

# 核酸等の第一種使用等に関する専門委員会について

# **1. 遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律 (カルタヘナ法) について**

# 遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律 (カルタヘナ法) について

## 目的

- 国際的に協力して生物の多様性の確保を図るため、遺伝子組換え生物等（以下「LMO」という。）の使用等の規制に関する措置を講ずることにより、生物多様性条約バイオセーフティに関するカルタヘナ議定書の的確かつ円滑な実施を確保する。

## 主務大臣による基本的事項の公表

- LMOの使用等による生物多様性影響を防止するための施策の実施に関する基本的な事項等を定め、公表する。

## LMOの使用等に係る措置

- LMOの使用等に先立ち、使用形態に応じた措置を実施

### 第一種使用等

#### 環境中への拡散を防止しないで行う使用等

新規のLMOの環境中での使用等をしようとする者（開発者、輸入者等）等は事前に第一種使用規程を定め、生物多様性影響評価書等を添付し、主務大臣の承認を受ける義務。

|      |                            |
|------|----------------------------|
| 主務大臣 | 研究開発：環境大臣 及び 文部科学大臣        |
|      | 酒類製造：       "       財務大臣   |
|      | 医薬品等：       "       厚生労働大臣 |
|      | 農林水産：       "       農林水産大臣 |
|      | 鉱工業：       "       経済産業大臣  |

### 第二種使用等

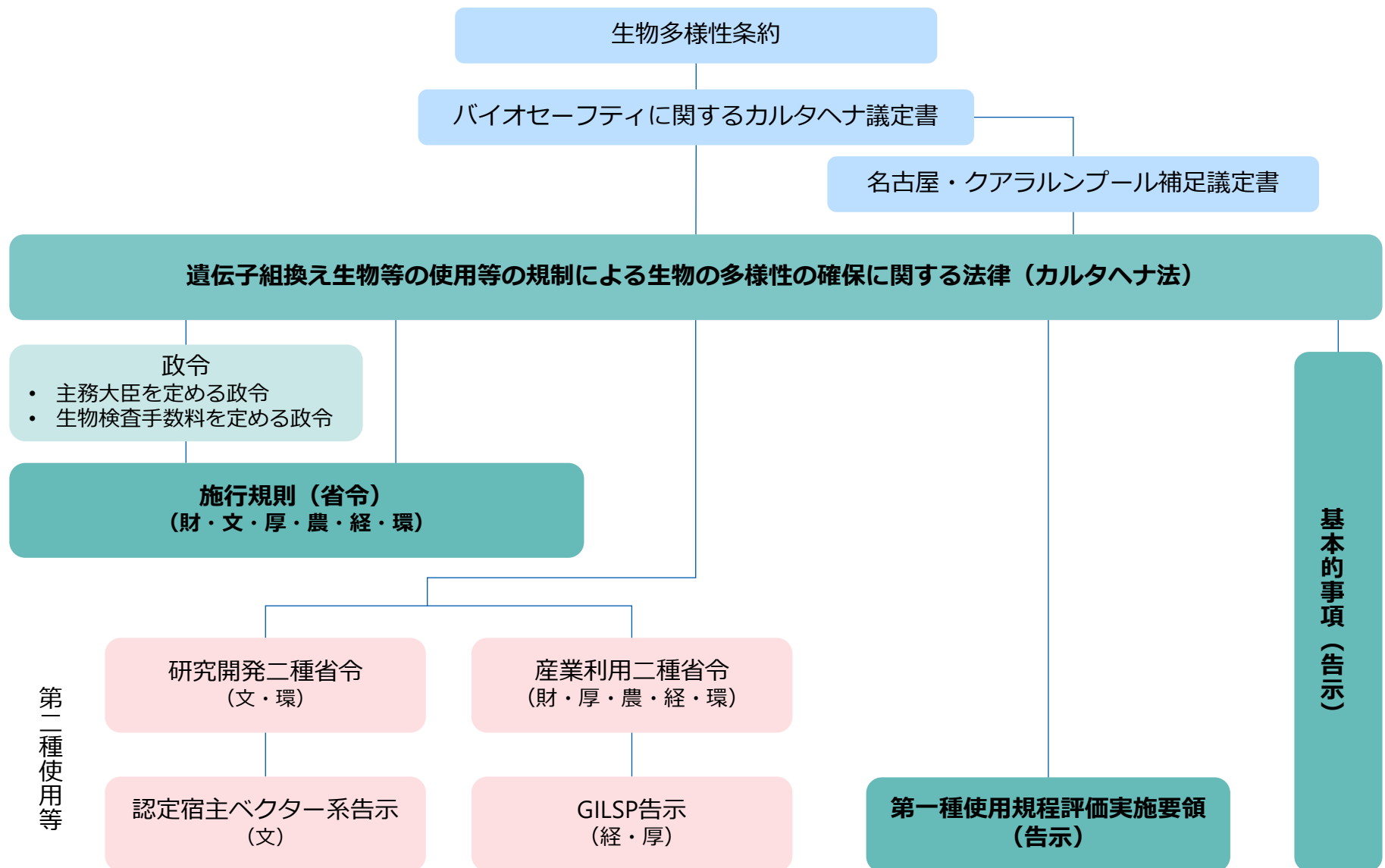
#### 環境中への拡散を防止しつつ行う使用等

施設の態様等拡散防止措置が主務省令で定められている場合は、当該措置をとる義務。定められていない場合は、あらかじめ主務大臣の確認を受けた拡散防止措置を執る義務。

|      |             |
|------|-------------|
| 主務大臣 | 研究開発：文部科学大臣 |
|      | 酒類製造：財務大臣   |
|      | 医薬品等：厚生労働大臣 |
|      | 農林水産：農林水産大臣 |
|      | 鉱工業：経済産業大臣  |

