

(別紙6)

## 医療機器及び体外診断用医薬品の治験相談等の区分及び内容

### 1. 医療機器拡大治験開始前相談

相談時までには得られている安全性情報等に基づき、相談者が被験者の安全確保に支障がないと判断した拡大治験のために、主たる治験から変更される以下の内容に関して、指導及び助言を行うものです。

- 1) 主たる治験から拡大治験のために変更される選択・除外基準
- 2) 安全確保に支障のない範囲で省略される検査項目、検査頻度、検査期間等

また、主たる治験に有効性評価を目的として設定する選択・除外基準及び検査項目を拡大治験実施時に設定しないことの確認については、医療機器プロトコル相談(治験)において相談することも可能とします。

### 2. 医療機器開発前相談

開発の開始前あるいは開発初期の段階において受ける相談で、開発予定又は開発途中にある品目に何らかの疑問点が生じた場合に、機構の見解を問うものです。また、先駆的医療機器、特定用途医療機器、条件付き承認制度、医療機器変更計画確認手続制度の要件該当性に関する相談や、再製造単回使用医療機器の開発における留意点についての相談も含まれます。

当該品目の開発に際し、どのような試験が必要と考えるか、治験の要否など機構側が承認取得に際し必要と考えるデータパッケージの骨子が助言されます。ただし、要求事項の具体的な試験方法等の提示は行わず、プロトコルの妥当性や資料の充足性等について個々に判断を示すものではないことに注意してください(助言をもとに、判断は相談者自身が行うことになる)。

なお将来想定されるデータパッケージの充足性・妥当性の相談も受けることはできますが、その後のデータ(臨床・非臨床)や作成したプロトコル案により見解が大きく変わる可能性があることを理解され、利用してください。

例) 新規製品開発時に、既承認品目及び関連製品の市場調査、文献検索等による情報をもとに承認取得に際し求められる資料の概念的な内容。

### 3. 医療機器臨床試験要否相談

非臨床試験の試験成績、既に実施された臨床試験、臨床論文の評価等による使用状況調査等をもとに医療機器の申請に際し、新たな臨床試験の実施が必要か否かについて相談を受け、指導及び助言を行うものです。また、条件付き承認制度の対象品目においては、医療機器製造販売後リスク管理計画(案)の内容についても助言を行います。また、承認申請においてレジストリを活用したい場合、当該レジストリの使用計画について、活用目的に即した使用の妥当性及び評価項目の充足性等についても助言を行います。なお、レジストリ活用に関して相談する場合、本区分は、医療機器レジストリ信頼性調査相談より前に実施します。

なお、臨床要否相談においては、①非臨床データのみで当該機器の有効性・安全性が評価可能と考えられるもの、②非臨床データに加え、臨床データ(臨床論文評価を含む)を用いて評価することが妥当と考えられるものがあり、臨床データを含む場合には「臨床評価相談用資料作成の手引き」を参考に資料を作成することが推奨されます(条件付き承認制度の対象品目、レジストリ活用に関する相談の場合を除く)。

例) ・非臨床データから臨床成績を推測することの妥当性  
・海外で実施された臨床試験の申請資料としての妥当性  
・追加臨床試験の要否について  
・対照群を置いたランダム化比較試験が困難な希少疾患において、当該疾患の有効性評価に当たり、当該レジストリを外部対照として使用することの妥当性及び評価項目の充足性

#### 4. 医療機器プロトコル相談

医療機器の試験方法等の相談や試験プロトコルの妥当性についての相談を受け、指導及び助言を行うものです。安全性、品質、性能、探索的治験、治験の5つの区分があります。

##### ① 安全性

医療機器に使用した原材料の生物学的安全性、医療機器及び併用する医療機器の電気的安全性、再製造の滅菌・洗浄に係る安全性等、非臨床試験での安全性に関し、相談を受け指導及び助言を行うものです。認証基準該当性簡易相談の結果、認証基準非該当の医療機器についても助言を行います。なお、試験数によって1試験から4試験以上の各手数料区分があるため、機構担当者と適切な区分について確認してください。

