令和６年度全国薬務関係主管課長会議
説明資料

厚生労働省医政局研究開発政策課

目　次　（説　明　事　項）

（医政局研究開発政策課）
１． 臨床研究中核病院への立入検査について －－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－ １
２．臨床研究の適正な実施に関する取組状況について －－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－ ７
３．再生医療等安全性確保法の適正な運用について －－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－－ １８

１．臨床研究中核病院への立入検査について

現状等

○　臨床研究については、次世代のより良質な医療の提供を可能とするため、新たな医薬品を用いた治療法等の開発に資する研究環境の整備の重要性が指摘されてきたところである。「地域における医療及び介護の総合的な確保を推進するための関係法律の整備等に関する法律」（平成 26 年法律第 83 号）により、日本発の革新的医薬品・医療機器の開発などに必要となる質の高い臨床研究や治験を推進するため、国際水準の臨床研究や医師主導治験の中心的な役割を担う病院として、臨床研究中核病院が医療法上位置づけられ、平成 27 年４月から施行された。

○　一定の基準を満たした病院について、厚生労働大臣が社会保障審議会の意見を聴いた上で、臨床研究中核病院として承認することとなっており、令和７年１月現在で、以下の15病院について承認を行った。

・国立がん研究センター中央病院（東京都）
・国立がん研究センター東病院（千葉県）
・北海道大学病院（北海道）
・東北大学病院（宮城県）
・千葉大学医学部附属病院（千葉県）
・東京大学医学部附属病院（東京都）
・名古屋大学医学部附属病院（愛知県）
・京都大学医学部附属病院（京都府）
・大阪大学医学部附属病院（大阪府）
・岡山大学病院（岡山県）
・九州大学病院（福岡県）
・慶応義塾大学病院（東京都）
・順天堂大学医学部附属順天堂医院（東京都）
・神戸大学医学部附属病院（兵庫県）
・長崎大学病院（長崎県）

○　臨床研究中核病院に対して、平成28年度から特定機能病院と同様に医療法第25条第３項に基づく立入検査を実施している。

当該業務は地方厚生局に委任されており、各厚生（支）局所属の医療指導監視監査官を含む複数体制で実施することされているが、検査項目・内容等により医学・医術等の専門的知識の必要性が求められる等、その専門職種職員の協力が必要な場合等に

おいては、各厚生（支）局において適任者を選出するとともに、必要に応じて、法第26条の規定に基づき医療監視員を命じたうえで行っているところである。

今後の取組

○　令和７年度においても医療法第 25 条第１項の規定に基づく立入検査及び同条第３項に基づく特定機能病院の立入検査と合同で、臨床研究中核病院の立入検査を実施予定。

都道府県等へのお願い

○　上記の立入検査を、各都道府県等で実施する医療法第 25 条第 1 項の規程に基づく立入検査と合同で実施できるよう、日程調整を図っていただきたい。

　また、合同実施に当たって検査項目が重複する場合には、一斉に行うなど効率的な立入検査となるよう、事前調整をお願いしたい。

担当者：　山本　臨床研究管理係長（内線：４１５７）

医療法に基づく臨床研究中核病院

○日本発の革新的医薬品・医療機器等の開発を推進するため、国際水準の臨床研究等の中心的役割を担う病院を**「臨床研究中核病院」**として医療法上に位置づけ（平成27年４月施行）。

○一定の基準を満たした病院について、厚生労働大臣が社会保障審議会の意見を聴いた上で、臨床研究中核病院として承認する。

※令和６年４月現在で、下記の15病院を承認

- 国立がん研究センター中央病院
- 東北大学病院
- 大阪大学医学部附属病院
- 国立がん研究センター東病院
- 名古屋大学医学部附属病院
- 九州大学病院
- 東京大学医学部附属病院
- 慶應義塾大学病院
- 千葉大学医学部附属病院
- 京都大学医学部附属病院
- 岡山大学病院
- 北海道大学病院
- 順天堂大学医学部附属順天堂医院
- 神戸大学医学部附属病院
- 長崎大学病院

○「臨床研究中核病院」の名称を掲げることで、国際水準の臨床研究等の中心的役割を担う病院として認知され、より質の高い最先端の臨床研究・治験が実施できるため、

①臨床研究・治験に参加したい**被験者が集まり、症例が集積**される
②臨床研究・治験を実施するための**優れた研究者等の人材が集まってくる**
③**他の施設からの相談や研究の依頼が集まってくる**

などの効果が期待される。

臨床研究中核病院の承認要件（概要）

<table>
<tr><th colspan="2">能力要件 （四条の三第一項第一号～第四号,第十号）</th><th>施設要件
（四条の三第一項第五号、六号、八号、九号）</th><th>人員要件
（四条の三第一項第七号）</th></tr>
<tr><th>実施体制</th><th>実績</th><th></th><th></th></tr>
<tr>
<td>○不適正事案の防止等のための管理体制の整備
・病院管理者の権限及び責任を明記した規程等の整備
・病院管理者を補佐するための会議体の設置
・取組状況を監査する委員会の設置
＊上記の他、申請時に過去の不適正事案の調査、再発防止策の策定等の義務づけ。

○以下の体制について担当部門・責任者の設置、手順書の整備等を規定
・臨床研究支援体制
特定領域においては、当該領域にかかる治験・臨床研究実施・調整事務局の設置を含めた支援体制整備
・データ管理体制
・安全管理体制
・認定臨床研究審査委員会での審査体制
特定領域においては、当該領域にかかる技術専門員の配置・育成等を含めた体制整備
・利益相反管理体制
・知的財産管理・技術移転体制
・国民への普及・啓発及び研究対象者への相談体制
・患者申出療養及び先進医療の相談・申請・実施等に係る体制整備</td>
<td>○自ら行う特定臨床研究の実施件数（注１）
・医師主導治験８件、又は
・医師主導治験４件、かつ臨床研究40件
※特定領域においては医師主導治験2件、又は医師主導治験1件、かつ臨床研究40件

○主導する多施設共同の特定臨床研究の実施件数（注１）
・多施設共同医師主導治験2件、又は
・多施設共同臨床研究20件
※特定領域においても同数

○論文数（注１）
・45報以上※（英文、査読有）
※特定領域においては22報以上
・筆頭著者の所属機関が当該申請機関である論文　又は　研究責任者の所属機関が当該申請機関であり、当該申請機関から研究支援を受けて研究を実施した論文
・プロトコール論文　6報以内

○他の医療機関が行う特定臨床研究に対する支援件数（注２）
・15件以上（支援業務数）

○特定臨床研究を行う者等への研修会の開催件数（注２）
・特定臨床研究を行う者に対する研修会６回以上
・特定臨床研究に携わる従業者に対する研修会６回以上
・認定臨床研究審査委員会の委員に対する研修会３回以上

