

医薬機審発 0112 第 1 号
令和 6 年 1 月 12 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

「先駆的医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の指定等に関する
取扱いについて」の一部改正について

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「法」という。）第 77 条の 2 第 2 項に基づく先駆的医療機器、先駆的医薬品のうち体外診断用医薬品（以下「先駆的体外診断用医薬品」という。）及び先駆的再生医療等製品の指定については、「先駆的医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の指定等に関する取扱いについて」（令和 2 年 8 月 31 日薬生機審発 0831 第 6 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。以下「課長通知」という。）等に従って取り扱ってきたところです。

今般、先駆的医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の指定に関する取扱いを改めて、下記のとおりとすることとしましたので、御了知の上、貴管内関係事業者に対し周知方御協力お願いいたします。

記

1. 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（以下「医療機器等」という。）は、以下の4つのすべての要件を満たすこと。

なお、4つのすべての要件を満たす場合であっても、下記のいずれかに該当する場合は原則として指定しない。

- ア 過去に先駆け審査指定制度の対象品目若しくは先駆的医療機器として指定された医療機器と同等の原理に基づく使用目的若しくは効果を追加しようとするとき又は当該医療機器と同等の原理に基づく使用目的若しくは効果を有する他の医療機器が既に承認されているとき
- イ 過去に先駆け審査指定制度の対象品目若しくは先駆的体外診断用医薬品として指定された体外診断用医薬品と同等の原理若しくは測定項目を用いた使用目的を追加しようとするとき又は当該体外診断用医薬品と同一の原理若しくは測定項目を用いた使用目的を有する他の体外診断用医薬品が既に承認されているとき
- ウ 過去に先駆け審査指定制度の対象品目若しくは先駆的再生医療等製品として指定された再生医療等製品と同等の作用機序に基づく使用目的若しくは効果を追加しようとするとき又は当該再生医療等製品と同等の作用機序に基づく効能、効能若しくは性能を有する他の再生医療等製品が既に承認されているとき

(1) 指定要件1：治療法又は診断法の画期性

原則として、医療機器にあつては新規原理、体外診断用医薬品にあつては新規原理又は新規測定項目、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又は安全性

既存の治療法若しくは診断法がない、既存の治療法若しくは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。

ただし、有効性又は安全性の大幅な改善が見込まれるものとして、少なくとも国内外を問わず探索的臨床試験等において、ヒトに対する有効性及び安全性が示唆されていること。

(4) 指定要件4：世界に先駆けて日本で早期開発及び承認申請する意思並びに体制

日本における早期開発を重視し、世界（我が国と同等の水準の承認制度を有している国）に先駆けて又は同時に日本で承認申請される（最初の国の承認申請を起算日とし、同日から3か月以内の申請は同時申請とみなす。）予定のもの

のであり、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(以下「総合機構」という。)で実施されている先駆け総合評価相談を活用し承認申請できる体制及び迅速な承認審査に対応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等であって、日本を含めた形で治験を実施するものが望ましい。

また、使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医療機器等を承認申請する場合は、当該診断薬等も並行して承認申請できる体制(他社との連携体制を含む。)を有していること。

2. 指定の方法

先駆的医療機器、先駆的体外診断用医薬品及び先駆的再生医療等製品(以下「先駆的医療機器等」という。)の指定については、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて行う。当面の間は、年に2回程度(概ね4月及び10月)の指定を行うこととし、今後審査体制の状況に応じ変更するものとする。ただし、保健衛生上必要な場合には、臨時の指定も行うことがある。なお、指定した医療機器等については、指定年月日、医療機器等の名称、対象疾病並びに指定申請者の氏名を厚生労働省ホームページに掲載する。

3. 指定の相談

先駆的医療機器等の指定の申請を予定する者は、事前に、厚生労働省医薬局医療機器審査管理課(以下「医療機器審査管理課」という。)に相談すること。医療機器又は体外診断用医薬品について指定の申請を予定する者は、医療機器審査管理課の指示に従い、総合機構に相談を申し込むこと。再生医療等製品については別途指示することとする。この相談の中で、相談者と厚生労働省及び総合機構が、相談品目が本制度の対象となるかどうかについて意見交換を行う。相談者との意見交換を踏まえ、厚生労働省及び総合機構は、相談品目について、指定の要件に該当するかどうか総合的に勘案し、相談品目が本制度の対象になるかどうかを検討する。本制度の対象となり得ると判断される場合は、相談記録において、指定申請の手続を行うことについて差支えない旨を記載する。相談記録の作成まで(対面助言よりおよそ30日勤務日以内)に、本制度の対象とすることの適否の判断がつかない場合は、別途厚生労働省及び総合機構から相談者に連絡する。

4. 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、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(昭和36年厚生省令第1号。以下「規則」という。)に規定する様式第107の2に、(2)の添付資料を付し、医療機器審査管理課に指定申請をすること。なお、資料は、原則として電子ファイルにより提出すること。

(2) 指定申請書の添付資料

規則第 251 条の 2 第 2 項の規定により指定申請書に添付すべき資料が定められているが、その具体的な内容は次のとおりであること。ただし、医療機器及び体外診断用医薬品に係る指定申請については、ウの添付を要しない。なお、このほか、必要に応じて資料の提出を求めることがあること。

