

2026年4月6日

厚生労働大臣 上野 賢一郎 殿
中央社会保険医療協議会会長 城山 英明 殿

**iPS 細胞製品アムシェプリ及びリハートに関する
承認を取り消し、保険適用をしないこと等を求める意見書**

薬害オンブズパーソン会議
事務局長 水口真寿美
〒160-0022 東京都新宿区新宿 1-14-4
AM ビル 4 階
TEL.03-3350-0607 FAX.03-5363-7080
yakugai@t3.rim.or.jp
<http://www.yakugai.gr.jp>

意見の趣旨

厚生労働省に対して

- 1 iPS 細胞を用いた再生医療等製品アムシェプリ、リハートの承認を取り消すこと
- 2 条件及び期限付承認制度及びその運用を見直すこと

中央社会保険医療協議会（中医協）に対して

- 3 アムシェプリ及びリハートについて、保険適用（薬価収載）を認めないことを求める。

意見の理由

はじめに

2026年3月6日、厚生労働省は、ヒト iPS 細胞を用いた再生医療等製品であるアムシェプリ（住友ファーマ株式会社）、およびリハート（クオリップス株式会社）の2製品を条件及び期限付で薬事承認した。

両製品の承認は、iPS 細胞から作った再生医療等製品としては世界で初めての承認である。メディアは大々的にこれを報じ、厚生労働大臣は閣議後会見で「山中教授による iPS 細胞をもとにした日本発の治療製品が世界で初めて実用化されたことは大変喜ばしく、日本のみならず世界中の患者の皆様の救いとなることを願っています」と述べている¹。

しかし、英科学誌 Nature の NEWS や川口浩氏（社会医療法人社団 螢水会 名戸ヶ谷病院・整形外科顧問）は両製品の承認を厳しく批判している^{2,3}。これらの批判は適切であり、両製

品の承認は適切とはいえず、ましてや、保険適用（薬価収載）をするべきではない。また、当会議が従前から指摘するように、日本の条件及び期限付承認制度には問題があるから見直すべきである。

以下詳述する。

1 アムシェプリ、リハートの条件及び期限付承認は誤りである

(1) 承認の概要^{4,5}

アムシェプリは、非自己 iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞そのものであり、既存薬で効果不十分なパーキンソン病患者の運動症状改善を目的とし、定位脳手術により頭蓋骨の小孔から左右両側の被殻へ複数箇所に分けて移植する。

リハートは、iPS 細胞から作製された心筋細胞シートという加工製品であり、標準治療で効果不十分な重症心不全の治療を目的とし、左側開胸手術によって心臓表面にこのシートを直接貼り付けることで心機能等の改善を図る。

両製品は、薬機法の再生医療等製品の通常の承認に関する特例である条件及び期限付承認（第 23 条の 26 第 1 項）により承認された。

両製品には、承認の日から 7 年間という期限が設定され、2033 年 3 月 5 日までに有効性を改めて検証して再申請を行うことが義務付けられている。また、承認の条件として、あらかじめ定められた目標症例数（アムシェプリは 35 例、リハートは 75 例を目安）に基づく使用成績調査等の実施が課されている。

(2) 有効性は推定できない

条件及び期限付承認の審査においては、有効性は「推定」でよいとされている。

しかし、以下のとおり、有効性が「推定」できるとは言えない。

まず、アムシェプリの臨床試験は対照のない単群の 2 年間の非盲検試験で、主要評価項目は安全性であり、有効性の評価は副次評価項目として設定されており、抗パーキンソン病薬を休薬した状態（practically defined off 状態）での MDS-UPDRS Part III 合計スコア（運動症状の評価指標）の変化が測定された⁶。しかし、有効性解析対象集団はわずか 6 例と極めて少ない。そのため、得られた結果が偶然によるものか、あるいは介入による真の効果であるかを判断することは困難である。6 例中 4 例で改善がみられ、平均値では -9.5 の改善（スコアの減少）が認められたという結果となっているが、個別症例では、最大で「-32」の大幅な改善を示した例（症例 3）がある一方で、「+17」の悪化を示した例（症例 6）や「+5」の例（症例 2、4）も混在し、バラツキが大きい。そもそも、MDS-UPDRS は医師の主観が入る評価尺度であり、非盲検・無対照試験では期待感によるバイアスを排除できず、客観的証拠としては不十分である。

