

再生医療等製品の審査ポイント

2023年3月10日(金)12:00～13:00
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 審査役 丸山 良亮
Yoshiaki Maruyama, Ph.D.
Director, Office of Cellular and Tissue-based Products,
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, Japan

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

本日の内容

- 承認状況
- 承認申請・審査の留意事項
 - ✓ 製造販売後調査等及び再審査
 - ✓ 前処置、併用薬の取扱い
 - ✓ 適正使用に向けた取組み
 - ✓ 再生医療等製品の変更計画の確認及び計画に従った変更に係る事前届出制度(PACMP)
 - ✓ 再生医療等製品の承認事項一部変更承認後の製品切替え時期設定及びその記載方法
- カルタヘナ法対応(使用規定)
- 開発の留意事項

再生医療等製品の承認情報



Review Reports: Regenerative Medical Products

The following English translations of review reports are intended to be a reference material to provide convenience for users. In the event of inconsistency between the Japanese originals and the translations, the former shall prevail. PMDA shall not be responsible for any consequence resulting from use of the English versions.

The review reports were selected for translation among those of new regenerative medical products that recently received marketing approval, in consideration of relevant factors including the novelty and priority.

再生医療等製品 情報検索

ご利用にあたっての注意事項 | 情報検索機能の使い方

表示件数を選ぶ: 10件

検索 | 検索・表示条件を保存

製品の添付文書等を調べる

検索条件消去

※添付文書が公開されている品目について、その記載内容から検索を行い、検索された、製品に関連する文書を一覧表形式で表示します。

一般的名称・販売名

特定の文書の記載内容から調べる

検索条件消去

※「特定の文書の記載内容から調べる」では、添付文書以外の特定の文書の全文検索又は関連する日付で検索ができます（左側の「製品の添付文書等を調べる」とは検索方法が異なります）。

| Brand Name | Non-proprietary Name | Approved In | English | Japanese |
|-------------|---|----------------|---------|----------|
| Abecma | idecabtagene vicleucel | January 2022 | | |
| Alofisel | darvadstrocel | September 2021 | | |
| Breyanzi | lisocabtagene maraleucel | March 2021 | | |
| Collategene | bepermingene perplasmid | March 2019 | | |
| Delytact | teseraturev | June 2021 | | |
| HeartSheet | human (autologous) skeletal myoblast-derived cell sheet | September 2015 | | |

日本語: <https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/saiseiSearch/>

英語: <https://www.pmda.go.jp/english/review-services/reviews/approved-information/0004.html>

再生医療等製品の承認状況(2023年2月末)(類別)

| ヒト細胞加工製品(16) | 販売名 | 一般的名称 |
|------------------|--|---|
| ヒト体細胞加工製品(9) | ジェイス ジャック キムリア点滴静注 イエスカルタ点滴静注 ブレヤンジ静注 アベクマ点滴静注 カービクティ点滴静注 ジャスミン ビズノバ | ヒト(自己)表皮由来細胞シート ヒト(自己)軟骨由来組織 チサゲンレクルユーセル(CD19 CAR-T) アキシカブタゲン シロルユーセル(CD19 CAR-T) リソカブタゲン マラルユーセル(CD19 CAR-T) イデカブタゲン ビクルユーセル(BMCA CAR-T) シルタカブカゲン オートユーセル(BMCA CAR-T) メラノサイト含有ヒト(自己)表皮由来細胞シート ネルテペンドセル(ヒト(同種)角膜由来角膜内皮細胞) |
| ヒト体性幹細胞加工製品(7) | ハートシート* テムセルHS注 ステミラック注* ネピック オキュラル アロフィセル注 サクラーシー | ヒト(自己)骨格筋由来細胞シート ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞 ヒト(自己)骨髄由来間葉系幹細胞 ヒト(自己)角膜輪部由来角膜上皮細胞シート ヒト(自己)口腔粘膜由来上皮細胞シート ダルバドストロセル(ヒト(同種)脂肪由来間葉系幹細胞) ヒト羊膜基質使用ヒト(自己)口腔粘膜由来上皮細胞シート |
| ヒト人工多能性細胞加工製品(0) | --- | |
| ヒト胚性幹細胞加工製品(0) | --- | |
| 遺伝子治療用製品(3) | 販売名 | 一般的名称 |
| プラスミドベクター製品(1) | コラテジェン筋注用4 mg * | ベペルミノゲン ペルプラスミド(プラスミドDNA) |
| ウイルスベクター製品(1) | ゾルゲンスマ点滴静注 | オナセムノゲン アベパルボベク(AAV) |
| 遺伝子発現治療製品(1) | デリタクト注* | テセルパツレブ(HSV 腫瘍溶解性ウイルス) |

令和5年2月
部会了承

再生医療等製品の承認状況(2023年2月末)(その1)

| 販売名 | 承認取得者名 | 効能、効果又は性能(一部簡略記載) | 条件期限付承認 |
|--------------|---------------|--|---------|
| ジェイス | (株)J-TEC | 重症熱傷 先天性巨大色素性母斑 栄養障害型表皮水疱症及び接合部型表皮水疱症 | |
| ジャック | (株)J-TEC | 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 | |
| ハートシート | テルモ(株) | 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 | ○ |
| テムセルHS注 | JCRファーマ(株) | 造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病 | |
| ステミラック注 | ニプロ(株) | 脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善 | ○ |
| キムリア点滴静注 | ノバルティスファーマ(株) | B細胞性急性リンパ芽球性白血病 びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 | |
| コラテジェン筋注用4mg | アンジェス(株) | 標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症(閉塞性動脈硬化症及びバージャー病)における潰瘍の改善 | ○ |
| ソルゲンスマ点滴静注 | ノバルティスファーマ(株) | 脊髄性筋萎縮症 | |
| ネピック | (株)J-TEC | 角膜上皮幹細胞疲弊症 | |

再生医療等製品の承認状況(2023年2月末)(その2)

| 販売名 | 承認取得者名 | 効能、効果又は性能(一部簡略記載) | 条件期限付承認 |
|------------|--------------------------|---|------------------|
| イエスカルタ点滴静注 | 第一三共(株) | 再発又は難治性の ・びまん性大細胞型B細胞リンパ腫(DLBCL) ・原発性縦隔B細胞リンパ腫(PMBCL) ・形質転換濾胞性リンパ腫(TFL) ・高悪性度B細胞リンパ腫(HGBCL) | |
| ブレヤンジ静注 | セルジーン(株) | 再発又は難治性の大細胞型B細胞リンパ腫 | |
| オキュラル | (株)J-TEC | 角膜上皮幹細胞疲弊症 | |
| デリタクト注 | 第一三共(株) | 悪性神経膠腫 | ○ |
| アロフィセル注 | 武田薬品工業(株) | 非活動期又は軽症の活動期クローン病患者における肛門 周囲複雑瘻孔の治療 | |
| アベクマ点滴静注 | ブリストル・マイヤーズ スクイブ(株) | 再発又は難治性の多発性骨髄腫 | |
| サクラシー | ひろさきLI(株) | 角膜上皮幹細胞疲弊症における眼表面の癒着軽減 | |
| カービクティ点滴静注 | ヤンセンファーマ(株) | 再発又は難治性の多発性骨髄腫 | |
| ジャスミン | (株)J-TEC | 非外科的治療が無効又は適応とならない白斑 | } 令和5年2月 部会了承 |
| ビズノバ | 合同会社オーリオン バイオテック・ジャパン | 水疱性角膜症 | |

本日の内容

■ 承認状況

■ 承認申請・審査の留意事項

- ✓ 製造販売後調査等及び再審査
- ✓ 前処置、併用薬の取扱い
- ✓ 適正使用に向けた取組み
- ✓ 再生医療等製品の変更計画の確認及び計画に従った変更に係る事前届出制度(PACMP)
- ✓ 再生医療等製品の承認事項一部変更承認後の製品切替え時期設定及びその記載方法

■ カルタヘナ法対応(使用規定)

■ 開発の留意事項

再生医療等製品の申請情報

[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](#)

▣ [医療用医薬品](#)

▣ [一般用医薬品・要指導
医薬品](#)

▣ [医薬部外品](#)

▣ [医療機器](#)

▣ [体外診断用医薬品](#)

▣ [再生医療等製品](#)

■ [信頼性調査](#)

■ [GCTP調査](#)

■ [遺伝子治療関連情報](#)

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

製造販売について

- ・ [再生医療等製品の製造販売手順について](#) 
- ・ [申請等手続き\(オンライン届出の取扱い\)](#)

関連通知

製造販売承認申請書の作成

- ・ [再生医療等製品の製造販売承認申請について\(平成26年8月12日 薬食発0812第30号\)](#) 
- ・ [再生医療等製品の製造販売承認申請に際し留意すべき事項について\(平成26年8月12日 薬食機参発0812第5号\)](#) 

