

自家細胞・組織利用製品の特徴

患者から細胞を採取し、加工処理した後に当人に戻すことから、他人の病気をもらい受ける心配(ドナー(細胞・組織提供者)由来の感染リスク)は考えられないが、その一方で、以下のような特徴を有する。

1. リスクの観点

① 処理を加えることで生じるリスク

培養等に際して培地に用いる原材料(血清等)による感染の可能性、細胞の性質の予期せぬ変化(癌化)などが否定できず、これら処理に関連するリスクが内在。

② 製品そのものの有効性・安全性に関するリスク

期待どおりの効果を発揮するか、有害反応は発現しないかなど、製品そのものの有効性と安全性に関するリスクが内在。

③ 品質の一定性のリスク

繰り返し製造した場合、中には使用に耐えられない製品が生じるおそれがある等、品質が一定した製品を製造できないリスクが内在。

2. 製造・流通・使用等の観点

④ 患者・医師・製造者が1対1対応

自家製品は細胞等を採取した患者以外への汎用性がないため、その使用、流通が限定的。

⑤ 製造設備が比較的小規模

自家製品の多くは、ベンチャー企業、大学などの研究室レベルの施設で試作されており、その製造設備は一般的に、通常の医薬品製造設備に比較して小規模。

(参考10)

自家細胞・組織利用製品の特徴を踏まえた制度の当面の見直し

自家細胞・組織利用製品の特徴を踏まえた公衆衛生上適切な規制となるよう、以下の取組を開始したところ。

(1) 自家細胞・組織利用製品の安全性等評価基準の策定(直ちに検討着手、19年夏目途に策定)

自家細胞・組織利用製品等について安全性や有効性に関する評価基準を策定。全身を介する作用を期待しない一定のものについては、比較臨床試験が不要である場合があることを明記するなど、その考え方を明示する。

(2) 医薬品医療機器総合機構におけるきめ細かい相談業務の実施(今年度中に実施)

これまでの事例によると、承認申請の際の添付資料の整備等に多大な時間を要していることから、細胞・組織利用製品に関する相談区分を増設するなど、相談業務の改善を図る。

(3) 治験実施手続きの合理化(今年度中に実施)

治験実施にあたり、確認申請と治験計画届で求める添付資料等の重複を排除し、手続きの合理化、迅速化等を図る。

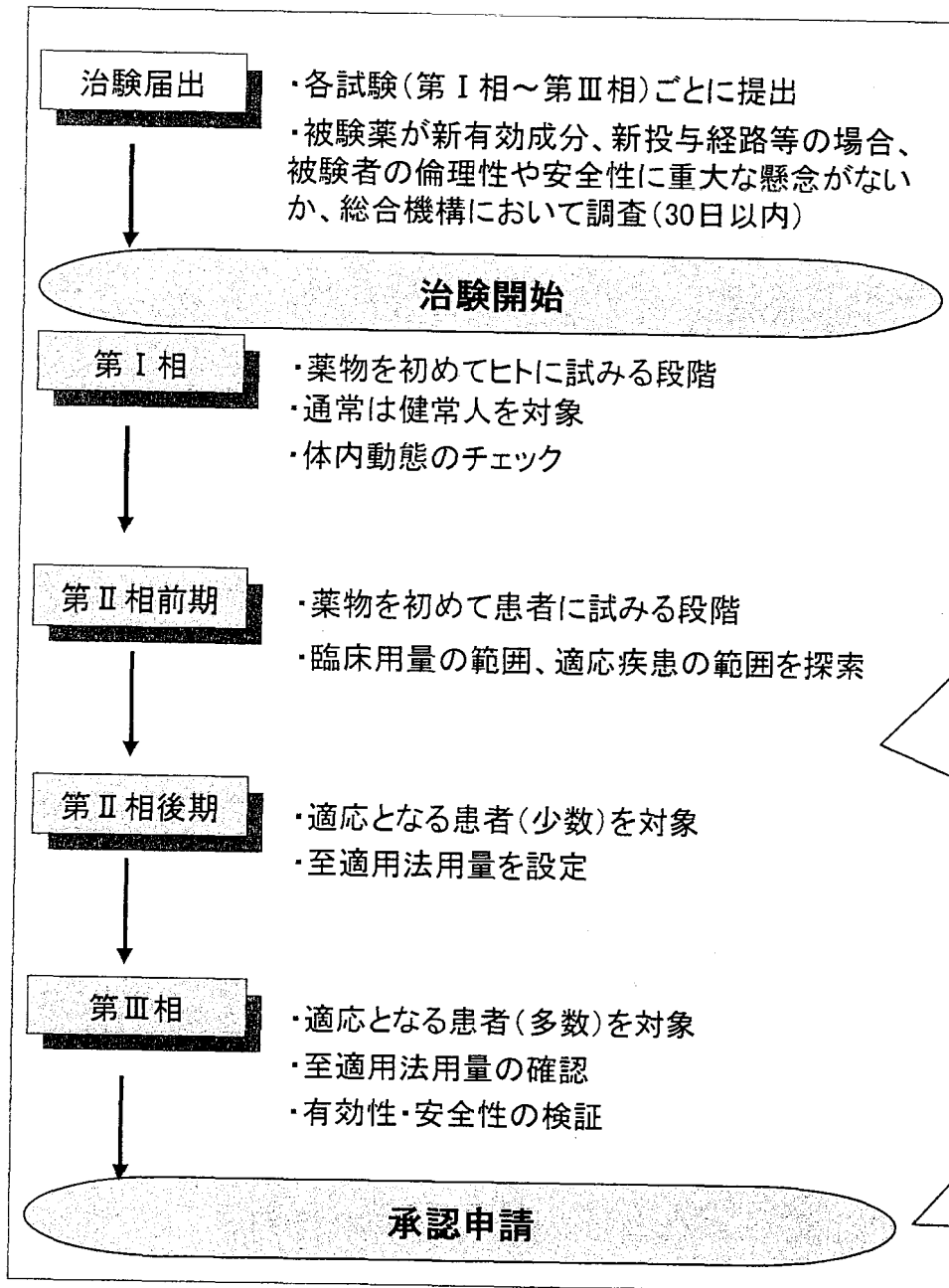
(4) 製造・品質管理に関する規則の整備(直ちに検討着手、19年夏目途に策定)

