

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再生医療等安全性確保法の範囲に含めるべきである。
- 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である。
- 関連技術については、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である。
- 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である。
- 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である。
- 従来の「細胞医療 (ex vivo遺伝子治療以外) + ex vivo遺伝子治療」の枠組みに加え、in vivo遺伝子治療の法的枠組みを整備すべきである。
- また、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、例えば、in vivo遺伝子治療で求められるものと同等の手続を課すなど、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も考えられる。
- 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べきである。例えば、委員会には、「組換えDNA技術を用いたウイルスベクター製造等の組換え生物の取扱いについて識見を有する者」及び「遺伝子治療の人への影響について十分な科学的知見及び識見を有する者」の参画を求めるなどが考えられる。また、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である。
- 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C P C、ウイルスベクター等を使用する医療機関において、再生医療等安全性確保法上、追加的に求める要件はないが、作業者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等で対応すべきである。
- in vivo遺伝子治療のうち、疾病の予防を目的とするものについても、細胞医療 (ex vivo遺伝子治療を含む) と同様に再生医療等安全性確保法の対象とすべきである。
- 遺伝子治療・関連技術を用いたワクチンが、医薬品医療機器等法で医薬品として承認された場合、再生医療等製品と同様に再生医療等安全性確保法の対象としないこととすべきである。
- また、遺伝子治療・関連技術を用いたワクチンの治験については、細胞医療と同様に再生医療等安全性確保法の対象としないこととすべきである。

赤枠で示した部分については、再生医療等安全性確保法の改正により対応予定。

- 日本未承認であるが外国で承認されている感染症の予防（感染・発症予防や重症化予防等を含む）を目的としたワクチンについては、公衆衛生施策上必要なものは再生医療等安全性確保法上、個別に除外することとすべきである。

- 遺伝子治療を再生医療等安全性確保法の対象とするにあたり、遺伝子治療の提供後に発生した事象の報告については、報告の実効性、現行法や他法との整合性等を踏まえ、再生医療等安全性確保法で規定される疾病等とすべきである。

(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である。
- 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である。
- P R Pを利用する第3種再生医療等技術について、医薬品医療機器等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である。
- 第1種、第2種再生医療等技術についても同様に、医薬品医療機器等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である。
- 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。
※ 書類の確認の中で、必要があると判断された場合においては、部会で審議を行うこととする。
- 他家間葉系幹細胞を利用した医療技術については、引き続き、第1種再生医療等技術として位置づけることとする。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、第1種再生医療等技術として求められる手続の見直しを検討すべきである。
- 既に承認されている同種由来再生医療等製品の適応外使用等の部会審査については、保険収載された第1種再生医療等技術と同様の手続緩和の枠組で対応可能か、個別の技術について事務局と本部会委員とでその都度判断し、手続緩和を検討すべきである。
- エクソソーム等については、細胞断片として整理されるものであり、ヒトへの投与物としての明確な定義づけが困難であることや、諸外国における規制状況等も勘案し、現時点においては、エクソソーム等を再生医療等安全性確保法の対象とはせず、今後の医療技術の進展を踏まえ、必要に応じ検討すべきである。

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）

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らるべきである。
- 上記内容をどのように認定再生医療等委員会が確認すべきかについては、質向上事業の成果に基づいて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である。
- 定期報告に記載する「科学的妥当性の評価」については、認定再生医療等委員会が審査後に公表する議事概要に適切に記載するよう求めることとし、議事概要の記載をガイドラインに例示することを検討すべきである。
- ガイドラインの具体的な内容については、引き続き、質向上事業において検討を継続すべきである。
- 再生医療実用化基盤整備促進事業において、引き続き、科学的妥当性に係る情報のレジストリへの登録の在り方について検討すべきである。

(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である。
- 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である。
- 再生医療等提供基準チェックリストや、質向上事業においてとりまとめを予定しているガイドライン等に、認定再生医療等委員会の変更に関するチェック項目を追加し（※）、認定再生医療等委員会が計画の審査を行う際に、不適の意見を述べた委員会での審議結果や委員会の変更に至った経緯を確認できるようにすべきである。

※ 認定再生医療等委員会の変更に関するチェック項目

- ・ 再生医療等提供計画について、別の認定再生医療等委員会から不適の意見が既にあった場合、その意見書の提出を行うこと。
- ・ 上記の場合、委員会の変更に至った経緯の説明を行うとともに、不適の意見が出された箇所については是正がなされていること。または、是正をしない場合には、その根拠について合理的な説明を行うこと。

(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である。

赤枠で示した部分については、再生医療等安全性確保法の改正により対応予定。

- 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である。
- 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である。
- 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である。

(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、改めて検討すべきである。
- 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である。

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である。
- 先進医療として臨床研究を実施する場合（一定の要件を満たした医療機関からの提出で、かつ、一定の要件を満たした認定再生医療等委員会の審査を経た場合）における、先進医療技術審査部会及び先進医療会議の審査過程の簡略化については、まずは先進医療技術審査部会で検討すべきである。
- 先進医療として実施する臨床研究において、認定再生医療等委員会における審査の後、先進医療技術審査部会又は先進医療会議において研究計画書等に変更があった場合、当該変更に係る認定再生医療等委員会の審査等業務については、事後的に認定再生医療等委員会へ報告することとすべきである。

(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、適切に設定すべきである。
- 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である。

(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である。