

令和6年度

開発が困難な小児や希少疾病用医療機器の
実用化推進事業
報告書

令和7年3月

国立医薬品食品衛生研究所
医療機器部

報告書目次

事業参加者名簿.....	1
1. 摘要.....	2
2. 本研究の目的.....	3
3. 小児・希少疾病用医療機器開発に関する企業、業界団体、機関への ヒアリング調査.....	4
4. 小児・希少疾病用医療機器開発における支援制度等の活用に関する 検討.....	9
5. 小児用医療機器開発における非臨床試験を有効活用するための体制 構築.....	20
6. 総括.....	27
別紙	
別紙 1 ヒアリング調査票.....	28
別紙 2 関係者へのヒアリング調査結果.....	30
別紙 3 小児・希少疾病用医療機器開発における支援制度.....	46
参考資料.....	59

事業参加者名簿

令和6年度 開発が困難な小児や希少疾病用医療機器の実用化推進事業
参加者名簿

事業実施者

国立医薬品食品衛生研究所

山本 栄一	医療機器部	部長	
岡本 吉弘	医療機器部	性能評価室	室長
迫田 秀行	医療機器部	性能評価室	主任研究官
坪子 侑佑	医療機器部	性能評価室	主任研究官

協力者

厚生労働省

水谷 玲子	医薬局	医療機器審査管理課	プログラム医療機器審査管理室	室長
牧野 友彦	医薬局	医療機器審査管理課		参与
高橋 彩来	医薬局	医療機器審査管理課	プログラム医療機器審査管理室	
			プログラム医療機器審査調整官	

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

矢花 直幸	医療機器審査第一部	部長
白土 治己	医療機器審査第二部	部長
相澤 浩一	医療機器審査第一部	審査役

本編

1. 摘要

小児および希少疾病用医療機器の早期実用化が望まれており、様々な施策が行われているが、患者、医療現場からのニーズに応える医療機器がなかなか実用化されていない。実用化の主体となるのは、医療機器を開発し供給する製造販売業者である。

そこで本研究では、まず、小児および希少疾病用医療機器の開発関係者である、製造販売業者、業界団体、Academic Research Organization (ARO) へ実用化の課題、要望事項、今後取り組むべき内容について、深く議論をするためにヒアリング調査を実施した。その結果、最大の問題は販売数が少なく採算性が確保できないため事業として成立しないということで意見が一致した。他に開発支援制度の選択の難しさ、一元化相談窓口が存在しないこと、非臨床評価を行う上での基盤的なデータの不足等が挙げられた。

ヒアリング調査の結果から、政府が用意した様々な支援体制が、十分に活用できていない可能性が考えられたため、小児および希少疾病医療機器の実用化に関係する支援制度について調査するとともに、開発関係者がどの支援制度を活用すべきか判断する際に有用な、要件やメリットの違いを比較しやすいようまとめた表を作成するとともに、簡潔に解説した。また、今後強化すべき支援内容について検討した。

さらに、小児および希少疾病用医療機器の早期実用化においては、非臨床試験の活用が望まれているが、非臨床試験法を開発する上で必要となる、小児生体組織の物理特性に関するデータの不足が指摘された。そこで、非臨床試験法の開発の基盤となるデータベースの構築を目的とした、小児生体組織の力学特性の取得のための研究体制の構築を行った。

2. 本研究の目的

小児および希少疾病用医療機器の早期実用化が望まれており、様々な施策が行われているが、患者、医療現場からのニーズに応える医療機器がなかなか実用化されていない。本研究の目的は、現状を明らかにして課題を抽出して対策案を提言するとともに、開発関係者を支援するための基盤を整備するための体制を構築することで、小児・希少疾病用医療機器の早期実用化を推進可能とすることである。

具体的には、まず、小児・希少疾病用医療機器の製造販売業者、業界団体、AROへヒアリングを実施し、課題とその原因、要望の優先順位等を議論し、効果が大きく優先順位が高いと思われる対策案を提示することとした。次に、ヒアリング結果を基に、承認申請しようとする企業が支援制度の使用を検討する際に、どの支援制度が活用できるかの判断材料となるよう、各支援制度のメリットや要件の違いを分かりやすく解説することとした。さらに、非臨床試験を有効活用して小児・希少疾病用医療機器を開発するために必要な生体組織の物理特性を所得し、データベース化していくための体制を構築することを目的とした。

3. 小児・希少疾病用医療機器開発に関係する企業、業界団体、機関へのヒアリング調査

3.1. 目的

小児および希少疾病用医療機器の早期実用化が望まれており、様々な施策が行われているが、患者、医療現場からのニーズに応える医療機器が中々実用化されていない。実用化の主体となるのは、医療機器を開発し供給する製造販売業者である。

過去には、令和1～3年度に実施された、日本医療研究開発機構医薬品等規制調和・評価研究事業「小児用医療機器の日米同時開発に係る課題抽出等に関する研究」（開発代表者：坂本喜三郎（静岡県立こども病院 院長））¹⁾において、小児用医療機器の実状や実用化に向けた課題について医療機器製造販売業者を対象としたアンケート調査が行われ、その結果を基に、実用化に向けた対策案について考察がされている。

本研究では、最新の課題や要望について掘り下げて情報収集し、実用化に向けた現在の取組み、実用化の際の苦労した点、実用化が進まない原因が何か、その対策案等について議論し、実用化を促進するための影響の大きな課題と優先すべき対策案について考察することを目的に、小児および希少疾病用医療機器の開発関係者である、開発企業、業界団体、AROへヒアリングを実施した。

3.2. 方法

ヒアリングの内容は、現在の支援制度等の活用状況や課題、行政機関等への要望とした。ヒアリング項目は別紙1に掲載する。

規制当局者や、潜在的な顧客である臨床医がヒアリングを実施する場合、直接的な利害があることから、本音ベースの情報提供が難しい可能性がある。そこで本研究では、ヒアリング実施者と小児および希少疾病用医療機器の開発関係者との間に直接の利害関係がないことや、非臨床試験法の開発などを通じて、早期実用化に間接的な支援が可能であることなどを説明するとともに、差し支えない範囲のみ報告書に掲載する旨を説明し、可能な限り、本音ベースの意見を聴取できるよう努めた。

ヒアリングは、小児および希少疾病用医療機器の実用化経験がある製造販売業者に加え、医療機器の製造販売業者の業界団体や、大学発のシーズなどの実用化支援を行うAROを対象とした。ヒアリングを実施した機関は以下のとおりである。

- (株) 東海メディカルプロダクツ
- 帝人 (株)
- 日本医療機器テクノロジー協会 (MTJAPAN)
- 国立がんセンター東病院 医療機器開発推進部門 医工連携支援室
- 慶應義塾大学病院 臨床推進研究センター トランスレーショナルリサーチ部門

3.3. 結果

各機関へのヒアリング結果は、掲載許可が得られた内容の議事概要として、別紙 2-1~4 に掲載する。

主な課題や要望については、採算に関する事項と支援制度に関する事項に分類できた。最も大きな課題として、「製品化されても採算ベースに乗らない (儲からない)」ということで意見が一致していた。患者数も少なく、使用数も当然少ないため、償還価格では採算が合わないのが現状だと判断できる。また現在、適応外で使用できている製品が下市される例が出てきており、小児用の新たな適応のための開発費用がかからないような状況の製品でも販売体制を維持することが難しくなっている可能性があると考えられた。この結果として、デバイス選択肢が狭まることが大きな問題となっている。「最新技術の製品の実用化よりも先に、海外と同等な製品選択肢の提供を適応のある製品で可能とすることが先決である」という意見もあった。

開発に係る費用については、各種の支援制度があるが、開発には時間がかかる製品が多く、継続的な研究費補助等の支援の仕組みに乏しいことが指摘された。

支援制度については、「様々な施策が準備されているものの、どの支援策や補助が活用できるのかがわかりにくい」との意見があった。また、「それぞれの制度の要件とメリット、相談や申請のタイミングなどが分かりづらい」との意見があり、分かりやすい説明に対する要望があった。また、「開発時に、様々な場面でタイムリーに相談できる窓口がない」との意見や、「様々な領域の相談内容に対応ができる専門的な人材が不足している」、「相談窓口は一元化されることが望ましい」との意見があった。

他に、「小児用医薬品に比べ、小児用医療機器の支援の仕組みが乏しい」との意見があった。

「米国では FDA への無料相談が随時可能なこと、HDE (Humanitarian Device Exemption) 制度、各種援助制度等において、日本より充実していると考えられる」との意見があった。「本邦における希少疾病用医薬品等開発振興事業の開発補助では、治療件数は少なく実用化が進まない製品であっても、患者数が規定数の 5 万人より少しでも多い

場合には適用されない」との指摘があった。「使用頻度が単回使用など治療件数に依存するような医療機器の場合は、厳密に規定に当てはまらなくても、柔軟に適用できないか」という要望があった。

「非臨床試験を有効活用できていない」という意見があった。「新たな製品の申請時に必要な非臨床試験のパッケージを想定することが難しく、そのため、新規試験方法の提案や、非臨床試験の開発に必要な小児生体組織等のデータの提供などの支援ができないか」という要望があった。

また、その他の意見として、「本邦では、米国のように患者団体からの強い要望が出にくく、政治案件になり難い」という意見があった。

3.4. 考察

ヒアリングにより得られた課題や要望に対する対策として、資金面での支援とコンサルティング支援の拡充を重点的に実施することが妥当だと思われた。これらの支援の重要性については、先行研究¹⁾でも指摘されていた。

資金面での支援としては、開発に係る費用の支援と、承認後の採算の改善のいずれも重要であり、特に製造販売業者が、採算が取れるようになるまでの支援策、支援体制の構築が必要と思われた。公的資金での支援については、国民の理解も必要であり、現状の問題に対する理解を促進するような広報活動や、患者団体からの要望によって本問題が広く周知され、資金支援や制度構築が実施しやすくなると考えられた。償還価格にて採算ベースに合わせる事が難しいとの前提に立ち、支援の原資を提供する寄附等の活用を取り入れるのも検討すべき時期かと考えられた。支援の仕組みとして、NPO法人を活用して寄付を募ることや、そのような組織を通じて医療機器の供給や患者等への資金的な援助を実施することは検討に値すると思われる。例えば、選定療養費の仕組みで患者の自己負担で小児や希少疾病用医療機器を利用できるようにして、患者に寄附等から資金支援をする新たな制度や仕組み等が考えられる。

開発費の支援については、近年、医療機器開発において、AMED等からの支援事業が充実してきているが、革新性や海外展開を前提にする必要がある事業が多い。しかし、小児や希少疾病用医療機器の開発では、必ずしも革新性が高いとは言えない場合や、後述のように、企業体力の点で当初から海外展開を検討することが難しい場合も少なくないため、このような支援事業に採択されるのは難しいと考えられた。従って、小児や希少疾病専用の支援制度を立上げ、必要な期間、必要な資金については柔軟に対応できる体制の構築が望ましい。

また、近年、小児用医薬品のドラッグロス対策²⁾が進められていることも参考にできると思われた。

参考：小児用医薬品開発推進に向けた厚生労働省の取り組み³⁾

小児用医薬品の開発支援策

- ① 再審査期間の延長
小児用量の追加時に、4年以上6年未満の再審査期間の付与
- ② 薬価での小児加算
小児の効能効果又は用法用量が含まれる場合、新薬の薬価に加算（5～20%）
- ③ 研究開発税制
法人税額から、試験研究費の額に税額控除割合（2～14%）を乗じた金額を控除
- ④ オーフアン助成
希少疾病用医薬品の指定を受けた場合、試験研究費の1/2を補助（医薬基盤・健康・栄養研究所）
- ⑤ AMED 研究費
臨床研究・治験推進研究事業において、小児を対象とした治験を支援
- ⑥ 小児医薬品開発ネットワーク支援事業
製薬企業からの依頼に応じて、国内の小児治験ネットワーク等との連携による開発支援

コンサルティング支援の拡充策としては、相談窓口の充実が挙げられる。特に一元化窓口の創設が適当である。多方面の相談について対応できる専門家を割り当てられる、伴走支援等の仕組みが構築できることが望ましい。小児用医療機器の開発実績のある企業のノウハウは非常に有用であるが、他の企業からの相談を、直接受け支援することは難しい。従って、そのような知識を、日本医療機器産業連合会（医機連）、MTJAPAN、医療機器ベンチャー・トータルサポートオフィス（Medical Innovation Support Office、MEDISO）⁴⁾、医療機器開発支援ネットワークポータルサイト（MEDIC）⁵⁾等を通じて提供できるような仕組みを構築することも検討に値すると考えられた。

対象となる製品は、既承認品がない場合が多いと考えられるため、新たな非臨床試験の開発や試験条件の設定が必要となる。その基盤となるデータベースの構築や、新たな非臨

床試験方法の開発や試験条件の設定に関する助言・提案が可能な支援の仕組みの構築は有用と考えられた。

海外展開や資金計画については、知識・経験が十分でない企業も多いので、開発当初から助言ができることが望まれる。海外展開については、対象となる製品の販売規模を考えると、当初から海外での規制対応、販路構築等を実施することは企業にとっては初期投資（人員確保を含む）が相当な負担となり、現実的には難しい場合が多いことも理解しておく必要があると思われた。

3.5. 小括

本章では、小児および希少疾病用医療機器の開発関係者へのヒアリングを実施し、開発や行政の支援制度活用の実態について調査するとともに、最新の課題や要望について掘り下げて情報収集し、実用化を促進するための影響の大きな課題と優先すべき対策案について考察した。

ヒアリング結果から得られた課題や要望には、採算に関する事項、支援制度に関する事項があった。採算に関する事項については、制度の構築と資金の原資について課題があると思われた。開発資金の援助制度は様々な研究費支援等の仕組みがあり、それにより、開発・設備投資費用の償却負担は抑えられると考えられる。しかし、企業としては、少量を製造し、在庫を持ち、流通・販売することがそもそも採算に合わないと試算されると、開発に取り組むことが困難であり、何らかの対策がないと今後も実用化を進める企業は現れづらい状況にあると考えられた。支援制度については、相談窓口の充実と、非臨床試験の開発支援が実施可能な対策案であると思われた。これらの結果は、先行研究¹⁾で指摘されていた内容と大きな差異はなく、課題解決に向けた抜本的な対策を講じる必要があると思われた。

