



Newsletter

ATSUMI & SAKAI
www.aplawjapan.com

2024 年 12 月 27 日

No. A&S_033

日米を中心とした医薬品・医療機器規制の調和と審査迅速化の動き

渥美坂井法律事務所・外国法共同事業

執筆者：弁護士 [木村 勇人](#)／弁護士 [新舎 千恵](#)／弁護士 [乾 直行](#)／弁護士 [藤井 貴大](#)

Smith, Gambrell & Russell, LLP（スミス ガンブレレル ラッセル（SGR）法律事務所）

執筆者：ジョージア州弁護士 [小島 清顕](#)／ニューヨーク州弁護士 [岡本 駿之](#)

概要

医薬品・医療機器規制の国際調和の動きについて概要をまとめるとともに、日米の審査の迅速化の概要を網羅的にまとめました。

I はじめに

医薬品・医療機器開発は知識集約型産業であり、高度な専門的知識や技能が必要です。そのため、特に新たな医薬品・医療機器の開発は、先進諸国に集中しています（2022 年の医薬品の世界売上高上位 100 品目について、世界売上高に占める国籍別割合をみると、アメリカが 52 品目で 52%を占め、次いでドイツが 8 品目で 16%、デンマークが 8 品目で 9%、スイスが 9 品目で 8%、イギリスが 10 品目で 6%、日本が 7 品目で 5%と続いています¹。2019 年における医療機器の国別売上高をみると、アメリカが 43.34%、日本が 6.98%、ドイツが 6.94%、中国が 6.85%と続きます²。）。

医薬品・医療機器は、人間の生命・健康に関連する商品であり、その品質、有効性、安全性が政府によって評価・承認されない限り市場に流通しない特殊な商品です。このことから、医薬品・医療機

¹ 医薬産業政策研究所「世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍」＜<https://www.jpma.or.jp/opir/news/071/06.html>＞

² 経済産業省商務・サービスグループ 医療・福祉機器産業室「医療機器産業を取り巻く課題について」＜https://www.meti.go.jp/shingikai/mono_info_service/medical_device/pdf/001_06_00.pdf＞。なお、医療機器産業ビジョン検討会「医療機器産業ビジョン 2024」＜https://www.meti.go.jp/policy/mono_info_service/healthcare/iryou/downloadfiles/pdf/iryoukikisan_gyovuvision2024/iryoukikisan_gyovuvision2024.pdf＞によると、医療機器産業の世界市場は 2018 年から 2027 年の間に年平均 5.9%の拡大が見込まれ、地域別ではアメリカが 6.4%、欧州が 5.1%、日本を除くアジア等その他の地域が 6.3%の伸びが見込まれており、特に新興国・途上国での伸びが期待されるものの、いまだ欧米についても引き続きの成長が期待されています。

器の販売開始前に政府による評価・承認を行うため、日米欧ではそれぞれが独自に法制度を整備してきました。しかし、品質、有効性、安全性を評価するという基本は共通ですが、承認申請の際の詳細な技術的要件は国や地域により異なっていました。このため、企業が医薬品・医療機器を国際的に展開しようとすれば、各国・各地域の規制要件をそれぞれ個別に満たす必要があり、時間とコストのかかる重複した試験を数多く行わなければなりません。こうした状況を打開し、国境を超えて、必要な患者に安全で有効な新しい医薬品・医療機器をより早く提供するために求められたのが、各国・各地域の承認審査の基準等の合理化・標準化です。現時点で、審査・承認基準等の「共通化」までは達成されていませんが、将来的な方向性としては、可能性が残されているといえます。

II 国際調和の現況

以下、国際調和に関する具体的な制度をご紹介します。

医薬品については 1990 年 4 月、日米欧の各医薬品規制当局と業界団体により、「日米 EU 医薬品規制調和国際会議（International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use: ICH）」が発足しました³。ICH では、医薬品の品質・有効性・安全性といった分野ごとに専門家作業部会の協議を経て、ガイドラインの作成が進められています⁴。

