

再生医療等安全性確保法の施行後5年の 検討に関する論点と検討の方向性（案）

目次

各論点の検討の方向性（案）

1. 医療技術の変化への対応

- ① in vivo遺伝子治療に対する規制 ----- p 3
- ② ゲノム編集技術について ----- p 8
- ③ 再生医療等技術のリスク分類・適用除外範囲について ----- p12

2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

- ④ 再生医療等の有効性の確認 ----- p17
- ⑤ 再生医療等の安全性の担保・再生医療等を提供する医療機関や医師又は歯科医師の
適正性の担保 ----- p22
- ⑥ 認定再生医療等委員会の質の担保 ----- p27
- ⑦ 細胞培養加工施設の質の担保 ----- p31

3. 再生医療等に係る研究の推進

- ⑧ 法に基づく手続の緩和・改善 ----- p35
- ⑨ その他再生医療等の研究の推進 ----- p39

今後の検討の進め方（案） ----- p43

1. 医療技術の変化への対応

- ① in vivo遺伝子治療に対する規制

① in vivo遺伝子治療に対する規制

現状・課題

(現行の法制度)

- ▶ 再生医療法においては、細胞加工物を用いる医療が規制の対象となっている。
 - ・細胞の加工物を用いる遺伝子治療（いわゆるex vivo遺伝子治療）→再生医療法の対象
 - ・細胞の加工物を用いない遺伝子治療（いわゆるin vivo遺伝子治療）→再生医療法の対象外
- ▶ 臨床研究として行うin vivo遺伝子治療は、臨床研究法及び遺伝子治療等臨床研究に関する指針による規制の対象となるが、自由診療として行われる場合には規制がない。
※ 国内で自由診療として行われているin vivo遺伝子治療は、インターネット検索のみで把握できたもので66件（平成30年11月～平成31年3月 厚生労働省予算事業）
- ▶ また、医薬品医療機器等法においては、「人又は動物の細胞に導入され、これらの体内で発現する遺伝子を導入させたもの」として、in vivo遺伝子治療を行うものが「再生医療等製品」の定義に含まれている。

(ex vivo遺伝子治療と比較したin vivo遺伝子治療のリスク)

- ▶ in vivo遺伝子治療のリスクとしては、ex vivo遺伝子治療と同様に、用いるウイルス等や遺伝子操作に関する安全面や倫理面の課題、遺伝子操作による後世への遺伝的影響、用いるウイルス等による周囲環境への影響等が挙げられている。
- ▶ 日本遺伝子細胞治療学会からは、日本で承認されていない遺伝子治療が、臨床研究や治験ではなく自由診療として実施されていることについて、懸念を示す注意喚起がなされている。

① in vivo遺伝子治療に対する規制

これまでいただいた主な意見

- ▶ in vivo遺伝子治療に対して規制がないのは大きな問題である。薬事と同様に、法律により規制すべきではないか。
- ▶ 法律で規制することにより、用いるウイルスベクターの製造工程等を把握できるようになるため、安全性が十分に担保されていないもの等が排除されるというメリットもあるのではないか。
- ▶ ex vivo遺伝子治療とin vivo遺伝子治療に対する規制の程度を分けることに合理性はないのではないか。（日本遺伝子細胞治療学会）
- ▶ 特にベクターについては、ex vivo遺伝子治療もin vivo遺伝子治療も同じ品質が求められるが、現在は再生医療法と遺伝子治療等臨床研究指針での評価基準が異なっており、同じ評価をしていけるように検討することも必要ではないか。
- ▶ 医薬品医療機器等法に合わせて、再生医療法にin vivo遺伝子治療を取り込むべきではないか。（日本遺伝子細胞治療学会）

① in vivo遺伝子治療に対する規制

これまでいただいた主な意見

- ▶ 医薬品医療機器等法と再生医療法では規制の視点が違うので、in vivo遺伝子治療を再生医療法に取り込むのは難しいのではないか。
- ▶ 細胞培養加工施設においてウイルスベクターは扱いつらいため、in vivo遺伝子治療に用いるベクターの製造を受託できる施設は少ないと考えられる。また、ベクターの製造施設自体も少ないと考える。(FIRM)
- ▶ ベクターは、細胞加工物と比較して製造管理及び品質管理が難しい実態がある。
- ▶ in vivo遺伝子治療に限らず、エクソソームなどについても、リスクがあるのならば、将来的には何らかの規制を検討する必要があるかもしれない。一方、再生医療法で対応する場合には定義から変える必要があり、難しいのではないか。
- ▶ in vivo遺伝子治療の取扱いについては、海外事例の情報収集や遺伝子細胞治療学会との協力を行いながら、ワーキンググループなどで検討する必要があるのではないか。