未承認のLMOの輸入の有無を検査する仕組み、輸出の際の相手国への情報提供、科学的知見の充実のための措置、国民の意見の聴取、違反者への措置命令、罰則等所要の規定を整備

# カルタヘナ法の関係法令の体系について



本委員会において主として関係する法令

## 遺伝子組換え生物等（LMO: Living Modified Organisms）

『細胞、ウイルス又はウィロイドに核酸を移入して当該核酸を移転させ、又は複製させることを目的として細胞外において核酸を加工する技術』の利用により得られた核酸又はその複製物を有する生物

このうち、以下の技術を用いたものを除く。

- 細胞に移入する核酸として、次に掲げるもののみを用いて加工する技術<sup>\*1</sup>
  - ・ 当該細胞が由来する生物と同一の分類学上の種に属する生物の核酸（セルフクローニング）
  - ・ 自然条件において当該細胞が由来する生物の属する分類学上の種との間で核酸を交換する種に属する生物の核酸（ナチュラルオカレンス）
- ウイルス又はウィロイドに移入する核酸として、自然条件において当該ウイルス又はウィロイドとの間で核酸を交換するウイルス又はウィロイドの核酸のみを用いて加工する技術（ナチュラルオカレンス）<sup>\*1</sup>
- 異なる分類学上の科に属する生物の細胞を融合する技術であって、交配等従来から用いられているもの<sup>\*2</sup>

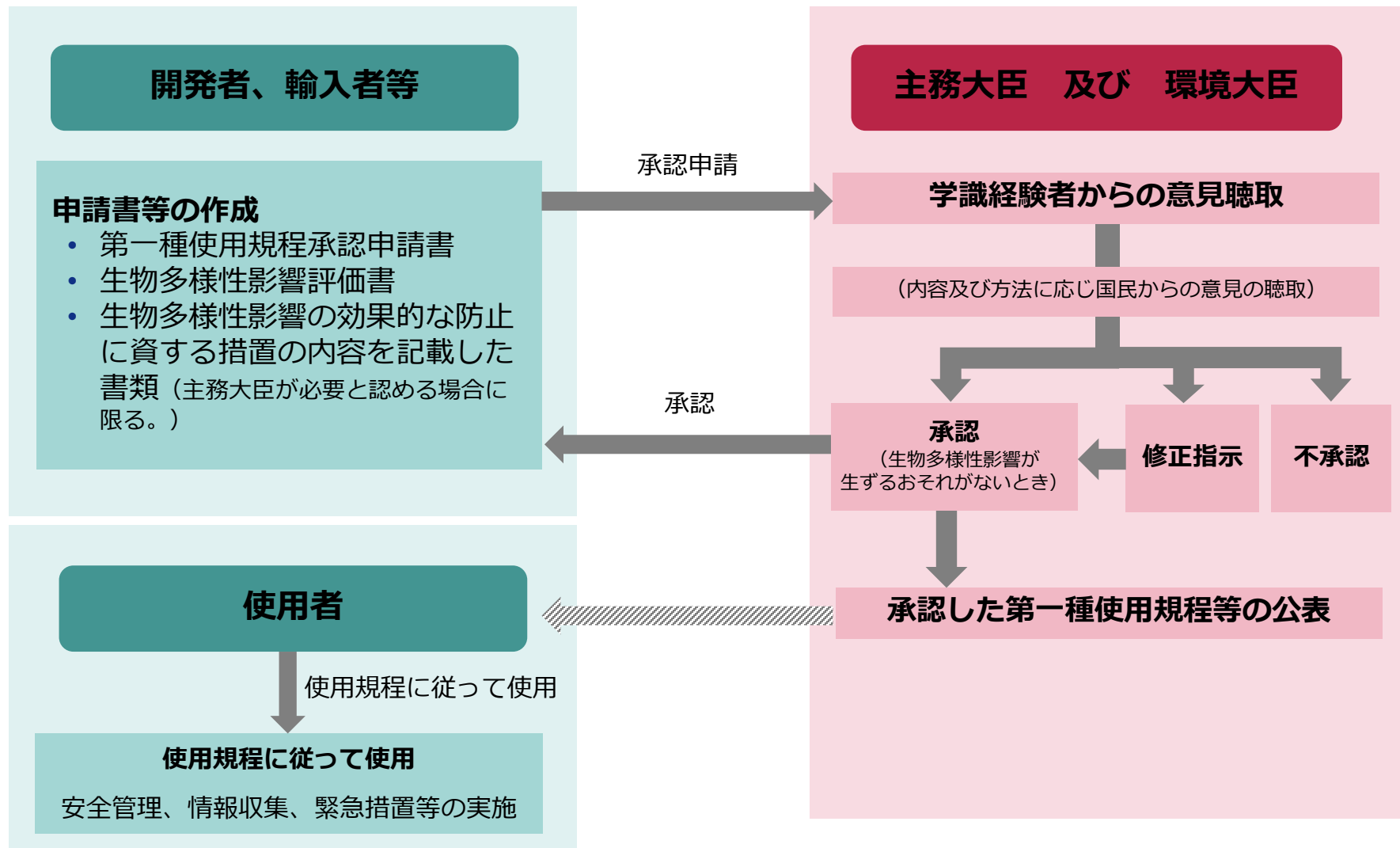
## カルタヘナ法の対象外

- ・ ヒトの細胞等及び分化する能力を有する、又は分化した細胞等（個体及び配偶子を除く。）であって、自然条件において個体に成育しないもの<sup>\*3</sup>
- ・ ゲノム編集技術の利用により得られた生物のカルタヘナ法における規制対象範囲については、ゲノム編集技術の利用により得られた生物のうち、最終的に得られた生物に細胞外で加工した核酸が含まれていないもの<sup>\*4</sup>

