

2023年9月15日、FDA CDRH(Center for Devices and Radiological Health：医療機器・放射線保健センター)は、市場にある医療機器の安全性と有効性を検証し、医療の不公平を改善することを目的とした Breakthrough Devices Program<sup>1)</sup>(画期的医療機器支援プログラム：筆者仮訳)の最終ガイダンス『Breakthrough Devices Program: Guidance for Industry and Food and Drug Administration Staff(画期的医療機器支援プログラム：業界および食品医薬品局スタッフ向けガイダンス)』<sup>2)</sup>を公表しました。更新された最終ガイダンスは、健康とヘルスケアにおける格差の削減を目的としています。この新しい文書は、2018年12月に発行された、『画期的医療機器支援プログラムに関するFDAの最終ガイダンス』<sup>3)</sup>を更新するものとなります。

この Breakthrough Devices Program(画期的医療機器支援プログラム)と言う指定制度は、生命を脅かす、あるいは不可逆的に衰弱させる疾患または状態に対して効果的な治療または診断を提供し得る特定の医療機器、もしくはコンビネーション医療機器を対象とした制度で、そうした機器の開発、評価、および審査を迅速化することにより、患者や医療従事者へそれらの機器へのタイムリーなアクセスを提供することを目的としています。FDAから対象として指定された機器は、PMA、510(k)、De Novo 申請と並行して、優先的な審査を受けることが可能となるというのが申請する企業側から見たメリットの1つとなります。

今回発表された最終ガイダンスでは、支援プログラム認定の基準や、認定を受けるためのプロセス等について示されており、また指定の際の考慮事項に関するセクションに、デバイスが「より効果的」な治療または診断を提供するかどうかを決定するための新しい基準<sup>4)</sup>が追加されています。「より効果的」という意味は、医療機器が臨床的に有意義な影響を与える可能性や、標準治療と比較したメリット／リスク、臨床的に意味のある影響を与える可能性など、その医療機器に関するあらゆる情報を包含しています。また、医療機器が“画期的”であるかを評価する際に、その機器へのアクセシビリティの向上(例えば、より多様な設定での使用を可能にする機能など)を考慮する可能性があると説明されています(表1)。

表1 画期的医療機器支援プログラム指定のための要件

Criteria (基準)	Description (内容)	筆者仮訳	Refer to Guidance (参照先)
First Criterion	The device provides for more effective treatment or diagnosis of life-threatening or irreversibly debilitating human disease or conditions	この医療機器は、重篤または不可逆的に衰弱する疾患及び状態に対して、より効果的な治療・診断を提供する	Section III. B.1
Second Criterion	The device also meets at least one of the following: a. Represents Breakthrough Technology b. No Approved or Cleared Alternatives Exist c. Offers Significant Advantages over Existing Approved or Cleared Alternatives d. Device Availability is in the Best Interest of Patients	この医療機器は次のうち少なくとも1つを満たす： a. 画期的なテクノロジーである b. 承認された代替品は存在しない c. 承認された代替品と比較して大幅に優位である d. この医療機器が入手可能となることは患者にとって最大の利益である	Section III. B.2.a Section III. B.2.b Section III. B.2.c Section III. B.2.d

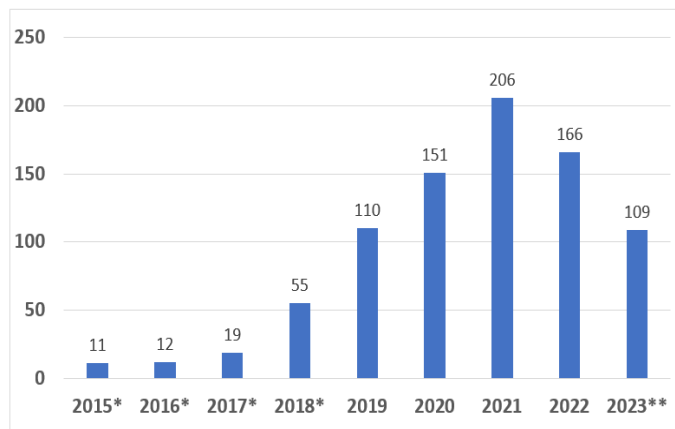
[出所] FDA Breakthrough Devices Program -Guidance for Industry and Food and Drug Administration Staff<sup>4)</sup>を元に筆者作成

