

③ A 群と B 群の効果の違い

総合機構は、本品を前期に使用した B 群の方が A 群より改善量が大きく、また本品を後期に使用した A 群においては大きな改善量が得られなかった理由について、申請者に考察を求めた。

申請者は、次のように回答した。A 群と B 群の相違として挙げられるのは、前述のように B 群の治療間隔が密であったこと、及び入院率が高かったことである(図 8(c)、表 20(d))。A 群の平均治療間隔は■■■日、B 群は■■■日であり、治療間隔が短い症例の多くは入院、長い症例の多くは外来であった。A 群の後期にあたる治療期 2 において治療効果を上げられなかったのは、A 群の被験者に治療間隔が長い特徴のある外来患者が多かったことが原因と考えられた。これに加え、A 群治療期 2 は治療期 1 を経た後となるため、前観察期で行う本品の動作確認からの経過時間が長くなり、治療期 2 の開始前に動作確認テストを実施できない計画であったことから、効果が十分発揮できなかった可能性がある。したがって、今後外来群における有効性を向上するため、日々細やかな調整を行い、適切なプログラムを実施することが必要と考えられた。なお、両群の移行期間は A 群■■■日、B 群■■■日であり大きな違いはなかった。

総合機構は、申請者の説明に概ね同意する。また、臨床試験のプロトコル上想定される最長でも 16 週程度の本品による介入の遅れ期間での病態の大きな変化は想定しにくいと考えられる。加えて、A 群治療期 1 (ホイスト) での積極的な治療においても一定の効果が見られており、この効果は移行期にウォッシュアウトされていなかったため、治療期 2 (本品とホイスト) の効果に飽和傾向が生じ、緩徐となった可能性も想定される。総合機構は②③の回答に基づき治療間隔が効果に影響する可能性があると考え、臨床試験で得た知見をもとに情報提供を行うよう申請者に求め、申請者は推奨する治療間隔について、添付文書で情報提供を行うこととした。総合機構は、適切な使用方法のもとであれば、本品の上乗せ治療効果は期待できると判断した。

総合機構は、以上①～③の議論を踏まえ、本品は対照群であるホイスト補助下での本品非装着治療効果を上回る治療効果を示しており、主要評価項目における本品の有効性は認められると考える。臨床試験で示された歩行機能の改善効果は、「(1) 対象患者を一括して評価する妥当性について」の「1) 共通の奏効機序について」に記載したように、生体電位信号を利用して、歩行動作へのアシストを加えて歩行運動を繰り返し行うことで、通常の方法より効果的に改善効果が得られたものと考えられるが、それに対して既存療法にない新規機序が寄与しているかどうかは現時点では明らかではない。なお、得られた上乗せ効果は全期間で約 10%、前期 (A 群治療期 1、B 群治療期 2) の比較で約 16%と見込まれ、また、得られた歩行機能はホイストの使用が前提 (2 分間歩行テストはホイストを用いて行われた) という制約があるため、患者の日常生活へのベネフィットを十分確認できたとするには現時点では限界がある。しかし緩徐に歩行機能が低下していく患者においては、上乗せ効果に

臨床的意義はあると考えられる。一方、添付文書においては、臨床試験の成績、制約と有害事象の頻度を情報提供し、リスクベネフィットを考慮した適切な使用を促すことが必要と考え、これらへの対応について申請者は同意した。また、総合機構は、本品を有効に使用するためには、治療プログラムを含む使い方を最適化していくことが重要と考え、後述の「(5) 治療プログラム、使用方法について」に示す検討を行った。

なお、臨床試験の評価においては可能な限り客観性の確保に努められたと考えられるが、歩行評価においてホイストを操作者が引く操作の影響、非盲検の影響も想定される。バイアスの完全な排除には限界があったと考えるものの、対象疾患の希少性、治療の選択肢としての存在意義を含め総合的な判断を行った。また総合機構は、後述の「ト. 医療機器の製造販売後の調査及び試験の実施の基準に関する省令第 2 条第 1 項に規定する製造販売後調査等の計画に関する資料」に述べるデータ収集が、今後必要と考える。

3) 副次評価項目の成績

総合機構は、副次評価項目①～⑤の治療効果において、統計学的有意差が徒手筋力テストの一部を除き見られなかったことを踏まえ、得られたデータの解釈について申請者に考察を求めた。

申請者は、次のように回答した。①10m 歩行テストについて、クロスオーバー法による解析及び A 群治療期 1（ホイスト）と B 群治療期 2（本品とホイスト）の比較において統計学的な有意差は認められていないものの、B 群治療期 2 で変化率が大きく 2 分間歩行テストと一貫性のある結果と考えられ（表 10）、本品による歩行機能改善を支持するものとする。A 群 13 例、B 群 11 例において、歩行速度の推移を図 9 に示す。前期の A 群治療期 1 では 69.2%、前期の B 群治療期 2 では 100%の症例で改善が見られた。B 群治療期 2 の症例の 81.8%において A 群治療期 1 の改善率の平均値を上回る改善率が見られた。前後期を合わせると、治療期 1 で改善した症例は 66.7%、治療期 2 で改善した症例は 91.7%であった。

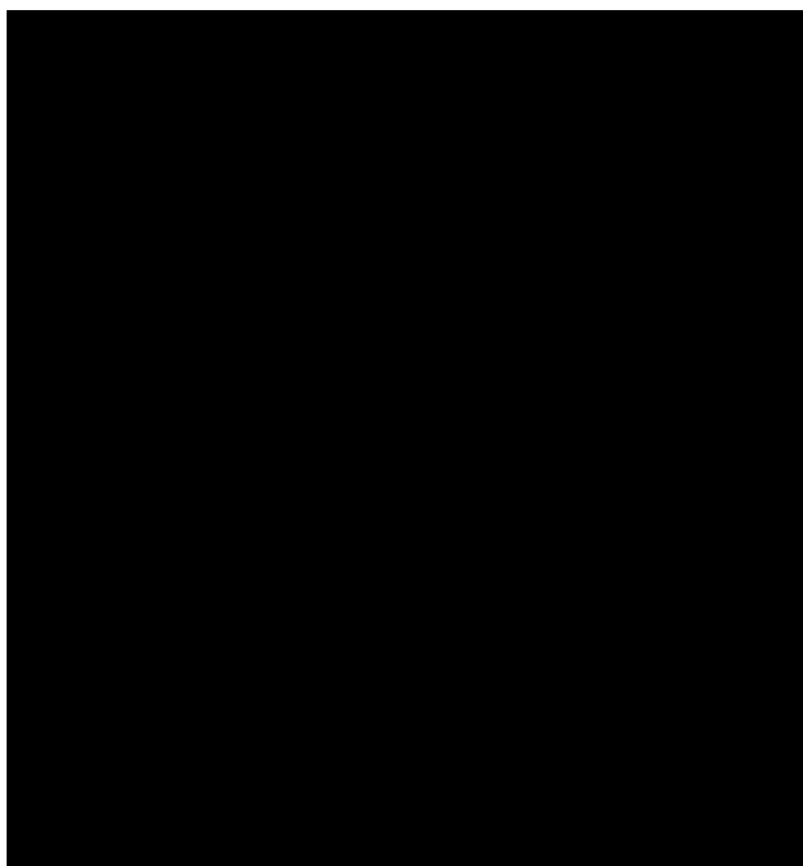


図 9 各症例の 10m 歩行テスト*2（速度）の成績の推移
 横軸：実施数（回目）、縦軸：速度（m/秒）
 ----- 治療期 1（ホイスト）
 ——— 治療期 2（本品とホイスト）

