

平成 23 年 5 月 27 日

## 医療イノベーションの観点からの薬事法関連規制に対する提言

大阪大学大学院医学系研究科 教授、内閣官房 医療イノベーション推進室次長 澤 芳樹

- 早期・探索的臨床試験等を推進するために、ICH-GCP 水準の臨床研究を実施する臨床研究中核病院と PMDA・厚生労働省の連携
- 高度医療評価制度のもとで ICH-GCP 水準に適合して実施されたファーストインマン試験、POC 試験については、承認申請資料として活用
- 革新的な医薬品・医療機器について、特別審査ルート（優先審査に相当するもの）を設置
- 申請から一定期間（例えば 1 年）経過した段階で PMDA は審査報告書を取りまとめ、薬食審で審議。審議前に申請の取下げがあっても審査報告書を作成し、公表。PMDA における面接審査会は廃止。
- リスク管理の必要性に応じて、一定期間、使用可能な医療機関を制限するなどの「条件付き承認」制度創設

- 一定条件を満たす未承認の医薬品・医療機器について、人道的観点からの例外的使用を可能とする仕組みの導入。(現在、個人輸入で対応せざるを得ないもののうち、医療上の必要性の高いものはこの仕組みに原則移行。その他の個人輸入については、データベースによる実態把握に基づき、対応の必要性について検討)
- レギュラトリーサイエンス推進のための体制強化 (PMDA、国の規制研究機関)、レギュラトリーサイエンス研究予算の拡充
- 医療機器については、その特性や実態を踏まえた規制の運用
  - ・ 臨床試験認定施設の創設と当該施設における円滑な臨床試験実施のための環境整備
  - ・ 希少疾病用医療機器の市場導入促進に向けた制度の整備
  - ・ 医療機器の改良改善に係る一部変更承認申請不要範囲の拡大
  - ・ QMS 調査制度の見直し
  - ・ 新規参入の促進
- 再生医療については、関係学会と PMDA の連携強化や、再生医療製品の特性に鑑みた審査の実施 (詳細は別紙)

## 再生医療製品の実用化促進に向けて検討されるべき規制関連事項について

### 1 問題意識

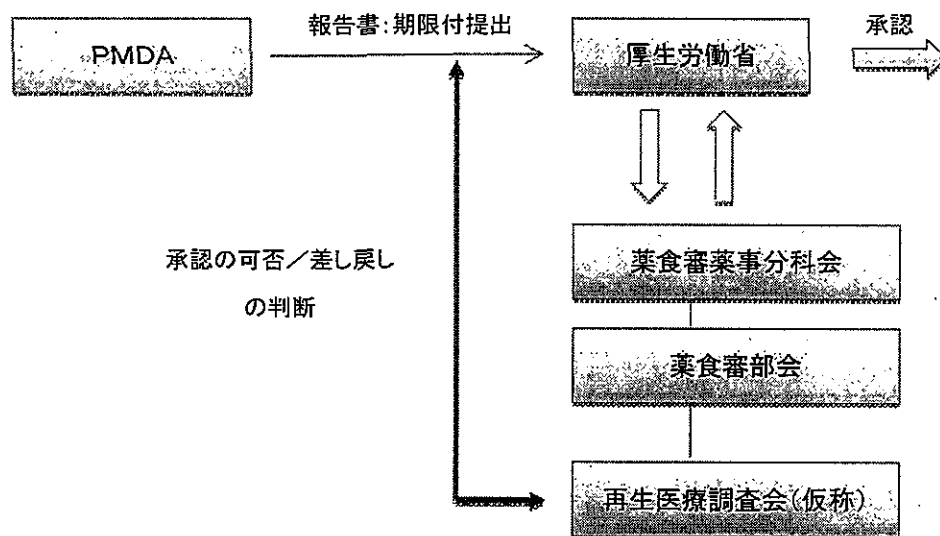
- (1) 再生医療製品は、実用化された事例がわが国でまだ1例と極めて少なく、開発側、規制側双方において経験が足りないため、①必要とされる非臨床データ、②治験実施計画の妥当性などについて、指針となるものがなく、開発、承認審査が滞りやすい。
- (2) 再生医療製品は、実用化の事例が極めて少ない上に、対象患者数が少ないものが多いと考えられるなど、承認審査において規制側が個別事例ごとに、リスクとベネフィットを考量するために必要とされるデータ等について柔軟な対応が必要とされる
- (3) 再生医療製品は、従来の治療に替わる代替治療、或いは他に治療手段が無い疾患に対する唯一の治療に大別されると考えられる。この性格からも各々の疾患に対する位置付けを考慮した審査が必要とされる。
- (4) 新技術に対する適切かつ柔軟な判断を行うためには、現行の PMDA の体制では限界があり、レギュラトリーサイエンスを支える非臨床の研究者や新技術を用いた治療法の開発に携わっている専門家が承認審査に関わる必要がある。

以上のように、再生医療の特殊性(進歩し続けている段階の技術であること、少ない患者数、医薬品とは異なる評価基準の必要性など)を加味した、先端医療技術独特の効率的な審査のやり方を模索する必要性があることから以下の通り提案する。

### 2 解決策

- (1) 関係学会と PMDA の連携
  - ① 関係学会は、学会の意見を代表できる専門家を PMDA に派遣し、審査員として実際の審査・相談に従事するような体制を整備する。  
※例えば、専門家2名が週1回 PMDA で勤務(1~2年ごとに専門家は交代)。
  - ② PMDA は関係学会と連携して、再生医療に係るガイドライン策定組織を設置する。必要なガイドラインを検討し、計画的に策定。
  - ③ 学会は PMDA での審査を効率的に進めるために、以下の項目について協力を行う。
    - ・ 疾患ごと、分野ごとの安全性・有効性評価基準(ミニマムコンセンサスパッケージ)の提示。
    - ・ PMDA への最新知識の提供。

- ・ 審査に協力できる専門家のプール。
  - ・ 培養技術者、施設の育成、認定制度に対するガイドラインの作成。
- (2) 薬事戦略相談の充実と PMDA の体制強化
- 再生医療製品については、臨床開発に至るまでに必要なデータ、治験実施計画の妥当性などについて、個別事例ごとに科学的に合理性のある判断が必要となることから、医療上必要性の高いものは、開発者の求めに応じて、随時、無償又は減額で相談を行うことができる体制を整える。
- このためには、PMDA の独立行政法人としての国の人員削減方針とは別枠で、正規職員としての増員を国費で行う必要がある。
- (3) 審査を実施する枠組みの再考
- ① 薬食審の医薬品(第一、第二)部会、医療機器部会のもとに、有識者で構成される再生医療調査会(仮称)を設置し、ここで PMDA からの審査報告書を審議し、承認の可否或いは差し戻しの判断を行う。また、PMDA からは報告書の提出を申請から 1 年等の期限付きで対応を求める。
- ※メリットは、再生医療調査会(仮称)での議論を行うことによって、透明性の確保ならびに期限付き対応が実現できる。また、PMDA などの判断が完結するまで申請を抱え込んでしまうことを避けることができる。



- (4) レギュラトリーサイエンス推進体制の強化と研究費の確保
- 再生医療に係るガイドライン策定のための研究の実施、PMDA における審査・相談に対する支援の充実を図るため、PMDA の審査を支えるレギュラトリーサイエンス推進拠点としての国立医薬品食品衛生研究所の拡充強化とともに、レギュラトリーサイエンスに係る研究費を増額する。