

1 先駆け審査制度/再生医療等製品の審査について

くめ あきひろ
久米 晃啓

自治医科大学 臨床研究支援センター 教授

薬事法が改正されて「医薬品医療機器等法（薬機法）」となり2年が経過した。本改正の大意は、医学医療技術の進歩に合わせ、医薬品・医療機器に加え第3の医療製品カテゴリーとして「再生医療等製品」を新設し、その特性を踏まえて「条件及び期限付承認制度」を導入したことである。この改正により、国を挙げて再生医療等製品の開発を推進する姿勢が明らかとなった。これを受けて、これまでどちらかと言えば欧米の後追いだった製品開発をまず日本で行ない、その実績をもって欧米での承認申請の追い風にしようという動きも出ている。裏を返せば、我が国における再生医療等製品の承認審査は海図のない海域に乗り出したということであり、安全性と効果の判断が諸外国の注視と（特に欧米の規制当局との比較の上で）批判を受けることを覚悟しなければならない。

これまで承認を受けた再生医療等製品はいずれも組織の修復を目的としていた（1品目は抗がん治療において補助的に用いられる）。これに対し、現在開発が進んでいる再生医療等製品の多くは悪性腫瘍を直接の標的とし、従来のがん治療三本柱（外科手術・化学療法・放射線治療）とは異なる、それぞれ新規の作用機序を有する。その意味でも、開発者と規制当局者は同じ船に乗って海図のない海を進む開拓者であり、航

海の成功のためには緊密な対話が欠かせない。その対話によって海図を整備し、新たな製品開発につなげていくこともまた重要なことである。

この航海をさらにスピードアップするために始まったのが「先駆け審査制度」である。これは、「日本発の医療製品を世界に先駆けて」実用化するための支援制度であり、我が国で最初に有効性が示されたものを、スムーズに検証し製品化するための水先案内人（所謂コンシェルジュ）がつく。一方で、開発者に対し時間的要求度が高くなることは、申請時に十分考慮しなければならない。製品開発一般について言えることであるが、この点についての再生医療等製品開発者の理解も、同じく先駆け審査制度の適用を受ける医薬品・医療機器分野の開発者とは若干のズレがあるように思われる。医薬品医療機器総合機構にとって、製品開発におけるアカデミアやベンチャーの自立を促し、イノベーションにつなげていくことは、重要なミッションの一つととらえ、とりわけ再生医療等製品についての薬事戦略相談に力を入れている。是非、その活用を勧めたい。