

# iPS細胞・再生医療

調査レポート

収集日: 2026年04月11日

全 10 件

自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# iPS細胞・再生医療 Weekly Report

2026年04月11日 | 10件 | 3カ国

## ■ 今週の動向

今週の「iPS細胞・再生医療」分野は、CAR-T療法の実用化と規制・開発環境の変化が主要な動向となりました。アジア太平洋地域では、韓国、台湾でCAR-T療法の適用拡大や公的償還が進み、日本でも脊髄性筋萎縮症治療薬を含む3製品が承認され、患者へのアクセス向上が加速しています。また、CAR-T療法の応用範囲はがん治療に留まらず、自己免疫疾患への可能性も示されました。一方で、iPS細胞由来製品の安全性や限定的な臨床データに対する懸念から、承認撤回を求める声も上がり、革新的な治療法を取り巻く課題も浮き彫りになった週です。

## ■ 注目トピック

### 日本3製品承認 #02

厚生労働省が脊髄性筋萎縮症治療薬ゾルゲンスマを含む3つの再生医療等製品の承認を発表し、治療選択肢が拡

### iPS承認撤回要求 #09

薬害オンプズバースン会議がiPS細胞由来製品の安全性とデータ不足を理由に承認撤回を要求しました。

### 台湾CAR-T償還 #03

台湾の国民健康保険がCAR-T療法に7億台湾ドル以上を投資し、血液がん治療の最前線に位置づけました。

### CAR-T自己免疫治療 #05

ドイツの研究者がCAR-T細胞療法で重度の自己免疫疾患を同時治療することに成功し、応用範囲の拡大を示

### In Vivo CAR-T転換 #04

韓国CarusBioがIn Vivo CAR-T療法開発へ戦略を転換し、製造課題の克服とアクセス向上

## ■ カテゴリー別動向

### CAR-T/遺伝子治療の進展 (6件) #02, #03, #04, #05, #06, #08

CAR-T療法はがん治療における高い有効性に加え、自己免疫疾患への応用可能性が示されました。アジア各国では公的償還や承認が進み、次世代型であるin vivo CAR-Tの開発も加速しています。

### 規制・アクセス・インフラ (5件) #01, #02, #03, #07, #10

日本、韓国、台湾で再生医療等製品の承認、公的償還、規制緩和が進み、患者へのアクセス向上が図られています。PMDAは再審査適合性調査の相談窓口開設や小児用医薬品開発の支援を強化し、業界インフラ整備を後押

### 安全性・R&D課題 (2件) #06, #09

iPS細胞由来製品の安全性や限定的な臨床データに対する懸念から承認撤回要求が出される一方、CAR-T製造効率化のためのT細胞体外培養技術開発は着実に進展しており、技術革新と安全性のバランスが重要なテ

## ■ 今後のロードマップ

2026年4月3日

日本で脊髄性筋萎縮症 (SMA) 治療薬ゾルゲンスマ特注を含む再

2026年4月10日

PMDAが再生医療等製品の再審査適合性調査に関する新たな相談

2026年前半

台湾国民健康保険によるCAR-T療法への7億台湾ドル超の投資

2027年まで

韓国CarusBioがin vivo CAR-Tのエンジニア

## ■ 今後の展望

今後2-3年で、CAR-T療法はがん治療の標準化が進むとともに、自己免疫疾患を含む非がん領域への応用が加速し、市場規模はCAGR 20%を超える高成長を維持すると予測されます。製造コストと物流課題を克服するため、in vivo CAR-Tのような次世代技術や効率的なT細胞培養技術の開発競争が激化し、臨床試験への移行が活発化するでしょう。アジア太平洋地域は、政府の積極的な投資と規制整備により、CGT市場の主要な成長エンジンとしての地位を確立すると見られます。しかし、iPS細胞由来製品については、長期的な安全性データと透明性に関する議論が継続し、承認プロセスにおける厳格な評価基準が業界全体に波及する可能性があります。

7億台湾ドル以上

台湾CAR-T投資額

2歳以上

日本承認SMA治療薬対象

70%

花蓮慈濟病院CAR-T生存率

# #01 CGTサミット・ソウル：韓国の細胞・遺伝子治療分野が製造、アクセス、実世界での提供へと転換

公開日 2026年04月10日 | GeneOnline | 韓国



## 概要

韓国で開催された第4回CGTイノベーション&アクセス会議アジアでは、細胞・遺伝子治療（CGT）分野が科学的発見から実用化へと移行していることが強調されました。治療法的设计だけでなく、信頼性高く大規模に運用する重要性が議論の焦点でした。韓国の改正「先進再生バイオ法」が、適格基準の拡大や有償治療経路の導入を通じてこの転換を促進していると指摘されています。この規制の柔軟性はインフラや人材育成への投資を促し、CGTを実験段階から実用段階へと移行させています。アジア太平洋地域が最速で成長するCGT市場であることも示されました。

## 詳細

### 背景

韓国ソウルで開催された第4回CGTイノベーション&アクセス会議アジアでは、細胞・遺伝子治療（CGT）分野が基礎研究から臨床応用、そして実社会での普及へとその焦点を大きく転換している現状が浮き彫りになりました。これまでのCGTは、その革新的な科学的潜在力に注目が集まっていましたが、今後は治療法を単に開発するだけでなく、いかにしてそれを信頼性高く、かつ大規模に製造し、患者に届けるかという運用面が重要視されています。

