

評価者：学識経験者（医学）

心筋再生細胞治療

初期段階

経済性の評価 6 -5 ~ 9

評価項目	評価	取組パターン	取組回数	得点	最小得点	最大得点	特記事項及び評価理由
(1) 低コスト性、又は価格設定	4	2	0	###	0	0	0 従来品（技術）がないため比較不可
(2) 収益率	4	2	0	###	0	0	0 情報不足
(3) 患者数及び疾病トレンド	1	2	1	1	-1	1	
(4) 台数	1	2	1	1	-1	1	
(5) 耐用年数	5	2	0	###	0	0	0 答えること不可
(6) 人件費	4	2	0	###	0	0	0 情報不足
(7) 省スペース・省エネルギー	4	2	0	###	0	0	0 情報不足
(8) 運用費	4	2	0	###	0	0	0 情報不足
(9) 設備投資	4	2	0	###	0	0	0 情報不足
(10) 保守管理費	4	2	0	###	0	0	0 情報不足
(11) 不具合発生時経費	5	2	0	###	0	0	
(12) 外来診療時間、入院日数、医療施行上の改善	4	2	0	###	0	0	0 経力テータール投与が可となれば、短くなると思われるが、現時点では不明。
(13) 専門要員の必要性	3	2	1	-1	-1	1	
(14) 装置稼働率	4	2	0	###	0	0	0 情報不足
(15) 病床稼働率	4	2	0	###	0	0	0 情報不足
(16) 過剰または不適切使用の頻度	4	2	0	###	0	0	
(17) 診療報酬、保険材料価格	4	2	0	###	0	0	
(18) 製品寿命	5	1	0	###	0	0	
(19) 市場規模と成長率	4	2	0	###	0	0	
(20) 雇用創生、経済波及効果	1	2	1	1	-1	1	0 細胞工学センター、細胞の回収運搬等で影響力が大きいと思われる。
(21) 高齢者医療費低減性	1	1	1	2	0	2	
(22) 新規参入企業・産業へのインパクト	1	2	1	1	-1	1	0 細胞工学センター、細胞の回収運搬等で影響力が大きいと思われる。
(23) 共同利用性（又はレンタル性）	2	1	1	1	0	2	

合計 7 6 -5 9

評価者：学識経験者（医学）

心筋再生細胞治療 初期段階

信頼性・安全性（リスク・マネジメント）の評価 4 -6 ~ 6

評価項目	評価	質問バ ターン	配分カ ウント	得点	最小 得点	最大 得点	特記事項及び評価理由
(1) 故障率・信頼度	5	2	0	###	0	0	
(2) 故障復旧時間	5	2	0	###	0	0	
(3) 保全性	5	2	0	###	0	0	
(4) システム対応能力	5	2	0	###	0	0	
(5) 安全性	4	2	0	###	0	0	情報不足のため
(6) 不具合の程度	4	2	0	###	0	0	"
(7) 結果の均一性・再現性	4	2	0	###	0	0	"
(8) 医学的知見の成熟度	4	2	0	###	0	0	情報不足のため、答えること不可
(9) 保管性	5	2	0	###	0	0	
(10) 個体識別能力	2	2	1	0	-1	1	誤回収、ご使用が発生しないように、ソフト・ハード両面の対応が必要。
(11) 構造物・ライブラインへの影響度	4	2	0	###	0	0	情報不足のため
(12) 医療事故低減性	4	2	0	###	0	0	
(13) 規格・基準・規制適合性	4	2	0	###	0	0	
(14) 安全評価体系へのインパクト	4	2	0	###	0	0	情報不足のため
(15) 人材教育・トレーニング	1	2	1	1	-1	1	
(16) 設計審査体制	4	1	0	###	0	0	
(17) GMP	1	2	1	1	-1	1	
(18) CCP	1	2	1	1	-1	1	
(19) 製造工程安全性	2	2	1	0	-1	1	
(20) 安全性試験体制	4	1	0	###	0	0	
(21) 治験体制	1	2	1	1	-1	1	

合計 6 4 -6 6

評価者：学識経験者（医学）

心筋再生細胞治療 初期段階

患者/社会便益性の評価 11 -12 ~ 12

4-1 患者便益性

評価項目	評価	範囲 タテ	範囲 ヨコ	得点	最小 得点	最大 得点	特記事項及び評価理由
(1) 安心性	1	2	1	1	1	1	
(2) 無痛性・低侵襲性	1	2	1	1	1	1	
(3) 無拘束性	1	2	1	1	1	1	経カテーテル投与が可となれば。
(4) 個体差医療適合性	1	2	1	1	1	1	"
(5) 生活の質の向上	1	2	1	1	1	1	経カテーテル投与が可となれば。
(6) 診療時間短縮度	4	2	0	###	0	0	
(7) 社会復帰度	4	2	0	###	0	0	
(8) 待ち時間短縮度	4	2	0	###	0	0	
(9) 生活不自由度	4	2	0	###	0	0	
(10) 心理的受入やすさ	1	2	1	1	1	1	
(11) インフォームドコンセント容易性	1	2	1	1	1	1	
(12) 在宅医療適合性、遠隔医療適合性	2	2	1	0	1	1	
(13) 医療手段選択性の拡大	4	2	0	###	0	0	
4-2 社会ニーズ適合性			8	7	-8	8	

4-2 社会ニーズ適合性

評価項目	評価	範囲 タテ	範囲 ヨコ	得点	最小 得点	最大 得点	特記事項及び評価理由
(1) 国民衛生動向改善度	4	2	0	###	0	0	情報不足
(2) オープン性	4	2	0	###	0	0	
(3) 地域差解消	4	2	0	###	0	0	
(4) 倫理性	1	2	1	1	1	1	
(5) プライバシー保護	1	2	1	1	1	1	
(6) 患者の尊厳確保	1	2	1	1	1	1	
(7) 情報公開適合性	4	2	0	###	0	0	
(8) 社会受容性	1	2	1	1	1	1	
(9) 普及率	4	2	0	###	0	0	
(10) 効用の公共的平等性	4	2	0	###	0	0	
(11) 政策医療への貢献度	4	2	0	###	0	0	
(12) 病診連携体制	4	2	0	###	0	0	
(13) 住診体制	4	2	0	###	0	0	
(14) 健康・予防教育	4	2	0	###	0	0	
合計			4	4	-4	4	
			12	11	-12	12	

