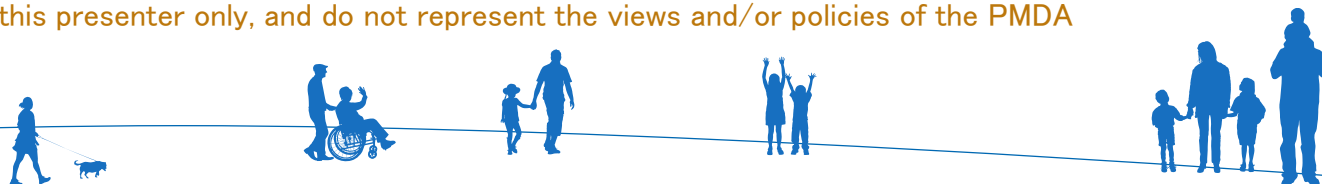


# ベンチャー・アカデミアをサポートするPMDA相談

2026年1月30日  
独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
再生医療製品等審査部 部長  
丸山 良亮

Disclaimer: 本発表は演者の個人的見解を示すものであり、所属する組織の公式な見解ではないことをご注意ください。  
The contents of this presentation represent the view of this presenter only, and do not represent the views and/or policies of the PMDA



# 本日の内容

1. 再生医療等製品の規制
2. 早期の実用化に向けたPMDAのサポート
3. 再生医療等製品開発の留意事項
4. まとめ



# PMDAとは

正式名称:独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

設立:**2004**(平成16)年4月1日

所在地:東京都千代田区霞が関3-3-2新霞が関ビル

常勤役職員数:1,063人(2024年4月1日時点)



←2013(平成25)年10月より関西支部を開設

RS総合相談/RS戦略相談  
GMP調査等の一部業務を実施



# PMDAと厚生労働省の役割分担

## 【厚生労働省】

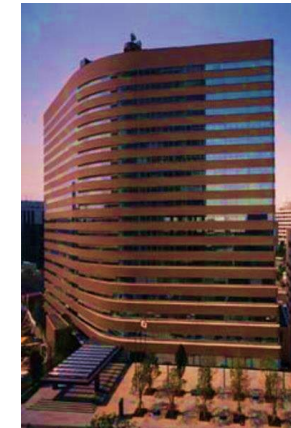
### 行政措置等の実施

- 医薬品・医療機器などの承認
- 通知などの発行
- ガイドラインの発行
- PMDA業務の監督

## 【PMDA】

### 科学的な判断の実施

- 医薬品・医療機器、再生医療等製品などの科学的審査
- GCP, GMP調査等
- 市販後の安全性情報の収集・分析
- 副作用被害救済



**PMDA**



# PMDAは、どんなところですか？



医薬品等の審査、安全対策など、国の業務を実施する日本で唯一の組織



医療や生活に直結する国レベルの仕事のやりがい



外国の機関とのネットワークを形成し、世界と協同



ドラマやニュースに登場する科学的な製品審査等の中枢機関



国家公務員相当の身分の安定性



これまでに得られた科学的な知識・経験を生かせる職場

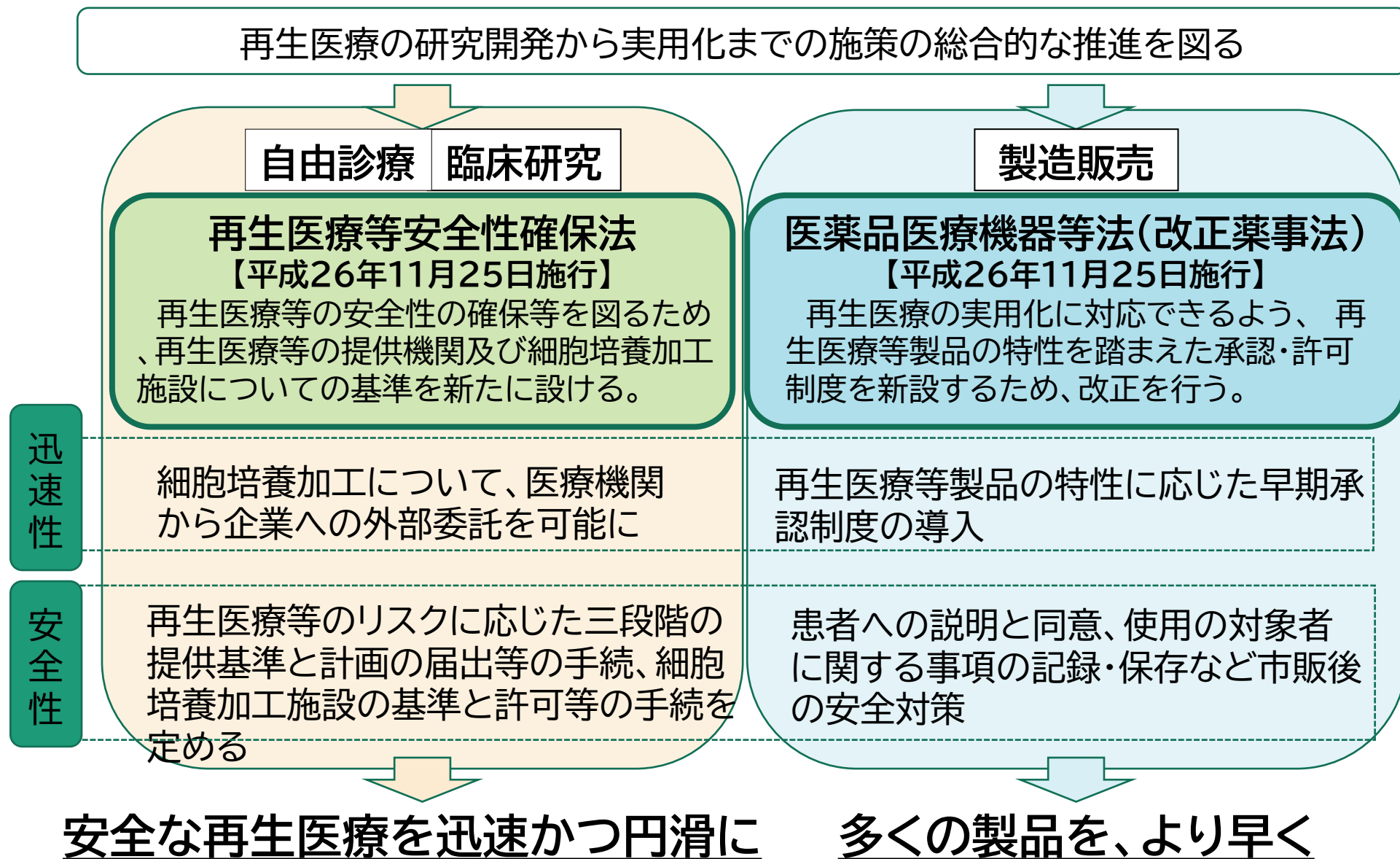


若く・活気のある設立20年目の組織。組織も職員も成長中！



# 再生医療を国民が迅速かつ安全に受けるための総合的な施策の推進に関する法律

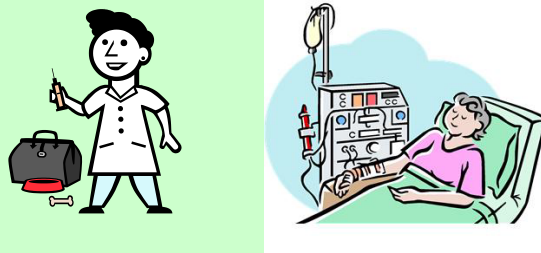
## 【議員立法】平成25年5月10日公布



# 再生医療等開発の現状

## 再生医療等安全性確保法(安確法)

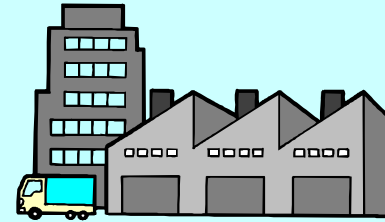
### 臨床研究・自由診療



再生医療等提供計画  
(2025年9月末現在)  
83臨床研究計画  
6,496治療計画  
が厚労省に提出

## 医薬品医療機器等法(薬機法)

### 製品の製造販売



製造販売承認  
(2025年12月末現在)  
21製品  
2製品が市場から撤退

## PMDAによる審査





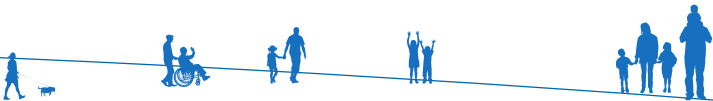
# 再生医療等製品の承認状況(2025年12月末時点)

