

再生医療等製品：臨床試験の計画・実施におけるポイント(ヒト細胞加工製品を中心に)

佐久嶋 研

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 再生医療製品等審査部

Keyword：医薬品医療機器法 再生医療等製品 レギュラトリーサイエンス 条件及び期限付承認制度

はじめに

再生医療等製品の臨床試験デザインを検討する際には、医薬品・医療機器における考え方は参考になるものの、製品の特徴として医薬品・医療機器と異なっている部分があるため、特別に留意すべきポイントが存在する。また、薬事法が改正され「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」(薬機法)となったことに伴い、再生医療等製品に限定して条件及び期限付承認の枠組みができたことにより(本誌52～56頁参照)、開発戦略全体における各段階の臨床試験の目的に含まれる内容が医薬品・医療機器とは異なる場合もありうる。また、再生医療等製品には細胞加工製品(自己由来および同種由来)と遺伝子治療用製品が存在しており、それぞれ製品の特徴が異なっていることから、臨床試験のデザインおよび目的を設定するにはそれぞれの特徴に応じて考える必要がある。

本稿では、再生医療等製品のうち、自己から細胞・組織採取を行い製品の製造を行うという医薬品・医療機器とは大きく異なった特徴を有する自己由来の細胞加工製品を中心に臨床試験における留意点を医薬品・医療機器との異同を踏まえつつ解説する。

自己由来の細胞加工製品の特徴

再生医療等製品には細胞加工製品と遺伝子治療用製品があり、細胞加工製品は自己由来と同種由来に分けられる(図1)。同種由来の細胞加工製品のうち医薬品と類似した投与経路を用いるものは、血液製剤等のコンセプトに近い医薬品が既に存在していることから、それらの臨床試験デザインを参考にすることが可能である。一方で、自己由来の細胞加工製品では製品の製造に際して被験者からの細胞・組織採取が必要であること、および試験期間中に製品を製造するための期間が必要となることから、同種由来の細胞加工製品とは異なった臨床試験デザインで実施することになる。すなわち、被験者からの細胞・組織採取において考慮すべき要素は侵襲性であり、採血のような低侵襲なものから軟骨採取等の比較的侵襲度が大きいものまでであることにデザイン上、留意が必要である。加えて、細胞・組織採取に伴い何らかの有害事象が生じる可能性もある。試験期間中に製造するために要する期間に関しては、製品によって製造に要する期間が異なり、細胞・組織採取を行った被験者の状態は時間とともに変化する可能性があることから、当該期間が臨床試験の実施に与える影響を考慮する必要がある。また、再生医療等製品によってはジェイス¹⁾のように医療機器に近い考え方ができる製品も存在するが、このような製品の臨床試験デザインを検討する際には、医療機器にお

Sakushima, Ken
sakushima-ken@pmda.go.jp