

**再生医療等の安全性の確保等に関する法律
施行令第1条第2号ロの規定に基づき
感染症の予防のために必要なものとして
厚生労働大臣が定める核酸等について**

再生医療等の安全性の確保等に関する法律及び臨床研究法の一部を改正する法律 (令和6年法律第51号)の概要

【令和6年6月14日公布】

第97回再生医療等評価部会

資料

令和6年8月22日

1 - 1

改正の趣旨

昨今の技術革新等を踏まえ、先端的な医療技術の研究及び安全な提供の基盤を整備し、その更なる推進を図るため、再生医療等安全性確保法の対象拡大及び再生医療等の提供基盤の整備、臨床研究法の特定臨床研究等の範囲の見直し等の措置を講ずる。

改正の概要

1. 再生医療等安全性確保法の対象拡大及び再生医療等の提供基盤の整備【再生医療等安全性確保法】

① 細胞加工物を用いない遺伝子治療(※1)等は、現在対象となっている細胞加工物(※2)を用いる再生医療等と同様に感染症の伝播等のリスクがあるため、対象に追加して提供基準の遵守等を義務付けることで、迅速かつ安全な提供及び普及の促進を図る。

※1 細胞加工物を用いない遺伝子治療：人の疾病の治療を目的として、人の体内で遺伝子の導入や改変を行うこと。

※2 細胞加工物：人又は動物の細胞に培養等の加工を行ったもの。

② 再生医療等の提供計画を審査する厚生労働大臣の認定を受けた委員会(認定再生医療等委員会)の設置者に関する立入検査や欠格事由の規定を整備することにより、審査の公正な実施を確保し、再生医療等の提供基盤を整備する。

2. 臨床研究法の特定臨床研究等の範囲の見直し等【臨床研究法、再生医療等安全性確保法】

① 医薬品等の適応外使用(※3)について、薬事承認済みの用法等による場合とリスクが同程度以下の場合には臨床研究法の特定臨床研究及び再生医療等安全性確保法の再生医療等から除外することにより、研究等の円滑な実施を推進する。

※3 薬事承認された医薬品等を承認された用法等と異なる用法等で使用すること(がんや小児領域の研究に多い。)

② 通常の医療の提供として使用された医薬品等の有効性等について研究する目的で、研究対象者に著しい負担を与える検査等を行う場合は、その研究について、臨床研究法の対象となる旨を明確化することにより、研究対象者の適切な保護を図る。

等

施行期日

公布の日から起算して1年以内において政令で定める日

核酸等を用いる医療技術（遺伝子治療とその関連技術）

遺伝子治療等

細胞加工物を用いる医療技術 (ex vivo 遺伝子治療)

(想定される技術)

- ウイルスベクターでがん細胞を認識する遺伝子を発現させた**T細胞を投与**
- ウイルスベクターで欠失遺伝子を発現させた**造血幹細胞を投与**

核酸等を用いる医療技術 (in vivo 遺伝子治療)

遺伝子を人の体内に導入する技術：遺伝子導入

- ウイルスベクターやプラスミドを用いて遺伝子を導入する技術
(ウイルスベクターやプラスミドの作用は問わない)

(想定される技術)

- ウイルスベクターを用いて、欠損遺伝子を発現させる**遺伝子を導入**
- プラスミドを用いて、組織修復に有効な遺伝子を発現させる**遺伝子を導入**

人の遺伝子を改変する技術：遺伝子改変

- ゲノム編集技術*1等を用いて遺伝子を改変する技術
- *1 ゲノム編集技術：CRISPR等を用いたゲノムの編集技術

(想定される技術)

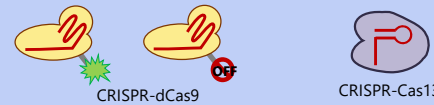
- CRISPR-Cas9システムに要する酵素を用いて、**遺伝子欠損させる**
- CRISPR-dCas9システムに要する酵素を用いて、**一塩基編集を行う**