製品名	製品概要	希少疾病	先駆け	条件及び期限付き承認
アバクマ点滴静注	CAR-T	✓		
ブレヤンジ静注	CAR-T	✓		
カービクティ点滴静注	CAR-T	✓		
デリタクト注	Oncolytic virus	✓	✓	✓
キムリア点滴静注	CAR-T	✓		
イエスカルタ点滴静注	CAR-T	✓		
ルクスターナ注	AAV	✓		
ネピック	Somatic stem cell	✓		
オキュラル	Somatic stem cell	✓		
サクラシー	Somatic stem cell	✓		
ビズノバ	Somatic cell	✓		
エレビジス点滴静注	AAV	✓		✓
アクーゴ脳内移植用注	Somatic stem cell	✓	✓	✓
ゾルゲンスマ点滴静注	AAV	✓	✓	
ステミラック注	Somatic stem cell		✓	✓
コラテジェン筋注用4mg	Plasmid vector			✓(失効(27/06//2024))
ハートシート	Somatic stem cell			✓(取下げ(25/07/2024))
ジェイス	Somatic cell	✓GCMN*, EB**		
ジャスミン	Somatic cell			
バイジュバックゲル	HSV	✓		
アロフィセル注	Somatic stem cell	✓		
ジャック	Somatic cell			
テムセル HS注	Somatic stem cell	✓		

製品数	
抗悪	6
眼	5
脳・神経・筋	4
心血管	(2)
皮膚	3
その他(骨軟骨, 消化器, GVHD)	各1

21<sub>(2)</sub>

\*GCMN: 母斑  
\*\*EB: 表皮水疱症





# 希少疾病用再生医療等製品：指定基準

令和6年1月16日 医薬薬審発0116第1号, 医薬機審発0116第1号

## 1. 対象患者数

- 本邦における対象患者数が5万人未満
- 指定難病に指定されていること

## 2. 医療上の必要性

- 対象疾患の重篤性
  - ✓ 重篤な疾病又は国民の生命、健康に重大な影響を与えるおそれのある感染症
- 対象疾患に対する有用性
  - ✓ 既承認薬等がないこと。
  - ✓ 既承認薬等がある場合であって、いずれの既承認薬による治療を行った場合でも予後不良など、当該既承認薬等のみでは治療法・予防法として十分ではなく複数の選択肢が臨床的に必要とされていること。
  - ✓ 既承認薬等がある場合であって、臨床試験の結果等に基づき当該既承認薬等と比較して高い有効性又は安全性が期待されること。

## 3. 開発の可能性

- 国内での開発を行うことのできる体制及び計画を有していること

# 希少疾病用再生医療等製品：開発支援

1. 助成金の交付 → 医薬基盤・健康・栄養研究所
2. 税制措置 → 医薬基盤・健康・栄養研究所
3. 指導・助言 → PMDAによる開発支援（相談）
4. 優先審査 → PMDAによる開発支援（審査）
5. 再審査期間の延長 → 最長10年に延長



# 先駆的医薬品等指定制度

「日本再興戦略」改訂2014(平成26年6月24日)に基づき、世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本で早期に実用化すべく、世界に先駆けて開発され、早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる医薬品等を指定し、各種支援による早期の実用化(例えば、医薬品では通常の半分の6ヶ月間で承認)を目指す「**先駆け審査指定制度**」を平成27年4月1日より試行的に開始(通知)。令和元年の薬機法改正で「**先駆的医薬品等**」の指定制度として法制化(令和2年9月施行)。

## 指定基準

※医薬品の場合

1. **治療薬の画期性**: 原則として、以下のいずれかに該当するものであること
  - ・既承認薬と異なる新作用機序であること
  - ・既承認薬と同じ作用機序であっても開発対象とする疾患への適応は初めてであること
  - ・革新的な薬物送達システムを用いていること
2. **対象疾患の重篤性**: 生命に重大な影響がある重篤な疾患又は根治療法がなく症状(社会生活が困難な状態)が継続している疾患
3. **対象疾患に係る極めて高い有効性**: 既承認薬が存在しない、又は既承認薬・治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる、若しくは著しい安全性の向上が見込まれること
4. **世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制**(同時申請も含む。)

## 指定制度の内容

    : 承認取得までの期間の短縮に関するもの     : その他開発促進に関する取組

### ①優先相談

[ 2か月 → 1か月 ]

- 優先対面助言。随時募集対応とすることで事実上1か月で実施。

### ②事前評価の充実

[ 実質的な審査の前倒し ]

- 事前評価を充実させる。

### ③優先審査

[ 12か月 → 6か月 ]

- 総審査期間の目標を、6か月に。  
※②事前評価による審査の前倒し

### ④審査パートナー制度

[ PMDA版コンシェルジュ ]

- 専任の担当部長級職員をコンシェルジュとして指定。節目ごとに進捗確認等を行い、必要な部署との連絡調整を行うことにより、円滑な開発を促進する。

### ⑤製造販売後の安全対策充実

[ 再審査期間の延長 ]

