

# 再生医療等安全性確保法の施行後 5年の検討に関する論点（案）

## 1. 医療技術の変化への対応

- ① in vivo遺伝子治療に対する規制 ----- p3
- ② ゲノム編集技術について ----- p8
- ③ 再生医療等技術のリスク分類・適用除外範囲について ----- p12

## 2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

- ④ 再生医療等の有効性の確認 ----- p17
- ⑤ 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 ----- p22
- ⑥ 認定再生医療等委員会の質の担保 ----- p27
- ⑦ 細胞培養加工施設の質の担保 ----- p31

## 3. 再生医療等に係る研究の推進

- ⑧ 法に基づく手続の緩和・改善 ----- p35
- ⑨ その他再生医療等の研究の推進 ----- p39

# 1. 医療技術の変化への対応

- ① in vivo遺伝子治療に対する規制

# ① *in vivo*遺伝子治療に対する規制

## 現状・課題

### (現行の法制度)

- ▶ 再生医療法においては、細胞加工物を用いる医療が規制の対象となっている。
  - ・細胞の加工を伴う遺伝子治療（いわゆるex vivo遺伝子治療）→再生医療法の対象
  - ・細胞の加工を伴わない遺伝子治療（いわゆるin vivo遺伝子治療）→再生医療法の対象外
- ▶ 臨床研究として行うin vivo遺伝子治療は、臨床研究法及び遺伝子治療等臨床研究に関する指針による規制の対象となるが、自由診療として行われる場合には規制がない。  
※ 国内で自由診療として行われているin vivo遺伝子治療は、インターネット検索のみで把握できたもので66件（平成30年11月～平成31年3月 厚生労働省予算事業）
- ▶ また、医薬品医療機器等法においては、「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導入させたもの」として、in vivo遺伝子治療を行うものが「再生医療等製品」の定義に含まれている。

### (ex vivo遺伝子治療と比較したin vivo遺伝子治療のリスク)

- ▶ in vivo遺伝子治療のリスクとしては、ex vivo遺伝子治療と同様に、用いるウイルス等や遺伝子操作に関する安全面や倫理面の課題、遺伝子操作による後世への遺伝的影響、用いるウイルス等による周囲環境への影響等が挙げられている。
- ▶ 日本遺伝子細胞治療学会からは、日本で承認されていない遺伝子治療が、臨床研究や治験ではなく自由診療として実施されていることについて、懸念を示す注意喚起がなされている。

# ① *in vivo*遺伝子治療に対する規制

## これまでいただいた主な意見

- ▶ *in vivo*遺伝子治療に対して規制がないのは大きな問題である。薬事とあわせ、法律により規制すべきではないか。
- ▶ *ex vivo*遺伝子治療と*in vivo*遺伝子治療に対する規制の程度を分けることに合理性はないのではないか。（日本遺伝子細胞治療学会）
- ▶ 医薬品医療機器等法に合わせて、再生医療法に*in vivo*遺伝子治療を取り込むべきではないか。（日本遺伝子細胞治療学会）
- ▶ 法律で規制することにより、用いるウイルスベクターの製造工程等を把握できるようになるため、安全性が十分に担保されていないもの等が排除されるというメリットもあるのではないか。
- ▶ 細胞培養加工施設においてウイルスベクターは扱いつらいため、*in vivo*遺伝子治療に用いるベクターの製造を受託できる施設は少ないと考えられる。また、ベクターの製造施設自体も少ないと考える。（FIRM）
- ▶ 遺伝子ベクターは、細胞加工物と比較して製造管理及び品質管理が難しい実態がある。

# ① *in vivo*遺伝子治療に対する規制

## 前回いただいた主な意見

- ▶ 海外事例の情報収集や遺伝子細胞治療学会との協力を行いながら、ワーキンググループなどでの検討が必要ではないか。
- ▶ 特にベクターについては、ex vivoもin vivoも同じ品質が求められるが、現在は再生医療法と遺伝子治療等臨床研究指針での評価基準が異なっており、同じ評価をしていけるように検討することも必要ではないか。