### 主要内容

会議では、CGTを実験室の域を超え、実際の医療現場で利用可能にするための課題が深く議論されました。特に、韓国の「先進再生バイオ法」の改正がこの転換を強力に後押ししている点が強調されました。この法律は、治療の対象患者を拡大し、さらに有償での治療経路を導入することで、CGTの実用化に向けた法的・経済的基盤を

強化しています。この規制緩和は、CGT関連の製造施設や専門人材の育成への投資を促し、業界全体の成長を加速させています。

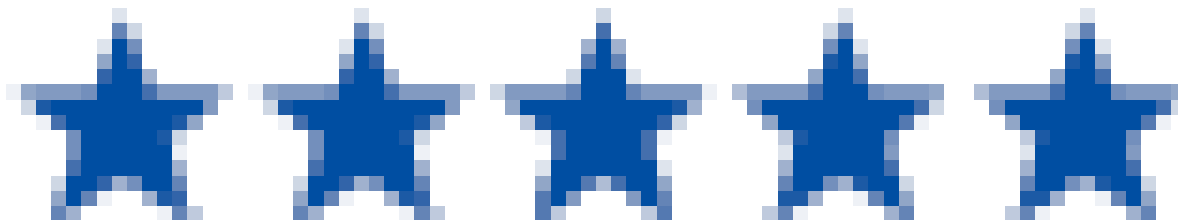
## 影響/展望

韓国の積極的な政策は、CGTの商業化と普及におけるモデルケースとなる可能性を秘めています。グローバルなCGT市場が急速に拡大する中で、特にアジア太平洋地域は、科学的進歩とシステム実装を効果的に連携させる能力により、最速の成長地域として注目されています。この傾向は、今後のCGT開発が、単なる技術革新だけでなく、製造プロセスの最適化、コスト効率の改善、そして規制環境の整備といった多角的なアプローチを必要とすることを示唆しています。将来的には、より多くの患者がこれらの革新的な治療法にアクセスできるようになることが期待されます。

//www.geneonline.com/cgt-summit-seoul-south-koreas-cell-and-gene-therapy-play-turns-to-manufacturing-access-and-real-world-delivery/

## #02 厚生労働省、2歳以上の脊髄性筋萎縮症患者向けゾルゲンスマ髄注を含む3種の再生医療等製品を承認

公開日 2026年04月05日 | ミクスOnline (MIX Online) | 日本



### 概要

厚生労働省は2026年4月3日、脊髄性筋萎縮症（SMA）治療薬ゾルゲンスマの髄注製剤（2歳以上対象）を含む、3つの再生医療等製品の承認を発表しました。これにより、2歳以上のSMA患者にも遺伝子治療の選択肢が拡大され、治療機会が広がります。また、表皮水疱症向けの脂肪組織由来幹細胞シート「アロステムシート」と、マントル細胞リンパ腫および辺縁帯リンパ腫に対するCAR-T細胞療法「プレヤンジ」の適応拡大も承認されました。これらの承認は、日本における革新的な再生医療や遺伝子治療へのアクセスを促進するものです。

### 詳細

#### 背景

2026年4月3日、日本の厚生労働省（MHLW）は、再生医療分野における画期的な進展として、3種類の再生医療等製品の製造販売を承認しました。これは、難病に対する新たな治療選択肢を提供し、患者のQOL向上に大きく寄与するものと期待されています。特に、脊髄性筋萎縮症（SMA）や希少難病である表皮水疱症、さらに治療が困難な血液がんに対する最新の細胞・遺伝子治療が承認の対象となりました。

#### 主要内容

- **脊髄性筋萎縮症（SMA）治療薬「ゾルゲンスマ髄注」の承認:**  
previously、2歳未満の乳幼児に限定されていた遺伝子治療薬ゾルゲンスマに、2歳以上のSMA患者を対象とした髄腔内投与製剤が追加承認されました。これにより、より幅広い年齢層のSMA患者が、この画期的な遺伝子治療の恩恵を受けられるようになります。ゾルゲンスマは、SMAの原因遺伝子であるSMN1を補充することで、病気の進行を抑制し、運動機能の維持・改善を目指すものです。髄腔内投与は、中枢神経系への直接的な薬物送達を可能にし、全身投与では到達しにくい部位への効果が期待されます。
- **表皮水疱症治療向け「アロステムシート」の承認:**  
イーシン・ファーマが開発した「アロステムシート」は、ヒト（同種）脂肪組織由来間葉系幹細胞シートであり、重度の皮膚脆弱性を特徴とする遺伝性疾患である表皮水疱症の治療に用いられます。この製品は、損傷した皮膚組織の再生を促し、患者の苦痛を軽減することが期待されています。幹細胞の再生能力を活用したこの治療法は、従来の対症療法に代わる新たな選択肢となるでしょう。
- **CAR-T細胞療法「プレヤンジ」の適応拡大:** プリストル・マイヤーズ  
スクイブ社のCAR-T細胞療法「プレヤンジ」は、すでに一部の血液がんに対して承認されていましたが、今回、マントル細胞リンパ腫（MCL）および辺縁帯リンパ腫（MZL）に対する適応が拡大されました。CAR-T細胞療法は、患者自身のT細胞を遺伝子改変し、がん細胞表面の特定の抗原を認識・攻撃するように再プログラムするもので、難治性の血液がんに対して高い奏効率を示します。今回の適応拡大により、より多くのリンパ腫患者がこの最先端の治療法にアクセスできるようになります。

