

再生医療の評価の課題

神戸大学大学院医学研究科
トランスレーショナルリサーチ
イノベーションセンター
学術推進研究員 吉川 典子



お話しすること

1. 法改正と新法のポイント
2. 再生医療というもの
3. 評価をするということ(SCOPE)
4. 新規性が高い医療である
5. ガイドラインを活用する
6. サイクルマネジメントへ
7. Take Home Message

本日は、
レギュラトリーサイエンスの見地から
お話しします。

今日の内容は、個人の見解です。
レギュラトリーサイエンスの可視化に
鋭意取り組んでおり、
できるだけ「わかりやすく」
話したいと思います。

法改正と新法のポイント

再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるようにするための施策の総合的な推進に関する法律（平成25年法律第13号）（概要）

議員立法 5月10日公布・施行

（内容）

1. 基本理念（第2条）

再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるようにするために、その研究開発及び提供並びに普及の促進に関する施策に関する基本事項を定める。

2. 国等の責務（第3条～第5条）

【国】施策の総合的な策定・実施、国民に対する啓発、関係省庁の協力体制の確立

【医師等及び研究者】国が実施する施策への協力

【事業者】国が実施する施策への協力

3. 基本方針（第6条）

国は、再生医療の迅速かつ安全な研究開発及び提供並びに普及の促進に関する基本方針を定め、公表し、少なくとも3年ごとに検討する。

4. 基本的施策（第7条～第13条）

① 法制上の措置等 ② 先進的な再生医療の研究開発の促進 ③ 再生医療を行う環境の整備

④ 臨床研究環境の整備等 ⑤ 再生医療製品の審査に関する体制の整備等

⑥ 再生医療に関する事業の促進 ⑦ 人材の確保等

5. 安全面及び倫理面の配慮等（第14条）

国は、再生医療の施策の策定及び実施に当たっては、安全性を確保し、生命倫理に対する配慮を行う。あわせて、収集した情報を用いて適切な対応を図る。

再生医療の迅速かつ安全な研究開発及び提供並びに普及の促進に関する基本的な方針

主旨

再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるようにするための施策の総合的な推進に関する法律（平成25年法律第13号）第6条第1項の規定に基づき、再生医療の迅速かつ安全な研究開発及び提供並びに普及の促進に関する基本的な方針を定めるもの。

主な内容

1. 再生医療の推進の基本的方向

○基本理念

- ・安全性に留意しつつ最先端の科学的知見等を活かした再生医療を国民へ迅速に提供
- ・関係省庁における再生医療に関する施策の有機的な連携と実効性の確保
- ・有識者、医療関係者、研究者、技術者その他の関係者からの意見聴取及び国民の理解促進
- ・国際的な医療の質及び保健衛生の向上並びに研究開発の一層の促進に貢献

○国の責務

- ・必要な法制上、財政上及び税制上の措置その他の措置を講ずる。
- ・再生医療についての国民に対する啓発に努める。
- ・関係省庁の協力体制を確立する。

2. 再生医療の推進のための基本的施策

○研究開発等の促進

- ・「医療分野研究開発促進計画」（平成26年7月22日健康・医療戦略推進本部決定）に基づき取り組む

○環境の整備

- ・安全性等の基準、細胞の培養等の加工に関する基準を整備（再生医療等の安全性の確保等に関する法律で措置）

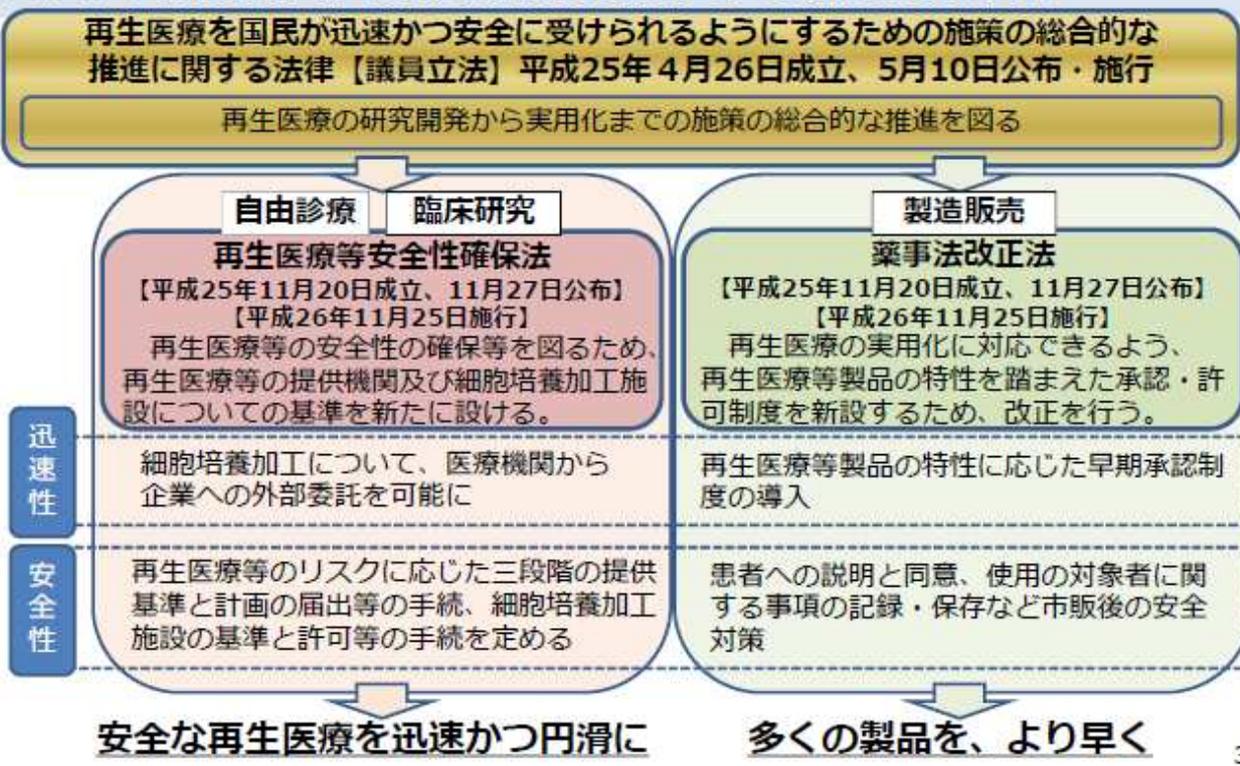
○製造販売の承認審査に関する体制の整備

- ・改正薬事法により、条件及び期限を付した上で、特別に早期の承認ができる仕組みを導入

3. その他

- 少なくとも3年ごとに検討を加え、適切に見直しを行う。

1-1. 今後の再生医療の実用化を促進する制度的枠組み



資料のソースは、厚生労働省ホームページより
[ホーム > 政策について > 分野別の政策一覧 > 健康・医療 > 医療 > 再生医療について](http://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10800000-lseikyoku/0000066162.pdf)
<http://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10800000-lseikyoku/0000066162.pdf>