評価者：学識経験者（医学）

従来機器・技術の設定について

評価対象の機器・技術	心筋再生細胞治療
開発段階	初期段階
記入日	2004年2月10日

	最大得点	最小得点	得点	正規化得点
技術の評価	22	0	16	73
経済性の評価	9	-5	6	79
診療ニーズ適合性の評価	0	0	0	0
信頼性・安全性の評価	6	-6	4	83
患者/社会便益性の評価	12	-12	11	96

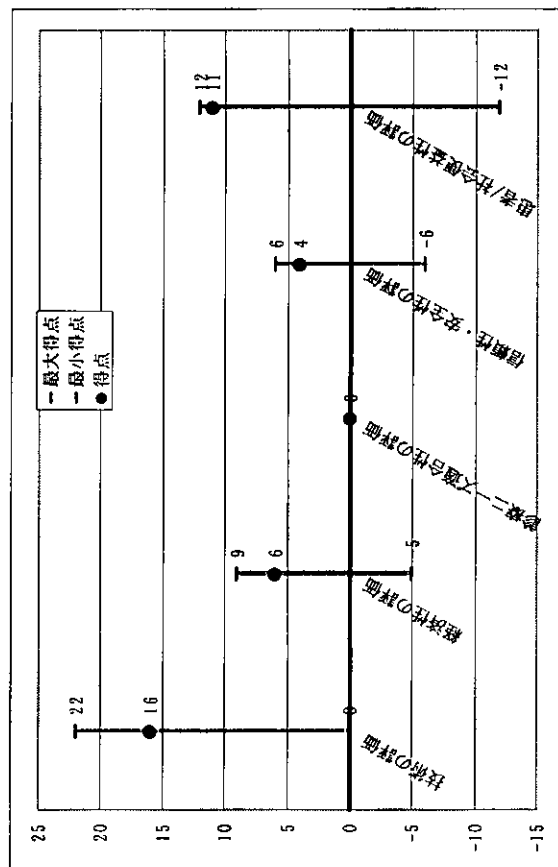


図 3-2-8 得点集計結果（心筋再生細胞治療）

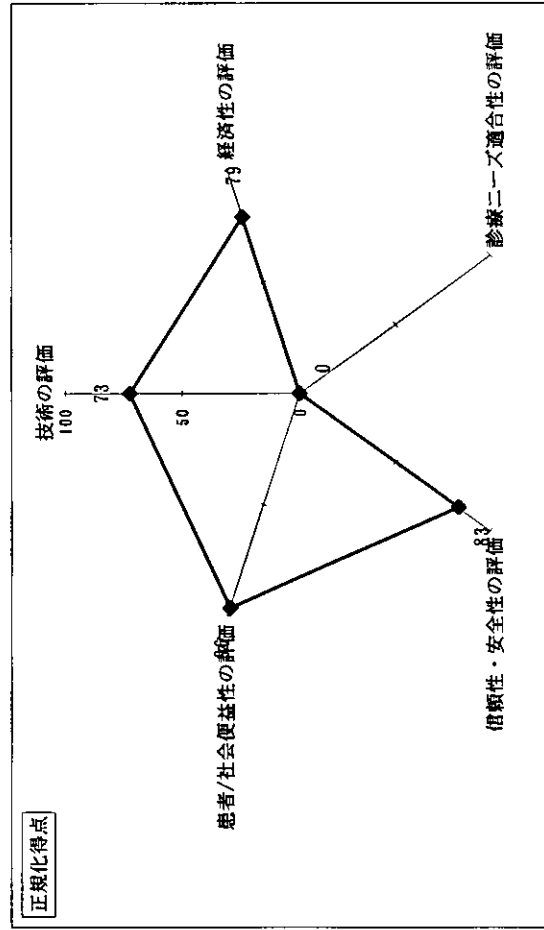


図 3-2-9 正規化得点によるリーダーチャート（心筋再生細胞治療）

評価者：企業（経営者）

心筋再生細胞治療

技術の評価

初期段階

8 -4 ~ 34

1-1 技術本来面

評価項目	評価	説明が タラシ	説明が ウツク	得点	最小 得点	最大 得点	特記事項及び評価理由
(1) 獨創性（新規性）	1	1	1	2	0	2	
(2) 代替機器・技術との差別化	1	1	1	2	0	2	本技術の製品化は大部先であるが、現行技術の改良線上で、本技術の代替技術が実現できるとは考えられない。
(3) 完成・成熟度	3	1	1	0	0	2	
(4) 小型軽量化	5	2	0	##	0	0	本技術は機器ではないので、比較はできない。 本技術は機器よりも素に近いものであり、単純な比較は出来ないが、術者は相当の専門的訓練が必要である。
(5) 自動化、操作性、簡便性、専門必要性	3	1	1	0	0	2	
(6) 発展性	2	1	1	1	0	2	心筋以外の筋肉の疾患への適用は将来考えられるかもしれない。 移植部位の診断技術、細胞抽出技術、同移送技術、培養技術、注入技術、治療効果の評価技術など「再生細胞」以外の周辺技術が不可欠
(7) 自立性（補助技術・材料の必要性）	3	1	1	0	0	2	動物への適用可能性があるのでは。
(8) 波及性、他産業貢献性	2	1	1	1	0	2	
(9) 医療産業振興性、又は特定地域産業育成性	1	1	1	2	0	2	細胞治療分野の拡大につながる可能性がある。
開発費用、資源面				8	8	0	16

