

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構

再生・細胞医療・遺伝子治療事業部 再生医療研究開発課委託

再生医療等製品のデータ利活用 推進に係る調査事業 成果報告書【公開版】

2025年3月26日

三菱UFJリサーチ&コンサルティング

世界が進むチカラになる。



目次

| | |
|------------------|----|
| 事業概要 | 3 |
| I. ユースケース検討会議運営 | 7 |
| II. ユースケース・ニーズ調査 | 10 |
| III. 小規模実証の支援 | 13 |
| IV. システム要求事項案の作成 | 16 |
| V. 調査結果のまとめ | 18 |



サマリ

本事業の目的

- アカデミアやベンチャー企業等が研究開発を行う再生医療等製品の提供において得られる臨床データと、製品生産時に得られる製造・品質データを紐づけ、相関を解析することが、再生医療等製品の製品製造過程における品質向上やコストダウン、また製品の作用メカニズム、病態の更なる理解への展開、治療成績の向上などに資することを示すユースケースを、小規模実証なども行いながら、探索し、特定する
- 実際にデータを紐づけ、相関解析を効果的に実施するための手段としてのシステム構築を検討し、システムへの要求事項についても調査検討を行う

今年度の振り返り

- 臨床データと、製造・品質データを紐づけ、相関解析等を行うことで、CQAの理解度をあげる等の成果への道筋を示した
- ユースケースとは何か、目指すべき成果について認識合わせを実施
 - 特に、整形外科領域での具体化が必要ではないか、という点が確認された

調査結果

今後の検討ポイント

- 製造プロセスにおけるデータ取得の実際に関して知見がある製造サイドの意見も確認するなど、具体化に向けて様々な観点から検討を続ける必要あり
 - 取扱データの重要性に鑑み、個人情報保護・ELSIに関する検討を並行して実施
 - 今後のシステムの拡張を視野に入れ、データの持ち方や間口の広げ方等についても議論

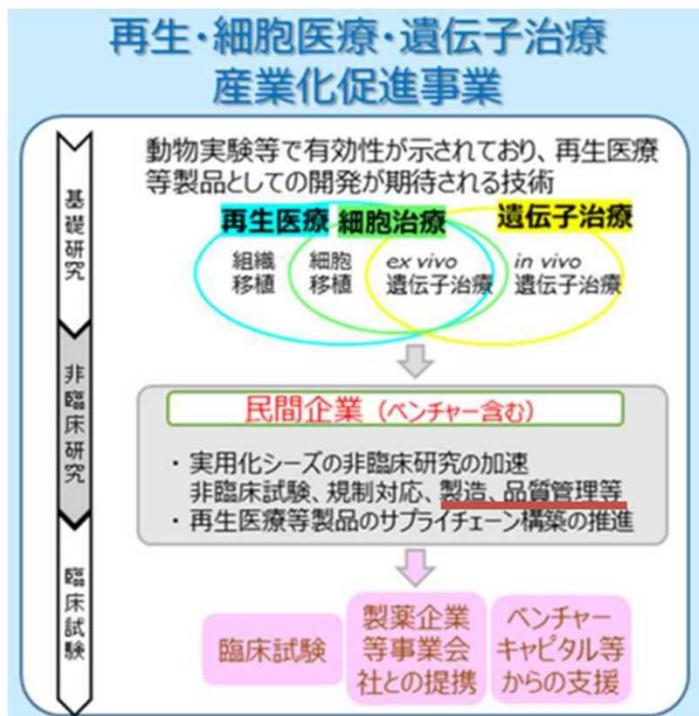
事業概要

本事業の目的

本事業の目的

- 本事業では、経済産業省の補助事業の採択機関を協力機関として、ユースケースを検討するとともに、実際に小規模実証を開始し、その実証の中から、ユースケース探索や選定に向けた検討を行った

本業務の業務概要



- アカデミアやベンチャー企業等が研究開発を行う再生医療等製品の提供において得られる臨床データと、製品生産時に得られる製造・品質データを紐づけ、相関を解析することが、再生医療等製品の製品製造過程における品質向上やコストダウン、また製品の作用メカニズム、病態の更なる理解への展開、治療成績の向上などに資することを示すユースケースを、最低一つ、可能であれば複数探索し、特定する。
- 本調査では、有用性の検討に必要な範囲の小規模な実証も実施する
- 加えて、上記で特定したユースケースを前提に、実際にデータを紐づけ、相関解析を効果的に実施するための手段としてのシステム構築を検討し、システムへの要求事項についても調査検討を行う

具体的な調査及び分析内容

- 以下の(1)～(5)を実施する
 - (1) ユースケース検討会議の運営支援(企画立案・調整・運営)
 - (2) 既存の有用なユースケース及びニーズ調査
 - (3) 有用なユースケース探索及び特定にあたっての小規模実証の支援
 - (4) システムへの要求事項案の作成
 - (5) 成果報告書の作成(概要版:1/27、最終報告書:3/26)

具体的な実施事項

- 本事業では以下を実施する
- 特に、次年度以降のシステム開発等を見据え、有用なユースケースの探索を中心に進める

実施内容

(1) ユースケース 検討会議運営

- 再生医療等製品の製造データ・臨床データを紐づけることで実現する「ユースケース」に関する認識共有と明確化
- 明確化したユースケースの有用性の検討

(2) ユースケース・ ニーズ調査

- 各協力機関の取組を踏まえ、想定されているユースケースのブラッシュアップに向けた調査の実施
 - 有識者からの意見の聴取、ニーズについてのヒアリング調査等を事務局が中心となって実施