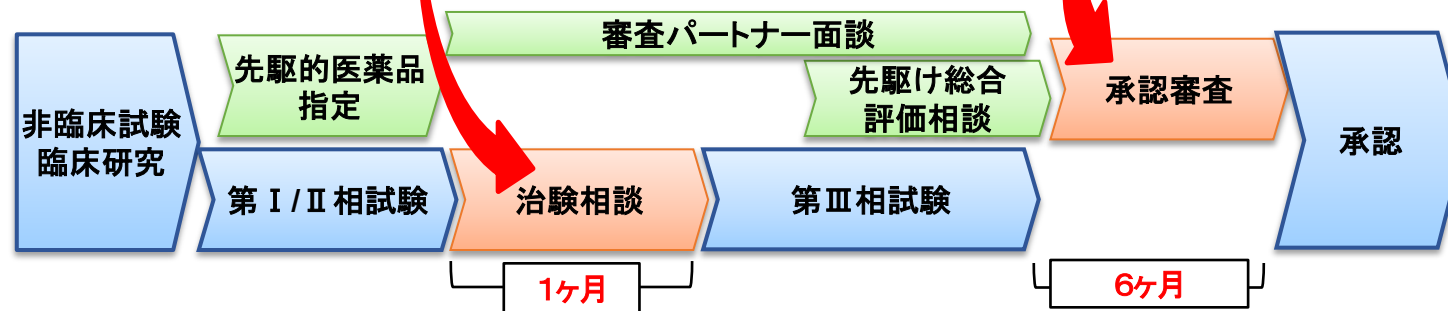
- 法律に基づき、再審査期間を延長し、最長10年までの範囲内で設定する。

# 先駆的医薬品等に関するPMDAのアクション

## 【通常品目】



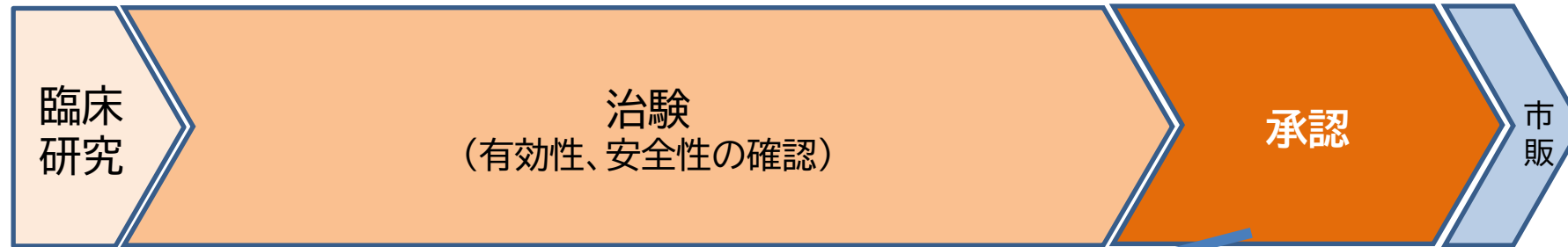
## 【先駆的医薬品】



※先駆的医薬品等の開発に付随して開発される体外診断用医薬品等については、別途指定を受けることなく、必要な措置を講じることとする

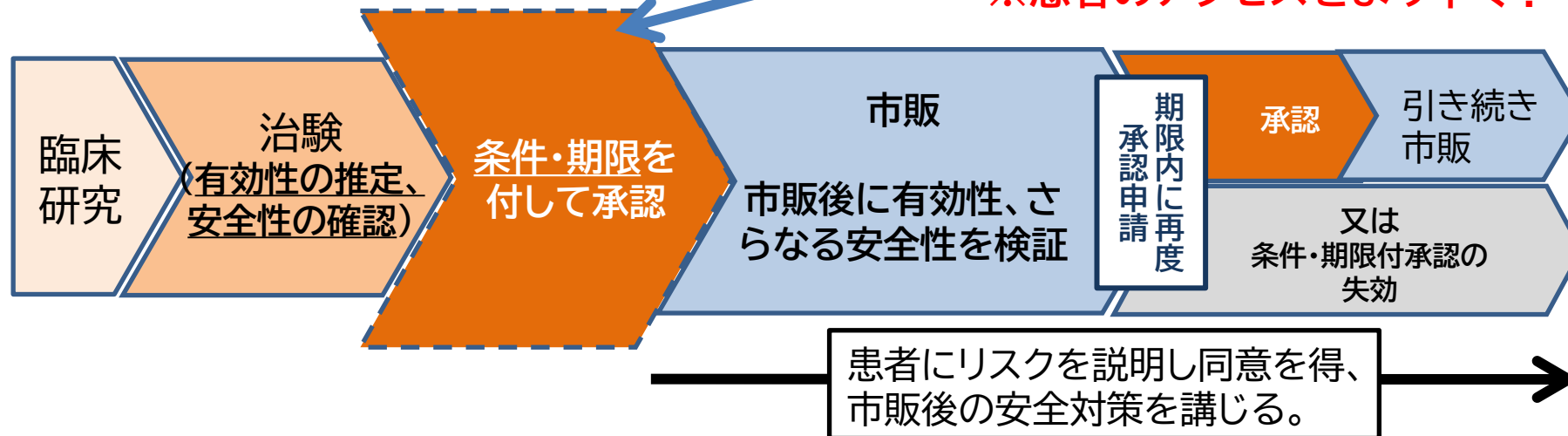
# 再生医療等製品の条件・期限付承認制度

## 【従来の承認までの道筋】



<再生医療等製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点>  
人・動物の細胞や遺伝子を用いることから、不均質となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。

## 【再生医療等製品の早期の実用化に対応した承認制度】



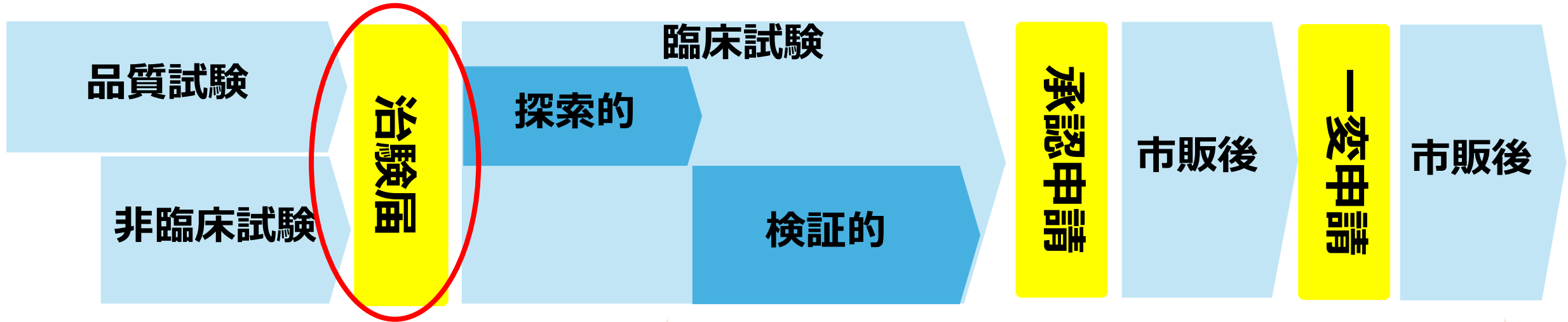
- ・有効性については、一定数の限られた症例から、従来より短期間で有効性を推定。
- ・安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。

# 本日の内容

1. 再生医療等製品の規制
2. 早期の実用化に向けたPMDAのサポート
3. 再生医療等製品開発の留意事項
4. まとめ



# 開発段階に応じた対面助言による開発サポート



RS戦略相談

治験相談

カルタヘナ相談





# 治験届

## 添付資料

1. 届書
2. 当該治験の実施を科学的に正当と判断した理由を記載した文書
3. 治験実施計画書
4. インフォームド・コンセントに用いられる説明文書及び同意文書
5. 症例報告書の見本(CRF)
6. 最新の治験製品概要書(IB)
7. 被験製品以外の治験使用製品、治験使用薬相当及び治験使用機器相当に係る最新の科学的知見について記載した文書(添付文書、インタビューフォーム、学術論文等)
8. その他

