再生医療/細胞・組織加工製品実用化のための薬事講習会

① 医薬品医療機器総合機構(PMDA)について
② 再生医療/細胞・組織加工製品実用化への方向性について

平成21年7月3日

①　医薬品医療機器総合機構（PMDA）について

薬事法の目的とPMDAの業務

薬事法第1条（抜粋）

この法律は，医薬品，医薬部外品，化粧品及び医療機器の品質，有効性及び安全性の確保のために必要な規制を行うとともに，医療上特にその必要性が高い医薬品及び医療機器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。

PMDAは薬事法に基づき、国（厚生労働省）から審査関連業務及び安全対策業務を委託されています。

（第14条の2、第68条の11、第69条の2、第77条の4の5、第80条の3　etc.）

PMDAの理念

平成20年9月制定

わたしたちは、以下の行動理念のもと、**医薬品、医療機器等の審査及び安全対策、並びに健康被害救済**の三業務を公正に遂行し、国民の健康・安全の向上に積極的に貢献します。

- 国民の命と健康を守るという絶対的な使命感に基づき、医療の進歩を目指して、判断の遅滞なく、高い透明性の下で業務を遂行します。
- より有効で、より安全な医薬品・医療機器をより早く医療現場に届けることにより、患者にとっての希望の架け橋となるよう努めます。
- 最新の専門知識と叡智をもった人材を育みながら、その力を結集して、有効性、安全性について科学的視点で的確な判断を行います。
- 国際調和を推進し、積極的に世界に向かって期待される役割を果たします。
- 過去の多くの教訓を生かし、社会に信頼される事業運営を行います。

PMDAの業務

審査関連業務

- 薬事法に基づく医薬品や医療機器などの承認審査
- 治験などに関する指導および助言
- 承認申請や再審査・再評価の確認申請の添付資料についてのGCP、GLP等の基準への適合性調査
- GMP調査による製造設備、工程、品質管理の調査
- 薬事法に基づく再審査・再評価の確認　　等

