

**再生医療等の安全性の確保等に関する法律案
及び
薬事法等の一部を改正する法律案
説明資料**

再生医療の現状について

- 再生医療の特性を踏まえ、迅速に実用化を進めるルールが必要。
- 臨床研究から自由診療まで多様なものが混在する中、良質な再生医療の研究開発が進むよう、再生医療の安全面のルール化が課題。（山中教授はじめ、再生医療学会もルール化を強く要請）

自由診療 (ルール無し)

民間クリニック等で、脂肪幹細胞を用いる豊胸術やがんに対する細胞免疫療法などを実施。

自由診療のため、どのような治療が行われているか実態が不明。

幹細胞投与後の死亡事例や、無規制の日本へ海外から幹細胞を持ち込んで多数投与などの事例がある。

臨床研究 (ガイドライン)

大学病院等で、病気の解明や治療法開発を目的とし、幹細胞を投与する研究を実施。

厚労省のガイドライン(大臣告示。法的根拠無し)に基づき、厚労大臣の審査を受けて実施。

臨床開発段階のもの: 90件

【臨床研究中: 84件】

体性幹及びiPS細胞(H25.7現在)

*ES細胞は国内未実施(海外4件)

*iPS細胞は国内1件、海外では未実施

製造販売 (薬事法)

製品としての販売を目的として2件承認

【薬事承認された製品: 2件】

- ・自家培養表皮(H19承認)
- ・自家培養軟骨(H24承認)

【治験中: 6件】

製品としての販売を目的としてヒトを対象に実施する(臨床)試験(H25.7現在)

例: 虚血性心筋症に対する心筋シートを用いた治療(テルモ)

今後の再生医療の実用化を促進する制度的枠組みのイメージ

再生医療を国民が迅速かつ安全に受けるための総合的な施策の推進に関する法律
【議員立法】5月10日公布

再生医療の研究開発から実用化までの施策の総合的な推進を図る

自由診療

臨床研究

製造販売

再生医療等安全性確保法案

【5月24日国会提出】

再生医療等の安全性の確保等を図るため、再生医療等の提供機関及び細胞培養加工施設についての基準を新たに設ける。

薬事法改正法案【5月24日国会提出】

再生医療の実用化に対応できるよう、再生医療等製品の特性を踏まえた承認・許可制度を新設するため、改正を行う。

迅速性

細胞培養加工について、医療機関から企業への外部委託を可能に

再生医療等製品の特性に応じた早期承認制度の導入

安全性

再生医療等のリスクに応じた三段階の提供基準と計画の届出等の手続、細胞培養加工施設の基準と許可等の手続を定める

患者への説明と同意、使用の対象者に関する事項の記録・保存など市販後の安全対策

安全な再生医療を迅速かつ円滑に

多くの製品を、より早く

再生医療等の安全性の確保等に関する法律案の概要

趣 旨

再生医療等の迅速かつ安全な提供等を図るため、再生医療等を提供しようとする者が講ずべき措置を明らかにするとともに、特定細胞加工物の製造の許可等の制度等を定める。

法案の内容

1. 再生医療等の分類

再生医療等について、人の生命及び健康に与える影響の程度に応じ、「第1種再生医療等」「第2種再生医療等」「第3種再生医療等」に3分類して、それぞれ必要な手続を定める。

※ 分類は、細胞や投与方法等を総合的に勘案し、厚生科学審議会の意見を聴いて厚生労働省令で定めるが、以下の例を想定。第1種:iPS細胞等、第2種:体性幹細胞等、第3種:体細胞等。

2. 再生医療等の提供に係る手続

- 第1種再生医療等 提供計画について、特定認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。一定期間の実施制限期間を設け、その期間内に、厚生労働大臣が厚生科学審議会の意見を聴いて安全性等について確認。安全性等の基準に適合していないときは、計画の変更を命令。
- 第2種再生医療等 提供計画について、特定認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。
- 第3種再生医療等 提供計画について、認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。
※ 特定認定再生医療等委員会は、特に高度な審査能力と第三者性を有するもの。
※ 第1種再生医療等、第2種再生医療等を提供する医療機関については、一定の施設・人員要件を課す。

