レギュラトリーサイエンス学会第11回学術大会シンポジウム
「疾患動物を用いた医療機器の安全性・有効性評価手法の導入に向けた取り組み」

疾患動物を用いた治療的試験研究～規制の立場から見た課題と期待～

穴原　玲子

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）
医療機器審査第二部　審査役

レギュラトリーサイエンス学会
ＣＯＩ開示

発表者名：　穴原　玲子
所属機関名：独立行政法人　医薬品医療機器総合機構

演題発表内容に関連し、発表者に開示すべき利益相反はありません。

注意：
本講演は、演者の個人的見解にもとづくものであり、独立行政法人医薬品医療機器総合機構の公式見解を示すものではありません

本日のお題

●一般的なヒト用の医療機器薬事承認の流れについて

●ヒト用の医療機器薬事承認に関連した規制について

●疾患動物データの将来的な薬事への利用可能性について

一般的なヒト用の医療機器薬事承認の流れについて

医療機器とは？

医療機器とは・・
●診断、治療や予防に使用される機械器具
●身体の構造若しくは機能に影響を及ぼす機械器具

法律上では・・・・

「医療機器」とは、人若しくは動物の疫病の診断、治療若しくは予防に使用されること又は人若しくは動物の身体の構造若しくは機能に影響を及ぼすことが目的とされる機械器具等（再生医療等製品を除く。）であって、政令で定めるもの（医薬品医療機器等法　第二条・第四項）