4. 小児・希少疾病用医療機器開発における支援制度等の活用に関する検討

4.1. 目的

小児用および希少疾病用医療機器の開発は、患者数が限られることによる市場規模の小ささ、臨床試験に必要な症例数の確保の難しさ、高額な開発コストなど、多くの課題を伴っている。そのため、企業が自社のリソースだけで開発を進めることは困難であり、行政の支援制度を適切に活用することが実用化成功の一助となりうる。本邦では、これらの課題を克服するために、医薬品医療機器総合機構（PMDA）の優先審査、開発に関する助成金、価格設定の特例、小規模データでの承認といった種々の支援策が設けられているが、各制度の対象や適用条件は異なり、開発品がどの制度を利用できるのか、どのように開発戦略を構築すべきかを判断するのは容易ではないことが、ヒアリング調査で指摘された。

そこで、既存の支援制度とその活用実績について調査するとともに、小児用および希少疾病用医療機器の開発を目指す企業が、現在利用可能な支援制度を理解し、承認申請しようとする品目に係る適切な制度を選択できるよう、各制度の概要や活用のポイントを整理し、企業の開発フェーズや製品特性に応じた制度の選択肢を明確にすることで、効率的な開発推進と早期の市場導入を支援することを目的とした。さらに、ヒアリング調査で明らかになった課題や要望と、既存の支援制度の差分について検討し、今後拡充すべき施策について検討した。

4.2. 方法

先行研究^{1,6)}に倣い、Google 検索にて小児および希少疾病用の医療機器の承認促進のために行政が行っている取り組みや支援制度を調査した。検索式は、「小児」OR「希少疾病」AND「医療機器」AND（「支援」OR「補助」OR「ニーズ」）とした。調査期間は2024年12月～2025年3月として、当該期間中に閲覧可能であったウェブサイトで公開された通知や事務連絡から、小児・希少疾病用医療機器開発に活用できるものを抽出し、1つの検討会、4つの指定制度（うち2制度は小児・希少疾病用医療機器以外も対象）、2つの支援事業を結果として得た。本事業においては、各取り組み・制度における指定時の利点や選定基準、指定要件、申請窓口（申請前の相談窓口も含む）など、開発企業が指定や申請を検討する際に参考にできる情報を主にまとめることとした。

さらに、前章で得られた、小児および希少疾病用の医療機器の開発関係者に対するヒアリング調査で明らかになった課題や要望と、それぞれの制度による支援内容を比較した。

4.3. 結果

小児用および希少疾病用医療機器の開発を目指す企業が現在利用可能な支援制度として、以下の7つの制度が認められた。医療機器全般を対象としているため、先行研究では対象としていなかったと思われる1制度も、小児用や希少疾病医療機器にも活用可能であることから、本研究では対象とした。各制度への新たな選定・指定品目のうち、小児用、または希少疾病用医療機器のものはなかった（表4.1）。各制度の詳細については、別紙3-1～7に掲載した。調査において、各制度を紹介する公開資料の記載は統一されておらず、要件や支援内容を制度間で比較することが容易でないことが判明した。そこで、以上の計7つの小児・希少疾病用医療機器の実用化に活用できる取り組み、指定制度と支援事業、その支援内容の詳細を表4.2、4.3にまとめた。

表4.1 制度調査結果と先行研究¹⁾との差分

	制度名	先行研究 ¹⁾ より抜粋 選定・指定品目数 (小児用・希少疾病 用医療機器/全品目)	本研究 選定・指定品目数 (小児用・希少疾病 用医療機器/全品目)	小児用医療機器・ 希少疾病用医療機の 先行研究以降の新規 選定・指定品目
1	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	16/140 (2020年5月時点)	16/165 (2024年9月30日 時点) ⁷⁾	なし
2	先駆的医療機器指定制度(旧:医療機器の先駆け審査指定制度)	1/9 (2019年時点)	先駆的医療機器指定制度として0/1 (2022年9月30日 時点) ⁸⁾	なし
			先駆け審査指定制度として1/13 (2024年9月19日 時点) ⁹⁾	
3	特定用途医療機器指定制度	公表なし (2020年時点)	「指定後に掲載」とあり、調査時点で指定品目なしと思われる ¹⁰⁾	なし
4	希少疾病用医療機器指定制度	4/31 (2020年12月時点)	4/32 (2024年6月6日時点) ¹¹⁾	なし
5	医療機器条件付早期承認制度(旧:革新的医療機器条件付早期承認制度)	1/1 (2020年9月時点)	1/2 ¹²⁻¹⁴⁾	なし
6	小児用医療機器の承認申請支援事業	公表なし (2019年時点)	公表なし	不明
7	革新的医療機器等相談承認申請支援事業	-	公表なし	不明

表 4.2. 本邦において小児・希少疾病用医療機器の承認申請時に活用できる支援制度

制度・取組名	概要	支援内容	指定要件	申請窓口
① 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	医療現場で必要性が高いが、国内で未承認または十分に普及していない医療機器の導入を促進する検討会	<ul style="list-style-type: none"> 優先審査 保険償還優遇 	国内未承認または適応外の医療機器で、 <ul style="list-style-type: none"> 欧米で承認、または特定の条件下で欧米未承認であるもの または <ul style="list-style-type: none"> 医療上特に必要性が高いと認められるもの 	検討会議全般の相談： 厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課 要望書提出： 厚生労働省 医政局 医薬産業振興・医療情報企画課
② 先駆的医療機器指定制度	画期的な医療機器の早期実用化を支援する制度	<ul style="list-style-type: none"> 優先相談 優先審査 コンシェルジュ 保険償還優遇 	<ul style="list-style-type: none"> 画期的な技術を用いた医療機器であること 重篤な疾患、もしくは根治療法がない疾患を対象とすること 現行の治療法に対して大幅な臨床的利点を提供できること 世界に先駆けて日本で早期開発・承認申請する意思ならびに体制があること 	厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課
③ 特定用途医療機器指定制度	小児用など、特化した用途に特化した医療機器を対象とし、研究開発を促進する制度	<ul style="list-style-type: none"> 優先相談 優先審査 開発助成金 試験研究への指導・助言 税制上の優遇 	<ul style="list-style-type: none"> 小児疾病の診断・治療・予防用途である 既存の治療・予防・診断法がないもの、あるいは既存治療より有用性の高い方法が必要とされているもの 対象用途に対して特に優れた使用価値がある 	指定申請窓口： 厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課 助成金申請窓口： 医薬基盤・健康・栄養研究所 研究支援部 開発振興・調整課
④ 希少疾病用医療機器指定制度	希少疾病の治療・診断に用いる医療機器を対象とし、研究開発と実用化を促進する制度	<ul style="list-style-type: none"> 優先相談 優先審査 開発助成金 試験研究の指導・助言 税制上の優遇 	<ul style="list-style-type: none"> 対象患者数が5万人未満である、あるいは指定難病が対象 特に医療上の必要性が高いもの 開発の可能性が高いもの 	指定申請窓口： 厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課 助成金申請窓口： 医薬基盤・健康・栄養研究所 研究支援部 開発振興・調整課
⑤ 医療機器条件付き早期承認制度	重症度が高く他に代替治療法がない疾患のための革新的医療機器を早期承認する制度	<ul style="list-style-type: none"> 優先審査 臨床評価が必要な場合でもGCP下の臨床試験を必須としない 	<ul style="list-style-type: none"> 医療上の必要性が高いこと 一定の臨床データがあること 適正使用基準や市販後評価計画が作成できること 	医薬品医療機器総合機構 医療機器開発前相談
⑥ 小児用医療機器の承認申請支援事業	小児用医療機器の承認申請負担を軽減する事業	<ul style="list-style-type: none"> 承認申請に係る審査・調査手数料の9割相当の補助金支給 	<ul style="list-style-type: none"> 小児専用の医療機器として承認申請された品目であること 	相談窓口： 医薬品医療機器総合機構 審査マネジメント部 審査マネジメント課 承認申請窓口： 医薬品医療機器総合機構 審査業務部 業務第二課
⑦ 革新的医療機器等相談承認申請支援	革新的医療機器の相談申請、承認申請における費用負担を軽減する事業	<ul style="list-style-type: none"> 相談申請、承認申請に係る審査・調査手数料の5割相当の補助金支給 	<ul style="list-style-type: none"> ①、②、④いずれかの指定をうけていること 中小企業であること 	相談窓口： 医薬品医療機器総合機構 審査マネジメント部 審査マネジメント課 承認申請窓口： 医薬品医療機器総合機構 審査業務部 業務第二課

表 4.3. 支援内容の詳細

支援内容	詳細	当該支援を受けられる制度
資金	開発助成金	開発の負担を軽減するため、指定から承認申請までに必要な試験研究に要する直接経費の2分の1に相当する額を上限として医薬基盤・健康・栄養研究所より助成金を受けることができる。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 特定用途医療機器指定制度 ・ 希少疾病用医療機器指定制度
	税制上の優遇	医薬基盤・健康・栄養研究所からの助成金を除いた試験研究費のうち20%を税制控除の対象とすることができる。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 特定用途医療機器指定制度 ・ 希少疾病用医療機器指定制度
	相談・審査手数料補助	承認申請手数料に係る手数料（革新的医療機器の場合は相談手数料も含む）について、全額納付後にその手数料の9割（革新的医療機器の場合は5割）の補助金を受けられる。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 小児用医療機器の承認申請支援事業 ・ 革新的医療機器等相談承認申請支援事業
	保険償還優遇	保険収載時に、迅速な保険導入に係る評価や、機能区分の特例、外国価格調整の緩和、原価計算方式での算定、市場性加算の適用を受けられる可能性がある。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 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 ・ 先駆的医療機器指定制度 ・ 特定用途医療機器指定制度 ・ 希少疾病用医療機器指定制度
審査時の優遇	優先相談	医薬品医療機器総合機構における優先的な相談品目としての取り扱いを受けることができる。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 先駆的医療機器指定制度 ・ 特定用途医療機器指定制度 ・ 希少疾病用医療機器指定制度
	事前評価の充実	先駆的医療機器に指定された場合、承認申請前に、品質/非臨床/臨床/信頼性/QMSの区分について「先駆け総合評価相談」（有料）を受けられることができる。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 先駆的医療機器指定制度
	優先審査	医薬品医療機器総合機構での審査の各段階において可能な限り審査順位が優先されることで、目標承認審査期間が通常14カ月のところ、優先品目では10カ月となる。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 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 ・ 先駆的医療機器指定制度 ・ 特定用途医療機器指定制度 ・ 希少疾病用医療機器指定制度 ・ 医療機器条件付早期承認制度
	GCP治験免除	一定の臨床データを示すことで、GCP準拠の治験データの提出が必須でなくなるため、市販前の治験が困難な医療機器の承認を迅速化することができる。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 医療機器条件付早期承認制度
コンサルティング	コンシェルジュ	医薬品医療機器総合機構において指名される審査パートナーが、当該対象品目の開発に関して進捗管理の相談、承認申請者および承認審査関係部署との調整を行う。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 先駆的医療機器指定制度
	試験研究への指導・助言	開発支援のため、医薬基盤・健康・栄養研究所から試験研究に関する指導・助言を受けられる。医療機器等の開発経験を有するプログラムオフィサーによる製造販売承認取得を目指した指導・助言や出張相談も受けられる。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 特定用途医療機器指定制度 ・ 希少疾病用医療機器指定制度

また、ヒアリング結果から指摘されたように、「制度間の関係性が明確になっておらず、小児用および希少疾病用医療機器の開発を目指す企業が、どのような手順で検討を進めればいいか分かりにくい」ことが、制度利用の促進には課題であると思われた。そこで、制度間の関係性や支援の内容などを考慮し、企業等が効率的に検討を進められることを目的に、支援内容から申請企業に必要な制度を選択できる表（表 4.4）、申請判断を順番に検討できるような早見表（表 4.5）を作成した。

以下に、7 制度への該当性判断、ならびに申請検討を推奨する順番に説明する。

表 4.2 より、まず、①**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**における選定は、主に学会・患者団体、もしくは個人からの要望書提出に基づいて選定が検討される性質のものであるため、開発企業が選定を検討するものではないが、厚生労働省からなされる選定品目への開発要請に対して、自社で承認申請しようとする医療機器が合致する場合には、優先審査と保険償還優遇が得られる。後述する、小児用医療機器の承認申請支援事業への申請時にも、本ニーズ検討会の選定品目の承認申請は第一優先の補助対象となることから、最初に確認すべきであると判断した。

次の 3 制度においては、支援の規模や内容に応じて、申請企業が開発機器に適した制度を適宜選択することができる。

②**先駆的医療機器指定制度**では、小児用、または希少疾病用医療機器専用の制度ではないが、申請機器が対象疾患に対する画期的な治療を提供するものであり、かつ世界に先駆けて承認申請しようとする場合に、優先相談、充実した事前評価、優先審査、コンシェルジュの支援を受けられるうえ、保険償還上の優遇措置が得られるものである。

③**特定用途医療機器指定制度**では、申請機器が小児疾病を対象としており、対象とする用途への需要の充足性、対象とする用途に対する特に優れた使用価値を満たすことで、優先相談、優先審査、開発助成金（国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所の支援によるもの）、試験研究における指導・助言（国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所の支援によるもの）、さらに、保険償還上の優遇措置が得られる。ただし、今回の調査に至るまで、公開されている指定品目は存在しなかった。

④**希少疾病用医療機器指定制度**は、主に希少疾病を対象とした支援制度であるが、指定要件を満たす小児用医療機器も対象となる。支援内容は③**特定用途医療機器指定制度**と同等であるが、指定基準が“対象者数”、“医療上の必要性”、“開発の可能性”で明確化されており、申請企業から厚生労働省への相談により事前準備を開始できることから、比較的多くの指定実績が存在する（2024 年 6 月時点で 32 品目、うち 4 品目が小児用医療機器）と考えられる。

⑤**医療機器条件付早期承認制度**についても小児用、または希少疾病医療機器専用の制度ではないが、小児・希少疾病のような、患者数の少ない等の理由で治験の実施に長時間を要すると認められる製品に対して、PMDA の優先審査が得られ、製造販売後のリスク管理を条件に、臨床試験の一部を省略して早期の実用化を期待できる支援制度である。

⑥**小児用医療機器の承認申請支援事業**は、上記してきた制度とは支援の性質が異なり、小児用医療機器の承認申請に係る手数料を全額納付後に、その 9 割を補助金として助成するという事業である。この補助には、以下のような優先順位で支援が実施されることが記載されている。①**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**での選定品目の開発要請を受けた企業、または、③**特定用途医療機器**の申請企業が第一優先で補助対象となる。次に、④**希少疾病用医療機器**の該当品、および⑤**医療機器条件付早期承認制度**の該当品の申請企業が補助対象となる。さらに予算額に余裕がある場合、その他の小児専用の医療機器の申請企業が補助対象となる。よって、順番としては、上記①～⑤の制度への申請を検討したのちに本事業への申請を検討することが望ましいと判断した。