ひと、くらし、みらいのために

厚生労働省
Ministry of Health, Labour and Welfare

文字サイズの変更 標準 大 特大

検索

御意見募集やパブリックコメントはこちら 国民参加の場

テーマ別に探す 報道・広報 政策について 厚生労働省について 統計情報・白書 所管の法令等 申請・募集・情報公開

ホーム > 政策について > 分野別の政策一覧 > 健康・医療 > 医療 > 再生医療について

健康・医療 再生医療について

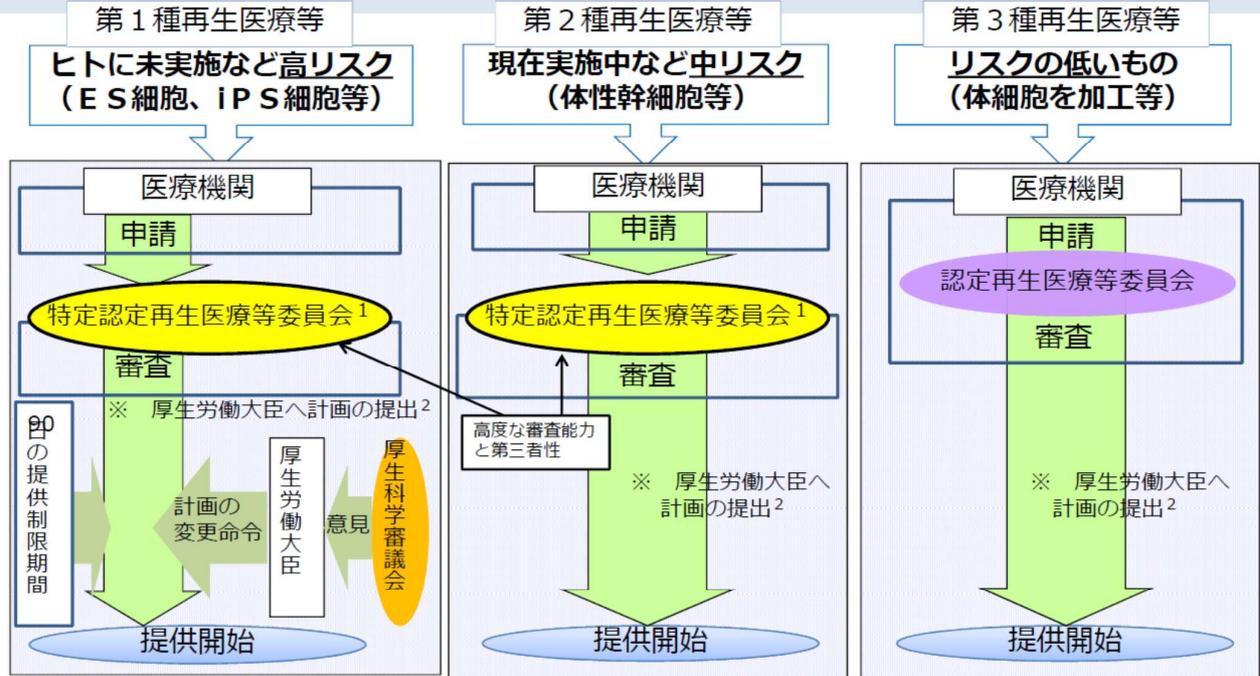
再生医療について

- 再生医療等の安全性の確保等に関する法律(関係法令等)
- 再生医療等の安全性の確保等に関する法律(平成25年法律第85号)
再生医療等の安全性の確保等に関する法律が制定されました(平成25年11月27日公布)。この法律は平成26年11月25日より施行されました。
- 概要[1.519KB]
- 本文[241KB]
- 再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行令(平成26年8月8日政令第278号)
- 本文[101KB]
- 再生医療等の安全性の確保等に関する法律の施行等について(平成26年9月26日医政発0926第1号厚生労働省医政局長通知)
- 本文[379KB]
- 再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行規則(厚生労働省令第110号)
- 本文[449KB]
- 申請等様式
- 「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」、「再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行令」及び「再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行規則」の取扱いについて(平成26年10月31日医政研究1031第1号厚生労働省医政局研究開発振興課長通知)

政策について

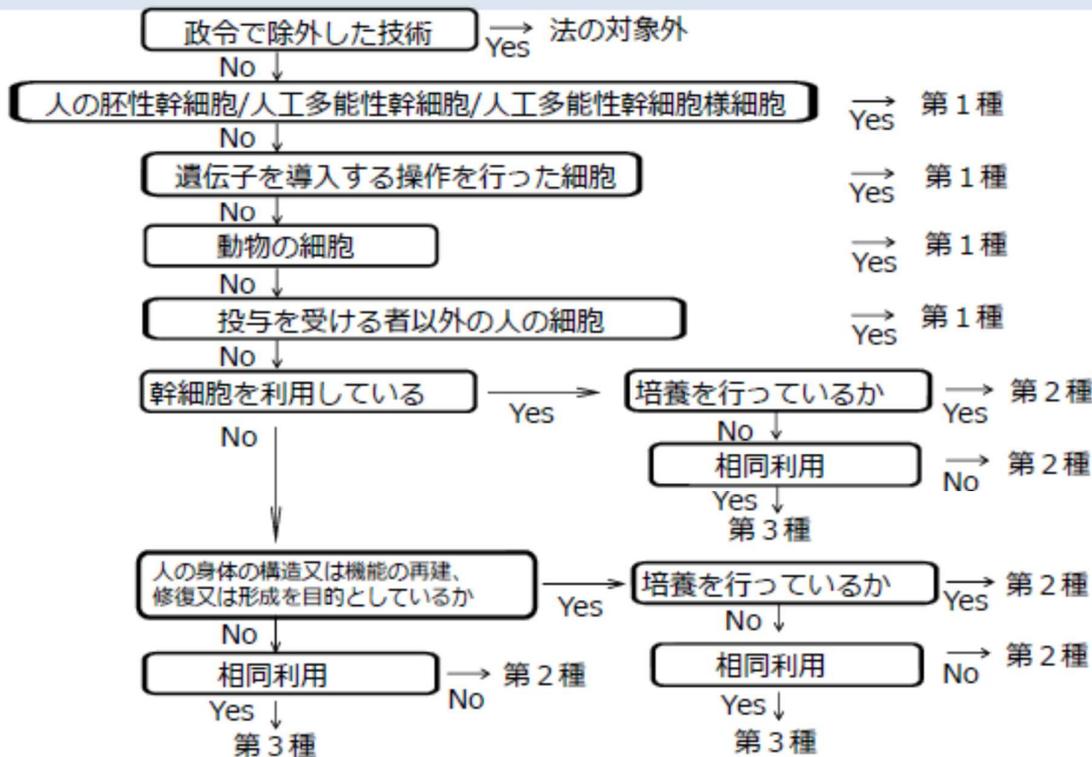
- 分野別の政策一覧
 - 健康・医療
 - 健康
 - 食品
 - 医療
 - 医療保険
 - 医薬品・医療機器
 - 子ども・子育て
 - 福祉・介護
 - 雇用・労働
 - 年金
 - 他分野の取り組み
 - 組織別の政策一覧
 - 各種助成金・奨励金等の制度
 - 審議会・研究会等
 - 国会会議録
 - 予算および決算・税制の概要
 - 政策経緯・法経緯

1-3. リスクに応じた再生医療等安全性確保法の手続き

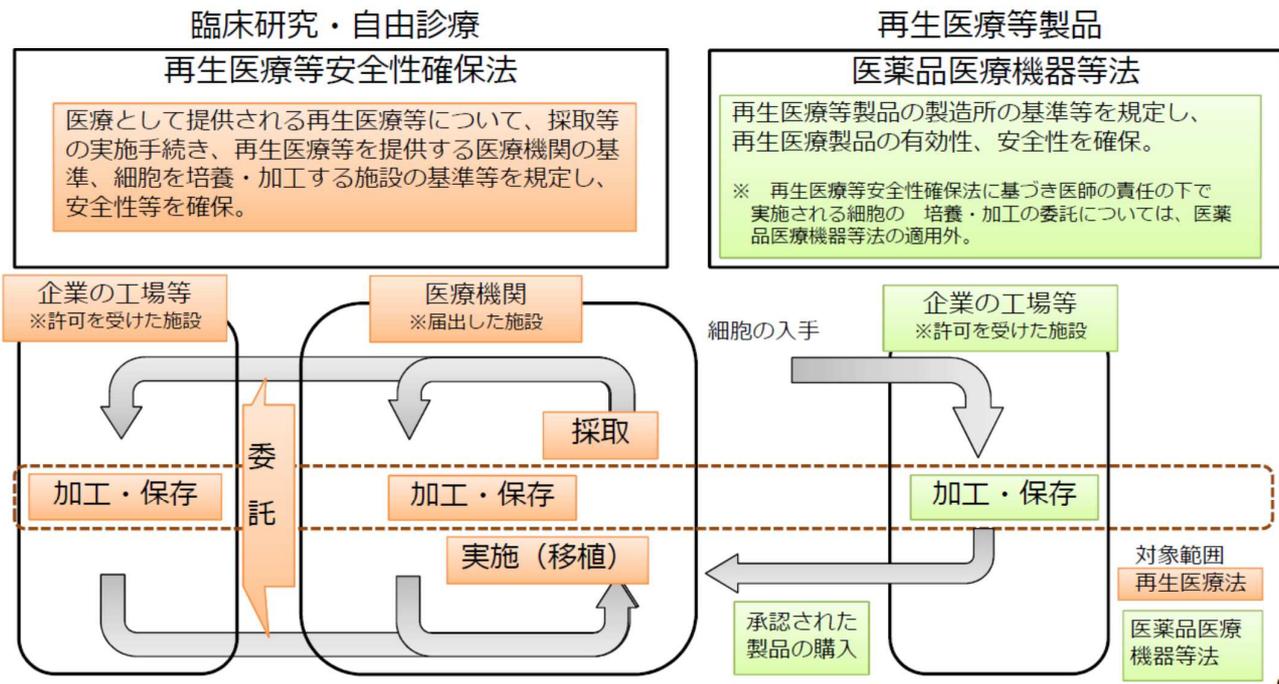


(注1) 「認定再生医療等委員会」とは、再生医療等技術や法律の専門家等の有識者からなる合議制の委員会で、一定の手続により厚生労働大臣の認定を受けたものをいい、「特定認定再生医療等委員会」は、認定再生医療等委員会のうち、特に高度な審査能力、第三者性を有するもの。
 (注2) 厚生労働大臣への提供計画の提出の義務付ける。提供計画を提出せずに再生医療等を提供した場合は、罰則が適用される。

