

再生医療等安全性確保法施行5年後の  
見直しに係る検討の中間整理（案）

○年○月○日

厚生科学審議会 再生医療等評価部会

## 目次

<b>I はじめに</b> .....	3
<b>II 基本的な考え方</b> .....	3
<b>III 各検討項目について</b> .....	5
<b>1. 医療技術等の変化への対応</b> .....	5
(1) in vivo 遺伝子治療に対する規制の検討.....	5
(2) 再生医療等のリスク分類・法の適用除外範囲の見直し.....	6
<b>2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保</b> .....	11
(1) 再生医療等の有効性の確認.....	11
(2) 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.....	13
(3) 認定再生医療等委員会の質の担保.....	16
(4) 細胞培養加工施設の質の担保.....	17
<b>3. 再生医療等に係る研究の推進</b> .....	18
(1) 法に基づく手続の緩和・改善.....	18
(2) 再生医療等の拠点機関の設定.....	20
(3) 細胞の安定的な確保.....	21
<b>IV おわりに</b> .....	23
(参考資料).....	23
・開催経緯.....	23
・委員名簿.....	23

## I はじめに

- 平成 26 年 11 月 25 日に施行された再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成 25 年法律第 85 号。以下「法」又は「再生医療等安全性確保法」という。）附則第 2 条においては、法施行後 5 年以内に、法の施行の状況、再生医療等を取り巻く状況の変化等を勘案し、法の規定に検討を加え、必要があると認めるときは、その結果に基づいて所要の措置を講ずるものとされている。
- このため、本部会では、令和元年 7 月から検討を開始し、計●回にわたって再生医療等の施策全般の見直しに関する議論を重ねるとともに、関係団体からのヒアリングを実施した。本中間整理は、これまでの検討状況について、中間的に整理を行ったものである。

## II 基本的な考え方

本部会では、現在の法の施行の状況や、再生医療等を取り巻く状況の変化等を踏まえ、基本的な考え方を以下のとおり整理した。

### 1. 医療技術等の変化への対応

- 法制定以降の医療技術の発展や研究の進展等により、当初法が想定していなかった新しい技術の普及が進んできた。具体的には、遺伝子治療やゲノム編集技術といった技術の発展・普及が進み、再生医療等を提供する際にも、今後広く利用されることが想定されている。また、個々の再生医療等技術が持つリスクに関する科学的知見も蓄積されてきた。
- このような状況を踏まえ、再生医療等の安全性の確保等を図りつつも再生医療等の普及の促進を図る観点から、法の対象とする医療技術の範囲を検討するとともに、個々の医療技術のリスクをどのように分類し、それぞれどのような手続を求めていくかについて、検討する必要がある。

### 2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

- 法においては、再生医療等の安全性の確保及び生命倫理への配慮に関する措置を規定しているが、法の施行後、平成 29 年に発生した臍帯血事案（経営破綻した臍帯血プライベートバンクから流出した臍帯血を用いて無届の再生医療等が提供された事案）を含め、法違反が疑われる等の理由により法に基づく立入検査や報告命令、緊急命令を行った事案が多数発生するなど、再生医療等の安全性等に懸念が生じる事案が発生している。

- また、令和元年10月時点において、提出されている再生医療等提供計画（中止・終了したものは除く。）は治療3,792件、研究156件、特定認定再生医療等委員会は56件、認定再生医療等委員会は96件、細胞培養加工施設は2,761件に及んでおり、再生医療等技術が広く普及していることがうかがえるが、これらについて、有効性が担保されていないものが含まれているなど、質に大きなばらつきがあるとの指摘もなされている。
- こうした状況等を踏まえ、再生医療等を提供する医療機関、再生医療等提供計画を審査する認定再生医療等委員会、再生医療等に用いる特定細胞加工物を製造する特定細胞加工物製造事業者等のそれぞれについて、質を確保し、再生医療等の安全性や科学的妥当性を確保するためのより実効的な仕組みを検討する必要がある。

