

「再生医療等製品の条件及び期限付承認の取扱いについて」に関する御意見募集の結果について

令和7年10月3日

厚生労働省医薬局医療機器審査管理課

「再生医療等製品の条件及び期限付承認の取扱いについて」について、令和7年7月25日から令和7年8月25日まで、電子政府の総合窓口(e-Gov)を通じて御意見を募集したところ、5件の御意見をいただきました。

お寄せいただいた御意見の要旨とそれに対する考え方について、以下のとおり取りまとめましたので、公表いたします。皆様方の御協力に厚く御礼申し上げますとともに、今後とも厚生労働行政の推進に御協力いただきますよう、よろしくお願い申し上げます。

No.	案に対する御意見	御意見に対する厚生労働省の考え方
1	日本に居住している者が全て生物学的に日本人であるとは限らないことから、日本人データを重視しすぎることには、問題がある。	御意見として承りました。今後の審査の参考とさせていただきます。
2	通知案の2ページ24行目(条件及び期限付承認を意図した1の1承認申請)及び4ページ4行目(1の2承認申請)の「リスク分析に関する資料の一部として、製造販売後調査等基本計画書(案)を添付すること」について、申請添付資料の内容を明確にするものであり、異論はない。	申請留意事項通知「8. リスク分析に関する資料」(2) 製造販売後使用成績調査計画に関する資料及び(3) 実施予定の臨床試験計画に関する資料において、それぞれ製造販売後使用成績調査又は臨床試験の計画書案を添付することとしておりますことから、現行の記載にあっても誤解を招く恐れは極めて低いと考えます。

	<p>しかしながら、「再生医療等製品の製造販売承認申請に際し留意すべき事項について」（平成 26 年 8 月 12 日付、薬食機参発 0812 第 5 号）（以下、「申請留意事項通知」）には記載がないため、申請留意事項通知のみを参照してリスク分析に関する資料の作成を進めると、作成漏れが生じるおそれがある。意見募集に係る通知の発出に併せて、申請留意事項通知の一部を改正する記載整備を希望する。</p>	<p>当該通知の記載整備については、今後の事例を踏まえつつ判断させていただきます。</p>
3	<p>3 ページ、15、16 行目：  「製造販売後承認条件評価の対象となる症例の登録が終了した後も、1 の 2 承認申請に対する処分がなされるまでの期間中は、本品を使用する症例全例を対象として使用成績調査等を行い、・・・」下線部について、条件及び期限付承認時に付された”製造販売後調査等により本品を使用する症例全例を対象として製造販売後承認条件評価を行うこと”に従って実施した製造販売後調査等を指すのか、それとは別の使用成績調査等を指しているのか。前者の場合は製造販売後承認条件評価計画の継続となるが、後者の場合は、新たな使用成績調査等の計画及び実施の指示となるので、いずれの意図か明確にすべきである。</p> <p>5 ページ、6、7 行目：</p>	<p>3 ページ、15、16 行目について  製造販売後承認条件評価の継続、及び新たな使用成績調査等の実施を含め、いずれの方法であっても差し支えございません。製造販売業者ごとに実現可能な方法を検討し、PMDA に予め相談されることが適切と考えますため、以下のように記載を修正いたしました。</p> <p>○修正内容：「製造販売後承認条件評価の対象となる症例の登録が終了した後も、1 の 2 承認申請に対する処分がなされるまでの期間中は、本品を使用する症例全例を対象として使用成績調査等を行い、承認申請後に提出できるよう準備すること。<u>この使用成績調査等の計画についても 1 の 1 申請の際に PMDA に相談するとともに、データのカットオフについては、1 の 2 申請の事前に PMDA に相談すること。</u>」</p> <p>5 ページ、6、7 行目について</p>

「法第 23 条の 25 第 1 項の承認がなされた後は、本品について再審査に向けた使用成績調査等を行う必要がある。」とあるが、現在の記載では全ての製剤で調査等が必要になるという理解で良いか。本来、1 の 2 承認審査の中で必要時には使用成績調査等を実施すべきと考えており、品目毎に状況は変わってくる。全ての製剤で必要とする場合、調査に協力いただく調査実施施設や企業負担が大きくなり、再生医療等製品の開発停滞につながりかねないと思う。

7 ページ、11～15 行目：

原文

製造所においては GCTP 基準を踏まえ、製品の品質の照査等の取組を通じ、製品ライフサイクルにわたって品質リスクマネジメントの活用を考慮した管理を行った上で、条件及び期限付承認後に得られる追加の品質特性の知見、蓄積される製造経験等に基づき、重要品質特性となり得る品質管理項目及び工程パラメータ等の設定を含めた品質管理戦略をどのように継続的に改善していくかが重要となる。

修正案

使用成績調査の要否は個別製品ごとの申請内容等に応じて判断がなされますが、条件及び期限付承認された再生医療等製品は基本的に使用成績調査等による評価が必要な場合が多いと考えます。

