

ライフイノベーション戦略協議会

「先端医療開発特区の実施を通して得られた、革新的技術
開発を促す構造改革に向けた取組についての提案」

(公財)先端医療振興財団 細胞療法開発事業部門 副事業統括
川真田 伸

平成25年3月15日 内閣府

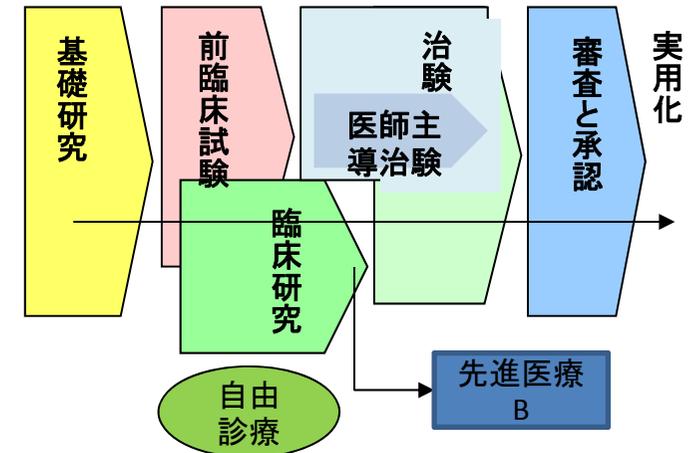
我が国における再生医療・細胞治療開発の現状

- ①我が国の現在の薬事審査は硬直しており、薬事に則って開発するのは無理がある。

→ 本当にそうなのか？

個の医療であるautoの細胞製剤の薬事審査では、医薬品開発と同じtemplateは使われていない。薬事戦略相談など多くの加速化事業がすでに実施または計画立案されている。

我が国における細胞製剤の開発（現状）



- ②我が国では医師の裁量で行う臨床試験の制度がある。

→早期に臨床に入れる利点があるが、臨床研究のままでは、医療なので医療産業に寄与する開発road mapが描けない。また前臨床や細胞規格の議論が薄い。どのようにICH-GCPに則って臨床試験の質を高めるかが課題。

- ③我が国の薬事開発の法整備は欧米と比べ遅れていると見られているか？ → 一部yes

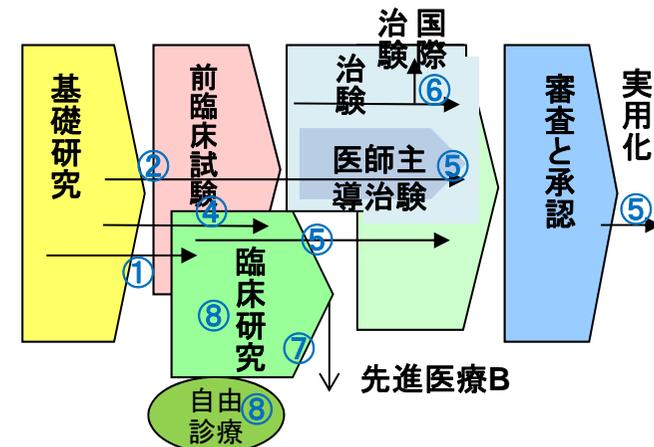
欧米では、医師の裁量で行う細胞治療・研究への規制あり。細胞製剤として製造品質効能について治験(のみ)実施。Nature 494 2013 Feb 7 Japan is making an overdue effort to regulate experimental stem-cell treatments. A clearly defined legal framework is needed to protect patients.

EU hospital exemptionの制限

FDA/EMA/MHLW ICHの枠組みで細胞製剤の薬事審査や安全性評価基準で話し合いが進んでいる。

我が国の行政の対応 2012-2013

打てる手は打っている、または打とうとしている。
 後は、確実に実施されているかどうかの検証・指導が要。



I. 国際競争力のある医療産業育成 に向けたICH-GCPに基づく開発lagのない治験の実施

- ①再生医療実現化プロジェクト ハイウェイ (文部省)
- ②橋渡し研究支援拠点形成PI期-同加速ネットワーク形成PII期(文部省)2007-2013 7拠点選定
- ③革新的医薬品(8拠点)・医療機器(7拠点)・再生医療製品(6拠点) 実用化促進事業 (厚労省)
- ④早期・探索的臨床試験5拠点 (厚労省) first in man、CRC、治験医師、規制科学人材育成
- ⑤臨床研究中核病院整備事業 (厚労省) ICH-CGP適合5+5+5=15拠点選定 2012-13
 企業治験に移行、難病・希少疾患での医師主導治験促進・人材育成、臨床研究中核病院による連携、疾患レジストリー、中央IRB、窓口一本化、ARO機能強化、規制科学分野の人材育成
- ⑥日本主導グローバル臨床研究拠点 (厚労省) ICH-GCP適合治験を我が国から国際展開
 臨床研究・治験活性化5カ年計画 2012 (厚労省・文科省)
 医薬品 GCP改正 2012 (厚労省) 治験手続き簡素化、MF対象拡大
 薬事法の一部改正案 (検討中)

- 1)医薬品(手続き簡素化) 2)医療機器(後発については、第三者認証制度拡充)
- 3)再生医療・細胞治療製品の新たな定義。 早期仮承認(条件・期限付き承認)→(一定期間後)→本承認

II. 安全性重視に向けた規制強化、医師の責任下での細胞培養加工の外部委託実現化の検討(厚労省)

- ⑦iPS細胞等の臨床研究安全基盤整備支援事業 (幹細胞研究)
- ⑧再生医療・細胞治療の安全性の確保等に関する法律案(仮称) (検討中)

