

資料3

再生医療について

平成24年4月26日
厚生労働省医薬食品局

再生医療について

再生医療とは、患者自身の細胞・組織又は他者の細胞・組織を培養等加工したものをを用いた医療

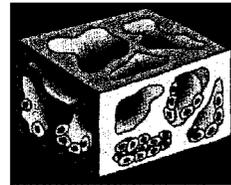
(例 ①培養皮膚による重傷熱傷患者の救命、②培養角膜による視力の回復 など)

患者自身の組織・細胞による再生医療(自家細胞・組織加工製品)

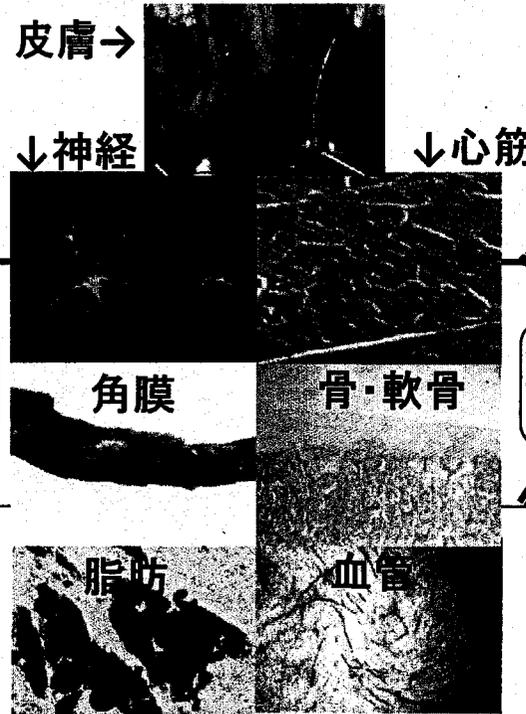
自家



細胞の採取



細胞培養技術を用いた加工



再生した細胞や組織の移植



他家



患者以外の他人に由来、又は細胞バンクなどに由来

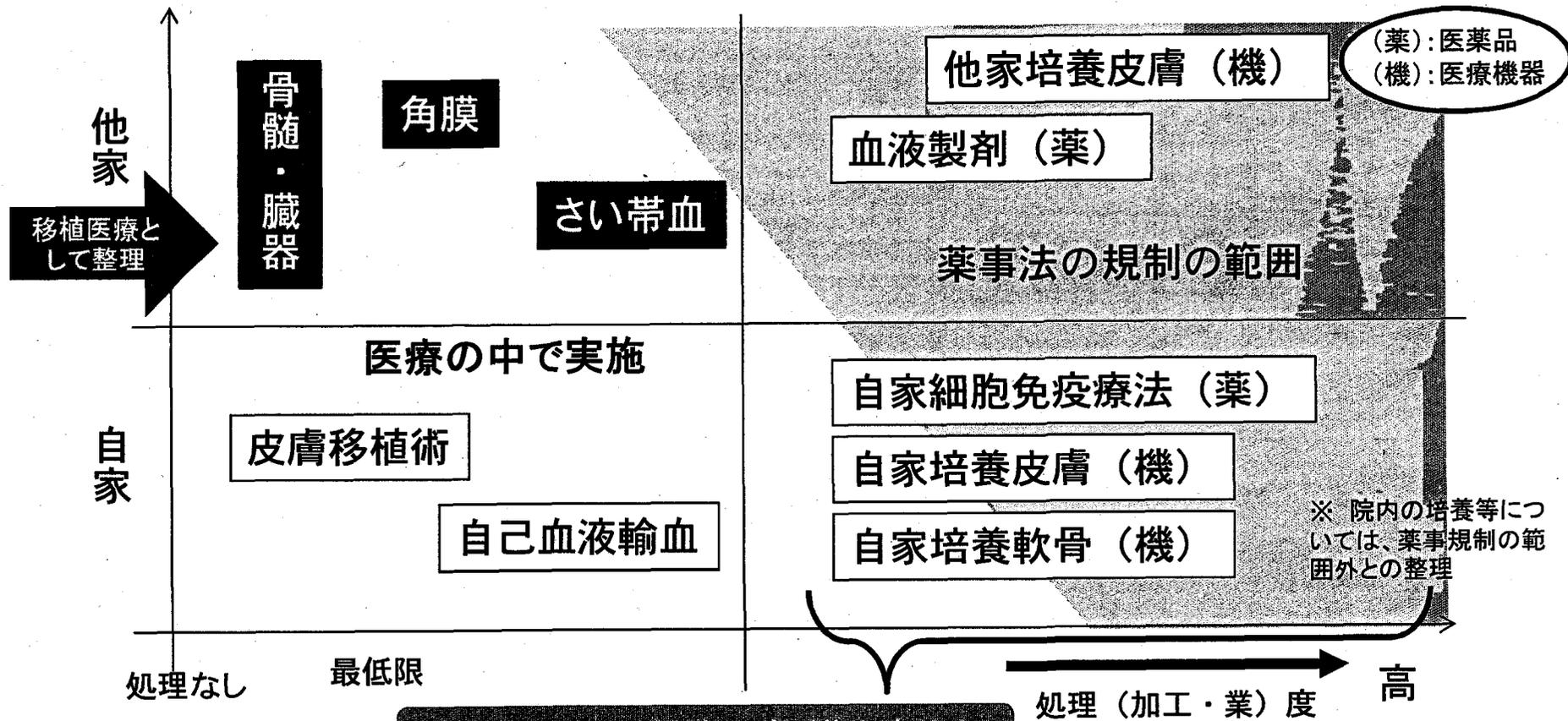
骨髄細胞など

他者の組織・細胞による再生医療(他家細胞・組織加工製品)

薬事法の現行規制の範囲

平成22年度検討事項

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無い移行を可能とする最適な制度的枠組みを検討



対象とする「細胞・組織の加工」

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。(H20医薬発第0208003号)

再生医療の品質・有効性・安全性確保の現状

	医療として提供される場合 (原則、院内製造や医療機関連携により提供されるもの。臨床研究を含む。)	事業として提供される場合 (企業が製品として提供するもの)
主体	医療関係者等(医療関係資格法等)	許可製造事業者(薬事法)
細胞の採取・倫理	ドナーへの目的等の説明と文書同意、無償提供、倫理審査、適格性検査(※1)	ドナーへの目的等の説明と文書同意、無償提供、倫理審査、適格性検査(薬事法※2)
再生医療用細胞等の品質・安全性	製造記録保管、汚染防止、ドナー記録等トレーサビリティを含む品質・安全性確保(※1)	製造記録保管、汚染防止、ドナー記録等トレーサビリティを含む品質・安全性確保(薬事法 ※3 ※4)
製造体制	<ul style="list-style-type: none"> ○ 医療施設としての規制(医療法)(※5) <ul style="list-style-type: none"> ・ 医師・歯科医師の監督、管理者等の要件 ・ CPC施設・設備及び人員の要件 ○ GMPに準拠した品質管理(※1) <ul style="list-style-type: none"> ・ 管理者等の要件 ・ 製造設備(CPC含む)の要件 ・ 製造品質管理 ○ 定期的報告による進捗及び結果の確認(※1) 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 製造業許可制(薬事法) ○ GMP等による品質管理(薬事法※4) <ul style="list-style-type: none"> ・ 管理者等の要件 ・ 製造設備の要件 ・ 製造品質管理 ○ 行政の定期的な査察による体制確認(薬事法)
有効性の確保	臨床研究計画の審査(倫理審査委員会、厚労省)(※1)	承認審査(品質・有効性・安全性)(薬事法)
使用時・使用後のリスクへの対応	<ul style="list-style-type: none"> ○ 重大な健康被害を厚労大臣に報告(※1) ○ 倫理審査委員会等での安全性評価(※1) ○ 厚労大臣からの意見(※1) 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 副作用・不具合報告義務(薬事法) ○ 有効性・安全性の調査等義務(薬事法) ○ PMDAの安全性評価(薬事法・PMDA法) ○ 厚労大臣の回収、販売停止等命令(薬事法)

※1 ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針(平成22年厚生労働省告示第380号) 注)がん細胞免疫療法は指針の対象外

※2 生物由来原料基準(平成15年5月 厚生労働省告示第200号)

※3 ヒト(自己)由来細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針(平成20年2月8日薬食発第0208003号)等の各指針

※4 (医薬品)医薬品及び医薬部外品の製造管理及び品質管理の基準に関する省令(平成16年12月24日厚生労働省令第179号)

(医療機器)医療機器及び体外診断用医薬品の製造管理及び品質管理の基準に関する省令(平成16年12月17日厚生労働省令第169号)

※5 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(平成22年3月30日医政局長通知)

再生医療製品に対する現行制度の考え方

— 製品の安全性等を確保するため品目ごとに承認 —

基礎研究
非臨床試験

薬事戦略相談
(H23年度から)

臨床研究
治験

承認
審査

保険
適用

市販後
対策

再生医療製品については、

- ① ドナー由来の感染リスク(自己細胞・組織加工製品を除く。)
- ② 処理工程に付随するリスク
- ③ 製品そのものの有効性・安全性に関するリスク
- ④ 品質の一定性のリスク

などのリスクが内在するので、自己細胞・組織であっても様々な製造プロセスを経てできあがった最終製品は、本質的に元の細胞・組織とは異なるため、公衆衛生上、一定の規制が必要。

なお、この分野の製品開発は日進月歩であり、その評価に当たっては、個々の品目ごとに最新の知見を踏まえた柔軟なチェックが必要であることに留意。

再生医療技術に関する国内の教育・研究等機関の例

分化・誘導研究

前臨床研究

臨床研究

体性幹細胞 ※ ヒトの身体の中に存在する幹細胞であって、ある限定した臓器に分化する能力を有するもの。

間葉系肝臓

山口大、先端医療振興財団（神戸）

骨

産総研

京大、名大、奈良

軟骨

広島大、医科歯科、東海大

神経

パーキンソン

京大・慶応

脳血管障害

札幌医大・国循

筋幹細胞 骨格筋

国立精神・神経センター

角膜幹細胞 角膜

阪大・京都府立医大

心筋幹細胞 心臓

阪大・京都府立・女子医大・先端医財団

単核球 下肢虚血

札幌北楡病院等

細胞シート技術

阪大・東京女子医大

多能性幹細胞 (iPS)

京大

東大医科研・慶応・理研

※ 人工的に多能性を誘導した幹細胞であり、ES細胞とほぼ同様の能力を有する。

多能性幹細胞 (ES)

京大・成育

※ 受精卵を培養して得られる細胞であり、全ての組織・細胞に分化しうる能力を有するもの。

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 ^{※1} (EMA)
製造販売するための品目毎の承認の要否 ^{※2} (自己・同種とも)	医薬品 又は医療機器	生物製剤 又は医療機器	医薬品 (先端医療製品)
承認申請のための治験・臨床研究	申請を目的としない臨床研究は、 <u>薬事法のGCP対象外</u>	申請を目的としない臨床研究も、 <u>薬事規制のGCP対象</u>	申請を目的としない臨床研究も、 <u>薬事規制のGCP対象</u>
事前相談制度 開発支援制度	PMDAによる治験相談及び <u>開発に向けた薬事戦略相談</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</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</u> など

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)