2-3. 第1種・第2種・第3種再生医療等技術のリスク分類



1-4. 再生医療等安全性確保法による細胞培養加工の外部委託（医薬品医療機器等法と再生医療等安全性確保法）



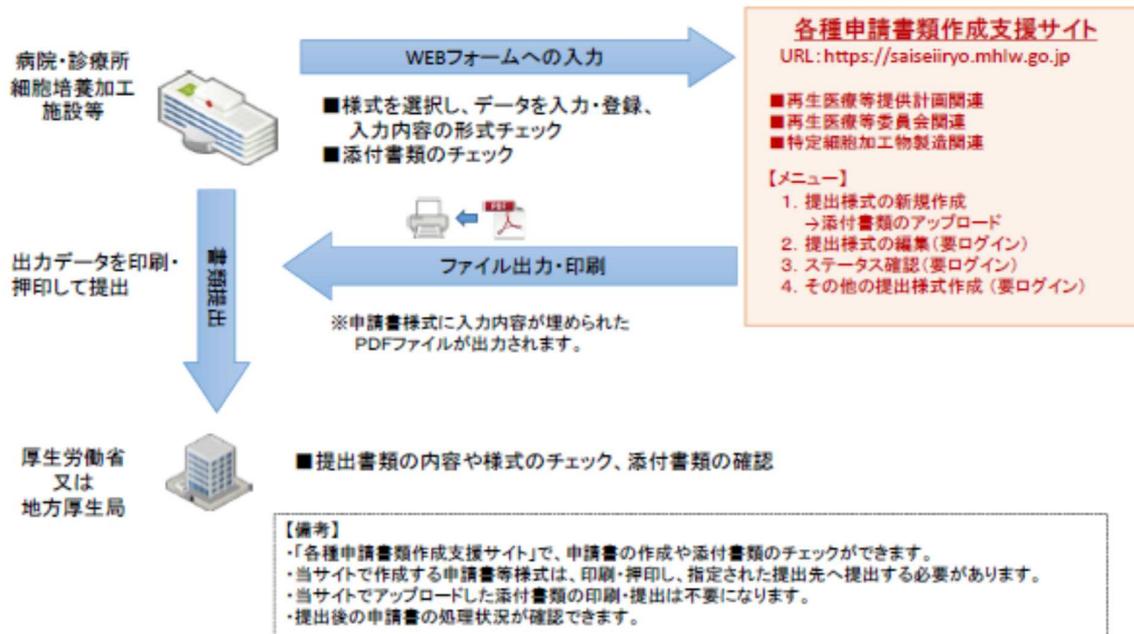
3-3. 改正薬事法との比較

	再生医療等安全性確保法	改正薬事法（再生医療等製品）
構造設備	法第42条に基づく基準（省令） 院外：許可（PMDA調査） 海外：認定（PMDA調査） 院内等：届出	薬局等構造設備規則 （PMDA調査）
製造管理・品質管理等	法第44条に基づく基準（省令） ＊ 場合により厚生労働大臣又はPMDAによる立入検査又は質問	GCTP省令 （PMDA調査）

- ・法第42条、第44条ともに、再生医療等技術のリスク分類、特定細胞加工物の製造場所が院内か院外かに関わらず、**同じ基準が適用**される。
- ・細胞培養加工施設の許可、認定又は届出にあたり必要になるのは法第42条への適合。

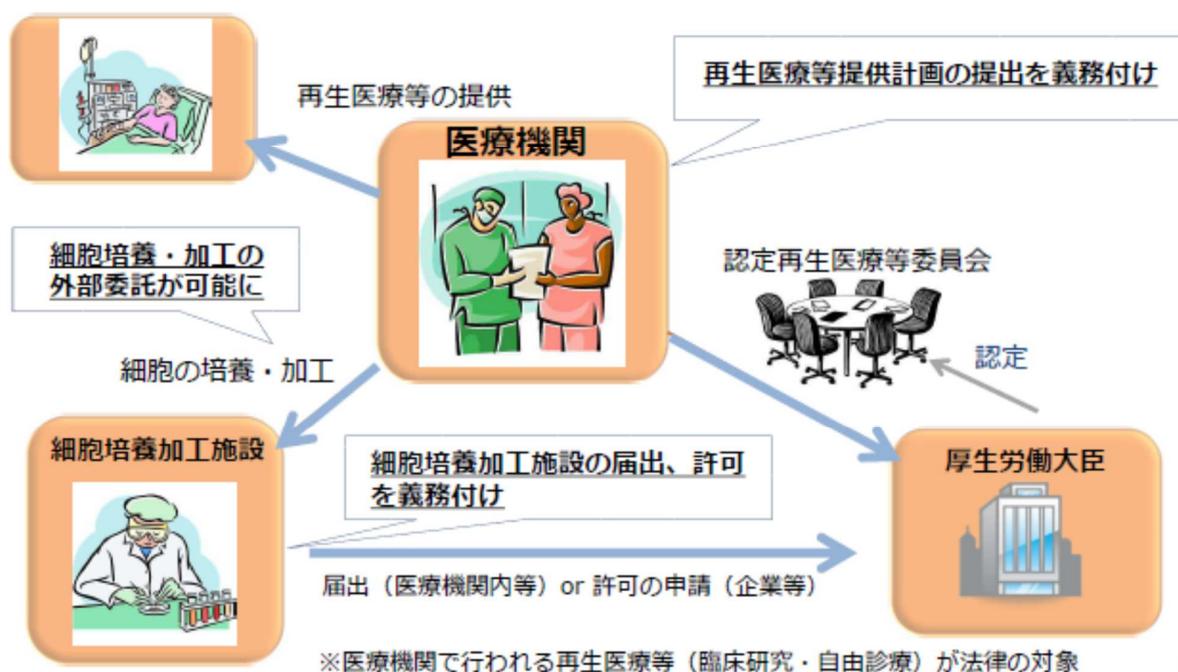
6-1. 再生医療等安全性確保法の手続き等のイメージ

■提出の流れ(基本的な処理フロー)



48

6-2. 再生医療等安全性確保法の手続き等のイメージ



50

薬事法等の一部を改正する法律案の概要

医薬品、医療機器等の安全かつ迅速な提供の確保を図るため、添付文書の届出義務の創設、医療機器の登録認証機関による認証範囲の拡大、再生医療等製品の条件及び期限付承認制度の創設等の所要の措置を講ずる。

I 法律案の概要

1 医薬品、医療機器等に係る安全対策の強化

- (1) 薬事法の目的に、保健衛生上の危害の発生・拡大防止のため必要な規制を行うことを明示する。
- (2) 医薬品等の品質、有効性及び安全性の確保等に係る責務を関係者に課す。
- (3) 医薬品等の製造販売業者は、最新の知見に基づき添付文書を作成し、厚生労働大臣に届け出るものとする。

2 医療機器の特性を踏まえた規制の構築

- (1) 医療機器の製造販売業・製造業について、医薬品等と章を区分して規定する。
- (2) 医療機器の民間の第三者機関による認証制度を、基準を定めて高度管理医療機器にも拡大する。
- (3) 診断等に用いる単体プログラムについて、医療機器として製造販売の承認・認証等の対象とする。
- (4) 医療機器の製造業について、許可制から登録制に簡素化する。
- (5) 医療機器の製造・品質管理方法の基準適合性調査について、合理化を図る。

3 再生医療等製品の特性を踏まえた規制の構築

- (1) 「再生医療等製品」を新たに定義するとともに、その特性を踏まえた安全対策等の規制を設ける。
- (2) 均質でない再生医療等製品について、有効性が推定され、安全性が認められれば、特別に早期に、条件及び期限を付して製造販売承認を与えることを可能とする。

4 その他

薬事法の題名を「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」に改めるほか、所要の改正を行う。

II 施行期日

公布の日から1年を超えない範囲内において政令で定める日

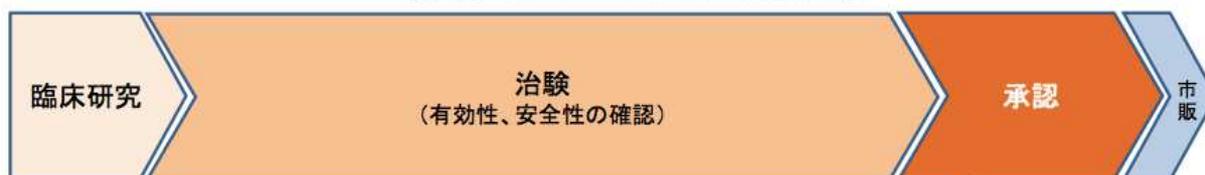
<http://www.mhlw.go.jp/topics/bukyoku/soumu/houritu/dl/183-52.pdf>

再生医療等製品の実用化に対応した承認制度(条件・期限付承認)

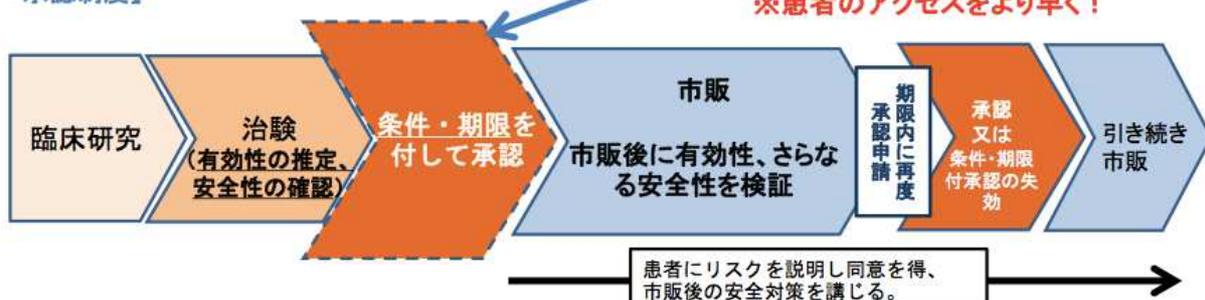
<再生医療等製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点>

人の細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。

【従来の承認までの道筋】



【再生医療等製品の早期の実用化に対応した承認制度】



- ・有効性については、一定数の限られた症例から、従来より短期間で有効性を推定。
- ・安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。

再生医療推進法、そして基本方針

安全確保法

医薬品医療機器等法

臨床試験の実施の基準

安全性に関する非臨床試験の実施の基準

製造販売後の調査及び試験の実施の基準

再生医療提供計画関係

法3条→施行規則4条
(5-26条)
(再生医療等提供基準)

流通

開発

製造販売後の安全管理の基準

細胞培養加工施設関係

研究

法42条→施行規則89条
(構造設備)

薬局等構造設備規則

法44条→施行規則91条
(92-110条)
(製造管理・品質管理)

製造管理および品質管理の基準
(GCTP)

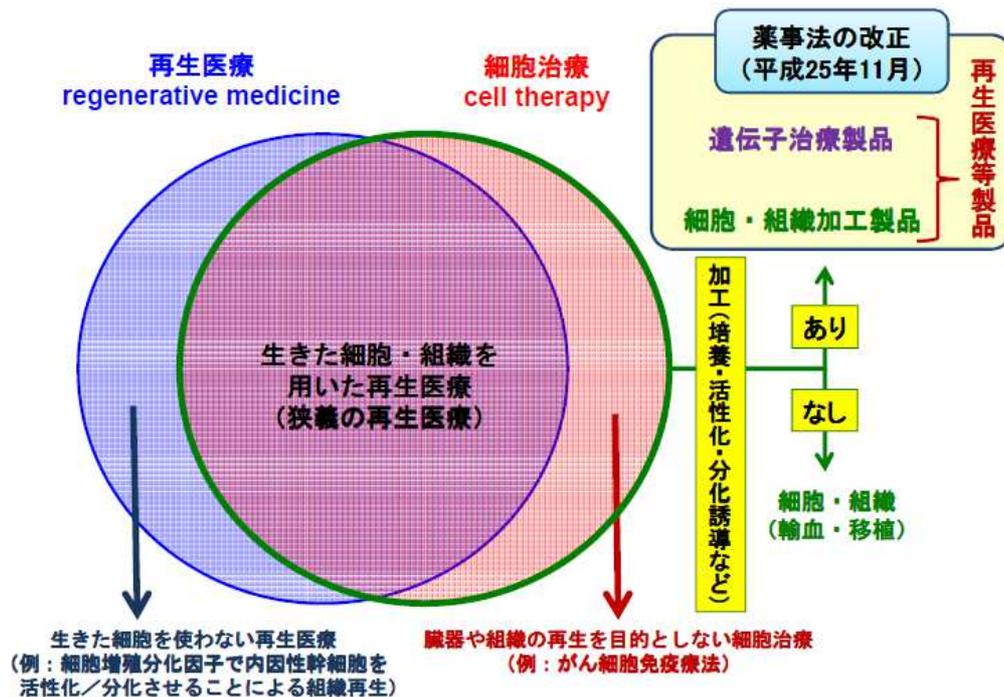
ヒトES細胞の樹立や分配等、特に定められた指針

生物由来原材料基準

再生医療というもの

再生医療の特性

- 自分のもの？他人のもの？
- 加工の度合い
- 個別か普遍か
- リスクマネジメントのむずかしさ



NIHS佐藤先生スライドよりピックアップ

<https://staff.aist.go.jp/yamane.t/RS/index.files/92RS-Satou.pdf>

再生医療等製品の定義

- この法律で「再生医療等製品」とは、次に掲げる物(医薬部外品及び化粧品を除く。)であつて、政令で定めるものをいう。
- 一 次に掲げる医療又は獣医療に使用されることが目的とされている物のうち、人又は動物の細胞に培養その他の加工を施したもの
- イ 人又は動物の身体の構造又は機能の再建、修復又は形成
- ロ 人又は動物の疾病の治療又は予防
- 二 人又は動物の疾病の治療に使用されることが目的とされている物のうち、人又は動物の細胞に導入され、これらの体内で発現する遺伝子を含むさせたもの

事例の増加、進展

ヒト幹細胞への適合性が承認され我が国で実施されているヒト幹細胞臨床研究の一覧

平成26年11月6日現在

番号	申請機関	研究機関の長	研究責任者	研究課題名	申請日	大臣意見	研究期間
99	東海大学医学部	今井裕	佐藤正人	同種細胞シートによる関節治療を旨とした臨床研究	平成26年4月25日	平成26年8月6日	平成31年8月まで
100	大阪大学医学部附属病院	金倉謙	山下静也	重症家族性高コレステロール血症(主としてホモ接合体)に対する同種脂肪組織由来多系統前駆細胞移植療法の安全性の検討	平成26年4月21日	平成26年9月17日	平成29年5月まで
101	山口大学医学部附属病院	岡正朗	濱野公一	低酸素プレコンディショニングによる単核球の機能増強と血管再生療法への応用に関する臨床研究(第1相試験)	平成24年1月26日	平成26年9月17日	平成30年9月まで
102	国立国際医療研究センター	春日雅人	柳瀬幹雄	C型肝炎ウイルスに起因する肝硬変患者に対する自己骨髄細胞投与療法の有効性と安全性に関する研究	平成24年8月31日	平成26年9月17日	平成29年9月まで
103	山形大学医学部	山下英俊	上野義之	C型肝炎ウイルスに起因する肝硬変患者に対する自己骨髄細胞投与療法の有効性と安全性に関する研究	平成26年4月23日	平成26年9月17日	平成29年9月まで
104	沖縄徳洲会湘南鎌倉総合病院	塩野正喜	小林修三	維持透析療法中の慢性重症下肢血管患者を対象とした自家末梢血CD34陽性細胞移植による下肢血管再生療法	平成25年10月9日	平成26年9月17日	平成29年9月まで
105	広島大学病院	茶山一彰	越智光夫	自己骨髄間葉系細胞の磁気ターゲットングによる関節軟骨欠損修復	平成26年2月24日	平成26年11月6日	平成29年11月まで
106	順天堂大学	新井一	田中里佳	難治性四肢潰瘍患者を対象とした自己末梢血単核球生体外培養増幅細胞移植による血管・組織再生治療に関する第1相試験臨床研究	平成26年6月23日	平成26年11月6日	平成28年11月まで
107	愛知医科大学	岡田尚志郎	山田陽一	自己歯髄由来幹細胞を用いた骨再生療法の開発	平成26年6月25日	平成26年11月6日	平成29年11月まで
108	名古屋大学医学部附属病院	石黒直樹	片桐渉	骨髄由来間葉系細胞を用いた顎骨欠損に対する骨再生医療研究	平成26年6月24日	平成26年11月6日	平成33年5月まで

再生医療のステージの違い

医療の提供
(再生医療安全確保法)

- 医師が主導
- 限局的な適用
- ある程度臨機応変
- 研究費あるいは自費
- 特殊な保険制度への期待

製品の提供
(医薬品医療機器等法)

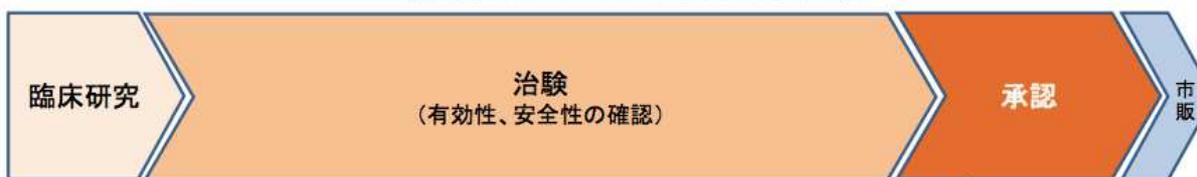
- おもに事業者が主導
- より多くを対象とした適用が期待される
- 定まった品質、安全性、有効性
- 事業としての経済性
- 保険制度への期待

再生医療の治療の仕組みを考えると、従来の有効性の考え方では、なかなか現実にならない！製品そのもの個人差があるものをどう考えるか？

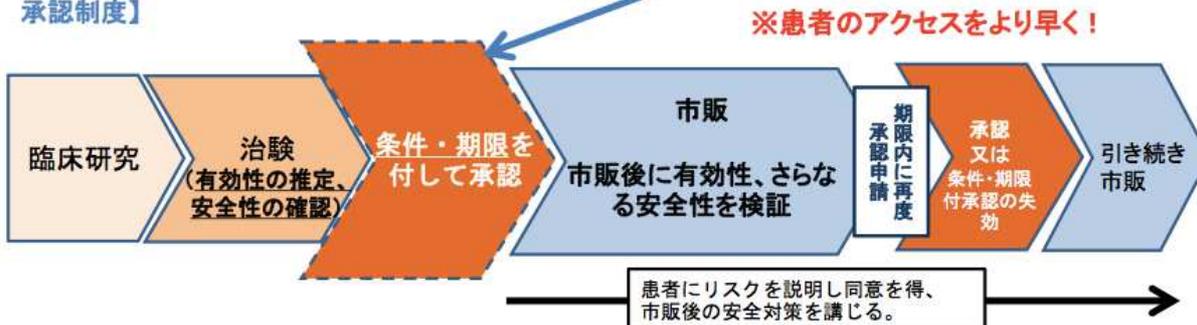
再生医療等製品の実用化に対応した承認制度(条件・期限付承認)

<再生医療等製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点>
人の細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。

【従来の承認までの道筋】



【再生医療等製品の早期の実用化に対応した承認制度】



•有効性については、一定数の限られた症例から、従来より短期間で有効性を推定。
•安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。

評価をすること(SCOPE)

私たちは、
規制当局による審査だけでなく、
研究開発、事業化のすべてで、
評価をすることという活動をしています。

成長や継続性に欠かせない活動

再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるように
するための施策の総合的な推進に関する法律

- (目的)
- 第一条
- この法律は、再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるようにするために、その研究開発及び提供並びに普及の促進に関し、基本理念を定め、国、医師等、研究者及び事業者の責務を明らかにするとともに、再生医療の研究開発から実用化までの施策の総合的な推進を図り、もって国民が受ける医療の質及び保健衛生の向上に寄与することを目的とする。

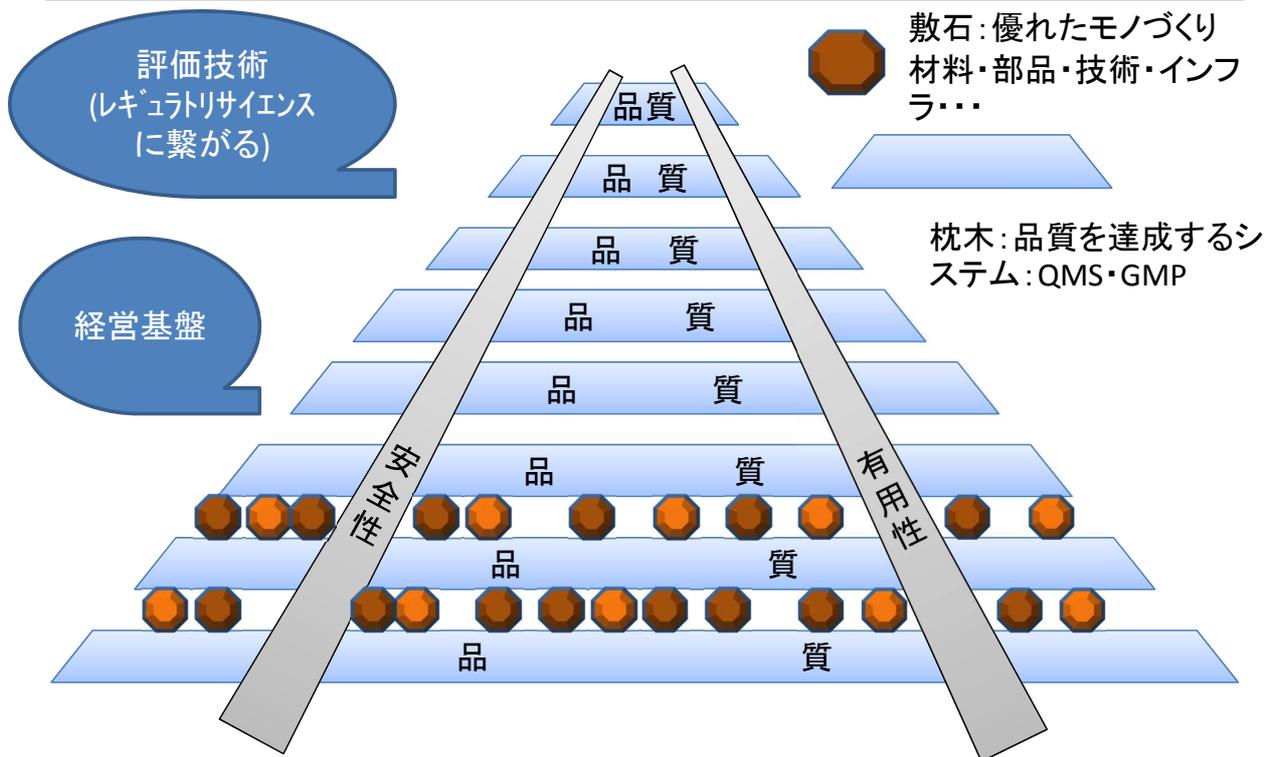
再生医療等の安全性の確保等に関する法律
(平成二十五年法律第八十五号)

- (目的)
- 第一条
- この法律は、再生医療等に用いられる再生医療等技術の安全性の確保及び生命倫理への配慮(以下「安全性の確保等」という。)に関する措置その他の再生医療等を提供しようとする者が講ずべき措置を明らかにするとともに、特定細胞加工物の製造の許可等の制度を定めること等により、再生医療等の迅速かつ安全な提供及び普及の促進を図り、もって医療の質及び保健衛生の向上に寄与することを目的とする。

医薬品、医療機器等の品質、有効性及び
安全性の確保等に関する法律
(昭和三十五年八月十日法律第百四十五号)

- (目的)
- 第一条
- この法律は、医薬品、医薬部外品、化粧品、医療機器及び再生医療等製品(以下「医薬品等」という。)の品質、有効性及び安全性の確保並びにこれらの使用による保健衛生上の危害の発生及び拡大の防止のために必要な規制を行うとともに、指定薬物の規制に関する措置を講ずるほか、医療上特にその必要性が高い医薬品、医療機器及び再生医療等製品の研究開発の促進のために必要な措置を講ずることにより、保健衛生の向上を図ることを目的とする

安全性と有効性、品質



評価視点の違いがある

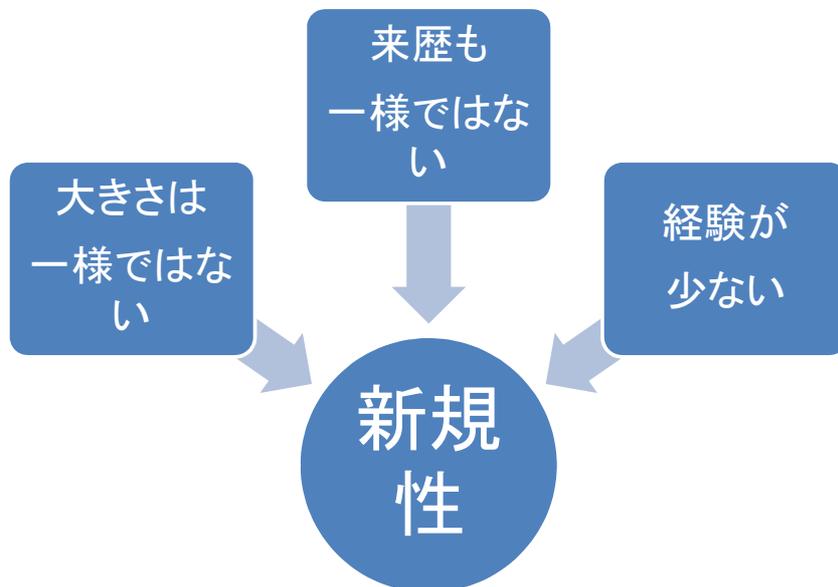
	E(有効性)	S(安全性)	Q(品質)	母集団
再生医療安全確保法 (臨床研究や医療サイド)	ある一定の	出来る限り	現実的な品質管理 (委託するなら、より良い品質が期待できる)	少ない
医薬品医療機器等法 (産業サイド)	どの程度、確実か	出来る限り 低減マネジメント	品質マネジメントシステムの姿勢	より多く

**信頼と橋渡しを考えると
ものさしの共有が非常に重要**

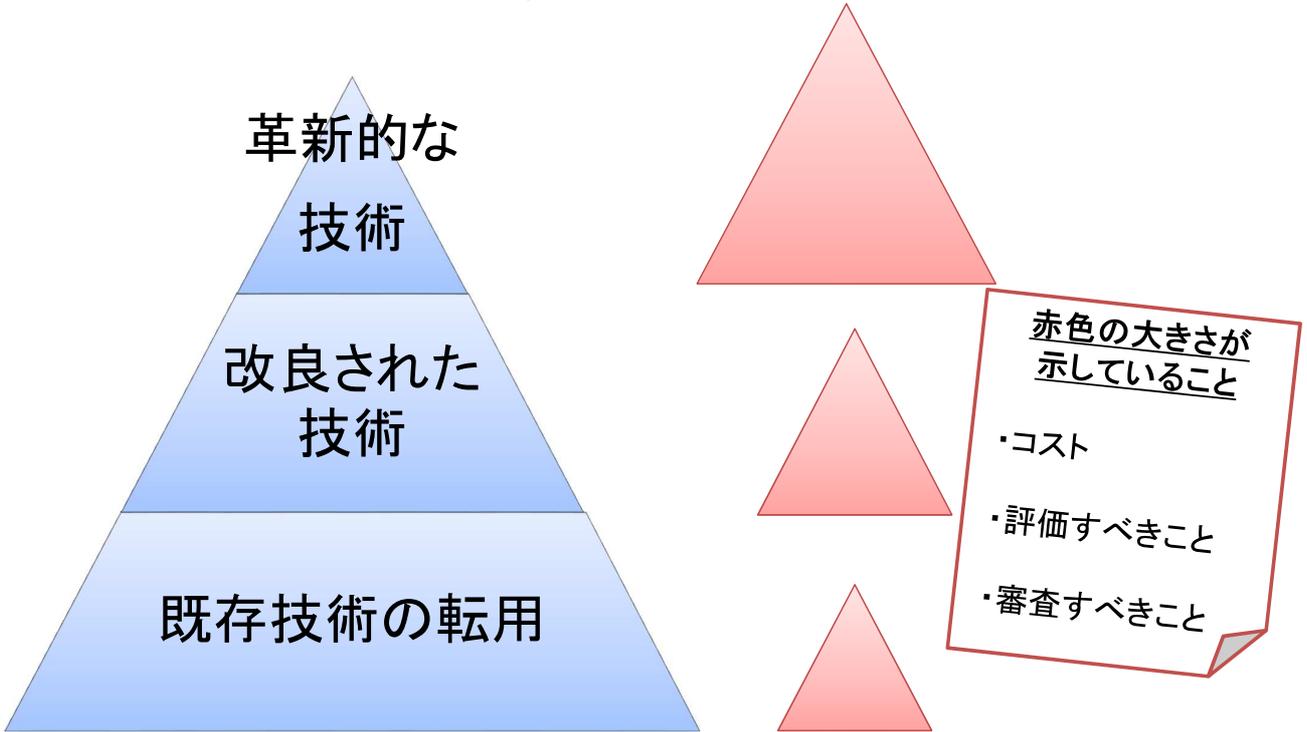
線が引きやすい！
目安がわかる！



新規性が高い医療である



正しく見極めること



FDAによるクリティカルパスリサーチ

本報告書は 2004 年 3 月 16 日付報告書の改訂版である。BLA および NME の年次データは改訂された図表に記載されており、その他、編集上の多少の修正も加えられている。

This report replaces the version posted on March 16, 2004. It contains a revised Figure 2, which now reflects fiscal year data for both BLAs and NMEs, and minor editorial changes.

新しい医薬品・医療機器のためのクリティカルパス上に存在する課題と機会

Challenge and Opportunity on the Critical Path to New Medical Products

米国保健社会福祉省
米国食品医薬品局 (FDA)
2004 年 3 月
FDA
U.S. Department of Health and Human Services
Food and Drug Administration
March 2004

平成 17 年 11 月 17 日

<http://www.fda.gov/oc/initiatives/criticalpath/whitepaper.html>

表 1 クリティカルパスの 3つの局面

局面	定義	活動例
安全性評価	開発の各段階において製品の安全性が適切である	<ul style="list-style-type: none"> 前臨床: ヒトを対象とした初期実験について、製品の安全性は十分である 安全性に問題のある製品を早い段階ではじめる
医療面での有用性実証	製品によるベネフィットを一般の人々に示す	<ul style="list-style-type: none"> 前臨床: 商品化について、製品の安全性は十分である 臨床: 有効性が高いと考えられる適切なデザイン (機器の場合)、または候補物質 (医薬品の場合) の選択 臨床: ヒトに対する有効性を示す
工業・製品化	概念またはプロトタイプから製造可能な製品への移行	<ul style="list-style-type: none"> 品質の高い製品のデザイン 物理的デザイン 固定 仕様 大量生産キャパシティの開発 製造を目的としたスケールアップ 品質管理

この表は科学のおよび技術的局面について言及している。その他のビジネス局面 (例: 資金の調達、知的所有権の懸念、市場および販売の手配) については、本表の範囲に含まれない。

図 6 クリティカルパスの 3つの局面における活動

<http://www.pmda.go.jp/operations/shonin/info/report/file/InnovationorStagnation.pdf>
 PMDAのホームページに日本語版があります。

ガイドラインを活用する

- 適正に導いていく
- 共有すべき物差しである

**既存技術や、
改良された技術においては、
ガイドラインを
いかに参照するかがカギ！**

由来に基づく

指針として通知された

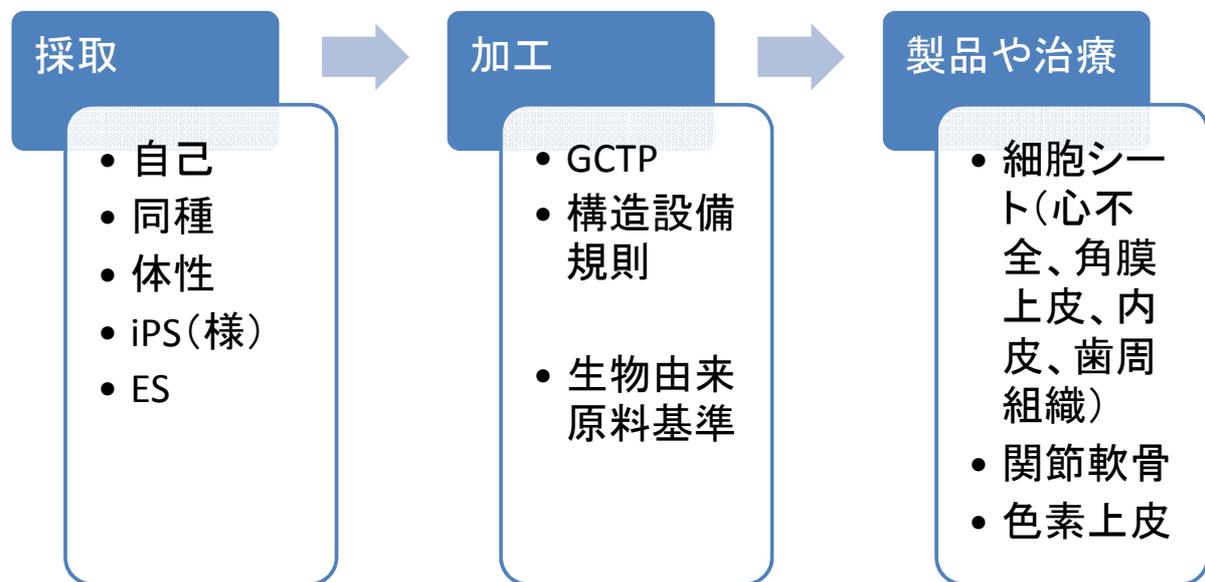
- 自己細胞由来製品
- 同種細胞由来製品
- 体性幹細胞(自己)由来製品
- 体制幹細胞(同種)由来製品
- iPS(様)細胞(自己)由来製品
- iPS(様)細胞(同種)由来製品
- ES細胞由来製品