(3) 小規模実証の支援

- 協力機関の取組状況を踏まえ、臨床データ・製造データの連携と分析を想定した小規模実証の支援
 - 日本再生医療学会と連携

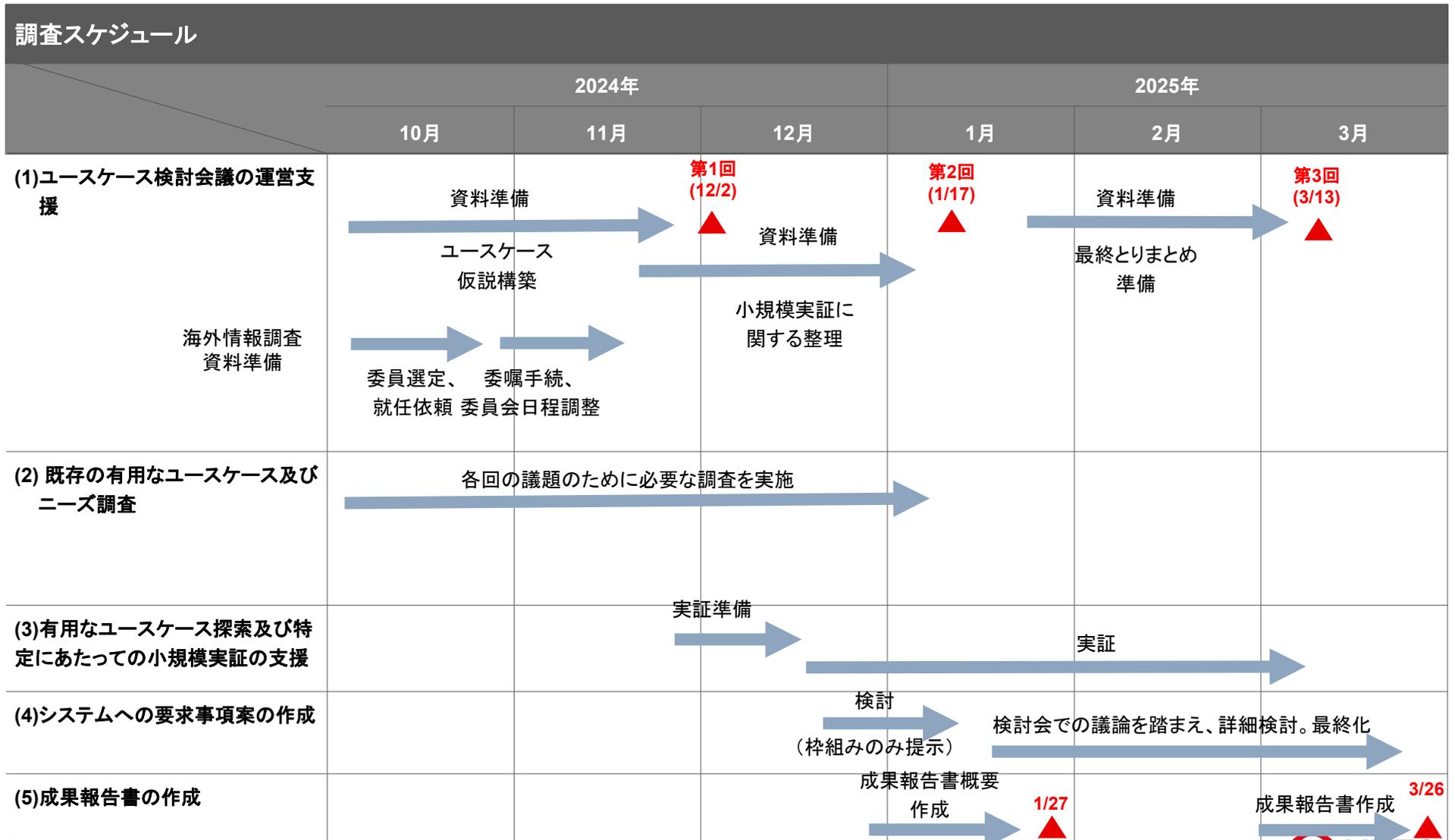
(4) システム要求事項案の 作成

- (効果的かつ発展的に実施するためのシステム開発を想定し)効果的な解析を実施するためのシステム要求事項案の検討
 - 小規模実証の結果を踏まえて検討

(5) 成果報告書作成

- 今後の方向性の示唆
- 残された課題の整理

事業全体スケジュール



1. ユースケース検討会議運営

ユースケース検討会議 概要

| | |
|-----|---|
| 目的 | <ul style="list-style-type: none">■ 有用なユースケースを見出し、臨床データや製造データを紐付け、相関を解析することを効果的かつ発展的に実施するための方策としてのシステム構築を検討し、これを踏まえたシステムへの要求事項についても調査検討することを目的として「ユースケース検討会議」を開催する |
| 議題 | <ul style="list-style-type: none">■ 既存の有用なユースケース及びニーズ調査の調査結果に基づくユースケース探索に向けた検討■ 小規模実証に向けた実施場所・実施方法・実施内容の検討■ 小規模実証の実施結果についての議論■ 上記を踏まえた、システムへの要求事項の検討 |
| 回数 | <ul style="list-style-type: none">■ 3回 |
| 構成員 | <ul style="list-style-type: none">■ 委員(座長を除き五十音順・肩書ご確認前)<ul style="list-style-type: none">● (座長)名古屋大学大学院創薬科学研究科基盤創薬学専攻 細胞分子情報学分野 准教授 加藤 竜司 先生● 日立製作所/大阪大学 細胞製造シミュレーション工学(日立)共同研究講座 招へい准教授 可児 明生 氏● 独立行政法人国立病院機構 大阪医療センター院長/大阪大学医学系研究科 教授 松村 泰志 先生● 東京大学大学院情報学環・学際情報学府 准教授 上村 鋼平 先生■ 「令和4年度第二次補正 再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けた環境整備事業費補助金」事業で採択された実施機関からの協力機関■ オブザーバー<ul style="list-style-type: none">● AMED「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業」プログラムスーパーバイザー(PS):森尾 友宏 先生● 同 プログラムオフィサー(PO):中江 裕樹 先生● 一般社団法人 日本再生医療学会(JSRM) |

