第16回日本再生医療学会総会
平成29年3月7日　仙台
シンポジウム　7
運動器疾患の再生医療評価方法

細胞加工製品の開発について
～身体の構造・機能の再建等を目的とした製品～

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
再生医療製品等審査部
河西　正樹

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。
発表に関連し、開示すべきCOI関係にある企業などはありません。

本日の内容

- 薬事法等の一部を改正する法律（平成25年法律第84号）の概要
- 再生医療等製品の承認事例
- 再生医療等製品に関するガイドライン（関節軟骨再生に関する評価指標等について）
- 再生医療等製品の審査
- 実用化に向けて

本日の内容

- 薬事法等の一部を改正する法律（平成25年法律第84号）の概要
- 再生医療等製品の承認事例
- 再生医療等製品に関するガイドライン（関節軟骨再生に関する評価指標等について）
- 再生医療等製品の審査
- 実用化に向けて

薬事法等の一部を改正する法律の概要（平成25年法律第84号）

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。

再生医療等製品の特性を踏まえた規制の構築

改正の内容

【条件及び期限付承認制度の導入】

(2) 均質でない再生医療等製品については、有効性が推定され、安全性が確認されれば、条件及び期限付きで特別に早期に承認できる仕組みを導入する。

その場合、承認後に有効性・安全性を改めて検証する。

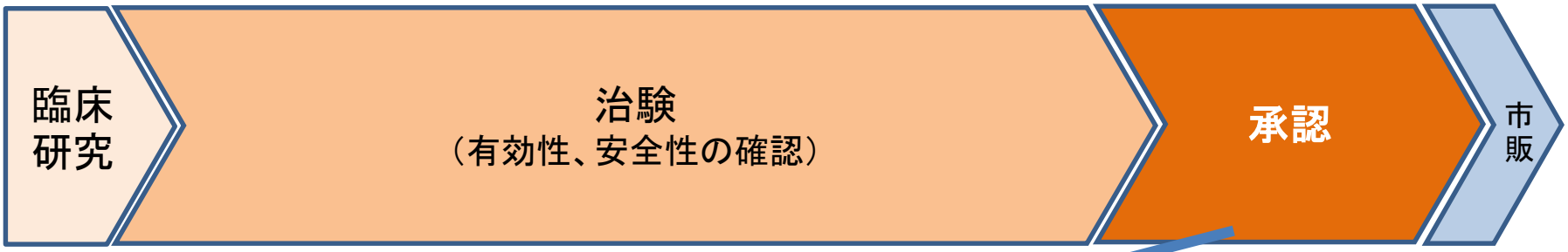
※　条件及び期限については、販売先を専門的な医師や設備を有する医療機関等に限定する条件や、原則として７年を超えない範囲内の期限を想定。

また、承認を受けた者は、期限内に使用成績に関する資料等を添付して、再度承認申請を行うことが必要。

再生医療等製品の条件・期限付承認制度の導入

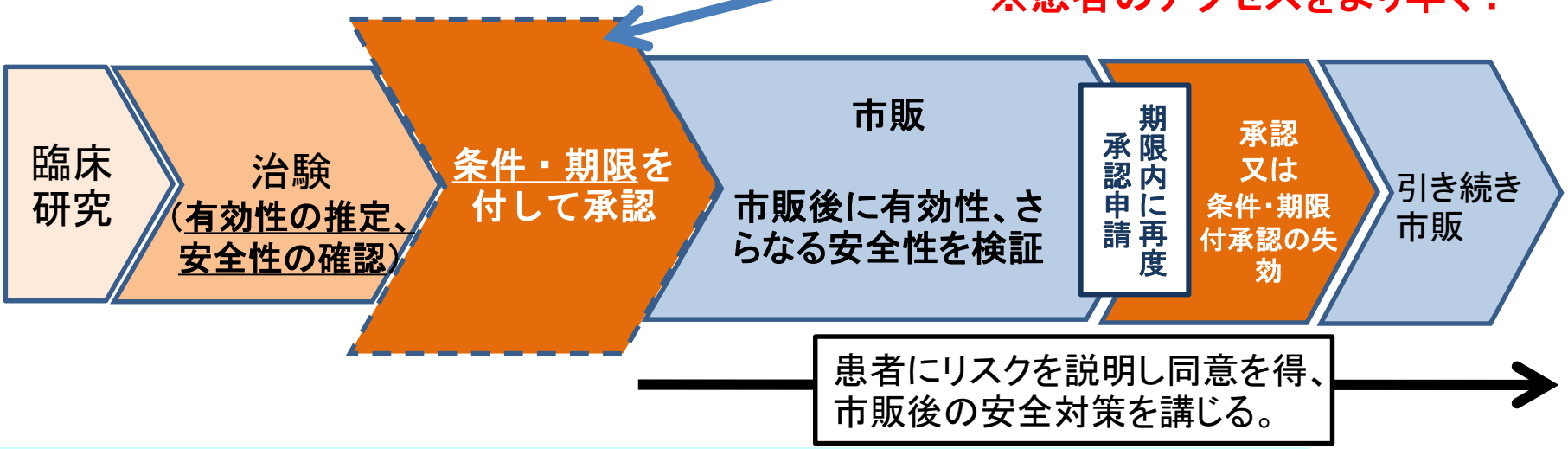
＜再生医療等製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点＞
人・動物の細胞や遺伝子を用いることから、不均質となるため、有効性を確認するための**データの収集・評価に長時間を要する**。