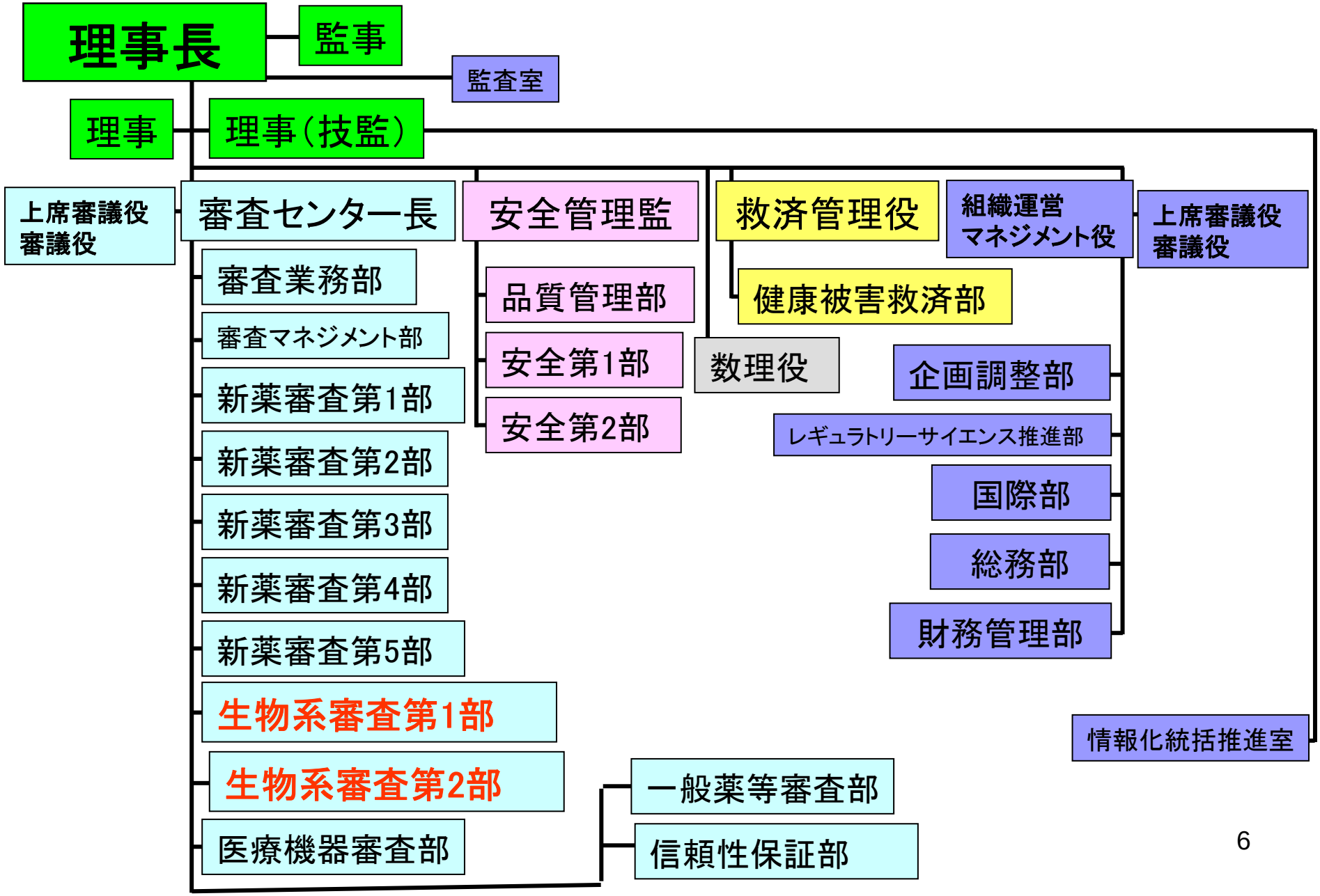
安全対策業務

- 医薬品や医療機器などの品質、有効性および安全性に関する情報の収集・解析・情報提供
- 消費者などからの医薬品や医療機器についての相談
- 医薬品や医療機器などの安全性向上のための製造業者等への指導および助言GMP調査による製造設備、工程、品質管理の調査

健康被害救済業務

- 医薬品の副作用や生物由来製品を介した感染等による疾病や障害等の健康被害を受けた方に対する医療費、障害年金、遺族年金等の給付
- スモン患者及びHIV感染者、発症者への健康管理手当等の給付　　等

PMDAの組織　平成 21年 7月現在



生物系審査第1部・第2部の担当

生物系審査第1部

- 血液製剤； 承認審査・再審査・再評価・治験届
- 遺伝子治療用医薬品； 確認事前審査
- 医薬品の生物由来製品； 特性（主に品質）の承認審査
- カルタヘナ法に関する事前審査