医療機器についても、1992 年に規制慣行の調和を目指すという構想が考案され、1993 年には「GHTF（Global Harmonization Task Force）」が設立され、各国の規制の整合化が進められました。GHTF の強力な基礎作業を基にして 2011 年に設立されたのが、「国際医療機器規制当局フォーラム（International Medical Device Regulators Forum: IMDRF）」です⁵。

IMDRF は、世界中の医療機器規制当局者が、国際的な医療機器規制の調和（Harmonization）と統合（Convergence）を加速させることを目的として集まった団体です⁶。IMDRF では現在、有害事象の用語、人工知能／機械学習対応、体外診断用医療機器の臨床的エビデンス、適切な規制審査の実践、パーソナライズ医療機器、品質管理システム、規制対象製品の提出、プログラム医療機器という 8 つの分野の作業部会でガイダンス等の検討が行われています⁷。IMDRF が 2012 年に開始させたプログラムに、「医療機器単一監査プログラム（Medical Device Single Audit Program: MDSAP）」があります⁸。これは、MDSAP 参加国が QMS 調査機関（MDSAP 認証機関）を共同で評価・認定し、その質を一定程度に担保するとともに、MDSAP 認証機関が実施した QMS 調査結果（MDSAP 調査報告書）の各国での活用を目指すものです。日本は 2022 年 4 月 1 日から本格受入れを開始しています⁹。

ほかには、「HBD（Harmonization By Doing）」という活動が 2003 年から開始されています。この活動は、日米両国の官・学・産の共同で、心血管系疾患を対象とする医療機器の承認審査の日米の規制の整合化を図ることを目的としています¹⁰。また、技術や製品の国際標準化を進める ISO/IE

³ ICH ウェブサイト<<https://www.ich.org/>>

⁴ 2024 年 9 月 13 日現在のガイドラインの進捗状況については PMDA ウェブサイト「ICH トピック&ガイドライン 進捗状況」<<https://www.pmda.go.jp/files/000270605.pdf>>を参照してください。

⁵ IMDRF の設立により、GHTF の使命は IMDRF に引き継がれ、2012 年に GHTF は発展的に解散しました。

⁶ IMDRF ウェブサイト<<https://www.imdrf.org/ghtf>>

⁷ IMDRF ウェブサイト<<https://www.imdrf.org/working-groups>>。GHTF 及び IMDRF が作成した文書は IMDRF ウェブサイト<<https://www.imdrf.org/documents>>を参照してください。

⁸ FDA ウェブサイト<<https://www.fda.gov/medical-devices/cdrh-international-programs/medical-device-single-audit-program-mdsap>>

⁹ 日本の MDSAP の受入れに関しては PMDA ウェブサイト「MDSAP に関する業務」<<https://www.pmda.go.jp/review-services/reexamine-reevaluate/registered-cb/0003.html>>を参照してください。