具体的には、ペースメーカー、人工血管、人工関節等の埋込み製品、ＭＲＩ、ＰＥＴ等の診断機器から、メス、マッサージ器まで幅広いことが特徴

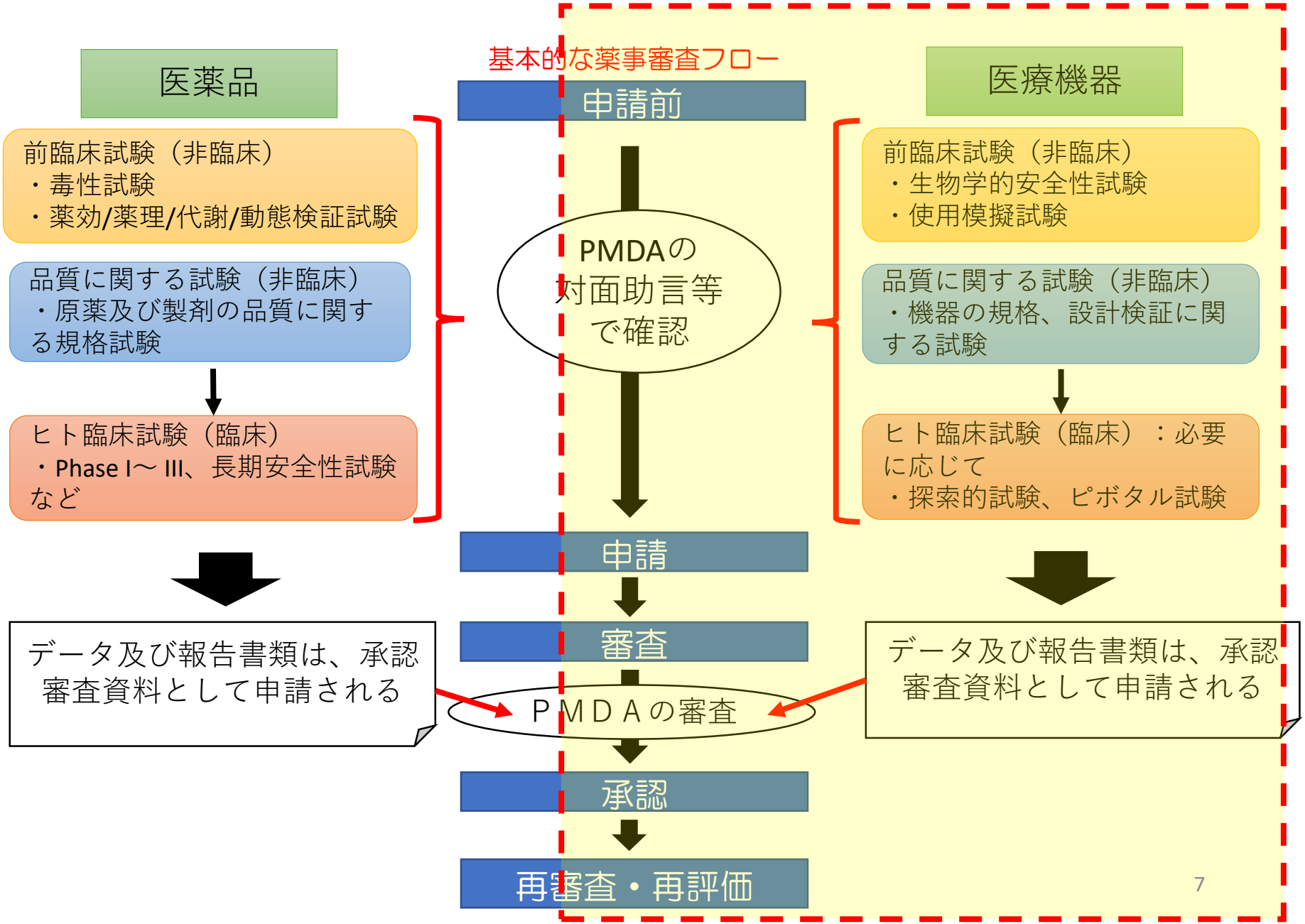
プログラム（ソフトウェア）も
医療機器です！

動物用の医療機器承認審査とヒト用の医療機器承認審査

動物用医療機器	ヒト用医療機器
承認申請	承認申請
農林水産省動物医薬品検査所による有効性・安全性・品質の審査	**PMDA**による有効性・安全性・品質の審査
薬事	
答申	問
農林水産大臣	厚生労働大臣
承認	承認

いずれも医薬品医療機器等法で規制され、
「審査評価部門」、「承認する大臣」が
異なるだけで、
基本的な審査～承認までの流れは同じ

ヒト用の医療機器薬事承認過程とPMDA業務の関係



ヒト用の医療機器承認に疾患動物データが利用できそうな部分

基本的な薬事審査フロー

申請前

PMDAの
対面助言等
で確認

申請

審査

ＰＭＤＡの審査

承認

再審査・再評価

医療機器

前臨床試験（非臨床）
・生物学的安全性試験
・**使用模擬試験**

使用模擬試験として
利用？
（非臨床試験相当）

品質に関する試験（非臨床）
・機器の規格、設計検証に関する試験

ヒト臨床試験（臨床）：必要に応じて
・**探索的試験**、ピボタル試験

探索的試験相当としての
代替？
（あくまでも非臨床試験データを外挿するという意味）

データ及び報告書類は、承認審査資料として申請される

承認申請資料の一部として申請時に試験報告書等を提出

※ただし、データの信頼性が担保できていること

ここでいう一般的なヒトの前臨床試験として
添付される非臨床（動物）試験データと
疾患動物データの主な違いはなにか？

●ヒト用の医療機器承認申請時に添付される動物試験データは、試験施設で適切に管理された動物（病態モデル動物含む）を用い、医療機器の性能や有効性を確認する試験データや接触リスク（毒性）を確認する生物学的安全性試験のデータなどを指します

●一方で、疾患動物データは、動物所有者の同意を事前に得たうえで、実際に疾患に侵された動物に対し、獣医師が（承認申請予定の）医療機器を用いて治療したリアルデータをヒト用の医療機器承認申請に用いることを指します

ヒト用の医療機器薬事承認に関連した規制について

ヒト用の医療機器承認申請に際して厚生労働省令が定める主な試験実施基準

医療機器GLP

「医療機器の安全性に関する非臨床試験の実施の基準に関する省令」

（平成17年3月23日　厚生労働省令第37号、改正平成20年厚生労働省令第115号、平成26年7月30日厚生労働省令第８７号、令和2年8月31日厚生労働省令第155号）