また、②患者自身による主観的歩行評価、③医療従事者による歩行評価、④徒手筋力テスト、⑤ADL 評価における改善症例率を表 21～24 に示す。

表 21 患者自身による主観的歩行評価の改善症例率

	100－歩行 時の疲労感	歩行時の 足の軽さ	歩行時の 安定性	歩行時の 安心感	歩行時の 楽しさ
A 群治療期 1					
B 群治療期 2					
両群治療期 1					
両群治療期 2					

*2 医療機器・体外診断薬部会終了後に訂正（訂正前：10 歩行テスト）

表 22 医療従事者による歩行評価の改善症例率

	立脚期	遊脚期
A 群治療期 1		
B 群治療期 2		
両群治療期 1		
両群治療期 2		

表 23 徒手筋力テストの改善症例率

	股関節屈曲・右	股関節屈曲・左	股関節伸展・右	股関節伸展・左	膝関節屈曲・右	膝関節屈曲・左	膝関節伸展・右	膝関節伸展・左	足関節背屈・右	足関節背屈・左	足関節底屈・右	足関節底屈・左
A 群治療期 1												
B 群治療期 2												
両群治療期 1												
両群治療期 2												

表 24 ADL 評価（Barthel Index）の改善症例率

	食事	車椅子からベッドへの移動	整容	トイレ動作	入浴	歩行	階段昇降	着替え	排便コントロール	排尿コントロール
A 群治療期 1										
B 群治療期 2										
両群治療期 1										
両群治療期 2										

②患者自身による主観的歩行評価においては、歩行の疲労感を除き、治療期 2 により改善した率が治療期 1 に比較してやや高い傾向であったが、明らかな傾向を見出すことはできなかった。③医療従事者による歩行評価においては大きな傾向は見られなかった。④徒手筋力テストは一部を除いて治療期 2 の改善症例率が若干高い傾向があった。クロスオーバー法による解析にて、治療期 2（本品とホイスト）が左股関節屈曲で統計学的に有意な改善を認めているものの、左股関節屈曲以外は明らかな傾向は認められなかった。⑤ADL 評価では多くの項目が治療前後で変動なしであり、歩行において改善症例率に治療期 1 の方が高い傾向があったが、スコア 1 段階改善した症例が治療期 1 において■例、治療期 2 において■例見られ、他の症例はすべて変動なし（悪化なし）であった。

これらについては計画した解析において有意差が見られなかったものの、2 分間歩行テ

ストの結果と矛盾するものではなく、本品を用いることにより歩行機能の改善が得られることを支持するものと考える。

総合機構は、現時点では限られた症例数における副次評価とならざるを得なかった点を理解する。その範囲において、本品の効果は一部を除き概ねホイス補助下での本品非装着治療の効果を上回る傾向があると推察される。徒手筋力テストの左股関節屈曲における有意な変動は、主要評価項目における歩行機能の改善に関連した結果である可能性があるが、現時点で明確な結論には至っていない。なお、今回十分な評価が行われなかった QOL 等の患者の日常生活上のベネフィットについては、承認後の使用成績評価にて調査し（「ト．医療機器の製造販売後の調査及び試験の実施の基準に関する省令第 2 条第 1 項に規定する製造販売後調査等の計画に関する資料」参照）、臨床現場に情報提供することが適切と判断した。

⑥操作者の評価について申請者は、次のように説明した。臨床試験において装着時間は 5 回目以降 5 分程度という結果であったが、電極の位置決め調整の時間は含まれていなかった。患者を疲労させないためには装着時間は平均 5 分以内が推奨される。電極位置決めについては、HAL 福祉用に比べて本品の生体電位信号の検出力は向上しているため、電極の貼付け位置は、対象患者の体格と触診による筋収縮場所の確認から決定することができる。電極貼付位置の調整方法について添付文書において情報提供することとする。なお、一度定めた貼付け場所を次回以降にも再現するため、対象患者の皮膚へのマーキング、記録用フォームへの記録、貼付状態の写真撮影が考えられる。

総合機構は、今後得られる装着に関する知見も踏まえ、最適な手順等の情報提供を行うなど、引き続き運用の改良を図っていくことで適切と判断し、申請者は同意した。

(3) 安全性評価について

1) 有害事象

総合機構は、有害事象について、以下の観点から検討した。

- ① 筋障害の可能性について
- ② 転倒のリスクについて
- ③ 重篤な有害事象について
- ④ その他の有害事象について

① 筋障害の可能性について

総合機構は、対象疾患における筋障害も考慮し、本品を使用した治療に伴う過負荷が筋に与える影響を検討すべきと考え、筋障害等に関連すると思われる有害事象について分析するよう申請者に求めた。

申請者は次のように回答した。一般に歩行運動療法では筋又は関節への負荷がかかるこ

とで筋肉痛又は関節痛が生じることがあり、過度の負荷がかかった場合には筋の損傷に至る危険性があることから、歩行運動療法時の負荷は適切な範囲にコントロールされる必要がある。臨床試験では、対象疾患に筋への負荷に対して脆弱性があると考えられる筋疾患が含まれていることから、本品を用いた治療は医師及び理学療法士等の適切な管理の下に実施された。

治療期 2（本品とホイスト）における筋肉痛及びその他の痛み（関節痛、背部痛、筋骨格痛、頸部痛、変形性関節症、四肢痛、疼痛）は 30 例中 12 例（15 件）となっており、治療期 1（ホイスト）における発現 29 例中 7 例（10 件）と比較して、やや多い傾向があった（移行期等に発現し各治療期に関連するものを含めた集計）。また、筋肉痛及びその他の痛みの有無と本品の治療の効果（平均改善率）との関係性については、表 25 のとおりとなった。

表 25 筋肉痛及びその他の痛みの有無と治療の効果（平均改善率）

	治療期 1	治療期 2
筋肉痛・その他痛みあり	11.3% (n=4)	19.8% (n=9)
筋肉痛・その他痛みなし	6.8% (n=20)	15.0% (n=15)
筋肉痛あり	22.5% (n=1)	24.0% (n=2)
筋肉痛なし	6.9% (n=23)	16.2% (n=22)

