

対応が必要とされる再生医療製品への提言 その二

2011.12.16

内閣官房 医療イノベーション推進室 澤 芳樹

【はじめに】

いままでの提言を踏まえ、薬事法制度改正にむけて、とりまとめ検討頂いてきているところではありますが、今一度、下記の項目について重ねて検討頂きたいと思います。

【提言事項】

再生医療製品とは事故や病気によって失われた身体の細胞、組織、器官の再生や機能の回復を目的とした医療であり、従来の治療法では対応できない治療に対して行われる医療である。そのため、患者への適応の観点からは、①場合によっては適応患者が希少であること、②適応される疾患は重篤(no option)であること、加えて、③比較試験の倫理的側面からの是非を考慮する必要があること、が再生医療製品の特性である。そこで、

「再生医療製品の特性」を踏まえて、

- 薬事承認前にむやみに比較試験を要求せず、多くの場合 single arm のデザインにより一定水準で安全性や有効性を評価する。疾患の重篤性によっては薬事承認を早め、市販後に臨床試験を義務付ける。
- この際、場合によっては、直ちに保険適用とせず、一旦保険外併用療法として適応して、市販後の臨床試験の結果を評価して保険適用とする。
- 早期に科学的な評価を可能とするために、生物統計学的手法に視点を置いたレギュラトリーサイエンスの研究テーマとして起こし、事例研究的に検証を行う。

「早期探索的な医師主導治験」を進めるために、

- 治験の手続きにおける過剰な要求を見直す。
- 早期探索的な医師主導治験という「特性」を見据えた、特にアカデミア側へのサポートならびに審査側のサポート体制を強化する。

審査の「透明性」を高めるために、

- 薬事食品衛生審議会の下に調査会を設置し、審査報告書を審議する新たな審査の仕組みを構築する。

「再生医療製品」全体を通して、

- 市販後のレジストリー、臨床研究体制の強化、臨床研究における民間資金活用の柔軟化(透明性の確保が前提)も必要である。

以上

平成 23 年 12 月 16 日

厚生労働大臣

小宮山 洋子 様

一般社団法人

再生医療イノベーションフォーラム (FIRM)

代表理事・会長 戸田 雄三

再生医療の普及・産業化等に係る要望

医薬品・医療機器の審査に際しまして、より安全性の高い製品を世に出していくことと、いわゆるドラッグラグやデバイスラグを短縮するよう審査内容を考慮することとは、一見すると相反する内容に見えますが、より安全な製品をいち早く患者様に届けることは極めて重要です。

企業側としても、昨今のコンプライアンスを厳しく問われる状況の下、患者様のお役に立つ医薬品ならびに医療機器を提供するため、日々努力しておる所存でございますが、先の目的を達成するため、1 点ご審議頂きたく本要望書を提出いたします。よろしく願いいたします。

【ご審議いただきたい内容】

医薬品・医療機器の審査ならびに市販後対応において、「再生医療の特殊性をふまえた審査カテゴリーまたはこれに準じた対応」についてご検討をお願いいたします。

現状では医療機器のカテゴリーには、レントゲン撮影装置から、注射器のようなディスプレイポータブル製品、さらには生体内に埋植しその後分解されるような生体材料が含まれています。審査におきましては、クラス分類がもうけられ、それぞれ個別の対応ができるように配慮されておりますが、基本的な製品概念等、共通の要件が求められます。

一方、新しい医療技術が進歩することで、再生・細胞医療分野のように、これまでにはなかった特性を持つものが開発されるようになりました。それに伴いまして、臨床開発上、これまで想定していなかった状況が生じています。これらを従来の医薬品や医療機器として見なすことは、必ずしも合理性があるとは言えません。とりわけ、自家細胞・他家細胞の違いを念頭に置いた適正な対応が求められるところであります。

医薬品・医療機器の審査を迅速にすること、かつ、適切に審査が実施され、患者様に被害をもたらすことがないようにすることを同時に達成すべく、適切な審査カテゴリーを設置し、よりきめ細かい方針によって審査して頂きたいと存じます。

加えて、再生医療製品のような手術が求められるものの臨床開発では、術式や周術期管理方法が結果に影響をもたらす、有効性判断が難しいことを経験しております。安全性の確保には万全を期し、決して有害なものを世に出すべきでないことは言うまでもありませんが、有効性については使用経験の蓄積によって確立される可能性を否定できません。さらに、対象疾患や医療技術によっては、有効性評価が未だ明確な方針が定まっていない分野も散見されます。

これらの課題を解決すべく、諸外国同様、安全性の検証を十分に行ったものに対する条件付承認制度の導入や、保険外併用療養（第二項先進医療）を企業が申請者として実施できるようにすること等を通じて、上市後に有効性並びに安全性を継続的に評価する仕組みのご検討もお願いしたいと思います。

以上