

# 「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」開催要項

## 1 開催の趣旨等

ライフサイエンスは、我が国のものづくりと科学技術の先進性を兼ね備えた分野であり、世界をリードできる先端科学技術の進歩の恩恵を国民が受けることができるよう、また我が国の優れた技術を国際的な舞台で活かしていけるよう、その発展に寄与する施策を講じていく必要がある。

この中で、再生医療といった新たな分野について、再生医療における共同での診療を行うためには、医療機関の間でどのような条件の下に行うことが望ましいか検討していくこととする。

また、再生医療製品を広く患者に提供するためには、どのような制度的枠組みがふさわしいか、その特性を踏まえつつ、検討していくこととする。

## 2 検討事項

① 医療機関が患者から採取した細胞について、別の医療機関において培養・加工を行った上で患者の診療に用いることが現行の医療法の下で可能であること及びその条件を明示し、周知徹底すること。（21年度中）

② 再生医療にふさわしい制度を実現するため、自家細胞と他家細胞の違いや、皮膚・角膜・軟骨・免疫細胞など用途の違いを踏まえながら、現行の法制度にとらわれることなく、臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする最適な制度的枠組みについて、産学官の緊密な連携のもとに検討する場を設け、結論を得ること。（22年度中）

## 3 構成員（資料2を参照）

## 4 運営

本会議の庶務は、厚生労働省医政局及び医薬食品局で行う。  
議事は公開とする。

## 5 その他

本検討会は、「革新的創薬等のための官民対話」と連携していくこととし、官民対話の場での御意見を踏まえながら進行していくこととする。又、検討会で得られた結論等については適宜官民対話に報告していくこととする。

## 委員名簿

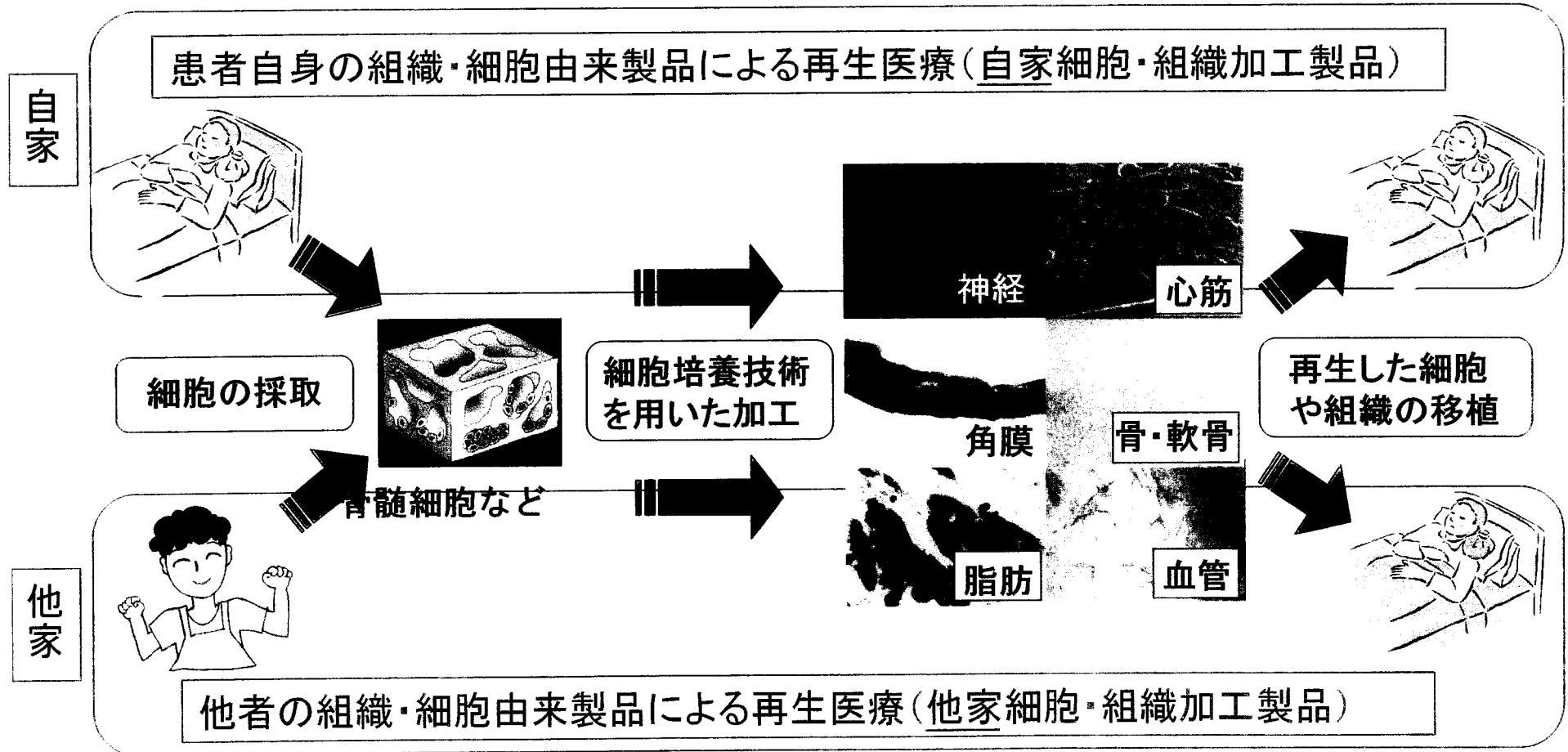
(五十音順、敬称略)

