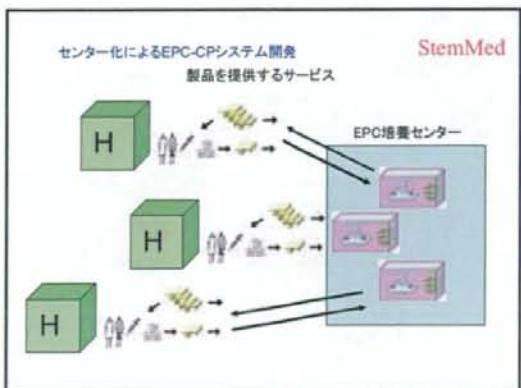
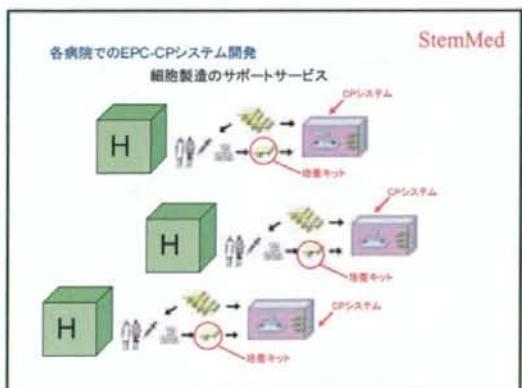
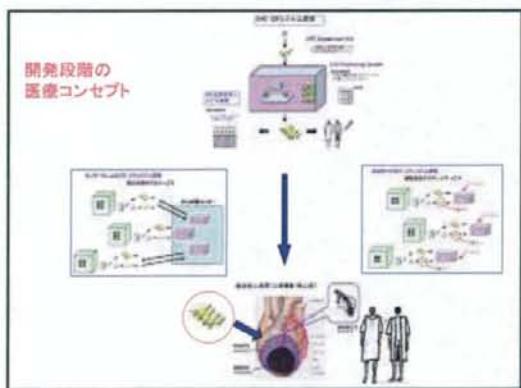
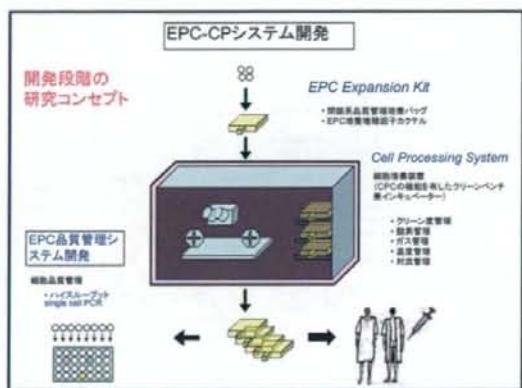
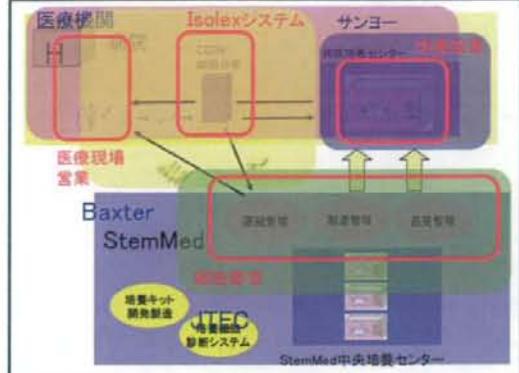


## 2. 事業コンセプト



### 3. ビジネスモデル



### 4. 研究技術概要

#### 研究開発

- ① EPC培養開発
  - 1. 基本培養の効率確認
    - ・50基本培養でのEPO数・質の判定
    - ・2007年で終了
    - ・難治症EPOの確実改善
    - ・高齢EPOの種々改善
  - 2. 基本培養による細胞収穫計
    - ・末梢血(GCSF投与)、骨髄、臍帯血それぞれのCD34細胞での培養効率の比較
    - ・2007年終了
  - 3. 基本培養から改善培養への検討
    - ・50+検査factorによる培養比較
    - ・必須factor、不必要factorの確認
    - ・2008年後半に結果集積と新特許出願

- ② 地図EPO品質評価システム開発
1. EPO colony assay開発
    - ・固有技術(特許・実用特許)
    - ・開発を委託会社はある(研究用)
  2. Single cell PCR測定開発
    - ・2008年度に基本技術の確立
    - ・2008年度基本データ集積
    - ・2009年度地図EPO判定システムの開発
    - ・2009年からClevelandとの共同研究?