生物製剤: ワクチン、血液製剤、抗毒素なども含まれる

※1 EUでは医療機器は第三者認証制度となっている。

※2 移植など最低限の処理しか行われていないものを除く。

日本・米国における自己細胞由来 再生・細胞医療製品の審査事例

ジェイスについて

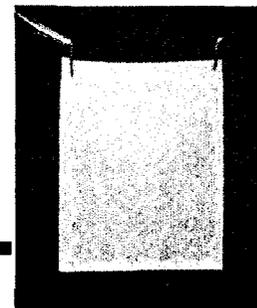
「ジェイス」－ 日本において承認された、自己細胞を用いた培養表皮。

使用目的： 自家植皮のための患皮面積が確保できない重篤な広範囲熱傷で、かつ、受傷面積として深達性II度熱傷創及びIII度熱傷創の合計面積が体表面積の30%以上の熱傷を適応対象とする。等

※ 日本では再生・細胞医療製品の承認はこの1品目のみ

－ 2007年10月に承認、2009年1月に保険収載。

- ・患者2例での表皮形成率の結果から、新しい治療法が提供されるメリットを勘案して承認された。
- ・承認条件： 製造販売後臨床試験により、有効性及び安全性に係る情報を早急に収集すること、適切な医療機関及び医師のもとで使用され、十分な情報提供を行うこと等



カーティセル (Carticel) について

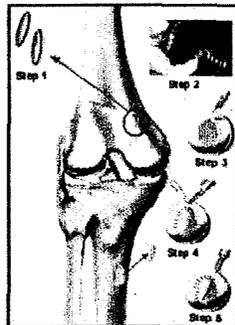
「カーティセル」

－ 米国において承認された、自己細胞を用いた再生軟骨。

－ 1997年8月に承認 (BLA #1233) された。

- ・承認に際して、製造販売後臨床試験により、短期的な機能、構造・組織学上の改善が長期的な臨床上の改善につながることを確認する試験の実施が求められた。

－ 2000年3月に効能・効果を限定された。



承認当初の効能・効果

重症の急性あるいは反復外傷性
症候性大腿骨顆部軟骨欠損

2000年3月における効能・効果

関節鏡あるいは外科的措置(デブ
リードマン法、マイクロフラクチャー
法、drilling/abrasion関節形成、骨軟
骨移植等)不応の急性あるいは反
復外傷性症候群大腿顆部軟骨欠損
(内側顆、外側顆、滑車部)

効能・効果が限定

注：一般的な変形性軟骨には適応がない。

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

1. 有効性・安全性の評価、管理のあり方について

平成22年度取りまとめ(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

- 自己細胞由来製品、同種由来製品とも、有効性・安全性の評価、管理について、品目毎に行政による承認申請、安全対策等が必要。
- 品目毎の行政による承認及び安全対策は、薬事法の下で行うことが適当。
- PMDAの審査・相談等の対応姿勢・質の向上を進めていくべき。

2. 質の高い製品を迅速に開発する方策について

- (1) 開発初期からのPMDAによる助言・相談制度の創設
- (2) 治験前の事前確認申請のあり方
 - 薬事戦略相談を創設し、開発初期からPMDAによる助言・相談を行う。
(→平成23年度からPMDAで薬事戦略相談を実施)
- (3) 臨床研究・治験促進策
 - 欧米と比べて負担が多いとの指摘もあり、必要な改善を検討していく。
- (4) 審査の迅速化・質の向上、評価の指針の明確化等
 - PMDAの人員拡充、審査官の人材育成により、相談・審査の迅速化・質の向上。
 - 再生・細胞医療製品の特性を考慮した評価指標、指針・基準の明確化が必要。
 - 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。
- (5) 開発支援
 - 希少疾病用医薬品・医療機器の指定要件の柔軟な運用が必要。
 - ベンチャー企業への支援が必要。

再生医療の制度的な対応の検討について

薬事法等制度改正についてのとりまとめ
平成24年1月24日
厚生科学審議会医薬品制度改正部会

① 再生医療製品については、今後も、臓器機能の再生等を通じて、重篤で生命を脅かす疾患等の治療等に、ますます重要な役割を果たすことが期待される。特に、iPS細胞の研究など再生医療に資する知見・技術は日々進歩し続けている段階であること等を踏まえ、再生医療製品の品質、有効性及び安全性を維持しつつ、迅速に開発が行われ承認されるための支援策が求められている。

② 我が国の現行の薬事法では、再生医療製品など先端的技術を用いた製品について、法制度上どのように取り扱うべきなのか知見が確立しているとは言い難い。そのため、医療機器と同様に、再生医療についても、医療関係者が主体となった診療技術の開発に伴う臨床研究の果たすべき役割が大きいことから、厚生労働省においては、臨床研究やその実施体制を担当する部局の間での連携を図り、再生医療製品の製造業界の実情を把握し、再生医療製品の特性を踏まえた制度の在り方についても検討するべきである。

③ なお、再生医療製品については、今までも、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、「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」にて議論を行い、平成23年3月に、再生医療製品の有効性・安全性の評価、管理の在り方等について提言として取りまとめた。今後は、この提言の見直しや医療機関における培養施設の要件の検討等も含めフォローアップを行うことが必要である。

再生医療関係のガイドラインの作成状況について

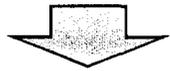
臨床研究から治験、薬事承認審査までの切れ目ない移行を円滑に進めるためのガイドラインを順次作成している。

- 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(自己)由来細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針]
(厚生労働省医薬食品局長通知 薬食発第0208003号 2008年2月8日)
- ヒト(自己)由来細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針に係るQ&Aについて
(厚生労働省医薬食品局審査管理課 医療機器審査管理室 2008年3月12日)
- ヒト(自己)由来細胞・組織加工医薬品等の製造管理・品質管理の考え方について
(厚生労働省医薬食品局監視指導・麻薬対策課長通知 薬食監麻発0327025号 2008年3月27日)
- 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
[ヒト(同種)由来細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針]
(厚生労働省医薬食品局長通知 薬食発第0912006号 2008年9月12日)
- ヒト(同種)由来細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針に係るQ&Aについて
(厚生労働省医薬食品局審査管理課 2008年10月3日)

再生医療製品に係る薬事制度検討の 今後の論点の例

- 企業、医療関係者が関与する再生医療製品の開発・供給形態を踏まえた規制のあり方
- 将来的なiPS細胞を用いた開発などの特徴を踏まえた規制のあり方

再生医療の特性



臨床研究・治験



薬事承認審査



市販後のフォロー

① 再生医療の定義と区分

② 臨床研究から薬事承認審査までの切れ目ない移行を可能にする仕組みのあり方

③ 再生医療製品の製造のあり方

④ 安全性の確保

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と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2機関が確保すべき要件を取りまとめており、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
2. 質の高い製品を迅速に開発する方策について
 - (1) 開発初期からのPMDAによる助言・相談制度の創設
 - (2) 確認申請のあり方
 - (3) 臨床研究・治験促進策
 - (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
 - 2) 評価指針・基準等の作成・明確化
 - 3) 患者数が極め少ない医薬品・医療機器の審査 についての考え方
 - (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
 - 2) ベンチャー企業支援
 - (6) その他必要な事項
 - 1) 海外規制当局との連携
 - 2) 関係学会との連携
 - 3) その他

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れば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、その後に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、新しい法体系の下に行うか、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が多いため、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、審査官が研究も行き、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、審査にあたっている。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、画一的な取扱いはず、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。
- 多くの創業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、治験プロトコール設計、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が多いため、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

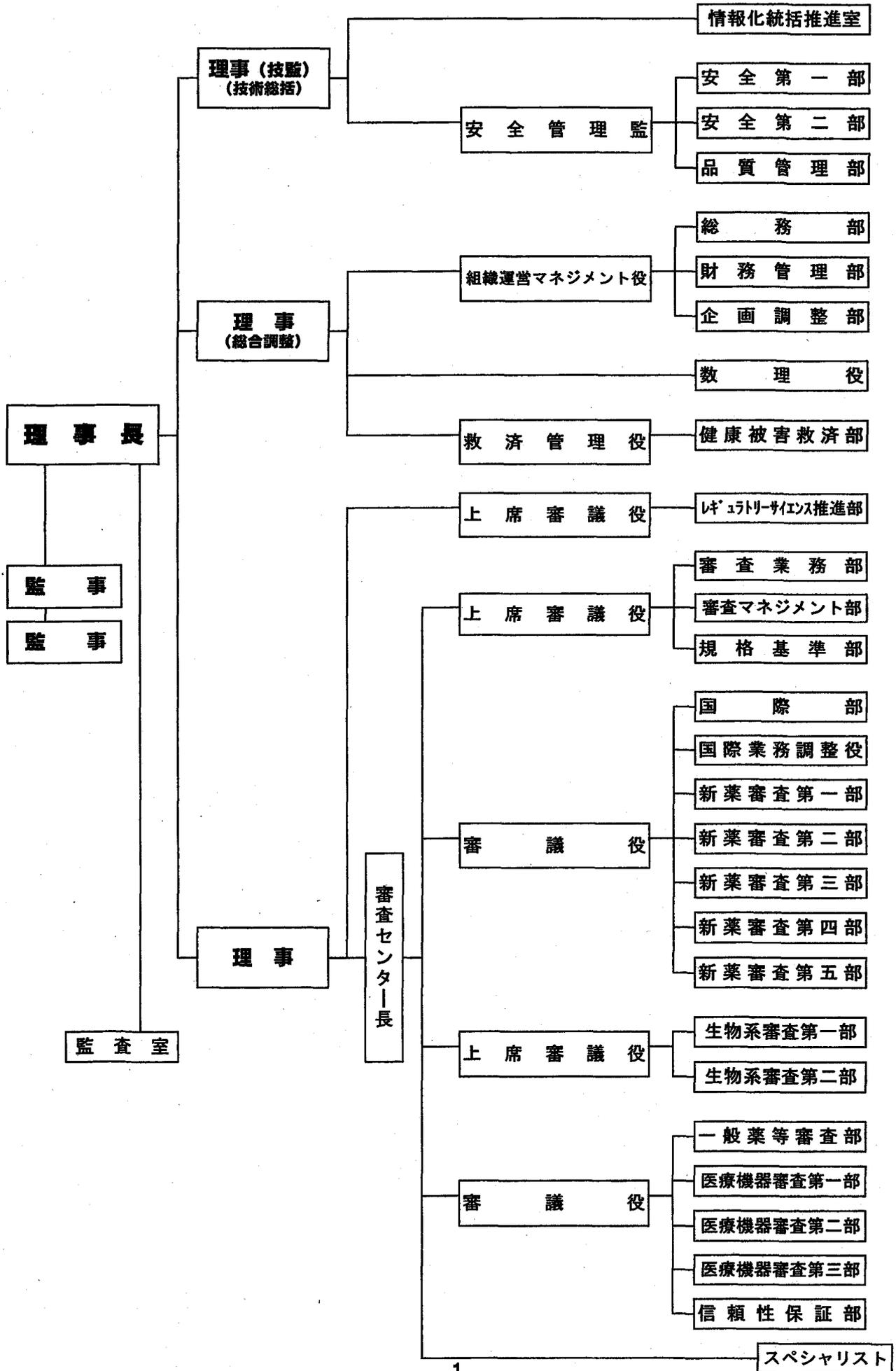
座長 永井 良三	東京大学大学院医学系研究科循環器内科 教授
阿曾沼 元博	国際医療福祉大学国際医療福祉総合研究所 教授
伊藤 たてお	日本難病・疾病団体協議会代表
稲垣 明弘	日本歯科医師会 常務理事
小澤 洋介	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング 代表取締役
片倉 健男	国立医薬品食品衛生研究所 スーパー特区対応部門
神山 美智子	弁護士
木村 壮介	独立行政法人 国立国際医療研究センター 病院長
澤 芳樹	大阪大学大学院医学系研究科 外科学講座 心臓血管外科学 教授
鈴木 和博	国立医薬品食品衛生研究所遺伝子細胞医薬部長
高杉 敬久	日本医師会 常任理事
土屋 文人	社団法人 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

