

平成24年度第1回科学委員会細胞組織加工製品専門部会

日時 平成24年9月24日(月)

17:00～

場所 医薬品医療機器総合機構6階会議室1～5

本日は、4つの専門部会の部会長がそれぞれお見えです。座席表は皆様方の1枚目にお配りしてありますように、それぞれの専門部会の先生方につきましては、大変恐縮ですがわかりやすいようにということで、それぞれ医薬品専門部会については白丸で、医療機器専門部会については青丸で、バイオ製品専門部会については緑色の丸で、細胞組織加工専門部会については赤丸を付けさせていただきます。

このように、全専門部会の合同開催ですので、本日はどのように進めるかということですが、科学委員会の委員長をしております入村先生に、この合同開催部会の司会進行をお願いできればと考えておりますが、皆様いかがでしょうか。

(異議なし)

- 内海本部長 ありがとうございます。それでは、早速ですが入村先生よろしくお願いたします。
- 入村部会長 ご指名ですので、僭越ながら1時間ほど合同専門部会の議事の司会進行役を務めさせていただきます。東京大学の入村です、よろしくお願いたします。まずは、事務局から委員の出席状況の報告と、資料の確認をお願いいたします。

<出席状況確認>

○吉田事務局長 専門部会の委員の出席状況を、お手元の座席表を見ながら報告させていただきます。医薬品専門部会は、13名の委員のうち、11名の委員にご出席いただいております。医療機器専門部会は17名の委員のうち、14名の委員にご出席いただいております。バイオ製品専門部会は11名の委員のうち、8名の委員にご出席いただいております。細胞組織加工製品専門部会は、14名の委員すべての委員にご出席いただいております。

< 配付資料確認 >

○吉田事務局長 配付資料の確認をさせていただきます。座席表、議事次第、資料目録の順になっております。そのあとに「専門部会資料取扱区分表」という資料がありますが、これからの議論は、非常に企業秘密等々資料の扱いに注意しなければいけないものがありますので、「厳重注意」「取扱注意」「その他」と、取扱いの区分を3つに分けております。「厳重注意」の場合は持ち帰り不可、「取扱注意」については会議終了後事務局に返還、「その他」は各自お持ち帰りいただいて結構ですというものです。本日の資料は、すべて「その他」ですのでお持ち帰りいただいて結構です。続けます。資料1「科学委員会の必要性」、資料2「科学委員会と専門部会の主な役割」、資料3-1「科学委員会委

員名簿」、資料 3-2「専門部会委員名簿」、資料 3-3「臨時委員名簿」、資料 4-1「科学委員会設置規程」、資料 4-2「専門部会規程」、資料 4-3「委嘱に関する達」、資料 5「審査等業務の概要」、資料 6「PMDA の組織と名簿」、資料 7「議事録及び資料の非公表基準」、資料 8「専門部会の課題（案）」、資料 9-1「審査等業務の概要」、資料 9-2「細胞組織加工製品専門部会の課題案について」、資料 9-3「医療機器審査の概要」です。その他に「PMDA の業務のご案内」というパンフレット。薬事戦略相談のパンフレット。会議資料ではありませんが、次回の日程調整用のメモとして、各専門部会ごとに、委員の日程調整結果の予定が入ったものがあります。こちらについては、各専門部会に移り、最後に次の日程調整をする際にご利用いただきます。資料は以上ですが、不足の資料がありましたら事務局までお知らせください。

なお、先ほどのご説明の中で、細胞組織加工製品の部会については、まだ岡野副部長が来られておりませんので、14 名全員ではなくて 13 名の委員にご出席いただいております。失礼いたしました。

本来であれば、ここで各委員のご紹介ということになるかと思いますが、時間の都合もありますので、各委員のご紹介に

については、各専門部会に分かれた後ということにさせていただきます。この場では座席表と、資料 3-2 が専門部会委員の名簿になっておりますので、資料 3-2 でご確認いただければと思います。

○入村部会長 委員の自己紹介等は、各専門部会に分かれてから行っていただくことにさせていただきます。PMDA からの出席者を事務局から紹介してください。

○吉田事務局長 PMDA の幹部職員の紹介をさせていただきます。理事長の近藤です。

○近藤理事長 この度は、斯くも大勢の著名な全国の先生方に、この科学委員会専門部会の委員をお引き受けいただきましたことを、心から感謝申し上げます。世界の PMDA を目指し、PMDA としてはこの委員会が鍵になる、肝になる所です。どうぞ皆様方におかれましては、どうかその全知全能をかけて、当 PMDA をご指導、ご鞭撻をいただきたいと願うところでございます。どうぞよろしくお願いいたします。

○吉田事務局長 続いて、審査等改革本部から順に紹介させていただきます。本部長は冒頭にご挨拶させていただきました内海理事です。矢守副本部長兼審査センター長です。梅澤副本部長代理兼副審査センター長再生医療製品担当です。佐久間副本部長代理兼副審査セ

ンター長医療機器担当です。次に役職員をご紹介します。

最初に成田理事です。石井理事です。前川監事です。北條組織運営マネジメント役です。森安全管理監です。宮田上席審議役審査管理担当です。山本上席審議役機器審査担当です。佐藤審議役国際・新薬審査等担当です。その他、関係の部長のご出席もいただいておりますが、後ほど各部会に分かれてからご紹介させていただきますので、席上配付の座席表でのご確認をお願いいたします。PMDAの役職員については以上です。

専門部会には、PMDAの承認審査等業務に密接に関係がある国立医薬品食品衛生研究所関係の部長にも臨時委員としてご参画いただいております。本日は、医薬品部部長の奥田委員、医療機器部部長の松岡委員、生物薬品部部長の川崎委員、遺伝子細胞医薬部部長の佐藤委員にご出席いただいております。委員のご紹介については以上です。

<議題1：科学委員会について ①科学委員会の必要性>

○入村部会長 それでは、議事次第に沿って議事に入ります。最初の議事である、科学委員会の必要性について、内海本部長から説明をお願いいたします。

○内海本部長 資料1を使い、この科学委員会の必要性、あるいは科学委員会の

目指すものについてご説明いたします。それぞれ半頁ずつになっておりますが、右下に頁番号が打っております。

なぜ科学委員会が必要かということです。皆様の方では、もうメディアを通してご承知のとおり、現在ドラッグ・ラグ、あるいはデバイス・ラグという言葉で、PMDA の医薬品あるいは医療機器の審査が、世界と比べて遅れているのではないかとということで、長い間ご指摘を受けてまいりました。

ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグについては、資料 1 の右上にあります。PMDA においては審査員の増員、その他の体制整備を図ってまいりました。平成 16 年の段階では、役職員の数が 256 名でしたが、本年 4 月 1 日には 678 名になっております。このような体制の強化を図ってきた結果、現在ドラッグ・ラグに関してはほとんど解消しております。具体的な例をお示しいたしますと、1 枚目の左下に、実績として優先品目、これは希少疾病等を対象としたものですが、優先品目の新医薬品については、平成 19 年度で総審査期間が 12.3 カ月だったのが、平成 23 年度では 6.5 カ月と大幅に短縮しております。通常品目においても、その下にあるように総審査期間が平成 23 年度では 11.5 カ月です。医療機器においては、まだデバイス・ラグと呼ばれるものがありますが、着実に達成目標に向かって短縮に努めていると

ころです。

このような中で、現在 PMDA としてはどのような課題を持っているかについてご説明いたします。スライド 1 の右下に 3 つの課題を挙げております。①は「再生医療等先端科学技術分野」で、抗体医薬、あるいはコンパニオン診断薬、人工心臓、再生医療、がんワクチン等、その他いろいろな先端科学技術分野における成果が医療に応用されておりますが、これらに関する研究内容をきちんと理解し、そして審査・相談業務に当たることが広く求められております。

②に挙げたように、より迅速にこれらの製品を医療現場に届けるには、承認審査申請前の非臨床、臨床試験、シーズ探索からの先端科学技術に対する的確な助言・相談等が求められております。これらのように、加速する技術革新をキャッチアップして、最先端の技術の実用化に貢献できるよう、審査員の継続的な育成を行うには、ここにご列席のアカデミアの皆様方との密接な連携が不可欠と私どもは把握しております。このようなことから科学委員会を作るということで医療関係のいろいろな著名な先生方と 1 年半ほどにわたって議論をさせていただきました。

スライド 2 ですが、科学委員会を設立するに当たり、PMDA の

中に審査等改革本部を、本年度の4月に立ち上げました。審査等改革本部は、先ほどご紹介いたしましたように、私どもと事務局で当たっております。この中で、どのように科学委員会を作るか、科学委員会とどのようにPMDAが連携していくか等について種々検討してまいりました。詳しくは後ほど申し上げますが、PMDAの中には左下にあるような、この科学委員会と密接に関係する部局があります。