核酸等を用いる医療技術 (遺伝子治療の関連技術)

ゲノム編集技術を応用した技術

(想定される技術)

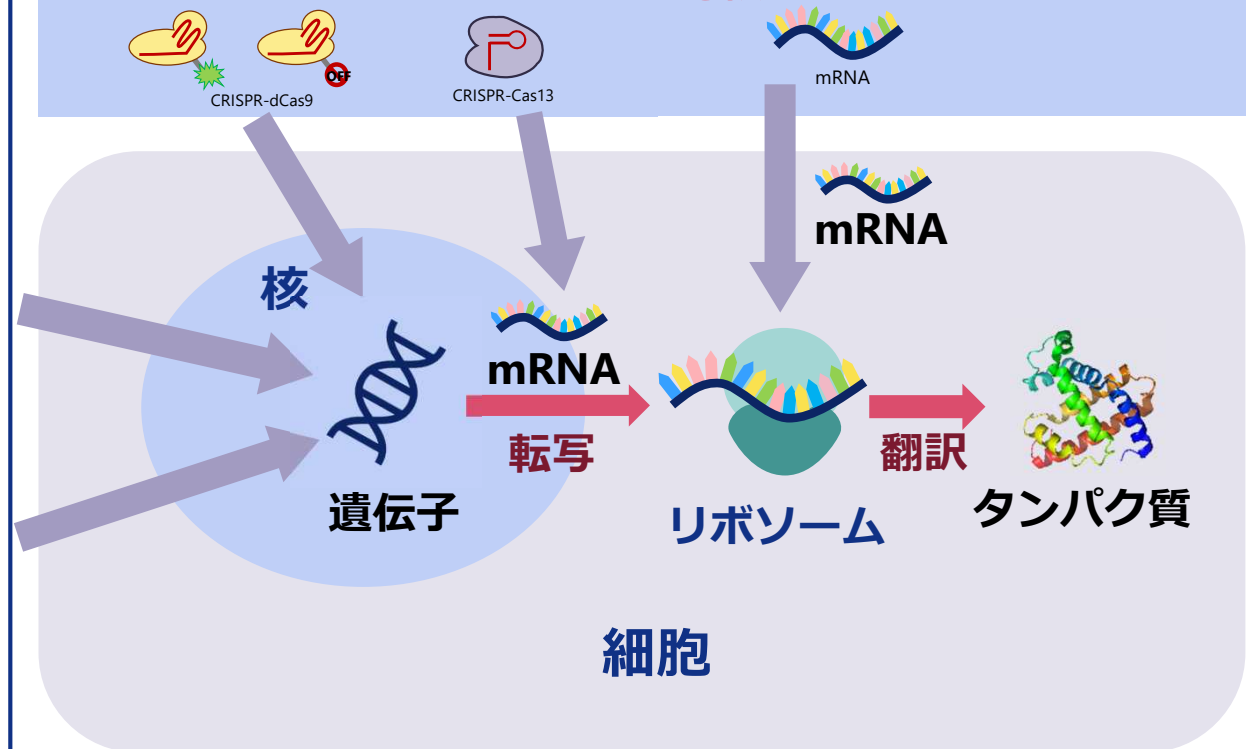
- CRISPR-dCas9システムに要する酵素を用いて、**エピゲノム編集*2を行う**
- *2 遺伝子は改変せずに遺伝子発現に影響を与える技術
- CRISPR-Cas13システムに要する酵素を用いて、**mRNA編集を行う**



mRNAを利用した技術

(想定される技術)

- がん細胞のmRNAを含有した脂質ナノ粒子を用いて、がんへの免疫を賦活化する**mRNAを導入**
- 組織修復タンパク質をコードするmRNAを含有した脂質ナノ粒子を用いて、組織修復を促す**mRNAを導入**



