

浦郡再生医療産業化サミット宣言

難病や治療法のない疾患に苦しむ患者を救うため、私たち再生医療の実用化・産業化を目指すものは、その資するところを正しく理解し、自らもしくは大学等の公的研究機関により探索研究された再生医療を、安全、有効かつ迅速に国民に届けることを第一とする。

上記内容を実現するため、YOKOHAMA 宣言（2012年6月13日 日本再生医療学会声明）を尊重し、新たに制定された関連法制度を有効に運用すべく、以下の内容について提言するものである。

◆再生医療等製品の特性をふまえた開発を実施する。

再生医療は従来の治療と異なる点を多く有する。特に以下の点を十分に踏まえて、今後開発に取り組むものとする。

- 非臨床試験の実施に際し、前例主義ではなくリスクベースドアプローチとならざるを得ない。その意味するところを熟知するとともに、そこから派生する安全性確保の方策を実現するよう、関係者の共通の理解を得るべきである。
- 安全性試験では Good Laboratory Practice (GLP) 試験を基本とするが、試験デザインならびに結果の解釈に定まった見解がないことが GLP 試験の実施を難しくしている。早急に、試験デザインならびに結果の解釈を標準化すべきである。
- 製造については、まずは原則となる哲学を構築し、関係者の共通の理解を求めべきである。特に、医薬品製造では定義しにくい製造行為の「内なる乱れ」を合理的に分析し、生物であるがゆえの不確定要素との区別ができる下地を作るべきである。
- 製造環境の適切な設定には、実際に移植が行われる環境（手術室等）を鑑みた対応が望ましい。再生医療は医薬品・医療機器としての一面を有するが、一方で医療行為の一環と見なすべきとの考えによるものである。
- ロットを形成しない再生医療等製品は、小規模生産であり、生産計画が複雑かつ個別の医療機関に影響されるという性格のものである。現時点での規制内容は、必ずしもこれに準じているとはいえないため、早期にその解決策を求めべきである。
- 再生医療を特殊なものとしないうるためにも、（移植医療の現場など）他の医療実態と比較すべきである。再生医療関係者が常識としてとらえていた内容の精度を評価することにもつながる。
- 医薬品・医療機器と比較して事業の予知性が低い。投資判断を含め、これら予見性を高める方策が望まれる。

- 現状の規制の解釈では、「何をしてはいけないか」、もしくは「何をしなくてはならないか」は容易に理解できるが、「何ができるか」については見解が分かれる。再生医療が新しい領域であるため「何ができるか」について共通かつ具体的な提示をするべきである。

◆実施する再生医療の安全性を適切かつ合理的に確保する。

再生医療ならびに再生医療等製品の安全性を十分に確保するとともに、これを迅速に国民に届けるべく、以下の点を踏まえた開発を執り行う。

- 原則、ヒトの体細胞または体性幹細胞は培養系で腫瘍化することはないとされている。このような共通の理解を広めると共に、今後、必要な試験群についてガイドライン等を定めていく必要がある。
- 動物を用いた GLP 等の信頼性保証システムによる各種非臨床試験と、医師の管理下に実施された臨床経験の意義を十分に比較検討し、後者による評価の妥当性を認めるべきである。特に実医療の特徴から見て、安全性については臨床研究結果は十分に信頼性に足るものとする。
- 製造作業における無菌操作について、参照できる科学的根拠を（実験的に）確立すべきである。さらに、これらにおけるレギュラトリーサイエンスの確立が必要であり、適切な合意形成を行っておくべきである。加えて、許容しなければならないリスクについて認識（理解の共有化）したうえで、いかに対応すべきかをまとめる必要がある。

◆実施する再生医療の有効性を適切かつ合理的に確保する。

再生医療ならびに再生医療等製品の有効性を適切に確保するとともに、その評価方法について、製品（加工物）提供者のみでなく医療機関においても、以下の点を踏まえた活動を執り行うべきである。さらに、条件及び期限付承認等、新制度を積極的に活用し、再生医療の適切な有効性確保に努めるべきである。

- Randomized Controlled Trial 等の比較試験について、その実施妥当性を再検討したうえで、（新制度下で）必ずしもこれが必要でないことの合意を取り付けるべきである。さらに、対照群の設置に対して、その妥当性根拠となる信頼性の高いレジストリー形成が必要である。
- 新規医療の有効性評価方法について、いかに標準化（妥当性の検証）すべきかを定めておく必要がある。特に長期フォローアップ結果が有効性の根拠となり得る場合、どのように対応すべきか検討が必要である。

- 有効性評価の際、診断、移植技術、リハビリテーションなど医師の技量に影響を受ける内容についていかに考慮すべきかを定める必要がある。

◆ヒト組織産業利用を適切に遂行する。

再生医療産業のみでなく、創薬等についてもヒト組織が活用されている。今後、産業に資するヒト組織の確保について、以下の方向で提案していく。

- 実施内容の性格上、国の関与が不可欠である。産業界、学会の積極的関与を促すと共に、国主導で推進できるような仕組みを構築すべきである。
- 無償提供の原則を踏襲しつつ、「同意の撤回」への対応をふまえ、提供者のインセンティブのあり方について、網羅的な議論を始めるべきである。

◆再生医療産業化を推進すべく、関係者のさらなる連携が必要である。

再生医療が15年後に1兆円に成長するためには、アカデミア、企業ならびに行政がどのように活動すべきか、どのようなインフラストラクチャーが必要かなど適切なロードマップを作成する必要がある。そのため、各関係者は以下の活動を行うこととする。

- 再生医療新法の有効活用を行うためには、早い段階からの産学連携が重要である。生産工程の共同開発をともに行うと同時に、対象となる組織入手の課題を解決する必要がある。
- 臨床研究段階から出口戦略を重要視した開発を進めるべきである。そのための、行政も含めた支援体制をいかに構築するかが課題である。
- 「1兆円産業になる」のではなく「1兆円産業にするには」であることを前提に考えるべきであり、誰が何をどのように進めるのかの合意形成の場を作るべきである。

2015年8月30日

蒲郡再生医療産業化推進委員会