# ① *in vivo*遺伝子治療に対する規制

## 論点

### ▶ *in vivo*遺伝子治療を規制の対象とすることについて、どう考えるか。

<検討の視点（案）>

- ・ 現行の「再生医療等」と比較した、*in vivo*遺伝子治療のリスクや性質
- ・ 規制の対象とする場合、どのような規制の枠組みとするのが妥当か
- ・ *in vivo*遺伝子治療に対して、現行の再生医療法と同様の規制を課すことが妥当か（製造施設の基準など） など

# 1. 医療技術の変化への対応

## ② ゲノム編集技術について



## ② ゲノム編集技術について

### 現状・課題

#### (現行の法制度)

- ▶ 再生医療法施行規則第2条第2号において、「遺伝子を導入する操作を行った細胞又は当該細胞に培養その他の加工を施したものをを用いる医療技術」は、第一種再生医療等技術に該当する旨が規定されている。
- ▶ 一方、遺伝子の導入を行わないゲノム編集技術については、その定義に含まれておらず、第三種再生医療等技術に分類される。

#### (従来の遺伝子導入技術と比較した、遺伝子導入を行わないゲノム編集技術のリスク)

- ▶ 遺伝子の導入を行わないゲノム編集技術は急速に進展しており、そのリスクについてはまだ十分に明らかになっていないものの、従来の遺伝子導入技術と同様に、遺伝子操作に関する安全面や倫理面の課題、遺伝子操作による後世への遺伝的影響等のリスクがあることが想定される。

### これまでいただいた主な意見

- ▶ 遺伝子導入を行わないゲノム編集技術は、遺伝子組換え技術の1つであることから、遺伝子導入を伴う遺伝子操作技術と同様に規制をするべき。(日本遺伝子細胞治療学会)

## ② ゲノム編集技術について

### 前回いただいた主な意見

- ▶ ゲノム編集技術を用いた再生医療等は、第一種再生医療等技術に含めるべき。
- ▶ 規制の対象となる遺伝子発現に影響のある個別のゲノム編集技術の範囲と、各々の技術ごとのリスクについても議論すべき。
- ▶ 具体的なリスクの評価方法や審査基準についても検討が必要であり、in vivo遺伝子治療の規制について検討するワーキンググループが立ち上がるなら、その中で議論ができれば良い。

## ② ゲノム編集技術について

### 論点

- ▶ **遺伝子導入を伴わないゲノム編集技術を第一種再生医療等技術に含めることについて、どう考えるか。**

<検討の視点（案）>

- ・ 現行の第一種再生医療等技術と比較した、遺伝子導入を伴わないゲノム編集技術のリスクや性質 など

# 1. 医療技術の変化への対応

- ③ 再生医療等技術のリスク分類・適用除外範囲について

# ③ リスク分類・適用除外範囲について

## 現状・課題

### リスク分類について

#### (現行の法制度)

- ▶ 再生医療法においては、再生医療等技術をリスクに応じて第一種から第三種の三段階に分類し、リスクに応じた手続を課している。
  - ・ 第一種再生医療等：iPS細胞やES細胞、他家細胞を用いた医療技術、ex vivo遺伝子治療など
  - ・ 第二種再生医療等：体性幹細胞や細胞の相同利用ではない医療技術 など
  - ・ 第三種再生医療等：第一種・第二種以外。多血小板血漿（PRP）を用いた医療技術（相同利用のもの）など

#### (リスク分類に係る課題)

- ▶ 法制定時と比較し、再生医療等研究が進展したこと等により、再生医療等に伴うリスクの程度等が明らかとなってきたことなどから、現在のリスク分類が適切ではない再生医療等が存在する可能性がある。

