

資料4 委員コメント

No.	意見	理由	対応
1	法的根拠がなく、提出書類等について誤解を招いている確認申請制度は廃止する。		
	事前相談制度を拡充する。		
	仮に30日調査に支障が生じるような場合は、行政機関が保有する情報の公開に関する法律を参考に、調査期間延長の条文を入れる。		
2	事前相談から治験審査、承認審査に至るまで、その製品や対象疾患に関する専門家と密接に連携をとりながら事を進めることが、何よりも肝要	現在もなされているが、さらなる充実を図っていくことが、制度にかかわらず、事案のより効率的、効果的、合理的な処理に重要との認識。多くの委員からも同様の意見・要望が寄せられている。	骨子案(2. ①開発初期からのPMDAによる助言・相談制度の創設)に反映。 【資料3 P1 下から4行目】
	品目毎に本当に役に立つ専門家を複数選んで、開発初期から薬事戦略の相談ができるシステムを構築することに尽きる		
3	治験前の品質・安全性評価は治験に入っても差し仕えがないと判断できることが可能なデータ・情報が得られていることを基準にする。つまり、使用した製品の品質と臨床データの関係が突き合わせられる程度に品質特性が把握され、その恒常性が確保されていることと、想定されるリスクが排除されているかをチェックすることを主眼とする。未知のリスク論にとらわれ過ぎないことが肝要。	確認申請の趣旨、2008年の薬食発ヒト自己指針、同種指針の趣旨を再確認したもの。	経験の蓄積や、薬事戦略相談等の中で専門家と協議しつつ適切に対応。
4	上記3の情報をすべて開示して患者さんの自己決定権の判断材料とすることが不可欠	医学の進歩は、人を対象とする医学研究に依存せざるを得ず、人類の健康の絶えざる向上・維持は医師の責務とされる一方、被験者の生命、健康、尊厳、人権、福利などの確保が最優先課題とされている。当面、個別医療的色彩の濃い再生医療分野で上記の連立方程式を解くには、徹底した情報提供と被験者の人権、尊厳、福利等を前提とした自己決定に委ねる、との視点をより明確に持つことが必要ではないか。未知、未体験な要素が不可避的にかつ相対的に多く存在する中で先端的医療を進めることは、良心的な研究者、開発者、審査官にはハードルが高く、決断も容易ではない。しかし、一歩踏み出さなければ、次の展開もないことも多い。病(及びその進行)という、いわば最大のリスクを抱えた個々の患者さんに背中を押されるような形でしか、進められないことも多いのではないか。	骨子案(2. ③臨床研究・治験促進策)に反映。 「適切なインフォームドコンセントが行われるよう、治験依頼者は必要な情報を医療関係者、患者に届けることが必須である。」 【資料3 P3 20行目】
5	●治験審査等の際、信頼性がおけると判断される臨床研究データは参考資料の一部とする。とりわけヒト幹のチャンネルで進められている研究データを参考にすることは、臨床研究から実用化への切れ目のない移行を実質的に可能にするための重要な要素である。ヒトでの安全性はもとより、POCとして活用できる場合もあると思われる。 ●承認審査においても、倫理的要件を満たし、専門家により信頼度が高いと判断される臨床研究データは参考資料として活用できるようにする	本枠組み検討会の22年度目標は現行法制度にとらわれない最適な制度的枠組みについて結論を得ることであるが、現行法制度の中でも、運用により、目的を達せられるのではないかと、この提言	●臨床研究で得られた結果について、治験届の30日調査の際には使用可能である。 ●承認申請時の参考資料としては使用可能である。一方でモニタリング実施など、データの信頼性等の観点から、評価資料としては使用できない。 ●骨子案(2. ③臨床研究・治験促進策)に、「治験外の臨床研究は、速やかに治験に移行することが望まれる」と記載。 【資料3 P2 下から15行目】
6	製品の種類・特性や対象疾患によっては、市販後調査の徹底を前提にした承認を行う。対象としては希少疾患、重篤、QOLが著しく損なわれるもの、他の医療法がないか、あっても不十分で他の選択肢を提供することにより、さらなる治療への展望が開ける可能性があるものなどが考えられる	本枠組み検討会の22年度目標に対する運用面での方策としての提言	骨子案(2. ④(3)患者数が極めて少ない医薬品・医療機器の審査についての考え方)に反映。 【資料3 P5 11行目】
7	必要事項のGL化、Q/A等を活用して、審査の運用、解釈に関する理解と認識の共有化を図っていくこと、とくに自己と同種、細胞起源、細胞の種類・特性の違いと対象疾患の組み合わせで、ケースバイケースに対するケース毎のあり方を絶えず整理し、積み上げ、情報提供していくことが重要(学会や研究班の活用など)		骨子案(2. ④(2)評価の指針の明確化)に反映。 【資料3 P4 下から12行目】