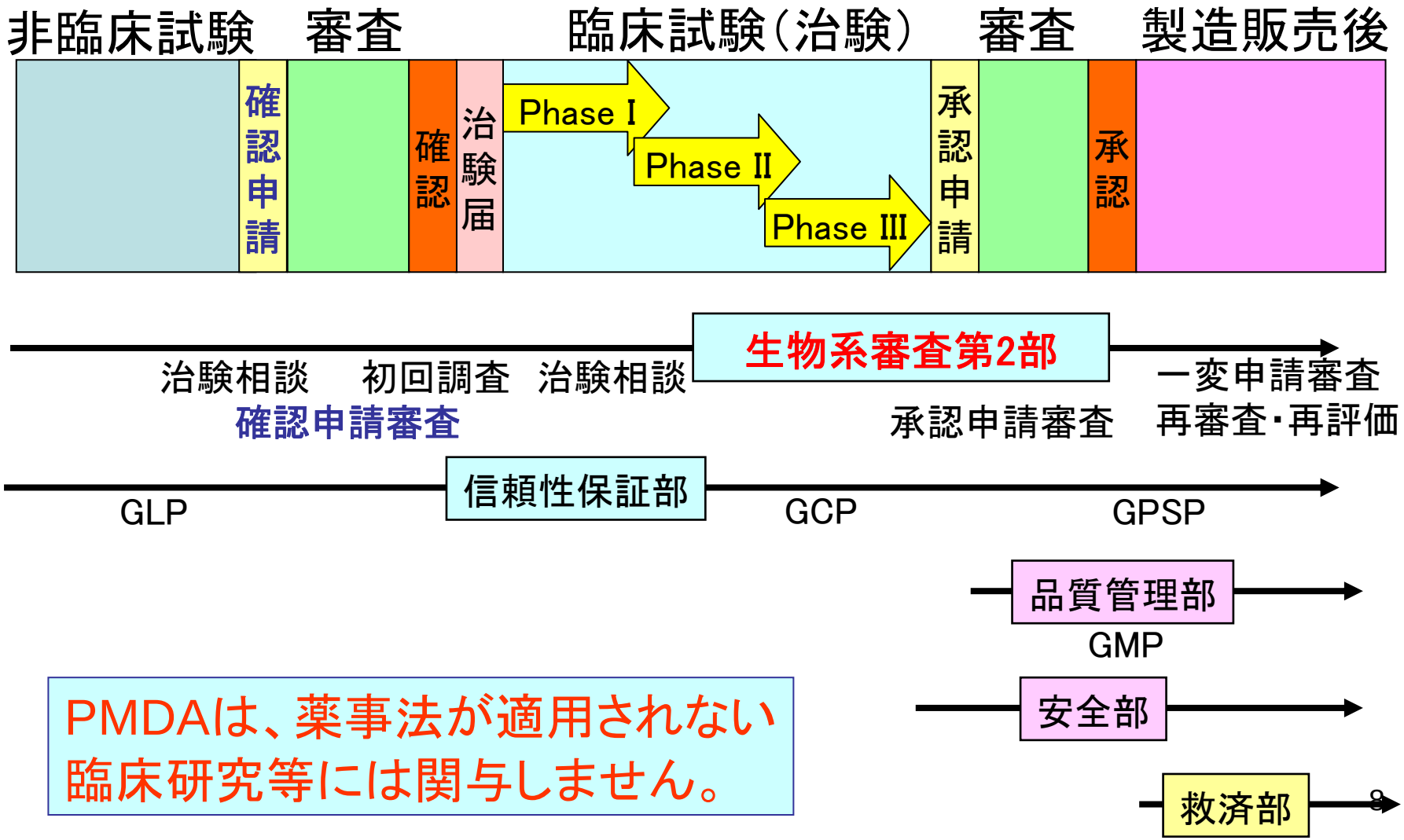
上記に係る治験中副作用報告、対面助言

生物系審査第2部

- ワクチン・抗毒素； 承認審査・再審査・再評価・治験届
- 細胞・組織加工製品； 確認事前審査・承認審査・再審査再評価・治験届
- 医療機器の生物由来製品； 特性（主に品質）の承認審査

