

平成 23 年 5 月 20 日（金）10 時から
KKR ホテル東京 瑞宝の間

第 1 回 医薬品・医療機器薬事戦略懇談会

議 事 次 第

1. 医薬品・医療機器薬事戦略相談について
2. 有識者からのヒアリング
 - (1) アカデミアの立場から（青井構成員、妙中構成員、直江構成員）
 - (2) 企業の立場から（稲垣構成員、塩村構成員、古川構成員）
3. 自由討議
4. その他

【配付資料】

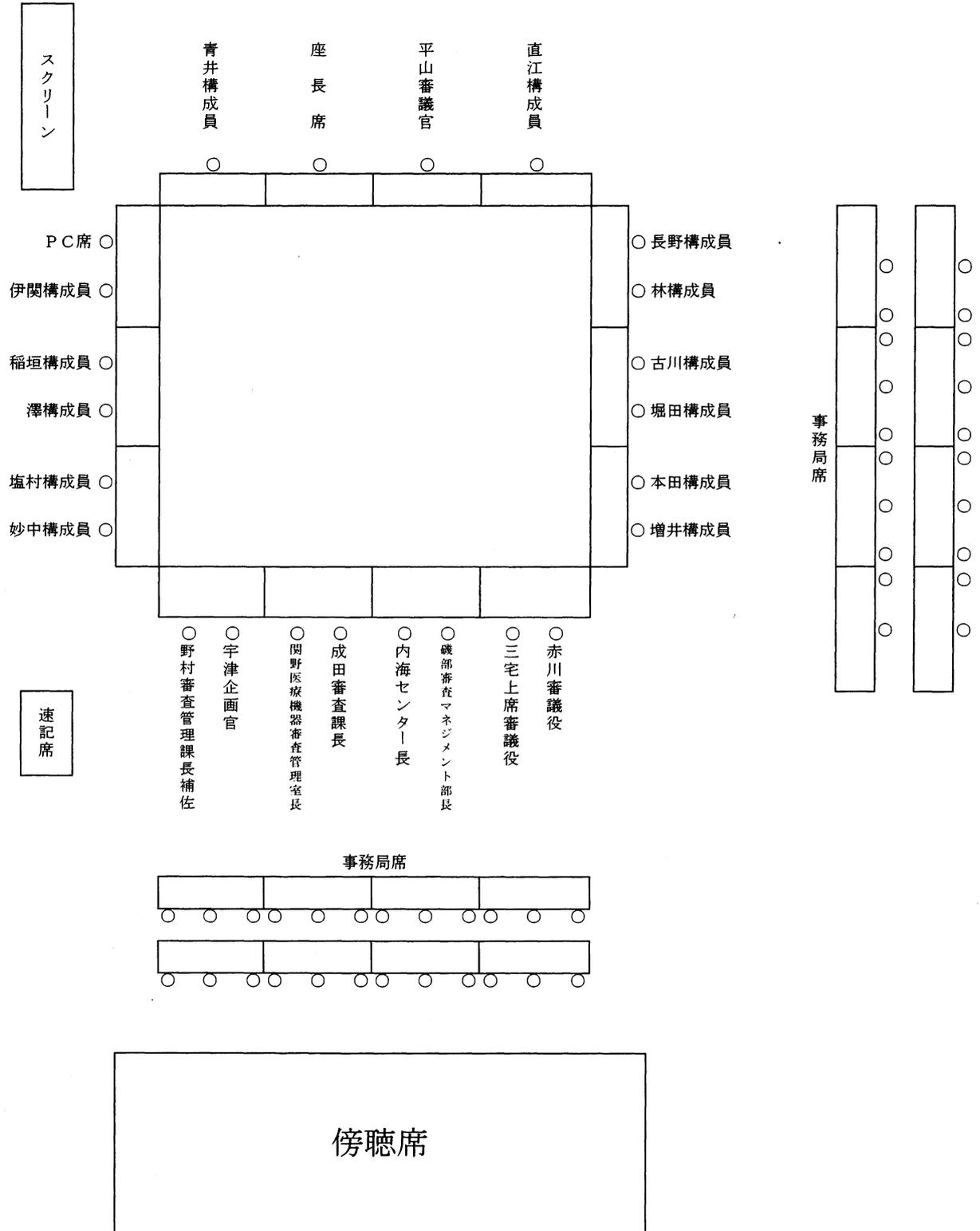
- 資料 1 「医薬品・医療機器薬事戦略懇談会」開催要項
- 資料 2 「医薬品・医療機器薬事戦略懇談会」構成員名簿
- 資料 3 医薬品・医療機器薬事戦略相談事業について
- 資料 4 再生医療における制度的枠組みに関する検討会について
- 資料 5 ヒアリング資料
 - 5-1 青井構成員提出資料
 - 5-2 妙中構成員提出資料
 - 5-3 直江構成員提出資料
 - 5-4 稲垣構成員提出資料
 - 5-5 塩村構成員提出資料
 - 5-6 古川構成員提出資料

- 参考資料 1 社会保障制度改革の方向性と具体策
- 参考資料 2 医療イノベーションに関する資料
- 参考資料 3 独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査等業務関係業務方法書実施細則
に規定する医薬品及び医療機器に係る薬事戦略相談の新設に伴う手数料の設定について（案）

第1回 医薬品・医療機器薬事戦略懇談会（座席表）

（場所）KKRホテル 瑞宝

平成23年5月20日（金）10：00～12：00



「医薬品・医療機器薬事戦略懇談会」開催要項

1. 目的

平成23年度より、シーズ発見後のアカデミア（大学）、ベンチャー等における、医薬品・医療機器候補選定の最終段階から、治験に至るまでに必要な試験・治験計画策定等に関する相談を主な対象とし、医療イノベーションの一環として「薬事戦略相談」を導入することとしている。

「医薬品・医療機器薬事戦略懇談会」（以下「懇談会」という。）は、官民協力により事業を推進するため、2. に掲げる事項について検討を行うことにより、「薬事戦略相談」が有効に活用され、かつ効率的に実施できるようにすることを目的とする。

2. 主な検討事項

- (1) 相談事業の対象となる分野の優先順位付け
- (2) 実施に当たり留意すべき事項
- (3) 来年度以降の事業のあり方
- (4) その他薬事戦略相談の円滑な実施に資する事項

3. 懇談会の構成等

- (1) 懇談会は、医学、薬学、知財等の有識者のほか、医薬品、医療機器業界や、ベンチャー企業の関係者等により構成する。
- (2) 懇談会の座長は、必要に応じ、検討に必要な有識者等の参加を求めることができる。

4. 運営等

- (1) 懇談会は、知的財産・個人情報等に係る事項を除き、原則公開するとともに、議事録を作成し、公表する。
- (2) 懇談会の庶務は、医薬食品局（審査管理課／医療機器審査管理室）が（独）医薬品医療機器総合機構の協力を得て行う。

資料 2

「医薬品・医療機器薬事戦略懇談会」構成員名簿

青井 貴之	京都大学iPS細胞研究所教授
伊関 洋	東京女子医科大学先端生命医科学研究所教授
稲垣 治	日本製薬工業協会 医薬品評価委員会副委員長 (アステラス製薬(株) 開発本部専任理事)
澤 芳樹	大阪大学大学院医学系研究科教授
塩村 仁	日本バイオテック協議会 理事 (ノーベルファーマ(株) 代表取締役社長)
妙中 義之	国立循環器病研究センター研究所副所長
直江 知樹	名古屋大学大学院医学系血液腫瘍内科学・教授
長野 哲雄	東京大学大学院薬学系研究科長・薬学部長
林 謙治	国立保健医療科学院長
藤原 康弘	国立がんセンター中央病院副院長
古川 孝	日本医療機器産業連合会 理事 (トーイツ(株) 監査役)
堀田 知光	国立病院機構名古屋医療センター院長
本田 麻由美	読売新聞社会保障部記者
増井 徹	独立行政法人医薬基盤研究所 難病・疾患資源研究部部長

(五十音順、敬称略)

資料3

日本発シーズの実用化に向けた医薬品・医療機器薬事戦略相談推進事業

研究期間の長期化と低い成功率

核酸医薬品、再生医療など日系企業の取組に遅れ

アカデミア・ベンチャー等の「死の谷」

大手企業のシーズの3割強はベンチャーから

アカデミア、ベンチャー等において優れたシーズが発見されても、これを改善・改良等して、革新的医薬品・医療機器として実用化に結びつけるためのサポート体制がない。

成功率(化合物数611,516より)

1/3,073

1/7,550

1/21,088

1/25,482

基礎研究

シーズ探索
開発初期段階

治験実施に向けたシーズの
改善・改良・評価法確立

治験
(品質・安全性検討を含む)

承認
申請

<今回要求>

PMDA業務範囲(相談事業)

<既存部分>

- 日本発シーズの実用化に向けて、官民協力が不可欠な分野
- アカデミア、ベンチャーに求められていた相談領域
- 手数料による相談業務ではアカデミア、ベンチャーの資金的基盤が脆弱なため不成立

薬事戦略懇談会(仮称)

産学官一体となった取組

新たな相談領域
(薬事戦略相談)

治験相談
(現在実施中)

- 製薬企業・医療機器企業による治験相談を対象とした事業

研究期間の短縮と成功率アップ

革新的医薬品・医療機器の創出

日本発の医薬品・医療機器の早期承認

ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消

薬事に精通した企業出身者を含む多彩な相談員の確保

国費による薬事戦略相談の新たな体制を整備

(対象範囲(検討中))

以下の要件を満たすアカデミアとベンチャーを想定

- ① 日本国内で医薬品・医療機器の研究開発を行う者であって、有望なシーズを有していること
- ② 財政基盤が脆弱であること

- ※ 上記の要件を満たすアカデミアとベンチャーについては、相談料を減額
- ※ 上記以外からの相談も可能とするが、相談料は実費

(相談内容(検討中))

相談により、今後の承認に向けてのやるべき課題を抽出し、今後の対応方針を助言

【具体例:医薬品】

- ・今後の必要な試験は何か
- ・製剤化の問題(水溶性はあるか)
- ・有効性の問題(IC50は十分か)
- ・創薬標的の妥当性はあるか

【具体例:医療機器】

- ・今後の必要な試験は何か
- ・新規メカニズムの非臨床評価
- ・埋込み材料の生体適合性評価
- ・動物モデルの妥当性

1. 有効性・安全性の評価、管理のあり方について

- 再生・細胞医療製品の有効性・安全性の評価、管理については、品目毎に、行政による承認審査、安全対策等が必要。

2. 質の高い製品を迅速に開発する方策について

○ 開発初期からのPMDAによる助言・相談制度の創設

- ・ 再生・細胞医療製品の開発を促進するためには、PMDAが、製品の開発初期の段階から開発者に対し、薬事法での承認に必要なデータの範囲やその取得に向けての指導・助言を含めた相談事業を行うことが必要。
- ・ 特に再生・細胞医療製品の分野では、開発初期段階は研究者やベンチャー企業が関わる人が多いことから、研究者やベンチャー企業が利用しやすいように相談料を安く設定すること等が必要。
- ・ 薬事戦略相談を事業化し、その活用を図ることが重要。
- ・ 薬事戦略相談では、現在の確認申請で行われている品質・安全性に関する事項だけでなく、治験のプロトコルの議論も合わせて行うこと、また、PMDAは相談を受付けた後の早い段階から、関係する専門家に意見を求めるべき。

○ 相談・審査の迅速化・質の向上

- ・ 引き続きPMDAにおける相談体制、審査体制の充実強化を行っていくことが必要であり、PMDAは相談・審査の迅速化及び質の向上、サービス向上に更なる努力をしていく必要がある。

(参考)

各国再生・細胞医療製品に関する主な制度比較

	厚生労働省/PMDA	米国食品医薬品庁 (FDA)	欧州医薬品庁 (EMA)
品目毎の 製造販売承認※1 (自己・同種とも)	○	○	○
事前相談制度 開発支援制度	△ PMDAによる治験相談 (試験計画等の相談) <u>臨床研究段階での相談制 度なし</u>	○ 臨床試験の各段階にお ける相談等で、 <u>開発支 援に向けた相談も行わ れている</u>	○ 各国政府による再生医療 製品等の <u>開発支援を目的 とした相談制度など</u>

PMDA: 医薬品医療機器総合機構 GCP: 医薬品の臨床試験の実施の基準(日米欧で国際調和済み)

※1 移植など最低限の処理しか行われていないものを除く。

規制改革推進のための3カ年計画

(平成21年3月閣議決定)

ライフサイエンス分野の規制改革

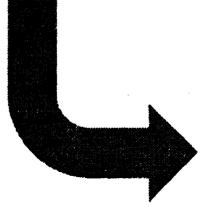
(略)

【平成21年度措置】

第二に、医療機関が患者から採取した細胞について、別の医療機関において培養・加工を行った上で患者の診療に用いることが現行の医療法の下で可能であること及びその条件を明示し、周知徹底する。

【平成22年度結論】

これに加え、再生・細胞医療にふさわしい制度を実現するため、自家細胞と他家細胞の違いや、皮膚・角膜・軟骨・免疫細胞など用途の違いを踏まえながら、現行の法制度にとらわれることなく、臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする最適な制度的枠組みについて、産学官の緊密な連携の下に、検討する場を設け、結論を得る。



平成21年度より、「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」で検討。

「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」開催要項

1 開催の趣旨等

ライフサイエンスは、我が国のものづくりと科学技術の先進性を兼ね備えた分野であり、世界をリードできる先端科学技術の進歩の恩恵を国民が受けることができるよう、また我が国の優れた技術を国際的な舞台で活かしていけるよう、その発展に寄与する施策を講じていく必要がある。

この中で、再生医療といった新たな分野について、再生医療における共同での診療を行うためには、医療機関の間でどのような条件の下に行うことが望ましいか検討していくこととする。

また、再生医療製品を広く患者に提供するためには、どのような制度的枠組みがふさわしいか、その特性を踏まえつつ、検討していくこととする。

2 検討事項

- ① 医療機関が患者から採取した細胞について、別の医療機関において培養・加工を行った上で患者の診療に用いることが現行の医療法の下で可能であること及びその条件を明示し、周知徹底すること。 (21年度中)