例) ・生物学的安全性試験の妥当性

- ・原材料の動物実験の評価について
- ・基準に規定されていない電気安全性に関する試験の妥当性
- ・再製造に係る再生部品の滅菌・洗浄に関する試験の妥当性

##### ② 品質

医療機器の仕様、安定性等の品質に関し、相談を受け指導及び助言を行うものです。なお生体弁等の医療機器としての安全性、性能等のプロトコルについては、当該相談で行います。認証基準該当性簡易相談の結果、認証基準非該当の医療機器についても助言を行います。

例) ・原材料の安定性から最終製品の安定性を推定する妥当性

- ・類似製品の試験成績により設定された有効期間設定の妥当性
- ・n回再製造に係る有効期間設定の妥当性

##### ③ 性能

非臨床試験における性能試験に関し、相談を受け指導及び助言を行うものです。認証基準該当性簡易相談の結果、認証基準非該当の医療機器についても助言を行います。また、医療機器プロトコル相談 性能においては、既存の診療情報を用いる試験についても助言を行います。なお、試験数によって1試験から4試験以上又は既存の診療情報を用いる試験の各手数料区分があるため、機構担当者と適切な区分について確認してください。

例) ・性能を示すために実施した（または実施予定の）動物試験の妥当性

- ・追加機能の性能説明するためのベンチテストの妥当性
- ・再製造のリバースエンジニアリングに基づく、再製造単回使用医療機器及び再生部品の性能評価の妥当性

##### ④ 探索的治験

既の実施された非臨床試験、類似の医療機器の臨床試験の試験成績等をもとに、ピボタル試験に先立ち実施される探索的治験の実施について、相談を受け指導及び助言を行うものです。

例) ・探索的治験開始の妥当性

- ・プロトコルの妥当性
- ・ピボタル試験を見据えた評価項目の妥当性等、どのような試験が必要であるか。

##### ⑤ 治験

既の実施された品質、安全性試験、探索的治験、外国における使用状況／臨床試験、類似医療機器に関する情報等に基づき、ピボタル試験の試験デザイン、症例数の妥当性等について相談を受け、指導及び助言を行うものです。

例) ・適応、対象疾患の選択の妥当性

- ・症例数の妥当性

- ・比較試験の必要性及び比較対象の妥当性
- ・エンドポイントの設定の妥当性
- ・結果の統計処理方法の妥当性

## 5. 医療機器評価相談

医療機器を開発するに当たり行われた試験結果についての相談を受け、指導及び助言を行うものです。安全性、品質、性能、探索的治験、治験及び使用成績評価の6つの区分があります。なお、1相談当たりの試験数の上限は、公的規格等により評価方法や合格基準が規定された方法を採用した試験成績を除き、20試験となります。

### ① 安全性

医療機器に使用した原材料の生物学的安全性、医療機器及び併用する医療機器の電気的安全性、再製造の滅菌・洗浄に係る安全性等、非臨床試験での安全性等の試験結果について相談を受け、指導及び助言を行うものです。認証基準該当性簡易相談の結果、認証基準非該当の医療機器についても助言を行います。なお、試験数によって1試験から4試験以上の各手数料区分があるため、機構担当者と適切な区分について確認してください。

例) ・生物学的安全性試験結果の妥当性

- ・原材料の動物実験の結果評価について
- ・基準に規定されていない電気安全性に関する試験結果
- ・再製造に係る再生部品の滅菌・洗浄に関する試験結果

### ② 品質

医療機器の仕様、安定性等の品質に関する試験成績評価について相談を受け、指導及び助言を行うものです。なお生体弁等の医療機器としての安全性、性能等の評価については、当該相談で行います。認証基準該当性簡易相談の結果、認証基準非該当の医療機器についても助言を行います。

