

厚生労働科学研究委託費（再生医療実用化研究事業）
委託業務成果報告（業務項目）

PMDAへの薬事戦略相談の実施

担当責任者 中西 洋一 九州大学病院 ARO次世代医療センター・センター長/教授

研究要旨

『高密度スキャフォールドフリー脂肪由来幹細胞構造体（HDMAC）』の将来的な薬事承認を目指し、関連規制に応じた品質、安全性、有効性のパッケージを検討し、PMDAとの協議を進める。

業務項目の担当責任者氏名・所属研究機関名及び所属研究機関における職名

中西 洋一 九州大学病院 ARO次世代医療センター・センター長/教授

A . 研究目的

臨床研究の実施と平行し、高密度スキャフォールドフリー脂肪由来幹細胞構造体（High Density Mesenchymal stem cell scaffold free Autologous Construct：以下、HDMAC）の将来的な薬事承認を目指し、PMDA の薬事戦略相談制度を活用し薬事戦略を策定する。

B . 研究方法

PMDAへの薬事戦略相談の実施

(a) 承認申請データパッケージの検討
薬事承認に向け、必要な安全性、品質、有効性のデータパッケージを検討する。

(b) 薬事戦略事前相談の実施

非臨床・品質・生物由来原材料に関する薬事戦略事前相談の実施をし、治験開始までに必要なデータを検討する。必要な場合、対面助言を実施する。

(倫理面への配慮)

治験の計画にあたっては、ヘルシンキ宣言に基づく倫理原則および医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律、関連省令等を順守した内容とする。非臨床試験は動物実験等の実施に関する基本指針を遵守して行う。

C . 研究結果

PMDA への薬事戦略相談の実施

(a)承認申請データパッケージの検討

本事業における臨床研究により、HDMAC の安全性を確認し、骨軟骨同時再生の有効性が確認された場合、特発性膝関節骨壊死症など難治性関節疾患を対象とした治験を実施し、本臨床研究データを参考資料とし、改正薬事法に基づく早期条件付き承認を目指す戦略を立てた。

そのため、臨床研究のデータの信頼性を確保するため、データマネジメント、モニタリングによる品質管理を行うこととした。

(b)薬事戦略相談の実施

2014年5月14日に薬事戦略相談事前面談を実施した。相談内容は、以下のとおり。臨床研究開始に向け取得した非臨床、品質のデータを示したうえで相談を行った。

- 1) 治験開始までに必要な非臨床試験の具体的な内容についてご意見いただき整理したい。
- 2) 製品の規格、製造方法、工程内品質管理試験について、臨床研究と同様のものを考えている。項目・内容の妥当性についてご意見いただきたい。
- 3) 製造工程において、Cytori Therapeutics社の Celutionを用い脂肪幹細胞を分離する。当該機器の承認申請時の位置付けについて、ご教示いただきたい。

事前相談結果を踏まえ、今後の薬事関連業務について検討した。まずは生物由来原料基準に基づく原材料の安全性確認について薬事戦略相談を実施し、以降品質、非臨床に区分し相談を進めていくこととした。

D . 考察

臨床研究開始までに取得した非臨床、品質関係のデータに加え、規制要件に順じ、信頼性のあるデータの取得を今後行う必要がある。

本製品は企業と連携して開発を進めており、最終製品や対象疾患について更なる検討が必要である。

E . 結論

最終製品の規格、品質の決定、非臨床試験パッケージの決定、薬事承認を目指す対象疾患の決定とそのため治験デザインの策定をし、今後順次PMDAとの相談を進めて行く必要がある。

F . 健康危険情報

2015年3月末時点で臨床研究の開始に至っていないため、被験者に関する危険情報は生じていない。

G . 研究発表

1. 論文発表
なし
2. 学会発表
なし

H . 知的財産権の出願・登録状況

1. 特許取得
なし
2. 実用新案登録
なし
3. その他
なし