また最終ガイダンスの中では、健康や医療格差によって不利益を被っている人に便益をもたらす機器に対して、指定が適用される可能性があるということも指摘されています。ここでいう格差と言うのは、経済的な格差のみならず、人種、民族、性別、年齢、障害などに拠り、治療のアウトカムが異なる可能性を指しており、FDAは、画期的な医療機器へのタイムリーなアクセスを促進することで健康や医療の格差解決の一助となると考えているということです。

さらに、FDA は、医療機器が「より効果的」な診断治療を提供するかどうかを判断する際に、「アクセシビリティ」を考慮する可能性がある(III. B. (3) d. Reducing Disparities in Health and Health Care)と述べている点も重要なポイントです。FDA は、アクセシビリティの欠如により、患者がより効果的な治療や診断を選択肢として得られない可能性があり、その対応のため、例えば、多様な人々がその性能を活用できるようにする、またはより多様な設定での使用を可能にするなど、アクセス可能性を高めるようにされた医療機器の特徴についても考慮に入れると述べています。

今年6月30日時点で、CDRH は831件、CBER(Center for Biological Evaluation and Research: 生物製剤評価センター)が8件の画期的医療機器支援プログラムの指定(Expedited Access Pathway (EAP) プログラムに基づいて指定されていた医療機器を含む\*)を行っており(グラフ1)、同日時点で合計81の販売承認(CDRHが77件、CBERが4件)が出ています。また、診療科ごとに設置された臨床評価パネルごとに見てみると、心血管系(179件)と神経系(154件)が突出し、整形外科(101件)が続いています(グラフ2)。

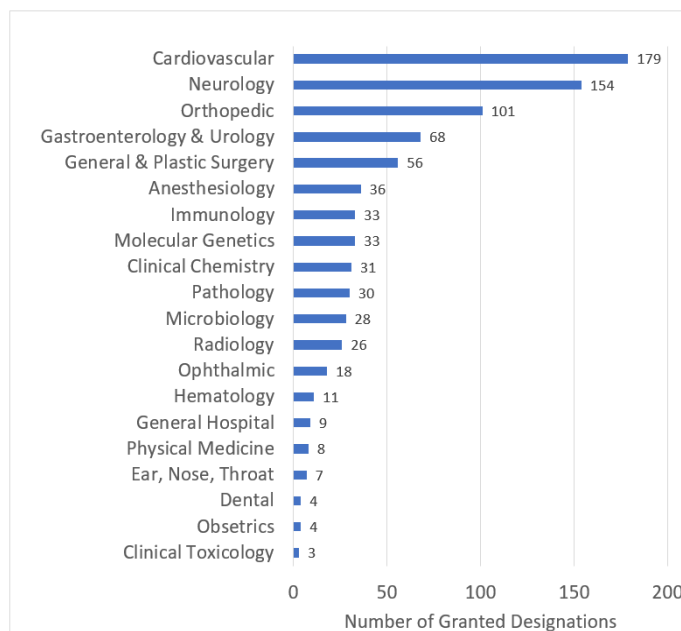
グラフ1 画期的医療機器支援プログラム指定数の推移



\*従前の Expedited Access Pathway (EAP) に基づいて指定されたものを含む。EAP は画期的医療機器支援プログラムに制度移行したが、一貫した基準に則っているため、FDA は EAP に基づき指定された医療機器についても画期的医療機器支援プログラムの一部であるとしている。

\*\* 2023 年分のデータは、6月30日分までを計上。 出所：FDA HP<sup>1)</sup>より引用)

グラフ2 臨床評価パネルごとに付与された画期的医療機器支援プログラムの指定数



(出所：FDA HP<sup>1)</sup>より引用)

