

- 再生医療等安全性確保法においては、施行5年以内に見直しを検討することとされている（法附則第2条）。このため、再生医療等評価部会において、令和元年7月から検討を開始し、同年12月25日に中間整理を公表。
- 中間整理において、①遺伝子治療（*in vivo*）に対する法的枠組みや、②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、引き続き検討を進めるとされたことを踏まえ、令和2年4月にワーキンググループを設置するとともに、特別研究を実施。
- 今般、特別研究班の最終報告を踏まえ、ワーキンググループにおける、検討結果をとりまとめ。

1. 遺伝子治療（*in vivo*）に対する法的枠組み

現状・課題

- 再生医療等安全性確保法は細胞加工物を用いる医療技術を対象としており、*ex vivo*遺伝子治療（※1）については、臨床研究、自由診療のいずれの場合も法が適用される。
- 一方、*in vivo*遺伝子治療（※2）については、臨床研究として行われる場合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となるが、自由診療として行われる場合は特段の法的枠組みは設けられていない。
- *in vivo*遺伝子治療については、*ex vivo*遺伝子治療と同様に、
 - ・ 安全面や倫理面の課題
 - ・ 後世代への遺伝的影響
 - ・ 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る。

（※1）遺伝子工学的改変を行った細胞を体内に投与する治療法

（※2）遺伝子工学的改変を行ったウイルス等を直接体内に投与する治療法

検討事項

- 法の対象とする遺伝子治療技術の範囲
- 細胞医療と遺伝子治療の法的枠組みのあり方
- 遺伝子治療の提供に求められる手続

2. 再生医療等技術のリスク分類・適用除外範囲 等

現状・課題

- 再生医療等安全性確保法では、再生医療等技術をリスクに応じて第1種再生医療等技術（※1）、第2種再生医療等技術（※2）、第3種再生医療等技術（※3）と分類し、提供基準の遵守や提供計画の提出など、リスクに応じた手続を課している。
- 医療技術の進展に伴う再生医療等を取り巻く状況の変化等を勘案し、現在の再生医療等技術のリスク分類が適切であるか、法の適用除外範囲や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と考えられる。

（※1）胚性幹細胞（ES細胞）や人工多能性幹細胞（iPS細胞）、遺伝子を導入又は改変する操作を行った細胞、投与を受ける者以外のヒトの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

（※2）培養した幹細胞・細胞や、細胞の相同利用ではないものをを用いる医療技術

（※3）多血小板血漿（PRP）を用いた医療技術（相同利用のもの）など、第1種・2種以外の再生医療等医療技術

検討事項

- 法の適用除外
- リスク分類や医療機器のレベルに応じた手続の見直し
- 他家細胞を用いた再生医療等技術のリスク分類の見直し
- 再生医療等技術のリスク分類の考え方の検討
- 新規医療技術（エクソソームを含む細胞外小胞）への対応

遺伝子治療(*in vivo*)に対する法的枠組みについて とりまとめ (案)

法の対象とする遺伝子治療技術の範囲

- 遺伝子治療等臨床研究指針で定義する*in vivo*遺伝子治療を含めた「遺伝子治療等」技術について、再生医療等安全性確保法の範囲に含める。「関連技術」については、「遺伝子治療等」技術とリスクが近似する「ゲノム編集技術を応用した技術」を法の対象範囲とする。
- 今後の遺伝子治療及び関連技術の急速な進歩を見据え、技術やリスクが近似するものに対しても、迅速に対応できる法体系とすることができないか検討する。

細胞医療と遺伝子治療の法的枠組みのあり方

- 従来の「細胞医療 (*ex vivo*以外) + *ex vivo*遺伝子治療」の枠組みに加え、*in vivo* 遺伝子治療のリスクに着目した新たな法的枠組みを整備する。
- また、細胞医療にも*in vivo* 遺伝子治療に近いリスクを抱えた技術が今後出現する場合に備え、例えば、*in vivo* 遺伝子治療で求められるものと同等の手続を課すなど、その技術を想定した法的枠組みをあらかじめ設けておくことも考えられる。

遺伝子治療の提供に求められる手続

- 現行の再生医療等安全性確保法の手続を前提とし、審査を行う委員会、遺伝子治療を提供する医療機関、ウイルスベクター等の製造・管理や取扱業者において、遺伝子治療の提供に必要な手続を求める。例えば、委員会には、「組換えDNA技術を用いたウイルスベクター製造等の組換え生物の取扱いについて識見を有する者」及び「遺伝子治療の人への影響について十分な科学的知見及び識見を有する者」の参画を求めるなどが考えられる。また、カルタヘナ法の手続については、重複を避け一体的な審査とする。
- なお、ウイルスベクターの製造所や、細胞への遺伝子導入にウイルスベクターを使用する細胞培養加工施設、ウイルスベクター等を使用する医療機関において、再生医療等安全性確保法上、追加的に求める要件はないことが確認された。

再生医療等のリスク分類・再生法の適用除外範囲の見直し とりまとめ（案）

法の適用除外

多血小板血漿を利用する第3種再生医療等技術について、薬機法に基づき適応症を含む承認を取得した医療機器をその適応範囲内で利用する場合においては、再生医療等安全性確保法の適用範囲から除外する。

リスク分類や医療機器のレベルに応じた手続の見直し

リスク分類や医療機器のレベルに応じた手続の見直しは現状は行わない。将来的に、安全性・妥当性に関する科学的知見が集積した段階で、再生医療等安全性確保法で求められる手続の見直しを検討する。

他家細胞を用いた再生医療等技術のリスク分類の見直し

他家間葉系幹細胞を利用した技術については、引き続き、第1種再生医療等技術として位置づけることとする。
将来的に、再生医療等安全性確保法の下で科学的知見が集積した段階で、第1種再生医療等技術として求められる手続の見直しを検討する。

他家細胞を用いた技術のうち、先進医療を経て保険収載された治療等については、国の審査等の手続の合理化について検討する。

再生医療等技術のリスク分類の考え方の検討

再生医療等技術のリスク分類については、将来的に科学的知見が集積した段階で、改めてリスク分類の考え方を検討する。

新規医療技術（エクソソームを含む細胞外小胞）への対応

エクソソーム等については、細胞断片として整理されるものであり、ヒトへの投与物としての明確な定義づけが困難であることや、諸外国における規制状況等も勘案し、現時点においては、エクソソーム等を再生医療等安全性確保法の対象とはしない。今後の医療技術の進展を踏まえ、必要に応じ検討する。