例) ・安定性試験結果の妥当性

- ・類似製品の試験成績により設定された有効期間設定の妥当性
- ・n回再製造に係る有効期間設定の妥当性

### ③ 性能

非臨床試験での性能試験に関する結果について相談を受け、指導及び助言を行うものです。認証基準該当性簡易相談の結果、認証基準非該当の医療機器についても助言を行います。また、医療機器評価相談 性能においては、既存の診療情報を用いる試験についても助言を行います。なお、試験数によって1試験から4試験以上又は既存の診療情報を用いる試験の各手数料区分があるため、機構担当者と適切な区分について確認してください。

例) ・性能を示すために実施した（または実施予定の）動物試験結果の妥当性

- ・追加機能の性能説明するためのベンチテスト結果の妥当性
- ・再製造のリバースエンジニアリングに基づく、再製造単回使用医療機器及び再生部品の性能評価の妥当性

### ④ 探索的治験

探索的治験の結果について相談を受け、指導及び助言を行うものです。

例) ・探索的治験結果の妥当性

- ・ピボタル試験を見据えた評価項目の妥当性等、どのような試験が必要であるか。

## ⑤ 治験

治験の結果について相談を受け、指導及び助言を行うものです。

例) ・治験結果の妥当性

- ・治験結果における有効性及び安全性
- ・比較試験結果での有効性及び安全性

## ⑥ 使用成績評価

医療機器使用成績評価適合性調査相談を実施した資料を対象とし、使用成績評価の対象として指定された品目について、実施中の使用成績調査について相談を受け、指導及び助言を行うものです。また、令和2年8月31日付け薬生機審発 0831 第2号「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」の類型2の対象品目においては使用成績調査の結果等に関して助言を行います。

例) ・使用成績評価の調査期間短縮の妥当性

## 6. 医療機器申請資料確定相談

医療機器評価相談(探索的治験及び治験を除く。)を実施した資料を対象とし、申請資料としての充足性の指導及び助言を行うものです。申請資料案の記載内容に関する評価を行い、申請資料としての妥当性が確認された資料範囲の伝達も行います。

例) 申請資料の充足性及記載内容の妥当性

## 7. 医療機器資料充足性・申請区分相談

医療機器の承認申請に際し、添付すべき資料の形式的な充足性、及び申請区分の妥当性(後発医療機器への該当性、特定の変更に係る手続き(いわゆる特定一変)への該当性)についての指導及び助言を行うものです。データの評価を伴うものは該当しません。

例) 申請資料の充足性に係る形式的なチェック

## 8. 医療機器追加相談

対面助言の結果を受けて変更を行った場合に、その変更内容の妥当性について、さらに相談を行う場合、同じ相談区分の相談を再度受け、指導及び助言を行うものです。なお、医療機器資料充足性・申請区分相談(追加相談)においては、申請前に非臨床試験に係る適合性調査対象の選定を行うものです。

## 9. 医療機器 I D A T E N (Improvement Design within Approval for Timely Evaluation and Notice) 届出前相談

医療機器の変更計画確認手続制度に基づく変更計画に従った変更在先立ち、当該変更の届出による対応の可否について、指導及び助言を行うものです。

## 10. 体外診断用医薬品開発前相談

開発の開始前又は開発初期段階において受ける相談です。既承認品目及び関連製品の市場調査、文献検索等による情報、基礎研究等をもとに承認取得に際し求められる資料の概念的な要求事項(どのような試験が必要と考えるか、臨床性能試験の要否など)について、指導及び助言を行うものです。また、先駆的体外診断用医薬品、特定用途体外診断用医薬品、条件付き承認制度、体外診断用医薬品変更計画確認手続制度の要件該当性に関する相談も含まれます。

当該製品について、科学的評価が完了していなくても相談を受けるものです。ただし、要求事項の具体的な試験方法等の提示は行わず、プロトコルの妥当性及資料の充足性等について個々の判断を示すものではありません(助言をもとに、判断は相談者自身が行うことになる)。なお将来想定されるデータパッケージの充足性・妥当性の相談もここで受けることはできますが、そ