### 適用除外範囲について

#### (現行の法制度)

- ▶ 再生医療法においては、薬事承認された再生医療等製品のみを薬事承認の内容に従い用いる医療技術や、輸血、造血幹細胞移植、生殖細胞を用いる医療技術等は、再生医療等技術に該当しないこととされている。
- ▶ 一方、法の施行以降、特定細胞加工物を製造する医療機器が薬事承認を受けるに至っているが、当該医療機器によって製造された特定細胞加工物を用いる医療技術は、再生医療等技術に該当し、再生医療法が適用される。
- ▶ また、今後、再生医療等技術が医療技術として保険収載されたとしても、当該医療技術に用いる特定細胞加工物が再生医療等製品として薬事承認されない限りは、再生医療法が適用される。

# ③ リスク分類・適用除外範囲について

## これまでいただいた主な意見

### 他家細胞を用いた医療技術について

- ▶ 自家・他家という特徴に応じて適した出口戦略が想定できる。例えば他家細胞（1種）については、新規の再生医療等製品開発ににつながるやすい。こういった特徴もふまえた手続の緩和等、研究が行いやすい環境を整えても良いのではないか。（FIRM）

### PRPを用いた医療技術・薬事承認された医療機器で製造される特定細胞加工物を用いた医療技術について

- ▶ PRPについては、使用経験が豊富で、リスクが低いことが想定されるので、第4種再生医療等を作るなどしてもよいのではないか。
- ▶ 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については、リスクが低いことが想定されるので、第4種再生医療等を作るなどしてもよいのではないか。
- ▶ ただし、血液を原材料とするものについては、採血時の細菌感染や対象疾患との兼ね合い（免疫抑制剤の使用等）、長期保存した場合の感染症リスク等を考慮すると、一概にリスクが低いとは言い切れないのではないか。
- ▶ 血液法の採血基準と齟齬がないか確認してはどうか。
- ▶ 薬事承認されている医療機器を用いてPRPを製造し、人に投与する場合には、医薬品医療機器等法との重複規制になることは避けるべきではないか。  
※ ただし、薬事承認の際に対象疾患が特定されているか、使用方法が特定されているか等を考慮する必要あり。
- ▶ PRPなど、薬事承認されたキットを用いて製造される特定細胞加工物を用いる場合の取扱いについては、専門家に議論していただいてはどうか。
- ▶ 有効性の全くないものが法のもとで容認されることは問題であるため、PRPの有効性についても考慮する必要があるのではないか。

### 再生医療技術の保険収載等について

- ▶ 研究でエビデンスを取った後の出口戦略として、医薬品医療機器等法下で治験を経て製品化（再生医療等製品）を目指すのみではなく、そのまま再生医療法下で医療技術（再生医療等技術）として進む道もあるのではないか。（FIRM）

# ③ リスク分類・適用除外範囲について

## 前回いただいた主な意見

### リスク分類について

- ▶ PRPは手で操作して製造すると無菌性が担保されないので、リスクを考えると現状の第3種のままで良いと考える。一方で、承認された閉鎖系の医療機器で製造されたPRPを用いる場合には、再生法の範囲とせず、医療機器で無菌性を担保していくという方法もあるのではないか。
- ▶ リスクだけでなくベネフィット（有効性）も合わせて考える必要がある。
- ▶ ナショナルコンソーシアム事業で集積しているPRPのデータを評価し、安全性が示されれば、PRPを用いた再生医療等を第4種再生医療等とする方針もあるのではないか。
- ▶ PRP等の再生医療等技術のリスク分類を下げることについては、判断が難しく、ワーキンググループで議論するべき。

### 適応除外範囲について

- ▶ 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については、取得している適応症の範囲で使用するのであれば、再生法から除外されることは合理的である。
- ▶ 安全性の担保のため、フォローアップが必要であるため、再生法の適用を完全に外すのではなく、手続を省略することとしてはどうか。
- ▶ 医薬品医療機器等法で承認を受けていない場合であっても、再生医療等技術が保険収載された場合には、保険適用の範囲内であれば再生医療法から除外しても良いのではないか。

