

3. 審査体制の更なる強化について-1

- PMDAにおける先端医療技術に対する「技術育成」の視点を持った審査手法および審査体制の確立
- 細胞治療・再生医療製品についての承認システムの関連法令・通知、審査運用の見直し、例えば日本型HUD制度やコンパッショネート・ユース等の導入、いわゆる第3カテゴリーの導入等の検討。

日本版HUDは可能か？

- 対象例の少ない難治性/重篤疾患
- 日本では1000~2000人を対象
- 安全性確認を中心とした迅速審査
- 日本の医療環境を考慮する
- 同時に、可能な限り海外Dataも参考に
- 有効性&安全性は市販後も継続して調査
- 「日本発の技術を育てよう」の精神

HUDとコンパッショネートユース

- HUD (Humanitarian Use Device)は「人道的に使用される医療機器」承認制度。
- 対象患者が年間4000人以下の重篤な疾患に使用される医療機器で、他に変わる機器がなく、ベネフィットがリスクを上回ると判断される医療上必要性が十分に認められた医療機器。
- HUD類似制度が当局により認められると、申請データがかなり免除され(安全性データが中心であり、検証された有効性データが無くても可)、承認を受け臨床現場で使用できることとなる。
- コンパッショネートユースは極少数患者(2桁未満)を対象とした未承認薬剤の使用を認める制度

再生医療の治療対象は、まさにこのような重篤な患者さんを対象とした制度が適応されるべきである。

3. 審査体制の更なる強化について-2

- より迅速な審査が行われるよう、PMDAの再生医療分野の知識強化、特に生物系審査の強化等の人員の更なる確保も含めて審査体制の質量両面での強化を要望。
- 積極的な産官学の人事交流や教育事業、専門協議にかかるプール委員への人材の育成を学会と連携して推進する。

4. 学会としての取り組み-1

- 重症臓器不全、重篤な遺伝性疾患、難治性疾患(いわゆる難病)等の重篤な疾患群と、直接生命に影響しない領域の疾患等では安全性有効性の希求水準が大きく異なる。
- このような事実を踏まえ、学会として領域・疾患ごとの安全性・有効性に求められる水準を提言していく。

4. 学会としての取り組み-3

- 自家細胞臨床研究に当たって、医療機関同士の培養細胞の提供を可能にしていく場合、安全確保やQuality Controlのために培養施設や培養技術者の認定に関して当学会が積極的に役割を担い、将来、企業の利用も可能にしていく。

4. 学会としての取り組み-2

- 臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする審査の迅速化にむけた支援を積極的に行う。
- 当学会として、再生医療の普及に向けて、安全な細胞加工技術の確立、培養施設や培養技術者の教育や選定、予期せぬ事態への対応、患者への啓発(理解を促す方法)など適切な運用にかかる役割を積極的に担っていく。

4. 学会としての取り組み-4

- 自家体性幹細胞など、すでにある程度ノウハウが蓄積され、リスクの比較的低い幹細胞を用いた臨床研究については、ヒト幹細胞の審査も含めて学会が科学的評価を積極的に協力していくことも重要と考える。
- 学会では、治療後の評価を積極的に行うため各領域の治療効果に関するデータベースを構築し、Evidence based medicineを確立していく。

さらなる規制改革へ向けた提言

- 高度医療迅速推進
タイムラグをなくす、専門ポスト増員
- ヒト幹審査迅速推進
ヒト幹から治験へ合理的審査の流れを(ヒト幹にインセンティブを)
- PMDAの迅速審査
世界とのラグをなくす、ポスト増員、専門性の高い人材確保
- 臨床研究における保険外併用療法問題の解決
包括(DPC)診療を行なっている特定機能病院などでは、DPC内で臨床研究が行えるようにして、患者負担がなく医師のインセンティブにもなるようにすべき
- 臨床研究用ベッドの設置
NIHで行っている治験支援システム。医療法上のベッドとしてカウントしない臨床研究・治験のため入院する場合のベッドを設置。
- 臨床研究費用の確保
一般研究費の臨床研究費用への転用
臨床研究用人材の人件費