#### 影響と展望

今回の3製品の承認は、日本が再生医療および遺伝子治療の分野で世界をリードする取り組みを加速していることを示しています。特に、SMA治療の年齢層拡大や、希少疾患への新たな幹細胞治療、そして難治性血液がん

対するCAR-T療法の適用拡大は、多くの患者とその家族に新たな希望をもたらすでしょう。しかし、これらの先進医療製品は高額になる傾向があり、医療経済における持続可能性も重要な課題となります。今後は、これらの製品の安全性と有効性を長期的に評価するための市販後調査が継続されるとともに、より多くの患者がアクセスできるような価格設定や保険償還制度の検討も求められます。日本政府と製薬企業は、これらの革新的な治療が、真に患者の利益につながるよう、連携を強化していく必要があります。

元記事: <https://www.mixonline.jp/tabid55.html?artid=80040>

## #03 台湾、CAR-T療法に7億台湾ドル以上を投入し血液がん患者に新たな希望をもたらす

公開日 2026年04月10日 | 蕃新聞 (Yam News) | 台湾



### 概要

台湾の国民健康保険（NHI）は、CAR-T細胞療法に7億台湾ドル以上を投資し、血液がん患者に新たな治療の道を開きました。この革新的な治療は、もはや「最後の希望」ではなく、急性リンパ性白血病（ALL）やびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）に対する最前線の治療へと位置づけられています。台湾のデータでは、ALL患者で1年生存率が87.5%に、DLBCL患者で64.2%に向上し、国際的な臨床試験結果を上回る好成績が報告されています。1患者あたり平均819万台湾ドルというNHIの多額の償還は、命を救い社会生産性を高めるための重要な投資を示しています。

### 詳細

#### 背景

台湾の国民健康保険（NHI）は、血液がん患者の治療に革新的なCAR-T細胞療法を導入するため、7億台湾ドル（約2200万米ドル）を超える大規模な投資を行いました。これは、従来の治療法では効果が得られなかった患者にとって、新たな命綱となることを意味します。この投資は、CAR-T療法が単なる「最後の手段」ではなく、急性リンパ性白血病（ALL）やびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）といった特定の血液がんにおいて、より早期の治療選択肢としての地位を確立しつつあることを示しています。

#### 主要内容

CAR-T細胞療法は、患者自身のT細胞を採取し、遺伝子操作によってがん細胞を特異的に認識・攻撃するよう再プログラムした後、患者の体内に戻すという高度な免疫療法です。台湾における臨床データは非常に有望であり、ALL患者の1年生存率は87.5%に（以前より10.4%向上）、DLBCL患者では64.2%に（以前より16%向上）

達しました。これらの数値は、一部の国際的な臨床試験結果をも凌駕しており、治療の有効性が強く裏付けられています。NHIによる1患者あたりの平均償還額は819万台湾ドルに上り、これは命を救い、患者の社会復帰を支援することで社会全体の生産性向上に貢献するという、台湾政府の強い意思を反映しています。

## 影響/展望

台湾のNHIによるCAR-T療法への積極的な投資は、先進医療技術の導入と、重篤な疾患を持つ患者へのアクセス保障に対するコミットメントを明確に示しています。この取り組みは、血液がん治療におけるパラダイムシフトを促進し、多くの患者に新たな希望をもたらすものです。将来的には、CAR-T療法の適応範囲がさらに拡大し、より多くの種類のがんやその他の疾患への応用が期待されます。また、高額な治療費に対する公的医療保険の役割が強調され、医療技術の進歩と医療費のバランスをどのように取っていくかという国際的な議論にも影響を与える可能性があります。台湾の成功事例は、他国が先進的な細胞・遺伝子治療を医療システムに統合する上での重要な参考となるでしょう。

元記事: <https://n.yam.com/Article/20260410381444>

## #04 韓国MDmune社、CarusBioへ社名変更しIn Vivo CAR-T治療薬開発へ戦略転換

公開日 2026年04月05日 | (Newsis) | 韓国



### 概要

韓国のバイオテクノロジー企業MDmuneが「CarusBio」に社名変更し、体内でCAR-T細胞を生成する「in vivo CAR-T」療法の専門開発企業へと戦略を転換しました。この変更は、従来の「ex vivo CAR-T」療法の高コストや製造時間の課題を克服し、よりアクセスしやすい治療法を提供する狙いがあります。CarusBioは、2027年までにエンジニアリング細胞株とCMCプロセスを確立し、臨床試験材料の生産を目指しています。同社のCEOは、in vivo CAR-Tがグローバルな競争領域であることを強調し、この次世代遺伝子治療薬デリバリー技術へのコミットメントを示しています。

