新しい承認申請制度の紹介

～医療機器に特化した承認制度～

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
穴原　玲子

医薬品と医療機器の主な違い

	医薬品	医療機器
市場規模/品目数	約10兆円/約1万8千点	約2.8兆円/約30万点
接触	投与の時	1分～一生
投与	単回、反復	単回、複数回、累積
経路	経口、経静脈、経皮など	挿入/穿刺、埋植…
使用方法	用法容量が決まっている	医療従事者に依存
改良改善	ほとんどない	常に改良が必要
開発の専門性	専ら薬学	医療＋工学＋再生医療＋IT etc
不純物の特定	薬剤からの溶出物から	生体に直接もしくは間接的に接触した場合の抽出物から

医療機器に特化した薬事制度は必要？

1. 市場規模が医薬品より小さい割に、改良変更が多い＝費用がかさむ
2. 使用経路が様々、接触・臨床的リスクも様々＝評価手法を一元化できない
3. 機器性能（有効性・安全性）だけでなく、使用する操作者（主に医師など）の経験にも臨床効果が左右される＝使用模擬評価が必要
4. 臨床評価においてプラセボ群や無処置群を置きづらい＝倫理問題に発展しかねる

効率的で経済に優しい医療機器承認制度が必要

医療機器に特化した承認制度について

【アカデミアニーズに対応した制度】

A.ニーズ医療機器制度
B.リバランス通知制度
C.先駆け審査指定制度
D.特定用途指定制度
E-1.条件付き早期承認制度（類型1）
E-2.条件付き早期承認制度（類型2：通称PHOENIX制度）

