

再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目

ステージゲート①（非臨床安全性試験開始前時点）

1. ターゲット又はシーズそのものの評価等に関すること
(1) 実用化の検討に値する研究であるか。 ○モデル動物における結果等から、ヒトでの対象疾患に対する効果が、エビデンスに基づいて説明可能か（再現性のある結果が得られ、非臨床 POC が確立しているか）。想定する作用機序を説明できるデータが得られているか。 ○非臨床 POC の検討に用いた細胞加工物の細胞特性を検討し、期待する効果を担保する品質指標が明確になっているか。 ○対象疾患の想定、対象患者数、既存治療に対する本再生医療の位置づけ・優位性等の整理がなされているか。当該検討をもとに、具体的な実用化のイメージ（再生医療等製品の開発、医療技術の保険収載等）ができているか。 ○想定している実用化のイメージを実現するための道筋（臨床研究、治験のいずれから開始するか等）が明確になっているか。
(2) 非臨床安全性試験を開始するための準備が整っているか。 ○非臨床安全性試験に用いる細胞加工物が決まっているか（効果が期待できる細胞加工物の製造方法が確立しているか）。臨床に使用する細胞加工物と非臨床安全性試験に用いる細胞加工物が異なる場合、品質同等性（又は外挿性）を説明する方法を考えているか。 ○非臨床安全性試験に用いる細胞加工物の品質が適切に評価できているか（経験者の適切なサポートが得られているか）。 ○臨床での投与部位、投与方法（回数、間隔を含む）、投与量、使用するデバイス等を想定して、非臨床安全性試験のプロトコールが作成されているか。治験を実施予定の場合、非臨床安全性試験のプロトコールについて、PMDA と合意がなされているか。 ○信頼性を担保した非臨床安全性試験を実施する準備が整っているか。
2. 研究環境等に関すること
(1) 次のステージにかかる研究開発実施体制（外部機関の活用を含む）の目処はあるか。 ○臨床プロトコールを作成するにあたって、臨床研究又は治験経験者のサポートが得られる目処があるか。 ○ウイルスベクターによる遺伝子改変細胞を用いる場合、カルタヘナの対応について、開発スケジュールに応じて PMDA との協議を十分に行っているか。 ○臨床に用いる細胞加工物の製造の目処（委託先の選定等）がたっているか。臨床

<p>研究を実施予定で、研究者自らが製造する場合、「特定細胞加工物」の製造許可（届出）の準備が開始されているか。</p>
<p>(2) 知財に関し、知財担当者と導出に向けた適切な知財戦略や具体的な対応方策について検討を開始しているか。</p>

ステージゲート②（臨床第Ⅰ相開始前時点）

<p>1. ターゲット又はシーズそのものの評価等に関すること</p>
<p>(1) 臨床に移行するための準備が整っているか。</p> <ul style="list-style-type: none"> ○臨床に用いる細胞加工物について、必要な品質評価・品質管理（治験の場合、PMDA が求める評価・管理）が行われているか。 ○臨床に用いる細胞加工物について、必要な非臨床安全性評価（治験の場合、PMDA が求める評価）が行われ、臨床移行に際して懸念される重大な安全性上の問題がないことが確認されているか。 ○必要なデバイスの安全性評価（治験の場合、PMDA が求める評価）が行われているか。
<p>(2) 臨床を実施するための準備が開始されているか。</p> <ul style="list-style-type: none"> ○臨床研究又は治験経験者のサポートを受ける体制が構築されているか。 ○臨床計画に倫理上・安全性上の問題がないことを確認しているか。前臨床の検討から考慮すべき安全性上の懸念について、臨床プロトコールの中で適切な対処（救急治療体制の整備等を含む）が考えられているか。 ○治験を実施予定の場合、臨床プロトコールについて PMDA と協議しているか。
<p>(3) 次のステージの準備が開始されているか。</p> <ul style="list-style-type: none"> ○当初の実用化のイメージ（再生医療等製品の開発、医療技術の保険収載等）が適切に修正され、実用化への戦略が明確化されているか。 ○実用化戦略に応じた次のステップが検討されているか（企業との協力体制の構築、企業治験の実施等）。
<p>2. 研究環境等に関すること</p>
<p>(1) 臨床に用いる細胞加工物が適切に製造できるか。</p> <ul style="list-style-type: none"> ○製造の委託先が決定しているか。臨床研究を実施予定で、研究者自らが製造する場合、「特定細胞加工物」の製造許可（届出）の手続きが適切になされているか。
<p>(2) 法令等の手続きの対応がなされているか。</p> <ul style="list-style-type: none"> ○臨床研究を実施予定の場合、倫理審査委員会や認定再生医療等委員会等の必要な手続きは終了しているか、又は開始までに終了する目処はあるか。厚生労働大臣への再生医療等提供計画の準備が可能な体制が整っているか。 ○治験を実施予定の場合、治験計画届その他薬事上必要な対応はなされているか、又はその目処はあるか。

(3) 当初の知財戦略を適切に変更するとともに、導出に向け必要な知財確保にかかる具体的な対応がなされているか。