## 調査期間

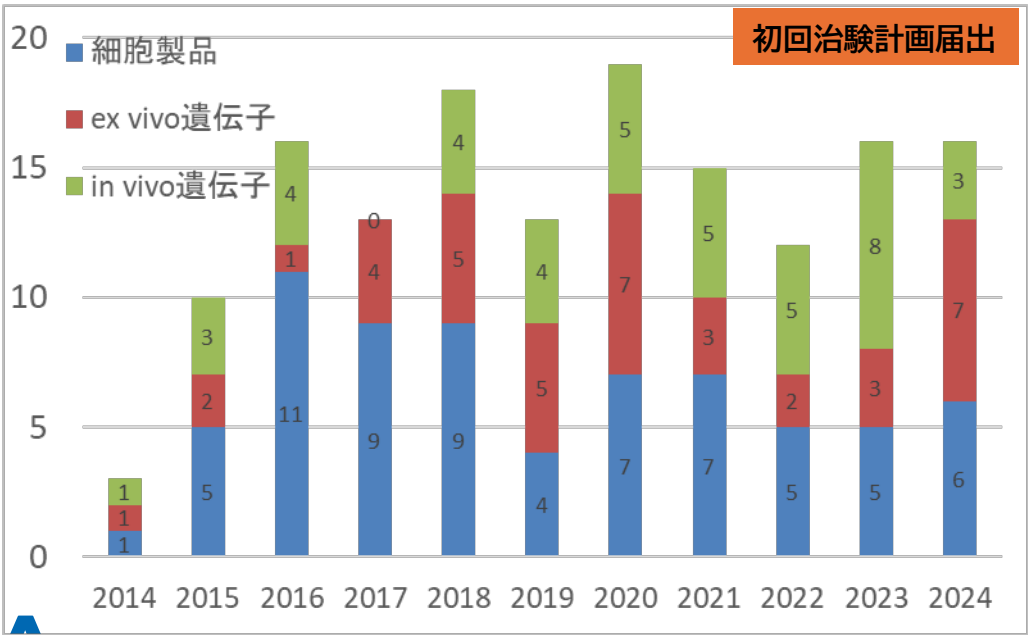
初回治験届: 30日

N回届: 14日

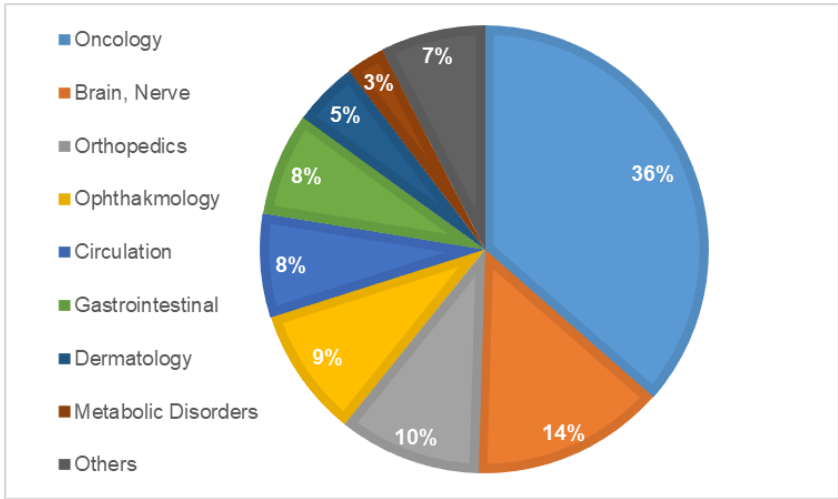
# 再生医療等製品：初回治験計画届出の状況

FY	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	合計
初回	3 [1]	10 [2]	16 [7]	13 [8]	18 [8]	13 [7]	19 [9]	15 [7]	12 [3]	16 [4]	16 [7]	151 [63]
n回	1 [1]	3 [2]	5 [0]	14 [10]	17 [3]	16 [7]	22 [5]	18 [9]	25 [14]	23 [9]	22 [2]	166 [62]
変更届	2	19	52	93	151	206	215	278	282	252	276	1826

- ・ n回治験計画届は、30日調査対象外の治験計画届である。
- ・ 初回治験計画届、n回治験計画届における[ ]の数値は、いわゆる医師主導治験に係る届出数を示す。
- ・ 出典：<https://www.pmda.go.jp/files/000276137.pdf>



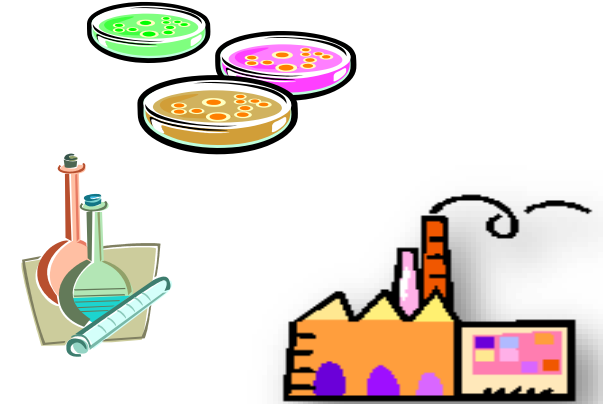
疾患領域別(2014～2021)



# 30日調査の重要ポイント

## ・品質

- ・ 原材料に起因する外来性感染性物質の安全性評価
- ・ 中間・最終製品の品質管理（工程内管理試験、規格試験）
- ・ 製法変更前後の品質の一貫性
- ・ 安定性（貯法、有効期間と合わせ輸送方法も検討）、など



## ・非臨床安全性

- ・ 試験計画の適切性
- ・ データパッケージの充足性
- ・ 製造工程由来不純物、副成分の安全性評価、など

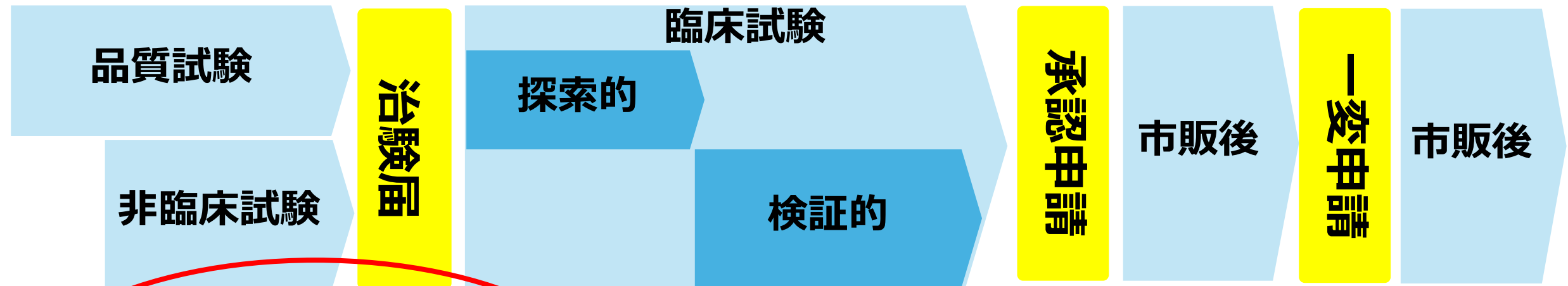


## ・臨床（早期探索的試験まで）

- ・ 有効性、安全性の評価項目の適切性
- ・ 選択・除外基準の適切性、など



# 開発段階に応じた対面助言による開発サポート



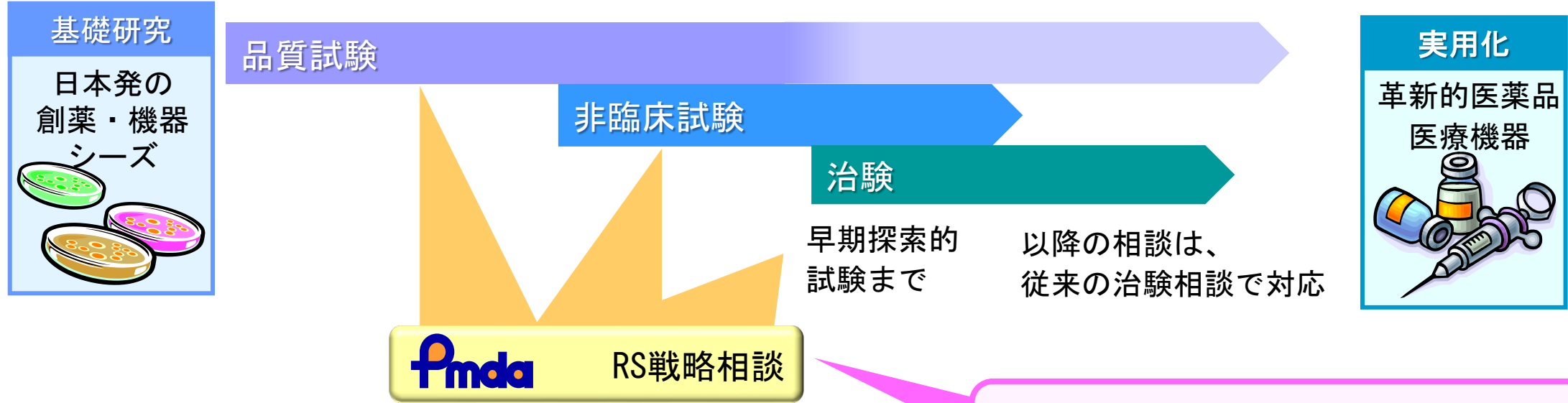
**RS戦略相談**

**治験相談**

**カルタヘナ相談**



# レギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談とは？



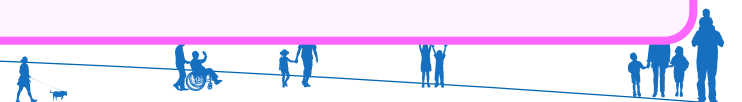
**目的:** 革新的な製品の創出に向けて、基礎研究で発見された有望なシーズに関し、実用化までの道筋を明確化する

**対象:** 有望なシーズを持つ 大学・研究機関、ベンチャー企業

**相談内容の対象:** 製品の 候補選定の最終段階から主に臨床開発初期(POC試験)まで

<https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/strategies/0003.html>

- ✓ **対面助言**では、得られているデータをもとに、今後の治験の実施、承認申請に向けての課題の整理や、具体的な指導・助言を実施
- ✓ 相談範囲の整理等、一般的なアドバイス等に関しては**事前面談**を実施
- ✓ 本事業や手続き等の理解を深めていただくための**RS総全面談**を実施



