EMA 委員会:先進医療委員会 (CAT)

はじめに

欧州医薬品庁 (European Medicines Agency: EMA) の先端医療委員会 (Committee for Advanced Therapies: CAT) は、先端医療医薬品 (advanced-therapy medicinal products: ATMP) の品質、安全性、および有効性を評価します。ATMP とは、遺伝子、細胞、または組織からなるヒト用医薬品を意味します。遺伝子治療、体細胞治療医薬品、再生医療製品、集学的治療なども ATMP に含まれます。以下の項目では、ATMP の詳細と CAT の活動を導く規制的概念と法規について説明します。

EMA 先端医療委員会 (CAT)

ATMP は、アルツハイマー病、癌、筋ジストロフィーのような遺伝性疾患など多くの疾患や皮膚の熱傷等について、新しい治療の機会の可能性を提供します。

ATMP は 4 つの主要なグループに分けられます。

遺伝子治療医薬品 (GTMP)
GTMP には治療効果につながる遺伝子が含まれています。GTMP では、「組み換え」遺伝子を細胞に挿入します。ウイルスをベクター (遺伝物質を標的細胞まで送達するために使用する媒体) として使用し、遺伝子を輸送することが頻繁にあります。組み換え遺伝子は、DNA を他の源と結び合わせ、研究室で生成される 1 本の DNA です。遺伝子が
患者の細胞に入ると、細胞は遺伝性疾患、癌、長期間疾患などのさまざまな疾患の進行を遅らせるか治癒するのに役立つタンパク質を産生するか、産生しています。
体細胞治療医薬品
体細胞治療医薬品は、生物学的特性を操作して変化させた細胞 (非生殖細胞) または組織を含みます。体細胞治療医薬品は、疾患の治癒、診断、予防に使用できます。体細胞治療の一例として、患者の操作された癌細胞を使用して、体内の残りの癌細胞と戦わせることなどがあります。
再生医療製品
再生医療製品には、組織の修復、再生、置換に使用できるように遺伝子工学で作り変えた (大幅に改変した) 細胞または
組織が含まれます。再生医療製品の例には、熱傷患者の治療に使用する人工皮膚があります。
集学的 ATMP
集学的先端医療医薬品には、医薬品の重要な一部として 1 つ以上の医療機器が含まれます。

これらの治療は、先端治療を支えるテクノロジーに肯定的な長期的効果をもたらす可能性があるため、患者に大きな可能性を提供します。患者に効果的な治療を提供し、その後医療管理の費用を低下させる可能性があります。

先端治療は大きな期待を生み出す一方、以下にも関連しています。

新たな重大なリスク、たとえば
ウイルスベクターが再活性した場合のウィルス感染のリスク
癌のリスク
治療に誤って曝露した場合の医療従事者または介護者のリスク
倫理上の問題、たとえば
情報不足により生体ドナーの権利が尊重されないこと
未承認または安全性が不十分な (幹) 細胞製品を患者に投与すること

先端医療は小規模な企業または病院の研究部門によって開発されることが多くあります。EU の法規では、EMA による科学的助言について減額することにより、先端医療の研究および開発を奨励するためのインセンティブを提供しています。新しい規制手順がATMP 開発者に提供されています (ATMP 分類および ATMP 証明)。

規制的概念と適用される法規

2008 年以降、すべての先端医療医薬品 (ATMP) に中央審査方式 (CP) を使用することが義務付けられています。これにより、EU で利用できる 1 回の評価と承認手続きを行う恩恵を得られます。結果として、企業は製品をより容易に販売でき、異なる加盟国の患者は製品を利用しやすくなります。

ATMP は従来の医薬品分野で使用されていた枠を超えた評価基準を要する複雑な医薬品です。たとえば、遺伝子組み換え生物 (GMO) を含む製品、または GMOからなる製品の場合、ヒトの健康と環境へのリスクを評価するための環境リスク評価が必要になります。

法規により、CAT 内の専門知識は、以下を含む先端医療に関連するすべての領域を網羅していることが義務付けられています。

医療機器、
再生医療、
遺伝子治療、
細胞療法、
バイオテクノロジー、
手術、
医薬品安全性監視、
リスク管理、および
倫理。

CAT は各製品の意見書草稿を作成します。意見書はヒト用医薬品委員会 (CHMP) に送付されます。CHMP では、CAT の意見に基づき、医薬品販売承認の付与または拒否、変更、一時停止、または取り消しについての勧告を採択します。その後、この勧告は医薬品販売承認の決定のために欧州委員会に送付されます。

製品が承認および販売されると、EMA は安全性と有効性のさらなる評価を実施します。EMA は、科学的支援を企業にも提供し、これらの医薬品の安全性をモニタリングするシステムの設計を支援します。

ATMP を製造する企業は、製造時から患者に提供する病院または機関まで、すべての製品について追跡可能にする必要があります。病院でも、これらの治療を受けた患者のすべてを追跡可能にすることが義務付けられます。外部のドナーの場合、整備された体制により、匿名のコーディングシステムを介し、以下において完全な追跡可能性を確保する必要があります。

組織の機関:ドナーから提供先まで。
製造施設:提供先から製品まで。
病院または診療室:製品から患者まで。

追加資料

European Medicines Agency (2015).Committee for Advanced Therapies (CAT).Retrieved 3 September, 2015 from http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about_ us/general/general_content_000266.jsp
Bhalerao, N., Bhol, R., Paranjpe, G., Jadhav, S., & Bodkhe, P. (2012) Tissue engineering.Retrieved 4 September, 2015, from http://fr.slideshare.net/BhaleraoSudhir/tissue-engineeri ng-12323232
World Health Organisation (2015).Health policy and the ethical, legal, and social issues (ELSI) in genomics.Retrieved 4 September, 2015 from http://www.who.int/genomics/policy/ELSI/en/

添付文書

A2-5.08.3-v1.1