### 3. 再生医療等に係る研究の推進

- 法は、再生医療等の迅速かつ安全な提供及び普及の促進を図り、医療の質及び保健衛生の向上に寄与することを目的として制定されたものである。この目的の達成のためには、再生医療等に係る研究の発展が不可欠である。
- 再生医療等に係る研究についてより一層の推進を図るため、法の運用状況等を踏まえて、再生医療等の提供において必要な手続の改善その他再生医療等の研究を推進する方策を検討する必要がある。

### Ⅲ 各検討項目について

#### 1. 医療技術等の変化への対応

##### (1) in vivo 遺伝子治療に対する規制の検討

###### ① 現状と課題

- 法は、細胞加工物を用いる医療技術を規制の対象としている。従って、いわゆる遺伝子治療について、細胞加工物を用いるもの（いわゆる ex vivo 遺伝子治療）は、法の対象である一方、細胞加工物を用いないもの（いわゆる in vivo 遺伝子治療）は、法の対象外となっている。
- また、他法令等において、臨床研究として行う in vivo 遺伝子治療は、臨床研究法（平成 29 年法律第 16 号）及び遺伝子治療等臨床研究に関する指針（平成 31 年厚生労働省告示第 48 号）の対象となっているが、診療として行われる場合には特段の規制がかかっていない。  
※ 国内において、いわゆる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）
- in vivo 遺伝子治療は、ex vivo 遺伝子治療と同様に、安全面や倫理面の課題、後世への遺伝的影響、治療に用いるウイルス等による生物多様性への影響等の課題があると考えられている。

###### ② これまでの主な議論

- in vivo 遺伝子治療については、以下のような事情を踏まえ、診療として行われる場合も含め、何らかの法的枠組みを設けるべきという点で、概ね意見が一致した。
  - ・ in vivo 遺伝子治療には、ex vivo 遺伝子治療と同様のリスクがあると考えられること
  - ・ ex vivo 遺伝子治療に対しては法による規制がかかっていること
  - ・ 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（昭和 35 年法律第 145 号。以下「医薬品医療機器等法」という。）においては、in vivo 遺伝子治療製品も ex vivo 遺伝子治療製品と合わせて「再生医療等製品」として規制の対象となっていること
  - ・ in vivo 遺伝子治療に用いるベクター（遺伝子発現構成体を細胞に導入する際に使用されるもの）には、ex vivo 遺伝子治療に用いるベクターと同等の品質が求められること
- 具体的な方法としては、再生医療等安全性確保法において、ex vivo 遺伝子治療と合わせて in vivo 遺伝子治療も同法の適用対象とすべきではないかとの意見があった。

一方で、医薬品医療機器等法と再生医療等安全性確保法は規制の視点が異なることや、細胞加工物とベクターの製造管理や品質管理の手法等には相違があることなどから、現在の再生医療等安全性確保法において in vivo 遺伝子治療を含めて同法の適用対象とすることは困難ではないのではないかとの意見があった。

- その上で、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の具体的な内容については、専門家による議論が必要という点で概ね意見が一致した。

### ③ 今後の対応の方向性

- 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、速やかに議論を行うべきである。
- 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。

## (2) 再生医療等のリスク分類・法の適用除外範囲の見直し

### (i) ゲノム編集技術について

#### ① 現状と課題

<現行の法制度>

- 再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行規則（平成 26 年厚生労働省令第 110 号。以下「法施行規則」という。）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と考えられる。

※ CRISPR/Cas9 などの DNA を切断する酵素を利用して、タンパク質等を特定の塩基配列を目標に結合させ、二本鎖 DNA を切断し、遺伝子の導入や欠失等を起こすことができる遺伝子改変技術の一つ。

- ゲノム編集技術のリスクについては、未だ十分に明らかにはなっていない

いないものの、従来の遺伝子操作技術と同様に、安全面や倫理面の課題があると考えられている。

## ② これまでの主な議論

- ゲノム編集技術を用いた再生医療等は、第一種再生医療等に含めるべきであるという点で概ね意見が一致した。
- その上で、具体的なリスクの評価方法等については、専門家による議論が必要ではないかとの意見があった。