（注１）申請の前月又は前年度から過去３年間の実績
（注２）申請の前月から過去１年間又は前年度の実績</td>
<td>○診療科
・10以上

○病床数
・400以上

○技術能力について外部評価を受けた臨床検査室</td>
<td>○臨床研究に携わる人員数（臨床研究支援・管理部門等に所属する人員数）
・医師・歯科医師　5人
・薬剤師　5人
・看護師　10人
・臨床研究の実施支援者　専従24人
臨床研究コーディネーター(CRC) / モニター/ プロジェクトマネージャー（スタディーマネージャー）/ 治験・臨床研究調整業務担当者/ 研究倫理相談員/ 臨床検査技術・品質管理者/ 研究監査担当者/ メディカルライター

・データマネージャー 専従3人
・生物統計家　専任2人
常勤換算でエフォート合計2人
・薬事承認審査機関経験者　専従1人</td>
</tr>
</table>

臨床研究中核病院の立入検査の委任

臨床研究中核病院に対し、特定機能病院と同様に医療法に基づく立入検査を行うこととしており、当該業務は、国民により身近なところで、国民生活の安全と安心などを担う厚生行政の政策実施機関である地方厚生局に委任されている。

医療法（抄）　（昭和二十三年七月三十日法律第二百五号）

第二十四条　（略）

２　厚生労働大臣は、特定機能病院又は臨床研究中核病院（以下この節において「特定機能病院等」という。）の構造設備が第二十二条の二又は第二十二条の三の規定に違反するときは、その開設者に対し、期限を定めて、その修繕又は改築を命ずることができる。

第二十五条　（略）

３　厚生労働大臣は、必要があると認めるときは、特定機能病院等の開設者若しくは管理者に対し、必要な報告を命じ、又は当該職員に、特定機能病院等に立ち入り、その有する人員若しくは清潔保持の状況、構造設備若しくは診療録、助産録、帳簿書類その他の物件を検査させることができる。

４　厚生労働大臣は、特定機能病院等の業務が法令若しくは法令に基づく処分に違反している疑いがあり、又はその運営が著しく適正を欠く疑いがあると認めるときは、当該特定機能病院等の開設者又は管理者に対し、診療録、助産録、帳簿書類その他の物件の提出を命ずることができる。

医療法施行規則（抄）　（昭和二十三年十一月五日厚生省令第五十号）

（権限の委任）

第四十三条の四　法第七十五条第一項及び令第五条の二十四第一項の規定により、次に掲げる厚生労働大臣の権限は、地方厚生局長に委任する。ただし、厚生労働大臣が第二号から第四号までに掲げる権限を自ら行うことを妨げない。

二　法第二十五条第三項 及び第四項 に規定する権限

臨床研究中核病院の立入検査実施要領について

臨床研究中核病院の立入調査の実施方針の策定にあたって、厚生労働省が示す立入検査実施要領については、特定機能病院制度を参考に作成を行った。

臨床研究中核病院の立入実施要領のポイント

1．目的
臨床研究中核病院が医療法及び関連法令により規定された人員及び構造設備を有し、かつ、特定臨床研究の適正な実施等について適正な管理を行っていることを確保。

2．実施回数
原則として、各臨床研究中核病院に対して年１回実施。

3．実施体制
各厚生（支）局所属の医療指導監視監査官及び医療安全・臨床研究推進指導官を含む複数体制で実施。また、初めて実地調査を行う場合等、必要に応じて、法26条の規定に基づき研究開発振興課職員等を医療監視員を命じた上で実施する。

4．都道府県等との調整
各厚生（支）局は、原則として各都道府県等が実施する法第25条第1項の規定に基づく立入検査及び同条第3項に基づく特定機能病院の立入検査と合同で実施できるよう調整。

5．立入検査方法
立入検査にあたっては、原則として、本省から示される調査表に基づいて行うこととし、その他、各厚生（支）局の実状に応じて必要な項目について検査することとする。

２．臨床研究の適正な実施に関する取組状況について

現状・今後の取組等

○　臨床研究の国民の信頼の確保を目的として平成 30 年４月に施行した臨床研究法について、その円滑な運用に努めてきたところである。

＜参考：臨床研究法について＞

・未承認・適応外の医薬品等の臨床研究又は製薬企業等から資金等の提供を受けた医薬品等の臨床研究の実施者に対して、モニタリング・監査の実施や利益相反の管理、臨床研究に関する情報の公表等の厚生労働大臣の定める実施基準の遵守を義務付けるなど、臨床研究の実施の手続について法律で規定。

・製薬企業等に対して、臨床研究に係る資金の提供に関する情報の公表を義務付け。

等

○　臨床研究法においては、法附則第２条第２項に基づき、この法律の施行の状況、臨床研究を取り巻く状況の変化等を勘案し、施行後５年（令和５年３月末）までに検討し、その結果に基づき所要の措置を講じることとされており、厚生科学審議会臨床研究部会において、臨床研究法や運用の見直しの必要性等も含め検討を行い、令和４年６月３日付けで「臨床研究法施行５年後の見直しにかかる検討のとりまとめ」を公表した。本とりまとめを踏まえた改正法案が令和６年６月の第 213 回通常国会において、可決・成立し、同年６月 14 日に公布した。

都道府県へのお願い

○　臨床研究法をはじめとした規制に従った臨床研究の適正な実施のために、各都道府県等において、医療機関に対する指導等における相互の連携体制の構築について御協力をいただきたい。

○　特定臨床研究の該当性に関して、令和元年 11 月 13 日付けの臨床研究法に関するＱ＆Ａ（統合版）問１-16 において、いわゆるサプリメント等の医薬品該当性について判断しがたい場合は､都道府県等の薬務担当課に相談することを案内しているところ、引き続き相談に対してご対応いただくよう、ご協力をお願いしたい。

担当者：　大永　創薬支援係員（内線：４１６４）

臨床研究法（平成29年法律第16号）の概要

目的

臨床研究の実施の手続、認定臨床研究審査委員会による審査意見業務の適切な実施のための措置、臨床研究に関する資金等の提供に関する情報の公表の制度等を定めることにより、臨床研究の対象者をはじめとする国民の臨床研究に対する信頼の確保を図ることを通じてその実施を推進し、もって保健衛生の向上に寄与することを目的とする。

内容

1．臨床研究の実施に関する手続

（1）特定臨床研究（※）の実施に係る措置

① 以下の特定臨床研究を実施する者に対して、モニタリング・監査の実施、利益相反の管理等の実施基準の遵守及びインフォームド・コンセントの取得、個人情報の保護、記録の保存等を義務付け。

② 特定臨床研究を実施する者に対して、実施計画による実施の適否等について、厚生労働大臣の認定を受けた認定臨床研究審査委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出することを義務付け。

