

2022年6月29日

第6回再生医療等安全性確保法の見直しに係るワーキンググループ

第6回再生医療等安全性確保法の見直しに係るワーキンググループ

資料1

令和4年6月29日

## *in vivo*遺伝子治療に対する規制の検討 法の対象とする関連技術の範囲について

厚生労働省 医政局 研究開発政策課  
再生医療等研究推進室

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

# 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

第76回再生医療等評価部会

令和4年4月27日

資料1 - 2

## 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

## 6月 とりまとめ 公表

（一部改変）

# 再生医療等安全性確保法施行5年後の見直しの検討に係る中間整理の概要

第74回再生医療等評価部会

令和4年3月10日

資料2

## 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

- in vivo遺伝子治療について、何らかの法的枠組みを設ける方向で、具体的内容を速やかに検討すべき。
- 対象とする技術の範囲、当該医療の提供に当たって求める手続、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議論を行うべき。

### (2) 再生医療等のリスク分類・法の適用除外範囲の見直し

- 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、手続を緩和することを検討すべき。
- 他家細胞を用いた医療技術を含め、その他の再生医療等技術のリスク分類や、法の適用除外範囲についても見直しを検討すべき。
- 保険収載された再生医療等技術について、手続を緩和することを検討すべき。

## 2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

### (1) 再生医療等の有効性の確認

- 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。
- 具体的には、評価方法を提供計画の記載事項とすること、定期報告に記載する妥当性の評価についての記載整備、公表等について検討すべき。

### (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

- 細胞バンク等での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検討すべき。
- 再生医療等を行う医師・歯科医師の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。
- 一度再生医療等委員会で不適とされたにも関わらず、提供計画を是正せず他の委員会を採す事案について、対策の必要性を検討すべき。

### (3) 認定再生医療等委員会の質の担保

- 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。
- 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。

### (4) 細胞培養加工施設 (CPC) の質の担保

- 特定細胞加工物のリスクに応じてCPCの構造基準を分けることや、低リスクのものは届出を不要とすることが妥当か検討すべき。
- 届出制のCPCの構造基準の遵守状況や、遵守事項の遵守状況について、まずは実態の把握等を行うことを検討すべき。

## 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

- 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。
- 先進医療として行う場合の審査過程の簡略化等について、先進医療会議等において検討すべき。

### (2) 再生医療等の拠点機関の設定

### (3) 細胞の安定的な確保

- 細胞の安定的な確保に資する観点から、細胞バンク等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。

## 法見直しに係るワーキンググループとりまとめ

- 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、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こととされた。
- また、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こととされた。

## 日本遺伝子細胞治療学会のご意見

- 科学的エビデンスの乏しいままに、例えばがん治療やその他の難病治療を謳ってmRNAを人に投与する自由診療を許容しないようにすべきである。
- mRNA全長を細胞内に導入することをして、「遺伝子治療等」技術との近似性が低いとする説明は根拠が乏しく、mRNAを遺伝子治療用製品やワクチンに含めている薬機法とも整合しない。

## 日本ゲノム編集学会のご意見

- ウイルスベクターを使用しないエピゲノム編集技術に関しては、どこまでが本法の適応内かは薬機法も含めた今後の議論が重要だろう。
- 特にゲノム編集技術を応用した技術で遺伝子改変リスクを伴う場合においては、安全性の観点から枠組を構築することは理解できる。一方、理論上はDNA切断を伴わないと考えられる技術が、将来的にヒトにおいてDNA切断を伴わないことが実証された場合には、範囲外にすべきである。

## 現状

- ワーキンググループでは、遺伝子治療等（遺伝子の導入又は改変を行う技術）の関連技術を「最終的にタンパク質等の発現もしくは発現制御を行うこと」を目的としている技術と定義して、技術的・リスク的な観点から関連技術を整理した。
- その中で、「ゲノム編集技術を応用した技術」は、遺伝子治療等技術との近似性が高く、これに準じた同等の「未知のリスクを有する技術」に該当するが、それ以外の関連技術については、技術毎に想定されるリスクが様々で、かつ技術群として明確な切り分けが困難であるとされた。
- 一方で、ワーキンググループ以降も研究開発が進み、新たな技術（※）が出現している。

（※）例：げっ歯類においてmRNAをin vivo投与し、CAR-T細胞を誘導 Science 375,91-96 (2022)