⑦**革新的医療機器等相談承認申請支援事業**は小児用、または希少疾病用医療機器に対象を限定せず、革新的医療機器の相談申込や承認申請に係る手数料を全額納付後に、その 5 割を補助金として助成するという事業である。本事業においては、①、②、④いずれかに指定されていることが対象の要件となる。さらに、中小・ベンチャー企業への財政負担軽減を目的としているため、従業員数や株式・出資金、事業収益による制限がある。⑥**小児用医療機器の承認申請支援事業**の対象品目に該当しない、かつ中小・ベンチャー企業から小児用・希少疾病用医療機器の実用化を目指す場合には、本事業への申請を検討することが望ましいと考えられた。

4.4. 考察

本研究では、小児用、または希少疾病用医療機器の実用化において活用できると思われる支援制度について再調査を実施した。その結果、先行研究¹⁾では触れられていない「革新的医療機器等相談承認申請支援事業」も調査対象とした。本制度は、小児・希少疾病のみでなく医療機器全般を対象とする制度であったため、先行研究での調査からは除外されたものと思われる。また、その活用状況について調査したところ、新たに選定あるいは指定された品目はなかった。様々な支援制度が活用されていない原因の一つとして、制度間の関係性が可視化されておらず、分かりにくい点が考えられたことから、本研究では、小児用、または希少疾病用医療機器の支援制度の再調査を実施し、制度活用の促進のための制度早見表を作成した。

各制度への指定品目の調査も並行して行ったが、その中でも特筆すべきは、複数制度の指定となった品目の存在である。トレミキシン（東レ株式会社、承認番号：20500BZZ00926000）¹⁵⁾は、エンドトキシン除去向け吸着型血液浄化用浄化器として、敗血症患者の病態改善を目的に 1993 年に承認を取得済みだが、2021 年に特発性肺線維症に対する希少疾病用医療機器に指定されており、条件付き早期承認制度を利用して 2023 年に適応追加の承認を受けた。このように、複数の制度への指定を受けることで、迅速かつ効率的な承認取得が行えた成功例も存在している。例えば、先駆的医療機器指定を受けた画期的な製品の患者へのアクセスを迅速化させるため、条件付き早期承認制度を併用する等の活用も検討可能であると考えられた。

整理した制度の支援内容と、第 3 章で実施したヒアリング調査から得られた課題や要望と照らし合わせてみると、「採算に関する事項」に対しては、ニーズ検討会と先駆的医療機器指定制度、特定用途医療機器指定制度、希少疾病用医療機器指定制度で保険収載優遇措置があった。しかし、公開資料からは、どの程度の優遇が得られるのか明確にはならなかった。また、特定用途医療機器指定制度と希少疾病用医療機器指定制度では開発助成金と税制上の優遇措置が、小児用医療機器の承認申請支援事業では申請手数料に対する補助があった。

「支援制度に関する事項」では、それぞれの制度で窓口が異なり、一つの制度でも複数の窓口が記載されているものがあった。「相談窓口の一元化」という要望は先行研究¹⁾でも指摘されていた内容であり、改善の余地があるものと思われた。支援制度の分かりにくさという指摘に対しては、表 4.4 のような表を用いたパンフレットなどを作成することで改善される可能性がある。伴走支援等の仕組みについては、先駆的医療機器指定制度でコンシェルジュ、特定用途医療機器指定制度と希少疾病用医療機器指定制度で試験研究への助言が得られることが分かった。ただし、これらの制度で、どの程度の範囲まで助言が得られるのかについては、公開情報だけでは不明確であった。

また、医療機器においては、小児医薬品開発ネットワーク支援事業のような制度は見当たらなかった。また、非臨床試験法の開発やその支援に関する情報はなかった。

承認申請までの段階と保険収載の段階で厚生労働省内の担当部局が異なるためか、各段階の支援制度の詳細を一元的にまとめた資料は少なく、申請企業の制度理解を促進するためには、開発から保険収載、市販後までの医療機器のライフサイクル全体のうちどの段階でどの制度の活用が検討できるかなどについても周知を行っていく必要が考えられた。

4.5. 小括

本項では、小児・希少疾病用医療機器の承認申請時において活用することのできる取り組み・制度と、それらの最新の活用状況について調査を行った。その結果、必ずしも活用が進んでいる状況ではないことが判明したことから、小児用および希少疾病用医療機器の開発を目指す企業が、これらの支援制度を理解し、承認申請しようとする品目に係る適切な制度を選択できるよう、各制度の概要や活用のポイントを整理した。また、ヒアリング調査で明らかになった課題や要望と、既存の支援制度の差分について検討し、今度拡充すべき施策について検討した。その結果、今後検討すべき支援制度として、相談窓口の一元化や小児医薬品開発ネットワーク支援事業のようなネットワーク構築、非臨床試験法の開発やその支援が挙げられた。

今回の調査により整理した制度への申請は必須ではないが、小児用、または希少疾病用医療機器の開発や実用化を目指す企業が、承認審査を受けようとする製品において適切な制度を適宜選択してその利用を検討できるよう、今後、パンフレット等による情報発信も行う予定である。

表 4.4 各制度の支援内容の分類表

制度名	選定・指定・補助要件	支援内容の分類								備考		
		資金				承認審査時の優遇			助言等			
		開発助成金	税制上の優遇	手数料補助	保険償還優遇	優先相談	優先審査	その他	コンシェルジュ		試験研究への助言	
1	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	いずれかの要件に該当 ・ 欧米で承認されている医療機器等であって、医療上その必要性が高いこと ・ 適応外の医療機器等であって医療上その必要性が高いこと ・ 欧米で承認されていない医療機器等であって医療上その必要性が高いこと				○		○				・ 申請は、学会・患者団体もしくは個人からの要望書提出により行われる。 ・ 選定された品目について、厚生労働省より企業へ開発要請がなされる。
2	先駆的医療機器指定制度（旧：医療機器先駆け審査指定制度）	全ての要件に該当 ・ 製品の画期性があること ・ 対象疾患が重篤であること ・ 対象疾患に対して極めて高い有効性が期待されること ・ 日本において早期開発が行われ、世界に先駆けて日本で製造販売承認申請される予定があること				○	○	○		○		・ 指定要件を満たしている場合でも、指定除外要件があるため注意が必要。
3	特定用途医療機器指定制度	全ての要件に該当 ・ 小児疾病の診断、治療、予防用途に用いる、あるいは既承認で一部変更により、小児疾病の診断・治療・予防用途に用いるもの ・ 既存の治療・予防・診断法がない、もしくは既存治療より有用性の高い方法が必要とされるもの ・ 適応疾患の重篤性が高く、かつ国際的なガイドライン等で標準治療として確立している、または RCT 等で高いエビデンスが得られているもの	○	○		○	○	○			○	・ 企業による要望の場合と、学会等による要望の場合によって申請のプロセスが異なる。 ・ 優先相談・審査は医薬品医療機器総合機構から得られる支援である。 ・ 助成金交付、税制上の優遇措置、研究開発に関する指導・助言は医薬基盤・健康・栄養研究所から得られる支援である。
4	希少疾病用医療機器指定制度	全ての要件に該当 ・ 対象者数が国内において5万人以下、または対象疾患が指定難病であること ・ 適切な代替治療方法がないこと、または既存の医療機器と比較して著しく高い有効性または安全性が期待されること ・ 対象疾患に対して当該医療機器を使用する根拠があり、開発計画が妥当であること	○	○		○	○	○			○	・ 優先相談・審査は医薬品医療機器総合機構から得られる支援である。 ・ 助成金交付、税制上の優遇措置、研究開発に関する指導・助言は医薬基盤・健康・栄養研究所から得られる支援である。

5	医療機器条件付早期承認制度 (旧:革新的医療機器条件付早期承認制度)	<p>全ての要件に該当</p> <ul style="list-style-type: none"> 有効な治療法等がない重篤疾患に対応するもの 一定の臨床データがあること 関連学会と連携して適正使用基準を作成し、市販後データ収集・評価計画を具体的に提示できること 							○	GCP 治験免除、早期承認		<ul style="list-style-type: none"> 申請段階で関連学会と連携の上で製造販売後のリスク管理を計画し、提出する。 市販後には使用成績調査や製造販売後リスク管理措置を実施する。
6	小児用医療機器の承認申請支援事業	<ul style="list-style-type: none"> 小児専用の医療機器として承認申請された品目であること 										<ul style="list-style-type: none"> 小児にも使用できる成人用医療機器は対象外となる。 ニーズ検討会での選定品目の開発要請企業、または、特定用途医療機器の申請企業が優先的に対象となる。 次に、希少疾病用医療機器の該当品、および条件付早期承認制度の該当品の申請企業が対象となる。 さらに予算額に余裕がある場合、その他の小児専用の医療機器の申請企業が対象となる。
7	革新的医療機器等相談承認申請支援事業	<p>いずれかの要件に該当</p> <ul style="list-style-type: none"> 先駆的医療機器であること 希少疾病用医療機器であること 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で選定された医療機器であること <p>かつ</p> <p>全ての要件に該当</p> <ul style="list-style-type: none"> 中小企業であること ほかの法人が株式総数または出資総額の1/2以上の株式または出資金を有していないこと 複数の法人が株式総数または出資総額の2/3以上の株式または出資金を有していないこと 前事業年度において、利益が計上されていないまたは事業収益が2億円以下であること 										<ul style="list-style-type: none"> 先駆的医療機器または希少疾病用医療機器の指定を受けている、あるいはニーズ検討会の選定品目であること。

表4.5. 小児・希少疾病用医療機器の承認申請時における支援制度早見表

小児・希少疾病用医療機器の承認申請における 支援制度活用早見表

Q1. 製品は高い医療ニーズに基づいて承認を受けようとするものか？

- ① 「医療ニーズの高い医療機器の早期導入に関する検討会」に選定された医療機器の実用化
メリット：優先審査、保険償還優遇

Q2. 承認申請しようとする製品に必要な支援は何か？

⇒製品や対象疾患の特性に応じて、以下の制度から指定を検討可能

- ② 先駆的医療機器指定制度
メリット：優先相談・審査、コンシエルジュ、保険償還優遇
- ③ 特定用途医療機器指定制度
メリット：優先相談・審査、開発助成金、相談制度、税制上の優遇、保険償還優遇
- ④ 希少疾病用医療機器指定制度
メリット：優先相談・審査、開発助成金、相談制度、税制上の優遇、保険償還優遇
- ⑤ 新規原理の医療機器を世界に先駆けて（同時申請を含む）承認取得するか
- ⑥ 小児疾病用の医療機器として新規申請、もしくは既承認品の適応拡大を目的とする
- ⑦ 本邦における対象者数が5万人未満であること

Q3. 医療上の必要性が高く、早期の承認を望むか？

- ① 医療機器条件付早期承認制度
メリット：優先審査、製造販売後のリスク管理を条件に新たなGCP治験の実施を必須としない

Q4. 承認申請における費用減免を望むか？

- ② 小児用医療機器の承認申請支援事業
メリット：承認申請手数料の9割給付
- ③ 革新的医療機器等相談承認申請支援事業
メリット：相談申込・承認申請手数料の5割給付
- ④ ①②いずれかの指定を受け、小児・ベンチャー企業である

・ 各制度の指定要件は、その概要を一部抜粋したものであり、分かりやすさのため表現を変えているものもあります。申請を検討する場合は、公式の資料を確認してください。

・ 制度への申請は必須ではありません。承認申請しようとする製品や対象疾患の特性に応じて、適宜申請を検討してください。

各制度の指定要件への該当性を確認

5. 小児用医療機器開発における非臨床試験を有効活用するための体制構築

5.1. 目的

令和5年度に実施した「開発が困難な小児用医療機器の実用化推進事業」¹⁶⁾では、非臨床試験（病態モデルでの評価および数値計算での評価）の活用において、必要な生体組織の物理特性（弾性率や強度）の基礎データが、小児領域ではほぼ存在しないことが課題であることが提言された。また、第3章で実施したヒアリング調査でも、非臨床試験の開発支援が、開発関係者からの課題や要望として挙げられた。

成人の生体組織については、様々な研究からデータが収集されており、非臨床試験で用いられるモデル材料や、コンピューターシミュレーションの際のパラメーターとして、幅広く利用されている。生体組織の力学特性を評価するためには、組織に外力を加えてその応答を計測する各種の力学試験が用いられている。代表的な方法としては、一軸引張試験、二軸引張試験、圧力-径試験、破裂試験などがあり、いずれも生体組織の応力-ひずみ特性、弾性率、破断強度、コンプライアンスなどを定量的に評価する上で重要な手法である。例えば、循環器領域では、ヒト由来の大動脈や冠動脈、心膜などの組織に対して多数の報告があり、動物種ごと¹⁷⁾や年齢ごと¹⁸⁾の力学特性の違いを明らかにしている。一般に、加齢に伴い弾性率は増加し、最大応力およびひずみは低下する傾向が観察されているが、乳幼児や小児期といった若年層での検討は行われていない、もしくは試験数が極めて少ない。

成人と比べて臨床試験の実施が困難な小児領域では、非臨床試験を用いた評価がより重要になると考えられるにもかかわらず、その基盤となるデータが不足しており、非臨床試験法の開発が検討対象にもなっていない可能性がある。従って、小児領域における非臨床試験法を開発するためには、小児領域における生体組織の物理特性に関するデータベースの構築が重要となる。

小児領域では、検体を収集することも容易ではないため、このようなデータベースを、一朝一夕で構築することは難しい。加えて、上記した試験手法は、組織片から一定以上の寸法を持つ試料を確保することを前提としており、体格の小さい小児や若年者を対象とする場合、試料の大きさの制約により実施が困難となる。実際に、血管や心膜といった薄く小さい組織では、引張試験や二軸試験に必要なサイズを確保できないケースが多く、また試験系側の問題としても再現性ある把持が困難となることで試験結果にばらつきが生じるリスクが高いことが指摘されている^{19, 20)}。そこで本研究では、非臨床試験による小児の組織力学的特性データ取得のための体制構築を行うとともに、このような制約を克服する手