医療機器GCP

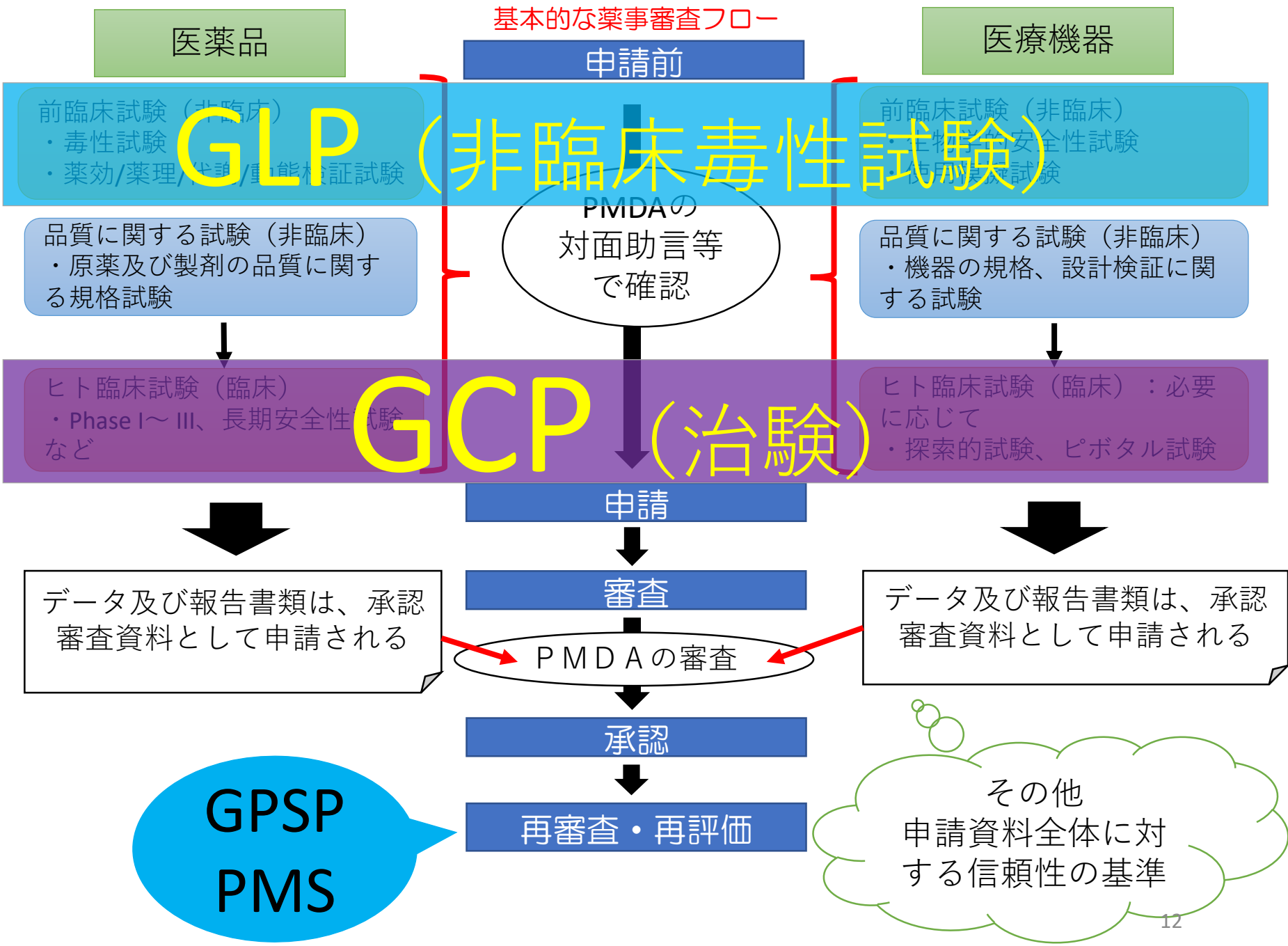
「医療機器の臨床試験の実施の基準に関する省令」

（平成17年3月23日厚生労働省令第36号、改正平成21年厚生労働省令第68号、平成24年12月28日厚生労働省令第161号、平成25年2月8日厚生労働省令第11号、平成26年7月30日、厚生労働省令第８７号、平成28年7月21日厚生労働省令第128号、令和2年8月31日厚生労働省令第155号）

申請資料の信頼性の基準

（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施行規則（以下、施行規則）の第114条の22、第114条の42）

- **正確性：試験結果に基づき正確に作成されていること**
- **完全性、網羅性：有効性・安全性等を疑わせる調査結果が得られた場合、当該結果について検討され、記載されていること**
- **保存性：根拠となった資料が保存されていること**