再生医療等安全性確保法の対象となる再生医療等技術（イメージ）

要件 1

目的（以下のいずれか）

- 人の身体の構造又は機能の再建、修復又は形成
- 人の疾病の治療又は予防

法の対象となる
医療技術

法の対象とならない
医療技術として
政令で列挙するもの

要件 2

用いるもの（以下のいずれか）

- 細胞加工物
- 核酸等

核酸等を用いる再生医療等技術の範囲（政令第1条2号）

目的の要件を満たし核酸等を用いる医療技術のうち、次に掲げる医療技術以外の医療技術

核酸等を用いる再生医療等技術から除外される医療技術

1. **適応症を含む承認を取得した医療機器で生成した核酸等を用いる再生医療等技術**
（既承認医療機器を当該承認又は認証に係る使用方法、効果及び性能で用いて生成した核酸等のみを当該使用方法等で用いる医療技術）
2. **医薬品のうち、人の疾病の予防に使用されることが目的とされているものであって、その用途に関し、外国において、販売し、授与し、又は販売若しくは授与の目的で貯蔵し、若しくは陳列することが認められている核酸等*のみを用いる医療技術**

* 感染症の予防のために必要なものとして厚生労働大臣が定める核酸等に限る。

改正後再生医療等安全性確保法におけるワクチンの扱いの位置づけ

- in vivo 遺伝子治療等や遺伝子治療等の関連技術には、人の疾病の予防を目的とする、核酸等を用いたワクチン（mRNAワクチンなど）も含まれ、当該ワクチンのうち、薬事承認を受けていないものについては、その接種に当たり、法に基づき提供計画の提出等が義務付けられることとなる。
- 他方、ワクチンについては、公衆衛生上、感染症対策として迅速な使用が求められるものが想定される。今般の制度見直しに向けた厚生科学審議会再生医療等評価部会においては、こうしたものについて、一律に法において提供計画の提出等を求めることは適切ではないとの結論が示された。

「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」抜粋 (令和4年6月3日厚生科学審議会再生医療等評価部会)

<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なるという点で概ね意見が一致した。
(中略)
- 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、個別に除くという点で概ね意見が一致した。

再生医療等安全性確保法の対象としないワクチンの考え方、具体的な選定方法について (論点)

第97回再生医療等評価部会

資料1-3
(一部改)

令和6年8月22日

考え方

- 本規定は、感染症がまん延する地域に渡航する者が必要なワクチンの接種を迅速に受けることで、我が国における感染症のまん延を防止するという公衆衛生上の必要性を踏まえたもの。
- この趣旨に鑑み、再生医療等安全性確保法の適用から除外するワクチンは、医薬品の品質、有効性及び安全性を確保する上で我が国と同等の水準にあると認められる医薬品の製造販売の承認の制度又はこれに相当する制度を有している国において承認を受けたものに限定することとしてはどうか。
- 具体的には、医薬品医療機器等法の特例承認制度と同様の範囲の国（アメリカ合衆国、英国、カナダ、ドイツ及びフランス）において承認を受けたワクチンであって、当該承認に係る用法用量により用いられるワクチンに限定することとしてはどうか。

具体的な選定方法

- 上記の考え方に照らし、再生医療等安全性確保法の適用から除外するワクチンの選定に当たっては、感染症のまん延防止の必要性や、当該ワクチンの有効性及び安全性について、専門的見地から精査した上で選定する必要がある。
- このため、ワクチンの選定に当たっては、本部会及び感染症部会において検討を行い、その結果を踏まえ行うこととしてはどうか。
- 本仕組みの目的である感染症のまん延防止を着実に達成するためには、最新の感染症の流行状況やそれに対応するワクチンの状況等に応じ、再生医療等安全性確保法の適用から除外するワクチンの範囲を迅速に見直すことが必要。
- このため、本仕組みの基本的となる考え方及び運用方法を政令に規定しつつ、具体的なワクチンの名称については通知等において定めることとしてはどうか。

