



2021年7月29日放送

## 厚生労働省アワー 再生医療等製品について

厚生労働省 医薬・生活衛生局 医療機器審査管理課  
坂部 彩

### <はじめに>

本日は、「再生医療等製品について」をテーマとし、再生医療と再生医療等製品についてのご説明、そして再生医療等製品に関する日本の制度についてのお話をいたします。

### <医療機器審査管理課について>

テーマに関するご説明の前に、少し医療機器審査管理課についてご紹介いたします。医療機器審査管理課で、再生医療等製品の話？と疑問に思われた方もいらっしゃるかもしれませんが、医療機器審査管理課は、医療機器の他に、体外診断用医薬品、再生医療等製品についても製造販売の承認や基準等に関する業務を行っています。本日は、課の名前に含まれていない部分の、「再生医療等製品」に焦点をあててご説明いたします。

### <再生医療とは何か>

まず、再生医療とは何か、についてお話しします。再生医療とは、病気やけがで機能不全になった組織や臓器を再生させる医療のことで、幹細胞等が用いられます。生物が元々もつ「体性幹細胞」は限定された種類の細胞にしか分化しませんが、受精卵から作成された幹細胞である「ES細胞」や、体の細胞に遺伝子を導入して作られた「iPS細胞」は様々な組織や臓器の細胞に分化します。そのため、ES細胞やiPS細胞は再生医療への応用が期待されます。一方で、再生医療技術にはがん化等の課題が存在し、迅速かつ安全に実用化をするための体制が求められています。

### <再生医療の実用化を促進する制度的枠組み（再生医療等安全性確保法を含む）について>

平成25年には、「再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるようにするための施策の総合的な推進に関する法律」が公布されました。この法律では、再生医療の迅速かつ安全な

研究開発や提供、そして普及の促進に関する基本的な方針が示されています。この方針のもと、同じく平成 25 年に、自由診療や臨床研究については「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」が公布され、再生医療等の提供機関や細胞培養加工施設の基準が新設されました。さらに、同年に、製造販売について薬事法等の一部を改正する法律が公布され、本日のテーマである「再生医療等製品」の定義がなされた他、その特性を踏まえた承認・許可制度が構築されました。

### <再生医療等製品とは何か>

それでは、再生医療等製品とは何か、についてお話します。「再生医療等製品」という用語は、先ほど触れた平成 25 年の薬事法等の一部を改正する法律により、「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」、通称「医薬品医療機器等法」上に新たに定義されました。

現在の「再生医療等製品」の定義には、使用目的の部分を割愛いたしますと、大きく 2 つの分類があります。1 つ目の分類は、「人又は動物の細胞に培養その他の加工を施したもの」、いわゆる「細胞加工製品」です。例えば、患者自身から採った組織を培養してシート状にし、移植を行うものが該当します。2 つ目の分類は、「人又は動物の細胞に導入され、これらの体内で発現する遺伝子を含むさせたもの」、要するに「遺伝子治療用製品」です。この 2 つ目の分類には、例えば、ウイルスを用いて遺伝子の導入を行うものが該当します。医薬品や医療機器と比べると歴史の浅い再生医療等製品ですが、日々研究開発が進められており、令和 3 年 6 月末時点で、既に承認された品目の数は 13 となりました。

### <再生医療等製品に関する日本の制度>

再生医療等製品として承認された品目の数はまだ多くないものの、医療上のニーズが高い製品や画期性の高い製品が速やかに実用化されるよう、制度づくりがされているところです。それでは、現在、再生医療等製品に関する日本の制度には、どのようなものがあるでしょうか。再生医療等製品特有の制度については後ほどお話しますが、医薬品や医療機器と同様なものとして、主に 3 種類の指定制度があります。

