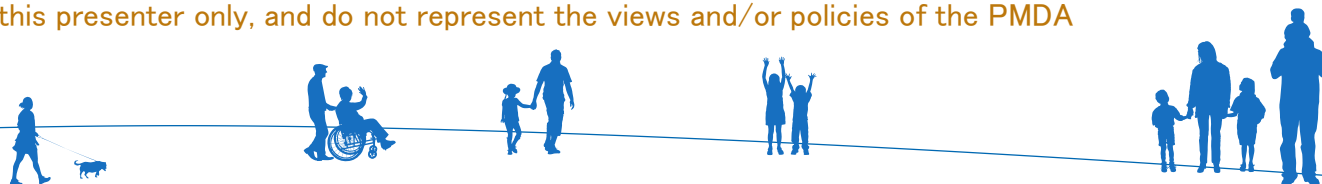


再生医療のエビデンス構築における単群試験の可能性 — PMDAでのシングルアームスタディの審査経験から

2026年3月20日
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 部長
丸山 良亮

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



再生医療等製品の承認状況(2026年3月6日時点)

製品名	製品概要	希少疾病	先駆け	条件及び期限付き承認
アベクマ点滴静注	CAR-T	✓		
ブレヤンジ静注	CAR-T	✓		
カービクティ点滴静注	CAR-T	✓		
デリタクト注	Oncolytic virus	✓	✓	✓
キムリア点滴静注	CAR-T	✓		
イエスカルタ点滴静注	CAR-T	✓		
ルクスターナ注	AAV	✓		
ネビック	Somatic stem cell	✓		
オキュラル	Somatic stem cell	✓		
サクラシー	Somatic stem cell	✓		
ビズノバ	Somatic cell	✓		
アムシェプリ	iPS cell	✓	✓	✓
エレビジス点滴静注	AAV	✓		✓
アクーゴ脳内移植用注	Somatic stem cell	✓	✓	✓
ゾルゲンスマ点滴静注	AAV	✓	✓	
ステミラック注	Somatic stem cell		✓	✓
リハート	iPS cell	✓		✓
コラテジェン筋注用4mg	Plasmid vector			✓(失効(27/06//2024))
ハートシート	Somatic stem cell			✓(取下げ(25/07/2024))
ジェイス	Somatic cell	✓GCMN*, EB**		
ジャスミン	Somatic cell			
バイジュベックゲル	HSV	✓		
アロフィセル注	Somatic stem cell	✓		
ジャック	Somatic cell			
テムセル HS注	Somatic stem cell	✓		