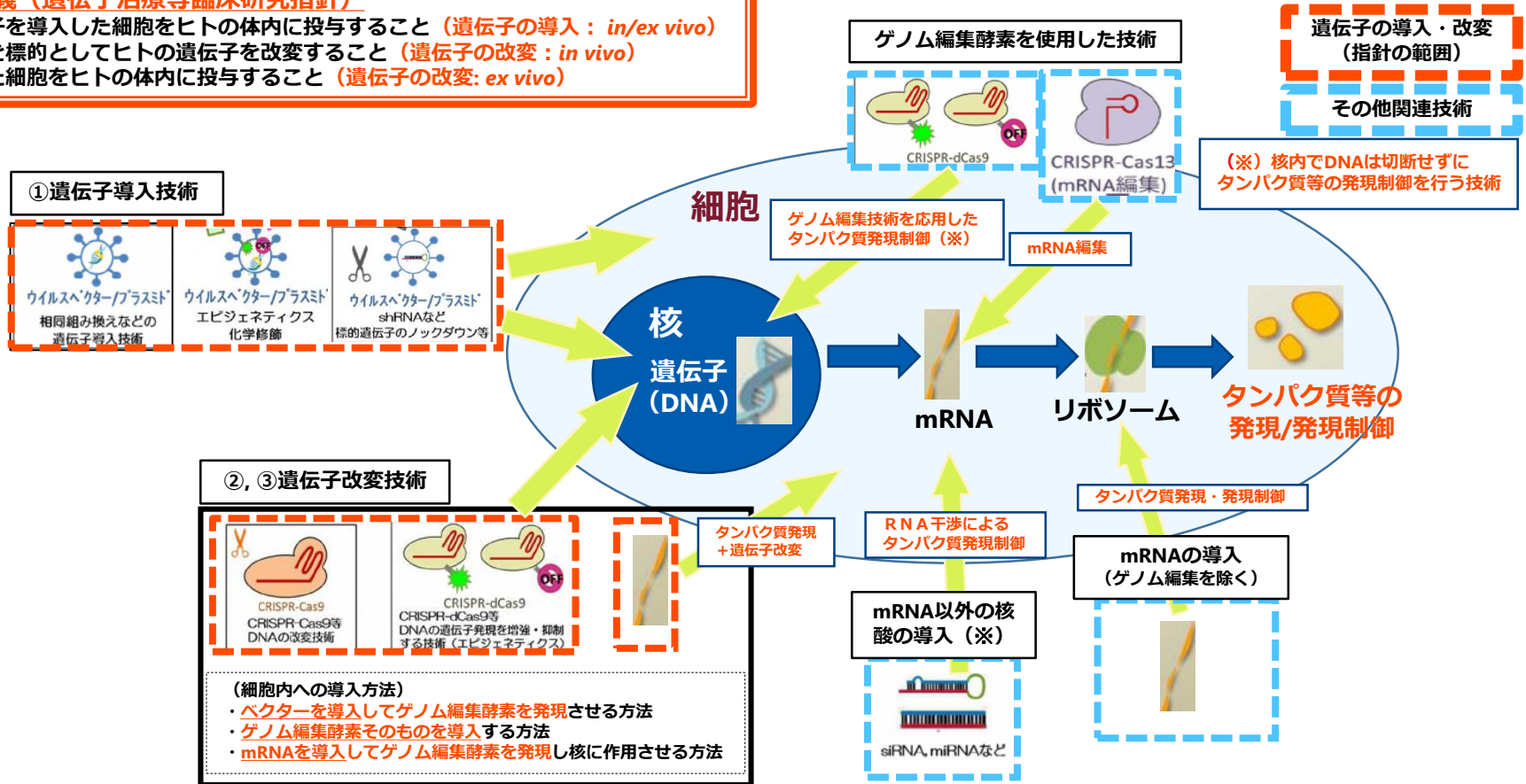
## 検討の方向性

- 「関連技術」については、「遺伝子治療等」技術と技術やリスクが近似するものについては迅速に対応できる法体系とすることとし、「ゲノム編集技術を応用した技術」は法の対象範囲とする。
- 一方で、「mRNAを利用する技術」については、昨今の技術進歩も踏まえ、法の対象範囲とするかどうか、今後ワーキンググループ等で検討することとしてはどうか。

# 遺伝子治療技術・関連技術のイメージ図

## 遺伝子治療等の定義（遺伝子治療等臨床研究指針）

- ① 遺伝子又は遺伝子を導入した細胞をヒトの体内に投与すること（遺伝子の導入：*in/ex vivo*）
- ② 特定の塩基配列を標的としてヒトの遺伝子を改変すること（遺伝子の改変：*in vivo*）
- ③ 遺伝子を改変した細胞をヒトの体内に投与すること（遺伝子の改変：*ex vivo*）