- ② 再生医療にふさわしい制度を実現するため、自家細胞と他家細胞の違いや、皮膚・角膜・軟骨・免疫細胞など用途の違いを踏まえながら、現行の法制度にとらわれることなく、臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする最適な制度的枠組みについて、産学官の緊密な連携のもとに検討する場を設け、結論を得ること。 (22年度中)

3 構成員 (別紙)

4 運営

本会議の庶務は、厚生労働省医政局及び医薬食品局で行う。

議事は公開とする。

委員名簿

(五十音順、敬称略)

- 阿曾沼元博 国際医療福祉大学国際医療福祉総合研究所 教授
- 伊藤たてお 日本難病・疾病団体協議会代表
- 稲垣明弘 日本歯科医師会 常務理事
- 小澤洋介 株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング代表取締役社長
- 片倉健男 国立医薬品食品衛生研究所 スーパー特区対応部門
- 神山美智子 弁護士
- 木村壮介 独立行政法人 国立国際医療研究センター 病院長
- 澤芳樹 大阪大学大学院医学系研究科 外科学講座 心臓血管外科学 教授
- 鈴木和博 国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子細胞医薬部長
- 高杉敬久 日本医師会 常任理事
- 土屋文人 社団法人 日本薬剤師会 副会長
- ◎永井良三 東京大学大学院医学系研究科循環器内科 教授
- 花井十伍 ネットワーク医療と人権 理事
- 早川堯夫 近畿大学薬学総合研究所長
- 前川平 京都大学医学部附属病院 輸血細胞治療部 教授
- 武藤誠太郎 アステラス製薬株式会社 執行役員 研究本部副本部長
- 毛利善一 日本ケミカルリサーチ株式会社 取締役執行役員 開発本部長
- 森尾友宏 東京医科歯科大学・大学院・発生発達病態学分野・准教授, 細胞治療センター長
- 大和雅之 東京女子医科大学 先端生命医科学研究所 教授

◎は座長

再生・細胞医療に関する臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする制度的枠組みについて

平成 23 年 3 月 30 日

再生医療における制度的枠組みに関する検討会

はじめに

「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」においては、平成 21 年度「医療機関における自家細胞・組織を用いた再生・細胞医療の実施について」その要件等を取りまとめ、平成 22 年度は、

「再生医療にふさわしい制度を実現するため、自家細胞と他家細胞の違いや、皮膚・角膜・軟骨・免疫細胞など用途の違いを踏まえながら、現行の法制度にとらわれることなく、臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする最適な制度的枠組み」を検討事項として 6 回にわたり議論を行ってきた。

平成 22 年度の検討範囲としては、「共同での診療」の範囲を超えた、医療機関外の第三者が製品化する場合で、かつ、自己・同種細胞由来製品とも一定以上の細胞・組織の加工^注を行うものとした。

また、現行の薬事法、医療法といった現行の法制度にとらわれずに制度的枠組みについて検討するため、

- 有効性・安全性の評価、管理のあり方について
 - － 個別品目の承認審査・市販後安全対策が必要か
 - － 行政が承認審査を行うべきか
- 質の高い製品を迅速に開発する方策について
 - － 開発初期からの助言・相談について
 - － 確認申請のあり方
 - － 臨床研究・治験促進策
 - － 審査の迅速化・質の向上、評価の指針の明確化等
 - － その他必要な事項

を中心に議論していくこととした。

検討会では、21 年度中に行われた海外調査結果の報告、検討会委員、検討会オブザーバー、海外規制当局等から、上記検討事項を中心にヒアリングを行い、議論を行ってきた。

今般、検討会での議論を踏まえ、有効性・安全性の評価、管理のあり方、質の高い製品を迅速に開発する方策について提言として取りまとめたので報告する。

なお、再生・細胞医療に関する知見・技術は日進月歩であり、本検討会での様々な意見も踏まえ、引き続き国内外の情報を収集、評価すると共に、より再生・細胞医療に相応しい制度となるよう、本検討会の提言の見直しも含めフォローアップを行うことが必要である。

また 21 年度の「医療機関における自家細胞・組織を用いた再生・細胞医療の実施について」の中で、再生医療・細胞医療技術の共通的な事項として、医療

機関が確保すべき要件をとりまとめており、これについて、医療機関の他、国民に対してもわかりやすく周知するとともに、必要に応じ、更なる対応を検討することが求められる。

注) 疾患の治療や組織の修復又は再建を目的として、細胞・組織の人為的な増殖、細胞・組織の活性化等を目的とした薬剤処理、生物学的特性改変、非細胞・組織成分との組み合わせ又は遺伝子工学的改変等を施すこと。

目次

1. 有効性・安全性の評価、管理のあり方について	P4
2. 質の高い製品を迅速に開発する方策について	P5
(1) 開発初期からの PMDA による助言・相談制度の創設	P5
(2) 確認申請のあり方	P6
(3) 臨床研究・治験促進策	P7
(4) 審査の迅速化・質の向上、評価の指針の明確化等	P9
1) 相談・審査の迅速化・質の向上	P9
2) 評価指針・基準等の作成・明確化	P10
3) 患者数が極めて少ない医薬品・医療機器の審査 についての考え方	P10
(5) 開発支援について	P11
1) 希少疾病用医薬品・医療機器（オーファンドラッグ・ デバイス）の指定要件の柔軟な運用等	P11
2) ベンチャー企業支援	P12
(6) その他必要な事項	P12
1) 海外規制当局との連携	P12
2) 関係学会との連携	P13
3) その他	P13

1. 有効性・安全性の評価、管理のあり方について

- 欧米では、再生・細胞医療製品について、医療機関外の第三者が製品化する場合は、自己・同種細胞由来製品とも、薬事関連法に基づき、規制当局による個別承認が行われており、米国では生物製剤（biologics）又は医療機器として、EUでは医薬品の一つのカテゴリーとして規制されている。
- 本検討会では、再生・細胞医療製品について、個別品目の承認審査や安全対策が必要かどうか、必要な場合は行政がこれらの承認審査等を行うべきかについて議論を行った。
- 細胞の加工により、元となる細胞とは異なる性質を有し、自己細胞由来製品であっても処理工程に付随するリスク、品質の一定性のリスク等が存在することから、品目毎に承認審査や安全対策を行政が行うべきという意見が大勢であった。
- 一方で、再生・細胞医療製品のうち自己細胞由来製品の加工について、同種由来製品に比べ安全性が高いと考えられること、医師が患者の状態を見ながら医師主導で行われる医療であることから、医療法の政令 8 業務へ細胞加工業を追加し、医療法の枠内で施設認定する、又は、薬事法の枠内で医薬品・医療機器とは独立した新たなカテゴリーを創設し、第 I 相臨床試験において数例で安全性確認ができたなら速やかに製造販売承認を行い、加工プロセスを認可する制度とし、その後事後チェックを十分に行う体制とすべきではないかとの意見も出された。
- これに対し、自己細胞由来製品は安全で同種細胞由来製品は問題という理由はウイルス感染等の点を除けばなく、自己細胞由来製品であっても同種細胞由来製品と同様に、品目毎に安全性、有効性等をエビデンスに基づき議論することが必要である、問題が起こってからでは遅いので、事前に確認すべきことは確認する必要がある、医療行為と製品化は区別すべきで、品目の有効性・安全性等をいかに確保すべきかを考えた場合、品目毎に行政が承認等を行うことが必要、との意見が出された。
- これらの議論を踏まえ、本検討会では、我が国における再生・細胞医療製品の有効性・安全性の評価、管理については、自己細胞由来製品、同種細胞由来製品とも、品目毎に行政による承認審査、安全対策等が必要であることを確認した。
- 個別品目毎に品質、安全性、有効性を確認し、市販後の安全対策及び製造管理・品質管理を行政が行う点に関し、新しい法体系の下で行うか、薬事法の下で行うかについて、品目毎に行政による承認及び安全対策を行う点は現行の薬事法による規制体系と同じであることから、薬事法の下で行うことが現実的と判断した。

なお、自家細胞由来の医療に関しては、医師が治療法を決め、患者との契約において細胞を採取した段階で実質品目承認が行われており、薬事法で上乗せの品目承認は必要ではないのではないか、現行の薬事法は再生・細胞医

療を想定しておらず、自己細胞由来の再生・細胞医療製品の規制を行うことはできないとの意見も出された。

- また、評価を行う機関について、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）以外の機関をつくるべきとの意見も出されたが、新たな機関を指定／設立することは体制整備、質の確保などを考えると現実的ではなく、PMDAの審査・相談等の対応姿勢・質の向上を進めていくべきとした。
- なお、自己細胞由来、同種細胞由来製品は、元となる細胞由来のウイルス等の感染性因子の評価、管理の点等で異なることから、これまでも、「ヒト（自己）由来細胞や組織を加工した医薬品又は医療機器の品質及び安全性の確保について」、「ヒト（同種）由来細胞や組織を加工した医薬品又は医療機器の品質及び安全性の確保について」等の指針をその由来により分けるなどの取扱いを行ってきた。また、対象となる疾患、その重篤性などにより、個別製品の評価なども異なることから、これまでも、次世代医療機器評価指標（重症心不全細胞治療用細胞シート、角膜上皮細胞シート、角膜内皮細胞シート、関節軟骨再生）などを作成してきたところである。

その評価、管理手法等については、自己細胞、同種細胞など細胞の違い、対象・目的等の違いにより個別に判断することが必要である（2.（4）2）参照）。

2. 質の高い製品を迅速に開発する方策について

- 再生医療のいち早い実現化のため、文部科学省、厚生労働省、経済産業省は、文部科学省が新たな再生医療技術に関する基礎研究を推進する、経済産業省が再生医療の実現化を支える産業基盤を構築する、厚生労働省が再生医療の臨床研究の推進を行うといった、各省が協働で実施する「再生医療の実現化ハイウェイ」を平成23年度に予算に盛り込んだところである。これにより、3省が連続的に支援を実施することが可能な仕組みを構築し、基礎研究から臨床研究へのシームレスかつ迅速な移行を可能とすることで、再生医療をいち早く実現化することを目指しており、これらの取組みを着実に進めることが重要である。
- 本検討会では、製品の品質、安全性、有効性を維持しつつ、必要な製品が迅速に開発されるための制度改正、支援策などの方策について検討を進めた。

（1）開発初期からの PMDA による助言・相談制度の創設

- 再生・細胞医療製品の開発の早期段階は、我が国では研究者が主導して行われることが多く、品質、非臨床試験などを経て、「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」に基づく確認を受けて臨床研究が行われる。その後の製品開発を効率的に進めるためには、承認審査等を担う規制当局と開発早期の

段階から必要なデータ等について調整していくことが有用であるが、現在の PMDA の相談ではそのような相談を対象としたものは設けられていない。

- 欧米では、日本のように臨床研究、治験の区別が無く、開発初期の段階から行政による相談事業が実施されており、また相談料・アクセス面等から、開発者にとって相談が受けやすい取組みがなされている。
 - ・ FDA (Food and Drug Administration) : pre-IND (Investigational New Drug) 相談、pre-IDE (Investigational Device Exemption) 相談 (無料)
 - ・ EMA (European Medicines Agency) : 中小企業、先端医療製品は相談料の割引 (仏、独、英国でも相談事業を実施)
 - ・ PEI (Paul Ehrlich Institute) : イノベーションオフィスでの相談
- 我が国においても、再生・細胞医療製品の開発を促進するためには、PMDA が、製品の開発初期の段階から開発者に対し、薬事法での承認に必要なデータの範囲やその取得に向けての指導・助言を含めた相談事業を行うこと、また、特に再生・細胞医療製品の分野では、開発初期段階は研究者やベンチャー企業に関わることが多いことから、研究者やベンチャー企業が利用しやすいように相談料を安く設定すること等が必要であることを確認した。
- 本確認事項も踏まえ、厚生労働省は平成 23 年度予算にもり込まれた薬事戦略相談事業を事業化し、その活用を図ることが重要である。
- 薬事戦略相談では、現在の確認申請で行われている品質・安全性に関する事項だけでなく、治験のプロトコールの議論も合わせて行うこと、また、PMDA は相談を受付けた後の早い段階から、関係する専門家に意見を求め、対面で相談する場合は、相談者、PMDA、関係する複数の専門家が同席して議論し、相談の議事録は仮に意見が一致しない点はその旨を記載するなどして、関係者の合意の上で作成すべきである。

再生・細胞医療製品に関しては専門家が限られる場合が想定される。相談にあたって適切な専門家が PMDA の既存の専門委員に含まれていない場合は、新たな専門委員を追加するなどの対応も必要である (2. (6) 2) 参照)。なお、専門家が適切に選出されるよう、必要とされる専門性を考慮し、利益相反について透明性を確保することが重要である。

また、下記のように確認申請が薬事戦略相談により代替されることとなるが、スムーズな代替が行われるよう、厚生労働省は、確認申請との相違点を含め、薬事戦略相談について周知し、確認申請制度の廃止と薬事戦略相談事業の実施の間に空白期間が生じないように十分に留意すべきである。さらに、既に確認された品目及び確認申請中の品目の取扱いを明確にし、特に、確認申請と薬事戦略相談を重複して課すことのないよう十分に留意すべきである。

(2) 確認申請のあり方

- 再生・細胞医療製品に係る確認申請は、平成 11 年より導入された制度であり、人又は動物由来の細胞・組織を利用した組織工学・細胞治療技術の急速

な発展に対応し、このような治療技術に利用される人又は動物由来の細胞・組織を加工した医薬品・医療機器の品質及び安全性を確保することを目的としている。現在までに、13件が申請され、このうち9件が確認されている。

- 確認では、治験開始にあたっての必要データについて審査側と協議することができる等のメリットがある一方で、治験開始に近い確認申請時点でデータの不足が指摘された場合、新たなデータ取得に時間がかかり、開発が遅延する等の問題が指摘されている。
- また、確認申請は欧米にはない日本独自の制度であり、欧米では主に治験に先立つ事前相談で問題点を整理している。
- 確認申請については、
 - ・ 制度導入時と比較して経験が蓄積し、明確なリスクについては対応可能となっていること
 - ・ 「ヒト（自己）由来細胞や組織を加工した医薬品又は医療機器の品質及び安全性の確保について」、「ヒト（同種）由来細胞や組織を加工した医薬品又は医療機器の品質及び安全性の確保について」等の指針が整備されてきていること
 - ・ 薬事戦略相談の中で開発初期から相談を行うことで、確認申請で行われている品質、安全性の確認について、開発の早い段階から問題点を整理した上で得られたデータの確認を行うなど、前倒して実施することが可能となること