### ③ リスク分類・適用除外範囲について

#### 論点

#### ▶ 再生医療等のリスク分類を見直すことについて、どう考えるか。

<検討の視点（案）>

- ・ 他家細胞、PRP等のリスクは、同分類とされている再生医療等と比較してどの程度か
- ・ その他、リスク分類を見直すべき再生医療等技術はどのようなものがあるか
- ・ 各リスク分類にどのような手続きを課すことが適切か など

#### ▶ 薬事承認された医療機器により製造された特定細胞加工物を用いる再生医療等や、保険収載された再生医療等技術等について、法の適用を除外することを、どう考えるか。

<検討の視点（案）>

- ・ 適用を除外する場合、その範囲はどの程度とすべきか（例えば、薬事承認の場合、適応疾患が限定されているものみにすべきか否か等）
- ・ 適用を除外した場合に安全性が担保されるか など



## 2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

### ④ 再生医療等の有効性の確認

## ④ 再生医療等の有効性の確認

### 現状・課題

#### (現行の法制度と課題)

- ▶ 再生医療法施行規則第10条においては、法第3条に基づく再生医療等提供基準の一部として、再生医療等を行う医師・歯科医師の責務を規定し、「再生医療等の安全性及び妥当性について、倫理的及び科学的観点から十分検討しなければならない。」としている。そして、この「妥当性」については、通知において、「当該再生医療等の有効性が安全性におけるリスクを上回ることが十分予測されることを含む」としている。
- ▶ 再生医療等の開始にあたっては、「提供する再生医療等の妥当性についての検討内容」を再生医療等提供計画の記載事項の一つとしており、根拠論文等を記載することとしている。
- ▶ また、再生医療法施行規則第37条においては、医療機関が認定再生医療等委員会に対して行う定期報告事項の一つとして、「当該再生医療等の安全性及び科学的妥当性についての評価」を報告することを求めている。当該規定は、法制定時に、治療の妥当性を一定程度確認することを可能とするために、転帰・フォローアップしている患者の数等を記載させ、認定再生医療等委員会で確認することを想定したものである。しかしながら、現状は、投与件数と疾病等の発生状況のみが記載されている場合も多くある。

## ④ 再生医療等の有効性の確認

### これまでいただいた主な意見

- ▶ 高額な再生医療等を患者が藁をもすがる思いで受けている現状がある。
- ▶ 再生医療等提供開始時の「有効性が安全性におけるリスクを十分上回る」との予測が、予測どおりであったのかをフォローアップ・評価するシステムが必要である。
- ▶ 再生医療等提供計画内に、有効性の評価基準（検査指標など）の記載を求めるべきではないか。
- ▶ 提供した再生医療等の有効性がリスクを上回ることに係るデータを、レジストリに登録することとしてはどうか。
  - ※ 再生医療等製品の市販後調査（PMS）を参考に再生医療法でもPMSに相当する調査を義務づけてはどうか。
  - ※ 疾患の重篤度等も考慮し、（全疾患対象ではなく）可能な疾患から初めてはどうか。
  - ※ PRPについては、対象疾患が多様であるため、疾患の層別が必要である。
- ▶ データベース（NRMD）にデータ登録を行うことで有効性にかかるエビデンスを蓄積することで、適切な有効性の評価を科学的に確立することができるのではないか。（日本再生医療学会）
  - ※ どのようなインセンティブを付けて正しいデータを登録をさせていくかが重要
  - ※ 患者の安全性という観点で考えると、第3種再生医療等のデータを取ることが非常に重要。
  - ※ 国際的にも問題となっている第3種再生医療等については、何らかの報告義務やレジストレーションへの登録義務を課すべきではないか。
  - ※ 患者にとってメリットがある医療であれば（保険収載等の）出口を見せてもいいと思うが、効果がないものであればむしろ淘汰されるべき。
- ▶ 再生医療法において、徹底してリアルワールドデータを集め、薬事に生かすことも必要である。
- ▶ 対象疾患がばらばらなので有効性評価の一定基準を設けるのは難しい。