段として、インデンテーション試験と動的粘弾性測定に着目した。これらの方法は極小試料に対して非破壊的あるいは局所的に応答を測定できるため、試料量が限られる小児組織にも適用可能な手法である。本研究では、インデンテーション試験機での予備検討を実施するとともに、動的粘弾性測定装置の導入とその計測環境の構築を行った。

5.2. 方法

5.2.1. 共同研究実施体制の構築

まず、本事業における計測対象となる、小児生体組織の検体入手から物理特性の評価に至るまでの体制構築として、千葉大学大学院 医学研究院 法医学、ならびに同院 整形外科と国立医薬品食品衛生研究所 医療機器部での共同研究に取り組むこととした。司法解剖検体を用いた、小児～青年までの血管物理特性を評価する研究課題として、「小児・若年者から成人までの血管の強度、破壊特性、弾性率等の物理特性の解明～年齢と血管物理特性の関係～」として、研究倫理申請を行い、千葉大学と国立医薬品食品衛生研究所の両施設での承認を得て、本年度中に試験用に血管サンプルを取得できる状況とした²¹⁾。

5.2.2. ブタ組織を対象としたインデンテーション試験の検討

試験対象としたブタ胸部大動脈は、医学研究用の動物内臓（東京芝浦臓器）を購入した。取得した大動脈は外膜側の周辺組織が可能な限り均一な厚さとなるよう手動的にトリミングした後、肋間動脈の位置で長軸方向に切り開き、シート状にした（図 5.1）。

その後、30 mm 角に切り出した動脈シートを、我々が開発した二軸張力負荷装置に設置し、シート長の約 30% 伸展させることで生体内血管に作用している張力を模擬した（図 5.2）。

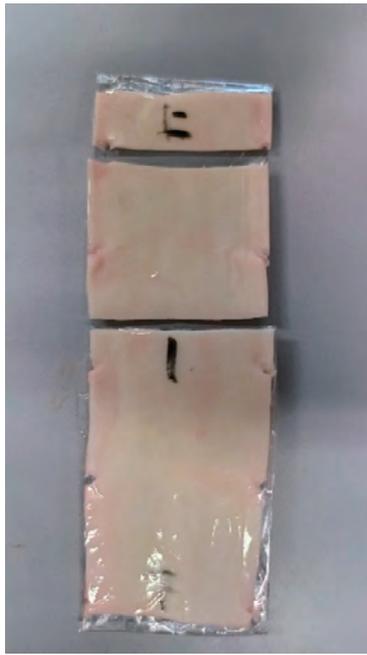


図 5.1 切り開いてシート状にしたブタ胸部大動脈（内膜側より観察）

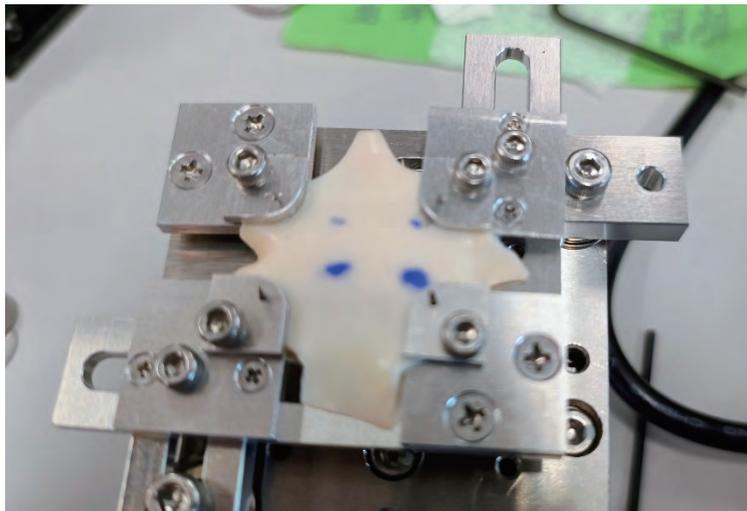


図 5.2 二軸張力負荷装置に設置したブタ大動脈（マーカース間隔：張力負荷前 10 mm）

インデンテーション試験は、微小な圧子（インデンター）を組織表面に押し付け、その押し込み荷重と変位から局所的な機械的特性（硬さやヤング率）を算出する手法である

（図 5.3）。特に、ナノインデンテーションでは 10 nm オーダーの変位分解能を持ち、細胞外マトリクスレベルの硬さ分布をマッピングすることが可能である。この手法は、一般的に硬組織（骨、歯など）の評価に用いられてきたが、最近では軟部組織への応用も広がっている。

本手法の小児血管への適用の前段階として、名古屋工業大学電気・機械工学科医用生体工学研究室の協力のもと同科で保有するインデンテーション試験機を用いて、ブタ大動脈を対象としたインデンテーション試験を試行した。インデンター部は微小力センサー（THK プレシジョン）、センサーに固定したプローブ（DM475505、東京精密）、Z ステージ（KHE06008-CH、駿河精機）で構成されている。プローブはセンサー内部に取り付けた板バネ（THK プレシジョン）によって支持されており、プローブに力が加わると、板バネが屈曲することでプローブが垂直に移動する。板バネに取り付けたひずみゲージからの電圧信号はセンサーアンプ（FSA202S、THK プレシジョン）によって増幅され、増幅された電圧はオシロスコープ（DL850、横川電機）で記録された。

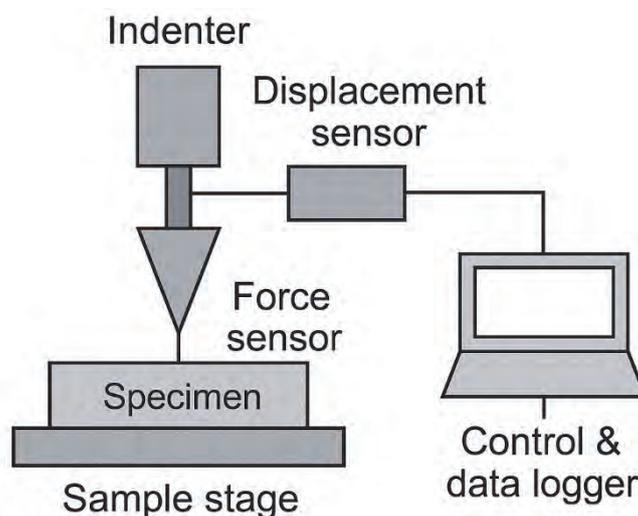


図 5.3 インデンテーション試験機の模式図

受信された力 F の大きさは、記録された電圧 V から次のように計算できる。

$$F = \lambda V$$

ここで λ は、ひずみゲージの製造元（THK プレシジョン）より提供された係数である。力 F が与えられたとき、ばねのたわみ δ は次のように得られる。

$$\delta = F/k$$

ここで k はばねの剛性である。最後に、触針の押し込み深さ d は次のように計算される。

$$d = z - \delta$$

実験では、ステージ上に置かれた試料は、ステップモーター（PK523HPB-C17、オリエンタルモーター）を介して制御される Z ステージによって $10 \mu\text{m/s}$ の速度で上昇し、試料は触針で準静的に押し込まれた。使用したパラメーター値は、マイクロフォース

センサーの製造元（THK プレシジョン）によって提供された。各試料は、先端半径 R が $25\ \mu\text{m}$ の触針によって押し込まれた。ヤング率 E は、ヘルツの接触理論によって、フィッティング力 F と押し込み深さ d の関係から決定され、次のように表される。

$$F = \frac{4}{3} \frac{E}{(1-\nu^2)} R^{\frac{1}{2}} d^{\frac{3}{2}}$$

ここで、 ν はポアソン比であり、生体組織の非圧縮性を仮定して $\nu=0.5$ とした。

実験において、インデンターの最大荷重、荷重印加速度、最大荷重保持時間、除荷速度等の試験条件については試行錯誤的に検討した。

5.2.3. 動的粘弾性測定による生体組織の力学特性取得の検討

軟組織の特徴として、剛体と比して大きな粘弾性特性を示すことが挙げられる。上記のインデンテーション試験の施行に加えて、血管組織のような軟組織の粘弾性特性の計測が可能であり、特に小児のような微小な試料片の計測にも適応が期待できる計測手法として、動的粘弾性測定に着目した。

本研究においては、 piezo素子アクチュエータを駆動源とした超小型レオメータである動的粘弾性測定システム（RheoStylus、RST-2、マイクロサポート）の導入を検討した。

5.3. 結果

5.3.1. インデンテーション試験結果

ブタ大動脈を用いたインデンテーション試験の結果として得られた力・押し込み量の関係を図 5.4 に示す。さらに、得られたプロットに対してヘルツの接触理論式によりフィッティングを行い、その傾きからヤング率を算出したところ、 $E = 0.62\ \text{MPa}$ の値が得られた。

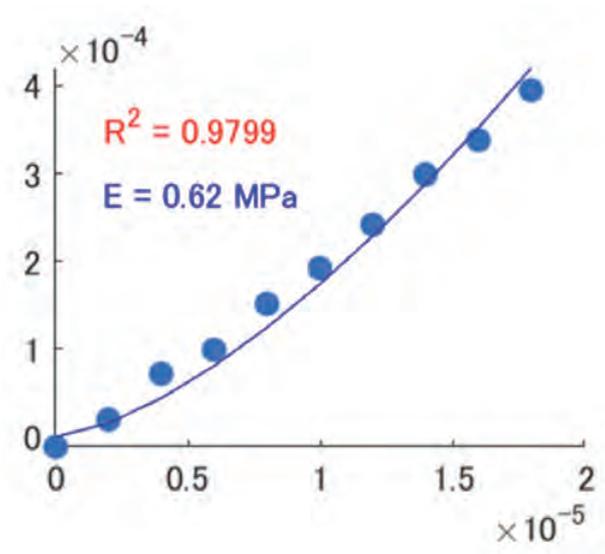


図 5.4 ブタ大動脈におけるインデンテーション試験結果

5.3.2. 動的粘弾性装置の導入と環境構築

動的粘弾性測定システム（RheoStylus、RST-2、マイクロサポート）の製品デモを含めた性能検討を実施し、司法解剖検体より摘出される小児や若年者の大動脈、および肺動脈から切り出した微小試料を想定したブタ大動脈において、当該システムでの計測実施が可能であると考えられたことから、本装置の導入を決定し、試験実施環境の構築を進めることができた（図 5.5）。

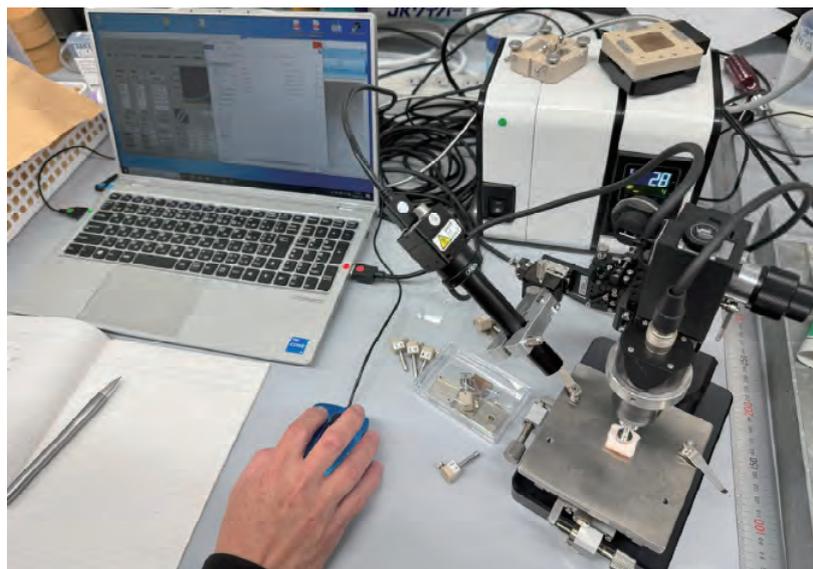


図 5.5 動的粘弾性測定システム RheoStylus での生体軟組織計測系の構築

5.4. 考察

小児生体組織の物理特性を評価するため、関係部署との協力関係を構築するとともに、寸法が小さい小児の組織にも適用可能な試験法について予備検討を行った。インデンテーション試験機を用いることで、表面近傍の力学特性が評価できる可能性が示された。

ブタ大動脈 1 検体において得られたヤング率 0.62 MPa については、先行研究での 4~9 月齢のブタの上行大動脈を対象とした単軸引張試験における周方向の剛性値 0.42 ± 0.08 MPa²²⁾と概ね同等であった。しかし、あくまで試験数 1 例の結果であり、インデンテーション試験では試料表面粗さの影響による結果のばらつきが大きいことも知られていることから、今後、慎重に試験数の蓄積と他の力学試験との比較を進める必要がある。

なお、細い小児の血管から引張試験用の試験片を採取し、引張試験を実施可能であることについてもブタの組織を用いて確認できたため、今後、引張試験、インデンテーション試験、さらにはコンプライアンス試験等の各種力学試験と動的粘弾性測定の計測結果の相関を取得し、微小な小児血管試料での力学特性計測系の確立を進める。将来的には、成長過程における血管物理特性データをデータベース化し小児用医療機器開発に活用できる情報として提供することを目指す予定である。

5.5. 小括

成人と比べて臨床試験の実施が困難な小児領域では、非臨床試験を用いた評価がより重要になると思われるが、その基盤となる小児生体組織の物理特性に関するデータが不足しており、これが非臨床試験法の開発が進んでいない一因であると考えられた。物理特性に関するデータの取得にあたっては、検体の収集の困難さと、試験片の大きさに制限があることによる試験実施の困難さが考えられた。そこで本研究では、小児領域における生体組織の物理特性に関するデータベースの構築を目指し、司法解剖検体からの組織力学特性取得のための研究実施体制を構築するとともに、小さな試験片にも適用可能な試験方法について検討した。

6. 総括

本研究では、小児・希少疾病用医療機器の早期実用化を推進可能とするため、現状の課題を抽出し、対策案を提言するとともに、開発関係者を支援するための基盤を整備するための体制構築を実施した。

具体的には、まず、小児および希少疾病用医療機器の開発関係者である、開発企業、業界団体、AROへ実用化の現状、課題、要望事項、今後取り組むべき内容について、深く議論をするためにヒアリング調査を実施し、優先すべき支援策を考察した。その結果、採算に関する事項、支援制度に関する事項が課題として抽出された。採算に関する事項については、制度の構築と資金の原資について課題があると思われた。支援制度については、相談窓口の充実と、非臨床試験の開発支援が実施可能な対策案であると思われた。