③ 特定臨床研究以外の臨床研究を実施する者に対して、①の実施基準等の遵守及び②の認定臨床研究審査委員会への意見聴取に努めることを義務付け。

※ 特定臨床研究とは

- 薬機法における未承認・適応外の医薬品等の臨床研究
- 製薬企業等から資金提供を受けて実施される当該製薬企業等の医薬品等の臨床研究

（2）重篤な疾病等が発生した場合の報告

特定臨床研究を実施する者に対して、特定臨床研究に起因すると疑われる疾病等が発生した場合、認定臨床研究審査委員会に報告して意見を聴くとともに、厚生労働大臣にも報告することを義務付け。

（3）実施基準違反に対する指導・監督

① 厚生労働大臣は改善命令を行い、これに従わない場合には特定臨床研究の停止等を命じることができる。

② 厚生労働大臣は、保健衛生上の危害の発生・拡大防止のために必要な場合には、改善命令を経ることなく特定臨床研究の停止等を命じることができる。

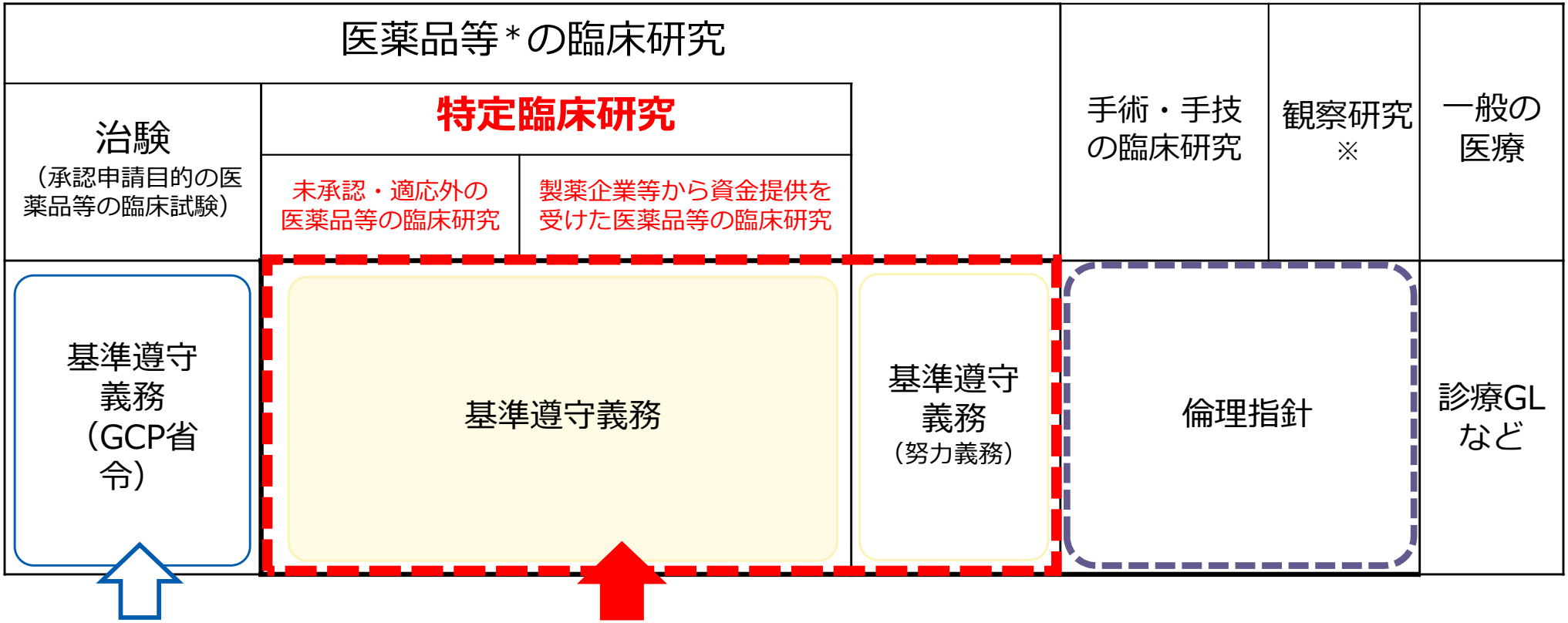
2． 製薬企業等の講ずべき措置

① 製薬企業等に対して、当該製薬企業等の医薬品等の臨床研究に対して資金を提供する際の契約の締結を義務付け。

② 製薬企業等に対して、当該製薬企業等の医薬品等の臨床研究に関する資金提供の情報等（※詳細は厚生労働省令で規定）の公表を義務付け。

施行日 平成30年4月1日（公布日：平成29年4月14日）

臨床研究法の対象範囲



※研究目的で研究対象者に著しい負担を与える検査等を研究の目的で診療に追加して行う場合は、臨床研究法の対象

＊医薬品等：医薬品（体外診断用医薬品を除く。）、医療機器、再生医療等製品

臨床研究法施行５年後の見直しまでの検討の経緯

令和２年４月　特別研究班

- 臨床研究を取り巻く状況を勘案した臨床研究法の法改正も含めた対応策の検討

令和３年１～11月　第19～26回　臨床研究部会

- 臨床研究法の施行後５年の検討に関する論点の抽出
- 臨床研究法の見直しの論点と法制定時の附帯決議における検討項目について
- 臨床研究法見直しに係る関係者ヒアリング
- 臨床研究法の見直し各論点と方向性について議論
- 臨床研究法の施行後５年の検討に関する論点と検討の方向性案について議論

12月13日　中間とりまとめ　公表

12月～令和４年３月　第27～29回　臨床研究部会

- 臨床研究法の施行後５年における各論点の検討の方向性案について議論

３月　省令改正・通知発出等

- 運用状況に合わせ省令改正の他、通知を発出
  - 個人情報保護法の改正に伴う見直しにかかる省令改正
  - 法の運用改善を図るための省令改正（手続合理化、届出のオンライン化）
  - 認定臨床研究審査委員会における認定更新要件の見直しにかかる省令改正

４月　第30回　臨床研究部会

- 臨床研究法の施行後５年における各論点の検討の方向性ととりまとめの方針について議論

６月　とりまとめ　公表

臨床研究法施行５年後の見直しに係る検討のとりまとめ（概要）

※令和４年６月３日厚生科学審議会臨床研究部会とりまとめ

革新的な医薬品等の研究開発の推進

１．臨床研究実施体制の国際整合性

（１）研究全体の責任主体の概念について

■ 国際整合性の観点も踏まえ、多施設共同研究においても統一的な運営体制が確保されるよう、臨床研究の実施体制について「研究の計画・運営の責任を負うべき者」と「研究の実施に責任を有する者」の役割や機能を整理した上で、研究毎に研究の実施を統一的に管理する 「試験の計画・運営の責任を負うべき者」を設定すべき。