これに対して科学委員会は、医学・歯学・薬学・工学などの分野の著名な先生方にお集まりいただいております。委員名簿には、本日も列席の専門部会の委員を含め、すべて公開することとしております。一方この会議自身は、かなり専門的な内容が含まれるということで非公開としますが、後ほどお話いたしますように、議事次第については公開いたします。各先生方におかれましては、それぞれ関係する企業と共同研究をしている先生方も多々おられることと思います。そういうことで、利益相反に配慮することが非常に重要なことから、この科学委員会では、個別品目の承認審査にはかかわらないということで、公正性を確保しようと。そして後ほど申し上げますが、会議の資料、議事録を公開することにしております。

親委員会の役割として数点ほど挙げさせていただきました。

いずれにしても、先端科学技術応用製品に的確に対応するための、種々のご提言をいただきたいと考えております。

本日の専門部会自身は、それぞれの分野ごとの課題の検討、その他は後ほど業務のことをご説明いたしますが、それについてのご助言等をいただきます。あるいは最先端の科学技術に対応するために、レギュラトリーサイエンスをどのように進めるか等々について、PMDAの審査、その他の業務にかかわっている者と一緒に、ラウンドテーブル・ディスカッションのような形で、いろいろなご議論をいただくことを想定しており、設立に当たって4つの専門部会を作りました。今後の様子によってはさらに増えることもあろうかと思いますが、この4つの専門部会を跨って、それぞれ分野横断的なワーキンググループ、あるいは専門部会の中でも、より専門性を特化したようなワーキンググループが必要になることもあろうかと思っております。そういう場合には、柔軟にそれぞれを設置することを考えております。4つ目に書いてあるように、審査部との緊密な討議の場を、先生方によって是非お作りいただけたらと強く願っております。

スライド3は、先日内閣府から発表された「医療イノベーション5か年戦略」です。この中でも、この科学委員会の重要性については既に取り上げていただいております、ここに2カ所アン

ダーラインを引いておきましたが、「科学委員会を積極的に活用し、今後の審査業務に役立てよう」ということを、国として提言しております。

スライド 4 を使い、確認の意味でもう一度ご説明いたします。この科学委員会を考えるに当たり、医薬品あるいは医療機器のシーズを各大学、あるいはアカデミアでお持ちですが、それらの研究成果を、実際に出口を見据えて医療現場で実用化するまで、そして実用化した後、より安全に医療現場で使用していただくことを全部シームレスに考えると、それぞれ薬事戦略相談、治験相談、承認審査、市販後の安全対策等々をきちんと行うことが強く求められております。

いちばん下に挙げておりますように、こういうことに深くかかわっておられる大学等のアカデミアの先生方に、この科学委員会の委員としてご参画いただき、基礎研究から実用化、市販後に至るまでの分野についてご議論いただき、私どもに先生方の英知をいただきたいということで、この科学委員会を設置いたしました。先端科学技術応用製品にかかわる評価方法について、基礎技術の段階から、開発支援、承認審査、市販後の安全に対する各段階まで、皆様方アカデミアの方々と、審査員等がより密接に意見交換をすることで、評価方法について模索して

いく枠組みを作ろうということで、本年度 5 月に作り、科学委員会親委員会は 1 回目、2 回目を既に開催してまいりました。

科学委員会の先生方におかれましては大変ご熱心で、第 1 回は 17 名の先生のうち、15 名の先生方が、第 2 回科学委員会においてはすべての委員の先生方がご出席いただいて議論を進めてまいりました。この科学委員会は世界でもない例ですので、皆様方と一緒に作っていただければと強く願っております。

また、この科学委員会については、米国の審査を行っております FDA、ヨーロッパで審査を行っている EMA のほうからも非常に関心を持たれていて、この情報は非常に早い段階で海外にも発信しております。以上、この科学委員会の意義をご理解いただき、これからもご支援を賜りますようよろしくお願いいたします。以上です。

< 議題 1 : 科学委員会について ②科学委員会、専門部会の役割 >

- 入村部会長 ただいまの説明に関し、ご質問がありましたらお願いいたします。
特にないようでしたら、科学委員会と専門部会の役割について事務局から説明をお願いいたします。
- 吉田事務局長 内海本部長の説明と重複する部分もありますが、資料 2 を中心に科学委員会と専門部会の役割についてご説明させていただきます

す。この科学委員会は、個別品目の承認審査にはかかわらない形になります。具体的に何が期待されるのかということで、大きく2つのことが期待されております。1つは、①近未来に医薬品・医療機器の研究開発・承認申請に応用されると考えられる、いわゆる新しい科学技術の洗い出しを行い、その抽出された最先端の技術について、PMDAの職員が今後適切な指導助言・審査を行えるように、審査員と専門家で勉強会、意見交換、議論を行っていくというのが1つ大きな役割・機能です。もう1つ期待している機能として、②各審査部等が直面しているさまざまな問題があります。あるいは科学委員会の委員にコメントを求めたい問題等もありますので、そのようなことについて意見交換の場を設定したいという点があるということです。

それを具体的に科学委員会の委員17名でできるかということ、専門性の高い部分でもあり、必ずしも十分とは思えませんので、科学委員会と専門部会の関係のイメージがスライド2に記載してあります。パターン1が先ほどの説明の①に該当します「課題抽出型」、パターン2は「相談指南型」ということです。パターン1では、科学委員会のほうで科学技術の洗い出しがなされたら、専門部会のほうに、具体的に詰めていくように依頼することを想定しております。専門部会のほうでは、審査員と

共に、対面助言審査、承認審査のプロセスでの指導助言ができるように、評価方法についての意見交換、あるいは検討を行う。その際には、各審査部と十分意見交換を行うということです。

パターン 2 の「相談指南型」については、各審査部から具体的な問題や課題が提案されたものを科学委員会が一旦受け、それを各専門部会に検討を依頼する。専門部会のほうは、付託された課題について意見交換・検討を行うといった役割が期待されております。

裏面の 3 頁、4 頁は、これから具体的に各専門部会でどのような形で進めていくのか、やっていくのかという、まさに各部会でご議論いただきながら決めていくことかと思えます。いろいろなパターンがあるのだらうと思えますが、参考までに 2 つのパターンを書いております。1 つはスライド 3 で、再生医療のようにある程度テーマが狭く、同じ委員構成で議論できるだらうと思われるものについては、専門部会中心で運営を行えるのではないかと考えられます。

スライド 4 のほうは、例えば医療機器のような場合には非常にテーマが広いこともあります。その場合には、さらに個別のワーキンググループを作るとか、テーマが横に広がっている場合には、各専門部会を跨ったような形でそのテーマごとのワー

キンググループを作って議論を進めていく。いわゆるワーキンググループ中心の組織運営の仕方もあるのであるであろうということで、いずれにしても柔軟に専門部会、あるいはワーキンググループを運用・活用していけばいいのではないかと考えております。なお、後ほどもあるかと思いますが、具体的な専門委員の名簿等は資料 3-1、資料 3-2 です。

○入村部会長 ただいまの説明について、ご質問はありますか。ただいまの説明では、個別案件の議論はしないということ。それから、2つのタイプのパターンの議題の型があるということです。専門部会のメンバーの方は本日初めて来られたわけですので、お聞きになってこれからだんだん様子がおわかりになるという方も多いかと思います。先ほど、PMDA の近藤理事長からもお話がありましたが、皆様の英知を是非お願いするということですので、是非これが双方向的になるように、積極的にいろいろなご提案とか、いろいろな形で委員会を盛り立てていただければと思います。

< 議題 1 : 科学委員会について ③科学委員会、専門部会の設置について >

○入村部会長 ご質問、ご意見がないようでしたら、次の議題に進ませていただきます。次の議題は、合同部会の 1-③の、科学委員会と専門部会の設置について、事務局から説明をお願いいたします。

○吉田事務局長 資料 4-1、資料 4-2、資料 4-3 の規程を用いて、科学委員会と専門部会の設置規程、運用規程についてご説明させていただきます。繰り返しになりますが、資料 3-1、資料 3-2、資料 3-3 は各々科学委員会の名簿、それから専門部会の名簿、臨時委員の名簿です。また、資料 4-1 は親委員会である科学委員会の規程ですので割愛させていただきます。

資料 4-2 が専門部会の規程です。第 1 条から始まり、第 12 条、それから附則まで設定されております。第 2 条で、専門部会は 20 人以内の委員で組織することになっております。第 3 条では、その委員の委嘱ということで、医薬品・医療機器の科学的評価に関する学識経験を有する者のうちから、理事長が委嘱することになっております。第 4 条は任期等ですが、任期は 2 年、第 2 項で 1 回に限り再任されることができ。第 5 条で、部会長は原則として科学委員会の委員の中から選任するというので、既に選任させていただいております。副部会長は、部会長が指名するというので、これについてもあらかじめ指名させていただいております。第 6 条は招集で、会議の開催に当たっては、日時、場所、議題をあらかじめ通知する。第 7 条で議事です。専門部会については、部会長が招集をかけるわけですが、これは議決との関係がありますが、議決をするときには過半数の出