ユースケース検討会議の討議スケジュール・討議内容概要

討議スケジュール・討議内容

■ 計3回のユースケース検討会議を実施した

検討会議スケジュール

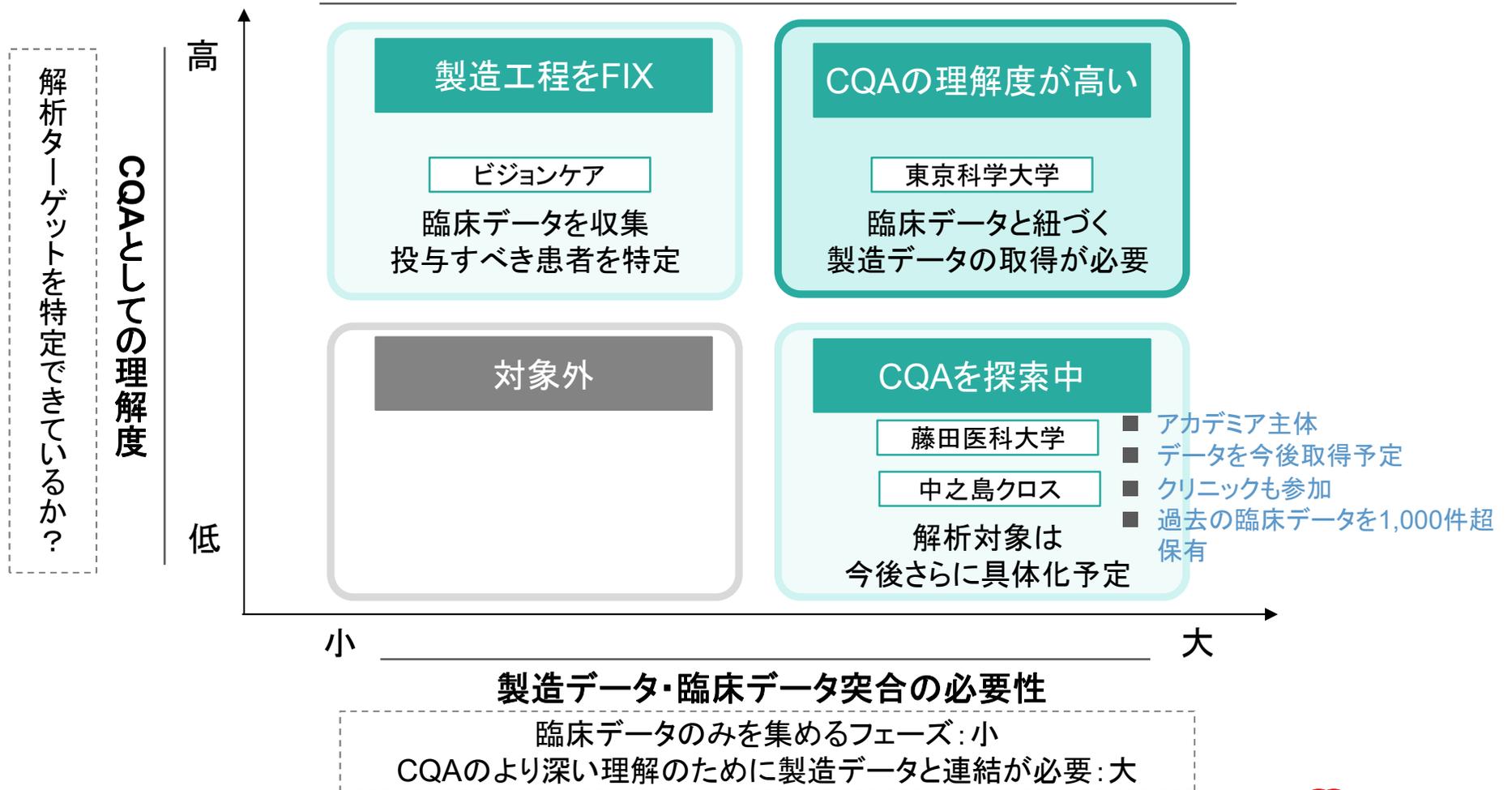


II. ユースケース・ニーズ調査

ユースケースの調査: 協力機関の状況の整理

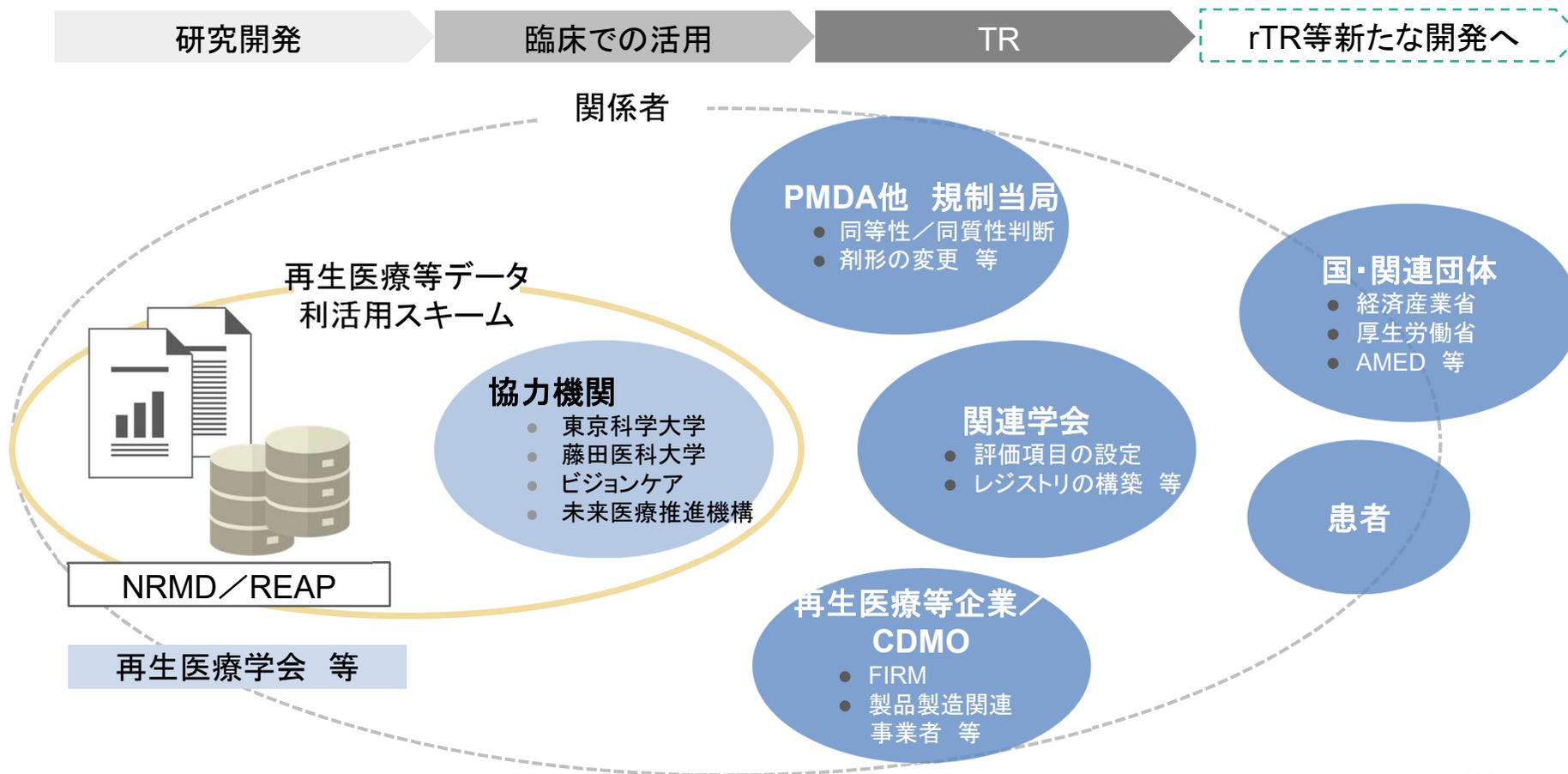
- ビジョンケアでは、非臨床試験を踏まえ製造工程を固めており、東京科学大学はIn vitroの研究成果(論文)によりCQAを仮置き
- 殿町拠点・中之島クロスでは、まずはデータを先に集めたうえで、解析ターゲットの検討を進めることを想定している

協力機関の位置づけ



本事業で特定したユースケースに対するニーズ調査の必要性

- 本事業では、データ利活用による「ユースケース」を特定したが、今後、ユースケースとしてのブラッシュアップを行うためには、以下に示したようなプレイヤーを含め、ニーズに関して調査を行うことが期待される
 - 次年度以降、以下の関連する主体別に期待可能な成果や活用可能性について整理してはどうか



III. 小規模実証の支援

小規模実証の進め方

- 具体的な成果を上げるためのデータ連携の準備を行いつつ、**今後、継続的にデータを連結できる仕組みづくり**を行いたい
 - そのため、まずは、東京科学大学様にて統合して解析を検討しているパラメータや、そのパラメータの収集状況、データ結合の可能性について明らかするため、まずはパラメータの洗い出しを依頼し、整理を行っていただいた
- ⇒ **整理の結果、CQA候補と、CQA候補に関連する製造パラメータや臨床データが推察され、今後のさらなる検証が期待される**

空白のセル、もしくは、色のついたセルを減らすための施設内での意思統一が必要です

| 項目番号 | データ活用の計画 | | | | | 構築システムにおける機能の評価 | | | データ統合に向けての可能性評価 | | | | CPPとしての理解度評価 | | | CQAとしての理解度評価 | | | 解析検証を行うか |
|------|--------------------|----------------------|----------------------|------|--|---------------------|------------------------------|--------------------|-----------------|----------------------|--------------|----------------------------|---|------------|------------------|---|------------|------------------|-----------------|
| | 製造/治療 | 計測項目名 | 計測方法 | 計測時期 | 計測目的 | 再現性 | 自動/手動 | 持続性 | データ統合の可能性 | データ出力機能 | 公開の有無 | 他のデータベースへの連携 | 制御性 | CPPの可能性 | CPP判断の根拠 | 治療効果との関係性 | CQAの可能性 | CQA判断の根拠 | |
| | データが製造関係か、治療関係かを選択 | 計測機器の種類や技術名を記載(自由記述) | 計測機器の種類や技術名を記載(自由記述) | 計測時期 | 例のために計測を行い、将来的に何に利用する計画か(自由記述) 目的のタイプ | データ計測の再現性についてのメモや備考 | ソフトウェアの稼働方式(装置から自動取得される場合のみ) | 従来のデータ取得・蓄積の容易性を評価 | 多領域とデータ統合は可能か | 他のデータベースへ出力・登録する際の作業 | 公開の有無についての判断 | 他のデータベースなど想定しているデータ名(自由記述) | 計測項目を確実に制御することが可能か(制御できればPP候補、制御できなければPPではない) | CPPとしての可能性 | CPPと判断した根拠(自由記述) | 計測項目と治療効果にはどのような関係があるか(治療効果を示す根拠がなければCQA候補ではない) | CQAとしての可能性 | CQAと判断した根拠(自由記述) | 目的のために解析を行うかどうか |
| 頁目1 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目2 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目3 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目4 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目5 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目6 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目7 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目8 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目9 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目10 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目11 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目12 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目13 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目14 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目15 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目16 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目17 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目18 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目19 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目20 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目21 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目22 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目23 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目24 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| 頁目25 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |



小規模実証の進め方

収集データについての考え方の例

意味の深いデータ： 取得する「目的」がある。取得する「効果」がある。取得の「継続性」が高い。
 意味の浅いデータ： 目的が不明瞭。効果がわからない。継続性が低い（今は集められるが、将来は困難・多施設では無理、など）

空白のセル、もしくは、色のついたセルを減らすための施設内での意思統一が必要です

| 項目番号 | データ活用の計画 | | | | | | 構築システムにおける機能の評価 | | | データ統合に向けての可能性評価 | | | | CPPとしての理解度評価 | | | CQAとしての理解度評価 | | | 解析検証 期間解析を行うか |
|----------------|--------------------|-----------------------|-----------------------|-------|---------------------------------|--------|--------------------|-----------------------------|--------------------|-----------------|----------------------|--------------|-------------------------|---|------------|-------------------|--|---------------------------------------|-------------------|------------------|
| | 製造/治療 | 計測項目名 | 計測方法 | 計測時期 | 計測目的 | | 再現性 | 自動/手動 | 持続性 | データ統合の可能性 | データ出力機能 | 公開の有無 | 他のデータベースへの連携 | 制御性 | CPPの可能性 | CPP判断の根拠 | 治療効果との関係性 | CQAとしての理解 | CQA判断の根拠 | |
| 今後収集対象として必要な項目 | データが製造関係か、治療関係かを選択 | 計測機器の種類や技術名を記載 (自由記述) | 計測機器の種類や技術名を記載 (自由記述) | 計測時期 | 何のために計測を行い、将来的に何に利用する計画か (自由記述) | 目的のタイプ | データ登録の再現性についてのメタ情報 | データ登録方式 (装置から自動取得される場合のみ自動) | 将来のデータ取得・蓄積の容易性を評価 | 多施設とデータ統合の可能性 | 他のデータベースへ出力・登録する際の作業 | 公開の有無についての判断 | REAPなど想定しているデータ名 (自由記述) | 計測項目を確実に制御することが可能か (制御できればPP候補。制御できない場合はPPではない) | CPPとしての可能性 | CPPと判断した根拠 (自由記述) | 計測項目と治療効果にはどのような関係があるか (治療効果を示す根拠がなければCQA候補ではない) | CQAとしての可能性 または CQAとの関係性・相関性の理解度 | CQAと判断した根拠 (自由記述) | 目的のために解析を行うかどうか |
| 項目1 | 製造 | 細胞密度 | 画像解析 | 播種時 | デザインベースの理解 | 工程改善 | 検討中 | 手動 | 検討中 | 準備済 | 検討中 | 検討中 | | 高い | 高い | データあり | 高い | 可能性高 | データあり | ○ |
| 項目2 | 製造 | 播種細胞数 | NucleoCounter | 播種時 | デザインベースの理解 | 工程改善 | 検討中 | 手動 | 高い | 準備済 | 検討中 | 検討中 | | 高い | 高い | データあり | 高い | 可能性高 | データあり | ○ |
| 項目3 | 製造 | 細胞生存率 | NucleoCounter | 最終回収時 | fcQAの確認 | 有効性確保 | 高い | 手動 | 高い | 準備済 | 検討中 | 検討中 | | 低い | 高い | データあり | 低い | 低い | | × |
| 項目4 | 製造 | CO2濃度 | CO2センサー | 常時 | 環境異常の検出 | 一貫性確保 | 高い | 自動 | 高い | 準備中 | 検討中 | 検討中 | | 高い | 低い | | 低い | 低い | | × |
| 項目5 | 製造 | PH変化 | PHセンサー | 常時 | コンタミ検出 | 一貫性確保 | 高い | 自動 | 高い | 準備中 | 検討中 | 検討中 | | 低い | 低い | | 低い | 低い | | × |
| 項目6 | 製造 | 粒子数計測 | ParticleCounter | 常時 | 清浄度管理 | 一貫性確保 | 高い | 自動 | 高い | 準備中 | 検討中 | 検討中 | | 高い | 低い | | 低い | 低い | | × |
| 項目7 | 製造 | 作業員ID | バーコード | 常時 | 作業員記録 | 一貫性確保 | 高い | 手動 | 高い | 準備中 | 検討中 | 検討中 | | 高い | 低い | | 低い | 低い | | × |
| 項目8 | 製造 | 温度 | 温度センサー | 常時 | 環境異常の検出 | 一貫性確保 | 高い | 自動 | 高い | 準備中 | 検討中 | 検討中 | | 高い | 低い | | 低い | 低い | | × |
| 項目9 | 製造 | 乳酸 | LC-MS | 最終回収時 | コンタミ検出 | 検討中 | 検討中 | 手動 | 検討中 | 準備中 | 検討中 | 検討中 | | 低い | 検討中 | | 低い | 低い | | × |
| 項目10 | 製造 | グルタミン酸 | LC-MS | 最終回収時 | コンタミ検出 | 検討中 | 検討中 | 手動 | 検討中 | 準備中 | 検討中 | 検討中 | | 低い | 検討中 | | 低い | 低い | | × |
| 項目11 | 治療 | 患者名 | カルテ | 初診時 | 患者情報管理 | 記録・管理 | 高い | 自動 | 高い | 準備済 | 手動 | 開示 | REAP | 低い | 低い | | 低い | 低い | | × |
| 項目12 | 治療 | 治療日 | カルテ | 初診時 | 患者情報管理 | 記録・管理 | 高い | 自動 | 高い | 準備済 | 手動 | 開示 | REAP | 低い | 低い | | 低い | 低い | | × |
| 項目13 | 治療 | 投与歴 | カルテ | 初診時 | 患者情報管理 | 記録・管理 | 高い | 自動 | 高い | 準備済 | 手動 | 開示 | REAP | 低い | 低い | | 低い | 低い | | × |
| 項目14 | 治療 | 年齢 | カルテ | 初診時 | 患者情報管理 | 記録・管理 | 高い | 自動 | 高い | 準備済 | 検討中 | 非開示 | | 低い | 低い | | 低い | 関連あり | CQAと関連あり | × |
| 項目15 | 治療 | 血液検査項目 | 一般血液検査法 | 治療日 | 治療時の状態記録 | 有効性確保 | 高い | 自動 | 高い | 準備済 | 検討中 | 検討中 | | 低い | 低い | | 低い | 低い | | × |
| 項目16 | 治療 | 軟骨厚み | CT | 3週間後 | 治療効果の確認 | 有効性確保 | 高い | 手動 | 検討中 | 準備中 | 検討中 | 検討中 | | 低い | 低い | | 低い | 関連あり | CQAと関連あり | ○ |
| 項目17 | 治療 | 眼底状況 | OCT | 3週間後 | 治療効果の確認 | 有効性確保 | 高い | 手動 | 検討中 | 準備中 | 検討中 | 検討中 | | 低い | 低い | | 低い | 関連あり | CQAと関連あり | × |
| 項目18 | 治療 | 痛み | ヒアリング | 1か月後 | 治療効果の確認 | 有効性確保 | 高い | 手動 | 検討中 | 準備中 | 検討中 | 検討中 | | 低い | 低い | | 低い | 関連あり | 確認中 | × |