の後のデータや作成したプロトコル案により見解が大きく変わる可能性があることを理解され、利用してください。

- 例) ・新規製品開発時に、既承認品目及び関連製品の市場調査、文献検索等による情報をもとに承認取得に際し求められる資料の概念的な内容
- ・新規項目、新規測定法の製品の承認取得に際し、求められる資料の概念的な内容

#### 1 1. コンパニオン診断薬開発前相談

コンパニオン診断薬開発の開始前又は開発初期段階において受ける相談です。関連する医薬品の開発計画や既承認品目の情報、開発予定の製品の基礎研究等をもとに承認取得に際し求められる資料の概念的な要求事項(どのような試験が必要と考えられるか、臨床性能試験の可否など)について、指導及び助言を行うものです。また、コンパニオン診断薬の該当性についても当該相談で行います。

要求事項の具体的な試験方法等の提示は行わず、プロトコルの妥当性や資料の充足性等について個々の判断を示すものではありません(助言をもとに、判断は相談者自身が行うこととなります)。なお将来想定されるデータパッケージの充足性・妥当性の相談もここで受けることはできますが、相談実施時に確定している情報に基づく概念的な要求事項の範囲であることを理解の上で利用してください。

- 例) ・コンパニオン診断薬の承認取得に際し、求められる資料の概念的な内容

#### 1 2. コンパニオン診断薬開発パッケージ相談

コンパニオン診断薬の開発開始前又は開発初期段階において受ける相談です。コンパニオン診断薬の承認申請に際して必要とされるデータパッケージの充足性・妥当性の観点から、関連する医薬品の臨床試験で取得すべき具体的なデータ、診断薬の開発過程で取得すべき具体的なデータ並びに医薬品及びコンパニオン診断薬の双方の開発者が共有すべきデータについて、指導及び助言を行うものです。医薬品の開発戦略やコンパニオン診断薬の必要性が将来的に変わり得る可能性を選択肢に含めたデータパッケージの充足性・妥当性の相談も承ります。データパッケージの充足性の観点から、想定する臨床性能試験の骨子も相談の対象となりますが、試験の具体的な達成基準や例数の妥当性等について相談を希望される場合には「体外診断用医薬品プロトコル相談 コンパニオン診断薬臨床性能試験」の相談区分を利用してください。

- 例) ・コンパニオン診断薬の承認申請時に添付すべき医薬品の臨床試験成績の具体的な内容
- ・コンパニオン診断薬の承認申請時までに医薬品の開発者と共有すべきデータ・情報
  - ・承認申請に際して想定される医薬品の臨床試験成績、臨床性能試験、同等性試験等の資料構成方法

#### 1 3. 体外診断用医薬品プロトコル相談

体外診断用医薬品の試験方法等の相談や試験プロトコルの妥当性についての相談を受け、指導及び助言を行うものです。品質、性能(品質以外)、相関性、臨床性能試験、コンパニオン診断薬臨床性能試験の5つの区分があります。

##### ① 品質

臨床性能試験及び相関性試験以外の性能に関する事項のうち、仕様・安定性に係るプロトコルについて相談を受け、指導及び助言を行うものです。認証基準該当性簡易相談の結果、認証基準非該当の体外診断用医薬品についても助言を行います。

##### ② 性能(品質以外)

臨床性能試験及び相関性試験及び仕様・安定性以外の性能試験に係るプロトコルについて相談を受け、指導及び助言を行うものです。認証基準該当性簡易相談の結果、認証基準非該当の体外診断用医薬品についても助言を行います。なお、試験数によって1試験から3試験以上

の各手数料区分があるため、機構担当者と適切な区分について確認してください。

③ 相関性

相関性試験に関するプロトコルについて相談を受け、指導及び助言を行うものです。認証基準該当性簡易相談の結果、認証基準非該当の体外診断用医薬品についても助言を行います。