阿曾沼元博	国際医療福祉大学国際医療福祉総合研究所 教授
伊藤たてお	日本難病・疾病団体協議会代表
小澤洋介	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング代表取締役社長
片倉健男	テルモ株式会社 研究開発センター 兼 薬事部
神山美智子	弁護士
木下勝之	日本医師会 常任理事
木村壮介	国立国際医療センター 戸山病院 院長
澤芳樹	大阪大学大学院医学系研究科 外科学講座 心臓血管外科学 教授
鈴木和博	国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子細胞医薬部長
土屋文人	社団法人 日本薬剤師会 副会長
永井良三	東京大学大学院医学系研究科循環器内科 教授
花井十伍	ネットワーク医療と人権 理事
早川堯夫	近畿大学薬学総合研究所長
前川平	京都大学医学部附属病院 輸血細胞治療部 教授
武藤誠太郎	アステラス製薬株式会社 執行役員 研究本部副本部長 兼 薬理 研究所長
毛利善一	日本ケミカルリサーチ株式会社 取締役執行役員 研究開発本部長
森尾友宏	東京医科歯科大学・大学院・発生発達病態学分野・准教授, 細胞治療 センター長
大和雅之	東京女子医科大学 先端生命医科学研究所 教授

# 再生医療について

再生医療とは、患者自身の細胞・組織又は他者の細胞・組織を培養等加工したものをを用いて、失われた組織や臓器を修復・再生する医療

(例 ①培養皮膚による重傷熱傷患者の救命、②培養角膜による視力の回復など)