## ③ 今後の対応の方向性

- 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、認定再生医療等委員会における審査の際の考え方等の具体的なリスクの評価方法については、専門的な見地から検討すべきである。

## (ii) その他の再生医療等技術について

### ① 現状と課題

<現行の法制度>

- 法の適用除外範囲について
  - ・ 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（ES細胞を用いるものを除く。）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、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、当該医療機器が薬事承認を受けている場合であっても、法が適用される。
  - ・ また、再生医療等技術が保険収載された場合であっても、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、法が適用される。
- リスク分類について
  - 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：多血小板血漿（PRP）を用いた医療技術（相同利用のもの）などの第一種・第二種以外の再生医療等技術

#### <課題>

- 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こと、再生医療等の研究の進展等により、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等から、現行のリスク分類や法の適用除外範囲が妥当ではない可能性がある。

#### ② これまでの主な議論

##### <法の適用除外範囲やリスク分類の検討方法について>

- 法の適用除外範囲やリスク分類を見直すことについて、専門家による議論が必要という点で概ね意見が一致した。

##### <特に検討を行うべき再生医療等技術について>

###### (a) 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（主にPRP）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、承認の範囲内で用いた場合には、リスクが低いと考えられること、薬事との二重規制を避ける必要があること等から、法の適用の除外又は手続の緩和をしてもいいのではないかとの意見があった。
- 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、手続の緩和、細胞培養加工施設（CPC）の基準の緩和をしてもいいのではないかとの意見があった。一方で、一概にリスクが低いとは言えず、現行のままとすべきとの意見もあった。また、リスクだけではなく、有効性も考慮する必要があるとの意見もあった。

###### (b) 保険収載された再生医療等技術について

- 再生医療等技術が保険収載された場合には、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、保険適用の範囲内であれば



法の適用範囲から除外してもいいのではないかとの意見があった。

(c) その他の再生医療等技術について

- 他家細胞を用いた再生医療等技術については、新規の再生医療等製品の開発につなげやすいため、このような特徴も踏まえ、手続を緩和するなど、研究が行いやすい環境を整えてもよいのではないかとの意見があった。一方で、リスク分類を下げるのが妥当かどうかについては、細胞のドナーからの感染症のリスク等も考慮し、当該再生医療等技術のリスクの観点から慎重に検討を行うべきとの意見があった。

③ 今後の対応の方向性

<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。

<特に検討を行うべき再生医療等技術について>

- (a) 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、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種再生医療等技術を新たに設け、手続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して手続を緩和することや、CPCの基準を緩和することが妥当か、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。

(b) 保険収載された再生医療等技術について

- 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、又は、法の適用範囲内としたまま、第4種再生医療等技術を新たに設け、手続を緩和することを検討すべきである。

(c) 他家細胞を用いた医療技術その他の再生医療等技術について

- 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技術について、リスク分類を見直すことが妥当か、当該医療技術のリスクを考慮し慎重に検討すべきである。

## 2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

### (1) 再生医療等の有効性の確認

#### ① 現状と課題

- 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・歯科医師の責務として「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」と規定している。そして、この「妥当性」の解釈については、「再生医療等を治療として行う際の妥当性の考え方について」（平成28年7月28日事務連絡）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ことが十分予測されることを含む」としている。
- また、再生医療等提供計画においては「提供する再生医療等の妥当性についての検討内容」を記載事項としており、具体的には根拠論文等を記載することとしている。
- 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、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、当該規定の具体的な内容については、「再生医療等を治療として行う際の妥当性の考え方について」（平成28年7月28日事務連絡）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ことについて、科学的な根拠を示す必要があること」と示しているだけであり、現状では治療の妥当性の判断をするには不十分な記載にとどまっている例もある。

#### ② これまでの主な議論

- 再生医療等の有効性については、何らかの形で必要なデータを収集し、フォローアップ・評価する仕組みが必要ではないかという点においては、概ね意見が一致した。
- その具体的な方法としては、
  - ・ 再生医療等提供計画に、有効性の評価方法（検査指標など）を記載することを求めているかどうか
  - ・ 定期報告において、実施した再生医療等の有効性について、再生医療等提供計画に記載した評価方法に沿った評価の記載を求めるなど、

