

薬食発 0812 第 30 号
平成 26 年 8 月 12 日

各都道府県知事 殿

厚生労働省医薬食品局長
(公 印 省 略)

再生医療等製品の製造販売承認申請について

再生医療等製品の製造販売承認申請については、医薬品又は医療機器として、「医薬品の承認申請について」（平成 17 年 3 月 31 日付け薬食発第 0331015 号厚生労働省医薬食品局長通知）又は「医療機器の製造販売承認申請について」（平成 17 年 2 月 16 日付け薬食発第 0216002 号厚生労働省医薬食品局長通知）により取り扱ってきたところですが、「薬事法等の一部を改正する法律」（平成 25 年法律第 84 号）による改正後の「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」（昭和 35 年法律第 145 号。以下「法」という。）の施行に伴い、今般、下記のとおり、再生医療等製品の製造販売承認申請に関する取扱いを定めましたので、御了知の上、その適正な運用に努められるようお願いいたします。

この通知は、平成 26 年 11 月 25 日から適用することとします。なお、本通知日以降、平成 26 年 11 月 24 日までの間に再生医療等製品の承認申請を行う場合は、本通知を参考にして差し支えないことを申し添えます。

記

第 1 総則

- 再生医療等製品の製造販売の承認については、法第 23 条の 25 の規定に基づき、これを製造販売しようとする者から申請があった場合に、申請に係る再生医療等製品の構造、構成細胞、導入遺伝子、用法、用量、使用方法、効能、効果、性能、不具合等に関する所要の審査を行った上で、厚生労働大臣が品目ごとにその承認を与えることとされており、承認申請にあたっては、その時点における医学、薬学、工学等の学問水準に基づき、倫理性、科学性及び信頼性の確保された資料により、申請に係る再生医療等製品の品質、有効性及び安全性を立証又は推定するための十分な根拠が示される必要がある。



2. この通知において用いる用語は以下のとおりとする。

- (1)「施行令」とは、「薬事法等の一部を改正する法律の施行に伴う関係政令の整備等及び経過措置に関する政令」(平成 26 年政令第 269 号)の規定による改正後の「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律施行令」(昭和 36 年政令第 11 号)を指すものである。
- (2)「施行規則」とは、「薬事法等の一部を改正する法律及び薬事法等の一部を改正する法律の施行に伴う関係政令の整備等及び経過措置に関する政令の施行に伴う関係省令の整備等に関する省令」(平成 26 年厚生労働省令第 87 号)の規定による改正後の「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律施行規則」(昭和 36 年厚生省令第 1 号)を指すものである。
- (3)「再生医療等製品」とは、法第 2 条第 9 項に基づき、施行令第 1 条の 2 (別表第 2)に掲げるものをいう。再生医療等製品は、新再生医療等製品とその他再生医療等製品から成る。
- (4)「新再生医療等製品」とは、法第 23 条の 29 第 1 項第 1 号に規定する新再生医療等製品をいう。
- (5)「その他再生医療等製品」とは、再審査期間を終了した再生医療等製品をいう。
- (6)「新用法・使用方法再生医療等製品」とは、既承認再生医療等製品と構造、構成細胞及び導入遺伝子は同一であるが、用法(皮下注射、静脈内投与等の投与経路等)又は使用方法(移植部位、移植手法等)が異なる新再生医療等製品をいう。
- (7)「新効能再生医療等製品」とは、既承認再生医療等製品と構造、構成細胞及び導入遺伝子は同一であるが、効能、効果又は性能が異なる新再生医療等製品をいう。
- (8)「新構造再生医療等製品」とは、既承認再生医療等製品と構成細胞、導入遺伝子及び効能、効果又は性能は同一であるが、副成分(スキャフォールド等の非細胞・非遺伝子成分)の変更により構造(製品としての物理的特徴)が異なる新再生医療等製品をいう。
- (9)「新用量再生医療等製品」とは、既承認再生医療等製品と構造、構成細胞、導入遺伝子、効能、効果又は性能及び用法又は使用法は同一であるが、用量が異なる新再生医療等製品をいう。
- (10)「規格追加に係る再生医療等製品」とは、既承認再生医療等製品と構造、構成細胞、導入遺伝子、用法、用量又は使用法及び効能、効果又は性能は同一であるが、包装単位の規格や含量が異なるその他再生医療等製品をいう。