上記に係る治験中副作用報告、対面助言

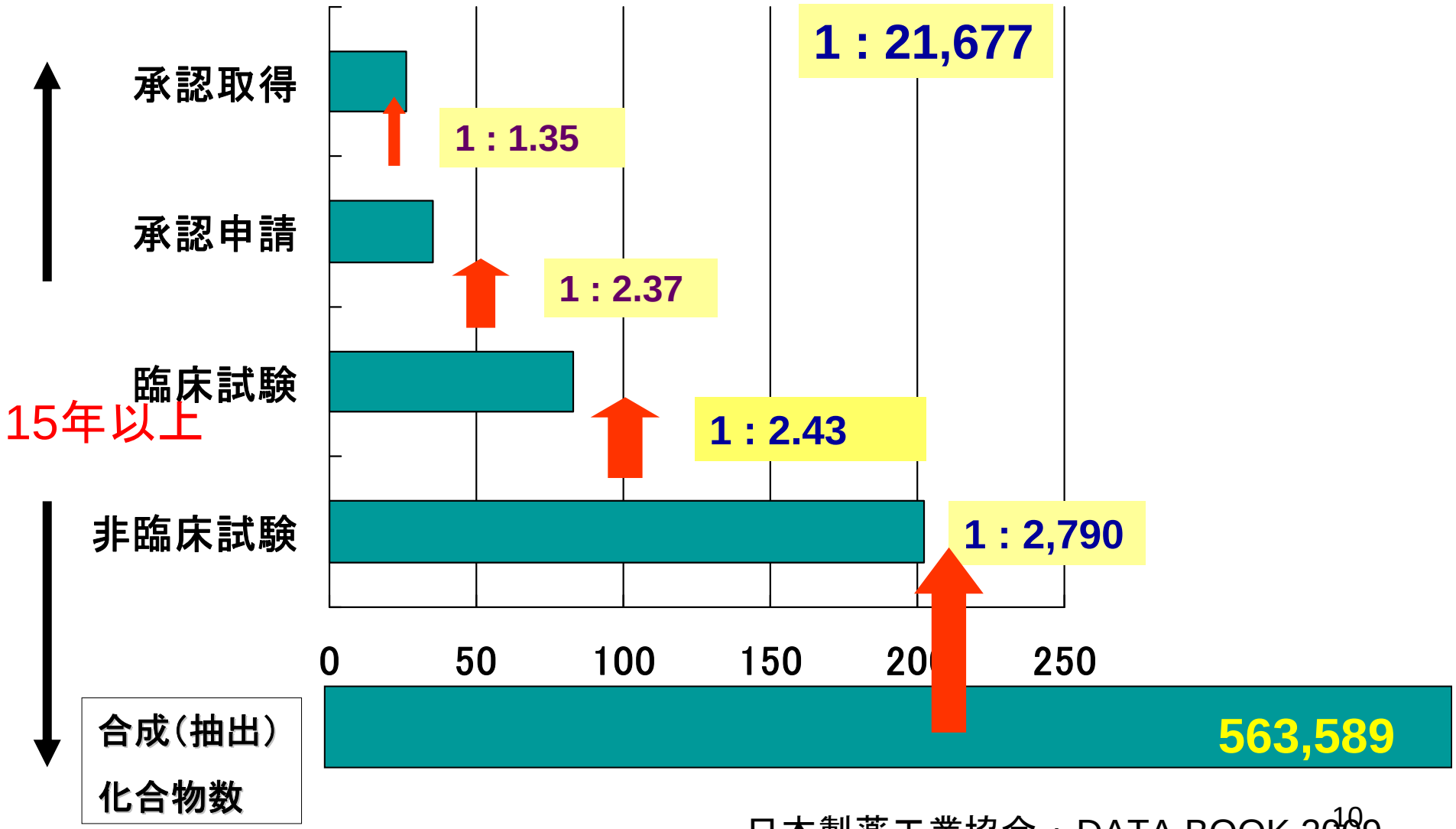
細胞・組織加工医薬品等と生物系審査第2部の業務



PMDAは、薬事法が適用されない臨床研究等には関与しません。

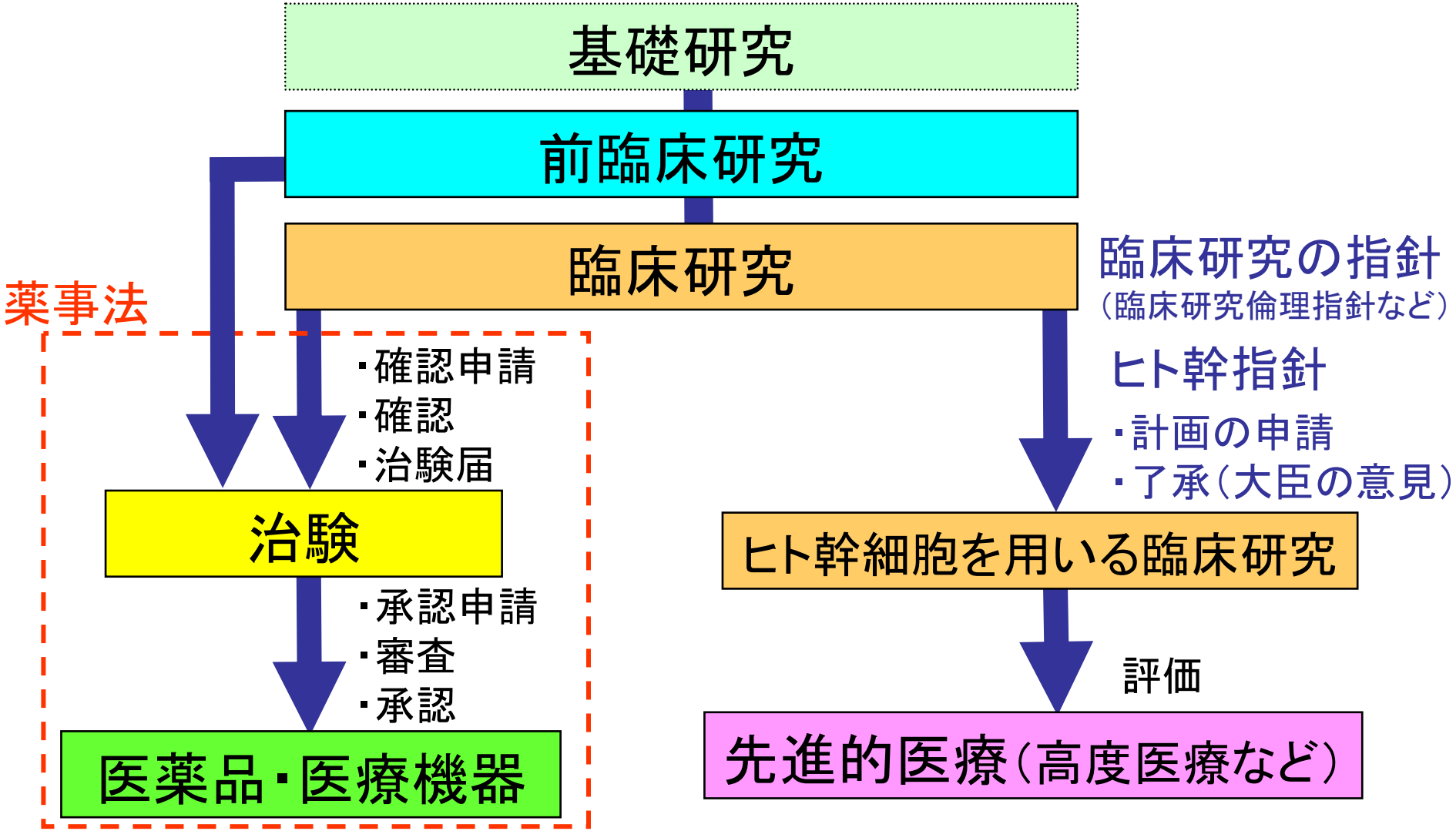
再生医療/細胞・組織加工製品
実用化への方向性
～臨床研究と治験～

医薬品開発の成功確率