【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】

※患者のアクセスをより早く！



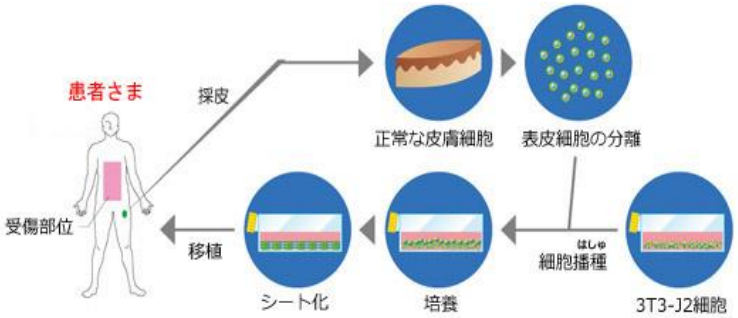
・有効性については、一定数の限られた症例から、従来より**短期間で有効性を推定**。
・安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。

本日の内容

- 薬事法等の一部を改正する法律（平成25年法律第84号）の概要
- 再生医療等製品の承認事例
- 再生医療等製品に関するガイドライン（関節軟骨再生に関する評価指標等について）
- 再生医療等製品の審査（臨床、条件・期限付承認の考え方）
- 実用化に向けて

旧薬事法下で承認された再生医療等製品

ジェイス 自家培養表皮



Ref. Japan Tissue Engineering Co., Ltd. (J-TEC), HP

承認年月日	2016年9月29日　一変承認（適応追加）（2016年1月29日承認申請） 2007年10月29日（2004年10月6日　承認申請） 2004年10月6日　治験終了届提出（2002年10月11日　治験届提出）
一般的名称	ヒト自家移植組織
販売名	ジェイス
製造販売業者	株式会社　ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング
形状、構造及び原理	本品は、患者自身の皮膚組織を採取し、分離した表皮細胞を培養し、シート状に形成して患者自身に使用する「自家培養表皮」である。本品は再構築された真皮に移植され、生着し上皮化することにより創を閉鎖する。
効能、効果又は性能	1. 重症熱傷　自家植皮のための恵皮面積が確保できない重篤な広範囲熱傷で、かつ、受傷面積として深達性Ⅱ度熱傷創及びⅢ度熱傷創の合計面積が体表面積の30%以上の熱傷を適応対象とする。本品はⅢ度熱傷創において、再構築された真皮に適用し、創を閉鎖することを目的とする。真皮の再構築は原則として同種皮膚移植による。深達性Ⅱ度熱傷創への使用は、Ⅲ度熱傷と深達性Ⅱ度熱傷が混在し、分けて治療することが困難な場合に限る。 2. 先天性巨大色素性母斑　表皮細胞シートは先天性巨大色素性母斑を切除した後の創部に適用し、創を閉鎖することを目的とする。

ジャック 自家培養軟骨

Ref. Japan Tissue Engineering Co., Ltd. (J-TEC), HP

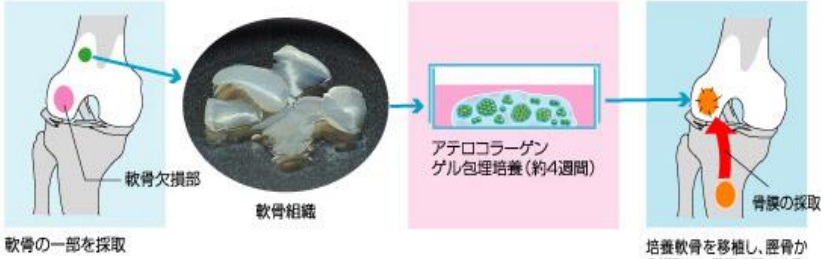
承認年月日	2012年7月27日　（2009年8月24日　承認申請） 2007年03月9日　治験終了届提出　（2004年4月12日　治験届提出）
一般的名称	ヒト自家移植組織
販売名	ジャック
製造販売業者	株式会社　ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング
形状、構造及び原理	本品は、患者から採取した健常な軟骨組織より分離した軟骨細胞を、アテロコラーゲンゲルに包埋して培養し、患者自身に適用する自家培養軟骨である。軟骨細胞を含むアテロコラーゲンゲルを欠損部に移植することにより、臨床症状を緩和する。
効能、効果又は性能	膝関節における外傷性軟骨欠損症又は離断性骨軟骨炎（変形性膝関節症を除く）の臨床症状の緩和。ただし、他に治療法がなく、かつ軟骨欠損面積が4 cm^2以上の軟骨欠損部位に適用する場合に限る。