① in vivo遺伝子治療に対する規制

これまでの議論を踏まえた検討の方向性（案）

- ▶ in vivo遺伝子治療については、診療として行われる場合を含め、何らかの法的枠組みを設ける方向で検討すべきである。
- ▶ 具体的には、対象とする技術の範囲、当該医療の提供にあたって求める手続、使用するウイルスベクター等の安全性確保対策などについて、遺伝子治療の専門的な見地から、今後議論を継続すべきである。
- ▶ なお、検討にあたっては、現在の再生医療等安全性確保法が細胞加工物を用いた医療技術を対象とする一方で、in vivo遺伝子治療は細胞加工物を用いる医療技術ではないため、同法の枠組みを単純に活用できないことには留意が必要である。

1. 医療技術の変化への対応

② ゲノム編集技術について

② ゲノム編集技術について

現状・課題

(現行の法制度)

- ▶ 再生医療法施行規則第2条第2号において、「遺伝子を導入する操作を行った細胞又は当該細胞に培養その他の加工を施したものをを用いる医療技術」は、第一種再生医療等技術に該当する旨が規定されている。
- ▶ 一方、ゲノム編集技術については、その定義に含まれておらず、第三種再生医療等技術に分類される。

(従来の遺伝子導入技術と比較した、ゲノム編集技術のリスク)

- ▶ ゲノム編集技術は急速に進展しており、そのリスクについてはまだ十分に明らかになっていないものの、従来の遺伝子導入技術と同様に、遺伝子操作に関する安全面や倫理面の課題、遺伝子操作による後世への遺伝的影響等のリスクがあることが想定される。

② ゲノム編集技術について

これまでいただいた主な意見

- ▶ ゲノム編集技術を用いた再生医療等は、第一種再生医療等技術に含めるべき。
- ▶ ゲノム編集技術は、遺伝子操作技術の1つであることから、従来の遺伝子導入を伴う遺伝子操作技術と同様に規制をするべき。（日本遺伝子細胞治療学会）
- ▶ 個別のゲノム編集技術ごとのリスクについても議論するべき。
- ▶ 具体的なリスクの評価方法や審査基準についても検討が必要であり、in vivo遺伝子治療の法的枠組みについて検討するワーキンググループが立ち上がるなら、その中で議論ができれば良い。

② ゲノム編集技術について

これまでの議論を踏まえた検討の方向性（案）

- ▶ 現在第三種再生医療等に分類されているゲノム編集技術については、早急に第一種再生医療等に分類すべきである。
- ▶ その上で、具体的なリスクの評価方法、認定再生医療等委員会における審査の際の考え方などについては、専門的な見地から、検討すべきである。

1. 医療技術の変化への対応

- ③ 再生医療等技術のリスク分類・適用除外範囲について

③ リスク分類・適用除外範囲について

現状・課題

リスク分類について

(現行の法制度)

- ▶ 再生医療法においては、再生医療等技術をリスクに応じて第一種から第三種の三段階に分類し、リスクに応じた手続を課している。
 - ・ 第一種再生医療等：iPS細胞やES細胞、他家細胞を用いた医療技術、ex vivo遺伝子治療など
 - ・ 第二種再生医療等：体性幹細胞や細胞の相同利用ではない医療技術 など
 - ・ 第三種再生医療等：第一種・第二種以外。多血小板血漿（PRP）を用いた医療技術（相同利用のもの）など

(リスク分類に係る課題)

- ▶ 法制定時と比較し、再生医療等研究が進展したこと等により、再生医療等に伴うリスクの程度等が明らかとなってきたことなどから、現在のリスク分類が適切ではない再生医療等が存在する可能性がある。

適用除外範囲について

(現行の法制度)

- ▶ 再生医療法においては、薬事承認された再生医療等製品のみを薬事承認の内容に従い用いる医療技術や、輸血、造血幹細胞移植、生殖細胞を用いる医療技術等は、再生医療等技術に該当しないこととされている。
- ▶ 一方、法の施行以降、特定細胞加工物を製造する医療機器が薬事承認を受けるに至っているが、当該医療機器によって製造された特定細胞加工物を用いる医療技術は、再生医療等技術に該当し、再生医療法が適用される。
- ▶ また、今後、再生医療等技術が医療技術として保険収載されたとしても、当該医療技術に用いる特定細胞加工物が再生医療等製品として薬事承認されない限りは、再生医療法が適用される。

③ リスク分類・適用除外範囲について

これまでいただいた主な意見

リスク分類・適用除外範囲の見直し全般について

- ▶ リスクだけでなく有効性も合わせて考える必要がある。
- ▶ リスク分類・適用除外範囲の見直しについては、判断が難しく、ワーキンググループなどで専門家に議論いただいてはどうか。