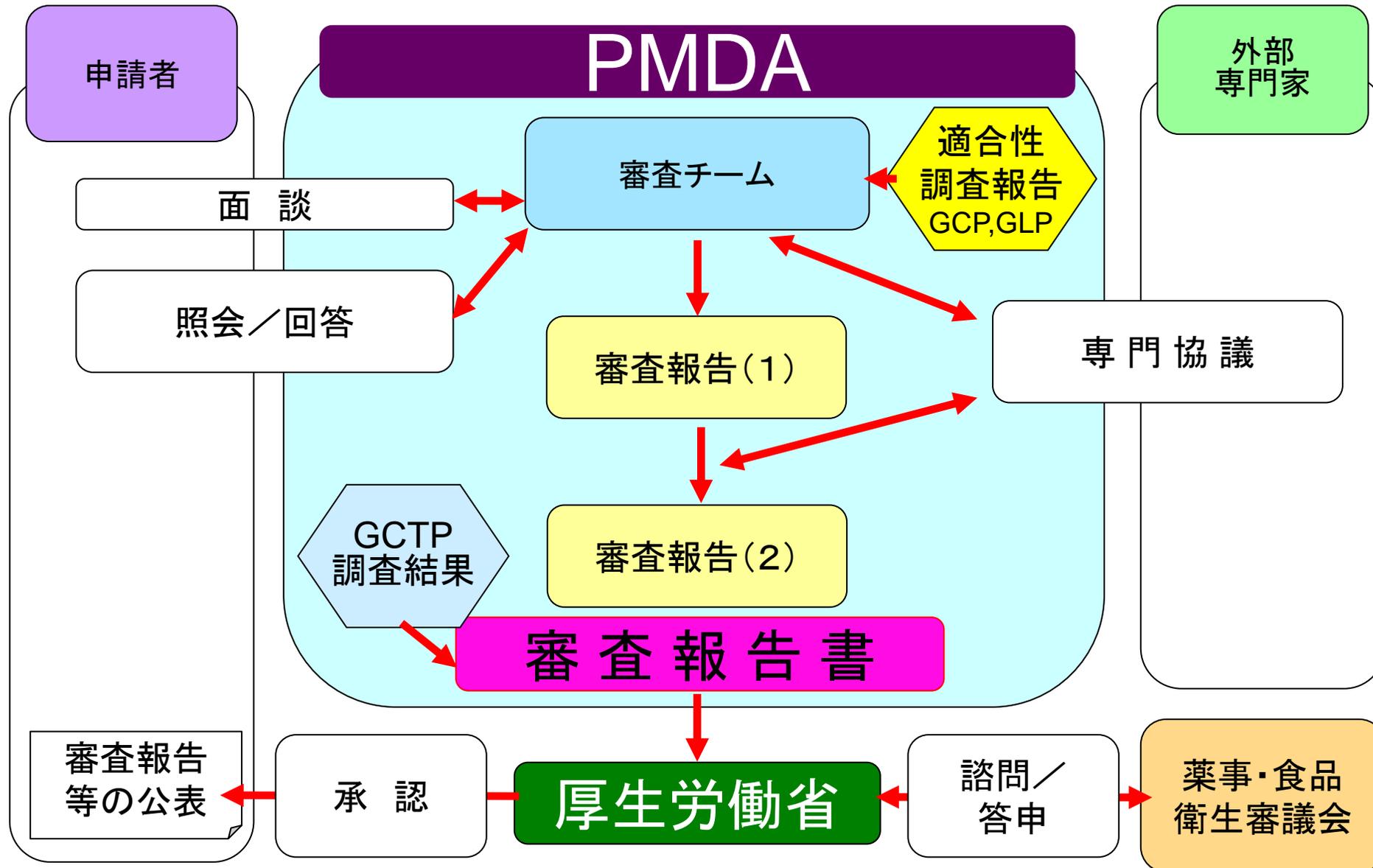
コンビネーション製品

- ・ [「コンビネーション製品の承認申請における取扱いについて」の改正等について\(平成28年11月22日 薬生薬審発1122第4号 薬生機審発1122第10号 薬生安発1122第7号 薬生監麻発1122第4号\)](#) 
- ・ [コンビネーション製品の承認申請における取扱いに関する質疑応答集\(Q&A\)について\(平成28年11月22日 事務連絡\)](#) 

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 |

承認審査のプロセス



本日の内容

■ 承認状況

■ 承認申請・審査の留意事項

- ✓ 製造販売後調査等及び再審査
- ✓ 前処置、併用薬の取扱い
- ✓ 適正使用に向けた取組み
- ✓ 再生医療等製品の変更計画の確認及び計画に従った変更に係る事前届出制度(PACMP)
- ✓ 再生医療等製品の承認事項一部変更承認後の製品切替え時期設定及びその記載方法

■ カルタヘナ法対応(使用規定)

■ 開発の留意事項

製造販売後の使用の成績等に関する調査計画

| | |
|---------------|-----------------|
| 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 |

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)

- 再生医療等製品の使用の成績等に関する調査及び再審査の取扱いについて(令和4年3月28日付薬生機審発0328第1号)
- 再生医療等製品の製造販売後承認条件評価基本計画書及び 製造販売後調査等基本計画書の記載方法等について(令和2年3月23日付薬生機審発0323第1号)

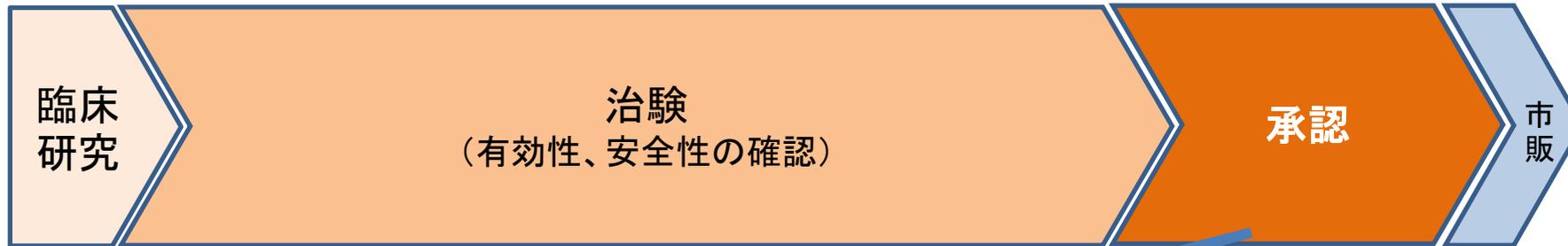
| 計画書 | 提出時期 |
|-------|---|
| 基本計画書 | 原則として販売開始予定時期の1か月前までに提出 |
| 実施計画書 | 原則として使用成績調査、製造販売後データベース調査又は製造販売後臨床試験の開始予定時期の1か月前までに提出 |

再審査期間

| 分類 | 対象 | 期間 |
|---|---|------------------------|
| 1) 希少疾病用再生医療等製品 | (ア) 指定された効能、効果又は性能に対する初回の承認(条件及び期限付承認を除く。) | 10年 |
| | (イ) 既に製造販売承認(条件及び期限付承認を除く。)を与えられている再生医療等製品(以下「既承認再生医療等製品」という。)と投与経路が明らかに異なるもの | 6年超8年以下で厚生労働大臣が指定する期間 |
| 2) 既承認再生医療等製品と構成細胞又は導入遺伝子が明らかに異なる新再生医療等製品(上記1)に掲げるものを除く。) | | 8年 |
| 3) 特定用途再生医療等製品 | | 4年以上6年未満で厚生労働大臣が指定する期間 |
| 4) 既承認再生医療等製品と効能、効果又は性能のみが明らかに異なる新再生医療等製品(上記1)に掲げるものを除く。) | (ア) 先駆的再生医療等製品 | 6年超8年以下で厚生労働大臣が指定する期間 |
| | (イ) 既承認再生医療等製品が希少疾病用再生医療等製品として指定された効能、効果又は性能のみを有している場合(上記(ア)に掲げるものを除く。) | 5年10か月 |
| | (ウ) 上記(ア)及び(イ)以外の場合 | 4年 |
| 5) 既承認再生医療等製品と用法(投与経路を除く。)及び用量又は使用方法のみが明らかに異なる新再生医療等製品 | | 4年 |
| 6) 既承認再生医療等製品と構造が明らかに異なる新再生医療等製品(上記2)に掲げるものを除く。) | | 6年 |
| 7) 既承認再生医療等製品と投与経路が明らかに異なる新再生医療等製品(上記2)に掲げるものを除く。) | | 6年 |

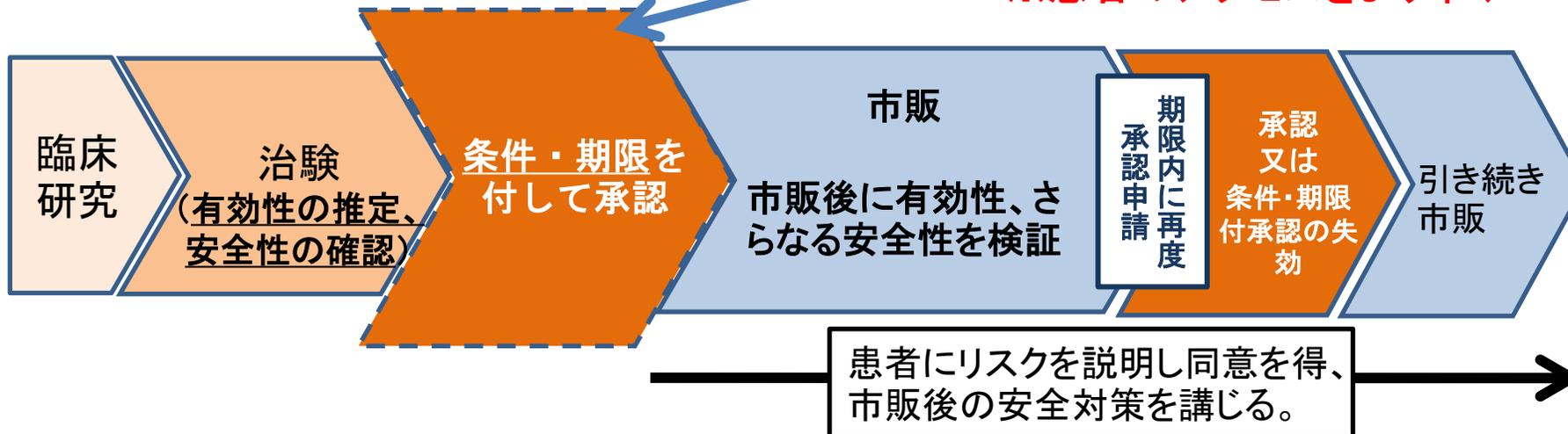
再生医療等製品の条件・期限付承認制度の導入

【従来の承認までの道筋】



＜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。

【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！

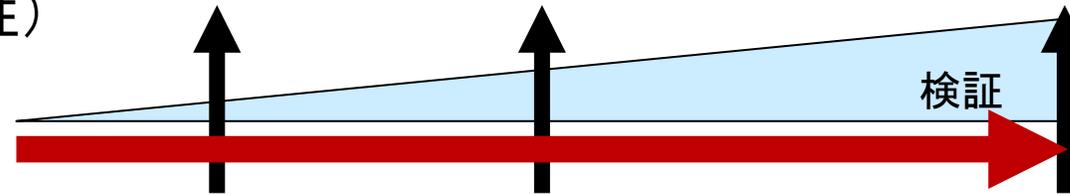
- ・有効性については、一定数の限られた症例から、従来より短期間で有効性を推定。
- ・安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。