### <希少疾病用再生医療等製品の指定>

1 つ目は、「希少疾病用再生医療等製品」を指定する制度です。

この制度の目的は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないことにより研究開発が進みにくい領域の試験研究の促進です。指定の要件は、対象患者数が本邦において 5 万人未満であること、医療上特に必要性が高いこと等です。指定されると、開発に関する助成金の交付や、医薬品医療機器総合機構（略称：PMDA）と医薬基盤・健康・栄養研究所による指導・助言を受けることができます。さらに、承認審査にあたって優先審査がされたり、再審査期間が延長されたりと様々な支援を受けることができます。これまでに希少疾病

用再生医療等製品として 21 品目が指定されました。

#### <先駆的再生医療等製品の指定>

2 つ目は、「先駆的再生医療等製品」を指定する制度です。

これは、世界に先駆けて革新的な製品を日本で早期に実用化することを目的とした制度で、先駆け審査指定制度として運用されてきたものが令和元年に法制化されました。指定の要件は、治療法が画期的であること、対象疾患が重篤であること、日本における早期開発をする意思があること等です。指定されると、PMDA において指名されたコンシェルジュにより開発の進捗管理の相談などが行われ、優先審査を受けることができます。

#### <特定用途再生医療等製品の指定>

3 つ目は、「特定用途再生医療等製品」を指定する制度です。

この制度は令和元年の法改正により創設されたもので、目的は、小児に対する用量が設定されていない等、医療上のニーズが著しく満たされていない製品の研究開発を促進することです。この制度に関して、厚生労働省は、指定候補についての要望・提案を学会等から募集しています。要望・提案がなされると、専門の検討会において特定用途再生医療等製品への該当性が評価されます。そして、評価結果が製造販売業者に通知され、製造販売業者が指定を希望する場合に申請が行われます。指定されると、承認審査にあたって優先審査がなされます。

これまでお話してきた指定制度は、直ちに製造販売の承認に結びつくものではありませんが、国民皆様の多様な医療上のニーズに対応するための支援措置となっています。

#### <条件及び期限付き承認>

また、再生医療等製品特有の承認に関する制度として、「条件及び期限付き承認」という制度があります。再生医療等製品は人の細胞等を用いた製品であることから、医薬品と比べ均質でないという特性があります。さらに、移植等の手術を伴う製品については、倫理的観点から比較臨床試験の実施が難しいこともあります。このような特性を踏まえた上で迅速な実用化を目指し、安全性の確認と有効性の推定を以て承認を与える制度が導入されました。この条件及び期限付き承認には、適正使用のために必要な「条件」と有効性を示すデータを揃えて再度申請を求める「期限」が付けられます。適正使用のために必要な条件として、例えば、使用できる医療施設を限定することや、全例を対象とした評価を行うことが挙げられます。

#### <再生医療等製品の販売業の許可>

他にも、再生医療等製品に関しては、一部流通の面でも医薬品や医療機器と異なります。

再生医療等製品の製造販売業者では、直接医療機関に対して販売を行うことが認められる場合がある点についてです。再生医療等製品の中には、医療機関にて患者自身から採取した組織検体を原料として製品とするものが想定されます。この場合、迅速に高品質のものを安定して届けることが求められるため、製造販売業者と医療機関の直接のやりとりが認められます。

### <2年目施行>

最後に、令和3年8月1日の法改正施行による変更点についてお話しします。法改正施行により、再生医療等製品と医薬品において、承認後変更管理実施計画書(略称:PACMP)という考え方の導入が法制化されます。もう少し具体的にお話ししますと、あらかじめ確認を受けた変更計画に従った製造方法等の変更について、定められた日数前に変更を行う旨を届け出た時は、変更のための承認を必要としないこととなります。改正前の法律下では、変更申請・審査はすべてのデータを揃えてから行われていましたが、この制度により、あらかじめ変更計画の確認を受けた変更に関しては、短期間での審査・確認、そして迅速な変更が可能となります。

### <おわり>

以上、簡単ではありますが、再生医療等製品の概要や制度についてお話しいたしました。画期的かつ安全な再生医療等製品が医療現場に届くよう、引き続き取り組んでまいります。今後とも、特に薬学に関わる皆様におかれましては、ご協力のほどよろしくお願いいたします。