

薬食機発0329第1号  
平成25年3月29日

各都道府県衛生主管部(局)長 殿

厚生労働省医薬食品局審査管理課  
医療機器審査管理室長  
(公印省略)

希少疾病用医療機器等に関する臨床試験データの  
取扱いの明確化について

医療機器の特性を踏まえた、より合理的な規制制度の構築と運用を実現するため、平成24年2月に「医療機器規制制度タスクフォース」を立上げ、医療機器業界と建設的な意見交換を行い、解決すべき課題について検討し、得られた結論については実施可能なものから速やかに実務的に運用を改善することとしている。

医療機器の製造販売承認申請において臨床試験の試験成績に関する資料の提出の必要な範囲等については、「医療機器に関する臨床試験データの必要な範囲等について」（平成20年8月4日付け薬食機発第0804001号厚生労働省医薬食品局審査管理課医療機器審査管理室長通知）等により通知したところである。

今般、希少疾病用医療機器等（薬事法（昭和35年法律第145号）第77条の2の規定により指定された希少疾病用医療機器及び当該指定基準に準じるものを含む。）の製造販売承認申請について、以下のとおり整理し、その取扱いの明確化を図ることとしたので、御了知の上、貴管内各関係業者、関係団体等に周知方よろしく願います。

なお、本通知の写しを各地方厚生局長、独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長、日本医療機器産業連合会会長、米国医療機器・IVD工業会会長及び欧州ビジネス協会医療機器委員会委員長宛て送付することとしている。

記

## 1. 希少疾病用医療機器等の臨床試験成績に関する資料の取扱いについて

医療機器の承認審査に当たっては、疾患の重篤性、既存療法との比較等を含めて、リスクベネフィットを総合的に評価することが重要であるが、希少疾病用医療機器等においては、適応となる疾患の症例自体が少ないため、治験の実施が困難な場合が多い。

次に掲げる事例では、有効性及び安全性等に関するデータを収集・活用することなどにより、科学的な評価が可能と判断されれば、新たに治験を行う必要がない場合があると考えられるので、必要に応じ、その妥当性について、あらかじめ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。）の対面助言（薬事戦略相談等）を活用することを考慮されたい。

- ア) 外国（本邦と同等の水準にあると認められる承認の制度又はこれに相当する制度を有している国（例えば、米国）をいう。以下同じ。）において、既に当該使用目的等により承認され、医療における相当の使用実績があり、その審査当局に対する承認申請に添付されている資料及び申請資料が入手できる場合
- イ) 外国において、既に当該使用目的等により承認され、医療における相当の使用実績があり、国際的に信頼できる学術雑誌に掲載された科学的根拠となり得る論文又は国際機関で評価された総説等がある場合
- ウ) 公的な研究事業の委託研究又は先進医療により実施されるなどその実施に係る倫理性、科学性及び信頼性が確認し得る試験成績がある場合
- エ) 既に承認されている希少疾病用医療機器の一部変更承認申請であって、当該医療機器の変更により、明らかに安全性の向上が見込まれるが、極めて限られた人数を対象とした希少疾病用医療機器であるために、治験の実施が困難あるいは、治験による評価の必要性が低いと考えられる場合

## 2. 希少疾病用医療機器等の製造販売後の調査等について

- (1) 製造販売業者は、必要に応じて、製造販売後に使用成績調査等における使用患者の登録を行い、有効性及び安全性等に関するデータを収集し、安全対策に活用する。また、関連学会等と連携の上、実施医及び実施施設等について使用要件を策定する必要がある場合もあること。さらに、臨床試験等の評価対象となった患者数が少ないために、製造販売後に想定し得ない不具合等が生じる可能性も否定できないことなどについて、医療関係者や患者へ当該医療機器に関する必要な情報提供を徹底することが求められること。

- (2) (1)に関する事項等について承認条件として付し、製造販売後の情報収集、医療関係者や患者への情報提供、その他必要な対策を講ずることにより、保健衛生上の危害防止を図ることがあること。

### 3. 通知の改正について

「医療機器の製造販売承認申請に際し留意すべき事項について」（平成 17 年 2 月 16 日付け薬食機発第 0216001 号厚生労働省医薬食品局審査管理課医療機器審査管理審査室長通知）の記の第 3 の（6）のア項を「ア. 臨床試験データの必要な範囲等については、「医療機器に関する臨床試験データの必要な範囲等について」（平成 20 年 8 月 4 日付け薬食機発第 0804001 号厚生労働省医薬食品局審査管理課医療機器審査管理室長通知）及び「希少疾病用医療機器等に関する臨床試験データの取扱いの明確化について」（平成 25 年 3 月 29 日付け薬食機発 0329 第 1 号厚生労働省医薬食品局審査管理課医療機器審査管理室長通知）によること。」に改める。