1-2

評価項目	評価	説明が タラシ	説明が ウツク	得点	最小 得点	最大 得点	特記事項及び評価理由
(1) 研究開発経費（資金）	3	2	1	-1	-1	1	投資額が極めて膨大である。この点でも機器開発とは異質と考えられる。
(2) 研究開発経費（要員）	3	2	1	-1	-1	1	
(3) 研究開発経費（期間）	3	2	1	-1	-1	1	
(4) 周辺必要設備	3	2	1	-1	-1	1	開発面に関しては、従来の機器開発とは異質なので、比較はあまり意味がないかも知れない。
環境面				4	-4	4	

1-3

評価項目	評価	説明が タラシ	説明が ウツク	得点	最小 得点	最大 得点	特記事項及び評価理由
(1) 感染、汚染性	3	1	1	0	0	2	本技術適用における最大のリスクのひとつである。
(2) 廃棄容易性	3	1	1	0	0	2	
(3) リサイクル可能性	3	1	1	0	0	2	
国際面				3	0	6	

1-4

評価項目	評価	説明が タラシ	説明が ウツク	得点	最小 得点	最大 得点	特記事項及び評価理由
(1) 国際競争力	3	1	1	0	0	2	我が国発の技術ではない。
(2) 国際協調性	3	1	1	0	0	2	先端技術領域であり、協調性は限定される。
(3) 国際貢献度	1	1	1	2	0	2	新治療技術の開拓という点でインパクトは大
(4) 国際標準指導性	1	1	1	2	0	2	
合計				4	4	0	8

合計 19 8 -4 34

評価者：企業（経営者）

心筋再生細胞治療

経済性の評価

初期段階

4 -7 ~ 9

評価項目	評価	競合パ ターン	競合カ ウン	得点	最小 得点	最大 得点	特記事項及び評価理由
(1) 低コスト性、又は価格設定	2	2	1	0	-1	1	価格を従来技術の効き（例えばICD）の価格と同程度と想定している。但しネットの製造コスト（開発コストを除く）は極端に小さい。
(2) 収益率	4	2	0	###	0	0	技術として確立していないので評価不可。
(3) 患者数及び疾病トレンド	1	2	1	1	-1	1	
(4) 台数	4	2	0	###	0	0	製品化には早くして6~7年後である。
(5) 耐用年数	5	2	0	###	0	0	薬と同様
(6) 人件費	4	2	0	###	0	0	現時点では不明。
(7) 省スペース・省エネルギー	5	2	0	###	0	0	保管設備などは必要であるが、導入のための大きなスペースは必要ではなさそうである。
(8) 運用費	4	2	0	###	0	0	技術が確立しないと算定できない。
(9) 設備投資	1	2	1	1	-1	1	現時点では想定にすぎないが、本技術導入のための大きな設備投資は必要なさそうである。
(10) 保守管理費	5	2	0	###	0	0	
(11) 不具合発生時経費	5	2	0	###	0	0	
(12) 外来診療時間、入院日数、医療施行上の改善	4	2	0	###	0	0	手技の確立が大前提
(13) 専門要員の必要性	4	2	0	###	0	0	手技が確立されていない
(14) 装置稼働率	5	2	0	###	0	0	
(15) 病床稼働率	2	2	1	0	-1	1	入院期間は現行技術と大差ないと想定されているので、病床稼働率にインパクトを与えないと思う。
(16) 過剰または不適切使用の頻度	4	2	0	###	0	0	手技適用の指針確立が先である。
(17) 診療報酬、保険材料価格	4	2	0	###	0	0	類推できる選考事例がない。
(18) 製品寿命	4	1	0	###	0	0	本技術の実用化時点における本技術の有効性と競合技術により決まる。
(19) 市場規模と成長率	2	2	1	0	-1	1	本技術が現行技術に置換できることを前提とした仮定である。
(20) 雇用創生、経済波及効果	1	2	1	1	-1	1	新たな産業分野を創る可能性はある。
(21) 高齢者医療費低減性	3	1	1	0	0	2	
(22) 新規参入企業・産業へのインパクト	1	2	1	1	-1	1	この分野の新規参入が増えると思われる。
(23) 共同利用性（又はレンタル性）	5	1	0	###	0	0	提供細胞の用途は単一である。

合計 8 4 -7 9

評価者：企業（経営者）

心筋再生細胞治療 初期段階

診療二一ス適合性の評価

1 -3 ~ 3

評価	数回セッション	説明カウント	得点	最小得点	最大得点	特記事項及び評価理由
(1)	4	1	###	0	0	評価が開始された段階であり、評価不可。
(2)	5	2	###	0	0	
(3)	5	2	###	0	0	
(4)	5	2	###	0	0	
(5)	5	2	###	0	0	
(6)	5	2	###	0	0	
(7)	4	2	###	0	0	今後の評価の集積を待つ必要がある。
(8)	4	2	###	0	0	9名のデータでは判断不可。
(9)	1	2	1	-1	1	従来技術が、心臓機能を代替するのに比べ、心臓の運動性の悪い部位に適用する技術で、高い機能的性を前提とした技術である。
(10)	3	2	-1	-1	1	自己細胞を採取した後、培養も効果が出るまで時間がかかる。
(11)	4	2	###	0	0	今後の臨床試験の結果を待つて評価すべき。
(12)	4	2	###	0	0	臨床試験が始まった段階なので不明。
(13)	4	2	###	0	0	臨床試験の結果待ち。
(14)	4	2	###	0	0	技術が未確立のため。
(15)	4	2	###	0	0	細胞移植手段の開発による。また臨床試験に着手した段階であるため。
(16)	4	2	###	0	0	評価は時期尚早。
(17)	4	2	###	0	0	評価は時期尚早。
(18)	5	2	###	0	0	
(19)	1	2	1	-1	1	移植細胞（本技術）だけでなく、その周辺の各種の技術との組み合わせが不可欠
(20)	4	2	###	0	0	な治療技術であり、周辺技術が確立されないと効果が得られない。
(21)	5	2	###	0	0	現段階では評価不可。
			###	0	0	予防技術ではない。
						臨床試験の結果を待たないと評価できない。心筋梗塞による突然死の予防に寄与する可能性はあるが、梗塞の病因を除く手段ではないので、疾病構造の変化をもたらすようなインパクトはあまりないと思われる。
(22)	4	2	###	0	0	
(23)	4	2	###	0	0	臨床試験の結果待ち。効果があればQOL改善の期待出来る。

