要は別紙に添付することで可。

※⁷：ヒアリング希望日時については、1 時間を一コマとして「〇月〇日〇時～〇時」と記載する。平成 31 年 1 月 18 日までヒアリングを行うことが難しい場合には、医療機器審査管理課に相談すること。

医療機器の先駆け審査指定制度の指定要件該当性に関する概要

| | | |
|-------|--|---|
| 申請者名 | | |
| 名称 | 一般的名称 ^{※1} | |
| | 販売名 ^{※2} | |
| 指定要件1 | 治療法の画期性 ^{※3} | <input type="checkbox"/> 新規原理を有する <input type="checkbox"/> その他 () |
| | (上記要件に該当すると判断した要旨) | |
| 指定要件2 | 対象疾患の重篤性 ^{※3} | <input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <input type="checkbox"/> 根治療法がなく症状(社会生活が困難な状況)が継続している疾患 |
| | (対象疾患の概要 ^{※4}) | |
| 指定要件3 | 対象疾患に係る極めて高い有効性 ^{※3} | <input type="checkbox"/> 既存の治療法が存在しない <input type="checkbox"/> 既存の治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる ^{※5} |
| | (対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨) | |
| 指定要件4 | 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 ^{※3} | <input type="checkbox"/> 世界に先駆けて日本で(単独に)承認申請される予定 <input type="checkbox"/> 世界で初めて承認申請(複数の国・地域を対象とする場合に限り)を行う対象として日本が含まれる予定 <input type="checkbox"/> 承認申請できる体制を有している |
| | 承認申請予定時期 | |
| | | (開発に関する進捗状況・予定の概況 ^{※6}) |

※1：一般的名称が決まっていない場合には「新設」と記載。

※2：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていない場合には仮称を記載すること。

※3：該当する□を塗りつぶすこと。

※4：患者背景、申請品の推定対象患者数も記載すること。

※5：当該項目を選択した場合、有効性の大幅な改善が見込まれる理由を端的に記載すること。

※6：先駆け総合評価相談の活用予定時期を含めて、記載すること。

体外診断用医薬品先駆け審査指定制度対象品目指定申請書

| | | |
|-------------------------|--------------------------|--|
| 申請者名 | | |
| 承認番号※ ¹ | | |
| 名称 | 一般的名称※ ² | |
| | 販売名※ ³ | |
| 予定される使用目的※ ⁴ | | |
| 形状、構造及び原理 | | |
| 反応系に関与する成分 | | |
| 予定される使用方法※ ⁵ | | |
| 指定要件への該当性※ ⁶ | | |
| 指定要件 1 | 診断法の画期性 | |
| 指定要件 2 | 対象疾患の重篤性 | |
| 指定要件 3 | 対象疾患に係る著明な有効性 | |
| 指定要件 4 | 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 | |
| ヒアリング希望日※ ⁷ | 第 1 希望 | |
| | 第 2 希望 | |
| | 第 3 希望 | |
| | 第 4 希望 | |
| | 第 5 希望 | |
| | 第 6 希望 | |
| 担当者連絡先 | 氏名 | |
| | 部署名 | |
| | 電話番号 | |
| | FAX 番号 | |
| | E-mail | |
| 特記事項 | | |

上記により、先駆け審査の指定を申請します。

平成 30 年〇月〇日

住所 〒 法人にあつては主たる事務所の所在地

氏名 法人にあつては名称及び代表者の氏名 印

厚生労働大臣 殿

注：※¹～※⁷までは可能な限り、A4 一枚に収まるように記載する。ただし、本様式に収まらない場合については、別紙に添付する旨を記載した上で、指定した別紙にて記載することで可。

※¹：既に承認を取得している場合に記載、未承認の場合には「－」と記載。

※²：一般的名称が決まっている場合には「新設」と記載。

※³：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっている場合には仮称を記載。

※⁴：申請時点で予定している使用目的を記載。

※⁵：申請時点で予定している使用方法を記載。

※⁶：指定要件への該当性について、端的に根拠に基づいて記載。根拠となる臨床又は非臨床試験成績の概要は別紙に添付することで可。

※⁷：ヒアリング希望日時については、1 時間を一コマとして「〇月〇日〇時～〇時」と記載する。平成 31 年 1 月 18 日までにヒアリングを行うことが難しい場合には、医療機器審査管理課に相談すること。

体外診断用医薬品の先駆け審査指定制度の指定要件該当性に関する概要

| | | |
|-------|--|---|
| 申請者名 | | |
| 名称 | 一般的名称 ^{※1} | |
| | 販売名 ^{※2} | |
| 指定要件1 | 診断法の画期性 ^{※3} | <input type="checkbox"/> 新規原理を有する <input type="checkbox"/> 新規測定項目を有する <input type="checkbox"/> その他 () |
| | (上記要件に該当すると判断した要旨) | |
| 指定要件2 | 対象疾患の重篤性 ^{※3} | <input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <input type="checkbox"/> 根治療法がなく症状(社会生活が困難な状況)が継続している疾患 |
| | (対象疾患の概要 ^{※4}) | |
| 指定要件3 | 対象疾患に係る極めて高い有効性 ^{※3} | <input type="checkbox"/> 既存の診断法が存在しない <input type="checkbox"/> 既存の診断法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる ^{※5} |
| | (対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨) | |
| 指定要件4 | 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 ^{※3} | <input type="checkbox"/> 世界に先駆けて日本で(単独に)承認申請される予定 <input type="checkbox"/> 世界で初めて承認申請(複数の国・地域を対象とする場合に限る)を行う対象として日本が含まれる予定 <input type="checkbox"/> 承認申請できる体制を有している |
| | 承認申請予定時期 | |
| | | (開発に関する進捗状況・予定の概況 ^{※6}) |