等を踏まえて、確認申請制度については廃止し、薬事戦略相談に代替することが適当であることを確認した。

- 治験開始に向け治験届が提出された際には支障なく治験実施が認められるよう、治験開始までに必要とされるデータ等について、もれなく薬事戦略相談を活用して事前に確認しておくように周知を図るべきである。併せて、治験届の際にデータ等が不足している場合は治験実施が認められないこともあらためて周知すべきである。なお、治験届の調査は30日となっているが、仮に調査に支障が生じるような場合は、行政機関が保有する情報の公開に関する法律を参考に、調査期間延長について条文に加えるなどの検討も必要ではないかとの意見も出された。
- また、治験前の品質及び安全性の確認にあたっては未知のリスクは排除しきれないものであるが、薬事戦略相談においても、経験を蓄積し、専門家と協議しつつ適切に対応し、その質的向上に不断の努力を傾注すべきである。

(3) 臨床研究・治験促進策

- 個別品目の有効性、安全性を評価するためには、臨床試験データは必須であり、臨床研究、治験の促進が重要である。
- 我が国においては、臨床研究には、研究計画の内容に応じて「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」、「臨床研究に関する倫理指針」等の各指針

が適用され、治験には医薬品・医療機器の臨床試験の実施の基準（GCP：Good Clinical Practice）が適用される。GCPでは、承認申請の資料として試験結果が利用されることから、モニタリング、監査、データの保管義務など、データの信頼性の確保に関する規定がより厳密となっている。

- 欧米では我が国のような臨床研究と治験の区別はなく、原則として臨床試験にはGCPが適用されている。また、GCP対応の臨床試験が可能なように、医療機関側の臨床試験実施体制が整備され、また、医療機関間のネットワークなどで、臨床試験の届出など必要な手続きについての支援体制や、研究費が充実している。
- 我が国においてすべての臨床研究にもGCPを適用してはどうかという意見もあるが、現状では欧米と同様に原則すべての臨床研究にGCPを適用するのではなく、臨床研究・治験の特色を生かしつつ進めることが効率的であるとの指摘もなされた。
- 我が国においては再生・細胞医療製品の開発は研究者主導で行われる場合が多く、それらのデータを可能な限り早期に承認申請に活用していくために、開発の方向性、仕様等が固まった段階から医師主導治験で行うことが効率的である。現状では、医療機関の実施体制が不十分、費用負担が大きい等の課題があるが、実施医療機関の体制整備費、治験薬の製造、プロトコール作成、データ管理業務、治験相談等の費用を補助する等の支援、さらには研究費の拡充を行うことで、医師主導治験が更に活用されることが必要である。
- 臨床研究であっても、保険併用の対象（第3項先進医療、いわゆる高度医療）とするには、高度医療評価会議の第三者によるチェックが必要となり、一定の科学性、データの信頼性が担保される。そのため臨床研究は速やかに高度医療または治験に移行し、高度医療は速やかに治験に移行することが望まれる。出口を見据えた開発を行うことが重要であり、高度医療のデータについても、薬事戦略相談等を利用して製品開発における位置づけを早期から明確にし、速やかな開発につなげるべきである。
- 文部科学省では平成23年度予算において、「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」を推進することとしている。全国7か所の大学等の研究機関に、GCPに準拠した臨床研究を行うための体制を整備するとともに、出口を見据え、医師主導の治験又は高度医療として臨床研究を実施することにより、必要なデータをより早く効率的に収集するなど、日本発の医薬品・医療機器等の迅速な開発を目指す。
- 厚生労働省では、世界に先駆けて臨床試験を実施し、日本発の革新的な医薬品・医療機器を創出することを目指し、「早期・探索的臨床試験拠点整備事業」により、早期・探索的臨床試験段階の支援を行うため、平成23年度予算に盛り込んだところであり、事業の円滑な実施が求められる。
- 我が国のGCPは国際的に調和されたICH-GCP（ICH：International Conference on Harmonisation of Technical Requirements for Registration

of Pharmaceuticals for Human Use) に基づいている。しかしながらその運用面においては欧米と比べて負担が多いとの指摘もある。厚生労働省ではこれまでも「治験のあり方に関する検討会報告書」(平成 19 年)等を踏まえ、治験契約の規定の見直しなどその改善を図ってきた。今後とも治験の実施状況を見つつ、必要な改善を検討していくことが必要である。

- 我が国の臨床研究／治験に患者が参加しやすくなるよう、治験に対する患者の理解普及、情報伝達が必要である。厚生労働省では、患者・国民に対する臨床研究・治験の普及啓発と、臨床研究・治験に関する情報伝達を改善するため、患者・国民への情報提供のためのポータルサイトとして臨床研究(試験)情報検索(Japan Primary Registries Network)を構築するなどの取組みを行ってきた。臨床研究・治験の透明性を確保し、被験者保護とその質が担保されるよう、引き続きこれらの取組みを進めていくことが重要である。
- また、臨床研究／治験ではインフォームドコンセントが必要である。適切なインフォームドコンセントが行われるよう、臨床研究／治験依頼者又は実施者は、必要な情報を医療関係者、被験者に届けることが必須である。

(4) 審査の迅速化・質の向上、評価の指針の明確化等

1) 相談・審査の迅速化・質の向上

- よりよい製品をより早く承認するためには、相談・審査体制の充実強化が必要である。PMDA は平成 19 年に再生・細胞医療製品等の審査を担当する生物系審査第二部を新設し、体制の強化を行ってきたが、引き続き薬事戦略相談を含めて、相談体制、審査体制の充実強化を行っていくことが必要である。
- 再生・細胞医療製品には新たな技術が用いられったり、新たな指標が利用されたりすること等から、人員の拡充だけでなく、評価にあたる審査官の人材育成も重要である。FDA では最新技術を習得するための特別の研修はないが、審査官が研究も行い、関連学会へ積極的に参加するなどにより最新技術への対応を図っている。PMDA は、審査員の関連学会への参加や医療現場での経験等により最新の研究状況を把握したり、可能な範囲で積極的な産学官の人事交流により、ベンチャー企業を含む企業等の開発現場のノウハウを理解したりするなど、研修事業を充実していくべきである。
- 再生・細胞医療製品については、米国では生物製剤あるいは医療機器、EU では医薬品の一分類として規制されている。我が国では米国と同様の考え方により医薬品か医療機器に分類して規制している。しかしながら再生・細胞医療製品によっては医薬品、医療機器に分類することが容易でないものもある。米国ではそのため、コンビネーションプロダクト課(Office of Combination Products)を設け、開発初期の段階から開発者の求めに応じて医薬品、生物製剤、医療機器の分類、審査担当センターの指定を行い、その後の開発、相談、審査が効率的に行えるよう取組んでいる。なお、複数のセ

ンターにまたがる場合は、担当するセンターに他の関係するセンターが協力し、相談、審査にあっている。我が国においても、今後の開発を支援するために、開発初期の段階から分類について相談を受け付ける相談窓口の設置を検討すべきである。

- また、相談・審査の迅速化、サービス向上のために、審査機関の競争原理を導入してほしいという意見も出され、PMDA は相談・審査の迅速化及び質の向上、サービス向上に更なる努力をしていく必要がある。

2) 評価指針・基準等の作成・明確化

- 再生・細胞医療製品は化学合成の医薬品や一般的な機械器具とは異なり、品質、安全性、有効性について既存の基準や評価を当てはめることが困難な場合があることが指摘されている。そのため例えば、自己細胞由来製品、同種細胞由来製品といった原料となる細胞の違い、皮膚・角膜・軟骨・免疫細胞など用途の違いを踏まえながら、再生・細胞医療製品の特性も考慮した評価指標、指針・基準の明確化が必要である。
- 厚生労働省ではこれまでも、品質・安全性の関連では、「ヒト（自己）由来細胞や組織を加工した医薬品又は医療機器の品質及び安全性の確保について」、「ヒト（同種）由来細胞や組織を加工した医薬品又は医療機器の品質及び安全性の確保について」、次世代医療機器評価指標（重症心不全細胞治療用細胞シート、角膜上皮細胞シート、角膜内皮細胞シート、関節軟骨再生）などを作成してきたが、未だ不十分であるとの指摘がある。評価指針・基準等の作成により再生・細胞医療製品の品質・安全性等について考え方を明らかにすることが、その開発計画の策定にも資することから、ES、iPS 細胞由来製品など原料となる細胞や、歯根膜など対象分類に応じた、評価指針等の作成を迅速に進めていくことが必要である。なお、評価指針・基準等の運用にあたっては、その時点での学問の進歩を反映した合理的根拠に基づき、ケースバイケースで柔軟に対応することが必要である。

3) 患者数が極めて少ない医薬品・医療機器の審査についての考え方

- 米国では対象患者数が 4 千人以下の医療機器について、人道的使用医療機器免除規定（HDE：Humanitarian use Device Exemption）がある。この規定では、まず申請に基づき人道的使用医療機器（HUD：Humanitarian Use Device）として指定を受け、必要なデータ収集がなされた後、HDE 承認審査においては、他の治療法や医療機器がないこと、不合理なあるいは重大なリスクが生じず、予想される便益（Probable Benefit）がリスクを上回ると判断される場合、有効性の要件（有効性を証明する科学的に確実な臨床試験（scientifically valid clinical investigations）結果）が免除される。なお、承認後は治験審査委員会（IRB：Institutional Review Board）のある施設で IRB の承認が必要などの制限がある。

- 我が国では HDE という制度はないが、米国において HDE で承認された同一の医療機器を追加の臨床試験無く審査を行った例があるなど、日本国内での臨床試験だけでなく、海外での臨床試験成績やその他の情報、市販後の安全対策などを総合して、リスクベネフィットの判断を行い、承認の可否を決定している。
- 再生・細胞医療製品では、対象患者数が極めて少ないものが多いと考えられることから、患者数が極めて少ない医薬品・医療機器について審査の考え方を以下のように整理した。

患者数が極めて少ない医薬品・医療機器の審査についての考え方

- 薬事法において医薬品や医療機器は、その使用によるベネフィットがリスクを上回ると判断される場合に承認される。その評価には、臨床試験成績は必須であるが、医薬品又は医療機器によっては対象となる患者数が少ないため、大規模な臨床試験が実施困難な場合がある。このような場合は、我が国において実施可能な臨床試験を行い、その結果や、海外臨床試験成績その他の情報、市販後の情報収集計画や安全対策、疾患の重篤性、既存療法との比較等を含めて、リスクベネフィットをケースバイケースで総合的に評価する。
- なお、臨床試験の患者数や実施方法などについては、対象疾患、対象患者など個々の製品により異なることから、個別に PMDA の治験相談などで意見交換し、確認することが必要である。
- 市販後の対策としては、例えば、製造販売後臨床試験、全症例の登録による製造販売後調査、有効性・安全性のデータを引き続き収集中であること等について医療関係者や患者への情報提供などが考えられる。これらを必要に応じ承認条件として付すことで、市販後の情報収集、医療関係者、患者への情報提供、必要な対策を迅速にとると共に、保健衛生上の危害防止を図ることとする。

(5) 開発支援について

1) 希少疾病用医薬品・医療機器（オーファンドラッグ・デバイス）の指定要件の柔軟な運用等

- 希少疾病用医薬品・医療機器については、指定を受けることにより、優先的な治験相談・審査の実施、申請手数料の減額、再審査期間の延長、試験研究費への助成金の交付、税制措置上の優遇措置を受けることが可能となり、その開発を促進している。
- 希少疾病用医薬品・医療機器の指定においては、①対象患者数が本邦において 5 万人未満であること、②難病等、重篤な疾病を対象とするとともに、ア) 代替する適切な医薬品等又は治療方法がないこと、又は、イ) 既存の医薬品等と比較して、著しく高い有効性又は安全性が期待されるなど、特に医療上の必要性の高いものであること、③対象疾病に対して当該医薬品を使用する理論的根拠があるとともに、その開発に係る計画が妥当であるとみとめられることの 3 点を指定要件としている。

- このうち「開発の可能性」に関して、医薬品では海外での臨床試験成績を含めて探索的試験結果をもとに判断することが一般的である。
- 再生・細胞医療製品については、第Ⅰ相から第Ⅲ相といった臨床開発のステージを明確に分けることが困難となる場合が考えられるため、画一的な取扱いをせず、指定にあたっての開発の可能性の取扱いについては柔軟な運用が必要である。
- さらには再生・細胞医療製品は希少疾病等を対象としたものが多いと考えられ、その開発を促進するために、希少疾病用医薬品・医療機器を開発するための試験研究費の助成金の充実などを進めていくべきである。

2) ベンチャー企業支援

- 米国ではベンチャーキャピタルなどがベンチャー企業の活動を広く支援しているが、我が国ではこれらの活動が活発ではない。
- 我が国では、産業革新機構が投資を中心とする活動を通じて、次世代産業・新興企業の育成と蓄積、既存企業の革新を通じた次世代産業の成長をめざした事業を行っている。再生・細胞医療製品関係ベンチャーへの投資インセンティブを促すような基盤整備等が必要である。
- 多くの創薬ベンチャーについては、単に資金だけの問題ではなく、事業化プロセスのグランドデザイン、治験プロトコル設計、資金調達時の事業計画、知的所有権の範囲とその帰属についての検討が十分になされていないなどの課題があるとの見解が産業革新機構から示された。一方、それらの指導を含めて対応することが産業革新機構に求められるものであり、対応が不十分ではないかとの意見も出された。
- また、将来的に事業として育ち、グローバルに展開していくようなものへの投資を行うことも求められる。
- 特に、再生・細胞医療製品の分野では開発初期段階は研究者やベンチャー企業に関わることが多いことから、経済面等からベンチャー企業等がPMDAの相談を受けやすい制度を検討すべきである。(2. (1) 参照)

(6) その他必要な事項

1) 海外規制当局との連携

- 本検討会では米国FDA、独国PEI、仏国AFSSAPS (Agence Francaise de Securite Sanitaire des Produits de Sante) から専門家を招聘し、海外での取組み等を聴取した。再生・細胞医療製品についてはFDA、EMAなど海外規制当局も必要な基準等の整備を進めているところであり、我が国を含めた関係国との情報交換等が進められている。今後、海外規制当局とも協調しつつ必要な基準等の作成を進めていくべきである。
- 我が国はFDA、EC/EMAなどと医薬品等の守秘情報に関する協力を結んでおり、これまでも医薬品、医療機器の審査、安全性情報の交換を行って

