

ヒト(同種) iPS細胞由来心筋細胞シートを用いた虚血性心筋症の治療 に関する評価指標(案)

通知	評価指標	対象疾患	製品に含まれる細胞	形態	自己/同種	医薬品/医療機器 /再生医療等製品	ベースとなる指針
機器課長通知にて公表を予定	ヒト(同種) iPS細胞由来心筋細胞シートを用いた虚血性心筋症の治療	虚血性心筋症	ヒト(同種) iPS細胞由来心筋系細胞	細胞シート	同種	再生医療等製品	H24.9.7 薬食発第0907第5号

ヒト(同種) iPS(様)細胞加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針

次世代評価WGにおける議論のポイント

1. 最終製品として、現時点で3種類想定され、それぞれ独立した評価指標を作成する。
2. H22.1.18 薬食機発0118第1号別添3(重症心不全細胞治療用細胞シート)の評価項目を参考にする。
3. 対象疾患について
→虚血性心筋症
4. 最終製品の考え方について

最終製品 = 心筋細胞シート(心筋細胞を含むシート)
「構造体を有するもの」を想定し、「細胞」についても必要であれば追記する方向で 検討。← 既存の再生医療等製品(ハートシート:ヒト(自己)骨格筋由来細胞シート)との相違を意識。(例:ハートシートは「細胞」が製品としての最終形態。医療機関でシート化)
5. 非臨床試験について
ハートシートの試験項目(審査報告書)等も参考にする。
6. 臨床試験(治験)について
有効性評価に関して、主要評価項目の妥当性や盲検RCTを行えない場合の留意点等について議論。

ヒト(同種)iPS細胞由来心筋細胞シートを用いた虚血性心筋症の治療 に関する評価指標(案)

評価指標目次(案)

1. はじめに
2. 本評価指標の対象
3. 本評価指標の位置づけ
4. 用語の定義
5. 評価に当たって留意すべき事項
 - (1) 原料等
 - (2) 製造工程において特に注意が必要な事項
 - (3) 製品の品質管理
 - (4) 製品の安定性試験
 - (5) 非細胞材料及び最終製品の生体適合性
 - (6) 非臨床試験
 - (7) 臨床試験(治験)

ガイドライン案の特徴(例示):

既存の指標「重症心不全細胞治療用細胞シート」との違いを中心に

1. iPS細胞由来であるため、局長通知「ヒト(同種)iPS(様)細胞加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針」を参照しつつ、iPS細胞由来の心筋細胞シートであるという製品グループ特性に即した考慮要素を具体化した。例えば、製品の品質管理では、最終製品等で心筋細胞をフローサイトメトリー等を用いて心筋トロポニン等の発現量で細胞特異性を確認すること等の考え方を示した。

2. 製品の安定性試験について

最終製品が細胞シートである場合の、安定性の評価の記載が既存の指標より充実化した。(ハートシートは「細胞」が製品としての最終形態)例えば、製品形態又は細胞種ごとに製品の安定性を保つための適切な保存形態、温度条件、輸送液等が異なる可能性があり、適切な組み合わせの検討が必要であること等を示した。

3. 非臨床試験について

iPS細胞由来ではないが、類似性がある製品、ハートシートの試験項目(審査報告書)にも沿った内容とした。また、iPS細胞由来であるという製品グループ特性に即したものとして、最終製品を用い、免疫不全動物を利用した既知の試験系による等造腫瘍性評価が必要なことを示した。

4. 臨床試験(治験)について

既存の指標では、考慮要素が簡素であるが、記載を詳細化。対象集団として組み入れにおける選択基準・除外基準、対照群、有効性評価の主要評価項目等について考慮要素が示した。