

再生医療等安全性確保法改正について

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

公布の日（令和6年6月14日）から起算して1年以内において政令で定める日

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。

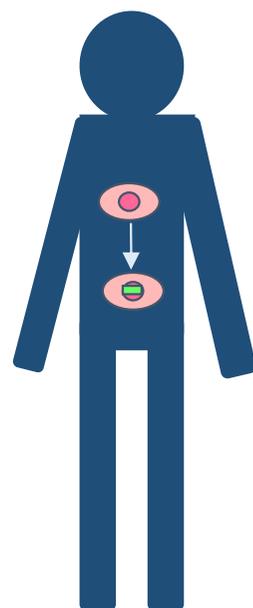
■ 新たに法の対象とするもの □ 現行法の対象

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



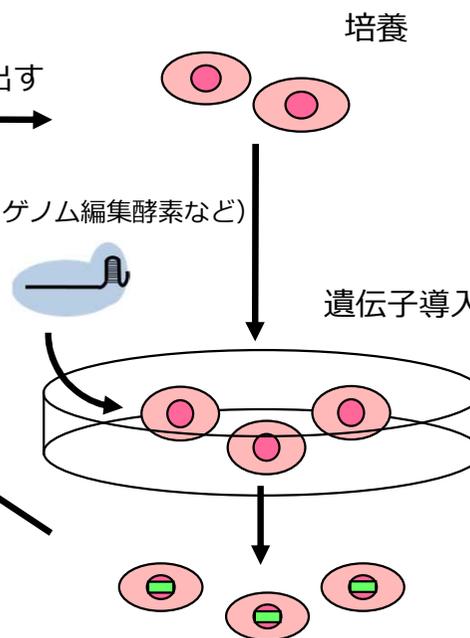
細胞加工物を用いる遺伝子治療
(ex vivo遺伝子治療)

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



遺伝子導入・改変細胞

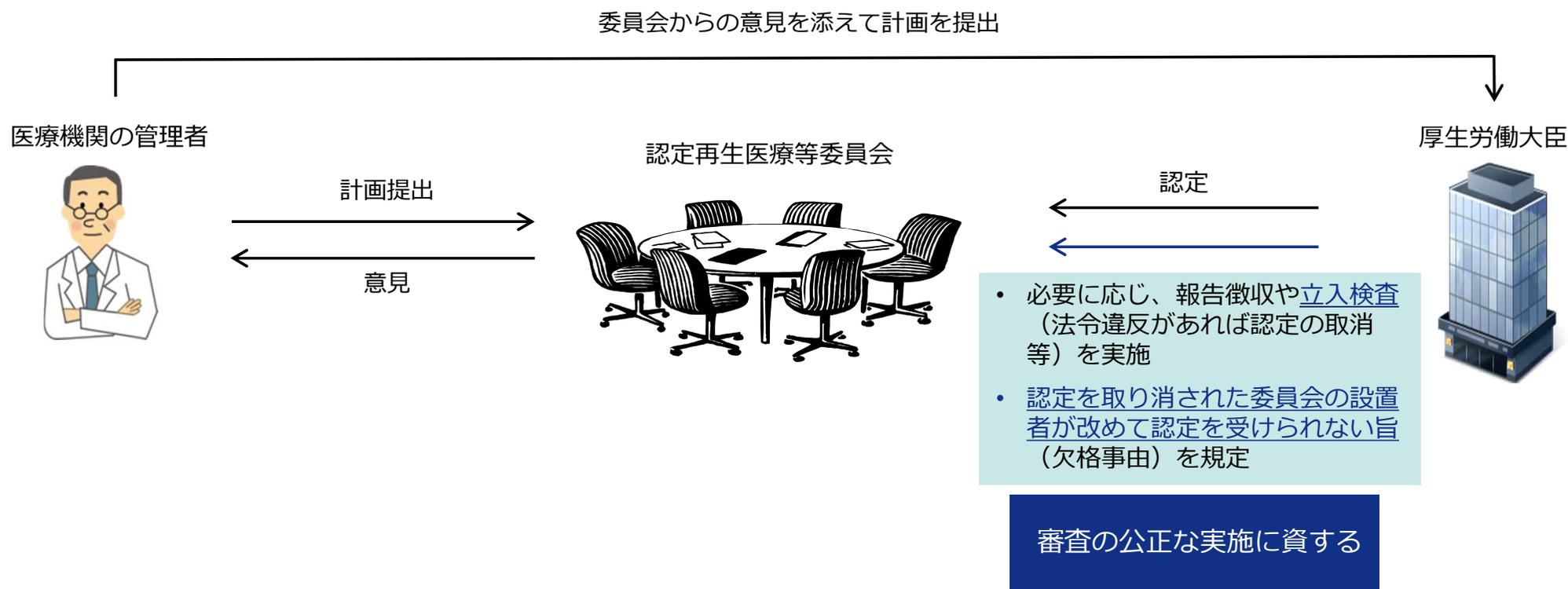
※ 核酸等 = 核酸やゲノム編集酵素、それらを含むウイルスベクターなど

※ 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

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、認定再生医療等委員会の設置者について、現行の報告徴収等に加え、立入検査や欠格事由に係る規定を整備する。