（※） 核酸医薬品は、基本的にタンパク質を発現するための遺伝子としての機能を期待しているものではなく、遺伝子治療やmRNAを利用した技術とは区別が必要である。



# mRNAを利用した技術について

## 現状

- mRNAを利用した医薬品等については、現在感染症予防に用いる製品が市販されているが、mRNAを疾病治療に利用した技術についても、国内外で研究開発が進められている。
- 再生医療等安全性確保法に現在も含まれているex vivo遺伝子治療の一例として、体外でキメラ抗原受容体 (chimeric antigen receptor: CAR) をT細胞に発現させるCAR-T細胞療法があるが、昨今、mRNAを利用した技術を用いることで、体内で直接T細胞にCARを発現させる技術が開発されている。

## mRNAの分類

- 海外規制当局（米国食品医薬品局）では、プラスミドベクター製品と同様に、「インビトロ転写によって製造されるRNA」も遺伝子治療に含めるとしている。
- 本邦の規制当局でも、薬機法において、予防ではなく治療を目的とするmRNAを利用した技術は、遺伝子治療用製品に含むと考えている。
- そういった観点からは、再生医療等安全性確保法においても、薬機法の対象とならない自由診療や臨床研究におけるmRNAを利用した技術は、遺伝子治療関連技術に含まれると考えるのが妥当ではないか。

## ワーキンググループでご議論いただきたい論点

- 薬機法の対象とならない自由診療や臨床研究において、mRNAを利用した技術については、遺伝子治療関連技術として再生医療等安全性確保法の第1種再生医療等技術に含めることについてどう考えるか。
- 遺伝子治療等に類似する技術については、専門家の議論において、その技術・機能性、及び安全性の観点から整理をする。その上で、遺伝子治療等と同様に再生医療等安全性確保法の第1種再生医療等技術として分類することが妥当であると考える新規技術については、同技術に含めることについてどう考えるか。



## 参考資料



## 遺伝子治療等の定義（遺伝子治療等臨床研究指針）

- ① 遺伝子又は遺伝子を導入した細胞をヒトの体内に投与すること（遺伝子の導入：*in/ex vivo*）
- ② 特定の塩基配列を標的としてヒトの遺伝子を改変すること（遺伝子の改変：*in vivo*）
- ③ 遺伝子を改変した細胞をヒトの体内に投与すること（遺伝子の改変：*ex vivo*）

関連技術の分類		技術の種類			
		ゲノム編集技術 を応用した 技術(※)	mRNAに直接 作用する技術	リボソーム に直接作用 する技術	その他
モダリ ティ (細胞 への導 入方 法)	ウイルスベクター・ プラスミド・遺伝子組み 換え細菌ベクター	すべて遺伝子導入技術に該当			
	mRNA	/		mRNAワク チン	
	ゲノム編集関連タンパク 質（Cas 9 タンパク +sgRNA複合体など）	ヒストン修飾 等	RNA編集		
	mRNA以外の核酸		siRNA, miRNA, アンチ センス核酸		デコイ核酸
	その他(今後実用化が想 定されるモダリティを含 む)				ステロイド ホルモン

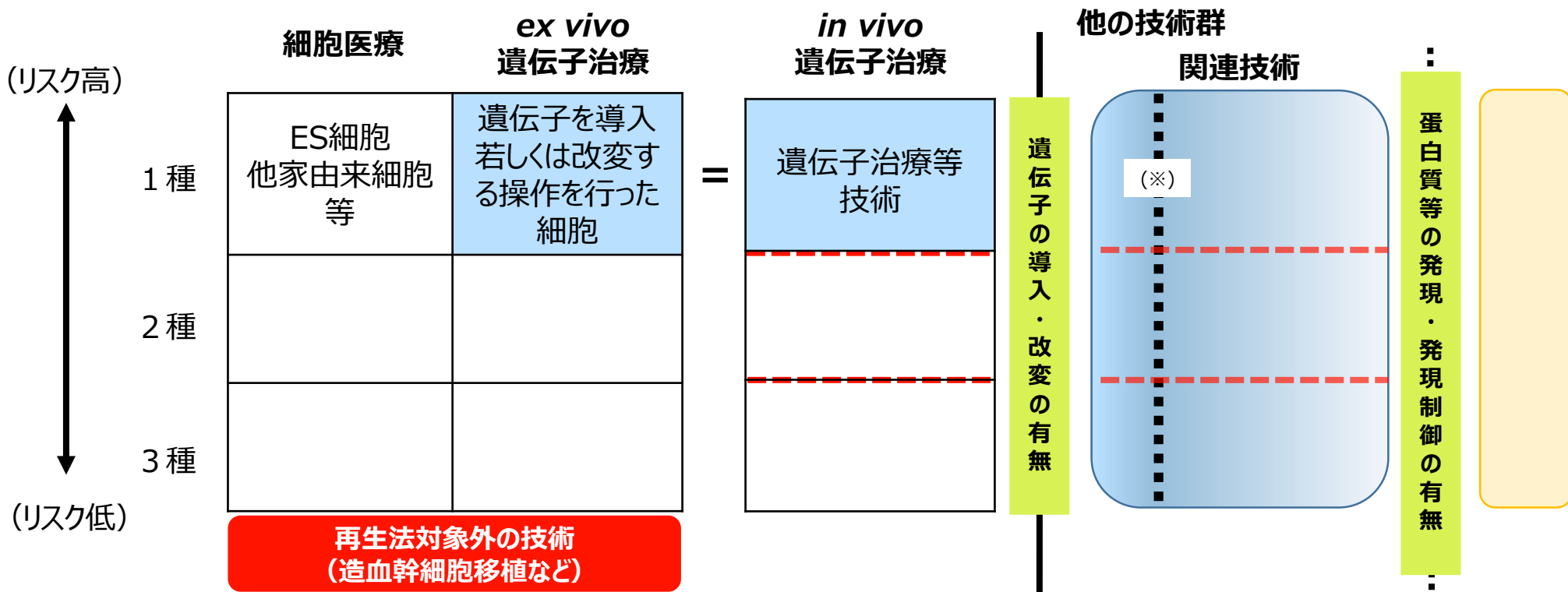
最終的に  
タンパク質等の  
・発現  
・発現制御  
のいずれかを行う技  
術