【企業ニーズに対応した制度】

B.リバランス通知制度
C.先駆け審査指定制度
D.特定用途指定制度
F.医療機器の特性に応じた変更計画の事前確認制度
（通称：IDATEN制度）

【A.ニーズ医療機器制度】

ニーズWG関連有

関連学会の協力必須

注：「医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会」の略

海外未承認品だけでなく適応外医療機器も対応可能

◆ 導入時期：2006年～

◆ 制度の目的：

・我が国で医療ニーズは高いが未承認の医療機器等の迅速な医療現場への導入を検討するための制度

・ニーズ指定された医療機器（開発企業）は早期に承認申請を行うように、厚生労働省から開発要請が行われる

◆ 主な要望者：アカデミア、患者団体

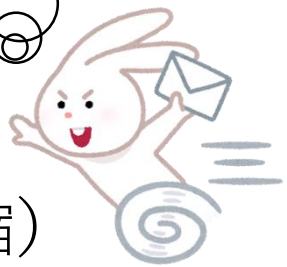
◆ 指定までの主な流れ：

要望書提出・受理→WG審議→親会議で指定

◆ 選定品の薬事的取扱い：

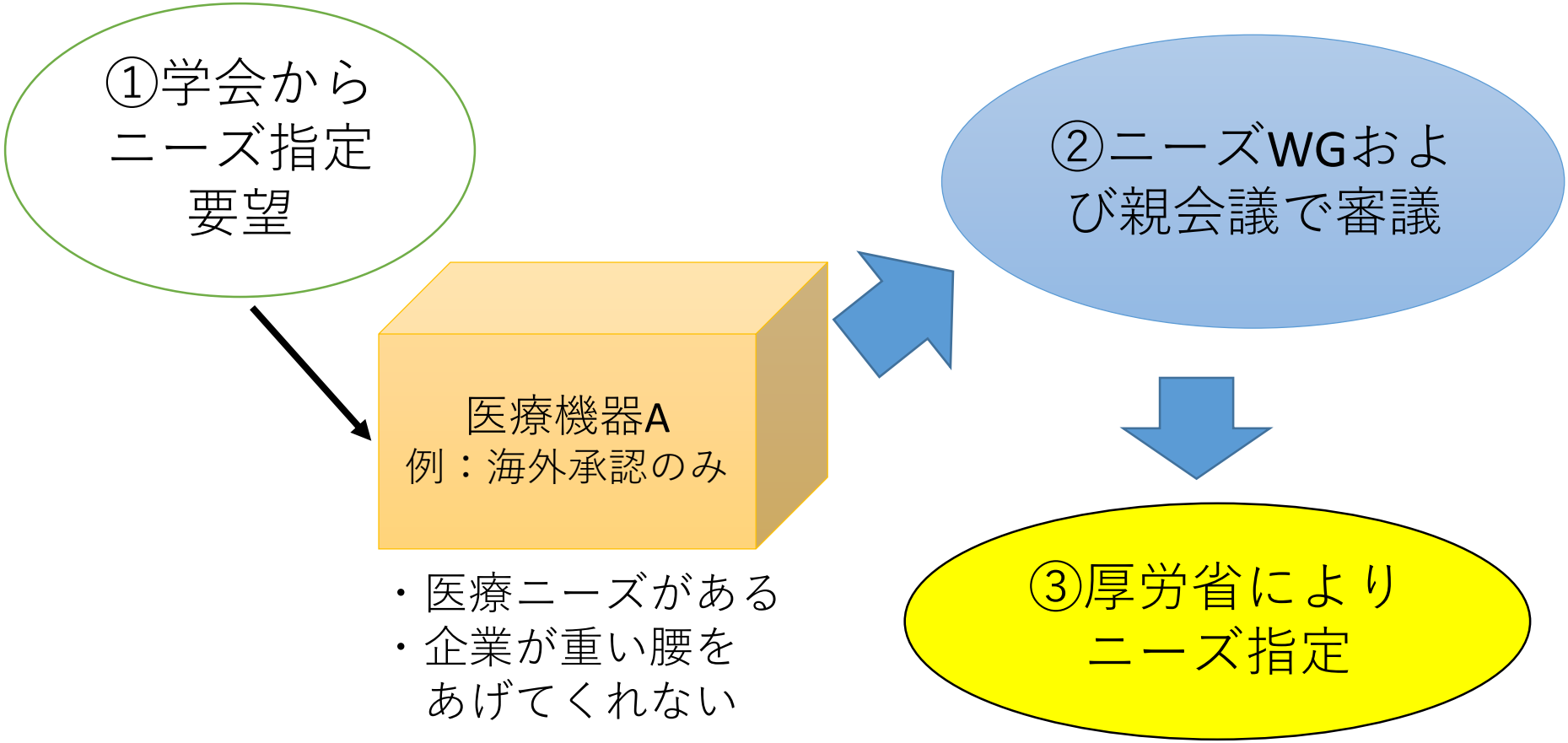
優先審査対象（新医療機器の12ヶ月→9か月承認へ短縮）

企業さん！早く申請してね！（by厚労省）



【A.ニーズ医療機器制度】

注：「医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会」の略



【B.リバランス通知制度】

通知：「医療機器の「臨床試験の試験成績に関する資料」の提出が必要な範囲等に係る取扱い（市販前・市販後を通じた取組を踏まえた対応）について」（薬生機審発1117第1号，薬生安発1117第1号，平成29年11月17日）

◆ 導入時期：2017年～

◆ 制度の目的：

・医療上の必要性が高い機器であるにも関わらず，医療機器の改良/改善の頻度が高いことなどから頻繁に治験を行うことが難しい現状を考慮

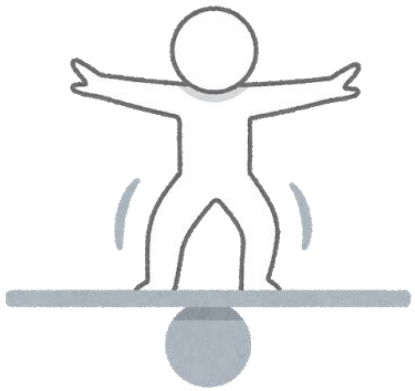
・医療機器の市販前/市販後を通じた取組を踏まえた医療機器の**リバランスに関する考え方の整理**

◆ 主な要望者：企業、アカデミア

◆ 指定までの主な流れ：

PMDAの対面助言を活用

（開発前相談、臨床要否相談）



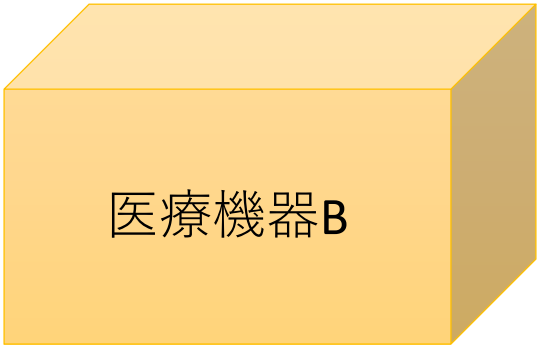
◆ 対象品の薬事的取扱い：

例：2段階承認

（～できるという使用目的のみで承認取得し、その後の市販後データより臨床的重みづけを行い保険を狙った適応追加を実施・・など）

【B.リバランス通知制度】

通知：「医療機器の「臨床試験の試験成績に関する資料」の提出が必要な範囲等に係る取扱い（市販前・市販後を通じた取組を踏まえた対応）について」（薬生機審発1117第1号，薬生安発1117第1号，平成29年11月17日）