#### ③ 地図EPO治療開発研究

	採取EPO	導管EPO	施設
1. 下肢虚血性疾患	○○	○	神戸
2. 心筋梗塞	○○	○	Cleveland
3. 種尿器性難治性淋病	○○	○	東京・神戸
4. 骨折モデル	○	△	神戸
5. 骨頭壞死	○	—	—
6. 脊髄損傷	○○	○	広島
7. 椎間板ヘルニア	○○	—	久留米
8. 慢性肝炎	○○	△	—
9. 臨対症	○○	—	—
10. アルツハイマー	△	—	—

#### EPC-CPシステム治療によるターゲット疾患

1. 末梢血管障害(閉塞性動脈硬化症、パージャー病)
  - ・CD34移植: 先端医療センター17例
  - ・CD34移植: 東海大学4例
  - ・EPO-CP治療: 先端医療センター—臨床研究(計画中)
2. 虚血性心筋症(狭心症・心筋梗塞)
  - ・CD34移植: 先端医療センター—臨床研究開始
  - ・CD34移植: St.Joseph's Medical Center24例
  - ・CD34移植: 多発脳梗塞治療(100例以上)(Baxter)
3. 難治性骨創
  - ・CD34移植: 先端医療センター・神戸大学・臨床研究(年内開始予定)
4. 難治性創治性潰瘍
  - ・CD34移植: 東海大学4例
  - ・EPO-CP治療: 先端医療センター—臨床研究(計画中)
5. 臨床研究準備症候群
  - ・肝硬変
  - ・C: 骨頭壞死
  - ・D: 脊髄損傷
  - ・E: アルツハイマー

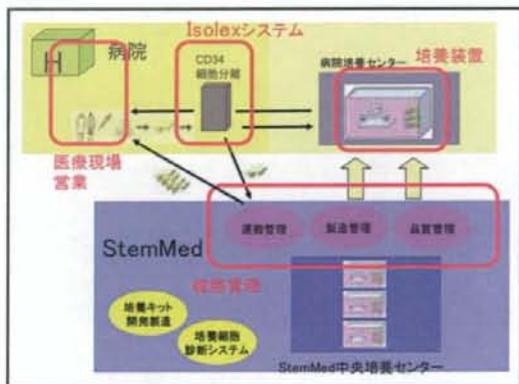
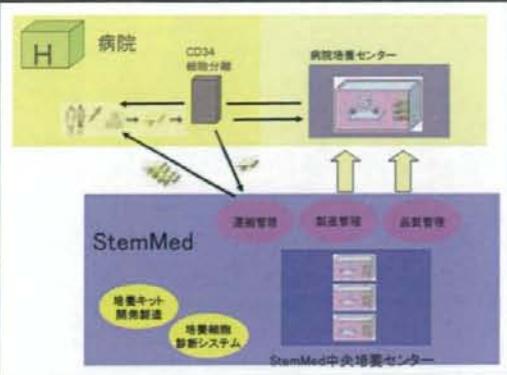
## 5. 知的財産戦略

### 保有知財

1. EPC基本培養法
2. EPCコロニーアッセイ

### 知財計画

1. EPC改善培養法
2. 細胞評価法 single cell PCR



## 医療分野における特許

2009年2月8日

財団法人先端医療振興財団  
専門役 竹田英樹

## 知的財産戦略会議 先端医療特許検討委員会

- 2003年医療行為関連特許の審査基準改訂(産業上利用できる発明)
- 2005年医療行為関連特許の審査基準改訂(医薬免許)
- 2008年 先端医療特許検討委員会

「第1回医療特許検討会議～医療行為の特許化～」議題  
(2008年1月19日 斎藤和也委員長開会式)

### 資料1

#### 資料1

##### 資料1

## 我が国と各国の特許制度比較 ～医療分野～

平成20年11月25日  
特許庁

資料6

### I. 我が国の特許制度の概要～医療関連技術の特許保護～

産業上利用できることができる発明をした者は、次に掲げる者明を除き、その発明について特許を取ることができる。(特許法第29条第1項社註)

人間を手段、方法、診断する方法は、医薬と利用することができる発明(二該出しないと解釈して適用している)。(特許審査基準)

基本的には、医療方法(手術、治療、診断方法)は特許の対象外

医療装置、医薬とは、物であり、「人間を手段、方法又は診断する方法に含まれない外的な対象」。  
医療機器等の発明とは、「人間を手段、方法又は診断する方法」に該当しない「内因的対象」。

### I. 我が国の特許制度の概要～医療関連発明の例示～

特許保護の対象	
物の構造として保護	
医療機器	・手術用装置 ・MRI装置 ・血液透析装置 等
医薬品	・医薬 ・医薬製剤等 ・種別医薬 ・適応医薬 ・適応子供医薬 等
方法の構造として保護	医療機器の動作方法 ・PCR装置の動作方法 ・MRI装置の動作方法 ・血圧シートの使用方法 ・人工者の前処方法 等