再生医療等製品の条件・期限付承認 4製品の概要

| | ハートシート (テルモ株式会社) | ステミラック注 (ニプロ株式会社) | コラデジェン筋注用4mg (アンジェス社) | デリタクト注 (第一三共株式会社) |
|-------------------|---|---|--|---|
| 製品 | ヒト(自己)骨格筋由来細胞シート | ヒト(自己) 骨髄由来間葉系幹細胞 | ヒト肝細胞増殖因子 (HGF) を発現するプラスミドDNA | 改変ヘルペスウイルス |
| 適応症 | 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 | 脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善。ただし、外傷性脊髄損傷で、ASIA機能障害尺度がA、B又はCの患者に限る。 | 標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症（閉塞性動脈硬化症及びパージャー病）における潰瘍の改善 | 悪性神経膠腫 |
| 承認日 | 2015年9月18日 (承認期限 5年 + 3年延長) | 2018年12月28日 (承認期限 7年) | 2019年3月26日 (承認期限 5年) | 2021年6月11日 (承認期限 7年) |
| 承認時 評価資料 | ・ 国内臨床試験：単群（7例）、多施設（3施設） | ・ 国内臨床試験：単群（13例）、単施設 | ・ 二重盲検比較試験（ASO第Ⅲ相試験） ・ 一般臨床試験（TAO一般臨床試験） ・ 臨床研究（先進医療B臨床研究） | ・ 国内臨床試験：単群（19例）、単施設 |
| 市販後 承認条件 評価 | ・ 本品60例 ・ 外部対照120例 ・ 主要評価項目：生命予後（心臓疾患関連死） | <u>コホート①</u> AIS A、20～70歳の頸髄損傷患者 ・ 本品 27 症例 ・ 外部対照群54 症例 ・ 主要評価項目：AIS2段階以上の改善（受傷後 6～8 週から180 日） <u>コホート②</u> AIS B 及びC、20～70歳の頸髄損傷患者 ・ 本品 63 症例 ・ 外部対照 125 症例 ・ 主要評価項目：AIS1段階以上の改善（受傷後 6～8 週から180 日） | ・ 本品120例 ・ 外部対照80例 ・ 主要評価項目：本品初回投与後12週時点での評価対象潰瘍の完全閉鎖率 | <u>①使用成績比較調査</u> 本品投与全例と対照群*において、以下のそれぞれについてOSを主要評価項目として比較検定を行う ・ 初発（残存）膠芽腫（目標150例） ・ 再発膠芽腫（目標100例） ・ 悪性神経膠腫（目標60～100例） *対照群：本品納入施設において、本品初回投与日の2年6カ月前から2年前の6カ月の間に悪性神経膠腫と診断された全ての患者。10因子によるマッチングを行う。 <u>②製造販売後臨床試験</u> 下位に病変を要する悪性神経膠腫患者を対象にOS及び安全性を評価する。対照群は、使用成績比較調査の対照群のうち下位に病変を有する患者とする。 |

市場流通(承認)に足るエビデンスレベルとは？

臨床データ(有効性)



- 臨床的に意義がある有効性を示す実患者
- 試験集団での有効性
- サロゲート・エンドポイントでのデータ

【現状と課題】

- 条件及び期限付き承認制度は再生医療等製品の品質の不均一性等を踏まえて制度化されたが、条件及び期限付き承認の予見性の確保については、開発者からの要望がある。
- 市販後の承認条件評価では、対照群を設定しているが、医療現場での使用が可能となった市販後では無作為化比較臨床試験への参加に同意する患者は限られ実施が困難であり、外部対照との比較を行う計画とせざるを得ない。バイアスを排除した厳密な評価ができないため、市販後に得られるエビデンスに限界が生じる懸念がある。申請段階で取得している臨床成績との相互補完が条件及び期限付き承認制度においては重要。



- 条件及び期限付き承認に際しては、「有効性の推定」段階で医療現場に提供するリスクと、開発に長期間要するリスクor治療法が開発されないリスクを考慮した判断が必要。
- 再生医療等製品の实用化を推進するには、条件及び期限付き承認制度適用の判断基準を明確にすることにより、開発予見性を高めることが重要。

本日の内容

■ 承認状況

■ 承認申請・審査の留意事項

- ✓ 製造販売後調査等及び再審査
- ✓ 前処置、併用薬の取扱い
- ✓ 適正使用に向けた取組み
- ✓ 再生医療等製品の変更計画の確認及び計画に従った変更に係る事前届出制度(PACMP)
- ✓ 再生医療等製品の承認事項一部変更承認後の製品切替え時期設定及びその記載方法

■ カルタヘナ法対応(使用規定)

■ 開発の留意事項

前処置薬、併用薬の取扱い(1)

CAR-T/TCR-Tのリンパ球除去化学療法・・・製品の生着

フルダラビンリン酸エステル
シクロホスファミド水和物
シタラビン
エトポシド
ベンダムスチン塩酸塩

例:キムリア点滴静注

用法及び用量又は使用方法

(1) 再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病に用いる場合のリンパ球除去化学療法

1) シクロホスファミド水和物500mg/m²を1日1回2日間点滴静注及びフルダラビンリン酸エステル30mg/m²を1日1回4日間点滴静注する。なお、患者の状態により適宜減量する。

例:フルダラ静注用50mg

4. 効能又は効果

- 貧血又は血小板減少症を伴う慢性リンパ性白血病
- 再発又は難治性の下記疾患
 - 低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫
 - マントル細胞リンパ腫
 - 急性骨髄性白血病
- 下記疾患における同種造血幹細胞移植の前治療
 - 急性骨髄性白血病、骨髄異形成症候群、慢性骨髄性白血病、慢性リンパ性白血病、悪性リンパ腫、多発性骨髄腫
- 腫瘍特異的T細胞輸注療法の前処置

前処置薬、併用薬の取扱い(2)

CAR-T/TCR-Tのサイトカイン放出症候群

トシリズマブ(遺伝子組換え)

表8 CRSが発現した際の管理アルゴリズムの概略

| 段階 | CRSの重症度(症状及び状況等) | 対処法 |
|---------------|--|--|
| 本品の投与から数時間~数日 | 前駆症状: 微熱、疲労、食欲不振 | <ul style="list-style-type: none"> 経過観察、培養検査等により感染症の可能性を除外する。 発熱性好中球減少症を考慮した抗菌剤の投与。 対症療法を行う。 |
| 第一選択の治療 | 症状の進行: 高熱、低酸素症、中等度の低血圧 | <ul style="list-style-type: none"> 酸素、補液、低用量の昇圧薬、解熱剤を投与する。 |
| 第二選択の治療 | 下記の症状の進行が認められる場合: <ul style="list-style-type: none"> 輸液と中~高用量の昇圧薬の投与にもかかわらず血行動態不安定 肺浸潤を含む呼吸窮迫の悪化 高流量酸素及び/又は人工呼吸管理を必要とする状態 急速な臨床的悪化 | <ul style="list-style-type: none"> トシリズマブ(体重が30kg未満の患者では12mg/kg、30kgを超える患者では8mg/kg*の1回目の投与を行う。 |
| 第三選択の治療 | トシリズマブの効果を待っている間に臨床的改善が認められない場合 | <ul style="list-style-type: none"> トシリズマブの1回目の投与後12~18時間以内に改善が認められない場合、副腎皮質ステロイドの投与を検討する。 メチルプレドニゾン2mg/kgから開始し、続いて2mg/kg/dayを投与する。 |
| 第四選択の治療 | 第三選択の治療に対する反応を待っている間に臨床的改善が見られない場合 | <ul style="list-style-type: none"> 副腎皮質ステロイドに対する反応が24時間以内に見られない場合、トシリズマブ(体重が30kg未満の患者では12mg/kg、30kgを超える患者では8mg/kg*の2回目の投与を検討する。 |
| 第五選択の治療 | 第四選択の治療に対する反応を待っている間に臨床的改善が見られない場合 | <ul style="list-style-type: none"> 副腎皮質ステロイド及びトシリズマブの2回目の投与に対する反応が24時間以内に見られない場合又は臨床症状が悪化した場合、トシリズマブ(体重が30kg未満の患者では12mg/kg、30kgを超える患者では8mg/kg*の3回目の投与を検討する。 |
| 第六選択の治療 | 第五選択の治療に対する反応を待っている間に臨床的改善が見られない場合 | <ul style="list-style-type: none"> シクロホスファミド、抗胸腺細胞グロブリン又はアレムツマブ(遺伝子組換え)等の抗T細胞療法を検討する。 |

4. 効能又は効果

○既存治療で効果不十分な下記疾患

関節リウマチ(関節の構造的損傷の防止を含む)、多関節に活動性を有する若年性特発性関節炎、全身型若年性特発性関節炎、成人スチル病

○キャッスルマン病に伴う諸症状及び検査所見(C反応性タンパク高値、フィブリノーゲン高値、赤血球沈降速度亢進、ヘモグロビン低値、アルブミン低値、全身倦怠感)の改善。ただし、リンパ節の摘除が適応とならない患者に限る。

○腫瘍特異的T細胞輸注療法に伴うサイトカイン放出症候群

○SARS-CoV-2による肺炎(ただし、酸素投与を要する患者に限る)

5. 効能又は効果に関連する注意

〈サイトカイン放出症候群〉

5.4 本剤の投与にあたっては、学会のガイドライン等の最新の情報を参考に適応患者を選択し、その他の対症療法の実施とともに使用すること。

本日の内容

■ 承認状況

■ 承認申請・審査の留意事項

- ✓ 製造販売後調査等及び再審査
- ✓ 前処置、併用薬の取扱い
- ✓ 適正使用に向けた取組み
- ✓ 再生医療等製品の変更計画の確認及び計画に従った変更に係る事前届出制度(PACMP)
- ✓ 再生医療等製品の承認事項一部変更承認後の製品切替え時期設定及びその記載方法

■ カルタヘナ法対応(使用規定)

■ 開発の留意事項

適正使用に向けた取組み

最適使用推進ガイドライン(厚生労働省)

適正使用指針(関連学会)