薬事承認された医療機器で製造される特定細胞加工物を用いた医療技術全般について

- ▶ 取得している適応症の範囲で使用するのであれば、再生医療法の適用を除外することが合理的ではないか。
- ▶ リスクが低いことが想定されるので、第4種再生医療等を作るなどしてもよいのではないか。
- ▶ 血液を原材料とするものについては、採血時の細菌感染や対象疾患との兼ね合い（免疫抑制剤の使用等）、長期保存した場合の感染症リスク等を考慮すると、一概にリスクが低いとは言い切れないのではないか。
- ▶ 血液法の採血基準と齟齬がないか確認してはどうか。

PRPについて ※薬事承認された医療機器で製造されるものと、そうでないものの双方を含む。

- ▶ PRPについては、使用経験が豊富で、リスクが低いことが想定されるので、第4種再生医療等を作るなどしてもよいのではないか。
- ▶ 現在予算事業として実施している再生医療臨床研究促進基盤整備事業で集積しているPRPのデータを評価し、安全性が示されれば、PRPを用いた再生医療等を第4種再生医療等とする方針もあるのではないか。
- ▶ PRPは手で操作して製造すると無菌性が担保されないので、リスクを考えると現状の第3種のままで良いと考える。一方で、薬事承認された閉鎖系の医療機器で製造されたPRPを用いる場合には、再生医療法の範囲とせず、医療機器で無菌性を担保していくという方法もあるのではないか。

③ リスク分類・適用除外範囲について

これまでいただいた主な意見

保険収載された再生医療等技術について

- ▶ 医薬品医療機器等法で承認を受けていない場合であっても、再生医療等技術が保険収載された場合には、保険適用の範囲内であれば再生医療法から除外しても良いのではないかと。
- ▶ 研究でエビデンスを取った後の出口戦略として、医薬品医療機器等法下で治験を経て製品化（再生医療等製品）を目指すのみではなく、そのまま再生医療法下で医療技術（再生医療等技術）として進む道もあるのではないかと。（FIRM）

他家細胞を用いた医療技術について

- ▶ 自家・他家という特徴に応じて適した出口戦略が想定できる。例えば他家細胞（1種）については、新規の再生医療等製品開発につなげやすい。こういった特徴もふまえた手続の緩和等、研究が行いやすい環境を整えても良いのではないかと。（FIRM）

③ リスク分類・適用除外範囲について

これまでの議論を踏まえた検討の方向性（案）

リスク分類・適用除外範囲の見直し全般について

- ▶ 現在得られている知見や法の運用状況に照らして、法の適用除外範囲や再生医療等技術のリスク分類が適切であるか、各リスク階層の手続きが適切であるかについて、当該技術のリスクと手続きに係る負担等を比較衡量しつつ、専門的な見地から検討すべきである。
- ▶ 検討にあたっては、細胞の種類や投与部位・投与方法等によるリスク要因（造腫瘍性、免疫原性、感染等）、原材料となる細胞の入手方法や特定細胞加工物の製造方法等を加味し、検討対象となる医療技術のリスクについて、慎重に検討すべきである。

特に検討を行うべき再生医療等技術について

- ▶ **薬事承認された医療機器を用いて製造される特定細胞加工物・PRPを用いた再生医療等技術**
 - ・ 薬事承認された医療機器を用いて製造される特定細胞加工物を用いた再生医療等技術のうち、閉鎖式の医療機器を用いて製造され、薬事承認において対象疾患や使用方法が限定されているものについては、承認の範囲内で用いた場合には、法の適用を除外する、又は、法の適用範囲内としたまま、第4種再生医療等技術として手続きを緩和することを検討すべきである。
 - ・ 薬事承認された医療機器を用いて製造される特定細胞加工物のうち、上記以外のものや、承認された医療機器を用いずに製造されるPRPを用いた再生医療等技術については、第4種再生医療等技術とするなど、手続きを緩和することやC P Cの基準を緩和することが妥当か否かについて、検討すべきである。検討に当たっては、当該医療技術のリスクや有効性について考慮すべきである。
- ▶ **保険収載された再生医療等技術**
 - ・ 保険収載された再生医療等技術について、法の適用を除外することを検討すべきである。
- ▶ **他家細胞を用いた医療技術その他の再生医療等医療技術**
 - ・ 上記のほか、現在、第一種再生医療等技術として分類されている他家細胞を用いた医療技術や、その他の再生医療等医療技術について、リスク分類を見直すことが妥当かどうか、検討すべきである。

2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

④ 再生医療等の有効性の確認

④ 再生医療等の有効性の確認

現状・課題

(現行の法制度と課題)