<sup>\*1</sup> カルタヘナ法施行規則第2条、<sup>\*2</sup> カルタヘナ法施行規則第3条、<sup>\*3</sup> カルタヘナ法施行規則第1条

<sup>\*4</sup> 「ゲノム編集技術の利用により得られた生物であってカルタヘナ法に規定された「遺伝子組換え生物等」に該当しない生物の取扱いについて」（平成31年2月8日環自野発第1902081号環境省自然環境局長通知）

# 第一種使用規程の承認のフロー



## 2. 再生医療等の安全性の確保等に関する法律 (再生医療等安全性確保法) について

# 再生医療の実用化を促進する制度的枠組みの成り立ち

**再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるようにするための施策の総合的な推進に関する法律【議員立法】** 平成25年4月26日成立、5月10日公布・施行  
再生医療の研究開発から実用化までの施策の総合的な推進を図る

## 一般診療

## 臨床研究

### 再生医療等安全性確保法

【平成25年11月20日成立、11月27日公布】  
【平成26年11月25日施行】

再生医療等の安全性の確保等を図るため、再生医療等の提供機関及び細胞培養加工物等の製造を行う施設等についての基準を新設。

特定細胞加工物等の製造について、医療機関から企業への外部委託を可能に

再生医療等のリスクに応じた三段階の提供基準と計画の届出等の手続、細胞培養加工物等を製造する施設の基準と許可等の手続を定める

## 製造販売

### 医薬品医療機器等法（薬事法改正）

【平成25年11月20日成立、11月27日公布】  
【平成26年11月25日施行】

再生医療の実用化に対応できるよう、再生医療等製品の特性を踏まえた承認・許可制度を新設。

再生医療等製品の特性に応じた早期承認制度の導入

患者への説明と同意、使用の対象者に関する事項の記録・保存など市販後の安全対策

迅速性

安全性

**安全な再生医療を迅速かつ円滑に**

**多くの製品を、より早く**

# 再生医療等安全性確保法の概要

## 趣 旨

再生医療等の迅速かつ安全な提供等を図るため、再生医療等を提供しようとする者が講ずべき措置を明らかにするとともに、特定細胞加工物等の製造の許可等の制度等を定める。

## 内 容

### 1. 再生医療等の分類

再生医療等について、人の生命及び健康に与える影響の程度に応じ、「第一種再生医療等」「第二種再生医療等」「第三種再生医療等」に分類して、それぞれ必要な手続を定める。

### 2. 再生医療等の提供に係る手続

- 第一種再生医療等 提供計画について、特定認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。一定期間の実施制限期間を設け、その期間内に、厚生労働大臣が厚生科学審議会の意見を聴いて安全性等について確認。安全性等の基準に適合していないときは、計画の変更を命令。
- 第二種再生医療等 提供計画について、特定認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。
- 第三種再生医療等 提供計画について、認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。

※ 特定認定再生医療等委員会は、特に高度な審査能力と第三者性を有するもの。

※ 第1種再生医療等、第2種再生医療等を提供する医療機関については、一定の施設・人員要件を課す。

### 3. 適正な提供のための措置等

- インフォームド・コンセント、個人情報保護のための措置等について定める。
- 疾病等の発生は、厚生労働大臣へ報告。厚生労働大臣は、厚生科学審議会の意見を聴いて、必要な措置をとる。
- 安全性確保等のため必要なときは、改善命令を実施。改善命令違反の場合は再生医療等の提供を制限。保健衛生上の危害の発生拡大防止のため必要なときは、再生医療等の提供の一時停止など応急措置を命令。
- 厚生労働大臣は、定期的に再生医療等の実施状況について把握し、その概要について公表する。