・機器の性能は確かだが、臨床的な位置づけが弱い

（例：Bを測定できるが、現時点において、Bの臨床的有用性はやや弱く将来的に臨床活用が期待される）

①第一段階承認；
使用目的は
「Bを測定できる機器」

※この時点で臨床的な有用性を明確に標榜することが難しい

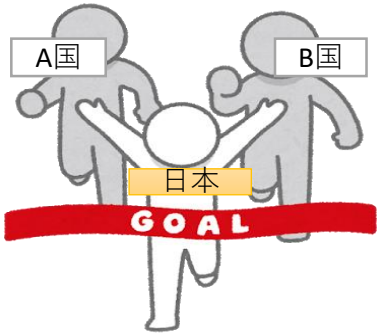
市販後に、臨床的有用性を検証するためのデータをそろえる

②第二段階承認；
使用目的は
「X疾患治療に用いる機器」

※市販後追加されたデータから臨床的意義を評価できた

【C.先駆け審査指定制度】

通知：「先駆的医療機器・体外診断用医薬品・再生医療製品の指摘に関する取扱いについて」（薬生機審発0831第6号，令和2年8月31日）



◆ 導入時期：2015年～（法制化：2020年～）

◆ 制度の目的：

・**世界に先駆けて開発され**早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる医薬品等を指定し優先審査等の対象とする仕組み

◆ 主な要望者：企業、アカデミア

◆ 指定までの主な流れ：指定審議は年2回を予定
厚労省へ打診→PMDA開発前相談→指定（部会審議で決定）

◆ 指定品の薬事的取扱い：

・PMDA優先相談（早期承認のための事前評価の充実）
・優先審査
・コンシェルジュ（PMDA職員）の伴走

【C.先駆け審査指定制度】

通知：「先駆的医療機器・体外診断用医薬品・再生医療製品の指摘に関する取扱いについて」（薬生機審発0831第6号，令和2年8月31日）

医療機器C
日本初の開発品

厚労省により
先駆け指定

・世界に先駆けて開発
・日本で最初に承認を予定
・指定制度の条件を満たしている

PMDAのコンシェルジュとともに、
相談、審査を優先的に受けることができる
☞世界に先駆けての承認を目指す

ニーズWG関連有

関連学会の協力必須

【D.特定用途指定制度】

通知：「特定用医療機器・体外診断用医薬品・再生医療製品の指摘に関する取扱いについて」（薬生機審発0831第5号，令和2年8月31日）

◆ 導入時期：2020年～

◆ 制度の目的：

・**小児に対する用法/用量が設定されていない**など、医療上のニーズが著しく充足されていない医療機器等の研究開発の促進に寄与する

◆ 主な要望者：企業、アカデミア

◆ 指定までの主な流れ：

厚労省へ要望書提出→PMDA開発前相談/ニーズ検討会での評価→指定（部会審議で決定）

◆ 指定品の薬事的取扱い：

・優先相談（早期承認のための事前評価の充実を狙う）

・優先審査

ニーズWG関連有

関連学会の協力必須

【E.条件付き早期承認制度】

類型1（超オーファン）、類型2（通称：PHOENIX制度）

通知：「医療機器および体外診断用医薬品の条件付き承認の取扱いについて」
（薬生機審発0831第2号，令和2年8月31日）

◆ 導入時期：類型1：2017年～　類型2：2020年～

◆ 制度の目的：

・患者数が少ない等により治験完了までに長期間を要すると想定される医薬品等を一定の有効性・安全性を前提に，**条件付きで早期に承認する**仕組み

◆ 主な要望者：アカデミア、企業

◆ 指定までの主な流れ：必要に応じニーズWGの評価を依頼
PMDA開発前相談（該当性相談として）/臨床試験要否相談
（リスク管理計画書の評価）→申請/承認
→リスク管理計画に基づく使用成績評価申請/評価