- ▶ 再生医療法施行規則第10条においては、法第3条に基づく再生医療等提供基準の一部として、再生医療等を行う医師・歯科医師の責務を規定し、「再生医療等の安全性及び妥当性について、倫理的及び科学的観点から十分検討しなければならない。」としている。そして、この「妥当性」については、通知において、「当該再生医療等の有効性が安全性におけるリスクを上回る事が十分予測されることを含む」としている。
- ▶ 再生医療等の開始にあたっては、「提供する再生医療等の妥当性についての検討内容」を再生医療等提供計画の記載事項の一つとしており、根拠論文等を記載することとしている。
- ▶ また、再生医療法施行規則第37条においては、医療機関が認定再生医療等委員会に対して行う定期報告事項の一つとして、「当該再生医療等の安全性及び科学的妥当性についての評価」を報告することを求めている。当該規定は、法制定時に、治療の妥当性を一定程度確認することを可能とするために、転帰・フォローアップしている患者の数等を記載させ、認定再生医療等委員会で確認することを想定したものである。
しかしながら、現状は、通知において「当該再生医療等の有効性が安全性におけるリスクを上回る事について、科学的な根拠を示す必要があること」と記載するにとどまっており、結果として、投与件数と疾病等の発生状況のみが定期報告に記載されている場合も多くある。

④ 再生医療等の有効性の確認

これまでいただいた主な意見

- ▶ 高額な再生医療等を患者が藁にもすがる思いで受けている現状がある。
- ▶ 可能な範囲で、実施されている再生医療等のデータを集めていくべき。
- ▶ 再生医療法において、徹底してリアルワールドデータを集め、薬事に生かすことも必要である。
- ▶ 再生医療等提供開始時の「有効性が安全性におけるリスクを十分上回る」との予測が、予測どおりであったのかをフォローアップ・評価するシステムが必要である。
- ▶ 再生医療等提供計画内に、有効性の評価基準（検査指標など）の記載を求めるべきではないか。
- ▶ 定期報告等において、有効性について現行よりも詳細な記載を求めていくべき。
- ▶ 提供した再生医療等の有効性がリスクを上回ることに係るデータを、レジストリに登録することとしてはどうか。
 - ※ 再生医療等製品の市販後調査（PMS）を参考に再生医療法でもPMSに相当する調査を義務づけてはどうか。
 - ※ 疾患の重篤度等も考慮し、（全疾患対象ではなく）可能な疾患から初めてはどうか。
 - ※ PRPについては、対象疾患が多様であるため、疾患の層別が必要である。
- ▶ 日本再生医療学会が構築したデータシステム（NRMD）にデータ登録を行い、有効性にかかるエビデンスを蓄積することで、適切な有効性の評価を科学的に確立することができるのではないか。（日本再生医療学会）
 - ※ どのようなインセンティブを付けて正しいデータを登録をさせていくかが重要
 - ※ 患者の安全性という観点で考えると、第3種再生医療等のデータを取ることが非常に重要。
 - ※ 国際的にも問題となっている第3種再生医療等については、何らかの報告義務やレジストレーションへの登録義務を課すべきではないか。
 - ※ 患者にとってメリットがある医療であれば（保険収載等の）出口を見せてもいいと思うが、効果がないものであればむしろ淘汰されるべき。

④ 再生医療等の有効性の確認

これまでいただいた主な意見

- ▶ 研究と治療で分けてレジストリを構築するべきではないか。
- ▶ ナショナルコンソーシアム事業で作成したレジストリでは、データの収集が十分に行えない可能性もあるため、委員会でデータを蓄積することも検討してはどうか。
- ▶ 対象疾患がばらばらなので有効性評価の一定基準を設けるのは難しい。
- ▶ 自由診療は目の前の患者を治療することが目的の医療提供なのだから、上乘せでデータ提供を求めることについては、現場に理解してもらう必要がある。また、データを収集する項目については、提供計画立案時からあらかじめ設定しておくことも必要と考えられ、その場合、委員会での審査時にも当該項目について確認をいただくことになると思われるため、委員会に対しても理解してもらっておく必要があると考える。
- ▶ 治療では、患者のフォローが最後まで行えず、データの収集が難しい場合があるのではないか。
- ▶ 治療でのレジストリはインセンティブをつけなければデータの収集が難しいのではないか。
- ▶ 治療において必要なデータを収集するのであれば、義務化をするような制度設計を行うべきではないか。
- ▶ 有効性評価の手法については作成が難しく、ワーキンググループを設置して議論するべき。