## ④ 再生医療等の有効性の確認

### 前回いただいた主な意見

- ▶ 定期報告等で、有効性について、運用でもう少し詳細に求めていくべき。
- ▶ 可能な範囲で、実施されている再生医療等のデータを集めていくべき。
- ▶ 有効性評価の手法については作成が難しく、ワーキンググループを設置して議論するべき。
- ▶ 再生医療等製品の市販後調査でさえ、現場の医師の協力が得られずデータ収集に難渋しているため、治療において必要なデータを収集するのであれば、義務化をするような制度設計を行うべきではないか。
- ▶ 自由診療は目の前の患者を治療することが目的の医療提供なのだから、上乗せでデータ提供を求めることについては、現場に理解してもらう必要がある。また、データを収集する項目については、提供計画立案時からあらかじめ設定しておくことも必要と考えられ、その場合、委員会での審査時にも当該項目について確認をいただくことになると思われるため、委員会に対しても理解してもらっておく必要があると考える。
- ▶ ナショナルコンソーシアム事業で作成したレジストリでは、データの収集が十分に行えない可能性もあるため、委員会でデータを蓄積することも検討してはどうか。

## ④ 再生医療等の有効性の確認

### 論点

- ▶ **再生医療等の有効性について、評価・確認することが可能か。可能な場合、どのように評価・確認するか。**

#### <検討の視点（案）>

- ・ 研究として行われる再生医療等について、一律に有効性の評価を求めることが妥当か
- ・ 研究以外の医療として行われる再生医療等について、一律に有効性を評価・確認する指標を設けることが可能か
- ・ 有効性を評価・確認するしくみとして、どのようなものが考えられるか
  - 評価・確認のタイミングや患者の転帰の確認の方法、具体的な指標、データ登録の方法等をどのようにすべきか など

## 2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

- ⑤ 再生医療等の安全性の担保・医療機関や医師又は歯科医師の適正性の担保

# ⑤ 再生医療等の安全性・医療機関や医師等の適正性の担保

## 現状・課題

### 細胞の保管について

- ▶ 再生医療法施行規則第7条第1項第1号においては、再生医療等を行う医師又は歯科医師に対し、細胞が以下の要件を満たすことを確認する義務を課しているが、具体的な内容は示していない。また、当該規定は、細胞の保管のみを行う機関に対しては適用されない。

以下に掲げる要件を満たした医療機関等において細胞の提供又は動物の細胞の採取が行われたこと。

- イ 適切に細胞の提供を受け又は動物の細胞を採取し、当該細胞の保管に当たり必要な管理を行っていること。
- ロ 細胞の提供を受けること又は動物の細胞の採取をすること並びに当該細胞の保管に関する十分な知識及び技術を有する者を有していること

※ 通知において、イについて「細胞の提供又は動物の細胞の採取時における安全活清潔な操作、品質の保持が適切になされるために必要な設備及び体制が整っており、適切な衛生管理がなされていること」としている

### 再生医療等を行う医師又は歯科医師の要件について

- ▶ 再生医療法施行規則第9条において、再生医療等を行う医師又は歯科医師は、当該再生医療等を行うために必要な専門的知識及び十分な臨床経験を有していなければならないこととされている。しかし、当該知識及び経験がどのようなものを指すかについては、具体的に示されていない。
- ▶ 一方で、再生医療法違反が疑われ立入検査等を行った案件について、再生医療等を行う医師又は歯科医師が、再生医療法を十分に理解していないケースが散見されている。

### 委員会の変更について

- ▶ 現在、再生医療法施行規則第30条の2においては、再生医療等提供計画を提出した後に、審査を受ける委員会を変更することを原則として禁止している。（平成31年4月1日施行）
- ▶ 一方、再生医療等提供計画を提出する前に複数の委員会の審査を受けることは禁止していない。