◆ 指定品の薬事的取扱い：

・各類型の条件にあえば治験は不要

・原則として使用成績評価が必要

【E.条件付き早期承認制度】

類型1（超オーファン）、類型2（通称：PHOENIX制度）

通知：「医療機器および体外診断用医薬品の条件付き承認の取扱いについて」
（薬生機審発0831第2号，令和2年8月31日）

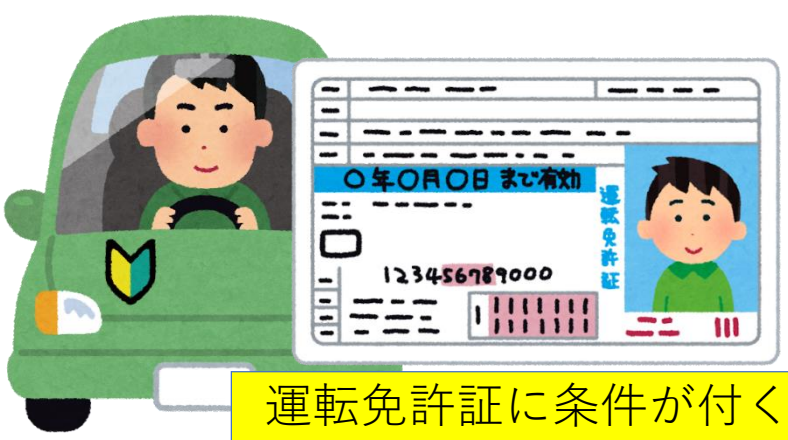
●審査期間の短縮ではなく、少ない情報で承認を目指すため、企業においては、通常の薬事承認→販売までにかかる総時間が短縮される可能性がある

しかしながら、、、、

●関連学会の全面的な協力が必要

●市販後実施する「リスク管理計画書」の提出が必須となる

→リスク管理計画にもとづく使用成績評価結果内容が妥当であれば、「条件付き解除」が可能



運転免許証に条件が付くようなもの

市販後の評価が妥当であれば条件解除！

【F.医療機器の特性に応じた変更計画の事前確認制度】

通称： IDATEN制度（Improvement Design within Approval for Timely Evaluation and Notice）

通知：「医療機器の変更計画の確認申請の取扱いについて」
（薬生機審発0831第14号，令和2年8月31日）

◆ 導入時期：2020年～

◆ 制度の目的：

・医療機器の特性に応じ将来改良が見込まれている医療機器について，その**改良計画自体を承認する**制度

◆ 主な要望者：申請企業

◆ 指定までの主な流れ：

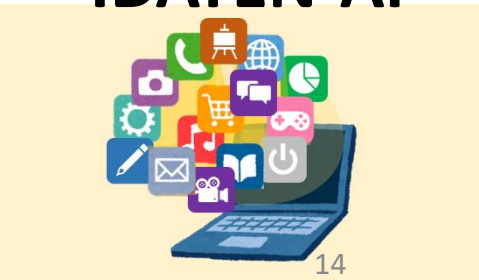
PMDA開発前相談（該当性相談として）→申請/届出
→変更計画に従い対応次第軽微変更届

◆ 指定品の薬事的取扱い：

・届出られた変更計画に従った結果であれば、都度の一変が不要

・プログラム医療機器にも適応可能

IDATEN-AI



【F.医療機器の特性に応じた変更計画の事前確認制度】

通称： IDATEN制度

通知：「医療機器の変更計画の確認申請の取扱いについて」（薬生機審発0831第14号，令和2年8月31日）

一般的な承認プロセス

初回承認申請

承認申請
↓ 審査
承認

手数料

→ 製品の改良など

一部変更承認申請

承認申請
↓ 審査
承認

手数料

→ さらなる改良

一部変更承認申請

承認申請
↓ 審査
承認

手数料

→ …

IDATENプロセス

初回承認申請

承認申請
↓ 審査
承認

手数料

→

IDATEN申請/届出

改良計画書の事前確認

手数料

→ 製品の改良など

軽微変更届

事前改良計画通りの結果であれば
審査なし！
手数料なし！

→ …

●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！！