次にリハートは、主要評価項目を移植後 26 週時点における心エコー図検査による LVEF の移植前と比較した変化量「+5%以上」としているが、改善した患者数は、有効性解析

対象集団 8 例のうち 2 例のみである。また個別データにおいて LVEF の変化量が「-5% 以下」の悪化例は 3 例（症例 2、4、8）確認されており、最大で 11.4% 低下した例も存在する。

同種の再生医療等製品としては、条件及び期限付承認制度のもとで承認されたが本承認が得られなかったハートシートがある。ハートシートでは主要評価項目を心臓疾患関連死という臨床上明確なエンドポイントとして証明に失敗したためか、リハートでは主要評価項目を LVEF の変化量「+5% 以上」としている。このリハートの評価項目は、そもそも臨床的な真の回復を反映しているのかという疑問がある。そのうえ、前記のとおり、LVEF の変化量「+5% 以上」の改善例は 8 例中 2 例、LVEF の変化量「-5% 以下」の悪化例は 3 例という結果なのであるから、有効性が推定できるとはとても言えない。

両製品ともに有効性のエビデンスとしては極めて脆弱であり、得られた結果が偶然である可能性を排除できず、「有効性を推定」することなど到底できない。

(3) 安全性は確認されていない

薬機法の再生医療等製品の通常の承認に関する特例である条件及び期限付承認（第 23 条の 26 第 1 項）は、有効性は推定でよいとしているが、安全性は確認が求められている。しかし、安全性が確認されているとはいえない。

アムシェプリの臨床試験は公表論文とはなっていない。

同剤は、多能性幹細胞由来ゆえの腫瘍形成や、脳内移植に伴う移植片の異常増大、ドパミン過剰による精神症状のリスクが理論的に否定できない。臨床試験では筋緊張やジストニアの副作用が報告され、動物実験では移植部位に上皮様細胞が認められた例もあり、長期的な安全性は全く未知数である。

リハートは、腫瘍形成や感染症伝播といった iPS 細胞製品共通のリスクに加え、移植後に併用する免疫抑制剤に起因すると疑われる高血糖や腎機能障害、白血球数増加が高い頻度で認められている。

何より、上記のような極めて少数の症例では、長期的な安全性はもとより、そもそも安全性を論じること自体が困難である。

従って、安全性の確認も認められない。

(4) 小括

以上により、両製品については有効性の推定も安全性の確認も認められないから、承認はそもそも間違いである。

このように有効性の推定もできず、安全性の確認もできていない再生医療等製品を市場に出すことは、患者に科学的根拠のない希望を与えて、よりよい医療へのアクセスを阻害し、無用な危険にさらすことになる。

また、iPS 製品の全体の信用性さえ損なう可能性がある。

従って、承認を取り消すべきである。

2 条件及び期限付承認制度の抜本的見直しを

再生医療等製品に関する条件及び期限付承認制度の第1号として2015年に承認された「ハートシート」は、有効性・安全性検証の見込みが立たない状況となり、厚生労働省は期限を延長したが、2024年に最終的に本承認が否決された。同年には「コラテジェン」も期限内の有効性検証が困難となり申請を取り下げている。また、この制度のもとで、対照群を設けないきわめて少数例の臨床試験結果のみで2018年12月に承認された再生医療等製品「ステミラック注」についても、海外から厳しい批判がなされている^{7,8}。

当会議は、これらを踏まえて日本の条件及び期限付承認制度を批判してきたが^{9,10}、教訓が活かされているとはいえない。

条件及び期限付承認制度の本来の目的は、患者の利益を図ることである。しかし、日本の条件及び期限付承認制度は、国際競争を勝ち抜くための規制緩和として位置づけられて、前のめりの運用がなされており、制度本来の目的である患者の利益に叶うものとはなっていない。

制度の根本的な見直しを改めて求める。

3 アムシェプリ及びリハートに保険適用をすべきでない

(1) 条件及び期限付承認制度により承認された製品の保険適用に関する基本的考え方

上野大臣は、3月6日の承認を受けて閣議後の会見において「一般に、医薬品では、薬事承認後遅くとも3か月以内、医療材料では、保険適用の申請後4～5か月以内としますが、患者の皆様確実に届くよう、必要な手続きを速やかに進めてまいります」と述べて、中央社会保険医療協議会（中医協）での検討が未了であるにも関わらず、保険適用が当然であるかのような前のめりのコメントをしている¹¹。