(独)医薬品医療機器総合機構
について

平成24年4月26日
厚生労働省医薬食品局

(独)医薬品医療機器総合機構 組織図

平成23年11月1日現在



平成24年1月1日現在

(独)医薬品医療機器総合機構 部門別・職種別職員数

(単位:人)

部門 職種	合計		審査部門		安全部門		その他部門	
	職員数	割合	職員数	割合	職員数	割合	職員数	割合
薬学	369	57.3%	248	58.9%	100	78.7%	21	21.9%
理学/農学	49	7.6%	38	9.0%	7	5.5%	4	4.2%
医師	39	6.1%	35	8.3%	3	2.4%	1	1.0%
工学	38	5.9%	31	7.4%	5	3.9%	2	2.1%
獣医/毒性	23	3.6%	23	5.5%				
生物統計	12	1.9%	9	2.1%	3	2.4%		
歯科	5	0.8%	5	1.2%				
システム	5	0.8%	2	0.5%			3	3.1%
看護	3	0.5%	3	0.7%				
事務	101	15.7%	27	6.4%	9	7.1%	65	67.7%
合計	644		421		127		96	

独立行政法人医薬品医療機器総合機構職員の業務の従事制限について

出身企業における従事業務 (PMDA採用前5年間)	PMDAにおける従事業務	
① 研究・開発部門	出身企業に直接関連する審査業務 ×	制限無し
	それ以外の審査業務（生物統計）※ ＜当初から＞	
	それ以外の審査業務（生物統計以外）※ ＜平成19年10月から＞	
② 市販後調査・安全対策部門	出身企業に直接関連する安全対策業務 ×	
	それ以外の安全対策業務 ※ ＜平成19年10月から＞	
③ 製造・品質管理部門	出身企業に直接関連する品質管理業務 ×	
	それ以外の品質管理業務（GMP調査）※ ＜当初から＞	
	それ以外の品質管理業務（GMP調査以外）※ ＜平成19年10月から＞	
④ ①～③以外の部門	制限無し	

※次の条件下で従事可能となっている。ただし、附則による1年間の時限措置であり、平成24年3月までの採用者に適用される。

- 管理的職務には従事しない。
- 他の職員と共にその業務を担当する。
- 運営評議会に当該職員の所属部等を報告する。

「各独立行政法人について講ずべき措置」（抜粋）

（平成 24 年 1 月 19 日（木） 行政刷新会議 独立行政法人改革に関する分科会 報告書）

○医薬品医療機器総合機構

- ・ 国民の生命・安全に関わる医薬品の審査等の専門的な業務を行う法人であり、審査結果が、法人の責任のみならず、主務大臣の責任に直結することから、国の責任に応じた適切な監督権限を設け、国の関与を強化する必要がある。また、このような業務の特性を踏まえ、その業務運営における中立性・公平性を確保する観点から、本法人のガバナンスは新たな法人制度に比較し厳格なものとするべきである。

また、事業仕分けや「新成長戦略」（平成 22 年 6 月 18 日閣議決定）等で指摘されたドラッグ・ラグ及びデバイス・ラグを解消するため、専門性の高い人材の十分な確保について様々な工夫をしつつ自己収入の範囲内で弾力的に行うことのできる仕組みを設けることが必要である。したがって、固有の根拠法に基づき設立される高度なガバナンスを有する法人に移行することが適当である。

- ・ 具体的な制度の在り方については、例えば、ドラッグ・ラグ及びデバイス・ラグの解消のための戦略的な人材確保、出向者の在り方を含めた法人のガバナンスの抜本的な見直し、透明性及び説明責任を確保するための積極的な情報公開、外部の目による徹底した評価の仕組みの導入、国民負担の最小化等の観点から検討を進めるべきである。

独立行政法人の制度・組織改革のイメージ

～我が国の成長に資する政策実施機能の強化に向けて～

全法人一律の現行制度と組織を抜本的かつ一体的に見直し、事務・事業の特性に着目して類型化するとともに、最適なガバナンスを構築

廃止

民営化・他の法人制度を活用

事務・事業の特性を踏まえた最適なガバナンスの構築

国移管

廃止
平和祈念事業特別基金
国立大学財務・経営センター
日本万国博覧会記念機構

将来民間移管
空港周辺整備機構

●特殊会社化

・国の関与の下で政策上必要な業務的確な実施を確保しつつ、会社法のガバナンスに基づく企業的経営により事業を効率的・機動的に実施

(例) 農林漁業信用基金、日本貿易保険

●医療関係法人

・医療法の体系を活用しつつ、経営の自律化と医療機能の強化を実現

(例) 国立病院機構、労働者健康福祉機構

●個別法により設立される法人

・医薬品の検査等国民の生命に直結する業務を実施し、運営費交付金に依存しない法人について、ガバナンスの強化と機動的な経営確保を実現

(例) 医薬品医療機器総合機構

・国民の財産の保全・運用等の重要な業務を行い、運営費交付金に依存しない法人について、ガバナンスを強化

(例) 年金積立金管理運用独立行政法人

●民間法人化

・民間法人として事業を実施

(例) 海上災害防止センター

●法律等により在り方の見直しが見込まれている法人

(例) 国立公文書館、年金・健康保険福祉施設整理機構、国立がん研究センター、国立循環器病研究センター、国立精神・神経医療研究センター、国立国際医療研究センター、国立成育医療研究センター、国立長寿医療研究センター等

成果目標達成法人	
研究開発型	文化振興型
大学連携型	金融業務型
国際業務型	人材育成型
行政事業型	その他

組織	<ul style="list-style-type: none"> 不適切な業務運営が明らかな場合、主務大臣の是正命令等の必要な措置。 監事に対し調査権限機能を付与、不適切な業務運営を行った場合等の役員の実任を明確化。 役員の実任については公募を活用。
財務	<ul style="list-style-type: none"> 交付金について事業別の積算等を公表、予算と実績の乖離を把握。 不適切な支出と不要資産の留保を防止する仕組みを強化。 自己収入目標を設定させ、国の財源に依存しない経営を促進。 自己収入を増加させた場合におけるインセンティブを強化。
評価	<ul style="list-style-type: none"> 主務大臣が一貫して目標設定、評価。 中期目標期間終了時等に法人の存続性が認められない場合、主務大臣が法人の廃止を判断。
透明性	<ul style="list-style-type: none"> 第三者機関による点検により「お手盛り」を防止。併せて行政評価・監視、行政事業レビュー等を活用。 国民説明会の実施など情報公開を強化。法人から関連会社等への再就職を法律により規制。 事業別のセグメント情報を充実するとともに、交付金投入につき業務達成基準を原則採用。

行政執行法人
<ul style="list-style-type: none"> 国の責任と判断の下で、国と密接な連携を図りつつ、確実・正確な業務執行に重点を置いて事務・事業を行う法人について、主務大臣が責任を持って効率的・効果的な運営を確保。 国の指示した目標のもと、単年度で業務運営。簡素な意思決定の仕組みを整備。 単年度の財政措置が原則。合理的な理由がある場合は繰越も認める。
(例) 造幣局、農林水産消費安全技術センター、駐留軍等労働者労務管理機構等

国において事務・事業を実施することが適当な法人（徹底的な合理化の上、国へ移管）

平成 24 年 1 月 20 日（金）閣議決定（抜粋）

（独立行政法人の制度及び組織の見直しの基本方針）

Ⅲ 独立行政法人の組織の見直し

各独立行政法人の組織について講ずべき措置は、別紙のとおりである。

Ⅳ 新たな法人制度及び組織への移行に当たっての措置

- 独立行政法人から新たな法人制度及び組織への移行に当たっては、次のような合理化を徹底する。
 - ① 国を含む他の主体に事務・事業を移管した上で廃止する法人については、事務・事業の徹底した合理化を行った上で移管する。
 - ② 民営化等を行う法人については、その業務が真に効率的かつ効果的に行われるものとなるよう、民業補完の観点に留意しつつ制度設計を行う。
 - ③ 他の法人との統合等を行う法人については、事務・事業及び組織をそのまま引き継ぐのではなく、整理・合理化を徹底的に行った上で統合する。役員の体制についても必要最小限の規模とする。
 - ④ 上記以外の法人についても、新たな法人に移行するに当たっては、事務・事業及び組織の維持を所与のものとし、その徹底的な合理化を図る。

- 合理化・効率化を推進するに当たっては、間接部門における効率的なシェアードサービスや民間の専門家の知見を積極的に活用し、事業部門の再編、業務フローの見直し、業務処理システムの統一化等、真に実効性ある方策を講じるとともに、間接部門の余剰人材を事業部門に振り分けるなど、全体としての業務の最適化を図る。その際、中長期的な観点からの費用対効果分析も併せて行い、資源の有効活用を図る。

また、新たな組織形態に移行した後においては、上記の取組を始め、行政事業レビューの活用等により、事務・事業について不断の見直しを行う。

- 制度及び組織の見直しに基づく取組を進めるに当たっては、独立行政法人の職員の雇用の安定に配慮する。

- 独立行政法人については、我が国の厳しい財政状況や、政府を挙げて東日本大震災に対処する必要性に鑑み、新たな組織形態への移行までの間においても、現在の中期計画において定められている効率化等に関する取組の内容以上の取組を実施するなど、引き続き一層の合理化に努める。

- この改革の実施に必要な措置については、平成26年4月に新たな法人制度及び組織に移行することを目指して講じるものとする。

(別紙)

【医薬品医療機器総合機構】

- 固有の根拠法に基づき設立される法人とする。
- 本法人が行う医薬品等の審査業務は、国民の生命・安全に関わるものであること、また、審査結果は主務大臣の責任に直結することから、国の責任に応じた適切な監督権限を設け、国の関与を強化する。また、このような業務の特性を踏まえ、その業務運営における中立性・公平性を確保する観点から、本法人のガバナンスは新たな法人制度に比較し厳格なものとする。
- 具体的な制度の在り方については、例えば、事業仕分け、「新成長戦略」(平成 22 年 6 月 18 日閣議決定)等で指摘されたドラッグ・ラグ及びデバイス・ラグの解消のための戦略的な人材確保、出向者の在り方を含めた法人のガバナンスの抜本的な見直し、透明性及び説明責任を確保するための積極的な情報公開、外部の目による徹底した評価の仕組みの導入、国民負担の最小化等の観点から検討を進める。