表内に記載の関連技術は現状該当するものを例示している

(※) DNAの改変を行わず核内で目的塩基配列（染色体DNA）に結合することで発現調節を行う技術

/ 理論上（現状）考えられない   
   今後技術として考えられるが、例示できるものとして現状考えられるものがない

  「遺伝子治療等」技術に近似性がある



- ・検討した遺伝子治療および関連技術は「タンパク質等の発現・発現制御」を行うという意味では同じ技術群
- ・現在、遺伝子治療等技術と関連技術を分ける根拠は「遺伝子の導入・改変」の有無
- ・ゲノム編集技術を応用した技術（※より左側）は遺伝子治療等技術との近似性が高い
- ・一方、その他の技術（※より右側）は遺伝子治療等技術との近似性が低く、技術毎に想定されるリスクが多様であり明確な切り分けは難しい

# (参考) 法の適用を受ける特定細胞加工物とin vivo遺伝子治療におけるリスク要因の比較

		第1種細胞加工物	ex-vivo 遺伝子治療	in vivo 遺伝子治療
特性とどのようなモデルがあり得るか		<ul style="list-style-type: none"> <li>・iPS由来</li> <li>・ES由来</li> <li>・動物由来細胞</li> <li>・同種細胞</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・遺伝子導入した自己及び同種細胞（ウイルスベクターやプラスミドにより遺伝子導入）</li> <li>・ウイルスベクターやプラスミド、mRNAやタンパク質を用いて遺伝子改変した自己及び同種細胞（遺伝子改変）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ウイルスベクター（腫瘍溶解性ウイルスを含む）</li> <li>・細菌ベクター</li> <li>・プラスミドベクター</li> <li>・ゲノム編集に用いるmRNAやタンパク質等（ゲノム編集以外のmRNAは含まず）</li> </ul>
安全性の考慮事項	共通	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ウイルス安全性（細胞）</li> <li>・ウイルスに汚染された細胞由来 or 加工工程での汚染</li> <li>・がん化リスク（がん遺伝子の変異）</li> </ul>	<p>モデル共通</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ウイルス安全性（細胞）</li> <li>・ウイルスに汚染された細胞由来 or 加工工程での汚染</li> <li>・がん化リスク（オン・オフターゲット変異やがん遺伝子の変異）</li> <li>・免疫原性（発現タンパク質やゲノム編集酵素）</li> </ul> <p>ウイルスベクターを用いた場合</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ウイルス安全性（ウイルスベクター）</li> <li>・増殖性ウイルス（RCV）の病原性</li> </ul>	<p>モデル共通</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ウイルス安全性</li> <li>・がん化リスク（オン・オフターゲット変異やがん遺伝子の変異）</li> <li>・免疫原性（発現タンパク質やゲノム編集酵素）</li> </ul> <p>ウイルスベクターを用いた場合</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ウイルス安全性（ウイルスベクター、腫瘍溶解性ウイルス）</li> <li>・増殖性ウイルス（RCV）の病原性（非増殖性ウイルスベクター）</li> </ul>
	特有	<ul style="list-style-type: none"> <li>・免疫応答（同種細胞；拒絶反応／GVHD）</li> </ul>		<ul style="list-style-type: none"> <li>・生殖細胞の遺伝的改変リスク</li> <li>・排出に伴う第三者伝播リスク（ウイルスベクターや腫瘍溶解性ウイルス）</li> <li>・免疫毒性（ウイルスベクター等）</li> </ul>
リスク対応	共通	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ウイルス検査、安全な原材料の使用</li> <li>・長期フォローアップ（がん化リスク）</li> <li>・免疫毒性についてはモニタリング</li> <li>・造腫瘍性試験（インビトロ、インビボ）</li> <li>・iPS細胞・ES細胞では遺伝子変異の検査</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ウイルス検査、安全な原材料の使用</li> <li>・長期フォローアップ（がん化リスク）</li> <li>・免疫毒性についてはモニタリング</li> <li>・造腫瘍性試験（インビトロ、インビボ）</li> <li>・ゲノム編集：オフターゲットやオンターゲットの解析</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ウイルス検査、安全な原材料の使用</li> <li>・長期フォローアップ（がん化リスク）</li> <li>・免疫毒性についてはモニタリング</li> <li>・ゲノム編集：オフターゲットやオンターゲット変異の解析</li> </ul>
	特有			<ul style="list-style-type: none"> <li>・増殖性ウイルス：バンクや製造過程での検査</li> <li>・ウイルス排出試験；臨床使用時の患者のモニタリング</li> <li>・生殖細胞の変異リスク：生体内分布試験</li> </ul>

