

行政刷新会議

規制・制度改革委員会

「集中討議」

〔第3日〕平成24年11月29日（木）

＜午後＞

【ライフ（医療）分野】

再生医療の推進

14:00～16:30

内閣府 規制・制度改革担当事務局
〒100-8970 千代田区霞が関3-1-1
電話：03-5253-2111（代表）

規制・制度改革委員会 集中討議

第3日（午後） 出席者名簿

【委員会構成員】

委員長	岡	素之	住友商事株式会社相談役
委員長代理	大室	康一	三井不動産株式会社特別顧問
	安念	潤司	中央大学法科大学院教授
	市川	眞一	クレディ・スイス証券株式会社 チーフ・マーケット・ストラテジスト
	大上	二三雄	エム・アイ・コンサルティンググループ 株式会社代表取締役

【専門委員】

	阿曾沼	元博	順天堂大学客員教授 混志会がん医療グループ代表
	土屋	了介	公益財団法人がん研究会理事

【事業者等】

	戸田	雄三	一般社団法人再生医療イノベーション フォーラム会長
	大和	雅之	東京女子医科大学先端生命医学研究所 教授

目 次

ライフ（医療）分野

再生医療の推進

厚生労働省提出資料	1
再生医療イノベーションフォーラム提出資料	27
東京女子医科大学 大和教授提出資料	37
阿曾沼専門委員提出資料	58

規制・制度改革委員会
「集中討議」
再生・細胞医療の現状及び課題

平成24年11月29日
厚生労働省

再生医療について

- PS細胞など幹細胞は、再生医療への応用はもちろん、創薬への利用も期待され、医療分野に大きな革新をもたらす可能性。特に、**再生医療は根本治療や他に治療法のない疾患の治療が可能**となり、国民生活に大いに寄与。

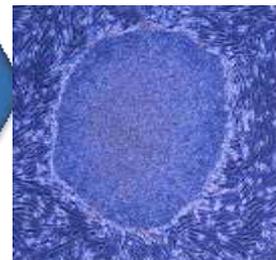
再生医療による治療

手術・投薬などの従来法では治療困難な疾患

- 脊髄損傷
- 肝硬変
- 心筋症 など

(臓器移植には、ドナー不足・免疫拒絶などの問題あり)

幹細胞は、各組織に応じた細胞に分化可能



幹細胞

組織に応じた細胞に分化



肝臓
膵臓
...



骨格筋
心筋
血液
...



神経
皮膚
...

幹細胞を用いた再生医療により治療が可能

脊髄損傷治療の例



骨髄損傷による障害等は、現在治療不可能



幹細胞で損傷した中枢神経を再生



身体機能の回復

創薬への利用も可能

- 薬剤の毒性評価や、薬剤の効能の細胞レベルでの確認、薬剤の体内での分解経路・分解スピードを評価することによる安全な投薬量の予測が可能に。
- その結果、新薬承認の合理化の可能性が生じる(動物試験の省略、臨床試験の簡素化など)。

再生・細胞医療に関する規制の現状(1)

	製品として提供される場合	診療行為・臨床研究として提供される場合	
		臨床研究として提供される場合	診療行為として提供される場合
法令等	薬事法	大臣告示(ヒト幹細胞を用いた臨床研究に関する指針)	医政局長通知(医療機関における自家細胞・組織を用いた再生・細胞医療の実施について)
細胞の採取・倫理	ドナーへの目的等の説明と文書同意、無償提供、倫理審査、適格性検査	同左	同左
再生医療用細胞等の品質・安全性	製造記録保管、汚染防止、ドナー記録等トレーサビリティを含む品質・安全性確保	同左	同左
製造施設に関する規制	<ul style="list-style-type: none"> <薬事法等> ○製造業許可制 ○GMP等による品質管理・管理者等の要件・製造設備の要件・製造品質管理 ○行政の定期的な調査による基準適合確認 	<ul style="list-style-type: none"> <医療法> ○医療施設としての規制・医師・歯科医師の監督、管理者等の要件 <ヒト幹指針> ○GMPに準拠した品質管理・管理者等の要件・製造設備(CPC含む)の要件・製造品質管理 ○定期的報告による進捗及び結果の確認 	同左
移植・投与	薬事法上の規定なし(添付文書等で個別に規定は可能)	被験者への目的等の説明と文書同意、試料、ロット番号等の情報の管理	十分な安全対策等を行う(具体的記述なし)
使用時・使用後のリスクへの対応	<ul style="list-style-type: none"> ○副作用・不具合報告義務 ○有効性・安全性の調査等義務 ○PMDAの安全性評価 ○厚生労働大臣の廃棄等命令 	<ul style="list-style-type: none"> ○重大な健康被害を厚生労働大臣に報告 ○安全性の倫理審査委員会等による評価 ○厚生労働省での安全性評価 ○厚生労働大臣からの意見 	<ul style="list-style-type: none"> ○国等への報告義務なし ○倫理審査委員会の承認 ○国等による安全性評価なし ○実施者による患者の治療や治療後のモニタリングの実施
記録の保存	<ul style="list-style-type: none"> ○特定生物由来製品又は人の血液を原料として製造される生物由来製品:出荷日から少なくとも30年間 ○上記以外の生物由来製品:出荷日から少なくとも10年間 	少なくとも10年間保存	同左

再生・細胞医療に関する規制の現状(2)

再生・細胞医療実施に当たっての審査手続きの比較

治験

治験依頼者

計画届出

医薬品医療機器総合機構で
治験計画について調査
(薬事法)

実施医療機関との契約
(契約前に治験審査委員会の承認が必要)
(GCP省令)

治験の実施
(GCP省令)

臨床研究

研究責任者
総括責任者

申請

倫理審査委員会

申請

厚生科学審議会科学技術
部会ヒト幹細胞臨床研究に
関する審査委員会
(ヒト幹指針)

了承(大臣の意見)

臨床研究の実施
(ヒト幹指針)

自由診療

手続きは特になし

自由診療の
実施

「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」

(平成18年厚生労働省告示第425号)

○ヒト幹細胞を用いる再生医療の臨床研究にかかわるすべての者が遵守すべき事項を定めた告示。(平成18年7月に制定)

- ✓ヒトiPS細胞やヒトES細胞等新しい幹細胞技術を用いた臨床研究においては、人体への影響について未知の部分もあることから、被験者の安全性及び倫理性の確保に対して盤石な体制が構築されている機関において実施されることが必要である。
- ✓さらに、実施研究機関においては、ヒト幹細胞による治療が直ちに実現する等の過剰な期待や不安を持たせるような偏った情報によって、国民が混乱を来すことがないよう、ヒト幹細胞臨床研究に係る科学的根拠に基づいた知識を得られるように情報公開を行う等の積極的な取組が求められる。

○基本原則

(有効性及び安全性の確保、倫理性の確保、被験者等のインフォームド・コンセントの確保、品質等の確認、公衆衛生上の安全の配慮、情報の公開、個人情報保護)

- ✓研究者、研究責任者、研究機関の長及び組織の代表者等の責務
- ✓研究開始には、倫理審査委員会の審査及び厚生労働大臣の意見が必要
- ✓科学技術の進歩、ヒト幹細胞の取り扱いに関する社会的情勢の変化等を勘案して、必要に応じ、見直しを行う旨規定。

ヒト幹指針への適合性が承認されている臨床研究例

番号	申請機関	研究責任者	研究課題名	大臣意見
8	慶應義塾大学医学部	坪田 一男	角膜上皮幹細胞不全症に対する培養上皮細胞シート移植	2009/1/21
10	札幌北榆病院	堀江 卓	末梢動脈疾患患者に対するG-CSF動員自家末梢血単核球細胞移植治療のランダム化比較試験	2009/5/1
15	大阪大学医学部附属病院	澤 芳樹	重症心筋症に対する自己由来細胞シート移植による新たな治療法の開発	2009/7/30
29	名古屋大学医学部附属病院	石黒 直樹	培養骨髄細胞移植の併用による骨延長術	2010/9/14
32	東京女子医科大学	安藤 智博	自己培養歯根膜細胞シートを用いた歯周組織の再建	2011/1/4
44	鳥取大学医学部附属病院	中山 敏	自己皮下脂肪組織由来細胞移植による乳癌手術後の乳房再建法の検討	2011/10/3
45	東海大学医学部	佐藤 正人	細胞シートによる関節治療を目指した臨床研究	2011/10/3
50	山口大学医学部附属病院	坂井田 功	C型肝炎ウイルスに起因する肝硬変患者に対する自己骨髄細胞投与療法の有効性と安全性に関する研究	2011/12/6

平成18年7月にヒト幹指針が制定されてから、計57件のヒト幹臨床研究の指針への適合性が認められ、実施されている。(平成24年9月時点)

再生・細胞医療の実施例

自由診療の例

美容目的の豊胸手術

皮下脂肪等から分離した自家脂肪由来幹細胞を自家皮下脂肪組織とともに乳房皮下へ移植。

美容目的の皮膚のしわ取り(肌の再生)

培養した自己皮膚由来幹細胞を皮膚のたるみの部分の皮下へ移植。

リンパ球活性化療法等



患者さんから血液を採取



リンパ球を抽出し、
薬剤等で活性化、
調製作業

点滴等で患者さんの
体内へ戻す

移植

機能の再生が目的ではないが、
細胞の調製作業が加わる

京都Bethesdaクリニックでの死亡事故の概要

2010年5月 韓国のバイオ関連会社「RNLバイオ」の協力病院として開院

診療内容: 脂肪幹細胞を特許技術で急速培養して、億単位の脂肪幹細胞を静脈経由で全身投与し、現在治療法の無い難病と言われる自己免疫疾患(慢性関節リュウマチ, 強皮症等)、虚血性疾患(Buerger病, 難治性潰瘍等)、脳神経疾患(脳梗塞、パーキンソン病等)などの治療
(京都ベデスタクリニックホームページを一部抜粋)

∞ 2011年に1万人、2015年には10万人の患者を誘致する計画

2010年9月 幹細胞治療剤の投与を受けた韓国人(73)が、肺動脈塞栓症で死亡
(2010年10月23日付け東亜日報)
幹細胞投与との因果関係は不明

2011年5月 税金滞納で、京都府により不動産が差し押さえられ、開業から1年で事実上閉院

2011年12月 中国でも2009年10月にメディカルツーリズムで幹細胞治療を受けた韓国人が死亡していたことが判明

(2011年12月6日 読売新聞)

- ✓ 国内の医療現場においては、**正規の手続きを経ず**、幹細胞の輸注、投与、移植等の所謂、再生・細胞医療と称する行為が行われ、**種々の医療事故等が発生**
- ✓ 日本が他国から幹細胞治療分野において「therapeutic haven」として利用される(既にされつつある)ことに危惧。
- ✓ 再生医療学会は、これらに関して**国民の皆さんの幹細胞治療に対する誤った認識を持たせてしまう等**に対して強い憂慮

学会会員に対して

患者の安全性の確保と早期の再生医療の適正な実用化のために**各種法令、通知、告示、ガイドライン**等を遵守し、**未認可の幹細胞を用いた医療行為**に関与しないことを求める

患者さんに対して

根拠なく所謂、「未承認の再生・細胞医療」を謳う診療行為を安易に受診せず、**治療を行う医療機関が当該治療に関して公的機関から承認されているか、もしくは臨床研究や治験の承認等を受けていることを確認した上で判断されることを推奨**

行政に対して

「未承認の再生・細胞医療」に対して医療法、薬事法等の改正等を推進し、適切な**新しい医療提供体制の構築**による患者(国民)の**安全性を早急に確保**することを強く切望

「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」について

(平成21年度～平成22年度)

1. 経緯

「規制改革推進のための第3次答申」(平成20年12月)