¹⁰ HBD ウェブサイト<<https://www.jfmda.gr.jp/hbd/information/index.html>>

○において、各国は、自国発の評価法を提案し、海外医療機器規制への取込みを図り、自国の医療機器の海外展開を促進する環境整備に取り組んでいます¹¹。

以上のように、日米欧を中心に、規制の調和を図ることで、新たな医薬品・医療機器への迅速なアクセスを確保しようという動きがみられます。

III 日米における医薬品・医療機器審査の迅速化プロセス

また以上と並行して、各国の当局も、迅速な医薬品・医療機器の承認に向けた審査制度の整備を独自に進めてきました。

まず、日本をみると、1993年の薬事法改正により、「優先審査制度」が設けられました。これは、希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器その他の医療上特にその必要性が高いと認められる医薬品等について、承認に係る審査を優先して行うことができる制度です。また、2015年からは「先駆け審査指定制度」が試行的に開始されました。こちらは、世界に先駆け、革新的医薬品・医療機器を日本で早期に実用化すべく、その開発を促進するための制度で、例えば医薬品では通常の半分の期間である6ヶ月で承認を目指すものです。さらに、2017年からは2つの「条件付き早期承認制度」が運用開始されました。1つ目の「医薬品の条件付き早期承認制度」は、適応疾患が重篤かつ医療上の有用性が高い医薬品について、検証的臨床試験の実施が困難あるいは実施に相当の期間がかかり、かつ検証的臨床試験以外の臨床試験等の成績により一定の有効性及び安全性が示されると判断される場合には、製造販売後に当該医薬品の有効性・安全性の再確認等のための必要な調査等の実施を条件として承認申請を可能とする制度です¹²。2つ目の「革新的医療機器条件付早期承認制度」は、生命に重大な影響があり、既存の治療法に有効なものがない疾患を対象に、一定程度の臨床データが入手可能な医療機器で、新たな治験の実施が困難なものについて、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適切に行うことを条件として、限られた臨床データに基づく承認申請を可能とする制度です¹³。

このほかにも、2017年には、「医療機器の『臨床試験の試験成績に関する資料』の提出が必要な範囲等に係る取扱い（市販前・市販後を通じた取組みを踏まえた対応）について」という通知（通称：リバランス通知）¹⁴が発出されています。この通知では、生体の生理的な機能を測定する機器のうちリスクの低いものについて、市販前から市販後まで一貫した安全性及び有効性の確保策を実施することにより、市販前の新たな治験実施の有無によらず、これまでの臨床実績や機械的な性能に関する試験成績等により示すことのできる使用目的又は効果の範囲に限定して一段階目の承認申請を行い、承認後に臨床的エビデンスが確立した段階で必要に応じて一部変更申請（二段階目の承認申請）などを行っていく、という開発戦略が示されました。

こうした状況の中で、2019年には「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）が改正されました。これにより、①2015年から運用されていた「先駆け審査指定制度」が、「先駆的医薬品指定制度」及び「先駆的医療機器指定制度」として法制

¹¹ 医療機器を定義するものとして、ISO 13485（医療機器・体外診断用医薬品）、ISO 14971（医療機器におけるリスクマネジメントの国際規格）があります。

¹² 厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課「医薬品の条件付き早期承認制度の実施について」（平成29年10月10日薬生薬審発1020第1号）

¹³ 厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課「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日薬生薬審発第0731第1号）

¹⁴ 厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課「医療機器の『臨床試験の試験成績に関する資料』の提出が必要な範囲等に係る取扱い（市販前・市販後を通じた取組みを踏まえた対応）について」（平成29年11月17日薬生機審発1117第1号・薬生安発1117第1号）（<https://www.pmda.go.jp/files/000221183.pdf>）

化され¹⁵、②2017年に運用開始されていた「条件付き早期承認制度」が法制化されるとともに、新たに再生医療等製品を対象とする「条件および期限付き承認制度」も法制化されました。また、同改正により、③医療上のニーズが著しく充足されておらず、医療上特に必要性が高い医薬品、医療機器等の研究開発の促進を図るため、「特定用途医薬品指定制度」及び「特定用途医療機器指定制度」が創設されるほか¹⁶、④AIを活用した医療機器のように、市販後に恒常的に性能等が変化する医療機器等について、審査の過程でその変更計画自体を確認しておくことで、計画された範囲内で迅速な承認事項の一部変更を可能とする「医療機器の特性に応じた変更計画の事前確認制度（IDATEN（Improvement Design within Approval for Timely Evaluation and Notice））」も創設されました¹⁷（なお、IDATENの質疑応答集（Q&A）は規制改革実施計画を受け、2023年に改訂されています¹⁸）。

また、緊急時に健康被害の拡大を防止するために他に代替品がない場合に、外国で流通している医薬品等に承認を与える制度として、「特例承認制度」がありますが、新型コロナウイルス感染症への対応、さらに迅速に承認を行うことができる制度として、すべての医薬品等を対象に、緊急時に健康被害の拡大を防止するために他に代替品がない場合には、有効性が推定できれば承認可能とする「緊急承認制度」も創設されました¹⁹。