## ⑤ 再生医療等の安全性・医療機関や医師等の適正性の担保

### これまでいただいた主な意見

- ▶ 細胞加工物の保管について、保管を加工に含めることや、管理について委員会の審査ポイントを示すこと等も含めて、検討すべきではないか。  
※ ただし、保管を加工に含めるのは世界的な標準に照らすと難しいのではないか
- ▶ 認定再生医療等委員会ショッピングが行われており、しっかり審査をする委員会には審査依頼が少なく、通しやすい委員会に審査依頼が多くあるような現状もある。
- ▶ 日本再生医療学会で実施している再生医療認定医や臨床培養士の資格制度を活用して、再生医療の質の担保を客観的な視点から確保してはどうか。（日本再生医療学会）
- ▶ 再生医療法下で行う細胞加工物を用いる医療技術やその細胞加工物に関する広告のあり方を整理し、これらを明示する必要があるのではないか。（FIRM）



## ⑤ 再生医療等の安全性・医療機関や医師等の適正性の担保

### 前回いただいた主な意見

#### 細胞の保管について

- ▶ 保管について一律の基準を設定するのは難しく、まずは細胞バンクでの保管状況の把握から始めてはどうか。
- ▶ 法律ではなく、学会からの通知やガイドラインで示していく方が適していると考える。

#### 再生医療等を行う医師又は歯科医師の要件について

- ▶ 再生医療学会等の認定医制度を活用し、提供計画内に最低1人は資格をもつ者が含まれているようにしてはどうか。
- ▶ 再生医療学会の資格のみだけでなく、内科専門医や外科専門医等も考慮すべき。
- ▶ 再生医療学会は、レジストリへのデータ登録を再生医療認定医の更新要件とすることで、インセンティブを与えるという活動をしている。

## ⑤ 再生医療等の安全性・医療機関や医師等の適正性の担保

### 論点

- ▶ **細胞の保管のみを行う機関を含め、細胞の保管について、一定の基準等を設定することについて、どう考えるか。**

< 検討の視点（案） >

- ・ 様々な細胞種について一定の基準を示すことが可能か など

- ▶ **再生医療等を行う医師又は歯科医師の適正性を担保するためのより具体的な方策について、どう考えるか。**

< 検討の視点（案） >

- ・ 学会の認定医制度を活用することについてどう考えるか など

- ▶ **再生医療等を提供する医療機関の適正性を担保するためのより具体的な方策について、どう考えるか。**

< 検討の視点（案） >

- ・ 複数の認定再生医療等委員会の審査を受ける事案を防ぐ方策についてどう考えるか など

## 2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

### ⑥ 認定再生医療等委員会の質の担保

## ⑥ 認定再生医療等委員会の質の担保

### 現状・課題

#### (現行の法制度)

- ▶ 認定再生医療等委員会については、要件に適合しなくなった場合など、審査等業務の適切な実施を確保するために必要があると認める際には、委員の改選などの必要な措置を厚生労働大臣が命じることができる。（現在までに命令を行った事例はない。）
- ▶ 一方、認定再生医療等委員会に対する立入検査の規定や、欠格要件は定められていない。（なお、臨床研究法の認定臨床研究審査委員会については、定められている。）
- ▶ また、認定再生医療等委員会から国への定期報告を求める規定はなく、3年に一度の更新の際に、書面上で要件該当性を確認している。
- ▶ 委員会の規程や委員名簿、議事録等については、厚生労働省の整備するデータベースに公表することを求めている。

#### (現在の認定再生医療等委員会の質の向上に向けた取組み)

- ▶ 現在、認定再生医療等委員会の質向上を目的とした調査・研究事業が、厚生労働省事業にて実施されている。

## ⑥ 認定再生医療等委員会の質の担保

### これまでいただいた主な意見

- ▶ 認定再生医療等委員会の質に課題があるため、審査のガイドライン等を示してはどうか。
  - ※ 科学的妥当性・安全性の審査のポイント、細胞管理の審査のポイント、メタアナリシスにおける論文の利用の仕方、PRPの審査のポイント等について
- ▶ 妥当性を評価できない認定再生医療等委員会は認定を取消すことも考えるべきではないか。
- ▶ 委員会については、AMEDの質の向上課題の成果報告・現状の報告をいただいてから、質を担保するための立入等の手続きについて議論できないか。
- ▶ 委員会の抜き打ち検査を検討してはどうか。
- ▶ 審査件数が多い委員会が審査の質が高いとは限らないため、定期報告等において、審査件数だけでなく、質を確認するべきではないか。