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。

【平成21年度措置】

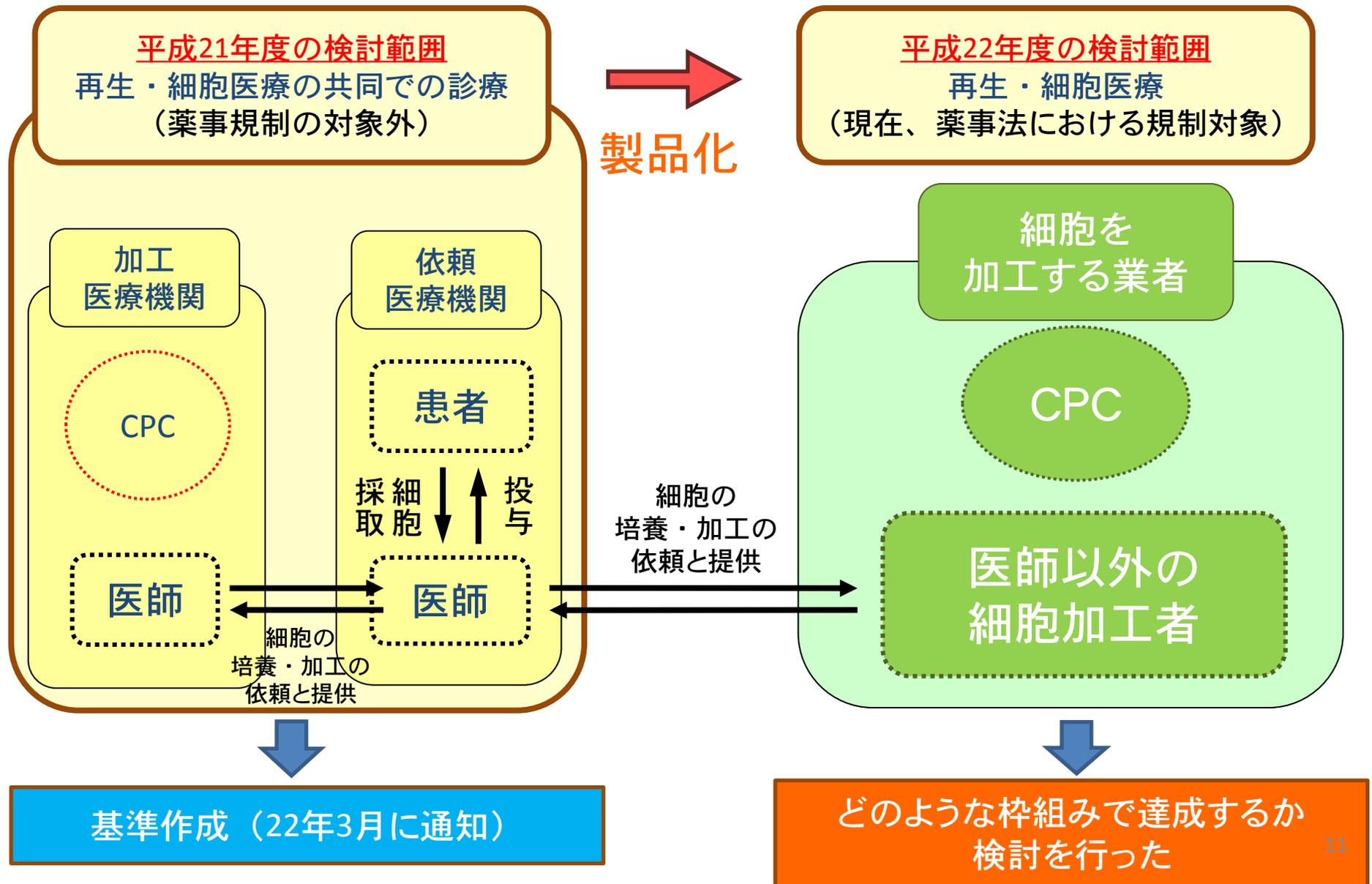
② 「再生・細胞医療にふさわしい制度を実現するため、自家細胞と他家細胞の違いや、皮膚・角膜・軟骨・免疫細胞など用途の違いを踏まえながら、現行の法制度にとらわれることなく、臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする最適な制度的枠組みについて、産学官の緊密な連携のもとに検討する場を設け、結論を得る。【平成22年度結論】

とされたところ。

2. 検討会の開催

- 上記の検討のため「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」を開催。
- 平成21年4月以降、6回にわたり検討会を開催し、平成22年2月に取りまとめを行ったところ。
⇒ その後、取りまとめを基に、通知(平成22年3月30日医政発0330第2号)を発出。
- 平成22年4月以降、再生医療に最適な制度的枠組みについて検討を行い、取りまとめを行った。

検討会での検討範囲



11

医療機関における自家細胞・組織を用いた再生・細胞医療の実施について(21年度)

平成22年3月30日付け医政局長通知

基本的な考え方

- 自家細胞・組織の加工を医療機関において実施する場合の要件を取りまとめ。
- 現段階での再生・細胞医療の実態等を踏まえ、薬事法に基づく承認取得や保険収載した上で幅広く実施される以前の段階において必要とされる要件を中心に検討。
- 薬事法に基づき有効性及び安全性が評価されていない段階では、臨床研究として実施する際の要件を定めた「ヒト幹細胞に用いる臨床研究に関する指針」と同等の安全対策等を講じる必要がある。

再生・細胞医療を1つの医療機関で実施する場合の要件

- 医療機関において、倫理審査委員会を開催し、製造・品質管理等に関する手順書や搬送方法等の審査を行うこと。
- 再生・細胞医療に携わる複数の医療関係者が、カンファレンス等を開催し、診療情報を共有した上で実施すること。
- 細胞加工施設は、交差汚染を防ぐための必要な措置を講じること、安全キャビネット、モニタリング用機器など必要な設備を有すること。
- 評価療養の対象でない再生・細胞医療等は、まずは研究として実施すること。研究段階で一定の評価を得たものについては、「先進医療(高度医療評価制度を含む)」等の評価療養の枠組みの中で、一定のルールの下、有効性および安全性について更なる評価を実施。

複数の医療機関が共同で実施する場合の要件

- 倫理審査委員会は、各々の医療機関が固有のものを設置。お互いの倫理審査委員会で行われた議論の内容がわかるような書面を提示するなど連携。相手側の倫理審査委員会の要請がある場合には、医療機関の関係者が出席して説明。
- 両医療機関の医師等が参加するカンファレンスを開催するなどし、診療情報を供給した上で、共同で一体として再生・細胞医療を実施。

再生・細胞医療に関する臨床研究から実用化への切れ目ない移行を
可能とする制度的枠組みについて(22年度)

1. 有効性・安全性の評価、管理のあり方について

主な議論

- 自己細胞由来製品については、品目毎に国が承認する必要はなく、製造施設を認定する制度としてはどうか。
- 自己細胞由来製品であっても細胞の性質等の変化を伴うことから、個別の品目毎に安全性と有効性を、エビデンスに基づき審査することが必要。
- 問題が起こってからでは遅いので、事前に確認すべきことは確認すべき。

結論

- 再生・細胞医療製品の有効性・安全性の評価、管理については、品目毎に、行政による承認審査、安全対策等が必要。

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(FDA)	欧州医薬品庁(EMA)
品目毎の 製造販売承認 (自己・同種とも)	○	○	○

※欧米とも薬事関係法規に基づき、品目毎に行政機関が承認する制度

再生・細胞医療に関する臨床研究から実用化への切れ目ない移行を
 可能とする制度的枠組みについて(22年度)
 2. 質の高い製品を迅速に開発する方策について

主な項目	内 容
薬事戦略相談の創設	研究者・ベンチャー企業が受けやすい、開発初期からのPMDAによる助言・相談制度の創設。
確認申請の廃止	臨床試験実施前の品質・安全性の確認制度は廃止。開発初期から相談制度を通じて問題点等を整理。
再生・細胞医療製品の特性にあった評価指針の作成	再生・細胞医療製品は、既存の基準や評価を当てはめることが困難な場合があり、評価指針の作成を迅速に進めていくことが必要。
開発支援	再生・細胞医療製品について、希少疾病用医薬品・医療機器の指定要件の柔軟な運用を行う。
審査の質の向上等	学会との協力等により医薬品医療機器総合機構の審査官の質やサービスの向上を図る。
臨床研究・治験促進策	出口を見据えた開発を行うことが重要。そのために、費用面での支援等により医師主導治験の更なる活用を行うことが重要。
関係学会との連携	開発状況、懸念点の把握や共有のため、関係学会と規制当局との意見交換の場を設けることが有用。



2. 再生医療に係る薬事法改正の方向性

- iPS細胞等による再生医療研究の進展に対応し、医療での実用化を円滑に進める施策が講じられる。
- 従来の医薬品・医療機器と異なる再生医療製剤の特性を踏まえた安全性と倫理性の確保を通じ、国民の安全・安心を実現することが重要。
- 再生医療の迅速な実用化に対応できるよう、再生医療製剤の特性を踏まえた規制・制度を設けるため、次期通常国会に薬事法改正案を提出することを目指す。

【検討中の改正事項】

1. 医薬品や医療機器とは別に再生医療製剤を独立に扱う

- ・ 再生医療製剤の定義を薬事法に置き、再生医療製剤の特性を踏まえた承認、市販後の対策等を行う。

2. 再生医療製剤の早期の実用化に対応した承認制度等

- ・ 品質が不均一である再生医療製剤に対応し、有効性が示唆され、安全性を確認できれば、特別に早期に承認できる仕組みを導入する。
- ・ その場合、承認後に有効性、安全性を改めて検証する。

3. 市販後の安全性、倫理性の確保

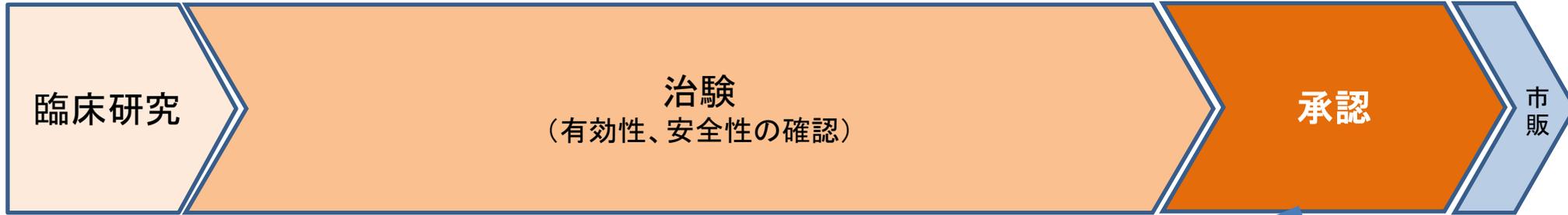
- ・ 再生医療製剤の特性を踏まえた品質の管理を行う。
- ・ 患者にリスクを説明し同意を得、市販後の安全対策を講じる。

※これらの内容は現段階で検討中のものであり、今後変更する可能性がある。

再生医療製品の実用化に対応した承認制度（イメージ）

※これらの内容は現段階で検討中のものであり、今後変更する可能性がある。

従来の承認までの道筋



再生医療製品の早期の実用化に対応した承認制度等



✓規制・制度改革に係る対処方針

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引き続き検討し、結論を得る。その際、細胞治療・再生医療の特性を考慮しつつ、製品の開発や承認審査をいかに効率的に進めるかという観点も視野に入れた検討を進める。

✓実施状況

平成22年度の「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」において検討を行い、平成23年3月30日に、報告書(「再生・細胞医療に関する臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする制度的枠組みについて」)を取りまとめ、通知により周知を図った。

報告書に基づき、優れたシーズを実用化につなげることができるよう、アカデミア・ベンチャー等を対象とした医薬品・医療機器開発に関する相談に応じるための薬事戦略相談を、平成23年7月1日より開始したところ。平成24年3月1日現在までの申込み数は、事前面談115件(うち再生医療関係46件)、対面助言36件(うち再生医療関係10件)。

厚生科学審議会科学技術部会

再生医療の安全性確保と推進に関する専門委員会

【主旨】

再生医療は、患者（国民）の期待が高いが、関係法令などが必ずしも十分整理されておらず、再生医療の実用化に際しての安全性等に課題があるため、再生医療の安全性等を確保するための枠組みについて検討

【主な検討項目】

医療として提供される再生医療について、安全性等を十分確保しつつ、実用化を推進するための仕組み

【構成員】

位田 隆一	同志社大学大学院グローバル・スタディーズ研究科 特別客員教授
伊藤 たてお	日本難病・疾病団体協議会代表
今村 定臣	(社)日本医師会常任理事
澤 芳樹	大阪大学大学院医学系研究科 教授
辰井 聡子	立教大学大学院法務研究科 教授
◎ 永井 良三	自治医科大学長
中畑 龍俊	京都大学iPS細胞研究所 副所長
○ 西川 伸一	(独)理化学研究所発生・再生科学総合研究センター 副センター長
野村 由美子	中日新聞社編集局整理部 記者
花井 十伍	全国薬害被害者団体連絡協議会代表世話人 (大阪H I V薬害訴訟原告団代表)
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
町野 朔	上智大学生命倫理研究所 教授
松田 譲	協和発酵キリン(株)相談役
宮田 満	日経B P社特命編集委員

(敬称略)

◎：委員長

○：委員長

代理

【スケジュール】

第1回（9月26日）

再生医療の現状と課題

第2回（11月16日）

第3回（12月14日）

以降、1～2ヶ月に1回開催、平成25年夏めどに、「再生医療の安全性確保のための枠組み」について、取りまとめを目指す。

新医薬品・医療機器の創出(薬事戦略相談事業)

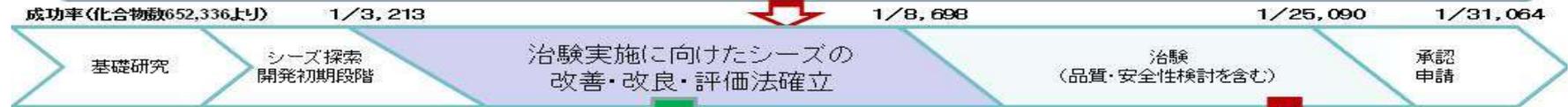
キャッチフレーズ 「薬事戦略相談を導入し、日本発の革新的医薬品・医療機器の創出につなげる」

(事業概要)

日本発シーズの実用化に向けた医薬品・医療機器薬事戦略相談推進事業



アカデミア、ベンチャー等において優れたシーズが発見されても、これを改善・改良等して、革新的医薬品・医療機器として実用化に結びつけるためのサポート体制がない。



- 日本発シーズの実用化に向けて、官民協力が不可欠な分野
- アカデミア、ベンチャーに求められていた相談領域
- 手数料による相談業務ではアカデミア、ベンチャーの資金的基盤が脆弱なため不成立

薬事に精通した企業出身者を含む多彩な相談員の確保



● 製薬企業・医療機器企業による治験相談を対象とした事業

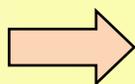
国費による薬事戦略相談の新たな体制を整備

○ 本事業は、ライフ・イノベーションにおける革新的な医薬品・医療機器開発を目指したあらゆるプロジェクトに対して、実用化を目指した適切な戦略をアドバイスするものであり、日本発の医薬品・医療機器のシーズの実用化のカギ