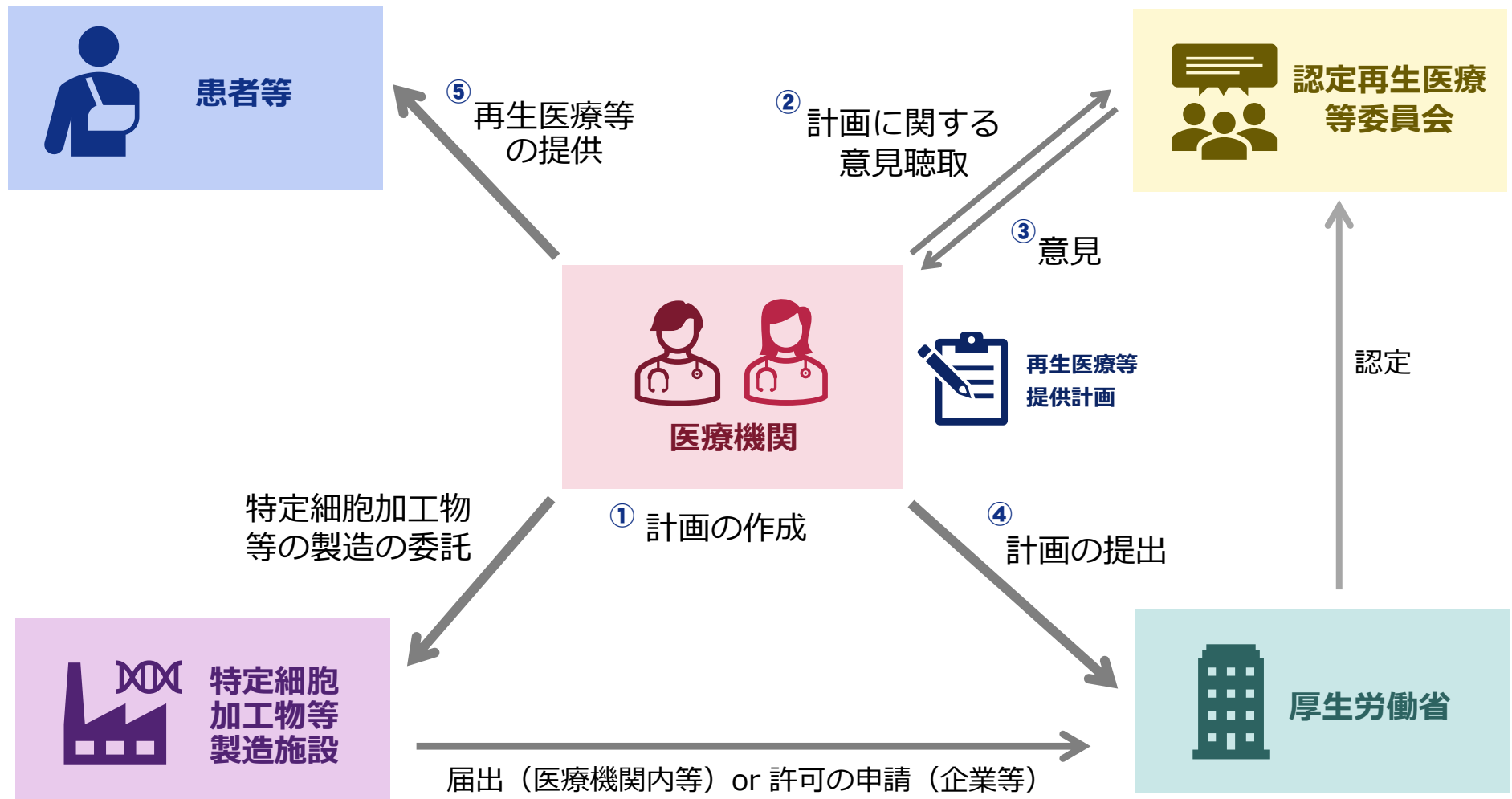
### 4. 特定細胞加工物等の製造の許可等

- 特定細胞加工物等の製造を許可制（医療機関等の場合には届出、海外の施設の場合には認定）とし、医療機関が特定細胞加工物等の製造を委託する場合には、許可等を受けた者又は届出をした者に委託しなければならないこととする。

## 施 行 日

平成26年11月25日（公布日：平成25年11月27日）

# 再生医療等安全性確保法の手続き等（イメージ）



# 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

## 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。

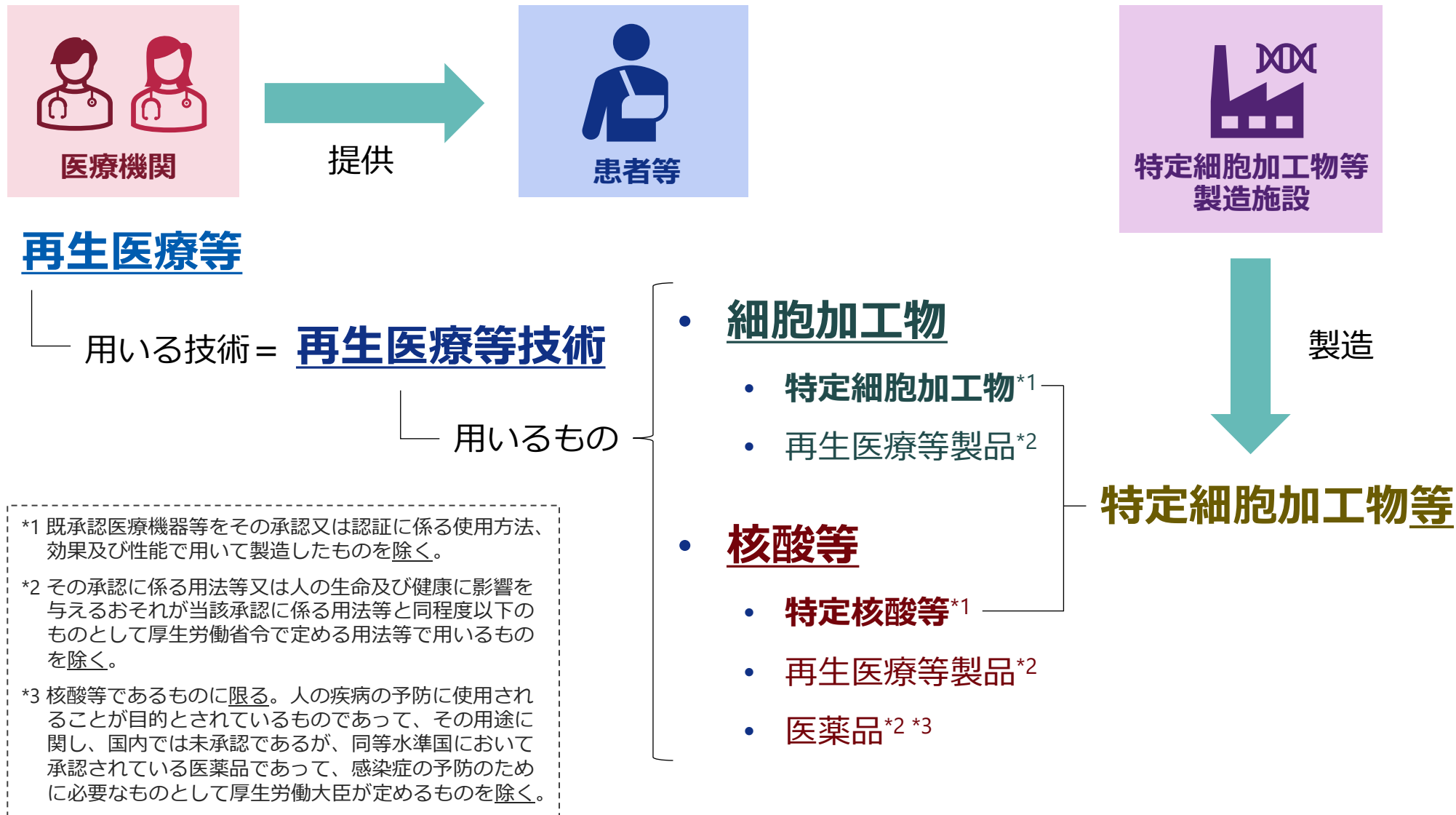
※3 薬事承認された医薬品等を承認された用法等と異なる用法等で使用すること（がんや小児領域の研究に多い。）

