

ヒト幹細胞を用いた細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性確保に関する研究(その4)

# ヒト(同種)iPS(様)細胞加工医薬品等の品質 及び安全性の確保に関する指針案(中間報告)

早川 堯夫 (近畿大学基学総合研究所所長)

梅澤 明弘 (国立成育医療センター生殖医療研究部部長)

山中 伸弥 (京都大学物質-細胞統合システム拠点  
iPS細胞研究センター長)

小澤 敬也 (自治医科大学医学部内科学講座血液学部門教授)

大和 雅之 (東京女子医科大学先端生命医学研究所教授)

澤 芳樹 (大阪大学大学院医学系研究科外科学講座教授)

山口 照英 (国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部部長)

松山 晃文 ((財)先端医療振興財団先端医療センター研究所  
グループリーダー)

佐藤 陽治 (国立医薬品食品衛生研究所遺伝子細胞医薬部第2室長)

中内 啓光 (東京大学医科学研究所幹細胞治療研究センター長)

## 研究の経緯と視点

本研究の経緯については、前報1において詳細に述べた。本稿ではそのうち関連の深い事項についてその要約を述べる。

細胞・組織加工医薬品等による再生医療は、ヒトの臓器や組織の確保が難しいわが国の医療状況下において強く期待されており、研究の進歩に伴う技術的な実現可能性の高まりとともに、医療としての実用化を望む声が高まっています。

その中で、わが国を挙げて再生医療の実用化に向けた動きが急速に進められており、特にヒト由来の多能性細胞、すなわち間葉系幹細胞などの体性幹細胞、胚性幹細胞(ES細胞)、さらには人工多能性幹細胞(iPS細胞)について、近い将来に予想される製品の評価を円滑に進めるための準備を早期に行う必要がある。各種幹細胞の実用化の為に必要な要件を開発早期から示すことは、これらをより迅速に実用化するために必須である。

そこで、厚生労働省は平成20年度から厚生労働科学研究事業として「ヒト幹細胞を用いた細胞・組織加工医薬品等の品質・安全性確保に関する研究班(班長:早川堯夫)」を立ち上げ、検討を行うこととした。

本研究では、ヒト幹細胞の細胞・組織加工医薬品等への利用に関連した学問・技術の進歩、倫理上の重要ポイント、各種規制、国際動向等を調査・研究し、適切な安全性評価基準の作成や規制のあり方を検討することにより、ヒト幹細胞由来製品の実用化の推進を図ることを目的としている。

20年度中における研究結果から、ヒト間葉系幹細胞

等を中心とする体性幹細胞、iPS細胞、ES細胞などに由来する製品の薬事法下での臨床応用に向けて、研究・開発、確認申請、評価等を効率的、効果的、合理的に行う上で、必要と思われる技術、製造方法、特性解析方法、品質管理方法及び安定性評価に関する具体的留意事項、安全性及び有効性に関する各種データとしてどのようなものがあるかに関しては、これらの3種類の原料細胞それぞれに特化した形でまとめる方向性が打ち出された。

この方向性を受けて、平成21年度の研究活動として、2008年2月及び9月に通知された自己細胞・組織加工医薬品等全般に関する指針「ヒト(自己)由来細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針(薬食発第0208003号)」をベースとして、ヒト(自己)体性幹細胞及びヒト(自己)iPS(様)細胞加工医薬品等に関するそれぞれの指針案(中間報告)を作成した。また、2008年9月に通知された同種細胞・組織加工医薬品等全般に関する指針「ヒト(同種)由来細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針(薬食発第0912006号)」をベースとして、ヒト(同種)体性幹細胞、ヒトES細胞、ヒト(同種)iPS(様)細胞に関するそれぞれの指針案(中間報告)を作成した。これら5つの指針案は、まさに中間報告であり、さらにさまざまな観点からの論議を経て最終案とされるべきものである。しかし、現時点で広く関係者に公開し、ことの推移を周知のものとするとともに、コメントを頂く機会とすることは非常に意義があると考え、公表することとした。

本稿では、前報1、2及び3に続き、ヒト(同種)iPS(様)細胞を加工した医薬品又は医療機器の品質及び安全性の確保のための基本的な技術要件に関する指

ヒト幹細胞を用いた細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性確保に関する研究(その5)