再生医療等安全性確保法の対象から除外する核酸等を用いたワクチンの具体について（案）

国内未承認であるが、同等水準国（アメリカ合衆国、英国、カナダ、ドイツ及びフランス）において承認されており、当該感染症の予防のため、当該感染症がまん延する地域に渡航する者や、健康危機管理上の観点から国内において接種する可能性が想定されるワクチンとして、以下のものを再生医療等安全性確保法の対象から除外してはどうか。

対象疾患	一般名	開発コード名	同等水準国
デング熱	Dengue Tetravalent Vaccine (live, attenuated)	CYD-TDV	ドイツ、フランス アメリカ合衆国
		TAK-003	ドイツ、フランス イギリス
チクングニア熱	Chikungunya Vaccine (live)	VLA1553	アメリカ合衆国 カナダ ドイツ、フランス イギリス
エボラ出血熱	Ebola Zaire Vaccine (rVSVΔG-ZEBOV-GP, live)	rVSVΔG-ZEBOV-GP	ドイツ、フランス アメリカ合衆国 カナダ イギリス
	Ebola Vaccine (Ad26.ZEBOV-GP, recombinant)	Ad26.ZEBOV-GP	ドイツ、フランス
	Ebola Vaccine (MVA-BN-Filo, recombinant)	MVA-BN-Filo	ドイツ、フランス
コレラ	Cholera Vaccine (live, oral)	CVD 103-HgR	ドイツ、フランス アメリカ合衆国 カナダ イギリス

- 以後、法の対象から除外するワクチンの追加に当たっては、関連学会からの提案を随時受け付けることとしたい。（参考資料1参照）
- 法の対象から除外されるワクチンについては、国内未承認であることから、当該ワクチンの使用に伴い副作用が生じた場合も、医薬品副作用被害救済制度は適用されない。このため、改正後再生医療等安全性確保法の施行に当たっては、対象から除外されるワクチンを使用する医療機関の医師は、被接種者に対して、当該ワクチンの使用に伴い副作用が生じた場合も医薬品副作用被害救済制度が適用されないことを説明し同意を得ること、法の対象から除外されるワクチンを使用した後の健康観察について当該医師が責任を持って行うこと等を、通知等で周知したい。

再生医療等安全性確保法の対象からワクチンを除外する際の運用について（案）

■ 安全性に係る考え方について

- 外国で製造販売の承認を受けていても、国内で医薬品医療機器等法に基づく製造販売承認がなされていない場合は、当該医薬品の副作用により健康被害が生じたとしても、独立行政法人医薬品医療機器総合機構法に基づく副作用救済給付及び感染救済給付の対象とはならない。
- 医師は、当該医薬品の接種又は投与を希望する者に対して、副作用により健康被害が生じても医薬品副作用被害救済制度の対象とはならないことを十分に説明すること、また責任を持って当該医薬品使用後の健康観察を行うことが必要。副作用が生じた際に輸入代理店による保険が適用される場合は、接種又は投与を希望する者に説明することが望ましい。

■ 未承認医薬品の取扱いについて

- 日本において医薬品医療機器等法の規定に基づく製造販売承認を受けていない医薬品を、輸入した医師等が第三者に販売、授与等を行うことは、医薬品医療機器等法違反となることに留意が必要。

■ 遺伝子組換え生物等に該当する場合の考え方について

- 法の対象から除外される医薬品がカルタヘナ法に規定される遺伝子組換え生物等に該当する場合は、カルタヘナ法に基づく主務大臣による第一種使用規程の承認を得ることが必要。
- 医薬品医療機器等法の規定に基づく製造販売承認を受けていないものを医師の個人輸入により使用する場合であって第一種使用規程の承認がなされていない場合は、あらかじめ第一種使用規程の承認が必要。
- 特定核酸等の取扱いに準じて、個別の医療として実施する場合は本部会のもとに設置予定の核酸等の第一種使用等に関する専門委員会（仮）での意見聴取、製造販売承認を目指す場合はPMDAにおける事前相談を行う。