特許保護の対象外	
(人間を手段、方法又は診断する方法)	
手術方法	・患者挿抜方法 等
治療方法	・医薬による治療方法 ・PCR結果を分化して得られた神経細胞をもとに移植する方法 ・移植や治療方法 等
診断方法	・透析子診断方法 ・MRIの測定方法 ・血圧測定方法 等

注:「物」の発明として表現することにより、実質的に特許を取ることができる発明もある。

### I. 我が国の特許制度の概要～発明の表現方法～

発明(=技術思想)の表現方法には、「物」としての表現と、「方法」としての表現の仕方があり、同じ内容の発明をどちらでも表現できる場合がある

医療分野の例:  
ある物質Xについて、血圧の降下作用という属性を見出した場合

化学物質 X → 離作用発見

#### 「物」の発明としての表現

「有効成分Xを含有することを特徴とする高血圧治療剤」

特許対象外

#### 「方法」の発明としての表現

「有効成分Xを投与することを特徴とする高血圧の治療方法」

特許対象外

**1. 我が国の特許制度の概要～我が国の実務の経緒～**

**産業別審査基準 治療・衛生(昭和39年)**

人の乳乳の診断方法。治療方法のように、人が発明の構成要素に入っているものは、人その物が発明の対象となり、商業上直接利用できる発明と認めることができないので、「人を構成要素とする発明は商業上利用することができない」と。

**平成5年改訂審査基準**

「人間を手術、治療又は診断する方法」は「商業上利用することができる発明」とは言わない。

**平成15年改訂審査基準**

自家免疫抑制由来製品の製造方法、医薬方法が特許対象であることを明示(後述)

**平成17年改訂審査基準**

機器の動作方法、複数の医薬の組合せや治療の方法で特定しようとする医薬発明が特許対象であることを明示(後述)

**1. 我が国の特許制度の概要～平成15年8月7日 特許審査基準の改訂～**

○平成15年8月7日 特許審査基準の改訂の内容

- 既存技術を基礎としたもので、また既存技術をシート等の形状で複数するための方法は、同一に擬することを認めていた場合であっても特許の対象とすることを明確化した。

**1 機器の技術プロセス (自己免疫疾患)**

特許付与対象外  (例) 製造取扱方法

**2 医薬材料の製造・処理方法 (自家免疫抑制由来製品)**

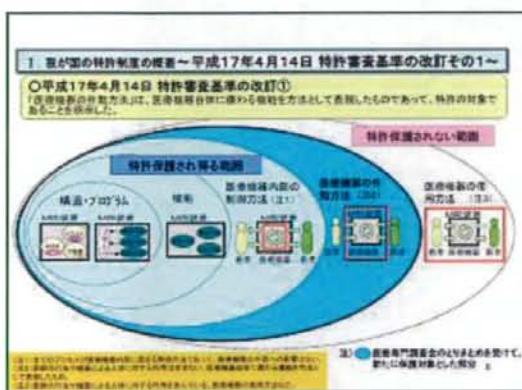
特許付与対象

(例) 製造された医薬材料の分離・純化方法  
自家免疫抑制由来製品に分化誘導する方法  
生物由来製品の活性化処理方法

**3 治療・投薬プロセス**

特許付与対象外

(例) 療法方法  
組合法  
新規方法  
混合方法



**II. 各国の特許制度の概要～医療分野～**

	手術方法	治療方法	診断方法	測定方法
米国	○	○	○	○
豪州	○	○	○	○
日本	×	×	×	×(△)
歐州	×	×	△(△)	△(△)
カナダ	×	×	△(△)	△(△)
シドニー	×	×	△(△)	△(△)
韓国	×	×	×	△(△)

注) 1. 手術、治療機器の特許方法において、一部未承認または未認可。  
2. 手術機器の特許方法において、長時間の手術。  
3. 治療機器の特許方法において、長期的治療。  
4. 4-1. 手術機器の特許方法において、発明の対象が、たとえ、他の方法で、特定方法で実現可能。  
4-2. 手術機器の特許方法において、発明の対象が、たとえ、他の方法で、特定方法で実現可能。  
5. 5-1. 手術機器の特許方法において、他の方法で実現可能。  
5-2. 手術機器の特許方法において、他の方法で実現可能。  
6. 6-1. 手術機器の特許方法において、他の方法で実現可能。  
6-2. 手術機器の特許方法において、他の方法で実現可能。  
7. 7-1. 手術機器の特許方法において、他の方法で実現可能。  
7-2. 手術機器の特許方法において、他の方法で実現可能。  
8. 図によれば、「他」の剪詰として表現することにより特許対象になる場合がある。