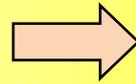
<現状>

- 革新的医薬品・医療機器の開発・実用化(申請側)
- 革新的技術に対応できる人材が不足(申請側、審査側)
- ・承認審査(審査側)に関するガイドラインや試験方法の作成・開発は、承認申請後に着手。



ドラッグ・ラグ
デバイス・ラグ

の原因



ガイドラインの早期作成・人材育成が必要

国
(厚生労働省)

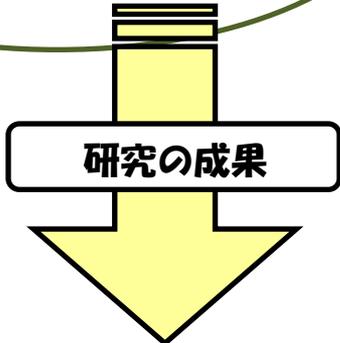


安全性等評価法の開発支援費
(ガイドラインの作成費等)




研究機関等 病院等

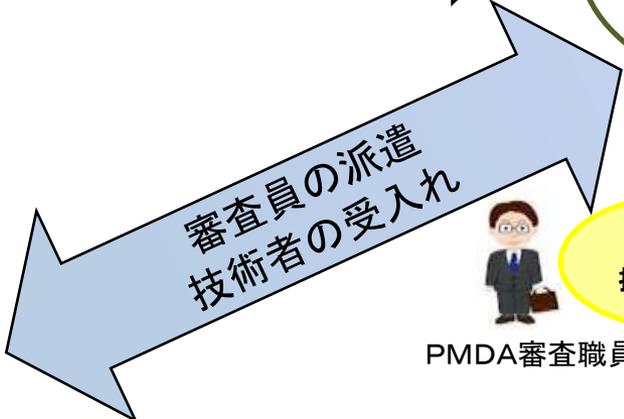
研究の成果



審査技術の向上



審査員の派遣
技術者の受入れ



革新的技術の習得



PMDA審査職員

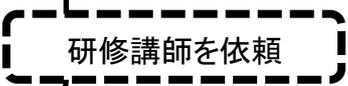


技術者



受入れた技術者が革新的技術の研修会を開催

研修講師を依頼

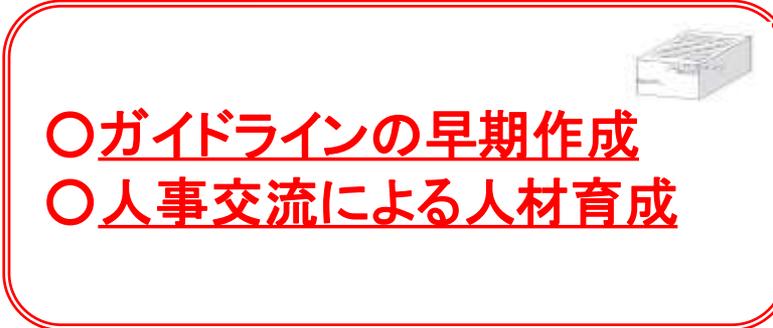


審査技術の向上

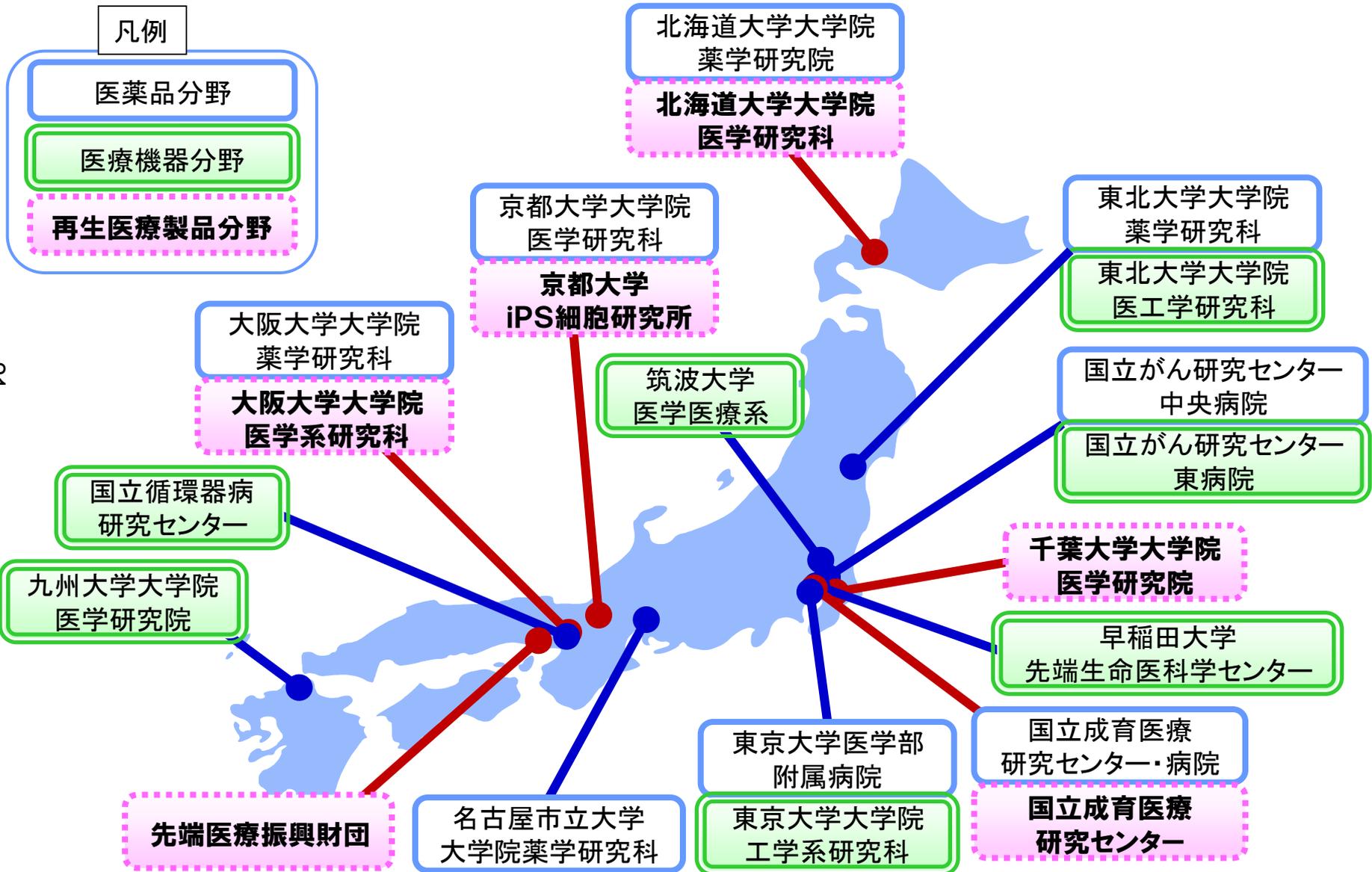


(独)医薬品医療機器総合機構

○ガイドラインの早期作成
○人事交流による人材育成



革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業



先進医療制度の現状

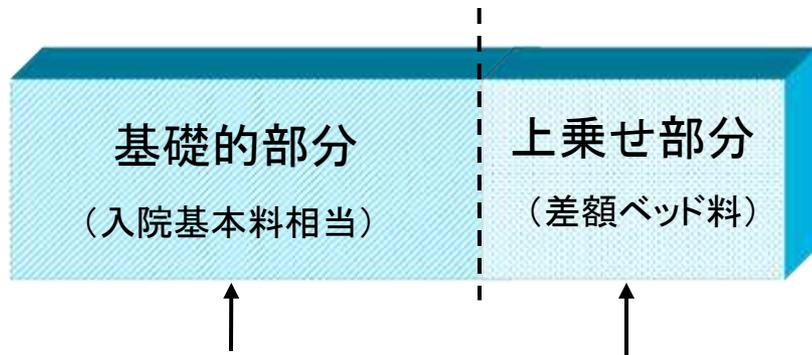
平成24年11月29日

厚生労働省

保険外併用療養費について

保険診療との併用が認められている療養
評価療養・・・保険導入のための評価を行うもの
選定療養・・・保険導入を前提としないもの

保険外併用療養費の仕組み [差額ベッドの場合]



保険外併用療養費として 医療保険で給付
患者から料金徴収可 (自由料金)

※ 保険外併用療養費においては、患者から料金徴収する際の要件(料金の掲示等)を明確に定めている。

○評価療養(7種類)

- ・ **先進医療**
- ・ 医薬品の治験に係る診療
- ・ 医療機器の治験に係る診療
- ・ 薬事法承認後で保険収載前の医薬品の使用
- ・ 薬事法承認後で保険収載前の医療機器の使用
- ・ 適応外の医薬品の使用
- ・ 適応外の医療機器の使用

○選定療養(10種類)

- ・ 特別の療養環境(差額ベッド)
- ・ 歯科の金合金等
- ・ 金属床総義歯
- ・ 予約診療
- ・ 時間外診療
- ・ 大病院の初診
- ・ 小児う触の指導管理
- ・ 大病院の再診
- ・ 180日以上入院
- ・ 制限回数を超える医療行為

先進医療制度の見直しについて

「規制・制度改革に係る対処方針」(平成22年6月18日 閣議決定)(抄)

①保険外併用療養の範囲拡大

・現在の先進医療制度よりも手続が柔軟かつ迅速な新たな仕組みを検討し、結論を得る。具体的には、例えば、再生医療等を含めた先進的な医療や、我が国では未承認又は適応外の医薬品を用いるものの海外では標準的治療として認められている療法、或いは、他に代替治療の存在しない重篤な患者に対する治験中又は臨床研究中の療法の一部について、一定の施設要件を満たす医療機関において実施する場合には、その安全性・有効性の評価を厚生労働省の外部の機関において行うこと等について検討する。

取り組み

○ 先進医療制度の手続等の見直しについては、中央社会保険医療協議会において平成22年から平成23年まで議論が行われ、以下の結論を得た。

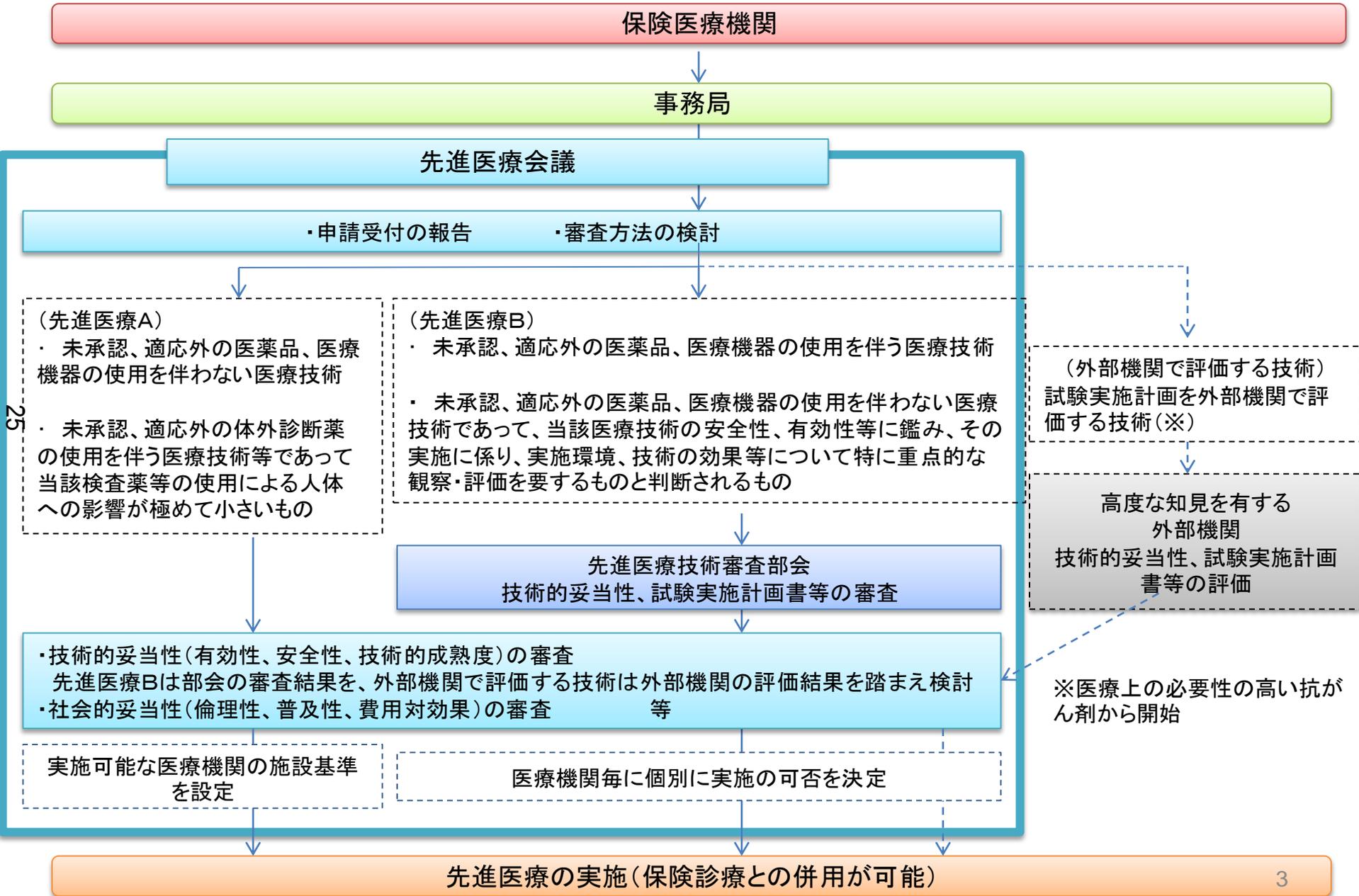
(結論の概要)