席がなければ議決をすることはできない。裏を返せば、議決をしない、する必要がないという場合には過半数がなくても会議を開催できるということです。第7条第5項で、部会長は科学委員会又は他の専門部会との連携等のため、必要と判断するときは科学委員会の委員に対して会議への出席を要請することができる。今回もこの規定に基づき、親委員会のほうから委員にご出席いただいています。第8条は臨時委員です。PMDAのほうで、各専門協議等を行うときに、その専門委員を委嘱させていただいております。その委員も、臨時委員として出席させることができるということです。第9条は秘密保持の規定です。第10条はワーキンググループです。先ほどの説明にもありましたように、専門部会委員、あるいは臨時委員で構成するワーキンググループを開催することができるということで、柔軟な運用ができるようにしています。資料4-2は以上です。

資料4-3は、先生方に委員になっていただくために委嘱させていただいたときのルールです。いわゆる利益相反の関係の規定として大きく2つの内容が書かれています。1つは、科学委員会の委員が薬事関係の企業の役員、もしくは職員に就いている、あるいは当該企業から定期的に報酬を得る顧問等に就任している場合には、その状況について別紙の様式に従ってご報告いた

だく。もう 1 つは、過去 3 カ年度の間に、本人又は家族、これは一親等で生計を一にしている人について、企業からの寄付金、契約金等の受け取りがありましたら、その実績を別紙の様式に従ってご提出いただきます。提出していただいた内容は、求められれば閲覧に供することにしております。

具体的な回答票は 3 頁です。これについては、既に各先生方に答えていただいていると思いますが、1. の内容が、先ほど申しました関係企業の役職員、あるいは報酬を受けているかどうかについての申告内容です。2. の内容は、寄付金、契約金等の受け取りということで、500 万円を超える企業がある年度があるかどうかということです。500 万円という規定は、薬食審とか、PMDA の専門委員を委嘱するときの 1 つの基準が 500 万円ですので、500 万円を超える企業があるかどうかということでご報告いただいております。

今回の利益相反の調査結果については既にお答えをいただいております。こちらにファイルはありますが、これについては後ほど各部会に分かれていただいた後に、そのファイルをお見せいたしますので、そのときに各部会の中で回覧していただければと考えております。規程等については以上です。

○入村部会長 ただいまの説明に関して、ご質問等はありませんか。秘密保持や、

利益相反等重要なことに関して説明があったわけですがよろしいでしょうか。

< 議題 2 : PMDA の審査等業務の概要 >

○入村部会長 ご質問、コメントがないようでしたら、次は皆様にお手伝いとい
いますか、委員会としてご助言をお願いしたいという、PMDA の
業務の内容について事務局から簡単に説明をお願いいたします。
薬事法や審査の流れ等については、各専門部会に移ってからお
願いすることとして、ここでは PMDA の組織全体の業務について
の概略の説明をお願いいたします。

○吉田事務局長 資料 5、資料 6 を使いながらご説明させていただきます。PMDA の
概要からご説明いたします。説明は、右下にスライド番号が振
ってありますので、スライド番号を述べながら内容をご説明い
たします。

スライド 1 は、PMDA のセイフティ・トライアングルです。
PMDA では、医薬品等について審査、安全、救済という 3 つの柱
の業務を行っております。スライド 3 は、PMDA の理念です。近
藤理事長の下、平成 20 年 9 月に制定し、ここにある理念の下に
職員一同頑張っております。最初の丸にあるように、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する。

下 4 つに書いてある内容は、まさに科学委員会でこれから行っ
ていこうという内容と重なっているかと思います。スライド 4
は、PMDA の業務体制です。PMDA の審査、安全、救済は、こうい
う人数でこういう業務を行っています。審査が 438 名です。ス
ライド 5 は、PMDA の人員体制の推移です。これまでも計画的に
人員、あるいは体制を強化・増強してきて、平成 25 年度末には
751 名を目指して頑張っています。スライド 6 は、PMDA 職員の
人員構成です。表ですが、平成 24 年 4 月時点で薬学が 384 名、
医師・歯科医師が 42 名、工学が 44 名、獣医・毒性学が 25 名、
生物統計学が 13 名、理学・農学等が 63 名、事務系 101 名、合
計 672 名という体制です。スライド 7 は、特に医療機器の審査
体制の充実ということで、こちらも人員体制を強化し、平成 24
年 4 月時点で 90 名の体制になっております。スライド 8、スラ
イド 9 は、PMDA 職員の年齢構成です。PMDA については、近年急
激に人員増強を行い、体制の強化を行ってまいりましたので、
非常に若い職員が多いということです。20 代の職員がかなり多
いことが見て取れるかと思います。特にスライド 9 では、男性
と女性の比率は、ほぼ 1 対 1 の割合になっております。スライ
ド 10 は組織図ですが、これは後ほど資料 6 で詳しくご説明いた

します。スライド 11 は、新薬審査部の組織、業務分担です。新薬審査については、第一部から第五部まで、生物系については審査第一部と第二部という体制で、ここにあるような内容についての審査を分担して行っております。スライド 12 は、医療機器審査部の業務分担です。こちらは第一部、第二部、第三部の 3 部制をとっております。スライド 13、スライド 14 で、最近の取り組みとしては、縦割りの業務分担ではなく、組織横断的なプロジェクトも行っております。横断的基準作成プロジェクトチームを組織横断的に作り、連携し、各種基準ガイドライン等の作成も行っています。スライド 15 は歴史的なことですが、承認審査等の体制の変遷です。かつては厚生省の中で、各種審査、安全対策を行っていましたが、医薬品医療機器審査センターを経て、審査人員の増強を行い、現在に至っております。スライド 16、スライド 17 は、各種業務の流れです。それに PMDA がどのように絡んでいるかという全体の流れ図です。スライド 18 からですが、私どもの仕事は、基本的には薬事法に基づく業務を行っておりますので、規制の目的を書かせていただきました。医薬品・医療機器の品質、有効性、安全性のセーフティーガードを維持することを基本にしながら、それらの開発も効率的に進めることを目的として行っております。スライド 19 は、医薬品

審査の概要です。医薬品の薬事法、あるいは審査における分類のところ、医療用の医薬品、あるいは一般用、いわゆる OTC といったものがあります。また、新医薬品、それ以外の医薬品があるということをスライド 19 でお示ししております。スライド 20 で、医薬品の審査については、十分な科学的データがあり、厳密な薬効評価がなされ、適切な効能・効果、あるいは用法・用量等が決められ、疾病の治療、診断への貢献が確認されている、といったことを申請資料で再検証するというのが医薬品の審査だということを書いております。スライド 21、スライド 22 は、これらのことを実際に審査する審査員のための留意事項が定められていて、そのポイントがスライド 22 に記載されています。スライド 23、スライド 24 は、実際の申請に際して添付すべき資料です。スライド 25 は、新薬の承認申請書、いわゆる CTD ですが、このように非常に大部の資料が申請時に付いてきているということです。スライド 26 は、新医薬品の承認申請のプロセスです。真ん中辺りが PMDA ですが、審査チームを作り、その審査の過程を書いた審査報告書を作り、その後は外部の専門家の専門協議を行い、重要な問題点を整理し、審査報告書を最終的に整理し、承認の可否をほぼ決定することを行っています。スライド 27 は、後発医薬品、ジェネリックの承認審査について

です。ヒトに投与したときの生物学的同等性を基本的には確認することを行っています。スライド 28 は、一般用医薬品、OTC についても、同様の審査を行っています。医療機器については、スライド 29 です。リスクの大小に応じ、各種規制があります。PMDA で審査しておりますのは、リスクの高いほう、具体的にはクラスⅢ、クラスⅣのものが PMDA での審査の対象になってきています。スライド 31 は、医療機器の審査について書いてあります。これも 2 つあって、①基本要件の適合性が確認され、②意図した使用目的に対する医療上の有用性が、科学的データに基づいて説明されているということを確認するか、あるいは基本要件の適合性が確認されており、また②のほうで、既存のものと実質的に同等であることが示されているかということ、いずれも申請資料で再検証する。これが医療機器の審査だということです。スライド 32、スライド 33 に審査の手続きが書いてあります。スライド 33 では、医療機器の基本要件の概要を書いております。3 つ目のポツは、医療機器の設計及び製造に対する一般的な要求事項、50 項目からなりますが、これが基本要件となっています。スライド 34 は、先ほど説明を飛ばしましたが、機器の審査に当たっては後発の医療機器、改良の医療機器、新医療機器とありますが、既存のものや承認前例と全く同じ、あ