行政で整備してきた様々な支援制度について調査したところ、必ずしも活用が進んでいる状況ではないことが判明したことから、開発関係者がこれらの支援制度を理解し、どの支援制度を活用すべきか判断する際に有用な、要件やメリットの違いを比較しやすいようまとめた表を作成するとともに、簡潔に解説した。また、今後検討すべき支援制度として、相談窓口の一元化や小児医薬品開発ネットワーク支援事業のようなネットワーク構築、非臨床試験法の開発やその支援が挙げられた。

成人と比べて臨床試験の実施が困難な小児領域では、非臨床試験を用いた評価がより重要になると思われるが、その基盤となる小児生体組織の物理特性に関するデータが不足しており、これが非臨床試験法の開発が進んでいない要因であることが指摘された。そこで、小児生体組織の物理特性に関するデータベースの構築を目的とした、小児生体組織の力学特性の取得のための研究体制の構築を行うとともに、小児から採取される小さな組織片にも適用可能な試験方法について検討した。

以上のように、本研究では、制度理解の促進、支援選択の明確化、非臨床試験基盤の整備といった複数の側面から、小児・希少疾病用医療機器の実用化に向けた包括的な支援環境の構築を試みた。この成果が、医療機器開発現場における制度活用のハードルを下げるとともに、今後の制度設計や支援体制の改善に向けた知見として活用されることを期待する。

別紙 1 ヒアリング調査票

別紙1 ヒアリング項目

背景

開発が困難な小児や希少疾病用医療機器の実用化推進事業では、小児等実用化が進まない医療機器における課題を確認し、今後の政策等に活かせる方策を検討しており、関係者（業界団体、ARO、開発企業等）へのヒアリングにて、課題・要望・対策案等を確認することとした。

ヒアリング希望項目

- ① 小児・希少疾病用医療機器を対象とした貴企業・機関での取り組みの有無・詳細
- ② 現在、小児・希少疾病用医療機器を対象とした開発案件があるか（ある場合、可能な範囲でお教えてください）
- ③ 厚労省等の推進施策の認知度、活用状況

現在実施されている主な小児用・希少疾病用医療機器の承認申請支援事業

1. 小児用医療機器の承認申請支援事業
 - ・承認申請手数料免除
 2. 希少疾病用医療機器指定制度
 - ・助成金の交付（医薬基盤・健康・栄養研究所）
 - ・税制優遇制度
 - ・優先審査制度
 - ・承認審査に係る手数料の減額
 3. 特定用途医療機器指定制度
 - ・優先相談
 - ・優先審査
 4. 革新的医療機器条件付き早期承認制度
 - ・優先承認制度
 - ・承認申請時の GCP 下臨床試験の提出を必須としない
 5. 先駆的医療機器指定制度
 - ・優先相談
 - ・事前評価充実
 - ・優先審査
 - ・コンシェルジュ制度
 6. 医療機器ベンチャー・トータルサポートオフィス MEDISO
(Medical Innovation Support Office)
- ④ 競争的研究費・助成金への申請・活用
 - 現在実施されている小児用・希少疾病用医療機器も対象とした研究費
 - 1. AMED 医療機器開発推進研究事業

2. AMED 医薬品等規制調和・評価研究事業
 3. AMED 官民による若手研究者発掘支援事業
(社会実装目的型の医療機器創出支援プロジェクト)
 4. AMED 難治性疾患実用化研究事業
 5. AMED 医工連携イノベーション推進事業 (開発・事業化推進事業)
など
- ⑤ 実用化できた要因
 - ⑥ 各支援制度等に関する課題
 - ⑦ 今後への要望 (規制や政策等)
 - ・相談窓口の一元化、無料コンシェルジュ等
 - ・薬のような開発推進策を医療機器でも積極的に実施して欲しい等
 - ⑧ 対策案 (償還価格が上がらないことを前提として)
赤字補填の仕組み構築
 - ・寄附の活用 (ビル&メリンダ・ゲイツ財団、第三者機関や学会主導?)
 - ・「患者申出療養」制度を活用できるようにする
 - ⑨ 小児用医療機器開発における非臨床試験の活用に関する期待・要望
 - ⑩ 海外との違い
 - ・見習うべき制度等日本との違い
 - ⑪ その他 (どんな内容でも可)

その他の質問

- 試験用に製品・試作品の提供の可否
- ベンチャー企業への開発助言、既存品の提供、試作品の製作、申請時の助言協力
- 他企業や大学と共同で製品化を目指すことは可能か

別紙 2 各機関へのヒアリング結果

別紙 2-1

「開発が困難な小児や希少疾病用医療機器の実用化推進事業」

関係者へのヒアリング 議事概要
株式会社東海メディカルプロダクツ

令和 7 年 2 月 28 日

国立医薬品食品衛生研究所医療機器部

1. 開催日時 令和 7 年 2 月 14 日（金）14:00～16:00
2. 開催場所 株式会社東海メディカルプロダクツ イノベーションセンター ミライ
愛知県春日井市美濃町三丁目 20-18
3. 出席者（敬称略）
株式会社東海メディカルプロダクツ 技術・薬事グループ
藤原 達道、大津 嘉範、岡田 駿吾
国立医薬品食品衛生研究所 医療機器部 岡本 吉弘、坪子 侑佑
4. 議事内容
 - 4.1. 事業内容の説明
岡本より事業の概要を説明した。
 - 開発が困難な小児や希少疾病用医療機器の実用化推進事業では、小児等実用化が進まない医療機器における課題を確認し、今後の政策等に活かせる方策を検討している。
 - 調査の一環として、関係者（業界団体、ARO、開発企業等）へのヒアリングにて、課題・要望・対策案等を確認することとした。
 - 4.2. ヒアリング内容
続いて、事前送付した質問票に沿って、ヒアリングを実施した。質問内容とその回答、議論の要点は以下のとおりである。

ヒアリング結果
 - ① 小児・希少疾病用医療機器に特化した自機関での取り組みの有無・詳細
 - 特化という意味ではないが、会社の沿革として小児用医療機器の取り組みを行ってきた。
 - 臨床医からのニーズがあれば都度検討している。
 - ② 現在、小児・希少疾病用医療機器を対象とした開発案件があるか
 - 進行中のものはなし。

③ 厚労省等の推進施策の認知度、活用状況

現在実施されている主な小児用・希少疾病用医療機器の承認申請支援事業

1. 小児用医療機器の承認申請支援事業

- ・承認申請手数料免除

2. 希少疾病用医療機器指定制度

- ・助成金の交付（医薬基盤・健康・栄養研究所）
- ・税制優遇制度
- ・優先審査制度
- ・承認審査に係る手数料の減額

3. 特定用途医療機器指定制度

- ・優先相談
- ・優先審査

4. 革新的医療機器条件付き早期承認制度

- ・優先承認制度
- ・承認申請時の GCP 下臨床試験の提出を必須としない

5. 先駆的医療機器指定制度

- ・優先相談
- ・事前評価充実
- ・優先審査
- ・コンシェルジュ制度

6. MEDISO

- 前回申請（TMP PED バルーンカテーテル）のときはいずれの制度も使用していない。
 - 先行品の承認から時間が経ってしまっていて PMDA も過去の審査時の論点等の情報が乏しかったため議論を重ねた。
 - 申請時には PMDA とやり取りをして、保険収載を考えたときに「希少疾病用医療機器指定制度」の適用を検討したが、申請準備の工数や指定までの期間を考慮して断念した。

④ 競争的研究費・助成金への申請・活用

現在実施されている小児用・希少疾病用医療機器も対象とした研究費

1. AMED 医療機器開発推進研究事業

2. AMED 医薬品等規制調和・評価研究事業

3. AMED 官民による若手研究者発掘支援事業

（社会実装目的型の医療機器創出支援プロジェクト）

4. AMED 難治性疾患実用化研究事業

5. AMED 医工連携イノベーション推進事業（開発・事業化推進事業）

など

- 上記研究費は特に活用なし。

⑤ 実用化できた要因

- 先行品の製品供給がなくなるタイミングで学会の要望書が出て、厚労省も急いで動いてくれたように感じた。学会が厚労省に掛け合ってくれた。

⑥ 現状の課題と今後への要望

- 申請時に何をデータとして用意すべきかに悩む。提出すべきデータパッケージがある程度わかると対応しやすい。
 - プロトコル相談の後はフォローアップを活用するのがよいのではないか。
- 現状の相談では、都度部分的な相談になってしまっているため、幅広くタイムリーに相談できると嬉しい。
- 原価と売り上げと申請費用で考えると、赤字ではない。全体事業の中の小児機器の割合はやはり小さい。社会貢献が一番の価値。
- 承認申請経験はあるが、次の製品で、前回と様々な状況が同じとは限らない。
 - 今ある技術でできることでその延長であれば開発の Go が出るが、一から技術構築となると難しい。
 - 社内でのコンセンサスを取るところがまず大変。
 - 治験が求められると絶望的。
- 採算は緩く見る方針ではあるが、そういったいわば無償の努力は企業維持・成長を考慮するとずっとは続けられない。
- 企業の名前が売れたこともあり、製品化依頼があった時に断るのが難しくなってきた。採算では断れない。技術的ハードルの高さが断る際の一番の要因になる。

⑦ 対策案（償還価格が上がらないのを前提として）

赤字補填の仕組み構築：

- HDE のような制度を導入し、自由価格としてから患者支援などの仕組みを入れる。
- 税制上の優遇はできないか？
 - よいと思うが財務省がらみになるため大変。

⑧ 小児用医療機器開発における非臨床試験の活用に関する期待・要望

- 生体組織の物理特性のデータベースがあるとよいと思う。むしろそれをもとにした標準化された試験法があると嬉しい。
- 非臨床の段階で十分に失敗を経験してから臨床試験等に進めるのがよいと思う。

⑨ 海外との違い

- 米国展開は行っていない。
 - 先行品が存在し、申請のノウハウがないため。
 - 日本では材料に前例があると試験省略されるが、欧米だと試験結果が足りないと指摘され、やり直しになる。
 - 米国は販路確保として病院に食い込むのが難しい。
- FDAの相談体制は充実していると感じる。ブレークスルー制度など。

⑩ その他

- 半導体のように、小児用医療機器をたくさんつくる会社に国策として資金を投資し、適度に儲けてもらう。医薬品でいう開発・製造受託機関（CDMO）のような事業を小児用医療機器にも展開できないか。
- 小児医療機器特区を設置するとよいと思う。下請けしてくれる会社が潤わないとやってくれない。
- 小児用医療機器開発を目指す複数企業で合弁会社を設立すれば、ノウハウの共有やコスト・リスク分散も可能ではないか。
- ベンチャー企業への開発助言、既存品の提供、試作品の製作、申請時の助言協力や、他企業や大学と共同で製品化を目指すことは可能か？
 - 可能性はある。
- 中止・中断したプロジェクトの理由は？
 - モチベーションの維持が課題。進捗が遅れてしまうと、リソース等優先度の理由で依頼主が離れてしまう。依頼してきた相手方に技術力・環境があればそうはならないのだろうが。すべてのパターンで薬事申請までたどり着かずにPOC段階で終わってしまう。
- 一人の先生からの依頼でもキーオピニオンリーダー（KOL）で学会巻き込める場合はうまく進むことはある。明らかに代替手段があるなどの場合は断っている。

別紙 2-2

「開発が困難な小児や希少疾病用医療機器の実用化推進事業」

関係者へのヒアリング

国立がん研究センター東病院

令和 6 年 11 月 13 日

国立医薬品食品衛生研究所医療機器部

1. 開催日時 令和 6 年 11 月 6 日（木）13:00～14:00

2. 開催場所 オンライン（Webex）

3. 出席者（敬称略）

国立がん研究センター東病院

医療機器開発推進部門 医工連携支援室 富岡 穰

国立医薬品食品衛生研究所 医療機器部 岡本 吉弘、迫田 秀行、坪子 侑佑

4. 議事内容

4.1. 事業内容の説明

岡本より事業の概要を説明した。

- 開発が困難な小児や希少疾病用医療機器の実用化推進事業では、小児等の実用化が進まない医療機器における課題を確認し、今後の政策等に活かせる方策を検討している。
- 調査の一環として、関係者（業界団体、ARO、開発企業等）へのヒアリングにて、課題・要望・対策案等を確認することとした。

4.2. ヒアリング内容

続いて、事前送付した質問票に沿って、ヒアリングを実施した。質問内容とその回答、議論の要点は以下のとおりである。

- ① 小児・希少疾病用医療機器を対象とした自機関での取り組みの有無・詳細
- ② 小児・希少疾病用医療機器を対象とした開発案件があるか
 - 東病院では小児案件は取り扱っておらず、中央病院の方が小児がんなどの案件があると思う。中央病院開発支援室長の片山 宏 先生にヒアリングするのがよいのでは。
 - また、ARO 協議会の元理事長でもある北海道大学の佐藤 典宏 先生が代表研究者を務めていて、分担研究者として当院の布施 望 先生が厚労科で行っている臨床研究法の見直しに向けた会議の中でも小児の話題があった。循環器領

域以外の小児・希少疾病として、消化器領域も結構案件はあるのではないかと。

③ 厚労省等の推進政策の認知度、活用状況

現在実施されている主な小児用・希少疾病用医療機器の承認申請支援事業

1. 小児用医療機器の承認申請支援事業
 - ・ 承認申請手数料免除
2. 希少疾病用医療機器指定制度
 - ・ 助成金の交付（医薬基盤・健康・栄養研究所）
 - ・ 税制優遇制度
 - ・ 優先審査制度
 - ・ 承認審査に係る手数料の減額
3. 特定用途医療機器指定制度
 - ・ 優先相談
 - ・ 優先審査
4. 革新的医療機器条件付き早期承認制度
 - ・ 優先承認制度
 - ・ 承認申請時の GCP 下臨床試験の提出を必須としない
5. 先駆的医療機器指定制度
 - ・ 優先相談
 - ・ 事前評価充実
 - ・ 優先審査
 - ・ コンシェルジュ制度

- 東病院ではおそらく該当事例はない。

④ 競争的研究費・助成金への申請・活用

現在実施されている小児用・希少疾病用医療機器も対象とした研究費

1. AMED 医療機器開発推進研究事業
2. AMED 医薬品等規制調和・評価研究事業
3. AMED 官民による若手研究者発掘支援事業
（社会実装目的型の医療機器創出支援プロジェクト）
4. AMED 難治性疾患実用化研究事業
5. AMED 医工連携イノベーション推進事業（開発・事業化推進事業）
など

