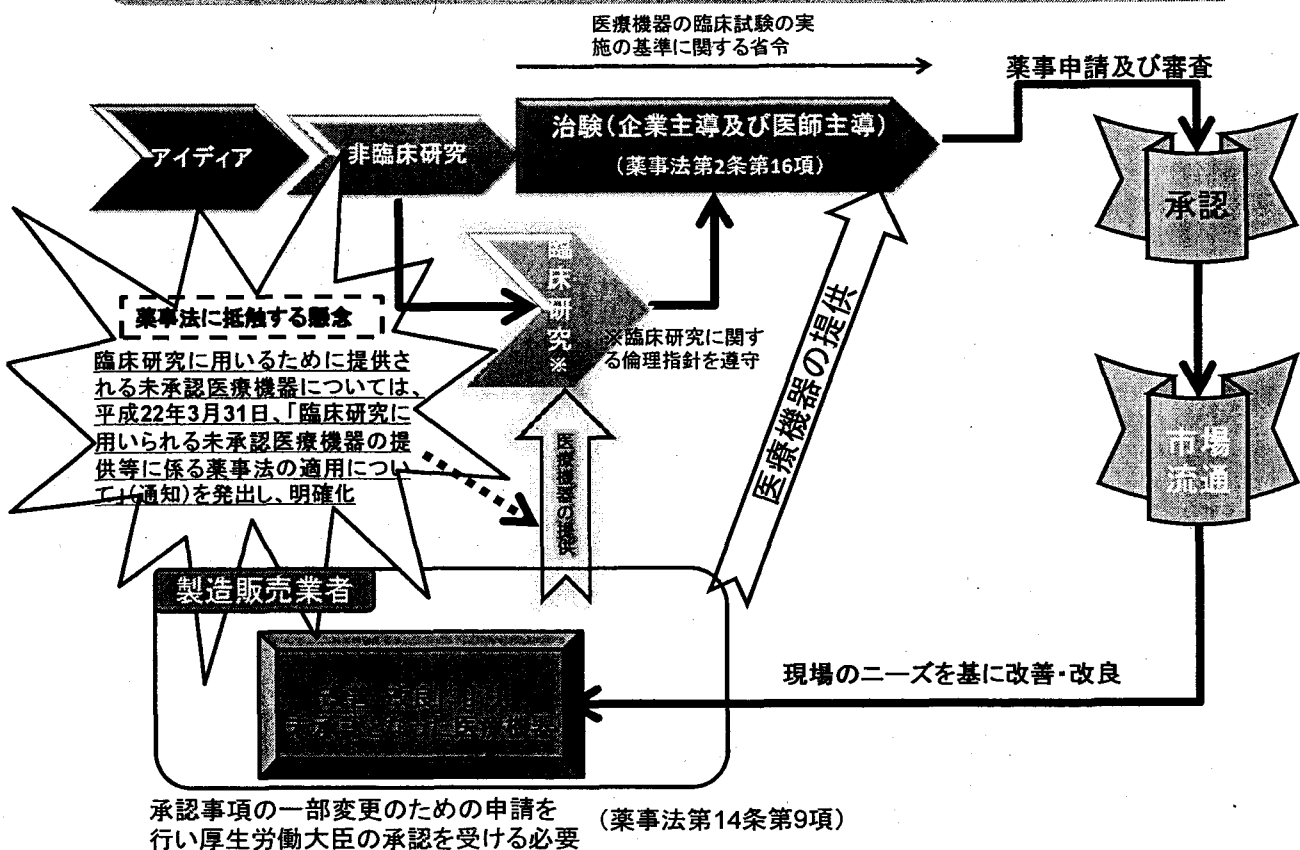


制度面から見た開発支援策について

- ・ 希少疾病用医薬品・医療機器支援制度
 - 助成金の支給
 - 医薬品医療機器総合機構による優先的な助言、審査
 - 税制上の優遇
 - 再審査期間の延長
- ・ 治験の推進
 - 新たな治験活性化5カ年計画
 - ・ 中核病院・拠点医療機関の体制整備
 - ・ 治験・臨床研究を実施する人材育成
 - ・ 国民への普及啓発と治験・臨床研究への参加の促進
 - ・ 治験の効率的実施及び企業負担の軽減
- ・ 医薬品医療機器総合機構による対面助言業務
 - ・ 新医薬品の治験相談（各種）
 - ・ 医療機器・体外診断用医薬品の治験相談（各種）
 - ・ 医薬品事前評価相談（各種）
 - ・ 新医薬品のファーマコゲノミクス・バイオマーカー相談
 - ・ 細胞・組織利用製品の治験相談 等