1. 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において医療上の必要性が高いとされた医薬品について、新たに、海外の実績等から一定の安全性等が確認されている抗がん剤については、開発企業の公募中等、長期間治験が見込まれない場合に、これに係る技術を先進医療の対象とする。
2. 先進医療の対象技術の申請において、国内における実績を満たさない場合であっても、申請された個々の技術や医療機関の特性に応じて、先進医療の実施を認める。
3. 現行の先進医療専門家会議及び高度医療評価会議における審査の効率化、重点化を図ること等を目的として、両会議における審査を一つの会議において行う。

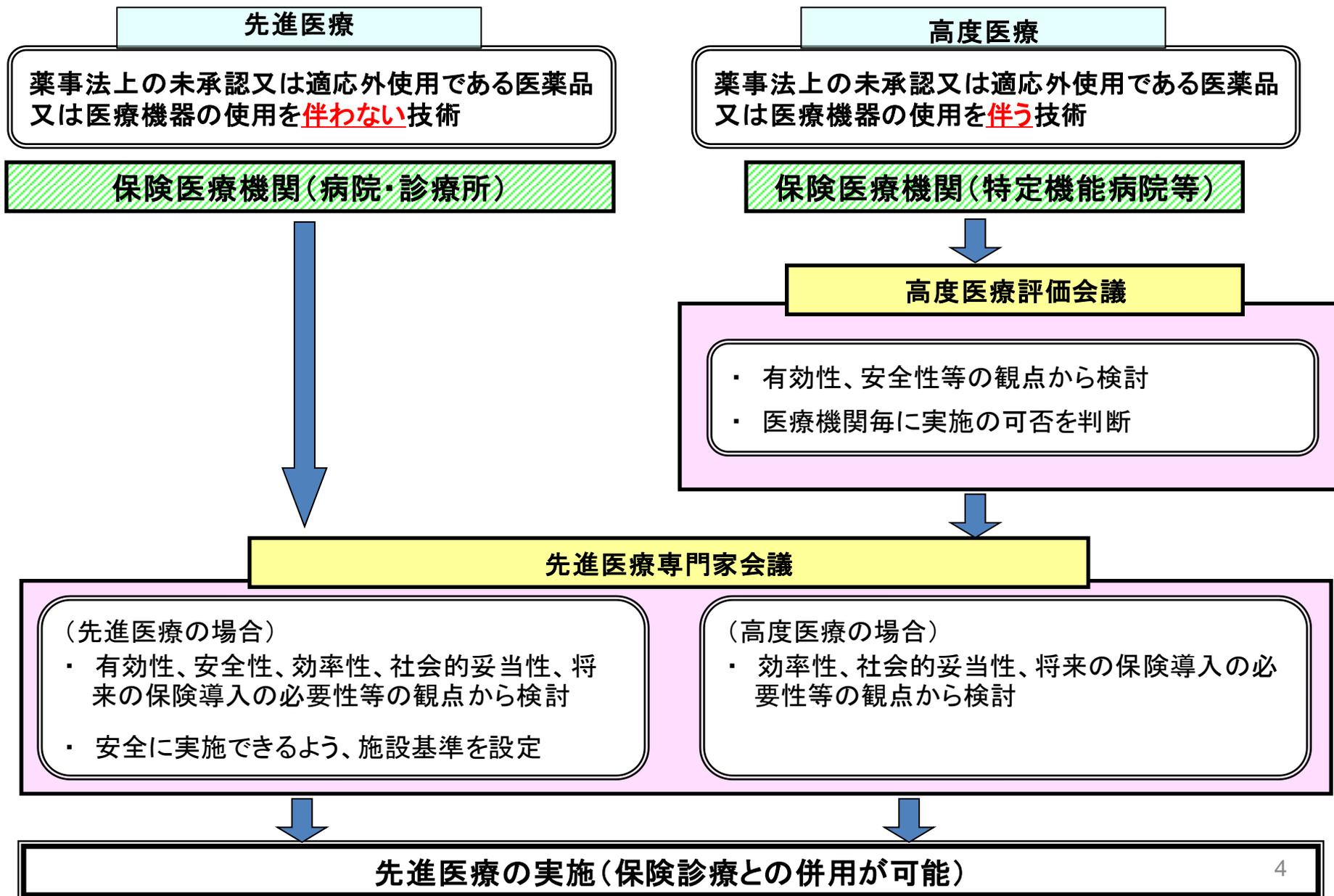
(対応の概要)

- 1については、先進医療会議において科学的評価を行った上で、実施が適当とされたものについては、既にその実施を認めている。
- 2については、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究中核病院等の高度な臨床研究が実施できる医療機関で、当該医療技術を有効かつ安全に実施できることが判明した場合には、数例以上の当該医療機関での臨床使用実績の要件を効率化することとした。
- 3については、平成24年10月1日より先進医療及び高度医療における審査を1つの会議において行う等の対応をした。
- また、新規技術の技術的妥当性、試験実施計画等の審査については、評価対象の安全性等に鑑み先進医療会議が認めた場合には、高度の知見を有する外部機関に行わせることができることとした。今後さらに、外部機関における評価の具体的な実施方法や体制等について検討する。

先進医療会議の審査の流れについて【平成24年10月1日以降】



(旧) 先進医療・高度医療の審査の流れについて



26

再生医療産業化促進への課題

平成24年11月29日

一般社団法人 再生医療イノベーションフォーラム代表理事・会長

戸田雄三

目次

1. 再生医療産業化への取り組み
2. 再生医療産業化の現状
3. 再生医療産業化の壁
4. 今後の課題

1. 再生医療産業化への取り組み

【FIRMの位置づけ】



1. 再生医療産業化への取り組み

以下の4ワーキンググループを組織して活動

- ①規制制度 ②医療経済
- ③広報 ④標準化



パネルディスカッション会場風景

【今年度の主な活動】

- 30
- 6月13日 第11回再生医療学会総会パネルディスカッション（於：パシフィコ横浜）
Challenge for Innovation「日本発の再生医療の普及に向けて」
 医療イノベーション5か年戦略を受けて再生医療普及の課題につき議論
 出席：官庁関係4名（イノベ室、文科・厚労・経産）、アカデミア4名、企業3名
 （講演の内容をまとめ冊子作成、会員・関係者に配布）
 - 9月7日 JBA/FIRM共催 再生医療セミナー1「**再生医療産業化の課題**」（於：JBA）
 講師：梅澤明弘先生（国立成育医療研究センター）他
 募集開始後直ぐに満席となる程の好評 今後1回/2ヶ月の頻度で定期開催
 - 10月12日 BioJapan2012セミナー「**再生医療の産業化に向けて**」
 講師：早川堯夫先生（近畿大学薬学部）、畠賢一郎先生（WG1リーダー・J-TEC）、
 長谷川晃先生（WG2リーダー・オリンパス）
 - 12月14日 JBA/FIRM共催 再生医療セミナー2「**iPS細胞-企業の取組み**」（於：JBA）

2. 再生医療産業化の現状

【世界の再生医療産業化の現状(2010年、一部2012年現在)】

韓国 臨床開発
「軟骨細胞」ほか
22品目

米国(8品目)
 Epicel(自家培養皮膚)
 Dermagraft(同種培養真皮)
 TransCyte(同種凍結培養真皮)
 Apligraf(同種複合型培養皮膚)
 OrCel(代替皮膚)
 Carticel(自家培養軟骨)
 Osteocel plus(同種骨)
 Provenge(自家培養細胞)

デンマーク
 Cartilink-3(自家培養軟骨細胞)

スウェーデン
 Hyalograft-C(軟骨修復用
 3Dマトリックス製品)

韓国(10品目)
 Holoderm(自家培養表皮)
 Kaloderm(培養同種ケラチノサイト)
 AutoCel(スプレー式細胞治療製品)
 Hydrograft 3D(自家培養皮膚)
 Chondron(自家培養軟骨)
 Article(自家培養軟骨)
 Ossron(自家骨)
 Hearticellgram-AM(自家骨髄幹細胞・
 Cartistem(他家臍帯血幹細胞・軟骨)
 Cupistem(自家脂肪幹細胞・痔ろう)

オランダ
 Cellactive(自家培養軟骨)

スロベニア
 ControArt(自家培養軟骨)

欧州 臨床開発
 「造血幹細胞」ほか
 23品目

米国 臨床開発
 「骨格筋芽細胞」ほか
 78品目

ベルギー
 ControCelect(自家培養軟骨)

日本(2品目)
 JACE(自家培養表皮)
 JACC(自家培養軟骨)

唯一の欧州医薬品庁
 (EMA)承認製品

イタリア
 LASERSKIN(自家培養表皮)

日本 臨床開発
 「骨格筋芽細胞」
 「骨髄幹細胞」
 2品目

ドイツ(9品目)
 Bioseed-S(自家培養表皮細胞)
 EpiDex, eurokinin(慢性外傷治療)
 Chondrotransplant(自家培養軟骨)
 CACI/MACI(自家培養軟骨)
 Bioseed-C(自家培養軟骨)
 ACI-Maix(関節軟骨コラーゲンマトリクス)
 Chondrokin(培養軟骨細胞)
 CaRe S(自家培養軟骨)
 Chondrotrarrsplant(自家培養軟骨)

シンガポール(2品目)
 Chondrotransplant
 (自家培養軟骨)
 CARTOGEN
 (自家培養軟骨)

その他 臨床開発
 「自家培養軟骨」ほか
 5品目

オーストラリア(2品目)
 Recell, CellSpray(皮膚細胞を
 利用した治療器具)
 CARTOGEN(自家培養軟骨)

*出典:平成22年度中小企業支援調査(再生・細胞医療の産業化に向けた基盤整備に関する調査)報告
 (平成23年3月 シードプランニング)

2. 再生医療産業化の現状

ヒト幹指針に適合して計画が了承された臨床研究数 : 63件

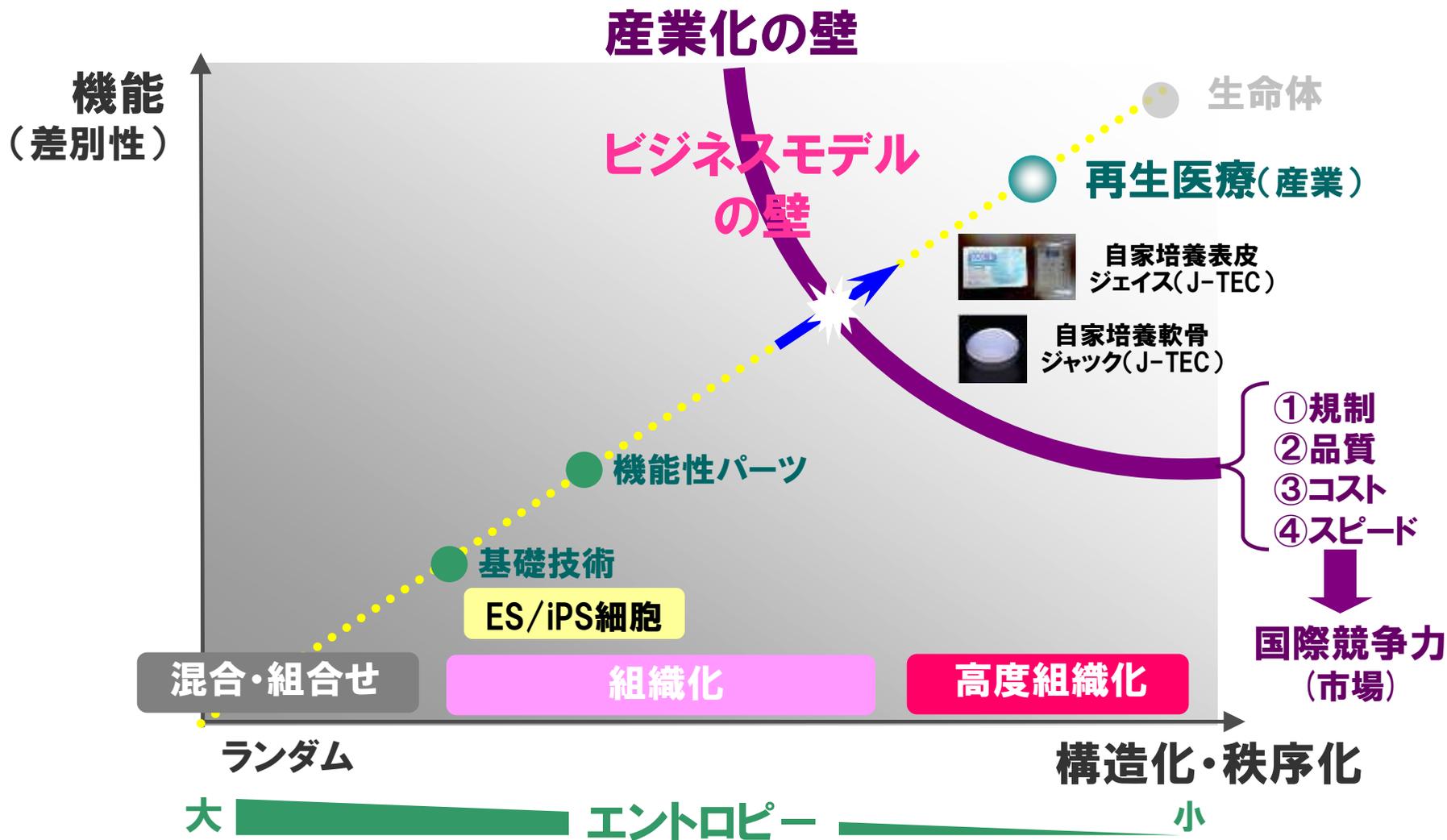
採取又は投与/適用する細胞	由来	適用	実施会社	状況	備考
① ヒ培養表皮	自己	重症熱傷 表皮水疱症へ適応拡大の予定	J-TEC	製造販売承認取得	国内初の承認
① ヒ軟骨細胞	自己	関節軟骨損傷	J-TEC	製造販売承認取得	
ヒ培養表皮・培養真皮	自己	重症熱傷	セルバンク	治験前の品質・安全性確認終了	ビーシーエスの「複合型培養皮膚」事業を承継
ヒ培養角膜上皮細胞シート	同種	角膜上皮幹細胞疲弊症(ステイアブンス・ジョンソン症候群他)	アルブラスト	治験前の品質・安全性確認終了	
ヒ角膜上皮幹細胞	自己	角膜上皮幹細胞疲弊症(ステイアブンス・ジョンソン症候群他)	J-TEC	治験前の品質・安全性確認を申請中	
③ ヒ軟骨細胞	自己	限局性の膝関節軟骨損傷	先端医療センター (神戸大学医学部附属病院と共同)	平成24年5月から 治験開始	医師主導治験
② ヒ間葉系幹細胞	同種	移植片対宿主病(GVHD)の抑制	日本ケミカルリサーチ	臨床第II/III相試験	米国オサイリス社より 技術導入 持田製薬と共同開発
② ヒ骨格筋芽細胞→ 細胞シート	自己	虚血性心疾患	テルモ	治験開始	
④ 樹状細胞	自己	がん免疫療法	麒麟麦酒 (現)協和発酵キリン	治験前の品質・安全性確認終了 (2001年10月)	現在、国内での開発は 中止 海外にて治験中

