

「医療機器等への薬事承認の迅速化
(期限・条件付き承認制度の適用)」について

平成27年3月13日
厚生労働省医薬食品局

第12回 国家戦略特別区域諮問会議において 有識者議員から提出された追加の規制改革事項

○ 医療機器等への薬事承認の迅速化(期限・条件付き承認制度の適用)

医療イノベーションを強力に推進するため、世界に先駆けた日本発の医療機器・医薬品については、少なくとも国家戦略特区内の臨床研究中核病院において使用する場合には、再生医療等製品に適用し、海外にも大きなインパクトを与えている「条件・期限付き承認制度(※)」を適用することにより、薬事承認の迅速化を図るべきである。

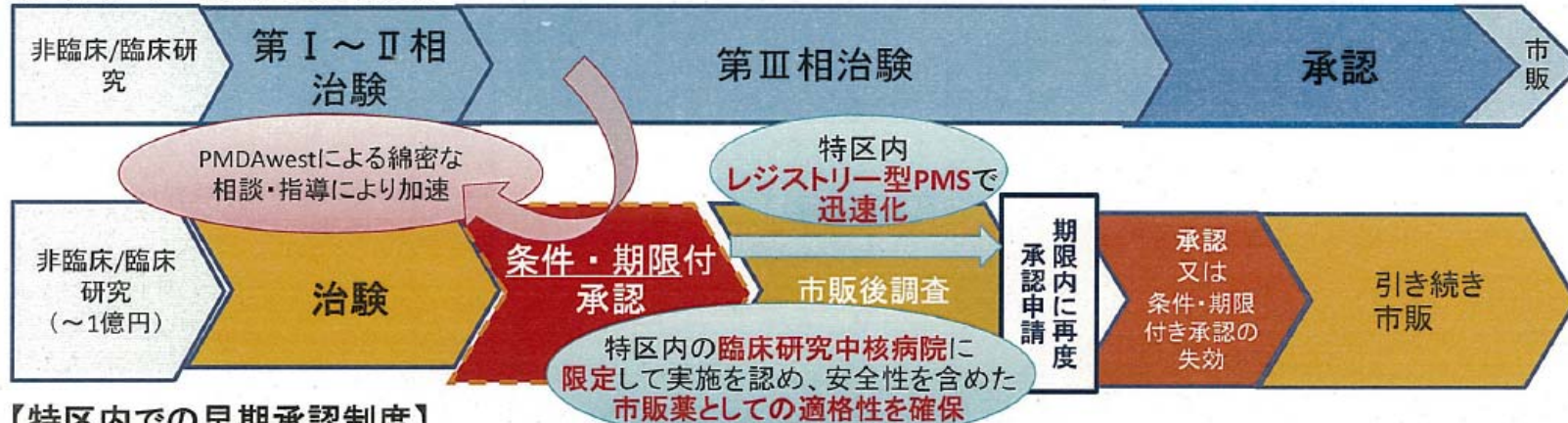
※ 人の細胞を用いた再生医療等製品について、特別に早期に薬事承認できる制度(平成25年11月に成立した医薬品医療機器等法(改正薬事法)で創設)。通常の有効性の確認に代えて、一定数の限られた症例から短期間で有効性を推定の上、販売先医療機関を限定し期間を限って薬事承認。

検討中

世界の期待に応える早期薬事承認特区のイメージ(案)