- 競争的研究費においては、小児や希少疾病の枠があるのかと思っていたが、ないのであれば他の事業を縮小してでも大規模な予算をつけるべきなのではないか。企業が事業性を無視して自前で開発することはできないので、開発期間に対して絶え間ない支援がないと開発は進まない。最初は 2000 万/年、開

発可能性が上がったものについては10年間継続して最大数億/年のような策。

⑤ 現状の課題や今後への要望

- 承認後のマネタイズがやはり課題になる。
 - メーカーに支払うのではなく、出産のように、自治体か国が患者さんに補助金を支払って、患者さんは健康保険を使わずに自費で支払うような構造にしたほうが患者さんに対してダイレクトにお金を使える構造で良いのではないか。
 - 選定療養の有効活用は一案である。
 - 選定療養は混合診療にしてもよいのか？→その通り。先進医療もそこに入っている。患者さんの自費になるが、国あるいは民間保険が入ってくることができる。
 - 国が負担しないのであれば償還価格を高額に設定すべき。
 - 小児特定疾病療養、or 保険を青天井でつける制度があるとよいのではないか。
 - 寄付金で開発研究だけでなく選定療養までカバーしてしまうのもありか。
- 企業側だけに任せていては事業化が見えないとスタートすらしない。とりあえず開発だけでも始めてくれた企業等はAMED等で支援されるなど、学会から医薬品や医療機器のニーズ指定制度に出してもらって、指定されたものの開発を進めてくれた会社には税制優遇などをつけて開発促進を図るなど。
- AMEDのスタートアップ系事業は競争率が低いため、とりあえず起業できる人たちがお金を取りに来ているような印象。
- 1件当たり2億/年ぐらいつける極端なことをしないといけないのではないか。
 - 現在の通常のAMED事業の審査視点だと、事業化や海外展開の観点で低点数がついてしまうので、他との競争に勝てない。小児と希少疾病は他の事業の一部を切り出してきて、別枠を設けないと厳しい。

別紙 2-3

「開発が困難な小児や希少疾病用医療機器の実用化推進事業」

関係者へのヒアリング 議事概要

慶應義塾大学病院臨床研究推進センター

令和 6 年 12 月 16 日

国立医薬品食品衛生研究所医療機器部

1. 開催日時 令和 6 年 10 月 30 日（水）10:00～12:00
2. 開催場所 慶應義塾大学信濃町キャンパス 総合医科学研究棟 会議室 5
東京都新宿区信濃町 35
3. 出席者（敬称略）
慶應義塾大学病院 臨床研究推進センター トランスレーショナルリサーチ部門
医療機器担当 桑原 渉、鈴木 逸郎
医薬品担当 廣田 泰秀、中山 清
国立医薬品食品衛生研究所 医療機器部 岡本 吉弘、迫田 秀行、坪子 侑佑

4. 議事内容

4.1. 事業内容の説明

国立衛研の岡本室長より事業の概要を説明した。

- 開発が困難な小児や希少疾病用医療機器の実用化推進事業では、小児等実用化が進まない医療機器における課題を確認し、今後の政策等に活かせる方策を検討している。
- 調査の一環として、関係者（業界団体、ARO、開発企業等）へのヒアリングにて、課題・要望・対策案等を確認することになった。

4.2. 慶應義塾大学病院臨床研究推進センターの概要説明

ヒアリングに先立ち、廣田准教授より慶應義塾大学病院臨床研究推進センターの概要について説明された。

- 橋渡し拠点になっているため外部機関（直近だと 6 割は他大学）で実施中の開発品への支援も多い。
- AMED から多機関からのシーズ（申請）を受けるよう依頼が強かった。橋渡し事業は数年後に次期を迎える。実用化はある程度考えているが AMED 支援を知らない先生も多いため、全国で紹介する活動を行っている。
- 各案件について、ARO が進捗管理をするかはケースバイケース。大企業がつくことはほとんどなく、新規参入か経験少ない企業が多い。その場合は ARO で

PMDA の審査支援、進捗管理なども行う。臨床試験が必要な場合の紹介・サポートは実施する。

- 臨床試験に入る前ぐらいには学会に相談するように助言している。
- 開発コストが抑えられるためか、最近はいくつか SaMD の案件もある。

4.3. ヒアリング内容

続いて、事前送付した質問票に沿って、ヒアリングを実施した。質問内容とその回答、議論の要点は以下のとおりである。

① 小児・希少疾病用医療機器に特化した自機関での取り組みの有無・詳細

- 特化したものはない。

② 小児・希少疾病用医療機器を対象とした開発案件があるか

- 橋渡し拠点で募集をかけているが、難治性のもはそもそも応募がない。
- しかし、シーズ A などでも付き合いがあった東京医科大学横山先生の AMED 難治性事業の案件では支援機関として入っている。企業側は椿本チエイン。
- 国内メーカーだとアカデミアの研究成果の実用化の引き受け手が少ない。
- シーズ A で SaMD の小児案件はあったが、保険収載は難しいだろう。
- 医薬品では小児案件が多い。
 - モノジェニックな遺伝子疾患に対して、アデノウイルスベクターを使って遺伝子を補充するような治療。遺伝子改変も。
 - GMP グレードで開発を行える企業は数社ぐらいしかない。
 - 薬価は非常に高価になるが市場は小さい。

③ 厚労省等の推進政策の認知度、活用状況

現在実施されている主な小児用・希少疾病用医療機器の承認申請支援事業

1. 小児用医療機器の承認申請支援事業

- ・承認申請手数料免除

2. 希少疾病用医療機器指定制度

- ・助成金の交付（医薬基盤・健康・栄養研究所）
- ・税制優遇制度
- ・優先審査制度
- ・承認審査に係る手数料の減額

3. 特定用途医療機器指定制度

- ・優先相談
- ・優先審査

4. 革新的医療機器条件付き早期承認制度

- ・優先承認制度
- ・承認申請時の GCP 下臨床試験の提出を必須としない

5. 先駆的医療機器指定制度

- ・優先相談
- ・事前評価充実
- ・優先審査
- ・コンシェルジュ制度

6. MEDISO

- 5. の先駆的医療機器指定制度で相談案件がある。

④ 競争的研究費・助成金への申請・活用

現在実施されている小児用・希少疾病用医療機器も対象とした研究費

1. AMED 医療機器開発推進研究事業
2. AMED 医薬品等規制調和・評価研究事業
3. AMED 官民による若手研究者発掘支援事業
(社会実装目的型の医療機器創出支援プロジェクト)
4. AMED 難治性疾患実用化研究事業
5. AMED 医工連携イノベーション推進事業 (開発・事業化推進事業)
など

- 4. の難治性事業で実績あり (東京医科大学 横山 詩子 先生の Fallot 四徴症用脱細胞グラフト)。

⑤ 現状の課題と今後への要望

- 研究費の金額は増やしてほしい。ある案件では開発費用は現在 AMED を活用しているが、シーズ B の 5,000 万円だと少し不足していると感じる。+1,000 万ぐらいはほしい。
- 本当に事業化に向いている研究課題に対して、必要な試験のために必要な研究費を配分できるような仕組みが必要だと感じる。
- 医薬品に比べると医療機器はコストが少なく済むのでは (売り上げは少ないが)
- 医薬品では患者団体、学会との連携が必須だが、医療機器においては患者団体からの発信はあまりないのか？
 - 日本は小さい患者団体がばらばらあって団結しているイメージがない。
 - 海外は患者団体の力が強いので、国のお金を引っ張ってこれる。
- やはり保険でペイできることが重要。
- 海外における小児・希少疾病用医薬品開発
 - 元研究者が企業を立ち上げて事業化、プラットフォームとしての技術を開発し (血友病など市場大きい)、技術に立脚した販売戦略を策定する。

- 海外だと臨床試験管理会社（CTMO）を設立し、最初は委託を受けるが、立ち上げが完了するとメガファーマが買収する。
- 米国にはバウチャー制度（Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher Program）がある。
- 欧州は詳しい情報にアクセスできていないのが現状。
- 希少疾病用医薬品の難しさは患者さんを見つけることであり、販売に関してはコストがかからない（MRが2人いればカバーできる）。日本で1000人ぐらい患者がいなくていくら薬価が高くついてもペイしない。
- 自治医科大学 村松 慎一 先生の遺伝子治療研究センター（AMED 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点）の例。
 - 実験室で薬品作るの簡単だが、GMPクオリティの治験薬を作るのに10億円ぐらいかかる。

⑥ その他（慶應大学病院臨床研究推進センター側からの質問、提案等）

- 海外で開発した医療機器を日本に導入していないのか？
 - 制度的にはできるが、保険償還価格の問題で海外企業が入ってきてくれない。
- 製販の問題で、開発は問題ではないのか？
 - 技術的な問題よりビジネスの問題が大きいと考えられる。
- 自由診療にしてしまうのはどうか？
 - 混合診療が認められていないため難しい。
- 日本企業が開発したものを海外に出して海外企業が売るとは少ないのか？
 - ビジネス的に成り立つなら可能と考えるが、承認が取れたとしても販売が難しいのではないかと。そもそも日本からの開発品はほぼ無い。
- 画期的なアイデアに国がお金をつけることはできないのか？
- 適応拡大を企業に依頼しても、儲けがないと企業としては応えられない。

別紙 2-4

「開発が困難な小児や希少疾病用医療機器の実用化推進事業」

関係者へのヒアリング 議事概要

日本医療機器テクノロジー協会 (MTJAPAN)

令和 7 年 12 月 16 日

医薬品食品衛生研究所医療機器部

1. 開催日時 令和 6 年 12 月 4 日 (水) 11:00~12:00
2. 開催場所 オンライン (Teams)
3. 出席者 (敬称略)

日本医療機器テクノロジー協会 (MTJAPAN) 技術部 坂口 圭介
帝人ファーマ (株) 薬事部 横井 祐太、染谷 拓
テルモ (株) レギュラトリーアフェアーズ 土橋 義弘
朝日インテック (株) ガバメントアフェアーズ室 伊藤 昌美
国立医薬品食品衛生研究所 医療機器部 岡本 吉弘、坪子 侑佑

4. 議事内容

4.1. 事業内容の説明

岡本より事業の概要を説明した。

- 開発が困難な小児や希少疾病用医療機器の実用化推進事業では、小児等の実用化が進まない医療機器における課題を確認し、今後の政策等に活かせる方策を検討している。
- 調査の一環として、関係者 (業界団体、ARO、開発企業等) へのヒアリングにて、課題・要望・対策案等を確認することとした。

4.2. ヒアリング内容

続いて、事前送付した質問票に沿って、ヒアリングを実施した。質問内容とその回答、議論の要点は以下のとおりである。

- ① 小児・希少疾病用医療機器に特化した自機関での取り組みの有無・詳細
 - 特化したものは聞いたことがない。
- ② 小児・希少疾病用医療機器を対象とした開発案件があるか
 - アンケートを医機連参加企業に対して行うのもよいと思う。
 - テルモ：小児用人工肺、帝人：心血管パッチ

- 心血管パッチでは医療側からの強い要望に応えた。医療ニーズが高い一方で患者数の少ない小児領域の製品開発は、事業性が成り立つかが非常に重要となる。慈善事業にならない形の付加価値（保険償還）が予測できれば企業が取り組むきっかけにはなると思う。また、付加価値の高い製品であればグローバルに展開することはより多くの患者メリットにつながる。このため、必ずしも海外展開経験の多くない企業にとって、海外展開含めた研究開発・事業開発の支援体制があるとなおよいと考える。
- 検討したが断念した企業などあれば知りたい。
 - 実用化した製品でもうまくいっていない、など不満を確認したい。
→開発時の裏話の共有の場を作ることは可能
- 以前、心臓血管外科向けのデバイスの薬事を担当していたが、小児は症例数も少なく企業としては投資回収できないため社会貢献に近い部分がある。新生児の150人に1人の割合で先天性心疾患が起こる。心臓血管外科領域だと毎年一定数の症例がある。国から補助が出る仕組みがないといけなと感じている。小児というと、大人のサイズが小さくなったと思ってしまうが、開発側からすると、小児の特性に対応できる製品開発が必要となり、開発の難易度が高い。また、症例も千差万別であるため正確なニーズがつかめない。過去に、「IABP バルーンカテーテル」の症例で、小児に使用し、血管が柔らかいため追従性がよすぎて死亡例が出たことがあった。単にサイズ変更すればいいというわけでないため開発費用もかさむ。継続的な開発支援はほしい。
 - そもそも小児の血管の変形特性や物性などがわからない。簡単に仕様を決められないため治験でしか分からないこともある。開発支援や申請に必要な項目など決めたいが簡単には決められないのが現状である。
 - 機能区分「体外循環カニューレ」の保険適用でも以前経済課に小児用として分けてもらえたが、採算的にも厳しいこともあり、積極的に製品開発が進められない難しい状況にあった。

③ 厚労省等の推進施策の認知度、活用状況

現在実施されている主な小児用・希少疾病用医療機器の承認申請支援事業

1. 小児用医療機器の承認申請支援事業
 - ・承認申請手数料免除
2. 希少疾病用医療機器指定制度
 - ・助成金の交付（医薬基盤・健康・栄養研究所）
 - ・税制優遇制度
 - ・優先審査制度
 - ・承認審査に係る手数料の減額
3. 特定用途医療機器指定制度
 - ・優先相談

- ・優先審査
- 4. 革新的医療機器条件付き早期承認制度
 - ・優先承認制度
 - ・承認申請時の GCP 下臨床試験の提出を必須としない
- 5. 先駆的医療機器指定制度
 - ・優先相談
 - ・事前評価充実
 - ・優先審査
 - ・コンシェルジュ制度

6. MEDISO

- 現時点では、上記制度を活用して開発中の案件は思いつかない。

④ 競争的研究費・助成金への申請・活用

現在実施されている小児用・希少疾病用医療機器も対象とした研究費

1. AMED 医療機器開発推進研究事業
2. AMED 医薬品等規制調和・評価研究事業
3. AMED 官民による若手研究者発掘支援事業
(社会実装目的型の医療機器創出支援プロジェクト)
4. AMED 難治性疾患実用化研究事業
5. AMED 医工連携イノベーション推進事業 (開発・事業化推進事業)
など