るいは実質的に同等と言える範囲、これが後発の医療機器とな
っております。それから実質的同等とは言えない範囲になっ
てくると、それは改良医療機器ということで、明らかに異なると
なった場合には新医療機器という審査上の扱いをしております。
市販後の安全対策については、スライド 35 からです。承認前
に行った治験等から得られる安全性情報にはどうしても限界があ
ります。したがって、市販後にも幅広くいろいろなモニターを
し、製造販売後安全対策を行っています。スライド 36 は、それ
を概念的にお示ししたものです。スライド 37 は、安全対策業務
の細かい流れですが、このようにいろいろな精緻な作業を行っ
ています。スライド 38 は、各種報告がかなり増えているとい
うことです。スライド 39 は、セイフティ・トライアングルのいちば
ん最後の救済です。実際に健康被害に遭った場合の救済の手順
を記載しております。図の右のほうで PMDA が関係してくるとい
うことです。スライド 40、スライド 41 辺りで、承認審査に関す
る調査などです。製造段階での品質管理です。医薬品であれば
GMP、医療機器であれば QMS という形で品質管理を行っています。
それに伴う各種調査も行っています。スライド 41 は、信頼性調
査ですが、これまで審査というのは、添付されている資料に基
づいて審査を行うと申し上げましたが、その添付されている資

料が、実際の試験結果（生データ）との間に齟齬がないのかどうかという確認をする必要がありますので、そういった信頼性の調査も行っています。スライド 42 は、治験相談業務ですが、こういうものも各種のメニューを揃えて行っています。最後は、PMDA の課題です。スライド 43 は、PMDA の今後の方向と課題です。私どもは近藤理事長の下、世界の PMDA になることを目指し、相手はアメリカ FDA、欧州 EMA、韓国、中国と競っています。グローバル企業が、まず PMDA と相談をして新しい医薬品・医療機器を開発していく機会を増やそうということを考えています。そうすると、相談・審査能力を高める必要があります。これまでも、ここで四角で括ってあるような方向でいろいろやってきておりますけれども、さらに質の高い人材の確保、体制強化を通じて、審査・相談のさらなる充実が必要と考えております。スライド 44 は、審査・安全対策関係の人員の比較です。アメリカ FDA は約 5,400 名、欧州 EMA で約 750 名に比べて、日本は厚生労働省の本省を合わせても審査関係は 475 名、安全対策 134 名ということで、まだまだ組織的には見劣りするところですが、質の高い人材の確保、それから体制強化にさらに邁進していきたいと考えております。資料 5 は以上です。

資料 6 は、PMDA の組織図です。役職員の名簿で、具体的に名

前が入ったものがスライド 2、スライド 3 となっておりますので、これも参考にさせていただければと思います。以上です。

○入村部会長 PMDA は、大変若いエネルギーと、高い志を持っていることがわかりいただけたかと思います。審査業務等の詳細については、各専門部会に分かれての議論の中で、専門分野ごとに PMDA の担当部長から説明していただくことにいたします。

< 議題 3 : その他 >

○入村部会長 次に、4 分野合同の専門部会の最後は、「その他」という議題について事務局から説明をお願いいたします。

○吉田事務局長 その他に行く前に、岡野先生が到着されましたので、細胞組織加工製品専門部会の委員はすべて揃いましたことをご報告させていただきます。

議事録の取扱い等について簡単に触れておきます。この科学委員会、専門部会は非常に企業秘密、あるいは最先端のいろいろな研究の情報を扱うこととなります。そういたしますと、どうしても公表等についてはなかなか難しいということです。透明性を確保するということから、科学委員会と同様に、この専門部会においても、発言者の氏名がわかるような議事録を作成し、それを公開することを原則とすることにしたいと思ってお

ります。ただ、知的財産や、個人情報保護の観点で非公表とすべきものについては、当然マスキングをすることになるのだろうと思っております。そのルールを定めたのが資料 7 です。①②③とあります。①は、次のいずれかの要件に該当する議題については、議事録の当該議題に係る議事の部分すべてを非公表（マスキング）をするということで、当該議題に関する資料も当然非公表にするという扱いにしたいと思っております。

その要件はということかということ、いわゆる機密情報、個人情報の非開示要件です。機密情報としては、企業のノウハウが入っている企業秘密の部分。先ほど申しました研究等情報ということで、まだ各先生方が未公表の研究内容、あるいはデータなどもこの議論の場に情報として提供していただきたいと思っておりますが、そういう情報がある場合は非開示条件になるのではないかということです。2.で各種委員関連ですが、専門部会やワーキンググループのメンバー、特にワーキンググループのメンバーの人選に係るような場合には、当然個人情報が含まれますので、そういうことを議論するときには、議事の内容はすべて非公表ということで考えております。②で、その議題すべての議事を非公表とする場合には、当該議題に入る前に、この要件への該当性を検討していただいた上で議論を進めてい

くことを考えております。③は議論をしていく途中でのごことで、最初は公表でいいのではないかとということで、議論をしていく途中で非公表の必要性が生じた場合には、その時点において①の要件への該当性を検討していただいて、やはりこの要件に該当するという場合には、そこからの部分といいますか、当該議題関連の部分の議事を非公表（マスキング）にするという扱いにしたいと考えております。なお、ここには書いてありませんけれども、今後ワーキンググループを作って、そこで検討していただいて、この専門部会や親委員会に報告するときに、ワーキンググループの議事録を作るのかということにつきましては、ワーキンググループの結果を取りまとめて専門部会等へ報告する内容を公表する形をとるということで、ワーキンググループそのものの議事録は作る必要はないのではないかと整理させていただいております。事務局からは以上です。

○入村部会長 ただいまのことは、大変重要なことです。議事録及び資料の公開、非公開ということです。これは、親委員会のほうでかなり議論を重ねてきた末に、このようなところに辿り着いています。基本的には発言者の名前も含め、公開を原則とする。ただし、非公開にすべき要件が満たされるものは非公開とするという形になります。この点に関してご質問、コメントはありますか。特

にないようでしたら、これで 4 分野合同の専門部会はここまでとなります。各専門部会に分かれる前に、内海本部長から、親委員会のこれまでの活動と経緯について説明をしていただきます。

○内海本部長 先ほど私のほうで、親委員会、専門部会についてご説明させていただきましたが、その中で 1 つ補足させていただきます。資料 3-1 にある名簿が、科学委員会の親委員の名簿です。ここに 17 名の委員の名前が挙がっております。4 つの専門部会には、それぞれ部会長、副部会長という形で、親委員会から参加していただきます。部会長、副部会長ではない先生方についても、それぞれの先生方のご意向に沿って、専門部会の 1 つあるいは 2 つにご参画いただくことになっております。本日も親委員会から 4 名の先生が既にご列席、あるいは後ほどご参加いただくことになっております。各親委員会の先生方については、それぞれの専門部会でご紹介いただくということで、今後専門部会が開かれるときには、該当する親委員会の先生にはご案内することさせていただきますので、併せてご了承のほどお願いいたします。

○入村部会長 これから各専門部会に分かれることについて、事務局から連絡事項としてお願いいたします。

○吉田事務局長 これから4つの専門部会に分かれ、各部屋に移っていただきます。
その後、委員とPMDA側の担当部局の紹介をさせていただき、それから各分野の審査等の業務のもう少し詳しい概要、課題の説明、今後の会議の進め方等についてご議論いただきます。

資料8は何かというと、前回の親委員会のほうで、関係の各部のほうから提案された、各専門部会の課題の案です。これについては、これから専門部会で議論される際に、議論の参考としていただければと考えております。

本日お配りいたしました資料は、これから各専門部会に分かれてからの議事にも使用していただきますので、大変恐縮ですが各自資料をお持ちになり、これからご案内いたします会議室のほうに移動をお願いいたします。医薬品専門部会、バイオ製品専門部会の委員におかれましては、このままこの部屋に残っていただきます。医療機器専門部会の委員は、会議室6のほうに移動していただきます。細胞組織加工製品専門部会の委員は、会議室7に移動していただきます。

○入村部会長 それでは、合同での専門部会はここまでとさせていただきます。
皆様ご協力をどうもありがとうございました。

(席を移動)

< II . 細胞組織加工製品専門部会 >

○中畑部会長 ただいまから、細胞組織加工製品専門部会を開会いたします。

< 議題 1 : 委員紹介と PMDA 担当部局の自己紹介 >

○中畑部会長 ここでも顔合せといたしますか、簡単な自己紹介をお願いいたします。私は、京都大学 iPS 研究所の中畑です。どうぞよろしくお願ひいたします。岡野先生と一緒に、厚労省のヒト幹を用いた臨床研究の指針の作成等に携わってまいりました。ヒト幹指針による臨床研究と PMDA の審査があまり大きな齟齬がないように進められることが望ましいと思いますので、両者ができるだけ整合性が取れるように是非進めていきたいと考えておりました。今回、PMDA の中に科学委員会ができて、アカデミアからの意見も十分 PMDA の審査に反映させるという、画期的なことではないかと思われましたので、一緒に是非協力したいということで参画いたしました。不慣れではございますけれども、皆様のご協力のもと、できるだけ実りの多い会にしていきたいと思ひますので、どうぞよろしくお願ひいたします。