## ⑥ 認定再生医療等委員会の質の担保

### 論点

- ▶ **認定再生医療等委員会における業務の適正性を確保するための方策について、どう考えるか。**

< 検討の視点（案） >

- ・ 認定再生医療等委員会の適正性を確保するための立入検査・定期報告等の仕組みを設けるべきか
- ・ 認定再生医療等委員会の審査等業務に関し、一定のガイダンス（安全性・有効性の評価、論文利用の方法等）を示すことが可能か
- ・ その他、認定再生医療等委員会の業務の適正性を担保するため、どのような方策が考えられるか など

## 2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

### ⑦ 細胞培養加工施設の質の担保

## ⑦ 細胞培養加工施設の質の担保

### 現状・課題

#### (現行の法制度)

- ▶ 医療機関内に設置される細胞培養加工施設（CPC）等については、法第40条において、許可ではなく、届出で足りるとなっており、この場合、構造設備の確認を書面で行うのみで、実地調査は行わないこととなっている。当該届出が受理された後は、更新も必要ないことから、設備の状況の実地確認は行われぬ。
- ▶ 一方、それ以外の国内に設置されるCPCについては、許可制としており、許可の申請時と更新の申請時に、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）が構造基準適合性の調査を実施している。
- ▶ 法第44条に基づき、施行規則においてCPCの遵守事項が定められているが、運用上遵守されているかどうかについて確認する仕組みとはなっていない。



## ⑦ 細胞培養加工施設の質の担保

### これまでいただいた主な意見

#### 届出制としているCPCへの実地調査について

- ▶ 医療機関内に設置するCPCについても、届出だけではなく、実地調査に入るべきではないか。
- ▶ 調査に入る者としては、PMDAだけではなく、企業の者も考え得るのではないか。

#### CPCの遵守事項について

- ▶ 許可制のCPCの実地調査をする場合においても、バリデーションまでを確認しているGMPとは異なり、要件（構造基準）以外の遵守事項を確認していない。バリデーションの運用くらいは確認すべきではないか。

## ⑦ 細胞培養加工施設の質の担保

### 論点

#### ▶ CPCの質を担保するための方策について、どう考えるか。

< 検討の視点（案） >

- ・ 医療機関内に設置される届出制のCPCについても、許可制のCPCと同様に実地調査を行うことが妥当か
- ・ CPCの遵守事項について、実地調査等において運用を確認することが妥当か
- ・ その他、CPCの質を担保するため、どのような方策が考えられるか など

## 3. 再生医療等に係る研究の推進

⑧ 法に基づく手続の緩和・改善

## ⑧ 法に基づく手続の緩和・改善

### 現状・課題

#### 手続の責任主体について

- ▶ 現行の再生医療法においては、再生医療等提供計画の提出等のほか、研究計画書の作成やモニタリングといった手続の責任主体を、医療機関の管理者と定めている。
- ▶ 一方、臨床研究法においては、臨床研究法を実施する場合の手続の責任主体について、法律上は「研究を実施する者」とし、省令において研究責任医師としている。
- ▶ 平成30年11月30日に公布された、再生医療等の安全性の確保に関する法律施行規則及び臨床研究法施行規則の一部を改正する省令のパブリックコメントにおいては、管理者に個別の研究の手続の責任を課すことは実態にそぐわず、研究責任者に責務を課すべき旨の意見が届いている。

#### 先進医療技術審査部会・先進医療会議との審議の重複について

- ▶ 再生医療法の下で行う臨床研究について、先進医療Bとして申請する場合、認定再生医療等委員会（第一種の場合は、加えて再生医療等評価部会）に加え、先進医療技術審査部会及び先進医療会議でも審議を行う必要がある。