合計 3 -3

評価者：企業（経営者）

心筋再生細胞治療 初期段階
信頼性・安全性（リスク・マネジメント）の評価 3 -9 ~ 11

評価項目	評価	取組の クォンティ フィケーション	取組の クォンティ フィケーション	得点	最小 得点	最大 得点	特記事項及び評価理由
(1) 故障率・信頼度	5	2	0	###	0	0	
(2) 故障復旧時間	5	2	0	###	0	0	
(3) 保水性	5	2	0	###	0	0	
(4) システム対応能力	5	2	0	###	0	0	
(5) 安全性	4	2	0	###	0	0	現段階では評価不可。
(6) 不具合の程度	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(7) 結果の均一性・再現性	4	2	0	###	0	0	判断材料が得られていない。
(8) 医学的知見の成熟度	3	2	1	-1	-1	1	
(9) 保管性	3	2	1	-1	-1	1	生物であり、機器とは根本的に異なる。
(10) 個体識別能力	1	2	1	1	-1	1	骨格筋幹細胞を採取した患者本人にしか適用できないという点で非他性が強い。
(11) 構造物・ライブラインへの影響度	1	2	1	1	-1	1	
(12) 医療事故低減性	4	2	0	###	0	0	この新技術が従来技術による医療事故を低減することは考えられる（機械に起因する事故など）が、新たな原因の医療事故もあり得るので比較評価は十分な臨床データが得られるまで不可能である。
(13) 規格・基準・規制適合性	3	2	1	-1	-1	1	新技術なので、規格・基準・規則が確立されているわけではない。
(14) 安全評価体系へのインパクト	1	2	1	1	-1	1	新しい技術であり、それに対応した新しい安全評価体系の確立が必要である。
(15) 人材教育・トレーニング	4	2	0	###	0	0	臨床試験の結果を踏まえて、今後の整備される点も多いと思われるので、現時点では判断不可。
(16) 設計審査体制	1	1	1	2	0	2	
(17) GMP	5	2	0	###	0	0	新しい技術なので、GMPにも改良の余地が多いと思われる。
(18) GCP	1	2	1	1	-1	1	
(19) 製造工程安全性	2	2	1	0	-1	1	細胞培養に関しては先行例があり、ある程度の安全性が保たれているものと想定される。
(20) 安全性試験体制	4	1	0	###	0	0	現状でも試験の一部を外部委託しているか否か不明である。細胞のvalidationのprotocol確立など新技術だけに課題が多いと思われる。
(21) 試験体制	2	2	1	0	-1	1	体制が確立されつつあるというのが、現状だと思われる。

合計 10 3 -9 11

評価者：企業（経営者）

心筋再生細胞治療
患者/社会便益性の評価
初期段階
1-11 ~ 11

評価項目	評価	質問シート	得点	最大得点	特記事項及び評価理由
4-1 患者便益性					
(1) 安心性	4	2	###	0	評価中
(2) 無痛性・低侵襲性	4	2	###	0	効果と安全性の評価が先であるが、移植後に低侵襲性が判明したような場合、機械と異なり撤去できないリスクがある。
(3) 無拘束性	4	2	###	0	どの技術と比較するかにより、2又は3になると思われる。
(4) 個体差医療適合性	1	2	1	1	テーラメイド医療そのものである。
(5) 生活の質の向上	1	2	1	1	機器のメンテナンスなどが不要であり、機器の装着感もなく、QOLは向上すると思われる。
(6) 診療時間短縮度	4	2	###	0	技術が確立していないので、比較困難。
(7) 社会復帰度	4	2	###	0	技術の確立、臨床例の積重ねが必要。比較する在来技術によっては、従来より社会復帰に日数がかかることも想定される。
(8) 待ち時間短縮度	5	2	###	0	診断から治療までの期間に関しては、在来技術より長くなることはあり得る。
(9) 生活不自由度	4	2	###	0	臨床試験の結果待ち。在来技術が大型機器の場合は、不自由度が改善される可能性がある。
(10) 心理的受入やすさ	1	2	1	1	自家移植であり、機器移植ではないという点では、受け入れやすい面もあるが、有効性、安全性が確立しないと評価は不明。
(11) インプラフォームドセント容易性	4	2	###	0	現段階では評価不可。
(12) 在宅医療適合性、遠隔医療適合性	3	2	1	1	細胞採取、細胞移植は適切な施設で行われる。
(13) 医療手段選択性の拡大	1	2	1	1	在来技術の他に、新たな選択肢となり得る。
4-2 社会ニーズ適合性					
評価項目	評価	質問シート	得点	最大得点	特記事項及び評価理由
(1) 国民衛生動向改善度	4	2	###	0	臨床試験の結果待ち。
(2) オープン性	4	2	###	0	稀少疾病に該当する筋肉疾患への応用があり得るか否かは現段階では不明。
(3) 地域差解消	4	2	###	0	技術の確立後、評価される項目
(4) 倫理性	2	2	1	1	自家移植であるので、倫理面の制約は緩和される。
(5) プライバシー保護	5	2	###	0	
(6) 患者の尊厳確保	5	2	###	0	
(7) 情報公開適合性	5	2	###	0	
(8) 社会受容性	2	2	1	1	自家移植であるので、移植医療の中では受容性が高いと思われる。
(9) 普及率	3	2	1	1	実用化されていない段階であるから、
(10) 効用の公共的平等性	3	2	1	1	実用化されていない段階なので、評価は不可能であるが、実用化されても当面は保険適用にならない可能性も大きい。
(11) 政策医療への貢献度	2	2	1	1	現在、想定されている価格では医療費対策に貢献するとは思われない。
(12) 病診連携体制	4	2	###	0	技術の確立と本技術に関する医療機関の役割が明確になってから評価される。
(13) 往診体制	2	2	1	1	従来技術と同様、往診に適合する技術ではない。
(14) 健康・予防教育	5	2	###	0	治療技術で、予防技術ではない。
合計			6	2	6