○岡野副部会長 慶應義塾大学医学部生理学教室の岡野です。今回は中畑先生の補佐を拝命いたしまして、身も引き締まる思ひです。中畑先生が

おっしゃいましたように、2006年9月1日から施行されたヒト幹指針ですが、その後、幹細胞生物学の非常な進展に伴い、対象とする細胞も大きく変わろうとしておりますし、対象とする疾患も変わりつつあります。こういう中で、現場の研究成果をいかに安全な形で患者さんにトランスレートしていくかということ。我々研究者自身がいちばん情報を知っているということもありますので、そこは皆様と知恵を合わせて良い仕組みを作っていきたいと思っています。特に、ヒト幹指針といかに整合性のある形で、PMDAでの審査の体制を作っていくかというのは非常に大事かと思えます。おそらく、これまでやったことのない審査をやらざるを得ないと思えます。特にiPS細胞を使った臨床研究は、ほとんどがファーストヒューマンでありますので、これまで審査された実績のない細胞をどう審査していくかというところに関し、基本的に皆様の知恵をいただきながら、その決まり、方法と、やがてそういう審査が上がってくるのは見えておりますので、そこをどうやっていくかを皆様と考えていきたいと思えます。

○高橋委員

京都大学 iPS 細胞研究所の高橋和利です、よろしくお願ひいたします。2007年以降、毎日のようにヒト iPS 細胞と接してまいりました。今朝も、iPS 細胞をいじってきました。現場の人間とし

て、ここで何かお役に立てればと思いますので、よろしく願いいたします。

○豊田委員 東京都健康長寿医療センターの豊田です、どうぞよろしくお願いいたします。私のほうは主に細胞、特に幹細胞の特性解析を中心として行ってきて、それをいかに品質管理の下で再生医療にもっていくのか、ということを中心にやってまいりましたので、その辺を活かしながらこの場に反映させて、トランスレーショナルに貢献できればと考えております。どうぞ、ご指導のほどよろしくお願いいたします。

○中村委員 産業医科大学の中村です。私は整形外科医であって、全くの臨床医であります。そういう意味で、純然たるといいますか、臨床的な観点からサイエンスの頂上にあるような成果を、どのように日常に応用できるかという面から、この会で貢献できたらと思っております。よろしくお願いいたします。

○松井委員 統計数理研究所の松井茂之です。私は、たぶん初めてお目にかかるとは思いますけれども、生物統計を専門にしております。特に臨床試験、臨床研究の計画デザインと、統計解析を専門にしております。ただ、いまの再生医療とか、細胞組織関係に関しては全く経験がありませんので、これからは先ほどお話のありましたファースト・イン・ヒューマンのチャレンジングなものに

対してどのように統計的な、リスク・ベネフィットの評価ということになるかと思えますけれども、私も全力でさせていただきたいと思えますし、勉強もさせていただきたいと思えます。どうぞよろしく願いいたします。

○間野委員

自治医科大学ゲノム機能研究部、東京大学ゲノム医学講座の間野博行です。私は、もともとは医師出身ですけれども、現在はがんの新しい治療法の開発研究、あるいはそのトランスレーショナルリサーチを行っております。この分野には、ほぼ非専門家に近いのですけれども、おそらくがんの研究者という立場から、この領域を見なさいということで、中畑先生からご指名いただいたのだと思えます。微力ではありますが、できるだけ努力いたしますので、よろしくご指導をお願いいたします。

○森尾委員

東京医科歯科大学大学院の森尾です、よろしく願いいたします。私は小児科医なのですが、附属病院の細胞治療センターの責任者を2004年から務めさせていただいております。厚生労働省の再生医療細胞治療の制度的枠組みに関する検討会だとか、ヒト幹細胞の見直し委員会に参加させていただいて、なんとなくこういう所に出てくるようなことになってしまっております。細胞治療センターの中でも、軟骨再生医療だとか、血管再生医療が行われておりますので、これをどうやって早く世に問うてい

くことができるかといつも考えております。そういう点で、安全で安心、かつ有効性のあるものを早く世に出したいという気持ち強く持っておりますので、こういう委員会の中でそれが推進されるとうれしいと思っております。微力ながら尽くしたいと思っておりますので、どうぞよろしく願いいたします。

○佐藤（陽）臨時委員 国立医薬品食品衛生研究所遺伝子細胞医薬部の佐藤陽治です。よろしく願いいたします。私どもの研究室では、遺伝子治療薬と、細胞組織製品と、そして診断薬を担当しております。細胞組織加工製品に関しては、その品質と安全性の評価法の開発を行っていると同時に、その評価法の評価を行っております。私も森尾先生、中畑先生、澤先生と一緒に、ヒト幹細胞臨床研究指針の見直しに関する委員会にも参加させていただいております。先日発出された、ヒト幹細胞加工製品の品質安全性確保に関する指針のドラフティングにも参加させていただきました。このような専門家の先生方が、製品の開発の段階から、細胞組織製品に関してアドバイスをしていくというのは非常に画期的なことだと思いますので、私も微力ながらそこに貢献できればと思います。よろしく願いいたします。

○高田委員 九州大学小児科の高田です。よろしく願いいたします。私は、現在リンパ性免疫不全症を中心とした研究をしています。iPS細

胞の研究が国内でかなり進んできていることを考えて、iPS細胞の研究も同時に進めて、リンパ性免疫不全症の治療に応用できればと考えているところです。そういう観点から、今回いろいろ勉強しながら、皆様と議論ができればと思っております。よろしく願いいたします。

○末盛委員 京都大学再生医科学研究所の末盛です。私は、ヒトES細胞のほうで、その樹立であったり、特性解析に長く携わっております。これを臨床に持っていくためにどういうことが必要かということ、品質管理をどう行うかということについても、最近は力を注いでおります。この場でいろいろ勉強させていただければありがたいですし、また何かしら貢献できればうれしく思います。よろしく願いいたします。

○榛村委員 慶應義塾大学の榛村です。私は眼科医で、専門は角膜移植の臨床数では専らいままで臨床をやってきました。研究のほうは、主に再生医療の実現化プロジェクトにおいて、組織幹細胞を使った角膜上皮シートの移植とか、そちらのほうはまさにヒト幹指針に審査をしていただいている最中であります。それと、iPSを使った上皮角膜の再生医療も実施しております。いままでは、専ら審査される側だったのですが、いままでの経験を踏まえ、何らかの形で貢献できればと思っております。よろしく願い

いたします。

○澤委員

大阪大学心臓血管外科の澤です。私は、心筋の再生に10数年来取り組んでまいりました。現在は、私たちが開発したものがテルモ社から治験としてスタートしております。その過程でPMDAとのいろいろな議論等を踏まえながら、規制緩和等にも、いろいろな所で関与させていただきました。今は内閣府の医療イノベーション推進室次長、再生医療担当もやらせていただいております。いろいろな面からプレーヤーであり、その経験を踏まえながら、この専門部会で貢献できればと思っておりますので、よろしく願いいたします。

○尾崎委員

東京大学農学生命科学研究科獣医薬理の尾崎です。私の研究内容は、線維芽細胞とか、平滑筋といった間葉系細胞の免疫とか炎症応答といった研究をしています。ヒトとは違った視点で、炎症研究をやっているのですが、再生医療に関しては経験はありません。何かお役に立てればと思っております。どうぞよろしく願いいたします。

○飯原委員

国立循環器病研究センターの飯原です。私は、脳血管部門長ですが、専門は脳神経外科で、全くの臨床医です。10数年前に留学したときには、神経細胞の培養をして、それで虚血の実験をしておりました。それからは、主に臨床ばかりしております。循

環器病研究センターも、早期探索のプロジェクトで、人工心臓とともに、脳動脈瘤のカバードステントの開発ということで、PMDAにお世話になっています。幹細胞のことは、私も非専門家ですので勉強させていただいて、貢献できるように頑張りたいと思いますので、どうぞご指導のほどよろしくお願いいたします。

○宮田上席審議役 審査管理担当上席審議役の宮田です。資料5の10頁にPMDAの組織図があります。右から2つ目のところに審議役が並んでいますが、上から2つ目が私の担当です。審査業務部、審査マネジメント部、規格基準部ということです。そういう意味で、直接ティッシュエンジニアリングの関係を担当している中野審議役は今週は休暇を取っているのです、その代わりみたいな感じで座っているだけですが、よろしくお願いいたします。

○櫻井品質管理部長 総合機構品質管理部の櫻井です。私の部署は、承認前査察と医薬品医療機器の承認前査察ということで、GMPの調査、あるいはQMSの調査ということで、製造所への査察を担当している部署です。今回は再生医療製品の分野でエントリーさせていただいたというのは、我々はGMP、QMSの品質管理部の組織の中で、まだまだこういう分野に対する経験が非常に少ないという点で、今後出てくるであろう、多種多様な再生医療製品につ

いて、私どものほうで、先生方の深い知識を少し与えていただきたいという思いでエントリーさせていただきました。どうぞよろしくお願ひいたします。

○浦野生物系審査第二部長 生物系審査第二部部長の浦野です。当部は再生医療関係の品目についての相談や審査の業務を担当しております。どうぞよろしくお願ひいたします。後ほど説明をさせていただく機会がありますので、我々の困っている部分と申しますか、問題意識を持っている部分を少し交えながらお話をさせていただければと思います。

