

令和7年度第2回 広島大学トランスレーショナル リサーチセミナー

参加費
無料

テーマ

再生医療等製品の有効性をどう評価すべきか？

概要

2014年11月に医薬品医療機器等法(改正薬事法)が施行、再生医療等製品を対象として条件及び期限付製造販売承認制度(いわゆる早期承認制度)が導入された。これは患者にとって画期的治療技術へのアクセスのハードルを下げるための規制緩和として期待され、更に遺伝子治療・細胞治療(法的区分においては再生医療等製品)の開発を手掛けるスタートアップは、これまで小規模な臨床試験だけで早くから販売に到達可能となることを期待して来た。

その後9年が経過し複数の製品が早期承認されたものの、その売上高は限定的であり、各社の収益に貢献しているとは言いがたい。結局のところ、①有効性が「推定されている(確定されていない)」に留まっている再生医療等製品について、医療現場が積極的に使用する動機になりにくい、②早期承認レベルのデータで、特に欧米で承認を受けることは概ね不可能である、などの理由が想定される。そのため、最近では製薬企業を中心に、「一定規模の比較試験で明確な有効性を証明し、医療現場で使ってもらふ素地を固めることが、結局は一番近道ではないか」という主張も聞かれるようになって来た。

以上のように、現在早期承認制度については、議論を残したまま過渡期に入っている。

一方で一定規模の比較試験を組むことに困難が伴う場合、つまり自家細胞の加工を要する製品や、遺伝性疾患などの極希少疾患を対象とする製品の場合、早期承認制度は依然として重要な制度である。これらはまさに遺伝子治療・再生医療にあてはまる場合が多いが、ではそのような場合にはどのようなデータを以て「有効性を推定」することが可能になるだろうか？

本講演では、我が国における以上の経緯を整理した上で、2017年に米国FDAで制定されたRMAT指定制度、そしてそのドラフトガイドラインの記載内容と我が国での実例との比較をすることにより、早期承認制度のあるべき姿について議論したい。

講師

九州大学大学院薬学研究院 革新的バイオ医薬創成学 教授
米満 吉和 先生

日時

令和7年
7月10日(木)
16:00-17:00

会場

広島大学霞キャンパス
(広島市南区霞1-2-3)
霞図書館 1F セミナー室
(会場での参加 または
Zoom!によるWeb参加が可能です)

【参加申込】 下記のリンクまたはQRコードからお申し込みください

<https://forms.office.com/r/27QrdqhZ2g>

【申込締切】 令和7年7月9日(水)17:00



主催:広島大学トランスレーショナルリサーチセンター
事務局:広島大学 医療政策室 医療政策部 医療政策・医学系研究推進グループ
TEL:082-257-2017(内線6940)
MAIL: trc@office.hiroshima-u.ac.jp



広島大学