**III. 各国の特許制度の概要～日本との比較(概要)～**

日本	特許の対象でない
特許法第29条第1項後句、審査基準(医療)	既存の医薬等による「他」を明示した者は、即ち開発の発明者自身、その発明について特許を主張する者は、特許権者ではない。
人間を手術、治療又は診断する方法は、…「商業上利用することができる医薬」に該当しない。(審査基準)	人間を手術、治療又は診断する方法は、…「商業上利用することができる医薬」に該当しない。
欧州	特許の対象でない
特許料件的(EPO)第55条(医療)	欧州特許は、既存のものについては、付与されない。
(a) 手術又は治療による人體不変性物質の体内挿入方法及び人體又は動物の体の穿刺方法	(a) 手術又は治療による人體不変性物質の体内挿入方法及び人體又は動物の体の穿刺方法
米国	特許料件的(USPTO)第101条(技術)
特許料件的	発明かつ有用な方法、機械、装置物若しくは組成物、又はそれについての抵觸かつ有用な成績である。
注) 本項では、特許法第29条第1項後句、審査基準(医療)	注) 本項では、特許法第29条第1項後句、審査基準(医療)
1. 既存技術を基礎としたもので、また既存技術をシート等の形状で複数するための方法は、同一に擬して特許を主張する者は、特許権者ではない。	1. 既存技術を基礎としたもので、また既存技術をシート等の形状で複数するための方法は、同一に擬して特許を主張する者は、特許権者ではない。
2. 既存の医薬等による「他」を明示した者は、即ち開発の発明者自身、その発明について特許を主張する者は、特許権者ではない。	2. 既存の医薬等による「他」を明示した者は、即ち開発の発明者自身、その発明について特許を主張する者は、特許権者ではない。
3. 「医薬」(薬)の定義	「医薬」(薬)の定義
4. 「治療・投薬プロセス」	「治療・投薬プロセス」
5. 「治療・投薬プロセス」	「治療・投薬プロセス」
6. 「治療・投薬プロセス」	「治療・投薬プロセス」
7. 「治療・投薬プロセス」	「治療・投薬プロセス」
8. 「治療・投薬プロセス」	「治療・投薬プロセス」

**II. 各国特許制度の概要～医薬関連発明の表現に関する日米欧比較①～**

(例)「物質Aからなる医薬品」が知られている場合において、新たな効能として抗がん効果を発見

日本	既に知られている物質を医薬用法で特定することで、「物」の発明として保護される（新規性が認められる）。一方、「方法」の発明としては特許対象外で保護されない。
米国	既に知られている物質を医薬用法で特定しても、物質としては同一であると判断され、新規性が認められず、物質の発明としては保護されない。その代わり「方法」の発明として保護される。
特許可否:	新規成分Aをもつ抗がん剤 新規成分Aの医薬品としての発明方法
特許不可:	新規性なしと判断 既存成分Aをもつ抗がん剤

10

**II. 各国特許制度の概要～医薬関連発明の表現に関する日米欧比較②～**

具体的発明に即した特許可能な表現の例

日本・欧洲	既存通用疾病 既存被有Aについて、降圧効果の属性を見出した場合	有効成分Aを含有する降圧剤 「物」の用途発明	有効成分Aを投与する高血圧の治療方法 「方法」の発明
米国	新規通用疾患 経口薬を使用することで顔面の効果を見出した場合	有効成分Aを含有する疾患Zの治療方法 「物」の発明	有効成分Aを塗布する疾患Zの治療方法 「方法」の発明
特許可否:	複数の疾患の併用により顔面の効果を見出した場合	有効成分Cと有効成分Dを組み合わせた疾患Wの治療薬 「組み合わせ医薬」	有効成分Cと有効成分Dを投与する疾患Wの治療方法 「方法」の発明

11

**II. 各国特許制度の概要～医療関連発明の取り扱いに関する日米欧比較③～**

人間を主な対象とする方法	医療機器の新規性	医療材料の新規性	医療装置	医薬	医薬品の新規性
・内視鏡 ・人間を主な対象とする方法 ・内視鏡手術法 ・内視鏡手術装置 ・内視鏡手術器具 ・内視鏡手術装置の新規性	・ドライバー ・吸引器 ・内視鏡用の新規性	・内視鏡 ・内視鏡手術装置 ・内視鏡手術器具	・内視鏡 ・内視鏡手術装置 ・内視鏡手術器具	・内視鏡 ・内視鏡手術装置 ・内視鏡手術器具	・内視鏡 ・内視鏡手術装置 ・内視鏡手術器具