○梅澤副本部長代理 審査等改革本部副本部長代理の梅澤です。どうぞよろしくお願ひいたします。今回の細胞組織加工製品分野の部会が、内海理事を中心として準備を進め、この日が迎えられたことは感無量です。この部会において、細胞組織加工製品の審査における考え方、課題に対して部会委員の方々に、最先端の情報をご提示いただき、考え方、そしてどうしたらいいのかをご指導いただき、また浦野部長を中心として審査を行っているわけですが、私どもの考え方についてご説明させていただき、さまざまな議論をお話させていただけるのかと思っております。楽しみにしております。どうぞよろしくお願ひいたします。

○内海本部長 先ほど来お話をさせていただきました、本部長をしております

内海です。この科学委員会、あるいは専門部会をどのような形で作ったらいいかについて、部会長をしておられます中畑先生とは半年以上前からずっと議論させていただきました。その中で、ある方向でこの専門部会を作っていこうということで、先生方を含め、さらに岡野先生ともずっと突っ込んだ話をさせていただきながら進めてまいりました。先ほど来お話を申し上げておりますが、私自身も、比較的先生方と近い立場で、毎週1日は九大のほうへ行きながら研究を進めています。そういう中で、最先端の科学技術について、本日皆様方のそれぞれの後ろのほうに着席している審査員と共に、再生医療製品について、ずっと審査を含め、いろいろな問題点を中で討議してやってきました。皆様方と双方向で議論をしていただきながら、基本的には、どのように最も有効な再生医療製品がより安全な形で国民医療のところに届くかということが最も大事ですので、そういう観点からそれぞれ問題点も是非ここで洗い出していただきながら、皆様で前向きにご議論いただけたらと思います。私自身は4つの専門部会に可能な限り出席させていただきながら、皆様方と一緒にご議論させていただけたらと思います。今日これからいろいろなお話を皆様方としていく中で、岡野先生はこの後そう長くはおられないということで、おそらく実質的な議

論は第2回の専門部会になろうかと思いますが、どのような方向に持っていくかも含めて、中畑部会長を中心に、是非ご議論をしていただきながら、新しいこのワードを皆様方と一緒に作っていきたいと思いますので、よろしく願いいたします。

○中畑部会長

それでは、これからいろいろ議事を進めていきたいと思います。先ほど内海本部長長からご発言いただきましたように、本日は岡野副部会長が最後までご出席いただけませんので最初に次回の本部会の日程を決めたいと思います。細胞組織加工製品専門部会での実質的な議論は第2回の専門部会になると考えられます。従いまして第2回の部会には私と岡野副部会長の両者が出席できる日を設定する必要があるがございます。私と岡野副部会長の都合のいいのが、11月2日の15時から18時の3時間と、あとは10時から12時の2時間の2カ所あります。ほかの日はなかなか2人の都合が合わないということです。特に、今回は実質的な深い議論をしたいと思います。いまお手元にある○×の付いている先生と、付いていない先生もいますが、11月2日の10時から12時ということで、末盛先生はいかがですか。

○末盛委員

大丈夫です。

○中畑部会長

それでは、末盛先生は○ということで。澤先生は△ですけれどもいかがですか。

- 澤委員 東京にいて学会なのですが、午前中は大丈夫です。
- 中畑部会長 午前中は○ということで。尾崎先生、間野先生、榛村先生は×
ということで駄目ですね。
- 榛村委員 患者さんの予約を動かせば。
- 中畑部会長 患者さんの予約をね。
- 間野委員 私は海外です。
- 中畑部会長 海外では駄目ですね。
- 榛村委員 私は△ということで。
- 中畑部会長 榛村先生は一応△になったということで。松井先生はいかがですか。
- 松井委員 この日は、ちょうど大学院の説明会がありますので、午前中は
ちょっと微妙なところなので△ということで。
- 中畑部会長 △ということで、もし出られたら。×が3名ということで。15
時から17時というのは、末盛先生はいかがですか。
- 末盛委員 大丈夫です。
- 中畑部会長 大丈夫ということで、ついでに16時から18時も○で。
- 末盛委員 はい。
- 中畑部会長 尾崎先生はいかがですか。
- 尾崎委員 終日駄目です。
- 中畑部会長 はい。間野先生も海外だから駄目と。澤先生はいかがでしょう

か。

- 澤委員 3時半まで、東京ステーションコンファレンスの座長をしますので、そこが終わったらすぐに来れば、後ろのほうは少し。
- 中畑部会長 16時から18時はいけそうだけれども、15時から17時は×とおきます。
- 澤委員 はい。16時はちょっときついですけど、それ以降の△は大体いけるとおもいます。
- 中畑部会長 そうですね。中村先生は、ここはいかがでしょうか。
- 中村委員 私はこのとおりにいっているとおもいます。
- 中畑部会長 それでは駄目ですね。松井先生は、ここの時間はいかがですか。
- 松井委員 △ということで、大学院とこれから調整をしてみます。
- 中畑部会長 それでは、これは両方とも△ですか。
- 松井委員 △ということです。
- 中畑部会長 そうということで、ほぼ同じぐらいですけども、先生は、都合としてどっちがいいですか。
- 岡野副部会長 澤先生、午前中は無理なく出られるのですよね。
- 澤委員 午前中は大丈夫です。
- 岡野副部会長 それではそうしましょう。
- 中畑部会長 それでは、午前中の10時から12時ということで、これは決定ということにさせていただきます。事務局はよろしくお願ひいた

します。次回は 11 月 2 日の 10 時から 12 時ということでよろしく
お願いいたします。

< 議題 2 : 当該領域の薬事制度の概略及び課題案の説明 >

< 議題 3 : 今後の検討の進め方について >

○中畑部会長 先ほどの合同専門部会において、科学委員会の役割とか、PMDA
の業務の概要について駆け足で説明していただきましたが、本
日ご参集の先生方は、薬事法とか、あるいは細胞組織加工製品
の承認制度等についてご存じの方も多いかと思いますけれども、
あまり詳しくない方もいらっしゃると思いますので、まずはこ
の辺の背景情報の共有化を図るということで、この部会で検討
する製品特性に合わせた薬事制度等について説明をしていただ
きます。また、今後の会議の進め方等について検討していきたい
と思います。法律や制度の言葉を聞いても実感が湧かないと
いうこともあると思いますので、本日はあまり時間もありません
ので、特に細胞組織加工製品に関する問題意識といいますか、
実際の審査の過程でご苦労されている点をお話していただいて、
今後の議論を進める上での参考にしたいと思います。本日は、
この部会の検討課題に関係する、PMDA の担当部長の 1 人である
浦野生物系審査第二部長から説明をお願いいたします。その後、

櫻井品質管理部長からも、品質管理の観点から問題意識についてお話をさせていただきます。最初に浦野部長からお願いいたします。

○浦野生物系審査第二部長 生物系審査第二部の浦野です。この専門部会でどういうことをやっていけばいいのかというところを我々も少し考えました。1つの案として資料を提示させていただいております。具体的な資料は資料 9-2 からです。先ほどの合同専門部会で使われた資料 5 の 13 頁に、PMDA での新薬審査ではどういう考え方でやっているのかということについて、スライド 21、スライド 22 があります。皆様方は、実際の新薬審査はなじみが薄いのではないかと考えております。この専門部会を行っていく中でも、PMDA はどういう審査をやっているのか、審査とはどういうものかをご理解いただきながら、審査する者の立場も知っていただきつつ議論を進めていただき、審査側がちょっと違う視点で見ているぞ、というところを実感していただくと助かります。資料 5 の 13 頁の審査の留意事項を読んでいただければと思います。1つのルールだけでは審査はなかなか決定できないということです。毎回毎回さまざま悩むところがあります。実際に審査をやっているのは、皆様方の後ろに座っているメンバーで、当部の審査員ですので、この専門部会で実際の審査員からも意見交換

ができれば、審査を身近に感じていただけたらと思います。話を元に戻して、資料 9-2 は 1.、2. と大きくあり、1. は生物系審査第二部の問題意識を示しています。2. は、後ほど櫻井部長から説明がありますが、品質管理部からの問題意識を示した資料です。(1)(2)(3)(4)と分けて書いてあるのですが、大枠を簡単に説明いたしますと再生医療はこれから世界に向けて考えるべき、つまり日本だけでローカルなものを作っていくのではなくて、世界に向けての製品が出ていくだろうということになると、審査に当たり、グローバルな部分も意識しながら議論をしなければいけないだろうという視点があります。世界の動きを知りつつ、また日本独特の考え方も含めつつ、その辺を整理できたらいいというのが当方の問題意識です。具体的には、(1)(2)(3)とあり、大きく分けて品質、非臨床、臨床関係のテーマをお示しました。加えて、その他として、PMDA に対する疑問や問題点等についてご指摘やご意見をいただいておりますので、そういう内容について事実関係を確認しつつ今後に向けて十分整理をしていけばいいというのが当部の案です。承認審査は、薬事法等法律だけを覚えていけばいいわけではありませんので、実際の現場の状況だったり、考え方だったりを含めて、審査の中に盛り込んでいくというのは、基本中の基本だと思っております。