■ 法の対象から除外される医薬品の提案について

- 法の対象から除外される医薬品については、関係学会等からの提案を受け付ける。なお、提案にあたっては、医薬品の名称等のほか、外国における製造販売承認の詳細、再生医療等安全性確保法に基づく技術の該当性、感染症の予防のために必要なものと考えに至った客観的事実等、カルタヘナ法に規定される遺伝子組換え生物等の該当性の有無及びその根拠等の提出を求める。

(参考) 根拠条文

再生医療等の安全性の確保等に関する法律（令和7年5月31日施行）

（定義）

- 第二条 この法律において「再生医療等」とは、再生医療等技術を用いて行われる医療（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。以下「医薬品医療機器等法」という。）第八十条の二第二項に規定する治験に該当するものを除く。）をいう。
- 2 この法律において「再生医療等技術」とは、人の身体の構造若しくは機能の再建、修復若しくは形成又は人の疾病の治療若しくは予防に用いられることが目的とされている医療技術であって、次に掲げるもののうち、その安全性の確保等に関する措置その他のこの法律で定める措置を講ずることが必要なものとして政令で定めるものをいう。
- 一 細胞加工物を用いる医療技術（細胞加工物として再生医療等製品（医薬品医療機器等法第二十三条の二十五又は第二十三条の三十七の承認を受けた再生医療等製品をいう。以下この条において同じ。）のみをその承認に係る用法等（用法、用量、使用方法、効能、効果及び性能をいう。以下この号において同じ。）又は人の生命及び健康に影響を与えるおそれが当該承認に係る用法等と同程度以下のものとして厚生労働省令で定める用法等で用いるものを除く。）
 - 二 核酸等を用いる医療技術（核酸等として医薬品（医薬品医療機器等法第十四条又は第十九条の二の承認を受けた医薬品をいう。以下この条において同じ。）又は再生医療等製品のみをそれぞれその承認に係る用法等（医薬品にあっては用法、用量、効能及び効果をいい、再生医療等製品にあっては用法、用量、使用方法、効能、効果及び性能をいう。以下この号において同じ。）又は人の生命及び健康に影響を与えるおそれが当該承認に係る用法等と同程度以下のものとして厚生労働省令で定める用法等で用いるものを除く。）

再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行令（令和7年5月31日施行）

（再生医療等技術の範囲）

- 第一条 再生医療等の安全性の確保等に関する法律（以下「法」という。）第二条第二項の政令で定めるものは、人の身体の構造若しくは機能の再建、修復若しくは形成又は人の疾病の治療若しくは予防に用いられることが目的とされている医療技術であって、次に掲げるものとする。
- 一 （略）
 - 二 法第二条第二項第二号に掲げる医療技術のうち、人の体内で当該人の細胞（精子及び未受精卵並びに精子と未受精卵との受精により生ずる胚を除く。）に別表に掲げる物を導入する医療技術であって、次に掲げる医療技術以外の医療技術
 - イ 既承認医療機器等を当該既承認医療機器等について受けた承認又は認証に係る使用方法等で用いて生成した核酸等のみを当該使用方法等で用いる医療技術
 - ロ 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第二条第一項に規定する医薬品のうち、人の疾病の予防に使用されることが目的とされているものであって、その用途に関し、同法第十四条の三第一項第二号に規定する外国において、販売し、授与し、又は販売若しくは授与の目的で貯蔵し、若しくは陳列することが認められている核酸等（感染症の予防のために必要なものとして厚生労働大臣が定める核酸等に限る。）のみを用いる医療技術

別表（第一条第二号関係）

- 一 核酸（遺伝子の発現に必要な遺伝情報を含むものに限る。）
- 二 前号に掲げる物を加工するための機能を有する物
- 三 第一号に掲げる物以外の遺伝子の発現と密接な関係を有する物（細胞の核の外にあるものを除く。）として厚生労働省令で定める物を加工するための機能を有する物
- 四 前三号に掲げる物を含有する物（細胞の分泌物を除く。）