

細胞を用いた再生医療を患者に届けるための法整備と品質・安全性評価研究

国立医薬品食品衛生研究所 再生・細胞治療製品部 部長
佐藤 陽治

iPS細胞等による再生医療は、従来の方法では治療困難な疾病・損傷に対するブレイクスルーとして期待を集めている。再生医療は我が国の成長戦略の一つにも掲げられ、平成25年には再生医療に関する規制を大きく変化させる2つの法律、『薬機法』、および『再生医療等安全性確保法』が公布され、平成26年11月より施行されている。

我が国には、再生医療を実用化するための道筋として、「製品としての開発・利用」と「医療としての開発・利用」との二つのトラックがある。『薬機法』は前者を規制する法律であり、『再生医療等安全性確保法』は後者を規制する法律ということになる。

『薬機法』（正式名称『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』）は、『薬事法』の改正に伴って法律名が変更されたものである。同法では、従来対象とされてきた「医薬品」、「医療機器」に次いで「再生医療等製品」が第3のカテゴリーとして加えられた。「再生医療等製品」は、従来「再生医療製品」「細胞治療製品」「遺伝子治療製品」と呼ばれてきた製品から成り、バイオテクノロジー・幹細胞学といった新しい技術要素が含まれると同時に、生きた細胞等を含むため、品質に化合物のような均質性を求められないという特徴がある。品質の不均質性と乏しい評価経験ゆえに、有効性を確認するためのデータの収集・評価には通常の医薬品よりも多くの時間を要すると推定される。このような再生医療等製品の特性を踏まえた上で、安全性を確保しつつ、迅速な実用化・普及が図られるよう、再生医療等製品のうち、一定の要件を満たすものについては、迅速な実用化に向けた特別な規制として、安全性が確認され有効性が推定される段階で、条件及び期限付きで製造販売承認を得る事が出来るようになる。

『再生医療安全性確保法』（正式名称『再生医療等の安全性の確保等に関する法律』）は、医師・歯科医師による、加工した細胞を用いた医療行為を規制するものである。同法により、医師・歯科医師は細胞の加工を企業へ外部委託する事が可能となる一方、そのリスク区分に応じて、再生医療等提供計画を厚生労働大臣等に提出しなければならない。

「製品としての開発・利用」であれ「医療としての開発・利用」であれ、患者にとってみれば加工した細胞を投与されることには変わりない。したがって、投与される細胞の安全性・品質の基準が同様に担保されていることが重要である。再生医療等製品のうち細胞加工製品における品質・安全性確保の主な科学的課題には、1) ウイルス安全性、2) 原材料として供される細胞の特性解析と適格性、3) 細胞基材以外のヒト又は動物起源由来製造関連物質の適格性、4) 細胞基材としてのセル・バンクの樹立と管理のありかた、5) 最終製品の品質の再現性を達成するための包括的な製造戦略、製造工程評価、6) 最終製品を構成する細胞の有効成分としての特性解析、7) 最終製品の必須品質特性の同定と規格設定（最終製品の品質管理）8) 非臨床安全性試験・非臨床POC試験のデザインと解釈、9) 造腫瘍性試験のデザインと解釈（特にES/iPS細胞由来製品）、10) 製法／セル・バンクの変更による新旧製品の同等性の検証、11) 臨床試験のデザインと解釈、12) 有効性・安全性のフォローアップのあり方、といったものが挙げられる。本講演ではこれらのうちいくつかについて、我々の研究成果を含めて概説する。