そういう意味では、皆様方のご意見をいただける、意見交換ができるというのは非常にラッキーだと思っております。当専門部会での、さしあたりテーマとしたいことについて、スライド3枚にまとめてあります。再生医療関係は、実際の開発が、まだまだ初段階であり、ポイントとなる制度としてこれまで安全性の確認申請を行ってきておりました。しかしながら、去年の7月にその制度を廃止し、薬事戦略相談を行ってきております。その中で、治験に入る段階の製品に対して、どのように考えて、安全性を担保して、それを認めて治験に入ってもらおうかというところを、内部では議論してきています。この内容がスライドの3枚目と4枚目になります。大きく分けて重要ポイントとしては4頁目になります。時間の関係で細かい説明は省かせていただきますが、例えば、原材料に関しては、感染症の伝搬は防止なされているものが使われているのか、生物由来原材料基準が適切にまもられているのかということ、治験を始める前の届出の内容で確認をし、それについて、治験届出者との意見交換を、行っております。先ほど、ヒト幹指針のお話も出たのですが、ヒト幹指針は実際に厚生労働省で運用して実施が認められているもので、PMDAとしては治験の届出に関してどこまで、ゼロからと言ったほうがいいのかもかもしれませんが、全部見

直しを PMDA はやっているのかという疑問もあると思います。そういう問題をこの専門部会で取り上げるのも 1 つだと思います。将来製品として申請するに当たっては、初期の段階からルールを気にする必要があると思いますが、規則的なこと、例えば生物由来原料基準のようなもの、これは承認申請の段階では必ず要求される内容ですので、そういうものはどうなっていますかということを確認し、ちゃんとやっていくことを求めるわけです。開発のどの段階で、どのぐらいの量で、どのぐらいの質でやっていくかというようなことは、今後整理していったほうがよいと思っています。当部のほうから、当専門部会の、きっかけとしてご紹介いたしました。

○ 櫻井品質管理部長 先ほど浦野部長から話がありました(1)の品質の関係です。この品質審査の延長線として、最終的には承認審査を経て世に出る形になります。そういう流れの中で、資料 5 の 16 頁の下の部分に、審査報告書の下のところ GMP の調査の結果ということで、承認前の査察がここに入ってきます。その内容については、資料 5 の 24 頁の上の品質管理のところの概要のところにつながります。今回私どものほうで挙げさせていただいたテーマは、再生医療製品の製造管理と品質管理についてということで、先ほど少しお話をしましたように、私どもの部署では、まだまだ

こういう調査に関する経験が非常にない、今後出てくる再生医療製品について、先生方と情報交換をさせていただいて、実際の作成のプロセス等の情報を基に、現状を理解しながら、より適切な品質保証のあり方等を事前に整理したいと、しておきたいということで挙げさせていただいております。資料 9-2 の 9 頁のいちばん上の、再生医療製品の品質をしっかりと確保するためには、どういう観点で工程のリスクを考えたらいいのか。実際に製造するに当たっては、恒常性の担保をいかにするのかということがテーマになると思います。そういうことを、実際の製造現場の実態を十分に確認させていただきながら、品質保証とか、品質確保の意見交換をさせていただきたいということです。その下には、実際に先生方と意見交換したい事項が書いてあります。先生方から、どういう点で作製、製造するに当たって非常に難しい点があるのか、といった問題点をお聞きしながら議論を進めさせていただきたいと思います。

○ 中畑部会長　いま説明をしていただいたわけですが、いろいろご意見をいただきたいと思います。原材料ということでは、対象になる幹細胞、特に再生医療が主体になると思いますので、そういたしますと幹細胞が主体となります。どういう幹細胞を、どういう形で PMDA としては扱うか。例えば体性幹細胞で、既に PMDA の審査に

載っているものもあると思います。例えば間葉系幹細胞は既にある企業から申請があつて、審査をされた経験もあるかと思ひます。そういう体性幹細胞をどういふ形で取り扱ふのか。本日先ほどから出てきていふ iPS 細胞、あるいは ES 細胞そのものをどういふ形で PMDA として取り扱ふていくのか、ということをおそらくここで決めていくことになるのではないかと思ひます。その辺について PMDA としては、いままでの過程でそういうことが議論になつたことはありますか。

○浦野生物系審査第二部長 個別具体的な話はしないということなので。どのような考え方で見ていくべきなのかということは、当然 PMDA として整理をして、最終的に考えをまとめていくことになりまふ。そのような考え方で運用していく場合、PMDA はやり過ぎではないかとか、考え方の方向が変なのではないかということは、皆様方から是非意見をいただきたいと思つております。これまでにやつた、やらないという問題ではなくて、広く今後の考え方としての整理に協力していただくことは、我々としては助かると思ひます。

○佐藤（陽）臨時委員 FDA や EMA の審査の方針を見まふと、まず最初に細胞組織加工製品に関しては、プリンシプルというものがあつて、それはリスクベースドアプローチというものを取るという文書で宣言

をしているというのがあります。それに関して、日本はそれに沿ってどのようにプリンシプルを作っていくのか、それとも作っていないのか。それから、FDA や EMA の言っているプリンシプルというのは、日本において妥当なのかどうかというところから考えていかないと、この課題案のリスク・ベネフィット評価の考え方についてとか、細胞組織製品の多様性に対応した評価のあり方が見えてこないと思うのです。そういう大きなところから、専門家の先生に議論していただければという希望があります。

○中畑部会長 できるだけ国際的に共通の基盤を作る必要があるのではないかと
いうのは私もそう思います。

○澤委員 いまの佐藤先生のお話は非常に重要なのですが、あとは考え方として疾患の特異性というか、リスク・ベネフィットを平たく、
また言い換えると疾患の領域の重篤性をどうやって区別されているかです。あとは自己細胞と、まだ出てきていないとは思いますがけれども他家細胞の考え方の違いの辺りも、本当に画一的にこれはこうだというのではなくて、そこを弾力的に審査して
いっていただけるような体制に是非議論してほしいなど。そういうところを踏まえたのがプリンシプルということでしょうか。

○岡野副部会長 佐藤先生、澤先生のおっしゃることはごもっともだと思います。

もともと細胞が生着して長生きする場合と、やがて消えていってそのトロフィックアクションだけで効くのとでは、かなり安全面の注意の仕方は違うと思います。ICHを考えると、基本的にどんな細胞が出てきても審査できるようにしておいたほうがいいのではないかと思います。この細胞はどうのとか、幸いそういう生命倫理的な議論を特に必要とせずに、FDAはセーフティ・イズ・ア・プリンシプル・イシューと言っていますので、どんな細胞の申請が出てきたとしても、安全性を重んじて審査するという立場をとらないと、とても国際的には太刀打ちできないと思いますので、そこは大事な点なので皆様にお諮りしたいところなのです。私は、そういうコンセンサスでいくのがいいのではないかと思うのです。例えばESとかです。ブッシュ政権下で、NIHの研究費を使って、ヒトESの研究はなかなか難しい時期においても、FDAはジェロン社や、アドバンストセルテクノロジーの審査をやっていたわけですから、その辺はある程度見習うべき知恵ではないかと思います。

○浦野生物系審査第二部長 議論する上で、使用する言葉が示す意味が結構難しいと思います。いまのお話で「審査」という言葉は、我々だと「承認申請がされてから審査をする」という意味に聞こえます。一方、皆様方だと、治験の前の実施の可否で「審査」と呼んでい

る場合もあると思います。我々としては、開発段階の段階ごとで要求する内容がずれている場合もあって良いとは考えているところです。つまり、治験の段階で要求される内容と、承認申請の審査で世の中に製品が出ていく段階とは「審査」の考え方には違いもあり、どの段階の話であるか確認しながら行っていく必要があると思います。したがって、そのワーディングについても少し気にしながら議論をしていただくと非常に助かります。

○森尾委員 先ほど澤先生がおっしゃった、自己細胞を使う場合、1対1の場合、あるいは1対2かもしれません。あとは、同種とかで1対多になってロットを形成する場合に、これがどこまで薬としての基準を求められるかというのを、是非ここで議論できたらと思っております。自分の組織から取ってきて、加工して、戻すというのはかなり手術に近い感覚のところもあります。そういうものを、薬としての縛りをどこまで持っていくか。それで恒常性をというのはまず無理な話でありますので、その辺はどこまで薬事の縛りを付けるのかというところを議論できたらうれしいと思っております。

○中畑部会長 非常に重要なことですね。

○浦野生物系審査第二部長 ネガティブな考えに固まっているつもりはないのですけ

れども、これは薬事法の傘なのか否かというお話は、我々PMDA
ができるようなお話ではないというところでは。議論すること
に関しては我々の発言は言葉を選んでしまうことになるので、
その点ご理解いただくため発言させていただきました。

○間野委員 非専門家を代表してですが、たぶんこのグループの中の同様な先
生方は、いまの海外でのプリンシプルが具体的にどういうもの
を規定しているかという情報をお持ちではないと思うのです。
この領域でFDAあるいはEMAなどが規定している、最低限必要
としているようなもの、あるいはプロセスについて、何か資料
のような形で用意していただいたほうが議論は進みやすいよう
な気がいたします。

