

薬生機審発 0831 第 2 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 ）

### 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

生命に重大な影響があり、かつ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は、患者数が少なく治験の実施に相当な時間を要する等の理由により臨床開発が長期化するなど、承認申請に必要な臨床データの収集に著しい困難を伴うことから、「革新的医療機器条件付早期承認制度の実施について」（平成 29 年 7 月 31 日付け薬生機発 0731 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局長通知）（以下「従前通知」という。）に基づき、使用条件の設定、市販後のデータ収集などの製造販売後のリスク管理を開発段階から計画し、申請前に得られる限られた臨床データでは明らかにならないリスクへの対応を厳重に行うことを前提として、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してきたところです。今般これを、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（令和元年法律第 63 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（昭和 35 年法第 145 号。以下「法」という。）第 23 条の 2 の 5 第 12 項の規定により条件を付して同条第 1 項又は第 15 項の承認を行う制度（以下「医療機器等条件付き承認制度」という。）として法令上明確化し、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。

なお、従前通知に基づき製造販売承認申請又は製造販売承認事項一部変更承認申請（以下「承認申請」という。）された医療機器については、本通知に関わらず、なお従前のとおり取り扱うことといたします。

## 記

### 1. 対象品目

以下の（１）又は（２）において示す要件のいずれにも該当する医療機器又は体外診断用医薬品（以下「医療機器等」という。）とする。

#### （１）類型１

- ア. 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。
- イ. 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。
- ウ. 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。
- エ. 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。
- オ. 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及びその評価の計画を具体的に提示できること。

なお、各要件及び医療機器等条件付き承認制度の要件該当性に関する概要（以下「該当性概要」という。）の記載に係る留意点は別添１のとおりとする。

#### （２）類型２

- ア. 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。
  - イ. 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及び安全性について、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。
  - ウ. 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。
  - エ. 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及びその評価の計画を具体的に提示できること。
- なお、各要件及び該当性概要の記載に係る留意点は別添２のとおりとする。

### 2. 本制度の適用に係る相談

- （１）本制度によって承認申請を行うことを希望する場合は、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。）の医療機器開発前相談又は体外診断用医薬品開発前相談（以下「開発前相談」という。）を申し込むこと。この相談の中で、相談者より提出された別紙様式の医療機器等条件

付き承認制度該当性概要に基づき、相談者と厚生労働省及び総合機構が、申請予定の医療機器等が本制度の対象に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、上記1.(1)又は(2)において示す要件を総合的に勘案して、申請予定の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、資料の提供を追加で求めることがある。また、必要に応じ、厚生労働省は、疾患の重篤性及び代替法の有無について、「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。

本制度の対象になる可能性が高く、医療機器臨床試験要否相談又は体外診断用医薬品評価相談 臨床性能試験を受けることで差し支えないと判断される場合は、開発前相談の相談記録にその旨記載する。相談記録の確定まで(対面助言よりおよそ30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。

- (3) 申請予定の品目が希少疾病用医療機器若しくは希少疾病用医薬品（以下「希少疾病用医療機器等」という。）の指定、先駆的医療機器若しくは先駆的体外診断用医薬品の指定、特定用途医療機器若しくは特定用途体外診断用医薬品の指定又は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を受けている場合は、2.(1)及び(2)の開発前相談を受けることなく本制度の対象になると判断される場合もあることから、開発前相談を申し込む前に、別紙様式の医療機器等条件付き承認制度該当性概要を作成の上、厚生労働省医療機器審査管理課に相談すること。

### 3. 事前相談、承認申請の手続

- (1) 医療機器臨床試験要否相談又は体外診断用医薬品評価相談 臨床性能試験

本制度の対象品目について、新たな臨床試験又は臨床性能試験を実施せずに承認申請を行う場合は、申請前に、入手可能な臨床データの評価及び医療機器又は体外診断用医薬品のリスク管理計画（以下「医療機器等リスク管理計画」という。）の案の内容が適切かどうか等を相談するため、総合機構の医療機器臨床試験要否相談又は体外診断用医薬品評価相談 臨床性能試験を申し込むこと。当該相談では、具体的には、必要に応じ医学専門家を交え