いる。再生・細胞医療製品についてもこの協力の下で審査、安全性情報の迅速な交換を進めていくべきである。

2) 関係学会との連携

- 再生・細胞医療製品については開発初期の段階では主に研究者により開発が進められる。これらの製品開発を進め、また、PMDAによる相談・審査が円滑に進められるためには、開発状況、懸念点の把握や共有が重要であり、そのための関係学会と規制当局との意見交換の場を設けることが有用である。
例えば、PMDAは日本再生医療学会と関心事項について継続的に意見交換を行うことで合意し、すでに意見交換を開始しており、このような取組みを積極的に行っていくことが重要である。
- 再生・細胞医療製品の多くは対象患者が少なく、また、治療に関わる専門家も限られる。薬事戦略相談、治験相談（申請前相談含む）、承認申請後の専門協議において、必要とされる専門家を確保していくため、専門家の把握とPMDAのプール委員の人材の育成を学会と連携して進めるべきである。

3) その他

- 質の高い再生・細胞医療製品の实用化のためには、企業、医療機関、学会、行政等の関係者すべてが、科学技術の進展等に対応できるよう、努力を重ねること必要であるとともに、我が国の技術が国際的にも広く発信できるよう、イノベーションを促進する支援体制の整備が求められる。
- 承認取得がゴールではなく保険収載までが製品開発のパッケージであることを認識すべきである。

「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」委員名簿

座長	永井良三	東京大学大学院医学系研究科循環器内科 教授
	阿曾沼元博	国際医療福祉大学国際医療福祉総合研究所 教授
	伊藤たてお	日本難病・疾病団体協議会代表
	稲垣明弘	日本歯科医師会 常務理事
	小澤洋介	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング 代表取締役社長
	片倉健男	国立医薬品食品衛生研究所 スーパー特区対応部門
	神山美智子	弁護士
	木村壮介	独立行政法人 国立国際医療研究センター 病院長
	澤芳樹	大阪大学大学院医学系研究科 外科学講座 心臓血管外科学 教授
	鈴木和博	国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子細胞医薬部長
	高杉敬久	日本医師会 常任理事
	土屋文人	社団法人 日本薬剤師会 副会長
	花井十伍	ネットワーク医療と人権 理事
	早川堯夫	近畿大学薬学総合研究所長
	前川平	京都大学医学部附属病院 輸血細胞治療部 教授
	武藤誠太郎	アステラス製薬株式会社 執行役員 研究本部副本部長
	毛利善一	日本ケミカルリサーチ株式会社 取締役執行役員 開発本部長
	森尾友宏	東京医科歯科大学・大学院・発生発達病態学分野・准教授, 細胞治療センター長
	大和雅之	東京女子医科大学 先端生命医科学研究所 教授

iPS細胞/ES細胞を用いた移植医療

京都大学 iPS細胞研究所

Center for iPS Research and Application (CiRA)

青井 貴之

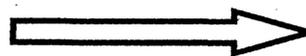


2011/5/20

第1回医薬品・医療機器薬事戦略懇談会

(於 東京)

臓器不全：多くの死亡、QOLの低下



再生医療の必要性

肝疾患 (肝癌を除く)	16,268
腎不全	22,517
心不全	62,708
糖尿病	14,462
悪性新生物	342,963
総死亡数	1,142,407

(平成20年度 厚労省)

肝移植
5千(累計)

腎移植
5~600/年

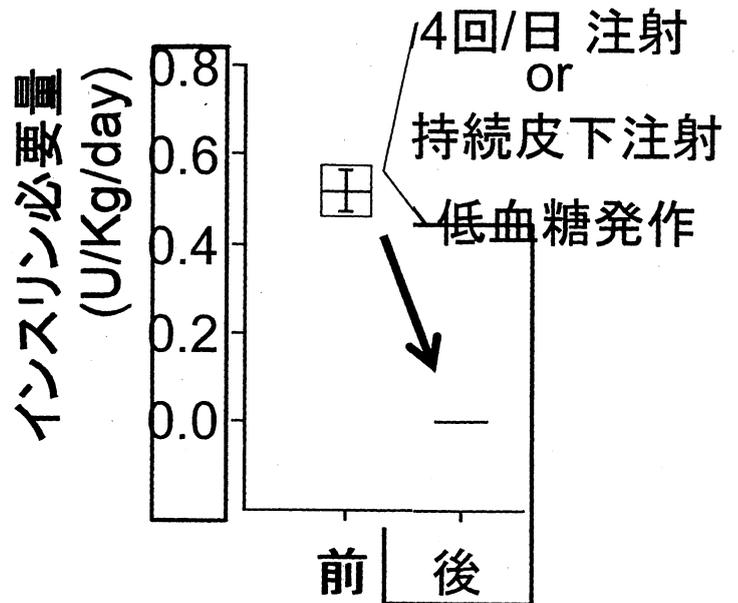
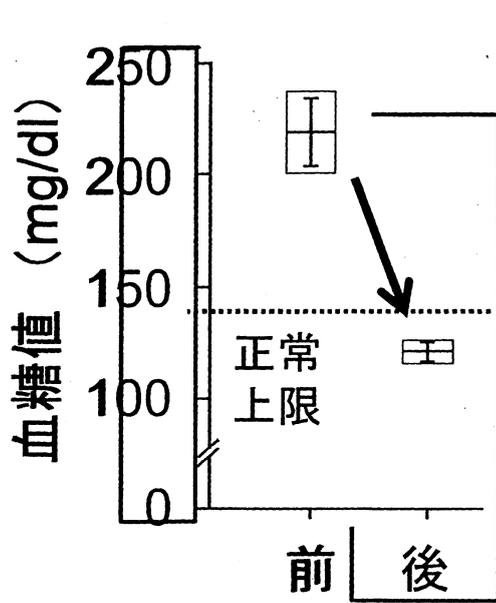
脊髄損傷 5千/年
 糖尿病患者
 850万
 糖尿病関連の失明
 4千/年
 糖尿病性腎症による
 透析導入
 1.5万以上/年

ラ氏島移植
17(累計)

移植は強力な治療効果を期待できる

1型糖尿病

病態: インスリン分泌↓
治療薬: インスリン皮下注射



Shapiro et al.
NEJM, 2000

ラ氏島移植

ラ氏島移植

移植は強力な治療効果を期待できる

原発性胆汁性肝硬変

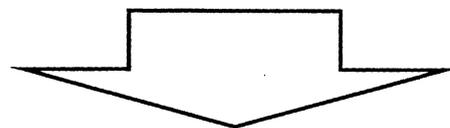
原発性硬化性胆管炎

病態: 不明

不明

治療薬: 軽症のみ

有効性証明(一)



肝移植 388症例
5年生存率 76.2%

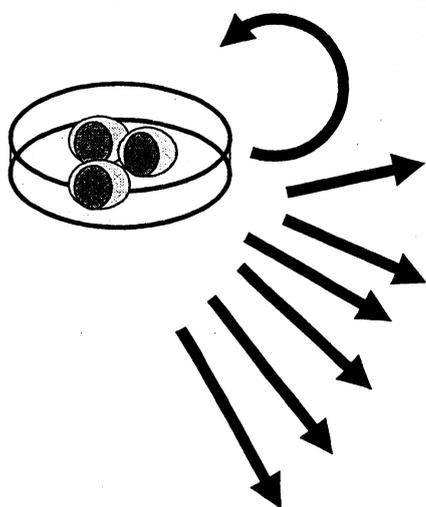
112症例
70.1%

日本肝移植研究会 肝移植症例登録報告(2008)

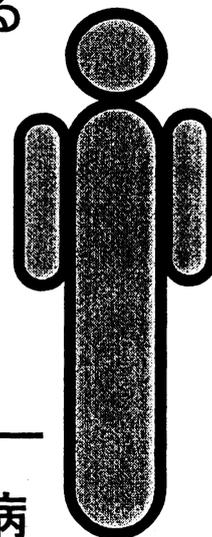
iPS細胞/ES細胞を用いた移植・再生医療

iPS細胞ES細胞: 多能性幹細胞

いくらでも増える
何にでもなれる



- 運動神経 → 脊髄損傷
- 心筋細胞 → 心不全
- B細胞 → 糖尿病
- 肝細胞 → 肝不全
- 骨格筋 → 筋ジストロフィー
- ドーパミン産生神経 → パーキンソン病



患者さん

従来の臓器移植の問題点、限界、を回避できる可能性
(ドナー不足、ドナーの侵襲、提供不能組織)

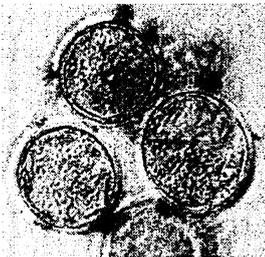
多能性幹細胞と体細胞初期化の歴史

- | | | |
|-------|------------------|------------------------------|
| 1966年 | クローンカエル | 細胞の運命変更(初期化)
(腸上皮が全身の細胞に) |
| 1981年 | マウスES細胞 | 多能性幹細胞
(培養細胞が全身の細胞に) |
| 1997年 | クローン羊ドリー | 哺乳類体細胞の初期化
(乳腺上皮が全身の細胞に) |
| 1998年 | ヒトES細胞 | ヒトES細胞
(ヒト多能性幹細胞) |
| 2006年 | マウスiPS細胞 | マウスiPS細胞
(胚を用いず多能性幹細胞) |
| 2007年 | ヒトiPS細胞 | ヒトiPS細胞
(胚を用いずヒト多能性幹細胞) |
| 2010年 | ヒトES細胞を用いた臨床試験開始 | |

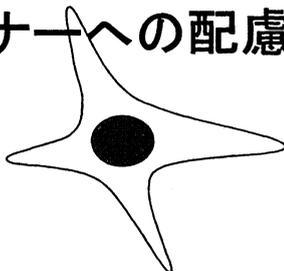
ヒトES細胞を用いた臨床試験

	GERON	ACT
対象疾患	亜急性期脊髄損傷	スタガルト病
ヒトES細胞	H1 クリーンアップ等により臨床応用グレードを保証	自社MA09
被験細胞	GRNOPC1 (オリゴデンドロサイト前駆細胞)	MA09-hRPE (網膜色素上皮細胞)
前臨床試験	げっ歯類モデル 嚢胞/腫瘍形成確認 投与後1年観察 結果:極少量の嚢胞形成を確認	げっ歯類モデル 嚢胞/腫瘍形成確認 全生存期間観察 結果:安全性、視覚改善効果を確認
臨床試験デザイン	第I相、7施設、 症例数:10症例 細胞投与数200万個	第I相/第II相、4施設 症例数:12症例 細胞投与数20万個程度

胚(受精卵)

