Disclaimer: 本発表は演者の個人的見解を示すものであり、所属する組織の公式な見解ではないことをご留意ください。
The contents of this presentation represent the view of this presenter only, and do not represent the views and/or policies of the PMDA

ヒト（同種）由来間葉系幹細胞製品の開発について

7 March 2017

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
再生医療製品審査部　丸山良亮

本日の内容

- 開発動向
- 実用化に向けて

承認品目（米国）

14 Products are authorized

- **ALLOCORD;** HPC, Cord Blood
- **Azficel-T**; Laviv, Autologous Fibroblasts
- **Carticel**; Autologous Cultured Chondrocytes
- **TheraCys**; BCG Live (Intravesical)
- **Clevecord**; HPC, Cord Blood
- **GINTUIT**; Allogeneic Cultured Keratinocytes and Fibroblasts in Bovine Collagen
- **HEMACORD**; HPC, Cord Blood
- **Ducord**; HPC, Cord Blood
- HPC, Cord Blood
- HPC, Cord Blood BLA 125432
- HPC, Cord Blood - BLA 125585
- **IMLYGIC**; Talimogene Laherparepvec
- **PROVENGE** (sipuleucel-T); Autologous Cellular Immunotherapy
- Sterile Cord Blood Collection Unit with Anticoagulant Citrate Phosphate Dextrose Solution USP (CPD)

https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/CellularGeneTherapyProducts/ApprovedProducts/default.htm

承認品目（欧州）

8 Products are authorized

- **ChondroCelect** for cartilage repair, 2009 (withdrawn 06/2016)
- **MACI** for cartilage repair, 2012 *(closure of EU manufacturing site 09/2014)
- **Glybera** for treatment of LPL deficiency, 201
- **Provenge** for treatment of advanced prostate c cer, 2013 *(withdrawn 05/2015)
- **Holoclar** for treatment of limbal stem cell deficiency, 2015
- **Imlygic** for treatment of advanced melanoma, 2015
- **Strimvelis** for treatment of ADA-SCID, 2016
- **Zalmoxis** for treatment of high-risk haematological malignancies (adjunctive to HSCT)

自己幹細胞含有

承認品目（韓国）

14 Products are authorized

Products no.	Company no.	Cell & Manipulation				
		Stem cell	Immune cell	Somatic cell*	Minimal manipulation	Xenogeneic cell
14	10	4	2	7	1	0

Cell type	Indication
Bone marrow-derived MSC(auto)(2) Umbilical cord blood-derived MSC(allo)(1) Adipose-derived MSC(auto)(1)	Improvement of left ventricular ejection fraction (AMI) Articular cartilage defects (Knee) Complex perianal fistula (Crohn's disease) Delay of amyotrophic lateral sclerosis (ALS) progression

同種MSC

as of Feb 2016

承認品目（日本）

販売名	テムセルHS注 （JCRファーマ株式会社）	ハートシート （テルモ株式会社）
類別	ヒト体性幹細胞加工製品	ヒト体性幹細胞加工製品
一般的名称	ヒト（同種）骨髄由来 間葉系幹細胞	ヒト（自己）骨格筋由来 細胞シート
効能、効果又は性能	造血幹細胞移植後の 急性移植片対宿主病 同種MSC	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
条件及び期限付承認	非該当	該当
希少疾病用	該当	非該当
製造販売承認申請日 （確認申請：確認日）	平成26年9月26日 （平成19年6月21日）	平成26年10月30日 （平成23年1月31日）
承認日	平成27年9月18日	