■ 再審査・再評価に係る製造販売後臨床試験以外の製造販売後の臨床試験については、薬機法下の適切な基準に準拠して実施することができるようにすべき。

（２）特定臨床研究で得られた情報の薬事申請における利活用について

■ 厚生労働科学特別研究事業等において、特定臨床研究で得られたデータを薬事申請に活用する場合の一般的な要件、留意点等の取りまとめ・公表に向けた検討を進めるべき。

（３）いわゆる観察研究に関する臨床研究法の適用範囲について

■ 法の対象となる臨床研究の範囲は、研究計画に従って研究対象者に対し医薬品等を使用する研究及び適切な医療として医薬品等を使用するものであって、研究対象者への通常の医療と大きく異なる傷害・負担が大きい検査等を研究目的で診療に追加して行う研究とすべき。

■ 「傷害・負担が大きい検査等」の基準や事例を明示すべきであり、引き続き、事例の収集や基準に係る考え方の検討を進めるべき。

（４）疾病等報告の取扱いについて

■ 研究毎に設定される「試験の計画・運営の責任を負うべき者」において、有害事象に係る情報を一元的に集約し、因果関係について一律に判断できるようにすべき。

■ 未承認・適応外の医薬品等の臨床研究における既知の重篤な疾病等をCRBに報告する期限については、原則30日以内とすることとし、研究組織から独立した効果安全性評価委員会が設置される場合には、その運用を示した上で定期報告とすべき。

■ 既承認の医薬品等の臨床研究については、通常の診療においても起こりうる事象であり、既知の疾病等をCRBに報告する期限は定期とすべき。

２．研究の法への該当性の明確化

（１）適応外薬に関する特定臨床研究の対象範囲について

■ 適応外医薬品等を使用する研究であっても、既承認の用法等とリスクが同程度のものについては、特定臨床研究の範囲から除外することとし、リスクの判断にあたっては、臨床研究部会の下に専門委員会を設置して検討すべき。

（２）医療機器に関する臨床研究法の適用範囲について

■ 医療機器を用いた研究に関し法への該当性等を相談できるよう、相談窓口の設置を進めるべき。

■ 定期的に特定臨床研究の該当判断に迷った事例等の収集を行い、随時事例集を更新していくべき。

■ 関係学会等の協力を得て、臨床研究法に関するQ&Aや事例集をCRB、倫理審査委員会、工学部の研究者等を含めた関係者に広く周知していくべき。

３．手続の合理化

（１）届出・変更手続きの合理化、届出のオンライン化について

■ 現行法において、変更の届出が必要な項目のうち、研究の本質に関わらないような事項は軽微変更とすべき。

■ 届出事項としなくても、jRCTに掲載誌、公開できれば良い項目を整理し、実施計画とjRCTへの掲載項目を分離すべき。

■ 届出のオンライン化、jRCTの改修に着手すべき。

（２）利益相反申告手続の適正化について

■ COI管理について、医療機関における事実確認の手続を代替するための客観的かつ容易な確認や、臨床研究法における特定臨床研究のみならず国内の医学系研究に関するCOIの一元管理が可能となるようなデータベースを構築することが望ましい。

■ 国がこのようなデータベースの構築に向けた取組に着手することが期待される。

研究の信頼性確保

１．透明性の確保

（１）利益相反申告手続の適正化について（再掲）

（２）研究資金等の提供に関する情報公表の範囲について

■ 特定臨床研究に関与する企業について、費目の付け替えが行われている可能性の有無を確認できる状態とするよう、企業における情報提供関連費及び接遇費の年間総額の公表を法令で義務付けるべきである。

（３）重大な不適合の取扱いについて

■ 特定臨床研究において、重大な不適合が発生した場合には、研究機関の長に公表を求めることとする。

２．研究の質の確保

（１）臨床研究審査委員会の認定要件について

■ 更新要件については、これまでの開催回数の要件を見直すとともに、新規の審議件数を要件に加えるべき。

■ 当面、新規の審議件数は３年間で６件以上（ただし、毎年１件以上）、かつ、開催回数については毎年７回以上とする。ただし、疾病等報告等、迅速に取り扱う議題がある場合には、要件に関わらず、迅速な開催を求めることとする。

■ 要件を満たさない場合は、廃止に向けた円滑な準備を進めていただくこととする。

■ 今後、定期的にCRBの活動状況を確認しそれらを分析した上で、必要な見直しを行っていく。

※ CRBの更新要件について省令改正を行い、一定の経過措置を設けた上で、新規の審議件数は３年間で６件以上（ただし、毎年１件以上）、かつ、開催回数については毎年７以上に見直しを行った。

※ 更新要件を満たさないCRBについては、円滑な廃止に向けて準備を進めていただくものとし、これまでに発出したCRBの更新に係る事務連絡を廃止した上で、改めてCRBの更新に関する考え方を示した。

研究目的で研究対象者に著しい負担を与える検査等を伴う研究に関する法の適用

- 研究目的ではなく、通常の医療の提供として使用された医薬品等の有効性又は安全性を明らかにするために実施する研究がある。
- 通常の医療の提供に追加して研究目的で医薬品等を使用しない場合であっても、**研究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、研究対象者の生命・身体の安全が脅かされる可能性があるため、研究目的で医薬品等を使用する場合と同様に、**臨床研究法の対象**となる旨を条文上明確化する。

【改正後の臨床研究法の対象範囲】

医薬品等の使用	検査等	臨床研究法の対象か否か
1．**研究目的で**医薬品等を使用する場合	（内容問わず）	**対象**
2．**通常の医療の提供として**医薬品等を使用する場合	研究目的で研究対象者に著しい負担を与える検査等を通常の医療に追加して行う場合 例：骨髄穿刺、造影剤を使用するCT検査など （厚生科学審議会の意見を聴いて厚生労働省令等で定める）	**対象**
	上記以外の検査等を通常の医療に追加して行う場合	**対象外**
	通常の医療に必要な範囲の検査等のみ（研究目的の検査等は行わない）	**対象外**

研究目的で研究対象者に著しい負担を与える検査等を伴う研究に関する運用方法、基準（案）

○　省令で具体的範囲を定めることとされている「研究対象者の心身に著しい負担を与えるもの」は、「臨床研究法施行５年後の見直しに係る検討のとりまとめ」も踏まえ、下記のようなケースを念頭に、**入院等の研究対象者に負担を課すことが明らかであるものや、通常の医療において行われる診断、治療及び予防のための検査又は行為に比べ、著しく大きい傷害が発生する可能性が高いもの**としてはどうか。

> ①　入院や頻回の通院その他の身体の自由の拘束を強いる検査又は行為
> ②　治療を要する疾病、障害、又は死亡が発生する可能性が高い検査又は行為
> ③　心身に苦痛を相当程度与える検査又は行為

○　著しく大きい傷害が発生する可能性は、対象者の年齢や体重、疾患、病状等の背景因子によって大きく異なるため、個々の検査等に即して上記基準への該当性を判断する必要がある。当該判断に資するよう、国において事例等を示すこととしてはどうか。