- 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**再生医療等安全性確保法の対象外**。

※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遺伝子治療とその関連技術（核酸等を用いる医療技術）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。

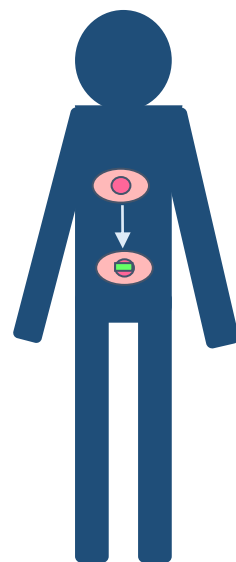
■ 新たに法の対象とするもの □ 現行法の対象

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



細胞加工物を用いる遺伝子治療  
(ex vivo遺伝子治療)

標的細胞を取り出す

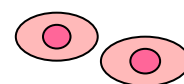
(ウイルスベクター、ゲノム編集酵素など)



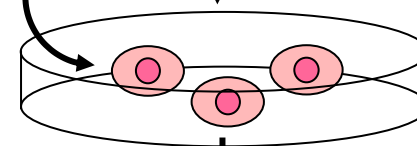
投与



培養



遺伝子導入・改変



遺伝子導入・改変細胞

※ 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

# 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)

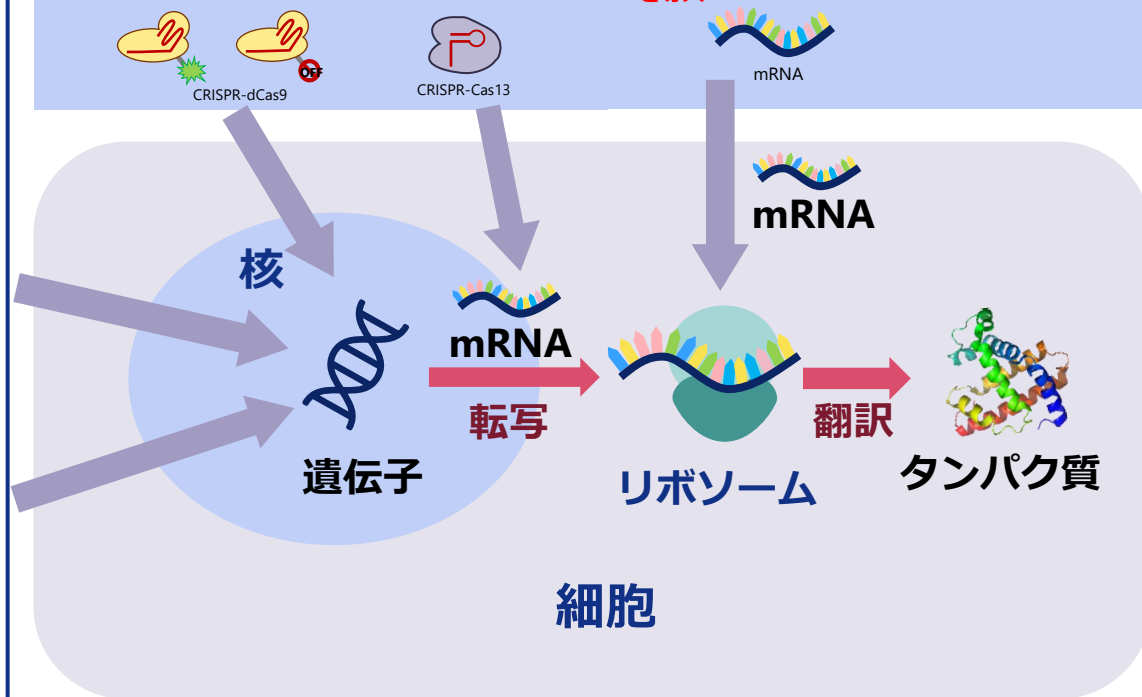
- CRISPR-dCas9システムに要する酵素を用いて、**エピゲノム編集\*2を行う**
- \*2 遺伝子は改変せずに遺伝子発現に影響を与える技術
- CRISPR-Cas13システムに要する酵素を用いて、**mRNA編集を行う**