①承認 ②治験中 ③医師主導治験中 ④海外で治験中 (国立医薬品食品研究所ホームページより(一部改変))

32

3. 再生医療産業化の壁

日本の高度な技術、“ものづくり”を結集して、再生医療産業化の挑戦が為されているが、産業化の壁に阻まれて、承認された製品はJ-TECの2品目のみ

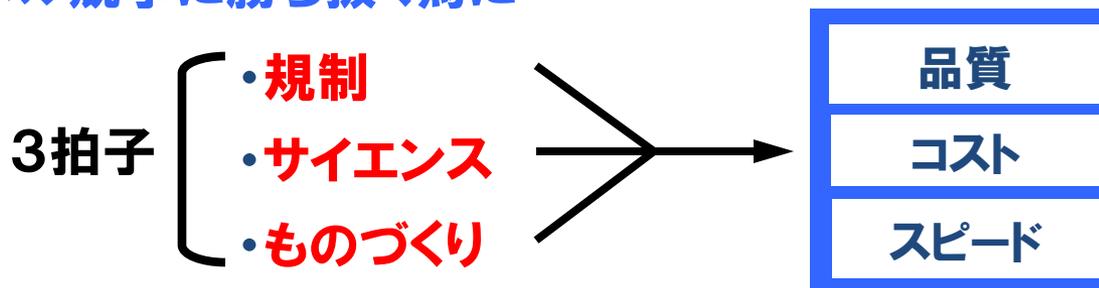


4. 今後の課題

【産業化の課題】

“サイエンスは一流、産業化は？流”

グローバル競争に勝ち抜く為に



・規制

世界標準を目指した日本発の規制（「緩和」から「適正化」）

・サイエンス

資金の「バラマキ型」から「選択と集中型」

・ものづくり(バリューチェーン)

医薬品： 医薬 [薬事法] ⇒ 医療(投与) [医師法]

再生医療： 細胞 [自家他家バンク] ⇒ 中間体 (CPC) (苗床) ⇒ 医療の現場(移植) (田植え、刈り取り)

4. 今後の課題

【「再生医療産業化」成功の鍵】

人

度胸、使命感
起業家精神



ものづくり

サイエンス
品質、コスト



JSTの役割

育成

人材・資金



規制・制度

新規・変化への
適応、国策

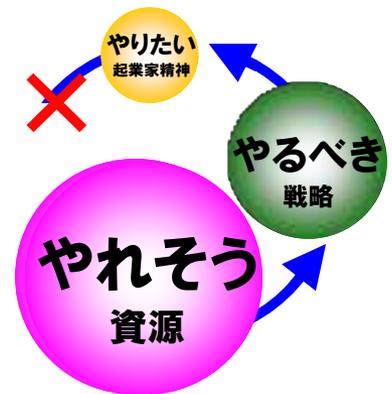


グローバル適応

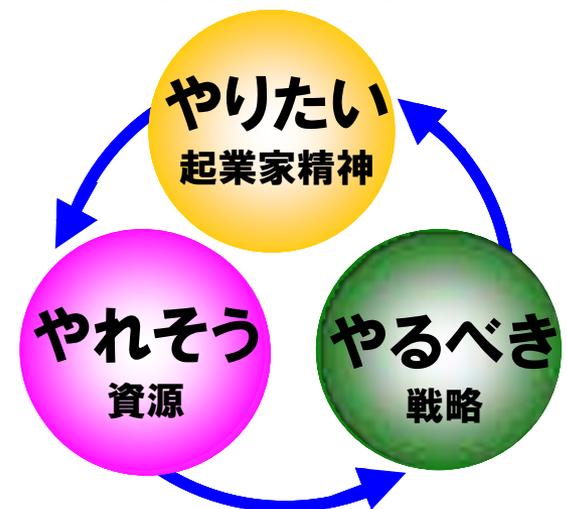
為替、政治力
柔軟性

再生医療産業化

[現状]



[成功の鍵]



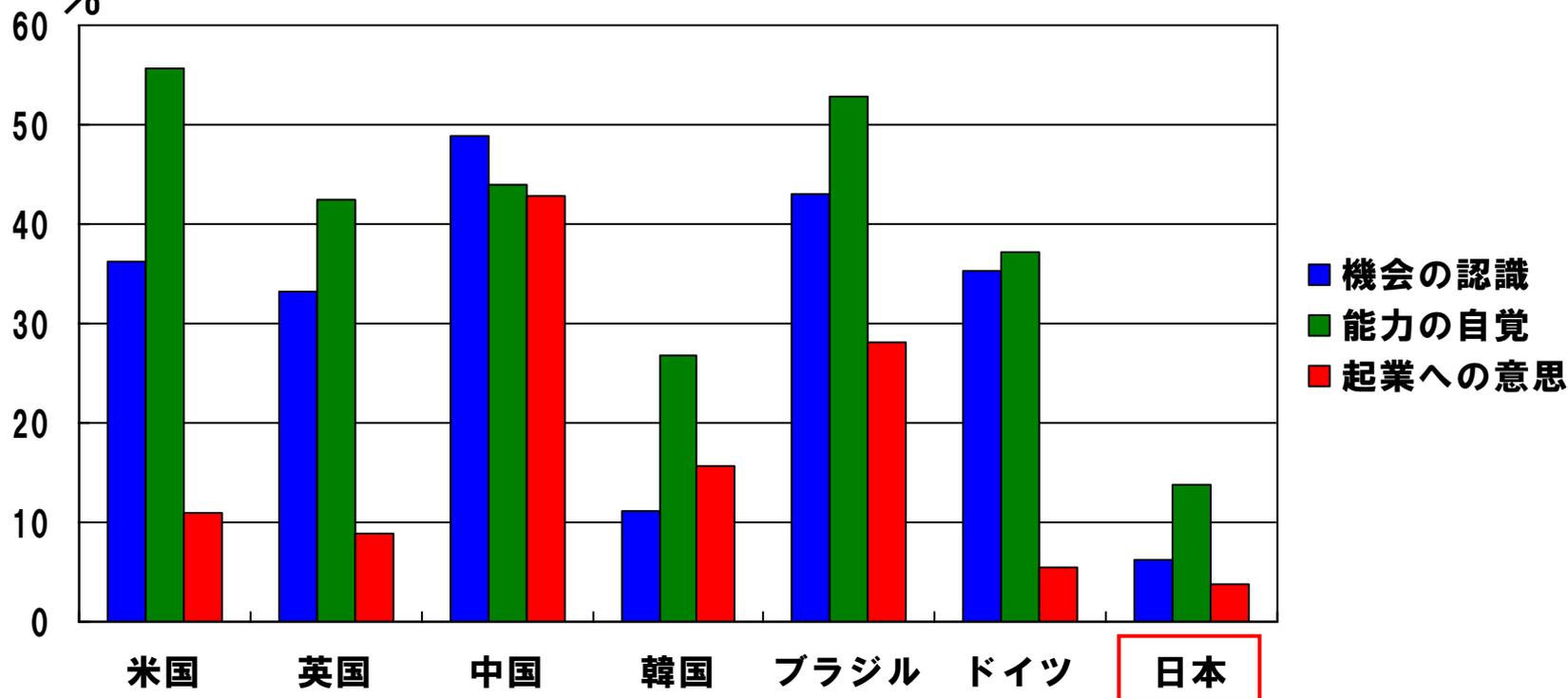
4. 今後の課題

【グローバル・アントレプレナーシップ・モニター調査結果】

起業についての意識調査（54カ国中）

- ・チャンスがある **最下位**
- ・自信がある **最下位**
- ・起業したい **52位**

％（GEMグローバル2011レポート “グローバル・アントレプレナーシップ・モニター”）



内閣府 規制・制度改革委員会「集中討議」資料

再生・細胞医療推進のために

平成24年11月29日

東京女子医科大学 先端生命医科学研究所 教授

大和 雅之

Masayuki Yamato

Tokyo Women's Medical University & Waseda University

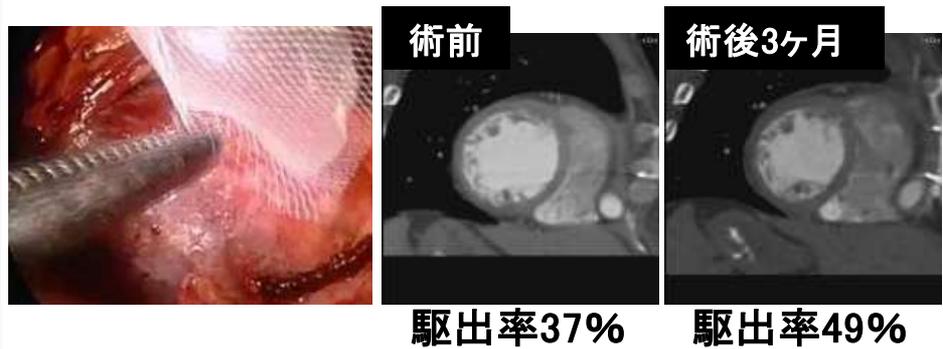
細胞シート再生治療 ①臨床研究・治験

角膜再生治療



- ・2003年 臨床研究開始(阪大)
- ・2007年 フランス治験開始(セルシード)
- ・2010年 フランス治験25例経過観察終了
- ・2011年 欧州医薬品庁に角膜シートの販売承認を申請(セルシード)

心筋再生治療



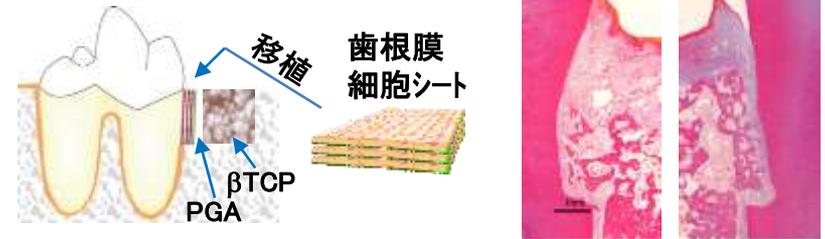
- ・2007年 臨床研究開始(阪大)
- ・2012年 治験開始(テルモ)

食道再生治療



- ・2008-2010年 臨床研究実施(10例, 東女医大)
- ・2010年 カロリンスカ医科大学との共同研究開始

歯周再生治療



- ・2011年 臨床研究開始(東女医大)

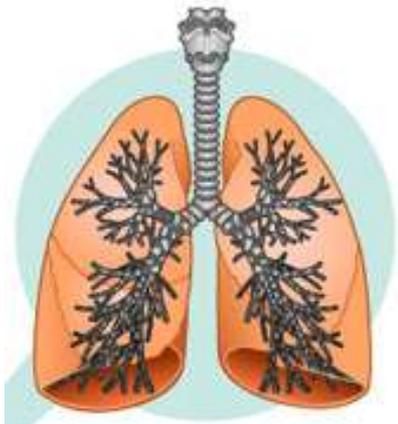
軟骨再生治療



- ・2011年 臨床研究開始(東海大)

細胞シート再生治療 ②臨床研究準備中

肺 (東京女子医大胸部外科)