CPP候補： 計測項目は制御することが可能か？
 制御できればCPP候補になり得る。制御できなければCPPにはならない。

CQA候補： 計測項目は治療効果につながる影響があるか？
 治療効果につながることを示す科学・データがなければCQA候補にはなりにくい。

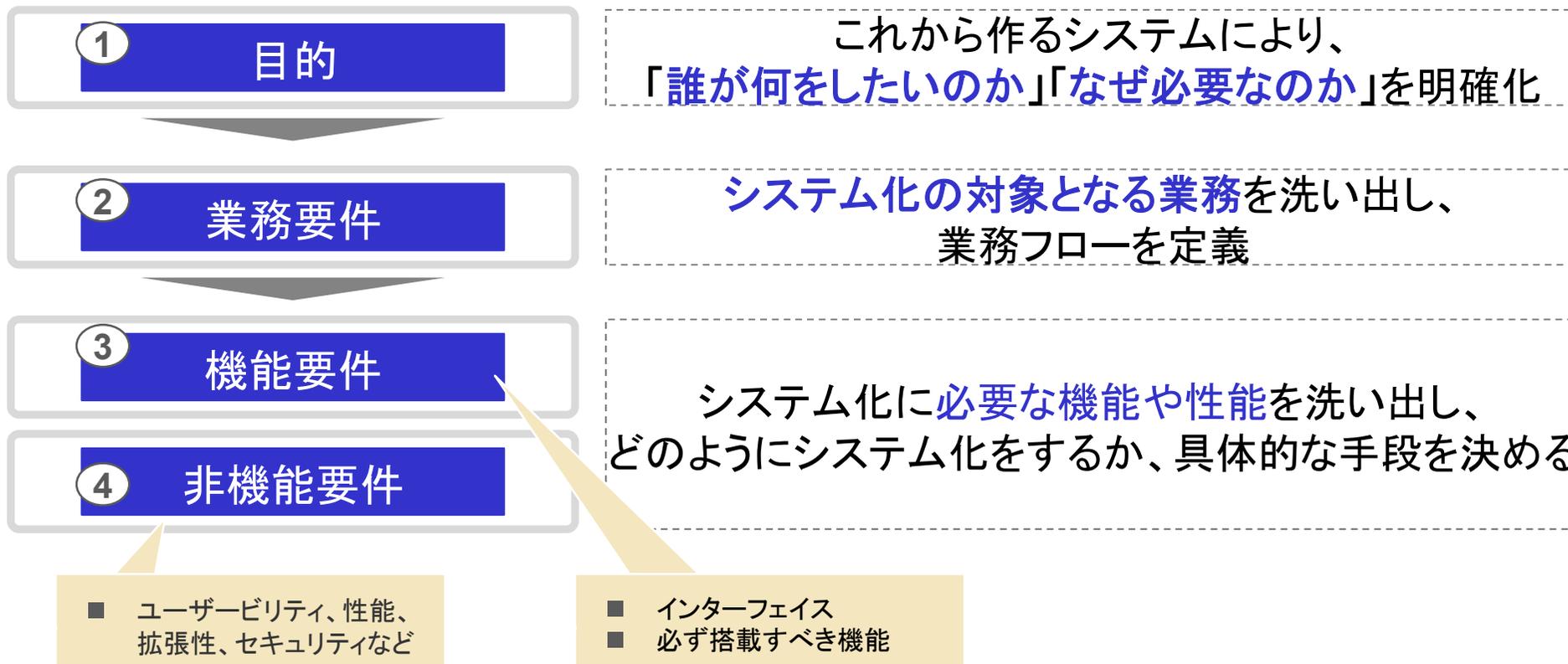
IV. システム要求事項案の作成

システム要求事項案の検討

- 今後、再生医療等製品の製造データ・臨床データをつなぎ合わせ解析を可能にするシステムを構築するにあたり、システム要求事項の検討を行う以下のプロセスのうち、①・②を中心に論点の整理を行った

システム要求事項検討のプロセスと概要

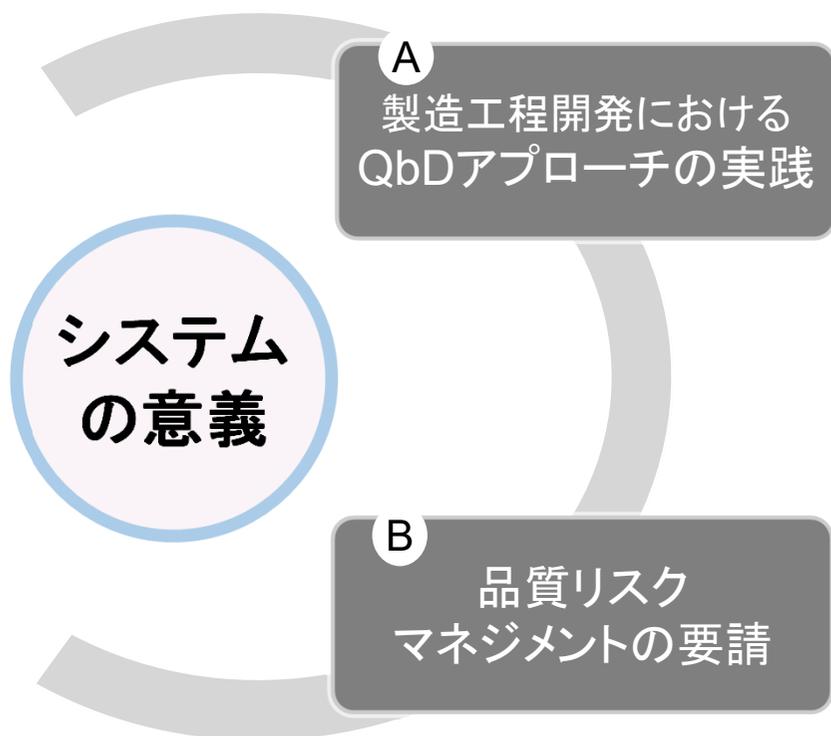
概要



V. 調査結果のまとめ

再生医療等データ利活用のための相関解析システムの意義

- これまでの調査を踏まえると、細胞集団が不均一であることに起因する、製品のバラツキと規格外製品の頻発が課題となっている再生医療等製品について、臨床データと製造データの相関を開発するためのシステムを準備することには、以下のような意義があると考えられる