3. 適正な提供のための措置等

- インフォームド・コンセント、個人情報保護のための措置等について定める。
- 疾病等の発生は、厚生労働大臣へ報告。厚生労働大臣は、厚生科学審議会の意見を聴いて、必要な措置をとる。
- 安全性確保等のため必要なときは、改善命令を実施。改善命令違反の場合は再生医療等の提供を制限。保健衛生上の危害の発生拡大防止のため必要なときは、再生医療等の提供の一時停止など応急措置を命令。
- 厚生労働大臣は、定期的に再生医療等の実施状況について把握し、その概要について公表する。

4. 特定細胞加工物の製造の許可等

- 特定細胞加工物の製造を許可制(医療機関等の場合には届出)とし、医療機関が特定細胞加工物の製造を委託する場合には、許可等を受けた者又は届出をした者に委託しなければならないこととする。

施行期日

薬事法等の一部を改正する法律の施行の日(公布の日から1年を超えない範囲内において政令で定める日)4

再生医療等安全性確保法案の枠組みの対象となる医療の範囲

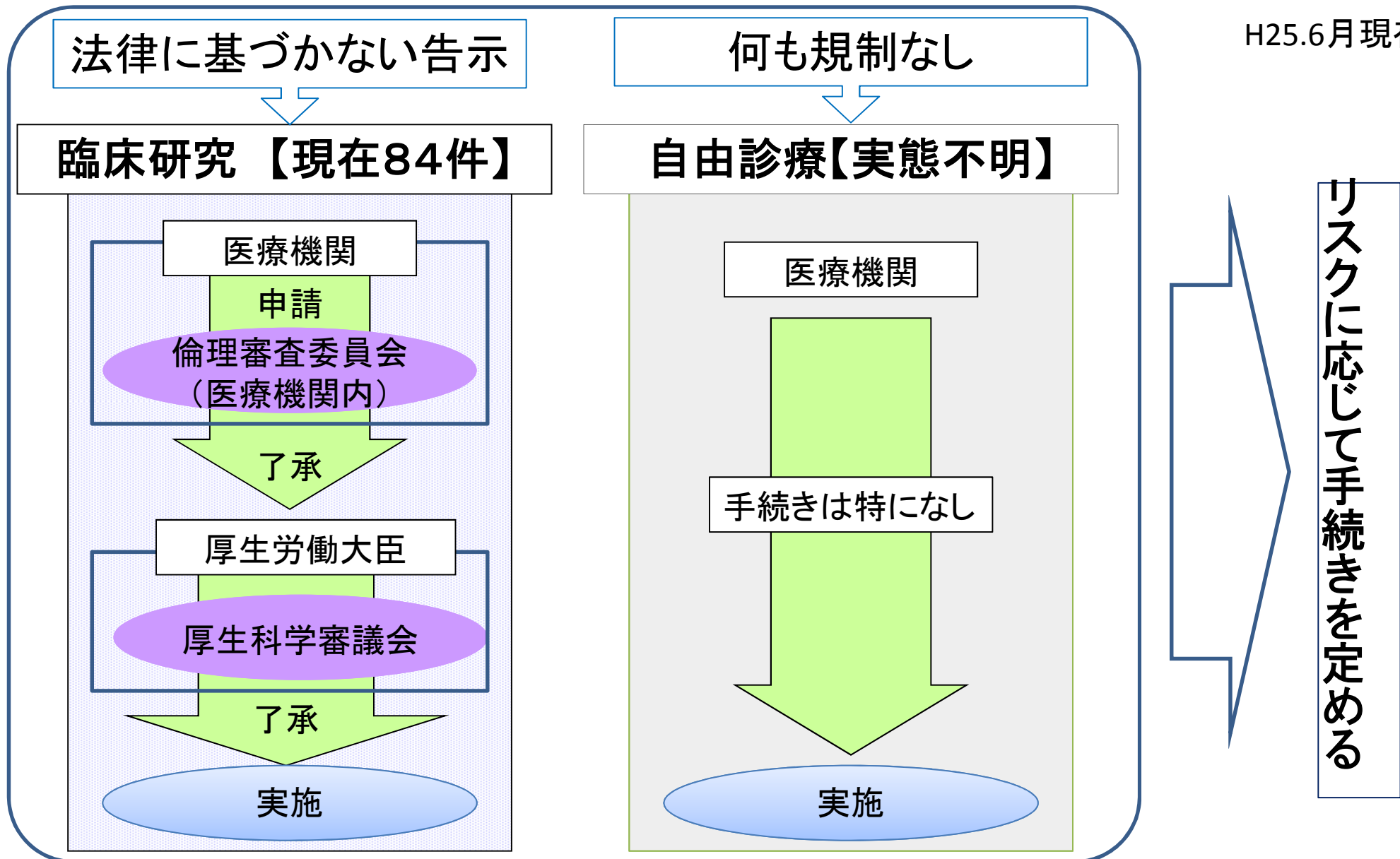
		細胞を用いる		細胞を用いない	
		治療目的の医療	治療目的でない医療	治療目的の医療	治療目的でない医療
臓器・組織の再生※を目的とするかどうか	目的とする	<p><幹細胞を使用></p> <ul style="list-style-type: none"> ・iPS細胞 ・ES細胞 ・体性幹細胞 <p>を使用するヒト幹指針対象研究</p> <p><幹細胞以外の細胞を加工し使用></p> <ul style="list-style-type: none"> ・自家培養表皮(ジェイス[®]) ・自家培養軟骨(ジャック[®]) 	<p><幹細胞を使用></p> <ul