# RS戦略相談の相談手数料

相談区分		1申込あたりの 相談手数料	低額要件（※1） を満たす場合
RS総合相談		無料	—
RS 戦略 相談	事前面談	無料	—
	対 面 助 言	医薬品戦略相談	1,541,600円
		医療機器戦略相談	874,000円
		再生医療等製品戦略相談	874,000円
		再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談	1,541,600円
		再生医療等製品等の品質及び安全性に係る追加相談	496,800円
		開発計画等戦略相談	73,600円

※1 低額要件を満たす場合、相談手数料は1/10に減額

## 【低額要件とは？】

原則として、以下の要件をすべて満たすこと。

### 大学・アカデミア機関の場合

- ・国から当該シーズに係る下記の金額程度以上の研究費を受けていないこと  
再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談：9,000万円  
再生医療等製品戦略相談：5,000万円
- ・当該シーズに係る製薬企業・医療機器等開発企業との共同研究契約等により当該シーズの実用化に向けた研究費を当該企業からを受けていないこと

### ベンチャー企業の場合

- ・中小企業であること（従業員数300人以下又は資本金3億円以下）
- ・他の法人が株式総数又は出資総額の1/2以上の株式又は出資金を有していないこと
- ・複数の法人が株式総数又は出資総額の2/3以上の株式又は出資金を有していないこと
- ・前事業年度において、当期利益が計上されていない又は当期利益は計上されているが事業収益がないこと

※ 問合せ先：PMDA審査マネジメント部審査マネジメント課  
(TEL：03-3506-9556)

# 「再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談」の相談手数料

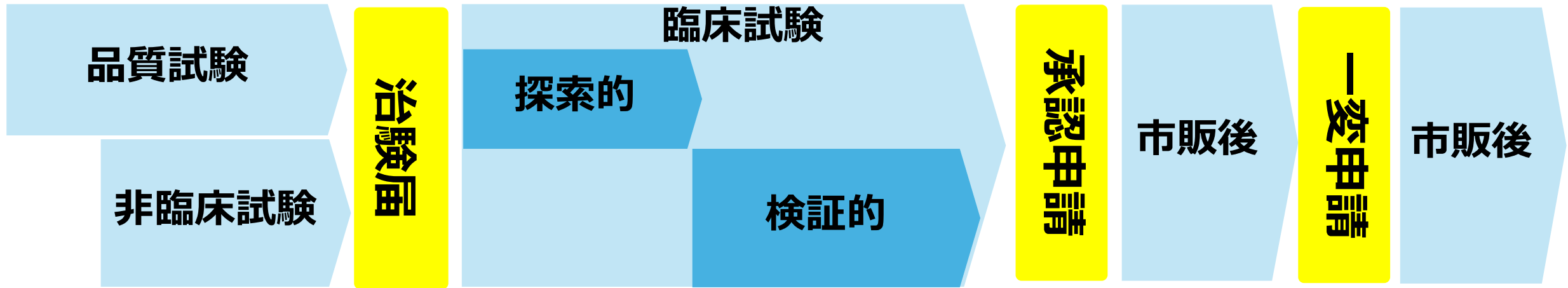
相談者		1回目手数料	2回目手数料	3回目手数料	4回目手数料 (以降も同様)
種類	低額要件				
アカデミア	適用	必要 (9割減)	不要	不要	不要
	非適用	必要	不要	不要	不要
企業	適用	必要 (9割減)	不要	不要	不要
	非適用	必要	不要	不要	必要 (追加相談)

⇒アカデミア及び低額要件を満たす企業は、1回分の相談手数料で複数日にわたり相談可能  
⇒低額要件を満たさない企業は、4回目以降、相談手数料が必要（追加相談の区分）





# 開発段階に応じた対面助言による開発サポート



**RS戦略相談**

**治験相談**

**カルタヘナ相談**

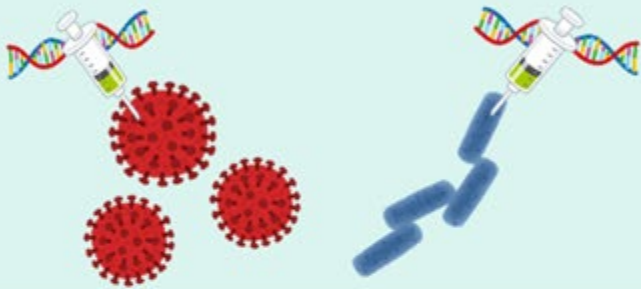


# カルタヘナ法の対象となる遺伝子組換え生物

遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律(平成15年法律第97号)

## カルタヘナ法上の組換え生物

遺伝子操作されたウイルス・細菌



遺伝子操作された動植物

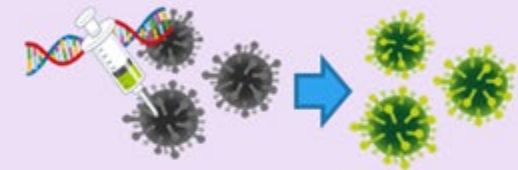


## カルタヘナ法上の組換え生物には該当しない例

遺伝子組換えに該当しない



自然発生又は交配による作成



遺伝子操作後が自然界のものと同等

「生物」に該当しない



自然条件で個体にならないもの  
(培養細胞など)



人間

この法律の目的は生物の多様性を守ること

→ 遺伝子操作によって環境影響がありそうかに重点が置かれている。

# 遺伝子組換え生物等の使用等の規制

第二種は閉鎖系での使用。製造施設や試験施設が該当する。

製造



産業二種

病院への輸送

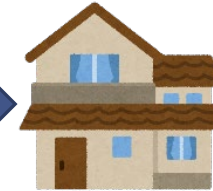


産業二種  
(二種省令5条)

病院での使用



退院後の患者



第一種使用規程



第一種は開放系での使用。治験や市販が該当する。

検体分析



研究二種

# カルタヘナ法の運用状況



- 第一種の承認期限は一人目の被験者の組入れまで。
- 第二種は文部科学大臣の確認済みであれば、PV製造までが承認期限。
- 一般的な内容の記載例は全てPMDAのウェブサイトにて提示されているため、それを参考に申請可能。
- 病院での実態となる手順はPMDAでは限界があるため、成育医療センター等の 公開情報を活用することが望ましい。