6

再生医療の問題点 ひと・もの・おかね

- 知財確保
- 人材育成・体制整備
- 法的規制
- ヒト幹～治験～産業化の連続性
- 研究開発費
- 臨床試験費用
- 補償・責任問題
- そしてグローバル戦略 国際競争力を

未来予想図

ヒト幹臨床試験から治験製品化への迅速移行

- GCPLレベルの臨床研究で確認申請不要に
- 医師主導治験の活用
- 日本版HUD的審査基準
- 全国の臨床試験ベッド活用
- 活発な産官学の人事交流/人材育成
- 承認審査の国際化
- 日本の技術を世界に

国際競争力の獲得にむけて

- 再生医療審査評価基準を国際標準とハーモナイズ
日米欧3極の1つとしてのプレゼンスの獲得
アジアではイニシアティブを！
- 規制パッケージの輸出
国際基準(評価・審査)をわが国が主導で
特にiPSでは先導的立場に！
- BioPoliticsの必要性
国際競争力獲得戦略を立案する人材育成
知財・規制・政策に精通した人材を！
- バイオ戦略のヘッドクォーター機構

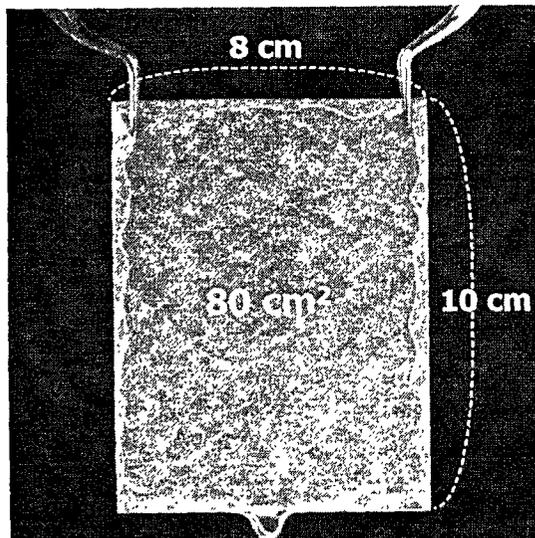
再生医療産業の光と影

- ❖ 再生医療に関しては、多くの施策が用意されているものの、その恩恵を国民・患者が享受できていない。しかし、まだチャンスはある。

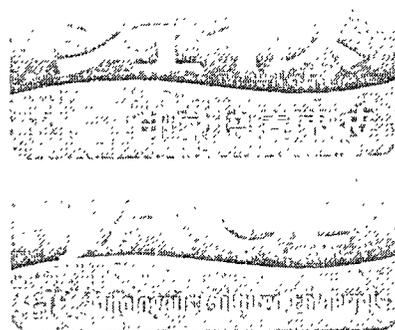
- 「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」
- IPS細胞研究に対する重点的な施策
- 「最先端研究開発支援プログラム」1000億円
- 「先端医療開発特区(スーパー特区)」への追加補助
- 「再生医療実用化研究事業」世界の再生医療技術の1/3を日本発に!
- 「再生医療における制度的枠組みに関する検討会」2年間
- 再生医療の実現化プロジェクト「再生医療の実現化ハイウェイ」
- 株式会社産業革新機構の設立
- 閣議決定「新成長戦略」ライフ・イノベーションによる健康大国戦略

- 承認・保険収載は1品目のみ
- ベンチャー企業は資金繰りに困窮
- 海外での上市製品も自家表皮、同種皮膚、自家軟骨のみ

日本第1号のヒト細胞組み込み再生医療製品



成人男性の体表面積 (約1.6m²) の0.5%に相当



[適応対象]
重症熱傷
 (深達性Ⅱ度 + Ⅲ度 ≥ 30%)