て、対象疾患の重篤性等に鑑み、臨床的な安全性、有効性のリスクベネフィットバランスを、既存の臨床データ、適正使用基準等を基に適切に評価できるかどうか、適切な使用を確保するために必要となる製造販売後のリスク管理やデータ収集等の内容について助言する。

なお、相談の申込みの際は、申込書の備考欄に、医療機器等条件付き承認制度の要件該当性について、厚生労働省医療機器審査管理課への相談又は開発前相談を実施済みである旨を記載し、2.(2)の相談記録を添付すること。(いずれの相談も経ていない場合は厚生労働省医療機器審査管理課より個別に連絡する。)

## (2) 承認申請及び審査について

- ① 承認申請に当たっては、臨床試験又は臨床性能試験の試験成績に関する資料の一部として、医療機器等リスク管理計画の案を添付するとともに、申請書の備考欄に、医療機器等条件付き承認制度の要件該当性について、厚生労働省医療機器審査管理課への相談又は開発前相談を実施済みの品目である旨、2.(2)及び3.(1)の相談日時及び相談受付番号を記載すること。なお、承認申請後速やかにQMS適合性調査申請を行うことができるよう、必要な体制の整備等に留意すること。
- ② 医療機器等リスク管理計画の記載方法等は、「医療機器及び体外診断用医薬品のリスク管理計画の策定及び公表について」(令和2年8月31日付け薬生機審発0831第3号・薬生安発0831第1号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長・医薬安全対策課長連名通知)及び「医療機器及び体外診断用医薬品のリスク管理指針について」(令和2年8月31日付け薬生機審発0831第4号・薬生安発0831第2号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長・医薬安全対策課長連名通知)を参照すること。
- ③ 承認審査では、医療機器等リスク管理計画の案の妥当性について確認し、確認された内容が適切に実施されることを前提として、安全性、有効性等の確認を行う。本制度の対象品目は、原則として使用成績評価の対象とするとともに、適正使用基準などの製造販売後のリスク管理を、法第23条の2の5第12項に基づく承認条件とすることでその実施を担保する。

## 4. 承認後の手続

- (1) 原則として、販売開始予定時期の1か月前までに、医療機器等リスク管理計画書を総合機構に提出すること。これに基づき、市販後の情報収集、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、医療機器等の適正な使用を担保し、保健衛生上の危害防止を図ることとする。

- (2) 使用成績調査に係るデータ収集を、関連学会の症例登録の情報（レジストリ）等を通じて実施する場合は、厚生労働省及び総合機構の要請に応じて必要なデータの確認ができるようにするほか、データの管理や利用に係る責任関係等をあらかじめ明確にしておくこと。
- (3) 原則として法第 23 条の 2 の 9 に規定する使用成績評価の対象とすることから、使用成績調査の期間中は、同条第 6 項の規定による使用の成績に関する調査の総合機構への報告を 1 年ごとに行うこと（定期報告）。定期報告に当たっては、医療機器等を使用する医師等と最新の情報を共有することも考慮すること。その他使用成績調査については、「医療機器及び体外診断用医薬品の製造販売承認に係る使用成績評価の取扱いについて」（平成 26 年 11 月 21 日付け薬食機参発 1121 第 44 号厚生労働省大臣官房参事官(医療機器・再生医療等製品審査管理担当)通知)などの関連通知を参照すること。
- (4) 使用成績の評価、市販後の不具合等の発生の動向、製造販売後のデータの蓄積等を踏まえ、適正使用基準を含む製造販売後のリスク管理計画の内容を変更する場合や実施施設の拡大等を行う場合は、事前に総合機構に相談すること。
- (5) なお、本制度の対象となる医療機器等の使用成績調査、市販後臨床試験、レジストリ等によって市販後に収集されるデータが、医療機器等のリスク管理の内容の見直しだけでなく、今後の医療機器等の改善や将来の承認申請にも役立つものとなるよう、必要に応じ、総合機構の相談を活用し、市販後のデータ収集の計画と収集されたデータの活用方法を十分に検討しておくことが望ましい。