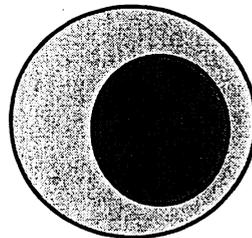


倫理的問題
ドナーへの配慮

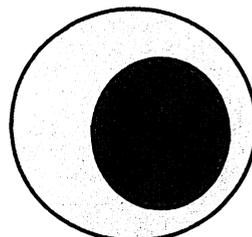


体細胞

ES細胞



{ 何にでもなれる
いくらでも増える



iPS細胞

移植後の懸念

目的外細胞種
目的外部位への
生着

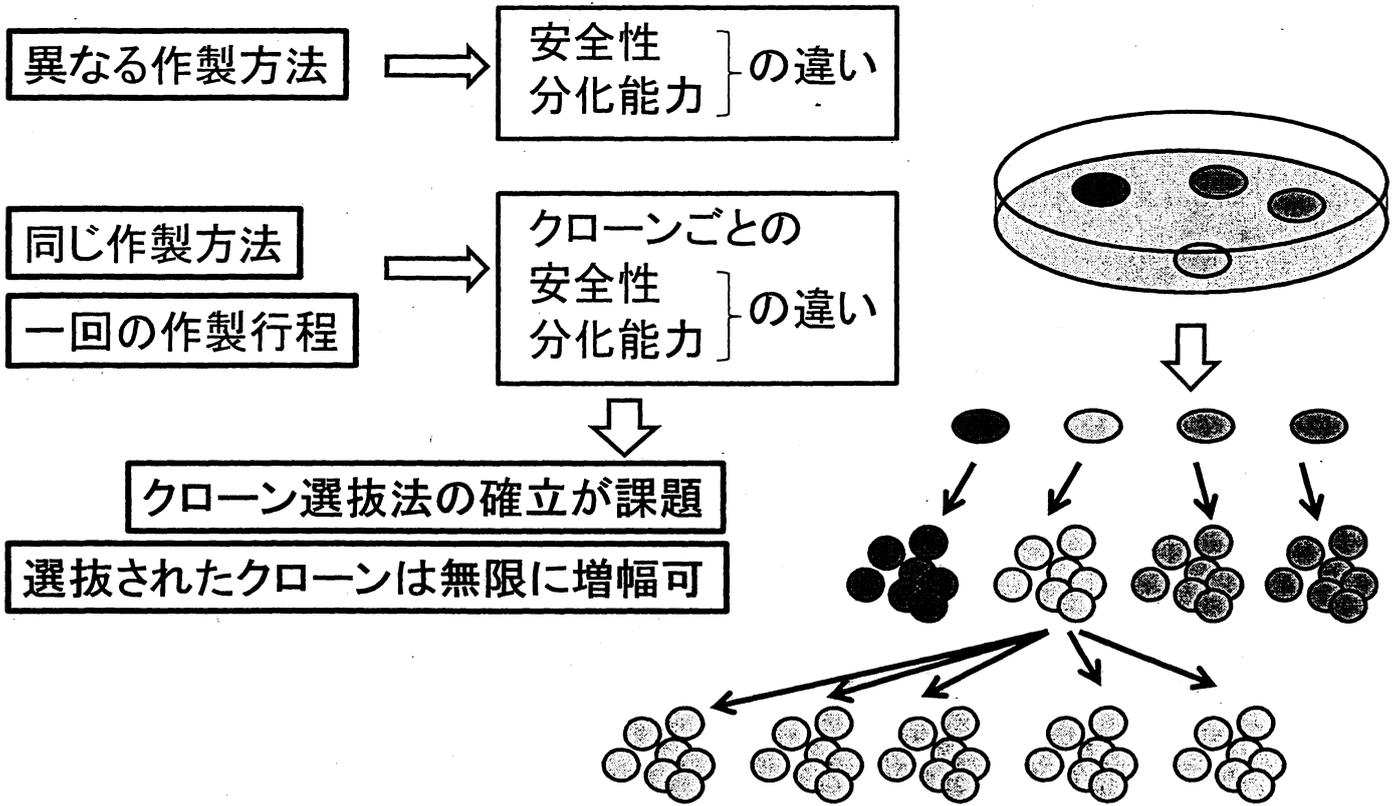
↑
↓
造腫瘍

悪性腫瘍
良性腫瘍
過形成等

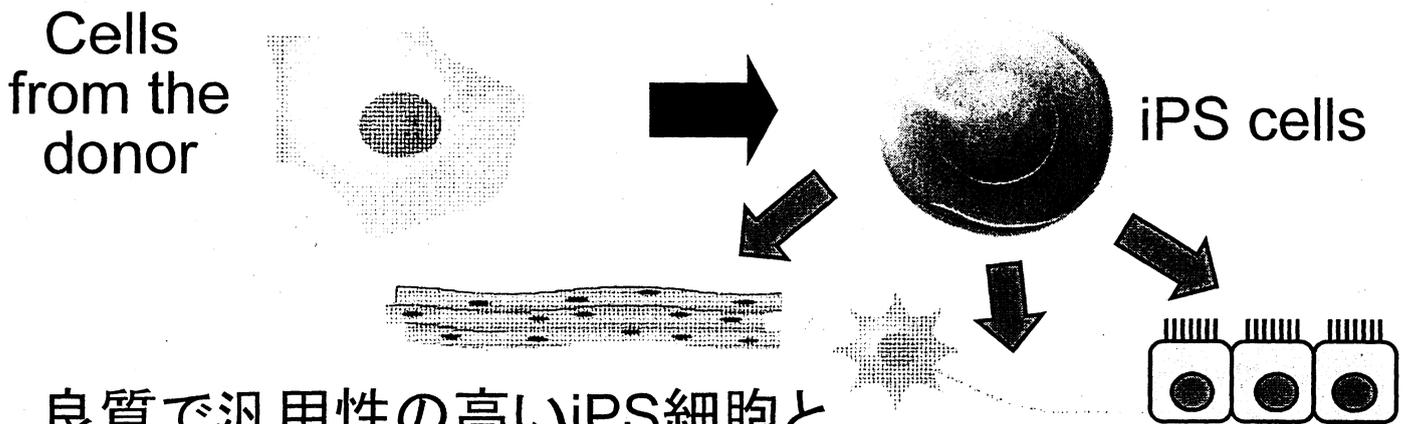
* ES/iPS細胞ともに、人工的な細胞。

(発生過程および成体のいずれにも存在しない)