本通知では条件及び期限付承認に関連して必要となり得る手続等について示すことを目的としているため、通知案のとおり記載とさせていただきます。

7 ページ、11～15 行目について

ご意見を踏まえて、以下のように修正いたしました。

○修正内容：「GCTP 基準を踏まえ、製造所において製品ライフサイクルにわたって品質リスクマネジメントの活用を考慮した管理を行った上で、製品の品質の照査等の取組を通じ蓄積される製造経験等から得られる知見に加え、その他条件及び期限付承認後に得られる追加の品質特性の知見にも照らし合わせ、重要品質特性となり得る品質管理項目及び工程パラメータ等の設定を含めた品質管理戦略を継続的に改善していくことが重要となる。」

GCTP 基準を踏まえ、製品ライフサイクルにわたって品質リスクマネジメントの活用を考慮した管理を行った上で、製品の品質の照査等の取組を通じ蓄積される製造経験等から得られる知見に加え、条件及び期限付承認後に得られる追加の品質特性の知見にも照らし合わせ、重要品質特性となり得る品質管理項目及び工程パラメータ等の設定を含めた品質管理戦略を継続的に改善していくことが重要となる。

理由：

追加の特性解析の知見の収集は、製造所の GCTP の基準において実施されるものではなく、条件及び期限付承認後に実施される特定の CMC 開発活動の一環と考えられる。実際、製造所において、商用生産と同時並行で追加の特性解析を行うことは GCTP 省令の運用上は不可能であることから、照査等の活動と追加の特性解析が製造所で実施されるように読める記載は、誤解となりかねない。

なお、追加の特性解析の実施は、商用生産段階で実施する特定の CMC 開発活動であり、ICH Q12 ガイドラインでは承認後の CMC に関するコミットメントに相当する対応と解される。これを GCTP 基準におけるベリフィケーションの活動の一部として原文では記載さ

	<p>れたと推察するが、実際には製造管理及び品質管理の一部として実施されるものでないことから、ICH Q12 ガイドラインが整備された現状を鑑みてベリフィケーションの活動と切り分けた記載とすることが、規制上のハーモナイズをより推進する観点からも適切と考える。この点について最新の規制状況を踏まえた再生医療等製品での運用の在り方を検討いただきたい。</p>	
4	<p>・2頁2行目から21行目「1. (1) 申請前相談」の記載について</p> <p>再生医療等製品には、医薬品でいうところの「条件付き承認該当性相談」のような専用相談区分は設けられておらず、本通知案では「再生医療等製品申請前相談（以下「申請前相談」）」で「条件および期限付き承認制度の適用対象となるかについての助言」が得られるとされています。しかし、すべての再生医療等製品が「均質でないこと」（薬機法第23条の26第1項第1号）を満たすわけではないことから、この要件への該当性が判断されるかが通知本文では不明確です。</p> <p>また、本制度による「1の1承認申請」を念頭に置く場合には、「再生医療等製品承認条件評価計画（案）」</p>	<p>当該項では、申請前相談において条件及び期限付承認制度の適用対象となるかについて助言を行うこととしており、ご指摘の「均質でないこと」等の薬機法で定める要件への該当性も含め総合的に判断した上で助言をすることになります。</p> <p>また、これは薬機法第23条の26第1項第1号のみならず第2号及び第3号の要件についても同様であり、前後の文脈も踏まえると、当該文章であえて言及することは不要と判断いたします。</p>

	<p>を作成し、申請前相談を行うことが望ましいとされています。その観点からも、「均質でないこと」の該当性については、申請前相談を申し込む前に、PMDA の事前面談等を活用して確認することが有用であると考えます。</p> <p>本件への提案として、本項の最後に「なお、本制度の適用は「申請に係る再生医療等製品が均質でないこと」（法律第 23 条の 26 第一項一号）を前提とするため、必要な場合には、再生医療等製品申請前相談の申し込み前に事前面談等を活用し、均質でないことの該当性についてあらかじめ確認することが望ましい。」を追加することを提案いたします。</p>	
5	<p>・ 6 ページ 1 行目から 3 行目</p> <p>「4. 希少疾病等に用いる再生医療等製品について海外においてのみ臨床試験が実施されている場合等における本制度の活用及びその際の日本人データに係る基本的考え方について」の項目は再生医療等製品の条件及び期限付承認に限定した記載になっているが、本来は医薬品同様、希少疾病等に対する再生医療等製品について海外においてのみ検証的な臨床試験が先行している場合にも拡大することが妥当と考えます。</p>	<p>希少疾病等に用いる再生医療等製品において、薬機法第 23 条の 25 第 1 項に基づく承認に際して同様の考え方が適用できる可能性はあると考えます。現時点では個別の製品ごとに検討しているところであり、今後集積される事例を踏まえて通知の発出等について検討して参ります。</p>

<p>「4. 希少疾病等に用いる再生医療等製品について海外においてのみ臨床試験が実施されている場合等における本制度の活用及びその際の日本人データに係る基本的考え方について」は、再生医療等製品の条件及び期限付承認のみでなく、希少疾病等に用いる再生医療等製品の承認後における日本人データ提供の承認条件に関する別枠の通知として作成いただくようご提案いたします。</p>	
---	--