[保険償還価格]
306,000円/枚



証券コード 7774

再生医療における制度的枠組みに関する検討会

再生医療の産業化 を実現するための提言



平成22年6月24日

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 小澤洋介

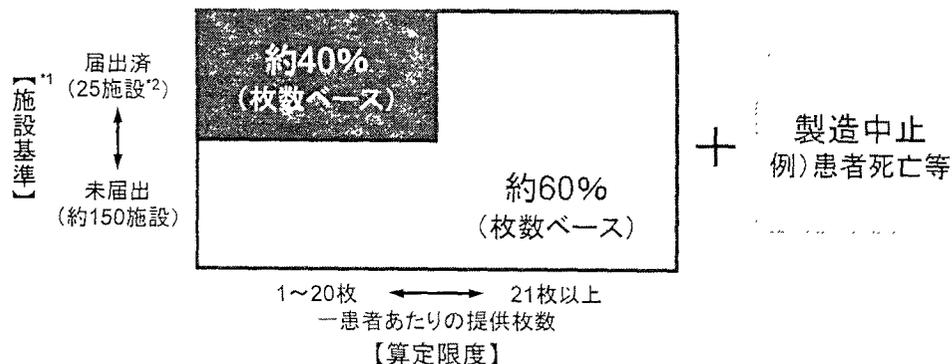
<http://www.jp-te.co.jp>

再生医療産業とJ-TEC

- ❖ 海外から日本の再生医療産業を評価すると、「日本はもったいない。研究機関にはシーズが沢山あるのに、承認品目はまだ1つしかない。一方で、これほど再生医療学会が盛況な国もない。」
- ❖ 我が国唯一の承認品目「自家培養表皮ジェイス」の売上高は、平成21年度・11億円(実績)、平成22年度・36億円(計画)である。当社の赤字は、年間10億円超。
- ❖ 医療法・医師法のもとで免疫細胞療法を提供する代表的な企業は、赤字である。例: (株)メディネット 平成22年09月期(計画): 売上31.9億円、経常利益2.1億円 テラ(株) 平成22年12月期(計画): 売上14.2億円、経常利益3.0億円
- ❖ 再生医療の同業者は、減少傾向にある。再生医療ベンチャーおよび創薬系バイオベンチャーの経営者の主たる仕事は、資金繰りになってしまった。それでも資金調達は難しい。主たる原因は、①VC業務縮小、②薬事審査の時間が読めないこと。
- ❖ 製造設備を持たないと、我が国では承認まで辿り着けないと考える。
- ❖ 当社創業(平成11年2月)からジェイスの保険収載(平成21年1月)まで10年を費やした。次期製品の自家培養軟骨は承認審査中であるが、広島大学・JST・当社が共同開発を始めてから既に10年3ヶ月が経過している。
- ❖ 時間がかかりすぎている。この状況が続くならば、薬事法のもとで事業化を進める企業はいなくなる。あるいは、海外での事業展開を考えざるを得ない。
- ❖ なぜ、大企業や外資ビッグファーマが日本市場に本格的に参入してこないのか。

ジェイスの出荷実績(H22/3期)

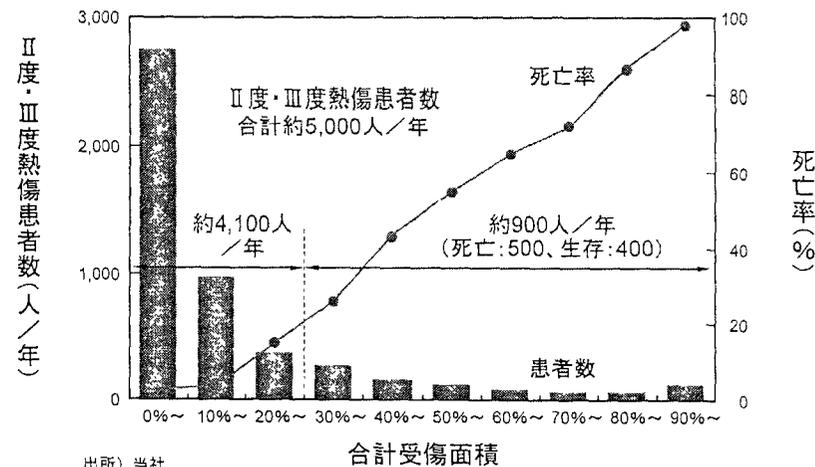
- ❖ 当社は保険償還基準に合致する注文を獲得するよう営業活動を展開したが、保険償還基準を満たさない条件でのジェイス出荷(人道的観点から当社負担による出荷)が多くを占めた。
- ❖ さらに、3週間の培養中に製造を中止したケースも想定以上に多かった。



