

再生医療等安全性確保法の 見直しについて

2020年4月22日

医政局研究開発振興課
再生医療等研究推進室

再生医療等安全性確保法の見直しに係るWGの設置について

- 再生医療等安全性確保法については、附則第2条において、同法の施行後5年以内（令和元年11月25日まで）に、法の規定に検討を加えることとされている。これを踏まえ、厚生科学審議会再生医療等評価部会において、令和元年7月から再生医療等の施策全般の見直しに関する検討を行い、令和元年12月には検討の中間整理を行った。
- 同中間整理を踏まえ、更なる検討が必要な事項について、専門的な見地から検討を行うことを目的として、厚生労働省医政局長伺い定めにて本ワーキンググループ（WG）を設置することとした。
- 本WGにおいては、以下の事項を検討し、一定のとりまとめを行い、厚生科学審議会再生医療等評価部会に報告を行う。
 - ・ 遺伝子治療（主にin vivo遺伝子治療を想定）に対する法的枠組みについて
 - ・ 再生医療等技術のリスク分類・適用除外範囲等について 等



「遺伝子治療に対する法的枠組み」及び「再生医療等技術のリスク分類・適用除外範囲等」のそれぞれについては、2つの研究班（令和2年度厚生労働科学特別研究）において、科学的な見地から判断が必要となる事項の検討を行い、WGに結果を報告することとしてはどうか。

※WGは、研究班の検討結果を踏まえ、とりまとめを行う。

検討課題① 「遺伝子治療に対する法的枠組み」について（1）

中間整理までの議論

【現行の制度】

- いわゆる遺伝子治療については、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。

※ 一方、医薬品医療機器等法においては、in vivo 遺伝子治療製品もex vivo 遺伝子治療製品とともに「再生医療等製品」として規制の対象。

- 診療として行われるin vivo 遺伝子治療には、特段の規制がかかっていない。

※ 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の対象。

【具体的な課題例】

- 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。
- 一方で、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。



【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。
- 法的枠組みの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（WG・研究班）による議論が必要。
- 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ことから、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。

検討課題① 「遺伝子治療に対する法的枠組み」について（2）

WG・研究班で検討すべき論点案

1 in vivo遺伝子治療の法的枠組み

in vivo遺伝子治療の安全性確保のための基本的な考え方として、再生医療等安全性確保法のスキームを基本としつつ、ex vivo遺伝子治療との違いなどを踏まえ、規制の建付を検討してはどうか

（1）in vivo遺伝子治療の適正実施における、製造技術・製造者・使用方法等に関する規制について

- in vivo遺伝子治療として規制すべき技術の範囲等を検討してはどうか
- in vivo遺伝子治療で使用するベクター等の遺伝子治療用物質について、品質管理基準や遵守事項等を定めてはどうか
- ベクター等の遺伝子治療用物質の使用にあたって満たすべき要件はあるか
- ベクター等の遺伝子治療用物質について、安全性の問題が生じた場合の対応をどのようにすべきか

（2）医師、医療機関及び審査委員会が実施する手続及び備えるべき要件について

- 遺伝子治療を実施するうえで必要な医療機関の体制や、遺伝子治療を審査する委員会の審査の体制等について、必要な事項の整理を行ってはどうか
- 特に診療として行うin vivo遺伝子治療を念頭に置いた際、必要な要件はあるか

2 ex vivo遺伝子治療の法的枠組みについて

- 再生医療等安全性確保法で規制されているex vivo遺伝子治療について、その枠組みや対象とする技術等を改めて検討してはどうか

今後WG・研究班で科学的な見地から検討を行うにあたり、上記の論点案およびその他必要と考えられる検討事項についてご意見を頂きたい。

検討課題② 「リスク分類・適用除外範囲等」について（1）

中間整理までの議論

【現行の制度】

- 再生医療等技術をリスクに応じて第1種から第3種に分類し、各分類に応じた手続を課しているが、法施行後、当該リスクの程度等が明らかとなってきた。
※ 第1種：人の生命及び健康に与える影響が明らかでない又は相当な注意をしても人の生命及び健康に重大な影響を与えるおそれがある
第2種：相当な注意をしても人の生命及び健康に重大な影響を与えるおそれがある 第3種：第1種及び第2種以外
- 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）は、法の適用対象から除外されている。
- 一方、薬事承認を受けた医療機器で製造された特定細胞加工物を用いる再生医療等技術や、保険適用された再生医療等技術は、法が適用される。