薬事法等改正の論点について（案）

- 対応の欄中、（ ）を付けたところについては出来る限り迅速に対応を進めるために、運用改善での対応を行うもの。
- 医療機器については支援策との連携が重要であるが、規制法の性格を持つ薬事法との関係について留意する必要。

1. 安全対策の強化について

項 目	これまでの成果	今後の方向性
<ul style="list-style-type: none"> ○ 医薬品・医療機器関係者の理念及び責務規定等の見直し 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 薬に関する情報を広く国民に提供するために、新たなホームページ（くすり e 情報）を平成 20 年度から開設。 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 薬事法の目的規定に、健康被害の発生・拡大防止の理念を新たに規定。 ○ 薬事法に、国、地方自治体、医薬品等関連事業者の責務を新たに規定。 <div style="border: 1px solid black; padding: 5px; margin-top: 10px;"> <ul style="list-style-type: none"> ○ 国民が薬に関する正しい理解を深めるために、医薬品を取り巻く関係者（国民、専門家、企業・団体、行政機関）が参加できる「理解のための取組」と「啓発に関する取組」の実施に向けた方策を推進。 </div>

項 目	これまでの成果	今後の方向性
○ 添付文書の位置付け及び添付文書に対する国の関与の在り方		<p>○ 薬事法に、添付文書の記載内容について、企業が第一次的な責任を負うことを明確にするとともに、常に最新の知見を添付文書に反映することを新たに規定。</p> <p>○ 薬事法に、添付文書の国等の関与について新たに規定。</p> <p>○ 添付文書の内容を変更した際には届出をするように、企業に対し通知等で引き続き指導。</p>
○ 医薬品等行政を監視・評価する第三者組織の設置 ・設置の必要性、所掌事務の範囲の検討		○ 最終提言で求められている権能を持った医薬品等行政を評価・監視する第三者組織を新たに設置。
○ 承認後においても条件又は期限を追加することができるための見直し		<p>○ 承認後においても条件又は期限を追加することができるように、薬事法の規定を改正。</p> <p>○ 市販後対策について企業に引き続き適切に対応するように指導。</p>

項 目	これまでの成果	今後の方向性
<ul style="list-style-type: none"> ○ 医薬品等の副作用等報告先をPMDAに一元化 	<ul style="list-style-type: none"> ○ PMDAの安全対策部門の体制強化。 <div style="border-left: 1px solid black; border-right: 1px solid black; padding: 5px; display: inline-block;"> H20.4 H23.4 65人 → 133人 </div> ○ チーム体制による安全性評価を実施。 (平成23年度より12チーム) ○ PMDAが「PMDAメディナビ」のサービス(医薬品・医療機器等の安全性に関する情報を提供する医薬品医療機器情報配信サービス)を提供。 ○ 平成23年度から大規模医療情報データベースの構築に着手。 ○ 患者からの副作用報告制度を試行。 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 薬事法における医療機関からの厚生労働大臣への副作用等報告規定を、企業からの副作用等報告規定と同様に総合機構への報告とし、情報管理を一元化。 ○ 副作用等の情報の収集・整理・分析を強化するため、大規模医療情報データベースの構築を推進。
<ul style="list-style-type: none"> ○ 医薬品等の自主回収報告の範囲拡大 		<ul style="list-style-type: none"> ○ 薬事法に、医薬品等の回収漏れや回収遅延による保健衛生上の被害等を防止するために、回収の状況に応じて適切な指導が可能となるような規定を新たに追加。 <div style="border-left: 1px solid black; border-right: 1px solid black; padding: 5px; display: inline-block;"> ○ 自主回収の状況について、報告を行うように通知等で指導。 </div>

2. 未承認医薬品・医療機器等の承認等の在り方について

項 目	これまでの成果	今後の方向性
<p>○ 国内における未承認医薬品等の例外的使用の在り方</p>	<p>○ 欧米では使用が認められているが、国内では承認されていない医薬品や適応外薬（未承認薬等）に関して、平成21年6月から8月までに要望された374件のうち「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において医療上の必要性が高いとされた186件について、製薬企業に開発要請等を実施。（そのうち55件承認（平成24年1月末現在））</p>	<p>○ 致死的な疾患や日常生活に著しい支障がある疾患であって、代替治療がない等医療上の必要性が高い医薬品及び医療機器について、治験の参加基準に外れるなどの理由で治験に参加できない患者に対してもアクセスできる制度について検討が必要。</p> <p>○ なお、現行制度を活用した運用の可能性について検討に着手。</p>
<p>○ 希少疾病用医薬品・医療機器への開発支援の充実・強化</p>	<p>○ 患者数が5万人未満で、代替する適切な医薬品・医療機器又は治療法がない医薬品・医療機器について、希少疾病用医薬品・医療機器として指定し、優先的な治験相談や優先審査、申請手数料の減額等を実施。</p>	<p>○ 極めて患者数が少ない希少疾病用医薬品・医療機器に対する助成率の引き上げ。</p>

3. 医療機器等の特性を踏まえた制度の在り方について

項 目	これまでの成果	今後の方向性
<ul style="list-style-type: none"> ○ 医療機器の承認・認証の取扱いの見直し（医療機器・再生医療製品に特徴的な細かな課題への対応） ○ 医療機器に関する条項の章立てと名称変更又は新たな法律の制定 <ul style="list-style-type: none"> ・医療機器の特性に応じた制度設計 ・医薬品と医療機器の複合製品に対する規制の在り方 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 医療機器規制制度やその運用の見直しについて、医療機器業界の実務者と中心に迅速かつ的確に検討を行う場として、医療機器規制制度についてのタスクフォースを設置し、業界との対話を推進。 ○ 運用改善の取り組みとして、「医療機器の薬事法における制度運用について（その1）」（平成24年2月7日付け室長通知）を発出。 ○ 「医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会」（国内で未承認又は適応外の医療機器及び体外診断用医薬品について、国内の医療ニーズの高いものを選定し、医療現場への導入について検討するため、平成18年10月に設置。）、開発企業に対する早期承認申請への助言や当該品目の早期導入に向けた取組を促進。 ○ 平成24年2月までの18回にわたる検討の中で、優先的に検討を進めるべきものとして選定した54種類の医療機器等について、申請企業の公募や申請後の承認審査等を通じて平成24年1月末で24品目承認。 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 薬事法に、品質の確保を前提にソフトウェアなどの取扱いについて、新たに規定を追加。 ○ 薬事法に、医療機器に医薬品を組合せた製品の副作用・不具合報告、品質管理上等の取扱いについて、新たに規定を追加。 ○ 薬事法に、医療機器の特性を踏まえた医療機器の章を追加することが適切か検討が必要。 <div style="border: 1px solid black; padding: 10px; margin-top: 10px;"> <ul style="list-style-type: none"> ○ 業界との継続的な対話を通じ、運用上の課題を抽出、可能なものから速やかに実務に反映。 ○ 平成24年度予算案に計上した「在宅医療推進のための医療機器承認促進事業費」により、在宅医療で必要な未承認医療機器について、迅速な承認のための評価指針の策定等を推進。 </div>

項 目	これまでの成果	今後の方向性
○ 医療機器のQMS調査の包括化	○ 平成23年4月から、QMS調査のうち適合性調査について、通知により、QMSに適合している製造所において製造される他の同一区分の品目等については、既に行われたQMS調査の結果を活用して、新たな品目の適合性調査を不要とする対応を開始。	○ 薬事法のQMS調査について、国際的な整合性を踏まえ、特にリスクの高い医療機器等を除き、例えば製品群ごとなど、調査対象をまとめることができるように規定を改正。
○ PMDAの体制の充実強化	<p>○ 平成23年7月1日から、アカデミア・ベンチャー等による優れたシーズを実用化につなげるための新たな相談体制（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）を開始。</p> <p>○ PMDAの新薬の相談・審査人員を大幅に増加。 { H19.1 H23.4 112人 → 298人 }</p> <p>○ PMDAの医療機器の相談・審査人員を大幅に増加。 { H20.12 H23.4 35人 → 74人 }</p> <p>○ 医療機器の審査については、新規性の程度によって審査プロセスを明確にした上で、新医療機器、改良医療機器、後発医療機器の区分ごとに専門の審査チームを設ける3トラック審査制を導入。</p>	{ <p>○ 「新成長戦略」に基づき、具体的には、以下のように体制の充実強化を図る。</p> <p>○ 平成24年度予算案に計上した、レギュラトリーサイエンスに精通した人材育成事業（アカデミアとの人材交流）の推進。</p> <p>○ 薬事戦略相談を活用し適切な情報提供体制の構築。</p> }

項 目	これまでの成果	今後の方向性
<p>○ 再生医療製品の取扱い ・再生医療製品の範囲、特性に応じた制度の在り方</p>	<p>○ 再生医療製品の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、「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」において検討し、平成23年3月30日に、報告書（「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」）を取りまとめ。</p>	<p>○ 薬事法に、再生医療製品の定義等を規定することが可能かどうか検討が必要。</p> <p>○ 医療機器・再生医療製品の審査体制や相談体制を充実。</p> <p>○ 平成24年度予算案に計上した、レギュラトリーサイエンス研究を充実し、新たな技術に対する対応方針の確立を推進。</p>

4. その他

項 目	これまでの成果	今後の方向性
<p>○ 麻薬取締官（員）に対する指定薬物の取締りを行う薬事法の権限を付与</p>		<p>○ 薬事法等に麻薬取締官（員）が、薬事法に規定されている指定薬物の販売規制に対応する規定を新たに追加。</p>
<p>○ 個人輸入、指定薬物等への対応の強化</p>		<p>○ 平成24年度予算案において、偽造医薬品・指定医薬品等を含む個人輸入に係る情報収集と国民への注意情報提供、官民が連携した協議会を設置するなど、対策を強化。</p>

項 目	これまでの成果	今後の方向性
<p>○ PMDAの新たな法人制度への移行に向けての対応</p>	<p>○ 平成23年7月1日から、アカデミア・ベンチャー等による優れたシーズを実用化につなげるための新たな相談体制（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）を開始。（再掲）</p> <p>○ PMDAの新薬の相談・審査人員を大幅に増加。 { H19.1 H23.4 112人 → 298人 }（再掲）</p> <p>○ PMDAの医療機器の相談・審査人員を大幅に増加。 { H20.12 H23.4 35人 → 74人 }（再掲）</p>	<p>○ PMDAは固有の根拠法に基づき設立される法人とし、国の関与の強化、ガバナンスの抜本的な見直しを推進。</p> <p style="text-align: center;"> { ○ 医療機器・再生医療製品の審査体制や相談体制を充実。（再掲） } </p>