医療機器開発における未承認品の提供について



各国再生・細胞医療製品に関する主な制度比較

	厚生労働省/PMDA	米国食品医薬品庁 (FDA)	欧州医薬品庁 ^{※1} (EMA)
品目毎の製造販売承認 ^{※2} (自己・同種とも)	○ 医薬品 又は医療機器	○ 生物製剤 又は医療機器	○ 医薬品
治験、臨床研究のGCPへの適合	薬事承認に用いるもの：○ その他のもの：×	原則全ての臨床研究に適用	同左
事前相談制度 開発支援制度	△ PMDAによる治験相談 (試験計画等の相談) 臨床研究段階での相談制度なし	○ 臨床試験の各段階における相談等で、開発支援に向けた相談も行われている	○ 各国政府による再生医療製品等の開発支援を目的とした相談制度など

PMDA: 医薬品医療機器総合機構 GCP: 医薬品の臨床試験の実施の基準(日米欧で国際調和済み)

生物製剤: ワクチン、血液製剤、抗毒素なども含まれる

※1 EUでは医療機器は第三者認証制度となっている。※2 移植など最低限の処理しか行われていないものを除く。

11

GCP省令、ヒト幹指針、臨床研究指針の主な事項の比較

—GCPは承認申請資料に関する基準のためデータの信頼性確保がより厳密—

事項	GCP省令	ヒト幹指針	臨床研究指針
倫理委員会 [※] の設置	○	○	○
実施機関内で発生した重篤な有害事象発生時の倫理委員会への報告規定	○	○	○
インフォームドコンセント	○	○	○
監査・モニタリングの義務	○	× 必要に応じて	× 必要に応じて
監査・モニタリングの実施主体	治験依頼者 (医師主導治験の場合は、適切な者を指名)	研究機関の長	研究機関の長
資料(試験データ、倫理委員会、監査・モニタリングの記録等)の保存	・承認日、治験の中止若しくは終了の後3年を経過した日のうち、いずれか遅い日まで保存。	・総括報告書の提出から10年間保存。	・保存期間については、あらかじめ決めておく必要があるが、年限に関する規定無し。

再生・細胞医療製品の開発／承認状況

(品目リストは資料2-2)

皮膚

	自己	同種
アメリカ	1	4
韓国	2	1
ドイツ	2	—
イタリア	1	—
イギリス	1	—
オーストラリア	1	—
日本	1	—

軟骨

	自己
ドイツ	5
シンガポール	2
韓国	2
アメリカ	1
オーストラリア	1
ニュージーランド	1
オランダ	1
スウェーデン	1
スロベニア	1
デンマーク	1
EU	1

出典等：特許庁「平成20年度 特許出願技術動向調査報告書 再生医療」をもとに得られた情報を追加

13

米国における自己細胞由来 再生・細胞医療製品の審査事例(1)

カーティセル (Cartice) について

カーティセルとは、米国において承認された、自己細胞を用いた再生軟骨のこと。

—1997年8月に承認(BLA #1233) された。

・承認に際して、製造販売後臨床試験により、短期的な機能、構造・組織学上の改善が長期的な臨床上の改善につながることを確認する試験の実施が求められた。

—2000年3月に効能・効果を限定された。

効能・効果が限定

承認当初の効能・効果

重症の急性あるいは反復外傷性症候性大腿骨顆部軟骨欠損

2000年3月における効能・効果

関節鏡あるいは外科的措置(デブリードマン法、マイクロフラクチャー法、drilling/abrasion関節形成、骨軟骨移植等)不応の急性あるいは反復外傷性症候群大腿顆部軟骨欠損(内側顆、外側顆、滑車部)

注：一般的な変形性軟骨には適応がない。

米国における自己細胞由来 再生・細胞医療製品の審査事例(2)

イソラゲン・セラピー (Isolagen Therapy) について

イソラゲン・セラピーは、米国において承認申請された、自己細胞を用いたしわ治療製品。

—2009年3月にFDAへ申請

—2009年10月に諮問委員会(Advisory Committee)で審議された。

・予定されている効能に対し、安全性が示されているか、との問についての投票では、6対8で否決。

主な反対意見としては、

・安全性データが短期間過ぎる。

・生検のデータが必要 等

—現在、FDAは追加データを要求中。

プロベンジ (Provenge) について

プロベンジは、米国において承認申請された、自己細胞を用いる前立腺がんを目的とした細胞免疫治療製品。

—2006年にFDAへ申請

—2007年3月に諮問委員会(Advisory Committee)で審議された。

・委員会では、相応の有効性は示されているものの、現在のデータは決定的な有効性は確立していないとされた。

—2007年5月にFDAより、進行中の第3相試験の生存についての肯定的な中間解析又は最終解析が必要とされた。