## 5. 留意事項

- (1) 「適応外使用に係る医家向け医療機器の取扱いについて」（平成 18 年 5 月 22 日付け医政研発第 0522001 号・薬食審査発第 0522001 号、厚生労働省医政局研究開発振興課長・医薬食品局審査管理課長連名通知)に示す場合は、本制度によらずに承認申請を行うことが適切なことがあるので、個別に厚生労働省医療機器審査管理課に相談すること。
- (2) 「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)に示す場合及び開発品目の臨床

的な有効性及び安全性を、性能試験、動物試験等の非臨床試験成績、既存の文献等によって評価できると考えられる場合は、まず総合機構の対面助言を活用することを考慮すること。その上で必要に応じて、本制度の利用を検討すること。

#### 6. 施行日

本通知は令和2年9月1日から施行する。

## 別添 1

医療機器等条件付き承認制度の対象品目（類型 1）の対象となる各要件及び該当性概要の記載に係る留意点

### ① 要件アについて

対象疾患の概要、患者背景、申請予定品目の対象患者数等を端的に記載し、それらの情報の出典、根拠資料を示すこと。

### ② 要件イについて

対象疾患に対する既存の治療方法等の有無、治療方法等がある場合はその内容（手技の内容、使用されている医療機器等、臨床データ等）及び問題点を示し、申請予定品目が既存の医療機器等と比較してどのような点で優れているか記載すること。記載内容の根拠となる論文、国内外の診療ガイドライン、医学書等を出典として記載し、当該資料の写しを添付すること。

国内で開発中の類似品目があれば、可能な範囲でその概要を説明すること。

### ③ 要件ウについて

入手可能な臨床試験、臨床性能試験等の成績の要旨を記載し、臨床的な有効性等が認められること、想定されるリスクが許容可能であること等を説明すること。探索的な治験や海外の臨床試験、臨床性能試験等の成績が想定されるが、先進医療や臨床研究などのデータ、文献情報等も活用できる。原則として、個々の症例のデータが入手可能であること。記載内容の根拠となる論文等があれば出典として記載し、当該資料の写しを添付すること。試験の実施に当たって参照した基準や倫理指針、データの信頼性確保のために行われた対策等があれば説明すること。

また、実施中の臨床試験、臨床性能試験等がある場合はその概要を説明すること。

### ⑤ 要件エについて

これまでの開発状況及び臨床試験又は臨床性能試験の実施が困難な理由を具体的に記載すること。関連学会からの意見等があれば添付すること。また、新たに臨床試験又は臨床性能試験を実施することを想定した場合に、その実施に要すると考えられる期間等を説明すること。

### ④ 要件オについて

関連学会の協力が得られ、関連学会と連携して申請予定品目の適正使用基準を作成することができること。該当性概要には極力、適正使用基準の素案の内容、作成の進捗、市販後のデータ収集とその評価の計画等を簡潔に記載すること。

適正使用基準案には、実施医、実施施設等の要件を規定するほか、使用に当たって特に注意が必要な症例や合併症への対応方法、講習、トレーニング、プロクタリング等の実施計画、実施施設を拡大する場合の考え方等が含まれる。関連学会としては、日本医学会又は日本歯科医学会の分科会（以下「分科会」という。）が考えられ、申請予定品目の使用及び当該品目の使用に当たって発生しうる合併症の治療に関連の深い学会が関与することを基本とする。分科会以外の学会が主体となる場合は、分科会との関係及び適正使用基準の作成等に当たり、必要に応じ、分科会の協力が得られることを説明すること。また、学会の担当者の連絡先等を付記すること。

市販後のデータ収集及び評価の計画案には、データ収集の目的、方法、データの評価の方法とタイミング、適正使用基準案を踏まえた実施施設を拡大する場合の検討方法、収集した使用成績や不具合等の最新の情報を、当該医療機器等を使用する医師等に情報提供するための方法を記載すること。

