

医療機器「チタンブリッジ（甲状軟骨形成術Ⅱ型）」が、厚生労働省より先駆け審査の対象品目に指定されました

本日、厚生労働省より「先駆け審査指定制度」に基づく医療機器及び再生医療等製品の対象品目として5品目が発表され、「チタンブリッジ（甲状軟骨形成術Ⅱ型）」(NPC-17) が指定されました。

「チタンブリッジ」を用いた甲状軟骨形成術Ⅱ型治療は、内転型痙攣性発声障害に対する症状根治治療として、京都大学名誉教授 一色信彦先生が、2001年世界に先駆けて開発された日本独自の医療技術です。この甲状軟骨形成術Ⅱ型を含め長年の国内外における多年の功績により、一色先生は2011年に英国王立外科医協会 Royal College of Surgeons of England (RCS) から、“一色賞 The Isshiki Award”を授与されておられます。

なお手術に用いられる治具の「チタンブリッジ」は、チタン加工で優れた技術を有する若吉製作所（福井県鯖江市）により製造されます。

内転型痙攣性発声障害は、神経難病疾患である局所性ジストニアの一種で、若年女性に多い、原因不明の難治性疾患です。社会生活が困難な状況が継続することにより、うつや引きこもり、自殺企図にまで発展する場合があります。これまで国内外とも、本疾患に対して根治治療が無く、本治療技術の早期実用化により痙攣性発声障害に苦しむ患者様にとって大きな福音となるものと期待されています。

【先駆け審査指定制度】

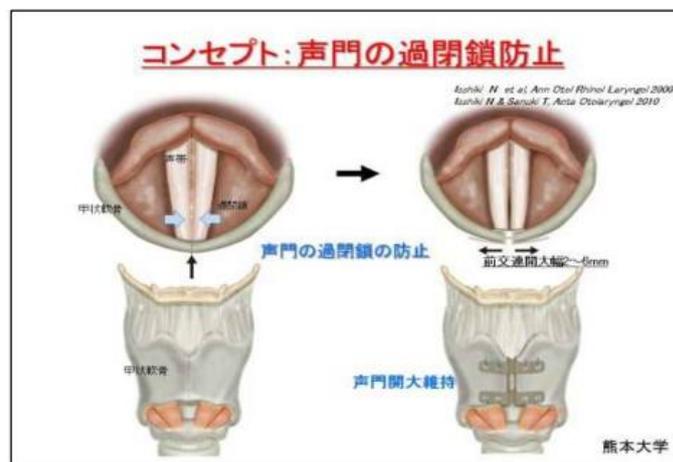
わが国において世界で最先端の治療薬を最も早く提供することを目指し、①新作用機序の画期性、②対象疾患の重篤性、③極めて高い有効性、④日本において世界に先駆けて早期開発・申請する意思など一定の要件を満たす革新的な医薬品・医療機器・再生医療品等について、開発の比較的早期の段階から先駆け審査の対象品目に指定するものです。

指定された品目は、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ものです。

審査期間についても、迅速審査の対象とすることで、通常の新医療機器の場合12ヵ月かかるところを半分の6ヵ月に短縮することを目指しています。

詳細は厚生労働省 WEB ページ [「先駆け審査指定制度について」](#) をご覧ください。

以上



チタンブリッジ



薬生機発 0210 第 1 号
平成 28 年 2 月 10 日

ノーベルファーマ株式会社 代表取締役社長 殿

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)



医療機器に係る先駆け審査指定制度対象品目の指定結果について

「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の試行的実施について」（平成 27 年 7 月 1 日付け薬食機参発 0701 第 1 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）に基づき、平成 27 年 12 月に申請のあった下記の品目については、同通知 2. 指定の要件に照らして特に優れていると認められたことから、本日付けで先駆け審査指定制度の対象品目に指定します。

