

広島県収受	
第	号
-2, 8, 31	
処理期限	月 日
分類記号	保存年限

薬生機審発 0831 第 5 号  
令和 2 年 8 月 31 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長  
( 公 印 省 略 )

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に関する  
取扱いについて

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の一部を改正する法律（令和元年法律第 63 号。以下「改正法」という。）が令和元年 12 月 4 日に公布され、小児に対する用法又は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、体外診断用医薬品及び再生医療等製品（以下「医療機器等」という。）の研究開発の促進に寄与することを目的として、特定用途医薬品（体外診断用医薬品を含む。）、医療機器、再生医療等製品の指定制度が創設されました。改正法による改正後の医薬品、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 3 項に規定する特定用途医薬品（体外診断用医薬品に限る。）、特定用途医療機器、特定用途再生医療等製品（以下「特定用途医療機器等」という。）の指定について下記のとおり取り扱うこととしましたので、御了知の上、貴管内関係団体、関係機関等に周知いただきますよう御配慮願います。

記

1. 指定の要件

指定を受ける医療機器等は、それぞれ、以下の指定の要件をすべて満たすこと。

(1) 医療機器について

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、法第 23 条の 2 の 5 又は法第 23 条の 2 の 17 の承認を受けようとするもの
- イ 既に法第 23 条の 2 の 5 又は法第 23 条の 2 の 17 の承認を受けているものであって、形状、構造及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

## (2) 体外診断用医薬品について

1) 小児の疾病の診断を用途とする体外診断用医薬品については、以下の指定要件をすべて満たすもの

指定要件 1 : 対象疾患

法第 23 条の 2 の 5 又は法第 23 条の 2 の 17 の承認を受けているものであって、その使用目的又は使用方法を変更して、小児の疾病の診断の用途に用いることとなるものであること

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 対象とする疾病に対して診断を行うための方法が確立されていないもの

イ 有用性、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、既存の診断法等よりも有効性の高い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検査法として確立しているもの

2) 薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断を用途とする体外診断用医薬品については、①又は②の場合に、それぞれすべての指定の要件を満たすもの

①薬剤耐性を有する病原体を対象とする体外診断用医薬品の場合

指定要件 1 : その使用目的又は使用方法の変更に係る開発を行い、薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断の用途に用いることとな

るものであること

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、以下のア及びイの両方を満たすものであること

- ア 薬剤に耐性を有する病原体又は有することとなる可能性がある病原体を対象とするものであること
- イ 当該薬剤以外に必要な性能を有す体外診断用医薬品が我が国において製造販売されていないこと

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 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の観点から、必要性が高いこと。
- イ 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの

②薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための体外診断用医薬品の場合

指定要件1：その使用目的又は使用方法の変更に係る開発を行い、薬剤耐性を有する病原体の発生を防ぐために行う診断の用途に用いることとなるものであること

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、診断を行おうとする疾病の治療に主に用いられる薬剤が以下ア又はイのいずれかに該当するものであること

- ア 既承認の用法及び用量で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせるおそれがあること
- 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にもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと

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

診断を行おうとする疾病の治療に主に用いられる薬剤が以下の2つの両方を満たすものであること

- ア 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の総合的な観点から、必要性が高いこと。
- イ 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの

(3) 再生医療等製品について

1) 小児の疾病の治療又は予防を用途とする再生医療等製品については、以下の指定要件をすべて満たすもの

指定要件1：対象疾患

以下のいずれかに該当するもの

- ア 小児の疾病の治療又は予防を用途に用いることとなるものとして、法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けようとするもの
- イ 既に法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けているものであって、その用法、用量又は使用方法を変更することにより、小児の疾病の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 既存の治療法又は予防法がないもの
- 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又は予防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

2) 薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療又は予防を用途とする再生医療等製品であって、①又は②の場合に、それぞれすべての指定の要件を満たすもの

①薬剤耐性を有する病原体を対象とする再生医療等製品の場合

指定要件 1：対象疾患

以下のいずれかの開発を行うものであること

- ア 薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療の用途に用いることとなるものとして、法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けようとするもの
- イ 既に法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けているものであって、その効能、効果、性能、用法、用量又は使用方法を変更することにより、薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるものであること

指定要件 2：対象とする用途の需要が著しく充足されていないこと

以下のア及びイの両方を満たすものであること

- ア 現在主として用いられている薬剤に耐性を有する病原体又は薬剤に耐性を有することとなる可能性がある病原体を対象とするものであること
- イ 当該主として用いられている薬剤以外に有効性を持つ医薬品又は再生医療等製品が我が国において製造販売されていないこと