### mRNAを利用した技術

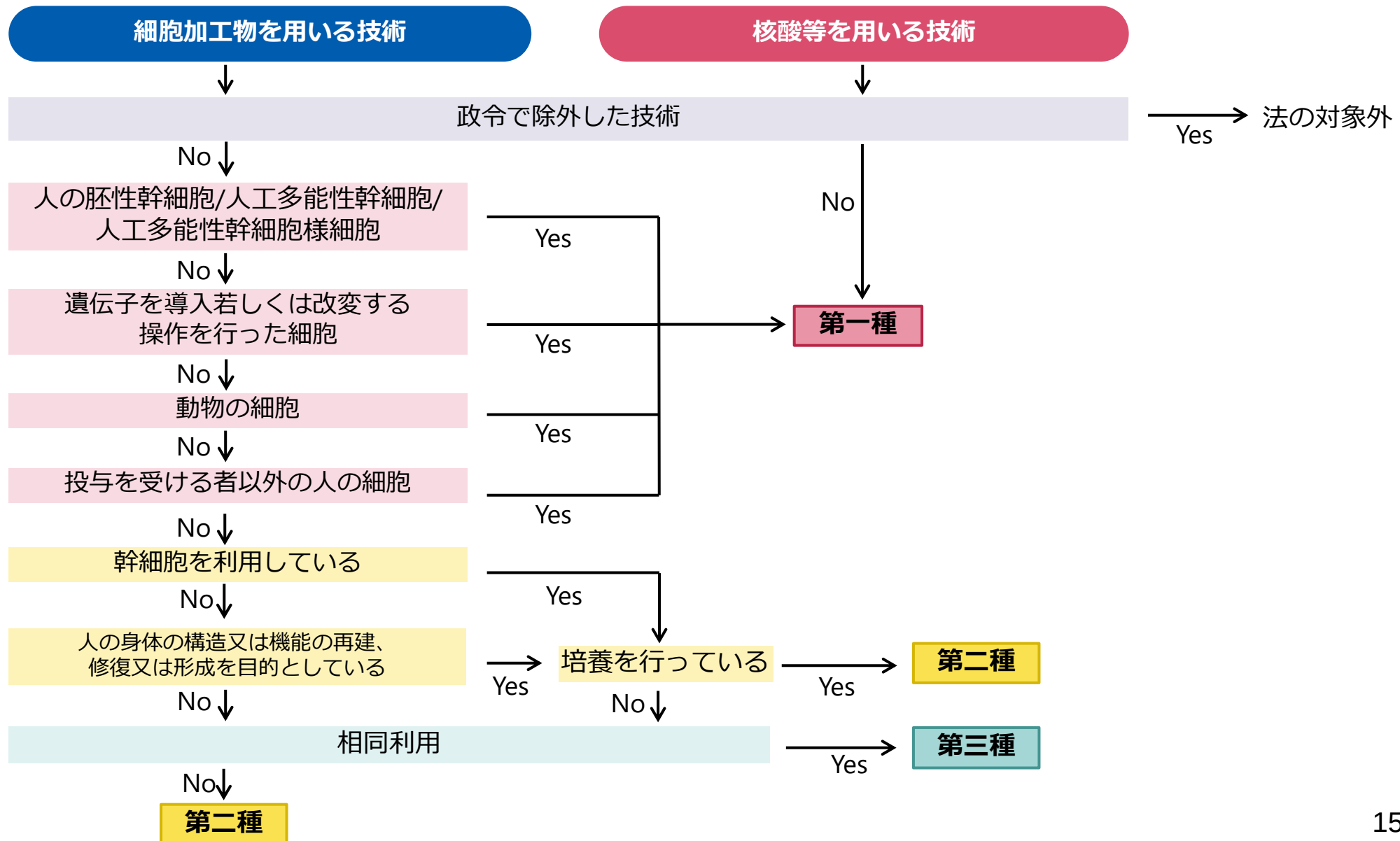
(想定される技術)