2 分間歩行テストの改善率が高くなるにつれ、治療期 1、治療期 2 に共通して筋肉痛及びその他の痛みが多くなる傾向があり、改善率の高い治療期 2 では痛みの事象が多くなっている可能性が考察できる。また治療期 2 では、徒手筋力テストで改善が認められた 14 例中 10 例に痛みの事象を認めた。治療期 1 では徒手筋力テストで改善を認めた 8 例中 2 例において痛みの事象を認めた。

一方、治療期 2 に悪化が見られた 7 症例を調査したところ、2 例に治療期 2 に関連する痛みの事象を認めた。1 例は変形性膝関節症であったが徒手筋力テストは改善し、もう 1 例は上肢筋肉痛（ホイストを握る際に力を入れすぎたことが原因）であり下肢機能との関連は低いと考えられた。また、徒手筋力テストが悪化した 4 症例を調査したところ、そのうち 1 症例にのみ上肢筋肉痛（前述と同症例）を認め、他の 3 症例には痛みの有害事象を認めなかった。

本品との因果関係を否定できない筋肉痛は 4 件生じた。

- ・本品がスムーズに動作できず、普段使わない筋肉を使ったため的大腿前面の軽度の筋肉痛 1 件（症例 ■■■■、脊髄性筋萎縮症、入院）
- ・本品装着下の歩行に不慣れでバランスが不安定であったため、ホイストを掴んで支えていたことによる前腕筋肉痛 1 件（症例 ■■■■、遠位型ミオパチー、入院）
- ・本品装着下の治療の影響による両下肢ハムストリングス及び下肢三頭筋の筋肉痛 1 件（症例 ■■■■、球脊髄性筋萎縮症、外来）

- ・動作確認テスト時に本品が重かったための筋肉痛 1 件（症例 ■■■■、遠位型ミオパチー、外来）

これらは数日以内に回復した。筋肉痛は見られたものの、長期的に未回復であった事象はなく、強い負荷に対して脆弱である対象患者において、筋組織が著しく損傷されるような事象は発生していないと考えられた。臨床試験においては本品による過度の筋負荷及び筋損傷のリスクは適切にコントロールされていたと考える。筋肉痛以外の因果関係を否定できない痛みの事象は、本品が背骨に当たったための背部痛 1 件、原因不明の下腿前面から足関節部分の疼痛 1 件、長距離を歩くことができるようになったために発現したと考えられる変形性膝関節症 1 件、同理由による背部痛 1 件、四肢痛 1 件及び関節痛 1 件であった。変形性膝関節症は類似する症例に注意が必要であり、本品装着前の診断、使用継続の適否の確認が必要と考えられた。

以上より、本品を用いた治療において筋障害のリスクを回避するためには慎重な対応が必要と考えられるものの、臨床試験では医師及び理学療法士等が本品を用いた治療を適切に管理したことにより、ホイスト単独での治療を大きく上回る危険性は認められなかったことから、適切な管理及び治療プログラムの下に本品を使用することで筋障害のリスクはコントロール可能と考える。今回の臨床試験と同程度の治療の実施（頻度、運動量等）を上限として患者毎に疲労、筋肉痛等の影響を確認し調整すること、及び本品の適切な調整、設定を行うことでリスクを低減可能と考える。

長期的影響に関しては、本品を長期にわたって使用した臨床試験は実施されていないことから、長期使用については漫然と使用すべきでなく、短期改善効果を確認し、効果を認めなくなった時点で継続の可否を検討すべきと考える。適正使用基準等において情報提供すると共に、9 回を超える長期使用のデータはなく安全性、有効性が確認されていない旨を添付文書の重要な基本的注意に追記する。

総合機構の見解は、安全性の考察として④の後にまとめて述べる。

② 転倒のリスクについて

総合機構は、本品に関連する転倒のリスクについて、治療中はホイストを使用するため発生しないが、装着状態に馴化した後に外した状態で身体感覚等が変容し、転倒又は歩行不安定を来す恐れがないかについて、申請者に見解を求めた。また、臨床試験中には転倒が 4 例 4 件（症例 ■■■■、■■■■、■■■■、■■■■、うち因果関係を否定できないものは症例 ■■■■の 1 例 1 件）発生したとしているが、その他にも転倒によると思われる事象が見られることも踏まえ、転倒関連有害事象の発生状況について考察するよう求めた。

申請者は、次のように回答した。本品の対象となる患者は神経・筋疾患により歩行機能が低下しており、もともと転倒のリスクが高い患者であることに加えて、本品を用いた治療により歩容（歩行動作パターン）や日常生活における活動性に変化が生じる可能性があることから、本品使用中又は使用後に転倒リスクが増大する可能性がある。臨床試験で認められた

転倒関連有害事象の発現時期及び概要は表 26、27 のとおりであった。

表 26 転倒関連有害事象の詳細（因果関係なし）

症例 ID 割付群	【事象名】 症例報告書記載事象名 ／基本語（MedDRA/J）	症例状況の詳細（モニタリング報告書）
■ A 群	頭部打撲／挫傷	治療期 2 の 7 回目治療翌日に発現。 乗っていた車椅子が清掃カートにぶつかり、バランスを崩して転倒し、腰部・頭部を打撲した。腰部は転倒の際に尻をついた程度であり、打撲はなく AE と判断しない。偶発的な事象であり、「関連なし」と判断した。
■ A 群	右膝蓋骨骨折／膝蓋骨骨折	後観察期（治療期 2 の 9 回目治療 6 日後）に発現。 自宅で、立ち上がり動作のときに椅子のストッパーをかけ忘れ転倒し発現した。不注意によるものであり、「関連なし」と判断した。
■ B 群	臀部打撲／挫傷	治療期 2 の 8 回目治療 7 日後に発現。 自宅でしりもちをついたことにより発現し、「関連なし」と判断した。
■ A 群	打撲痛（左腕）／挫傷	治療期 1 の 8 回目治療後に発現。 転倒し腕を打撲した。偶発的な事象であり「関連なし」と判断した。
■ A 群	転倒／転倒	治療期 2 の 4 回目治療翌日に発現。 家具にひっかかって前に倒れた。打撲や疼痛はなし。偶発的な事象であり「関連なし」と判断した。
■ A 群	口唇の打撲／挫傷	治療期 2 の 6 回目治療 2 日後に発現。 風呂場で転倒し、口を打撲し唇の裏側が腫脹した。腫脹は打撲による随伴症状である。偶発的な事象であり「関連なし」と判断した。
■ B 群	転倒／転倒	治療期 1 の 3 回目治療翌日に発現。 自宅で転倒した。偶発的な事象であり「関連なし」と判断した。 （本事象による二次的な事象として、「疼痛（腰部と右膝窩部）」（症例報告書記載事象名）を別途有害事象として報告あり。）
■ B 群	打撲（左上腕）／挫傷	前観察期の 2 回目治療 4 日後に発現。 治療外での、原疾患進行に伴う膝折れによる転倒が原因であり、「関連なし」と判断した。
■ B 群	転倒／転倒	治療期 1 の 7 回目治療 6 日後に発現。 転倒に伴う疼痛はなし。偶発的な事象であり「関連なし」と判断した。
■ B 群	右手首捻挫／靱帯捻挫	前観察期の 2 回目治療 4 日後に発現。 自転車転倒し発現した。本品を使用して治療を実施する前の事象であり、「関連なし」と判断した。