基本的な薬事審査フロー
医薬品
医療機器
申請前
前臨床試験（非臨床）
・毒性試験
・薬効/薬理/薬物動態検証試験
前臨床試験（非臨床）
・生物学的安全性試験
・使用検証試験
GLP（非臨床毒性試験）
PMDAの
対面助言等
で確認
品質に関する試験（非臨床）
・原薬及び製剤の品質に関する規格試験
品質に関する試験（非臨床）
・機器の規格、設計検証に関する試験
ヒト臨床試験（臨床）
・Phase I～ III、長期安全性試験など
ヒト臨床試験（臨床）：必要に応じて
・探索的試験、ピボタル試験
GCP（治験）
申請
審査
データ及び報告書類は、承認審査資料として申請される
データ及び報告書類は、承認審査資料として申請される
ＰＭＤＡの審査
承認
再審査・再評価
GPSP
PMS
その他
申請資料全体に対する信頼性の基準

注意：申請資料のデータ改ざんにより、
法に基づく行政処分が行われる例もある

医薬品医療機器等法では、申請者が提出した申請資料（試験成績等）に基づき、医療機器の性能や安全性が評価される

注意：故意のデータ改ざん以外にも、重大なデータエラーがあれば、承認審査を行う意味が失われてしまう

本邦に薬事承認審査を行う際には、提出する申請資料の（データの）信頼性が担保されていることが大前提！

ヒト用の医療機器承認に疾患動物の治療データを使用する際、必ずGLP準拠下で試験が実施されなくてはいけないのか？

いいえ。疾患動物の治療データについては、申請資料の信頼性基準の担保に努めればOK

※現実的に一般の飼育されている動物をGLP施設に運んでGLP体制下の中で治療を行うということは困難である

※ヒト用の医療機器承認申請資料の中でGLP準拠が必要な試験は、生物学的安全性試験（ISO、JIS、通知で規定）である

動物用医療機器GCP省令と
ヒト用のGCP省令に何か違いはあるのか？

※動物・ヒト関係なく、**薬事承認申請に添付が必要な臨床試験（＝治験）実施の際は原則GCP順守が必要である**

そのうえで、、、
動物治療のための医療機器の承認申請時に用いる治験（臨床試験）は「**農林水産省が定めた動物用の医療機器GCP省令**を順守」し、

同様に、ヒト用の医療機器承認申請のための治験では、「**厚生労働省が定めた**（ヒト治験のための）**医療機器GCP省令**を順守する」必要があります

ヒト用医療機器開発に疾患動物データを利用する際の疾患動物（治療）側のメリットは？

●動物用医療機器GCP下で行われている治験であれば、治験実施者負担で治療が行われ、治験関連の健康被害については動物所有者に対して補償措置義務も生じます

●ヒト用医療機器として早期に承認できれば、企業が動物用製品として展開しやすくなります（一から開発するよりも早い）
→すでに疾患動物治療の実態が把握できているので、ヒト医療から獣医療への製品展開がやりやすくなるのでは？

疾患動物データの
将来的な薬事への利用
可能性について

主な事例（測定系デバイス）

新規・改良画像診断デバイス
もしくはそれを用いた新たな
撮像・診断・治療方法の確立

血圧や呼吸量、血流などを
測定するための
新たなデバイス

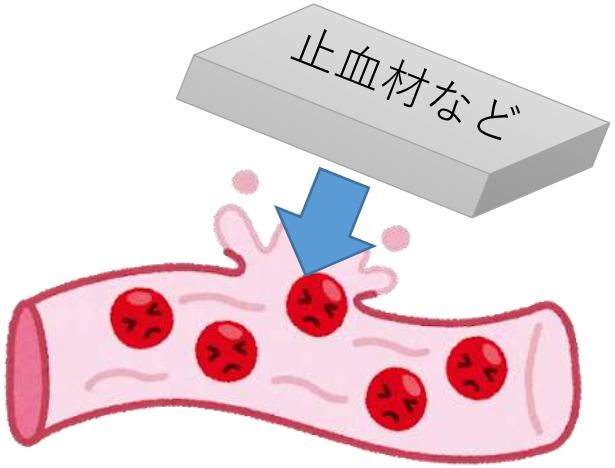
獣医診療においても測定デバイスは
使用されており、よりリアルな疾患
測定データを入手可能