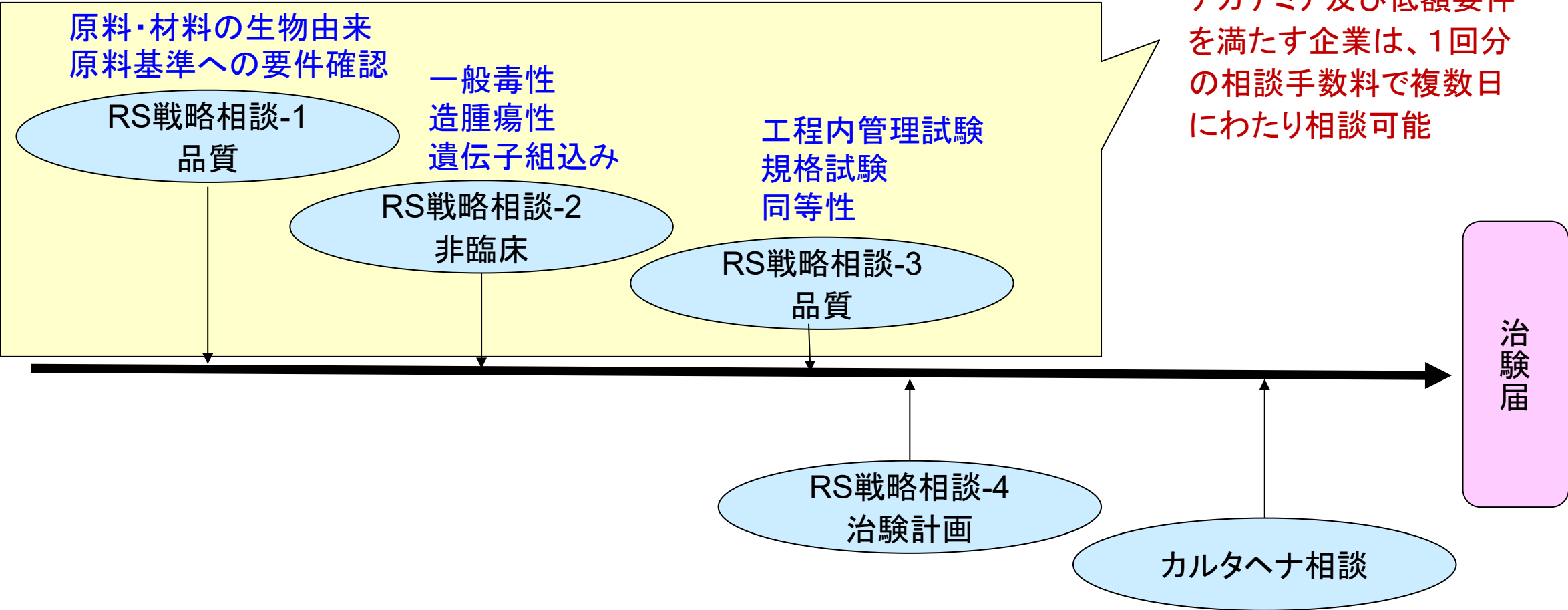
## 第一種の記載例

## 第一種使用規程の記載例

## 生物多様性影響評価書の記載例

AAVの情報は  
充実しています。

# 治験計画届出までの開発事例



# 本日の内容

1. 再生医療等製品の規制
2. 早期の実用化に向けたPMDAのサポート
3. 再生医療等製品開発の留意事項
4. まとめ





基準、通知	カテゴリー別	製品別	テーマ別
<div>○生物由来原料基準<ul style="list-style-type: none"><li>告示</li><li>運用通知</li><li>1314号指針</li><li>事務連絡Q&amp;A</li></ul></div> <div>○出荷試験<ul style="list-style-type: none"><li>再生医療等製品の試験検査に関する質疑応答集</li></ul></div> <div>○カルタヘナ<ul style="list-style-type: none"><li>事務連絡Q&amp;A</li><li>事務連絡残存</li></ul></div>	<div>○類別<ul style="list-style-type: none"><li>ヒト(自己)体細胞</li><li>ヒト(同種)体細胞</li><li>ヒト(自己)体性幹細胞</li><li>ヒト(同種)体性幹細胞</li><li>ヒト(自己)iPS(様)細胞</li><li>ヒト(同種)iPS(様)細胞</li><li>ヒトES細胞</li><li>遺伝子治療用製品</li></ul></div>	<div>○重症心不全<ul style="list-style-type: none"><li>ヒト(同種)iPS 細胞由来心血管系細胞多層体</li><li>ヒト(同種)iPS 細胞由来心筋球</li><li>重症心不全細胞治療用細胞シート</li></ul></div> <div>○虚血性心筋症<ul style="list-style-type: none"><li>ヒト(同種)iPS細胞由来心筋細胞シート</li></ul></div> <div>○非代償性肝硬変<ul style="list-style-type: none"><li>ヒト(自己)骨髄由来間葉系幹細胞</li><li>ヒト(同種)脂肪組織由来間葉系幹細胞</li><li>ヒト(自己)末梢血CD34 陽性細胞</li></ul></div> <div>○関節軟骨再生<ul style="list-style-type: none"><li>ヒト軟骨細胞又は体性幹細胞</li><li>ヒト(同種)iPS(様)細胞</li></ul></div> <div>○鼻軟骨再生</div> <div>○眼科領域<ul style="list-style-type: none"><li>ヒト(同種)iPS 細胞由来角膜上皮細胞シートに関する評価指標</li><li>同種iPS(様)細胞由来網膜色素上皮細胞</li><li>自己iPS 細胞由来網膜色素上皮細胞</li></ul></div> <div>○その他<ul style="list-style-type: none"><li>ヒト(同種)iPS(様)細胞加工製品を用いた亜急性期脊髓損傷(外傷性)の治療に関する評価指標</li><li>歯周組織治療用細胞シート</li><li>角膜内皮細胞シート</li><li>ヒト(自己)表皮(皮膚)再生に関する評価指標(R6一部改正)</li><li>がん免疫療法開発のガイダンス(CAR-T/TCR-T)</li><li>脳梗塞の細胞治療製品の開発に関するガイドライン</li><li>急性期脊髓損傷の治療を目的とした医薬品等の臨床評価に関するガイドライン</li><li>ヒト(同種)iPS細胞由来血小板の品質に関する留意点</li><li>経冠動脈の投与再生医療等製品(ヒト細胞加工製品)に関する評価指標</li></ul></div>	<div>○遺伝子治療<ul style="list-style-type: none"><li>ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品等の品質・安全性等の考慮事項に関する報告書(科学委員会)</li><li>標的特異性を有する in vivo 遺伝子治療用製品の開発における留意事項 -- in vivo CAR-T の開発など(科学委員会)</li></ul></div> <div>○造腫瘍性<ul style="list-style-type: none"><li>ヒト細胞加工製品の未分化多能性幹細胞・形質転換細胞検出試験、造腫瘍性試験及び遺伝的安定性評価に関するガイドライン</li><li>iPS 細胞等をもとに製造される細胞組織加工製品の造腫瘍性に関する議論のまとめ(科学委員会)</li></ul></div> <div>○同等性／同質性<ul style="list-style-type: none"><li>ヒト細胞加工製品の製造工程の変更に伴う同等性／同質性評価</li></ul></div> <div>○製品開発<ul style="list-style-type: none"><li>再生医療等製品(ヒト細胞加工製品)の品質、非臨床安全性試験及び臨床試験の実施に関する技術的ガイダンス</li></ul></div> <div>○製造<ul style="list-style-type: none"><li>再生医療等製品の品質確保における基本の考え方に関する提言(科学委員会)</li></ul></div>



開発促進のための  
各種ガイドライン  
は整備されている



# 品質



# 再生医療等製品における品質の課題と論点

- 生きた細胞等を含む製品
  - 製造工程で多様な生物由来原料、材料又は原材料を使用。  
製造工程中に病原体等の不活化/除去を行うことが困難  
→ 感染性因子の混入リスクが高い
  - 有効性及び安全性に関する品質特性が特定しづらい
  - 不均質
  - 適切な試験方法の選択が難しい
  - 試験法のばらつきが大きい
- ⇒ 品質の確保はどのように考えれば良いか？



# 生物由来原料基準の取扱い

## 【発出と改訂の歴史】

2003年

平成15年5月20日制定(厚生労働省告示第 210 号)

平成16年3月30日制定(厚生労働省告示第 157 号)

平成16年7月5日制定(厚生労働省告示第 262 号)

平成17年3月31日制定(厚生労働省告示第 177 号)

平成19年9月28日制定(厚生労働省告示第 310 号)

平成21年7月1日制定(厚生労働省告示第 343 号)

平成26年9月26日制定(厚生労働省告示第 375 号)

平成30年2月28日制定(厚生労働省告示第 37 号)