【具体的な課題例】

- 明らかになってきたリスクや、二重規制を避ける観点から、適用除外範囲やリスク分類を見直すことについて、専門的な検討が必要。

【対応の方向性】

- これまで得られた知見や法の運用状況を踏まえて、適用範囲・リスク分類が適切であるか等について、リスクと手続負担等を比較衡量しつつ、専門的な見地（WG・研究班）から、検討が必要。
- 細胞の種類や投与部位・投与方法等によるリスク要因、細胞の入手方法や特性細胞加工物の製造方法等を踏まえて、特に以下に示す医療技術のリスク等について検討すべき。
 - ・ 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について、薬事承認の示す対象疾病や使用方法の範囲内で用いる場合のリスク。
 - ・ 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を用いた再生医療技術のリスクや有効性。
 - ・ 保険収載された再生医療等技術についてのリスク。
 - ・ 第一種に分類される他家細胞を用いた医療技術等についてのリスク。

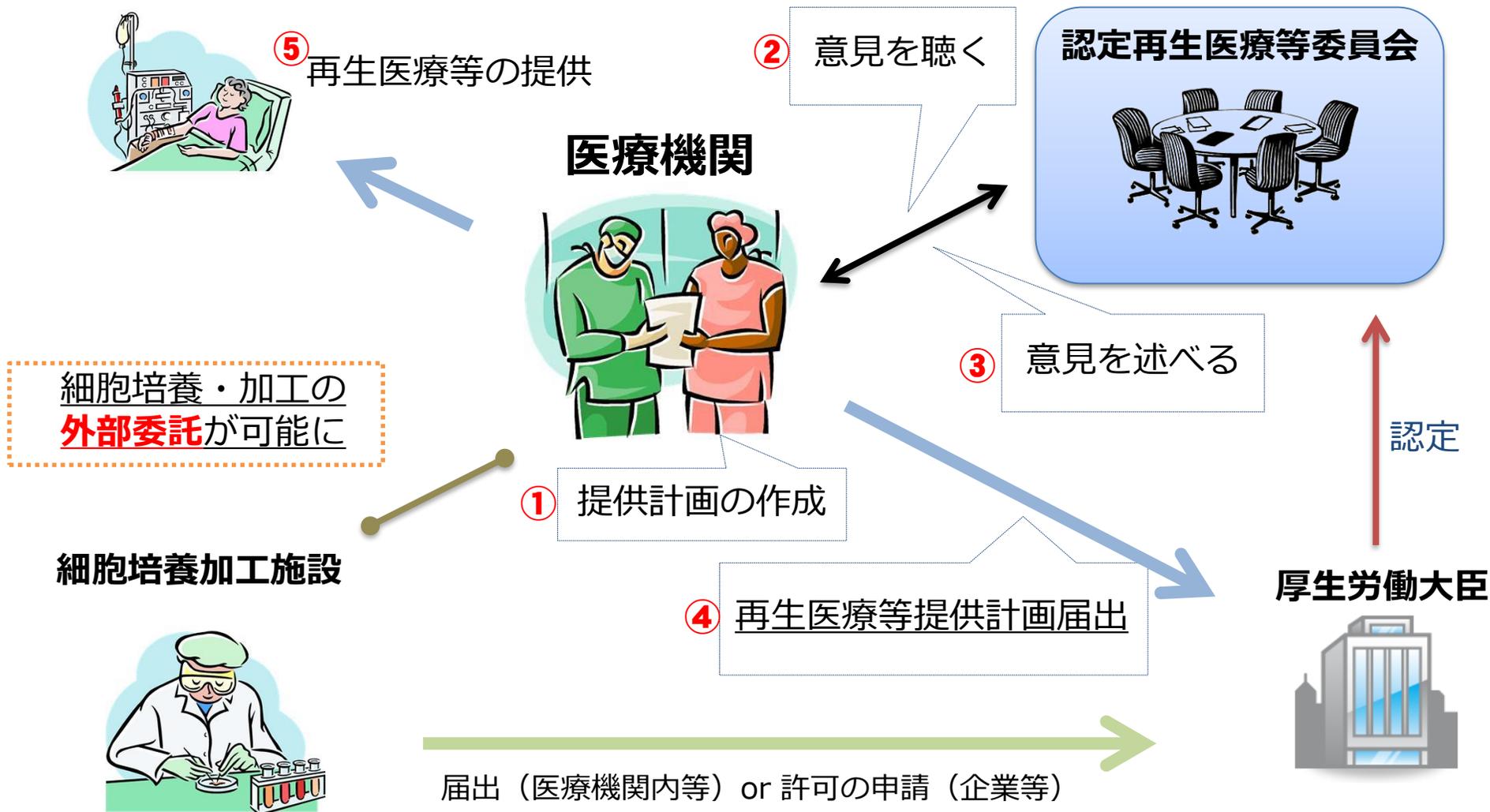
検討課題② 「リスク分類・適用除外範囲等」について（２）

WG・研究班で検討すべき論点案

- （１）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について**
 - どのような特定細胞加工物・医療機器・使用方法等の場合に、法の適用除外や手続の緩和が可能な程度にリスクが低いと考えられるか。また、どのように緩和するか。
 - 特にPRPを用いた再生医療技術について、法の適用除外や、CPCの基準・申請手続の緩和が可能か。
- （２）保険収載された再生医療技術等について**
 - どのような医療技術等が、法の適用除外や手続の緩和が可能な程度にリスクが低いと考えるか。また、どのように緩和するか。
- （３）他家細胞を用いた再生医療技術等について**
 - 他家細胞を用いた再生医療技術等のリスクは、どの程度のリスクと考えられるか（第一種より低いものか）
- （４）その他の再生医療技術等について**