最適使用推進ガイドライン 最新版

| 販売名 | ガイドライン | 備考 |
|------------|--|------------|
| アベクマ点滴静注 | 多発性骨髄腫  | 令和4年4月19日 |
| イエスカクタ点滴静注 | 大細胞型B細胞リンパ腫  | 令和4年12月改定 |
| キムリア点滴静注 | B細胞性急性リンパ芽球性白血病、びまん性大細胞型B細胞リンパ腫及び濾胞性リンパ腫  | 令和4年8月改訂 |
| ステミラック注 | 脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善  | 平成31年2月25日 |
| デリタクト注 | 悪性神経膠腫  | 令和3年8月11日 |
| ブレヤンジ静注 | 大細胞型B細胞リンパ腫及び濾胞性リンパ腫  | 令和4年12月改定 |

<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/review-information/ctp/0011.html>

| ヒト(自己)角膜輪部由来角膜上皮細胞シート使用要件等基準 | |
|---|--|
| <p>564</p> <p>日眼会誌 124巻 7号</p> <p>ヒト(自己)角膜輪部由来角膜上皮細胞シート使用要件等基準</p> <p>I ヒト(自己)角膜輪部由来角膜上皮細胞シートの概要</p> <p>1. 本品の特徴、作用機序</p> <p>ネビック(以下、本品)は、患者自身より採取した角膜輪部組織から分離した角膜上皮細胞をシート状に培養して製したヒト体性幹細胞加工製品である。角膜上皮幹細胞疲労症(limbal stem cell deficiency: LSCD)患者の眼表面に移植することにより、角膜上皮細胞が生着・上皮化し、角膜上皮を再建することを目的として使用される製品である。患者自身より採取した角膜輪部組織から分離した角膜上皮細胞をシート状に培養して製造した角膜上皮細胞シートを含む培養角膜上皮パッケージを主構成体とし、医療機関において採取した角膜輪部組織を運搬するための組織運搬用チューブおよび保管用血液を運搬するための血液保管用チューブからなる組織運搬セット、ならびに本品を培養皿から剝離するために用いる前処理液ボトルを副構成体とする。</p> | <p>本品の製造に用いる角膜輪部組織は、移植眼の対側の眼(採取眼)から、細隙灯顕微鏡での観察により炎症、感染などが認められない正常な角膜輪部組織を2×3 mm程度採取することとされた。また本品の移植に際しては、移植眼の角膜上に存在する結膜瘢痕組織を可能な限り除去したうえで本品1枚を単回移植し、移植後には治療用ソフトコンタクトレンズを装着し、必要に応じて縫合術後等を実施して眼瞼を閉鎖固定することとされた。</p> <p>12例の患者が登録され、角膜輪部組織の採取前に中止に至った2例を除き、本品が移植された10例が有効性および安全性解析対象集団とされた。</p> <p>各被験者の背景は表2に、角膜輪部組織の採取眼および採取部位は表3に示すとおりであり、いずれの症例においても角膜輪部組織の採取は1度のみ行われ、再採取が行われた症例はなかった。なお、特段の理由がない限り整容性を考慮して上眼瞼によって採取部位が隠れて目立ちにくい12時方向から組織採取が行われた。</p> <p>有効性の主要評価項目は、本品移植後52週目におけ</p> |

ゲンスマ点滴静注

適正使用指針

記載内容

- 本品の特徴、作用機序
- 臨床成績
- 施設について
- 投与対象となる患者
- 投与に際して留意すべき事項

2020年3月19日
 一般社団法人 日本小児神経学会
 The Japanese Society of Child Neurology

本日の内容

■ 承認状況

■ 承認申請・審査の留意事項

- ✓ 製造販売後調査等及び再審査
- ✓ 前処置、併用薬の取扱い
- ✓ 適正使用に向けた取組み
- ✓ 再生医療等製品の変更計画の確認及び計画に従った変更に係る事前届出制度(PACMP)
- ✓ 再生医療等製品の承認事項一部変更承認後の製品切替え時期設定及びその記載方法

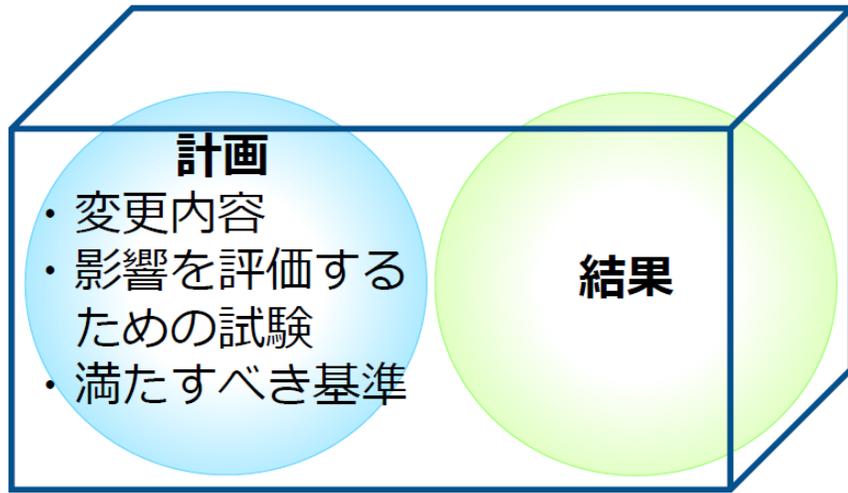
■ カルタヘナ法対応(使用規定)

■ 開発の留意事項

承認後変更管理実施計画書

(Post-Approval Change Management Protocol; PACMP)

通常の一部変更承認申請時



試験計画と得られた結果をまとめて申請し、
審査を受ける



もしかしたら追加試験を
要求されるかも・・・

PACMP利用時



ステップ1

PACMPを申請
→規制当局により審査され、承認される

日本でステップ1は
変更計画の確認の申請

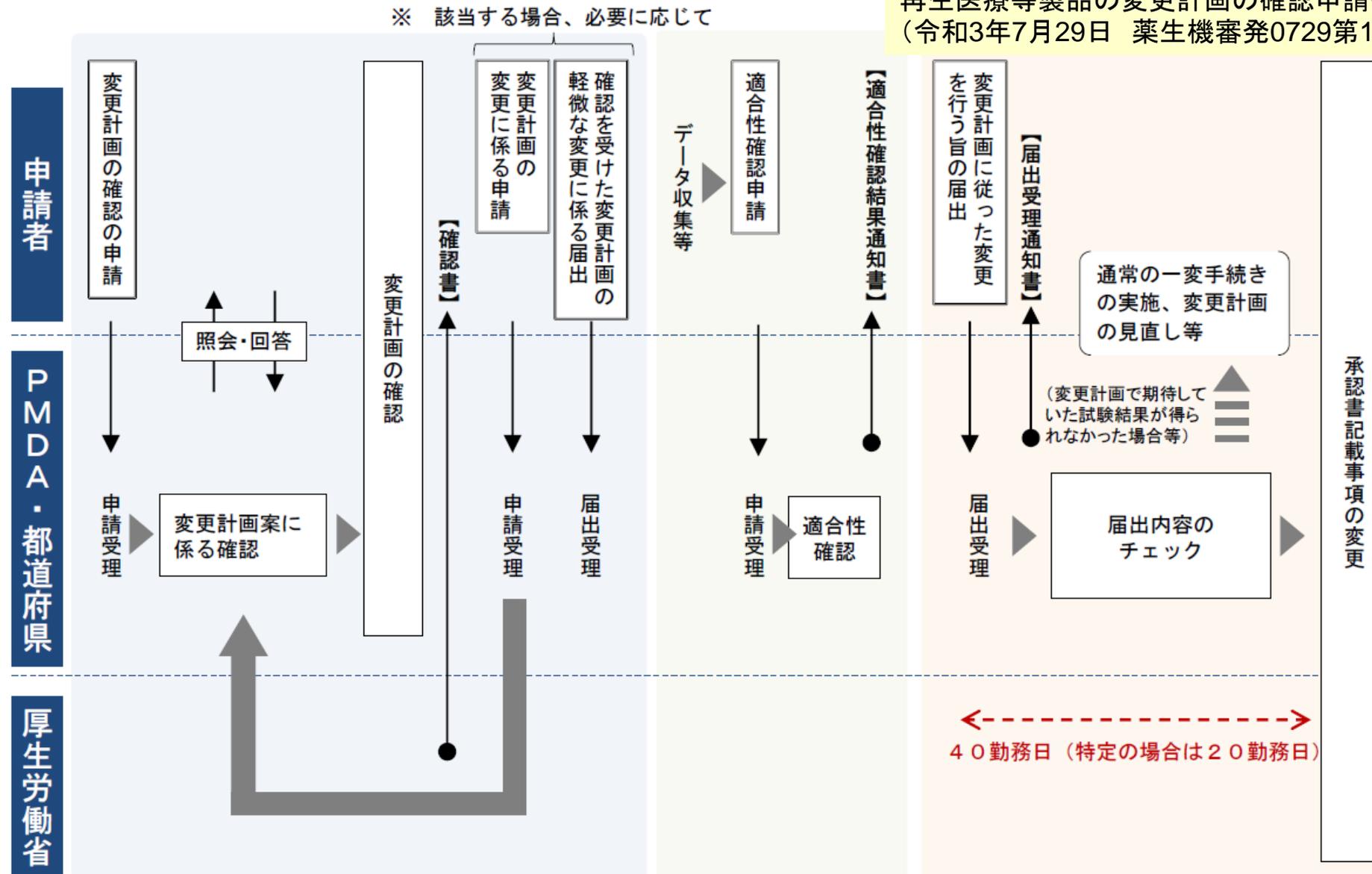
ステップ2

● PACMPに示した試験及び検討を実施
● 得られた結果/データが実施計画書にある判定基準及びその他の条件を満たしている場合、MAHは実施計画書に記載された変更力カテゴリーに従ってこの情報を規制当局に提出し、適宜規制当局による審査を受ける（変更力カテゴリーにより、変更実施前に規制当局の承認が必要な場合と不要の場合がある）

日本でステップ2は
変更計画に従った変更に係る届出

変更計画の確認申請及び変更計画に基づく変更の届出のフロー

再生医療等製品の変更計画の確認申請等の取扱いについて
(令和3年7月29日 薬生機審発0729第1号)