## (参考) 遺伝子治療等臨床研究指針、薬機法での遺伝子治療に関する定義

### ○ 「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」(平成31年2月28日)

1 この指針において「遺伝子治療等」とは、疾病の治療又は予防を目的とした次のいずれかに該当する行為をいう。

- (1) 遺伝子又は遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与すること。
- (2) 特定の塩基配列を標的として人の遺伝子を改変すること。
- (3) 遺伝子を改変した細胞を人の体内に投与すること。

18 この指針において「最終産物」とは、次のいずれかに該当するものをいう。

- (1) 疾病の治療又は予防のための遺伝子が組み込まれたDNA又はウイルスその他の粒子であつて、被験者に投与するため最終的に作製されたもの(以下「組換え遺伝子等」という。)
- (2) 特定の塩基配列を標的として遺伝子を改変するために用いるタンパク質、核酸その他の物質

### ○ 「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(昭和三十五年法律第百四十五号)」

9 この法律で「再生医療等製品」とは、次に掲げる物(医薬部外品及び化粧品を除く。)であつて、政令で定めるものをいう。

一 次に掲げる医療又は獣医療に使用されることが目的とされている物のうち、人又は動物の細胞に培養その他の加工を施したものの

イ 人又は動物の身体の構造又は機能の再建、修復又は形成

ロ 人又は動物の疾病の治療又は予防

二 人又は動物の疾病の治療に使用されることが目的とされている物のうち、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含有させたもの

### ○ 法律施行令(昭和三十六年政令第十一号)別表第二(第一条の二関係)

遺伝子治療用製品

- 一 プラスミドベクター製品
- 二 ウイルスベクター製品
- 三 遺伝子発現治療製品(前二号に掲げる物を除く。)

# *in vivo* 遺伝子治療に対する規制の検討：法の対象とする範囲 積み残しの論点 1) 遺伝子治療等技術を用いたワクチンの扱いについて

第71回再生医療等評価部会

令和4年1月20日

資料4

## いただいたご意見

- 「感染症防御のワクチンは特例にして、除外するべきである」
- 「新型コロナウイルスワクチンのような特別な開発品の迅速な使用を妨げるべきではない」

## 現状

- 再生医療等安全性確保法は、疾病の治療又は予防目的で細胞加工物を用いる医療技術を対象範囲としている
- 医薬品医療機器等法において、遺伝子治療用製品は治療目的としているため、予防目的の遺伝子組換えワクチンは、医薬品として整理されている
- 日本国内で蔓延していない感染症（例えば、デング熱、エボラ熱等）のワクチンの中には、海外で承認されているが、日本では承認されていないものがある
- なお、これらのワクチンについては、医師の責任の下、トラベラーズワクチンとして一般診療で使用される可能性がある

## 検討の方向性

- *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してはどうか
- 遺伝子治療等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してはどうか
- 遺伝子治療等技術を用いたワクチンの治験についても、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してはどうか
- 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、個別に除いてはどうか



# 参考資料：第76回再生医療等評価部会資料 とりまとめ（案）



## 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。