新しい規制の下での2品目の新規承認

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	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	

本邦既承認の培養軟骨製品

ジャック
自家培養軟骨



Ref. Japan Tissue Engineering Co., Ltd. (J-TEC), HP

承認年月日	2012年7月27日 （2009年8月24日 承認申請） 2007年03月9日 治験終了届提出 （2004年4月12日 治験届提出）
一般的名称	ヒト自家移植組織
販売名	ジャック
製造販売業者	株式会社 ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング
形状、構造及び原理	本品は、患者から採取した健常な軟骨組織より分離した軟骨細胞を、アテロコラーゲンゲルに包埋して培養し、患者自身に適用する自家培養軟骨である。 軟骨細胞を含むアテロコラーゲンゲルを欠損部に移植することにより、臨床症状を緩和する。
効能、効果又は性能	膝関節における外傷性軟骨欠損症又は離断性骨軟骨炎（変形性膝関節症を除く）の臨床症状の緩和。ただし、他に治療法がなく、かつ軟骨欠損面積が4 cm^2以上の軟骨欠損部位に適用する場合に限る。

例：関節軟骨損傷に対する細胞加工製品の開発

- 関節軟骨損傷に対する既存の治療法（例：マイクロフラクチャー法、自家骨軟骨柱移植術）においては、脆弱な線維軟骨の誘導による長期予後の問題、骨軟骨柱のドナー部位の不足、適用可能な軟骨欠損面積の制限など、いくつかの課題が指摘されている。
- 培養軟骨製品は、生体が本来備えている軟骨組織に近い硝子様軟骨を形成する特性を有しており、関節軟骨再生、機能修復、痛みの改善等をもたらすことが期待されている。

→ 製品開発においては、細胞加工製品の特徴や治療目標に対する達成度をいかに評価するかが重要。

本日の内容

- 薬事法等の一部を改正する法律（平成25年法律第84号）の概要
- 再生医療等製品の承認事例
- 再生医療等製品に関するガイドライン（関節軟骨再生に関する評価指標等について）
- 再生医療等製品の審査（臨床、条件・期限付承認の考え方）
- 実用化に向けて

再生医療等製品に関するガイドライン

1. 由来細胞ごとの評価指標

	ガイドライン	策定時期
1	自己細胞由来製品（Q&Aあり）	H20.2
2	同種細胞由来製品（Q&Aあり）	H20.9
3	体性幹細胞（自己）由来製品	H24.9
4	体性幹細胞（同種）由来製品	H24.9
5	iPS（様）細胞（自己）由来製品	H24.9
6	iPS（様）細胞（同種）由来製品	H24.9
7	ES細胞由来製品	H24.9

2. 個別製品ごとの評価指標

	ガイドライン	策定時期
1	重症心不全細胞治療用細胞シート	H22.1
2	角膜上皮細胞シート	H22.1
3	角膜内皮細胞シート	H22.5
4	関節軟骨再生	H22.12
5	歯周組織治療用細胞シート	H23.12
6	自己iPS細胞由来網膜色素上皮細胞	H25.5
7	同種iPS（様）細胞由来網膜色素上皮細胞	H26.9
8	鼻軟骨再生	H27.9

再生医療等製品に関するガイドライン

1. 由来細胞ごとの評価指標

	ガイドライン	策定時期
1	自己細胞由来製品（Q&Aあり）	H20.2
2	同種細胞由来製品（Q&Aあり）	H20.9
3	体性幹細胞（自己）由来製品	H24.9
4	体性幹細胞（同種）由来製品	H24.9
5	iPS（様）細胞（自己）由来製品	H24.9
6	iPS（様）細胞（同種）由来製品	H24.9
7	ES細胞由来製品	H24.9

2. 個別製品ごとの評価指標

	ガイドライン	策定時期
1	重症心不全細胞治療用細胞シート	H22.1
2	角膜上皮細胞シート	H22.1
3	角膜内皮細胞シート	H22.5
4	関節軟骨再生	H22.12
5	歯周組織治療用細胞シート	H23.12
6	自己iPS細胞由来網膜色素上皮細胞	H25.5
7	同種iPS（様）細胞由来網膜色素上皮細胞	H26.9
8	鼻軟骨再生	H27.9