表 27 転倒関連有害事象の詳細（因果関係を否定できない）

症例 ID 割付群	【事象名】 症例報告書記載事象名 ／基本語（MedDRA/J）	症例状況の詳細（モニタリング報告書）
■ A 群	後頭部打撲／挫傷	治療期 2 の 6 回目治療翌日に発現。 椅子に座り損ねてバランスを崩し転倒し発現、意識消失や吐き気はなし。本品を使用している時期に転倒し発現しており、因果関係は否定しきれないことから「関連あるかもしれない」と判断した。
■ A 群	転倒／転倒	後観察期（治療期 2 の 9 回目治療 10 日後）に発現。 雪の日に転倒、打撲等、他の AE はなし。本品の治療実施により歩幅が大きくなったことが原因で、重心バランスを崩して転倒したことから、「おそらく関連あり」と判断した。

有害事象名「転倒」の 4 件の他に、「挫傷」等として記載している有害事象において、原

因が転倒であった事象もある。これらを含めた転倒は 12 件であり、そのうち本品の使用申中又は使用後に生じたものは 9 件であった。このうち因果関係を否定できない事象は、有害事象名「転倒」1 件に加え、「挫傷」として記載している 1 件の計 2 件であった（表 27）。症例 ■■■■ では本品を用いた治療により歩幅の変化が生じたことが転倒の原因となったと治験担当医師により考察されており、本品を用いた治療により生じた歩容（歩行動作パターン）の変化が転倒リスクを増大させる可能性が示唆されるが、原因としての歩幅の改善は治療期 1（ホイス）の影響も考えられ、転倒のリスクは本品を使用した治療に限ったものではない。

ただし、本品を使用した治療期間中とその後において、歩行機能の改善の結果、歩容の変化や、活動性の増加に伴うと思われる日常生活申の転倒事例があつたことを踏まえ、転倒リスク増大の懸念から、治療時のみならず日常生活申において、転倒リスクに対する適切な情報提供及び対策を行うよう、添付文書の重要な基本的注意や適正使用ガイド等申において注意喚起を行う。

総合機構の見解は、安全性の考察として④の後にまとめて述べる。

③ 重篤な有害事象について

総合機構は、臨床試験で発生した重篤な有害事象はすべて因果関係を否定されているが、先行する HAL 福祉用で類似の事象（脳梗塞など）が発生していないか報告を求めた。

申請者は、HAL 福祉用申においては発生していないと回答した。

総合機構の見解は、安全性の考察として④の後にまとめて述べる。

④ その他の有害事象について

その他の有害事象について、総合機構は、発生状況、原因の分析及び対策と、発生率等の情報を提供することによりリスクとベネフィットを考慮した使用を促すことについて申請者に検討を求めた。

申請者は、次のように回答した。因果関係を否定できない有害事象 19 件から、上述した筋肉痛その他の痛み 10 件、転倒関連 2 件を除いた 7 件の詳細は、電極又はマーキングテープによる皮膚炎等 4 件、本品装着により生じた大腿後面の皮膚剥離 1 件、装着時の外踝の擦過傷 1 件、装着した下腿カフによる下腿部擦過傷 1 件であった。電極装着部位の皮膚炎等は皮膚の観察を毎行い、自然治癒しない場合は軟膏処置等を行行、悪化する場合は一時中止することでリスクを低減できる。擦過傷 2 件は頻度として低く、患者状態を注意深く観察し、意見聴取に基づいて装着調整することで、更にリスクを低減できる。臨床試験申の有害事象の発生状況を添付文書に記載する。

総合機構は、①～④を踏まえ、本品の安全性について次のように考える。

筋への過負荷について、申請者が説明しているように、臨床試験申において見られた筋肉痛等は一過性であり、明らかな筋損傷が認められたとは判断されなかつた。一方、本品を用い

た治療は、本品のアシストが股関節、膝関節の各 1 軸回転に限られること、また必ずしも患者の筋障害部位に応じた独特の歩容等に適合した歩行様態でのアシストを行うことができるとは限らないことから、患者の全身各所の筋（非障害筋を含む）に対し日常生活又は通常の歩行運動療法では想定されない負荷を与え、通常の歩行運動療法と比較して筋肉痛及びその他の痛みが生じるリスクが増大することが懸念され、特に筋疾患では負荷に対する脆弱性があることから、過度な負荷とならないように医師及び理学療法士の適切な管理の下に本品が使用される必要があると考える（「(5)治療プログラム、使用方法について」参照）。また、臨床試験では測定されていないものの、筋損傷の程度を評価する指標である血清 CK 値及びアルドラーゼ等を参考とすることで、過度な負荷が生じた場合に早期に発見できる可能性があることから、使用成績評価においては筋障害に関する評価項目を設定することが適切と考える（「ト．医療機器の製造販売後の調査及び試験の実施の基準に関する省令第 2 条第 1 項に規定する製造販売後調査等の計画に関する資料」参照）。

転倒のリスクについて、表 26 に示しているように、本品使用前に生じたもの等、明らかに別の要因によると考えられるものもあるが、はっきりとした原因を特定できない事象も含まれる。表 27 の事象も併せて考えれば、本品を用いた治療は、歩容及び日常生活における活動機能を変化させる可能性について現時点では否定できず、もともと転倒リスクが高い歩行機能の低下した患者が本品の対象となることを考慮すると、転倒リスクが増大する可能性に対する適切な対応を規定する必要があると考える。したがって、添付文書における注意喚起に加えて、医師及び理学療法士に対する情報提供、並びに患者に対する医師及び理学療法士による指導と情報提供を行うことが必要であり、申請者の対応は妥当と考える。

なお、臨床試験では 9 回を超える反復使用はされておらず、一般に緩徐進行性の神経筋疾患に対する治療は、疾患の進行状況に応じて繰り返し行われることが想定されることから（「(5) 治療プログラム、使用方法について」参照）、長期の使用における安全性について、使用成績評価において確認する必要があると考える。特に神経・筋疾患では治療を実施するにあたり、過度の身体活動に起因する筋力低下（過用性筋力低下）のリスクが想定されることから、短期的な筋障害のリスクに加えて、長期的に本品を使用した場合の過用性筋力低下のリスク評価及び適切な運動量（負荷量、頻度等）の検討を使用成績評価において行う必要があると考える（「ト．医療機器の製造販売後の調査及び試験の実施の基準に関する省令第 2 条第 1 項に規定する製造販売後調査等の計画に関する資料」参照）。

その他の有害事象について、多くは軽度（日常生活が妨げられない）であり、本品との因果関係を否定できないものは全て軽度であった点も踏まえ、大きな問題を生じる可能性は低いと考える。ただし、臨床試験の症例数が限られるため、承認後にもデータを収集し未知の有害事象や新たな傾向などを確認し、適切な対応をとることが必要と判断した（「ト．医療機器の製造販売後の調査及び試験の実施の基準に関する省令第 2 条第 1 項に規定する製造販売後調査等の計画に関する資料」参照）。