④ 再生医療等の有効性の確認

これまでの議論を踏まえた検討の方向性（案）

- ▶ 提供された再生医療等の科学的妥当性（有効性を含む。）に係るデータを収集し、一定程度確認を可能とする方策について、検討すべきである。具体的には、
 - ・ 科学的妥当性の評価方法を再生医療等提供計画の記載事項とすること
 - ・ 定期報告において記載する「科学的妥当性の評価」について、記載すべき内容を明確化すること
 - ・ 定期報告において記載する「科学的妥当性の評価」を公表すること
 - ・ 科学的妥当性に係る情報について、レジストリへの登録を求めることなどの方策について、検討すべきである。

- ▶ その際、対象とする疾患の範囲や、評価指標、患者の転帰の確認の方法等について、まずは研究事業等において検討を行った上で、その結果を踏まえ、本部会において検討すべきである。

- ▶ 同時に、認定再生医療等委員会が再生医療等の有効性又は科学的妥当性を適切に評価できるよう、一定のガイダンスを示す等の方策をとることが可能かについて、まずは、「認定再生医療等委員会の審査の質向上事業」（以下「質向上事業」という。）において検討を行った上で、その結果を踏まえ、本部会において検討すべきである。

2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

- ⑤ 再生医療等の安全性の担保・医療機関や医師又は歯科医師の適正性の担保

⑤ 再生医療等の安全性・医療機関や医師等の適正性の担保

現状・課題

細胞の保管について

- ▶ 再生医療法施行規則第7条第1項第1号においては、再生医療等を行う医師又は歯科医師に対し、細胞が以下の要件を満たすことを確認する義務を課しているが、具体的な内容は示していない。また、当該規定は、細胞の保管のみを行う機関に対しては適用されない。

以下に掲げる要件を満たした医療機関等において細胞の提供又は動物の細胞の採取が行われたこと。

- イ 適切に細胞の提供を受け又は動物の細胞を採取し、当該細胞の保管に当たり必要な管理を行っていること。
- ロ 細胞の提供を受けること又は動物の細胞の採取をすること並びに当該細胞の保管に関する十分な知識及び技術を有する者を有していること

※ 通知において、イについて「細胞の提供又は動物の細胞の採取時における安全かつ清潔な操作、品質の保持が適切になされるために必要な設備及び体制が整っており、適切な衛生管理がなされていること」としている

再生医療等を行う医師又は歯科医師の要件について

- ▶ 再生医療法施行規則第9条において、再生医療等を行う医師又は歯科医師は、当該再生医療等を行うために必要な専門的知識及び十分な臨床経験を有していなければならないこととされている。しかし、当該知識及び経験がどのようなものを指すかについては、具体的に示されていない。
- ▶ 一方で、再生医療法違反が疑われ立入検査等を行った案件について、再生医療等を行う医師又は歯科医師が、再生医療法を十分に理解していないケースが散見されている。

委員会の変更について

- ▶ 現在、再生医療法施行規則第30条の2においては、再生医療等提供計画を提出した後に、審査を受ける委員会を変更することを原則として禁止している。（平成31年4月1日施行）
- ▶ 一方、再生医療等提供計画を提出する前に複数の委員会の審査を受けることは禁止していない。

⑤ 再生医療等の安全性・医療機関や医師等の適正性の担保

これまでいただいた主な意見

細胞の保管について

- ▶ 細胞や細胞加工物の保管について、委員会の審査ポイントを示すことを含めて検討すべきではないか。
- ▶ 保管について一律の基準を設定するのは難しく、まずは細胞バンクでの保管状況の把握から始めてはどうか。
- ▶ 法律ではなく、学会からの通知やガイドラインで示していく方が適しているのではないか。
- ▶ 保管を加工に含めることも検討すべきではないか。
- ▶ 保管を加工に含めるのは世界的な標準に照らすと難しいのではないか。

再生医療等を行う医師又は歯科医師の要件について

- ▶ 日本再生医療学会で実施している再生医療認定医や臨床培養士の資格制度を活用して、再生医療の質の担保を客観的な視点から確保してはどうか。（日本再生医療学会）
- ▶ 再生医療学会等の認定医制度を活用し、提供計画内に最低1人は資格をもつ者が含まれているようにしてはどうか。
- ▶ 再生医療学会の資格のみだけでなく、内科専門医や外科専門医等も考慮すべきではないか。
- ▶ 再生医療学会は、レジストリへのデータ登録を再生医療認定医の更新要件とすることで、インセンティブを与えるという活動をしている。

⑤ 再生医療等の安全性・医療機関や医師等の適正性の担保

これまでいただいた主な意見

委員会の変更について

- ▶ いわゆる認定再生医療等委員会ショッピング（※）が行われている現状があり、問題ではないか。

※ 一度認定再生医療等委員会において再生医療等を提供することが適切でない旨の意見を受けたにも関わらず、再生医療等提供計画を是正することなく他の認定再生医療等委員会の審査を再度受け、適の意見を受けることができる委員会を探すこと