医薬品、医療機器、ソフトウェア、再生医療製品、コンビネーション製品それぞれの違いについて

	医薬品	医療機器		再生医療製品	コンビネーション製品
		医療機器	ソフトウェア		
特性 素材	生体への作用を有する天然物、化学物質等	・生体への作用を有さない 高分子化合物・金属等 ・電子機器	コンピュータプログラム	生きた細胞・組織	医薬品＋医療機器等
主に期待される効果	薬理効果	・物理的、機械的効果 等	機器を正確に機能させるための電子的効果	病気やけがで失われた臓器や組織の再生	薬理効果＋物理的、機械的効果
開発期間	長期	短期(長期のものもある)	短期	長期	長期又は短期
開発形態	探索的開発 (膨大な候補物質からの探索)	医療現場のアイデアを技術的に具現化する開発	アルゴリズムの妥当性についての検証的開発	細胞の採取、幹細胞の樹立・培養・保存の技術開発	利便性・不具合回避を追求する開発
ライフサイクル	長期	短期	短期	長期	長期又は短期
審査の留意点	<ul style="list-style-type: none"> ・一定の評価法(非臨床・臨床試験)が確立し、審査のあり方が明確。 ・比較臨床試験が必須(統計的評価が可能。) ・術者の手技は成績に影響しない。 ・被験者数が多い。 	<ul style="list-style-type: none"> ・技術ごとに評価法(必要な試験検査の種類)が異なり、個々の医療機器によって評価の着眼点異なる。 ・比較臨床試験が困難な場合が少なくない。 ・術者の手技が成績に影響。 ・既存技術部分(電気的安全性、機械的安全性、電磁影響等)は規格基準(JIS等)への適合性で評価。 ・被験者数が少ない。 	<ul style="list-style-type: none"> ・システムバリデーション(入力されたデータ等が要求された仕様に沿って機動するかどうかを検証)が必要。 ・バグチェックが必要。 	<ul style="list-style-type: none"> ・重篤な疾患が対象となることが多く、被験者数が少ない。 ・比較臨床試験が困難な場合が多い。 ・ブラインドが不可能。 ・結果が術者の手技にも依存。 ・薬理作用を期待する製品の臨床評価は医薬品と同様。 	<ul style="list-style-type: none"> ・その製品の主要な性質に応じて、医薬品及び医療機器の両方の観点から審査。
市販後の安全対策	<p>○製造販売業者及び医療機関等に対し、医薬品には副作用報告、医療機器には不具合報告を課し、当該報告による情報の収集・整理・活用。</p> <p>○製造販売業者等に対し、保健衛生上の被害の発生等の防止を目的に、承認を受けた医薬品・医療機器等の回収措置を講じている。</p>				
	製品自体は変わらないが、副作用情報を収集して、未知リスクを情報提供していく手法	不具合報告を収集して、製品自体の改良・改善につなげていく手法	バグなどの情報を収集してバージョンアップを頻繁に行って改良していく手法	未知の感染症や腫瘍化するリスクについて長期的なフォローが必要	医薬品及び医療機器双方の安全対策が必要

医療機器に関して別立てにすることについて の考え方・留意点

第6回薬事法小委員会に提出

案	考え方	留意点
<ul style="list-style-type: none"> ○ 医療機器に関する法律を新たに制定 ○ 医療機器を章立てにし、名称（「薬事法」）を改正 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 医療機器の特性に応じた制度を構築しやすくなる。 ○ 医療関係者、業界関係者、国民のいずれにとっても分かりやすい制度を構築できる。 ○ 医療機器に対する政府の姿勢が明確になる。 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 医療機器や再生医療製品については、医薬品とは異なる特性を踏まえる必要はあるものの、医薬品、医療機器、再生医療製品いずれにおいても、人体に摂取し又は埋め込む以上、共通の安全性が担保されている制度設計が必要。その際に、医薬品、医療機器、再生医療製品にすべて共通した安全性の基盤を構築することで、人体に対する安全性の担保を確実に行うという考え方を国民に明確に示すべきではないか。 ○ 再生医療製品やコンビネーション製品について、医薬品・医療機器のいずれか、あるいは新たな分類を設けるのか検討が必要。特に、コンビネーション製品に関しては、医薬品、医療機器、再生医療製品のうち、どの性質で整理すべきかという点は、審査の迅速性及び安全性の担保に支障を来すことがなく、それぞれの製品の性質に合った制度の構築ができるかどうか、検討が必要。 ○ いずれにしても、再生医療製品やコンビネーション製品の安全対策を、着実にかつ迅速に行うことができるための法体系の構築が必要。 ○ 併せてPMDAの在り方の検討との関係に留意が必要。
<p>(参考) 現行の薬事法の改正</p>	<ul style="list-style-type: none"> ○ 医薬品、医薬部外品、化粧品及び医療機器の規制について、一つの法律で一覧できる。 ○ 制度改正に際し、医療機器について別法又は別章立てすることと比較して、立法の準備時間が短くて済む。 	<ul style="list-style-type: none"> ○ 制度が医薬品を基本としているため、常に改善・改良が行われる場合が多いなど、異なる特性を持つ医療機器についての制度としては十分なものになっていない、という指摘がある。 ○ 法律段階では同一の制度となっており、分かりづらい。

薬事法等制度改正についてのとりまとめ

平成24年1月24日

厚生科学審議会医薬品等制度改正検討部会

はじめに

- 薬害肝炎事件を踏まえ、二度と薬害を起こさないことを課題とし、平成20年5月に「薬害肝炎事件の検証及び再発防止のための医薬品行政のあり方検討委員会」（以下「肝炎検証・検討委員会」という。）が厚生労働省に設置された。肝炎検証・検討委員会は、約2年にわたり議論を重ね、一昨年4月に「最終提言」が取りまとめられた。
- この「最終提言」には、医薬品・医療機器等の承認時及び販売後における安全対策の充実強化、薬害の発生・拡大を防止するため、医薬品行政を監視・評価する第三者組織の設置など、多岐にわたる貴重な提言が盛り込まれている。
- 厚生科学審議会では、平成23年2月に医薬品等制度改正検討部会（以下「検討部会」という。）を設置し、本検討部会で「最終提言」を踏まえ、医薬品・医療機器等の安全対策の強化について議論してきた。
また、医薬品・医療機器等は患者の生命や健康を守るために必要不可欠なものであり、新しい医薬品・医療機器等を一日も早く日々の診療に使えるようになることを望む多くの患者・医療関係者がいることを踏まえ、医療上の必要性の高い医薬品・医療機器等を速やかに使用できるようにするために必要な制度改正事項についても議論してきた。
- この「とりまとめ」は、平成23年3月から本検討部会において計10回にわたり議論してきた事項をとりまとめたものである。特に、法律改正を必要とする事項については、関係機関等との調整を速やかに行い、今後、厚生労働省において具体的な法制化の作業を進めて行くことを強く期待する。
- 一方、法律改正を必要としない事項についても、厚生労働省は、運用の改善も含めた検討を迅速に進めていくべきである。
- また、本検討部会においては医薬品・医療機器等に関わる幅広い課題について議論を重ねてきたが、その中には当面の制度改正にとどまらず、更なる

検討の上で制度改正に取り組むべきものも多く含まれている。さらに、国際的な規制動向や医薬品・医療機器開発を支える技術が日々進展している状況に対応し、不断の制度的な取組を続けていかねばならない。

- 今後の社会経済環境の変化や技術開発の動向に合わせて、それらの動きに遅れることがないように、厚生労働省は、医薬品・医療機器等の有効性及び安全性を適切に評価し、迅速に医療現場で使用できるように制度の在り方を不断に見直し、必要に応じて改めていくことが必要である。

なお、このような見直し等により我が国が直面している少子高齢化社会における医療の充実、国民福祉の向上にもつながっていくことを期待する。

- また、最終提言には、健康被害救済制度についても言及があったが、現行の医薬品副作用被害救済制度において対象外とされている抗がん剤等の副作用による健康被害の救済については、別途「抗がん剤等による健康被害の救済に関する検討会」が設置されているところであり、当該検討会において、議論を尽くすことを期待する。

I 医薬品・医療機器等関係者の安全対策への取組の促進について

【基本的考え方】

- 肝炎検証・検討委員会がとりまとめた「最終提言」では、サリドマイド、スモン、HIV感染、更にはC型肝炎ウイルス感染など度重なる薬害問題を再び起こさないように真摯かつ詳細に議論された貴重な提言がなされている。
- 本来、人の命を守るための医薬品・医療機器等については、完全には避けることができない副作用等を最小化するために慎重に承認審査が行われることは当然であるが、市販後に新たなリスクとして、想定されない健康への影響が生じても可及的速やかに対策を講じ、その被害を最小に食い止めるような制度が構築され、適切に運営されるべきである。
- 本検討部会においては、医薬品・医療機器等の安全対策の課題について議論してきたが、中でも、「最終提言」にある、添付文書の位置づけの問題及び医薬品行政の評価・監視組織、いわゆる第三者組織に関して集中して議論を行った。

- 添付文書の位置づけについては、その重要性に鑑み、国の監督権限を薬事法上明確にする必要性について確認し、その方法として、承認の対象とするか、企業に届出義務を課して国の改善命令と関連付けることを明確化するかについて議論を行った。

また、医薬品等の安全対策にとって、常に最新の知見が添付文書に迅速に反映されていくことを確保することが重要であるという点が確認され、情報提供の充実を含め、市販後安全対策を強化することの必要性が認識された。

- 第三者組織については、薬事行政に対する国民の信頼を回復し、度重なる薬害の再発防止のためには重要な組織であるため、最終提言で求められている権能を持ち、実際に機能する組織として、できる限り早く設置することを望む。

(1) 薬事法の目的規定等の見直し

- 薬事法は、医薬品、医薬部外品、化粧品及び医療機器に係る規制に関する法律であるが、その規制がどのような社会的利益を実現するためのものであるかを明確にするため、目的規定に保健衛生上の危害の発生又は拡大の防止のために必要な規制を行うことを新たに定めるべきである。
- 併せて、薬害の再発を防止するため、以下のように、医薬品・医療機器等を製造・販売する者、医薬関係者、規制措置を講ずる国及び地方公共団体の責務を明らかにするとともに、医薬品・医療機器等を使用する国民の役割も明らかにすることが適当である。
 - ① 国は、医薬品・医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保に関する施策を策定し、実施する責務を負うこと。
 - ② 地方公共団体は、国との適切な役割分担を踏まえて、医薬品・医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保に関する施策を策定し、実施する責務を負うこと。
 - ③ 医師、歯科医師、薬剤師、看護師その他の医療の担い手は、医薬品・医療機器等を使用するに当たり、患者等に対して情報提供を行うよう努めること。
 - ④ 医薬品・医療機器等関連事業者は、医薬品・医療機器等の品質、有効性及び安全性を確保するために適切な措置を講ずる責務を負うこと。
 - ⑤ 国民は、医薬品・医療機器等の適正な使用や有効性及び安全性の確保に関する知識と理解を深めること。

なお、③の責務については、薬事法第77条の3の規定との整合性も踏まえ、医師等と同様に、薬局開設者、病院若しくは診療所の開設者に対しても規定するべきではないかとの意見があった。また、同じく③については、情報提供だけではなく、情報収集と活用の責務も設けるべきではないか、との意見もあった。

一方で、医師、医療関係者等のみならず患者等からも医療関係者等への情報提供を適切に行えることが重要ではないか、との意見もあった。

また、この責務規定の中で、「品質、有効性及び安全性」を「安全性、有効性及び品質」に変更すべきではないか、との意見もあった。

(2) 市販後安全対策の充実強化

① 市販後調査の充実と医薬品リスク管理制度の整備

- 医薬品・医療機器等の安全性の確保に当たっては、承認審査とともに市販後の安全対策が極めて重要である。承認までに得られる情報には自ずから限りがあることから、市販後臨床試験の実施などの市販後調査を必要に応じて実施するなど市販後に引き続き積極的な情報収集を進めることが製造販売業者に求められる。

