

日本の再生医療承認制度は時期尚早で不公正

日本では 2014 年の法改正により、世界に先駆けて再生医療等製品に対する期限・条件付きの早期承認制度が導入されている。これにより、幹細胞治療などの再生医療については、臨床試験の件数が少なくても、有効性が推定されれば短期間でも承認されることとなった。この制度のもとで、脊髄損傷に対する幹細胞治療を厚生労働省が承認した。承認の根拠は、脊髄損傷患者 13 例を対象とした第Ⅱ相試験で、13 例中 12 例が損傷後 220 日目で機能障害の尺度で 1 段階以上改善し、重篤な有害事象もみられなかったことであった。しかし、この試験とは独立した立場にいる専門家らが *Nature* 誌に寄せたコメントをまとめると以下のようであった：

承認の根拠となった臨床試験の対象者が 13 例と少ない。対照群も設定されておらず、脊髄損傷の改善が治療効果によるものなのか、自然治癒によるものなのか、または医師の主観により「改善」と判断されたものなのかがはっきりしない。この点については、プラセボを対照とした二重盲検ランダム化比較試験を行う必要がある。また、承認にあたって臨床研究の論文化が必要でない点も問題である。透明性のある制度にするべきである。さらには、患者の骨髄液から採取した間葉系幹細胞が果たして脊髄の再生につながるのかが疑わしい。間葉系細胞は骨髄に到達する前に肺に蓄積し、肺塞栓を起こすことが懸念されている。仮に脊髄に到達したとしても、損傷部で間葉系細胞が神経細胞に分化するとは考えにくい。

日本は、カリフォルニアで実施されている方法を参考にしてはどうか。今の日本の承認制度では時期尚早で不公正である。

出典：*Nature*. 2019; 565: 544-545, 565: 535-536.