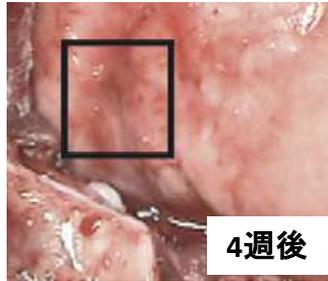
線維芽細胞シート



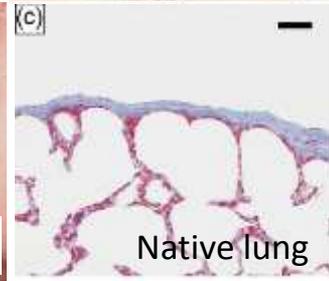
ブタ気胸モデル



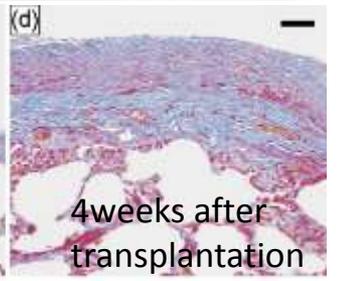
細胞シート移植直後



4週後

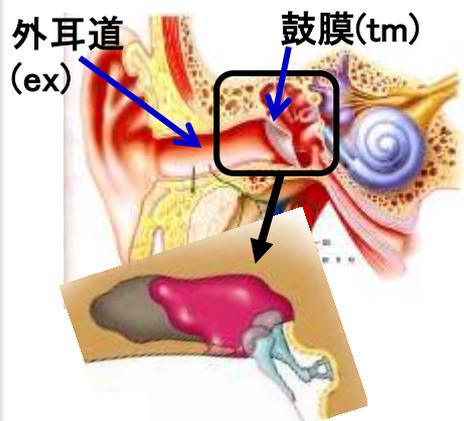


Native lung

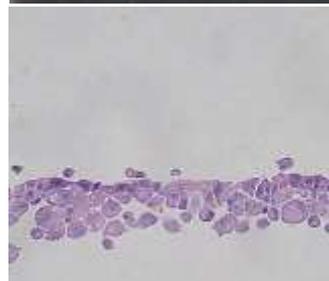


4weeks after transplantation

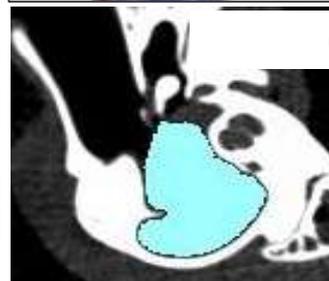
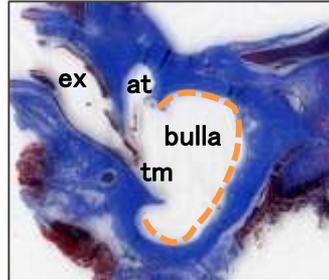
中耳 (慈恵医大耳鼻科)



鼻粘膜上皮シート



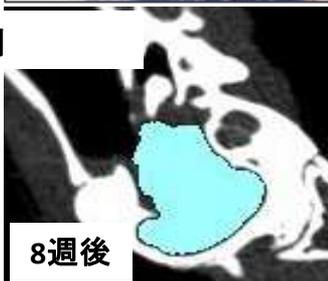
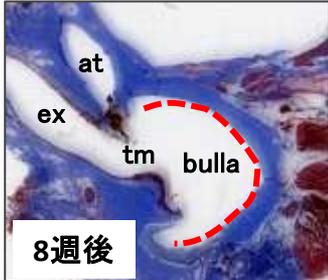
正常中耳骨胞



粘膜除去



細胞シート移植

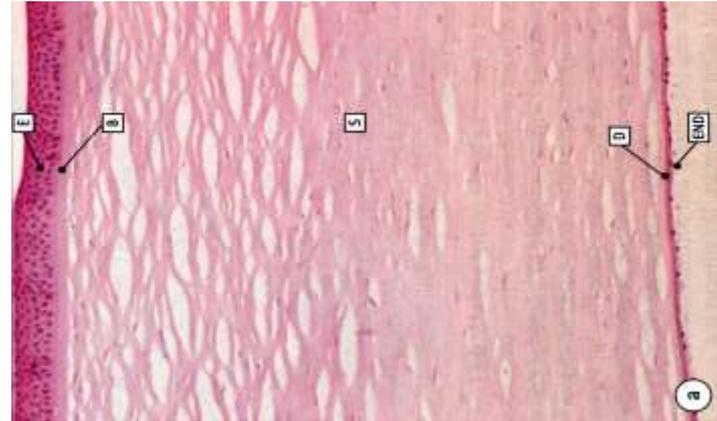
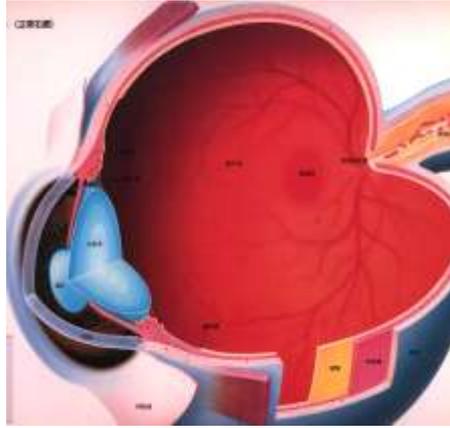


CTによる中耳腔容積計測

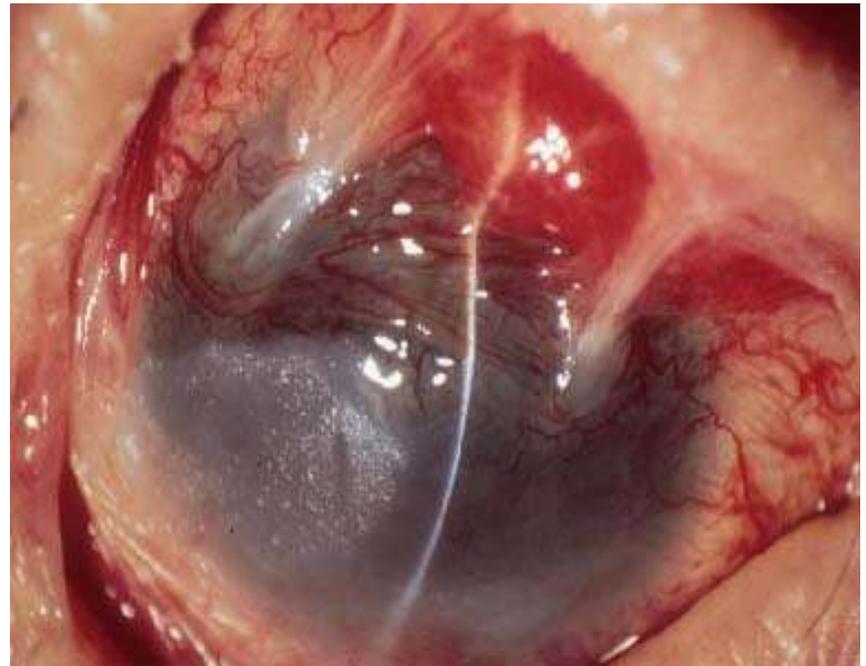
8週後

8週後

角膜上皮幹細胞疲弊症



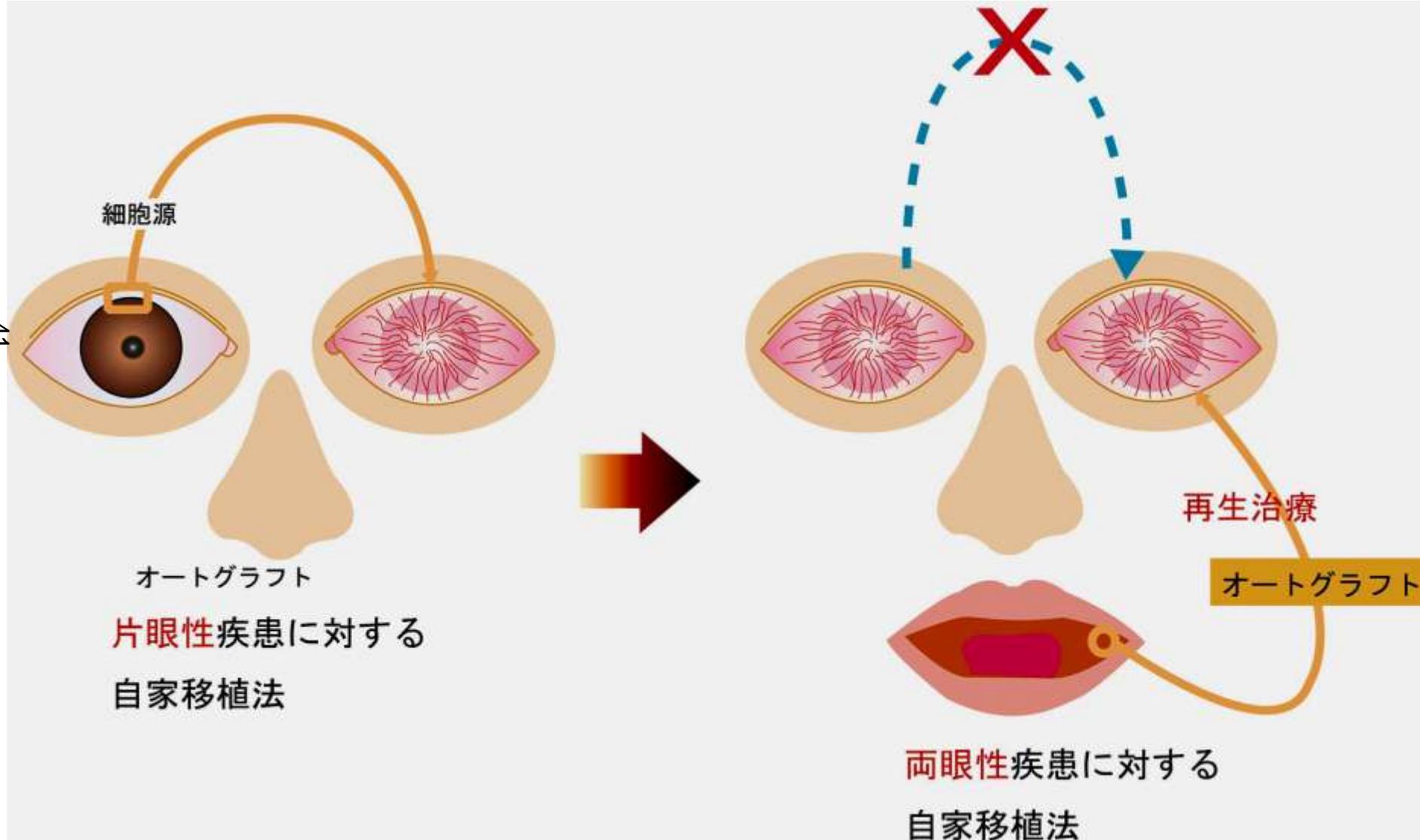
アルカリ外傷

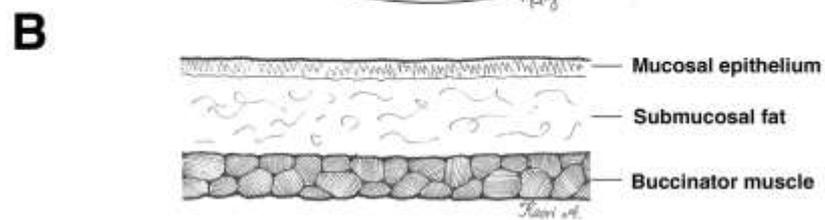
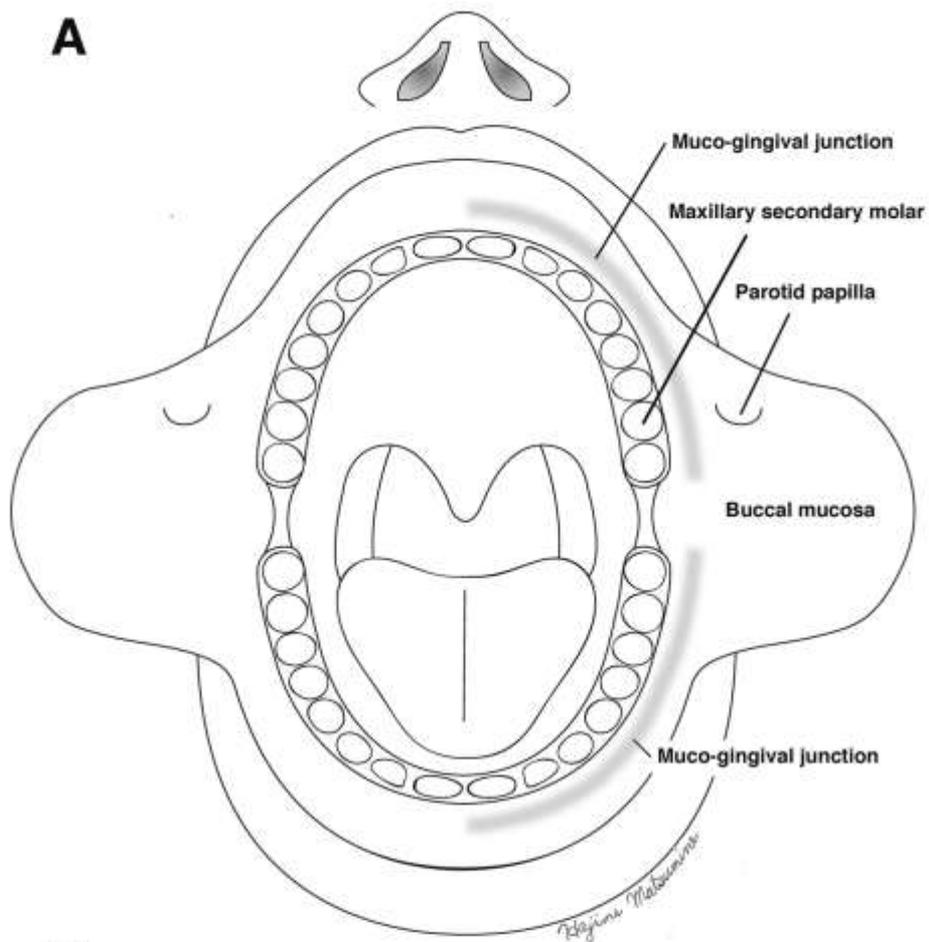