ア 作用機序又は原理に関する資料

イ 医療上の必要性に関する資料

(ア) 病因、症状等対象疾病に関する資料

(イ) 類似の医療機器等の有無、治療方法の有無など医療の現状に関する資料

ウ 毒性、薬理作用等に関する試験成績の概要

エ 臨床試験の試験成績の概要

オ 本邦及び外国における開発計画の概要

カ 先駆的医療機器等の指定要件該当性に関する概要

部会説明用資料及び公表用資料として、別紙様式 1～3 のいずれかに従って作成した概要

5. 指定された医療機器等の優先的な取扱い及び留意事項

(1) 優先相談

総合機構で実施されている対面助言等で、他の医療機器等に優先した取扱いを受けることができるので、実施時期等について総合機構に相談すること。

(2) 事前評価の充実

承認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 ヶ月以内）承認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、後述する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、総合機構で実施されている先駆け総合評価相談のすべての相談区分を利用すること。

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。

なお、上記の先駆け総合評価相談による事前評価が十分でない場合（評価に必要なデータが揃わない場合や総合機構の助言内容等に対する十分な対応が行われていない場合を含む。）、承認申請から承認までの期間を医療機器等の評価の状況を踏まえて個別に設定することがある。

(3) 優先審査

法第 23 条の 2 の 5 第 10 項及び法第 23 条の 25 第 9 項の規定により優先審査の取扱いを行うこととする。

(4) コンシェルジュ

厚生労働省及び総合機構の連絡調整を行うことができる適当な者として、総合機構において指名される者（以下「コンシェルジュ」という。）が、当該対象品目の開発の進捗管理の相談、承認申請者及び承認審査関係部署との調整を

行う。指定後早期に当該対象品目にかかるコンシェルジュは、当該対象品目について法第 77 条の 2 第 2 項の規定による指定を受けた者（以下「指定者」という。）に連絡する。

6. 試験研究等の中止

指定者は、当該指定に係る先駆的医療機器等の試験研究、製造販売又は製造を中止しようとするときは、法第 77 条の 5 の規定に基づき、速やかに厚生労働大臣に届け出ること。

なお、中止の届出は、規則様式第 108 による届書を提出することにより行うこと。

7. 指定の取消

法第 77 条の 5 の規定による中止の届出があったときは、法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき、厚生労働大臣は、指定の取消しを行う。また同条第 2 項の規定に基づき、次のいずれかに該当するときは、指定を取り消すことがある。

なお、指定を取り消す際は、医療機器審査管理課は、薬事・食品衛生審議会に報告の上、2. に準じてホームページに掲載する。

- (1) 指定された医療機器等よりも先に他の医療機器等が国内で承認されたことなどにより、指定要件 1 又は 2 を欠くと認められるとき。
- (2) 検証的臨床試験における結果等から、極めて高い有効性又は著しい安全性の向上が見込まれなくなり、指定要件 3 を欠くと認められるとき。
- (3) 指定された医療機器等について、以下のいずれかの場合により指定要件 4 を満たさなくなったとき。
 - 世界に先駆けて又は同時に日本で承認申請を行わなかった場合。
 - 十分な事前評価を受けずに承認申請された又は承認申請資料に相当の瑕疵があると判明した結果、我が国での早期の開発が達成できなくなった場合。
- (4) 同一の医療機器等が海外で先に承認されたとき。
- (5) 指定申請書の虚偽記載等不正があったと認められるとき。
- (6) 正当な理由なく先駆的医療機器等の試験研究又は製造販売が行われないうとき。
- (7) 指定者について法その他薬事に関する法令で定めるもの又はこれに基づく処分に違反する行為があったとき。

8. 承継の取扱い

指定者から、他の者（以下「承継者」という。）に本邦での開発権を譲渡する場合、指定者は、6 に従って、試験研究等の中止の届出を行い、承継者は、4

(1) の申請書及び (2) カの資料を提出すること。ただし、指定者が当該指定を受けた時点から、変更が生じている場合には、変更部分について、承継時点で

も指定要件を充足することを示す資料も併せて提出すること。なお、承継は別途発出する指定書を以て認めるものとする。

なお、承継を検討している指定者は事前に医療機器審査管理課へ相談すること。その際、承継に係る契約書の写しや承継の経緯等が把握できる資料等も提出すること。

9. 施行日

本通知は令和6年1月12日から施行する。

10. その他

指定を受けた医療機器等又は「先駆的医薬品の指定に関する取扱いについて」（令和2年8月31日付け薬生薬審発 0831 第6号）に基づく指定を受けた医薬品の有効性若しく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療機器等又は医薬品の開発・承認に遅延が生じないように、1. の指定の要件及び4. 指定の手続に関わらず、先駆的医療機器等の指定を受けることがある。その場合、7. 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。

別紙様式 1

先駆的医療機器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又は安全性※ 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又は安全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"/> 承認申請及び迅速な承認審査対応が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 ※ ⁷)

※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、有効性又は安全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。

※7：使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医薬品については、当該診断薬等企業との連携体制及び開発の進捗状況等を含めて記載すること。

(その他留意事項)

1 様式はA4判とすること。

2 詳細についてさらに説明を要する場合には、別添として添付することは差し支えない。

3 公表資料として用いることを前提に作成すること。

別紙様式 2

先駆的体外診断用医薬品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又は安全性 ^{※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又は安全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"/> 承認申請及び迅速な承認審査対応が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。

(その他留意事項)

1 様式はA4判とすること。

2 詳細についてはさらに説明を要する場合には、別添として添付することは差し支えない。

3 公表資料として用いることを前提に作成すること。

別紙様式 3

先駆的再生医療等製品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又は安全性 ^{※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又は安全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"/> 承認申請及び迅速な承認審査対応が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※7})

※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。

※7：使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医薬品については、当該診断薬等企業との連携体制及び開発の進捗状況等を含めて記載すること。

(その他留意事項)

- 様式はA4判とすること。
- 詳細についてさらに説明を要する場合には、別添として添付することは差し支えない。
- 公表資料として用いることを前提に作成すること。