記

指定番号	医療機器の名称	予定される 使用目的又は効果
先駆け審査（27 機）第 1 号	チタンブリッジ（甲 状軟骨形成術 2 型）	内転型痙攣性発声障害の声の詰まりや途切れなどの症状は、発声時に声帯が過閉鎖することによると考えられている。 チタンブリッジが用いられる甲状軟骨形成術 2 型は、喉頭枠組み軟骨を正中で左右に開大することにより前連合付近、声帯前方に声門間隙を作成し過閉鎖を防止する手術法である。

報道関係者 各位

平成 28 年 2 月 10 日

【照会先】

医薬・生活衛生局

医療機器・再生医療等製品担当参事官室

参事官 磯部 総一郎（内線 2911）

係長 荒川 裕司（内線 2916）

（代表電話） 03(5253)1111

（直通電話） 03(3595)2419

「先駆け審査指定制度」に基づき、医療機器及び再生医療等製品を指定

～日本発の画期的なシーズの開発を促進～

厚生労働省は、昨年 12 月までに指定申請があった医療機器 6 品目、再生医療等製品 13 品目、体外診断用医薬品 2 品目について評価を行い、本日付けで別紙の 5 品目を「先駆け審査指定制度」の対象品目として指定しました。

「先駆け審査指定制度*」とは、平成 26 年 6 月に厚生労働省が取りまとめた「先駆けパッケージ戦略」の重点施策や、「日本再興戦略」改訂 2014 を踏まえて導入したものであり、この制度は、対象疾患の重篤性など、一定の要件を満たす画期的な医療機器、再生医療等製品について、開発段階から対象品目に指定し、承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで、承認審査の期間を短縮することを目的としたものです。

通常の新医療機器の場合、12 か月を目標に審査を行っているところ、この制度を活用することで、審査期間の目標をこれまでの半分の 6 か月に短縮することが可能になります。

今回の指定品目には、日本の大学発のシーズや、国内中小企業・ベンチャー企業が開発に携わるものもあり、日本における早期実用化を支援することで成長戦略に掲げるイノベーションの促進にもつながることが期待できます。

[参考] 先駆け審査指定制度について

* 指定制度の内容は、①優先相談、②事前評価の充実、③優先審査の 3 つの取組で期間の短縮を実施。これらの取組に加え、④審査パートナー制度（独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）が実施）、⑤製造販売後の安全対策充実の 2 つの取組で、開発の促進を支援。

医療機器の指定品目

	品目名	品目概要	指定理由
1	チタンブリッジ（甲状軟骨形成術2型）	発声時に声帯が過剰に閉鎖することで声に障害の出る内転型痙攣性発声障害において、その閉鎖を防止する手術法（甲状軟骨形成術2型）で用いられるチタン製の蝶番型プレートであり、複数の国内大学と共同でノーベルファーマ（株）が開発を行っている。	<p>① 既存の治療法とは異なる新規原理に基づく治療法である。</p> <p>② 内転型痙攣性発声障害は、若年女性に多い、原因不明の難治性疾患であり、社会生活が困難な状況が継続することにより、うつや引きこもり、自殺企図にまで発展する場合がある。</p> <p>③ 臨床研究により、高い有効性を示唆する結果（VHI-10 スコア（声の障害の程度）の改善）が得られている。</p> <p>④ 医師主導で国内臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。また、優れた技術を有する国内地方の企業により製造されるものである。</p>
2	癒着防止吸収性バリア	トレハロースを腹腔内全体に注入し、腹腔内の細胞膜に結合（水素結合）させることで、臓器や腹膜の術後癒着を低減させるものであり、東京大学・大学院工学系研究科バイオエンジニアリング専攻・鄭 雄一教授らのシーズを元に、(株)大塚製薬工場が開発を行っている。	<p>① 切開創部以外の腹腔内全体の癒着を軽減させる製品は存在しておらず、本製品は新規性を有する。</p> <p>② 術後癒着に伴って起こる主な疾患である癒着性腸閉塞は、重症化した場合に生命に重大な影響を及ぼす可能性がある。</p> <p>③ 探索的臨床試験により、癒着軽減効果が示されており、癒着性腸閉塞の発生を大幅に下げることが見込まれる。</p> <p>④ 国内で検証的臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>