関節軟骨再生に関する新たな評価指標の策定（H28.6）

- ヒト軟骨細胞又は体性幹細胞加工製品を用いた関節軟骨再生に関する評価指標
- ヒト（同種）iPS（様）細胞加工製品を用いた関節軟骨再生に関する評価指標

→ 上記評価指標策定に伴い、「関節軟骨再生に関する評価指標」（H22.12）は廃止

https://www.pmda.go.jp/files/000212994.pdf

ヒト軟骨細胞又は体性幹細胞加工製品を用いた関節軟骨再生に関する評価指標

1. はじめに
2. 本評価指標の対象
3. 本評価指標の位置づけ
4. 用語の定義
5. 最終製品に軟骨細胞を含む場合の品質管理
6. 最終製品に軟骨細胞を含まない場合の品質管理
7. 効力又は性能を裏付ける試験について
8. 体内動態について
9. 臨床試験（治験）

ヒト（同種）iPS（様）細胞加工製品を用いた関節軟骨再生に関する評価指標

1. はじめに
2. 本評価指標の対象
3. 本評価指標の位置づけ
4. 用語の定義
5. 評価に当たって留意すべき事項
   （1）原料
   （2）製造工程において特に注意が必要な事項
   （3）製品の品質管理
   （4）製品の安定性試験
   （5）非細胞材料及び最終製品の生体適合性
   （6）非臨床試験
   （7）臨床試験（治験）
6. 参考資料

再生医療等製品（ヒト細胞加工製品）に関する技術的ガイダンス策定

- 再生医療等製品（ヒト細胞加工製品）の品質、非臨床試験及び臨床試験の実施に関する技術的ガイダンスについて（平成28年6月27日厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課事務連絡）

再生医療等製品のうちヒト細胞加工製品について、対面助言等で頻出する相談事項を抽出し、製品開発における考え方や留意点について現時点の科学的知見に基づき纏めたもの。

https://www.pmda.go.jp/files/000212850.pdf

再生医療等製品（ヒト細胞加工製品）に関する技術的ガイダンス策定

事　務　連　絡

平成 28 年 6 月 27 日

各都道府県衛生主管部（局）薬務主管課　御中

厚生労働省医薬・生活衛生局
医療機器審査管理課

再生医療等製品（ヒト細胞加工製品）の品質、非臨床試験
及び臨床試験の実施に関する技術的ガイダンスについて

標記について、今般、独立行政法人医薬品医療機器総合機構から、別紙のとおり報告がありましたので、今後の業務の参考とするよう、貴管下関係業者に対し御周知願います。

目次

1. はじめに 2
2. 品質 3
2.1. 原料等の適格性 3
2.2. 規格及び試験方法、並びに工程内管理試験 6
2.3. 安定性試験 9
2.4. 無菌試験及びマイコプラズマ否定試験について 9
2.5. ベリフィケーションについて 11
3. 非臨床安全性試験 12
3.1. 一般毒性試験 12
3.2. 造腫瘍性試験について 14
3.3. 非細胞成分の安全性評価 17
3.4. 製造工程由来不純物の安全性評価 17
4. 臨床試験 18
4.1. 基本的考え方 18
4.2. 対象集団及び試験デザイン 18
4.3. 用法及び用量 20
4.4. 有効性評価について 20
4.5. 安全性評価について 21
4.6. その他の留意事項 22
5. 文献 23

本日の内容

- 薬事法等の一部を改正する法律（平成25年法律第84号）の概要
- 再生医療等製品の承認事例
- 再生医療等製品に関するガイドライン（関節軟骨再生に関する評価指標等について）
- 再生医療等製品の審査
- 実用化に向けて

再生医療等製品の製造販売承認申請資料

1　起原又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
	ウ　類似する他の治療法との比較検討等
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
	イ　使用する原料、材料又はそれらの原材料
	ウ　製造方法
	エ　規格及び試験方法
3　安定性に関する資料	輸送、保存条件、有効期間の根拠
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
5　製品の体内動態に関する資料	ア　生体内分布
	イ　その他の体内動態
6　非臨床安全性に関する資料	ア　一般毒性
	イ　その他の安全性
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
8　リスク分析に関する資料	ア　リスク対策計画
	イ　製造販売後使用成績調査計画
	ウ　実施予定の臨床試験計画
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
	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