- 案件なし。
- 経産省の研究費は海外戦略も道筋に入れないと採択されづらい。

⑤ 現状の課題と今後への要望

- 研究支援の段階は日本も手厚くなってきたが、事業化になると厳しい。企業としての協力は難しくても、MTJAPAN として支援することは可能なのか？
 - 小児に絞ってはいないが、法制上の承認等に係る情報・テクニックについては勉強会や講演会を企画している。
 - 技術委員会は設計段階から滅菌、生物安全等に関する研究会も行っている。
 - MTJAPAN として満遍なく教育は行っているが、ベンチャー企業等を対象としているわけではない。
 - MEDISO でいろいろやっているので相談できるのではないか。ただし主な対象はベンチャー企業やアカデミアであるため、大きい企業としては利用しづらい。
- 小児・希少疾病で助言ができるような体制はないのではないか。コンシェルジュが必要ではないか。厚労省も縦割りなので窓口もいっぱいある。SaMD は一元窓

口がある。医薬品は小児用に用量を変えたものを治験するが、そのための窓口がある。

- 先駆的に指定されるとコンサルがつくが、より初期の伴走があると開発が進むのかもしれない。
- ベンチャー企業等への開発支援に関しては、企業として他社を直接支援することは難しい。知識や経験は企業の財産でもあるため、無償提供は難しい。
- 臨床試験のリクルーティングが難しかった。国立成育医療センターや各県のこども病院とのコラボが必要になると思うが、申請や受入はできないのか。行政か学会で仕組みづくりが必要になるだろう。
 - 協力施設が少ないと患児は集まらない。学会レベルでの協力を取り付けないと治験は無理だろう。医師主導治験になると学会としてニーズ検討会上げていることが多いはず。
- 現状、制度としては対応していただいていると感じるが、ワンストップで対応してくれる窓口が欲しい。大企業になるほど事業性が重要になるためそれを考慮した予見性を高めた保険償還制度が欲しい。
- 小児・希少疾病だけではないが、ベンチャー育成というところではいろんなところがいろんな開発しているのにそれが上市されないのは問題。相談制度はあるが伴走は責任があってやりづらいのか。PMDA等の伴走があるとよい。
- PMDAがやるべきではないか？申請段階のコンサル・コンシェルジュなどないとAMEDも厚労省もいつでも受け付けていると言っているが、相談側からすると敷居が高い。MTJAPANに窓口を設けることはできないのか？
- 小児用としても使用できる人工肺を承認取得しても償還価格がどんどん下がっていくところで厳しさがある。日本だけでなく海外市場を獲得することで販売維持できている。治験が必要な機器も国際共同治験等グローバルで実施すれば症例を集めることができる。欧州医療機器規則(MDR)は厳しくなってしまったが、米国とはHBD等の活用も考えられる。
- 入口、もしくは前段階から一緒になってやってもらえると先に進むかもしれない。
- この会議の出席メンバーだけでも課題などが多く出たので、加入企業に展開するといろいろ出てくるのではないか？
- MTJAPANの創立理念としては、テクノロジーを進歩させるという方針があるため、相談窓口を作ることは難しいかもしれないが、日本の医療の向上を目的にするべきなので、小児は今後取り上げることも重要かと感じた。

⑥ その他

- 日本先天性心疾患インターベンション学会(JCIC)は市販後調査へのレジストリの活用を検討している。小児関連でいくつか事業を進めているが、JCICには協力いただいている。東北大学の国際標準化事業の課題の協力者にMTJAPANが入

っていただいたのは効果があったと思うが、今後ともご協力いただけないだろうか。
個別企業への協力は難しいか？

- 個別企業への支援という形ではなく、委員会活動に入っていて一緒に調査・勉強していくことなら可能ではないか。
- レジストリは心臓血管外科（J-MACS、主に成人心疾患を対象）では実施した。小児の手術成績は執刀医の技量が成績に左右するところが大きく、経験少ない施設など入ってくるため、レジストリの質の均てん化が難しいと思う。
- 朝日インテックは小児用のデバイスなど想定しているか。
 - ガイドワイヤーで開発中の製品はある。
- 開発における課題や困りごとなどあれば教えていただきたい。
 - 開発の案件だが、担当課に確認してみて情報があれば共有は可能である。
- 今後、より踏み込んで継続的に協力いただきたい。まずは課題を共有したい。

⑦ 小児用医療機器開発における非臨床試験の活用に関する期待・要望

- 昔は動物実験モデルで行っていたが、文献データは少なく、臨床との乖離があった。それが開発をすごく助けるかはまだよくわからないが、今後の役に立つと思う。

別紙 3 小児・希少疾病用医療機器開発における支援制度

別紙 3-1

1. 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

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（ニーズ検討会）²³⁾は、厚生労働省が 2006 年より開催している、医学、薬学、臨床工学等の有識者により構成される検討会であり、国内で未承認又は適応外の医療機器および体外診断用医薬品について、我が国の医療ニーズの高いものを選定し、これらの迅速な医療現場への導入について検討することを目的としている。早期導入が必要な医療機器として選定された医療機器については、厚生労働省より開発企業へ開発要請が行われる。

選定によるメリット：

・優先審査

医薬品医療機器総合機構での審査の各段階において可能な限り審査順位が優先されることで、目標承認審査期間が通常 14 ヶ月のところ、優先品目では 10 ヶ月となる。

・保険償還上の優遇^{24, 25)}

① 機能区分の特例対象化

ニーズ検討会の結果を踏まえ、厚生労働省の公募に応じて開発された医療機器で、保険適用時に区分 C1 または C2 とされた品目については、特定保険医療材料の機能区分の特例対象とされる。また、その後に提出された同一公募テーマに係る製品も、所定の要件を満たす場合は同様の扱いを受ける。

② 外国価格調整の比較水準の緩和

ニーズ検討会に基づき公募・要請された製品については、外国価格調整時の比較基準が緩和され、外国平均価格の 1.5 倍を超える場合は、1.5 倍での設定が認められる。

③ 外国平均価格比が著しく低い場合の原価算定の容認

同様に、外国平均価格の 0.8 倍以下となる場合は、外国平均価格を上限として原価計算方式での価格申請が可能とされる。

選定要件：

国内で以下の(1)～(3)のいずれかに該当するもの。

- (1) 欧米において承認されている医療機器等であって、医療上その必要性が高いもの

- (2) 適応外の医療機器等（医療機器等として薬事承認されているものの、欧米で承認されている一部の適応が、国内では承認されていないもの。）であって、医療上その必要性が高いもの
- (3) 以下のいずれかの要件を満たす欧米において承認されていない医療機器等であって、医療上その必要性が高いもの。
- 1 優れた試験成績が論文等で公表されているもの
 - 2 医師主導治験を実施中または終了したもの
 - 3 先進医療 B で一定の実績があるもの

申請手順：

ニーズ検討会への申請は、開発企業ではなく、学会・患者団体、もしくは個人からの要望書提出によって選定が検討される。提出された要望書に基づいて、ニーズ検討会、および傘下の WG にて医療上の必要性の評価が行われ、選定された場合には、厚生労働省および医薬品医療機器総合機構から企業へ開発要請が行われる。

申請窓口：

厚生労働省 医政局 医薬産業振興・医療情報企画課

（検討会議全般にわたる相談窓口は、厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課）

別紙 3-2

2. 先駆的医療機器指定制度（旧：先駆け審査指定制度）

先駆け審査指定制度とは、患者に世界で最先端の医療機器を最も早く提供することを目的に 2015 年から開始された制度である。一定の要件を満たす画期的な医療機器等について、開発の比較的早期の段階から先駆け審査指定制度の対象に指定し、薬事承認に係る相談・審査における優先的な取扱いの対象とするとともに、承認審査のスケジュールに沿って申請者における製造体制の整備や承認後円滑に医療現場に提供するための対応が十分になされることで、更なる迅速な実用化を図る制度である²⁶⁾。本制度は、「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」（医薬品医療機器等法）²⁷⁾の改正により、2020 年 9 月 1 日より「先駆的医療機器制度」という名称に変更された²⁸⁾。

指定によるメリット：

・優先相談

対象品目については、医薬品医療機器総合機構における優先的な相談品目として取り扱われる（資料提出から相談までの期間の短縮）。

・事前評価の充実

対象品目については、医薬品医療機器総合機構の「先駆け総合評価相談」を受けることができる。

・優先審査

製造販売承認申請後は優先審査対象となり、原則 6 か月間の審査期間での審査

・保険償還上の優遇^{24, 25)}

先駆的医療機器の指定を受けた品目は、その革新性や医療的必要性を考慮し、当該品目が新規機能区分に属する場合には、保険償還価格算定時に「先駆け加算」が適用される。原価計算方式や外国平均価格比較方式などで算出された価格に対して 10%を上乗せして償還価格を設定することができる。

・コンシェルジュ

医薬品医療機器総合機構において指名される審査パートナーにより、当該対象品目の開発に関して進捗管理の相談、承認申請者および承認審査関係部署との調整を受けられる。

指定要件：

以下の4つのすべての要件を満たすこと。なお、満たしていても、指定除外要件あり。

- (1) 既存療法に比べて新作用機序を持つ等の製品の画期性があること
- (2) 対象疾患が重篤であること
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) 対象疾患に対して極めて高い有効性が期待されること
- (4) 日本において早期に開発が行われ、世界に先駆けて日本で製造販売承認申請される予定があること

申請窓口：

厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課

備考：

指定前に、厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課の指示に従い、医薬品医療機器総合機構との指定相談を実施すること。

別紙 3-3

3. 特定用途医療機器指定制度

医薬品医療機器等法第 77 条の 2 第 3 項に基づき、対象とする用途の需要が著しく充足していないことや医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定する。本制度は、小児に対する用法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ことを目的とするものである²⁹⁾。「特定用途医療機器」として指定された医療機器については、開発費用の助成、研究費の税額控除、製造販売承認申請時の優先審査等の支援措置が定められている³⁰⁾。

指定によるメリット：

・優先相談

対象品目については、医薬品医療機器総合機構における優先的な相談品目として取り扱われる（資料提出から相談までの期間の短縮）。

・優先審査

他の医療機器に優先して承認審査がなされる。

・助成金の交付

開発に係る経費の負担を軽減するため、医薬基盤・健康・栄養研究所を通じて助成金（助成対象となる経費の 2 分の 1 を上限とする）の交付を受けることができる。

・試験研究における指導・助言（国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所の支援によるもの）

希少疾病用医療機器に関する試験研究について厚生労働省、医薬品医療機器総合機構および医薬基盤・健康・栄養研究所による指導・助言を受けることができる。

・税制上の優遇措置

医薬基盤・健康・栄養研究所からの助成金の交付対象期間に行う試験研究に係る費用のうち、希少疾病用医療機器に係る試験研究費総額（医薬基盤・基盤・栄養研究所の助成金を除く）の 20%を税額控除額として算定できる。

・保険償還上の優遇^{24, 25)}

特定用途医療機器指定制度への指定を受けた医療機器は、当該医療機器が新規機能区分に属する場合には、保険償還価格算定時に「特定用途加算」が適用される。通常の償還価格算定（原価計算方式など）で得られた価格に対し、10%を上乗せした額が基準材料価格として設定される。

指定要件：

以下の要件をすべて満たすこと。

指定要件 1 対象疾患

以下のいずれかに該当するもの。

- (ア) 小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるものとして、医薬品医療機器等法第 23 条の 2 の 5 又は医薬品医療機器等法第 23 条の 2 の 17 の承認を受けようとするもの
- (イ) 既に医薬品医療機器等法第 23 条の 2 の 5 又は医薬品医療機器等法第 23 条の 2 の 17 の承認を受けているものであって、形状、構造および原理又は使用方法を変更することにより、小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるもの

指定要件 2 対象とする用途への需要の充足性

対象とする用途の需要が著しく充足されていないものであって、以下のいずれかに該当するものであること。

- (ア) 既存の治療法、予防法又は診断法がないもの
- (イ) 有効性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の治療法等よりも有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの

指定要件 3 対象とする用途に対する特に優れた使用価値

以下の 2 つの両方を満たすものであること。

- (ア) 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの
- (イ) 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

申請手順（要望の提出について）：

（1）企業による要望の場合

開発を要望・提案する場合は、医療機器および体外診断用医薬品においては指定要件該当性に関する概要を、再生医療等製品においては要望・提案書を作成の上、厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課に相談を行うこと。その後、医薬品医療機器総合機構に相談を申し込む。厚生労働省および医薬品医療機器総合機構は、相談品目が特定用途医療機器等へ該当するか検討を行う。その際、必要に応じ、厚生労働省は、指定要件の該当性について、医療ニーズ検討会に評価を依頼し、その結果を踏まえて検討を行う。

(2) 学会等による要望の場合

厚生労働省は、指定要件に該当する医療機器等の候補について、関係学会等（患者団体を含む。）から要望に関する意見を募集し、ニーズ検討会において、応募された開発要望の特定用途医療機器等への該当性評価を行う。厚生労働省は、検討会議の該当性評価結果を、要望・提案された医療機器等の製造販売業者へ通知し、当該製造販売業者が特定用途医療機器等への指定を希望する場合、当該製造販売業者は特定用途医療機器等への指定を申請する。

申請窓口：

厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課（特定用途医療機器への指定）

国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所 研究支援部 開発振興・調整課

（特定用途医薬品等開発振興事業への申請）

別紙 3-4

4. 希少疾病用医療機器指定制度

対象疾患が重篤な疾病で医療上の必要性が高く、対象患者数が少ない医療機器について、医薬品医療機器等法第 77 条の 2 に基づき、「希少疾病用医療機器」として指定³¹⁾された医療機器については、開発の費用の助成、研究費の税額控除、医薬品医療機器総合機構との対面助言費用の減額、製造販売承認申請時の優先審査等の支援措置が定められている³²⁾。

指定によるメリット：

・優先相談

対象品目については、医薬品医療機器総合機構における優先的な相談品目として取り扱われる（資料提出から相談までの期間の短縮）。

・優先審査

他の医療機器に優先して承認審査がなされる。

・助成金の交付（国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所の支援によるもの）

開発に係る経費の負担を軽減するため、医薬基盤・健康・栄養研究所を通じて助成金の交付を受けることができる。

・試験研究における指導・助言（国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所の支援によるもの）

希少疾病用医療機器に関する試験研究について厚生労働省、医薬品医療機器総合機構および医薬基盤・健康・栄養研究所による指導・助言を受けることができる。

・税制上の優遇措置

医薬基盤・健康・栄養研究所からの助成金の交付対象期間に行う試験研究に係る費用のうち、希少疾病用医療機器に係る試験研究費総額（医薬基盤・基盤・栄養研究所の助成金を除く）の 20%を税額控除額として算定できる。

・保険上の優遇^{24, 25)}

特定用途医療機器指定制度として指定された医療機器は、当該医療機器が新規機能区分に属する場合には、保険償還価格算定時に「市場性加算（I）」が適用される。通常の償還価格算定（原価計算方式など）で得られた価格に対し、10%を上乗せした額が基準材料価格として設定される。