*1 当該施設基準は、H21 1 1~H22 3 31のもの。H22 4 1から施設基準が改定された。
*2 平成22年3月31日時点。当社調べによる。

重症熱傷の定義

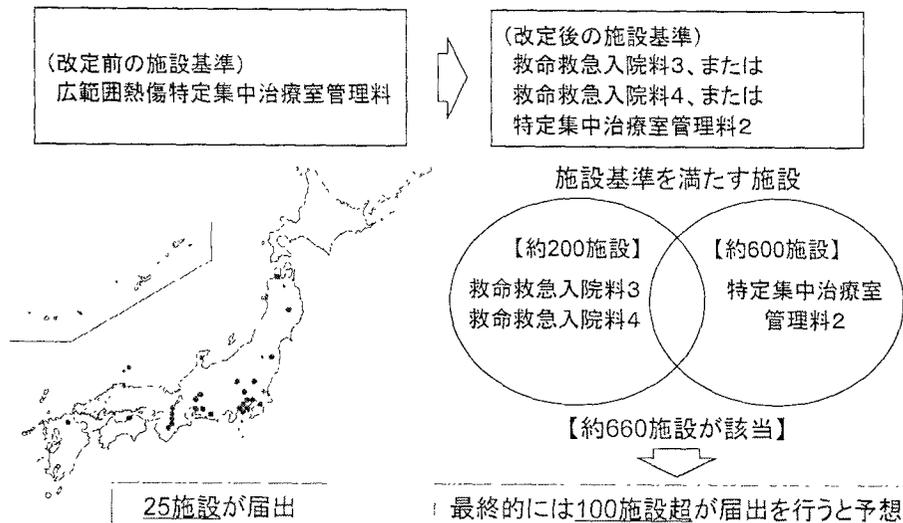
- ❖ ジェイスの適応対象は、「深達性Ⅱ度及びⅢ度熱傷創の合計受傷面積が体表面積の30%以上の患者」と定義された。当該患者群の術後死亡率は、50%を超える。



出所) 当社

診療報酬改定に伴う規制緩和

- ❖ 平成22年4月1日の診療報酬改定に伴い、ジェイスの施設基準が大幅に緩和された。



ジェイス事業展開上の条件

製造販売承認の条件

【適応対象】 深達性Ⅱ度+Ⅲ度 \geq 30%

- 1 本品の適応対象を適切に治療できる医療機関において、重症熱傷症例の治療に十分な知識・経験のある医師により、本品の有効性及び安全性を理解した上で用いられるよう、適切な措置を講じること。
- 2 治験症例が極めて限られていることから、本品の有効性及び安全性を確認するための製造販売後臨床試験を実施し、その結果を速やかに報告すること。
- 3 治験症例が極めて限られていることから、原則として再審査期間が終了するまでの間、全症例を対象とした使用成績調査を実施し、本品の有効性及び安全性に関する情報を早期に収集し、その結果については定期的に報告すること。
- 4 製造販売後臨床試験及び使用成績調査の結果等については、迅速に公開するとともに、使用する医師、医療機関に対し適切に情報提供し、患者に対する情報提供資料にも適切に反映すること。
- 5 本品の製造過程にフィーダー細胞として用いられるマウス胎児由来3T3-J2細胞にかかる異種移植に伴うリスクを踏まえ、新たな取扱いの基準が定められるまでの間、最終製品のサンプル及び使用に関する記録を30年間保存するなど適切な取扱いが行われるよう必要な措置を講じること。

保険算定に関する留意事項

【保険償還価格】 306,000円/枚

- ア 自家植皮のための患部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%以上の熱傷の場合であって、創閉鎖を目的として使用した場合に、一連につき20枚を限度として算定する。
- イ 深達性Ⅱ度熱傷創への使用は、Ⅲ度熱傷と深達性Ⅱ度熱傷が混在し、分けて治療することが困難な場合に限る。
- ウ 凍結保存皮膚を用いた皮膚移植術を行うことが可能であったり、広範囲熱傷特定集中治療室管理料の施設基準の届出を行っている保険医療機関において実施すること。
- エ ヒト自家移植組織を使用した患者については、診療報酬請求に当たって、診療報酬明細書に症状詳細を添付する。

《注意》 当該留意事項は、H21 1 1~H22 3 31のもの。H22 4 1から留意事項ウが改定された。