- ▶ しっかり審査をする委員会には審査依頼が少なく、通りやすい委員会に審査依頼が多くあるような現状もある。

その他

- ▶ 再生医療法下で行う細胞加工物を用いる医療技術やその細胞加工物に関する広告のあり方を整理し、これらを明示する必要があるのではないか。（FIRM）

⑤ 再生医療等の安全性・医療機関や医師等の適正性の担保

これまでの議論を踏まえた検討の方向性（案）

細胞の保管について

- ▶ 細胞の保管について、保管のみを行う機関に対しても、適切な管理や十分な知識及び技術を有する者を求めるべきである。
- ▶ また、細胞の保管の方法について、一定の基準等を設定することが可能かどうかについて、細胞バンクの実態等を把握した上で、検討すべきである。

再生医療等を行う医師又は歯科医師の要件について

- ▶ 再生医療等を行う医師又は歯科医師の要件として求めている「再生医療等を行うために必要な専門的知識」について、学会の認定医又は専門医の資格等を有することをもって担保するべきである。ただし、例えば、日本再生医療学会が認定する再生医療認定医については、令和元年10月時点において約500人程度であること等にも留意しつつ、段階的に対応を行うべきである。

委員会の変更について

- ▶ 一度認定再生医療等委員会において再生医療等を提供することが適切でない旨の意見を受けたにも関わらず、再生医療等提供計画を是正することなく他の認定再生医療等委員会の審査を再度受け、適の意見を受けることができる委員会を探すような事案について、対策の必要性を検討すべきである。ただし、その前提として、並行して認定再生医療等委員会の質の向上を図るべきである。

2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

⑥ 認定再生医療等委員会の質の担保

⑥ 認定再生医療等委員会の質の担保

現状・課題

(現行の法制度)

- ▶ 認定再生医療等委員会については、要件に適合しなくなった場合など、審査等業務の適切な実施を確保するために必要があると認める際には、委員の改選などの必要な措置を厚生労働大臣が命じることができる。（現在までに命令を行った事例はない。）
- ▶ 一方、認定再生医療等委員会に対する立入検査の規定や、欠格要件は定められていない。（なお、臨床研究法の認定臨床研究審査委員会については、定められている。）
- ▶ また、認定再生医療等委員会から国への定期報告を求める規定はなく、3年に一度の更新の際に、書面上で要件該当性を確認している。
- ▶ 委員会の規程や委員名簿、議事録等については、厚生労働省の整備するデータベースに公表することを求めている。

(現在の認定再生医療等委員会の質の向上に向けた取組み)

- ▶ 現在、認定再生医療等委員会の質向上を目的とした調査・研究事業（質向上事業）が、厚生労働省事業にて実施されている。

⑥ 認定再生医療等委員会の質の担保

これまでいただいた主な意見

「委員会の質」の考え方について

- ▶ 委員会の質の評価として、業務の適正性を測る基準を定めるべきではないか。
- ▶ 委員会の質の評価はそもそも難しいのではないか。
- ▶ 委員会の質を測る指標としては、議事録に記載された審査の経緯（有効性の評価にかかる審査の経緯を含む。）や、審査件数が重要ではないか。ただし、審査件数が多い委員会の質が高いとはいえないことには留意が必要ではないか。

委員会の質を担保するための具体的な方策について

- ▶ 認定再生医療等委員会の質に課題があるため、審査のガイドライン等を示してはどうか。
 - ※ 科学的妥当性・安全性の審査のポイント、細胞管理の審査のポイント、メタアナリシスにおける論文の利用の仕方、PRPの審査のポイント等について
 - ※ ガイドライン等については、まずは質向上事業において検討してはどうか
- ▶ 治療と研究では、審査の視点が異なるのではないか。
- ▶ 審査件数が多い委員会が審査の質が高いとは限らないため、定期報告等において、審査件数に限らず、質を確認できるようにしてはどうか。
- ▶ 委員会の抜き打ち検査を実施することを検討してはどうか。
- ▶ 妥当性を評価できない認定再生医療等委員会については、認定を取消すことも考えるべきではないか。
- ▶ 委員会の質を担保するための方策については、質向上事業の結果を踏まえて検討すべきではないか。