第 2 製造販売承認申請書に添付すべき資料

1. 製造販売承認申請書に添付すべき資料を作成するための試験は、「再生医療等製品の安全性に関する非臨床試験の実施の基準に関する省令」(平成 26 年厚生労

働省令第 88 号。以下「GLP」という。)、 「再生医療等製品の臨床試験の実施の基準に関する省令」(平成 26 年厚生労働省令第 89 号。以下「GCP」という。)を遵守するとともに、十分な設備のある施設において、経験のある研究者により、その時点における医学、薬学、工学等の学問水準に基づき、適正に実施されたものでなければならない。また、それらの試験結果から作成される製造販売承認申請書に添付すべき資料については、施行規則第 137 条の 25 の規定に従い収集され、かつ、作成されたものでなければならない。

2. 製造販売承認申請書に添付すべき資料は、原則、邦文で記載されたものでなければならない。ただし、当該添付資料が英文の場合には、添付資料は原文のまま添付することで差し支えないが、原則、邦文で作成した概要(要約)を添付すること。
3. 製造販売承認申請書に添付すべき資料を作成するための試験の指針や取扱いは、必要に応じ別途定めるものとする。
4. 施行規則第 137 条の 23 第 1 項各号の内容は、概ね別表 1 の右欄に掲げる資料とする。
5. 製造販売承認申請書に添付すべき資料の範囲は、原則として別表 2 左欄の区分に従い、同表右欄に示す資料とする。この場合において分類区分を判定し難い場合には、資料要求数が多い区分によることとし、二以上の区分にまたがる場合には、各々の区分において必要とされる資料を添付する。ただし、資料作成のための試験が技術的に実施不可能な場合及び当該再生医療等製品の種類、使用方法等からみて実施する意義がないと考えられる場合は、6. に述べる資料概要におけるその説明をもって当該試験結果の添付を要しないこととする。
6. 製造販売承認申請には、添付資料に加えて、添付した資料の内容を的確かつ簡素にまとめ、また、効能、効果又は性能及び用法、用量又は使用方法、添付文書の案並びにそれらの設定理由に関する情報を盛り込んだ資料概要を提出するものとする。これらの資料概要のまとめ方は別途示すものとする。なお、資料概要は原則として邦文で記載されたものでなければならない。
7. 新再生医療等製品とその構造、構成細胞、導入遺伝子、用法、用量、使用方法、効能、効果又は性能が同一性を有すると認められる再生医療等製品を当該再審査期間中(法第 23 条の 26 に規定する条件及び期限付承認にあっては、同条第 6 項に規定する処分がされるまでの間を含む。)に申請する場合にあっては、当該新再生医療等製品と同等又はそれ以上の資料の添付を必要とする。
8. 法第 23 条の 25 第 9 項に基づく承認事項の一部変更承認申請の場合には、その事由に応じて添付すべき資料の一部について添付を要しないものことができる。
9. 既承認医薬品等の添加剤として使用前例のない添加物等を当該再生医療等製品の秤量可能な構成成分とする場合には、当該構成成分の品質、安全性等に関する資料を併せて提出することを必要とする。

10. 条件及び期限付承認を受け期限内に改めて行う新再生医療等製品の承認申請に添付すべき資料については、条件及び期限付承認の申請に添付した資料と同一の資料を重複して提出する必要はないが、各項目毎に条件及び期限付承認を受けた時点から変更がある場合には、当該変更に関する資料の提出を必要とする。

第3 その他

1. 申請された新再生医療等製品については、承認審査に併せ、指定再生医療等製品の別を検討するものであること。
2. 法第23条の26の規定により条件及び期限を付して承認を付与しようとする場合は、承認審査に併せ、薬事・食品衛生審議会の意見を聞いた上で、当該条件及び期限を定めるものであること。