詳細に記載することを求めてはどうか

- ・ 定期報告に記載した科学的妥当性の評価を公表することとしてはどうか
- ・ 提供した再生医療等の結果をレジストりに登録することとしてはどうか

といった意見があった。

また、認定再生医療等委員会が適切に有効性を評価できるよう、有効性の評価に係るガイダンスを作成してはどうかとの意見があった。

- これらの方法により有効性を評価する対象については、
  - ・ 全疾患を対象とするのではなく、まずは評価が可能な一部の疾患から始めてはどうか
  - ・ 治療と研究は分けて考えるべきではないか
  - ・ 患者の安全性を確保する観点からは、研究ではなくいわゆる自由診療として行われる場合が多い第三種再生医療等のデータをとることが重要ではないか

といった意見があった。

- 一方、上記に係る懸念・留意事項として、
  - ・ 対象疾患が様々であるため、有効性を評価する一定の基準を設けることは難しいのではないか
  - ・ 認定再生医療等委員会に対するガイダンスについても、対象疾患や医療技術ごとに事情が異なるため、詳細なガイダンスを示すことは難しいのではないか
  - ・ 治療として行われる再生医療等については、研究とは異なり、患者のフォローアップが困難な場合があることについても考慮が必要ではないか
  - ・ 治療として行われる再生医療等のデータはバイアスがかかっている場合もあり、認定再生医療等委員会が適切に評価できなければ、適切なデータが集まらない可能性もあるのではないか
  - ・ 治療として行われる再生医療等のデータを集めるためには、データの提出を義務化するか、インセンティブをつける必要があるのではないか

といった意見があった。

### ③ 今後の対応の方向性

- 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
- ・ 定期報告に記載する「科学的妥当性の評価」について、再生医療等提供計画に記載した評価方法に沿った評価の記載を求めるなど、記載すべき内容を明確化すること
- ・ 定期報告に記載する「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

### ① 現状と課題

#### ＜細胞の保管について＞

- 法施行規則第7条第1項第1号において、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、具体的な管理の方法等の内容は示されていない。また、当該規定は、細胞の採取を行わず、細胞の保管を行う機関に対して適用されない。

第七条 （略）

- 一 次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（細胞提供者からの細胞の提供に限る。以下同じ。）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の採取をし、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。

#### <再生医療等を行う医師又は歯科医師の要件について>

- 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であるかについて、具体的には示されていない。

#### <認定再生医療等委員会の変更について>

- 再生医療法施行規則第30条の2において、再生医療等提供計画を厚生労働大臣等に提出した後に、審査を受ける認定再生医療等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認定再生医療等委員会の審査を受けることは禁止していない。

## ② これまでの主な議論

#### <細胞の保管について>

- 細胞の保管について、通知やガイドラインにおいて、一定の基準を示すべきとの意見があった一方、様々な細胞種がある中、保管について一律の基準を設定するのは難しいため、まずは細胞バンクでの保管状況の把握等から始めるべきとの意見があった。
- 細胞の保管に限らず、細胞加工物の保管や搬送についても、一定の基準の設定を検討してもよいのではないかと意見があった。
- 上記の基準の設定の可否や内容については、まずは研究事業において検討してはどうかとの意見があった。

#### <再生医療等を行う医師又は歯科医師の要件について>

- 再生医療等の質を担保するため、再生医療等提供計画内に学会の認定医等の資格を持つ医師・歯科医師を含むよう求める方向性については、概ね意見が一致した。
- 対象とする資格は、日本再生医療学会の再生医療認定医のほか、各診療科の専門医も対象としてはどうかとの意見があった一方で、再生医療等に関する資格を有する者が必要ではないかと意見があった。

＜認定再生医療等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、いわゆる委員会ショッピングが行われており、対応が必要ではないか、との意見があった。一方で、認定再生医療等委員会に問題がある場合もあることから、変更を禁止するのではなく、不適の意見を述べた委員会での審議結果を、次に審査を受ける委員会が確認できるようにする等の方向で検討すべきではないかとの意見があった。

