

# 対応が必要とされる再生医療製品への提言

2011.11.16

内閣官房 医療イノベーション推進室 澤 芳樹

## レギュラトリーサイエンスの充実

寄付講座や連携大学院等によってアカデミアと PMDA や国衛研との間の人事交流を行い、審査体制や臨床現場の経験を通じて人材育成とレギュラトリーサイエンス研究を充実する。

## 専門家のPMDA派遣、ガイドラインの策定

再生医療学会においては審査に協力できる専門家のプール人材リストを準備しており、早期から専門家の関与を実施し審査の迅速化を図る。さらに、厚労省と PMDA 及び再生医療学会が連携して国費で再生医療の特性を踏まえたガイドラインを策定する。すなわち、再生医療の希少性、疾患毎の重篤性（no option である）や倫理性を重視考慮して、むやみに比較試験を要求せず、多くの場合 single arm のデザインにより一定水準で安全性や有効性を評価する。疾患の重篤性によっては薬事承認を早め、市販後に臨床試験を義務付ける。場合によっては直ちに保険適用とせず、保険外併用療法を経て保険適用とする。

## 薬事戦略相談の充実と PMDA の体制強化

薬事戦略相談においても、専門メンバーの強化を図り、一層迅速化につながる体制整備をおこなう。また PMDA の審査体制については合理的で円滑な治験の実施のために 1) 審査のあらゆるステージで、疾患や研究に関する専門家の関与 2) 疾患希少性に基づく審査の弾力性 3) FDA のような審査期間の限定をはかり、再生医療製品の承認審査体制を強化する。

## 薬事法における再生医療製品の位置づけ

今後とも再生医療の特性をふまえてレギュラトリーサイエンスを推進させて、薬事法における再生医療製品を位置づけていく。

## GCP と ICH-GCP

現在の我が国における GCP は、日本特有で形式的で細かすぎる。例えば、契約症例数変更や分担医師変更等でも過剰な手間がかかる。有効性と安全性の本質を重視し、ICH-GCP との違いの議論の場を設けて、現状の GCP の問題点と改善策を検討する。

## 医師主導治験の審査体制整備

早期探索的臨床試験を推進するために、医師主導治験を積極的に行う。そのために ICH-GCP で行い、薬事戦略相談を活用しつつ、医師主導治験の特別な審査体制を整備する。さらに臨床研究中核病院が実施した高度医療について監査等の結果、ICH-GCP を満たしていれば医師主導治験と同様に薬事承認のデータとして使えるようにする。

## 培養施設と培養人員等の要件策定

現状では再生医療枠組み検討会の通知の遵守徹底が不十分である。今後は培養施設や培養人員の要件等を策定し、自由診療下の細胞治療も含めて、各機関が遵守することで安全性を確保し、医療事故が二度と起こらないようにする。

本提言の論点を本部会の報告書としてまとめて、各項目の実行をお願いします。

## 参考：第7回検討部会資料「薬事法等改正の方向性（たたき台案）」の棚卸

### 1. 医薬品等関係者の安全対策への取り組みの促進について

省略

### 2. 医療上必要性の高い医薬品等の迅速な承認等について

#### (1) 医療上必要な医薬品・医療機器の開発に対応した制度について

医療上特に必要性が高いが、企業による開発が進みにくい医薬品・医療機器について、迅速な開発を促すため、このような医薬品・医療機器を開発し、承認を取得した者に対して、当該医薬品・医療機器とは別の品目に対する優先審査権の付与等の優遇措置を検討する。

#### 【医療イノベーション推進室 提言項目】

患者数が特に少ない希少疾病用医薬品・医療機器等については、有効性安全性を十分に確認しつつ、より重点的な開発支援を検討する。

#### 【修正を要望】

本項目については、再生医療も同様に扱うべきであり「等」を追加し、対象に含めて頂きたい。また、薬事法上、有効性及び安全性の担保は重要な要件であることは認めるものの、  
医薬品と医療機器、再生医療が同様の「有効性」担保が必要かについては継続議論を進め、医療機器ならびに再生医療については安全性の担保のみとできないか判断して頂きたい。

革新的医薬品・医療機器に対する的確な相談対応や迅速な承認において、レギュラトリーサイエンスの成果の活用が不可欠であることを踏まえ、独立行政法人医薬品医療機器総合機構法に、承認審査に関わる薬事法上の基準及び関連するガイドラインの作成のための調査及び研究（レギュラトリーサイエンス）を業務として追加することを検討する。

#### 【医療イノベーション推進室 提言項目】

#### (2) 医療上必要な医薬品・医療機器へのアクセスについて

承認取得のために開発（治験）を阻害することなく、致命的な疾患や日常生活に著しい支障がある疾患であって、その医薬品等を使用する以外には治療方法がない疾患等、医療上の必要性が高い未承認の医薬品及び医療機器について、一定の条件の下、治験の参加基準に外れるなどの理由で治験に参加できない患者に対してもアクセスできる制度を検討する。

アクセス制度により、治験の進行を阻害するものではなく、その使用成績は、製造販売承認申請のための治験データとは区別されて取り扱われるべきものである。

#### 【医療イノベーション推進室 提言項目】

### (3) 医療機器等の特性を踏まえた制度

医療機器は、その種類が多岐にわたり、かつ継続的に改良・改善を重ねていくものが多数あるという特性を有することや、国際的な医療機器の品質管理の方法と整合する必要があることなどを踏まえ、改良・改善を円滑に実施しやすい制度とする。

医療機器の改良・改善等を含む製造管理・品質管理が適切に実施されていることを確認する医療機器の QMS (Quality Management System) 調査については、国際的な整合性を踏まえるとともに、調査の実効性を高めるため、特にリスクの高い医療機器等を除き、製品群ごとに調査対象をまとめることとする。また、個別製品の承認の要件として、一定期間以内にその製品が属する製品群の QMS 調査を受けることを義務づけることを検討する。