## 【目次】

### 第1 通則

### 第2 血液製剤総則

#### 1 輸血用血液製剤総則

#### 2 血漿分画製剤総則

### 第3 ヒト由来原料総則

#### 1 ヒト細胞組織原料基準

#### 2 ヒト尿由来原料基準

#### 3 ヒト由来原料基準

### 第4 動物由来原料総則

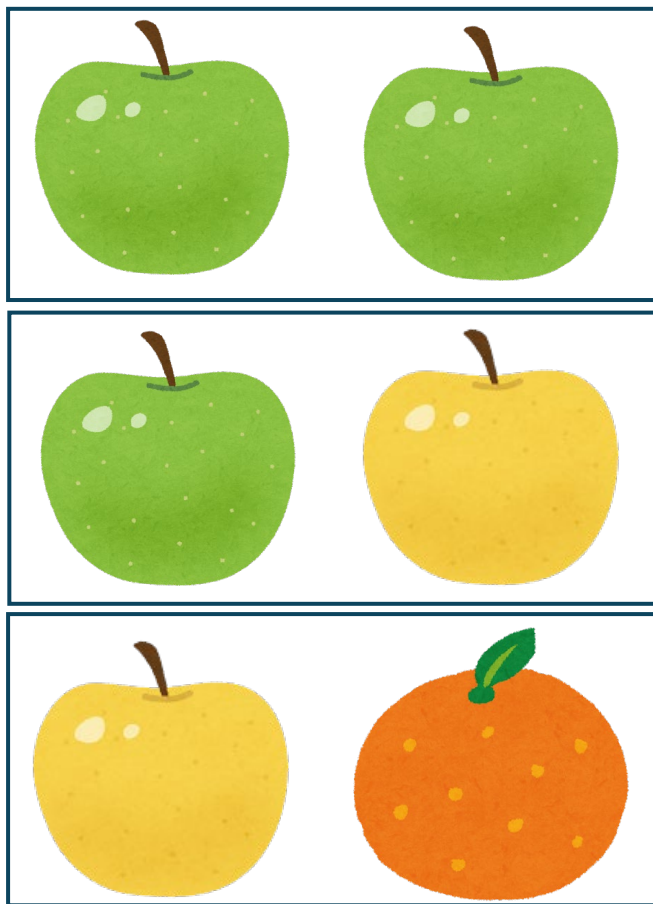
#### 1 反芻動物由来原料基準

#### 2 動物細胞組織原料基準

#### 3 動物由来原料基準

- 医薬品、医薬部外品、化粧品、医療機器及び再生医療等製品に使用されるヒト・動物に由来する原料等について、製造に使用される際に講ずべき必要な措置に関する基準。
- 医薬品等の品質、有効性及び安全性を確保することを目的。

開発中に作り方変える(製法変更)ことはあると思いますが、同じですか？



## 同等性 (Comparability)

【規格】

糖度

pH

重さ



# 非臨床



# 細胞加工製品の新臨床安全性試験

## ● 一般毒性試験

- 全身／局所毒性
- 生命維持に関わる重要な器官への影響評価  
(異所性組織の形成)

## ● 造腫瘍性試験

## ● 製造工程由来不純物評価

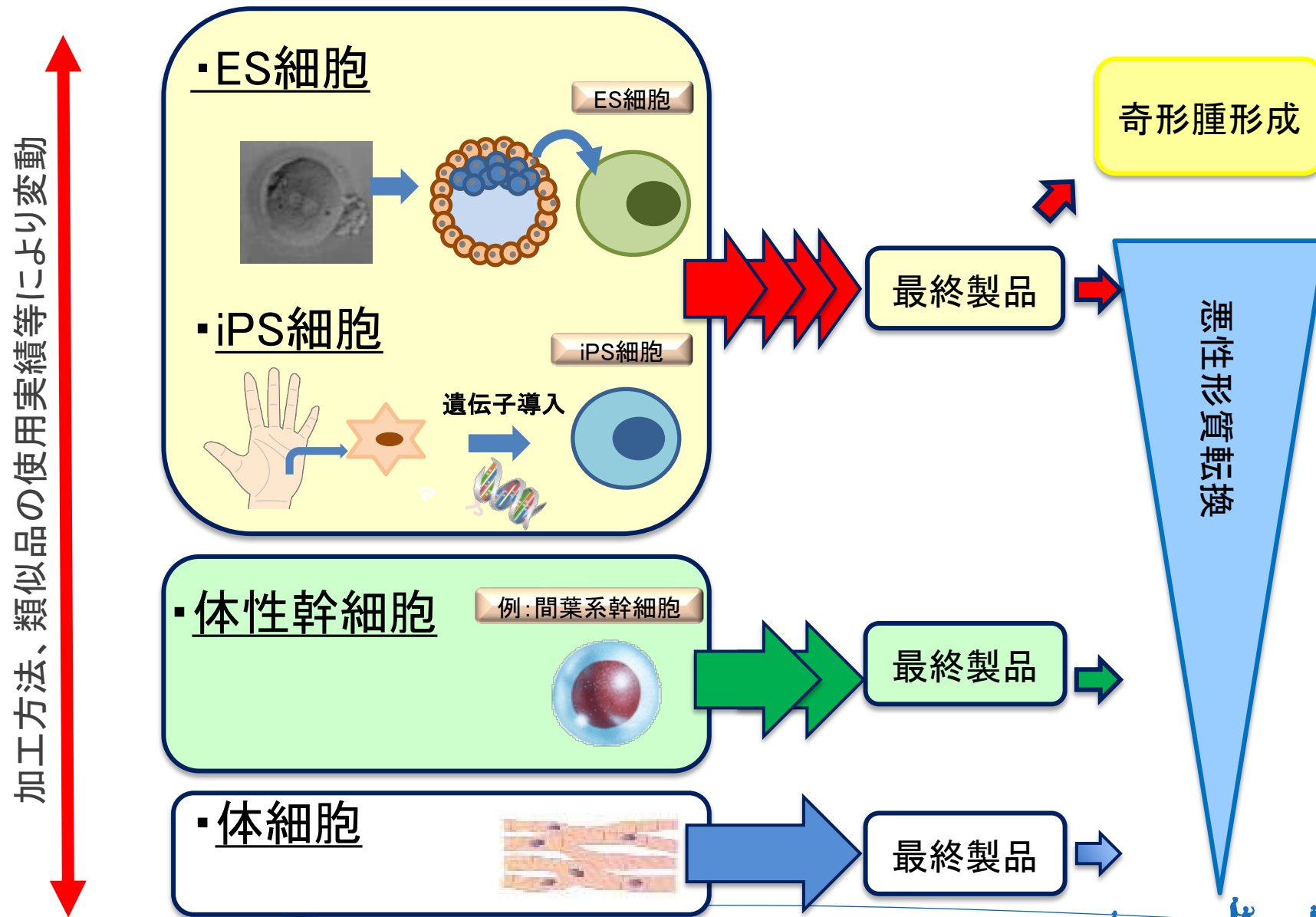
・ヒトと動物における薬理学的反応性、及び免疫学的反応の違い

・医薬品のような曝露評価が困難

→ハザードの特定



# ヒト細胞加工製品の造腫瘍性の懸念





# 遺伝子治療用製品の非臨床安全性試験

- 一般毒性試験
- 遺伝子組込み評価
- 腫瘍形成及びがん化の可能性の評価
- 生殖発生毒性評価
- 免疫毒性評価
- 非増殖性ベクターにおける増殖性ウイルスの出現の可能性の評価