再生医療等製品で適用された条件・期限付き承認制度を、特区内で医薬品、医療機器に拡大

【世界標準的薬事承認制度】

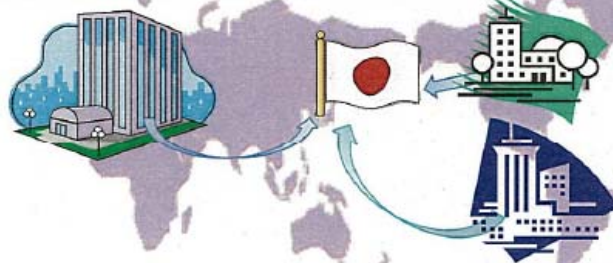


【特区内での早期承認制度】

First in Human and Fast for Humans

特区内で早期から一貫して開発。開発費用の適正化(大幅な削減)と開発期間を3~4年短縮

開発費用が下がり、薬価も低下



世界中の製薬企業が日本に



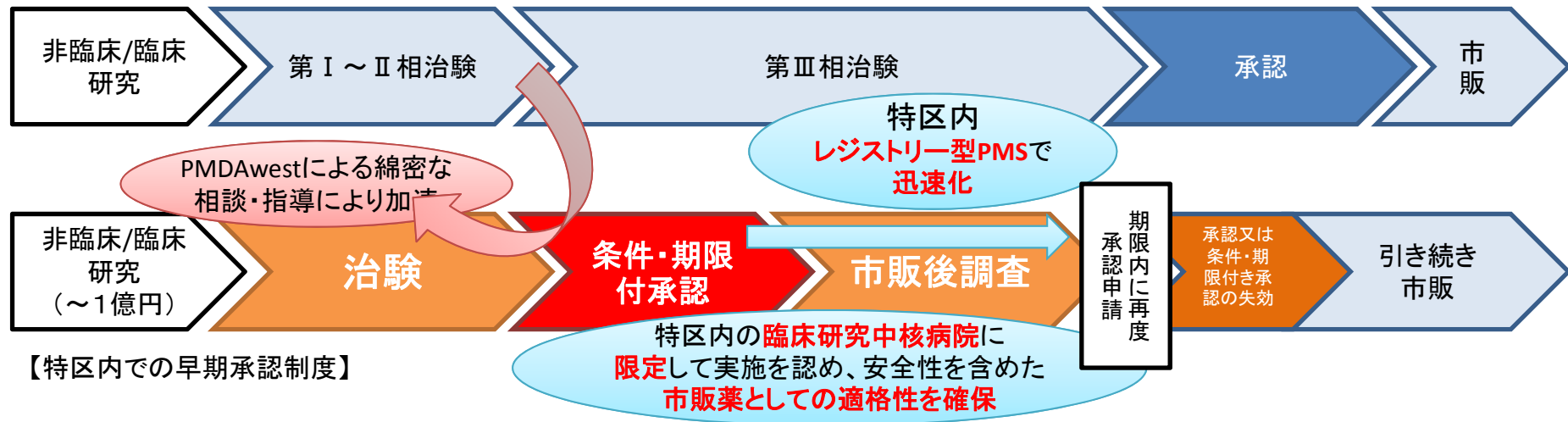
患者へのより早いアクセスで患者が集積
早期製品化により世界から企業が集積

日本の医療産業の発展と
保険医療財政の改善

医療費の削減

関西圏の提案(世界の期待に応える早期薬事承認特区のイメージ)

【世界標準的薬事承認制度】



【特区内での早期承認制度】

特区における医療機器等への期限条件付承認制度の適用が困難な理由

1 地域により有効性や安全性判断が異なることの問題

科学的に行われるべき医療機器等の品質、有効性、安全性の評価を地域により異なる基準で運用することは、科学的判断基準を合理的に説明することが困難

2 内外無差別原則への抵触のおそれ

WTO・TBT協定では、海外製品の供給者に対し、国内製品の供給者に比べて不利な条件を課してはならないことが義務づけられている。特区発や日本発の医療機器等のみに期限・条件付承認制度を導入することは、同協定に抵触するおそれがある。

医薬品医療機器等法の「承認」の考え方について

製品の品質、有効性及び安全性を審査し、有効性がリスクを上回る個別の製品について承認を与える。この考え方は、医薬品、医療機器及び再生医療等製品で共通。

再生医療等製品の期限・条件付き承認とは

再生医療等製品は、ヒトの細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となる

▶ 臨床データの収集・評価に長時間を要し、実用化まで時間がかかる

▶ 有効性が推定され、安全性が確認されれば、条件及び期限付きで特別に早期に承認できる仕組みの導入が必要

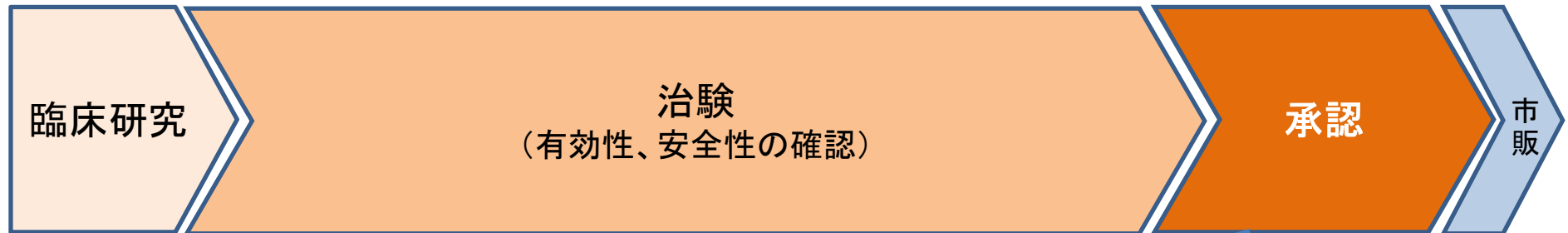
○ 医薬品・医療機器について

臨床データから有効性がリスクを上回るか確認できるにもかかわらず、その確認をせず、健康被害が発生した場合に国の責任は免れない。

再生医療等製品の実用化に対応した承認制度(条件・期限付承認)