承認審査以外にも、治験審査委員会による承認について迅速審査で行うことができる場合²⁰や、臨床研究法に基づく認定臨床研究審査委員会の審査につき簡便な審査が認められる場合²¹もあります。

ここまで審査制度に焦点を当てて見てきましたが、審査制度以外にも近年、医療機器の開発・承認審査の迅速化をはかる動きがあります。例えば、医療ニーズが高く、実用可能性のある次世代医療機器について、審査時に用いる技術評価指標等をあらかじめ作成し公表することにより、製品開発の効率化及び承認審査の迅速化を図るため、次世代医療機器評価指標を公表しています²²。また、2020年には、「プログラム医療機器実用化促進パッケージ戦略（DX（Digital Transformation） Action Strategies in Healthcare for SaMD（Software as a Medical Device）：DASH for SaMD）」がまとめられました。これは、最先端のプログラム医療機器の早期実用化を促進するため、当該機器の萌芽的シーズの早期把握、審査の考え方の提示、相談窓口の一元化、そしてプログラム医療機器の特性を踏まえた審査制度・体制の確立をはかるものです²³。そして、2023年には、プログラム医療機器のさらなる実用化促進を目指して、「プログラム医療機器実用化促進パッケージ戦略2（DASH for SaMD2）」がまとめられています²⁴。この新たな戦略には、プログラム医療機器審査部拡充や、SaMD

¹⁵ 厚生労働省ウェブサイト「先駆的医薬品指定制度について」＜https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/iyakuhin/tp150514-01_00001.html＞、厚生労働省ウェブサイト「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>＞

¹⁶ 厚生労働省ウェブサイト「特定用途医薬品の指定制度について」＜https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_12717.html＞、厚生労働省ウェブサイト「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＞

¹⁷ 厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課「医療機器の変更計画の確認申請の取扱いについて」令和2年8月31日薬生機審発0831第14号（<https://www.mhlw.go.jp/content/11120000/000665757.pdf>）

¹⁸ 厚生労働省医薬局医療機器審査管理課「医療機器、人工知能関連技術を活用した医療機器、プログラム医療機器の変更計画の確認申請に関する質疑応答集（Q&A）について」（事務連絡令和5年12月22日）

¹⁹ 厚生労働省ウェブサイト「医薬品等の緊急承認制度について」＜https://www.mhlw.go.jp/stf/emergencyapproval_faq.html＞

²⁰ GCPガイドンス第28条第2項2（3）④

²¹ 厚生労働省医政局研究開発振興課「臨床研究法の施行等に関するQ&Aについて（その5）」平成30年10月16日事務連絡、問70

²² 厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課「次世代医療機器評価指標の公表について」令和5年3月31日薬生機審発0331第5号

²³ 厚生労働省医薬・生活衛生局「プログラム等の最先端医療機器の審査抜本改革」＜<https://www.mhlw.go.jp/content/11124500/000761867.pdf>＞

²⁴ 厚生労働省医薬局医療機器審査管理課ほか「プログラム医療機器実用化促進パッケージ戦略2—SaMDの更なる実用化促進と国際展開の推進に向けて—」＜<https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/001142990.pdf>＞

特化相談枠の新設等といった従来の戦略を拡充・継続するものに加えて、二段階承認の考え方の整理及び公表や、一般向け **SaMD** の承認審査・販売方法の指針の策定等といった新たな施策も盛り込まれています。現在、厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長「プログラム医療機器の特性を踏まえた二段階承認に係る取扱いについて」²⁵に基づき、プログラム医療機器に二段階承認が導入されています。「プログラム医療機器実用化促進パッケージ戦略 2 (DASH for SaMD2)」では、薬事部局と保険部局が連携して製品化までの多様な道筋を明確化し、薬事承認・保険適用までの予見可能性の確保につなげることで、日本発プログラム医療機器の研究開発の加速と国際市場への展開を推進することが期待されます。