### 詳細

#### 背景

韓国のバイオテクノロジー企業MDmuneは、2026年3月30日の株主総会を経て、社名を「CarusBio」に正式に変更しました。この社名変更は、同社が「in vivo CAR-T（生体内CAR-T）」療法という、次世代の遺伝子治療薬開発に特化するという戦略的な方向転換を明確に示すものです。「Carus」はラテン語で「貴重な、価値のある」を意味し、難病に苦しむ患者に希望をもたらすという同社の使命を象徴しています。

#### 主要内容

従来のCAR-T細胞療法は、患者の体外でT細胞を遺伝子改変・培養する「ex vivo CAR-T」方式が主流であり、これには高額なコストや、製造に1ヶ月以上を要する長いプロセスといった課題がありました。CarusBioが目指す「in vivo CAR-T」アプローチは、患者の体内で直接免疫細胞を再プログラミングすることを可能にするものです。これにより、あたかも通常の注射のように「既製品」として治療を提供できる可能性があり、製造コストと時間を大幅に削減し、より多くの患者へのアクセスを拡大できると期待されています。CarusBioのBae Shin-gyu CEOは、in vivo CAR-Tが世界の主要製薬企業が競い合う競争の激しい分野であることを認識しており、2027年までにエンジニアリング細胞株の開発とCMC（製造、品質管理）プロセスの確立を完了し、臨床試験材料の生産を開始する計画を明らかにしました。

## 影響/展望

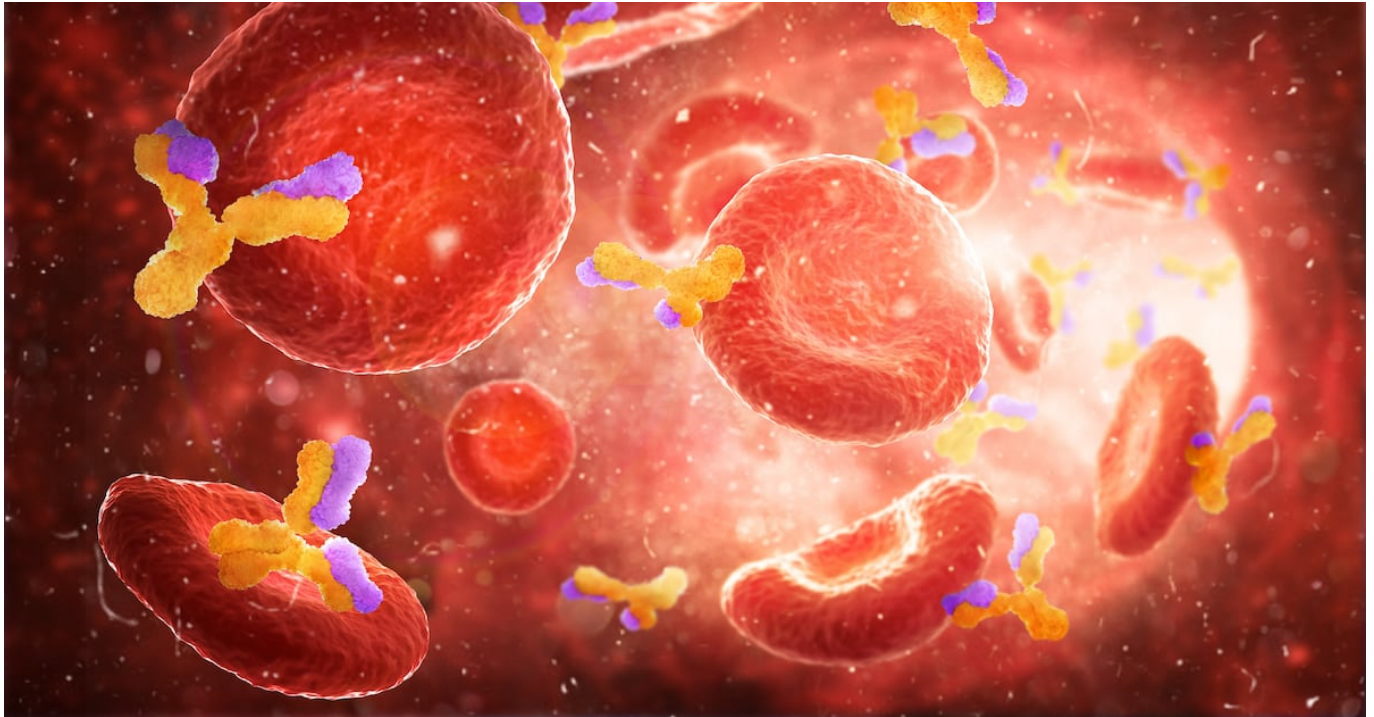
### CarusBioのin vivo

CAR-Tへのシフトは、細胞・遺伝子治療分野における大きな技術革新の方向性を示唆しています。このアプローチが成功すれば、既存のCAR-T療法の持つ物流的・経済的障壁が大幅に軽減され、より広範な患者群に高度な免疫療法が提供される可能性が生まれます。しかし、生体内での細胞改変は、その安全性や制御性に関して新たな課題も伴います。CarusBioのような企業がこの分野で先行者利益を確立できれば、将来の遺伝子治療市場における主要プレイヤーとなる可能性があります。グローバルな製薬業界全体がこの技術に注目しており、CarusBioの今後の開発動向は、次世代のがん治療戦略に大きな影響を与えることでしょう。