確かに、日本においては、承認薬の大半について保険適用（薬価収載）が認められてきた。

しかしこれは、通常承認の手続きにおいて、有効性と安全性が審査され、検証された薬剤であることを前提としたものである。

これに対し、条件及び期限付承認制度のもとでの承認は、臨床試験によって有効性が検証されていない製品を医薬品として市場に出し、市場でいわば「人体実験」をしながら、期限内に本承認に値する有効性があるかどうかを検証するという仕組みであるから、これに本件を適用するということは、川口浩医師が批判するように「本来製薬企業が自らの責任と費用で実施すべき臨床試験のコストを、広く国民の公的医療費で肩代わりさせるもの」¹²に他ならない。

ハートシートやコラテジェン等、有効性の根拠が脆弱な再生医療等製品に対し、社会保険の貴重な財源がいくら消費されたであろうか。教訓に学ぶべきであり、少子高齢化が進

み、高額な医療費を支える現役世代の負担の限界、社会保険の財源難が指摘されている中、通常の承認薬のように、当然のごとく保険適用をするという対応はなされるべきではない。

仮に保険収載をしないわけにはいかないというのであれば、期限内に本承認が得られない可能性があり、本来は治験費用として企業が負担すべきものであるということを十分に考慮した薬価とするべきである。

(2) アムシェプリ及びリハートに保険適用をすべきでない

アムシェプリ及びリハートについては、前記のとおり有効性の推定が認められず、安全性も確認されていないから、保険適用を認めるべきではない。

両製品に保険適用を認めることは、悪しき前例を定着させることに他ならず、社会保険制度の将来にとっても禍根を残す。

中医協は毅然として両製品に関する保険適用（薬価収載）を否決するべきである。

以上

¹ 令和8年3月6日上野大臣会見

https://www.mhlw.go.jp/stf/kaiken/daijin/0000194708_00902.html

² Mullard A. First-of-a-kind stem-cell therapies set for approval in Japan. *Nature*. 2026 Mar;651(8104):13-14. doi: 10.1038/d41586-026-00585-x. PMID: 41731083.
<https://www.nature.com/articles/d41586-026-00585-x>

³ 川口浩,最悪の暴挙！「iPS」の前で思考停止する薬事行政：見切り発車で承認された「世界初のiPS再生医療製品」, *Medical Tribune* 2026年3月3日
<https://medical-tribune.co.jp/theme/doctors-eye/articles/?blogid=11&entryid=571060>

⁴ アムシェプリ添付文書

https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/saiseiDetail/ResultDataSetPDF/400093_4900X0000251_1_01_02

⁵ リハート添付文書

https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/saiseiDetail/ResultDataSetPDF/252508_4900X0000241_1_01_03

⁶ Sawamoto N, et al. Phase I/II trial of iPS-cell-derived dopaminergic cells for Parkinson's disease. *Nature*. 2025 May;641(8064):971-977. doi: 10.1038/s41586-025-08700-0. Epub 2025 Apr 16. PMID: 40240591; PMCID: PMC12095070.
<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40240591/>

⁷ Cyranoski D. Japan's approval of stem-cell treatment for spinal-cord injury concerns scientists. *Nature*. 2019 Jan;565(7741):544-545. doi: 10.1038/d41586-019-00178-x. PMID: 30696963

<https://www.nature.com/articles/d41586-019-00178-x>

⁸ Douglas Sipp et al, Downgrading of regulation in regenerative medicine.

Science365,644-646(2019).DOI:10.1126/science.aax6184S

<https://www.science.org/doi/10.1126/science.aax6184>

⁹ 薬害オンブズパーソン会議, 薬機法改正による条件付き承認制度の拡大等に反対する意見書, 2025年3月21日

https://www.yakugai.gr.jp/topics/file/yakkihou_kaisei_niyoru_joukentsuki_shounin_kakudai_hantai_iken sho.pdf

¹⁰ 薬害オンブズパーソン会議, ステミラック注と再生医療等製品の条件及び期限付承認制度に関する要望書, 2020年1月20日

https://www.yakugai.gr.jp/topics/file/stemirac_saisei_iryoutouseihin_joukenkigentsukishounin_youbousho.pdf

¹¹ 前掲注 1

¹² 前掲注 3

※いずれも最終アクセス日 2026年4月5日。