

### 1.1.1 臨床研究から始まる再生医療—治療を継続的に提供できる制度を整備すること

再生は、まずは「ヒト幹細胞を使用した臨床研究」から開始し、ついで医師主導治験、もしくは「高度医療」に進む事例が多く、企業による製品化にはまだまだ時間を要する状況にある。市場性などから考慮して製品化が無理なテーマではあっても、臨床研究の結果、患者が要望する治療になりうるということが判明するケースもあると思われる。そのような治療については、高度医療等へ進み、全額患者負担とならない制度を利用して、治療を継続的に提供できる制度を設けることが必要と考える。

下図に、現在の再生医療の実用化プロセスをまとめた。

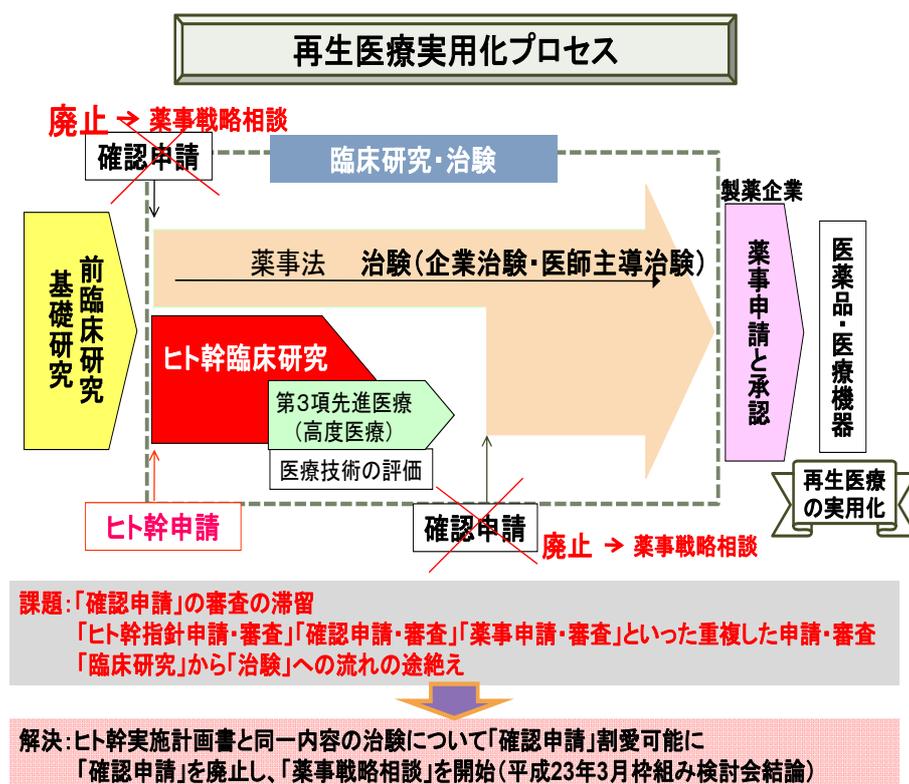


図 2 再生医療実用化プロセス

### 1.1.2 再生医療製品の承認取得のための非臨床試験の要件を早期に確認すること

国内における承認実績は未だに培養表皮ジェイス1品目のみであり、承認申請に必要な項目がどのようなものであるかは、まだ明確になっていない。厚生労働省及び経済産業省が連携して行っている「次世代医療機器評価指標作成事業」において、再生医療製品である心筋シート、角膜シート及び培養軟骨などの評価指標が作成されているが、再生医療製品の開発において必ずしも活用されている状況ではない。新規の医療技術については、その開発者が品質・安全性評価の要点を最も理解しているはずであり、開発者自らが合理的な説明のでき

るデータを取りそろえる必要がある。まずはそのようなデータを開発者がある程度取りそろえた上で、開発者と行政・審査側が必要な試験項目に関して議論の機会をもつことが重要と考える。平成24年2月2日、近畿大学早川らがまとめた、MCP (Minimum Consensus Package : 非臨床試験を中心とした、品目に関わるリスクを考慮した上での非臨床試験の必要項目に対する考え方) が公開され、意見募集が開始された。再生医療製品開発に係わる研究者・企業は、研究開発にあたっての基本的な考え方として本MCPを参考とされたい。S特区調査研究班も、今後も積極的な情報提供を行っていくことを考えていきたい。

### 1.1.3 他家細胞製品の開発に必要な原料細胞を確保する道筋をつけること

他家細胞を用いた製品は、レディーメイド製品へと代わる可能性があることから、従来の自己細胞製品よりは安価に作製できると考えられている。しかしながら、日本国内ではヒト由来細胞は流通(販売)されておらず、細胞の入手方法として、1) 国外から入手した細胞を用いる(角膜等)、2) 国内の病院でストックされた組織を用いる、あるいは3) 国内でバンク化された組織を用いる、が考えられるが、1)の海外からのヒト由来材料の供給については、厳しい生物由来原料基準によりほとんど見込み薄である。他家細胞と自己細胞に関する薬事規制上の相違はほとんどなく、注意すべき事項は「提供者の同意」「無対価原則」である。また、臓器移植法で縛られているのは特定臓器(心臓、肺臓、肝臓、腎臓、膵臓、小腸、眼球)に限られており、皮膚、軟骨は対象外である。

しかし、一方では、組織採取を行う施設との契約を条件に製品化が進められるのであれば、原材料として規格を満たした細胞・組織を継続的に入手可能か否かが、次の課題となるのではない。また、血液細胞については、献血といった制度が広く知れ渡っており、社会的にもその必要性が認識されているものの、特定企業の製品に他人の生きた細胞が用いられることに対して、日本国内で社会的に受容できるか否かを確認せずに実施することはリスクが高いと考えられる。臓器移植法を定めたときと同様に、社会学者や倫理学者等を含む有識者を交えた、公の場での公開討論も必要かも知れない。

### 1.1.4 再生医療周辺機器の薬事規制及び保険上の取り扱いを検討すること

提案テーマの中には、加工した細胞本体のみならず、移植手術にあたっての準備、移植時の適用外薬剤の併用、さらには適用外(あるいは新規)医療機器の複合療法が予定されているテーマも多い。さらに、使用する細胞を分離する機器についても、再生医療における有用性検証が必要とされており、臨床試験データの添付が要求されることが多いが、それが原因で企業が開発中断する事例が出始めている。開発者は、このような細胞分離機器の扱いも含めて、厚生労働省医療機器審査管理室及びPMDA機器審査部、さらには生物系審査部と内容を詰めておく必要があるのではない。以下にその概略を図にまとめた。