元記事: [https://www.newsis.com/view/NISX20260403\\_0003577354](https://www.newsis.com/view/NISX20260403_0003577354)

## #05 CAR-T細胞療法、難治性自己免疫疾患の画期的な同時治療に成功

公開日 2026年04月10日 | (Chosun Ilbo) | 韓国



### 概要

ドイツの研究者が、CAR-T細胞療法を用いて3つの自己免疫疾患に同時に苦しむ47歳の女性を治療し、画期的な成功を収めました。患者は単一の細胞治療後14ヶ月間、投薬なしで健康な生活を送っています。この治療は、患者のT細胞を遺伝子改変して異常なB細胞を標的に破壊することで、免疫システムを根本的にリセットし、事実上の治癒状態をもたらしました。この事例は、CAR-T療法ががん治療の枠を超え、重度の自己免疫疾患の根本原因を排除する新たな可能性を示すものです。

### 詳細

#### 背景

免疫システムの暴走により、自身の正常な組織を攻撃してしまう自己免疫疾患は、しばしば複数の臓器に影響を及ぼし、既存の治療法では管理が困難なケースも少なくありません。特に、複数の自己免疫疾患に同時に苦しむ患者にとって、効果的かつ根本的な治療法の開発は長年の課題でした。このような状況の中、ドイツの研究者たちが、「生きている抗がん剤」として知られるCAR-T細胞療法を自己免疫疾患の治療に応用し、画期的な成功を収めたと報告されました。

#### 主要内容

この報告では、3つの自己免疫疾患（赤血球、血小板、凝固機能に異常を来す重篤な状態）に苦しみ、10年以上にわたり寝たきりで輸血に依存していた47歳の女性患者の症例が紹介されています。研究チームは、CAR-T細胞療法を適用し、患者のT細胞を遺伝子改変して、異常な抗体を産生するB細胞（CD19タンパク質を発現）を特異的に標的・破壊するようにしました。この単一の細胞療法後、患者は14ヶ月間、薬物治療を必要とせずに健康な状態を維持しています。CAR-T療法は、単に症状を抑制するだけでなく、免疫システムを根本からリセットすることで、病気の根源を排除することに成功しました。これにより、研究者たちは「ほぼ治癒」と表現するほどの成果を達成しました。

## 影響/展望

この症例は、CAR-T細胞療法が、がん治療の枠を超えて、重篤な自己免疫疾患に対する新たな治療パラダイムを確立する可能性を示しています。これまでがん治療で培われてきた免疫細胞改変技術が、自己免疫疾患の根本的な原因である異常な免疫細胞の除去に応用できることが実証された意義は非常に大きいと言えます。これにより、難治性の自己免疫疾患に苦しむ多くの患者に新たな希望がもたらされる可能性があります。今後の課題としては、この治療法の長期的な安全性と有効性の評価、およびより広範な自己免疫疾患への適用可能性の検討が挙げられます。また、CAR-T療法は製造コストが高額であるため、自己免疫疾患への普及には経済的な側面も考慮する必要がありますが、今回の成功は、個別化医療としてのCAR-T療法が持つ無限の可能性を再確認させるものです。

元記事: <https://biz.chosun.com/science-chosun/medicine-health/2026/04/10/6ANLT7ODRVG6VBI4BWMIGE2EMA/>

## #06 国立中興大学、癌治療を支援する革新的なT細胞体外培養技術を開発

公開日 2026年04月10日 | 工商時報 (Commercial Times) | 台湾

### 概要

国立中興大学 (NCHU) は、革新的なT細胞体外培養技術を開発し、癌治療分野に貢献しています。この技術は、免疫細胞療法、特にCAR-T療法における治療用T細胞の体外での生産効率と拡張性を向上させることを目的としています。T細胞の増殖と活性度を最適化することで、より効果的でアクセスしやすい癌治療が期待されます。この開発は、現在の細胞療法製造にかかる時間とコストを削減し、様々な癌に対するT細胞ベースの免疫療法の全体的な有効性を高める可能性を秘めています。

### 詳細

#### 背景

癌治療の分野において、免疫細胞療法、特にCAR-T細胞療法は目覚ましい成果を上げていますが、その効果は体外で培養されるT細胞の質と量に大きく依存します。既存の培養技術は、コストや時間、生産効率といった課題を抱えており、これが治療の普及を妨げる要因の一つとなっていました。このような背景の中、国立中興大学 (NCHU) の研究チームは、癌治療をさらに前進させるべく、革新的なT細胞体外培養技術の開発に成功しました。

#### 主要内容

NCHUが開発した新技術は、治療に用いられるT細胞を体外でより効率的かつ大規模に増殖させることを可能にします。この技術の核心は、T細胞の最適な増殖条件と生存能力を向上させるための独自のプロトコルにあります。具体的には、細胞の活性化、増殖、そして最終的な治療効果に影響を与える様々な因子（培地組成、培養環境、細胞密度など）を最適化することで、高品質なT細胞を安定して大量に供給する道を開きました。これにより、CAR-T療法などの養子細胞移入療法における重要なボトルネックが解消され、治療の全体的な効果を高めることが期待されます。