- 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**

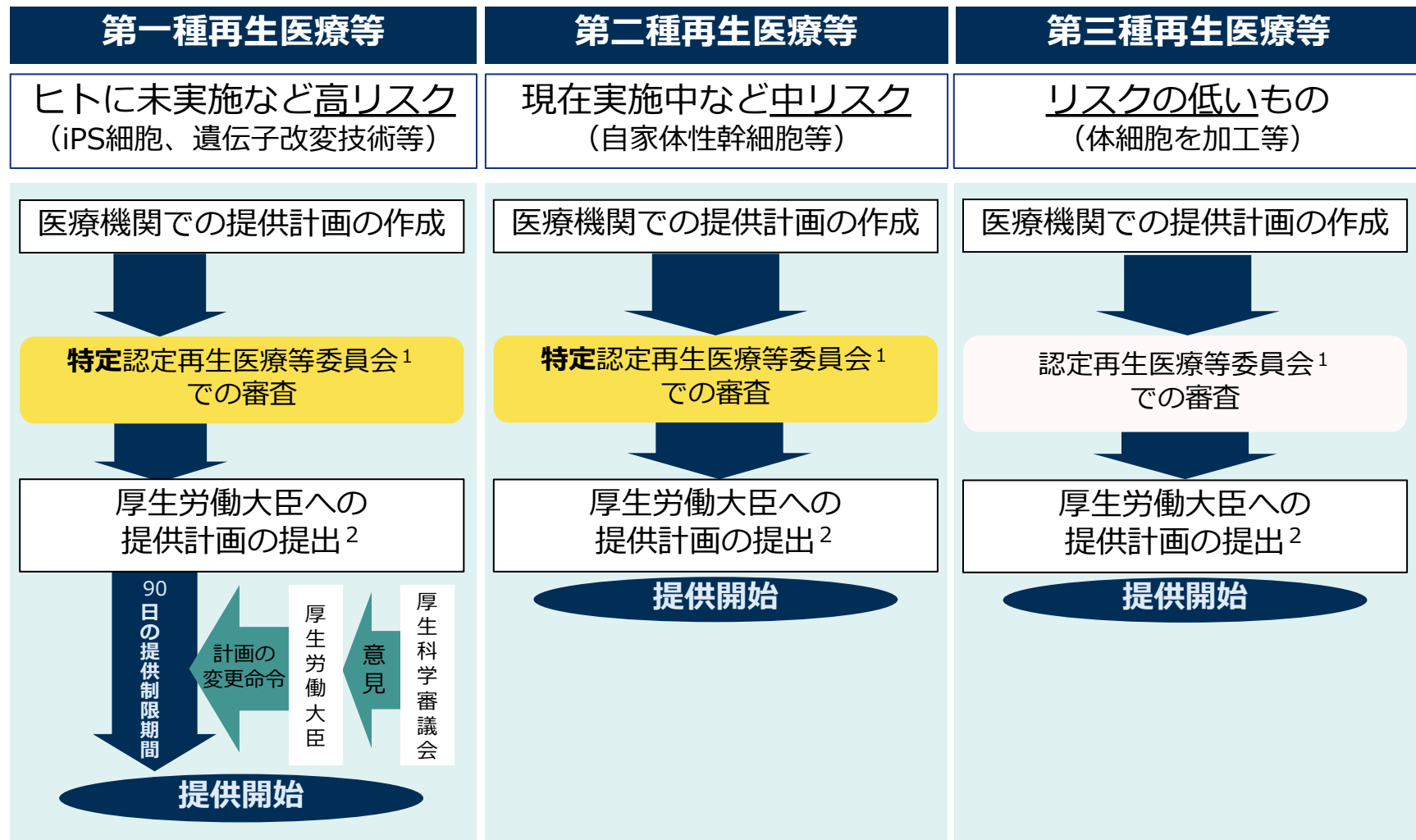


※いわゆる核酸医薬に該当するもの、例えば、特定の遺伝子の発現を減少させ、その遺伝子の機能を減弱させるRNA干渉を用いる技術（マイクロRNA、短鎖干渉RNA等を用いるものを含み、ゲノム編集技術を用いるものを除く。）や標的とする核酸に相補的に結合し、当該核酸の機能を阻害又は制御する一本鎖のオリゴ核酸を用いる技術（アンチセンス核酸を用いるもの。）及び細胞外小胞を用いる技術は法の対象外

# 再生医療等技術のリスク分類



# リスクに応じた再生医療等安全性確保法の手続き



(注1) 「認定再生医療等委員会」とは、再生医療等技術や法律の専門家等の有識者からなる合議制の委員会で、一定の手続により厚生労働大臣の認定を受けたものをいい、「特定認定再生医療等委員会」は、認定再生医療等委員会のうち、特に高度な審査能力、第三者性を有するもの。

(注2) 厚生労働大臣への提供計画の提出の手續を義務付ける。提供計画を提出せずに再生医療等を提供した場合は、罰則が適用される。

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. 適応症を含む承認又は認証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  
（既承認医療機器等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。

# 再生医療等安全性確保法の適用から除外される感染症予防を目的とした医薬品の考え方、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

令和6年8月22日

資料1-3  
(一部修正)

## 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感染症予防を目的とした医薬品（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核酸等に該当する感染症予防を目的とした医薬品は、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・用量等により用いられる医薬品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、当該医薬品の選定に当たっては、感染症のまん延防止の必要性や、当該医薬品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、当該医薬品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、その結果を踏まえる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、当該医薬品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、具体的な医薬品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に該当する感染症の  
予防を目的とした医薬品の具体について（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うるワクチンとして、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<br>アメリカ合衆国                |
|         |                                               | TAK-003         | ドイツ、フランス<br>イギリス                   |
| チクングニア熱 | Chikungunya Vaccine (live)                    | VLA1553         | アメリカ合衆国<br>カナダ<br>ドイツ、フランス<br>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<br>アメリカ合衆国<br>カナダ<br>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<br>アメリカ合衆国<br>カナダ<br>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。
- 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。

### 3. 核酸等の第一種使用等に関する体制

ひと、くらし、みらいのために



厚生労働省  
Ministry of Health, Labour and Welfare

## 厚生科学審議会

### 再生医療等評価部会

- 再生医療等技術の範囲、再生医療等技術のリスク分類、再生医療等提供基準、第一種再生医療等の再生医療等提供基準への適合性等について確認及び検討を行う。
- 以下の委員会からの報告について審議、確認を行う。

#### 遺伝子治療臨床研究に関する審査委員会

- 「遺伝子治療臨床研究に関する指針」に基づく遺伝子治療臨床研究の実施計画についての審査。
- 同指針に基づく研究の実施における遺伝子組換え生物等の第一種使用規程等に関する評価。