総合機構は、臨床試験において発生の報告がないものの、身体にパワーユニットを密着させて駆動させる構造を有することから、ペースメーカ、ICD 等との相互作用とリスク低減措置について説明するよう申請者に求めた。

申請者は、次のように回答した。筋原性疾患には心筋の異常を伴う疾患があり、特にデュシェンヌ型筋ジストロフィー、筋強直性ジストロフィーでは ICD、ペースメーカを使用している患者が存在する。HAL 福祉用モデル（研究モデル）利用の際には自社とペースメーカの製造会社において相互作用による不具合の危険性は想定できないとの判断をした。本品においては、医師の指示の下で医療施設又は医療従事者と共に使用することでリスクをコントロール可能と考える。このように構造上影響は少ないと予想されるが、影響する可能性を除外できないので、添付文書の「相互作用」において、ペースメーカ等を使用している患者に適用する場合は、専門の医師の指導と監督に基づき行うこと等を記載する。

総合機構は、ペースメーカ、ICD 等との相互作用に関し、現時点で以上の対応は適切と判断する。今後相互作用についての情報を収集し、必要に応じて添付文書の改定等を通じ情報提供を行う必要があると考える。

2) 不具合

総合機構は、臨床試験で発生した不具合及びエラーの発生した状況、対処、異常挙動の発生の有無等について説明するよう申請者に求めた。

申請者は、次のように回答した。不具合 22 件のうち、8 件ではアシストが停止した。これに伴う有害事象は発生していないが、機体を交換した。8 件は調整部位のずれであり、ずれを修正し再固定して対応した。5 件は振動、衝撃等による接続不良、磨耗、破損であり、機体を交換した。1 件は足関節からの音であり、故障ではなく仕様であった。収集された不具合情報に基づき、製品の改良を行った。

エラーについては、本品を装着した全症例においてエラーによる本品のアシストが停止した事例があったが、意図に反する異常挙動の事例はなかった。これは本品が生体電位信号やパワーユニットの異常等を検知し、エラーとして適切に動作停止していたためと考えられる。エラーにより治療プログラムが無効となる事例が 2 症例で 5 件発生したが、エラーを原因とする試験の中止例はなかった。発汗により想定される電極不安定による異常挙動も生じなかった。エラー履歴では 170 件の生体電位信号に関するエラーがあり、そのうち 1 件が不具合（アシスト停止）として報告されたが、それ以外の生体電位信号に関するエラーは電極の貼り直し、ケーブルの取り直し修正（テンションの解消）により継続して治療を実施できた。なお、電極が剥がれた場合は電極外れ検出機能が働き報知すると共に、該当するトルクユニットが CIC モード相当になるため、強制的に大きく動かされる可能性は低い。また、トルクリミット、アシスト角度範囲の設定によって、過剰な力学的エネルギーを印加するリスクを低減できている。

総合機構は、臨床試験において発生した不具合 22 件、エラー 202 件は内容から大きな問

題を生じる可能性は低いと考える。生体信号異常のエラーが 170 件と多くを占めるが、臨床試験の中止に至った症例はないことから、大きな問題はないものと想定する。ただし、発生件数が多かった点も踏まえ、今後も引き続き不具合、エラーに関する情報を収集すべきと考える。

(4) 使用目的又は効果について

総合機構は、臨床試験の内容及び以上の議論を受けて、使用目的又は効果の記載を表 28 のように整備することが適切と判断し、申請者の了承を得た。

表 28 使用目的又は効果の変更

変更前	変更後
1. 使用目的 本品は<u>緩徐進行性あるいは慢性進行性の神経・筋難病疾患患者を対象として、定期的、間欠的、治療的に装着し筋収縮を助けること</u>で、<u>筋萎縮と筋力低下の進行を抑制する</u>。 2. 適用患者 <u>希少性神経・筋難病疾患の進行抑制治療における歩行不安定の患者を対象とする。対象疾患である緩徐進行性あるいは慢性進行性の神経・筋難病疾患は、脊髄性筋萎縮症（SMA）、球脊髄性筋萎縮症（SBMA）、筋萎縮性側索硬化症（ALS）、シャルコー・マリー・トゥース病（CMT）、遠位型ミオパチー、封入体筋炎（IBM）、先天性ミオパチー、筋ジストロフィーのいずれかが原因であると診断された症状を有する患者で、下記条件をみたす者。</u> a) 体重 40～100 kg 以内の患者。 b) 身長 150～190 cm 程度で<u>本品の装着が可能な患者。ただし、範囲外であっても、大腿長、下腿長、腰幅など身体サイズが合えば装着が可能な患者。</u>	1. 使用目的 本品は<u>以下の緩徐進行性^{※1}の神経・筋疾患^{※2}患者を対象として、本品を間欠的に装着し生体電位信号に基づき下肢の動きを助けつつ歩行運動を繰り返す^{※3}ことで、歩行機能を改善することを目的として使用^{※4}する。</u> 2. 適用患者 <u>緩徐進行性^{※1}の神経・筋疾患^{※2}により歩行機能が低下した^{※5}患者を対象とする。対象とな^{※6}る緩徐進行性^{※1}の神経・筋疾患^{※2}患者^{※7}は、脊髄性筋萎縮症（SMA）、球脊髄性筋萎縮症（SBMA）、筋萎縮性側索硬化症（ALS）、シャルコー・マリー・トゥース病（CMT）、遠位型ミオパチー、封入体筋炎（IBM）、先天性ミオパチー、筋ジストロフィーのいずれかと診断され^{※8}、歩行の介助又は歩行補助具を要し^{※9}、下記条件をい^{※10}ずれも満たした患者^{※10}。</u> a) 体重 40～100 kg の患者。 b) 身長 150～190 cm 程度、<u>又は大腿長、下腿長、腰幅など身体サイズが合い^{※11}本品の装着が可能な患者。</u>

※1 臨床試験は緩徐進行性の疾患を対象としたと考えられるため。

※3 臨床的位置付けの明確化のため（「(1) 対象患者を一括して評価する妥当性について」）。

※4 臨床試験では歩行機能の改善を評価しているため。

※5 歩行機能が低下した患者の歩行機能の改善に使用するため。

※9 歩行機能低下の程度を反映するため（「(1) 対象患者を一括して評価する妥当性について」）。

※2、※6、※7、※8、※10、※11 語彙の重複の整理及び表現の整備。

(5) 治療プログラム、使用方法について

1) 適切な治療プログラム、適切に使用するための指標

総合機構は、本品は患者の運動の繰返しにより効果を得るものであり、臨床試験においても使用方法（治療間隔）の効果への影響が示唆されたことから、適切な効果を得るには治療プログラムが重要であり、製造販売後の基本使用量、適正使用量について、臨床試験での実際の治療内容、時間、頻度、期間等、疾患や進行度に適合させる目安等を、得られた効果及び過用防止の観点も踏まえて提示すべきと考え、申請者に対応を求めた。