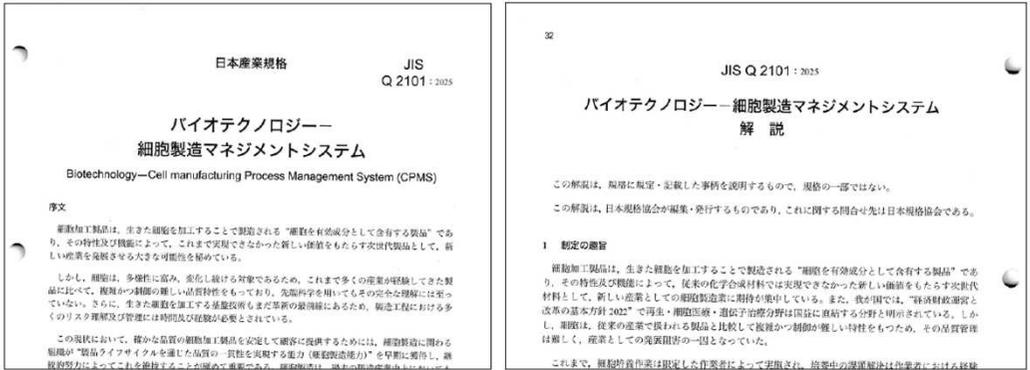


- 製造データに紐づいた臨床データの収集・活用により、**デザインスペース設定のための科学的根拠**を提供
⇒ QA(品質特性)の理解深化には製造データ・臨床データの収集や相関解析可能な形での共有が必要
⇒ **品質・製造の安定**(規格の最適化、In houseの重要管理項目設定 等の継続的改善)、**製品価値や薬価の向上**、**知的財産獲得による国際競争力の獲得** 等
- 収集したデータを可能な範囲で共有させる仕組みは新たな知見獲得や**イノベーション実現**の観点からも重要

- 再生医療等の品質リスクマネジメントのためには、**製品および製造プロセスにおけるデータを、臨床データと紐づく形で収集し、科学的に検証可能な状態としておく必要性が高い**
⇒ 製品と製造工程に関する理解を促進し、製造された製品の品質についてデータに基づく品質管理の継続的改善を行うことは、再生医療等企業の**責任**でもある

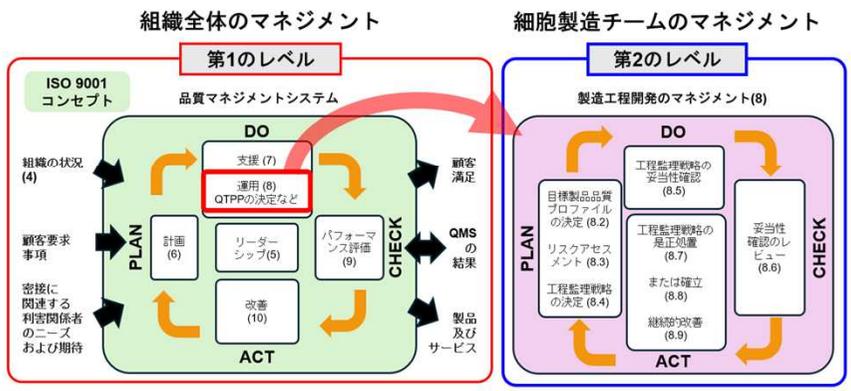
(参考)細胞製造マネジメント標準(JIS Q 2101)

- 2025年2月20日 国家規格として制定された「JIS Q 2101 バイオテクノロジー 細胞製造マネジメントシステム」において、細胞製造における用語の整理が行われ、本事業内の議論においても「用語の統一・標準化」が重要であることが明確となった
- JIS Q 2101では、製造工程のデータ蓄積の重要性、製造データ取得の考え方について整理されており、データ利活用の目的のためにもその理解は今後重要である
- 「製造データ蓄積の場合」「臨床データと製造データを連携する場合」については、JIS Q 2101に整理されたQMSのための考え方や、2つのレベルのPDCAサイクルの理解と実践が重要である



“日本語” & “解説” で施設導入がしやすい

“JIS Q 2101” “Cell manufacturing Processing Management System (CPMS)”



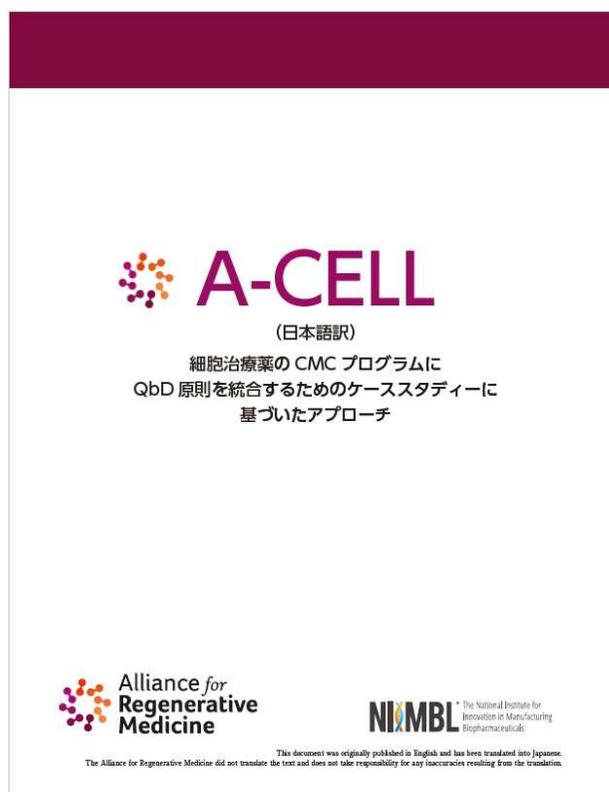
“2つのレベルの管理体制” x “PDCA cycle”

(出所) 20250324大阪大学大学院工学研究科 細胞製造コトづくり拠点 「細胞製造標準化促進セミナー～JIS Q 2101の理解と活用～」より作成

(参考)細胞医薬品製造におけるCMCを理解するための参考文献:A-CELL 1/2

- 国際的な再生医療業界団体であるThe Alliance for Regenerative Medicine (ARM)とthe National Institute for Innovation in Manufacturing Biopharmaceuticals (NIIMBL)は、細胞・遺伝子治療において、設計品質と製品品質(CMC)の確立に向けた考え方などの事例集を提供している(A-CELL)

A-CELL 概要



(出所) ACELL、各団体HPより作成

作成背景・目的

- 細胞・遺伝子治療において、合理的で費用対効果が高い製造を実現するための、開発に関する**概念**や**事例**の提供

作成者

- ARM(The Alliance for Regenerative Medicine)
 - バイオテクノロジー企業・学術/医学研究機関・患者団体など25か国400以上のメンバーからなる国際団体
- NIIMBL(The National Institute for Innovation in Manufacturing Biopharmaceuticals)
 - バイオテクノロジー企業・アカデミア・非営利団体・政府組織などから構成される官民パートナーシップ
 - 米国商務省の国立標準技術研究所から資金提供

記載内容

- 細胞治療における規制上の考慮事項、同等性評価及び標準
- 目標製品品質プロファイルの作成
- リスクアセスメントと重要品質特性の特定
- 細胞採取と出発原料の検討
- 原材料
- レンチウイルスベクターの製造プロセス
- 細胞治療薬の製造
- 細胞治療のための分析技術
- 管理戦略
- 製造戦略、施設設計と製造のオペレーション

(参考)細胞医薬品製造におけるCMCを理解するための参考文献:A-CELL 2/2

- A-CELLでは、製品特性の確認のための試験方法や、製造治療製品のQTPPとして検討すべき特性の例などを示し、合理的で費用対効果が高い製造を実現するための開発プロセスについて例を示している

