

## 大阪大学の実績

- 橋渡し研究拠点/早期探索的臨床研究拠点として未来医療センターを中心に、再生医療の実現に向けたトランスレーショナルリサーチを積極的に推進
- ヒト幹細胞臨床研究では、心筋シートや角膜シートなど6件のプロトコールが承認(国内最多)

## 事業の目的：審査体制の充実による再生医療製品の普及加速と世界展開

### 事業の内容

- 再生医療製品の開発段階から、安全性・有効性・品質を評価するレギュラトリーサイエンス研究を実施し、審査ガイドラインに反映されるリフレクションペーパーを作成
- PMDAとの間で設置されている連携大学院 医薬品医療機器評価学講座を基盤に、早期・探索的臨床試験拠点事業、学会、海外研究機関との連携推進
- PMDA、NIHSとの間の間の人事交流、レギュラトリーサイエンス分野の人材育成

### PMDAへの人材派遣の実績・予定

PMDA	H22以前	H22	H23	H24(予定)
医薬品	0	0	1	0
医療機器	1	0	1	0
再生医療	1	0	1	2 (MD)

### 本事業での人材交流・共同研究(予定)

#### PMDA

- 生物系審査2部の審査官を受け入れ希望

#### NIHS

- 佐藤 陽治 遺伝子細胞医薬部・部長
- 松岡 厚子 医療機器部・部長
- 安田 智 遺伝子細胞医薬部第二室・主任研究官

#### 大阪大学

- 梅垣 昌士 未来医療センター・特任准教授(PMDA)
- 江副 幸子 未来医療センター・特任講師 (PMDA)
- 斎藤 充弘 未来医療センター・助教(NIHS)
- 伊東 絵望子 心臓血管外科・特任研究員(NIHS) : 数ヶ月以上

# 目標とする体制

医薬基盤研

CiRA

## PMDAとの連携大学院 医薬品医療機器評価学講座

2012年4月開講、本事業で拡充

GLP



Pre-clinical  
study

GMP

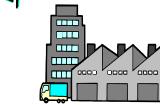
Clinical  
trial

GCP

Phase I

Phase II

Phase III



基礎研究

臨床研究  
(FIH, POC)

治験

審査・承認 製造販売

## レギュラトリーサイエンス

NIHS

- レギュラトリーサイエンスの共同研究による審査指標・基準作り
- ガイドラインのためのリフレクションペーパー作成

PMDA

- 専門的知識と経験豊富な人材の育成
- 再生医療製品の特性を踏まえた審査体制の整備

企業との連携

共同研究企業  
テルモ、小野薬品、J-TEC、  
アスピオファーマ、  
ジェノミックス、セルシード、ツーセル

海外研究機関

アメリカ・ピッツバーグ大学  
ドイツ・ハノーファー大学  
フィンランド・ヘルシンキ大学  
サウジアラビア

国際連携

## 再生医療製品の 迅速製品化と 世界展開

学会との連携

日本再生医療学会

日本製薬医学会

整備基盤の提供

早期探索的臨床試験拠点

# 研究概要

## 各臓器別の再生医療製品に関するレギュラトリーサイエンス

### 心臓

- 重症心不全: 筋芽細胞シート
- ◆ 重症心不全: 脂肪由来心筋芽細胞
- ◆ 重症心不全: iPS細胞由来心筋細胞



### 角膜

- 角膜上皮疾患: 角膜上皮シート
- ◆ 角膜疾患: iPS細胞由来細胞



### ヒトiPS細胞を原材料とした製品の臨床評価に関する レギュラトリーサイエンス

### 軟骨

- 軟骨欠損: 滑膜間葉系幹細胞
- 軟骨欠損: 骨髓間葉系細胞移植



### 皮膚

- 表皮水疱症: 他家骨髓間葉系幹細胞
- 難治性瘻孔: 脂肪由来間葉系細胞



### 消化器

- 厚生労働省で承認されたヒト幹細胞臨床研究
- ◆ 現在開発段階にある研究



### リフレクションペーパーの作成

- ・個別の製品に関する開発経験・成功体験のまとめ
- ・GMPの確立過程における問題点と解決に至る論理の整理

ガイドライン案に反映  
リフレクションペーパーを総合的に俯瞰してまとめる

細胞・組織加工製品  
(特にiPS細胞加工製品)  
の造腫瘍性評価系

- ・ *in vitro*  
腫瘍細胞の高感度検出
- ・ *in vivo*  
NOGマウスを用いた評価系  
(実験動物中央研究所と共同研究)