⑥ 認定再生医療等委員会の質の担保

これまでの議論を踏まえた検討の方向性（案）

- ▶ 認定再生医療等委員会が適切に審査等業務を行うことができるよう、一定のガイダンスを示すことを検討すべきである。当該ガイダンス等においては、有効性や安全性の評価・論文利用の方法・細胞の管理の方法・PRPに係る審査のポイントなどを含めることを検討すべきである。その際、研究と治療の差異や、再生医療等技術ごとの差異も考慮すべきである。
- ▶ 認定再生医療等委員会について、定期報告や立入検査、欠格要件の設定の必要性を検討すべきである。
- ▶ 上記の検討にあたっては、まずは、質向上事業において実態の把握やガイダンスの内容の検討を行った後に、その結果を踏まえ、本部会において検討を行うべきである。

2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

⑦ 細胞培養加工施設の質の担保

⑦ 細胞培養加工施設の質の担保

現状・課題

(現行の法制度)

- ▶ 医療機関内に設置される細胞培養加工施設（CPC）等における特定細胞加工物の製造については、法第40条において、届出制としている。この場合、構造設備の確認を書面で行うのみで、実地調査は行わないこととなっており、当該届出が受理された後は、更新も必要ないことから、設備の状況の実地確認は行われたい。
- ▶ 一方、それ以外の国内に設置されるCPCについては、許可制としており、許可の申請時と更新の申請時に、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）が構造基準適合性の調査を実施している。
- ▶ 法第44条に基づき、施行規則においてCPCの遵守事項が定められているが、運用上遵守されているかどうかについて確認する仕組みとはなっていない。

⑦ 細胞培養加工施設の質の担保

これまでいただいた主な意見

届出制としているCPCへの実地調査について

- ▶ 医療機関内に設置するCPCについても、届出だけではなく、実地調査に入るべきではないか。
- ▶ 調査に入る者としては、PMDAだけではなく、企業の者も考え得るのではないか。
- ▶ 現在のPMDAの体制で、届出制のCPC全てに立入を行うのは現実的ではない。また、都道府県庁で立入を行うのは、人事異動により十分な教育が困難なため難しいと思われる。
- ▶ まずはランダムに一部の実地調査を行っても良いのではないか。

CPCの遵守事項の遵守状況の確認について

- ▶ 許可制のCPCの実地調査をする場合においても、バリデーションまでを確認しているGMPとは異なり、要件（構造基準）以外の遵守事項を確認していない。バリデーションの運用くらいは確認すべきではないか。
- ▶ PRPのみを製造するCPCなど、リスクの低いような施設については、他の細胞加工物を製造するCPCと基準を分けることや、CPCとしての届出を不要とすることを検討してもよいのではないか。
- ▶ 学会では、臨床培養士の資格制度を作っており、今後、資格を持つものを有する施設に対して学会認定を与えるという取組を進めている。

⑦ 細胞培養加工施設の質の担保

これまでの議論を踏まえた検討の方向性（案）

- ▶ P R P 等、製造のリスクが比較的低いと考えられる特定細胞加工物のみを製造する C P C について、他の特定細胞加工物を製造する C P C と構造基準を分けることや、C P C の届出を不要とすることが妥当か否かについて、リスク分類の議論と併せて、専門的な見地から検討すべきである。
- ▶ 届出制の C P C の構造基準の遵守状況について、まずは一部の調査を行うことにより、実態の把握等を行うことを検討すべきである。
- ▶ C P C の遵守事項の遵守状況についても、まずは一部の調査を行うことにより、実態の把握等を行うことを検討すべきである。

3. 再生医療等に係る研究の推進

⑧ 法に基づく手続の緩和・改善

⑧ 法に基づく手続の緩和・改善

現状・課題

手続の責任主体について

- ▶ 現行の再生医療法においては、再生医療等提供計画の提出等のほか、研究計画書の作成やモニタリングといった手続の責任主体を、医療機関の管理者と定めている。
- ▶ 一方、臨床研究法においては、臨床研究法を実施する場合の手続の責任主体について、法律上は「研究を実施する者」とし、省令において研究責任医師としている。
- ▶ 平成30年11月30日に公布された、再生医療等の安全性の確保に関する法律施行規則及び臨床研究法施行規則の一部を改正する省令のパブリックコメントにおいては、管理者に個別の研究の手続の責任を課すことは実態にそぐわないため、研究責任者に責務を課すべき旨の意見が届いている。

先進医療として行う場合の手続について

- ▶ 再生医療法の下で行う臨床研究について、先進医療Bとして申請する場合、認定再生医療等委員会（第一種の場合は、加えて再生医療等評価部会）に加え、先進医療技術審査部会及び先進医療会議でも審議を行う必要がある。