・ヒトと動物における感染性及び導入効率の違い

・無毒性量や用量制限毒性の把握等のリスク評価が可能

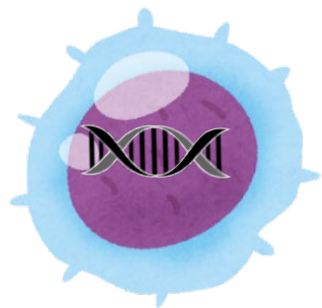
・ヒトにおけるワーストケースを想定した動物試験の実施を考慮することが必要

→ハザードの特定&リスク評価



# 遺伝子組込み評価

- 挿入変異による細胞のがん化
- ベクターDNA の生殖細胞への組込みによる次世代への移行



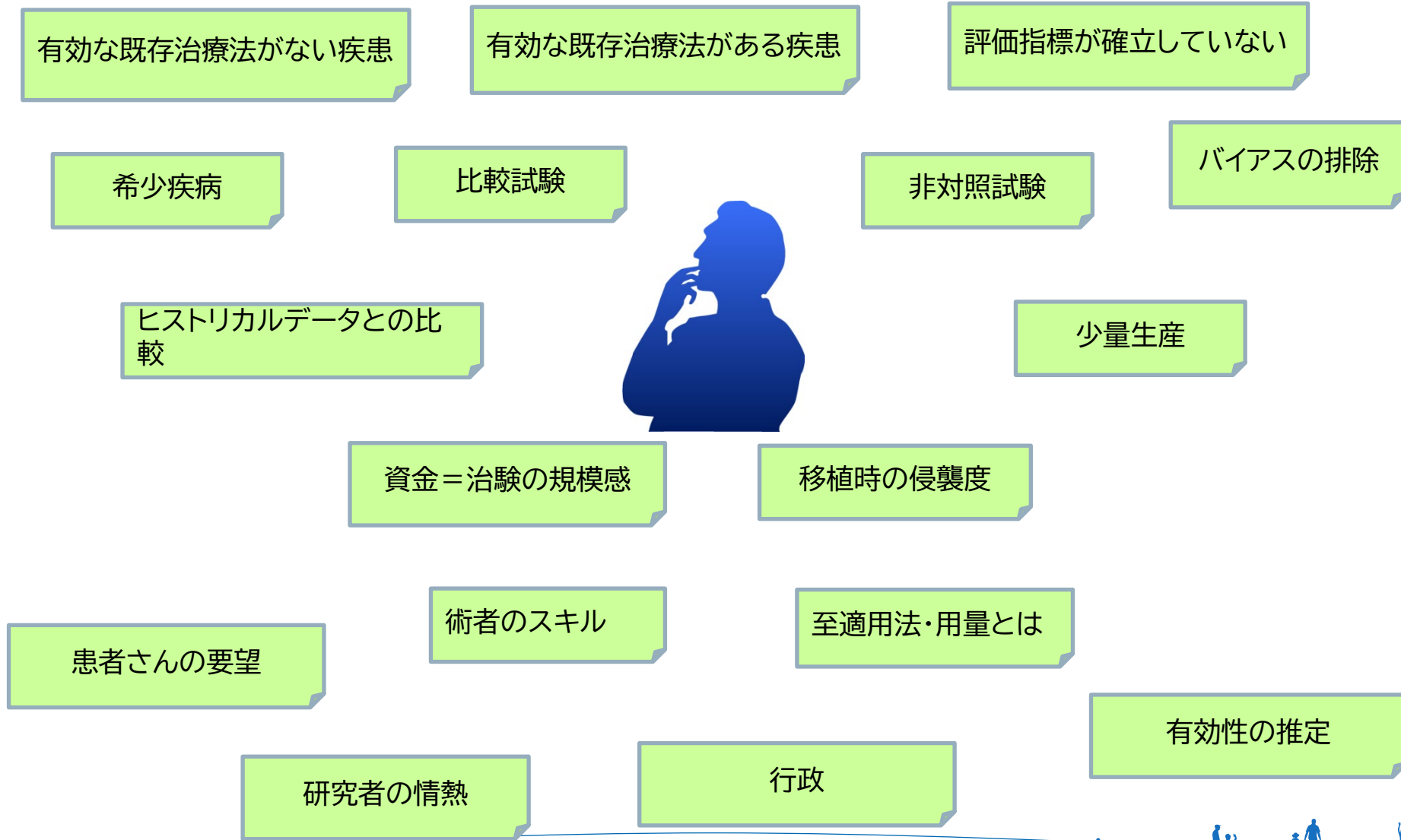
- ・ 細胞あたりのウイルスコピー数
- ・ 挿入部位に関する情報
- ・ ベクターの生殖器への分布(in vivo)
- ・ ベクターの特性、投与経路 など



# 臨床



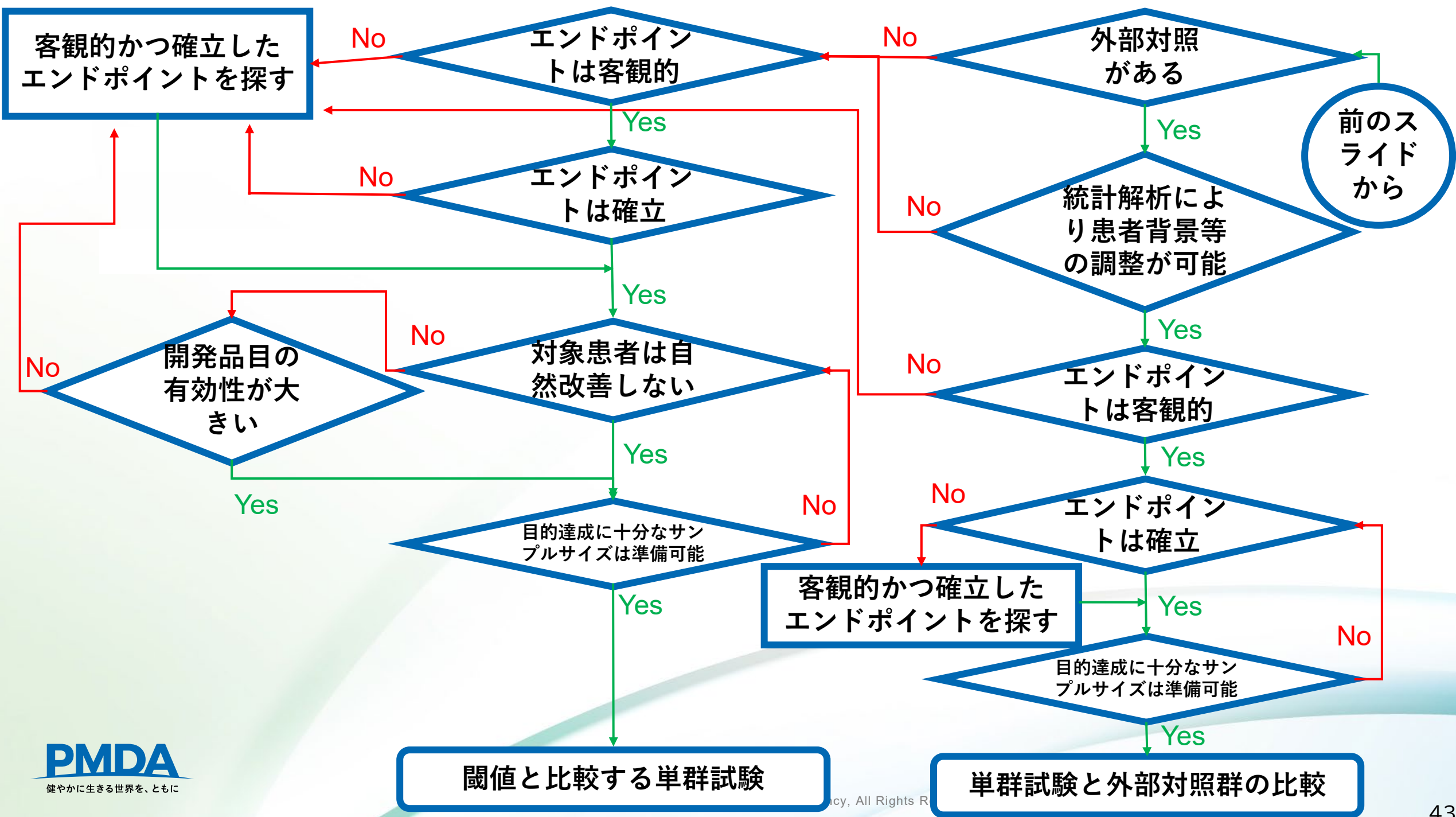
# 再生医療等製品における臨床の課題と論点



# 再生領域において早期臨床試験のデザインを決定する主要要素

- ランダム化した対照群が設定できるか
- 外部対照群となり得るデータの存在
- エンドポイントの客観性
- エンドポイントの臨床評価での使用が確立しているか
- 対象疾患の患者数
- 開発製品の有効性の大きさ
- 対象疾患の自然経過の情報





# 本日の内容

1. 再生医療等製品の規制
2. 早期の実用化に向けたPMDAのサポート
3. 再生医療等製品開発の留意事項
4. まとめ



# まとめ(Take Home Message)

PMDAは開発製品の早期実用化を加速するため、開発段階に応じた各種相談を通じて、開発者へのサポートを実施。

- ✓ 生きた細胞等を人に投与する再生医療等製品には、品質管理方法で医薬品や医療機器とは異なる感染症等の管理が必要。
- ✓ 再生医療等製品の開発では、毒性、造腫瘍性、遺伝子組込み等の非臨床安全性評価を行い、臨床試験での安全性を担保することが重要。
- ✓ 希少疾病を対象とした開発が多い再生医療等製品の開発では、臨床試験は、少ない患者数でいかに有効性・安全性を示せるかが論点となっている。
- ✓ 遺伝子組換え生物を用いる場合は、カルタヘナ法対応もお忘れなく。

開発初期からPMDAにご相談ください！



独立行政法人 医薬品医療機器総合機構  
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