○浦野生物系審査第二部長 海外の状況についての資料を取り揃えることはできると
思います。資料9-2の5頁からは参考として国内の主なガイド
ラインを挙げていて、国内でもこのように少しずついろいろな
ものが作られております。また、海外の状況や、考え方をベー
スに議論のきっかけになるのだらうと思います。

○中畑部会長 いま間野先生からご意見のあった、FDAなどの資料を整えて、皆
さんに提示していただくことは可能ですか。

○浦野生物系審査第二部長 議論のポイントになるところ、どの辺の資料が重要であ
るかが不明であるとなると膨大な資料がやってきてしまうと思

われます。議論が絞られれば諸外国の制度に関して、概要をまとめられますけれども。ポイントになるものをリクエストしていただければ、調べることは可能だと思います。

○中畑部会長 佐藤先生、その辺はどうですか。

○佐藤（陽）臨時委員 例えばですけれども、先ほど私が申し上げたような、彼らの審査の原則というものに対する議論を次にやるといったときに、それも文書化されていますので、そういう文書プラス要約の日本語版みたいなものが付いていると、議論の助けになるかという気はいたします。追加なのですが、国際化という意味では、ほかの規制当局のガイダンスとかガイドラインを参考にするのはいいのですけれども、また ICH ということを考えて、細胞組織製品に関してはまだ ICH は動いていないのですけれども、そういうものを視野にしていく場合に世界標準を視野に入れていくことはとても大事であります。もう一方で、日本の状況を考えていくことが大事なことかと思えます。例えば、国内企業の開発力とか、治験の実験場といったものを含めた、日本国内でのあり様も議論する必要はあると思います。

○中畑部会長 当然のことだと思います。PMDA で、より良い審査の体制を作るために海外も参考にすると。別にそれに従うということではなくて、参考にしてより良いものを作り上げていくということ

です。日本での特殊性というのももちろんありますので、特に開発ということになると、私の気持では、例えば iPS 細胞はせっかく日本で生まれた技術ですので、日本から治験が出発して、世界にそういう成果が広がっていくような形で作られていけば非常にいいと思います。その辺も、十分この中で考慮しながら議論していただけたらと思います。

○宮田上席審議役　　科学委員会本体もそうだと思うのですが、この専門部会は非常に学識のある先生方に集まっていたいて、先生方がお持ちのいろいろな形のインフォメーション、それは例えば FDA のレギュレーションは実はこうなっているのだとか、あるいは海外の研究動向はこうなっているのだとか、そういうことについても積極的に出していただければ我々としても非常に助かります。事務局だからお前らが調べればいいだろうということではなく、貢献していただければ非常にありがたいと思います。こんな事例がある、あんな事例があるというのは、例えば URL だけでも結構ですから、我々のほうに連絡していただければありがたいと思います。もう 1 点は先ほどちょっと話が出た、薬事法的な話、制度的な関係の話というのは、どうしてもそこに行ってしまうところがあるだろうと思います。私も、個人的には薬事法というのは、ケミカルな薬を念頭に置いて作った法律だなど、

昔作った法律だなど、それが基になっているというのはよくわかります。かつ、この中でもかなりの先生がご存じのとおり、デバイスと並んで、この分野についても、現行制度と違うような形での制度を作ったほうがいいのではないかという議論が行われ、その中間取りまとめがあって、また薬事法・制度がどのようなになるかという議論も行われています。それは、先ほど浦野部長が申し上げたように、基本的には厚生労働省の問題、あるいは政府の問題であります。いずれにしても、法律が変わればすべてがガラッと変わるものではないことは事実です。それは、いままで何回も法律を改正してきたことからいってもそう思います。法律というのは魔法の杖ではありませんから。その裏打ちとなる、どのような研究開発なり市販後まで含めて、プロセス、プロセスでどのようなことで評価なり、あるいはレギュレートしていけばいいのかという議論がベースにあつての話ではないかと思っています。それは、ここに出てきたオートとアロの話といったような、具体的な話を先生方に出していただいて、議論していくのがフルートフルなディスカッションになるのではないかと思っています。

○岡野副部長

非常に多くの臓器の専門家が来ているということと、いろいろな種類の細胞を使った再生医療があり得るということです。限

られた時間の中でやろうとすると、いろいろな発言が発散しないように、毎度毎度こういうところというようにポイントを決めて、そこに関してはコンセンサスを作っていこうという形でなんとか進めるのがいいのではないかと思います。研究者の議論で、それは制度上できないなら、それはきっちりご指摘いただくということで、今後 11 月 2 日は何をやるかとか、その辺について前もってメールでやり取りして、今回はここまで決めましょうとかそうしていかないと。我々が情報公開をやっていると、学会と変わらなくなってしまうとエンドレスですから、そこはきっちり決めておいたほうがいいと思います。

○中畑部会長

いま、岡野先生が言われたような方向でやっていきたいと思えます。先ほどご意見があったように、それについての資料を皆様に作っていただくということもこれからは出てくると思えますので、よろしくご協力いただきたいと思います。時間の関係で議論はあまり進んでいないわけですが、次回から本格的に議論をするということで、かなり問題を絞って、その都度結論が出るような形で進めていきたいと思えます。次回は、先ほどお話をいたしましたように、11 月 2 日の 10 時から 12 時ということでお願いいたします。

○澤委員

先ほど、宮田さんが非常に大事なところをおっしゃってしまし

た。薬事法というのは、確かにあっても、やはりいろいろな考え方や見方、そこへ至るコンセンサスをどうやって作っていくかということだと思います。いまのいろいろな情報によると、確かに再生医療の方向へ新しい薬事法の改正に向けたと言ったら言いすぎかもしれませんが、いろいろな議論がされている中で、でも現時点で私が経験した問題は、医薬品か医療機器かというイメージで議論されたというのは事実なのです。ですから、法律が変わる、変わらないにかかわらず、医薬品でも医療機器でもない再生医療製品をいかに合理的な審査ができるように議論するかという、そういう観点がとても大事だということは、たぶん宮田さんがおっしゃっているのと私は同じだと考えております。変わるかもしれないし、変わらなくても、やはりそこは合理的な、合理的でないのですよね。医療機器にしてしまうか、医薬品にしてしまうか、そこを是非アカデミアが中心になって議論していただきたいと思います。

○中畑部会長 いまの点も、次回議論する1つのポイントだと思います。

○宮田上席審議役 一応お答えしておかなければいけないのかと思います。確かに医薬品でもなく、医療機器でもなく、やはり第3ジャンルが必要ではないかというのが、いちばん大きな 이슈になっているというのは承知しています。繰り返しに近いことになるの

かもしれませんが、第3ジャンルを作ろうということで議論するよりは、いまの医薬品・医療機器というような、結果としてそうなっているというのはどこに問題があるのか。それは、すべてについてそうなのか、この部分についてはそうなのかとか、もうちょっときちんとした、科学的バックグラウンドを置いた議論をしないとよくないのではないかと考えています。実際のところ私の印象では、評価についてはあまり医薬品、医療機器の区別を審査している人は持っていないのかもしれないです。見ているところは、ちゃんと安定したものができるのですかとか、ちゃんと安全性は担保できるのですかというところをフォーカスしているように思います。先生方からはそのように見えないのかもしれませんが、それはいろいろあるかもしれませんが、それは先ほどありましたように、非公開の部分をちゃんと決めたのは、少なくとも過去のものについては具体的なものについて議論をすることをイメージしているからです。それは、過去こういうところに問題があったのではないか、というようなことも言っていただいてよろしいかと思えますし、それはそういうことでいいのですよね。そのような形で議論するのがいいのではないかと思えますが、いかがでしょうか。

○澤委員

事例を踏まえた議論も重要かと思えます。

○中畑部会長

確かにちょっと頭で考えると、再生医療製品というのは、従来の医薬品とか医療機器とは全く違う。細胞自身が場合によっては増殖して、ずっと身体の中で増えていくようなこともあるわけです。やはり、一部いままでの中に当てはまるものもあると思いますが、やはり新しいカテゴリーを作らないと駄目かもしれない。その基礎になるデータをまず議論してからスタートする。それは、私自身も賛成です。実際にそういう事例を皆様で検討して、やはりここには問題があって、ちょっと従来の方法では無理だと、あるいはこの部分は従来の医薬品なり医療機器の中で扱えるのではないかというような、その辺の議論はできるかと思います。そういうことも、次回以後の1つの検討課題という形にしたいと思います。予定の時間が来ましたので、本日はここで終了にしたいと思います。次回は11月2日ということで、できましたら議題の内容みたいなものをメールでお送りしたいと思いますので、よろしくお願いいたします。

< 閉会 >

○中畑部会長

本日はどうもありがとうございました。事務局から何か追加することはありますか。

○事務局

特にありません。

○中畑部会長

それでは、どうもありがとうございました。今後ともよろしく
お願いいたします。