

再生医療等安全性確保法施行 5 年後の見直しに係る 検討のとりまとめについて

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経緯

令和元年7月 第40回 再生医療等評価部会

- 再生医療等安全性確保法施行後5年を目途とした検討を開始

8月 第41回 再生医療等評価部会

- 関係団体からのヒアリング（日本再生医療学会、日本遺伝子細胞治療学会、再生医療イノベーションフォーラム）
- 認定再生医療等委員会における審査の質向上事業の活動報告

12月 第45回 再生医療等評価部会

- 再生医療等安全性確保法の施行後5年の見直しに係る検討の中間整理についての議論

12月 中間整理 公表

令和2年4月 第一回 法見直しに係るワーキンググループ

- ①遺伝子治療（主にin vivo）に対する法的枠組み ②再生医療等技術のリスク分類 の二点について特別研究班二班を立ち上げて検討し、ワーキンググループで取りまとめることを議論、了承

6月 特別研究班で検討開始、法律施行規則の一部を改正する省令（遺伝子改変技術の追加）

- ①遺伝子治療（主にin vivo）に対する法的枠組み ②再生医療等技術のリスク分類・適用除外範囲等

令和3年1月 第二回 法見直しに係るワーキンググループ

- ①②に係る特別研究班の中間報告の概要と論点整理について議論、議論の内容をもとに引き続き研究班で検討

6月 第三回 法見直しに係るワーキンググループ

- ①②に係る特別研究班の最終報告について議論

10月 法見直しに係るワーキンググループとりまとめ

12月～令和4年4月 第69～76回 再生医療等評価部会

- 再生医療等安全性確保法の施行後5年における各論点の検討の方向性案について議論

〇月 とりまとめ 公表

1. 医療技術等の変化への対応

(1) 細胞加工物を用いない遺伝子治療 (*in vivo* 遺伝子治療) に対する規制の検討

<法の対象範囲とする遺伝子治療技術の範囲>

- 遺伝子治療技術については、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技術を法の範囲に含めるべき。
- 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べき。
- 関連技術については、遺伝子治療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べき。
- mRNAを利用する技術については、法の対象範囲とするかどうか、技術とリスクの観点から、今後ワーキンググループ等で検討すべき。

<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* 遺伝子治療の法的枠組みを整備すべき。
- 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べき。
- 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C P C、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が、作業者の健康管理等については、医療機関を含めたウイルスベクター製造所への注意喚起をQ & A等で対応すべき。

<遺伝子治療・関連技術を用いたワクチンの扱い>

- *in vivo* 遺伝子治療のうち、疾病の予防を目的とするものについても、細胞医療 (*ex vivo* 遺伝子治療を含む) と同様に再生医療等安全性確保法の対象とすべき。
- 遺伝子治療・関連技術を用いたワクチンが、医薬品医療機器等法で医薬品として承認された場合、再生医療等製品と同様に再生医療等安全性確保法の対象としないこととすべき。また、遺伝子治療・関連技術を用いたワクチンの治験については、細胞医療と同様に再生医療等安全性確保法の対象としないこととすべき。
- 日本未承認であるが外国で承認されている感染症の予防（感染・発症予防や重症化予防等を含む）を目的としたワクチンについては、公衆衛生施策上必要なものは再生医療等安全性確保法上、個別に除外することとすべき。

<疾病等報告について>

- 遺伝子治療を再生医療等安全性確保法の対象とするにあたり、遺伝子治療の提供後に発生した事象の報告については、報告の実効性、現行法や他法との整合性等を踏まえ、再生医療等安全性確保法で規定される疾病等とすべき。

1. 医療技術等の変化への対応

(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

- ゲノム編集技術を応用した技術をはじめとする関連技術も含め、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検討すべき。

(ii) その他の再生医療等技術について

<リスク分類・適用除外範囲の見直し全般について>

- 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べき。

<特に検討を行うべき再生医療等技術について>

- 医薬品医療機器等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べき。
- 保険収載された第1種再生医療等技術に関しては、事前に本部会委員と事務局により書類を確認し、指摘事項が修正されたことを確認した後、速やかに本部会長及び部会長代理に報告し短縮通知の発出を行い、直近の部会開催において当該処理をした計画について報告すべき。
- 他家間葉系幹細胞を利用した医療技術については、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べき。また、既に承認されている同種由来再生医療等製品の適応外使用等の部会審査については、保険収載された第1種再生医療等技術と同様の手続緩和の枠組で対応可能か、個別の技術について事務局と本部会委員とでその都度判断し、手続緩和を検討すべき。
- エクソソーム等は、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せず、今後の医療技術の進展を踏まえ、必要に応じ検討すべき。