#### ヒトES細胞の樹立に関する審査委員会

- ヒトES細胞の樹立計画について「ヒトES細胞の樹立に関する指針」への適合性を評価。

#### 異種移植に関する専門委員会

- 異種移植に関する再生医療等提供計画について、異種移植に特有のリスクに関する専門的な観点から技術の評価等を行う。

#### 核酸等の第一種使用等に関する専門委員会

- 再生医療等安全性確保法に基づく再生医療等に関する遺伝子組換え生物等の第一種使用規程等に関する評価等を行う。

新設

# 核酸等の第一種使用等に関する専門委員会（カルタヘナ委員会）の設立について

- 再生医療等安全性確保法に規定される核酸等を用いる医療技術のうち、遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（以下「カルタヘナ法」という。）における遺伝子組換え生物等（以下「LMO」という。）の第一種使用等に該当するもの（※）の実施に当たっては、主務大臣に対して、第一種使用規程の承認の申請を行い、承認を受けることが求められるものがあり、研究として行われる場合には研究計画自体の審査も併せて必要となる。

（※）野外試験：LMOを屋外で試験的に使用すること。

商業栽培：LMOを商業目的で栽培すること。

環境放出：LMOを意図的に環境中に放出すること。

- 核酸等に該当するものを用いる「研究」に関しては、現状、再生医療等評価部会の下に設置された「遺伝子治療等臨床研究に関する審査委員会」（以下「遺伝子委員会」という。）において、「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」への適合性とカルタヘナ法に基づく第一種使用規程に関する学識経験者の意見聴取（以下「評価」という。）を行っている。
  - ※ ex vivo遺伝子治療については、遺伝子導入ウイルスの残存がない場合はカルタヘナ法上の第一種使用等に該当するものは想定されず、文部科学省において第二種使用等に関する審査等が実施されている。
  - ※ 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に基づく医薬品や遺伝子治療等製品に関する審査は医薬品医療機器総合機構(PMDA)で行われている。
- 核酸等を用いる「診療」については、今年5月31日以降、再生医療等安全性確保法の対象となることから、同法に基づく再生医療等の提供にあたっては、カルタヘナ法に基づく第一種使用規程に関する評価が必要となる。

- 再生医療等安全性確保法に基づく再生医療等提供計画におけるカルタヘナ法の第一種使用規程の評価については、再生医療等評価部会の下に新たに「核酸等の第一種使用等に関する専門委員会」（以下「カルタヘナ委員会」という。）を設置し、専門的な評価※を行う。
  - ※ 再生医療等評価部会の下に設置される委員会には厚生科学審議会の議決権が委任されていないことから、決定は再生医療等評価部会で行う。
- 再生医療等安全性確保法に基づく臨床研究は遺伝子治療等臨床研究に関する指針に基づく遺伝子治療等臨床研究の適応外となっているが、同指針第1章の規定は引き続き有効であるため、同委員会は存続する方針としたい。

# 遺伝子組換え生物等に該当する核酸等を用いる医療技術の 第一種使用等に関する評価（学識経験者の意見聴取）の体制について

|          |      | 再生医療等提供計画<br>に関する評価 | 第一種使用規程<br>に関する評価 |
|----------|------|---------------------|-------------------|
| 改正再生法施行前 | 治験   | PMDA                |                   |
|          | 臨床研究 | 遺伝子委員会              |                   |
|          | 診療   |                     | (審査実績なし)          |
| 改正再生法施行後 | 治験   | PMDA                |                   |
|          | 臨床研究 | 特定認定再生医療等委員会<br>↓   | カルタヘナ委員会（仮）       |
|          | 診療   | 再生医療等評価部会           |                   |

# カルタヘナ委員会で評価を行う第一種使用規程について

## カルタヘナ委員会で評価を行う第一種使用規程について

- 臨床研究（治験を除く。）及び診療の目的で、再生医療等安全性確保法の下で、カルタヘナ法上の遺伝子組換え生物等（LMO）に該当する核酸等を用いる場合には、その第一種使用規程については、カルタヘナ委員会で学識経験者の意見聴取を行う。
- ただし、将来的に医薬品や再生医療等製品として、製造販売承認を目指す場合には、その前提での対応が必要となることから、原則として、医薬品医療機器総合機構（PMDA）相談（対面助言）を行う必要がある。
- このことから、申請者が、特定の医療機関において、特定の状況の下で実施される場合に限定した使用を想定する場合に限り、カルタヘナ委員会において評価を行う。（第一種使用規程の承認は特定の状況の下での実施に限られたものとなる。）
- カルタヘナ委員会において評価を行うか、PMDA相談を求めるかは、PMDAとの連携のもと再生医療等評価部会事務局において判断。
- 診療で用いる場合については、核酸等を用いる医療技術は第一種再生医療等に該当することから、その提供の前提として、有効性が確立しており科学的妥当性が認められた医療技術として厚生科学審議会再生医療等評価部会において確認されたものに限定する。

### 臨床研究

研究開発の目標として、医薬品・再生医療等製品として製造販売承認を目指す研究である。

Yes

PMDA相談  
(対面助言)

No

### カルタヘナ委員会

前提条件（チェックリスト※）を満たすことを確認

- 特定の医療機関においてのみ実施する
- 医療機関において適切なLMOの核酸防止措置が可能な体制を有している
- 人に投与可能な適切な品質のLMOを使用している
- LMOの入手経路が遡及可能である
- 宿主、供与核酸、全塩基配列の情報を有している 等

Yes

### カルタヘナ委員会

第一種使用規程・生物多様性影響評価書等に関する学識経験者意見聴取

### 診療

有効性が確立しており科学的妥当性が認められた医療技術として、厚生科学審議会再生医療等評価部会で確認されている。

Yes

※ カルタヘナ委員会において策定

No

No

評価不適

# 再生医療等安全性確保法に基づくLMOに該当する核酸を用いる医療技術の評価の流れ

第104回再生医療等評価部会

令和7年3月25日

資料2  
(一部修正)