先駆的で画期的な医療機器を開発している企業に於いては、マーケティング上の戦略はもとより、自社の機器がイノベーションの促進を支援し、画期的医療機器支援プログラムのような優先的な審査トラックに載せる各国薬事制度の指定対象となるかどうかを検討し、戦略的な上市スケジュールをひくことが定石であるはずで

他方で、第二期医療機器基本計画<sup>5)</sup>を引用するまでもなく、革新的な医療機器が世界に先駆けて日本に上市され、日本の国民に必要な医療機器へのアクセシビリティを確保していくことが重要なのは、言うまでもありません。

改めて日本でのイノベーションへの後押し状況を見てみると、米国の画期的医療機器支援プログラムと対比されることの多い「先駆的医薬品等指定制度(旧：先駆け審査指定制度。2019年の薬機法改正に伴い法制化)<sup>6)</sup>の下で、実際に指定を受け、その後製造販売承認の取得までこぎつけた品目はわずか2品目となっています(2023年10月31日時点)。

表2 医療機器の先駆け審査指定制度の対象品目一覧表と研究開発に適用されたAMED事業、製造販売承認の概要

指定回	指定日	名称	指定を受けた申請者	AMED事業	承認日	製造販売承認を受けた販売名	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた使用目的又は効果
第一回	2016/2/10	チタンブリッジ(甲狀軟骨形成術2型)	ノーベルファーマ株式会社	難治性疾患実用化研究事業	2017/12/15	チタンブリッジ	ノーベルファーマ株式会社	内転型痙攣性発声障害における症状の改善
第二回	2017/2/28	ホウ素中性子補足療法(BNCT)システム	住友重機械工業株式会社	医療分野研究成果展開事業	2019/3/11(頭頸部癌)	①BNCT治療システム NeuCure ②BNCT線量計算プログラム NeuCure ドーズエンジン(*1)	住友重機械工業株式会社	本システムは、切除不能な局所進行又は局所再発の頭頸部癌に対するホウ素中性子捕捉療法に使用することを目的とした中性子照射装置であり、以下の医薬品とあわせて使用する。(併用医薬品)一般名:ポロファン(10B) 販売名:ステボロン点滴 静注/バッグ 9000mg/300 mL
	2017/2/28	人工気管	第一医科株式会社	医工連携事業化推進事業	-	-	-	-
	2017/2/28	UT-Heart	株式会社UT-Heart 研究所	NA	-	-	-	-
第三回	2018/3/27	CliniMACS CD34 System	ミルテニーバイオテック株式会社	再生医療実用化研究事業	-	-	-	-
	2018/3/27	心・血管修復パッチ OFT-G1(仮称)	帝人メディカルテクノロジー株式会社(*2)	医工連携事業化推進事業	-	-	-	-
第四回	2019/4/8	リン酸化プルランバイオアドヒーズ(仮称)	日本MDBソリューションズ株式会社(*3)	①医療機器開発推進研究事業 ②研究成果最適展開支援プログラム(AMED・A-STEP) 起業挑戦タイプ 医療分野研究成果展開事業 ③医療機器開発推進研究事業	-	-	-	-
	2019/4/8	下肢動脈バイパス用人工血管作製用鋳型(仮称)	バイオチューブ株式会社	①医療分野研究成果展開事業/研究成果最適展開支援プログラム(AMED・A-STEP) ハイリスク挑戦タイプ ②橋渡し研究戦略推進プログラム ③橋渡し研究プログラム	-	-	-	-
	2019/4/8	マイクロ波マンモグラフィ(仮称)	株式会社 Integral Geometry Science	医工連携イノベーション推進事業	-	-	-	-
第五回	2020/6/19	心臓形状矯正ネット(仮称)	株式会社iCorNet 研究所	①橋渡し研究加速ネットワークプログラム ②医療分野研究成果展開事業 ③橋渡し研究プログラム	-	-	-	-
	2020/6/19	多孔化カバードスタント(仮称)	株式会社グッドマン	医工連携イノベーション推進事業	-	-	-	-
	2020/6/19	造血器腫瘍遺伝子パネル検査(仮称)	大塚製薬株式会社	NA	-	-	-	-
(R4先駆機) 第1号	2022/9/30	LIPUS-Brain経頭蓋低出力パルス波超音波治療装置(仮称)	サウンドウェーブイノベーション株式会社	革新的医療シーズ実用化研究事業	-	-	-	-