2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

(1) 再生医療等の科学的妥当性の確認

- 再生医療等提供計画の様式や、認定再生医療等委員会に対して行う定期報告の様式を見直し、提供計画に科学的妥当性の評価方法を記載事項として設けるとともに、定期報告における「科学的妥当性の評価」の欄には、当初の提供計画に記載した評価方法に沿って記載を求めべき。
- 上記内容をどのように認定再生医療等委員会が確認すべきかについては、質向上事業の成果に基づいて認定再生医療等委員会の審査に資するガイドラインを作成することで、認定再生医療等委員会において科学的妥当性を適切に評価できるような方策をとるべき。また、定期報告に記載する「科学的妥当性の評価」については、認定再生医療等委員会が審査後に公表する議事概要に適切に記載するよう求めることとし、議事概要の記載をガイドラインに例示することを検討すべき。ガイドラインの具体的な内容については、引き続き、質向上事業において検討を継続すべき。一方、科学的妥当性に係る情報のレジストリへの登録の在り方については、再生医療実用化基盤整備促進事業において、引き続き検討すべき。

(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

<細胞の保管について>

- 細胞の保管については、管理基準（案）を踏まえ、細胞の保管を行う機関における細胞の保管基準等について定めるべき。

<再生医療等を行う医師又は歯科医師の要件について>

- 再生医療等の提供体制の中には、再生医療等及び対象疾患・全身管理に関する関連学会の認定医等に相当する知識を有する者、生命倫理や再生医療等安全性確保法に関する知識を有する者を含むことを明確化すべき。

<認定再生医療等委員会の変更について>

- 再生医療等提供基準チェックリストや、質向上事業においてとりまとめを予定しているガイドライン等に、認定再生医療等委員会の変更に関するチェック項目を追加し、認定再生医療等委員会が計画の審査を行う際に、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べき。

2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

(3) 認定再生医療等委員会の質の担保

- これまでに質向上事業で作成してきたガイドラインやチェックリスト等も包含し、審査等業務全体を網羅したガイドラインを質向上事業で作成し公表すべき。
- 認定再生医療等委員会に対する定期報告については、委員会の事務負担も踏まえ、規定しないが、引き続き、質向上事業における調査事業で実態の把握に努め、研修会や模擬審査など、質向上に資する取組も継続すべき。
- 臨床研究法も参考に、認定再生医療等委員会に対する立入検査及び欠格事由については新たに再生医療等安全性確保法にも規定を加えるべき。
- 認定再生医療等委員会における利益相反の関係を確認でき、適切な措置が講じられるような対応について検討すべき。

(4) 細胞培養加工施設の質の担保

- C P Cの構造基準や手続については、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、改めて検討すべき。
- 引き続き、届出制及び許可制のC P Cに対する実態把握のための調査を続けるべき。

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

＜手続の責任主体について＞

- 再生医療等を研究として行う場合、研究特有の手続については、当該研究の実施責任者において行うこととすべき。

＜先進医療の手続について＞


- 先進医療として臨床研究を実施する場合（一定の要件を満たした医療機関からの提出、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、まずは先進医療技術審査部会で検討すべき。
- 先進医療として実施する臨床研究において、認定再生医療等委員会における審査の後、先進医療技術審査部会又は先進医療会議において研究計画書等に変更があった場合、当該変更に係る認定再生医療等委員会の審査等業務については、事後的に認定再生医療等委員会へ報告することとすべき。

(2) 再生医療等の拠点機関の設定

- 拠点機関の設定については、再生医療実用化基盤整備促進事業の中で設定された拠点機関を中心に多機関連携を支援することとし、拠点機関の数や各機関の役割については、状況に応じて関係者間での調整のうえ、適切に設定すべき。
- 遺伝子治療を牽引する拠点機関の設定についても検討すべき。

(3) 細胞の安定的な確保

- 流通に係る基盤の構築や原料の品質管理に係る基準の策定に向けて、引き続き、経済産業省をはじめ関係省庁等と連携し、検討を進めていくべき。

- 
- 本部会においては、再生医療等安全性確保法のあり方について議論を行い、見直しに係る検討をとりまとめた。
 - 本部会の意見を十分に踏まえ、再生医療等安全性確保法の改正を行う等、改革に早急に取り組み、着実に実施されたい。