- 1)リスクに応じた安全性担保の仕組み構築 高:中央審査 中:地方審査 低:IRB届け出 罰則規定
- 2)CPC施設の大蔵省届け出と 医療機関が医療機関外のCPC施設に細胞培養加工の委託が出来るか検討中。

橋渡し研究支援拠点形成プログラムの開発実績

(文部科学省 橋渡し研究支援推進プログラム)

(H19年8月～H25年2月1日)

治験届提出 (18) (下線は医師主導治験)		ライセンスアウト (15)		先進医療承認 (7) (A、B / 旧第2、3項)	
人工手関節	北海道	GVHD体外診断薬	北海道	臍島移植	東北・京都
人工股関節	北海道	金マーカ刺入キット	北海道	遠赤外線乾式均等温装置	東京
<u>SVN-2B ペプチドワクチン</u>	北海道	放射線治療動体追跡装置	北海道	bFGF+GHG	京都
Nアセチルノイラミン酸	東北	胃癌アッセイキット	北海道	レプチン	京都
HGF	東北	トレハロース	東京	γδ T細胞	京都
トレハロース	東京	ナノミセル	東京	エポエチンβ	大阪
頻脈治療薬	東京	培養骨芽細胞様細胞	東京	脊髄損傷治療技術	大阪
小児補助人工心臓	東京	レプチン	京都	自家培養口腔粘膜細胞シート	大阪
人工真皮	京都	チタン運動器デバイス	京都	製造販売承認申請 (4)	
レプチン	京都	人工真皮	京都	金マーカ刺入キット	北海道
抗体 (癌領域)	京都	HVJ-E	大阪	内視鏡手術ナビゲーター	北海道
筋芽細胞シート	大阪	筋芽細胞シート	大阪	動体追跡装置	北海道
WT 1 ペプチドワクチン	大阪	WT1ペプチド	大阪	レプチン	京都
細胞分離装置	財団	BK-UM	大阪	製造販売承認取得 (2)	
膝関節軟骨再生	財団	生体吸収性GBR膜	財団	内視鏡手術ナビゲーター	北海道
PLGAナノ粒子	九大	保険医療化 (2)		金マーカ刺入キット	北海道
胎児心電図装置	東北	内視鏡手術ナビゲーター	北海道		
BK-SE36/C pG-ODN	大阪	金マーカ刺入キット	北海道		

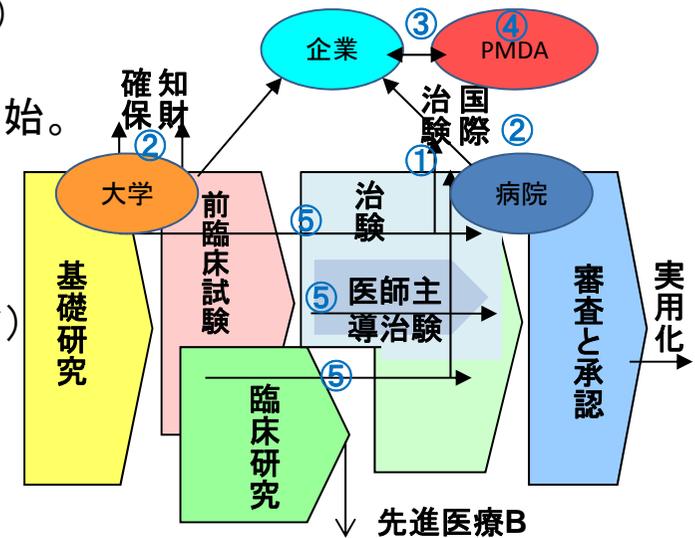
他 細胞製剤の治験としては、JCRがMSCを用いたBMT後のGvHD抑制試験実施中

(公財)先端医療振興財団 橋渡し研究支援拠点サポート室

再生医療・細胞製剤開発加速化に向けた提言

医師の裁量による臨床研究だけは医療技術の安全化確保・社会化・事業化・国際化に繋がらないので、治験のtrackに乗るものは早期に指導する。乗らないものは、国民の健康福利厚生観点から社会的医療を目指した開発スキームを国がleader shipと取って評価と開発スキームを提示する。

- ①市場が小さいため開発当初から産業化のため国際展開を考慮、ICHの枠組みでfirst in manの場合も含めた安全性評価データセット・評価手法のコンセンサス形成が必要。(厚労省・経産省)
- ②アカデミア・大学病院(文科省)と病院(厚労省)の連携し、開発案件のデータベース化と利用可能施設・機器等の企業への情報公開の実現。(文科省、厚労省、経産省)
- ③企業化に向け保険収載の可能性を申請前後から保険局と協議開始。(厚労省)
- ④FDAのようにPMDA直属の研究所を設置、製品の安全性評価基準の策定・審査の科学性・一貫性の向上を図ることが必要。(厚労省)
- ⑤規模的に臨床中核病院にならないが、特色のある医療開発を実施している病院も本事業に組み込むことを考慮。(厚生省)
- ⑥関係省庁による国の開発スキームを一元的にモニターするシステム、公的資金による開発の適切な評価システムの整備が必要。Refereeの資質(含海外学識者)と運用システムの向上が重要。→多府庁間事業の進捗・成果のaudit・調整機能要。そのための組織・予算と要員確保必要。(内閣府)



スーパー特区のような研究者と関係省庁との継続的な対話ができる仕組みの継続が重要。 4