また、大学等が主導する市販後の臨床研究・薬剤疫学等について、国による研究費補助金のみならず、製造販売業者も薬剤疫学研究実施に伴う再審査期間の延長等の活用等も含め、利益相反に留意し、透明性を確保しつつ、その充実に協力することが重要である。

- 薬事法第79条において、許可、認定又は承認には条件又は期限を付すこと及びそれを変更することができることとされており、医薬品等の承認時には、必要に応じて、市販後臨床試験の実施などの条件が付されている。

これに加えて、許可後、認定後又は承認後においても、医薬品・医療機器等について、新たなリスクが判明した場合に適切に対応できるよう、条件又は期限を追加して付すことができる規定を新設するべきである。

これにより、市販後に判明した新たなリスクに対し、より高い安全性が保たれた上での使用が可能となる。

- 厚生労働省においては、開発段階から承認審査を経て市販後にわたって医薬品のリスクを適切に管理するため、製造販売業者が『医薬品リスク管理計画』を策定してリスク監視のための調査やリスク最小化策を実施するための制度の検討を進めている。この制度を科学的かつ効果的に

活用するため、製造販売業者等が承認審査段階から行政と協議できる仕組みを構築することや、医薬品の使用者にもリスク管理の内容を理解しやすく情報提供することが重要であり、これらの方策について、さらに検討するべきである。

- 再評価制度については、今後、適時適切に医薬品のリスク評価を行うことができるような制度の運用の改善を図るべきである。

② 副作用報告等の収集・整理・分析の強化

- 医薬品・医療機器等の副作用等の情報は承認までに得られる情報は限られており、承認後に実際に使用されることにより、より多くの情報が得られることで明らかになることもあることから、市販後に、迅速かつ網羅的に安全性に関する情報を収集することが必要である。このために、厚生労働省では、平成23年度から大規模医療情報データベースの構築を開始しており、薬剤疫学手法に関する調査研究、人材の育成によりこれを活用する環境の整備を進め、安全対策の一層の推進を図ることが重要である。

また、大規模医療情報データベースの将来の拡充のためには、電子カルテ等の医療情報連携等が推進されることを期待する。

- 医薬品・医療機器等の副作用等の報告については、現在は、医薬関係者からは厚生労働大臣に、製造販売業者等からは独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）に報告することとされている。こうした副作用等の情報の収集・整理については、収集窓口を一元化することが効率的であり、医薬関係者からの報告についても、製造販売業者等からの報告と同様に、PMDAに一元化するよう改めるべきである。

加えて、医薬関係者からより多くの報告を得られるように、医薬関係者による副作用報告制度（医薬品・医療機器等安全性情報報告制度）について、広く周知を促すような方策を引き続き実施すべきである。

- また、PMDAが実施している医薬品副作用被害救済制度において、救済給付の申し出を受けた副作用症例も貴重な情報であり、市販後の安全対策に活用すべきであることから、副作用救済給付を請求する者からの情報についても、PMDAにおいて副作用等報告症例としての整理対象とできるようにすべきである。

- 市販後に収集される情報については、PMDAにおいて分析し、安全対策

に活用されているが、現在進められているPMDAの安全対策部門の体制強化により、一層の分析能力の向上を図り、PMDAが医薬品・医療機器の安全対策により重要な役割を果たすことが期待される。また、特に新医薬品・新医療機器の市販直後の一定期間については、製造販売業者はPMDAと緊密に連携して、安全性の確保に引き続き努めるべきである。

- 分析・評価した情報は、医薬関係者に迅速に提供されることが重要であり、PMDAにより医薬品・医療機器等の安全性に関する情報を提供する医薬品医療機器情報配信サービス「PMDAメディナビ」の一層の利用促進を図るべきである。特に、「緊急安全性情報（イエローレター）」、「安全性速報（ブルーレター）」の配布に当たっては、平成23年10月よりその提供に関する指針が施行されたが、医学、薬学等の関係団体、関係学会などとの連携も図り、医薬関係者への情報提供がより迅速に徹底されるよう努めるべきである。また、医療機関の開設者、医師、歯科医師、薬剤師等の医薬関係者は、医薬品・医療機器等の適正な使用のために必要な情報の収集に努め、患者への適切な情報提供が行われるよう努めるべきである。

(3) 添付文書の位置づけ等の見直し

- 添付文書は、医薬品を適正に使用するための情報を医療現場に伝達する手段として最も基本的なものであり、常に最新の知見に基づいて作成されるべきものであることから、製造販売業者にその義務を課す規定を新設する必要がある。
- 本検討部会においては、添付文書の内容に対する国の責任をより明確にするという観点から、
 - ① 添付文書を承認制度の対象とする場合
 - ② 企業に添付文書の届出義務を課して国等が監督する場合について議論された。
- ①については、
 - ・ 薬害の再発防止のためには、製薬会社の作成した添付文書案が不適切である場合には、厚生労働大臣が承認を拒否できることを明確にすべきではないか
 - ・ 国の責任をより明確にできるのではないか
 - ・ 薬事法施行規則第47条の定める軽微変更手続や欧米の制度などを参考

に、添付文書改訂について一部変更承認手続によらない簡略な手続を設けることによって、迅速な改訂の要請にも応えることができるのではないか

- ・ 添付文書を承認の対象としたとしても、安全性に関して「明確な根拠をもって検証されている情報だけを記載させる」ことが法的に要求されるわけではなく、むしろ安全性に関する十分な情報を提供することが求められるようになるのではないか
- ・ 添付文書を承認の対象としたとしても、添付文書の医師に対する法的効果は従前と変わりがないから、医療現場の萎縮や医師の裁量を狭めるなどの問題は生じ得ないのではないか
- ・ 欧米では承認制度に位置付けているが問題は起こっていないのではないか

とする意見があったが、

- ・ 添付文書の内容のうち特に「使用上の注意」については、承認制度の対象となっている「効能又は効果」や「用法及び用量」と異なり、十分なデータがない場合であっても危険性が否定できないという理由で一定の記載を行う場合があり、より柔軟な性格をもっていることから同じ承認制度の対象とすることは馴染まないのではないか
- ・ 承認制度の対象とした場合、改訂のための承認審査に一定の時間を要することからリスクに柔軟かつ臨機応変に対応できないおそれがあるのではないか
- ・ 現場の医師は「使用上の注意」以外の使用方法では使用しない等の萎縮が起こるなど、医師の裁量を狭め、患者の医薬品アクセスを狭めるおそれがあるのではないか

等の意見が多かった。

さらに、欧米の実態及び制度との比較について、以下のような意見もあった。

- ・ 日本の添付文書改訂は、欧米と比較しても迅速に対応が行われており、迅速性を損なわないようにすべきではないか
- ・ 承認の内容に対する法的責任や保険上の取扱い等の違いから、欧米と日本の承認制度を必ずしも同様に考えることはできないのではないか

○ 一方、②であっても、国等が改善命令を出す権限が明確であれば、①と②で国の責任について大きな違いがないのではないかとする意見があり、この視点から、以下のように制度を改めることが適当であるとする意見が多かった。

- ・ 医薬品・医療機器等の製造販売業者等に、承認申請時に添付文書案及び

それに関する資料を厚生労働大臣に提出する義務を課すよう改めること。

- ・ 医薬品・医療機器等の製造販売業者等に、製造販売前及び改訂の際に、添付文書又はその改訂案を厚生労働大臣に予め届け出る義務を課す規定を新設すること。

なお、届出の対象となる品目については、そのリスク等を踏まえて検討するべきである。

- 添付文書について、現行薬事法においては、「これに添附する文書又はその容器若しくは被包」に「用法、用量その他使用及び取扱い上の必要な注意」等を記載することとされているが、近年の情報処理技術の進展を踏まえ、CD-ROM等の電子媒体を活用するなど電子化に対応した制度についても検討することが適当である。また、添付文書の記載内容の充実を含めて、医師が処方する際の参考情報として有益な情報の提供の在り方についても、検討するべきである。

(4) 医薬品等監視・評価組織の設置

- 先に述べたように、薬害の再発を防止するとともに、医薬品行政に対する国民の信頼を回復するためには、規制の実施当局から一定の距離を置く第三者的な組織として医薬品・医療機器行政を評価・監視する仕組みを新たに構築することが重要である。
- 肝炎検証・検討委員会の「最終提言」では、薬害再発防止という観点に立って、第三者組織を既存の審議会とは別個の独立した審議会・委員会として創設し、この組織に法律上一定の調査・意見具申・勧告などについての権限を与えることが必要であると明記されている。
- 審議会等は原則として新設しないこととするとした閣議決定（「審議会等の整理合理化に関する基本的計画（平成11年4月27日閣議決定）」）があるが、今後二度と薬害を発生させないためには、法律に根拠を有する独立の組織という形で新たに薬害防止のために適切な措置を採るように提言、勧告、意見具申を行うことなど、「最終提言」で求められている権能を有する第三者組織を設置するべきである。

第三者組織は、薬事行政の信頼を回復するために、ぜひとも望まれるものであるから、厚生労働省においては、最終提言で求められている権能を持った組織の実現に向けて、関係機関等と精力的に調整を行っていくべきである。

(5) 回収報告の範囲拡大

- 医薬品・医療機器等の自主回収については、医療機関の協力も得ながら、その回収漏れや回収遅延による保健衛生上の被害等を防止する制度を構築する必要がある。この観点から、現在の薬事法で製造販売業者等に義務づけられている回収の着手報告に加えて、厚生労働大臣が回収の計画や状況を把握して適切な指導を行うことができるよう、必要な規定を整備することが必要である。

(6) 患者とのリスクコミュニケーションの推進

- 副作用等の健康被害を防止するためには、国及び地方公共団体の規制部局、製造販売業者等、医薬関係者だけでなく、患者自らが副作用等についての理解を深めることも重要である。このため、特に患者自身への注意喚起が必要な医療用医薬品について作成されている「患者向医薬品ガイド」が掲載されているPMDA医薬品医療機器情報提供ホームページについて、医薬品の調剤時に患者に提供される「薬剤情報提供書」に記載する等により周知を図ることが求められる。
- しかし、同ホームページの情報がすべての医療用医薬品に対応しているものではなく、また一般の患者にとって難解である等の指摘があるため、患者が理解しやすい情報の充実が求められ、さらに同ホームページ自体が患者には知られておらず、また、インターネット利用者でない患者への情報提供手段としても限界があることから、患者の副作用への理解を促すような啓発活動等の充実強化のための方策についてさらに検討するべきである。

啓発に当たっては、副作用等についての情報を十分に提供したうえで、副作用等の問題が発生した場合に、患者が速やかに医師、歯科医師及び薬剤師等の医薬関係者に連絡すべきことを徹底することも重要である。
- また、患者自身が副作用の第一発見者となることもあり、患者から直接副作用報告を収集することも有用であると考えられる。患者からの副作用報告については、現在、厚生労働科学研究事業においてパイロットスタディが進められているが、これを推進し、得られた副作用情報を安全対策に活用すべきである。