申請者は、次のように回答した。臨床試験においては、ウォームアップ、歩行練習、クールダウンの時間を含めた1日40分間の歩行練習を治療期ごとに9回行った。被験者の疲労状態に応じ20分を超えない休憩時間を設けた。疲労状態の基準は設けなかったが、表情の観察、声かけを行い、患者自身に判断してもらう方法をとった。

本品の使用が病態に対して過負荷となり、原疾患の症状悪化が起きる潜在的危険を防止するため、治療プログラムの頻度（間隔）に上限を設けた上で、個別の疲労、筋肉痛等による影響を確認し、実施頻度を調整するようにした。治療は1週目では週3回まで（連日不可）とした。2週目以降は筋肉痛、関節痛、疲労感の程度を確認した上で週4回まで許容した（3日以上連続不可）。結果として、入院患者における頻度の平均は治療期1で週2.7回、治療期2で週2.4回、外来患者では治療期1、2とも週1.3回であった。効果を見出すためには9回程度の治療が必要と考えられる。治療間隔と治療効果には相関傾向を認め、間隔が短いほど治療効果が上がっており（図8）、歩行機能改善効果に影響する因子と考えるが、前述（「(2) 有効性評価について」の「(2) 主要評価項目の成績」の「② 患者背景、使用方法等の影響」）のように、入院／外来の違いによる微調整の可否が影響している可能性もある。望ましい治療頻度は週2～3回程度と想定される。なお、週4回の治療を数回行った症例は4症例あり、いずれも過負荷によると思われる有害事象は認めなかった。一方、間隔が空きすぎる場合は効果が落ちやすく、図8からは1週間以上の間隔で治療効果が期待できない可能性が示唆される。

したがって、本品の使用としては、患者の状態に応じて休息を適宜取りながら、1回20分以上30分以内（歩行実時間）で行い、頻度は患者の体調に応じ週1回から週4回まで、9回程度の使用が必要と考えられる。

その他に有効性を高めるポイントは次のとおりである。

- ・患者が過度な重さや疲労を感じる場合は適切に装着されていない可能性があり、フィッティング等の再調整が必要である。

- ・適切な実施時間と歩行距離の確保が必要であるが、疲労感や体調不良がある場合は別日の実施を考慮すべきである。
- ・筋肉痛、関節痛、疲労感等の有無や程度を確認し、患者毎に頻度（間隔）を調整する必要がある。
- ・正しい姿勢で歩行する。前傾姿勢や本品を背負うような姿勢での歩行は疲労等を助長する可能性がある。

また、総合機構は、臨床試験で未検証の 1 クール 9 回を超えるホイス補助下での本品装着治療反復時の治療プログラムにおける適切な間隔について、申請者に考察を求めた。

申請者は、次のように回答した。10 回以上使用する場合は、筋肉痛やその他の部位の痛みに留意し、治療効果を評価しながら実施する必要がある。今回の臨床試験と同程度の頻度の上限を設け、患者毎に疲労、筋肉痛等の影響を確認し、間隔を調整することで過負荷が防止できると考える。なお、後観察期において 2 分間歩行テストの歩行距離は維持されたことから、疾患の特性に基づく悪化前に同様の治療を反復した場合、その都度改善を示す可能性があり、短期の歩行改善効果が認められなくなるまでは、反復する価値があると推察する。

また、総合機構は、適切な効果を得る上で、本品のタスク、モード、生体信号の感度（増幅率）、トルク（アシスト強度）、バランス（屈曲伸展トルクのバランス）等を適切に設定・変更するための指標を示すべきと考え、申請者に説明を求めた。

申請者は、次のように回答した。有効性を高めるためには、アシストトルク等を随時細かく調整し、患者にとって最適な設定を見極め、効率的な治療プログラム実施に努める必要がある。最適な設定としては、患者が歩きやすいと感じるレベルに調整することが基本である。設定項目ごとの具体的な調整を以下に挙げる。なお、臨床試験では必ず CVC モードで作動させ、CAC モードのみによる治療は不可とした。

- ・増幅率を上げ、伸展、屈曲に対応する生体電位信号の出現を確認する。
- ・トルクチューナは、アシスト力の不足を感じる場合に徐々に上げる。
- ・バランスチューナは、屈曲伸展に関連する筋群でバランスをとれない場合に利用する。支持脚の伸展アシストのみ強くする場合等にも利用する。
- ・歩行速度等は、患者の感覚に合わせて調整する。

加えて総合機構は、以上の点を含め臨床試験で得られた適正使用量、機器の設定等に関する情報、医学的ノウハウ等を反映させた治療実施マニュアルの整備が必要と考え、神経・筋疾患、理学療法等を専門とする関連学会と連携してこれを整備することについて、申請者に見解を求めた。

申請者は次のように回答した。臨床試験では、全施設において標準化された治療プログラムで実施した。また、本品の適切な設定、調節の指標等をマニュアル化し使用した。現在関

連学会と連携して発行すべく準備中の治療実施マニュアルの概要は、事前の患者評価、患者に合わせた機器の設定と変更や治療プログラム等の処方の目安、本品装着歩行運動療法の工夫、安全管理等を含むものである。今後得られる情報に基づき随時更新する方針であり、疾患別や疾患分類別など、より詳細な内容に分けることも検討していく。

総合機構は、以上の申請者の方針に概ね問題はないと判断した。希少疾病が対象であり現時点における臨床データは限られているため、今後収集される安全性及び有効性のデータを基に治療実施マニュアルの整備・更新を、疾患毎の特徴を踏まえ、随時行っていくことが適切と考える。また、9回を超える反復使用について現時点で禁止するものではないが、「(3) 安全性評価について」の「1) 有害事象」に記載したように、過負荷に伴う筋障害、過用性筋力低下等の調査には長期のデータに基づく判断も必要と考えられる。反復使用による長期効果が未知である点も念頭に、製造販売後に過負荷に伴う有害事象を含む安全性と効果に関して長期データを収集し、適切な使用について追加確認する必要があると考える。調整、設定の指標については、患者が適切に歩行できるよう試行に基づき設定するという基本的考え方に加え、今後収集されるデータを含めて、より具体的な指標を示し、治療実施マニュアルにて情報提供されることで、医師の患者に合わせた処方の目安として活用されることが適切と考える。

2) 医師及び施設の要件

総合機構は、本品の適応可否の判断、処方等については、対象疾患の希少性と過負荷等の回避を念頭に、対象疾患を専門とする医師により行われる必要があると考える。また、本品は新規性の高い機器であり、効果的な処方や装着、調整、運用を行う医師又は理学療法士に対しては、本品の特性、操作方法等を熟知している必要があると考える。よって、医師等の専門性や施設の基準、適応判断の基準、本品に関する講習を含む適正使用基準等の整備について、関連学会の協力が得られることが望ましいと考え、申請者の見解を求めた。