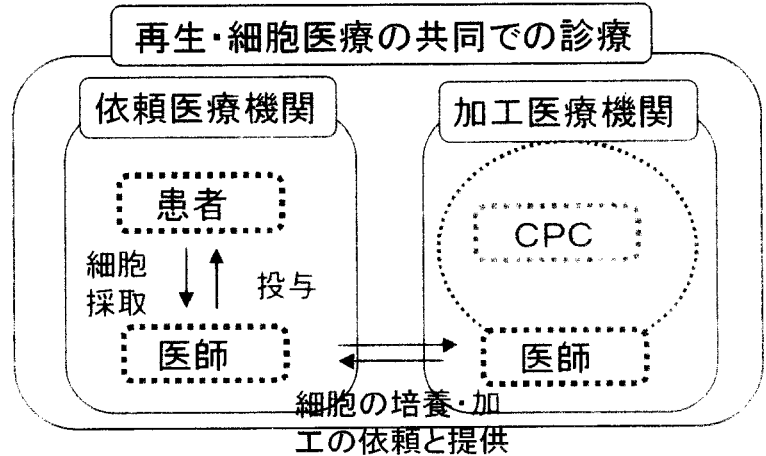


## 再生・細胞医療における共同での診療(21年度措置) の範囲について

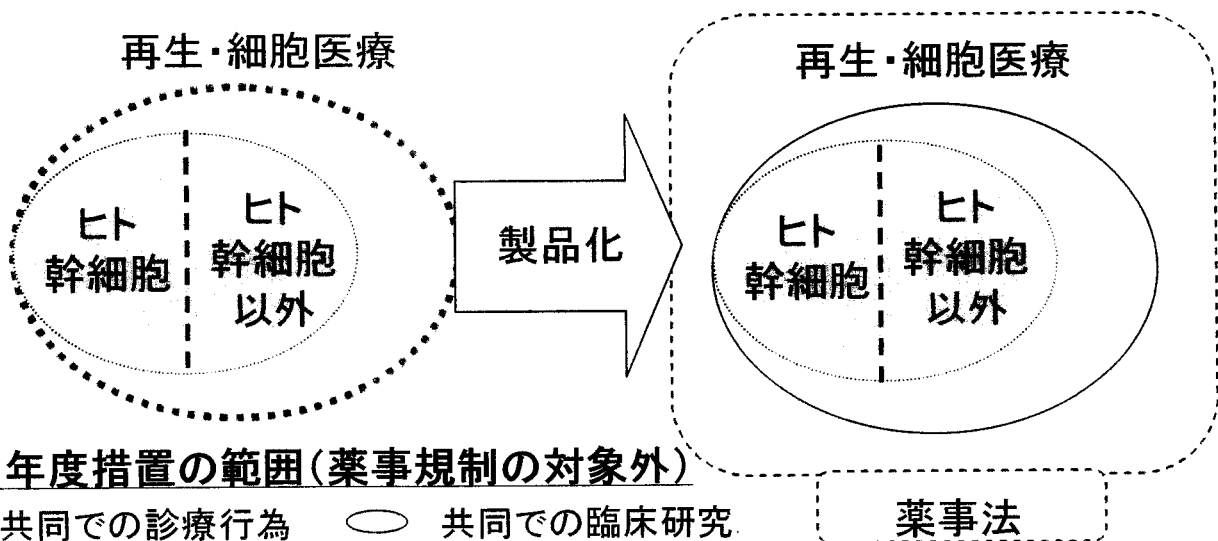
### 1. 複数の医療機関による共同での診療

- 再生・細胞医療における  
細胞採取→培養・加工→投与

というプロセスを、依頼医療機関  
と加工医療機関の共同での診療  
(1人の患者に対して、複数の医  
療機関が共同で医療を提供する  
形をとること)として行う場合につ  
いて検討するもの



### 2. 薬事規制の対象とならない再生・細胞医療



#### ⋯ 21年度措置の範囲(薬事規制の対象外)

- 共同での診療行為
- 共同での臨床研究

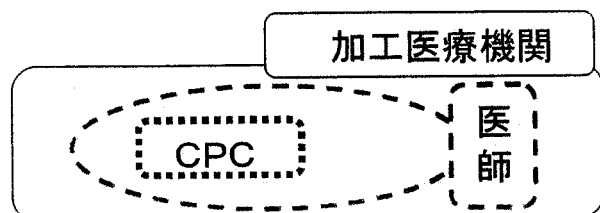
#### ※ 依頼医療機関と加工医療機関の関係について

- 依頼医療機関と加工医療機関の関係は 1対1の関係 (自家細胞が対象)



#### ※ 加工医療機関について

- 医師の監督の下CPCを運営



# 平成22年度に結論を得るものについての事務局説明資料 － 現行規制の考え方と海外調査について－

## － 製品の安全性等を確保するため品目ごとに承認－

細胞・組織加工製品については、

① ドナー由来の感染リスク(自家細胞・組織加工製品を除く。)

