

再生医療等安全性確保法の 施行後5年を目処とした検討について

第40回再生医療等評価部会における主な意見

In vivo遺伝子治療について

- ▶ in vivo遺伝子治療に対して規制がないのは大きな問題であり、FDAも懸念を持っている。薬事や海外とあわせ、規制対象とすべきではないか。
- ▶ 関連学会からのヒアリングも含めて事務局で調整していただきたい。

ゲノム編集技術について

- ▶ 「従来の遺伝子導入ないしは遺伝子改変をした細胞を用いる場合には」とすることで、ウイルスベクターを用いた遺伝子導入からタンパクやmRNAを使ったゲノム編集技術まで包含するように改正すべきではないか。

第40回再生医療等評価部会における主な意見

再生医療等の有効性の評価について

- ▶ 対象疾患がばらばらなので有効性評価の一定基準を設けるのは難しい。
- ▶ 高額な再生医療等を患者が藁をもすがる思いで受けている現状がある。
- ▶ 再生医療等提供開始時の「有効性が安全性におけるリスクを十分上回る」との予測が、予測どおりであったのかをフォローアップ・評価するシステムが必要である。
- ▶ 再生医療等提供計画内に、有効性の評価基準（検査指標など）の記載を求めるべきではないか。
- ▶ 提供した再生医療等の有効性がリスクを上回ることに係るデータを、レジストリに登録することとしてはどうか。
 - ※ PMDAのポストマーケティングスタディを参考にしているかどうか。
 - ※ 疾患の重篤度等も考慮し、（全疾患対象ではなく）可能な疾患から初めてはどうか。
 - ※ PRP(Platelet-rich plasma)については、対象疾患が多様であるため、疾患の層別が必要である。
- ▶ 認定再生医療等委員会が、再生医療等の妥当性を評価するための一定の基準の策定が必要ではないか。
- ▶ メタアナリシス論文ではなく他申請者の都合のいい論文のみを根拠として、科学的妥当性があるものと判断されているケースが散見されるが、論文利用の方法も明示化したほうがいい。
- ▶ AMED研究費で得られた研究の成果を使って、認定再生医療等委員会での審査の基準を取りまとめるはどうか。

第40回再生医療等評価部会における主な意見

PRP等の薬事承認された医療機器を用いる医療技術の取扱いについて

- ▶ PRPなど、薬事承認されたキットを用いて製造される特定細胞加工物を用いる場合についてはリスクが低いことが想定されるので、第4種再生医療等を作るなどしてもよいのではないかと。
- ▶ ただし、血液製剤については、採血時の細菌感染や、対象疾患との兼ね合い（免疫抑制剤の使用等）、長期保存した場合の感染症リスク等を考慮すると、一概にリスクが低いとは言い切れないのではないかと。
- ▶ 血液法を参考に採血基準を示してはどうか。
- ▶ 薬事承認されている医療機器を用いてPRPを製造し、人に投与する場合には、薬機法との重複規制になることは避けるべきではないかと。
 - ※ ただし、薬事承認の際に対象疾患が特定されているか、使用方法が特定されているか等を考慮する必要あり。
- ▶ PRPなど、薬事承認されたキットを用いて製造される特定細胞加工物を用いる場合の取扱いについては、専門家に議論していただいてはどうか。
- ▶ 有効性の全くないものが法のもとで容認されることは問題であるため、PRPの有効性についても考慮する必要があるのではないかと。

第40回再生医療等評価部会における主な意見

認定再生医療等委員会の質の確保について

- ▶ 認定再生医療等委員会の質に課題があるため、審査のガイドライン等を示してはどうか。
※ 科学的妥当性・安全性の審査のポイント、細胞管理の審査のポイント、メタアナリシスにおける論文の利用の仕方、PRPの審査のポイント等について
- ▶ 妥当性を評価できない認定再生医療等委員会は排除することも考えるべきではないか。
- ▶ 委員会については、AMEDの質の向上課題の成果報告・現状の報告をいただいてから、質を担保するための立入等の手続きについて議論できないか。
- ▶ 認定再生医療等委員会ショッピングが行われており、しっかり審査をする委員会には審査依頼が少なく、通しやすい委員会に審査依頼が多くあるような現状もある。
- ▶ 審査件数が多い委員会が審査の質が高いとは限らないため、定期報告等において、審査件数だけでなく、質を確認するべきではないか。
- ▶ 委員会の議事録等については、委員会が公表するのではなく、地方厚生局等で公表し、URLを動かさないようにした方がよいのではないか。

第40回再生医療等評価部会における主な意見

医療機関内に設置するCPCの实地調査について

- ▶ 医療機関内に設置するCPC（細胞培養加工施設）についても、届出だけではなく、調査に入るべきではないか。
- ▶ 調査に入る者としては、PMDAだけではなく、企業の者も考え得るのではないか。

医療機関外に設置するCPCの基準について

- ▶ 許可制としているCPCの調査基準についても、バリデーションを見ているGMPと異なっており、基準がダブルスタンダードになっているのではないか。

第40回再生医療等評価部会における主な意見

先進医療制度との関係性について

- ▶ 先進医療について、再生医療法と審査内容が重なる部分については二重規制は避けるべきではないか。
- ▶ 希少疾患（例えば遺伝子治療AADC欠損症は、国内で4人しかいない）については、先進医療制度を利用していくことが必要である。

薬事制度について

- ▶ 再生医療法において、徹底してリアルワールドデータを集め、薬事に生かすことも必要である。
- ▶ 薬事規制と比較して、臨床研究に係る規制が慎重になっているのではないか。他局とも連携して制度設計をしていくことが必要ではないか。

その他

- ▶ 細胞加工物の保管について、保管を加工に含めることや、管理について委員会の審査ポイントを示すこと等も含めて、検討すべきではないか。
- ※ ただし、保管を加工に含めるのは世界的な標準に照らすと難しいのではないか