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

以下のア及びイの両方を満たすものであること

- ア 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の観点から、必要性が高いこと。
- 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

②薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための再生医療等製品の場合

指定要件 1：以下のいずれかの開発を行うものであること

- ア 薬剤耐性を有する病原体の発生の抑制の用途に用いることとなるものとして、法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けようとするもの
- イ 既に法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けているものであって、効能、効果、性能、用法、用量又は使用方法を変更することにより薬剤耐性を有する病原体の発生の抑制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 既承認の用法及び用量又は使用方法で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせることとなるおそれがあること
- 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にもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと

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 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の総合的な観点から、必要性が高いこと。
- 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

## 2. 指定の方法

特定用途医療機器等の指定については、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて行う。

なお、指定した特定用途医療機器等については、指定年月日、医療機器等の名称、対象となる用途疾病及び指定者の氏名を厚生労働省のホームページに公表する。

### 3. 指定申請までの手順

企業及び学会等は下記の手順に沿って要望を提出すること。

#### (1) 企業による要望の場合

- 1) 特定用途医療機器等への指定の申請にあたっては、事前に、厚生労働省医薬・生活衛生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、別紙様式に示す特定用途医療機器等の指定要件該当性に関する概要を作成の上、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。）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、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。
- 2) 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。この際、判断に必要な情報、資料の提出を追加で求めることができる。また、必要に応じ、厚生労働省は、相談品目の用途が指定要件に定めるものに用いられるものであって、当該用途に係る医療機器等に対する需要が著しく充足されていないことに対する該当性について、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（以下「ニーズ検討会」という。）に評価を依頼し、その結果を踏まえて検討を行う。

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。

#### (2) 学会等による要望の場合

- 1) 厚生労働省は、上記1にて示す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する。
- 2) 厚生労働省は、ニーズ検討会に、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（以下「該当性評価」という。）の依頼を行う。
- 3) ニーズ検討会は、厚生労働省に対して該当性評価の結果を回答する。
- 4) 厚生労働省は、ニーズ検討会の該当性評価の結果を、要望された医療機器等を取り扱う企業に通知する。
- 5) 厚生労働省から上記4)の通知を受けた企業が、該当する医療機器等について、特定用途医療機器等への指定を希望する場合、厚生労働省に特定用途医療機器等への指定を申請する。

### 4. 指定の手続

#### (1) 対象品目への指定申請

特定用途医療機器等の指定を受けようとするものは、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等の一部を改正する法律の施行に

伴う関係省令の整備等に関する省令（令和2年厚生労働省令第155号）による改正後の医薬品、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3に、（2）の添付資料を付し医療機器審査管理課に提出すること。なお、資料は、紙媒体（正本1部、副本2部）及び記録媒体（CD又はDVD）で郵送又は持参により提出すること。

#### 郵送の場合

〒100-8916 東京都千代田区霞が関1-2-2

厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課

特定用途医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品指定申請担当宛て

#### (2) 指定申請書の添付資料

規則第251条の3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。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 対象とする用途に対する需要の充足状況に関する資料

上記3における開発要望及び該当性評価の概要

イ 当該医療機器等を使用する理論的根拠となる資料

規則第114条の19第1項第1号掲げる資料のうち指定申請時において入手可能な資料の概要

ウ 開発計画

予定している試験項目、試験期間など開発計画の概要を説明する資料

エ 特定用途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、別紙様式に従って作成した概要

#### 5. 指定された特定用途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。

##### (2) 優先審査

指定を受けた品目はその内容に鑑み、法第23条の2の5第10項又は法第23条の25第7項の規定「医療上特にその必要性が高いと認められるもの」に該当すると考えられるため、対象品目への指定をもって優先審査の取扱いを行うこととする。

#### 6. 試験研究等の中止

指定者は、当該指定に係る特定用途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、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、指定の取消しの公表は、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。

- ア 他の医療機器等が承認されたことなどにより、上記1の指定要件2又は指定要件3の要件を欠くと認められるとき。
- イ 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。
- ウ 正当な理由なく特定用途医療機器等の試験研究又は製造販売が行われなとき。
- エ 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、上記6に従って、試験研究等の中止の届出を行い、承継者は、上記4（1）の申請書及び（2）エ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2年9月1日から施行する。

## 10. その他

特定用途医療機器等の対象となる区分については、今後、必要に応じ見直しを検討するものであること。