

嶽北 和宏

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 特任講師

はじめに

「再生医療等製品」及び「製造販売承認」は、平成26年に薬事法から改正・施行された「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)下の用語である。「再生医療等製品」は疾病等の治療・予防を目的とした細胞・組織加工製品及び疾病等の治療を目的とした遺伝子治療製品を指す。また、「製造販売承認」はわが国で開発製品を再生医療等製品等として、業として出荷・流通することを厚生労働大臣から認められることを指す。なお、その業を行う者を製造販売業者、さらに製品製造を業として行う者を製造業者、製品販売を業として行う者を販売業者という。本稿では、製品ライフサイクルのうち、シーズ探索、製品開発・解析、非臨床試験、早期臨床試験を経た後の、「新再生医療等製品」¹⁾に関してピボタル臨床試験終了後～製造販売業者が製造販売承認申請し、製造販売承認を受けるに至るまでの例外を除いた現在の一般的な流れについて主に規制当局との事務手続きを中心に概説したい。

製造販売承認申請までの流れ

製品の臨床開発が終了または終了間近となったとき、まずは製造販売承認申請に向けて製造販売業者は独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)に対し「再生医療等製品申請前相談」を申し込むことをおすすめる〔PMDA第四期中期計画(平成31年～)で開発後期の相談手数料の値上げが業界と調整中との情報もある〕。PMDA対面助言なので実施は義務ではないが、当該相談の中で承認可否(条件及び期限付承認を含む)の予見性や申請データパッケージの充足性を

調整することは課題の明確化や承認審査の円滑化が促進されるからである。議論をより有意義にするためにも、相談資料としては相談論点を記したもののほか、申請時に添付する添付資料概要の案に相当するものがあるべきである。再生医療等製品では添付資料概要に関し特段のフォーマットが現時点策定されているわけではないため、様式は自由ではあるが医薬品CTD-M2²⁾や医療機器STED³⁾の参考利用が勧められている⁴⁾。説明や情報の整理がしやすいことが重要なので、確認申請記載要領⁵⁾や2005年以前に使用されていた旧添付資料概要の様式⁶⁾も参考にできるかもしれないと個人的には思う。なお、PMDA第四期中期計画において再生医療等製品についても電子申請様式の作成が目標に入るかどうか業界と調整中との情報もある。

並行して、大抵の業者は通常その時点で保有していないと思われる「再生医療等製品製造販売業許可」(各都道府県薬務課が実務担当)および「再生医療等製品製造業許可」(地方厚生局が実務担当、窓口のみ各都道府県薬務課)取得に向けて相談しに行くべきだろう。ただし、開発初期の段階で相談しても製品がなくては現実感ある有意義な議論ができないため、タイミングが早期すぎる相談は望ましくないかもしれない。最終的に業者は製造販売承認時までには各種許可を取得することになる。

製造販売承認申請・審査の流れ

製造販売業者(申請中の業許可取得予定者を含む)となる者が、製造販売承認申請者として窓口であるPMDAに再生医療等製品製造販売承認申請書(厚生労働大臣宛)とその審査関連の申請書類である、製造販