自家細胞・組織利用製品等に係る製造・品質管理に関する規則(GMP(Good Manufacturing Practice))を当該製品の特徴を踏まえて策定する。あわせて、治験段階のGMPのあり方についても整理する。

治験について

(イメージ)

	被験者数	試験期間
第Ⅰ相	約20人	約0.5～1年
第Ⅱ相前期	約50人	約1年
第Ⅱ相後期	100人以上	約1年
第Ⅲ相	約200人以上	約2～3年



<主な規制と制度(第Ⅰ相～第Ⅲ相)>

- ・ GCP省令(注1)
- ・ 治験薬GMP(注2)
- ・ 分野横断的な臨床評価ガイドライン(全16ガイドライン)
例:臨床試験の一般指針
臨床試験における対照群の選択とそれに関連する諸問題 など
- ・ 薬効群別の臨床評価ガイドライン(全14ガイドライン)
例:抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイドライン
抗リウマチ薬の臨床評価方法に関するガイドライン など
- ・ 総合機構における治験相談

(注1) 「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令」

(注2) 「治験薬の製造管理及び品質管理基準及び治験薬の製造施設の構造設備基準(治験薬GMP)について」(通知)

<GCP適合性調査(承認申請後)>

承認申請後、申請書に添付された治験に関する資料が、GCP省令に従って収集され、作成されたものであるかどうか、総合機構が書面及び実地で調査を行う。

国内における治験結果が必要な理由

○ ICH(日米EU医薬品規制調和国際会議)で合意されたガイドラインは、医薬品の効果に民族的要因が影響を与えることを考慮しつつ、その影響を評価する必要性を指摘。

○ 日米欧で承認されている医薬品の約1/3は、日本人と欧米人との用法・用量が異なる。

平成15年度から17年度までに日本で承認された「新有効成分医薬品」のうち、欧米との比較が可能であった41品目について調査したところ、13品目(31.2%)に、用法・用量の違いがあった。

(例) ① カペシタビン(抗がん剤) : 日本人;1657mg/m²/日、欧米人;2500mg/m²/日

② テリスロマイシン(抗生物質) : 日本人;1日あたり600mg、欧米人;1日あたり800mg

○ 日本人と欧米人とでは、副作用発現の違いが見られるとの報告がある。

(例) ① 欧米人に比べ日本人で間質性肺炎が高頻度に発生するとの報告 :

レフルノミド(抗リウマチ剤)

② 欧米人に比べ日本人で下痢が高頻度に発生するとの報告 :

イリノテカン(抗がん剤)

新たな治験活性化5カ年計画の策定について (参考13)

全国治験活性化3カ年計画に基づく主な取組

(平成15年4月30日 文部科学省・厚生労働省策定)

1. 治験のネットワーク化の推進

・「大規模治験ネットワーク」の構築(1,314施設登録 H19.3.31現在)

・モデル事業: 医師主導治験

(12件(13治験薬)採択、8件(9治験薬)治験届提出、3件承認申請 H19.3現在)

2. 医療機関の治験実施体制の充実

・治験コーディネーター(CRC)の養成確保(H18年度までに約5,000名の研修修了)

3. 患者の治験参加の支援

・国民に対する治験の意義等に関する普及啓発及び情報提供 等

4. 企業における治験負担の軽減

・治験契約に係る様式の統一化(国立病院機構等において統一済み)

・医薬品医療機器総合機構の相談体制の充実(審査部門の増員198名) 等

新たな治験活性化5カ年計画の策定 (平成19年度からの新計画)

アクションプラン 次の事項を今後5年間で達成

1. 治験等の中核病院・拠点医療機関の体制整備

人材・技能の集約化を図り、「国際共同治験・臨床試験」「スタッフ教育」等が実施できる中核病院・拠点医療機関を中心とする治験等の推進体制を構築する。

2. 治験等を実施する人材の育成と確保

研修や業績評価等により、医師、CRC等スタッフの質的向上と、治験・臨床研究実施に係るインセンティブを確保する。

3. 国民への普及啓発、参加促進

情報公開や、医療機関に「患者向け相談窓口機能」の設置により、治験参加希望者が必要な情報を得られ、安心して治験等に参加できるようにする。

4. 治験実施の効率化、企業負担の軽減

治験関係書式の統一、医療機関と企業の役割分担の明確化、治験データのIT化により治験のスピードアップとコスト低減を図る。

5. 規制の適正化、被験者保護の向上

運用実態を踏まえ「GCP省令」や「臨床研究に関する倫理指針」を見直す。等