本日の内容

■ 承認状況

■ 承認申請・審査の留意事項

- ✓ 製造販売後調査等及び再審査
- ✓ 前処置、併用薬の取扱い
- ✓ 適正使用に向けた取組み
- ✓ 再生医療等製品の変更計画の確認及び計画に従った変更に係る事前届出制度(PACMP)
- ✓ 再生医療等製品の承認事項一部変更承認後の製品切替え時期設定及びその記載方法

■ カルタヘナ法対応(使用規定)

■ 開発の留意事項

一変後に一定期間、変更前の製品の出荷を可能とする場合

体外診断用医薬品及び再生医療等製品の承認(認証)事項一部変更承認(認証)後の製品切替え時期設定及びその記載方法について(平成30年9月20日 薬生機審発0920第1号 薬生監麻発0920第12号)

- 製品切替え時期設定一変において、一変後も一定期間、一変前の承認等内容の製品の出荷を可能としたい場合には、当該申請書において、該当する大項目の欄の最後に以下の事項を記載すること。
「本一部変更承認(認証)申請に係る製品の出荷は、平成〇年×月△日から開始する。それまでの間は変更前の製品を出荷する。」
- 製品切替え時期設定一変の承認等後の製品切替え時期については、原則として、製品切替え時期設定一変の承認等後、6か月を超えないこと。
- 上記2の記載事項を削除する場合には、製品の出荷年月日以降に一変申請又は軽微変更届出により削除すること。

本日の内容

■ 承認状況

■ 承認申請・審査の留意事項

- ✓ 製造販売後調査等及び再審査
- ✓ 前処置、併用薬の取扱い
- ✓ 適正使用に向けた取組み
- ✓ 再生医療等製品の変更計画の確認及び計画に従った変更に係る事前届出制度(PACMP)
- ✓ 再生医療等製品の承認事項一部変更承認後の製品切替え時期設定及びその記載方法

■ カルタヘナ法対応(使用規定)

■ 開発の留意事項

遺伝子組換え生物の使用について、準備できていますか？

カルタヘナ法の概要

- 正式名称：遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律
- 目的：国際的に協力して生物の多様性の確保を図るため、遺伝子組換え生物等の規制に関する措置を講ずる
- 規制対象：遺伝子組換え生物等、すなわち
 - ①細胞外において核酸を加工する技術
(遺伝子組換え技術)
 - ②異なる分類学上の科に属する生物の細胞を融合する技術 (科間細胞融合技術)
を用いて得られた核酸を有する生物

カルタヘナ法に係る申請

www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/cartagena-act/0003.html

医薬品等分野における遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（カルタヘナ法）の概要

目的

国際的に協力して**生物の多様性の確保**を図るため、**遺伝子組換え生物等の使用等の規制に関する措置を講ずる**ことにより、生物多様性条約カルタヘナ議定書の**的確かつ円滑な実施を確保**

主務大臣による基本的事項の公表

遺伝子組換え生物等の使用等による生物多様性影響を防止するための施策の実施に関する**基本的な事項等を定め**、これを公表

遺伝子組換え生物等の使用等に係る措置

第一種使用等 環境中への拡散防止措置を執らざりて行う使用等

- ・第一種使用規程
- ・生物多様性影響評価書

申請

承認

- ・使用規程に従い使用

厚生労働大臣
環境大臣

意見聴取

PMDA

第二種使用等 環境中への拡散防止措置を執りて行う使用等

リスク等の性質により区分

GILSP

特殊な培養条件下以外では増殖が制限されること、病原性がないこと等のため最小限の拡散防止措置を執ることにより使用等を行うことができるもの

カテゴリー 1

GILPS以外であって、病原性がある可能性が低いもの

カテゴリー 2

ヒトに感染性はあるが発症の可能性は少なく、予防対策及び有効な治療法があるもの

カテゴリー 3

ヒトに対し病原性があり、取り扱う際にかんがりの注意を必要とするが、感染・発症してもその危険度は、比較的低く、予防対策及び有効な治療法があるもの

告示指定されている品目

省令で定められた拡散防止措置を執りて使用等を行う（大臣確認不要）。

告示指定されていない品目（新規品目等）

使用者が拡散防止措置を定め、大臣の確認を受けたのち、使用等を行う。

- ・拡散防止措置

申請

確認

厚生労働大臣

その他

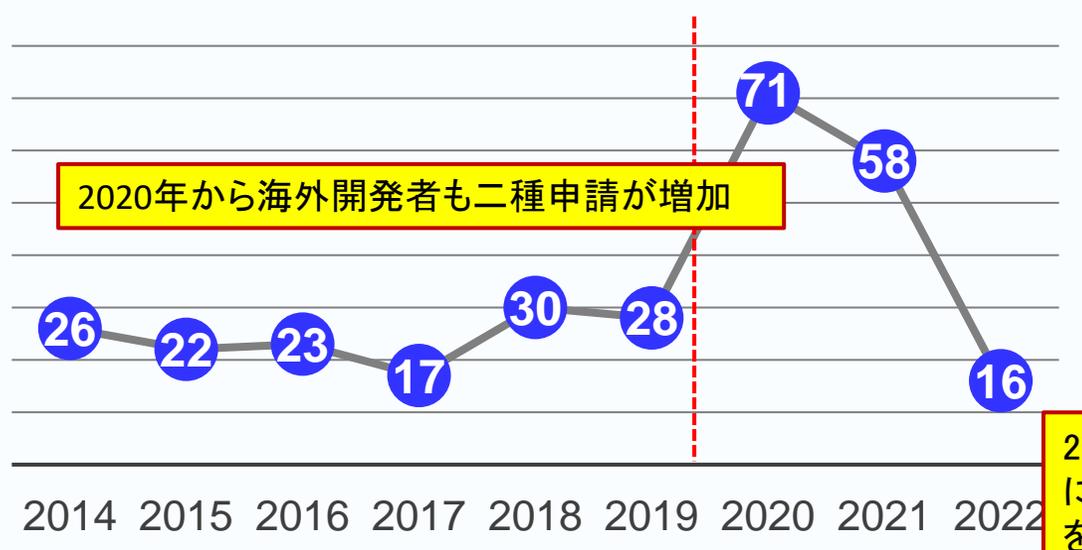
承認の遺伝子組換え生物等の輸入の有無を検査する仕組み、輸出の際の相手国への情報提供、科学的知見の充実のための措置、国民の意見の聴取、違反者への措置命令、罰則等所要の規定を整備

PMDAが審査を行った第一種及び第二種申請

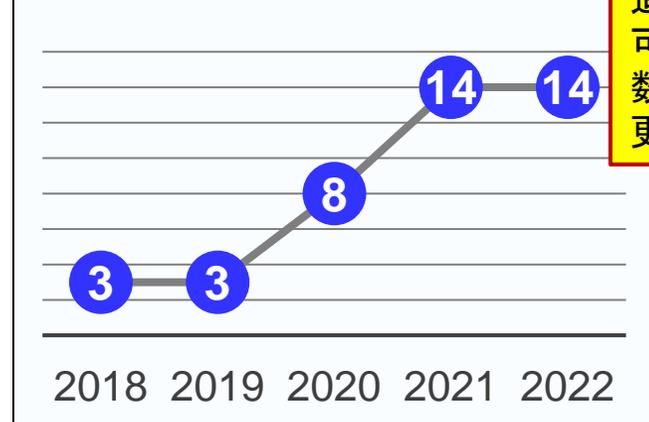
承認された第一種使用規程数



確認された第二種使用等拡散防止措置数



第二種軽微変更届数



遺伝子組換え体の拡散防止、環境影響評価の規制の各国比較

| 国名 | カルタヘナ法 | 試験前の | 試験前の | 臨床排出試験成績 (提出時期) | 承認申請時の 環境影響評価 | |
|------------|--------|----------------------------|--|--|------------------|-------------------|
| 日本 | ○ | 必要 治験開始前 | 平成15年 法律第97号 (カルタヘナ法) | 必要 (実績 ¹ : 1.4-6.2か月 中央値: 129日) | 必要 (承認申請時) | 規程を更新する ときのみ必要 |
| 英国 | ○ | 必要 治験開始前 及び 承認申請時 | (治験開始前) DIRECTIVE 2001/18/EC DIRECTIVE 2009/41/EC に基づく 国内法 (承認申請時) EC/726/2004に基づ きEMAが評価 英国はEU離脱以降は 国内法で対応 | 必要 (3-4か月 ²) | 必要 | 必要 |
| EU ドイツ | ○ | | | 必要 (4-9か月 ²) | 必要 (承認申請時) | 必要 |
| EU フランス | ○ | | | 必要 (6か月以内 ²) | 必要 (承認申請時) | 必要 |
| 米国 | × | 必要 承認申請時 | The National Environmental Policy Act of 1969 (NEPA) | 不要だが、 増殖性ウイルスのみ 治験届内で評価 | 必要 (承認申請時) | 必要 |

治験までの法整備の骨格は日欧に差はない。
(カルタヘナ法は欧州法を参考に作成されている。)

運用の適切化により
欧州と同程度の規制にはなりうる。

米国は環境への考えが独自路線なので調和は難しい。
(国民を巻き込んだ議論が必要)

績・平均・3.9カ月(8件)

² 出典 Regulatory Rapporteur, Volume 16, Issue 4, April 2019

カルタヘナ法に基づく申請に係る審査の運用・手続の改善について

| 年度 | 運用・手続改善事項 |
|------|--|
| 2013 | ➤ <i>ex vivo</i> 製品における非増殖性ウイルス残存の考え方(法対象外の明確化) |
| 2014 | |
| 2015 | ➤ 個室管理に係る記載方法見直し(管理期間の変更に伴う再申請不要に) ➤ 事務手続き等に関するQ&A[事務連絡] |
| 2016 | ➤ 手続見直しについて[局長通知] (再生部会の「審議」から「事後報告」に) |
| 2017 | |
| 2018 | |
| 2019 | ➤ 第一種使用規程モックの公開 ➤ カルタヘナ相談枠の設置 |
| 2020 | ➤ (業界5団体(PhRMA, EFPIA, JPMA, FIRM, 日本バイオテック協議会)との意見交換を定期的実施) ➤ AdV, HSV第一種使用規程モック、生物多様性影響評価書解説の公開 ➤ <i>ex vivo</i> 製品における非増殖性ウイルス残存の考え方の改訂 |
| 2021 | ➤ (業界5団体との意見交換を定期的実施) ➤ AAV生物多様性影響評価書モックの公開 ➤ 実質的な一変申請手続の導入 ➤ 治験開始と第一種承認の時系列を変更 ➤ CAR-T細胞等への残存を想定したレトロウイルスの第一種使用規程モックの公開 ➤ 事務手続き等に関するQ&A[事務連絡]の改定(2回) ➤ 治験薬に係る第二種確認の文科大臣確認による許容範囲を変更 ➤ 本申請前のドラフト確認を廃止 |