再生医療等製品の製造販売承認申請について
（薬食発0812第30号　平成26年8月12日）

品質

品質とは、「要求事項が達成されているか判断するための特性全体」

医薬品規制における「品質」とは、物質として医薬品であり、医薬品の構造、特性、製造方法、規格及び試験方法、安定性にて記述されるもの。

ISO9000：

品質とは、「本来備わっている特性の集まりが、要求事項を満たす程度」と定義されている。特性とは、「そのものを識別するための性質」のこと。

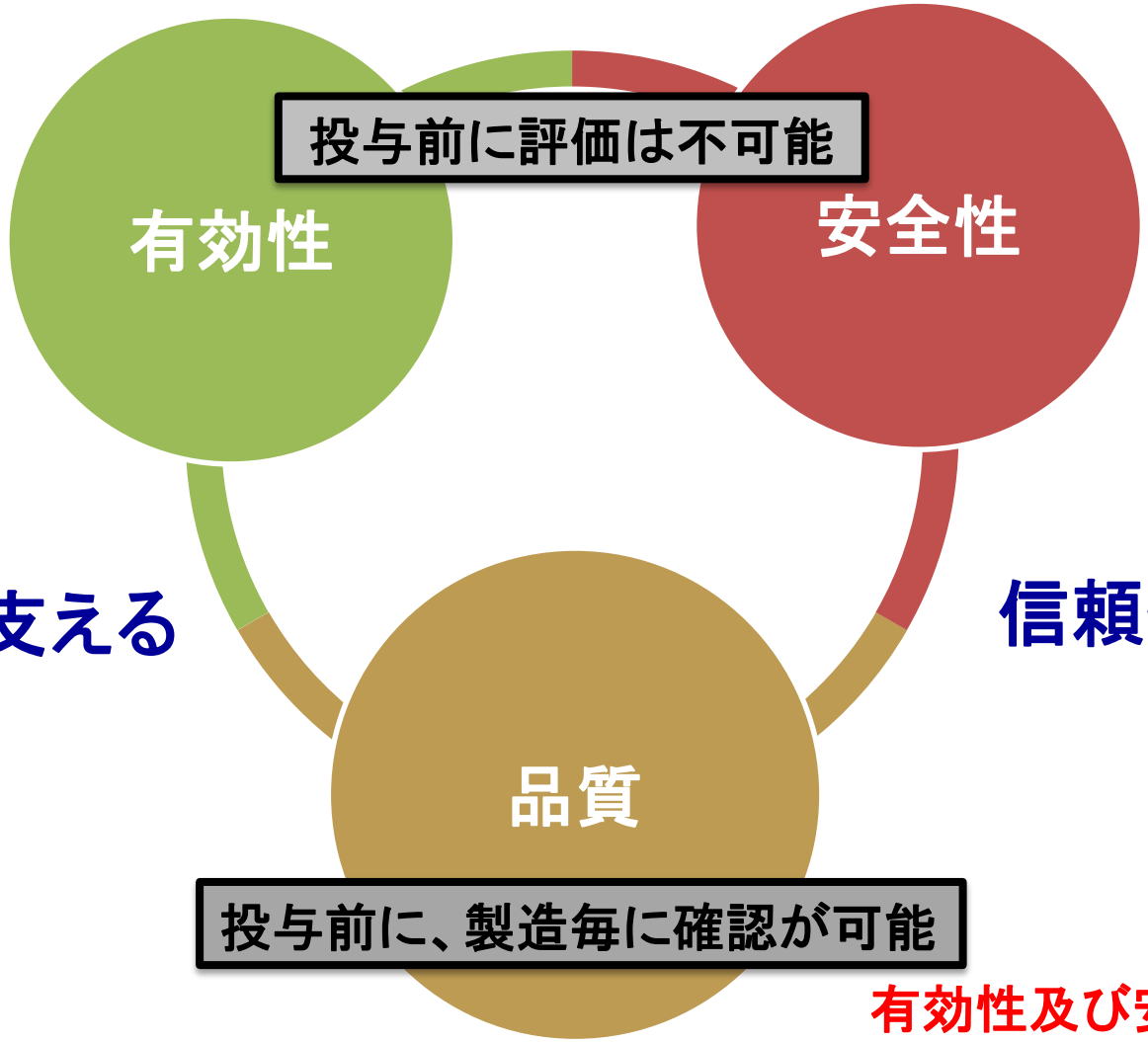
JIS Z 8101：

品質とは、「品物またはサービスが、使用目的を満たしているかどうかを決定するための評価の対象となる固有の性質・性能の全体」。品質は品質特性によって構成される。

- 効果が望めないならクスリになり得ない（有効性）
- 効果があってもそれ以上に危険であれば使用できない（安全性）
- 有効かつ安全と確認できたものをつくる必要がある（品質）