ES細胞/iPS細胞の多様性



iPS cell Bank

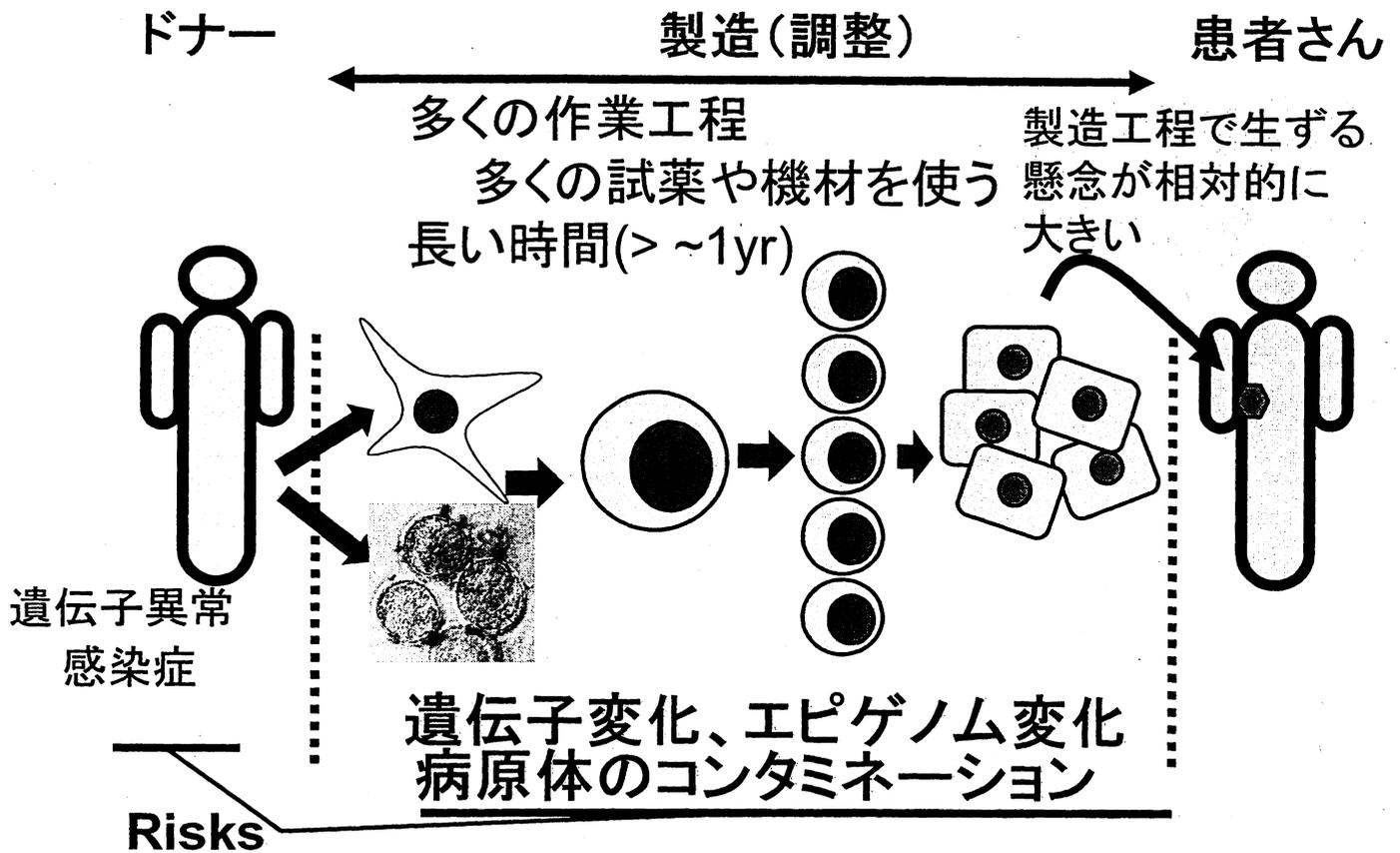


良質で汎用性の高いiPS細胞と
そこからの分化細胞を多量に作りバンキングしておく

利点: 患者さんあたりのコストが低い
急性期疾患に適応可能(脊髄損傷など)
徹底的な品質評価可能

HLA3座ホモ

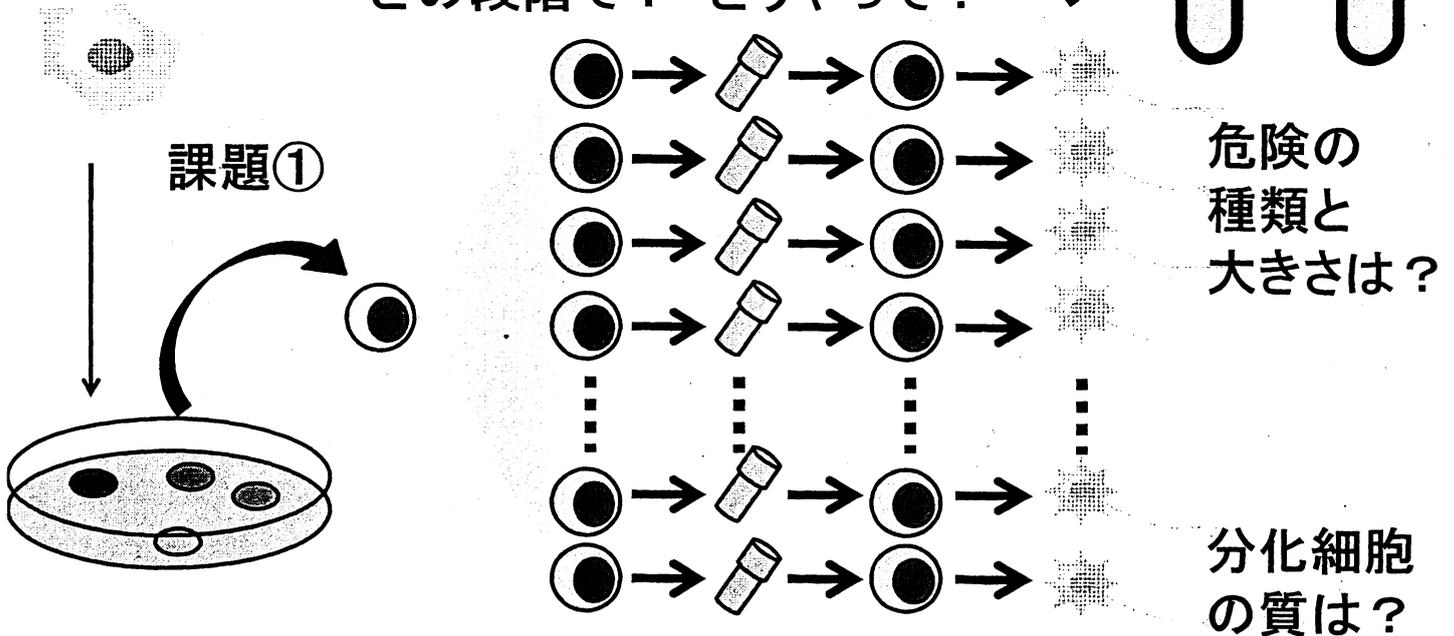
iPS細胞を用いた再生医療における危険性



課題① 良いクローンをどうやって選ぶ？

- ・「良いクローン」とは？
- ・それを選び出すには？

どの段階で？ どうやって？

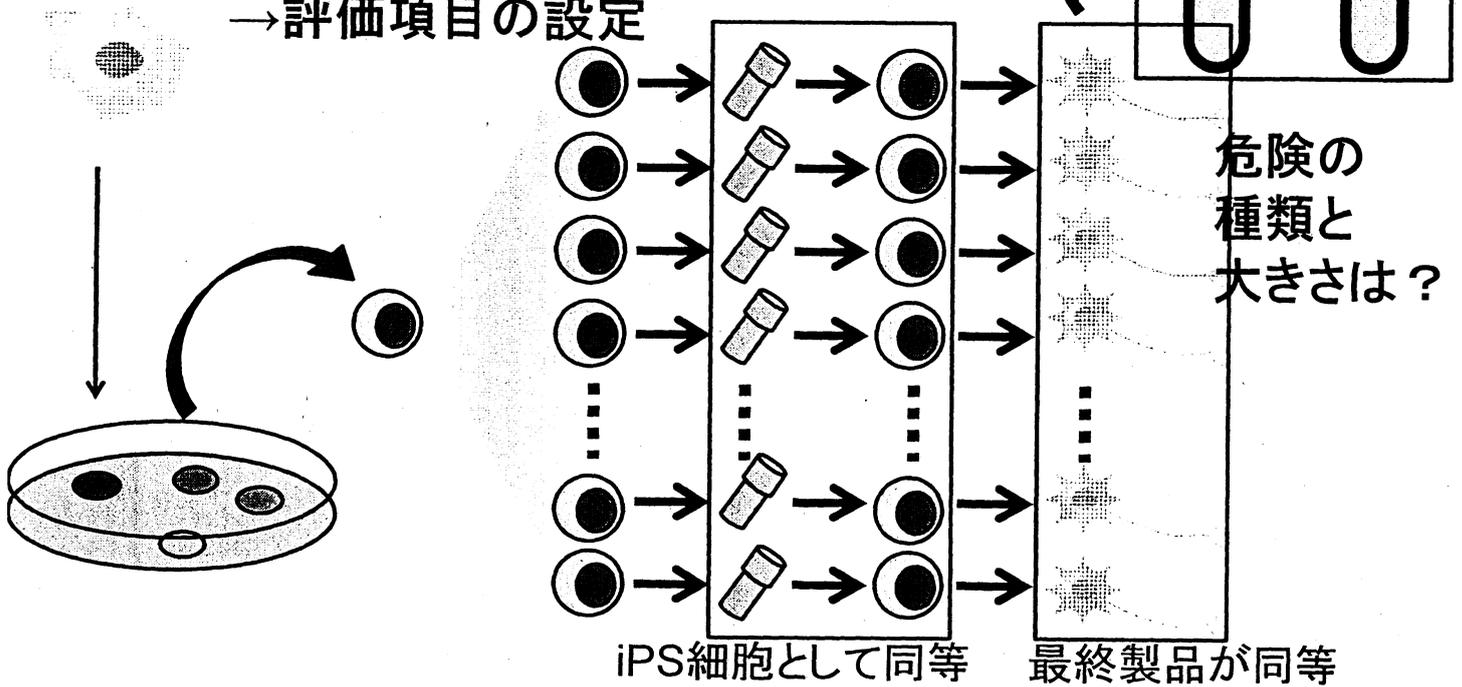


課題② 適切に増やし保存する

・「適切であるとは？」

→「良いクローン」を維持する方法

→評価項目の設定

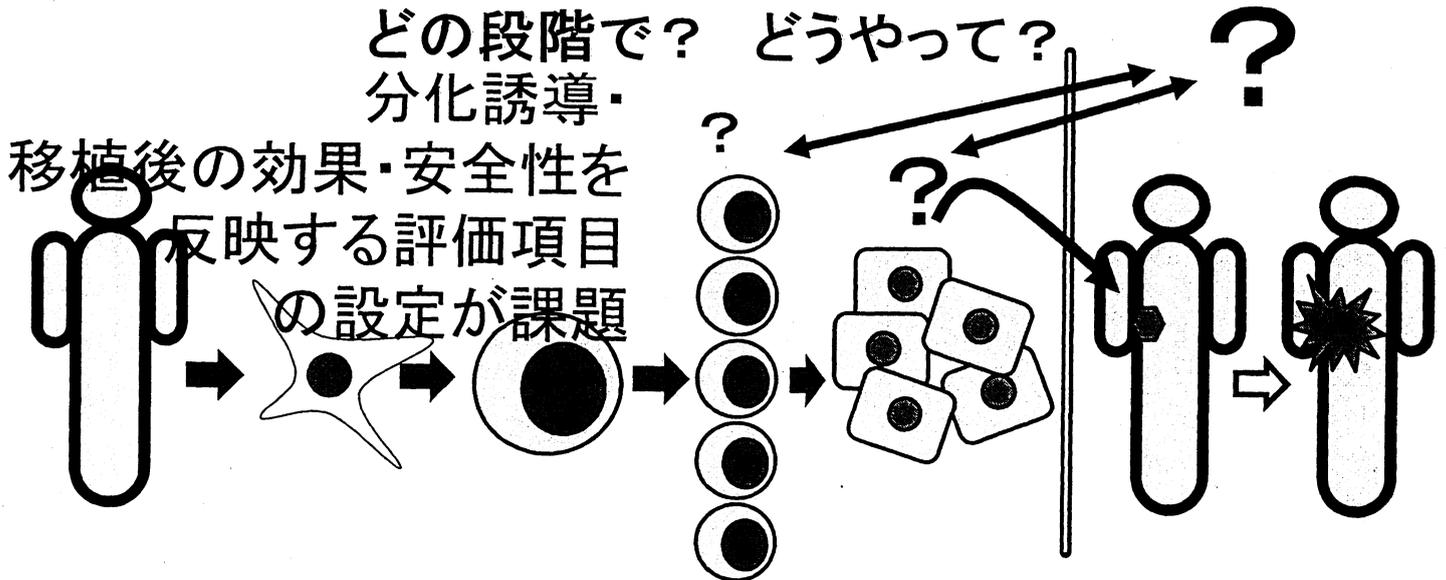


iPS細胞の評価・選抜

どの段階で？ どうやって？

分化誘導・

移植後の効果・安全性を
反映する評価項目
の設定が課題



ヒト移植後の安全性反映	弱	強
コストと時間	小	大
充分量のサンプル採取	易	難

「良いクローン」

目的の分化細胞になりやすい
分化細胞の安全性が高い

iPS細胞と呼んでよい

ヒトへ投与するもの
の材料として適切

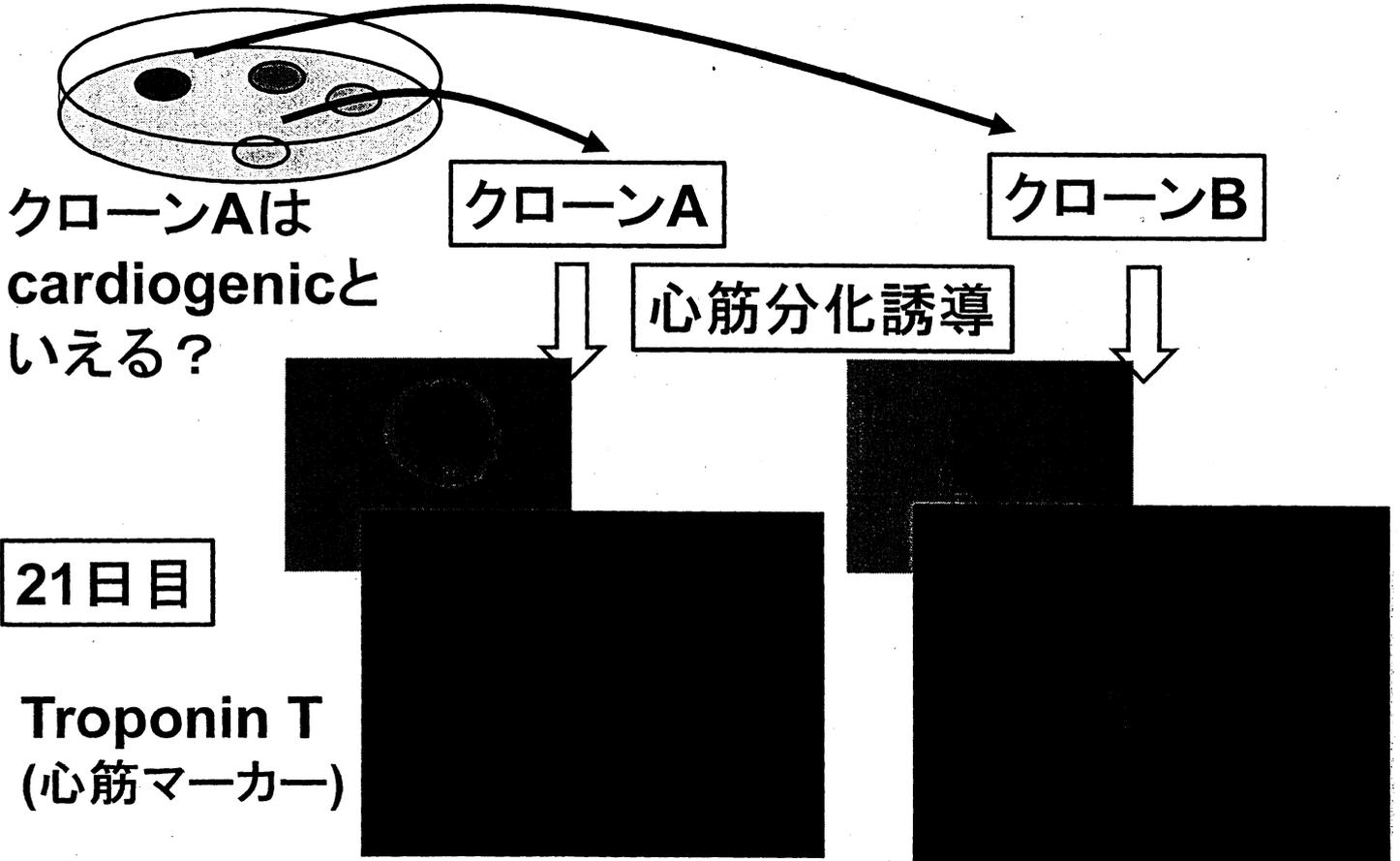
Minimal requirement
を早く決めてしまうべき
“足切りの標準化”
(規格設定の項目)
「権威付け」

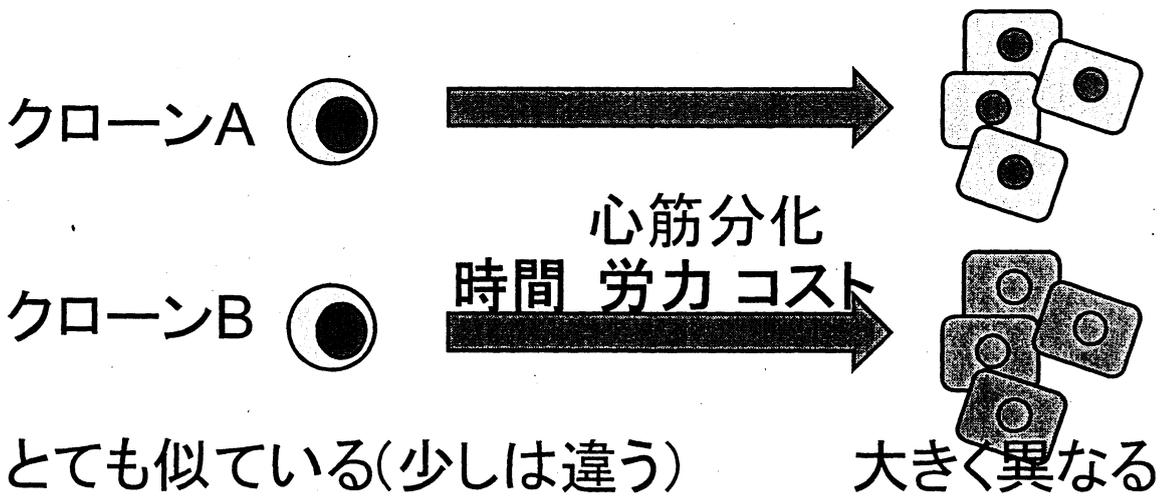
汚染が無い

材料が明らか

生物由来は注意

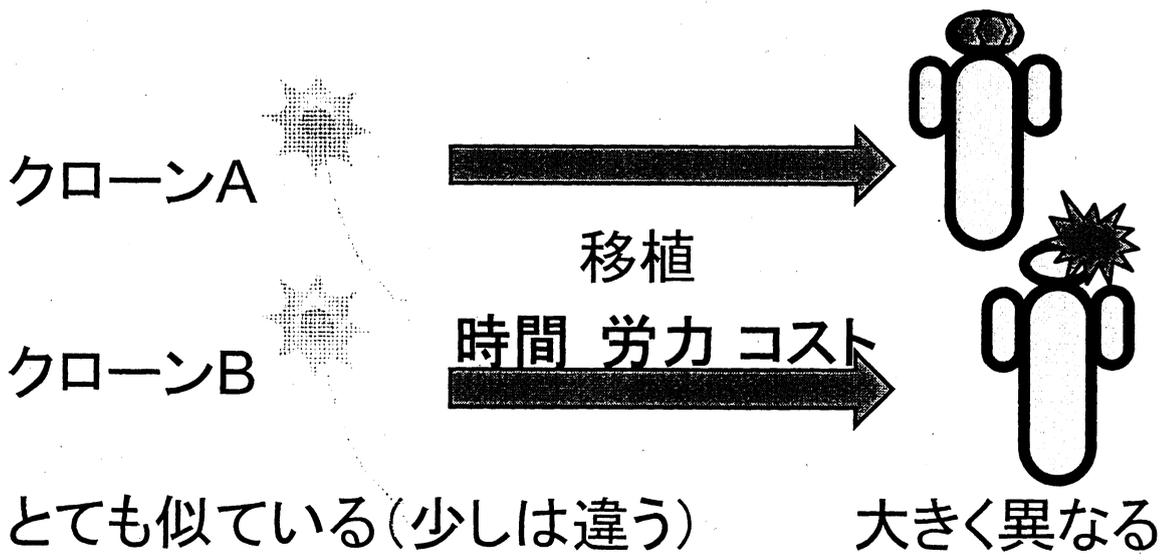
iPS細胞の多様性 (クローンごと)





- 形態
- 遺伝子発現
- DNAメチル化

有意な違い(マーカー)の探索が課題！



- 形態
- 遺伝子発現
- DNAメチル化

有意な違い(マーカー)の探索が課題！

iPS細胞/ES細胞の臨床応用に向けた問題点

- 従来の医薬品・医療機器と異なる点が多い
- 従来の組織加工医薬品・医療機器とも異なる点多い
- 基礎科学的に発展途上(評価法設定等)
- アカデミア中心の研究、開発 (薬事対応の経験不足)
⇒規制当局との十分な相談が必須
相談制度

相談の担い手(=PMDA)の自立・充実・安定

経費の適切な負担者は？

⇕ 両立？

開発者への資金援助 vs 相談費減免

(公的 or 私的)

開発を目指す者が均等に負担 vs 開発成功者が厚く負担

(医開発成功数の見積もりは？)

(実績ある従来の医薬品・医療機器との区分けすべき？)

医療機器に対する国民の意識

・調査方法：インターネット調査(株式会社マクロミル利用)

・調査地域：全国

・調査対象者：20～69歳男女

・調査対象者数：5155名

(人口構成比に準じた性別・年代割付)

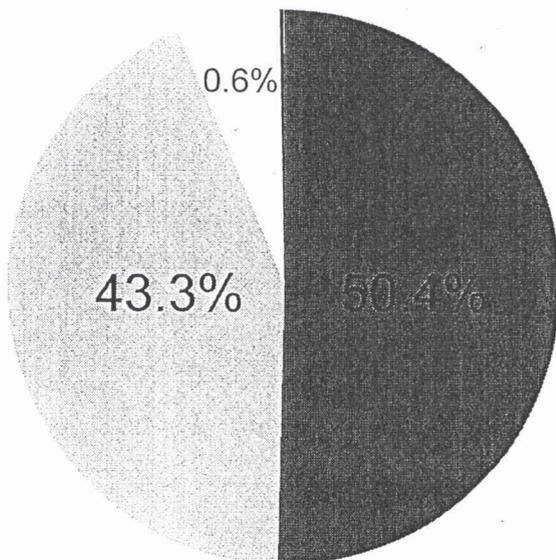
	男性	女性
20代	478	460
30代	565	551
40代	482	476
50代	578	587
60代	471	507
合計	2574	2581

・調査実施期間：

2011年3月8日(火)～3月9日(水)