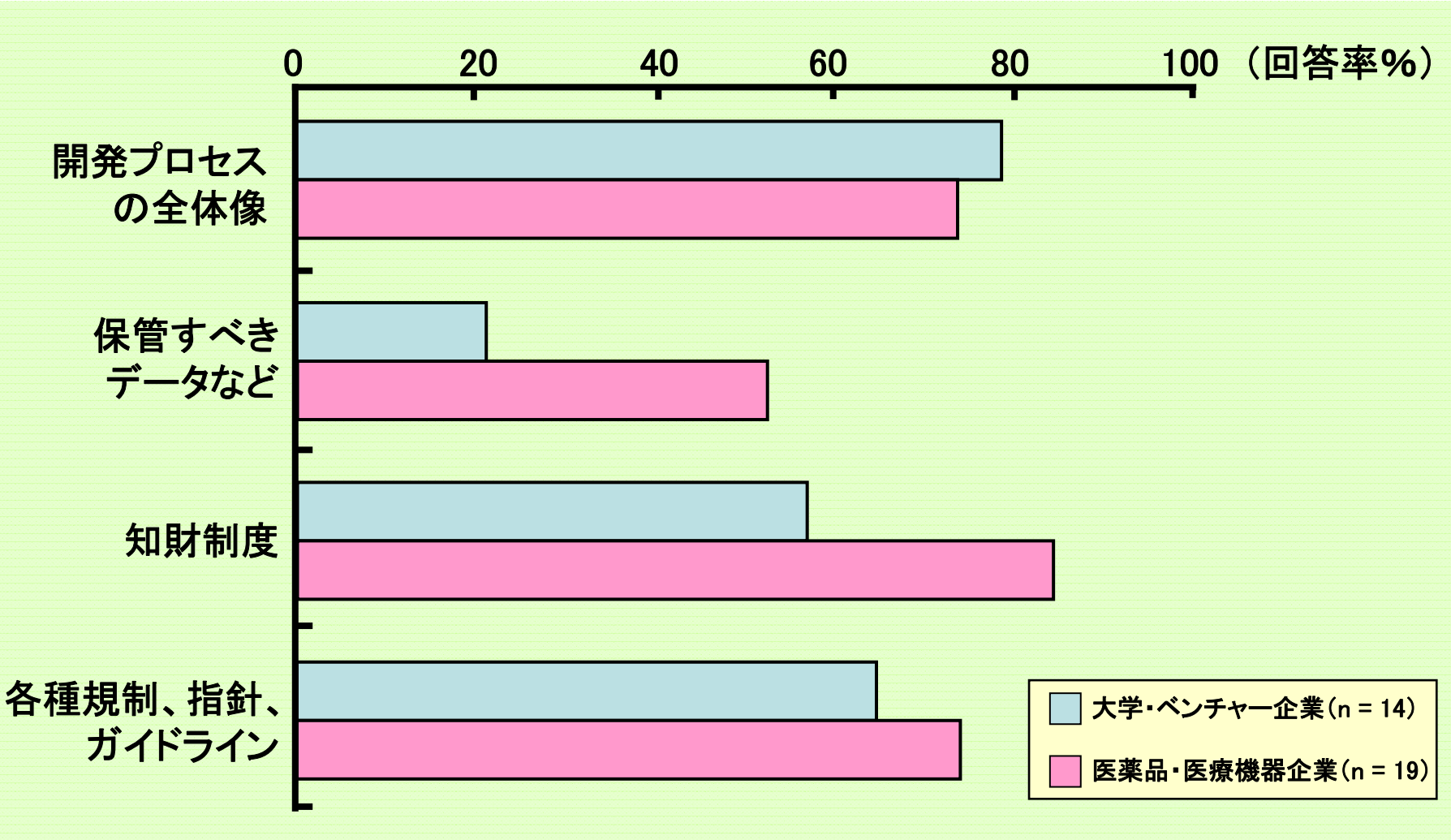
日本製薬工業協会：DATA BOOK 2009

再生医療/細胞･組織加工製品の実用化への方向性



「治験」とは、薬事法に基づく承認申請で提出すべき
臨床試験成績の収集を目的とする試験。

実用化に向け知っておくべき情報とは？



平成18年度厚生労働科学研究費補助金　医薬品・医療機器開発に対する理解増進に関する研究（主任研究者：平山佳伸）より

治験は何のため？

治験って、なんでやるの？

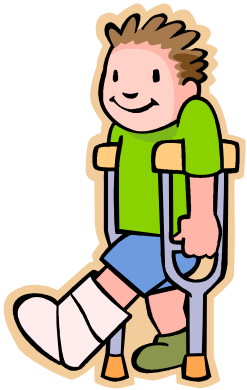
ちゃんと効果があって、安全な製品だってことをきちんと確かめるためだよ。

- 「良く効くはず。」「安全なはず。」という先入観を排除した試験デザインが必要。
- 有効性・安全性の評価に影響を及ぼす可能性のある要因は、可能な限り排除する。
- 判断の根拠を審査時に確認できる必要がある。