また、可能であれば、医療機器等リスク管理計画の案（適正使用基準の案、使用成績調査の計画等を含む。）を添付すること。

#### ⑥ その他

開発品目が希少疾病用医療機器等の指定、先駆的医療機器若しくは先駆的体外診断用医薬品の指定、特定用途医療機器若しくは特定用途体外診断用医薬品の指定又はニーズ検討会議により医療ニーズの高い医療機器若しくは体外診断用医薬品としての選定を受けている場合は備考欄にその旨記載すること。



## 別添 2

医療機器等条件付き承認制度の対象品目（類型 2）の対象となる各要件及び該当性概要の記載に係る留意点

### ① 要件アについて

申請予定品の形状、構造、原理等の概要、対象疾患の概要、患者背景、対象患者数等を端的に記載し、それらの情報の出典、根拠資料を示すこと。

### ② 要件イについて

入手可能な臨床試験、臨床性能試験等の成績の要旨を記載し、臨床的な有効性等が認められること、想定されるリスクが許容可能であること等を説明すること。探索的な治験や海外の臨床試験、臨床性能試験等の成績が想定されるが、先進医療や臨床研究などのデータ、文献情報等も活用できる。原則として、個々の症例のデータが入手可能であること。記載内容の根拠となる論文等があれば出典として記載し、当該資料の写しを添付すること。試験の実施に当たって参照した基準や倫理指針、データの信頼性確保のために行われた対策等があれば説明すること。

また、実施中の臨床試験、臨床性能試験等がある場合はその概要を説明すること。

### ③ 要件ウについて

これまでの開発状況及び臨床試験又は臨床性能試験の実施を新たに行わなくとも、その適正な使用を確保できると考える理由を具体的に記載すること。なお、適正使用の確保に関する関連学会からの意見等があれば添付すること。

### ④ 要件エについて

関連学会の協力が得られ、関連学会と連携して申請予定品目の適正使用基準を作成することができること。該当性概要には極力、適正使用基準の素案の内容、作成の進捗、市販後のデータ収集とその評価の計画等を簡潔に記載すること。

適正使用基準案には、実施医、実施施設等の要件を規定するほか、使用に当たって特に注意が必要な症例や合併症への対応方法、講習、トレーニング、プロクタリング等の実施計画、実施施設を拡大する場合の考え方等が含まれる。関連学会としては、日本医学会又は日本歯科医学会の分科会（以下「分科会」という。）が考えられ、申請予定品目の使用及び当該品目の使用に当たって発生しうる合併症の治療に関連の深い学会が関与することを基本とする。分科会以外の学会が主体となる場合は、分科会との関係及び適正使用基準の作成等に当たり、必要に応じ、分科会の協力が得られることを説明すること。また、学会の担当者の連絡先等を付記するこ

と。

市販後のデータ収集及び評価の計画案には、データ収集の目的、方法、データの評価の方法とタイミング、適正使用基準案を踏まえた実施施設を拡大する場合の検討方法、収集した使用成績や不具合等の最新の情報を、当該医療機器等を使用する医師等に情報提供するための方法等を記載すること。

また、可能であれば、医療機器等リスク管理計画の案（適正使用基準の案、使用成績調査の計画等を含む。）を添付すること。

#### ⑤ その他

開発品目が希少疾病用医療機器等の指定、先駆的医療機器若しくは先駆的体外診断用医薬品の指定、特定用途医療機器若しくは特定用途体外診断用医薬品の指定又はニーズ検討会議により医療ニーズの高い医療機器若しくは体外診断用医薬品としての選定を受けている場合は備考欄にその旨記載すること。