次に、米国をみると²⁶、まず 1992 年に、有効性または安全性に大幅な改善をもたらすような臨床成績が得られた新薬について優先して審査する制度として、「優先審査制度 (Priority Review)」が始まりました²⁷。同年はほかにも、重篤な疾患を対象に、**Unmet Needs** (満たされていない医療ニーズ) に応えることが期待される新薬を、臨床ベネフィットが十分証明されていない段階でも審査・承認する制度として、「迅速承認制度 (Accelerated Approval)」も開始しています²⁸。その後 1997 年には、重篤な疾患を対象に、**Unmet Needs** を満たす、あるいは既存薬がない、既存治療を上回る可能性がある新薬を、開発から審査に至るまで **FDA** が支援する制度として、「ファストトラック指定 (Fast Track)」が導入され²⁹、2012 年からは、ファストトラック指定よりも本質的な革新をもたらすような画期的新薬の可能性のあるものを、経験豊かな審査担当者が直接携わり支援する制度として、「画期的治療薬制度 (Breakthrough Therapy)」も開始されています³⁰。このほか、米国で患者数が原則 20 万人未満の疾患に対して開発される新薬を、税制優遇、助成金、申請手数料免除等により支援する制度として、「希少疾病用医薬品指定 (Designating an Orphan Product)」もあります (制度自体は 1983 年に開始)³¹。

医療機器に関しても、生命を脅かす疾患や、身体の衰弱が避けられないような疾患に対するより効果的な治療や診断を提供する新たな医療機器について、開発、評価、審査を迅速化するための制度として、「ブレイクスルー・デバイス制度 (Breakthrough Device Program)」³²や、米国で患者数が年間 8000 人以下の重篤な疾患で、かつ医療上の必要性が高い医療機器について、承認にあたり有効性を科学的に証明した臨床試験の結果までは要求されないとする制度として、「人道的に使用される医療機器制度 (Humanitarian Use Device (HUD) Designation Program)」³³が導入されています。

なお、プログラム医療機器のように機能が都度更新されるソフトウェア製品は、有効性や安全性の審査が困難です。このため、個々の製品ではなく、それを開発する企業自体の体制や透明性、リス

²⁵ 令和 5 年 11 月 16 日医薬機審発 1116 第 2 号<

https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc8055&dataType=1&pageNo=1>。なお、二段階の承認はあくまで選択肢の 1 つにすぎず、これを採用せずに薬事承認を取得することは可能です。

²⁶ 以下は、吉田昌生ほか「日米欧の新薬承認状況と審査期間の比較—2019 年承認実績を中心に—」<<https://www.jpma.or.jp/opir/news/061/10.html>>を参考に記述しました。

²⁷ **FDA** ウェブサイト<<https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/priority-review>>

²⁸ **FDA** ウェブサイト<<https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/accelerated-approval>>

²⁹ **FDA** ウェブサイト<<https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/fast-track>>

³⁰ **FDA** ウェブサイト<<https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/breakthrough-therapy>>

³¹ **FDA** ウェブサイト<<https://www.fda.gov/industry/medical-products-rare-diseases-and-conditions/designating-orphan-product-drugs-and-biological-products>>

³² **FDA** ウェブサイト<<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/breakthrough-devices-program>>

³³ **FDA** ウェブサイト<<https://www.fda.gov/industry/medical-products-rare-diseases-and-conditions/humanitarian-use-device-hud-designation-program>>

ク管理を事前に審査することが有益です。このような観点から 2017 年から 2022 年にかけて試行されたのが、「デジタルヘルスソフトウェア事前認証プログラム (Digital Health Software Precertification (Pre-Cert) Pilot Program)」です³⁴。FDA は今後、この試行で得られた結果をもとに法改正を含む新たな枠組みを検討するとのことです。