# ヒトES細胞加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針案(中間報告)

早川 堯夫 (近畿大学薬学総合研究所所長)

梅澤 明弘 (国立成育医療センター生殖医療研究部部长)

山中 伸弥 (京都大学物質-細胞統合システム拠点  
iPS細胞研究センター長)

小澤 敬也 (自治医科大学医学部内科学講座血液学部門教授)

大和 雅之 (東京女子医科大学先端生命医科学研究所教授)

澤 芳樹 (大阪大学大学院医学系研究科外科学講座教授)

山口 照英 (国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部部长)

松山 晃文 ((財)先端医療振興財団先端医療センター研究所  
グループリーダー)

佐藤 陽治 (国立医薬品食品衛生研究所遺伝子細胞医薬部第2室長)

中内 啓光 (東京大学医科学研究所幹細胞治療研究センター長)

## 研究の経緯と視点

本研究の経緯については、前報1において詳細に述べた。本稿ではそのうち関連の深い事項についてその要約を述べる。

細胞・組織加工医薬品等による再生医療は、ヒトの臓器や組織の確保が難しいわが国の医療状況下において強く期待されており、研究の進歩に伴う技術的な実現可能性の高まりとともに、医療としての実用化を望む声が増えつつ強くなっている。

その中で、わが国を挙げて再生医療の実用化に向けた動きが急速に進められており、特にヒト由来の多能性細胞、すなわち間葉系幹細胞などの体性幹細胞、胚性幹細胞(ES細胞)、さらには人工多能性幹細胞(iPS細胞)について、近い将来に予想される製品の評価を円滑に進めるための準備を早期に行う必要がある。各種幹細胞の実用化の為に必要な要件を開発早期から示すことは、これらをより迅速に実用化するために必須である。

そこで、厚生労働省は平成20年度から厚生労働科学研究事業として「ヒト幹細胞を用いた細胞・組織加工医薬品等の品質・安全性確保に関する研究班(班長:早川堯夫)」を立ち上げ、検討を行うこととした。

本研究では、ヒト幹細胞の細胞・組織加工医薬品等への利用に関連した学問・技術の進歩、倫理上の重要ポイント、各種規制、国際動向等を調査・研究し、適切な安全性評価基準の作成や規制のあり方を検討することにより、ヒト幹細胞由来製品の実用化の推進を図ることを目的としている。

20年度中における研究結果から、ヒト間葉系幹細胞

等を中心とする体性幹細胞、iPS細胞、ES細胞などに由来する製品の薬事法下での臨床応用に向けて、研究・開発、確認申請、評価等を効率的、効果的、合理的に行う上で、必要と思われる技術、製造方法、特性解析方法、品質管理方法及び安定性評価に関する具体的な留意事項、安全性及び有効性に関する各種データとしてどのようなものがあるかに関しては、これらの3種類の原料細胞それぞれに特化した形でまとめる方向性が打ち出された。

この方向性を受けて、平成21年度の研究活動として、2008年2及び9月に通知された自己細胞・組織加工医薬品等全般に関する指針「ヒト(自己)由来細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針(薬食発第0208003号)」をベースとして、ヒト(自己)体性幹細胞及びヒト(自己)iPS(様)細胞加工医薬品等に関するそれぞれの指針案(中間報告)を作成した。また、2008年9月に通知された同種細胞・組織加工医薬品等全般に関する指針「ヒト(同種)由来細胞・組織加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針(薬食発第0912006号)」をベースとして、ヒト(同種)体性幹細胞、ヒトES細胞、ヒト(同種)iPS(様)細胞に関するそれぞれの指針案(中間報告)を作成した。これら5つの指針案は、まさに中間報告であり、さらにさまざまな観点からの論議を経て最終案とされるべきものである。しかし、現時点で広く関係者に公開し、ことの推移を周知のものとするとともに、コメントを頂く機会とすることは非常に意義があると考え、公表することとした。

本稿では、前報1及び2、3、4に続き、ヒトES細胞を加工した医薬品又は医療機器の品質及び安全性の確保のための基本的な技術要件に関する指針案(中