※1：一般的名称が決まっていない場合には「新設」と記載。

※2：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていない場合には仮称を記載すること。

※3：該当する□を塗りつぶすこと。

※4：患者背景、申請品の推定対象患者数も記載すること。

※5：当該項目を選択した場合、有効性の大幅な改善が見込まれる理由を端的に記載すること。

※6：先駆け総合評価相談の活用予定時期を含めて、記載すること。

再生医療等製品先駆け審査指定制度対象品目指定申請書

| | | |
|---------------------------------|--------------------------|--|
| 申請者名 | | |
| 承認番号※ ¹ | | |
| 名称 | 一般的名称※ ² | |
| | 販売名※ ³ | |
| 予定される効能、効果又は性能※ ⁴ | | |
| 形状、構造、成分、分量又は本質 | | |
| 予定される用法及び用量又は使用方法※ ⁵ | | |
| 作用機序等※ ⁶ | | |
| 指定要件への該当性※ ⁷ | | |
| 指定要件 1 | 治療法の画期性 | |
| 指定要件 2 | 対象疾患の重篤性 | |
| 指定要件 3 | 対象疾患に係る著明な有効性 | |
| 指定要件 4 | 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 | |
| ヒアリング希望日※ ⁸ | 第 1 希望 | |
| | 第 2 希望 | |
| | 第 3 希望 | |
| | 第 4 希望 | |
| | 第 5 希望 | |
| | 第 6 希望 | |
| 担当者連絡先 | 氏名 | |
| | 部署名 | |
| | 電話番号 | |
| | FAX 番号 | |
| | E-mail | |
| 特記事項 | | |

上記より、先駆け審査の指定を申請します。

平成 30 年〇月〇日

住所 〒 法人にあっては主たる事務所の所在地

氏名 法人にあっては名称及び代表者の氏名 印

厚生労働大臣 殿

注：※¹～※⁸までは可能な限り、A4 一枚に収まるように記載する。ただし、本様式に収まらない場合については、別紙に添付する旨を記載した上で、指定した別紙にて記載することで可。

※¹：既に承認を取得している場合に記載、未承認の場合には「－」と記載。

※²：一般的名称が決まっている場合には「治験識別記号等」を記載。

※³：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっている場合には仮称を記載。

※⁴：申請時点で予定している効能、効果又は性能を記載。

※⁵：申請時点で予定している用法及び用量又は使用方法を記載。複数の用量を検討中の場合には、主たる用法・用量と考えているものを記載し、その他の用法・用量も併記。

※⁶：作用機序を記載。特に既存の製品との相違点が明確になるように類似していると思われるものを網羅的に例示した上で、違いを記載。

※⁷：指定要件への該当性について、端的に根拠に基づいて記載。根拠となる臨床又は非臨床試験成績の概要は別紙に添付することで可。

※⁸：ヒアリング希望日時については、1 時間を一コマとして「〇月〇日〇時～〇時」と記載する。平成 31 年 1 月 18 日までにヒアリングを行うことが難しい場合には、医療機器審査管理課に相談すること。

再生医療等製品の先駆け審査指定制度の指定要件該当性に関する概要

| | | |
|-------|--|---|
| 申請者名 | | |
| 名称 | 一般的名称 ^{※1} | |
| | 販売名 ^{※2} | |
| 指定要件1 | 治療法の画期性 ^{※3} | <input type="checkbox"/> 新規作用機序を有する <input type="checkbox"/> その他 () |
| | (上記要件に該当すると判断した要旨) | |
| 指定要件2 | 対象疾患の重篤性 ^{※3} | <input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <input type="checkbox"/> 根治療法がなく症状(社会生活が困難な状況)が継続している疾患 |
| | (対象疾患の概要 ^{※4}) | |
| 指定要件3 | 対象疾患に係る極めて高い有効性 ^{※3} | <input type="checkbox"/> 既存の治療法が存在しない <input type="checkbox"/> 既存の治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる ^{※5} |
| | (対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨) | |
| 指定要件4 | 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 ^{※3} | <input type="checkbox"/> 世界に先駆けて日本で(単独に)承認申請される予定 <input type="checkbox"/> 世界で初めて承認申請(複数の国・地域を対象とする場合に限り)を行う対象として日本が含まれる予定 <input type="checkbox"/> 承認申請できる体制を有している |
| | 承認申請予定時期 | |
| | | (開発に関する進捗状況・予定の概況 ^{※6}) |

※1：一般的名称が決まっていない場合には「治験識別記号等」を記載。

※2：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていない場合には仮称を記載すること。

※3：該当する□を塗りつぶすこと。

※4：患者背景、申請品の推定対象患者数も記載すること。

※5：当該項目を選択した場合、有効性の大幅な改善が見込まれる理由を端的に記載すること。

※6：先駆け総合評価相談の活用予定時期を含めて、記載すること。