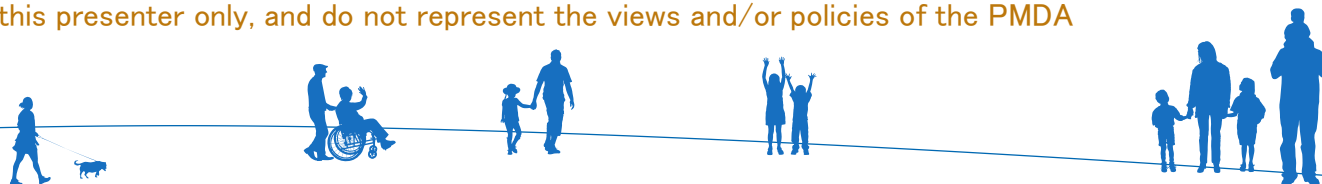


再生医療等製品の市販後調査

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	市販後の状況	適正使用に向けた取組み
アベクマ点滴静注	CAR-T	✓			製造販売後データベース調査	最適使用推進ガイドライン
ブレヤンジ静注	CAR-T	✓			製造販売後データベース調査	最適使用推進ガイドライン
カービクティ点滴静注	CAR-T	✓			製造販売後データベース調査	最適使用推進ガイドライン
デリタクト注	Oncolytic virus	✓	✓	✓	製造販売後条件評価	最適使用推進ガイドライン
キムリア点滴静注	CAR-T	✓			製造販売後データベース調査	最適使用推進ガイドライン
イエスカルタ点滴静注	CAR-T	✓			製造販売後データベース調査	最適使用推進ガイドライン
ルクスターナ注	AAV	✓			使用成績調査	適正使用指針
ネピック	Somatic stem cell	✓			使用成績調査	適正使用指針
オキュラル	Somatic stem cell	✓			使用成績調査	適正使用指針
サクラシー	Somatic stem cell	✓			使用成績調査	適正使用指針
ビズノバ	Somatic cell	✓			使用成績調査	適正使用指針
アムシェプリ	iPS cell	✓	✓	✓	製造販売後承認条件評価	最適使用推進ガイドライン(予定)
エレビジス点滴静注	AAV	✓		✓	製造販売後条件評価	適正使用指針(予定)
アクーゴ脳内移植用注	Somatic stem cell	✓	✓	✓	製造販売後条件評価	最適使用推進ガイドライン(予定)
ゾルゲンスマ点滴静注	AAV	✓	✓		使用成績調査	適正使用指針
ステミラック注	Somatic stem cell		✓	✓	製造販売後条件評価	最適使用推進ガイドライン
リハート	iPS cell	✓		✓	製造販売後条件評価	適正使用指針(予定)
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			使用成績調査	—
ジャスミン	Somatic cell				使用成績調査	—
バイジュベックゲル	HSV	✓			使用成績調査	最適使用推進ガイドライン
アロフィセル注	Somatic stem cell	✓			使用成績調査	適正使用指針
ジャック	Somatic cell				使用成績調査	適正使用指針
テムセル HS注	Somatic stem cell	✓			使用成績調査	留意事項通知

市販後の計画

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



前処置薬、併用薬、有害事象の対処薬

- 免疫抑制
 - 同種細胞の拒絶抑制
 - 術後の炎症抑制
- 抗生物質
 - 術後の感染予防
- 生体組織接着剤
 - 移植物の固定

etc.