style="list-style-type: none"> ・脂肪幹細胞による豊胸手術 	<p><増殖因子、サイトカイン等の液性因子></p> <p>①薬事承認されているもの</p> <ul style="list-style-type: none"> ・副腎皮質ステロイド ・顆粒球コロニー刺激因子(G-CSF) <p>②薬事承認されていないもの</p> <ul style="list-style-type: none"> ・血管内皮細胞増殖因子(VEGF) ・濃厚血小板血漿 ・幹細胞培養液 など <p><細胞外基質や人工物等の足場></p> <ul style="list-style-type: none"> ・ヒアルロン酸、コラーゲン など <p><外科的手技を用いた組織の修復></p> <ul style="list-style-type: none"> ・外科的縫合 ・人工大腿骨頭 ・レーシック 	<ul style="list-style-type: none"> ・シリコンバッグ等を用いた豊胸手術 ・ヒアルロン酸等を用いたしわ取り
	目的としない	<p><幹細胞を使用></p> <ul style="list-style-type: none"> ・間葉系幹細胞を使用するGVHD(移植片対宿主病)に対する治療薬 <p><幹細胞以外の細胞を加工し使用></p> <ul style="list-style-type: none"> ・リンパ球活性化療法 ・樹状細胞療法 	—	<p><通常医薬品による疾病の治療>(大多数のもの)</p> <ul style="list-style-type: none"> ・降圧薬 ・抗血糖薬 ・・・・ 	<ul style="list-style-type: none"> ・二重まぶたの手術