再生医療等製品の指定品目

	品目名	品目概要	指定理由
1	STR01（自家骨髄間葉系幹細胞）	脊髄損傷に伴う神経症候や機能障害の改善を目的とする、患者自身の骨髄から採取した骨髄液から分離、培養した間葉系幹細胞であり、札幌医科大学・医学部附属フロンティア医学研究所・神経再生医療学部門・本望 修教授のシーズを元に、本大学と共同でニプロ（株）が開発を行っている。	<ul style="list-style-type: none"> ① 間葉系幹細胞を脊髄損傷の治療に用いた製品はなく、本製品は新規性を有する。 ② 脊髄損傷は、下半身麻痺や四肢麻痺を引き起こし、社会生活が困難な状況が継続する重篤な疾患である。 ③ 探索的臨床試験により、極めて高い有効性を示唆する結果（AIS（American Spinal Injury Association Impairment Scale）の改善）が得られている。 ④ 札幌医科大の本望教授、山下教授中心に医師主導で国内臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。
2	G47Δ	悪性脳腫瘍（神経膠腫）への適応を目的とした、制限増殖型遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス1型であり、東京大学・医科学研究所・先端がん治療分野・藤堂 具紀教授のシーズを元に、藤堂教授と共同で第一三共（株）が開発を行う予定。	<ul style="list-style-type: none"> ① ウイルスを用いたがん治療法（ウイルス療法）であり、新規作用機序を有する。 ② 悪性神経膠腫は、生命に重大な影響がある重篤な疾患である。 ③ 臨床研究により、極めて高い有効性を示唆する結果（1年生存率の向上）が得られている。 ④ 藤堂教授中心に医師主導で国内臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。
3	自家心臓内幹細胞	小児先天性心疾患（機能的単心室症）患者に実施する外科的修復術後の心機能改善を目的とした、患者自身の心臓から採取した組織から分離、培養した心臓内幹細胞懸濁液であり、岡山大学病院・新医療研究開発センター再生医療部・王 英正教授のシーズを元に、（株）日本再生医療が開発を行う予定。	<ul style="list-style-type: none"> ① 心組織から心筋細胞に分化しうる心臓内幹細胞を利用するものであり、従来の治療法とは異なる作用機序を有する。 ② 小児先天性心疾患（機能的単心室症）は、外科的修復術後も酸素飽和度や心機能が改善されず、最終的に心臓移植以外に治療選択肢がなくなる場合もある重篤な疾患である。 ③ 臨床試験により、極めて高い有効性を示唆する結果（心機能の改善や心不全症状の改善）が得られている。 ④ 王教授中心に医師主導で国内臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。

医療機器・再生医療等製品 先駆け審査指定品目

チタンブリッジ

開発メーカー：ノーベルファーマ(株)