  → 記録が重要

治験と日常診療は目的が違う！

例えばこれも有害事象



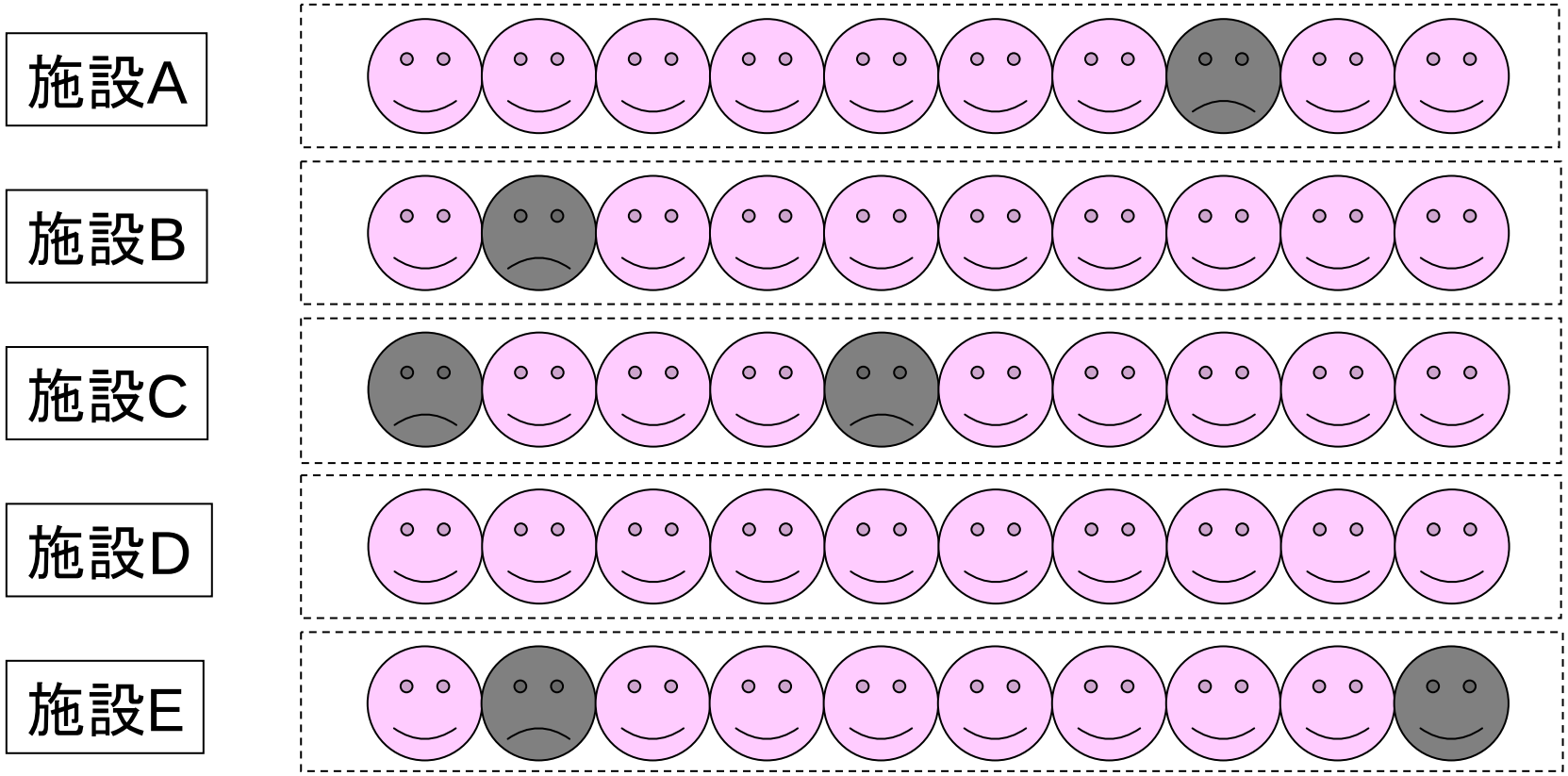
よろけたら転んで
骨折しちゃった。

- 神経系への影響？
- 骨への影響？

鼻血が出てるけど、
のぼせたのかしら？
それとも何かぶつけ
たのかしら？

- 出血傾向？

偶発的な事象か否か？



産学連携開発でトラブルになりやすい点

●研究段階でのデータ管理（ラボノートの付け方や研究試料の管理システムの整備など）。

●非臨床試験段階での不十分な検討

→臨床段階での対応の遅れや再現性の問題

●知的財産権

①特許の確保がなされていない、②特許権利確保が国内のみ、③先行特許の調査ができていない、④重要な工程に他企業の特許技術が使用されている、⑤学会、論文発表が、知的財産権確保の障害となる、⑥財務基盤が十分でなく、ライセンサーの義務（特許出願・維持、合意された試験の実施等）が実行されない

●複数社との共同研究等

→成果の帰属や研究の棲み分けの問題

●シーズや技術に対する企業側と研究者側の期待度のずれ

→対価に関するトラブル

平成18年度厚生労働科学研究費補助金　医薬品・医療機器開発に対する理解増進に関する研究（主任研究者：平山佳伸）より抜粋改変

EUにおける最近の例（ChondroCelect）①

中央審査による初めての組織工学製品の市販承認推奨

European Medicines Agency
Pre-Authorisation Evaluation of Medicines for Human Use

London, 25 June 2009
Doc.Ref. EMEA/CHMP/383366/2009

