

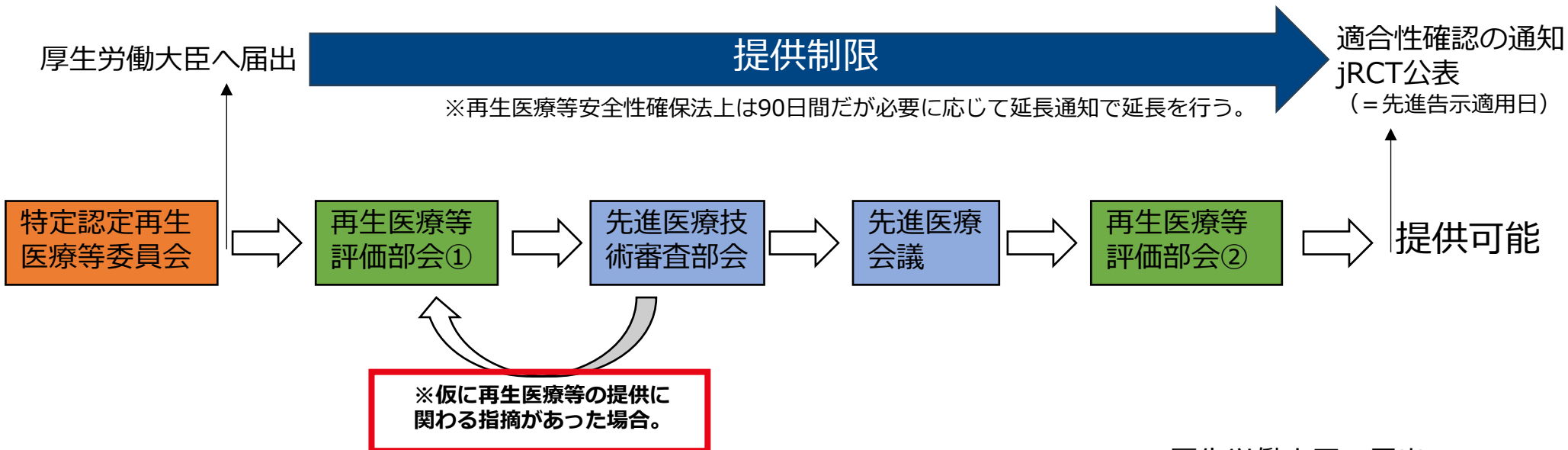
第一種再生医療等提供計画「網膜色素上皮(RPE)不全症 に対する同種iPS細胞由来RPE細胞凝集紐移植に関する 先進医療」(神戸市立神戸アイセンター病院)の今後の 取り扱いについて

- 第101回 厚生科学審議会 再生医療等評価部会にてご審議いただいた「網膜色素上皮(RPE)不全症に対する同種iPS細胞由来RPE細胞凝集紐移植に関する先進医療」（神戸市立神戸アイセンター病院）について、第178回 先進医療技術審査部会（令和7年8月21日開催）において、先進医療として「不適」の判断となった。
- 併せて、先進医療技術審査部会における指摘事項への対応過程において、再生医療等提供基準への適合性の観点で影響が生じうる変更があったことが同部会構成員より指摘された。
- このため、第101回再生医療等評価部会において合意された「第一種再生医療等提供計画で先進医療を用いる場合の審査の流れ」に従い、当部会において、本変更に関する再生医療等安全性確保法上の取扱いについてご審議いただきたい。

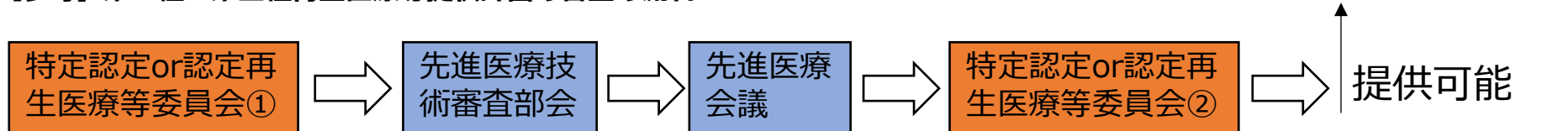
- 2023年 9月19日 当該計画を厚生労働大臣に提出
- 11月10日 第89回 厚生科学審議会再生医療等評価部会にて審議**
⇒「継続審議」の判断
- ※提出者より部会からの指摘事項を踏まえた計画変更の後、再提出
- 2024年6月14日 第95回厚生科学審議会再生医療等評価部会にて審議**
⇒ 一部論点について座長預かりの後、「適合」の判断
- その後、書類不備が発覚し、申請取下げの後、特定認定再生医療等委員会での再審査の後に再提出
- 12月16日 第101回厚生科学審議会再生医療評価部会にて変更後の当該計画を審議**
⇒ 一部論点について座長預かりの後、「適合」の判断
- 2025年 4月11日 第174回 先進医療技術審査部会にて審議**
⇒ 「継続審議」の判断
- ※提出者より先進部会からの指摘事項を踏まえた計画変更の後、再提出
- 8月21日 第178回 先進医療技術審査部会にて審議**
⇒ 「不適」の判断