	製品数
抗悪	6
眼	5
脳・神経・筋	5
心血管	1 (2)
皮膚	3
その他(骨軟骨, 消化器, GVHD)	各1

23₍₂₎

*GCMN: 母斑

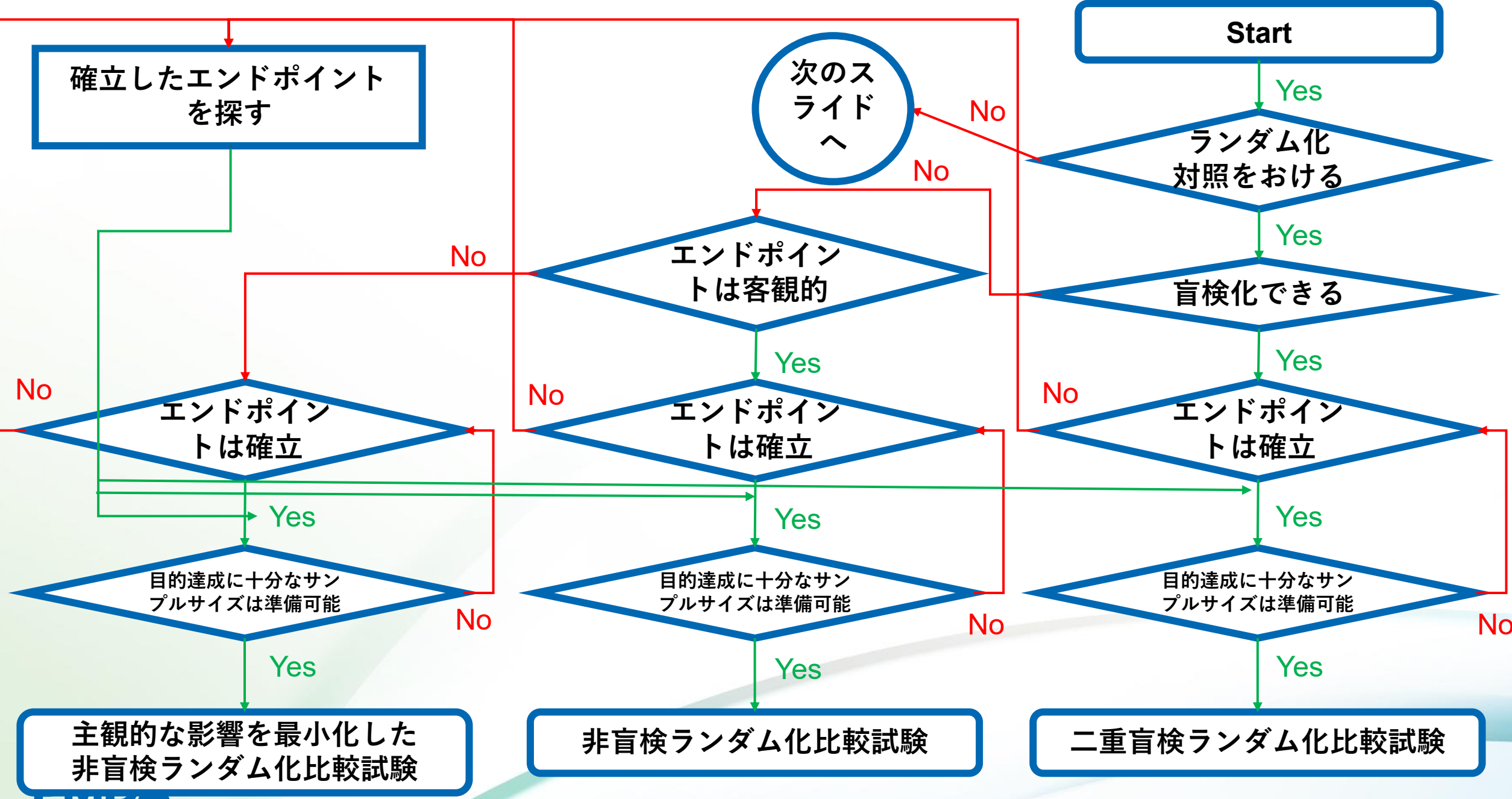
**EB: 表皮水疱症

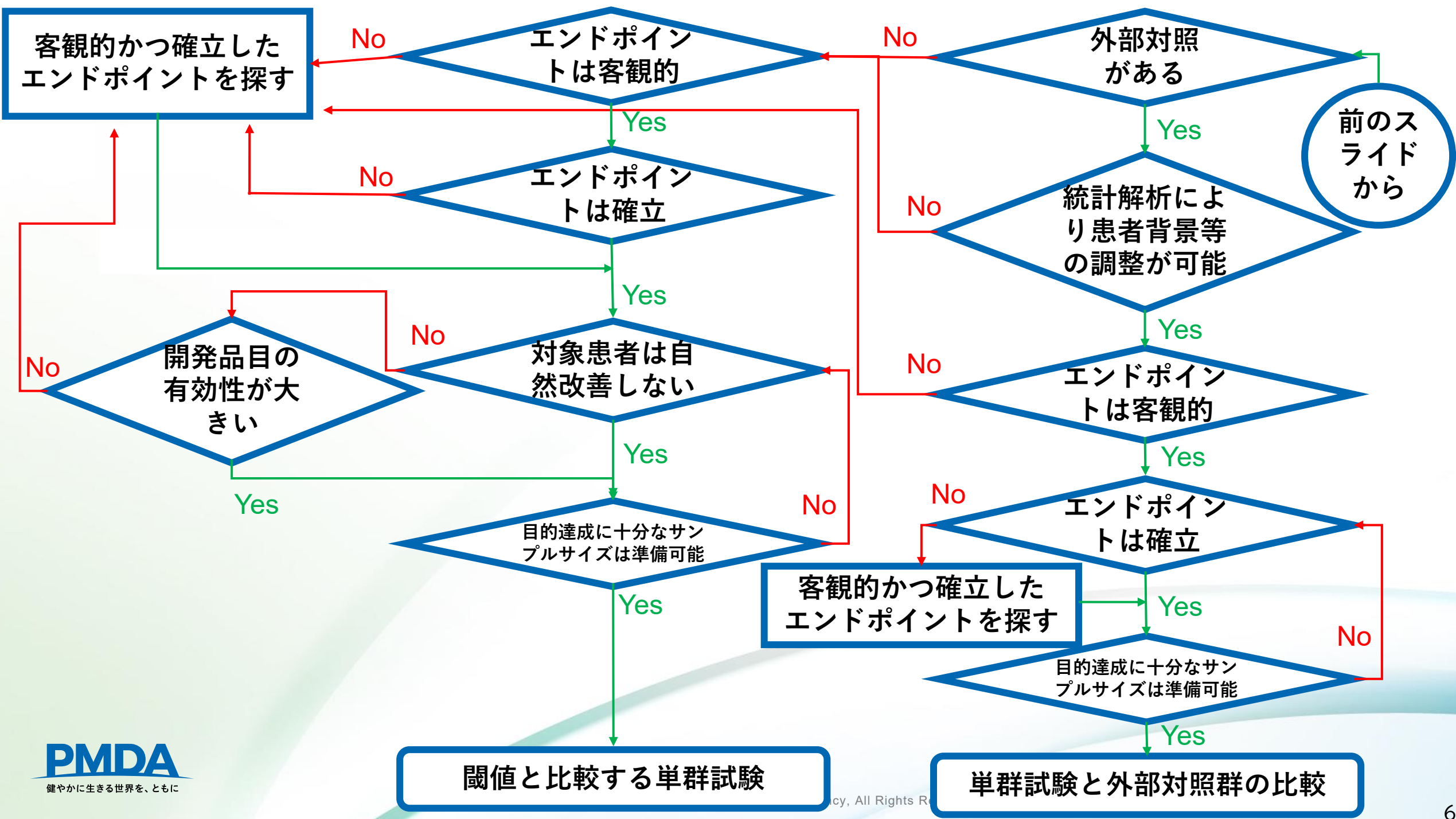
再生医療等製品の承認状況(2026年3月6日時点)