再生医療等製品の先駆け審査指定制度の対象品目

（平成28年2月10日指定）

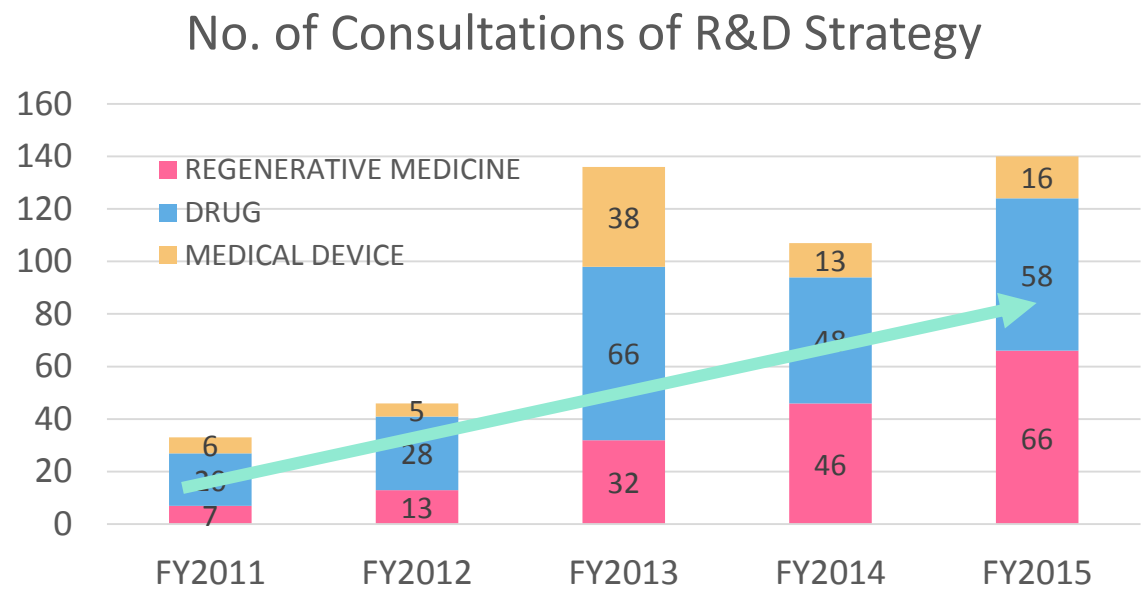
品目名	品目概要
自己MSC STR01 （自家骨髄間葉系幹細胞）	脊髄損傷に伴う神経症候や機能障害の改善を目的とする、患者自身の骨髄から採取した骨髄液から分離、培養した間葉系幹細胞であり、札幌医科大学・医学部附属フロンティア医学研究所・神経再生医療学部門・本望 修教授のシーズを元に、本大学と共同でニプロ（株）が開発
G47Δ （Growth-controlled oncolytic herpes simplex virus type 1）	悪性脳腫瘍（神経膠腫）への適応を目的とした、制限増殖型遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス1型であり、東京大学・医科学研究所・先端がん治療分野・藤堂 具紀教授のシーズを元に、藤堂教授と共同で第一三共（株）が開発
自己幹細胞 JRM-001 （自家心臓内幹細胞）	小児先天性心疾患（機能的単心室症）患者に実施する外科的修復術後の心機能改善を目的とした、患者自身の心臓から採取した組織から分離、培養した心臓内幹細胞懸濁液であり、岡山大学病院・新医療研究開発センター再生医療部・王 英正教授のシーズを元に、（株）日本再生医療が開発

再生医療等製品の先駆け審査指定制度の対象品目

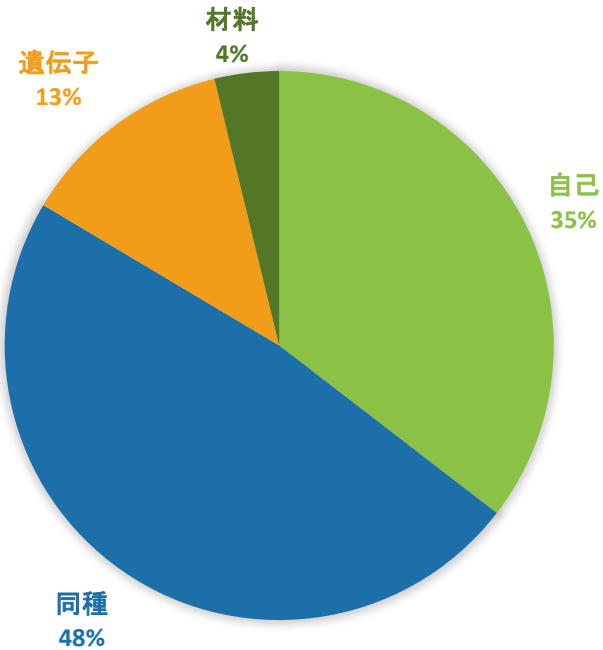
（平成29年2月28日指定）

品目名	品目概要
CLS2702C/D （口腔粘膜由来食道細胞シート）	患者自身の口腔粘膜から採取した上皮細胞を培養した細胞シートであり、食道がんにおける広範囲内視鏡的粘膜下層剥離術（ESD）後の狭窄の抑制及び再上皮化までの日数の短縮目的とするものである。 東京女子医科大学の岡野光夫特任教授のシーズを元に、本大学と共同で（株）セルシードが開発を行っている。
非自己iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞	パーキンソン病患者にドパミン神経前駆細胞を移植し、分泌・補充されるドパミンによりパーキンソン病の神経症状の改善を目的とした、iPS細胞由来の細胞製品である。 京都大学iPS細胞研究所の髙橋淳教授のシーズを元に、大日本住友製薬（株）と共同で開発を行っている。
同種MSC ヒト（同種）成人骨髄由来多能性前駆細胞	急性期（発症後18～36時間）の脳梗塞の治療を目的とした、ドナーの骨髄から採取して増殖させた成人接着性幹細胞に由来する幹細胞製品である。 海外において米国アサシス社が開発を行っており本邦では（株）ヘリオスが臨床試験を実施している。