(\*1) 1品目として指定されたが、2品目に分けて申請・承認された。悪性神経腫瘍を適応疾患とする開発は、継続中。

(\*2) 2021/9/22付で帝人株式会社より引継ぎ

(\*3) 2020/11/4付でBioARC株式会社より引継ぎ

(出所)PMDA<sup>7)</sup>、AMED<sup>8)</sup> HP より筆者作成

先駆的医薬品等審査指定制度とは、画期的な治療法・診断法により、生命に重大な影響がある重篤な疾患等に対して、極めて高い有効性が期待される医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品を優先的取り扱いの対象として指定する制度です。対象品目として指定された製品は、優先的にPMDAへの相談や承認審査を受けることが可能となるもので、イノベティブな医療機器がいち早く医療現場、ひいては患者に届くようにするための制度として大いに期待を集めました。

しかしながら、表2に示したように、先駆け指定を受けた医療機器のうち、製造販売承認取得にまで至った品目が極めて少ないというのが現実です。先駆け指定を受けた医療機器の大半には、AMEDの各種予算事業が研究開発段階から伴走支援を得ています。

AMED予算事業以外にも、国として医療機器のイノベーションの推進に対しては、様々な政策メニューやその実施のための予算が投下されています。イノベティブな医療機器が実際の医療現場や患者のところに届けられるまでの道のりは容易ではなく、一朝一夕にはいきません。第一には、各企業がイノベーションを支える制度や施策を熟知し、どう活用すべきかを戦略的に検討・活用することが重要です。と同時に、我々業界団体も、政府も、制度や施策の1つ1つについて、どれほどの効果・成果があったのかを継続的にきちんと検証し、必要があれば改善し、制度や施策の質を維持するよう提言し、議論していくことが、真にイノベーションの伴走支援と言えるのではないかと考えます。

◇出典(URLは2023年11月7日時点)

- 1) Breakthrough Devices Program, FDA  
<https://www.fda.gov/medical-devices/how-study-and-market-your-device/breakthrough-devices-program>
- 2) Breakthrough Devices Program; Guidance for Industry and Food and Drug Administration Staff SEPTEMBER 2023, FDA  
<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/breakthrough-devices-program>
- 3) Breakthrough Devices Program; Guidance for Industry and Food and Drug Administration Staff; Availability, Federal Register  
<https://www.federalregister.gov/documents/2018/12/19/2018-27433/breakthrough-devices-program-guidance-for-industry-and-food-and-drug-administration-staff>
- 4) Designation Criteria  
<https://www.fda.gov/medical-devices/how-study-and-market-your-device/breakthrough-devices-program#s3>
- 5) 「国民が受ける医療の質の向上のための医療機器の研究開発及び普及の促進に関する基本計画」の変更について、厚生労働省  
[https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage\\_25953.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_25953.html)
- 6) 先駆的医薬品等指定制度(先駆け審査指定制度), PMDA  
<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/0002.html>
- 7) 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, PMDA  
<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/0003.html>
- 8) 先駆的医薬品等指定制度の指定を受けたAMED支援の研究成果について, AMED  
[https://www.amed.go.jp/seika/senkuteki\\_index.html](https://www.amed.go.jp/seika/senkuteki_index.html)

(医療機器政策調査研究所 戸部 真理子 記)

医療機器政策調査研究所からのお知らせ [@JFMDA\\_MDPRO](https://twitter.com/JFMDA_MDPRO)  
X(旧 Twitter)で医療機器産業関連のニュースを配信中。医機連トップページからフォローできます。