④ 臨床性能試験

個別製品の品質、性能試験結果、外国における使用状況、類似の体外診断用医薬品に関する情報等に基づき、臨床性能試験デザイン(症例数、試験方法の妥当性等)について相談を受け、指導及び助言を行うものです。また、令和2年8月31日付け薬生機審発 0831 第2号「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」の類型 2 の対象品目においては、体外診断用医薬品製造販売後リスク管理計画(案)の内容について助言を行います。

⑤ コンパニオン診断薬臨床性能試験

コンパニオン診断薬に関する同等性試験等の試験デザインについて相談を受け、指導及び助言を行うものです。

1 4. 体外診断用医薬品評価相談

体外診断用医薬品の試験結果についての相談を受け、指導及び助言を行うものです。品質、性能(品質以外)、相関性、臨床性能試験、コンパニオン診断薬臨床性能試験の5つの区分があります。

① 品質

臨床性能試験及び相関性試験以外の性能に関する事項のうち、仕様・安定性に係る試験結果について相談を受け、指導及び助言を行うものです。認証基準該当性簡易相談の結果、認証基準非該当の体外診断用医薬品についても助言を行います。

② 性能(品質以外)

臨床性能試験及び相関性試験及び仕様・安定性以外の性能試験に係る試験結果について相談を受け、指導及び助言を行うものです。認証基準該当性簡易相談の結果、認証基準非該当の体外診断用医薬品についても助言を行います。なお、試験数によって1試験から3試験以上の各手数料区分があるため、機構担当者と適切な区分について確認してください。

③ 相関性

相関性試験に関する試験結果について相談を受け、指導及び助言を行うものです。認証基準該当性簡易相談の結果、認証基準非該当の体外診断用医薬品についても助言を行います。

① 臨床性能試験

既に行われた臨床性能試験結果について相談を受け、指導及び助言を行うものです。また、令和2年8月31日付け薬生機審発 0831 第2号「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」の類型 1 の対象品目においては体外診断用医薬品製造販売後リスク管理計画(案)の内容について、令和2年8月31日付け薬生機審発 0831 第2号「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」の類型 2 の対象品目においては使用成績調査の結果等について助言を行います。

⑤ コンパニオン診断薬臨床性能試験

コンパニオン診断薬に関する同等性試験等の結果について相談を受け、指導及び助言を行うものです。

#### 1 5. 体外診断用医薬品申請手続相談

体外診断用医薬品の承認申請に際し、添付すべき資料の形式的な充足性について相談を受け、指導及び助言を行うものです。データの評価を伴うものは該当しません。申請区分の該当性に係る相談も承ります。

#### 1 6. 体外診断用医薬品追加相談

各相談区分において相談を行った後に、確定した助言内容を再度検討した上で、部分的な修正内容の妥当性等を、同じ相談区分の相談として再度受け、指導及び助言を行うものです。

#### 1 7. 体外診断用医薬品 I D A T E N (Improvement Design within Approval for Timely Evaluation and Notice) 届出前相談

体外診断用医薬品の変更計画確認手続制度に基づく変更計画に従った変更在先立ち、当該変更の届出による対応の可否について、指導及び助言を行うものです。

(別紙 7)

### 再生医療等製品の事前評価相談の区分及び内容

1. 再生医療等製品事前評価相談（安全性・品質・効力）  
開発中の品目の安全性・品質・効力に係る申請予定資料（各種試験結果）について、事前に評価を行い、問題点の抽出、課題の整理を行った上で、評価報告書を作成するもの。
2. 再生医療等製品事前評価相談（探索的試験）  
開発中の品目の探索的試験に係る申請予定資料（各種試験結果）について、事前に評価を行い、問題点の抽出、課題の整理を行った上で、評価報告書を作成するもの。
3. 再生医療等製品事前評価相談（検証的治験）  
開発中の品目の検証的治験に係る申請予定資料（各種試験結果）について、事前に評価を行い、問題点の抽出、課題の整理を行った上で、評価報告書を作成するもの。