## 別紙様式 1

## 医療機器条件付き承認制度該当性概要（類型 1）

申請者名		
名称	一般的名称 <sup>※1</sup>	
	販売名 <sup>※2</sup>	
予定される使用目的 又は効果		
要件 ア	対象疾患の重篤性  (対象疾患の概要等)	<input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <input type="checkbox"/> 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
	既存の治療法等  (既存法との差異等)	<input type="checkbox"/> 既存の治療法等が存在しない <input type="checkbox"/> 既存の治療法等に比べて著しく高い有効性又は安全性が見込まれる
要件 ウ	既存の臨床データ  (有効性等を示唆する試験成績等の要旨)	<input type="checkbox"/> 臨床試験 <input type="checkbox"/> 臨床研究 <input type="checkbox"/> 文献 <input type="checkbox"/> その他
	臨床試験実施上の問題点  (これまでの開発状況、臨床試験の実施が困難な理由等)	
要件 オ	製造販売後リスク管理  (関連学会との適正使用基準案等の検討の進捗状況等)	
	備考	(注：希少疾病用医療機器等の指定、医療ニーズの高い医療機器としての選定を受けている場合はその旨記載。)

※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。

(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

## 体外診断用医薬品条件付き承認制度該当性概要（類型 1）

申請者名		
名称	一般的名称 <sup>※1</sup>	
	販売名 <sup>※2</sup>	
予定される効能・効果		
要件 ア	対象疾患の重篤性	<input type="checkbox"/> 生命に重大な影響がある重篤な疾患 <input type="checkbox"/> 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
	(対象疾患の概要等)	
要件 イ	既存の治療法等	<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著しく高い有効性又は安全性が見込まれる
	(既存法との差異等)	
要件 ウ	既存の臨床データ	<input type="checkbox"/> 臨床性能試験 <input type="checkbox"/> 文献 <input type="checkbox"/> その他
	(有効性等を示唆する試験性能成績等の要旨)	
要件 エ	臨床性能試験実施上の問題点	
	(これまでの開発状況、臨床性能試験の実施が困難な理由等)	
要件 オ	製造販売後リスク管理	
	(関連学会との適正使用基準案等の検討の進捗状況等)	
備考	(注：希少疾病用医薬品等の指定、医療ニーズの高い体外診断用医薬品としての選定を受けている場合はその旨記載。)	

※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。

(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 3

医療機器条件付き承認制度該当性概要（類型 2）

申請者名		
名称	一般的名称 <sup>※1</sup>	
	販売名 <sup>※2</sup>	
予定される使用目的 又は効果		
要件 ア	対象疾患  (対象疾患の概要等)	<input type="checkbox"/> 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
	既存の臨床データ <input type="checkbox"/> 治験 <input type="checkbox"/> 臨床研究 <input type="checkbox"/> 文献 <input type="checkbox"/> その他 (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及び安全性に対する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の要旨)	
要件 ウ	適用範囲に係る適用の妥当性	<input type="checkbox"/> 申請予定品目の物的な機能により、予定される使用目的又は効果について、新たな臨床試験を実施しなくとも、有効性及び安全性を評価することができる
要件 エ	製造販売後リスク管理	
	(関連学会との適正使用基準案等の検討の進捗状況等)	
備考	(注：希少疾病用医療機器等の指定、医療ニーズの高い医療機器としての選定を受けている場合はその旨記載。)	

※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。

(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 4

体外診断用医薬品条件付き承認制度該当性概要（類型 2）

申請者名		
名称	一般的名称 <sup>※1</sup>	
	販売名 <sup>※2</sup>	
予定される使用目的 又は効果		
要件 ア	対象疾患	<input type="checkbox"/> 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
	(対象疾患の概要等)	
要件 イ	既存の臨床データ	<input type="checkbox"/> 臨床性能試験 <input type="checkbox"/> 臨床研究 <input type="checkbox"/> 文献 <input type="checkbox"/> その他
	(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及び安全性に対する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の要旨)	
要件 ウ	適用範囲に係る適用の妥当性	<input type="checkbox"/> 申請予定品目の物的な機能により、予定される使用目的又は効果について、新たな臨床性能試験を実施しなくとも、有効性及び安全性を評価することができる
要件 エ	製造販売後リスク管理	
	(関連学会との適正使用基準案等の検討の進捗状況等)	
備考	(注：希少疾病用医薬品等の指定、医療ニーズの高い体外診断用医薬品としての選定を受けている場合はその旨記載。)	

※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。

(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。