88 NCVC

医療機器の必要性

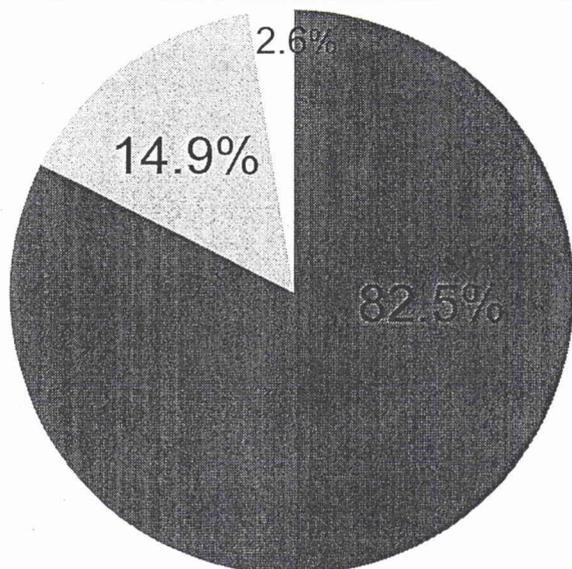


- とても高まっていくと思う
- やや高まっていくと思う
- 今と変わらない
- やや低くなっていくと思う
- とても低くなっていくと思う

約94%が医療機器の必要性が高まると予想

88 NCVC

医療機器の自給率



■ 積極的に国産品を増やして自給率を上げていくべきだと思う

■ 現状を維持していけばよいと思う

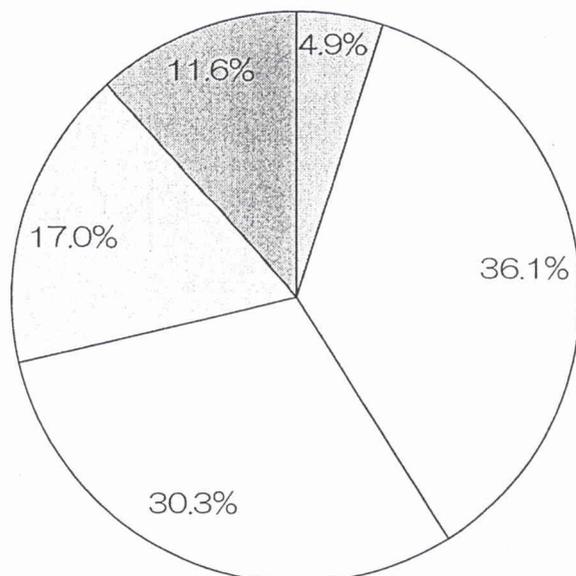
■ 輸入品が増えて自給率が下がってもよいと思う

約83%が医療機器の自給率向上を支持

88 NCVC

Q3. 医療機器の承認

[Q3] 医療機器が国から認められた製品であることを知っていましたか？

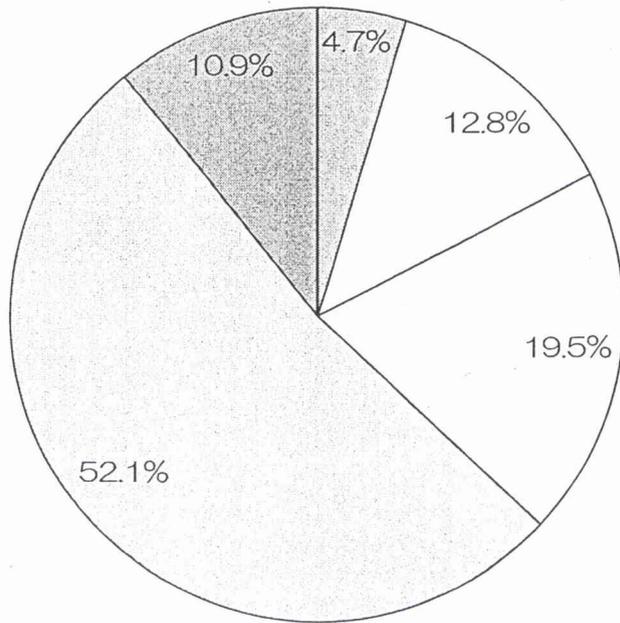


- 非常に詳しく知っていた
- やや知っていた
- あまり知らなかった
- ほとんど知らなかった
- 全く知らなかった

88 NCVC

Q4. 医療機器の審査期間

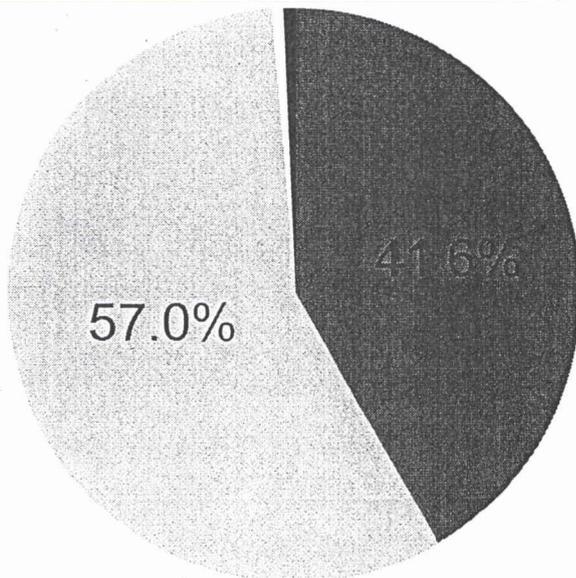
[Q4]医療機器の審査期間についてどう思いますか？



- 審査の慎重さを重視して、積極的に長くするべきだと思う
- 審査の慎重さをやや重視して、徐々に長くするべきだと思う
- 今と変わらなくてよいと思う
- 新しい製品を早く使うことをやや重視して、徐々に短くするべきだと思う
- 新しい製品を早く使うことを重視して、積極的に短くするべきだと思う

 **NCVC**
National Center for Consumer and Occupational Safety

企業への期待

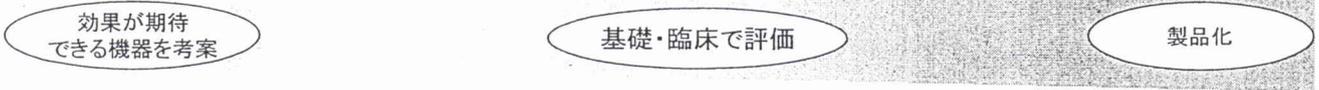
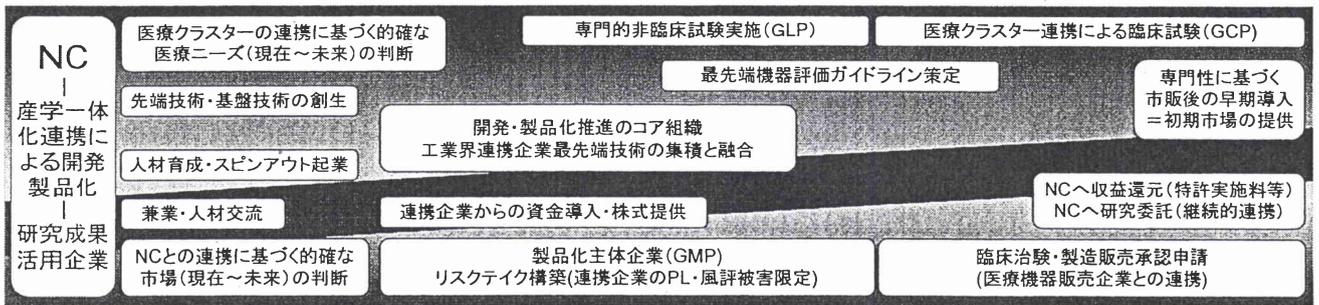
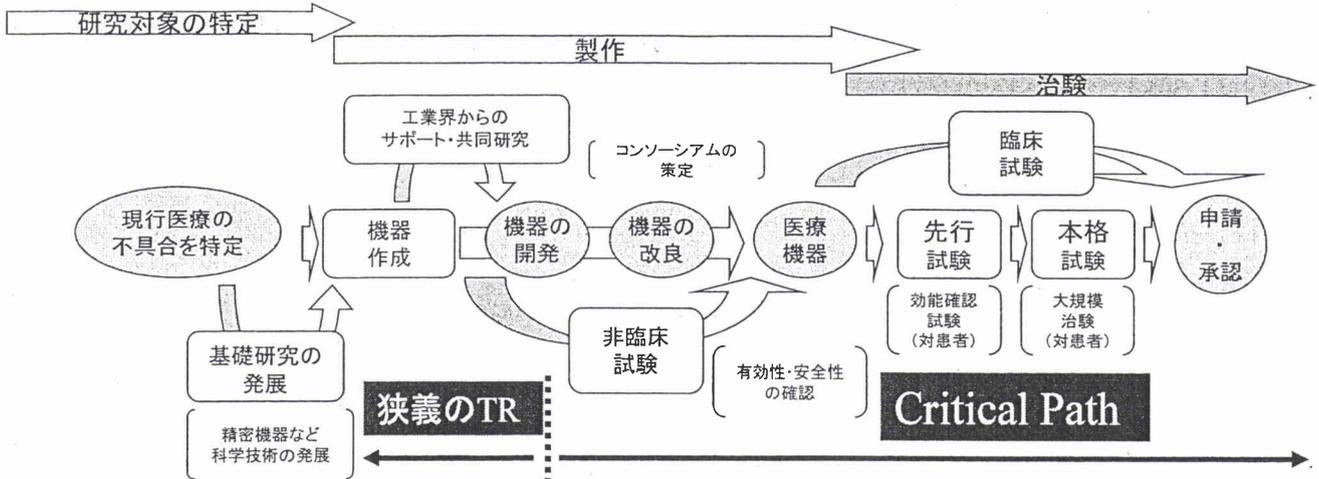


- 積極的に応援したい
- まあまあ応援したい
あまり応援したくない
- 無関心である

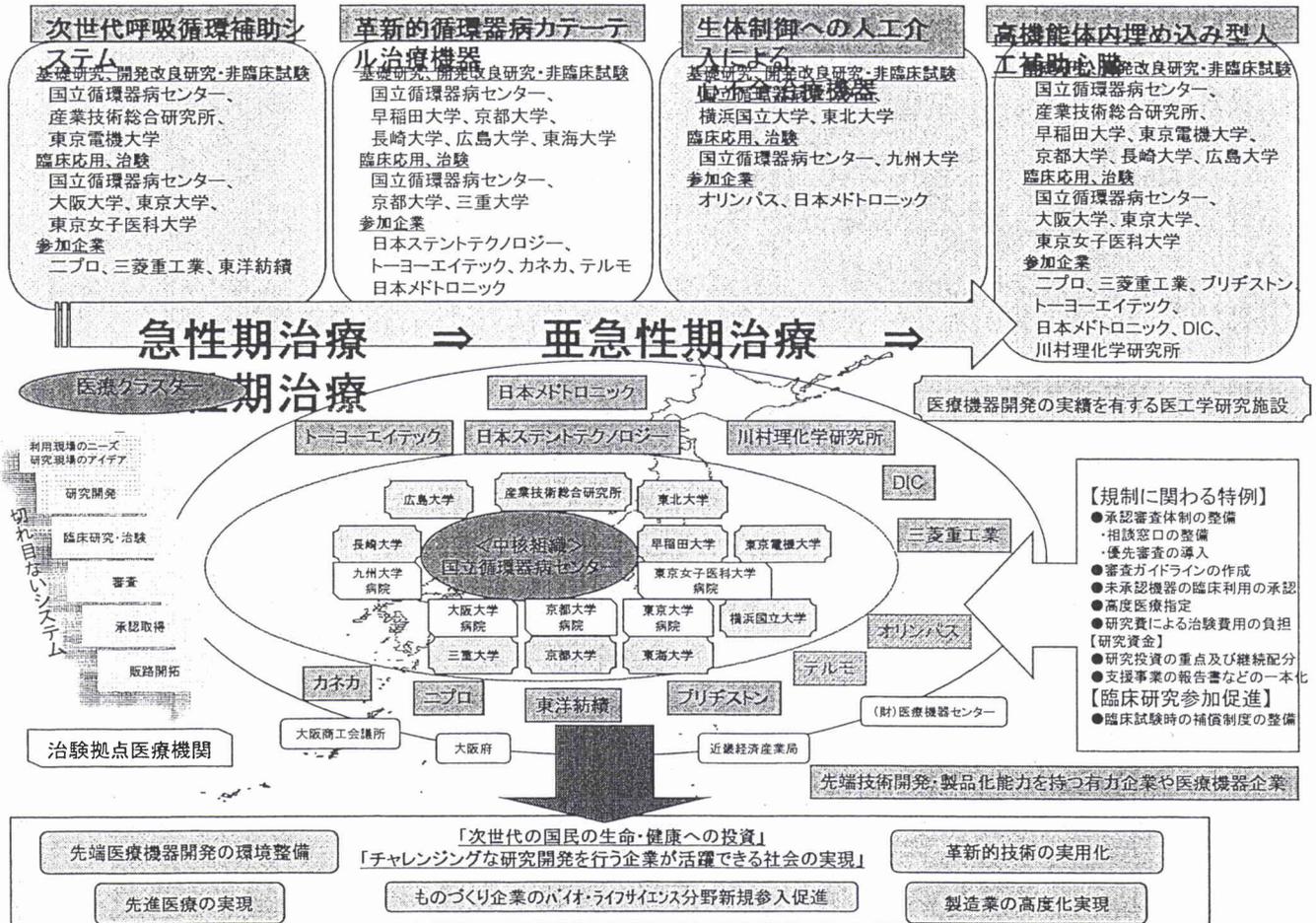
約99%が日本の医療機器関連企業を支持

 **NCVC**
National Center for Consumer and Occupational Safety

研究開発のプロセス(医療機器の場合:イメージ)



先端的循環器系治療機器開発特区



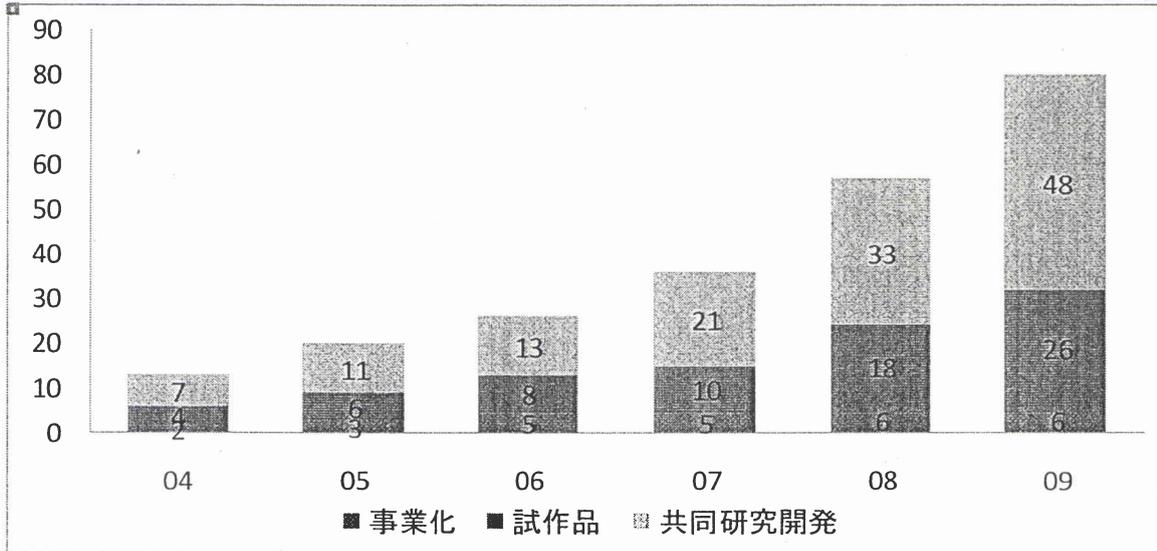
次世代医療システム産業化フォーラム (主催:大阪商工会議所)