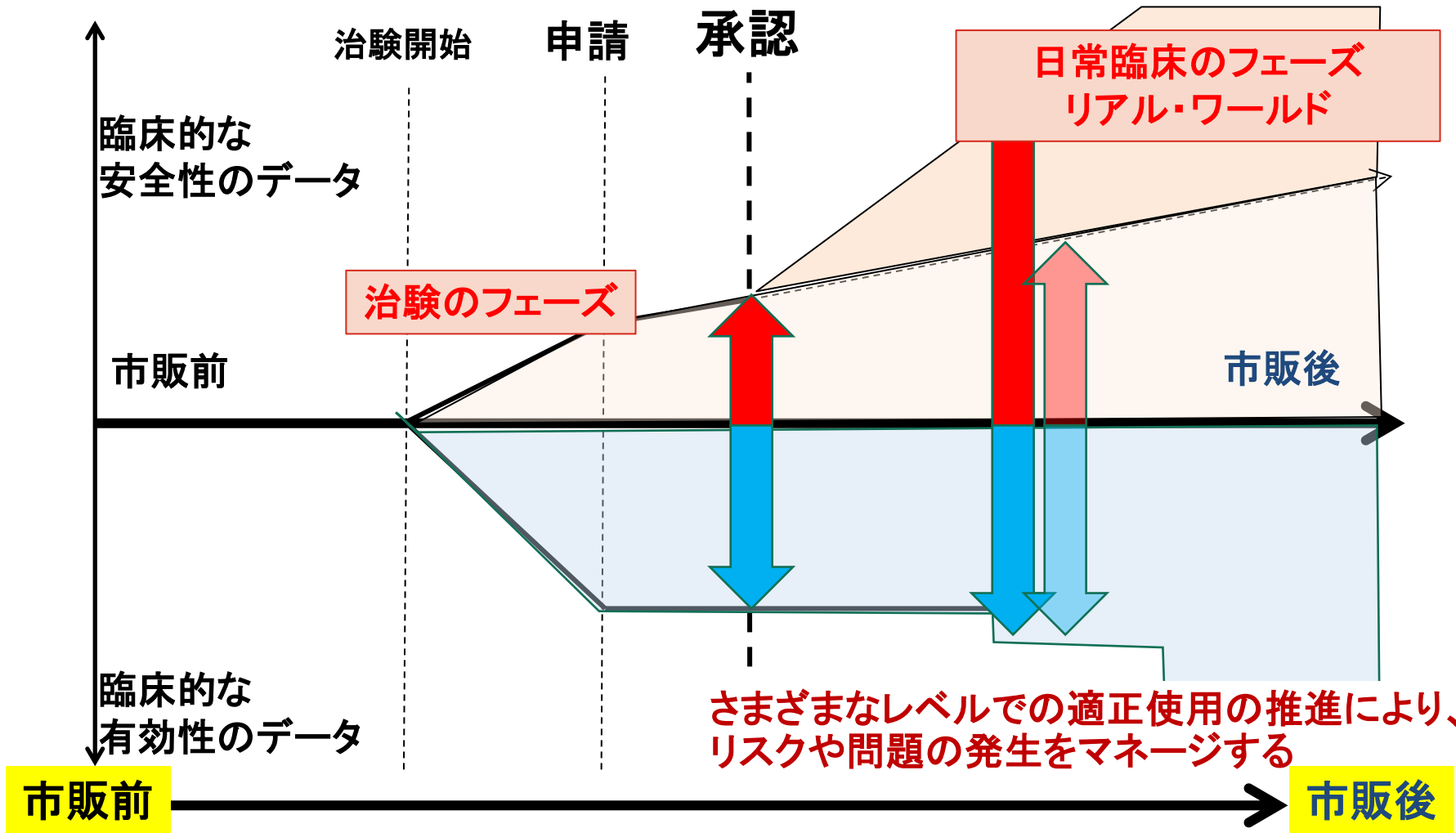
条件及び期限付き承認： 製造販売後承認条件評価

	ステミラック注 (ニプロ株式会社)	デリタクト注 (第一三共株式会社)	アクーゴ脳内移植用注 (サンバイオ株式会社)	エレビジス点滴静注 (中外製薬株式会社)	リハート (クオリプス株式会社)	アムシェプリ (住友ファーマ株式会社)
製品	ヒト（自己）骨髄由来間葉系幹細胞	改変ヘルペスウイルス	ヒトNotch-1細胞内ドメイン遺伝子を導入したヒト（同種）骨髄液由来の間葉系幹細胞	マイクロジストロフィン遺伝子搭載アデノ随伴ウイルス	ヒト（同種）iPS 細胞由来心筋細胞シート	ラグネプロセル
適応症	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。	悪性神経膠腫	外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善	デュシェンヌ型筋ジストロフィー ただし、以下のいずれも満たす場合に限る ・抗AAVrh74抗体が陰性の患者 ・歩行可能な患者 ・3歳以上8歳未満の患者	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筋症による重症心不全の治療	レボドパ含有製剤を含む既存の薬物療法で十分な効果が得られないパーキンソン病患者の運動症状の改善
承認日	2018年12月28日	2021年6月11日	2024年7月31日	2025年5月13日	2025年3月6日	2025年3月6日
承認期限	2025年12月27日 (承認期限7年)	2028年6月10日 (承認期限7年)	2031年7月30日 (承認期限7年)	2028年5月12日 (承認期限3年)	2032年3月5日 (承認期限7年)	2032年3月5日 (承認期限7年)
承認時 評価資料	国内臨床試験：単群（13例）、単施設	国内臨床試験：単群（19例）、単施設	国際共同第Ⅱ相試験：多施設共同偽手術対照無作為化二重盲検比較試験 本品群46例、偽手術群15例	国際共同第Ⅲ相臨床試験 (SRP-9001-301試験)等		
市販後 承認条件 評価	<p>コホート① 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）</p> <p>コホート② 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）</p>	<p>①使用成績比較調査 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。</p> <p>②製造販売後臨床試験 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。</p>	<ul style="list-style-type: none"> ・製造販売後臨床試験 ・本品群28例（本品移植+リハビリテーション） ・対照群14例（リハビリテーションのみ） ・主要評価項目：24週目のFMMSスコアのベースラインからの変化量 	<ul style="list-style-type: none"> ・製造販売後臨床試験 ・301試験のパート1及びパート2において本品を投与された患者の、本品投与3年後の結果を併合した上で、レトロスペクティブに収集した外部対照群と比較することにより、本品の有効性を検証。 ・本品群：約100例 ・外部対照群：約170例 ・【主要評価項目】NSAA 総スコアのベースラインから本品投与後3年までの変化量 	<p>審査報告書がPMDAのホームページにて公開されていないため、未掲載。</p>	



精密・厳格な治験から複雑・多様な市販後調査までの流れ(承認まで情報の限界)

ベネフィット・リスクバランスを良好に保つため、



おわりに

■ 承認前

- 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



PMDA

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