#### 影響/展望

この国立中興大学の研究成果は、癌免疫療法の製造プロセスに大きな変革をもたらす可能性があります。T細胞の生産効率が向上することで、現在の細胞療法にかかる製造時間とコストが削減され、結果としてより多くの患者がこの先進的な治療法にアクセスできるようになるでしょう。また、高品質なT細胞の安定供給は、治療の有効性をさらに高め、様々な種類の癌に対する治療成績の改善に貢献する可能性があります。将来的には、この技術が標準的な細胞療法製造プラットフォームとして広く採用されることで、癌治療の個別化と普及が加速されることが期待されます。これは、台湾のみならず、世界の癌治療研究開発コミュニティ全体にとって重要な進展となるでしょう。

元記事: <https://www.ctee.com.tw/news/20260410701287-431204>



### 概要

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）は、再生医療等製品の再審査適合性調査に関する新たな相談窓口を開設しました。これは、承認済みの再生医療等製品の長期的な安全性と有効性を確保し、規制監督を強化するための取り組みの一環です。新設された相談サービスは、条件付き承認や期限付き承認を受けた製品の再審査プロセスにおいて、企業が市販後データを収集し、規制要件を遵守するためのガイダンスとサポートを提供します。これにより、PMDAは再生医療分野の課題に対応し、高品質な治療法の提供を確実にする狙いです。

### 詳細

#### 背景

再生医療等製品は、革新的な治療法として期待される一方で、その特性上、市販後に長期的な安全性や有効性を継続的に評価することが極めて重要です。特に、条件付き承認や期限付き承認が付与された製品については、指定された期間内にさらなる臨床データを収集し、再審査を受ける義務があります。この再審査プロセスは、製品の品質、安全性、有効性が継続的に満たされているかを検証するものであり、企業にとっては複雑かつ重要な手続きとなります。この背景を踏まえ、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）は、この再審査プロセスを円滑に進めるための支援体制の強化に着手しました。

#### 主要内容

PMDAは、2026年4月10日、再生医療等製品の「再審査適合性調査相談」を新たに設けました。この新しい相談サービスは、主に以下の目的のために設計されています。

- 規制要件の明確化:

再審査申請に必要なデータ要件や適合性調査のポイントについて、企業からの相談に応じ、適切なガイダンスを提供します。

- **市販後調査の支援:**

条件付き承認などの製品で求められる市販後データ収集計画や実施方法について、PMDAの専門家が助言を行い、効果的なデータ収集を支援します。

- **審査プロセスの効率化:**

企業が事前に疑問点を解消し、適切な準備を行うことで、再審査申請および適合性調査のプロセス全体の効率化を図ります。

- **安全性・有効性の長期確保:**

製品のライフサイクル全体を通じて、高品質と安全性を維持するための企業の取り組みを支援し、最終的に患者の利益を最大化することを目標とします。

この相談サービスは、再生医療等製品の特性を考慮し、より専門的かつ個別に対応できるよう設計されており、企業とPMDA間の円滑なコミュニケーションを促進するものです。

## 影響と展望

今回のPMDAによる新相談窓口の開設は、日本の再生医療分野における規制環境の成熟を示す重要な一歩です。再生医療等製品は、従来の医薬品とは異なる特性を持つため、その承認後も継続的な監督と評価が不可欠です。この相談サービスにより、企業は再審査プロセスにおける不確実性を軽減し、より効率的に規制要件を満たすことが可能になります。これは、製品の市場定着を支援し、革新的な再生医療が患者に安全かつ確実に提供され続けるための基盤を強化するものです。

長期的には、この取り組みが、日本の再生医療市場の信頼性を高め、国内外からの投資をさらに呼び込む効果も期待されます。PMDAは、技術の進歩に対応しながら、常に患者中心の視点に立ち、再生医療等製品の適正な評価と管理を推進していく姿勢を明確にしています。これにより、再生医療の恩恵を最大限に引き出し、社会全体の医療レベルの向上に貢献することが展望されます。

元記事: <https://www.pmda.go.jp/>

## #08 花蓮慈濟病院、CAR-T免疫細胞療法で難治性癌細胞を撃破、高い生存率を報告

公開日 2026年04月08日 | 大愛電視 (DaAi TV) | 台湾

### 概要

花蓮慈濟病院の血液腫瘍チームは、CAR-T免疫細胞療法が難治性癌細胞を克服する上で著しい成功を収めたことを報告しました。71歳のインドネシア人ボランティアは、中枢神経系リンパ腫が再発しましたが、CAR-T治療後に顕著な回復を示し、副作用も少なく10日で退院しました。同病院は2023年に東台湾初の自費CAR-T療法を、2024年には台湾初の国民健康保険適用治療を実施しており、過去2~3年間で10人のCAR-T患者において70%の生存率を達成し、世界平均の40%を上回る成果を上げています。

