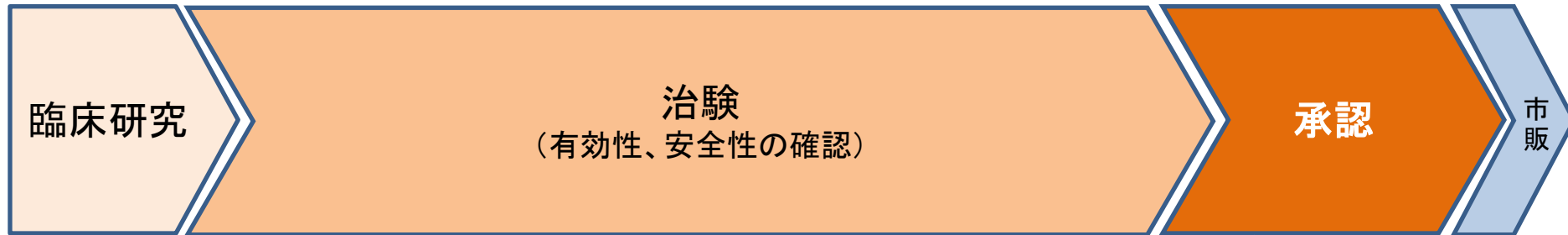


# (参考①) 再生医療等製品の条件及び期限付き承認制度

<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>

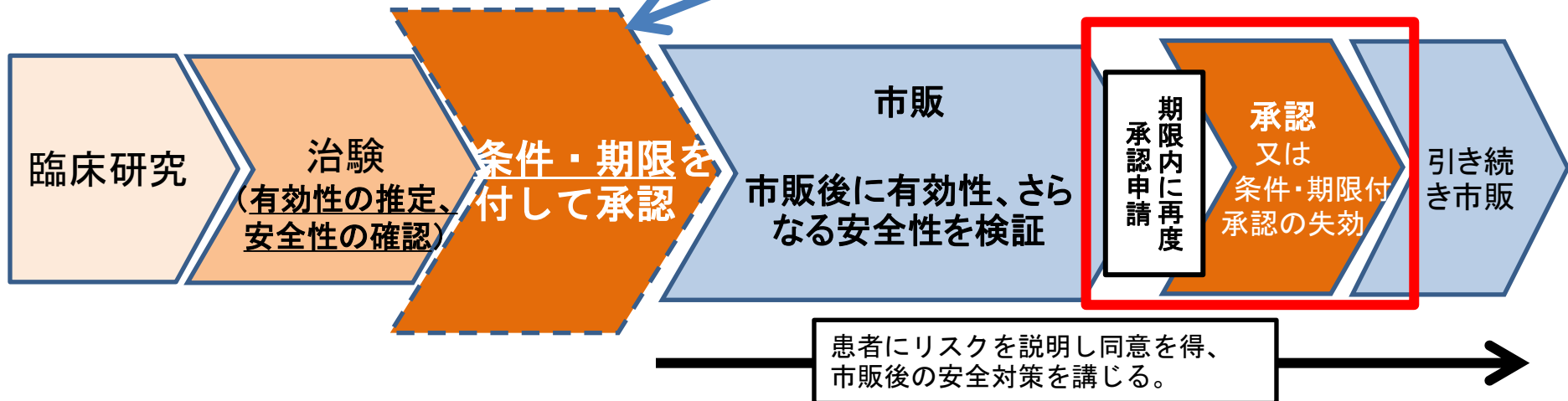
人の細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。

## 【従来の承認までの道筋】



**※患者のアクセスをより早く!**

## 【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。

## (参考②) 条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品一覧

	ハートシート (テルモ株式会社)	ステミラック注 (ニプロ株式会社)	コラテジェン筋注用4mg (アンジェス株式会社)	デリタクト注 (第一三共株式会社)
製品	ヒト(自己)骨格筋由来細胞シート	ヒト(自己)骨髄由来間葉系幹細胞	ヒト肝細胞増殖因子(HGF)を発現するプラスミドDNA	改変ヘルペスウイルス
適応症	下記の基準のすべてを満たす、薬物治療や侵襲的治療を含む標準治療で効果不十分な虚血性心疾患による重症心不全の治療 <対象とする心不全の状態> ・NYHA心機能分類がⅢ又はⅣ度 ・安静時における左室駆出率が35%以下	脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善。ただし、外傷性脊髄損傷で、ASIA機能障害尺度がA、B又はCの患者に限る。	標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症(閉塞性動脈硬化症及びパーヴァージャー病)における潰瘍の改善	悪性神経膠腫
承認日	2015年9月18日 (承認期限5年+3年延長)	2018年12月28日 (承認期限7年)	2019年3月26日 (承認期限5年)	2021年6月11日 (承認期限7年)
承認時評価資料	・国内臨床試験：単群(7例)、多施設(3施設)	・国内臨床試験：単群(13例)、単施設	・二重盲検比較試験(ASO第Ⅲ相試験) ・一般臨床試験(TAO一般臨床試験) ・臨床研究(先進医療B臨床研究)	・国内臨床試験：単群(19例)、単施設
市販後承認条件評価	・本品60例 ・外部対照120例 ・主要評価項目：生命予後(心臓疾患関連死)	<u>コホート①</u> AIS A、20~70歳の頸髄損傷患者 ・本品27症例 ・外部対照群54症例 ・主要評価項目：AIS2段階以上の改善(受傷後6~8週から180日)  <u>コホート②</u> AIS B及びC、20~70歳の頸髄損傷患者 ・本品63症例 ・外部対照125症例 ・主要評価項目：AIS1段階以上の改善(受傷後6~8週から180日)	・本品120例 ・外部対照80例 ・主要評価項目：本品初回投与後12週時点での評価対象潰瘍の完全閉鎖率	<u>①使用成績比較調査</u> 本品投与全例と対照群*において、以下のそれぞれについてOSを主要評価項目として比較検定を行う ・初発(残存)膠芽腫(目標150例) ・再発膠芽腫(目標100例) ・悪性神経膠腫(目標60~100例) *対照群：本品納入施設において、本品初回投与日の2年6カ月前から2年前の6カ月の間に悪性神経膠腫と診断された全ての患者。10因子によるマッチングを行う。  <u>②製造販売後臨床試験</u> 下位に病変を要する悪性神経膠腫患者を対象にOS及び安全性を評価する。対照群は、使用成績比較調査の対照群のうち下位に病変を有する患者とする。