

## 資料4 骨子案に対する委員コメント

No.	委員	骨子案	意見	対応
検討会中	1	阿曾沼委員、永井委員 全体 1. 有効性・安全性の評価、管理のあり方について	制度的枠組みということを考え直すということに対してのこの委員会のいわゆる検討のプロセスもしくは考え方というものを始めに記載すべき	・「はじめに」を記載 ・1. に議論の経緯を記載
	2	阿曾沼委員 全体 1. 有効性・安全性の評価、管理のあり方について	医療法の中でできる範囲というものの拡大を制度的にどう考えるか。薬事法における新たな扱い、考えをどのように考えるのか。そういった議論の結論なり議論のプロセスがどこかで書かれるべき	1. に議論の経緯を記載
	3	土屋委員 全体	報告書に記載されたことの実効性をどう示すかが重要。(報告書をもとに策定された)制度の公表や、annual reportに関する記載をどこかに入れるべき。	「はじめに」に「なお、再生・細胞医療に関する知見・技術は日進月歩で進んでおり、本検討会での様々な意見も踏まえ、引き続き国内外の情報を収集、評価すると共に、本検討会の提言の見直しも含めフォローアップを行うことが必要である。」と記載
	4	花井委員 2. ①開発初期からのPMDAによる助言・相談制度の創設	相談初期から関与が求められている専門家について、専門性の領域、専門家の選出に際しての透明性が重要。	2. (1)に「なお、専門家が適切に選出されるよう、必要とされる専門性を考慮し、利益相反について透明性を確保することが重要である。」と記載
	5	前川委員 2. ③臨床研究・治験促進策	「治験外の臨床研究は速やかに治験または高度医療に移行し、高度医療は速やかに治験に移行することが望まれる」について、どのようにシームレスに行っていくのか、薬事戦略相談の取り組みなど、もう少し具体的に記載した方がよいのではないか。	2. (3)に「出口を見据えた開発を行うことが重要であり、高度医療のデータについても、薬事戦略相談等を利用して製品開発における位置づけを早期から明確にし、速やかな開発につなげるべきである。」と記載
	6	阿曾沼委員 2. ③臨床研究・治験促進策	医師主導治験の推進は重要。現状の課題や今後について具体的に記載して欲しい。	2. (3)に「医療機関の実施体制が不十分、費用負担が大きい等の課題があるが、実施医療機関の体制整備費、治験薬の製造、プロトコール作成、データ管理業務、治験相談等の費用を補助する等の支援、さらには研究費の拡充を行うことで、医師主導治験が更に活用される必要がある。」と記載
	7	阿曾沼委員 2. ⑤(2)ベンチャー企業支援	ベンチャー企業の支援について、具体的に記載して欲しい	2. (5)2)に「特に、再生・細胞医療製品の分野では開発初期段階は研究者やベンチャー企業が多いため、経済面等からベンチャー企業等がPMDAの相談を受けやすい制度を検討すべきである。」と記載。
8	森尾委員 全体	医療機関で実施されている再生医療の適正化を図るため、21年度とりまとめた要件を踏まえるよう検討会としても示すことが必要ではないか。	「はじめに」に「また21年度の「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」の中で、再生医療・細胞医療技術の共通的な事項として、医療機関が確保すべき要件をとりまとめており、これについても引き続き周知していくことが必要である。」と記載	
9	阿曾沼委員 1. 有効性・安全性の評価、管理のあり方について 2. (4)②評価指針の明確化	自己細胞由来、同種細胞由来などの由来による違い、あるいは、用途の違いを考慮することが必要であることを記載すべき。	2. (4)2)に「自己細胞由来製品、同種細胞由来製品といった原料となる細胞の違い、皮膚・角膜・軟骨・免疫細胞など用途の違いを踏まえながら、再生・細胞医療製品の特性も考慮した評価指標、指針・基準の明確化が必要である。」と記載し、同趣旨を1. にも記載。	
10	鈴木委員 1. 有効性・安全性の評価、管理のあり方について	医師の裁量権の範囲で行われる医療行為と製品化は区別して考えるべきで、少なくとも後者は品目毎に規制すべきという点を明記すべき。	1. に「医療行為と製品化は区別すべきで、品目の有効性・安全性等をいかに確保すべきかを考えた場合、品目毎に行政が承認等を行うことが必要」と記載。	
11	森尾委員 2. 質の高い製品を迅速に開発する方策について	最初に、「再生医療の実現化ハイウェイ」など文部科学省、経済産業省、厚生労働省が再生医療実現化のために行っている体制などを示した方がよい。	2. に「再生医療の実現化ハイウェイ」について記載。	
12	小澤委員 2. (1)開発初期からのPMDAによる助言・相談制度の創設	相談では、相談者、PMDAに加えて、専門家が同席して議論するようにし、また、議事録を作成し、議事録は出席者の同意の上で作成する。	2. (1)に「対面で相談する場合は、相談者、PMDA、関係する複数の専門家が同席して議論し、相談の議事録は仮に意見が一致しない点はその旨を記載するなどして、関係者の合意の上で作成する。」と記載。	