 - 特定細胞加工物である組織、臓器を用いた再生医療技術等のリスクをどのように考えるか

今後WG・研究班で科学的な見地から検討を行うにあたり、上記の論点案、およびその他必要と考えられる検討事項についてご意見を頂きたい。

再生医療等安全性確保法の手続等のイメージ



研究班の構成について

氏名	所属・役職	WG構成員	研究班
内田 恵理子	国立医薬品食品衛生研究所遺伝子医薬部第一室 室長		遺伝子
梅澤 明弘	国立成育医療研究センター研究所 副所長		リスク
小野寺 雅史	国立成育医療研究センター成育遺伝研究部 部長		遺伝子
掛江 直子	国立研究開発法人国立成育医療研究センター生命倫理研究室 室長		遺伝子、リスク
紀ノ岡 正博	大阪大学大学院工学研究科生命先端工学 教授		遺伝子、リスク
河野 健	国立医薬品食品衛生研究所再生・細胞医療製品部 第四室室長		遺伝子
佐藤 陽治	国立医薬品食品衛生研究所再生・細胞医療製品部 部長	○	遺伝子
田島 優子	さわやか法律事務所	○	
花井 十伍	特定非営利活動法人ネットワーク医療と人権 理事	○	
福井 次矢	聖路加国際病院 院長	○	リスク（研究代表者）
松山 晃文	学校法人藤田医科大学 医学部再生医療学講座 教授	○	リスク
森尾 友宏	東京医科歯科大学大学院医歯学総合研究科発生発達病態学分野 教授		リスク
山口 照英	金沢工業大学加齢医工学先端技術研究所 所長	○	遺伝子（研究代表者）
（日本再生医療学会推薦） 岡田 潔	大阪大学医学部附属病院未来医療開発部再生医療等支援室 副室長	○	リスク
（ファーム推薦） 黒田 享	株式会社 ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング信頼性保証部 部長	○	遺伝子、リスク
（歯科医師会からの推薦） 中原 貴	日本歯科大学生命歯学部発生・再生医科学 教授	○	リスク
（PMDA推薦） 丸山 良亮	医薬品医療機器総合機構再生医療製品等審査部 審査役	○	
（PMDA推薦） 櫻井 陽	医薬品医療機器総合機構 審査役補佐		遺伝子
（PMDA推薦） 藤原 康宏	医薬品医療機器総合機構 審査役補佐		リスク 8