品質は有効性と安全性の土台となるもの
（安全性と有効性を確保するための必須要件）

品質を確保することの意味



信頼性を支える

信頼性を支える

保証されたモノ

有効性及び安全性に関連する重要な品質特性が事前に特定される必要がある。

再生医療等製品の品質特性

評価項目の例	試験方法の例 （試験の位置づけに応じてケースバイケース）
確認試験	性状、細胞表現型、分化能、細胞種等
細胞の純度試験	細胞表現型、異常増殖等
製造工程由来不純物	製造工程由来物質（血清由来アルブミン、抗生物質等）
目的外生理活性不純物	生理活性物質等
安全性	染色体異常、軟寒天コロニー形成能、ウイルス、マイコプラズマ、エンドトキシン、無菌等
力価試験、効能効果試験、力学的適合性	タンパク質発現、生理活性物質の分泌能、分化能、細胞表現型、細胞増殖能、耐久性等
含量	細胞数、細胞生存率等

- 有効性及び安全性に関係のある品質特性が重要品質特性になりえるが、細胞を含む製品でどのような品質特性が該当するのか、考え方の整理、議論が必要。
- 特に、力価試験ではどのような品質特性の項目を設定し、規格値を設ければよいか、悩ましいところ。

品質のつくり込み

バイオ医薬品のイメージ

再生医療等製品のイメージ

- 規格で品質をすべて把握することは困難。再生医療等製品ではその特徴から限られた情報しか得られない。
- 製造工程のコントロールにより品質を管理する考え方が重要となる。

開発段階で押さえておきたいこと

- 製造工程の理解を深める
- 品質リスクの把握とそのマネジメント
- 知識管理と管理戦略の構築

再生医療等製品の非臨床安全性評価項目

～細胞加工製品～

- ✓ **目的外の形質転換を起こしていないこと**
- ✓ 細胞・組織が産生する生理活性物質による影響
- ✓ 正常な細胞又は組織への影響
- ✓ **異所性組織を形成する可能性**
- ✓ 望ましくない免疫反応が生じる可能性
- ✓ **腫瘍形成及びがん化の可能性**
- ✓ 遺伝子導入が行われている場合には、遺伝子治療用製品指針に定める安全性評価
- ✓ 一般毒性試験 **（リスク評価というより、ハザード評価）**
- ✓ 生命維持に係わる重要な器官・組織への影響
- ✓ **製造工程由来不純物の安全性評価**