COMMITTEE FOR MEDICINAL PRODUCTS FOR HUMAN USE
SUMMARY OF POSITIVE OPINION*
for
CHONDROCELECT

European Medicines Agency
Press office

London, 26 June 2009
Doc. Ref. EMEA/CHMP/394741/2009

PRESS RELEASE
European Medicines Agency recommends first marketing authorisation for an advanced therapy medicinal product

Chondrocelectとは・・・

●自家軟骨細胞移植術用の製品（開発者はベルギーのTiGenix社）

●適応は成人の膝大腿骨顆の単一症候性軟骨欠損（ICRSグレードIII～IV）

EUにおける最近の例（ChondroCelect）②

Phase III　臨床試験の概要

（The AmericanJournal of Sports medicine 2008; 36(2):235-246 ）

●試験：　多施設、前向き、ランダム化、比較臨床試験
●比較対照：　現時点でのファーストラインである標準的療法
●対象患者：　成人大腿骨顆部症候性軟骨欠損患者
●症例数：　118名（ChondroCelect群 57、標準的療法群 61）
●施設数：　13施設
●評価項目：　1年後の生検組織像と臨床症状の改善
●結果：　有効性で標準療法に優越、安全性は同等
　・・・・フォローアップは移植後5年間（TiGenix社プレスリリースより）