### 詳細

#### 背景

癌治療の進歩は目覚ましいものがありますが、特に進行性または再発性の難治性癌、とりわけ血液がんの一種であるリンパ腫などは、依然として治療が困難な課題を抱えています。このような背景の中、免疫療法の最前線であるCAR-T細胞療法は、患者自身の免疫細胞を活用して癌細胞を標的とする画期的なアプローチとして注目されています。台湾の花蓮慈濟病院は、このCAR-T療法において顕著な臨床的成功を収めており、その経験を共有しました。

#### 主要内容

花蓮慈濟病院の血液腫瘍チームは、CAR-T免疫細胞療法が難治性の癌細胞に対し非常に有効であることを複数の症例で示しました。特に注目すべきは、71歳のインドネシア人慈濟ボランティアのShi Yuda氏のケースです。彼は中枢神経系リンパ腫の再発に苦しんでいましたが、CAR-T治療を受けた結果、わずかな副作用で目覚ましい回復を遂げ、治療後10日という短期間で退院することができました。病院の説明によると、CAR-T療法は、患者から血液細胞を採取し、その中のT細胞を分離、遺伝子改変して癌細胞を攻撃するように再プログラムし、培養後に患者の体内に再注入するというプロセスを経ます。花蓮慈濟病院は、2023年に東台湾で初めて自費でのCAR-T療法を実施し、さらに2024年には台湾で初めて国民健康保険が適用されるCAR-T治療を行うなど、この分野で豊富な臨床経験を積んできました。同病院が報告する過去2~3年間における10人のCAR-T患者の生存率は70%に達しており、これは世界平均の40%を大きく上回る優れた成績です。

#### 影響/展望

花蓮慈濟病院のCAR-T療法における成功は、難治性血液がん患者に新たな希望をもたらすだけでなく、台湾における先進医療技術の導入と臨床応用におけるリーダーシップを示しています。世界平均を大きく上回る生存率は、同病院の治療プロトコルとチームの専門性の高さを裏付けています。この成功は、CAR-T療法の普及と、より多くの患者へのアクセス拡大を促進する可能性があります。将来的には、CAR-T療法の適応が他の種類のがんや疾患にも拡大され、治療効果のさらなる向上と副作用の軽減が研究されるでしょう。また、高額な治療費の問題に対する国民健康保険の適用拡大は、先進医療の公平なアクセスを保障する上で重要な役割を果たします。花蓮慈濟病院の経験は、他の医療機関がCAR-T療法を導入・最適化する上での貴重な指針となるでしょう。

元記事: <https://www.daai.tv/news/abroad/594043>

# #09 薬害オンブズパースン会議、iPS細胞由来製品「アマシェプリ」と「リハート」の承認撤回を要求

公開日 2026年04月06日 | 薬害オンブズパースン会議 (Pharmaceutical Harm Ombudsman Council) | 日本

## 概要

薬害オンブズパースン会議は、厚生労働省が2026年3月6日に条件付き承認したiPS細胞由来再生医療等製品「アマシェプリ」（住友ファーマ）および「リハート」（クオリップス）の承認撤回を強く求めました。国際的な科学誌や医療専門家からの懸念を引用し、限定的な臨床データ、iPS細胞特有のリスク（ゲノム不安定性、腫瘍形成）、そして条件・期限付き承認制度自体の問題点を指摘しています。過去の再生医療等製品の失敗事例も踏まえ、患者の安全保護と再生医療への信頼維持のため、承認の再評価が必要であると主張しています。

## 詳細

### 背景

2026年3月6日、日本の厚生労働省は、iPS細胞（人工多能性幹細胞）由来の再生医療等製品である「アマシェプリ」（住友ファーマ）と「リハート」（クオリップス）に対し、条件および期限付き承認を付与しました。これらの製品は、心不全などの重篤な疾患に対する新たな治療選択肢として大きな期待が寄せられていましたが、その承認プロセスと根拠データに対し、一部の専門家や市民団体から強い懸念が表明されていました。

### 主要内容

薬害オンブズパースン会議は、2026年4月6日付けで、これら2つのiPS細胞由来製品の承認撤回を求める意見書を発表しました。主な指摘事項は以下の通りです。

- 限定的な臨床データ:**  
承認の根拠となった臨床データが非常に限定的であり、長期的な有効性や安全性を十分に検証するには不十分であるとの批判が国際科学誌「Nature」などでも提起されています。
- iPS細胞特有のリスク:**  
iPS細胞は、その多能性ゆえに、細胞移植後にゲノムの不安定性や腫瘍形成のリスクが潜在的に存在します。これらのリスクに対する十分な評価がなされていない、あるいはリスク管理策が不十分であると指摘されています。
- 条件・期限付き承認制度の問題:**  
日本独自の条件・期限付き承認制度は、早期の患者アクセスを可能にする一方で、十分な臨床データが揃う前に承認されるため、市販後の大規模なデータ収集と長期的な安全管理が不可欠となります。しかし、過去の事例（例：「ハートシート」、「コラジェン」）において、承認後に期待された有効性・安全性が十分に示されなかった製品があり、制度運用の厳格化が求められています。

会議は、これらの製品が「再生医療の実用化」という名の下に、患者の安全性よりも開発側の利益が優先されているのではないかと強い懸念を表明し、倫理的・科学的観点からの再評価の必要性を強調しました。