—JP —EP —US

※(欧洲特許庁拡大審査部に監理セミナー参考)

12

**II. 各国特許制度の概要～欧洲特許庁拡大審査部での審理～**

出願番号: 94300947. 8  
(発明の内容) 1日1回、種別別に持続的に発生することによる尿管異常症の患者に使用される。  
尿管異常症を製造するための、ニコチン酸の使用。  
(従来技術との相違点) 種別別に一日1回施用する点が唯一の相違点

○欧洲特許庁審査部の判断  
該当の仕方(投与間隔等)を従来技術との相違点として評価せずに新規性なしとして拒絶。

○欧洲特許庁審査部の判断(2008年4月22日 事件番号 T1319/04)  
投与間隔等の投与方法のみが従来技術との相違点である場合に、医薬用法発明としての新規性を認めらるべきか否かの点について、拡大審査部に付託。(拡大審査部で審理中、事件番号G2/08)  
① 拡大審査部は、欧洲特許庁の医薬品技術的審査課題を有する施設。

13

**II. 各国特許制度の概要～米国・医師の免責規定の導入経緯～**

- 1950年頃まで 医療方法を特許対象としない。
- 1950年頃から 医療方法を特許対象とする。
- 1963年 ナリン(Pallin)事件→改正法の契機となった事件  
(内臓手術方法に関する特許で、医師が医師を訴えた。)
- 1994年 米国医師会(AMA) 年次基会  
(医療方法の特許化に反対)  
AMA等が支援する議員から、医療方法特許の取扱いに関する法案を提出

米国特許法第287条第4項(1)(2) (1996年成立)

(1)医師が「通常」医療上利用することができる医療方法を除く医療方法の新規性...の限り...かかる医師は直接医療行為に及ぼす医療方法の新規性には適用しない。

(2)医療行為とは、身体に対する操作又は内臓の運営をすることを意味し。  
① 薬理、薬理学または臨床的にする特許の実施。  
② 薬理物の使用に関する特許の実施。  
③ バイオチク(3D)特許の実施。  
を含まない。(第2項除外)

14

**II. 各国特許制度の概要～歐州特許条約の改正(医療方法発明の扱い)～**

(改正前) 医療方法発明は「産業上利用することができる発明」に該当しないと規定  
医療改正前  
○医療方法(手術・治療方法、診断方法)は「産業上利用することができる発明」とはみなさないと法律で規定(欧州特許条約(EPC) 52条(4))。  
(趣旨)  
社会的・倫理的(socio-ethical)及び公衆の健康(public health)の観点から、医師によるプロフェッショナルな行為の行使が、特許により制限されなければならない。

(改正後) 医療方法発明を不特許事由として規定  
医療改正後(2000年改正条約: 2007年12月発効)  
○医療方法については、医療改正前と同様、特許保護の対象としない。  
TRIPS協定との整合性から、医療方法は「産業上利用することができる発明」とみなさないという法律的規制の規定を、公衆の健廻の観点から、「特許対象から除外する」という規定に改めた。  
(EPC 53条(6)(不特許事由)に移行)

15

**E 各国特許制度の概要～欧州特許条約の改正（医薬用途発明の扱い）～**

(改正前) 第2医薬用途発明を特権的な表示形式で保護

条約改正前  
○第2医薬用途発明<sup>(注)</sup>を「スイス・タイプ・クレーム<sup>(注)</sup>」と呼ばれる特権的な表示形式で保護(制度上、第2医薬用途発明を「物」の発明として保護することができなかった)。

注1:第1医薬用途発明: 制度上医薬用途に対する特権を最初に申請したことにより登録権。第2医薬用途発明: 第1登録権登録の発明に対する既存の発明に基づいて登録。

注2:スイス・タイプ・クレーム  
Title of a addition or composition X for the manufacture of a medicament for therapeutic application Z  
Using the medicament for the treatment of the disease X to make the medicament Y

(改正後) 第2医薬用途発明を「物」の発明として保護

条約改正後: 2007年12月発効  
○欧洲は、日本型を採用し、第2医薬用途発明を「物」の発明として保護が可能になった。

参考: 特許法第23条の1項  
第2項第2号、第3号、第4号に規定した方法における特許の使用のための特許又は被成物の特許権を除かしない。ただし、その権利が既存特許に含まれない限りに限る。

## 【EPC 53条】

### 欧州特許は以下のものに付与されない

- (a) その公表又は利用が公の秩序または道徳に反する発明。ただし、利用はそれが締約国の一員又は全部の法律または規則により禁止されるというだけでは公の秩序または道徳に反するとはみなされない。