主な事例（治療系デバイス）

疾患動物に対し治療系デバイスを用いてより実臨床に近い状況で確認する

手術デバイスを用いた新規技術開発や手技向上のための評価

ヒト臨床試験評価が必須であるデバイスの
First in Human試験としての代替？

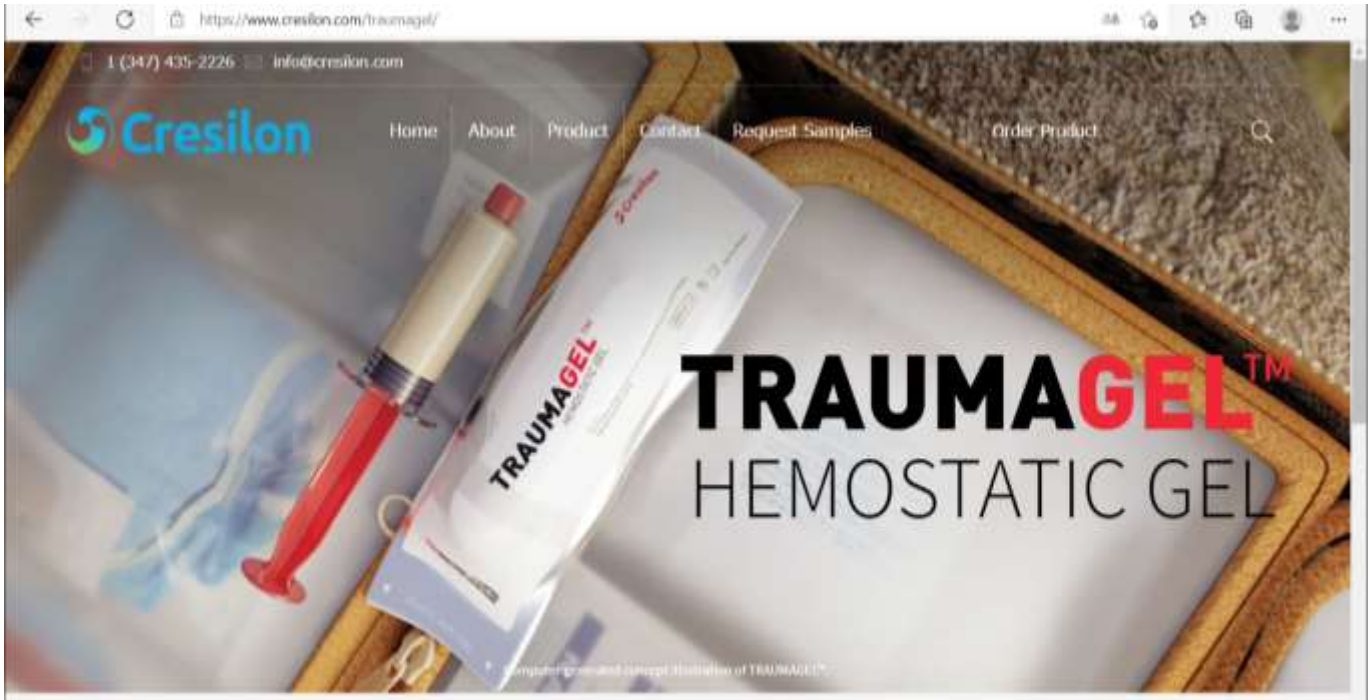


疾病動物を用いることで、現実的なデバイス性能の把握

新規術式確立に利用

＜米国の実例＞

獣医療用に販売している止血剤「VETIGEL」が、ヒト用止血剤「TRAUMAGEL」として開発中。
特に、軍用の緊急止血剤として注目されていると報道有り
（引用HP　https://www.cresilon.com/）



Cresilon | TRAUMAGEL™ Hemostatic Gel

疾患動物データを薬事承認申請に利用する際の注意点

1. 得られた試験データを用いて、当該医療機器のリスクベネフィットバランス（リスク＜ベネフィット）を評価・説明できること

2. 承認申請資料の信頼性基準に耐えうるデータであること（データの正確性、完全性、網羅性、保存性が確保されている）

3. 「当該試験の実施、及びそのデータを利用し、薬事承認申請に利用すること（商用利用）」について、動物オーナー（所有者）の同意を正式な形で得ていること

4. （動物医療の治験として実施するのであれば）動物用医療機器GCPを順守していること

●PMDAについては、ホームページをご活用ください

→キーワード「PMDA」で検索、

または　直接　URL: https://www.pmda.go.jpを入力

●薬事承認申請のことで不安なことがございましたら、審査・相談担当等へご遠慮なくご相談ください

今後も皆様のご理解・ご協力をお願いいたします！！