A-CELL 概要

表 2-12: 自己由来 CAR-T 細胞製品の製品特性と試験方法の関連リスト

可能性のある変更として、同一施設内でのプロセス/CMCの変更(図2-4A)、または施設の変更(2つのサイト間での出発原料の分割、2つのサイトでの同じ分析の実施)(図2-4B)を含む。

| 特性 | 試験 | 方法手順 |
|--------------------|------------------------|---|
| 細胞数 | 総細胞数の測定 | 色素染色自動細胞計数装置 |
| 細胞生存率 | 生細胞/全細胞の比率を測定 | 色素染色自動細胞計数装置 |
| 安全性 - 無菌 | 微生物汚染の測定 | USP<71> |
| 安全性 - エンドトキシン | エンドトキシンの測定 | LAL(USP<85>) |
| 安全性 - マイコプラズマ | マイコプラズマの測定 | USP<63> |
| 安全性 - RCL | 複製可能なレンチウイルス | qPCR/ddPCR |
| 安全性 - VCN | 宿主細胞ゲノムへのベクター挿入の測定 | qPCR |
| 確認試験 | CD3、CARの発現 | フローサイトメトリー |
| 力価 | 標的細胞の殺傷能力測定 | セルベースアッセイ、EUSA (データが裏付けられる場合のサロゲートマーカー用) |
| 安全性-in vitroでの増殖試験 | IL-2非依存的細胞増殖の測定 | セルベースアッセイ |
| 純度 - 混入している細胞のタイプ | その他の細胞タイプ(B細胞、NK細胞)の測定 | フローサイトメトリー |

表 3-1: 細胞治療製品の QTPP として検討すべき特性

| | 特性カテゴリー | 例 | |
|----------|--|---|------------|
| 一般的属性 | 適応症 | 再発または難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫、再発または難治性の急性リンパ芽球性白血病 | |
| | 有効期間 | 数年 | |
| | 保存条件 | 2-8℃ 凍結保存時は液体窒素の気相条件下で-130℃以下 | |
| | 容器・筒栓系 | バップ、バイアル、滅菌性、密閉性 | |
| | 投与剤形 | 液体懸濁液、組織等価品、凍結保存品、新鮮品 | |
| | 投与レジメン | 毎日、毎月、単回輸注 | |
| | 1回あたりの投与量 | mL、mL/kg | |
| | 投与方法 | 静脈内投与 | |
| | 製品の品質特性 | 一般特性 | pH、浸透圧 |
| | | 外観 | 色調、不溶性異物検査 |
| 安全性 | | 製品性質に応じて、製造工程内および最終製品の試験を含む多角的なアプローチに基づく微生物試験 | |
| 確認試験 | | 特定の細胞を細胞株の物理的または科学的特性により識別する試験 (例:表現型、遺伝子型、またはその他のマーカー、導入遺伝子のqPCR、組織特異的な遺伝子発現) | |
| 含有量 | | 総細胞数、細胞濃度(cells/mL)、活性型(遺伝子導入)細胞の濃度(cells/mL) | |
| 純度および不純物 | | 製品を考慮して製品純度を評価する試験(例:生細胞、死細胞、細胞由来不純物、残留ベクター、残留培地成分やDMSO、抗凝固薬といった製造工程由来不純物) | |
| 力価 | 製品の関連する生物学的機能を測定する。 製品の生物学的活性を評価する方法は、作用機序(MoA)に関わる様々な要素に基づき、多くの場合、複数のテストが行われ、初期段階では特異的マーカーの検出からはじまり後期段階ではより機能的な解析へと発展する。 | | |

(出所) A-CELLより作成

(参考)再生医療等におけるデータ収集・エビデンス構築の必要性

国際幹細胞学会からのコメント

- 2025年2月、患者の安全が懸念されるとして、日本の厚生労働省に対し治療計画の審査の監督を強化するよう求める声明を公表



INTERNATIONAL
SOCIETY FOR
STEM CELL
RESEARCH

[Discovery](#) [Advocacy](#) [Guidelines](#) [Standards](#)
[Education](#) [Leadership](#) [Membership](#)

🌐 English ▾

Annual Meeting

The ISSCR Encourages Japanese Policymakers to Increase Oversight of Regenerative Medicine Interventions

POLICY Feb 22, 2025

Today, the ISSCR sent a [letter](#) to Japan's Ministry of Health, Labour, and Welfare encouraging the Ministry to implement regulations that adhere as closely as possible to international guidelines for the administration of regenerative medicine interventions.

In the letter, shared in response to amendments to the Act on the Safety of Regenerative Medicine (ASRM), the ISSCR commends Japan for taking steps to strengthen the ASRM to protect patient safety and offers recommendations citing this opportunity to strengthen Japan's approach to regenerative medicine oversight.

[Read the letter.](#)

(出所) ISSCRウェブサイト [The ISSCR Encourages Japanese Policymakers to Increase Oversight of Regenerative Medicine Interventions — International Society for Stem Cell Research](#)

今年度事業の振り返りと今後に向けた要検討ポイントの整理

- 本年度事業の成果と十分に検討することができなかった課題を踏まえ、今後、さらに具体化に向けた議論を進め、どのように製造データとつなげた形で臨床データを収集・共有することが再生医療等の研究開発の発展に向けて必要か、検討を行うことが望まれる

今年度事業の振り返り

成果

- データを活用して、どのような検討を進めることに意義があるか、**ユースケースの定義や目指すべき成果**について、時間をかけてユースケース検討会議の構成員の間での**認識合わせを実施した**
- **小規模実証を東京科学大学の協力を得て実施し、製造データと臨床データを突合することにより、CQAの理解度をあげるような成果を得られるかの具体的な道筋が示された**
- 「整形外科領域」において、再生医療を提供している協力機関が多く（協力機関4機関中3機関）、症例数を集めることが比較的容易な整形外科領域での検討を具体化させる必要性が確認された

課題

- ユースケースの探索・特定に時間をかけることになったため、どのようなシステムを準備し、製造データと臨床データとを収集・共有する仕組みづくりをするのか、具体的な検討を十分に行う時間をとることができなかった
- 実際に製造工程に関わり、製造データを取得する立場から、具体的に取得すべきデータ項目を議論することができなかった