### 影響と展望

薬害オンブズパースン会議による今回の承認撤回要求は、日本の再生医療分野における規制のあり方、特に「条件・期限付き承認制度」の妥当性と運用の厳格性について、改めて社会的な議論を巻き起こすものです。iPS細胞技術は極めて有望な分野である一方で、その革新性と潜在的なリスクのバランスをどう取るかは、各国の規制当局にとって共通の課題です。

この意見書は、将来の再生医療等製品の承認審査において、以下の点に影響を与える可能性があります。

- 臨床データのさらなる厳格化:** より大規模で長期的な臨床試験データの要求が強まる可能性があります。
- リスク管理計画の強化:**  
iPS細胞由来製品に特有の腫瘍形成リスクなどに対する、より包括的で実効性のあるリスク管理策が求められるでしょう。
- 制度運用の再評価:**  
条件・期限付き承認制度の趣旨は維持しつつも、市販後調査の義務付けやデータの透明性、さらに撤回基準の

明確化など、運用の見直しが検討される可能性があります。

最終的には、患者の安全を最優先し、科学的根拠に基づいた厳格な審査が行われることで、再生医療への国民の信頼が維持・向上されることが期待されます。今回の指摘は、日本の再生医療が持続的に発展していく上で、極めて重要な警鐘と捉えるべきです。

www.yakugai.gr.jp/topics/file/iPS\_saibou\_seihin\_AMCHEPRY\_RiHEART\_shounintorikeshi\_hokentekiyouwoshinai\_kotowomotmeru\_ikensho.pdf



## 概要

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）は、小児用医薬品の開発計画確認相談に関する実施要綱を改訂しました。この改正は、小児患者のニーズに合わせた医薬品開発プロセスを効率化し、改善するための継続的な取り組みの一環です。改訂されたガイドラインは、遺伝子治療や細胞治療といった先進医療を含む小児用医薬品の開発を行う製薬企業や研究者に対し、より明確な経路と支援を提供することを目的としています。PMDAは、相談体制を強化することで、安全で効果的な小児用治療薬の開発を促進し、小児患者への治療選択肢の拡大を目指します。

## 詳細

### 背景

小児の疾患は成人とは異なる特性を持つことが多く、その治療には年齢や体重に合わせた適切な医薬品の開発が不可欠です。しかし、小児用医薬品の開発は、対象患者数の少なさや倫理的な配慮、臨床試験実施の難しさなどから、これまで十分に進んでいないのが現状でした。特に、遺伝子治療や細胞治療といった先進医療は、希少な小児疾患に対する画期的な治療法として期待されていますが、その開発にはさらなる支援が必要です。このような状況を受け、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）は、小児用医薬品の開発促進に向けた取り組みを強化してきました。

### 主要内容

2026年4月10日、PMDAは「小児用医薬品開発計画確認相談」の実施要綱を改正したことを発表しました。この改正の主な目的は、小児用医薬品の開発プロセスをより円滑かつ効率的にし、製薬企業や研究者が直面する課題を軽減することにあります。

- **明確なガイダンスの提供:**

改正要綱では、小児用医薬品開発計画の策定にあたっての具体的な考慮事項や、PMDAへの相談内容、提出資料の要件などがより詳細かつ明確に示されています。これにより、開発者は初期段階から適切な計画を立案しやすくなります。

- **先進医療への対応強化:**

遺伝子治療や細胞治療といった、小児の希少疾患に適用されることが多い先進医療の開発に対しても、特有の課題に対応できるよう、専門的な視点からの相談支援を強化する内容が盛り込まれています。

- **効率的な開発経路の促進:**

事前相談を通じて、開発計画の初期段階からPMDAと密接に連携することで、開発の遅延リスクを低減し、より迅速かつ倫理的な医薬品開発を促進します。

- **国際的な調和の推進:**

小児用医薬品開発における国際的なガイドラインや動向も考慮に入れ、日本の制度が国際的な基準と調和するよう努めています。

この改正により、開発者はより早い段階でPMDAの専門的知見を活用し、小児用医薬品の開発を効率的に進めることが可能となります。

## 影響と展望

今回のPMDAによる実施要綱の改正は、日本の小児医療における大きな前進を意味します。これまで治療選択肢が限られていた小児患者、特に希少疾患を持つ子どもたちにとって、安全で効果的な医薬品がより早く届けられる可能性が高まります。

具体的な影響としては、以下の点が挙げられます。

- **開発インセンティブの向上:**

開発プロセスが明確化され、PMDAからの支援が強化されることで、製薬企業やアカデミアが小児用医薬品の開発に積極的に取り組むインセンティブが高まります。

- **治療ギャップの解消:**

小児特有のニーズに対応した医薬品の開発が加速することで、アンメット・メディカル・ニーズの解消に貢献し、小児患者のQOL向上に直結します。

- **先進医療の普及促進:**

遺伝子・細胞治療といった最先端医療の小児への適用がよりスムーズになり、希少疾患の治療法開発に拍車がかかるでしょう。

PMDAのこの取り組みは、技術革新が急速に進む医薬品開発の現状において、最も脆弱な立場にある小児患者の利益を最優先するという強い意思を示すものです。今後、この制度改正が実を結び、多くの小児患者に希望がもたらされることが期待されます。

元記事: <https://www.pmda.go.jp/>