ヒトから細胞等を採取し、加工処理した後に患者に戻す場合、ドナー由来の感染リスクがある。

② 処理工程に付随する感染リスク

培養等に際して培地に用いる原材料(血清等)による感染の可能性、細胞の性質の予期せぬ変化(癌化)などが否定できず、これら処理に関連するリスクが内在。

③ 製品そのものの有効性・安全性に関するリスク

期待どおりの効果を発揮するか、有害反応は発現しないかなど、製品そのものの有効性と安全性に関するリスクが内在。

④ 品質の一定性のリスク

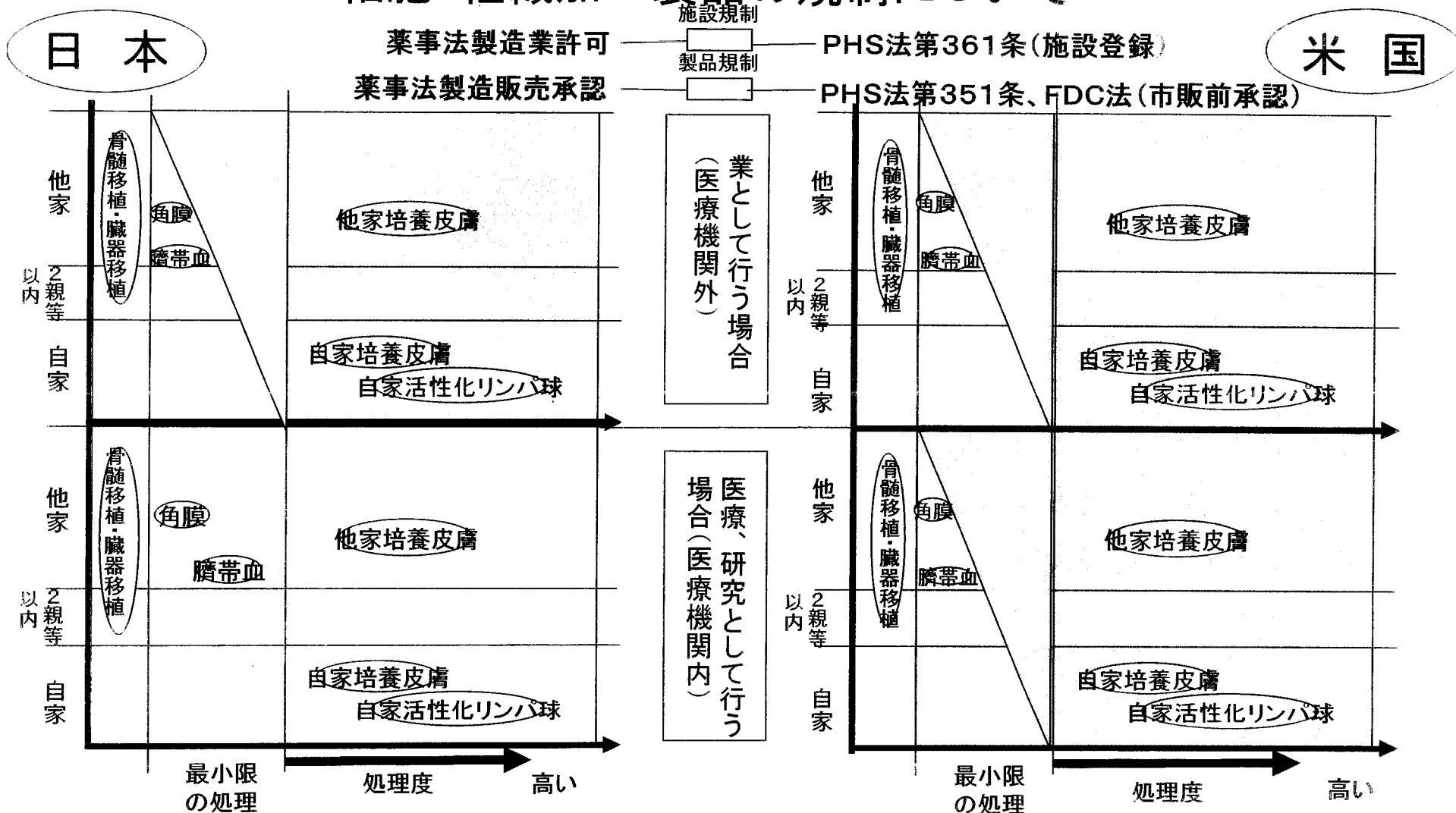
繰り返し製造した場合、中には使用に耐えられない製品が生じるおそれがある等、品質が一定した製品を製造できないリスクが内在。

