

法改正及び「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」を踏まえた対応

(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

(1)① in vivo 遺伝子治療の具体的範囲について

- 今般の法改正により新たに再生医療等安全性確保法の対象として位置づけられることとなるin vivo遺伝子治療の具体的な範囲については政令で定めることとされている。

(改正後) 再生医療等安全性確保法

(定義) 第二条 (略)

2 この法律において「再生医療等技術」とは、人の身体の構造若しくは機能の再建、修復若しくは形成又は人の疾病の治療若しくは予防に用いられることが目的とされている医療技術であって、次に掲げるもののうち、その安全性の確保等に関する措置その他のこの法律で定める措置を講ずることが必要なものとして政令で定めるものをいう。

一 細胞加工物を用いる医療技術（細胞加工物として再生医療等製品（医薬品医療機器等法第二十三条の二十五又は第二十三条の三十七の承認を受けた再生医療等製品をいう。以下この条において同じ。）のみをその承認に係る用法等（用法、用量、使用方法、効能、効果及び性能をいう。以下この号において同じ。）又は人の生命及び健康に影響を与えるおそれが当該承認に係る用法等と同程度以下のものとして厚生労働省令で定める用法等で用いるものを除く。）

二 核酸等を用いる医療技術（核酸等として医薬品（医薬品医療機器等法第十四条又は第十九条の二の承認を受けた医薬品をいう。以下この条において同じ。）又は再生医療等製品のみをそれぞれその承認に係る用法等（医薬品にあつては用法、用量、効能及び効果をいい、再生医療等製品にあつては用法、用量、使用方法、効能、効果及び性能をいう。以下この号において同じ。）又は人の生命及び健康に影響を与えるおそれが当該承認に係る用法等と同程度以下のものとして厚生労働省令で定める用法等で用いるものを除く。）

- 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。

(1) ① in vivo 遺伝子治療の具体的範囲について

対応の方向性

- とりまとめも踏まえ、政令で規定する核酸等を用いる医療技術の具体的な範囲は、以下の通りとしてはどうか。
 - **in vivo 遺伝子治療**
(遺伝子を人の体内に導入する技術、人の遺伝子を改変する技術)
 - **遺伝子治療等の関連技術**
(ゲノム編集技術を応用した技術、mRNAを利用した技術)
(※いわゆる核酸医薬にあたるもの (miRNA, siRNA 等) を用いる技術は法の対象外となる。)
- また、**受精胚に培養等の加工を行う生殖補助医療についても法の適用除外となることが明確となるように記載**することとしてはどうか。
(※受精胚に培養等の加工を行う生殖補助医療は、現行法においても適用除外である。)

(参考) 遺伝子治療等技術・遺伝子治療等の関連技術のイメージ図

遺伝子治療等技術

○細胞加工物を用いる医療技術 (ex vivo 遺伝子治療)

- (想定される技術)
- ・ウイルスベクターでがん細胞を認識する遺伝子を発現させた**T細胞を投与する**
 - ・ウイルスベクターで欠損遺伝子を発現させた**造血幹細胞を投与する**

○核酸等を用いる医療技術 (in vivo 遺伝子治療)

遺伝子を人の体内に導入する技術：遺伝子導入

- ・ウイルスベクターやプラスミドを用いて遺伝子を導入する技術
- ・ウイルスベクターやプラスミドの作用は問わない



ウイルスベクター・プラスミド

- (想定される技術)
- ・ウイルスベクターを用いて、欠損遺伝子を発現させる**遺伝子を導入する**
 - ・プラスミドを用いて、組織修復に有効な遺伝子を発現させる**遺伝子を導入する**

人の遺伝子を改変する技術：遺伝子改変

- ・ゲノム編集技術(※1)等を用いて遺伝子を改変する技術
- (※1)ゲノム編集技術：**CRISPR等を用いたゲノムの編集技術**



CRISPR-Cas9

- (想定される技術)
- ・CRISPR-Cas9システムに要する酵素を用いて、**遺伝子欠損させる**
 - ・CRISPR-dCas9システムに要する酵素を用いて、**一塩基編集を行う**

