

薬事審議会 再生医療等製品・生物由来技術部会 における
ハートシートの審議の概要について

令和6年7月 19 日(金)

令和6年7月 19 日に開催された薬事審議会 再生医療等製品・生物由来技術部会において審議されたハートシート(以下、「本品」という。)について、審議の概要は以下のとおりです。

1. 主な議論と審議結果

1) 使用成績調査及び臨床研究の結果

<主要評価項目>

心臓疾患関連死

<重要な副次評価項目>

- ・ いずれかの重大な心血管イベントによる入院の発生までの期間
- ・ 本品移植後 6 ヶ月において LVEF が本品移植時より 5 %以上改善した症例の割合

<症例登録数/有効性解析対象集団数>

本品群：使用成績調査 67 例/49 例

対照群（参照群）：臨床研究 104 例/102 例

<評価結果>

- ✓ 参照した臨床研究のデータが外部対照であり、調整を行ってもなお両群の比較には限界があるものの、主要評価項目である心臓疾患関連死までの期間について、本品群の対照群（参照群）に対する優越性は示されなかった。
- ✓ 副次評価項目である心機能に関する LVEF の改善などでも、本品群で対照群（参照群）より優れた結果は認められなかった。
- ✓ 安全性については、条件及び期限付承認時に確認されたリスクや有害事象を超える新たな懸念は認められないものの、本品の有効性が示されていないことから、ベネフィットリスクの観点から許容可能とは言えない。

2) 結論

有効性が推定されるとした条件及び期限付承認時の判断は否定されないものの、本品の条件及び期限付承認後に実施された使用成績調査及び臨床研究の検討結果からは、本品の「効能・効果又は性能」に対する有効性は示されておらず、薬機法第 23 条の 25 第 2 項第 3 号イ「申請に係る効能、効果又は性能を有すると認められないとき。」に該当すると考えるため、同法第 23 条の 25 第 1 項の規定に基づき本品を承認することは適切ではない。

2. 今後の予定

薬事審議会において、本品の製造販売承認の可否等を審議する予定。

《参考》製品概要

販売名	ハートシート
製造販売業者	テルモ株式会社
承認年月日	平成 27 年 9 月 18 日（条件及び期限付承認）
承認期限	5 年、後に 3 年延長（令和 5 年 9 月 17 日）
製品概要	本品は、虚血性心疾患で重症心不全となった患者の治療を目的として、医療機関において患者自身から採取した骨格筋に含まれる骨格筋芽細胞を製造所において培養して増殖させた後に、専用容器に充填して凍結保存したものを医療機関においてシート状に調製し、患者の心臓表面に 5 枚を移植して使用する再生医療等製品である。
承認効能・効果又は性能	下記の基準のすべてを満たす、薬物治療や侵襲的治療を含む標準治療で効果不十分な虚血性心疾患による重症心不全の治療 <対象とする心不全の状態> ・ NYHA 心機能分類がⅢ又はⅣ度 ・ 安静時における左室駆出率が 35%以下