指定要件：

以下の要件をすべて満たすもの。

対象者数

対象となる疾患が国内患者数 5 万人未満、または指定難病に指定されていること

医療上の必要性

医療上、特にその必要性が高いこと

開発の可能性

国内での開発を行うことのできる体制および計画を有していること

申請窓口：

厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課（希少疾病用医療機器への指定）

国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所 研究支援部 開発振興・調整課

（希少疾病用医薬品等開発振興事業への申請）

別紙 3-5

5. 医療機器条件付早期承認制度（旧：革新的医療機器条件付早期承認制度）

生命に重大な影響があり、既存の治療法等に有効なものがない疾患を対象とする革新的な医療機器について、その臨床開発に著しい困難を伴うと認められる場合に、医療機器のリスクとベネフィットのバランスを図りつつ、早期の実用化を促進することを目的に、2017年7月31日に「革新的医療機器条件付早期承認制度」が制定された³³⁾。当制度の対象と指定された場合、関連の学会との連携の下で計画された医療機器製造販売後のリスク管理計画書が当該品目の承認申請書の添付資料として提出され、審査の中では、当該リスク管理が適切に実施されることを前提として、市販前に入手しうる臨床データを基に当該医療機器の有効性、安全性等が審査される。当制度により、市販前に治験ができないものの重篤で新しい治療法が必要とされる疾患について、既存の審査方法にとらわれない評価を取り入れることが可能となり、特に小児における疾患において、新しい医療機器開発が進むことが期待されている。本制度は、医薬品医療機器等法の改正により、2020年9月1日より「医療機器条件付承認制度」という名称に変更された³⁴⁾。

指定によるメリット：

・優先審査

対象品目については、医薬品医療機器総合機構における優先的な相談品目として取り扱われる。

・製造販売後のリスク管理を条件に、新たな治験の実施を必須としない

製造販売後のリスク管理を適切に実施することを前提として、新たな治験を実施することなく、当該医療機器の安全性、有効性等を確認し、承認を受けることができる。

指定要件：

以下の(1)または(2)の要件のすべてに該当するもの。

(1) 類型1

- ・ 生命に重大な影響がある疾患又は病気の進行が不可逆的で日常生活に著しい影響を及ぼす疾患を対象とすること。
- ・ 既存の治療法、予防法若しくは診断法がないこと、又は既存の治療法等と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待されること。
- ・ 一定の評価を行うための適切な臨床データを提示できること。

- ・ 新たな臨床試験又は臨床性能試験の実施に相当の困難があることを合理的に説明 できること。
- ・ 関連学会と緊密な連携の下で、適正使用基準を作成することができ、また、市販後のデータ収集およびその評価の計画を具体的に提示できること。

(2) 類型 2

- ・ 焼灼その他の物的な機能により人体の構造又は機能に影響を与えることを目的とする医療機器又は体外診断用医薬品であって、医療上特にその必要性が高いと認められるものであること。
- ・ 既存の臨床データでは直接的に評価されていない適用範囲に関する有効性および安全性について、一定の外挿性をもって評価を行うための適切な臨床データを提示できること。
- ・ 新たな臨床試験又は臨床性能試験を実施しなくとも、その適正な使用を確保できることを合理的に説明できること。
- ・ 関連学会と緊密な連携の下で、適正使用基準を作成することができ、また、市販後のデータ収集およびその評価の計画を具体的に提示できること。

申請窓口：

厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課

備考：

- ・ 医薬品医療機器総合機構の医療機器開発前相談に申し込み、制度該当性を相談すること。
- ・ ニーズ検討会により医療ニーズの高い医療機器等としての選定、もしくは希少疾病用医療機器、先駆的医療機器、特定用途医療機器の指定を受けている場合、開発前相談を受けることなく本制度の対象となると判断される場合もあるため、事前に医療機器審査管理課に相談すること。

別紙 3-6

6. 小児用医療機器の承認申請支援事業

2020 年度より、小児用医療機器の開発促進のため、製造販売承認申請手数料を補助する「小児用医療機器の承認申請支援事業」が開始された。当制度は、小児用医療機器に係る承認・調査申請の手数料額の 9 割を補助する事業である。当制度の詳細、補助金の申請から支給の流れについては参考資料を確認されたい³⁵⁾。

申請によるメリット：

- ・ 承認申請に係る審査・調査手数料の 9 割相当の補助金を支給

補助要件：

小児専用の医療機器として承認申請された品目であること（小児にも使用できる成人用医療機器は対象外）。

適正に承認申請および補助金の申請手続きが行われたものについて、以下の方法で補助対象となるか否かを確認し、予算額の範囲内で決定する。

- ① 承認申請時に、学会や患者団体からの検討要請を受け、「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」において選定されている品目の開発要請を受けた企業または特定用途医療機器の申請企業について、承認申請順に補助対象とする。
- ② 予算額に余裕のある場合、希少疾病用医療機器および条件付き承認制度該当品目の申請企業について、承認申請順に補助対象とする。
- ③ さらに予算額に余裕のある場合、上記①および②の対象ではない小児専用の医療機器の申請企業について、承認申請順に補助対象とする。

申請窓口：

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 審査マネジメント部 審査マネジメント課
(相談窓口)

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 審査業務部 業務第二課 (申請窓口)

別紙 3-7

7. 革新的医療機器の承認申請支援事業

2013 年度より、中小・ベンチャー企業の革新的医療機器の開発促進のため、医薬品医療機器総合機構への相談申込や製造販売承認申請手数料を補助する「革新的医療機器相談承認申請支援事業」が開始された。当制度は、革新的医療機器に係る相談申込、承認・調査申請の手数料額の 5 割を補助する事業である³⁶⁾。

申請によるメリット：

- ・ 相談手数料、承認申請に係る審査・調査手数料の 9 割相当の補助金を支給

補助要件：

対象品目

相談申込時又は承認・調査申請時において、次の(1)～(3)のいずれかに該当する品目であること。

- ① 先駆的医療機器または優先的な審査等の対象品目に指定されたプログラム医療機器であること
- ② 希少疾病用医療機器であること
- ③ 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で選定された医療機器・体外診断用医薬品（開発要請を受けた企業に限る）であること

対象企業

次のすべての要件を満たす企業。

- ① 中小企業であること（従業員数 300 人以下又は資本金 3 億円以下）
- ② 他の法人が株式総数または出資総額の 1/2 以上の株式又は出資金を有していないこと
- ③ 複数の法人が株式総数または出資総額の 2/3 以上の株式又は出資金を有していないこと
- ④ 前事業年度において、当期利益が計上されていないまたは当期利益は計上されているが事業収益が 2 億円以下であること

申請窓口：

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 審査マネジメント部 審査マネジメント課
(相談窓口)

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 審査業務部 業務第二課 (申請窓口)

參考資料

参考資料

1. 坂本喜三郎、日本医療研究開発機構医薬品等規制調和・評価研究事業「小児用医療機器の日米同時開発に係る課題抽出等に関する研究」最終報告書、
<https://www.shizuoka-pho.jp/kodomo/news/20220516/upload/20220516-143049-8038.pdf> (アクセス日：2025年3月21日)
2. 令和6年度第7回厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会（令和6年10月3日）
「【資料1】テーマ①（ドラッグロスや供給不足などの医薬品等へのアクセスの課題に対応した安全かつ迅速な承認制度の確立）について」、<https://h-crisis.niph.go.jp/wp-content/uploads/2024/10/001311521.pdf> (アクセス日：2025年3月21日)
3. 飯村康夫、小児用医薬品開発推進に向けた厚生労働省の取り組み、日本製薬工業協会小児医薬品開発シンポジウム、令和6年3月25日、
https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/symposium/tcjm0000001079-att/202403_KT7_11.pdf (アクセス日：2025年3月21日)
4. 医療系ベンチャー・トータルサポートオフィス (MEDISO)、
<https://mediso.mhlw.go.jp> (アクセス日：2025年3月21日)
5. 医療機器開発支援ネットワーク ポータルサイト (MEDIC)、<https://www.med-device.jp/> (アクセス日：2025年3月21日)
6. Takahashi, S., Iwasaki, K., Shirato, H., Ho, M., Umezu, M., Comparison of supportive regulatory measures for pediatric medical device development in Japan and the United States. *J Artif Organs* 24, 90-101 (2021). doi: 10.1007/s10047-020-01216-6.
7. 厚生労働省、令和7年3月13日 第39回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 配布資料、「資料2 これまでの選定品目の現状」、
<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001441608.pdf> (アクセス日：2025年3月28日)
8. 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構、先駆的医薬品等指定制度、先駆け審査指定制度の対象品目一覧表、「先駆的医療機器品目一覧表」、
<https://www.pmda.go.jp/files/000248718.pdf> (アクセス日：2025年3月28日)
9. 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構、先駆的医薬品等指定制度、先駆け審査指定制度の対象品目一覧表、「医療機器の先駆け審査指定制度の対象品目一覧表」、
<https://www.pmda.go.jp/files/000235379.pdf> (アクセス日：2025年3月28日)

10. 国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所、特定用途医薬品等開発振興事業 情報公開、https://www.nibn.go.jp/activities/promote/tokutei_support.html (アクセス日：2025年3月28日)
11. 国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所、希少疾病用医療機器指定品目一覧表、
https://www.nibn.go.jp/nibio/part/promote/files/ph_orphanlist_medicaldevice_JP.pdf (アクセス日：2025年3月28日)
12. 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構、医療機器の承認品目一覧、「令和5年度承認品目一覧(新医療機器)」、<https://www.pmda.go.jp/files/000269360.pdf> (アクセス日：2025年3月28日)
13. 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構、医療機器の承認品目一覧、「2020年度承認品目一覧(新医療機器)」、<https://www.pmda.go.jp/files/000270841.pdf> (アクセス日：2025年3月28日)
14. 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構、「医療機器の承認品目一覧」、
<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/devices/0018.html> (アクセス日：2025年3月28日)
15. 厚生労働省 医薬局医療機器審査管理課、トレミキシム 審議結果報告書、
https://www.pmda.go.jp/medical_devices/2024/M20240118001/480220000_20500BZ_Z00926_A100_1.pdf (アクセス日：2025年3月28日)
16. 国立医薬品食品衛生研究所医療機器部、令和5年度 開発が困難な小児用医療機器の実用化推進事業報告書(令和6年3月)
https://dmd.nihs.go.jp/child_for_public/R5_child_report.pdf (アクセス日：2025年3月21日)
17. Welinsky, H., Glogov, S., A lamellar unit of aortic medial structure and function in mammals. *Circ Res* 20(1), 99-111 (1967). doi: 10.1161/01.RES.20.1.99.
18. Haskett, D., Johnson, G., Zhou, A., Utzinger, U., Vande Geest, J., Microstructural and biomechanical alterations of the human aorta as a function of age and location. *Biomech Model Mechanobiol* 9(6), 725-736 (2010). doi: 10.1007/s10237-010-0209-7.
19. Corti, A., Shameen, T., Sharma, S., De Paolis, A., Cardoso, L., Biaxial testing system for characterization of mechanical and rupture properties of small samples. *HardwareX* 12, e00333 (2022).
20. Griffin, M., Premakumar, Y., Seifalian, A., Butler, P.E.M., Biomechanical Characterization of Human Soft Tissues Using Indentation and Tensile Testing. *J Vis Exp* 118, e54872 (2016). doi: 10.3791/54872.

21. 千葉大学大学院医学研究院法医学ホームページ 小児・若年者から成人までの血管の強度、破壊特性、弾性率等の物理特性の解明～年齢と血管物理特性の解明～
<https://www.m.chiba-u.ac.jp/class/houi/topics/info-25.html> (アクセス日：2025年3月21日)
22. De Beaufort, H.W.L., Ferrara, A., Conti, M., Moll, F.L., van Herwaarden, J.A., Figueroa, C.A., Bismuth, J., Auricchio, F., Trimarchi, S., Comparative Analysis of Porcine and Human Thoracic Aortic Stiffness. *Eur J Vasc Endovasc Surg* 55(4), 560-566 (2018). doi: 10.1016/j.ejvs.2017.12.014.
23. 厚生労働省、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、
https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/other-iyaku_128705.html (アクセス日：2025年3月21日)
24. 厚生労働省保険局医療課、令和6年度保険医療材料制度改革の概要、
<https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/001251540.pdf> (アクセス日：2025年4月22日)
25. 令和6年2月14日付け保発0214第3号「特定保健医療材料の保険償還価格算定の基準について」、<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001218708.pdf> (アクセス日：2025年4月22日)
26. 厚生労働省、医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の先駆け審査指定制度について、<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000094368.html> (アクセス日：2025年3月21日)
27. 医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保に関する法律（昭和35年法律第145号）、<https://laws.e-gov.go.jp/law/335AC0000000145> (アクセス日：2025年3月21日)
28. 厚生労働省、先駆的医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品指定制度について、<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/000013196.html> (アクセス日：2025年3月21日)
29. 厚生労働省、特定用途医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の指定制度について、https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/newpage_13382.html (アクセス日：2025年3月21日)
30. 国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所、特定用途医薬品等開発振興事業、
https://www.nibiohn.go.jp/activities/promote/tokutei_support.html (アクセス日：2025年3月21日)

31. 厚生労働省、希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・希少疾病用再生医療等製品の指定制度の概要、
<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html>（アクセス日：2025年3月21日）
32. 国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所、希少疾病用医薬品等開発振興事業、
https://www.nibiohn.go.jp/activities/promote/orphan_support.html（アクセス日：2025年3月21日）
33. 令和2年8月31日付け薬生機審初0831第2号、「医療機器及び体外診断用医薬品の条件付き承認の取扱いについて」、<https://www.pmda.go.jp/files/000236901.pdf>（アクセス日：2025年3月21日）
34. 平成29年7月31日付け薬生初0731第1号、「革新的医療機器条件付き早期承認制度の実施について」、<https://www.pmda.go.jp/files/000219303.pdf>（アクセス日：2025年3月21日）
35. 令和6年9月6日付け薬機発第4926号、「令和6年度「小児用医療機器の承認申請支援事業」の実施について」、<https://www.pmda.go.jp/files/000270553.pdf>（アクセス日：2025年3月21日）
36. 令和6年9月6日付け薬機発第4910号、「令和6年度「革新的医療機器等相談承認申請支援事業」の実施について」<https://www.pmda.go.jp/files/000270547.pdf>（アクセス日：2025年3月21日）