※臓器・組織の再生を目的とするかどうかであって、実際に再生するかどうかは実施前には不明なものも含む。

【参考】 薬事法改正案における再生医療等製品には、患者から取り出した細胞に体外で遺伝子を導入(加工)し、体内に戻すケースと同様に、患者の体内で細胞に遺伝子を導入するケースを含む。

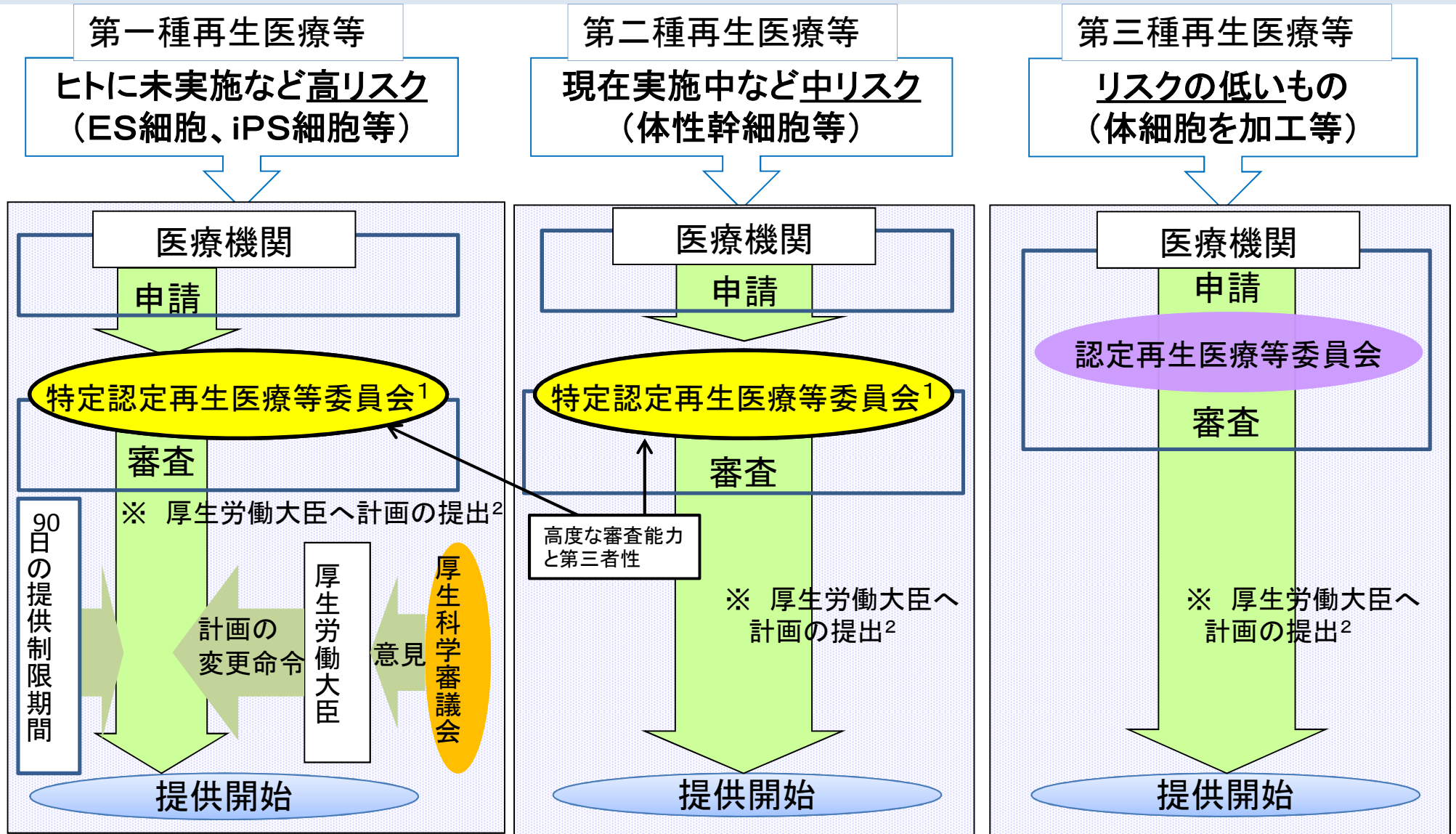
再生医療等の規制の現状と対応方針

H25.6月現在



(注)再生医療等以外の臨床研究についても、臨床研究に関する倫理指針(厚生労働大臣告示)により、医療機関が設置する倫理審査委員会による計画の審査が行われている。

リスクに応じた再生医療等提供の手続き



(注1)「認定再生医療等委員会」とは、再生医療等技術や法律の専門家等の有識者からなる合議制の委員会で、一定の手続により厚生労働大臣の認定を受けたものをいい、「特定認定再生医療等委員会」は、認定再生医療等委員会のうち、特に高度な審査能力、第三者性を有するもの。

(注2) 厚生労働大臣への提供計画の提出の手続を義務付ける。提供計画を提出せずに再生医療等を提供した場合は、罰則が適用される。

第一種再生医療等技術、第二種再生医療等技術、第三種再生医療等技術の指定イメージ

※【参考】として挙げた例は、あくまでも、現時点のイメージであり、具体的には厚生科学審議会で検討

リスク要因	安全性確保対策の必要度	【参考】 現時点における分類のイメージ(一例)		
		(リンパ球)	(脂肪幹細胞)	(iPS細胞、ES細胞)
①投与細胞のリスク要因 (原材料・調製過程・最終細胞調製品における新規性、純度、均質性、恒常性、安定性等)	高 (第一種再生医療等技術)	・ <u>遺伝子導入リンパ球</u> を用いた各種がん治療(新規性が高い、最終細胞調製品の均質性が低い、自家移植)	・ <u>自己脂肪幹細胞</u> を用いた腎疾患治療(新規性が極めて高い、自家移植、non-homologous use)	・ <u>iPS細胞/ES細胞由来製品</u> を用いた再生医療等(新規性が極めて高い)
	中 (第二種再生医療等技術)		・ <u>自己脂肪幹細胞</u> を用いた豊胸術、再建術(自家移植、homologous use)	
	低 (第三種再生医療等技術)	・ <u>活性化リンパ球</u> を用いた従来の各種癌治療(実施経験多い、自家移植)		