申請者は、これらの点を含む適正使用基準について関連学会と共に整備し、今後得られる情報も踏まえて更新していく旨を回答した。

総合機構は、申請者の対応を適切と判断した。なお、「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 8 月 10 日法律第 145 号）第 79 条第 2 項の観点から、医師及び施設の要件の承認条件としての付与は不要と考える。

3) ホイストを併用することの必要性

申請者の提出した臨床試験での使用方法において、本品は単独で使用されず、転倒防止のため本品を装着する時や装着下歩行時には常にホイストが併用された。一方、申請時の添付文書（案）等では平行棒、歩行器等との併用を挙げられていた。

総合機構は、本品を平行棒、歩行器等と併用した場合には、転倒時に患者自身が平行棒等

に拘まる等の動作をとる必要があり、ホイストと同様の転倒防止効果を得られる保証がなくリスクが残存すること、臨床試験においてホイスト非使用下での転倒リスクを含む安全性に関するデータがないこと、加えて臨床試験時には吊上げ免荷による治療効果向上も見込んでいた点を併せて、本品はホイスト又は同様の免荷装置と併用すべきと考え、申請者に見解を求めた。

申請者は、ホイスト等の患者に頼らない転倒保護手段との併用を使用方法及び添付文書に記載する旨回答し、総合機構は申請者の対応を適切と判断した。

ト．医療機器の製造販売後の調査及び試験の実施の基準に関する省令第 2 条第 1 項に規定する製造販売後調査等の計画に関する資料

＜提出された資料の概略＞

申請時においては未定のため提出は省略された。

＜総合機構における審査の概要＞

総合機構は、HAL 福祉用が本邦で使用されているものの、本品は新医療機器として申請されていること、対象疾患が希少疾病であり国内外において使用経験は乏しいと考えられること、臨床試験の症例数が限られ安全性、有効性に関して引き続き確認し、適切な使用方法等の最適化を図る必要があることから、製造販売後の使用成績評価が必要と考えた。総合機構が想定した調査内容は、「へ．臨床試験の試験成績に関する資料又はこれに代替するものとして厚生労働大臣が認める資料」＜総合機構における審査の概要＞で述べてきたように、以下の(1)～(4)である。

- (1) 安全性に関して、過負荷に伴う筋障害等の有害事象及び長期な使用における過用性筋力低下等の有害事象のリスクを確認する。また、適応疾患は希少疾病であり臨床試験の症例数が限られるため、実臨床において未知の有害事象（心肺機能に関するもの等を含む）や不具合（エラーを含む）、既知の事象の発現率や重症度の新たな傾向など問題があれば適切な対応をとる。
- (2) 臨床試験のデータは 1 クール 9 回の使用に限られるが、実使用ではこれを超える反復使用が想定されるため、この場合の安全性、適切な反復間隔、効果の積み重ね、治療効果の持続性等を確認する必要がある。
- (3) 疾患ごとの安全性、有効性の確認を行う。特にデータがない又は少ない疾患を中心にデータ収集を行う。また影響因子の検討も行う。
- (4) 患者の日常生活上のベネフィットに関し QOL 等のデータ収集を行う。

総合機構は、以上の観点から、製造販売後調査の計画の概要を検討するよう求めた。

申請者は、次のように回答した。上記(1)～(4)に関する調査を行う。臨床試験での有害事象の最小の発現頻度は3.3%であり、この頻度の有害事象を95%の確率で少なくとも1件以上検出するために必要な症例数は89例となる。対象疾患を神経原性疾患(脊髄性筋萎縮症、球脊髄性筋萎縮症、筋萎縮性側索硬化症、シャルコー・マリー・トゥース病)と筋原性^{*3}疾患(遠位型ミオパチー、先天性ミオパチー、封入体筋炎、筋ジストロフィー)に分類し、各グループにおいて過負荷に伴うものを含め十分な有害事象の情報を得るために90例ずつ収集することとし、全体の症例数を180例とした。この中で各疾患の症例数も一定程度確保でき(最低症例数10例)、情報収集を実施できると考える。また登録症例においては、有効性についても情報収集する。国内で本品が導入される最大の施設数は50施設を見込んでいるが、実際に調査が実施可能な施設は20施設程度と想定される。各施設の症例数は平均年間2～3例であり、年間の登録予定は50例程度である。したがって、症例登録期間を3年6か月とすることで、目標症例数が登録可能と見込まれる。

調査事項は、患者背景(疾患、進行度等)、有害事象(過負荷、過用に関するもの、未知の有害事象を含む)、不具合及びエラー、2分間歩行距離、Barthel Index、QOL等である。またCK値等の筋障害の程度に関する指標、機器の使用情報(日時、使用時間、設定等)に関しても情報収集する。これらにより、臨床試験で確認されていない9回を超える反復時の安全性、有効性、適切な使用方法の評価、疾患別の評価、ベネフィットの評価、影響因子の検討等を行う。

追跡期間は、緩徐進行性の対象疾患の経過を調査するため最低1年の観察が必要であるが、それより長期にわたり使用される症例も十分想定される。したがって、最終症例の登録から1年を調査期間とするものの、それ以前に登録された症例は本品を使用している間、可能な限り長期の情報を調査期間終了時まで収集する。以上より、調査期間は5年とする(販売準備期間を6か月、症例登録期間を3年6か月、症例追跡期間を最終症例登録から1年)。

総合機構は、申請者の計画を適切と判断した。

チ. 法第63条の2第1項に規定する添付文書等記載事項に関する資料

<提出された資料の概要>

平成26年11月20日付け薬食発1120第5号通知「医療機器の製造販売承認申請について」に基づき、添付文書(案)の添付は省略された。

<総合機構における審査の概要>

添付文書の記載内容については、専門協議での議論を踏まえ、「へ. 臨床試験の試験成績に関する資料又はこれに代替するものとして厚生労働大臣が認める資料」<総合機構にお

^{*3} 医療機器・体外診断薬部会終了後に訂正(訂正前:筋原生)

ける審査の概要>に記載したとおり必要な注意喚起等を行うことで、現時点において特段の問題はないと判断した。

4. 総合機構による承認申請書に添付すべき資料に係る適合性調査結果及び総合機構の判断
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の規定に基づき承認申請書に添付すべき資料に対して書面による調査を実施した。その結果、提出された承認申請資料に基づいて審査を行うことについて支障はないものと総合機構は判断した。

5. 総合評価

本品は、生体電位信号等の情報に基づき股関節部及び膝関節部のパワーユニットを駆動させることにより、歩行運動療法において下肢の運動を補助し、効果的に行うための装置である。

本品の審査における主な論点は、(1) 対象患者を一括して評価する妥当性について、(2) 有効性評価について、(3) 安全性評価について、(4) 治療プログラム、使用方法について、であり、専門協議の議論を踏まえた総合機構の判断は以下のとおりである。

