

日本医療研究開発機構 医薬品等規制調和・評価研究事業 事後評価報告書

公開

I 基本情報

研究開発課題名：（日本語）自己由来再生医療等製品の規格外品の人道的な供給に関する調査研究
（英 語）A Study on the Framework for Compassionate Use of Out-of-Specification
Autologous Regenerative Medicine Products

研究開発実施期間：令和 5 年 4 月 1 日～令和 8 年 3 月 31 日

研究開発代表者 氏名：（日本語）岡田 潔
（英 語）Kiyoshi Okada

研究開発代表者 所属機関・部署・役職：
（日本語）一般社団法人日本再生医療学会 理事会 常務理事
（英 語）Executive Director, Board of Directors, Japanese Society for Regenerative Medicine

II 研究開発の概要

研究開発の成果およびその意義等

和文：

本研究は、自己由来再生医療等製品において一定の割合で発生する規格外品（Out of Specification : OOS）について、重篤な疾患を有し、かつ再製造が時宜的に困難な患者に対する治療機会喪失の軽減を目的として、人道的な供給の在り方に関する制度的枠組みの構築を目指して実施したものである。

再生医療等製品のうち、自己由来細胞加工製品は患者個々の細胞を原料とするため品質のばらつきが大きく、規格を満たさない製品が一定の割合で発生することは不可避である。一方で、当該製品は患者本人にとって代替不可能な治療手段となり得ることから、安全性が確保され、有効性が一定程度期待される場合には、規格外であっても使用を望む臨床ニーズが存在する。現状、国内における規格外品の提供は治験の枠組みにより実施されているが、GCP 対応を含む体制整備や運用負担が医療機関及び製造販売業者に大きく、持続可能性の観点から課題が指摘されている。

本研究では、国内における規格外品提供の実態及び課題の整理を行うとともに、米国の Expanded Access Program (EAP) や欧州における例外的提供制度等の海外事例の調査を実施した。これらの制度は、重篤疾患で代替治療がない患者に対し、迅速な治療機会の確保を目的としつつ、最小限の規制によりベネフィットとリスクの適切なバランスを図るものであり、国内制度設計においても重要な示唆を与えるものであった。

これらの検討を踏まえ、本研究では、規格外品の人道的提供に関する制度的課題を抽出するとともに、医療機関、製造販売業者、行政関係者を含む多様なステークホルダーとの継続的な議論を通じて、制度改正に資する提言の取りまとめを行った。その結果、令和7年の医薬品医療機器等法改正において、再生医療等製品の特性を踏まえた規格外品の例外的提供を認める規定が第65条の5 第2項に追加され、本研究の成果が制度として具体化された。

当該制度は、安全性が担保されていることを前提に、重篤性の高い疾患等一定の要件を満たす場合に限り、規格外品の提供を可能とするものであり、これまで治験に依存していた人道的提供を、より実態に即した形で実施可能とするものである。本研究では、当該制度の具体的運用に資する事項として、対象患者の考え方、規格外品発生から投与までの運用フロー、医療機関における体制整備、並びに患者への説明および同意取得の在り方等について整理を行った。特に、患者への情報提供については、規格外品であること、期待される有効性とリスク、代替治療の有無等を適切に説明することの重要性を示し、その内容の標準化に向けた方向性を提示した。

本研究の意義は、第一に、再生医療等製品特有の課題である規格外品の取扱いについて、科学的・倫理的観点から整理し、制度として実装した点にある。第二に、医療現場及び製造販売業者における過度な負担を軽減しつつ、患者への治療機会提供を確保するという、規制と医療アクセスのバランスを実現した点が挙げられる。第三に、本成果は、今後創出が見込まれる均質な製造が困難な新規モダリティに対しても適用可能な先行事例となり得る点である。

さらに、本研究により整理された考え方は、規格外品の提供における対象患者の選定、迅速な提供体制の構築、治療のベネフィット最大化及びリスク最小化のための判断基準の基盤となるものであり、将来的なガイドライン策定や国際的な規制調和にも寄与することが期待される。

以上のとおり、本研究は、再生医療等製品の実用化促進と患者利益の最大化を両立させる制度基盤の構築に貢献するものであり、我が国における再生医療の発展及び国際競争力の強化に資する重要な成果である。

英文：

This study aimed to establish an institutional framework for the compassionate use of out-of-specification (OOS) products that occur at a certain frequency in autologous regenerative medicine. Because these products are derived from individual patients' cells, variability in quality is unavoidable, and some products may fail to meet specifications. Nevertheless, such products can represent irreplaceable treatment options for patients with serious diseases, particularly when re-manufacturing is not feasible within an appropriate timeframe.

In Japan, the use of OOS regenerative medicine products has traditionally been implemented within the framework of clinical trials. However, the stringent requirements associated with clinical trials, including GCP compliance, impose substantial operational burdens on medical institutions and marketing authorization holders, raising concerns about sustainability and timely patient access.

To address these challenges, this study analyzed the current status of OOS product use in Japan and reviewed overseas systems, including the Expanded Access Programs in the United States and Europe. These systems aim to provide rapid access to treatment for patients with serious conditions while maintaining an appropriate balance between potential benefits and risks under relatively flexible regulatory requirements. The findings informed the development of policy recommendations suitable for the Japanese context.

Through continuous discussions with stakeholders, including healthcare providers, industry representatives, and regulators, key institutional challenges were identified. The outcomes of this study contributed to the 2025 amendment of the Pharmaceuticals and Medical Devices Act, which introduced a new provision allowing the exceptional use of OOS regenerative medicine products when safety is ensured and specific conditions are met.

This study provides a regulatory foundation for the practical and ethical use of OOS products in regenerative medicine and may serve as a model for future emerging modalities facing similar manufacturing challenges.