(7) GMP調査の体制強化

- GMP (Good Manufacturing Practice : 医薬品及び医薬部外品の品質確保を図るため、原料の受入れから最終製品の包装、出荷に至るまで、全製造工程における組織的な管理に基づく品質保証体制を確立するための諸基準である。) 調査については、調査を実施するPMDA、都道府県において国際的に対応できる調査の質を継続的に確保できる体制づくりが求められている。このため、研修等により都道府県、国、PMDA等の職員の資質向上を図り、都道府県間の調査の連携若しくは都道府県とPMDAの調査の連携を行うなど、関係機関の協力により効果的に調査を行うための方策について検討するべきである。

(8) 苦情解決機関

- 医薬品・医療機器等についての苦情解決機関として、現在、PMDAの相談窓口が対応しているが、より多様な関係者からの様々な苦情や問い合わせに対応するための体制整備や寄せられた苦情や問い合わせに安全対策を講ずるべき端緒が含まれていないかといった分析を通じて安全対策を進められないか、引き続き検討するべきである。

Ⅱ 医療上必要性の高い医薬品・医療機器等の迅速な承認等について

1. 医療上必要な医薬品・医療機器等の迅速な承認

【基本的考え方】

- 希少疾病薬や難治性の疾病の治療薬など医療上必要性が高い医薬品・医療機器等について、より早く患者の元に届けることは、薬事行政において重要な要素である。
- これまでにドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消に向けPMDAにおける審査体制の拡充・強化や審査担当者の質の向上等の取組が行われてきている。しかしながら、特に一部の医療機器の審査についてはデバイス・ラグが改善していないとの批判もある。このため、これまでの取組を引き続き強化することはもとより、医療機器の特性を踏まえて規制制度の在り方を広く見直す必要がある。
- しかしながら、本検討部会に示された審議項目は非常に幅広く、「医療上必要性の高い医薬品・医療機器等の迅速な承認」に関わる課題について、検討するための時間が十分にあったとは言えない。以下では取り急ぎ講ずべき

制度の見直しについて意見をまとめたものである。

可能なものから、速やかに実現を図るとともに、引き続き、基本的な制度の在り方について検討を進め、関係者の合意のもとに、実現を図るべきである。

(1) 希少疾病用医薬品・医療機器への開発支援

- 患者数が特に少ない希少疾病用医薬品・医療機器については、治験の困難さや市場規模の小ささ等により開発が進まない現状がある。有効性及び安全性等を十分に確認しつつ、より重点的な開発支援を検討するべきである。
- 具体的には、患者数が特に少ない希少疾病用医薬品・医療機器を新たに規定するなど法制度の見直しを行うことや、これら患者数が特に少ない希少疾病用医薬品・医療機器の助成金の拡充（助成率の引き上げ）や申請手数料の改訂や、開発早期の段階では開発の実現性は十分に確認できないが、希少疾病用医薬品・医療機器の指定をより早期に行う等の各種支援策の強化について検討するべきである。
- さらに、患者数が特に少ない希少疾病では、レギュラトリーサイエンス研究を推進し、少数の被験者数でも合理的に安全性・有効性を評価できるように、ガイドラインを整備すべきである。
- 特に、開発支援に当たっては、国で直接支援するのではなく、専門的な指導・助言体制を有する独立行政法人医薬基盤研究所の更なる充実強化及び事業費の拡充を図るとともに、医療機器に対する開発支援も一層進めるべきとの意見があったことから、厚生労働省の関係部局が連携し、同研究所の機能の強化に努めるべきである。

(2) 医療上必要性が高い未承認医薬品・医療機器へのアクセス

- 致命的な疾患や日常生活に著しい支障があり、その医薬品・医療機器を使用する以外には治療法がない疾患等に対する、医療上の必要性が高い未承認医薬品・医療機器のうち、国内で治験が行われている医薬品・医療機器に限定して、一定の条件の下、治験の参加基準に外れるなどの理由で治験に参加できない患者に対しても当該医薬品・医療機器にアクセスできるための制度については、本検討部会としては創設すべきと考えるが、実際の導入に当たっては丁寧に議論し進めるべきとの意見が多かった。

- アクセス制度は、承認取得のための開発を阻害しないことが前提である。
- アクセス制度の導入に当たっては、以下の点等に関して、治験実施企業等から制度の対象となる薬物等が提供されるとともに、その医薬品の開発を阻害しないこととのバランスを保持した制度を念頭に検討に着手すべきである。
 - ・ 対象となる薬物等は、欧米等の我が国と同等の規制水準を有する国で承認があること。
 - ・ アクセス制度を実施する医療機関として、患者の治療における安全の確保が図られるなど、一定の体制が整っていることや、対象となる疾病や当該薬物の適正使用にあたっての専門知識を有していることが必要であり、治療へのアクセスを確保しつつ、必要な医療機関の要件を定めることや、実施医療機関や医師を特定する方策を検討すべきこと。
 - ・ アクセス制度を利用して薬物を使用する場合には、十分なインフォームドコンセントが徹底されることが求められる。

これを確保するための方策や、患者がリスク等の説明を受けて同意できる責任の範囲、補償や免責等の在り方について、引き続き検討することが必要であること。
 - ・ アクセス制度により未承認薬が国内で使用できるようになる場合には、個人輸入によりいわゆる「偽薬」を購入することがないよう、当該未承認薬の個人輸入の制度（薬監証明制度）との関係については検討することが必要であること。
 - ・ アクセス制度のもとで使用した薬物の副作用報告の収集や実施医療機関への安全性情報の提供等のシステムを構築する等、十分な安全対策を行うこと。
- なお、欧米での承認や公的保険での償還等があり、医療上必要な適応外薬の取扱いについても、すべてに薬事承認を必要とするべきかどうか、今後検討が必要であるとの意見があり、厚生労働省において本検討部会とは別に引き続き検討すべきである。
- 再審査期間が終了した適応外薬においても、アクセスが不十分であるとの意見があった。薬事承認申請はあくまでも企業が行うものであるということが前提であり、再審査期間が終了した適応外薬の使用の取扱いについては今後更に検討するべきとの意見があった。

- いわゆる55年通知の現状を踏まえた上で、適応外薬の取扱いの見直しについて検討すべきではないかとの意見もあった。
- 医薬品へのアクセスにおいて、米国等で導入されているいわゆるコンペンディウムのような制度（米国では産学が連携したGCP水準の医師主導臨床試験が多数実施されており、それによって得られたエビデンス（論文が査読のある世界的雑誌に掲載されることが前提）がさらに第三者評価機関で評価され承認されれば、FDAの薬事承認がなくとも適応外薬にアクセスできるとのこと。）の検討が必要であり、PMDAの審査の負担を軽減できるのではないかという意見があった。
- なお、薬剤、それに伴う手技等の患者負担については過度にならないように配慮する必要があるとの意見があった。アクセス制度における未承認薬については、原則企業からの無償提供ではなく患者負担であるべきとの意見があったが、一方で、すべてを患者が負担することは困難との意見があった。

(3) 優先審査権の付与

- 医療上特に必要性が高いが、企業による開発が進みにくい医薬品について、迅速な開発を促すため、このような医薬品を開発し、承認を取得した者に対して、当該医薬品とは別の品目に対する優先審査権の付与等の優遇措置等については、十分な議論の時間は得られなかったが、PMDAの審査体制の充実が前提となることから、その在り方は引き続き検討を続けるべきである。

(4) その他の運用改善が望まれる事項

- 医療上必要な医薬品・医療機器等の迅速な承認については、上記のとおり制度の見直しを進めるべきであるが、その他にも以下の課題について運用や制度の改善の検討を引き続き進めるべきである。
 - ・ 定められた期間内に一定の承認手続を終了し、薬事・食品衛生審議会で審議する仕組み
 - ・ 外国製造業者の認定を届出制度に変更し、製造業者の構造設備基準をGMPと統合
 - ・ 国内製造業の許可も、製造業者の構造設備基準をGMPと統合
 - ・ 輸出届書及びGMP調査申請書を製造業者のみならず製造販売業者からも提出できる制度

- ・ 表示面積が狭い製剤での直接の容器の表示の簡略化・省略の特例の拡大
- ・ 外国製造業者が行う原薬等登録原簿申請を国内管理人を経由せずに直接申請できることとし、国内管理人の業務及び責務を明確に規定
- ・ 審議会審議の利益相反の適切な管理の徹底

2. 医療機器の特性を踏まえた制度の創設

【基本的考え方】

- 医療機器については、その種類が多岐にわたること、革新的医療機器に加え、他の機械製品と同様に短いサイクルで数次にわたり改善・改良が行われた製品が市場に供給される場合が多いこと、ベネフィットとリスクは使用者の手技によるところが大きいことなど、医薬品と大きく異なる特性を有する。
- また、医療機器の開発は、臨床の現場において、医師が主体的に医療機器を考案した後、企業による開発が進められることが多い。したがって、医療機器の開発では、申請データを取得するための医師主導治験や医療技術の開発のための臨床研究が実施しやすい医療機関の体制の整備・充実が必要である。
- 本検討部会では、当面の制度改正事項として以下のような医療機器等に関わる幅広い課題について議論してきた。医療機器の安全性・有効性の確認をおろそかにすることなく、迅速な審査をするためには、当面の制度改正にとどまらず、一層合理的な規制のために更なる検討の上で制度改正に取り組むべきものも多く含まれており、議論を重ねる必要があると考える。また、法律改正を要せずに承認・認証制度や品質管理制度の合理化を図ることができることも多岐にわたり、着実に制度運用の改善を図るべきである。
- したがって、厚生労働省は、文部科学省、経済産業省とも連携しつつ、医療機器業界の要請や実情把握を踏まえ、より良い制度とするよう引き続き議論を進めることを期待する。その議論を踏まえ、当面の薬事法改正のみならず、必要な法制度についても検討がなされるべきである。

(1) 医療機器に関する制度の見直しをするべき事項

- 医療機器や体外診断用医薬品が多様な専門性を持った要素技術の集合体である特性を踏まえて、医療機器の製造販売業の許可要件・遵守事項、体外診断用医薬品の管理者の資格要件や基本要件の位置づけの見直しについて、検

討すべきである。

- QMS (Quality Management System: 医療機器及び体外診断用医薬品の全製造工程における組織的な管理に基づく品質保証体制を確立するための諸基準である。) 調査については、医療機器には例えば同一の製造工程において、一つの製品を改良・改善して供給される場合が多いという特性を踏まえる必要がある。このため、国際的な製造管理・品質管理の方法との整合性に配慮しつつ、調査の実効性を高めるため、かつ、事業者の申請事務負担を軽減する観点から、特にリスクの高い医療機器等を除き、現在は品目ごとに調査を行っているものを、製品群ごとに調査対象をまとめるための方策について検討すべきである。
- 今日では数年前には想像できないほどに情報通信技術等が発達し、医療機器の分野においても、コンピュータが制御する製品も多く、医療機器を制御するコンピュータに搭載されているソフトウェアも医療機器の重要な要素となっている。ソフトウェアの性格上その不具合の修正が多くあることや、ソフトウェアを改善することにより医療機器の性能が大きく変わることもある。こうしたことから、ソフトウェアも単体として医療機器として有効性・安全性を評価することが必要である。このため、薬事法においてソフトウェアが医療機器であることを明らかにするとともに、その有効性・安全性を評価する仕組みを検討することが必要である。
- 医薬品と医療機器を組み合わせた製品の安全性等をより一層担保するため、医療機器の医薬品部分又は医薬品の医療機器部分に対する製造時の品質管理や副作用・不具合報告の現在の取扱いを明確化するための方策について検討すべきである。