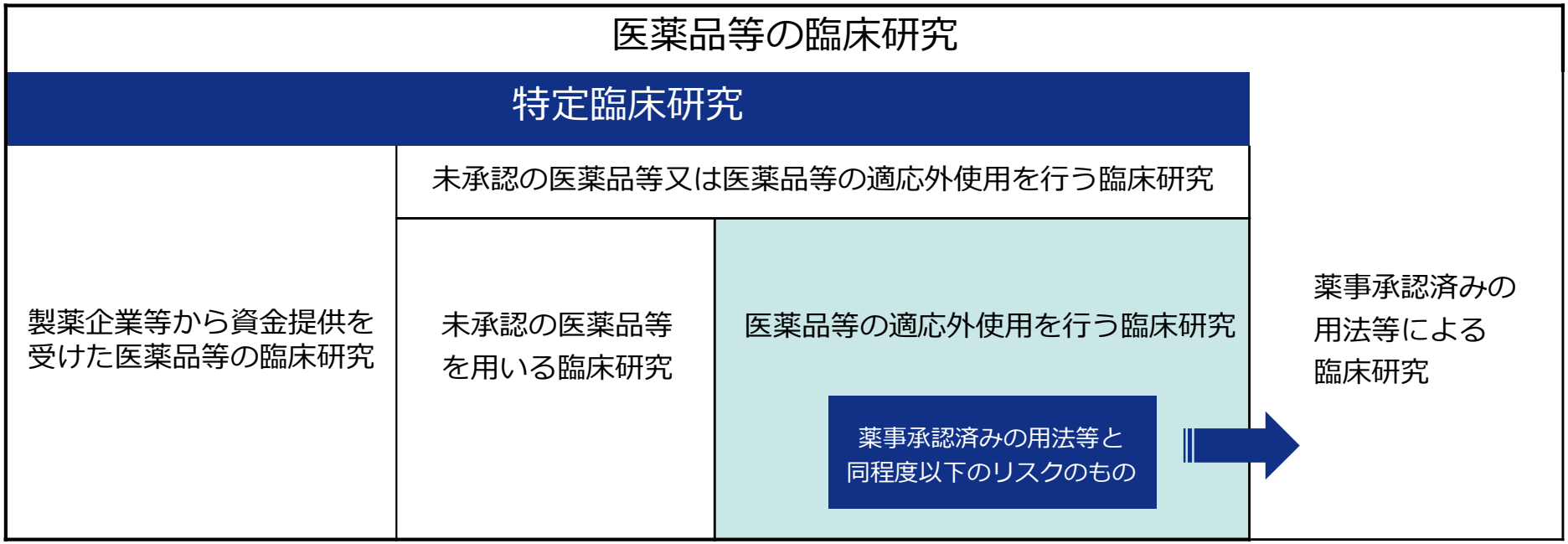
医薬品等の適応外使用に関する特定臨床研究等の対象範囲の見直し

- 現行法では、臨床研究における医薬品等の使用方法が、**薬事承認済みの用法等と少しでも異なる場合（適応外使用）**（※）**は一律に特定臨床研究に該当**し、実施基準の遵守や実施計画の提出等が義務付けられる。

  ※ 特にがん領域と小児領域においてこのような研究が多く行われている。

- このような医薬品等の適応外使用について、研究対象者の生命及び健康へのリスクが**薬事承認済みの用法等による場合と同程度以下のものを特定臨床研究の対象から除外**する。

  注　厚生科学審議会の意見を聴いて厚生労働省令等で定める。なお、再生医療等安全性確保法においても、再生医療等製品の適応外使用について同旨の対応を行う（同法の適用対象から除外する）。



想定される例
　診療ガイドラインで推奨されており
　日常診療で実施されている用法
厚生科学審議会の意見を聴いて厚生労働省令等で定める

特定臨床研究の対象からの除外に関する臨床研究の基準（

認定臨床研究審査委員会において判断されるこの基準は、

○　国内の医学関連学会により推奨されている用法等である（医学関連学会が策定する最新のガイドライン若しくはそれと同等の手法により推奨すべきものである旨の見解が公表されているもの）

又は

○　その効能・効果が薬事承認の範囲内であり、研究対象者に対して有効かつ安全であると判断された用法・用量である

ただし、国内における診療の実績が乏しい又は保健衛生上の危害が発生している用法等は除く。

※　医療機器についても同基準とする。

こととしてはどうか。

通知等で示す考え方（案）

・　「医学関連学会が策定する最新のガイドライン」とは、日本医学会連合加盟学会が策定する診療ガイドラインである、又はMinds（※）による評価を受けたガイドラインとする。

※　Medical Information Distribution Service（EBM普及推進事業）（公益財団法人 日本医療機能評価機構）

・　「それと同等の手法により推奨すべきものである旨の見解が公表されているもの」とは、診療ガイドライン策定手順と同等の有効性及び安全性のエビデンスが収集され、レビューにより推奨されることが明確である用法等であることが、学会のウェブページ等で公表されているもの。

それらは、研究対象者の生命及び健康へのリスクが薬事承認済みの用法等による場合と同程度以下と判断した用法等を根拠論文と共に分かりやすく示すものであること。

・　「研究対象者に対して有効かつ安全であると判断された用法・用量」とは、臨床試験のみならず、医薬品においては薬物動態解析、医療機器においては使用模擬試験等で有効性・安全性が説明可能であることを意味する。

・　「保健衛生上の危害が発生している用法等」とは、緊急安全性情報若しくは安全性速報又は論文等により当該用法等について重篤な副作用等により中止等の注意喚起がされている用法等。

としてはどうか。

（参考）対応済み項目について

「臨床研究法施行５年後の見直しに係る検討のとりまとめ」における、既に対応済みの事項のまとめ

革新的な医薬品等の研究開発の推進

１．臨床研究実施体制の国際整合性

（１）研究全体の責任主体の概念について

※ 再審査・再評価に係る製造販売後臨床試験以外の製造販売後の臨床試験については、薬機法下の適切な基準に準拠して実施できるよう、薬機法及び臨床研究法の施行規則を改正した。（令和４年９月30日 省令改正）

（２）特定臨床研究で得られた情報の薬事申請における利活用について

※ 特定臨床研究で得られた試験成績を利用し、実際に薬事申請に至った個別の申請事例をもとに、適切な信頼性確保を講じる上での留意点・考え方を一例として示した。（令和５年３月31日　医薬・生活衛生局医薬品審査管理課 事務連絡）

３．手続の合理化

（１）届出・変更手続きの合理化、届出のオンライン化について

※ 特定臨床研究の実施計画の変更手続に関して、軽微な変更に該当する事項を追加するとともに、jRCTへの掲載のみとする項目を実施計画の記載事項から削除するため、施行規則における所要の改正を行った。（令和４年３月31日 省令改正）