毒性評価（試験）実施の考え方

- 本質成分（細胞、遺伝子、ウイルス）
  - 効力（Mode of Action)
  - 産生する生理活性物質
  - 悪性形質転換能

  ⇒合理的な毒性試験を実施

- 非細胞成分
- 製造工程由来不純物

  ⇒物性や薬理作用等から安全性を説明

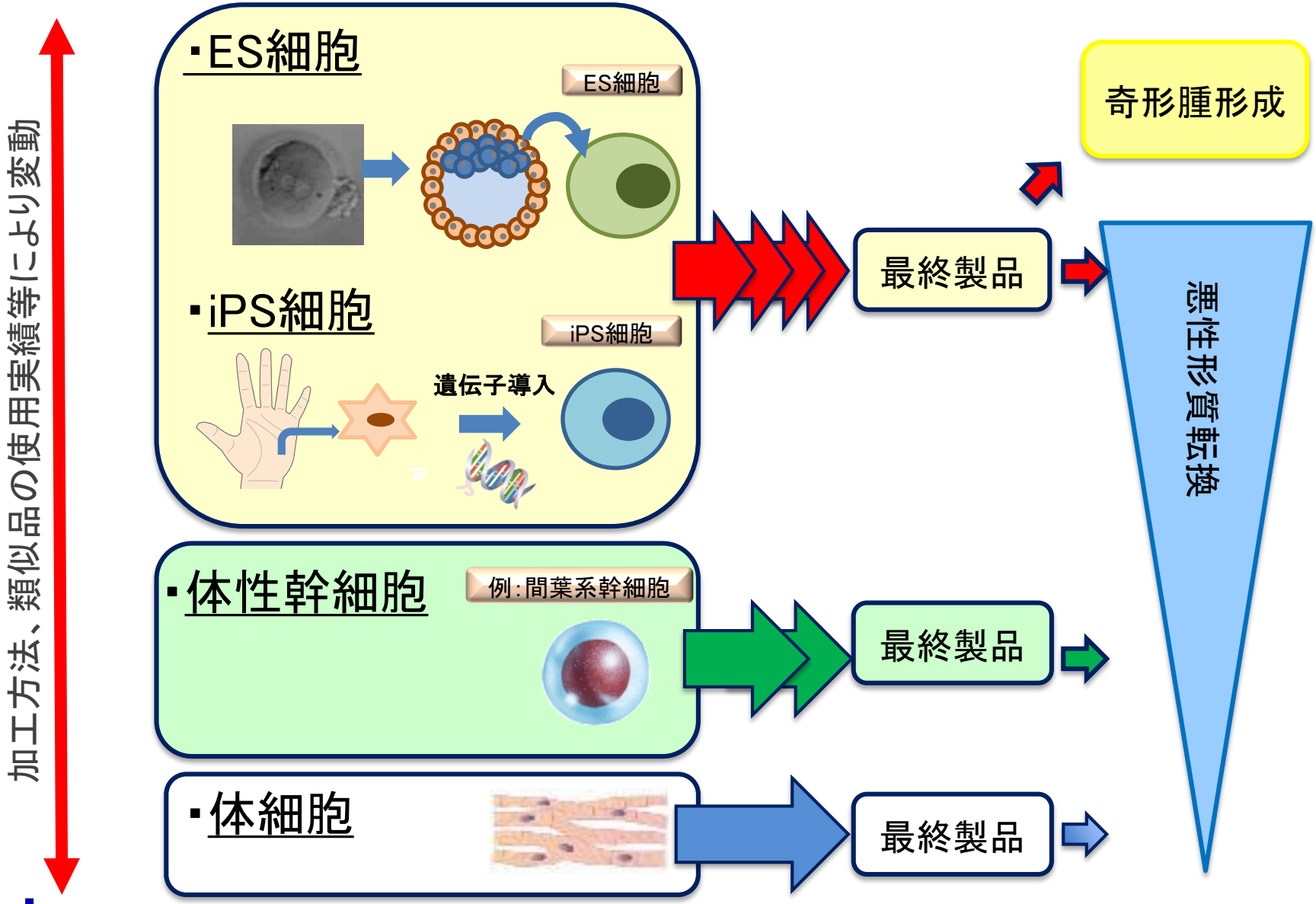
  ⇒理化学的分析法による測定も考慮し、実測値又は推定値に基づき評価

  ⇒説明が困難な場合：毒性試験の実施

一般毒性試験（試験デザイン）

被験製品	● ヒト由来の細胞加工製品 ⇒ 治験で用いる最終製品を使用 ● 使用動物に由来する製品モデル（サロゲート） ⇒ 治験に用いる**ヒト最終製品と品質の類似性を確保**
投与方法	● 原則、臨床適用経路 ● 臨床適用経路の選択が困難 ⇒ 代替経路：ただしヒトへの安全性が評価可能なことを説明
投与量	● 媒体対照群、被験製品群：1用量以上 ⇒ 最大投与量：最大耐量（MTD）、投与可能最大量（MFD）（ハザード評価の観点） ⇒ 全身毒性を評価可能な範囲の最大投与量を設定
投与回数・期間	● 原則として臨床試験における投与回数・期間で実施 ⇒ ヒト生体内の残存性、生体内での増殖性等も考慮 ● 最低でも14日間以上の観察。全身毒性を適切に評価可能な時点
動物数/群、観察・検査項目	● 医薬品毒性試験法ガイドライン、反復投与毒性試験の項を参照 ⇒ 一般毒性試験で実施されている通常方法を採用 ⇒ 病理組織学的検査は、原則として全身の器官・組織の実施

ヒト細胞加工製品の造腫瘍性の懸念



細胞加工製品の造腫瘍性試験

代表的な試験 ⚠ 製品ごとに必要な試験は異なる

in vitro 試験

・核型分析試験

⇒ 遺伝的安定性

・軟寒天コロニー形成試験

⇒ 足場非依存的な増殖能

in vivo 試験

・免疫不全動物を用いた試験

⇒ 生体内での腫瘍形成能

臨床試験（治験）の位置付け

- 探索的治験

  将来実施する治験の目標を設定（仮説を立てる）ために実施される治験

- 検証的治験

  事前に定められた仮説を評価するために計画・実施される治験

臨床試験（治験）で何のエンドポイントで評価するのか

エンドポイントの性質

- ハード(客観的)/ ソフト(主観的)
  - ハード: どの評価者が見ても、同様の評価となるもの
    - 例：死亡や再発の有無など
  - ソフト: 評価者間で評価が異なったり、同じ評価者でも状況が異なることで評価が変わってくるもの
    - 例：症状の改善、腫瘍の縮小の程度など
- True（真）/ Surrogate（代替）/ その他
  - True: 臨床的に最も意義のあるもの
  - Surrogate: True endpoint に関する効果を間接的に説明できるもの
  - その他: Trueではないが臨床的に意義があるもの

→ 医学的な関心もさることながら、臨床的な意義が適切で、統計的な検出力も踏まえて、結果で対照との差が出ることを期待できるものを選択する必要がある

どんなデザインで評価するのか

- 比較対照の必要性・妥当性について
  - 対象疾患や製品の臨床的位置づけ、選択したエンドポイントによって異なる。
- ランダム化と盲検化
  - ランダム化ができない
    - 比較可能性が担保されない
    - 患者選択の偏り　等
  - 盲検化ができない
    - 評価における偏り　等
- 評価期間
  - 臨床上、真に必要とされる評価期間と、治験の評価期間として設定可能な期間とのバランス