疾病や製品に基づく

おもに評価指標として制定

- 重症心不全細胞治療用細胞シート
- 角膜上皮細胞シート
- 角膜内皮細胞シート
- 関節軟骨再生
- 歯周組織治療用細胞シート
- 自己iPS細胞由来網膜色素上皮細胞
- 同種iPS細胞由来網膜色素上皮細胞

ガイドラインのマッピング



重要なガイドラインを どう探せば？

再生医療等製品の製造販売承認申請に際し
留意すべき事項について

薬食機参発 0812 第5号 平成 26 年8月 12 日

研究開発を効率化するテクニック

ガイドラインを精査

- 共通点・相違点を洗い出す
- 既存の「ものさし」でできることを増やす
- 新しい「ものさし」の創出を減らす

ものさしを創り出す

- わかりやすいものとする
- 共有性を作りこむ
- 自らのPDCAサイクルを応用する

無いときはどうするのか？

ものさしを創ることを検討

作業の分解と実践
(目盛？長さ？角度？信頼性？)

規制当局との相談を利用する

薬事戦略相談の活用

相談対象と相談区分の関係

相談区分	相談対象		
	医薬品	医療機器・体外診断薬	再生医療等製品
医薬品戦略相談	○	—	—
医療機器戦略相談	—	○	—
再生医療等製品戦略相談	—	—	○
再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談	○	—	○
薬事開発計画等戦略相談	○	○	○

再生医療等製品の相談業務について 対面助言(治験相談・簡易相談)、事前面談等

PMDA 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

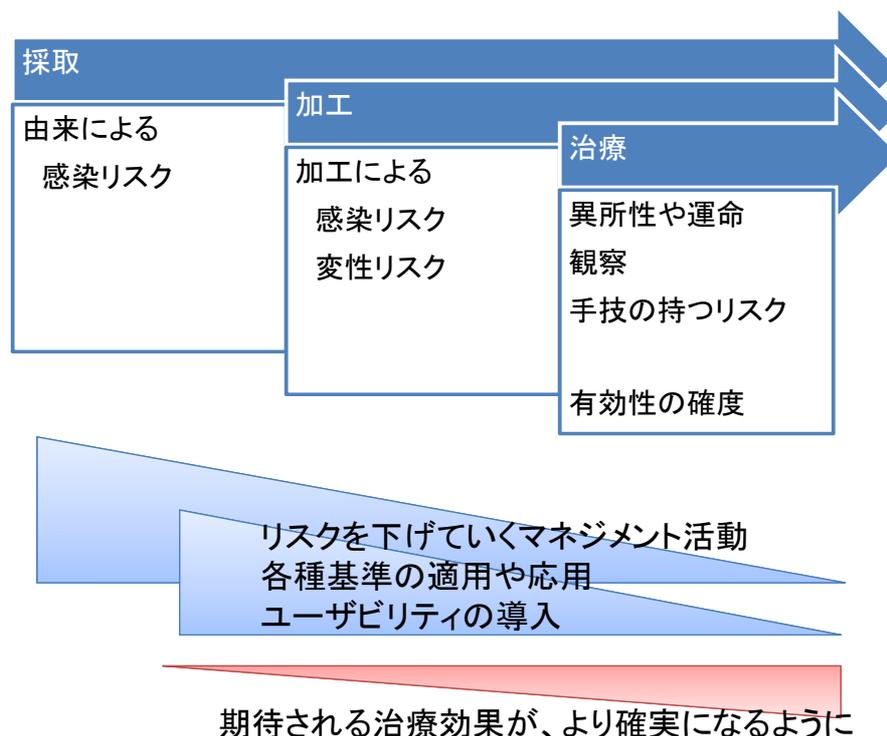
再生医療等製品の相談業務について

1. 再生医療等製品の相談業務についての対面助言(治験相談・簡易相談)、事前面談等

医薬品医療機器総合機構で行う対面助言、事前面談等については次のとおりです。また、再生医療等製品は、薬事戦略相談において、初回治験の開始にあたり必要な品質及び安全性に係る指導・助言も行います(薬事戦略相談はこちら)。

相談区分	概要	手数料額	追加相談
対面助言 フロー図はこちら			
1. 再生医療等製品手続相談	再生医療等製品の承認申請のための臨床試験に関する手続き等について相談をうけ、関連諸法令、通知等に基づき、指導及び助言を行うもの。データの評価を行うものは該当しない。	134,900	—
2. 再生医療等製品開発前相談	開発の開始前あるいは開発初期の段階において、開発予定の製品の既承認品目及び関連製品の市場調査、文献検索等による情報、基礎研究等を基に承認取得に際し求められる資料の概念的な要求事項(どのような臨床試験が必要と考えるか、効力を裏付ける試験の概念的な要求事項など)についての相談、当該製品について、科学的評価の完了しなくても相談を受けることができる。提出データの解析・評価を実施せず概念的な要求事項を提示するもの。	289,900	149,900
3. 再生医療等製品非臨床相談	効力又は性能、体内動態、安全性等の非臨床試験に関する事項に特化した相談として、指導及び助言を行うもの(治験開始後等の相談を対象とし、薬事戦略相談の品質及び安全性に係る相談を受ける場合を除く)。なお、品質及び非臨床安全性に特化した相談も含む。	889,500	449,700
4. 再生医療等製品品質相談	加工・細胞等及び再生医療等製品の規格・試験方法、安定性、製造方法等の品質に関する事項に特化した相談として指導及び助言を行うもの。※コンベンション製品の創薬候補に関するものについては、内容に応じて別途、医薬品又は医療機器の相談区分の相談を受けていただくことがあります。	846,200	473,200
5. 再生医療等製品探索的試験開始前相談	既に実施された非臨床試験及び臨床研究、類似の再生医療等製品の臨床試験及び臨床研究の試験成績等を基に、探索的試験の実施について、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。(注:再生医療等製品となることの見込まれる加工・細胞等について、初めてと見なされるに当たっての品質・非臨床安全性情報の十分性については、戦略相談(品質安全性にかかわるもの)での対応となる。本相談区分は主に臨床試験実施計画についての相談を受ける。)	1,088,500	549,700
6. 再生医療等製品探索的試験終了後相談	探索的試験実施後、当該加工・細胞等の相談として初めての相談であり、Proof of Concept(POC)確立の程度、次相試験の試験デザイン等について、もたれに実施された臨床試験結果、類似製品等の情報に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。	1,088,500	549,700
7. 再生医療等製品申請前相談	承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめる、資料の十分性についてそれまでの臨床試験結果に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。(注:条件及び期限付承認を認めない承認申請の場合) ※コンベンション製品の創薬候補に関するものについては、内容に応じて別途、医薬品又は医療機器の相談区分の相談を受けていただくことがあります。	2,388,600	1,199,900
8. 再生医療等製品条件及び期限付承認後臨床試験等計画相談	期限付条件及び期限付承認取得又は申請前に当該承認を想定し、当該承認後の調査及び製造販売後臨床試験の計画について、もたれに実施された臨床試験結果、類似製品の情報に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。また、条件及び期限付承認の期間について調査計画、試験計画の変更等について、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。	1,088,500	549,700
9. 再生医療等製品条件及び期限付承認後臨床試験等終了時相談	条件及び期限付承認から次の承認申請のための資料作成を行う際に、申請資料のまとめる、資料の十分性についてもたれに実施された調査及び臨床試験結果に基づき、初めて相談を受け指導及び助言を行うもの。	1,088,500	549,700