また、承認制度ではありませんが、緊急時に未承認薬等の使用や、既承認薬の適応拡大を許可する制度として、「緊急使用許可 (Emergency Use Authorization)」があります³⁵。この制度は新型コロナウイルス感染症に対するワクチンにも適用されました。

IV おわりに

近年では医薬品・医療機器開発がグローバルで行われています。さらに新しい技術も次から次へと開発されてきています。このような中、日米欧を中心に、新しい医薬品・医療機器をいち早く患者さんに届けられるよう、規制の国際調和や審査の迅速化等の様々な取り組みが行われてきています。こうした動向を把握しておくことは、医薬品・医療機器開発を早く進める上で重要です。本稿の紹介がその一助となれば幸いです。

³⁴ FDA ウェブサイト<<https://www.fda.gov/medical-devices/digital-health-center-excellence/digital-health-software-precertification-pre-cert-pilot-program>>

³⁵ FDA ウェブサイト<<https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/mcm-legal-regulatory-and-policy-framework/emergency-use-authorization>>

執筆者

渥美坂井法律事務所・外国法共同事業

弁護士 [木村 勇人](#) (パートナー、第二東京弁護士会)

Email: hayato.kimura@apl原因.jp

弁護士 [新舎 千恵](#) (パートナー、第二東京弁護士会)

Email: chie.shinsha@apl原因.jp

弁護士 [乾 直行](#) (アソシエイト、第二東京弁護士会)

Email: naoyuki.inui@apl原因.jp

弁護士 [藤井 貴大](#) (アソシエイト、第二東京弁護士会)

Email: takahiro.fujii@apl原因.jp

Smith, Gambrell & Russell, LLP (スミス ガンブレル ラッセル (SGR) 法律事務所)

ジョージア州弁護士 [小島 清顕](#) (パートナー)

Email: kkojima@sgrlaw.com

ニューヨーク州弁護士 [岡本 駿之](#) (カウンセラー)

Email: sokamoto@sgrlaw.com

お問い合わせ先

本ニューズレターに関する一般的なお問い合わせは、下記までご連絡ください。

渥美坂井法律事務所・外国法共同事業

弁護士 [木村 勇人](#) (パートナー、第二東京弁護士会)

Email: hayato.kimura@apl原因.jp

弁護士 [新舎 千恵](#) (パートナー、第二東京弁護士会)

Email: chie.shinsha@apl原因.jp

弁護士 [乾 直行](#) (アソシエイト、第二東京弁護士会)

Email: naoyuki.inui@apl原因.jp

弁護士 [藤井 貴大](#) (アソシエイト、第二東京弁護士会)

Email: takahiro.fujii@apl原因.jp

Smith, Gambrell & Russell, LLP (スミス ガンブレル ラッセル (SGR) 法律事務所)

ジョージア州弁護士 [小島 清顕](#) (パートナー)

Email: kkojima@sgrlaw.com

ニューヨーク州弁護士 [岡本 駿之](#) (カウンセラー)

Email: sokamoto@sgrlaw.com

当事務所のニューズレターをご希望の方は[ニューズレター配信申込フォーム](#)よりお手続きをお願いいたします。

また、バックナンバーは[こちら](#)よりご覧いただけます。

このニューズレターは、現行の又は予想される規制を網羅的に解説したものではなく、著者が重要だと考える部分に限って、その概要を記載したものです。このニューズレターに記載されている意見は著者個人の意見であり、渥美坂井法律事務所・外国法共同事業（「渥美坂井」）の見解を示すものではありません。著者は明白な誤りを避けるよう合理的な努力は行いましたが、著者も渥美坂井もこのニューズレターの正確性を保証するものではありません。著者も渥美坂井も読者がこのニューズレターに依拠することによって生じる損害を賠償する責任を負いません。取引を行う場合には、このニューズレターに依拠せずに渥美坂井の弁護士にご相談ください。