※ jRCTの改修を行うなど必要な対応を進め、特定臨床研究の実施計画等の国への届出をオンライン化した。

研究の信頼性確保

１．透明性の確保

（３）重大な不適合の取扱いについて

※ 実施医療機関の管理者は、特定臨床研究において重大な不適合の発生を知ったときは、その旨を公表すべきことについて通知を行った。
（令和４年３月31日 医政局研究開発振興課長通知）

２．研究の質の確保

（１）臨床研究審査委員会の認定要件について

※ CRBの更新要件について省令改正を行い、一定の経過措置を設けた上で、新規の審議件数は３年間で６件以上（ただし、毎年１件以上）、かつ、開催回数については毎年７回以上に見直しを行った。（令和４年３月31日 省令改正）

※ 更新要件を満たさないCRBについては、円滑な廃止に向けて準備を進めていただくものとし、これまでに発出したCRBの更新に係る事務連絡を廃止した上で、改めてCRBの更新に関する考え方を示した。（令和４年３月31日医政局研究開発振興課 事務連絡）

いわゆる「サプリメント」等の臨床研究について（Q&A抜粋）

問1－15　いわゆる「サプリメント」と称して「食品」として販売されている物又はその成分を含有する物について、それを患者等に摂取させることにより、その物の、疾病の治療に対する有効性を明らかにすることを目的とした研究は、法に規定する臨床研究に該当しないと一律に解してよいか。

（答）「食品」として販売されている物又はその成分を含有する物であっても、疾病の治療等に使用されることが目的とされている場合には「医薬品」に該当する。このため、これを患者等に投与することにより、**疾病の治療等に対する有効性や安全性を評価することを目的とした研究は、未承認の医薬品を用いた臨床研究として、法に規定する臨床研究に該当する可能性がある**ため、留意が必要である。

問1－16　どのような場合に、「医薬品」に該当するのか。

（答）医薬品医療機器等法第２条第１項の規定に基づき、次のいずれかに該当する物（「医薬部外品」に該当する物を除く。）を指す。医薬品に当たるかどうか判断しがたい場合には、あらかじめ、都道府県等の薬務担当課に研究計画書などの資料を添えて相談し、判断を受けること。

・日本薬局方に収載されている物
・人の疾病の診断、治療又は予防に使用されることが目的とされている物
・人の身体の構造又は機能に影響を及ぼすことが目的とされている物

臨床研究法の施行等に関するＱ＆Ａ（統合版）について（令和元年11月13日厚生労働省医政局研究開発振興課、厚生労働省医薬・生活衛生局監視指導・麻薬対策課事務連絡）

３．再生医療等安全性確保法の適正な運用について

現状等

○　再生医療等については、iPS 細胞を用いた治療に代表されるように国民の期待が非常に高い一方、安全かつ迅速に実用化を進めることが必要であります。平成 26 年 11 月に施行された再生医療等の安全性の確保等に関する法律に基づき、再生医療等を提供する医療機関、再生医療等に用いる細胞加工物を製造する施設、さらに再生医療等の計画を審査する認定再生医療等委員会の 3 者に対する規制を設け、再生医療等の安全な実用化に向けて取り組んでまいりました。

（参考）令和６年 12 月末時点での認定等件数

認定再生医療等委員会･･･164 件（うち特定認定再生医療等委員会 78 件）
細胞培養加工施設・・・・ 3,666 件（うち許可施設 80 件、認定施設 19 件）
再生医療等提供計画・・・6,189 件（うち第１種 17 件、第２種 2,036 件、第３種 4,136 件）

○　昨今の医療技術の革新等への対応のため、昨年の通常国会において、再生医療等安全性確保法の改正法が可決、公布され、本年5月31日に施行されることになりました。改正法では、新たに人の体内に直接遺伝子を投与したり、体内で遺伝子の改変を行う遺伝子治療、いわゆるin vivo遺伝子治療やその関連技術を法の対象とするとともに、認定再生医療等委員会に対する立入検査や欠格事由の規定が設けられています。改正の施行に向けて着実な準備をして参ります。

都道府県へのお願い

○　法改正により、本法の対象範囲が拡大することとなりますが、みなさまにおかれましては引き続き、再生医療等の適正な実施のために地方厚生局と連携をとりながら、医療機関等に対する指導等における、相互の連携体制の構築について御協力をいただきますようお願い申し上げます。

担当者：　町田　再生医療等研究係（内線：２５８７）

再生医療等安全性確保法の施行状況について　（令和６年12月31日現在）

（１）認定再生医療等委員会

委員会の分類	認定再生医療等委員会の件数							合計
	北海道	東北	関東信越	東海北陸	近畿	中国四国	九州	
特定認定再生医療等委員会	2	1	43	8	14	3	7	78
認定再生医療等委員会※	0	3	47	7	11	4	14	86
合計	2	4	90	15	25	7	21	164

※第３種再生医療等提供計画のみに係る審査等業務を実施する委員会

（２）細胞培養加工施設

許可等の分類	細胞培養加工施設の件数							合計
	北海道	東北	関東信越	東海北陸	近畿	中国四国	九州	
許可	0	2	45	4	21	1	7	80
届出	95	136	1,771	315	633	216	401	3,567
合計	95	138	1,816	319	654	217	408	3,647

認定（国・地域別）	韓国(14)、中国(1)、台湾(2)、オーストリア(1)、ギリシャ(1)	19

（３）再生医療等提供計画

再生医療等の分類	治療・研究の区分	再生医療等提供計画の件数							合計
		北海道	東北	関東信越	東海北陸	近畿	中国四国	九州	
第１種再生医療等提供計画	治療	1	1	1	1	2	0	2	8
	研究	0	0	4	3	2	0	0	9
第２種再生医療等提供計画	治療	53	27	1,128	123	415	55	187	1,988
	研究	1	1	23	4	12	1	6	48
第３種再生医療等提供計画	治療	93	139	2,061	362	754	239	446	4,094
	研究	0	0	37	1	3	0	1	42
合計	治療	147	167	3,190	486	1,171	294	635	6,090
	研究	1	1	64	8	17	1	7	99

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案の概要

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

令和７年５月31日

細胞加工物を用いない遺伝子治療等に対する再生医療等安全性確保法の適用

- 現行法は、細胞加工物（※１）を用いる医療を法の対象としており、遺伝子治療のうち**細胞加工物を用いない遺伝子治療（in vivo遺伝子治療）（※２）は法の対象外**。

  ※１　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　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

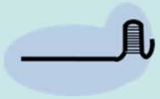
- in vivo遺伝子治療についても、細胞加工物を用いる医療と同じく感染症の伝播やがん化等のリスクがあるため、**法の適用対象に追加**して提供基準の遵守、提供計画の提出、当該医療を受ける者への説明及び同意の取得等を義務付ける。