**EPO 審査便覧C部3.3.1】**

■ この規定の目的は、暴動もしくは公衆の騒乱を誘発するおそれのある、又は犯罪もしくは概して犯罪的行動に至る発明を特許保護の対象から排除することにある。この規定は稀で極端な場合にのみ援用される可能性がある。本規定を適用する公正な基準は、特許付与には想像も及ばない程度まで一般公衆がその発明を嫌悪すべきものとみなす可能性があるかを考慮することである。これに該当することが明らかであれば、第53条(a)の規定によって拒絶理由を提起すべきであり、そうでなければ提起すべきではない。

**EUバイオ指令(98/44/EC)**

■ 1998年に発効  
■ 1999年 欧州特許条約施行規則を改定23eを新設

**【EPC規則23e】**  
(EUバイオ指令第5条に対応)

■ (1) 遺伝子の全長配列又は部分配列を含めて、様々な形成や発生の過程における人体および人体の構成要素の1つの単なる発見は特許可能な発明ではない。

**【EUバイオ指令前文(16)】**

■ 特許法は人間の尊厳やインテグリティを守るという基本的な考え方を尊重するように適用されなければならない。  
■ Whereas patent law must be applied so as to respect the fundamental principles safeguarding the dignity and integrity of the person; whereas it is important to assert the principle that the human body, at any stage in its formation or development, including germ cells, and the simple discovery of one of its elements or one of its products

**【EPC規則23c】**  
**(EUバイオ指令第3条に対応)**

生物発明において、次の場合に関するものは特許可能である。

(a)たとえ自然に以前発生したものであっても、自然環境から単離された又は技術的方法により生産された生物材料。

**【EPC規則23d】**  
**(EUバイオ指令第6条に対応)**

53条(a)に基づき、特に、次に関する生物発明について欧州特許は付与されない。

(a)ヒトをクローニングする方法  
 (b)ヒトの生殖細胞系列の遺伝的同一性を変更する方法  
 (c)工業又は商業目的でのヒト胚の使用  
 (d)動物の遺伝的同一性を変更する方法であって、ヒト又は動物に実質的な医学的利益を与えることなく苦しませるおそれのあるもの、及びその方法の結果としての動物

**【EUバイオ指令前文38】**

- この指令には各国裁判所や特許庁に公序良俗の解釈に一般的なガイドラインを与るために特許性が排除される発明のリストが含まれている。このリストは明らかに網羅的ではなく、人間の全能性細胞や生殖細胞を用いてキメラ動物を作成する方法のような人間の尊厳を害する使用も特許性から明らかに排除される。

**【EPO審査便覧  
C部3.3.3b生物発明】**

生物発明の分野では、特許可能性が排除される発明のリストが**規則23d**に列挙されている。このリストは例示的かつ非制限的なものであり、この技術分野における「公の秩序」及び「道徳」の概念を構築するためのものとして解釈される。

(a)ヒトをクローニングする方法  
 この方法には、胚の分割技術を含み、生死を問わず、他の人類と同一の核遺伝子情報を有する人類を創造する  
 より、設計されたいずれかの方法と定義される。(EUバイオ指令前文4.1)  
 (b)ヒトの生殖細胞系列の遺伝的同一性を変更する方法  
 (c)工業又は商業目的でのヒト胚の使用  
 この方法は、人種の名に適用され、胚のための荷物である。治療又は診断目的の発明には適用されない。(EUバイオ指令前文4.2)  
 (d)動物の遺伝的同一性を変更する方法であって、ヒト又は動物に実質的な医学的利益を与えることなく苦しませるおそれのあるもの、及びその方法の結果としての動物この除外規定のリストは国内裁判所や特許庁が公序良俗を解釈する際の一般的なガイドラインをとする。このリストが網羅的であると推定することは明らかに否定される。人間の尊厳を害するような方法。例えば生殖細胞又は万能細胞からキメラを形成する方法も、明らかに特許性から排除される(2.7)。

**EP770125 (1996年1月19日出願)**

- 当初明細書には、特許請求されたヒトES細胞は、胚の一部の組織を破壊する方法のみによって作製できることが記載されている。このように工業的に利用可能な製品を製造するために、最初の材料としてヒト胚を使用している以上、工業目的でヒト胚を使用するものであることに相違ない。

**EP770125**

- このようにヒト胚の使用が、特許請求された発明にとって欠くことのできない事項になっている以上、EPC規則23d(c)が適用される。さらに、EPC規則23dは特許請求された発明のみならず、明細書に記載された全ての発明にも適用されることを付記する。

## T1374/04 審判部

- 法律問題を拡大審判廷に付す(2005年11月)