③ 今後の対応の方向性

＜細胞の保管について＞

- 細胞の保管について、細胞の採取を行わず保管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置くことを求めるべきである。
- また、細胞の保管の方法等について、一定の基準等を設定することが可能か、細胞バンクの実態の把握や基準等の内容の検討を研究事業等において行った上で、本部会において検討すべきである。

＜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、学会の認定医等の資格を有することをもって担保すべきである。ただし、対象とする資格の範囲については、「再生医療等を行うために必要な専門知識」を持っていることを証する資格として適切か、という視点から検討すべきである。

＜認定再生医療等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、認定再生医療等委員会を変更することに妥当性が認められる場合もあることから、変更を禁止するのではなく、不適の意見を述べた委員会での審議結果や委員会の変更に至った経緯を確認できるようにする方向で検討すべきである。また、その前提として、認定再生医療等委員会の質の向上を図るべきである。

### (3) 認定再生医療等委員会の質の担保

#### ① 現状と課題

##### <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、法第32条に基づき、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。
- 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的な状況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。
- 法施行規則第49条第4号に基づき、認定再生医療等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おいて公表することとされている。

##### <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・研究事業である質向上事業が、厚生労働省事業にて実施されている。

#### ② これまでの主な議論

- 認定再生医療等委員会の質に課題があるという点については概ね意見の一致をみたが、その方策については、
  - ・ 審査等業務を行う際のガイダンスの設定
  - ・ 定期報告による確認
  - ・ 立入検査による抜き打ちの検査の実施等の様々な意見があった。
- また、認定再生医療等委員会の質について、そもそも指標の設定が難しく評価が困難ではないかとの意見もあった。
- 上記の事項については、現在、質向上事業において、実態把握やガイダンスの内容の検討を行っていることから、その結果を踏まえた検討が必要ではないかとの意見があった。
- また、審査等業務の議事録だけではなく、審査等業務の対象となった書



類も公表することで、他の委員会が参考とすることができ、認定再生医療等委員会の質の向上に資するのではないかとの意見があった。

### ③ 今後の対応の方向性

- 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対する定期報告や立入検査、欠格要件等の規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。

## (4) 細胞培養加工施設の質の担保

### ① 現状と課題

- 細胞培養加工施設（CPC）の構造基準や遵守事項は、細胞加工物の種類や、再生医療等のリスク分類によらず、一律の基準となっている。
- また、医療機関内に設置される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ない。
- 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。
- また、法第44条に基づき、法施行規則においてCPCの遵守事項（手順書等に基づき適切に業務を行うことなど）が定められているが、当該遵守事項が運用上遵守されているかどうかについては、確認する仕組みとはなっていない。

### ② これまでの主な議論

<リスクに応じた構造基準・遵守事項の設定について>

- PRPのみを製造するCPCなど、製造する特定細胞加工物の種類によっては、現行の構造基準を満たさなくても安全性が確保できる可能性があるため、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との意見があった。
- 上記について、専門的な見地からの議論が必要ではないかとの意見があった。

#### <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との意見があった一方、全ての届出制のCPC（令和元年10月現在で2,687件）に対し実地調査を行うのは現実的ではないため、まずは一部のCPCに対し調査を行ってはどうかとの意見があった。

#### <CPCの遵守事項の遵守状況の確認について>

- 許可制のCPC（令和元年10月現在で65件）について、法第44条に基づき法施行規則で定める遵守事項（手順書等に基づき適切に業務を行うことなど）の遵守状況を確認すべきではないかとの意見があった。
- まずは、実態を把握するため、一部のCPCに対し調査を行ってはどうかとの意見があった。

### ③ 今後の対応の方向性

- PRP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CPCについて、他の特定細胞加工物を製造するCPCと構造基準を分けることや、CPCの届出を不要とすることが妥当か、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CPCの構造基準の遵守状況について、まずは、リスクに応じて一部のCPC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。
- CPCの遵守事項の遵守状況についても、まずは一部のCPC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