評価者：企業（経営者）

・従来機器・技術の設定について
 両心室ペーシング、ICD、心室
 補助装置、補助人工心臓

評価対象の機器・技術	心筋再生細胞治療
開発段階	初期段階
記入日	2004年2月26日

	最大得点	最小得点	得点	正規化得点
技術の評価	34	-4	8	32
経済性の評価	9	-7	4	69
治療二一ス適合性の評価	3	-3	1	67
信頼性・安全性の評価	11	-9	3	60
患者/社会便益性の評価	11	-11	1	55

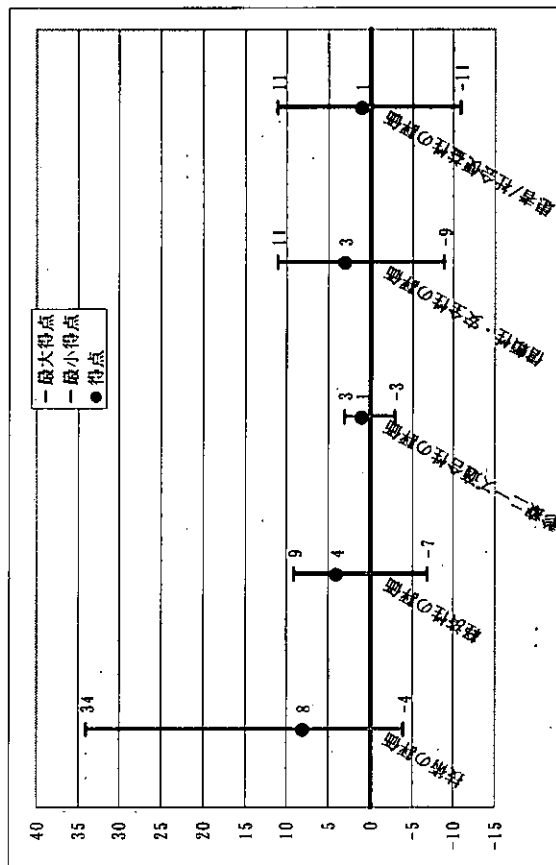


図 3-2-10 得点集計結果（心筋再生細胞治療）

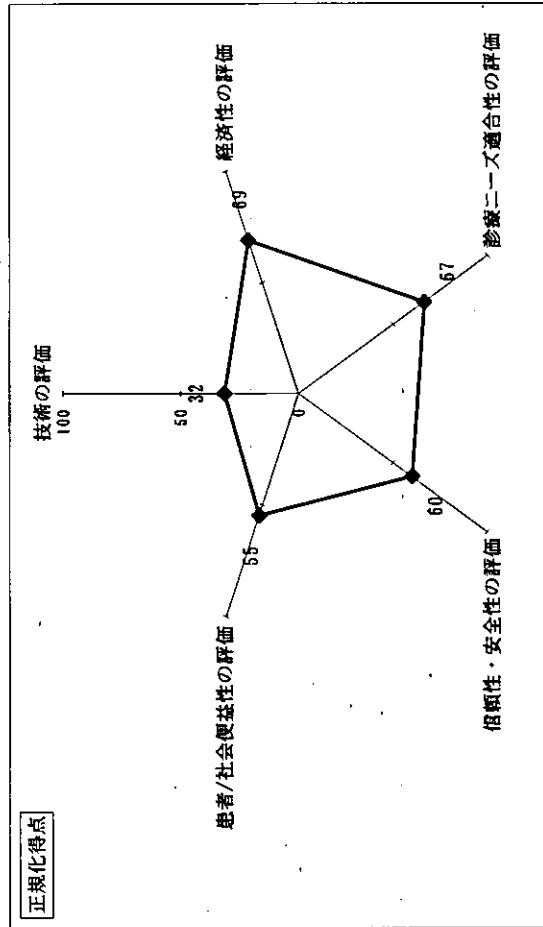


図 3-2-11 正規化得点によるレーダーチャート（心筋再生細胞治療）

評価者：行政（許認可担当者）

心筋再生細胞治療

技術の評価

初期段階

11 -1 ~ 27

評価項目	評価	数値カウント	得点	最小得点	最大得点	特記事項及び評価理由
1-1 技術本来面						
(1) 獨創性（新規性）	1	1	2	0	2	
(2) 代替機器・技術との差別化	1	1	2	0	2	
(3) 完成・成熟度	3	1	0	0	2	
(4) 小型軽量性	1	2	1	1	1	人工心臓などと比べれば
(5) 自動化、操作性、簡便性、専門必要性	3	1	0	0	2	
(6) 発展性	2	1	1	0	2	
(7) 自立性（補助技術・材料の必要性）	3	1	0	0	2	
(8) 波及性、他産業貢献性	2	1	1	0	2	
(9) 医療産業振興性、又は特定地域産業育成性	2	1	1	0	2	
開発費用、資源面		9	8	-1	17	
1-2						
評価項目	評価	数値カウント	得点	最小得点	最大得点	特記事項及び評価理由
(1) 研究開発経費（資金）	4	2	0	0	0	人工心臓なども相当額が投入されていると考えられる
(2) 研究開発経費（要員）	4	2	0	0	0	人工心臓なども相当額が投入されていると考えられる
(3) 研究開発経費（期間）	4	2	0	0	0	人工心臓なども相当額が投入されていると考えられる
(4) 周辺必要設備	4	2	0	0	0	人工心臓なども相当額が投入されていると考えられる
環境面		0	0	0	0	
1-3						
評価項目	評価	数値カウント	得点	最小得点	最大得点	特記事項及び評価理由
(1) 感染、汚染性	3	1	0	0	2	
(2) 廃棄容易性	3	1	0	0	2	
(3) リサイクル可能性	3	1	0	0	2	
国際面		3	0	0	6	
1-4						
評価項目	評価	数値カウント	得点	最小得点	最大得点	特記事項及び評価理由
(1) 国際競争力	4	1	0	0	0	評価する時期ではない
(2) 国際協調性	4	1	0	0	0	評価する時期ではない
(3) 国際貢献度	1	1	2	0	2	新技術分野をリードしている意味では
(4) 国際標準指導性	2	1	1	0	2	
合計		14	11	-1	27	