スチーブンス・ジョンソン症候群

自家細胞から作った細胞シート移植による 角膜上皮幹細胞疲弊症の再生医療的治療

41





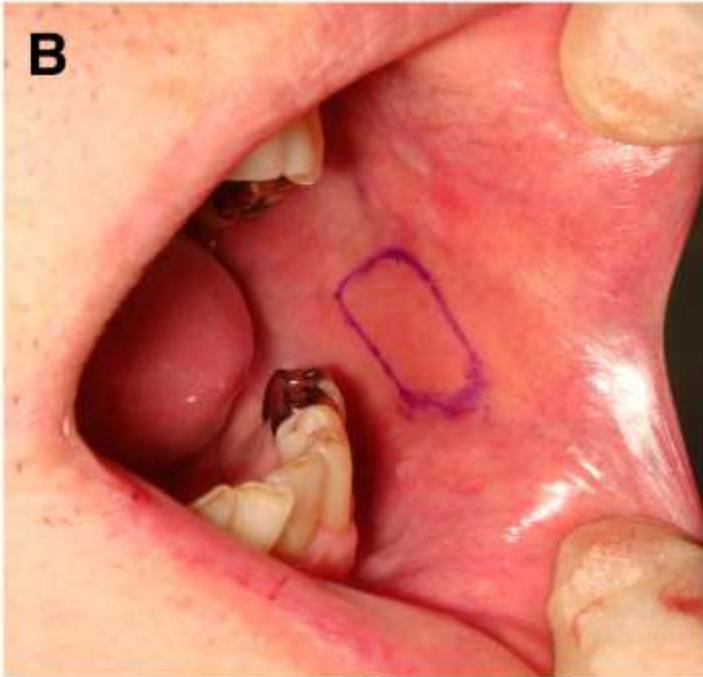
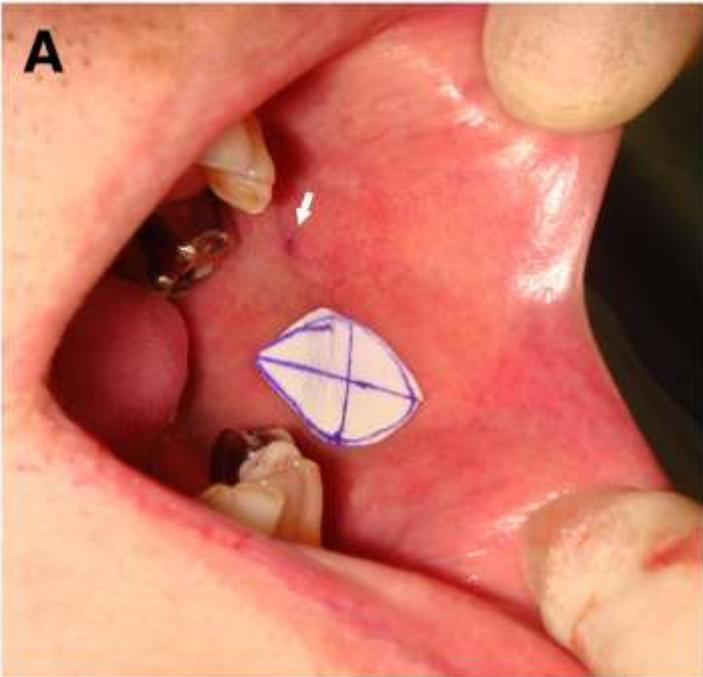


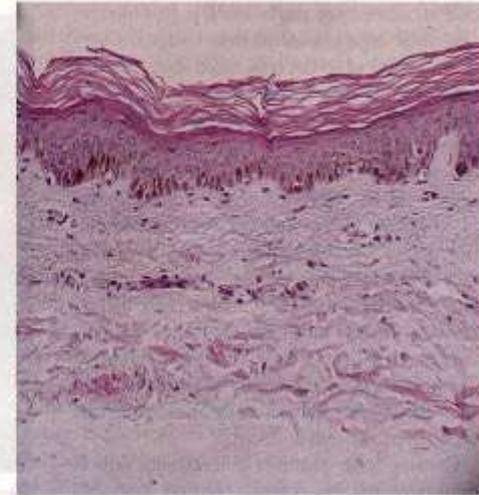
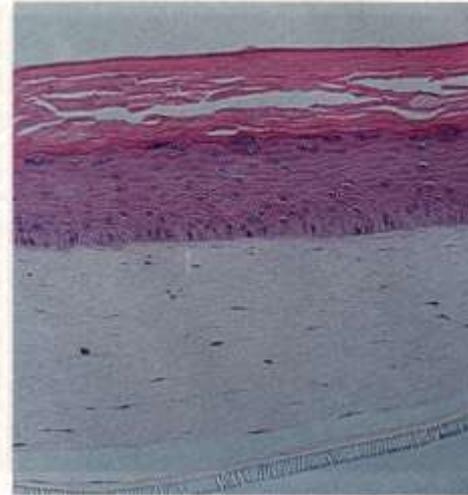
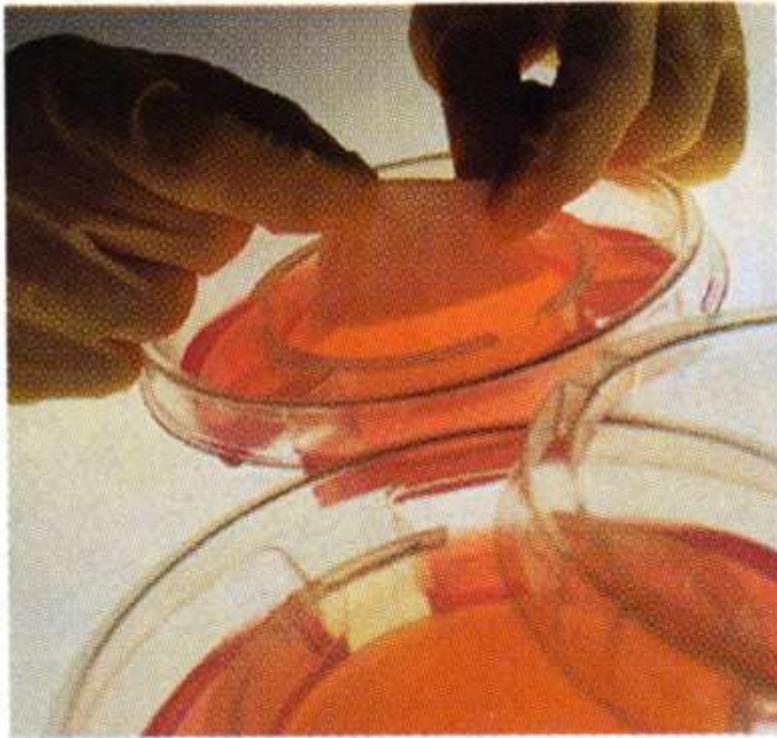
Figure 3



再生・細胞医療の推進のためには ヒト細胞の入手が不可欠

- ・ ボランティアドナーの提供は限界
- ・ 手術中に採取される余剰組織
- ・ 臓器移植法で研究目的の利用は禁止されている
- ・ ヒト組織・細胞の売買に関する制度的枠組みが必要
- ・ 他家細胞・組織加工製品の産業化には原材料（ヒト組織・細胞）の安定供給に関する制度的枠組みが必要

創傷治癒・組織修復の促進が目的 あれば他家細胞も利用可能



Cross section of Organogenesis' human skin equivalent, Graftskin (left), contains all the layers of human skin (right).

培養全層皮膚Apligraf by Organogenesis

DERMAGRAFT*

Human Fibroblast-Derived
Dermal Substitute



Heals more chronic† diabetic
foot ulcers than conventional‡
therapy alone

培養真皮 Dermagraft by Smith & Nephew



Pt. ID DG-1

Pt. Initials:

Date: 9-29-99

Study Week: 50

99 9 29



cm 1 2 3 4 5 6
PL ID DG-47-1012-1
PL Initials:
Date: 11-24-99 Study Week: 6
99 11 24

同種間葉系幹細胞移植による GvHD、急性心不全、脳梗塞の 再生医療的治療



Osiris Therapeutics Announces Positive Results in Groundbreaking Stem Cell Trial to Treat Heart Disease

Intravenous Therapy Resulted in Statistically Significant Improvement Over Placebo in Multiple Safety and Efficacy Endpoints

BALTIMORE, Mar 25, 2007 (BUSINESS WIRE) -- Osiris Therapeutics, Inc. (Nasdaq:OSIR) today announces positive six-month results in a groundbreaking clinical trial evaluating PROVACEL(TM), an adult mesenchymal stem cell (MSC) therapy for the treatment of heart disease.

In a 53-patient, double-blind, placebo-controlled study evaluating the safety and preliminary efficacy of the intravenous administration of PROVACEL, heart attack patients receiving the therapy had significantly lower rates of adverse events, such as cardiac arrhythmias, as well as significant improvements in heart, lung and overall condition. Joshua Hare M.D., the trial's lead investigator, presented the data this morning at the American College of Cardiology's Innovation in Intervention: i2 Summit.

Below is a pediatric patient with severe acute GvHD of the skin that failed to respond to multiple lines of therapy including high dose steroids and other immunosuppressants. At the time of treatment with Prochymal (left), severe skin GvHD is characterized by peeling of the skin and inflammation. At five days post treatment, the inflammation is no longer present and skin regeneration is beginning to take place. At day 18, no signs of GvHD are present.



自家皮膚線維芽細胞移植による豊齡線治療



▶ Cell Therapy

Scientific Publications

Research & Development

Cell Therapy

Fibrocell Therapy is a late stage personalized cell therapy. In the Fibrocell Science patented process, a patient's own natural fibroblasts are extracted, multiplied, purified, cryopreserved and re-injected as personalized therapy. Fibroblasts are cells that contribute to the formation of connective tissue fibers. These matrix fibers are critical to the strength and elasticity of the skin.

Broadly, the regenerative effects of fibroblasts include:

- The ability to synthesize the extracellular matrix components and, thus, to improve skin texture,
- The secretion of matrix fibers, including collagen, and
- Playing a critical role in wound healing and tissue repair.

米国では美容目的の細胞製品でも治験



治験第3相 多施設、ランダム化、二重盲検、421症例 市販後調査2700症例



Welcome

[Log In](#) [Sign Up](#)

[Home](#) [News](#) [Events](#) [PR Services](#) [IR Services](#) [SEO Services](#) [Journalist Tools](#) [Support & Education](#) [About Us](#)

Search News:

[Print](#) [Email](#)

Smart
Multimedia
Gallery



Logo



Photo
laViv(R)(azifcel-T) is the first and only personalized aesthetic cell therapy approved by the FDA. laViv(R) is



June 22, 2011 09:15 AM Eastern Daylight Time

Fibrocell Science, Inc. Announces FDA Approval for laViv® (azfidel-T)

laViv is first and only personalized aesthetic cell therapy

EXTON, Pa.--(BUSINESS WIRE)--Fibrocell Science, Inc. (OTCBB:FCSC.OB), a cell therapy company focused on the development of autologous (personalized) cell therapies for aesthetic, medical and scientific applications, announced today that the U.S. Food and Drug Administration (FDA) approved the Company's Biologics License Application for its lead product, **laViv®** (azfidel-T) late last night. **laViv** is the first and only personalized aesthetic cell therapy approved by the FDA for the improvement of the appearance of moderate to severe nasolabial fold wrinkles (smile lines) in adults. In clinical trials, **laViv** was well tolerated with the majority of adverse events being injection-site reactions that were of mild to moderate intensity and resolved within one week.