今後に向けた
検討課題

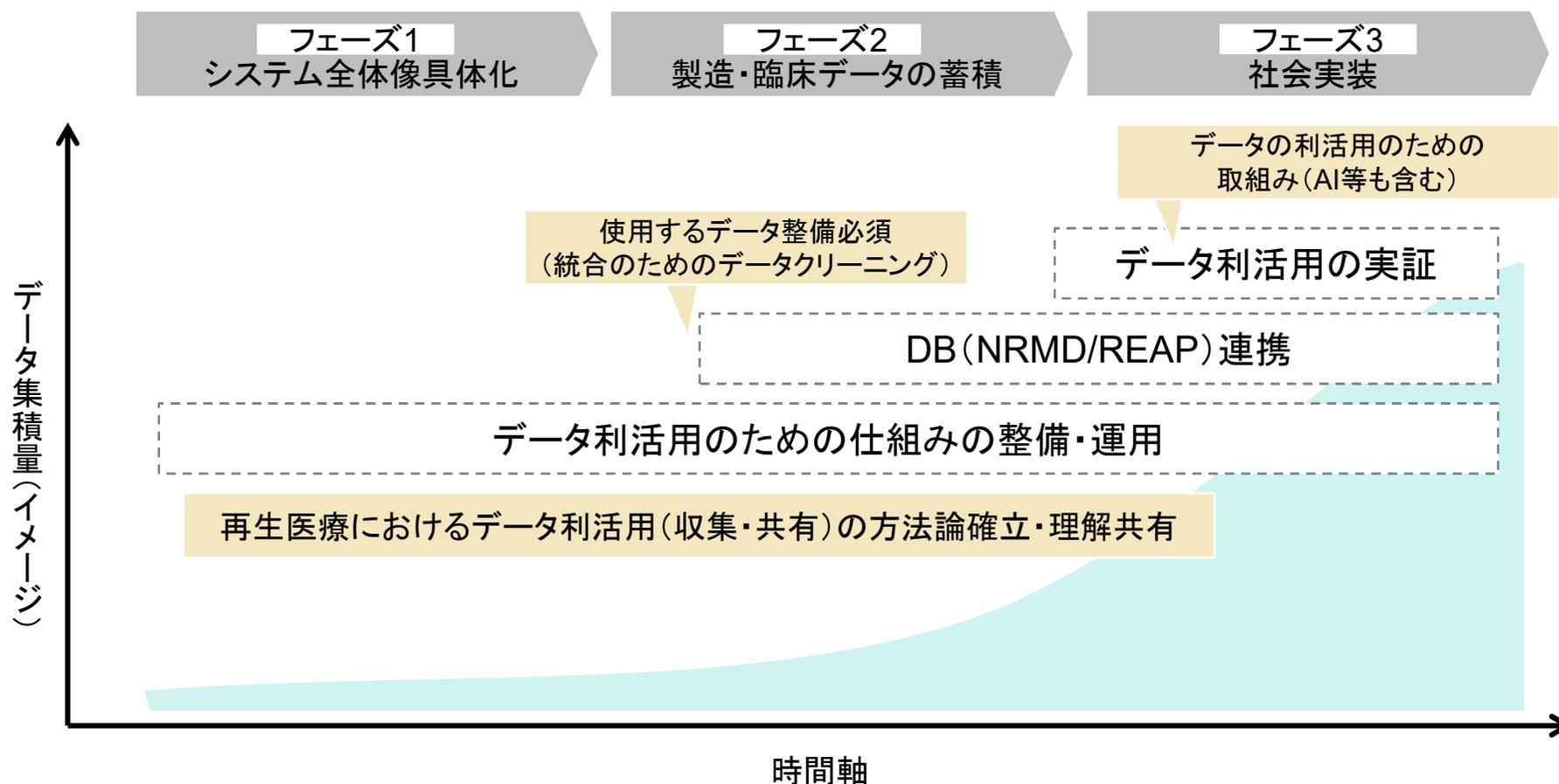
製造・臨床データの収集と共有に向け、整形外科領域を念頭に置いた具体的な検討が必要

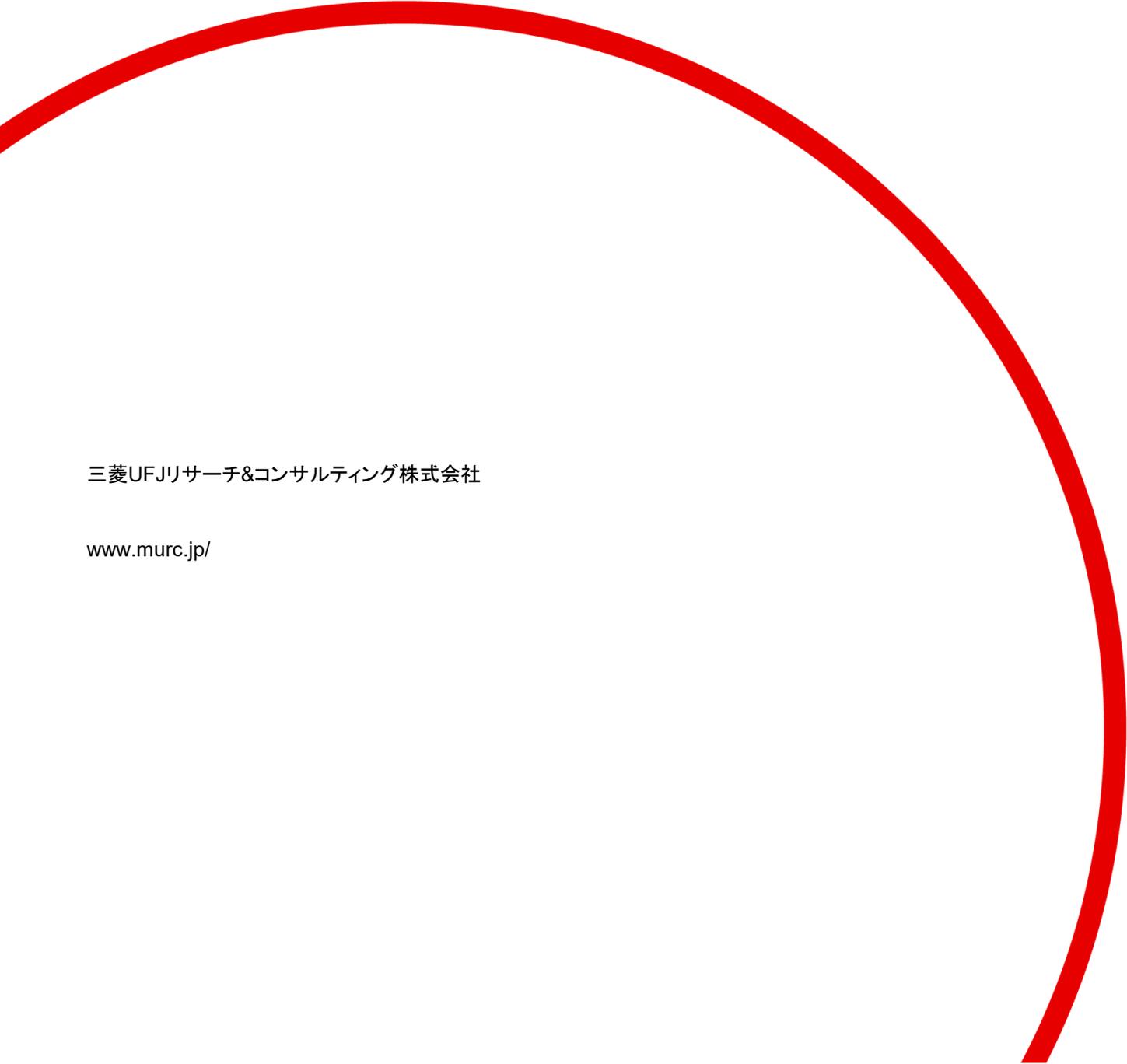
検討のポイント

- 製造プロセスにおけるデータ取得の実際に関して知見がある**製造サイドの意見**を確認
- **データ収集(入口)・共有(出口)時の課題**(個人情報保護やELSI、機密保持等)を検討
- 今後、システムの対象領域を広げていく場合の**データの持ち方や間口の広げ方等**も議論

再生医療等データ利活用のステップ(イメージ)

- データの集積を進め、データ利活用の仕組みを通じ、再生医療等企業やCDMO等の製造側の費用負担の低減を図りつつ、研究開発を推進可能な状態としていくことも目標の一つである





三菱UFJリサーチ&コンサルティング株式会社

www.murc.jp/