## G02/06 拡大審判廷 (2008年11月25日審決)

- 出願後の規則が適応されるのか
- 適応されたとして、胚の破壊を含まないクレームにまで、適応されるのか。
- 53aの公序良俗規定がそのようなクレームを禁止しているのか。
- ヒト胚を破壊しないで、同一物が得られるのであれば。

### G2/06 審決において提示された4つの質問及びそれらに対する拡大審判部の判断

1. 欧州特許条約第23d 規則(c)(現:第28 規則(c)、工業又は商業目的でのヒト胚使用の禁止)は、当該規則の発効前になされた出願にも適用されるか。  
(注:本願出願年は1995年。他方、EUバイオ指令は1998年に成立し、これを受けて1999年にEPC第23d 規則(c)が新設された。現EPC第28 規則(c)では内容的変更はない。)

【判断】改正規則発効前に出願された案件を含む全ての係属中の出願に適用される。経過措置が設けられなかった以上、このように解するべき。

### G2/06 審決において提示された4つの質問及びそれらに対する拡大審判部の判断

2. もし問1の答えがyesである場合、ヒト胚の破壊が不可避である方法によって調製されたヒトES細胞組織のクレームは、たとえその方法がクレームの一部を構成していない場合でも拒絶されるか。

【判断】拒絶される。ECバイオ指令及びEPCで規定する不特許事由は、「発明」を対象としているのであって、クレームに限定してはいない。特許性の判断に際し着目すべきは、出願全体における技術であって、クレームの文言ではない。

### G2/06 審決において提示された4つの質問及びそれらに対する拡大審判部の判断

3. もし問1又は問2の答えがnoの場合、EPC第53条(a)(=公序良俗に反する発明への特許付与禁止)によって上記クレームを拒絶できるか。

【判断】(問1及び2はいずれもyesなので、回答無し。)

### G2/06 審決において提示された4つの質問及びそれらに対する拡大審判部の判断

4. ヒト胚の破壊を不可避である方法を使うことなくヒトES細胞組織を得ることが、本願出願日以降に可能となった場合、これは問2及び問3の答えに影響するか。

【判断】影響しない。出願日以降に公衆に利用可能となった技術の進展は考慮されるべきではない。不十分な開示が治癒できないのと同様。もし考慮などすれば法的不安定性が生じる。



**再生医療開発製品データベース: Bone, Cartilage**

(7)

Category	Product Name	Type	Description	Regulation Status
Bone	US Bone repair cells (BRCs)	Bone	Dermis/culture of the bone	Approved
Bone	US Bone repair cells (BRCs)	Bone	Marrow stromal, bone	Approved
Regulation / Management	US Bone repair cells (BRCs)	Bone	Human tissue bank	Approved
Programmed / Management	US NewCell	Bone	Human spine fusion	Approved
Cells / Genotype	US Chondrogen	Bone	Membrane sheet	Approved
Cartilage	US CartiCel	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
Cartilage	US M2A2	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
Cartilage	US TissueMatrix	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
Cartilage	DE CartiCel	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
Dr. John	DE ARTRECO	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
Dr. John	DE NewCell	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
Dr. John	DE NewCell TD	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
Dr. John	DE NewCell	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
Dr. John	DE NewCell TD	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
Safety Health and Age Care	AU Lorigen	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technology	DE StemCell	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	DE Chondro-Quell	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	DE Chondro-Cult	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	JP JACC	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	JP NewCell	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	US CartiCel	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	US CartiCel ST	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	US CartiCel	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	US NewCell	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	US NewCell ST	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	US NewCell	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	US NewCell ST	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	US NewCell	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization
StemCell Technologies	US NewCell ST	Cartilage	Knee cartilage defect	Marketing Authorization

2009/1/23

**欧州**

(8)

- Somatic cell therapy medicinal product shall mean the use in humans of autologous, allogeneic or xenogeneic somatic living cells, the biological characteristics of which have been substantially altered as a result of their manipulation to obtain a therapeutic, diagnostic or preventive effect through metabolic, pharmacological and immunological means.
- Product obtained through a set of manufacturing processes aimed at the transfer, to be performed either *in vivo* or *ex vivo*, of a prophylactic, diagnostic or therapeutic gene to human/animal cells and its subsequent expression *in vivo*.

• EMEA: European Medicinal Evaluation Agency  
 CAT: Committee for Advanced Therapy  
 CPWP: Cell-based Products Working Party  
 GTWP: Gene Therapy Working Party

Advanced Therapies

医薬品 薬用生物製品 許可医薬品 薬用化粧品 医療機器 薬事機関

2009/1/23

**米国**

(9)

- Somatic cell therapy refers to the administration to humans of autologous, allogeneic, or xenogeneic living non-germinal cells, other than transfusible blood products, for therapeutic, diagnostic, or preventive purposes.
- Gene therapy is a medical intervention based on modification of the genetic material of living cells.
- FDA: Food and Drug Administration  
 CBER\*: Center for Biologics Evaluation and Research  
 Office of Cellular, Tissue and Gene Therapies  
 CTGTAC: Cellular, Tissue, Gene Therapeutic Advisory Committee

\*製品承認では、CDERまたはCDRHが担当する。

2009/1/23

**日本**

(10)

- ヒト又は動物の細胞・組織を加工して製造されるもので、細胞・組織の人为的な増殖、活性化等を目的とした薬剤処理、生物学的特性変更、非細胞・組織成分との組み合わせ、遺伝子工学的改造等が行われたもの
- 厚生労働省および医薬品医療機器総合機構  
 生物系審査部

2009/1/23

**各国/地域の薬事規制環境**

(11)

Guidelines	Safety	Efficacy	Quality	
EMEA (EU)	22	18	12	14
FDA (US)	17	12	6	12
MHLW (JP)	14	13	0	8

- 各国/地域から発出されているガイドライン数に大きな差異はない。
- 日本は安全性および品質を強調する傾向があり、有効性に関するガイドラインは発出されていない。
- FDAから発行されている特定の適応症および製品クラスに対してのガイドラインは、各該分野の製品開発計画を策定する上で有用。
- 欧州は、これまで各國で対応していたが、2008年12月30日よりEMEAが担当となった。ガイドラインも最新の知見に基づくものが多い。

2009/1/23

**これまでの承認・販売状況**

(12)

FDA

- 承認取得前に、Compassionate-use, Emergency-use, Humanitarian Device Exemption (HDE)などにより、実用上は使用可能。
- Summary Basis of Approval (SBA)ではなく、Summary of Safety and Probable Benefits (SSPB)が公表されている(例: Eylet)。

EU

- 製造基準(GMP)に適合することで、「自動的に」販売を開始することができた(2007年までの状況)。
- 小児疾患の対象ではないが、特例な基準により費用の一部がカバーされる(ドイツ)。
- 既EU Directiveでは、CTD (Common Technical Document)、無作為化比較試験(原則)、およびPediatric development programが求められるなど、医薬品製品の高いハードルの審査基準となっている。

日本

- 特例的な扱いはない。
- 上乗せ基準の設定(確認申請)。

2009/1/23

- 284 -

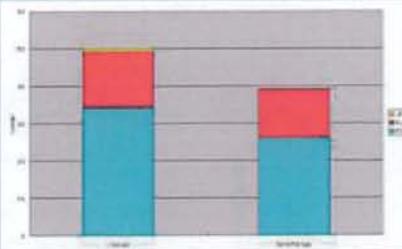
### 再生医療製品の年度別希少疾病薬指定状況

(13)



### 希少疾病薬指定:再生医療 対 遺伝子治療の割合

(14)



### 希少疾病薬指定製品の承認取得状況

(15)

制度開始年	全希少疾病薬指定製品			再生医療、遺伝子治療		
	FDA	EU	JP	FDA	EU	JP
1983年	1951	538	217	60	28	1
指定品目数	332	47	142	0	0	0
承認品目数	17.1%	8.7%	65.4%	0.0%	0.0%	0.0%

- 再生医療製品の希少疾患薬指定は増加傾向にあり、全体に占める割合は、以下のとおりである。日本は1製品(アルブラスト社)のみであり、明らかに少ない。
  - US: 約3% (過去5年間では4.6%)
  - EU: 約5.4%
  - JP: 約0.5%
- 希少疾患薬の制度運用に違いが認められる(制度開始年、承認率等)。
- 北米と欧洲で指定を受けている再生医療製造品は、大部分が異なる。
- 再生医療製造の指定製品で、これまでに承認を受けた製品は一つもない(→ 製品開発に難渋している、あるいはただ単に時間の問題か)。

### まとめ

(16)

- 臨床開発製品数、審査環境、希少疾患薬指定の観点から、日米欧の再生医療製品の開発状況の実態を検討した。
- 調査した全項目において、日本は「遅れている」傾向が強く示唆された。
- 同様の状況は、遺伝子組換え製品、抗体薬の分野で、過去に起きている(海外先行、日本後追い型)。なぜ同じ過ちが繰り返されるかの検証が必要。
- 海外では、審査基準が厳格化の方向に向かっているが、日本の産学からは、反対に緩和要請が多い。
- 「遅れ」の原因は多岐に渡っており、多角的な対応が求められる。