などのリスクが内在するとともに、自家細胞・組織であっても様々な製造プロセスを経てできあがった最終製品は、本質的に元の細胞・組織とは異なるため、公衆衛生上、一定の規制が必要。

なお、この分野の製品開発は日進月歩であり、その評価に当たっては、個々の品目ごとに最新の知見を踏まえた柔軟なチェックが必要であることに留意。

品目ごとの承認が必要

# 細胞・組織加工製品の規制について



日本では、業として行う場合であって、一定以上の処理を行うときのみ製造業許可が必要(医療、研究として行う場合は規制はない)。

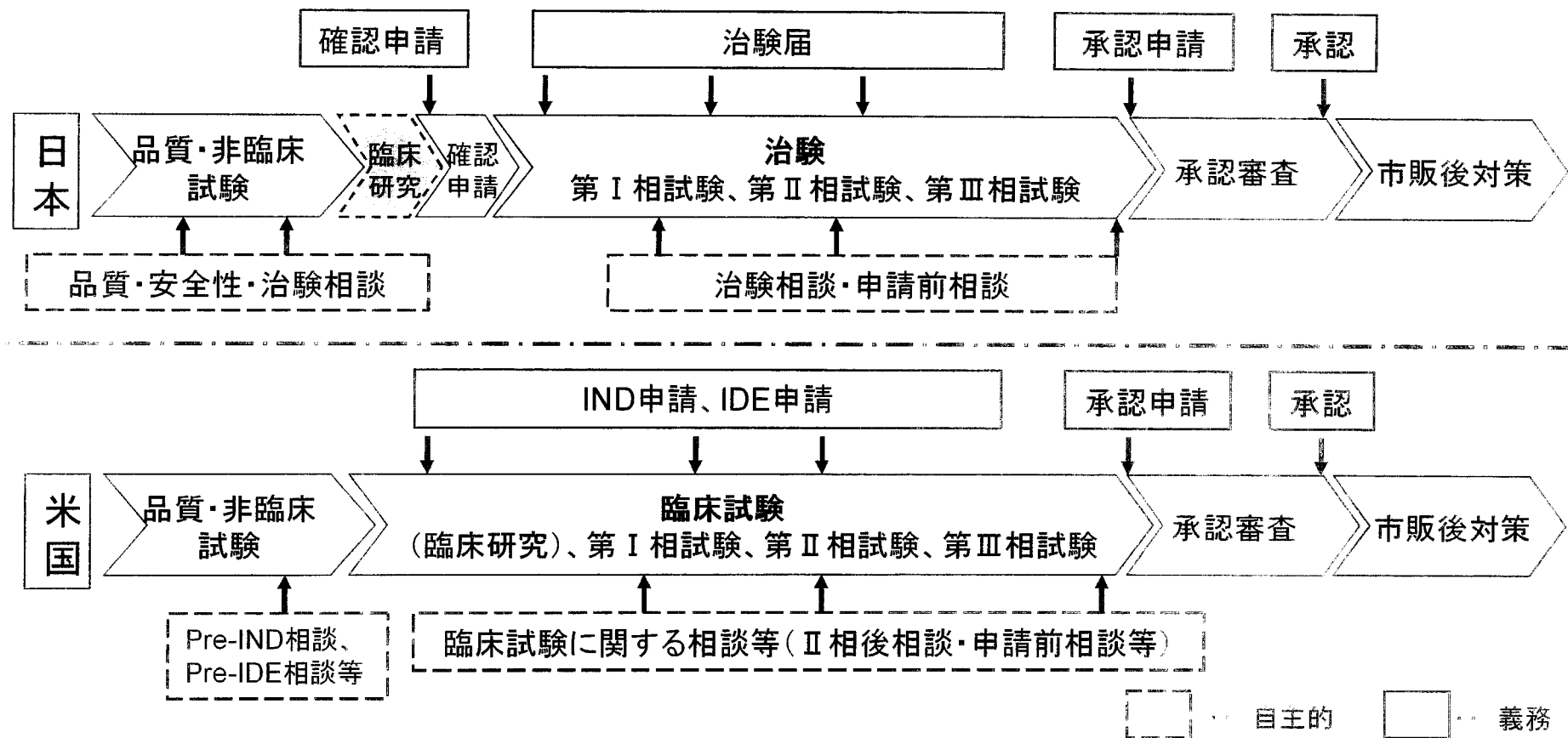
また、製品のうち一定以上の処理を行うものなどで、医薬品等として製造販売することを目的とするときは、治験届、製造販売承認が必要。

