

改正 1314 号に関する企業からの視点

日本ケミカルリサーチ株式会社 開発本部 立花 克彦

今般、1314 号通知の改訂が行われるに当たり、昨年 2 月上旬以降、審査管理課のヒアリングや、班会議で、企業側からの意見を述べさせていただく機会をえた。弊社は、ちょうど一昨年 8 月に、開発中の間葉系幹細胞について確認を申請しており、医薬品医療機器総合機構と照会・回答のやり取り等を行ってきた経験から、確認申請提出前の準備期間や提出後に苦慮した点、疑問を感じた点を述べさせていただいた。

弊社としてあげた、1314 号通知、特に別添 2「ヒト由来細胞・組織加工医薬品等の品質および安全性の確保に関する指針」(以下、「指針」と略す)に対する疑問点は、

- ①「指針」に示された、「規格の設定」や、その「妥当性を示す」のは、確認申請の段階では時に困難と考えられる項目があり、どこまで必要なかが明確でないこと。
- ②ヒト由来細胞・組織加工医薬品では、動物を使用して、安全性・有効性の評価を行う非臨床試験は必ずしも容易ではなく、また、実施してもあまり有用でないと思われる場合もあること。一方、「指針」における、「可能であれば」「必要に応じて可能な限り適切な動物」といった表現は、企業にとって対応に苦慮せざるをえないこと。
- ③臨床試験計画については、確認申請の時点で、その全貌について詳細を設定し、記載するのは負担が大きすぎること。

などであった。再生医療関連の他社からも、多くの意見が出されたが、これらの多くは、「ヒト由来細胞・組織加工医薬品等」と一口に言っても、多様な対象が含まれるため、画一的な基準を設けることが困難であることに起因するものと思われた。

これらの意見に対し、早速昨年 3 月には、確認申請の際に必要な治験計画についての記載の内容が大幅に簡略化された。「指針」については、「自己」と「同種(他家)」に分けられ、まず「自己」に関する改訂が、近々発出されると伺っている。「自己」に関する指針の改訂案を拝見すると、確認申請の段階で、何がどこまで必要なかが、かなり具体的に示されており、企業側から提示した問題点の殆どが改善されている。

さらに、「自己」に関する指針の改訂案には(そしておそらく「同種」に関する指針でも採用されると思われるが)「ケースバイケースの原則で柔軟に対応」すること、とされており、また「個別に医薬品医療機器総合機構の相談を受けることが望ましい」とされている。これは、これまでの「指針」が、やや画一的であったのに対し、対象が多様である「ヒト由来細胞・組織加工医薬品等」を扱う困難さを認めると同時に柔軟性を示した物で、大いに評価・歓迎すべきものであると認識している。また、弊社が「指針」への適合確認を取得するにあたって、事前面談、対面助言、そして照会・回答といった生物系審査部とのやり取りを通じて、申請資料が充実していったことを実感している。これまでも生物系審査部の方々が講習などで、相談が可能であることは繰り返し話しておられたが、指針に明記されたことは、非常に意義深いことであると考えている。