再生医療の場合の留意点

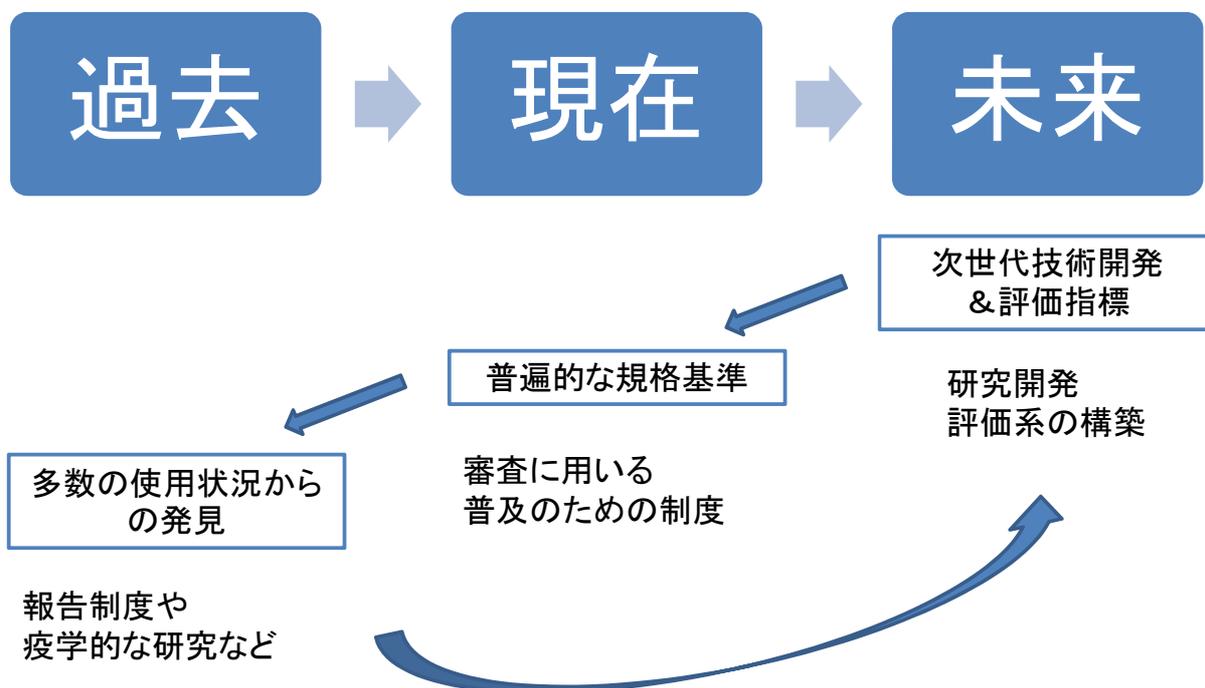


医薬品医療機器等法の 製造販売申請へまとめていく

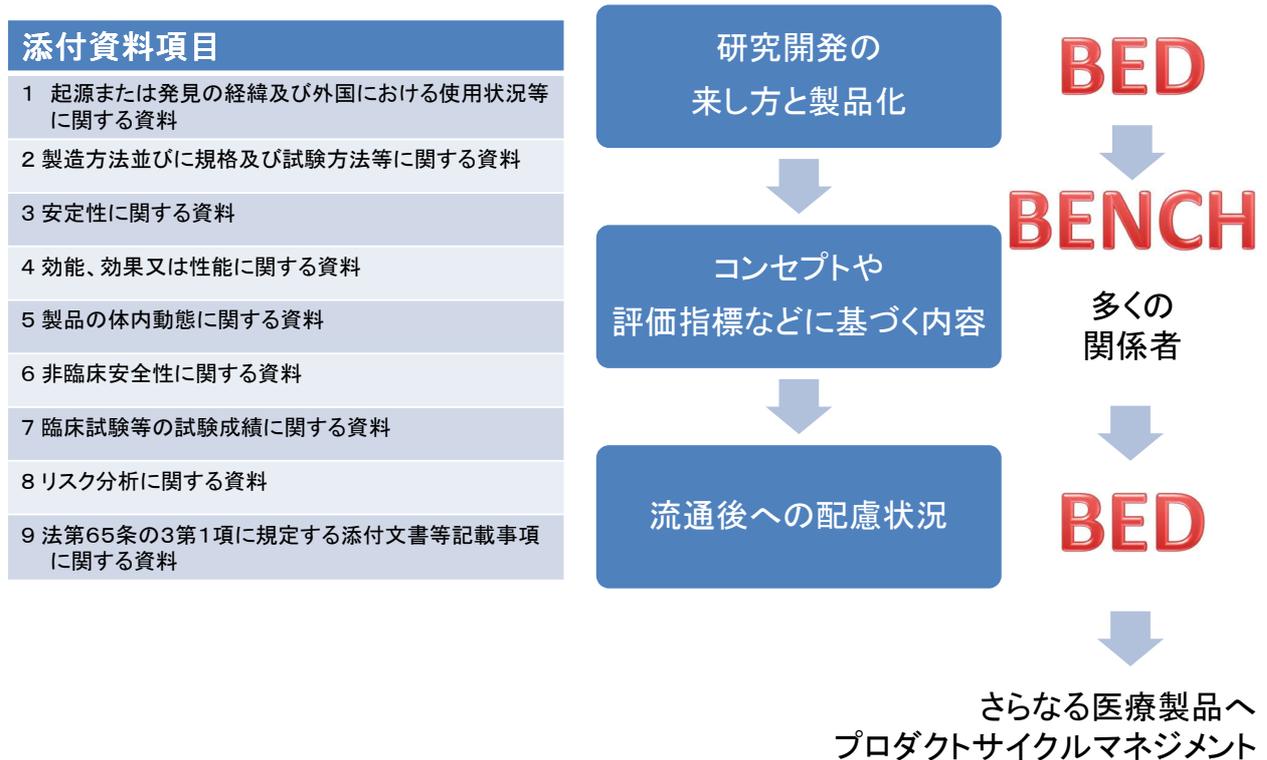
添付資料項目	資料概要
1 起源または発見の経緯及び外国における使用状況等に関する資料	ア 起原又は発見の経緯に関する資料 イ 外国における使用状況に関する資料 ウ 類似する他の治療法との比較検討等に関する資料
2 製造方法並びに規格及び試験方法等に関する資料	ア 製品の構造、構成細胞、導入遺伝子に関する資料 イ 使用する原料、材料又はそれらの原材料に関する資料 ウ 製造方法に関する資料エ 規格及び試験方法に関する資料
3 安定性に関する資料	輸送、保存条件、有効期間の根拠に関する資料
4 効能、効果又は性能に関する資料	効力又は性能を裏付ける試験に関する資料
5 製品の体内動態に関する資料	ア 生体内分布に関する資料 イ その他の体内動態に関する資料
6 非臨床安全性に関する資料	ア 一般毒性に関する資料 イ その他の安全性に関する資料
7 臨床試験等の試験成績に関する資料	臨床試験等の試験成績に関する資料
8 リスク分析に関する資料	ア リスク対策計画に関する資料 イ 製造販売後使用成績調査計画に関する資料 ウ 実施予定の臨床試験計画に関する資料
9 法第65条の3第1項に規定する添付文書等記載事項に関する資料	ア 添付文書案に関する資料 イ 効能、効果又は性能、用法及び用量又は使用方法、使用上の注意(案)等及びその設定根拠に関する資料

サイクルマネジメントへ

レギュラトリーサイエンス



気が付くことはありませんか？



再生医療に期待されるもの

- これまでにない治療戦略
- 大きな期待
- 期待値と応えられるもののバランス感覚
- レギュラトサイエンスという科学的態度
- 倫理と説明責任

観察も重要

- 経験がない、少ない医療としての観察
→製造販売後の調査及び試験の実施
- 改善改良のための観察
→製造販売後の安全管理

- 報告制度
- 結果の共有



Take Home Message

- どのステージにあるのかを見極める
- 規格基準を味方につける
- 外部の意見を聞く習慣を持つ
- 貢献するためのモチベーションとサイクルを

ありがとうございました

神戸大学大学院医学研究科

トランスレーショナルリサーチ
イノベーションセンター (TRIC)

吉川典子

イノベーションの基盤づくりから

事業化まで担当しています

norikoyoshikawa@amethyst.kobe-u.ac.jp