※ 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。



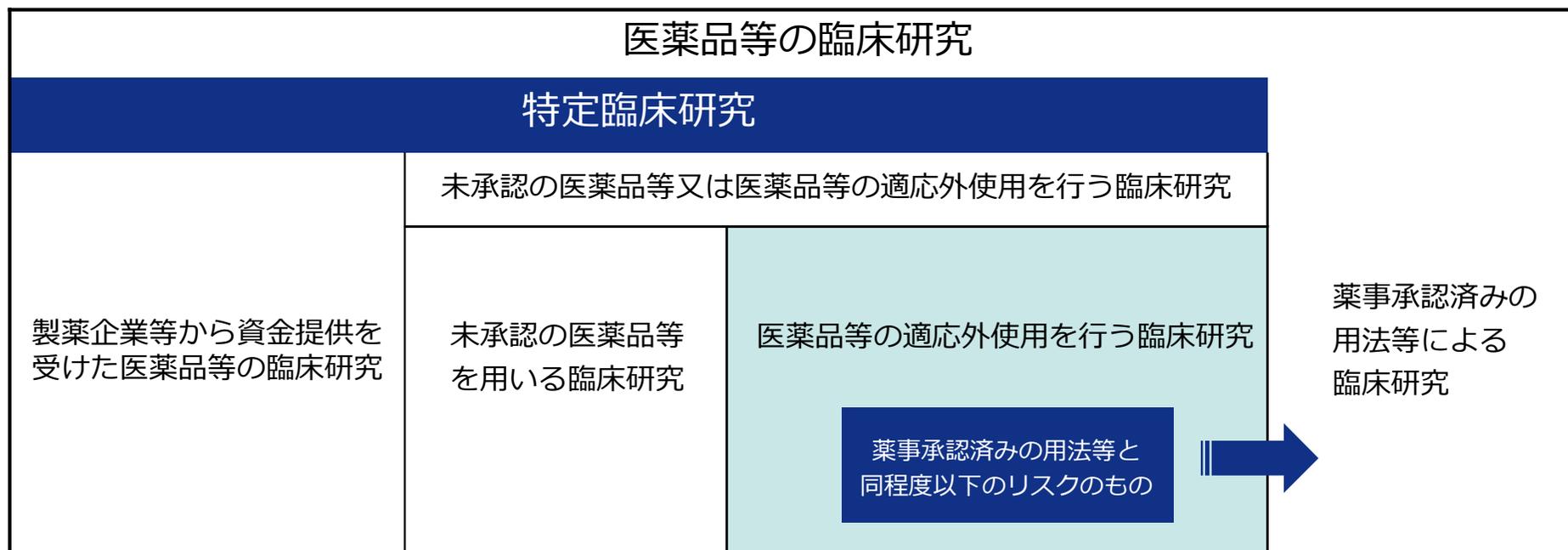
医薬品等の適応外使用に関する特定臨床研究等の対象範囲の見直し

- 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

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（概要）

1. 医療技術等の変化への対応

(1) 細胞加工物を用いない遺伝子治療（in vivo遺伝子治療）に対する規制の検討

- 遺伝子治療技術については、遺伝子治療等臨床研究指針で定義するin vivo遺伝子治療を含めた技術を法の範囲に含めるべき。
- 今後の遺伝子治療及び関連技術の急速な進歩を見据え、技術やリスクが近似するものに対しても、迅速に対応できる法体系とすべき。
- 遺伝子治療技術とリスクが近似する「ゲノム編集技術を応用した技術」を法の対象範囲とすべき。
- mRNAを利用する技術については、昨今の技術進歩も踏まえ、法の対象範囲とどうか、技術とリスクの観点から、今後ワーキンググループ等で検討すべき。
- 細胞医療にもin vivo遺伝子治療に近いリスクを抱えた技術が今後出現する場合に備え、その技術を想定した法的枠組みをあらかじめ設けておくこと。
- 現行の再生医療等安全性確保法の手続を前提とし、審査を行う委員会、遺伝子治療を提供する医療機関、ウイルスベクター等の製造・管理や取扱業者において、遺伝子治療の提供に必要な手続を求めるとともに、カルタヘナ法の手続については、重複を避け一体的な審査とすべき。
- ウイルスベクターの製造所や、細胞への遺伝子導入にウイルスベクターを使用するCPC、ウイルスベクター等を使用する医療機関の作業員の健康管理等については、医療機関を含めたウイルスベクター製造所への注意喚起をQ & A等で対応すべき。