評価者：行政（許認可担当者）

心筋再生細胞治療

経済性の評価

初期段階

2 -8 ~ 8

評価項目	評価	期間 ターン	期間カ ウント	得点	最小 得点	最大 得点	特記事項及び評価理由
(1) 低コスト性、又は価格設定	2	2	1	0	-1	1	
(2) 収益率	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(3) 患者数及び疾病トレンド	1	2	1	1	-1	1	
(4) 台数	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(5) 耐用年数	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(6) 人件費	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(7) 省スペース・省エネルギー	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(8) 運用費	5	2	0	###	0	0	
(9) 設備投資	1	2	1	1	-1	1	医療機関側の設備は必要ないようである
(10) 保守管理費	5	2	0	###	0	0	
(11) 不具合発生時経費	5	2	0	###	0	0	
(12) 外来診療時間、入院日数、医療施行上の改善	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(13) 専門要員の必要性	3	2	1	-1	-1	1	
(14) 装置稼働率	3	2	1	-1	-1	1	
(15) 病床稼働率	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(16) 過剰または不適切使用の頻度	1	2	1	1	-1	1	
(17) 診療報酬、保険材料価格	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(18) 製品寿命	4	1	0	###	0	0	時期尚早
(19) 市場規模と成長率	2	2	1	0	-1	1	
(20) 雇用創生、経済波及効果	1	2	1	1	-1	1	培養センター等が急増した場合
(21) 高齢者医療費低減性	4	1	0	###	0	0	時期尚早
(22) 新規参入企業・産業へのインパクト	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(23) 共同利用性（又はレンタル性）	5	1	0	###	0	0	

合計 8 2 -8 8

評価者：行政（許認可担当者）

心筋再生細胞治療

診療二一ス適合性の評価

初期段階

3 -4 ~ 4

評価項目	評価	期間	費用	副作用	得点	最大得点	特記事項及び評価理由
(1) 治療率又は診断率の向上	4	1	0	###	0	0	時期尚早
(2) 正確性・・・診断機器の場合のみ	5	2	0	###	0	0	
(3) 迅速性・・・診断機器の場合のみ	5	2	0	###	0	0	
(4) 早期診断能力・・・診断機器の場合のみ	5	2	0	###	0	0	
(5) 予知能力・・・診断機器の場合のみ	5	2	0	###	0	0	
(6) 操作性、自動性・・・診断機器の場合のみ	5	2	0	###	0	0	
(7) 救命率・・・治療機器の場合のみ	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(8) 治療率・・・治療機器の場合のみ	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(9) 標的性・・・治療機器の場合のみ	1	2	1	1	-1	1	
(10) 即効性・・・治療機器の場合のみ	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(11) 低後遺症・・・治療機器の場合のみ	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(12) 根治性・・・治療機器の場合のみ	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(13) 再発予防性・・・治療機器の場合のみ	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(14) 省要費性・・・治療機器の場合のみ	1	2	1	1	-1	1	人工心臓などの手術と比べれば
(15) 高薬作性・・・治療機器の場合のみ	2	2	1	0	-1	1	
(16) 突然死低減率	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(17) 合併症低減率	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(18) 患者搬送容易性	5	2	0	###	0	0	
(19) 組合せ医療技術との相乗効果	1	2	1	1	-1	1	
(20) 予後	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(21) 疾病予防性または健康維持・増進性	5	2	0	###	0	0	
(22) 疾病構造改革へのインパクト	4	2	0	###	0	0	時期尚早
(23) 高齢者の健康改善性	5	2	0	###	0	0	

合計 4 3 4

評価者：行政（許認可担当者）

心筋再生細胞治療
信頼性・安全性（リスク・マネジメント）の評価 -3- 10 ~ 10 初期段階

評価項目	評価	数回アンケート	得点	最小得点	最大得点	特記事項及び評価理由
(1) 故障率・信頼度	4	2	###	0	0	時期尚早
(2) 故障復旧時間	5	2	###	0	0	
(3) 保全性	3	2	1	-1	1	
(4) システム対応能力	5	2	###	0	0	
(5) 安全性	3	2	1	-1	1	
(6) 不具合の程度	4	2	###	0	0	時期尚早
(7) 結果の均一性・再現性	3	2	1	-1	1	
(8) 医学的知見の成熟度	3	2	1	-1	1	
(9) 保管性	5	2	0	###	0	
(10) 個体識別能力	1	2	1	-1	1	
(11) 構造物・ライブラインへの影響度	1	2	1	-1	1	
(12) 医療事故低減性	3	2	1	-1	1	
(13) 規格・基準・規制適合性	4	2	0	###	0	時期尚早
(14) 安全評価体系へのインパクト	4	2	0	###	0	時期尚早
(15) 人材教育・トレーニング	1	2	1	-1	1	
(16) 設計審査体制	4	1	0	###	0	時期尚早
(17) GMP	4	2	0	###	0	時期尚早
(18) GCP	2	2	1	0	-1	1
(19) 製造工程安全性	3	2	1	-1	1	
(20) 安全性試験体制	4	1	0	###	0	時期尚早
(21) 治療体制	4	2	0	###	0	時期尚早