■ 新たに法の対象とするもの　□ 現行法の対象

細胞加工物を用いない遺伝子治療
（in vivo遺伝子治療）
⇒ 核酸等を用いる医療技術を用いて行われる医療

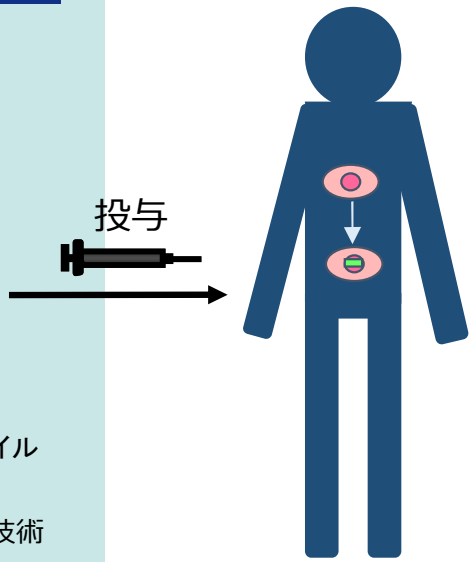
■ 遺伝子の導入
ウイルスベクター等

■ 遺伝子の改変
ゲノム編集酵素等

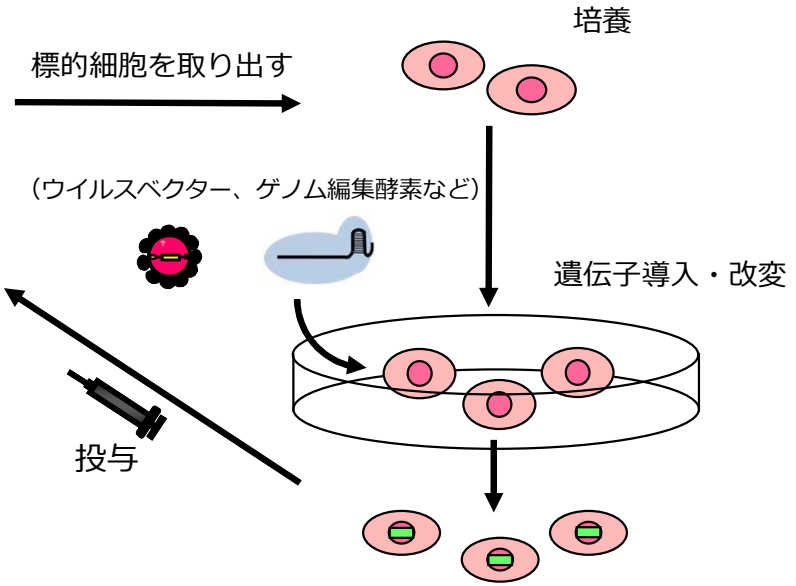


※ 核酸等＝核酸やゲノム編集酵素、それらを含むウイルスベクターなど

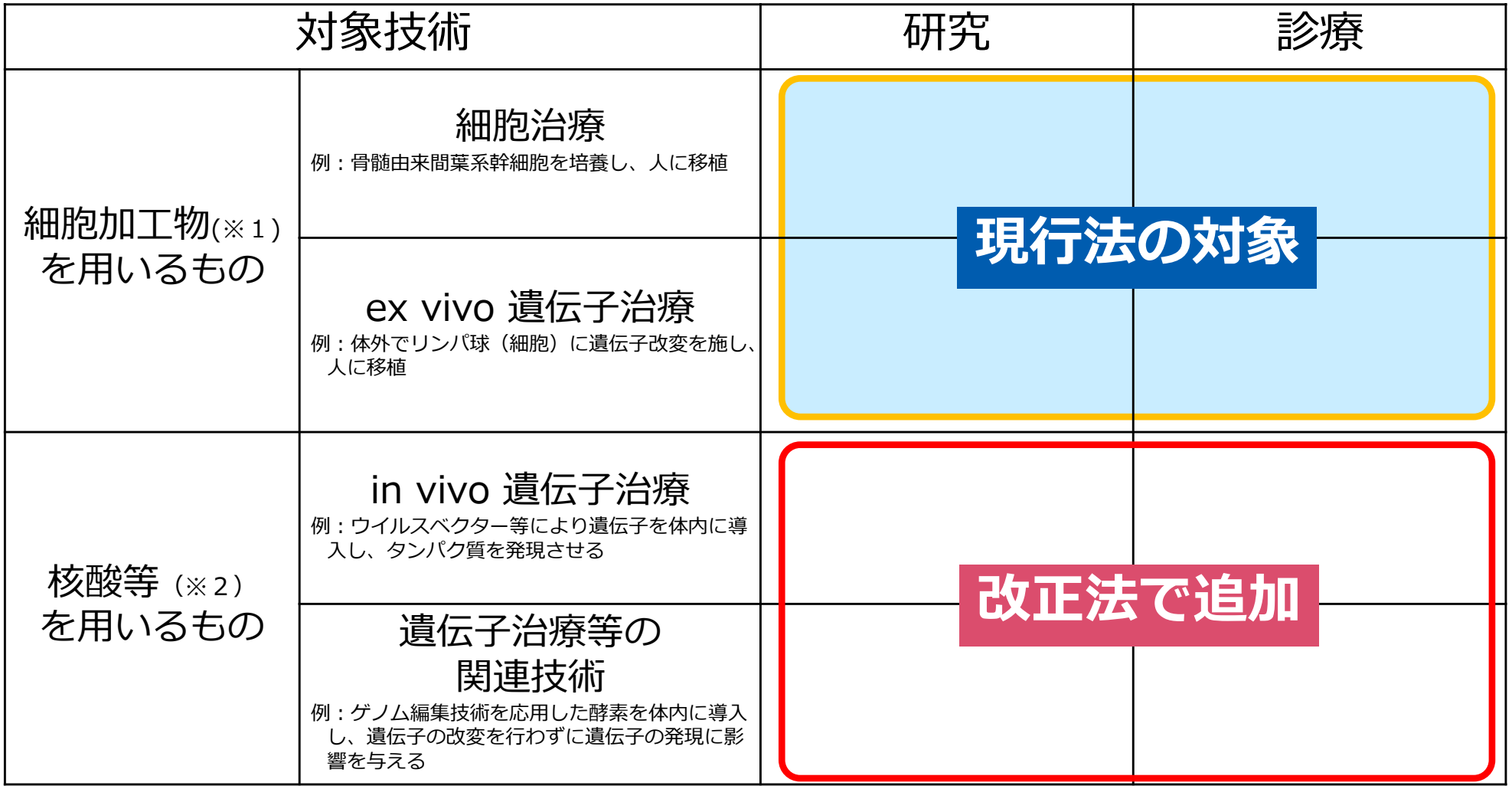
※上記のほか、遺伝子の発現に影響を与える関連技術についても法の対象とする



細胞加工物を用いる遺伝子治療
（ex vivo遺伝子治療）



再生医療等安全性確保法に関わる法的枠組みのイメージ図



（※１）人又は動物の細胞に培養その他の加工を施したもの
（※２）人の体内で当該人の細胞に導入される核酸並びに核酸及びその他の遺伝子の発現と密接な関係を有する物を加工するための機能を有する物（これらを含有する物を含む。）