(2) 再生医療等のリスク分類・法の適用除外範囲の見直し

- ゲノム編集技術を応用した技術をはじめとする関連技術も含め、認定再生医療等委員会における審査の際の考え方等の具体的なリスクの評価方法について検討すべき
- 再生医療等技術のリスク分類については、将来的に科学的知見が集積した段階で、改めてリスク分類の考え方を検討すべき。
- 薬機法に基づき適応症を含む承認を取得した医療機器をその適応範囲内で利用する場合においては、再生医療等安全性確保法の適用範囲から除外すべき。
- 保険収載された第1種再生医療等技術に関しては、事前に本部会委員と事務局により書類を確認し、指摘事項が修正されたことを確認した後、速やかに本部会長及び部会長代理に報告し短縮通知の発出を行い、直近の部会開催において当該処理をした計画について報告すべきである。

2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

(1) 再生医療等の科学的妥当性の確認

- 再生医療等提供計画の様式や、認定再生医療等委員会に対して行う定期報告の様式を見直し、提供計画に科学的妥当性の評価方法を記載事項として設けるとともに、定期報告における「科学的妥当性の評価」の欄には、当初の提供計画に記載した評価方法に沿って記載を求めべき。

赤枠で示した部分について再生医療等安全性確保法の改正による対応を検討している。

- 認定再生医療等委員会の審査に資するガイドラインを作成することで、認定再生医療等委員会において科学的妥当性を適切に評価できるような方策をとるべき。

(2) 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

- 細胞の保管については、管理基準案を踏まえ、細胞の保管を行う機関における細胞の保管基準等について定めるべき。
- 再生医療等の提供体制の中には、再生医療等及び対象疾患・全身管理に関する関連学会の認定医等に相当する知識を有する者、生命倫理や再生医療等安全性確保法に関する知識を有する者を含むことを明確化すべき。

(3) 認定再生医療等委員会の質の担保

- これまでに質向上事業で作成してきたガイドラインやチェックリスト等も包含し、審査等業務全体を網羅したガイドラインを質向上事業で作成し公表すべき。
- 認定再生医療等委員会に対する定期報告については、委員会の事務負担も踏まえ、規定しないが、引き続き、質向上事業における調査事業で実態の把握に努め、研修会や模擬審査など、質向上に資する取組も継続すべき。

- 臨床研究法も参考に、認定再生医療等委員会に対する立入検査及び欠格事由については新たに再生医療等安全性確保法にも規定を加えるべき。

- 認定再生医療等委員会における利益相反の関係を確認でき、適切な措置が講じられるような対応について検討すべき。

(4) 細胞培養加工施設（CPC）の質の担保

- CPCの構造基準や手続については、将来的に、再生医療等安全性確保法の下で科学的知見が集積した段階で、改めて検討すべき。
- 引き続き、届出制及び許可制のCPCに対する実態把握のための調査を続けるべき。

3. 再生医療等に係る研究の推進

(1) 法に基づく手続の緩和・改善

- 再生医療等を研究として行う場合、研究特有の手続については、当該研究の実施責任者において行うこととすべき。

(2) 再生医療等の拠点機関の設定

- 拠点機関の設定については、再生医療実用化基盤整備促進事業の中で設定された拠点機関を中心に多機関連携を支援することとし、拠点機関の数や各機関の役割については、状況に応じて関係者間での調整のうえ、適切に設定すべき。
- 遺伝子治療を牽引する拠点機関の設定についても検討すべき。

(3) 細胞の安定的な確保

- 流通に係る基盤の構築や原料の品質管理に係る基準の策定に向けて、引き続き、経済産業省をはじめ関係省庁等と連携し、検討を進めていくべき。

※令和4年6月3日厚生科学審議会再生医療等評価部会とりまとめ（一部抜粋）

今後の進め方について（案）

- 令和4年6月の「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」に盛り込まれた事項や法改正において検討が生じた事項等については、その記載に沿い本部会で議論を行い、結論を得られたものについては必要に応じて厚生労働省において関係法令等の作業を進める。

（1）改正法施行関係

- ① in vivo遺伝子治療の具体的範囲
- ② in vivo遺伝子治療の追加を踏まえた認定再生医療等委員会の構成要件
- ③ 核酸等を製造する特定細胞加工物等製造施設の基準及び届出
- ④ 再生医療等製品の適応外使用に対する法の適用除外範囲 等

（2）その他

- ① 研究実施に係る手続を行う主体の適正化
- ② 関連する様式等の見直し
- ③ 認定再生医療等委員会における利益相反等への対応 等

今後のスケジュール（案）

8月 第97回 再生医療等評価部会

- (1) 改正法施行関係
 - ① in vivo遺伝子治療の具体的範囲
 - ② in vivo遺伝子治療の追加を踏まえた認定再生医療等委員会の構成要件
 - ③ 核酸等を製造する特定細胞加工物等製造施設の基準及び届出
 - ④ 再生医療等製品の適応外使用に対する法の適用除外範囲
- (2) その他
 - ① 研究実施に係る手続を行う主体の適正化 等

9月以降 再生医療等評価部会

- (2) その他
 - ② 関連する様式等の見直し
 - ③ 認定再生医療等委員会における利益相反等への対応
 - その他、これまでの議論の整理、その他の論点 等

省令等の検討

年内を目途に公布

施行（※令和7年6月15日までの日で政令で定める日）

パブリックコメント

周知