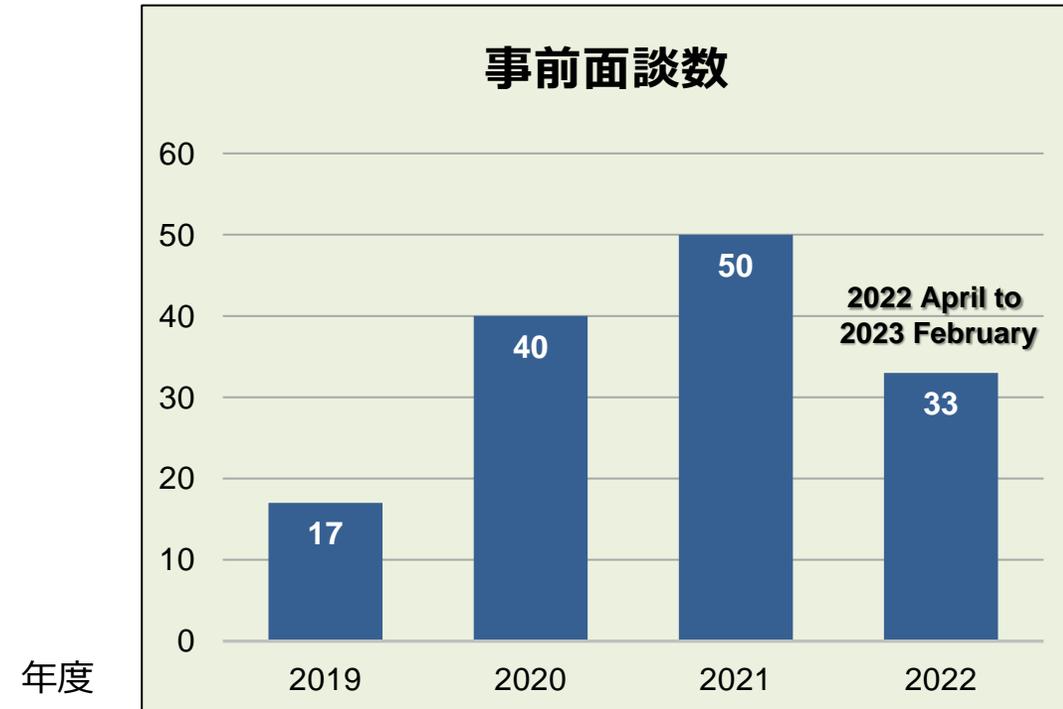
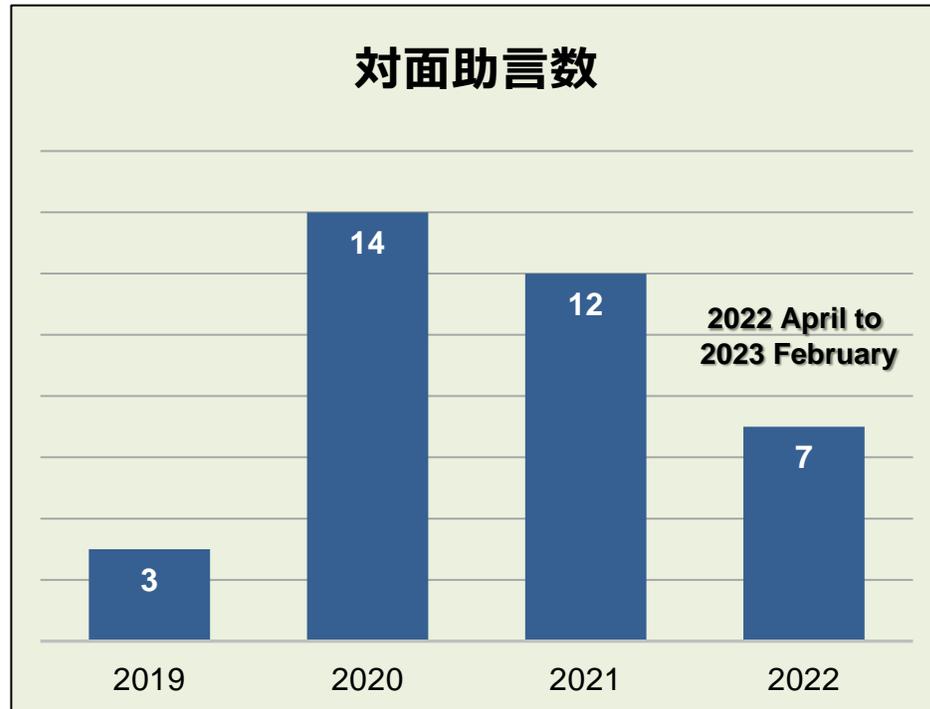
以降はPMDAが
審査の主体

2019年以降に大きく運用改善を開始

カルタヘナ法対面助言(2019~)

【相談区分】

- ・第一種使用規程承認申請に係る事前審査前相談
- ・第二種使用等拡散防止措置確認申請に係る事前審査前相談
- ・カルタヘナ法関連事項相談



実質的な一部変更承認申請の導入・活用法

開発計画



従前

第一種
承認申請

第一種
承認申請

従前では変更は大変だったので
治験開始と薬事申請に合わせての2回申請が限界。

一変設定後

第一種
承認申請

実質的
変更申請

実質的
変更申請

実質的
変更申請

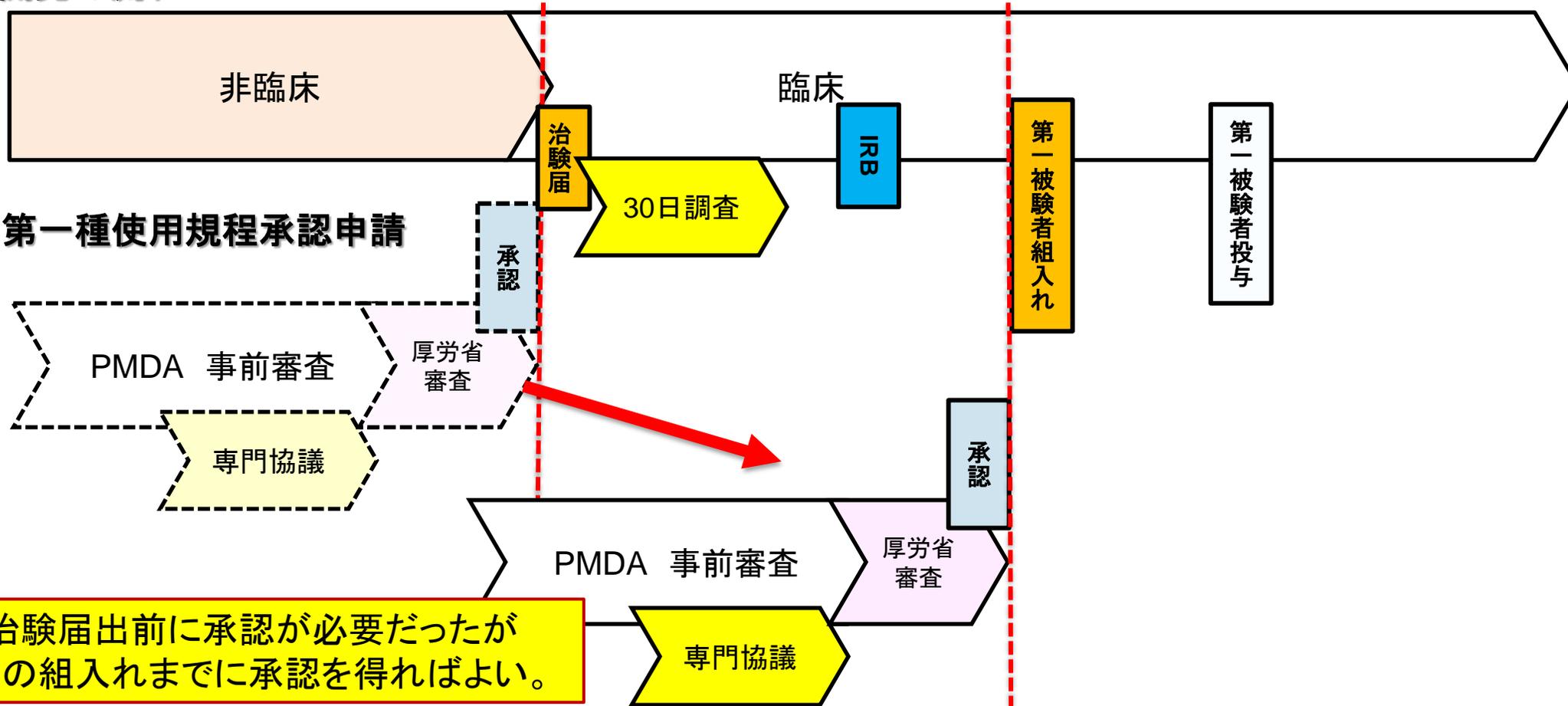
実質的
変更申請

必要に応じて希望のタイミングで申請

新規の情報が得られるたびに変更可能。
開発段階に応じて、または製販後の情報を踏まえて規程を柔軟に変更可能。

治験開始と第一種承認の時系列を変更

開発の流れ



これまでの治験届出前に承認が必要だったが、
今後は被験者の組入れまでに承認を得ればよい。

実際は会社ごとのやり方によって、治験薬交付まで、IRBとの協議までなどに承認が必要な場合もある。
あくまで、行政が許容できる限界を示しているということを留意すること。

「遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律に基づく手続の見直しについて」
の一部改正について(令和3年9月30日 薬生発0930第5号)

治験薬に係る第二種確認の文科大臣確認による許容範囲を変更

開発の流れ



従来

研究二種(文科大臣)

産業二種(厚労大臣)

改正後

PVの製造開始までに厚労大臣の確認を取れば良い

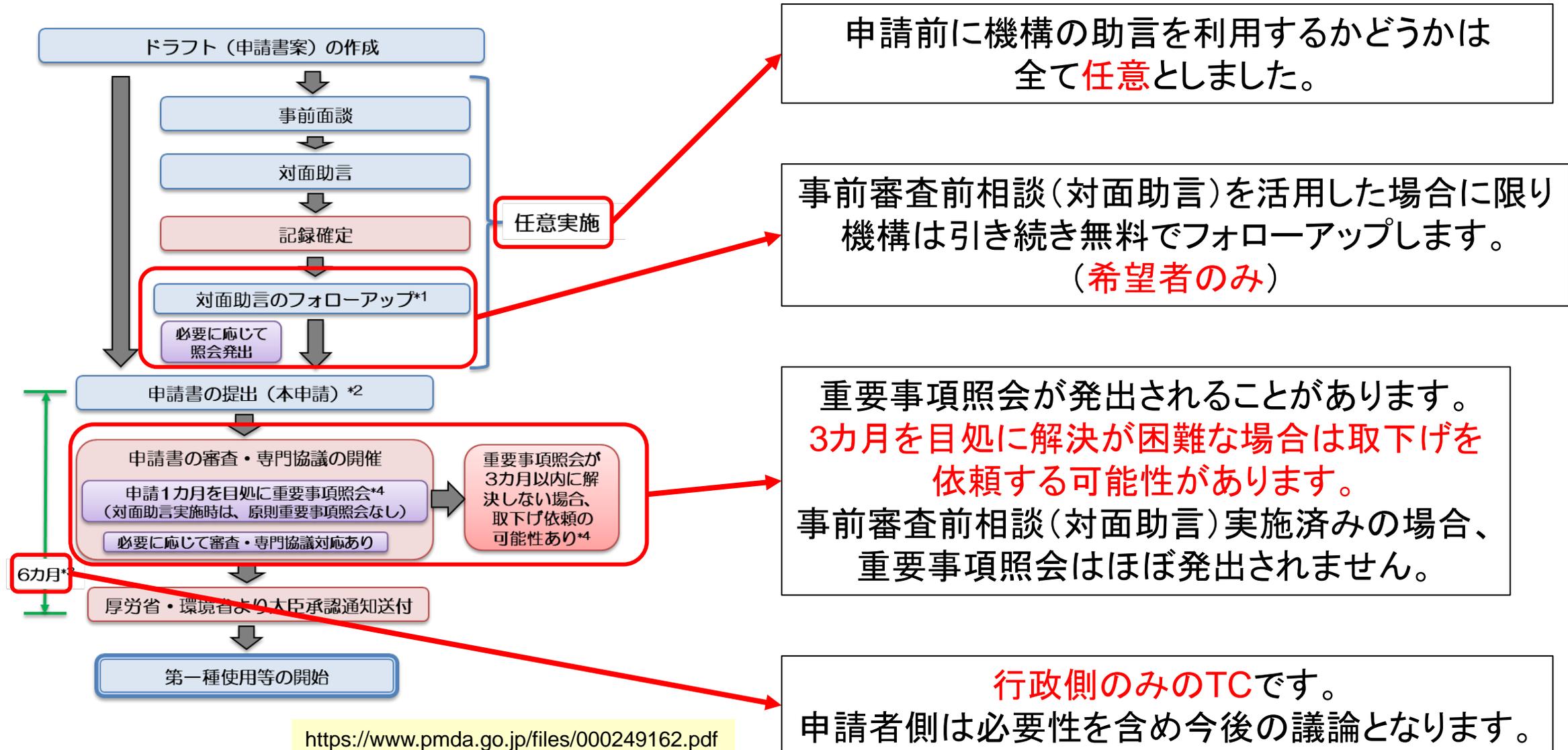
研究二種(文科大臣)

産業二種(厚労大臣)

PV製造開始前が許容可能な限界なので、全体の計画を踏まえて早めに確認申請をすること

本申請前のドラフト確認を廃止

第一種承認申請の流れ



[ホーム](#) > [審査関連業務](#) > [承認審査業務\(申請、審査等\)](#) > [カルタヘナ法に係る申請](#) > 様式・法令・通知・関連情報等

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
 - 承認情報
 - 原薬等登録原簿(MF)
- 医薬品添加剤
- 外国製造業者の手続き等
- カルタヘナ法に係る申請
 - 様式・法令・通知・関連情報等
 - 輸出証明
 - 製造業計可関連調査業務
- 信頼性保証業務 (GLP/GCP/GSP)

様式・法令・通知・関連情報等

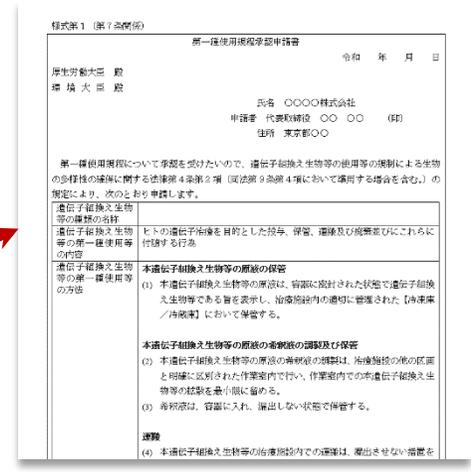
- 1. 様式・記載例
- 第一種使用等関係

| 手続 | 様式等の名称 | 備考 |
|---|--|----|
| 1 第一種使用 規程承認申 請 (第一種使用 規程変更申 請も同一の 様式) | <第一種使用規程承認申請書> <ul style="list-style-type: none"> 第一種使用規程承認申請書(施行規則様式第1) (記載例) <ul style="list-style-type: none"> アデノ随伴ウイルス(令和4年2月版) アデノウイルス、ヘルペスウイルス(令和2年10月版) レンチウイルス等遺伝子導入細胞(令和3年12月版) | |
| | <生物多様性影響評価書> <ul style="list-style-type: none"> 生物多様性影響評価書(平成19年9月13日付け薬食発第0913005号別添様式) (記載例) <ul style="list-style-type: none"> 生物多様性影響評価書の記載留意事項に関する補足解説(令和3年2月版) アデノ随伴ウイルス(令和4年6月版) | |
| 2 第一種 申請書差換 | <ul style="list-style-type: none"> 差換え願(令和4年2月3日付け事務連絡別紙5) | |

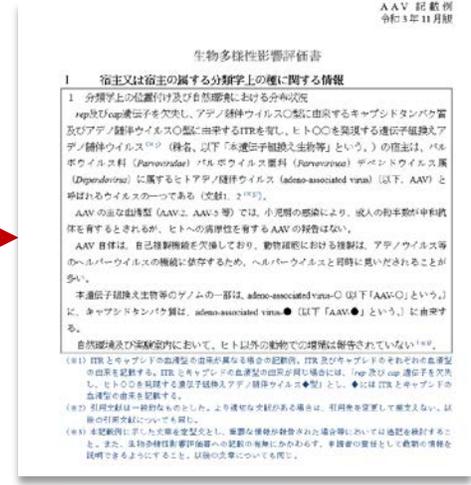
<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/cartagena-act/0007.html>

PMDAのWeb Siteの記載例を ご活用ください!

第一種使用規程の記載例



生物多様性影響評価書の記載例



本日の内容

■ 承認状況

■ 承認申請・審査の留意事項

- ✓ 製造販売後調査等及び再審査
- ✓ 前処置、併用薬の取扱い
- ✓ 適正使用に向けた取組み
- ✓ 再生医療等製品の変更計画の確認及び計画に従った変更に係る事前届出制度(PACMP)
- ✓ 再生医療等製品の承認事項一部変更承認後の製品切替え時期設定及びその記載方法