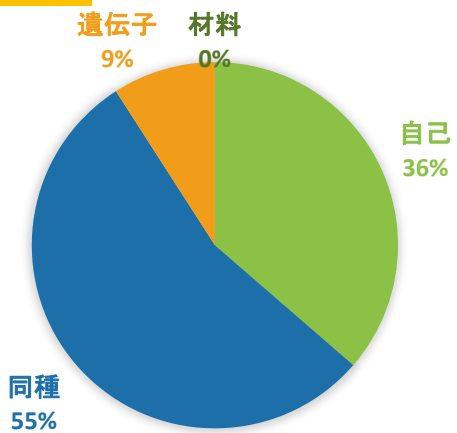
同種製品の国内開発動向（薬事戦略相談）



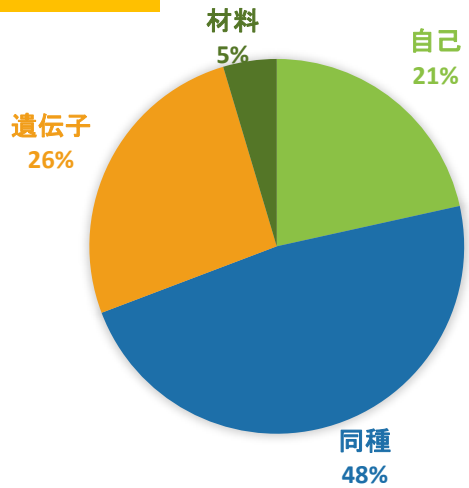
FY2016



FY2012



FY2015



1/4は同種幹細胞

本日の内容

- 開発動向
- 実用化に向けて

よりスムーズな開発に向けて

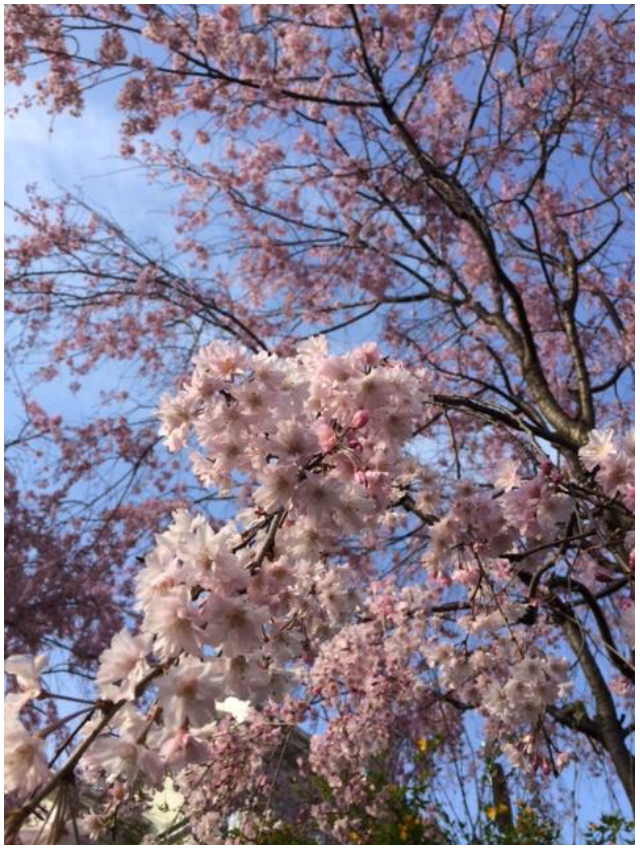
同種

- 自己⇒同種への展開（製品開発のビジネスモデル。アカデミアとの協業も視野に）
- 前処置薬の取扱い（免疫抑制剤等）
- ウイルス安全性の確保（ドナー検査／再検査とセルバンクで実施する試験の関係）
- ドナー更新がある製品の同等性評価

MSC

- 効力・性能の評価どこまで（作用機序複数が故の悩み）

ご清聴ありがとうございました



Please visit the PMDA website

http://www.pmda.go.jp

http://www.pmda.go.jp/english/index.html