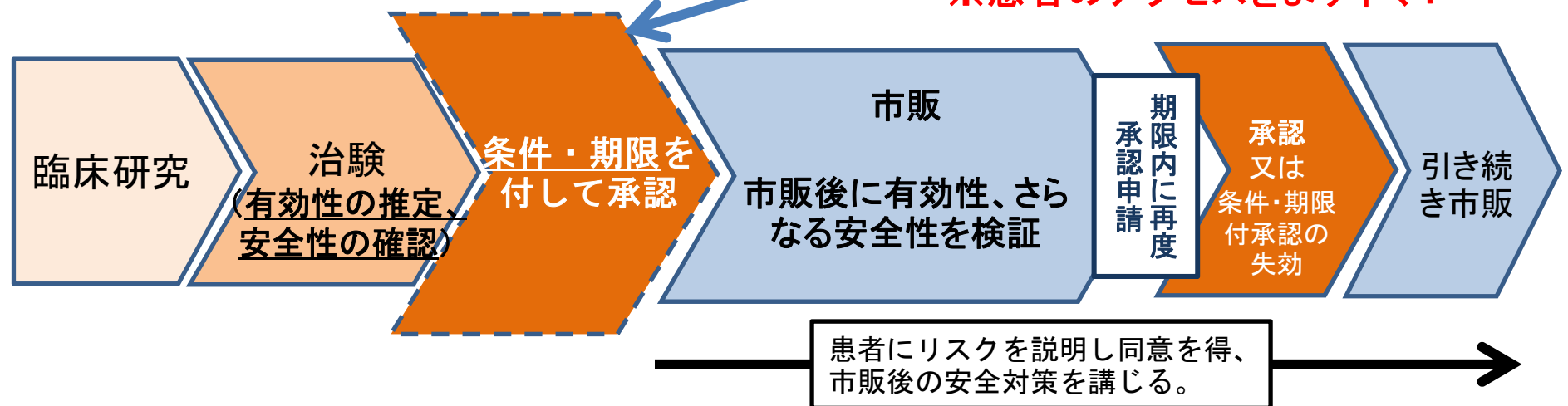
＜再生医療等製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点＞
人の細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。

【従来の承認までの道筋】



【再生医療等製品の条件・期限付承認】

※患者のアクセスをより早く！



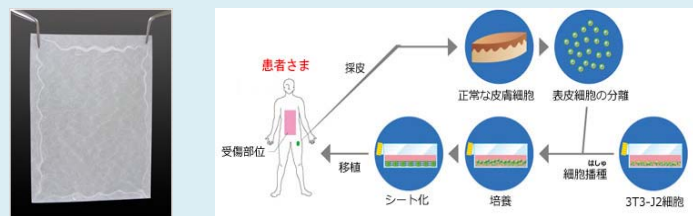
- ・有効性については、一定数の限られた症例から、従来より短期間で有効性を推定。
- ・安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。

現行の再生医療等製品の条件・期限付承認と 医薬品・医療機器の承認の考え方

再生医療等製品

以下の特性から、通常の医薬品・医療機器の方法では審査が困難。

- ・ 患者の個人差の影響を受け、品質が不均一な製品では、治験に長期間を要する。(不均一性)
- ・ ヒトの細胞を用いるため、ヒトに使用してみないと効果の見通しが予測しづらい。(有効性予測困難性)



臨床データの収集・評価に長時間を要し、実用化まで時間がかかる

条件・期限付承認の創設

※ 承認条件や安全性確保要件により、患者同意、販売先の制限、全例の患者調査などがある。

一般的な医薬品・医療機器

患者が少ない等の場合でも、物としての性能／作用と臨床試験の結果から一定の有効性の確認が可能。

- ・ 工業的に均質な製品であり、臨床試験の実施が比較的容易。
- ・ 動物実験でも、機械製品の機能、物質の薬理作用が評価できる。



通常の開発・審査の手続を迅速化するかが課題

通常の承認審査の一層の迅速化

※ 一般的な医療機器・医薬品と特徴が異なる製品の場合、個別に特徴を踏まえた相談・審査を運用する。