(1) 対象患者を一括して評価する妥当性について

臨床試験では、疾患の希少性から組入れは制限され、疾患ごとの有効性評価は困難であったものの、8 疾患は筋萎縮性側索硬化症の一部を除き、下位運動ニューロン又は筋の障害によって生じた筋力低下に伴う歩行障害という共通性があり、既存療法の奏効機序は、廃用に対する筋力回復、歩行動作の学習として共通すると想定された。本品は、8 疾患の異なる病因に奏効するものではないが、8 疾患による歩行機能低下に対して、生体電位信号を利用して歩行動作へのアシストを加えて歩行運動を繰り返し行うことで、効果的に改善効果を得るものと考えられた。なお、筋萎縮性側索硬化症のうち、上位運動ニューロン障害が優位な場合については、有効性、安全性が確認されていない旨を情報提供することとした。

さらに、8 疾患において種々の進行度が想定されるが、臨床試験で採用された歩行機能低下の基準（10m 自立歩行はできないが、介助や歩行器等を使用すれば 10m 以上歩行可能）により患者選択を行うことで、8 疾患に共通した奏効が期待されると判断した。また、本品の特徴である生体電位信号の計測も、この歩行機能低下の範囲であれば可能と判断した。

以上より 8 疾患を一括して評価することは可能であり、疾患ごとのデータは使用成績評価にて収集することで妥当と判断した。

(2) 有効性評価について

本品の有効性評価における評価指標は、活動機能回復装置に関する評価指標¹と照らして妥当と判断した。クロスオーバーによる評価は前後期間でのウォッシュアウトがなかった点に懸念があるが、前期群間比較において上乗せ効果を認めていた（ $p=$ ■、 t 検定）。本

品はホイストでの治療より効果的に改善効果を得られたものと考えられ、有効性及び臨床的意義が認められた。なお、上乘せ効果は平均 10～16%程度と見込まれ、得られた歩行機能はホイストの使用が前提であることから、臨床試験の成績、前提及び有害事象の頻度を情報提供し、リスク及びベネフィットを考慮した適切な使用を促すことが必要と判断した。一方、治療間隔が短い場合に高い改善率を示す傾向が見られた。効果は治療プログラムの影響を受けていると見られ、適切な治療プログラムの重要性が示唆された。

副次評価項目は、全体的に改善傾向が見られたが限られた症例数であり、現時点ではこれらの項目で明確な結論に至らないのは止むを得ないと判断した。使用成績評価において、QOL や ADL 等本品を着用した治療を受ける患者における日常生活上のベネフィットを調査することが適切と判断した。

(3) 安全性評価について

臨床試験において発生した有害事象に、筋肉痛やその他の痛み等が比較的多く見られたため、長期的観点を含めて考慮すべきと考えられる。そのため使用成績評価では過負荷に関する有害事象、筋障害及び過用性筋力低下の有無等を調査すべきと判断した。また治療期間中又は治療期間終了後の本品非装着時の転倒のリスクに関して、注意を促すことが適切と判断した。その他の皮膚障害等は軽度であり大きな問題を生じる可能性は低い、未知の有害事象を含めて使用成績評価において引き続き確認することで妥当と判断した。

(4) 治療プログラム、使用方法について

臨床試験のプログラムを基本とし、患者に応じた適切な処方、アシスト強度等の設定指標を含めた治療実施マニュアルを関連学会と連携して整備し、今後収集されるデータに基づき、内容の更新を行うことが適切と判断した。また臨床試験で実施した 9 回の治療を超えて繰返し使用することは禁止するものではないが、本品を装着して 9 回を超えた治療を実施する際の安全性及び有効性は、使用成績評価にて確認する必要があると判断した。また、使用する医師や施設の専門性の基準、適応判断の基準、本品使用に関する講習を含む適正使用基準を学会と連携して整備することが適切と判断した。

総合機構は、以上の論点を踏まえ、本品の使用目的を以下に示すように整備した上で、承認して差し支えないと判断した。

使用目的

1. 使用目的

本品は以下の緩徐進行性の神経・筋疾患患者を対象として、本品を間欠的に装着し生体電位信号に基づき下肢の動きを助けつつ歩行運動を繰り返すことで、歩行機能を改善することを目的として使用する。

2. 適用患者

緩徐進行性の神経・筋疾患により歩行機能が低下した患者を対象とする。対象となる緩徐進行性の神経・筋疾患患者は、脊髄性筋萎縮症（SMA）、球脊髄性筋萎縮症（SBMA）、筋萎縮性側索硬化症（ALS）、シャルコー・マリー・トゥース病（CMT）、遠位型ミオパチー、封入体筋炎（IBM）、先天性ミオパチー、筋ジストロフィーのいずれかと診断され、歩行の介助又は歩行補助具を要し、下記条件をいずれも満たした患者。

- a) 体重 40～100 kg の患者。
- b) 身長 150～190 cm 程度、又は大腿長、下腿長、腰幅など身体サイズが合い本品の装着が可能な患者。

本品は、生物由来製品及び特定生物由来製品のいずれにも該当しないと考える。また、使用成績評価の対象として指定し、使用成績評価期間は5年とすることが妥当と判断した。

本件は、医療機器・体外診断薬部会において審議されることが妥当であると判断する。

引用文献

-
- ¹ 活動機能回復装置に関する評価指標. 平成 25 年 5 月 29 日付け薬食機発 0529 第 1 号通知「次世代医療機器評価指標の公表について」別添 2.
 - ² 脊髄性筋萎縮症診療マニュアル. SMA 診療マニュアル編集委員会編, 2012, 金芳堂.
 - ³ 筋萎縮性側索硬化症診療ガイドライン 2013. 日本神経学会監修, 2013, 南江堂.
 - ⁴ シャルコー・マリー・トゥース病診療マニュアル. CMT 診療マニュアル編集委員会編, 2010, 金芳堂.
 - ⁵ デュシェンヌ型筋ジストロフィー診療ガイドライン 2014. 日本神経学会, 日本小児神経学会, 国立精神・神経医療研究センター監修, 2014, 南江堂.
 - ⁶ Reuben DB, et al. Motor assessment using the NIH Toolbox. *Neurology* 2013; 80 (11 Suppl 3): S65-75.
 - ⁷ Bohannon RW, et al. Comparison of walking performance over the first 2 minutes and the full 6 minutes of the Six-Minute Walk Test. *BMC Res Notes* 2014, 7: 269.
 - ⁸ Connelly DM, et al. Clinical utility of the 2-minute walk test for older adults living in long-term care. *Physiother Can* 2009; 61 (2): 78-87.
 - ⁹ Lord SE, et al. Visual gait analysis: the development of a clinical assessment and scale. *Clin Rehabil* 1998; 12 (2): 107-119.

審査報告書の訂正

訂正前		訂正後
22 頁 19 行目	欠側	欠測
48 頁 図 9	10 歩行テスト	10m 歩行テスト
62 頁 5 行目	筋原生	筋原性

なお、訂正による審査結果の変更はない。