米国では、業として行う場合も、医療、研究として行う場合も、細胞・組織加工製品を扱う場合には全て同じ規制がかかっている。

図の□で示すとおり、すべての取扱い施設について登録が必要で、ドナーの適切な選択、品質管理が要求される。

また、製品のうち一定以上の処理を行うものなどは、治験届が必要。市販する場合には、市販前承認が必要。

# 細胞・組織加工製品の承認



- 確認申請: 細胞・組織加工製品については、新規性が高く、過去の使用経験・情報の蓄積が少なく、リスクの予測が難しいことなど、技術的に発展途上であることから、当該製品の治験開始前に、製品の最低限の品質・安全性をチェックする手続き。
- IND (Investigational New Drug)、IDE (Investigational Device Exemption) : 日本の治験薬、治験用医療機器に相当。また、これらの申請は日本の治験届に相当し、品質、安全性、臨床試験プロトコールなどの資料を添付する。この手続きにより未承認の医薬品・医療機器を使用することが可能となる。
- pre-IND相談、pre-IDE相談: 治験依頼者がIND、IDE申請前にFDA担当者と協議する場。

# 細胞・組織加工製品に係る薬事規制

## これまでに取り組んできた事項

### 1. 治験実施手続きの合理化

- ・治験実施にあたり、確認申請と治験計画届で求める添付資料等の重複を排除し、手続きの合理化、迅速化等を図った。  
(平成19年3月)

### 2. 細胞・組織加工製品の審査体制の拡充

- ・審査の体制を強化するため、医薬品医療機器総合機構に生物系審査第2部を新設(19年10月)。
- ・細胞・組織加工製品の申請に関するきめ細かい相談業務を開始(19年4月)。

### 3. 細胞・組織加工製品の承認等の状況

- ①承認
  - ・自家培養表皮(重症のやけどの治療:19年10月29日)
- ②治験の実施又は申請準備中
  - ・自家培養軟骨(関節症の治療)
  - ・自家骨格筋芽細胞(心筋の働きの補助)
- ③治験開始前の品質・安全性の確認
  - ・同種骨髄由来の間葉系幹細胞(GVHDの抑制:平成19年5月)
  - ・自家培養皮膚(重症のやけどの治療:19年12月)
- ④稀少疾病用医療機器の指定
  - ・自家培養角膜(角膜上皮幹細胞疲弊症の治療:20年6月)

### 4. 安全性評価基準等の整備

#### ① 自家細胞・組織加工製品を対象とした安全性評価基準の作成 (平成20年2月8日)

- ・各種感染症等の確認の簡素化(17項目→4項目)、免疫適合性の確認が不要であることの明確化など、自家の特徴を反映した基準を作成。
- ・安全性確認申請時点における評価事項を明記。例えば、製品の規格について、少数検体の実測値を踏まえた暫定規格で差し支えないことなど。