京都大学・一色名誉教授のシーズ

熊本大学・讃岐講師
中心に、臨床試験を
実施

地方の中小企業で
ある若吉製作所
(福井県)が製造

ベンチャー企業であ
るノーベルファーマが
実用化



声門の過閉鎖防止

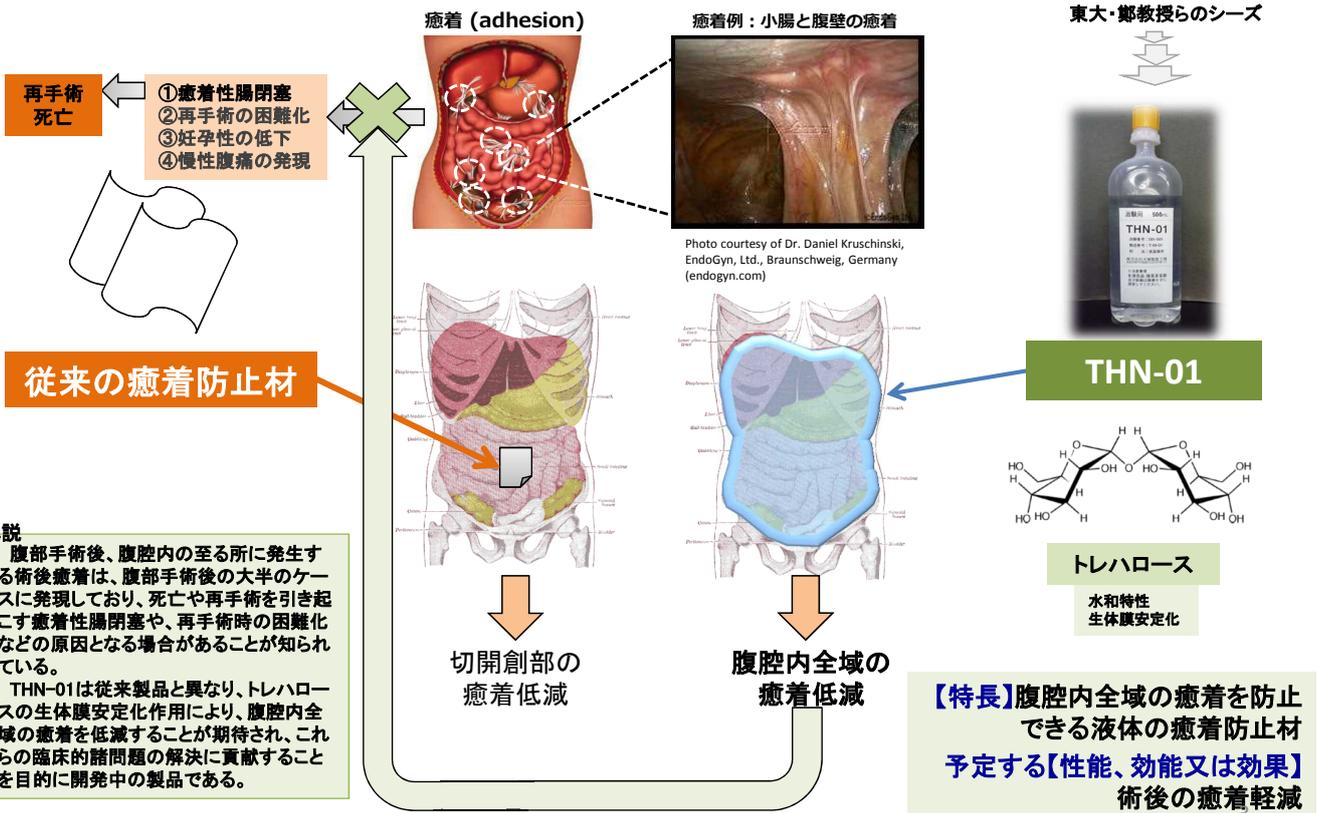
発声障害の改善

注)厚労省のAMED研究費支援あり。

癒着防止吸収性バリア

開発メーカー：(株)大塚製薬工場

東大・鄭教授らのシーズ



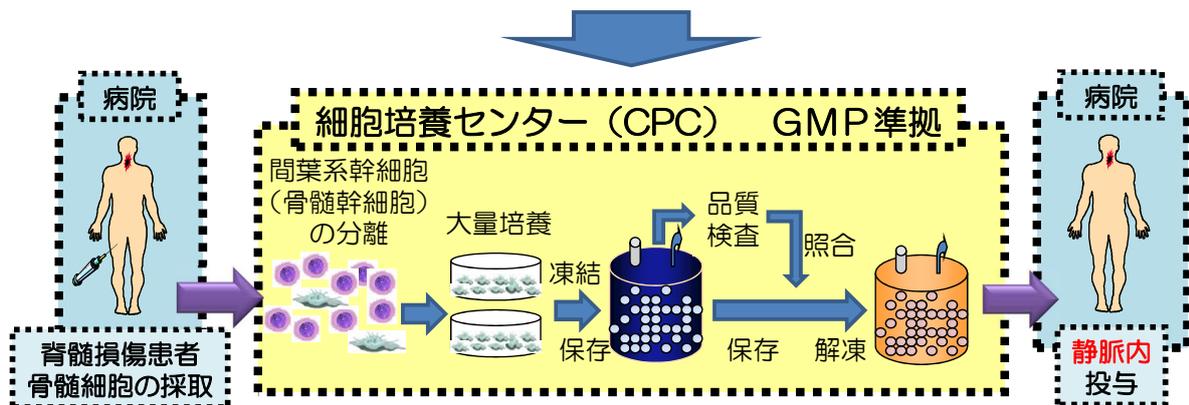
解説

腹部手術後、腹腔内の至る所に発生する術後癒着は、腹部手術後の大半のケースに発現しており、死亡や再手術を引き起こす癒着性腸閉塞や、再手術時の困難化などの原因となる場合があることが知られている。
THN-01は従来製品と異なり、トレハロースの生体膜安定化作用により、腹腔内全域の癒着を低減することが期待され、これらの臨床的諸問題の解決に貢献することを目的に開発中の製品である。

STR01 (自家骨髄由来幹細胞)

開発メーカー：ニプロ(株)

札幌医科大学 本望教授のシーズ



実施中の医師主導治験の概要

注) 文科省のAMED研究費支援あり。

予定被験者数	30例
対象疾患	脊髄損傷患者 ※国内では年間約5000人が新規発生
実施期間	2013年11月1日～2016年10月31日
治験のフェーズ	Phase 2、非盲検試験、探索的試験

G47 Δ (遺伝子組換えヘルペスウイルス) 開発メーカー: 第一三共(株)

東大医科研・藤堂教授のシーズ

がん細胞

ウイルス感染

正常細胞では増殖しないよう遺伝子組換え