検討会後	13	小澤委員 森尾委員	2. (1) 開発初期からのPMDAによる助言・相談制度の創設	①PMDAの専門委員に適切な専門家がない場合は、専門委員の追加を行う必要がある ②薬事戦略相談の創設に伴って、確認申請が廃止されるが、薬事戦略相談について十分な周知期間を設けること、確認申請の廃止からの空白期間が出ないように留意すべき。	2. (1)に以下を記載。 ①再生・細胞医療製品に関しては専門家が限られる場合が想定される。相談にあたって適切な専門家がPMDAの既存の専門委員に含まれていない場合は、新たな専門委員を追加するなどの対応も必要である。 ②また、下記のように確認申請が薬事戦略相談により代替されることとなるが、スムーズな代替が行われるよう、厚生労働省は薬事戦略相談についての周知期間、確認申請廃止と薬事戦略相談事業の実施の間に空白期間が生じないように十分に留意すべきである。
	14	鈴木委員	2. (1) 開発初期からのPMDAによる助言・相談制度の創設 2. (2) 確認申請のあり方	①治験前に品質、安全性等の確認が必要なものはすべて薬事戦略相談を受けるよう周知を図るべき。 ②治験届の調査は現行法では30日となっているが、仮に支障が生じる場合は、神山委員が以前指摘されたように、調査期間を延長することも将来的に検討すべきではないか。	2. (2)に以下を記載。 ①治験開始に向け治験届が提出された際には支障なく治験実施が認められるよう、治験開始までに必要とされるデータ等について、もれなく薬事戦略相談を活用して事前に確認しておくように周知を図るべきである。治験届の際にデータ等が不足している場合は治験実施が認められないこともあらためて周知すべきである。 ②なお、治験届の調査は30日となっているが、仮に調査に支障が生じるような場合は、行政機関が保有する情報の公開に関する法律を参考に、調査期間延長について条文に加えるなどの検討も必要ではないかとの意見も出された。
	15	片倉委員	2. (4) ①相談・審査の迅速化・質の向上	国内審査の課題として、保険制度上再生医療製品は「医療機器」か「医薬品」かのどちらかに分類せざるを得ない。今までの確認申請制度の中では、入り口が医療機器であっても、確認申請終了段階では医薬品といわれた事例もある。非臨床データパッケージをそろえることに先立ち、また治験薬製造体制整備に先立ち、医療機器か医薬品かを明確にすることで、承認申請にあたってのデータ取り扱いのリスク回避ができると考えられる。従って、今後検討される相談制度の早期に、どちらの категорияに属する品目であるかを明確にするように記載していただきたい。	2. (4)1)に「我が国においても、今後の開発を支援するために、開発初期の段階から分類について相談を受け付ける相談窓口の設置を検討すべきである。」と記載
	16	鈴木委員	2. (4) ①相談・審査の迅速化・質の向上	FDAでは、再生医療製品についてバイオリジクスか医療機器に分類され、担当のセンターが決まるが、実際の相談や審査の基準は同一であり、医療機器担当のセンターと生物製剤担当のセンターが協力して行っていることを記載すべき。	2. (4)1)に「なお、複数のセンターにまたがる場合は、担当するセンターに他の関係するセンターが協力し、相談、審査にあたっている。」と記載
	17	大和委員	2. (4) ②評価指針の明確化	指針だけでなく、管理等の基準作成も必要であることを明確化すべき。	2. (4)2)の表題を「評価指針・基準等の作成・明確化」に変更。
	18	早川委員	2. (4) ②評価指針の明確化	指針、基準の運用は、合理的根拠に基づき、ケースバイケースで柔軟に対応すべき	2. (4)2)に「なお、評価指針・基準等の運用にあたっては、その時点での学問の進歩を反映した合理的根拠に基づき、ケースバイケースで柔軟に対応することが必要である。」と記載。
	19	森尾委員	2. (5) ①希少疾病用医薬品・医療機器(オーファンドラッグ・デバイス)の指定要件の柔軟な運用	開発が促進されるよう、試験研究費への助成等を拡充すべき。	2. (5)1)の表題を「希少疾病用医薬品・医療機器(オーファンドラッグ・デバイス)の指定要件の柔軟な運用等」に変更し、「さらには再生・細胞医療製品は希少疾病等を対象としたものが多いと考えられ、その開発を促進するために、希少疾病用医薬品・医療機器を開発するための試験研究費の助成金の充実などを進めていくべきである。」を追記。
	20	森尾委員	2. (6) ②関係学会との連携	PMDAのプール委員の追加、専門委員の選考のために、学会と連携して専門家の把握を行うことが重要。	2. (6)2)に「専門家の把握」を追記。