○リスク要因①②を総合的に考慮し、安全性確保対策の必要度を高・中・低に分類する。

○上記の考え方を前提として、個別の医療の具体的なリスクの分類は、厚生科学審議会により審議し、予め定める。

○リスクは科学技術の進歩により変わりうるため厚生科学審議会の意見を踏まえ不断の見直しを行う。

再生医療等安全性確保法案による細胞培養加工の 外部委託(薬事法と再生医療等安全性確保法案)イメージ図

臨床研究・自由診療

再生医療等安全性確保法

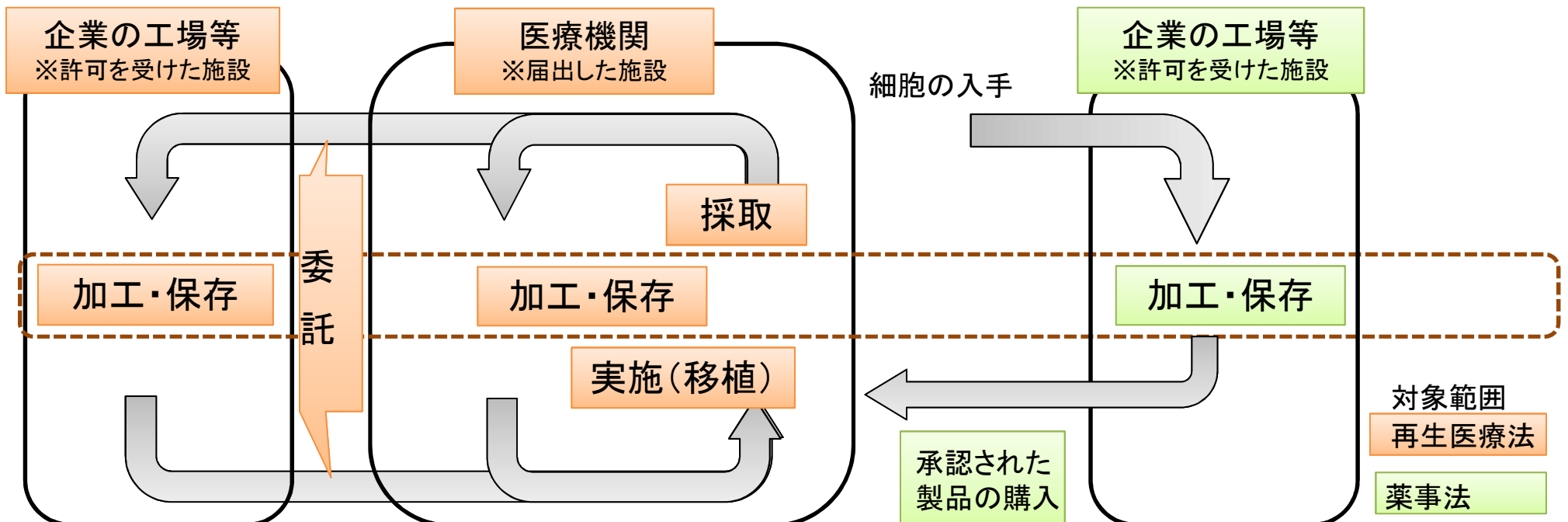
医療として提供される再生医療等について、採取等の実施手続き、再生医療等を提供する医療機関の基準、細胞を培養・加工する施設の基準等を規定し、安全性等を確保。

再生医療等製品

薬事法

再生医療等製品の製造所の基準等を規定し、再生医療製品の有効性、安全性を確保。

※ 本法律案に基づき医師の責任の下で実施される細胞の培養・加工の委託については、薬事法の適用外。



薬事法等の一部を改正する法律案の概要

医薬品、医療機器等の安全かつ迅速な提供の確保を図るため、添付文書の届出義務の創設、医療機器の登録認証機関による認証範囲の拡大、再生医療等製品の条件及び期限付承認制度の創設等の所要の措置を講ずる。

I 法律案の概要

1 医薬品、医療機器等に係る安全対策の強化

- (1) 薬事法の目的に、保健衛生上の危害の発生・拡大防止のため必要な規制を行うことを明示する。
- (2) 医薬品等の品質、有効性及び安全性の確保等に係る責務を関係者に課す。
- (3) 医薬品等の製造販売業者は、最新の知見に基づき添付文書を作成し、厚生労働大臣に届け出るものとする。