#### ② 自家細胞・組織加工製品を対象とした製造・品質管理の考え方の作成 (平成20年3月27日)

- ・患者から直接細胞・組織を採取することから、必要最少限の検体で品質管理を行うことが必要。現在の製造・品質管理に関する基準項目の中で実行が困難な部分(長期保存後の再テスト、3ロット検査等)については実施しなくてもよいとするなど、柔軟な対応方策について考え方を作成。

#### ③ 他家細胞・組織加工製品を対象とした安全性評価基準 (平成20年9月12日)

- ・自家細胞の指針をもとに、感染症や免疫適合性の確認などを記載。
- ・安全性確認申請時点における評価事項を明記。例えば、製品の規格について、少数検体の実測値を踏まえた暫定規格で差し支えないことなど。

## 平成20年度から開始

### 幹細胞由来製品の安全性確保のための指針等の整備

- ・平成19年度に作成した、自家及び他家の細胞・組織製品の安全性評価基準をベースに、幹細胞由来製品に関してより具体的な評価の考え方等の作成を進める。

例えば、採取時に幹細胞であることを見分けるための適切な指標、組織分化を確認するための適切な指標、未分化細胞を取り扱う観点からの必要な安全性評価項目の検討などを行い、評価基準のより一層の明確化を図る。

## 平成21年度以降

### iPS細胞を分化誘導して得た細胞・組織加工製品の品質及び安全性の確保のあり方の検討



## 制度的枠組みの検討

制度的枠組みの検討に当たっては、欧米でも制度的枠組みの整備が図られているところであることから、平成21年度は、国立医薬品食品衛生研究所の研究者を中心に欧米の状況を調査することとしたい。

### 調査項目(案)

- ①臨床研究から実用化までの規制、体制、予算等
- ②関連するガイドラインとその運用
- ③医薬品と医療機器の区分等とその考え方
- ④欧米における最近の取組  
(欧州における先端医療製品のEMEAによる中央審査など)

## 再生・細胞治療における共同での診療（21年度措置）議論のたたき台

自家細胞の培養・加工を他の医療機関において行う場合について、医療機関に存在する懸念を解消するため、再生・細胞治療における細胞採取、培養・加工、投与というプロセスを、依頼医療機関と加工医療機関の共同での診療（1人の患者に対して、複数の医療機関が共同で医療を提供する形をとること）として行う場合について下記に掲げる事項を検討してはどうか。

（1）加工医療機関に設置されるCPCの施設基準について

- ・ 他の医療機関からの依頼により細胞の加工・培養を行う上で、加工・培養を行う「量」「品質管理」の点から、特に注意すべき各技術の共通項としてはどのようなものが考えられるか。

（2）加工医療機関に設置されるCPCの人員基準について

- ・ 他の医療機関からの依頼により細胞の加工・培養を行う上で、加工・培養を行う「量」「品質管理」の点から、特に注意すべき各技術の共通項としてはどのようなものが考えられるか。
- ・ CPCの職員として、最低限身につけていなければならない共通項としてはどのようなものが考えられるか、それについて加工医療機関では研修を行う形が望ましいのではないか。

（3）共同での診療を行う上での安全対策について

- ・ 依頼医療機関の医師が加工医療機関の情報を得られることが必要。
- ・ 担当者ごとに加工技術が異ならないような工夫が必要。
- ・ 出荷・配送についてどのような方法を講じるのが望ましいか。
- ・ 記録はどこまで取ることが望ましいか。

（4）倫理について

- ・ 倫理審査やインフォームドコンセントの在り方についてはどの程度考慮することが望ましいか。

（5）結果の公開について

- ・ 加工医療機関の質の向上を図るため、依頼医療機関が依頼する上での考慮材料とするため、患者が安心して治療を受けられるようにするため、結果公開はどのような形が望ましいか。

※ なお、上記の点について医療機関CPCの実態調査を行うこととしたい。