### (1) 法に基づく手続の緩和・改善

#### ① 現状と課題

<手続の責任主体について>

- 現行の再生医療等安全性確保法においては、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」、省令において研究責任医師としている。このため、再生医療等安全性確保法に基づき臨床研究を行う場合と、臨床研究法に基づき臨床研究を行う場合において、手続に齟齬が生じている。

<先進医療の手続について>

- 再生医療等安全性確保法の下で行う臨床研究について、先進医療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等でも審議を行う必要がある。

<リスク分類・法の適用除外範囲の見直しについて>

- 1（2）（ii）①のとおり、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こと、再生医療等の研究の進展等により、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等から、現行のリスク分類や法の適用除外範囲を見直す必要がある可能性がある。

② これまでの主な議論

<手続の責任主体について>

- 医療の提供の責任は管理者に置いた上で、研究に係る手続の責任主体は、管理者ではなく実施責任者にすべきではないかとの意見があった。

<先進医療の手続について>

- 先進医療について、法に基づく審査と審査内容が重なる部分については、先進医療の手続を省略が可能か否かについて、臨床研究法に基づく臨床研究の取扱いを参考にしつつ、先進医療会議等において検討いただくべきではないかとの意見があった。

<リスク分類・法の適用除外範囲の見直しについて>

- 1（2）（ii）②のとおり、法の適用除外範囲やリスク分類を見直すことについて、専門的な議論が必要ではないかとの意見があった。

- 特に、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や、PRPを用いた再生医療等技術、保険収載された再生医療等技術等について、法の適用を除外する、又は手続を緩和してもよいのではないかといった意見があった。

### ③ 今後の対応の方向性

#### <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。

#### <先進医療の手続について>

- 先進医療として臨床試験を実施する場合で、かつ、一定の要件を満たした認定再生医療等委員会の審査を経た場合における、先進医療技術審査部会及び先進医療会議の審査過程の簡略化について、臨床研究法に基づく臨床研究の取扱いも参考にしつつ、先進医療会議等において検討すべきである。

#### <リスク分類・法の適用除外範囲の見直しについて>

##### (以下、1(2)(ii)③の再掲)

- 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。

## (2) 再生医療等の拠点機関の設定

### ① 現状と課題

- 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。

### ② これまでの主な議論

- 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との意見があった。
- また、学会において、臨床培養士等の認定制度を構築する、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を構築するなど、教育システムの整備を進めているとの紹介があった。

### ③ 今後の対応の方向性

- 他の医療機関における再生医療等の研究・治療の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。

## (3) 細胞の安定的な確保

### ① 現状と課題

(以下、2(2)①の再掲)

- 法施行規則第7条第1項第1号において、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、具体的な管理の方法等の内容は示されていない。また、当該規定は、細胞の採取を行わず、細胞の保管を行う機関に対して適用されない。

第七条 (略)

一 次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（細胞提供者からの細胞の提供に限る。以下同じ。）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の採取をし、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。

### ② これまでの主な議論

- 余剰組織等を中心とした細胞を保管し、各国の基準にも合致する再生医療等製品の原料となる細胞を確保できる仕組みの構築が必要ではないかとの意見があった。

(以下、2(2)②の再掲)

- 細胞の保管について、通知やガイドラインにおいて、一定の基準を示

すべきとの意見があった一方、様々な細胞種がある中、保管について一律の基準を設定するのは難しいため、まずは細胞バンクでの保管状況の把握等から始めるべきとの意見があった。

- 上記の基準の設定の可否や内容については、まずは研究事業において検討してはどうかとの意見があった。

### ③ 今後の対応の方向性

- 細胞の安定的な確保に資する観点から、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、細胞の保管方法等について、一定の基準等を設定することが可能か、細胞バンクの実態の把握や基準等の内容の検討を研究事業等において行った上で、本部会において検討すべきである。

#### IV おわりに

- 本中間整理を踏まえ、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。
- 上記の検討を踏まえ、今後当部会において議論を進めていく。

(参考資料)

- ・ 開催経緯
- ・ 委員名簿