合計 10 -3 -10 10

評価者：行政（許認可担当者）

心筋再生細胞治療
患者/社会便益性の評価

初期段階
5 -12 ~ 12

4-1 患者便益性

評価項目	評価	取組タ	取組カ	得点	最小	最大	特記事項及び評価理由
		タ	カ		得点	得点	
(1) 安心性	1	2	1	1	-1	1	
(2) 無痛性・低侵襲性	2	2	1	0	-1	1	
(3) 無拘束性	4	2	0	##	0	0	
(4) 個体差医療適合性	1	2	1	1	-1	1	
(5) 生活の質の向上	4	2	0	##	0	0	
(6) 診療時間短縮度	4	2	0	##	0	0	
(7) 社会復帰度	4	2	0	##	0	0	
(8) 待ち時間短縮度	4	2	0	##	0	0	
(9) 生活不自由度	4	2	0	##	0	0	
(10) 心理的受入やすさ	1	2	1	1	-1	1	
(11) インフォームドコンセント容易性	2	2	1	0	-1	1	
(12) 在宅医療適合性、遠隔医療適合性	4	2	0	##	0	0	
(13) 医療手段選択性の拡大	1	2	1	1	-1	1	
4-2 社会ニーズ適合性			6	4	-6	6	

4-2

評価項目	評価	取組タ	取組カ	得点	最小	最大	特記事項及び評価理由
		タ	カ		得点	得点	
(1) 国民衛生動向改善度	4	2	0	##	0	0	
(2) オープン性	5	2	0	##	0	0	
(3) 地域差解消	3	2	1	-1	-1	1	
(4) 倫理性	1	2	1	1	-1	1	自家組織であるから
(5) プライバシー保護	3	2	1	-1	-1	1	医療機関外で培養するため
(6) 患者の尊厳確保	1	2	1	1	-1	1	
(7) 情報公開適合性	4	2	0	##	0	0	
(8) 社会受容性	4	2	0	##	0	0	
(9) 普及率	2	2	1	0	-1	1	人工心臓と同様、ある程度の能力のある医療機関が必要
(10) 効用の公共的平等性	4	2	0	##	0	0	
(11) 政策医療への貢献度	4	2	0	##	0	0	
(12) 病診連携体制	1	2	1	1	-1	1	
(13) 往診体制	5	2	0	##	0	0	
(14) 健康・予防教育	5	2	0	##	0	0	
合計			6	1	-6	6	
			12	5	-12	12	

評価者：行政（許認可担当者）

・従来機器・技術の設定について
主に補助人工心臓

評価対象の機器・技術	心筋再生細胞治療
開発段階	初期段階
記入日	2004年2月27日

	最大得点	最小得点	得点	正規化得点
技術の評価	27	-1	11	43
経済性の評価	8	-8	2	63
診療ニーズ適合性の評価	4	-4	3	88
信頼性・安全性の評価	10	-10	-3	35
患者/社会便益性の評価	12	-12	5	71