2 医療機器の特性を踏まえた規制の構築

- (1) 医療機器の製造販売業・製造業について、医薬品等と章を区分して規定する。
- (2) 医療機器の民間の第三者機関による認証制度を、基準を定めて高度管理医療機器にも拡大する。
- (3) 診断等に用いる単体プログラムについて、医療機器として製造販売の承認・認証等の対象とする。
- (4) 医療機器の製造業について、許可制から登録制に簡素化する。
- (5) 医療機器の製造・品質管理方法の基準適合性調査について、合理化を図る。

3 再生医療等製品の特性を踏まえた規制の構築

- (1) 「再生医療等製品」を新たに定義するとともに、その特性を踏まえた安全対策等の規制を設ける。
- (2) 均質でない再生医療等製品について、有効性が推定され、安全性が認められれば、特別に早期に、条件及び期限を付して製造販売承認を与えることを可能とする。

4 その他

薬事法の題名を「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」に改めるほか、所要の改正を行う。

II 施行期日

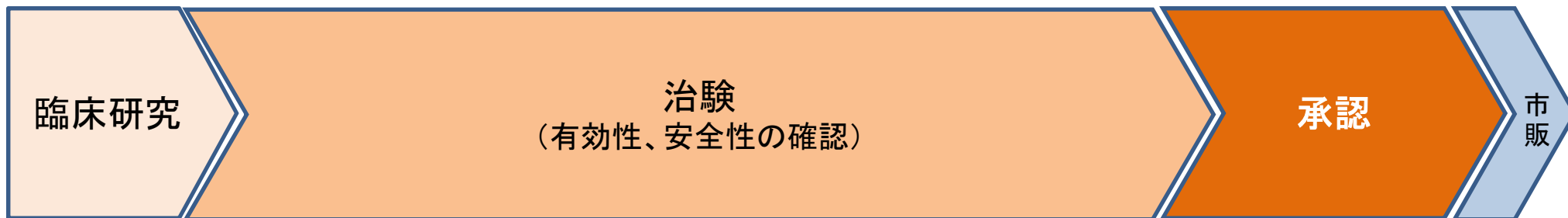
公布の日から1年を超えない範囲内において政令で定める日

再生医療等製品の実用化に対応した承認制度(条件・期限付承認)

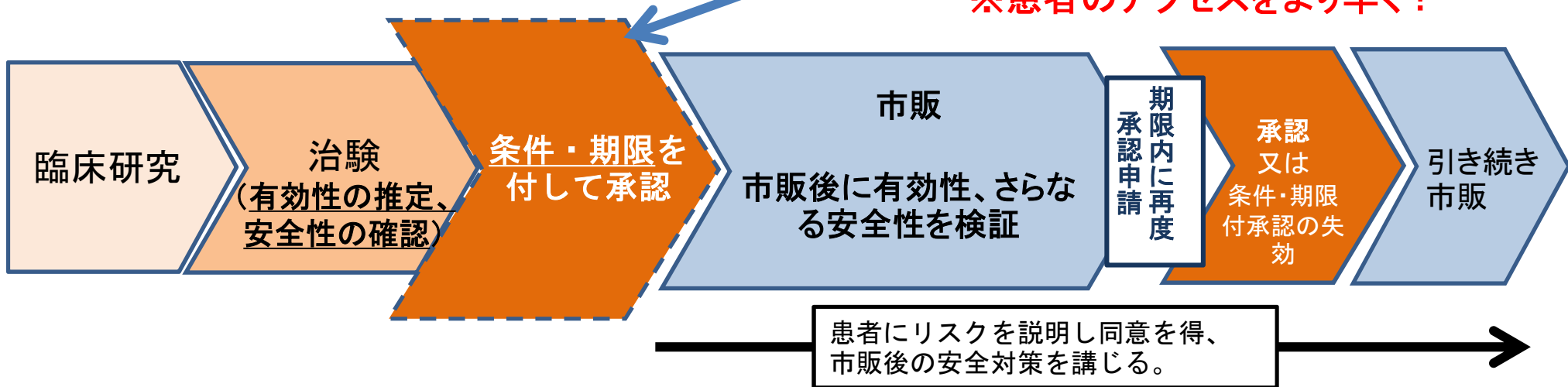
＜再生医療等製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点＞

人の細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。

【従来の承認までの道筋】



【再生医療等製品の早期の実用化に対応した承認制度】



- ・有効性については、一定数の限られた症例から、従来より短期間で有効性を推定。
- ・安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。