別表 1

添付資料の項目及び資料概要との関係

| 左欄 | 右欄 |
|----------------------------------|--|
| 1 起原又は発見の経緯及び外国における使用状況等に関する資料 | ア 起原又は発見の経緯 に関する資料 イ 外国における使用状況 // ウ 類似する他の治療法との比較検討等 // |
| 2 製造方法並びに規格及び試験方法等に関する資料 | ア 製品の構造、構成細胞、導入遺伝子 // イ 使用する原料、材料又はこれらの原材料 // ウ 製造方法 // エ 規格及び試験方法 // |
| 3 安定性に関する資料 | 輸送、保存条件、有効期間の根拠 // |
| 4 効能、効果又は性能に関する資料 | 効力又は性能を裏付ける試験 // |
| 5 製品の体内動態に関する資料 | ア 生体内分布 // イ その他の体内動態 // |
| 6 非臨床安全性に関する資料 | ア 一般毒性 // イ その他の安全性 // |
| 7 臨床試験等の試験成績に関する資料 | 臨床試験等の試験成績 // |
| 8 リスク分析に関する資料 | ア リスク対策計画 // イ 製造販売後使用成績調査計画 // ウ 実施予定の臨床試験計画 // |
| 9 法第65条の3第1項に規定する添付文書等記載事項に関する資料 | ア 添付文書案 // イ 効能、効果又は性能、用法及び用量又は使用方法、使用上の注意（案）等及びその設定根拠 // |

注) コンビネーション製品の場合、製品に含まれる構成体によっては、その構成体の特性に応じて別途追加の資料が必要になる場合がある。

別表 2

申請時に必要な添付資料の項目

| 左欄 | 右欄 | | | | | | | | |
|--|----------|-----------|---|---|---------|---------|---|----------|---------|
| | 1 アイウ | 2 アイウエ | 3 | 4 | 5 アイ | 6 アイ | 7 | 8 アイウ | 9 アイ |
| (1の1) 新再生医療等製品の承認申請 | 〇〇〇 | 〇〇〇〇 | 〇 | 〇 | 〇△ | 〇〇 | 〇 | 〇〇△ | 〇〇 |
| (1の2) 条件及び期限付承認を受け期限内に改めて行う新再生医療等製品の承認申請 | 〇〇〇 | △△△△ | △ | △ | △△ | △△ | 〇 | 〇〇△ | 〇〇 |
| (2) 新用法・使用方法再生医療等製品の承認申請 | 〇〇〇 | ×△△△ | △ | 〇 | 〇△ | △△ | 〇 | 〇〇△ | 〇〇 |
| (3) 新効能再生医療等製品の承認申請 | 〇〇〇 | ×××× | × | 〇 | ×× | ×× | 〇 | 〇〇△ | 〇〇 |
| (4) 新構造再生医療等製品の承認申請 | 〇〇〇 | 〇〇〇〇 | 〇 | 〇 | 〇△ | 〇△ | △ | 〇〇△ | 〇〇 |
| (5) 新用量再生医療等製品の承認申請 | 〇〇〇 | ×××× | × | △ | △× | ×× | △ | 〇〇△ | 〇〇 |
| (6) 規格追加に係る再生医療等製品の承認審査 | 〇〇〇 | ×〇〇〇 | 〇 | △ | ×× | ×× | × | 〇〇△ | 〇〇 |
| (7) その他の再生医療等製品 | 〇〇〇 | 〇〇〇〇 | 〇 | △ | △△ | △△ | △ | △△△ | 〇〇 |

注) 右欄の記号及び番号は別表 1 に規定する資料の記号及び番号を示し、原則として ○は添付、×は添付の不要を、△は個々の再生医療等製品により判断されることを意味するものとする。また、コンビネーション製品の場合、製品に含まれる構成体によっては、その構成体の特性に応じて別途追加の資料が必要になる場合もある。