製品名	製品概要	希少疾病	先駆け	条件及び期限付き承認	主な有効性評価が シングルアーム
アベクマ点滴静注	CAR-T	✓			✓(初回時)
ブレヤンジ静注	CAR-T	✓			✓(3次治療以上のLBCL、FL)
カービクティ点滴静注	CAR-T	✓			✓
デリタクト注	Oncolytic virus	✓	✓	✓	✓
キムリア点滴静注	CAR-T	✓			✓
イエスカルタ点滴静注	CAR-T	✓			✓(初回時)
ルクスターナ注	AAV	✓			✓
ネピック	Somatic stem cell	✓			✓
オキュラル	Somatic stem cell	✓			✓
サクラシー	Somatic stem cell	✓			✓
ビズノバ	Somatic cell	✓			✓
アムシェプリ	iPS cell	✓	✓	✓	✓
エレビジス点滴静注	AAV	✓		✓	✓
アクーゴ脳内移植用注	Somatic stem cell	✓	✓	✓	
ゾルゲンスマ点滴静注	AAV	✓	✓		✓
ステミラック注	Somatic stem cell		✓	✓	✓
リハート	iPS cell	✓		✓	✓
コラテジェン筋注用4mg	Plasmid vector			✓(失効(27/06//2024))	
ハートシート	Somatic stem cell			✓(取下げ(25/07/2024))	✓
ジェイス	Somatic cell	✓GCMN*, EB**			✓
ジャスミン	Somatic cell				✓
バイジュベックゲル	HSV	✓			患者内比較
アロフィセル注	Somatic stem cell	✓			
ジャック	Somatic cell				✓
テムセル HS注	Somatic stem cell	✓			✓

再生領域において早期臨床試験のデザインを決定する主要要素

- ランダム化した対照群が設定できるか
- 外部対照群となり得るデータの存在
- エンドポイントの客観性
- エンドポイントの臨床評価での使用が確立しているか
- 対象疾患の患者数
- 開発製品の有効性の大きさ
- 対象疾患の自然経過の情報





客観的かつ確立した
エンドポイントを探す

No

エンドポイント
は客観的

Yes

No

外部対照
がある

Yes

前のス
ライド
から

No

エンドポイント
は確立

Yes

No

統計解析によ
り患者背景等
の調整が可能

Yes

No

開発品目の
有効性が大
きい

Yes

No

対象患者は自
然改善しない

Yes

No

エンドポイント
は客観的

Yes

No

エンドポイント
は確立

Yes

No

客観的かつ確立した
エンドポイントを探す

目的達成に十分なサン
プルサイズは準備可能

Yes

閾値と比較する単群試験

単群試験と外部対照群の比較

おわりに(私見)

- シングルアームスタディの結果解釈を容易にする要素としては、治療法の効果量が考えられる。
- 「有効性」を裏付けるエビデンスには、様々なレベルがある。開発する疾患領域において、どの程度のエビデンスレベルが必要か、あらかじめリサーチしておくことが重要。
- (シングルアームスタディありきではなく)どのような試験デザインで有効性を示すのかを考えることが重要。
- 「有効性」の確からしさを示すために、様々な手法がある。今後も新たな手法が開発されると考える。

PMDA

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