The patented technology behind **laViv** is an advanced process that extracts and multiplies a specific kind of a person's own skin cells (fibroblasts) to create **laViv**, which is then injected into the patient to improve the appearance of smile lines. In normal skin, fibroblasts are responsible for

"We are delighted to achieve this milestone with laViv and provide patients

2010. 5. 11

癌ワクチン「PROVENGE」が米国で前立腺癌対象に承認獲得

大西淳子=医学ジャーナリスト

米Dendreon社は4月29日、米食品医薬品局（FDA）が、「PROVENGE」（sipuleucel-T）を無症候性またはわずかに症状が見られる転移性でホルモン療法抵抗性の前立腺癌患者の治療に用いることを承認したと発表した。

「PROVENGE」は、患者本人から抗原提示細胞である樹状細胞を採取し、体外で培養して、前立腺癌のほとんどの発現されているたんぱく質PAP（prostatic acid phosphatase）を抗原として提示させたもの。患者に戻すと体内のT細胞がPAPを認識、これを攻撃する細胞障害性T細胞となって抗腫瘍効果を発揮する。

FDAによる承認の基盤となった3件のフェーズ3試験には計737人の患者が登録された。なかでも、512人の患者を対象とする二重盲検の多施設無作為化試験IMPACTは、この治療の生存利益を明瞭に示した。

再生・細胞医療は 医薬品や医療機器とかなり異なる？

- ・再生・細胞医療における細胞加工は手術手技と似ている？ 特に自家細胞を用いる場合
- ・移植法に対応する再生・細胞医療法が必要？
- ・欧米の規制にとらわれる必要は必ずしもない
- ・加工の程度、移植部位等に応じた適切な判断が必要
- ・自由診療だからといって、野放しでよいのか？
- ・医療として行うなら安全性と有効性の検証は必要
- ・条件付き承認と市販後臨床評価

短期的には既存規制の運用に工夫

中長期的には法改正を含む
抜本的な規制改正

混合診療

皆保険制度

移植法

ヒト組織の売買

cf. Agence de la Biomedicine

移植医療、生殖医療

再生医療、遺伝子医療

決して 再生・細胞医療ラグを
生まない為の問題提起

過度な事前規制偏重から
事後規制重視へのシフトを

平成24年11月29日

順天堂大学 客員教授

阿曾沼 元博

(混志会がん医療グループ 代表)

▶ 規制改革でぶれずに主張してきたこと

再生・細胞医療ラグの発生防止 & 産業化の促進

- 現行薬事法が「再生・細胞医療」を想定していない事の確認
- 「製造」と「調整・加工」の業態は分けて考えるべきであること
- 細胞培養工程は「医療の一環である」ことの確認
- 従って「医療法の下での細胞培養の受委託」は可能の確認
- 細胞培養プロセスの管理は本来医師業務の範疇を超えていること
- 医療機関からの培養外部委託を認めるべきであること
- 医療機関外（企業等）への委託も可能とすべきであること
- 企業に培養委託する場合、医療法・政令業務の範疇で実施
- その場合、細胞培養加工業法を制定すべきであること
- 産業振興の観点では、規制のHarmonizationが必要であること
- Harmonizationの規範策定はJapan Initiativeであるべきこと
- その為には薬事法の改正が必要であること
- 当面は医療法 & 薬事法のダブルスタンダードが望ましいこと

改革論議の原点を確認する

規制改革会議と厚生労働省との議論 自家細胞を用いた医療の当該検討会が出来た流れ

規制改革会議での主張(2007年～2008年での議論)

- 薬事法は、人=万人(不特定多数)に対する治療や処置を対象としており 帰属上の一身専属性(患者本人を特定し治療等を行う)を有する 自家細胞を用いた再生・細胞医療は現行の薬事法が想定していない
- 反復製造するという文言のみが、薬事法対象という根拠では納得できず、薬においても医師の指示により 患者を特定した調整(調剤)後の物は薬事対象外となる!
- 医薬品(合成化合物等)を不特定多数の人を対象に有効性や安全性を担保する仕組みと、自家細胞を用いた再生・細胞医療の有効性や安全性を担保する仕組みはおのずと違う
- 再生・細胞医療における 自家細胞培養は医療行為の一環であり、それを外部委託することは薬事法違反に当たらない(医療法枠内)

自己由来加工細胞は **医薬品** 医療機器 にあらず

医薬品と自己由来加工細胞との対比

	医薬品・医療機器	自己由来加工細胞
製造(加工)指図者	企業	医師
対象者	不特定多数	患者自身のみ
材料の均一性	あり	なし(個体差・個体内差有)
製品(加工品)の均一性	あり	なし
所有権	企業 (売買対象になる)	患者自身 (売買の対象にならない)
流通性	あり	なし

◆H19.3.2の厚労省資料で、自家細胞を「動物を用いて行う薬理試験や毒性試験等により得られる情報は極めて限定的」「培養皮膚等の全身を介する作用を期待しないものについては有効性の評価が比較的容易なものが多い」とし、各々の特徴を踏まえた規制が必要とした点については、一定に評価に値する。

◆しかし、医薬品や医療機器などの現在の薬事法上規制対象となっている製品と比べる場合、上記の特徴に加え需要に応じた個別加工であり、厳密な意味での均一性の保障が困難で、加工行為は、医師の個別判断により個別に加工を行うオーダーメイドといえる「役務行為」と考えられる。

**自己由来加工細胞は、細胞医薬品＝医薬品&医療機器と
カテゴライズ・定義されるべきではない**

これら議論が2008年の閣議決定に繋がる

平成20年(2008年)10月24日に提言されたライフサイエンス分野の規制改革および12月22日の第3次答申により、再生・細胞医療の新たな展開が動いた

答申1

第二に、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べきである。〈平成21年度措置〉

答申2

これに加え、再生・細胞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、結論を得るべきである。〈平成22年度結論〉

この後の閣議決定を受けて……

「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」が発足
厚労省の医政局及び医薬食品局合同の事務局体制で発足した

規制改革論議での再生・細胞医療

この議論が積み残されたと理解

法的枠組の整理

ここをはっきりさせる
議論が先行した

?

薬事法

医療法

ここも再度
議論が必要である

医療法

薬事法

培養場所
細胞種別

自家細胞を用いた医療

他家細胞を用いた医療

外部機関に依頼

企業等

医療機関

医療機関内

医療機関同士の細胞培養にも課題が

医政発0330第2号 H22.3.20通知の残された課題

病院・診療所

病院・診療所

- 受入検査
- 培養・活性化
- 中間検査
- 洗浄等安全管理
- 出荷判定検査
- 保管・輸送

細胞加工施設【有】



細胞加工受託医療機関

診療情報
培養指示書
採取細胞等

加工細胞
出荷指示書
培養情報等

細胞加工施設【無】



細胞加工委託医療機関

- ✓ 診察
- ✓ 治療法決定
- ✓ 細胞等採取
- ✓ 細胞等輸送
- ✓ 加工細胞受取
- ✓ 治療(投与,移植)
- ✓ 効果判定
- ✓ 経過観察

- 施設認定をどうするか？ (将来的には、第三者認証機関の設立が望まれる)
- 技術者認定をすべき！ (関連する工業会や大学、専門学校での資格認定)
- 輸送に関する基準策定 (航空&陸送を包括した、カテゴリ-B基準準拠の策定)
- 高度医療評価制度 (先進医療活用による保険併用推進・研究促進)

そして、医療機関は当該通知を理解し、自己評価し改善しているか？

規制改革論議での再生・細胞医療

薬事法？
医療法？
両法可？

企業



医療機関

医療法

医療機関

院内ブランチホ形式
もありうる

研究機関等

薬事法？
医療法？
両法可？



安全性確保
有効性探求
経済性追求

CPCOとして果たすべきことは同じである
医療機関が全ての管理を行う事は困難
医工連携が必須⇨企業の関与が必要

再生医療枠組み検討会で委員として提言

第8回 再生医療における制度的枠組みに関する検討会(2010年6月24日)

医療法の枠内で考えると...

政令8業務に「再生・細胞加工」を加え**9業務**とする
新たに、再生・細胞加工**業法**を策定し施設認定する
(ハード、ソフト(運用)のガイドラインを策定する)

EMAのHospital Exemption & Named Patient等の考え方
より先進的な取り組みとなるはず

安全性・有効性を十分に担保し
研究促進・普及促進・ベンチャー支援・国際的優位を獲得するために!

薬事法の枠内で考えるならば...

いわゆる
条件付き承認のこと

医薬品・医療機器とは独立した新たなカテゴリーを創設し
臨床試験・第1層試験において、数例で安全性確認が出来たら
速やかに製造販売承認をし、加工プロセスを認可する制度とする
その後に、事後チェックを十分に行う体制とする
(1対1の医療、個体差・固体内差も有しており、流通性が無いのだから)

改革論議での最近の動きの確認

悪貨が良貨を駆逐しないような制度設計が必要

厚生労働省

- 再生医療の安全性確保に関する専門委員会を設置(本年8月、9月初会合)
 - ・医政発0330第2号 H22.3.20通知の残された課題を議論
 - ・医療機関におけるCPC施設基準、運用基準を議論し、ガイドラインを提示?
- 薬事法に「新たな枠組み＝再生医療分野」を創設し、「条件付き承認制度の在り方」を議論
 - ・PMDAの組織強化として科学委員会、再生医療製品等審査部の創設

経済産業省

再生・細胞医療製品等審査部とすべき
また、製品ではなく「調整品」が相応しいのでは?

- 再生医療の実用化・産業化に関する研究会を設置(本年11月中間とりまとめ)
 - ・医療機関が企業等に培養委託可能とする制度の提言を行う
 - ・医療法の枠組みでの外部委託(政令8業務)を可能とするのか?
 - ・自家細胞医療を薬事法の外出しをし、新たな法体系を考えるのか?
→先行きは不明瞭であるが、厚労省との協調が求められる

▶ 早急に実施しなくてはならないこと

「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」の答申・通知の更なる明確化

- ▶ 医療機関同士の細胞培養にやり取りに関して、加工医療機関CPCの施設ガイドラインの策定と遵守の在り方(届出制か?)策定
- ▶ 政令業務としての細胞培養委託の実施＝早期の業法の策定
 - ☞ 業法は今後の薬事法下での「再生・細胞加工業法」との整合性を考慮
- ▶ 再生・細胞医療標榜医療機関の答申遵守状況、意識調査の徹底

それと合わせ、薬事法の枠組みでの「再生・細胞医療」分野の組織拡充

- ▶ 許認可の仕組みの再構築検討とスピードアップの為の職員意識改革・人材開発
- ▶ 承認制度の確立(条件付き承認の条件とは? 品目承認、反覆製造等従来の薬事法上の考え方、言葉の定義の再定義が必要)
- ▶ 再生・細胞医療に相応しいレギュラトリーサイエンスの確立
 - ☞ 医薬品の安全性、有効性確認の呪縛からの解放されなければならない
- ▶ **Japan Initiative**の確立の為の国際的交渉力の強化

更に言えば……………

- ▶ PMDAの組織的強化
 - ☞ 厚労省1省独占法人からの独立も視野に入れる時期では
 - ☞ 国家戦略としての戦略(共管)機関としての位置づけも検討
- ▶ 薬事・再生細胞行政における責任の所在を明確化、権限の在り方検討
- ▶ 薬事法、医療法での共通基盤(施設認定、根拠(業)法、設置基準等)化の推進
- ▶ 患者救済の組織的・財政的基盤構築の在り方を再議論(PMDAとの関連等)

最後に……(1)

再生・細胞医療ラグの発生防止 & 産業化の促進の為に

- 再生・細胞医療を 患者にとって身近な医療とする為に、政府・財務省・厚労省・文科省・経産省、そして産業界が 同じ土俵で協調し、役割・責任を整理し分担しスピード感を持って取り組む事が求められています。
- 欧米では既に認可されている細胞医療品が数多くあり、我が国でも2例出ています。しかし、それが決して望ましいものではありません。認可プロセス等で、長い時間と多くの費用がかかり、結果として患者負担が高額になっています。検証し改めて価値観、基準を再生・細胞医療に相応しいものに更に変革しなくてはなりません。
- 今、行政や産業界の動きには期待が持ててきました。政治がこの動きを力強く後押しすることを期待します。政治の見識、そして国際感覚・実行力等が求められています。
- 全ての原点は医療現場にあります。医療現場があって産業があります。そして産業振興無きところに医療技術の進歩はありません。しかし、振興の礎となる市場の出口が残念ながらありません。その出口を国内外に創造する為の知恵出し、制度での支援を強く求められています。
- 議論の中で、良く欧米の例を挙げ、ああだこうだと言っている事が本当は問題なのです。Japan Initiativeの観点で考えなければなりません。再生・細胞医療の規制のあり方、産業振興のあり方を世界に示さなければなりません。

最後に……(2)

先進医療の不断の改革・拡充・柔軟化を継続

- 先進医療制度の拡充・改革が始まっているが、再生・細胞医療に相応しい承認のあり方を併せて十分に議論すべきです。
 - ☞ 先進医療Bに再生・細胞医療カテゴリーを創設し、専門家会議メンバーも別個の組織を
- 選定療養の解釈(患者の価値観に応じるもの、もしくは将来保険収載しない物等)の定義を再考し、患者要望に応じられる措置を検討すべきです(先進医療とのブリッジング)。
 - ☞ 治療回数、治療に供する枚数の制限が想定される再生・細胞医療の継続、及び制限を超える治療を選定療養の枠組みで実施可能とする
 - ☞ 先進医療で実施された技術及び治療法の中で、医療経済的な合理性判断に難はあるが、患者の要請が強い治療法を選定療養の枠組みで実施可能とする
 - ☞ その場合の保険併用の保険分の自己負担率を変える等、合理的方策も併せて検討する

臨床研究環境整備の支援拡充・継続を

- 事業仕分けでも話題となったが、早期探索&臨床研究中核機関等の臨床研究促進策の更なる充実と、施設認定のあり方の再検討を。
 - ☞ 国立及びナショナルセンター偏重から、公私イコールフィッティングでの選定へ
 - ☞ 過去の研究費投入実績に関わらず、臨床実績重視・多施設共同等、判断基準の変革を
- 臨床研究を支える、臨床統計家・医工学研究者等の育成、更にはパブリックヘルス分野の充実を支援策(教育費拡充・教育現場の創設等)の早期策定、そして実施を。