(2) その他の運用改善が望まれる事項

- 上記の他、必ずしも法律改正を要するとは考えられないが、医療機器等の承認・認証等の合理化のため、医療機器等に特徴的な以下の課題について、運用の改善も含めた検討を進めるべきである。
 - ・ 製造所での組立てが困難な大型の医療機器の製造所以外の場所での組立て
 - ・ 一部変更承認申請を不要とする範囲の明確化
 - ・ 信頼性調査が必要な範囲の明確化
 - ・ 海外市場実績のある医療機器の非臨床試験や臨床試験データの取扱い

- ・ 一般医療機器の届出手続きの在り方
- ・ 容器への記載事項について規格化されたシンボルマーク（図記号）の表記
- ・ 認証制度における国際規格の利用拡大や承継制度
- ・ 個別化医療推進のため医薬品審査と連携したコンパニオン体外診断用医薬品の審査方策

3. 再生医療製品など先端的技术を用いた製品への対応

【基本的考え方】

- 再生医療製品については、今後も、臓器機能の再生等を通じて、重篤で生命を脅かす疾患等の治療等に、ますます重要な役割を果たすことが期待される。特に、iPS細胞の研究など再生医療に資する知見・技術は日々進歩し続けている段階であること等を踏まえ、再生医療製品の品質、有効性及び安全性を維持しつつ、迅速に開発が行われ承認されるための支援策が求められている。
- 代替治療がないような重篤な疾患等では、新薬の承認審査で求められるようなランダム化比較試験が必ずしも容易ではないことを踏まえ、合理的に有効性及び安全性を評価することが可能なデータで審査が進められるようにする必要はある。
- 更に、今まさに日々技術が進歩していること等を踏まえ、厚生労働省においては、医薬品及び医療機器と同様に関係学会の専門家、PMDAとの人事交流などにより、レギュラトリーサイエンスの考え方に基づく共通の基盤に立ち、今後の製品開発、治験、承認審査の方針等を明らかにするガイドラインの策定、早期・探索的な医師主導治験に対する相談の充実、新たな審査の仕組みの構築が計画的、かつ、着実に進むような方策を検討するべきである。
- 我が国の現行の薬事法では、再生医療製品など先端的技术を用いた製品について、法制度上どのように取り扱うべきなのか知見が確立しているとは言いがたい。
そのため、医療機器と同様に、再生医療についても、医療関係者が主体となった診療技術の開発に伴う臨床研究の果たすべき役割が大きいことから、厚生労働省においては、臨床研究やその実施体制を担当する部局の間での連携を図り、再生医療製品の製造業界の実情を把握し、再生医療製品の特性を踏まえた制度の在り方についても検討するべきである。

再生医療には先進医療で認められているものもあり、今後もその活用が期待されるとの意見があった。

- なお、再生医療製品については、今までも、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、「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」にて議論を行い、平成23年3月に、再生医療製品の有効性・安全性の評価、管理の在り方等について提言として取りまとめた。今後は、この提言の見直しや医療機関における培養施設の要件の検討等も含めフォローアップを行うことが必要である。

4. PMDA等の体制の充実等

【基本的考え方】

- 医療上必要性の高い医薬品・医療機器等の迅速な承認等について、医薬品、医療機器、再生医療製品と分けて、それぞれの課題を整理すると、上記の1.～3.のように整理される。一方で、法律改正は要しないものの、審査体制の充実・強化など、迅速な承認等を可能にするための方策についても、以下のような点についても見直しが必要と考えられるので、厚生労働省は、それらの点についての検討を引き続き進めるべきである。

(1) PMDA等の体制の充実について

- PMDAは、承認審査、安全対策等の業務により、国が医薬品の承認、安全対策措置等を決定する際の重要な根拠を提供している。そのため、PMDAは、国の承認等の権限行使のために質の高い基礎的業務を国と一体となって行うことが求められており、国との密接な連携が不可欠な組織であることを念頭に、承認審査、安全対策を更に充実する目的で、その体制の強化とともに、専門的知見を有する人材の確保・育成を図るべきである。
- また、革新的医薬品・医療機器に対する的確な相談対応や迅速な承認という観点に注目すると、レギュラトリーサイエンス研究の成果を規制の基礎として活用することが不可欠である。したがって、PMDA及び国立医薬品食品衛生研究所において、レギュラトリーサイエンス研究を充実し、特に新たな技術に対する対応方針の確立に役立つようにするべきである。

(2) 臨床研究等について

- 革新的医薬品・医療機器の開発促進のため、戦略的な臨床研究の推進は必要であり、その中でも早期・探索的臨床試験等を推進するために、ICH-GCP（日米EU医薬品規制調和国際会議で合意された医薬品の臨床試験に関する基準）水準の臨床研究や医師主導治験を実施する臨床研究中核病院（仮称）の創設による治験・臨床研究の体制を整備することが必要と考えられる。
- 臨床研究中核病院（仮称）等において、ICH-GCPに準拠して実施された臨床研究については、資料の位置づけ等を考慮した上で、承認申請資料として活用する可能性を判断する運用について検討すべきである。
一方、治験における被験者の契約症例数や分担医師の変更等に伴う手続き、定期的な副作用報告の効率化等を図るため、ICH-GCPとの整合性をとりつつ、GCP上の取扱いも見直すことが合理的と考えられる。
- 法制化を含めた臨床研究の在り方については、平成25年7月を目途とした臨床研究指針全般の見直しの議論（厚生科学審議会科学技術部会）において、引き続き検討されることとなっているが、被験者が臨床研究に関する知識や理解を深めることができるような取組みを進めるとともに、「最終提言」が求めた被験者の権利の確立が必要であり、治験以外の臨床研究と治験を一貫して管理する法制度の整備を視野に入れた検討を望む。
- 患者が主体的に治験に参加しやすくするために、疾病等から治験・臨床研究の情報を検索できるホームページの充実等の環境整備を行うべきである。

Ⅲ 医薬品等監視の強化について

【基本的考え方】

- 個人輸入をしている医薬品等の中には、その使用により重篤な有害事象が起きている場合がある。
個人輸入により海外から輸入される医薬品については、現在整備を進めている個人輸入のデータベース等により状況把握に努めるとともに、より適切な医薬品等監視のための方策について検討すべきである。
また、指定薬物については、近年のいわゆる違法薬物の流通の広がりや、規制の網をかいくぐる悪質な事例が後を絶たない。このため、指定薬物による健康被害の発生を防止するため、販売者に対する監視指導・取締りの強化

に加え、より効果的な規制方法や効果的な情報提供等の方策について検討するべきである。

(1) 個人輸入等への対応強化

- 個人輸入については、偽造医薬品等による健康被害の事例が生じている状況等を踏まえ、偽造医薬品等による健康被害の防止の観点からも、医療上必要な未承認医薬品のうち、Ⅱ 1. (2) の新たなアクセス制度により対応することが検討されるべき医薬品については、当該制度の活用によるべきである。また、偽造医薬品等による健康被害が起きないように、偽造医薬品等については、国、都道府県等が連携して、その流通等の監視、健康被害等に係る情報収集、並びに国民に対する情報提供及び周知・啓発を効果的に行うための体制作りを進めるとともに、薬監証明のデータベース化により把握した個人輸入の状況を公表する他、薬監証明制度や個人輸入を巡る課題を整理して、必要な対応について検討するべきである。
- 適応外使用の情報提供、広告等については、医薬品業界団体の自主ガイドライン（医薬品の適応外使用の情報提供に関する総括報告書）を各都道府県に周知するなどにより、適切な情報提供・広告等の手法の普及を進めるとともに、業界団体と連携して、違法な事例の取締りにつながる仕組みを強化するべきである。

(2) 指定薬物の取締りの強化

- 麻薬取締官（員）が司法警察員として職務を行う範囲に、新たに薬事法に規定されている指定薬物を追加し、麻薬取締官（員）が指定薬物の取締りを行うことができるための規定を新設するとともに、予防的視点から迅速かつ円滑な取締りが可能となるよう必要な規定を新設するべきである。
- 国、都道府県等が連携して監視・取締りを行えるような体制作りを進めるとともに、健康被害の情報、危険性に関する国民への効果的な周知・啓発手法、新たに国内で流通する指定薬物の包括的な規制方法について検討するべきである。

IV その他

(参考) **厚生科学審議会医薬品等制度改正検討部会の開催経緯**

第1回 日時：3月22日(火)

議題：医薬品行政の現状と課題について、今後の検討の進め方について

第2回 日時：4月21日(木)

議題：医薬品等関係者の安全対策への取組みの促進について

第3回 日時：5月27日(金)

議題：医療上必要性の高い医薬品等の迅速な承認等について
医薬品等監視の強化について

第4回 日時：6月20日(月)

議題：薬害再発防止のための医薬品行政等の見直しについて(最終提言)
望月(眞)委員の研究班の結果について
澤委員の医療イノベーションの観点からの薬事法関連規制に対する提言について

第5回 日時：7月22日(金)

議題：論点整理(案)について

第6回 日時：9月16日(金)

議題：論点整理を踏まえた必要な制度改正案の基本的な方向性について

第7回 日時：10月19日(水)

議題：薬事法等改正の方向性(たたき台案)について

第8回 日時：11月16日(水)

議題：医療上特に必要性の高い医薬品等の迅速な承認等について
第三者組織について

第9回 日時：12月16日(金)

議題：薬事法等制度改正についてのとりまとめ(案)について

第10回 日時：12月26日(月)

議題：薬事法等制度改正についてのとりまとめ(案)について

厚生科学審議会医薬品等制度改正検討部会委員名簿

- | | |
|--------|---|
| 片木 美穂 | 卵巣がん体験者の会スマイリー代表 |
| 坂田 和江 | 薬害肝炎全国原告団 |
| 澤 芳樹 | 大阪大学大学院医学系研究科教授 |
| 鈴木 達夫 | 東京都福祉保健局健康安全部食品医薬品安全担当部長 |
| 寺野 彰 | 獨協学園理事長・獨協医科大学名誉学長 |
| ◎永井 良三 | 東京大学大学院医学系研究科教授 |
| 長野 明 | 第一三共株式会社専務執行役員 |
| 七海 朗 | 日本薬剤師会副会長 |
| 花井 十伍 | 全国薬害被害者団体連絡協議会代表世話人
(大阪H I V薬害訴訟原告団代表) |
| 羽生田 俊 | 日本医師会副会長 |
| 原澤 栄志 | 日本光電工業株式会社取締役専務執行役員 |
| 藤原 昭雄 | 中外製薬株式会社医薬安全性本部ファーマコビジランス部
部長 |
| 堀田 知光 | 国立病院機構名古屋医療センター院長 |
| ○望月 正隆 | 東京理科大学薬学部教授 |
| 望月 眞弓 | 慶應義塾大学薬学部教授 |
| 山本 隆司 | 東京大学大学院法学政治学研究科教授 |

(◎：部会長、○：部会長代理)

(五十音順、敬称略)