第一種再生医療等提供計画で先進医療を用いる場合の審査の流れ

第一種再生医療等提供計画の審査の流れ



【参考】第二種・第三種再生医療等提供計画の審査の流れ



第178回先進医療技術審査部会での結論

整理 番号	先進医療名	適応症等	受付日	承認 状況	医薬品・医療機器・ 再生医療等製品情報	申請医療機関	審査担当構成員				総評
							主担当	副担当	副担当	副担当	
149	網膜色素上皮（RPE）不全症 に対する同種iPS細胞由来RPE 細胞凝集紐移植	網膜変性疾患に対する同種iPS 細胞由来RPE細胞凝集紐移植 網膜変性疾患（網膜色素変性、 黄斑ジストロフィー、加齢黄斑 変性）	R7.1.21	適応外再生医療等製品	同種iPS細胞由来RPE細胞凝集紐	神戸市立 神戸アイセンター病院	木村	今井	掛江	山本	不適

総合評価	適 条件付き適 継続審議 不適		
予定症例数	15 例	予定試験期間	先進医療告示適用日～ 2033 年 1 月
実施条件：下記コメントを参照のこと。			
コメント欄（不適とした場合は、その理由を必ず記載ください。） （修正すれば適となる場合は、修正内容を記載ください。） 上記各委員の意見を総合すると、先進医療が保険収載の前提として行われている（通常の臨床研究ではない）点が重視されていると考える。すなわち ○効果判定において、視力・視野の維持ではなく、RPE 異常領域面積を主要評価項目とし、さらにマイクロペリメトリーによる網膜感度を副次評価項目としている。これらが臨床的症状の向上に必ずしもつながらない点は患者説明文章で「明らかな治療効果を期待するものではありません」、「期待される効果が発揮されない場合は、視機能の回復や維持が困難となり、悪化する可能性があります」などと説明はされているものの、対象疾患の自然経過（ヒストリカルコントロールで良い）と本先進医療を受けた後の何らかの臨床症状での優位性を示す可能性があるプロトコルが必要ではないか。			

○対象疾患が議論の上絞られてきた点は評価する。それが故にリクルートされる疾患の自然史あるいは既存治療における経過が行いやすくなったとも考えられる。これらの点を考慮した主要評価項目の臨床的妥当性（サロゲート性含む）についてその目的に鑑みた再検討をぜひお願いしたい。

○先駆的研究を安全性に留意しつつ展開してきた当該グループの努力と実力を十分評価するものであるが、保険診療への導入を目指すための先進医療としては対象疾患の変更があったことから、再生医療に関する然るべき審議体で再度の審査を受けたのちに上記の点に留意された研究計画を提出されることを期待する。

（その他）

なお、評価に直接反映されたものではないが、本件の申請に際して高額であった患者負担額の適切性についての質疑応答があったが、その返答に関して判断に足る資料が十分ではなかった。この患者負担額が妥当であるか否かについての検討を行うための資料が十分に示されていない状況にあって、患者に対して明らかな治療効果を期待するものではないという説明がなされている点を加味すると、患者の受けるベネフィットと患者負担を含むリスク・不利益のバランスが取れているかどうかについての十分な説明が必要と考える。

- **先進医療技術審査部会の指摘事項を踏まえた変更された計画の再生医療等安全性確保法の観点における取り扱いについて**
 - **先進医療技術審査部会における指摘事項**
 - ↳ 参考資料 2 - 4 「指摘事項に対する回答」
 - ↳ 参考資料 2 - 5 「先進医療B再評価票」
 - **試験実施計画書の変更内容について**
 - ↳ 参考資料 2 - 2 「実施計画書」
 - ↳ 参考資料 2 - 3 「新旧対照表」