#### 薬事承認された医療機器で製造される特定細胞加工物を用いた再生医療等の手続について

- ▶ 法の施行以降、特定細胞加工物を製造する医療機器が薬事承認を受けるに至っているが、当該医療機器によって製造された特定細胞加工物を用いる医療技術は、再生医療等技術に該当するため、薬事承認を受けていても、再生医療法に基づく手続が必要となる。

## ⑧ 法に基づく手続の緩和・改善

### これまでいただいた主な意見

- ▶ 研究に係る手続の責任主体は、管理者ではなく実施責任者にすべきではないか（日本再生医療学会）
- ▶ 先進医療について、再生医療法と審査内容が重なる部分については二重規制は避けるべきではないか。
- ▶ （再掲）薬事承認されている医療機器を用いてPRPを製造し、人に投与する場合には、医薬品医療機器等法との重複規制になることは避けるべきではないか。  
※ ただし、薬事承認の際に対象疾患が特定されているか、使用方法が特定されているか等を考慮する必要あり。

## ⑧ 法に基づく手続の緩和・改善

### 論点

#### ▶ 再生医療法に基づく手続の責任主体を変更することについて、どう考えるか

<検討の視点（案）>

- ・ 再生医療法は、研究及び研究以外の医療の双方を対象としているところ、研究について、臨床研究法に併せて実施責任者を責任主体とすることが妥当か
- ・ 実施責任者を責任主体とする手続の範囲はどのようにすべきか など

#### ▶ 先進医療として再生医療等を行う場合の手続を適正に緩和・改善すべきではないか

<検討の視点（案）>

- ・ 再生医療又は先進医療に係る手続を簡素化することが妥当か など

#### ▶ （再掲）薬事承認された医療機器で製造された特定細胞加工物を用いる再生医療等や、保険収載された再生医療等技術について、法の適用を除外することを、どう考えるか

#### ▶ その他、手続の緩和・改善のため、どのような方策が考えられるか

## 3. 再生医療等に係る研究の推進

### ⑨ その他再生医療等の研究の推進

## ⑨ その他再生医療等の研究の推進

### 現状・課題

#### (現行の法制度)

- ▶ 再生医療法施行規則第7条第1項第1号においては、再生医療等を行う医師又は歯科医師に対し、細胞が以下の要件を満たすことを確認する義務を課しているが、具体的な内容は示していない。また、当該規定は、細胞の保管のみを行う機関に対しては適用されない。

以下に掲げる要件を満たした医療機関等において細胞の提供又は動物の細胞の採取が行われたこと。

- イ 適切に細胞の提供を受け又は動物の細胞を採取し、当該細胞の保管に当たり必要な管理を行っていること。
  - ロ 細胞の提供を受けること又は動物の細胞の採取をすること並びに当該細胞の保管に関する十分な知識及び技術を有する者を有していること
- ※ 通知において、イについて「細胞の提供又は動物の細胞の採取時における安全活清潔な操作、品質の保持が適切になされるために必要な設備及び体制が整っており、適切な衛生管理がなされていること」としている

### これまでいただいた主な意見

- ▶ 病院から採取される余剰組織等を中心とした細胞について、安定してバンキングしていくこと、かつ日本製品が各国の基準に合致した形で世界に普及するようなレベルの細胞ソースを提供できる仕組の構築が急務。（日本再生医療学会）
  - ※ 基盤研のバンキングシステムのノウハウを参考にしようか。
- ▶ (再掲) 研究でエビデンスを取った後の出口戦略として、医薬品医療機器等法下で治験を経て製品化(再生医療等製品)を目指すのみではなく、そのまま再生医療法下で医療技術(再生医療等技術)として進む道もあるのではないか。(FIRM)



## ⑨ その他再生医療等の研究の推進

### 論点

- ▶ (再掲) 細胞の保管のみを行う機関を含め、細胞の保管について一定の基準等を設定することについて、どう考えるか。

< 検討の視点 (案) >

- ・ 様々な細胞種がある中、一定の基準を示すことが可能か など

- ▶ その他、再生医療等の研究を推進するため、どのような方策が考えられるか