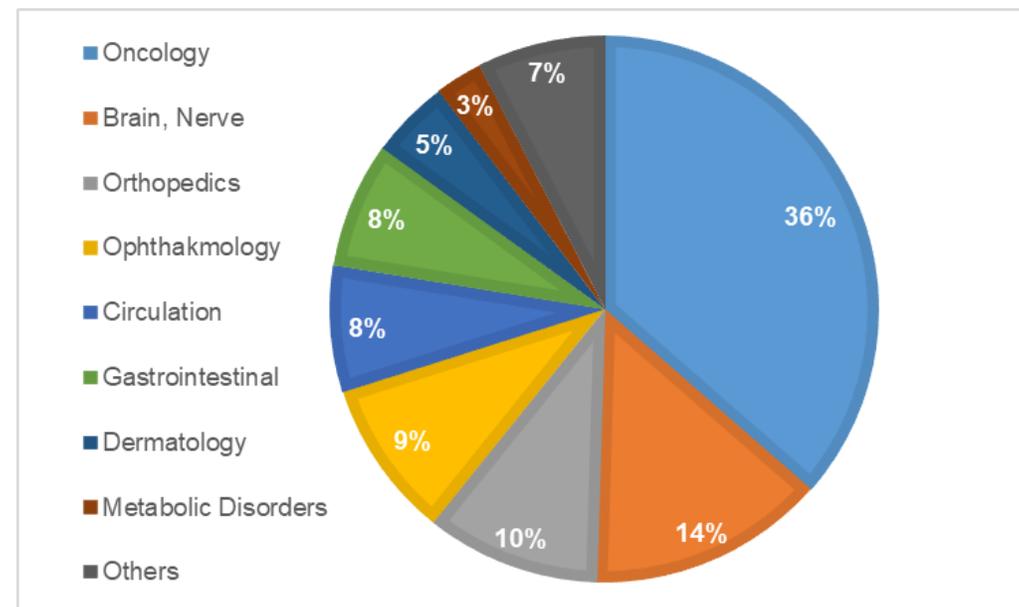
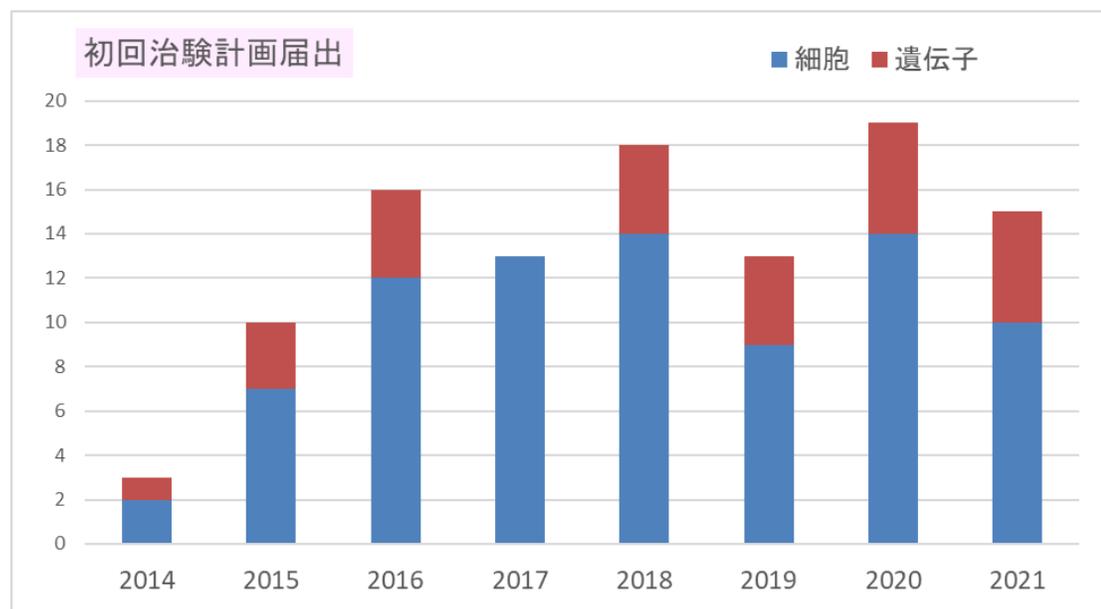
■ カルタヘナ法対応(使用規定)

■ 開発の留意事項

再生医療等製品開発の動向

| 治験計画届出 | 2014年度 | 2015年度 | 2016年度 | 2017年度 | 2018年度 | 2019年度 | 2020年度 | 2021年度 | 合計 |
|--------|--------|--------|--------|---------|--------|--------|--------|--------|----------|
| 初回 | 3 [1] | 10 [2] | 16 [7] | 13 [8] | 18 [8] | 13 [7] | 19 [9] | 15 [7] | 107 [49] |
| n回 | 1 [1] | 3 [2] | 5 [0] | 14 [10] | 17 [3] | 16 [7] | 22 [5] | 18 [9] | 96 [37] |
| 変更届 | 2 | 19 | 52 | 93 | 151 | 206 | 215 | 278 | 1016 |

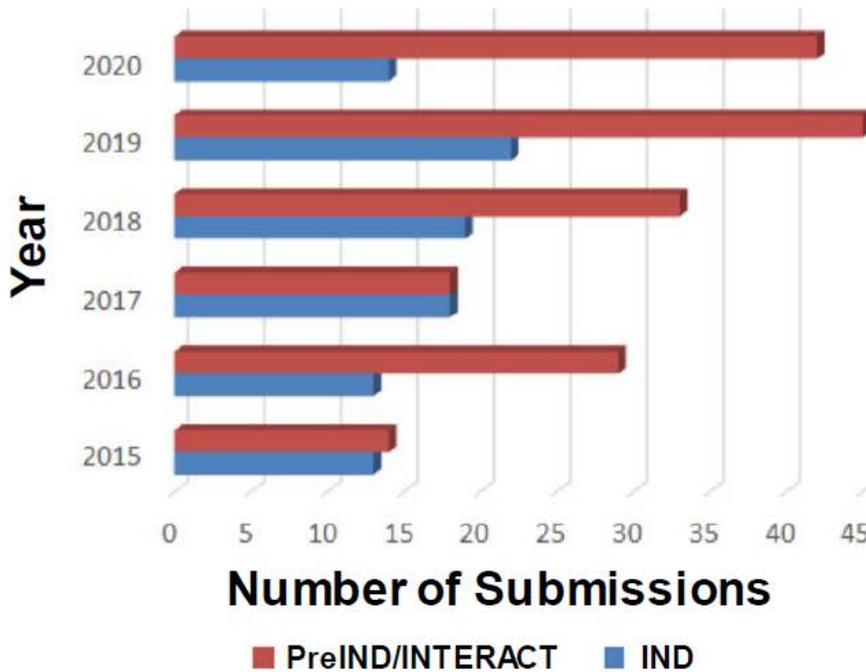
- ・ n回治験計画届は、30日調査対象外の治験計画届である。
- ・ 初回治験計画届、n回治験計画届における[]の数値は、いわゆる医師主導治験に係る届出数を示す。
- ・ 出典：<https://www.pmda.go.jp/files/000238173.pdf>



AAV Vector-based Gene Therapy (GT) Products



AAV Vector-based GT Submissions to OTAT



www.fda.gov



Voretigene neparvovec-rzyl
Luxturna
[2017]



Onasemnogene ABEARVVEC-xioi
Zolgensma
[2019]

FDA Cellular, Tissue, and Gene Therapies Advisory Committee (CTGTAC) Meeting #70 September 2-3, 2021
Toxicity Risks of Adeno-associated Virus (AAV) Vectors for Gene Therapy (GT)

Severe Adverse Events in AAV Vector Clinical Trials



| Toxicity | Serious Adverse Event | Vector Serotype | Indication | Route of Administration |
|--|---|-----------------|------------------------------------|-------------------------|
| Hepatotoxicity 肝毒性 | Elevated liver enzymes, serious liver injury | AAV9 | SMA | Intravenous |
| | Elevated liver enzymes | AAV5 | Hemophilia | Intravenous |
| | Liver failure | AAV8 | XLMTM | Intravenous |
| TMA 血栓性微小血管障害症 | Thrombocytopenia, hemolytic anemia, acute kidney injury | AAV9 | SMA, DMD | Intravenous |
| Neurotoxicity (DRG Histopathology) 神経毒性 | DRG neuronal loss | AAV9 | GAN | Intrathecal |
| Neurotoxicity (DRG Histopathology) | DRG neuronal loss | AAVrh10 | ALS due to mutation in <i>SOD1</i> | Intrathecal |
| Neurotoxicity (Brain MRI) | Abnormal T2 hyperintensities | AAVrh10 | Late infantile Batten disease | Intraparenchymal |

www.fda.gov

TMA, thrombotic microangiopathy; DRG, dorsal root ganglion; SMA, spinal muscular atrophy; XLMTM, X-linked myotubular myopathy; DMD, Duchenne muscular dystrophy; GAN, giant axonal neuropathy; ALS, amyotrophic lateral sclerosis; *SOD1*, superoxide dismutase 1 gene 6

FDA Cellular, Tissue, and Gene Therapies Advisory Committee (CTGTAC) Meeting
#70 September 2-3, 2021
Toxicity Risks of Adeno-associated Virus (AAV) Vectors for Gene Therapy (GT)

関連通知(遺伝子治療製品)

薬生機審発0709第2号
令和元年7月9日

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 > 遺伝子治療関連情報

| |
|------------------|
| 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 |
| ▢ 審査等について |
| ▢ 医療用医薬品 |
| ▢ 一般用医薬品・要指導医薬品 |
| ▢ 医薬部外品 |
| ▢ 医療機器 |
| ▢ 体外診断用医薬品 |
| ▢ 再生医療等製品 |
| ▢ 信頼性調査 |
| ▢ GCTP調査 |

遺伝子治療関連情報

基準等

- ・ [遺伝子治療用医薬品における確認申請制度の廃止について\(平成25年7月1日 薬食発0701第13号\)](#) 
- ・ [遺伝子治療用製品等及び遺伝子組換え生物等に関する報告書について\(平成27年6月23日 薬食審査発0623第1号 薬食機参発0623第1号\)](#) 
- ・ [遺伝子治療用製品等の品質及び安全性の確保について\(令和元年7月9日 薬生機審発0709第2号\)](#) 
<旧課長通知> [遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保について\(平成25年7月1日 薬食審査発0701第4号\)](#) 
- ・ [遺伝子治療等臨床研究に関する指針](#)  *遺伝子治療等の治験についても当該指針は適応範囲として
います

製品開発について

- ・ [ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品等の品質・安全性等の考慮事項に関する報告書](#)  (2020年2月7日)
国際比較を加えた英文概要版 "[Aspects of Gene Therapy Products Using Current Genome-Editing Technology in Japan](#)"  は、European Society of Gene & Cell Therapyなど9つの国際学会の機関誌であるHuman Gene Therapy誌に掲載されました(Volume 31, Issue 19-20, 1043-1053, 2020)。
- ・ [AAVベクターの製造・品質に関するリフレクションペーパー](#) 
革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業、国立成育医療研究センター病院
総括研究代表者(所属機関):小野寺雅史(国立成育医療研究センター 研究所 成育遺伝研究部)

<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/about-reviews/ctp/0006.html>

各都道府県衛生主管部(局)長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長
(公 印 省 略)

遺伝子治療用製品等の品質及び安全性の確保について

遺伝子治療の目的に使用される医薬品(治験薬を含む。以下「遺伝子治療用医薬品」という。)については、「[遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保について](#)」
令和2年2月7日

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
理事長 藤原康弘 殿

科学委員会
委員長 井上純一郎

科学委員会では、今般、下記について科学的見地からの議論をまとめました。
独立行政法人医薬品医療機器総合機構における通常業務にご活用ください。

記

ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品等の
品質・安全性等の考慮事項に関する報告書

おわりに： 革新的な医療の提供に向けて

■ 治験

- どのように使用するのが適切か、治験の段階で情報収集が重要

■ 承認申請・審査

- 承認事項・情報提供（添付文書、資材等）・トレーニングツール

■ 市販後

- 医療現場へのフィードバック

ご清聴ありがとうございました