<2003年度からスタート>

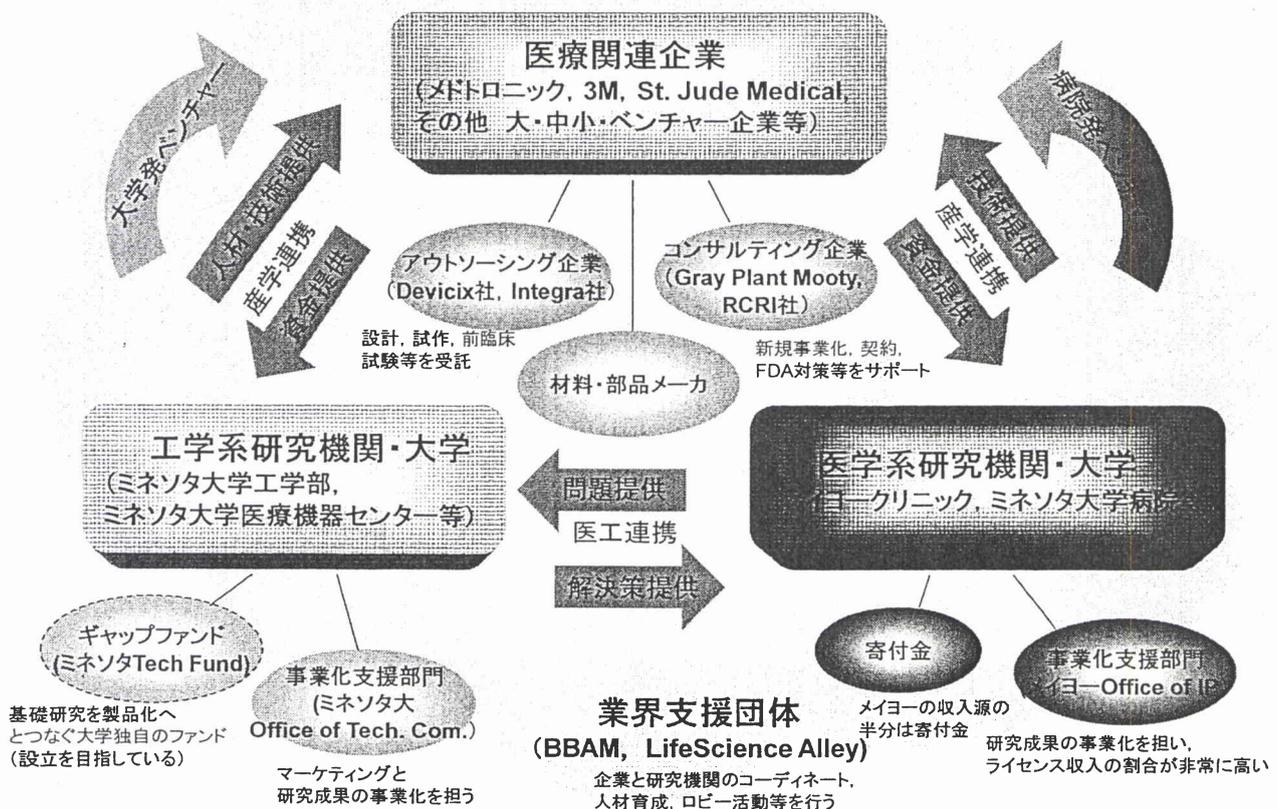
<2009年度>

60機関159社(うち中小企業の割合:47.1%)

登録人数661名(関西69.1%、関東16.3%、その他14.5%)

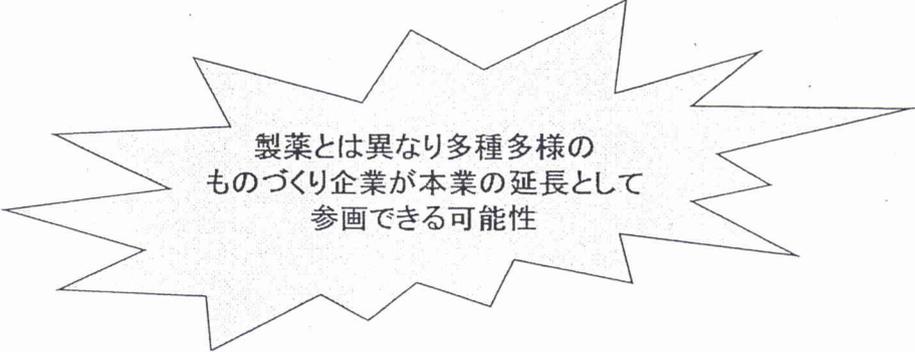


米国(ミネソタ州)の医療産業化マップ



医療機器の製品化、医療機器産業創出へ

- 臨床的に満たされていないニーズ、現時点ではあまり見えていない重要性に基づく目標設定
- 医工融合、産学連携の重要性
- 複数技術の融合と研究から製品化への連続的なプロセス
- 企業が医療機器分野に入るための方策
 - 医療機器の規制、製造販売承認
 - 混合診療、保険収載、資金調達
 - PLの問題
- 大企業、先端企業が医療機器分野に入るための環境と世論作り



製薬とは異なり多種多様の
ものづくり企業が本業の延長として
参画できる可能性

・電気・電子・情報関連

- ・パナソニック : 事業再編し、医療機器に集中するパナソニックヘルスケア分社を設立
- ・キャノン : 医療機器と産業機器を、将来の2大成長領域として設定

・半導体・電子部品

- ・ルネサスエレクトロニクス : 省電力MCU(マイコン)を中核に、医療機器への部品供給推進を決定
- ・TDK : 部品供給強化に向けTDK-EPC(株)を設立し、医療機器への供給強化を開始

・自動車部品

- ・デンソー : 蓄積したセンサー、ロボット技術の医療機器への展開を開始

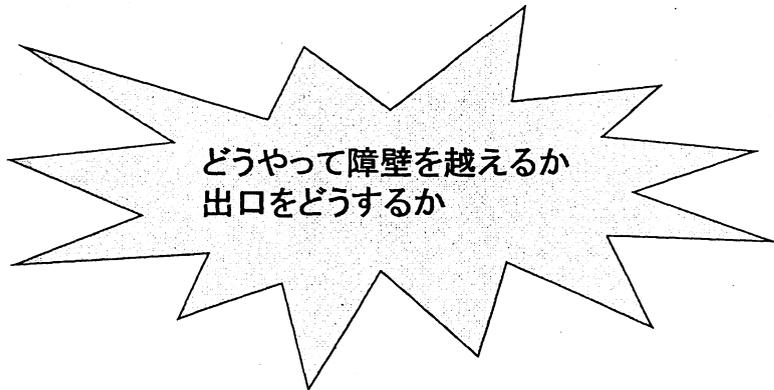
- ・化学(従来の限定的取り組みから、医療機器を成長の中心に据える経営戦略への転換)
 - ・東レ : 医療機器への材料供給の積極化を決定し、医療機器と合わせて成長領域とした
 - ・旭化成 : 医薬事業の子会社としてきた医療機器を、グループ全社的成長領域に位置づけ
 - ・富士フイルム : ヘルスケア企業への脱皮成長の中核として、医薬とともに医療機器分野の取り組み強化

- ・重工業
 - ・三菱重工 : 固有技術の応用(枝葉)であった放射線治療器事業を本社で取り組むこととした

- ・製薬企業(医療機器を成長領域として位置づける動き)
 - ・大塚製薬 : 大塚メディカルデバイスを設立(2011年2月)

新成長戦略参加へのキーワード

- ・異業種
- ・中小企業
- ・医療機器
- ・医療周辺のサービス産業機器
 - 自己の健康管理
 - リハビリ・フィットネス機器



製品化のプロセスのアウトソーシング



規制当局との距離が近い
(パートナーとしての関係)

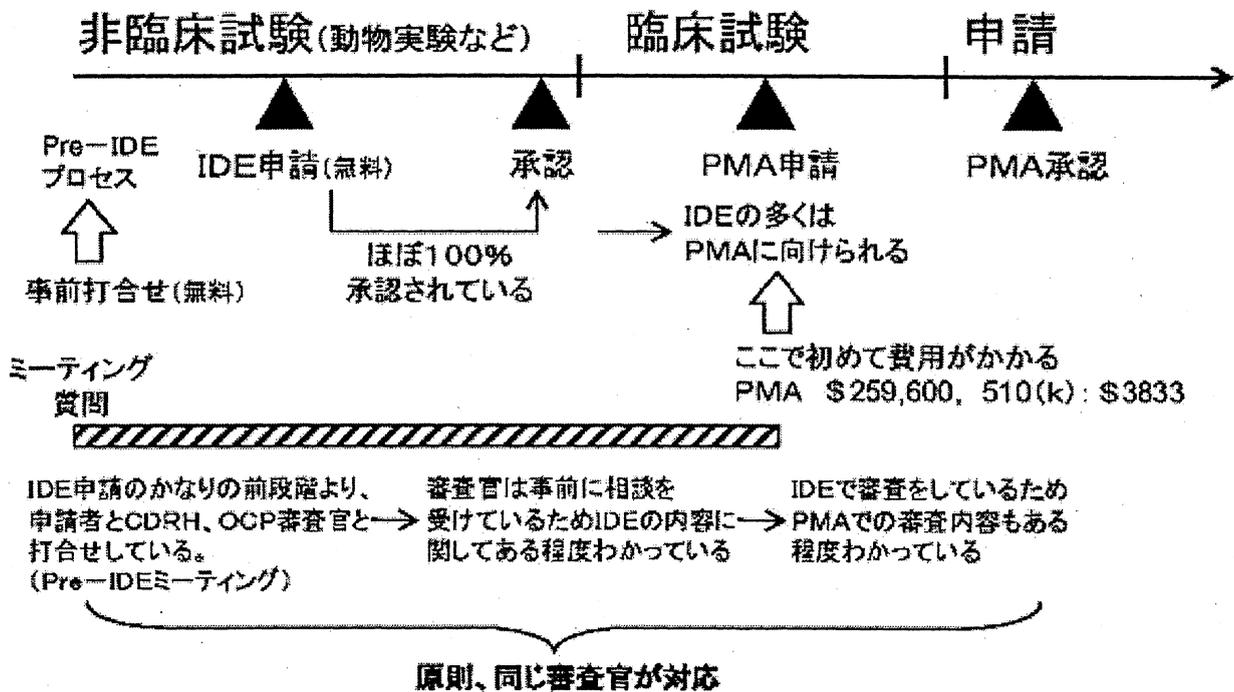
機器の試作、製品の製造 (GMP、ISO13485 対応)
製造承認申請

- FDAに対する戦略的対応
承認申請の戦略立案、治験のデザイン、プロトコル作成、GCP対応、統計解析、報告書の作成、など
- 動物実験を含む非臨床試験 (GLP対応)

我が国でも高度な戦略性を持った専門的薬事対応会社(?)が必要

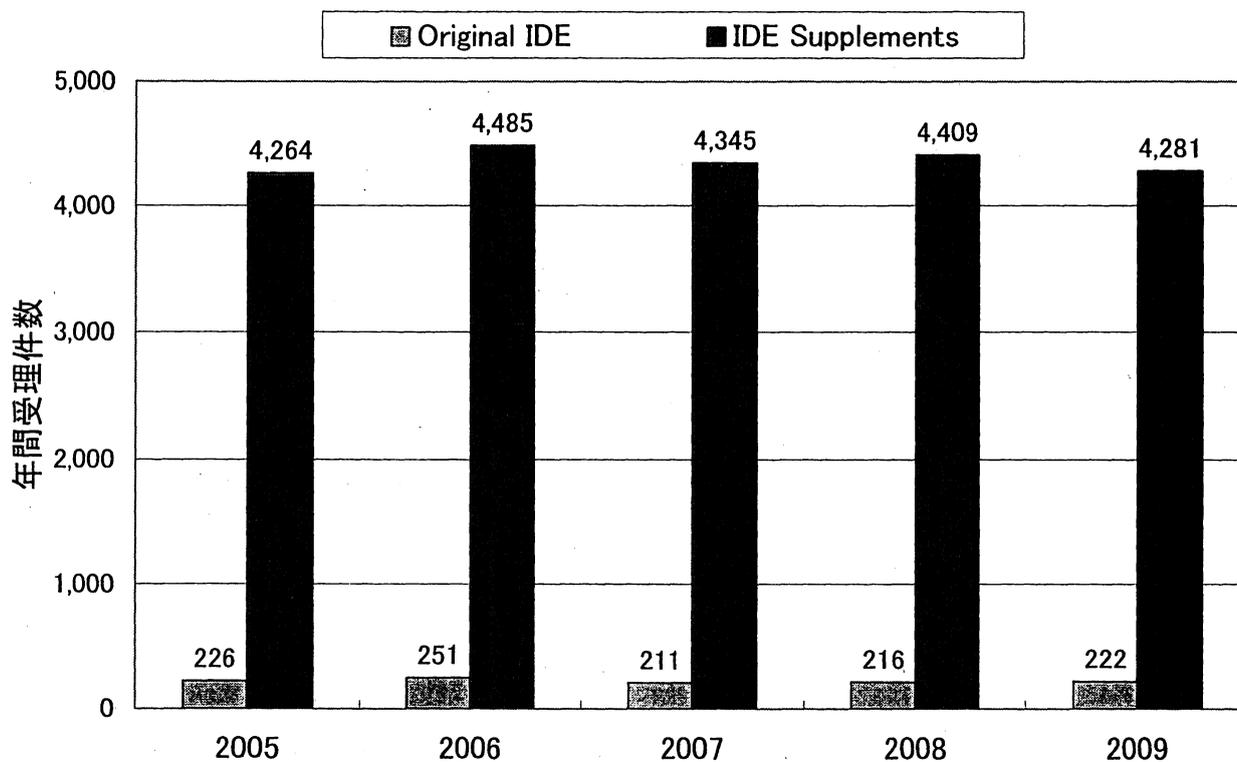
- 多数の案件を経験することで能力が向上する。
- 規制当局にとってもメリットが多い。

FDAにおける医療機器開発と審査のプロセス



小規模企業(売上1億ドル以下)、もしくは海外企業に対してはFDAによる無料相談窓口があり、専用の無料回線(800番)が設置されている。医療機器に関して、あらゆることを質問することができる。

IDEとIDE変更の届出件数



FY 2009 ODE Annual Report

医療機器に関するポイント

- 医療機器の製品化に対する国民の期待は高い
- 中小企業・ベンチャーや異業種の参入の促進
- 無料相談
- 最初の相談から承認まで審査員の固定
- 改良・変更に対する対応