

法の対象とする遺伝子治療技術の範囲

- 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「遺伝子治療等」技術について、再生医療等安全性確保法の範囲に含める。「関連技術」については、「遺伝子治療等」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ることができないか検討する。

細胞医療と遺伝子治療の法的枠組みのあり方

- 従来の「細胞医療 (*ex vivo*以外) + *ex vivo* 遺伝子治療」の枠組みに加え、*in vivo* 遺伝子治療のリスクに着目した新たな法的枠組みを整備する。
- 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。

遺伝子治療の提供に求められる手続

- 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。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る。
- なお、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細胞培養加工施設、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ことが確認された。

参考資料 遺伝子治療技術・関連技術のイメージ図

遺伝子治療等の定義（遺伝子治療等臨床研究指針）

- ① 遺伝子又は遺伝子を導入した細胞をヒトの体内に投与すること（遺伝子の導入：*in/ex vivo*）
- ② 特定の塩基配列を標的としてヒトの遺伝子を改変すること（遺伝子の改変：*in vivo*）
- ③ 遺伝子を改変した細胞をヒトの体内に投与すること（遺伝子の改変：*ex vivo*）