薬事法に、医療用の単体ソフトウェアを医療機器として規定し、無体物としての製造や流通に関する特性を考慮しつつ、ソフトウェアの品質・安全性を確保するために必要な取扱いの明確化について検討する。

医療機器と医薬品を組合せた製品の安全性等を担保するため、医療機器の医薬品部分又は医薬品の医療機器部分に対する製造時の品質管理上や副作用・不具合報告の取扱いの明確化について検討する。

薬事法に、医療機器の特性を踏まえた医療機器の章を追加することが可能か検討する。

#### **【医機連提言重要項目】**

本項目については医療機器産業界からの強い要望である。医薬品と医療機器の異なる特性から鑑みても、医療機器の章の追加及び名称を医薬品・医療機器法とすることの可能性を模索して頂きたい。

円滑な臨床試験の実施による開発の促進を図るために、医療機器の臨床試験実施施設のあり方について検討する。

#### **【医療イノベーション推進室 提言項目】**

### (4) 別途取り組むべき事項

細胞・組織加工製品(いわゆる再生医療製品)など、先端的技術を用いた製品の初期段階からの開発を支援するために、レギュラトリーサイエンスの充実、薬事戦略相談の強化・拡充を進める。

#### **【医療イノベーション推進室 提言項目】**

レギュラトリーサイエンスを推進し、薬事法における再生医療製品の位置付けならびに、再生医療の承認の在り方の明確化に繋げる。

レギュラトリーサイエンスに係る PMDA の人員の強化のみならず、承認審査早期からリスク管理計画を協議できる人材の育成、薬剤疫学の専門家等を育てる人材教育についても検討が必

要である。国の規制研究機関の強化やレギュラトリーサイエンス研究予算の拡充を検討し、予算の確保を図る。

優先審査については、有効性・安全性の審査をおろそかにするものではなく、難病等の領域毎に十分な審査を短期間で行うことが求められるため、審査員の増員等に努める。

**【医療イノベーション推進室 提言項目】**

オーファン制度(希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の研究開発促進制度)に基づく開発支援については、国で直接実施するのではなく、専門的な指導・助言体制を有する医薬基盤研究所の更なる充実強化及び事業費の拡充を図るとともに、医療機器に対する開発支援も一層進めるべきである。オーファン制度の対象患者数については、現在は5万人未満とされているが、PMDAの体制強化や助成金の拡充を前提に、引き続き検討する。

再生医療製品については、特に進歩し続けている段階の技術であること等を踏まえ、関係学会の専門家をもつPMDAに派遣する仕組みの構築、PMDAと関係学会が連携して再生医療に関するガイドライン策定組織を設置し、計画的にガイドラインの策定等を推進する。

**【医療イノベーション推進室 提言項目】**

厚生省とPMDAと再生医療学会が連携して、国費等で審査ガイドラインを策定し、早期から専門家が審査に関与する体制を整備する。

戦略的な臨床研究の推進は必要であり、その中でも、早期・探索的臨床試験等を推進するために、ICH-GCP水準の臨床研究を実施する臨床研究中核病院と、PMDA・厚生労働省との連携を行う。

**【医療イノベーション推進室 提言項目】**

この政策の推進によって医師主導治験は日本独特の細か過ぎるGCPからICH-GCPに移行させることが重要。同時にPMDA内においては特に薬事戦略相談を活用し、医師主導治験の審査体制も整備する。

臨床研究と治験との連続性の確保の観点から、高度医療評価制度<sup>3)</sup>のもとで、ICH-GCP水準に適合して実施されたファーストインマン試験、POC(Proof of Concept)試験については、承認申請資料として活用できるような柔軟な対応を行う。

**【医療イノベーション推進室 提言項目】**

法制化を含めた臨床研究のあり方については、平成25年7月を目処とした臨床研究指針全般の見直しの議論(厚生科学審議科学技術部会)において、引き続き検討する。

承認審査の一層の透明化と迅速化を図る観点から、定められた期間内に一定の承認手続きを終了してその時点での結果を薬事・食品衛生審議会でも審議する仕組みについては、PMDAの

体制強化を前提に検討する。

**【医療イノベーション推進室 提言項目】**

ベンチャー企業の育成という観点からも、審査料、手数料等のあり方について検討する。

**【修正を要望】**

経済的な課題については中小企業も同様である。ベンチャー企業のみならず、中小企業へも配慮をお願いしたい。

体外診断用医薬品については、機器部門で審査がされているが、コンパニオン体外診断用医薬品<sup>6)</sup>など、新たな製造品が開発されており、個別化医療を推進する観点からも、医薬品と連携した審査について検討する。

**【医療イノベーション推進室 提言項目】**

医療機器については、革新的医療機器に加え、改善・改良品・モデルチェンジ品のデバイス・ラグを解消するため、例えば、QMSの確認を前提に軽微な変更の届出を行うことができる範囲を実質的に拡大するなど、その特性を踏まえた弾力的な規制の運用について検討する。

**【医機連提言重要項目】**

本項目についても産業界からの強い要望である。医療機器における承認申請は改善・改良を含む医療機器が圧倒的に多く、制度的に改革することが産業に資する。

PMDA の医療機器における専門家の数や質の向上、学会との連携について充実を進める。

**【医療イノベーション推進室 提言項目】**

製造所での組み立てが困難な大型の医療機器等について、品質の確保を前提に、当該製造所以外の場所での組み立て等に関する規制のあり方について検討する。

審議会等における審議の中立性、公平性、透明性を高めるため、利益相反の適切な管理について徹底を図る。

**3. 医薬品等監視の強化について**

省略