⑧ 法に基づく手続の緩和・改善

これまでいただいた主な意見

手続の責任主体について

- ▶ 医療の提供の責任は管理者に残した上で、研究に係る手続の責任主体については、管理者ではなく実施責任者にすべきではないか。

先進医療として行う場合の手続について

- ▶ 先進医療について、再生医療法と審査内容が重なる部分については、手続を簡略化できるように、先進医療側で検討していただくのが良いのではないか。

⑧ 法に基づく手続の緩和・改善

これまでの議論を踏まえた検討の方向性（案）

手続の責任主体について

- ▶ 法において規定する手続のうち、研究特有の手続については、手続の主体を医療機関の管理者ではなく、実施責任者とすることを検討すべきである。

先進医療として行う場合の手続について

- ▶ 先進医療として指定を受けようとする場合には、再生医療等評価部会の審査を経たことをもって、先進医療技術審査部会及び先進医療会議の審査の一部の簡略化等が可能か否かについて、先進医療技術審査部会等において検討すべきである。

（再掲）リスク分類・法の適用除外範囲の見直しについて

- ▶ 現在得られている知見や法の運用状況に照らして、法の適用除外範囲や再生医療等技術のリスク分類が適切であるか、各リスク階層の手続きが適切であるかについて、当該技術のリスクと手続に係る負担等を比較衡量しつつ、専門的な見地から検討すべきである。
- ▶ 検討にあたっては、細胞の種類や投与部位・投与方法等によるリスク要因（造腫瘍性、免疫原性、感染等）、原材料となる細胞の入手方法や特定細胞加工物の製造方法等を加味し、検討対象となる医療技術のリスクについて、慎重に検討すべきである。

3. 再生医療等に係る研究の推進

⑨ その他再生医療等の研究の推進

⑨ その他再生医療等の研究の推進

現状・課題

他機関の支援を行うことができる医療機関について

- ▶ 現在、令和2年度までの予算事業において、慶應大学医学部附属病院・大阪大学医学部附属病院が再生医療拠点機関として、他の医療機関等に対し、研究支援・細胞製造支援・研究者の教育等を実施している。

(再掲) 細胞の保管について

- ▶ 再生医療法施行規則第7条第1項第1号においては、再生医療等を行う医師又は歯科医師に対し、細胞が以下の要件を満たすことを確認する義務を課しているが、具体的な内容は示していない。また、当該規定は、細胞の保管のみを行う機関に対しては適用されない。

以下に掲げる要件を満たした医療機関等において細胞の提供又は動物の細胞の採取が行われたこと。

- イ 適切に細胞の提供を受け又は動物の細胞を採取し、当該細胞の保管に当たり必要な管理を行っていること。
 - ロ 細胞の提供を受けること又は動物の細胞の採取をすること並びに当該細胞の保管に関する十分な知識及び技術を有する者を有していること
- ※ 通知において、イについて「細胞の提供又は動物の細胞の採取時における安全活清潔な操作、品質の保持が適切になされるために必要な設備及び体制が整っており、適切な衛生管理がなされていること」としている

⑨ その他再生医療等の研究の推進

これまでいただいた主な意見

他機関の支援を行うことができる医療機関について

- ▶ 医師や細胞を培養する者等の教育等を行うことができる医療機関が必要ではないか。
- ▶ 学会では、臨床培養士等の認定制度や、大学と協力してCPCの施設管理士のキャリアアップシステム等、教育システムの構築を進めている。

細胞の保管について

- ▶ 病院から採取される余剰組織等を中心とした細胞について、安定してバンキングしていくこと、かつ日本製品が各国の基準に合致した形で世界に普及するようなレベルの細胞ソースを提供できる仕組の構築が急務。（日本再生医療学会）
- ▶ ガイドライン作成に必要な科学的エビデンスを、研究事業で出してもらうことも検討が必要ではないか。

⑨ その他再生医療等の研究の推進

これまでの議論を踏まえた検討の方向性（案）

他機関の支援を行うことができる医療機関について

- ▶ 他の医療機関における再生医療等の研究・治療を支援する機能を有する拠点病院の必要性について、検討すべきである。

細胞の保管について

- ▶ 細胞の安定供給に資する観点から、細胞バンク等、細胞の保管を行う機関において必要となる措置を明確化することを検討すべきである。検討にあたっては、一定の基準等を設定することが可能かどうかについて、細胞バンクの実態等を把握した上で、検討すべきである。

今後の検討の進め方（案）

- ▶ 当部会のこれまでの議論を踏まえ、厚生労働省において、新たな調査・研究を行うことも含め、見直しの検討を進めるとともに、現行制度の運用の改善で対応できること等については、早急に取り組むべきである。
- ▶ in vivo遺伝子治療に対する法的枠組みや再生医療等技術のリスク分類・適用除外範囲等については、専門家で構成されるワーキンググループを設置し、引き続き検討を進めるべきである。