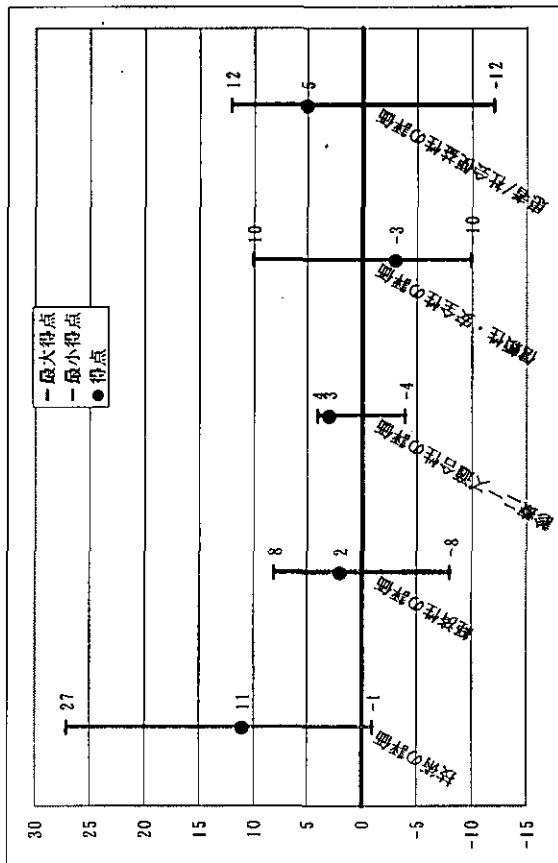


図 3-2-12 得点集計結果（心筋再生細胞治療）

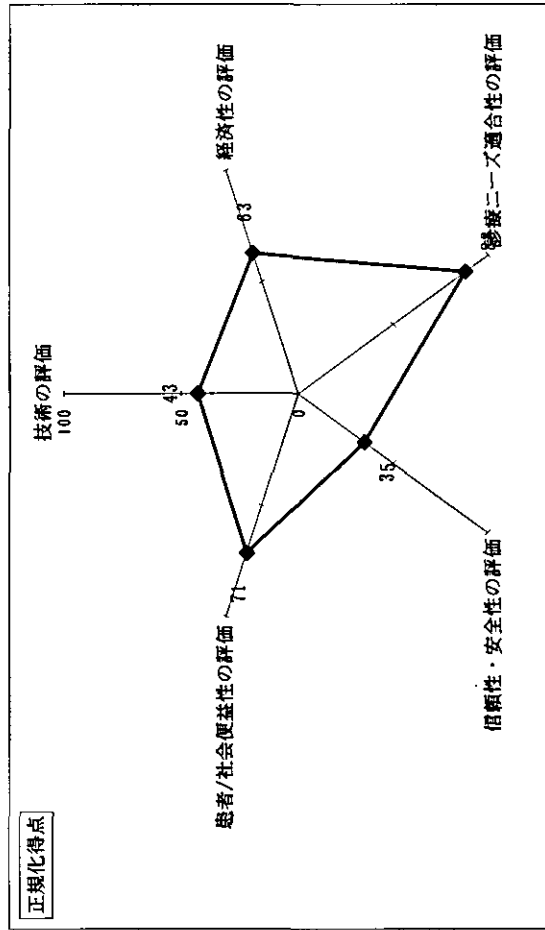


図 3-2-13 正規化得点によるレーダーチャート（心筋再生細胞治療）

(総合評価) 心筋再生細胞治療

○技術の評価

ヒト自家細胞を用いた再生医学的技術は極めて新しく、新規性が高い技術領域である。従って、技術自体の開発と同時に、この技術の利用技術としての医療技術も開発していく必要がある。現時点では開心術を必要とすることや、長期間経過観察の結果がないことから完成度、成熟度は完全ではなく、幹細胞からの心筋作成の再現性に問題があることや、診療適用基準の明確化が必要であることもリスクファクタである。技術開発システムは比較的単純であるが、技術の有効性と安全性を、その評価技術とともに確立することが最重要で、資源の投資もここに集中しているようである。技術開発の基本システムは汎用性があり、同様なスキームで多種類の技術を生む発展性は高い。経カテーテル的投与が可能になり、その結果が良ければ本技術の発展性は高くなると考えられる。開発スキームは医薬品に近く、開発に長期間要し、開発投資が膨大であることは、ハイリスク・ハイリターン型開発の典型である。この研究の技術が確立されれば、地域又は医療機関内に細胞工学センターが必要になる。申請書には地域に作るとの記載があるが、地域の基幹となる医療施設に設けた方がよいと思われる。今後、様々な組織の治療に用いられるようになると思われるが、用いる組織ごとにセンターが異なるのは、依頼、運搬、搬入等の手続きが煩雑になり、運搬時安全等を考慮した場合、基幹となる医療施設に組織工学センター〔従来からある輸血センターと同じように〕として設けられることが理想と考える。地域に作ることにできれば安全な運搬手段を確立しなければならない。

○経済性の評価

有効性、安全性が確立していない現段階では、保険収載、医療経済面へのインパクト、医療機関・患者における経済性、開発企業のビジネスにおける経済性のいずれをとっても評価は不可能である。医療経済面へのインパクトは、適正な価格の設定水準と、競合技術に対する優位性の大きさによって決まる。仮に、同目的で使用する医療機器や用具の価格や医療費と同程度のコスト（価格）を想定し将来予測をした場合に、世界市場では 250～350 億円程度の投資が回収出来てビジネスが成立する技術である。投資予想額から推定すると、競合技術の多くを本技術で置換することで、ビジネスプランが成立しているように見える。当然、保険適用を前提とせざるを得ない。企業側のコストとしては、技術の性格上、いわゆるネットの製造コストの比重は小さく、開発コストの比重が大きい。従って、開発企業は、機器開発に比し極めて大きな先行投資に対する回収リスクの負担を避けることは出来ない。医療機関・患者にとっては、機器の管理や保守という負担がないことや、経カテーテル投与が可能になれば、入院期間の短縮、患者への侵襲度の低下等から長期的な意味での経済性の評価は高くなると考えられる。その一方で、無効の場合のリスク負担は大きくなるとも考えられる。なお、細胞工学センターの新設、運搬業の新設等で関連業界・地域への経済効

果は大きいと考えられる。

○診療ニーズ適合性の評価

臨床試験の緒についた現段階では、研究的側面も残されていることや長期経過観察結果がはっきりしていない点から、評価は不可能であり、臨床評価の今後の方向により診療ニーズ適合性の評価が二分される。長期経過観察結果が良いことと経カテーテル投与が可能なことなどがはっきりすれば、テーラメイド医療技術であること、標的医療技術であること、自家移植であることから診療ニーズに適合する技術といえ、患者に対してのメリットも多く、疾病構造改革へのインパクトが大きいと考えられる。ただし、診断、幹細胞採取から、培養細胞の患部注入までの時間がかかること、及び、感染等への危険を排除できないことは、本技術の宿命ではあるが大きな課題であり、適用を限定させる可能性もある。

○信頼性・安全性の評価

臨床試験が開始された現段階では評価するデータが無いが、現時点で最も評価すべき側面である。全く新しい治療技術であるので、臨床症例を増大させながら信頼性と安全性を厳しくチェックする必要がある。これまでに米国、並びに欧州における臨床成績が報告されており、その中では決定的な危険性は指摘されていないが、不整脈は発生するなどの副作用もあるので医学的な評価がさらに必要である。また、診断、細胞採取、移送、培養、保管、細胞注入（移植）などの全てのプロセスにおける信頼性・安全性を担保するシステムが確立される必要がある。このプロセスのバリデーションと製品のバリデーションに関する適切なプロトコルと評価基準の確立も同時に行われる必要がある。

○患者・社会便益性の評価

臨床試験の結果や実用後の評価が蓄積されないと判断が出来ないが、生体細胞・組織を治療材料として使用する再生医療は、将来の組織・臓器の機能の永久回復を目指すもので、心筋治療の新しい選択肢ができること、テーラメイド医療技術であること、自己の細胞を培養して移植すること、機器の管理・保守・故障などの問題が無いこと、機器を装着しているという煩わしさが無いことなど評価できる点は多い。現時点では中間技術的段階にとどまっているため、本製品が対象としている心筋機能回復についても唯一再生治療法で克服できる状況になく、補助的治療手段としての

意味あいが高く、真の患者・社会便益性の向上にはいたっていない。まずは、有効性・安全性が確立されること、細胞採取と細胞移植の侵襲性の低い確・安全な手技が確立されることが基本であるが、即効性に乏しいと思われること、感染の可能性が排除できないことはリスク要素として残ると思われるので、最終的にはベネフィット・リスクを勘案して適用範囲が定められるものと想定される。将来、本治療法が完成した時期には根治治療に極めて近づくことが期待されるので、それ以降の便益性は極めて大きなものとなる。