※ウイルスの増殖に関わる3つの遺伝子を欠失・不活性化

ウイルス増殖とがん細胞の破壊

周囲へのウイルス拡散

がん細胞を次々に破壊

関連する臨床試験の概要

注) 厚労省・文科省のAMED研究費支援あり。

対象疾患	投与方法	開始・終了	症例数	試験相	試験
膠芽腫 (悪性脳腫瘍)	定位脳手術による腫瘍内投与 2週間以内に2回	2009年11月 2014年11月終了	13例	I - II a	臨床研究
膠芽腫 (悪性脳腫瘍)	定位脳手術による腫瘍内投与 4週間毎に繰り返し投与(最大6回)	2015年5月～	30例 (予定)	II	医師主導治験

※膠芽腫の国内発症者数は、年間約1000人

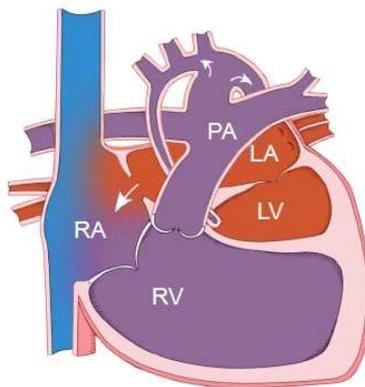
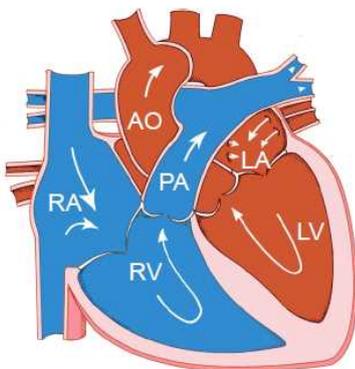
5

自家心臓内幹細胞

開発メーカー: (株)日本再生医療

正常な心臓

代表的な機能的単室症の病態:
左心低形成症候群(HLHS)



岡山大学
王教授のシーズ

手術時に微量の心組織を採取、
幹細胞分離

培養



製剤化

冠動脈ヘカテーテルで移植

心機能の改善

関連する臨床試験の概要

注) 厚労省のAMED研究費支援あり。

対象疾患	試験デザイン	開始・終了	症例数	試験相	試験
左心低形成症候群	非盲験群間比較試験	2011年1月開始 2013年1月終了	14例	I	臨床研究
左心低形成症候群	非盲験群間比較試験	2013年4月開始～	34例 (予定)	II	臨床研究

※機能的単心室症の国内発症者数は、年間数百人

※今後、企業治験を実施予定

6