有効性評価（関節軟骨損傷を例に）

- 臨床有効性評価（臨床評価スコア）
  介入治療のアウトカム、臨床的意義を反映。

- 構造学的評価
  細胞加工製品としてのコンセプト確認・
  有用性評価において重要。
  - 画像診断評価
  - 関節鏡評価
  - バイオプシー

本日の内容

- 薬事法等の一部を改正する法律（平成25年法律第84号）の概要
- 再生医療等製品の承認事例
- 再生医療等製品に関するガイドライン（関節軟骨再生に関する評価指標等について）
- 再生医療等製品の審査
- 実用化に向けて

薬事戦略相談

日本発の革新的な医薬品・医療機器の創出に向け、有望なシーズを持つ大学・研究機関、ベンチャー企業を主な対象に、開発初期から必要な試験・治験に関する指導・助言を実施するものとして、平成23年7月1日より開始（確認申請を廃止）

※ 平成25年10月1日より、PMDA関西支部（大阪市）及びPMDA薬事戦略相談連携センター（神戸市）においても実施。

- 基礎研究から実用化に向けて様々な課題があり、課題解決に向けたPMDAとの早期からの相談が重要
- 例えば、
  - 品質のデータや毒性データ等を適切に実施していない場合、治験実施が出来なくなるというケース
  - 品質、安全性、有効性の評価方法が確立していない場合、開発者等で検討した評価方法のまま治験等を実施しても、品質、安全性、有効性が十分に確保ができているか否かはっきりしないことから、承認審査が迅速に行えないケース

基礎研究

日本発のシーズ

品質試験 | **非臨床試験** | **治験**

実用化

再生医療等製品

疑問点の例

再生医療に用いるヒト・動物由来原料等や関する製造・品質管理、毒性試験法に関する疑問。

初期段階での評価項目の決定や必要な試験デザインに疑問。

着実な開発に向けては、このような疑問を放置せず、できるだけ早い段階からPMDAと相談し、確認しておくことが重要

薬事戦略相談
個別面談、事前面談、対面助言

シーズの実用化の
道筋について
相談したい

大学・研究機関
ベンチャー企業

自分のシーズが
薬事戦略相談に
馴染むのか
確認したい

個別面談
（無料）

事前面談に向けて、薬事戦略相談室の
テクニカルエキスパートが、薬事戦略相談事業の
手続きや事業の内容を説明します。

論点整理

事前面談
（無料）

相談内容の整理のため
テクニカルエキスパートが
主として対応し、
審査チームも同席。

科学的議論
（記録は1ヶ月目処に確定）

対面助言
（有料）

主として審査チームと
テクニカルエキスパートが
相談に対応。

必要に応じて当該分野の
外部専門家が同席。

治験相談等をぜひご活用ください

再生医療等製品手続相談	
再生医療等製品拡大治験開始前相談	
再生医療等製品開発前相談	
再生医療等製品非臨床相談	効力
	安全性
再生医療等製品品質相談	
再生医療等製品材料適格性相談	
再生医療等製品探索的試験開始前相談	
再生医療等製品探索的試験終了後相談	
再生医療等製品事前評価相談	安全性・品質・効力
	探索的治験
	検証的治験
再生医療等製品申請前相談	
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	
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	
再生医療等製品製造販売後臨床試験等計画相談	
再生医療等製品製造販売後臨床試験等終了時相談	
再生医療等製品追加相談	
信頼性基準適合性相談（GCTP含む）	

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

文字サイズ 標準 大 特大 日本語 English
サイトマップ
サイト内検索 検索
よくみるページ一覧 問い合わせ窓口
各種様式ダウンロード 地図・交通案内

PMDAについて
安全性情報・回収情報等 (添付文書などの医薬品・医療機器等の情報を調べる)

ホーム | 審査関連業務 | 安全対策業務 | 健康被害救済業務 | レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方 | 国際活動 (ICH・IMDRF等)

このページをよくみるページ一覧に追加する 本文のみ印刷する

ホーム > 審査関連業務 > 承認審査業務(申請、審査等) > 審査等について > 再生医療等製品

審査関連業務
- 審査関連業務の概要
- 相談業務
- 治験関連業務
- 承認審査業務(申請、審査等)
  - 申請等手続き
  - 審査等について

再生医療等製品

再生医療等製品は、以下に掲げる製品であって、政令で定めるものをいいます。

(1) 人又は動物の細胞に培養等の加工を施したものであって、

イ 身体の構造・機能の再建・修復・形成するもの

ロ 疾病の治療・予防を目的として使用するもの

(2) 遺伝子治療を目的として、人の細胞に導入して使用するもの

http://www.pmda.go.jp/

ご清聴ありがとうございました

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency