



核酸等の第一種使用等に関する専門委員会の具体的な評価 の手順

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

評価不適

No

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

再生医療等提供計画

遺伝子組換え生物等の第一種使用規程
生物多様性影響評価書 等

特定認定再生医療等委員会
(核酸等の審査体制)

カルタヘナ委員会
(再生医療等評価部会のもとの委員会)

「研究」として実施する場合
同時並行で実施可

「診療」として
実施する場合

① 届出

厚生科学審議会
再生医療等評価部会

厚生科学審議会
再生医療等評価部会

③ 意見
聴取

- ④
- 再生法に基づく再生医療等提供基準への適合性の確認
 - 審議会意見

- カルタヘナ法に基づく学識経験者の意見
- 計画との整合性の確認
- カルタヘナ法に基づく学識経験者意見の決定

厚生労働大臣

主務大臣
(厚生労働大臣・環境大臣)

⑤ (計画変更命令)

承認/修正指示

② 提供制限

⑥ 提供制限解除

提供開始

本委員会における評価の運用プロセスについて

- 本委員会の評価の運用プロセスについては、以下のようなフローとしてはどうか。



研究計画の評価における他の審査過程との整合性について

- 研究計画においては、手続きの迅速化の観点から、カルタヘナ法と再生医療等安全性確保法の2つの法律への対応が同時に進むことから、他の審査過程で計画の変更等がなされる可能性がある。このような場合における取扱いは以下の通りとしてはどうか。
- 特定認定再生医療等委員会及び厚生科学審議会再生医療等評価部会における再生医療等提供基準の適合性確認の過程において、研究計画の変更が必要になり、これにより、申請書等（第一種使用規程や生物多様性影響評価書等）の内容を変更する必要がある場合
 - 申請者において、申請書等を修正し、①変更事項、②変更理由及び③変更前後の内容の比較表を作成し、再提出
 - カルタヘナ委員会において、変更事項について評価（必要に応じて書面開催可とする）

（書面開催の場合のプロセス）

- 各委員より書面にて意見書を提出
- 書面意見に対し、申請者において対応し、対応結果を再度書面にて委員会で審議
- 全委員の同意が得られた場合は、委員会の意見とする。
- 委員の1名以上から求めがあったときは、会議を開催して評価を実施

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における、 第一種使用規程の評価について（案）

- 将来、医薬品・再生医療等製品としての製造販売承認を目指すものであって、再生医療等安全性確保法において第一種使用等を行おうとする場合は、以下の評価プロセスとしてはどうか。
- 申請者は、再生医療等提供計画に係る特定認定再生医療等委員会における審査と並行して、PMDAにおける第一種使用規程承認申請に係る事前審査前相談を行った後、PMDAに薬事開発及び製造販売承認申請を目指した第一種使用規程承認申請を行う。
- 第一種使用規程の有識者の意見聴取は、PMDAで行い、カルタヘナ委員会での評価は行わない。
- 再生医療等提供計画と申請書等との整合性確認については、第一種使用規程の主務大臣による承認前に、再生医療等評価部会で行う。