（参考）遺伝子治療等技術・遺伝子治療等の関連技術のイメージ図

第97回 再生医療等評価部会	資料１－３
令和６年８月２２日	

遺伝子治療等技術

○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細胞を投与する**
・ウイルスベクターで欠損遺伝子を発現させた**造血幹細胞を投与する**

○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**遺伝子を導入する**
・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**遺伝子を導入する**

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**

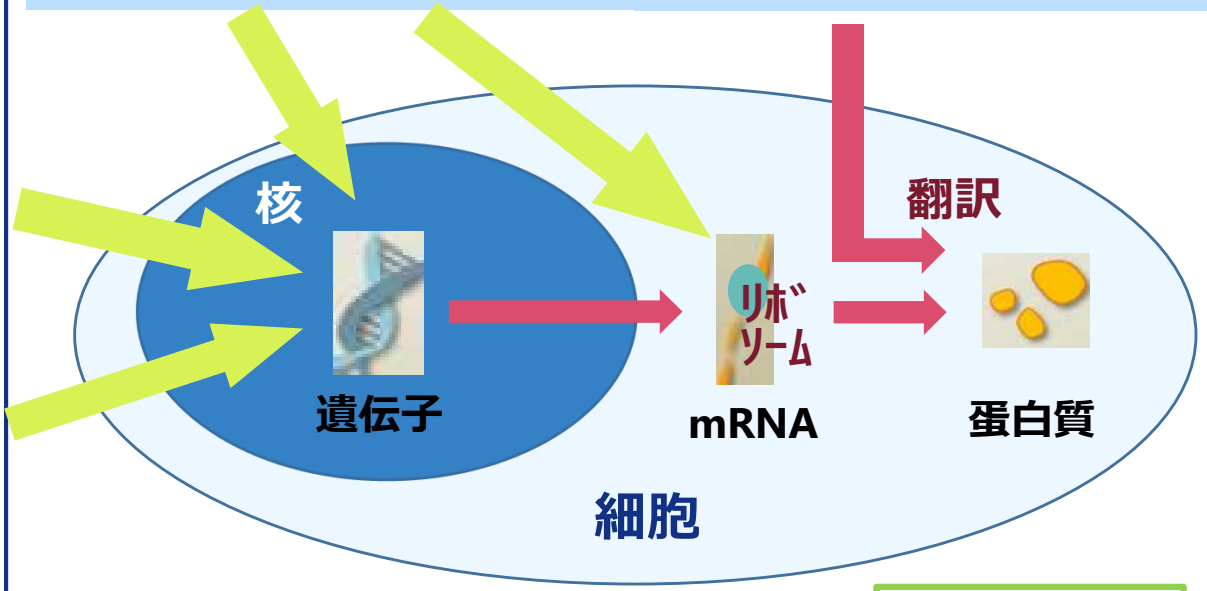
○核酸等を用いる医療技術
（遺伝子治療等の関連技術）

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

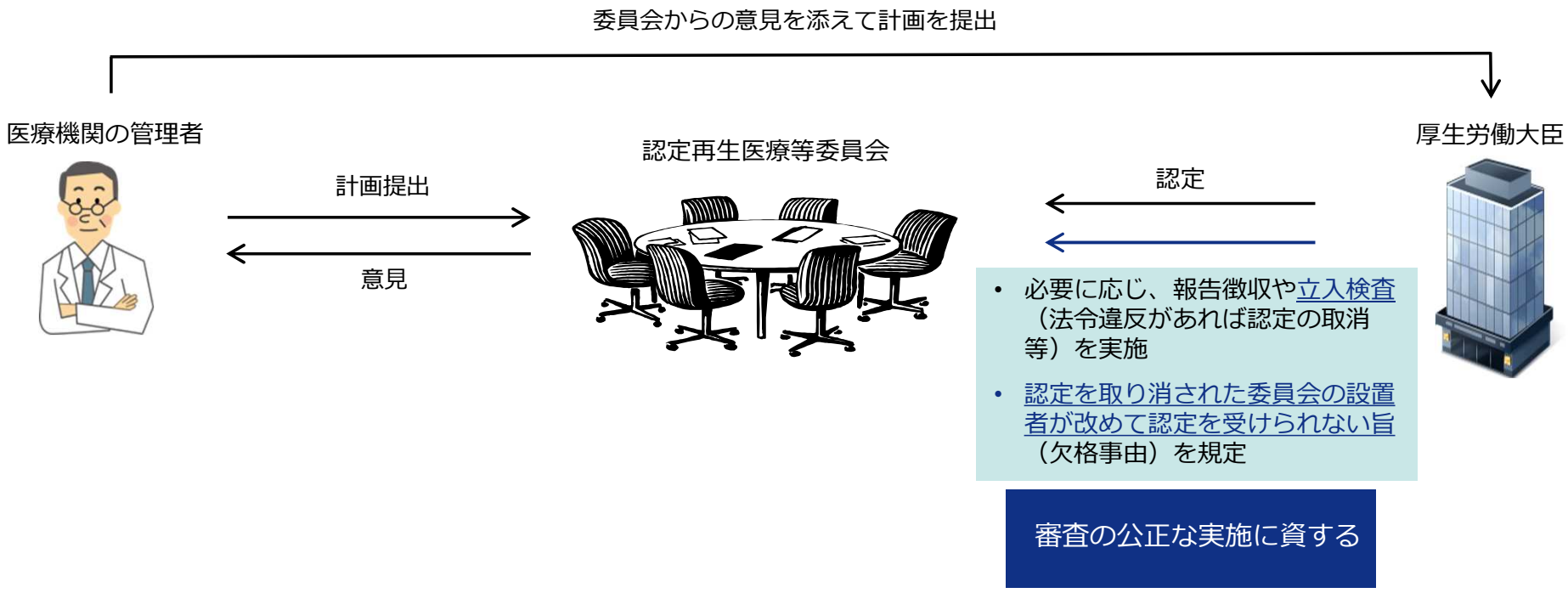
mRNAを利用した技術

（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を導入する**
・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を導入する**



現行法の範囲
改正法の追加範囲

認定再生医療等委員会に対する立入検査等の規定の整備

- 現行法では、医療機関から提出される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）の設置者について、報告徴収や適合命令、改善命令、認定の取消しを行うことができる。
- 認定再生医療等委員会における審査の公正な実施の確保に資するよう、**<u>認定再生医療等委員会の設置者について</u>**、現行の報告徴収等に加え、**<u>立入検査や欠格事由に係る規定を整備</u>**する。

※　例えば、再生医療等を提供しようとする医療機関と共同研究を行う企業が、認定再生医療等委員会の設置・運営に関与していると推定される事例が確認されるなど、公正な審査に懸念が生じている。