○核酸等を用いる医療技術 (遺伝子治療等の関連技術)

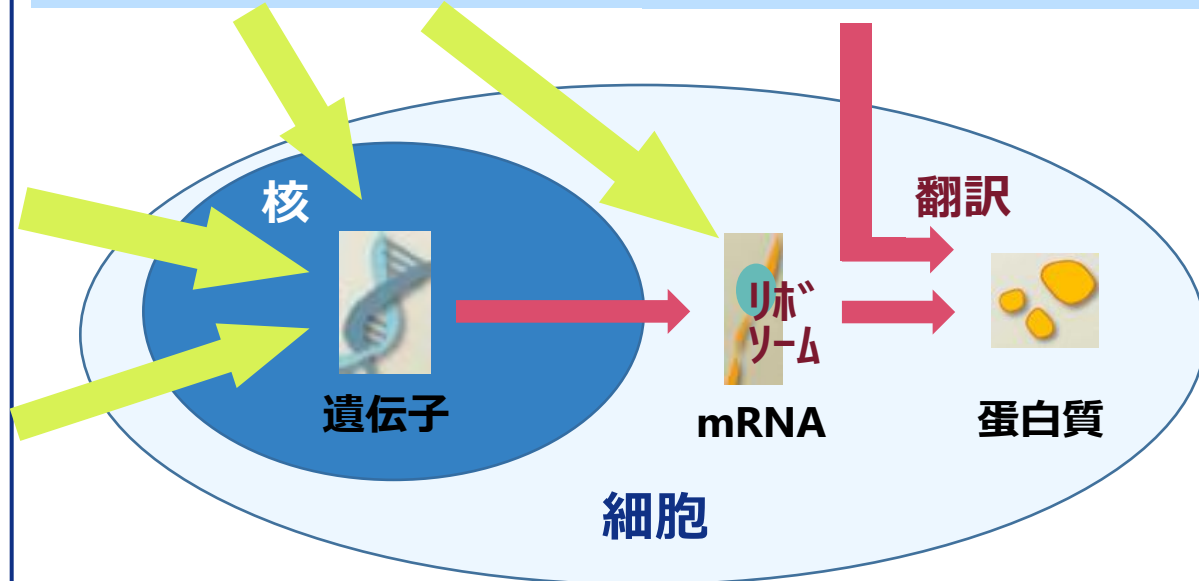
ゲノム編集技術を応用した技術

- (想定される技術)
- ・CRISPR-dCas9システムに要する酵素を用いて、**エピゲノム編集(※2)を行う**
 - ・CRISPR-Cas13システムに要する酵素を用いて、**mRNA編集を行う**
- (※2)遺伝子は改変せずに遺伝子発現に影響を与える技術



mRNAを利用した技術

- (想定される技術)
- ・がん細胞のmRNAを含有した脂質ナノ粒子を用いて、がんへの免疫を賦活化する**mRNAを導入する**
 - ・組織修復タンパク質をコードするmRNAを含有した脂質ナノ粒子を用いて、組織修復を促す**mRNAを導入する**



現行法の範囲

改正法の追加範囲

改正後再生医療等安全性確保法におけるワクチンの扱いの位置づけ

第88回厚生科学審議会感染症部会

2024(令和6)年8月8日

資料1

- in vivo遺伝子治療等や遺伝子治療等の関連技術には、人の疾病の予防を目的とする、核酸等を用いたワクチン（mRNAワクチンなど）も含まれ、当該ワクチンのうち、薬事承認を受けていないものについては、その接種に当たり、法に基づき提供計画の提出等が義務付けられることとなる。
- 他方、ワクチンについては、公衆衛生上、感染症対策として迅速な使用が求められるものが想定される。今般の制度見直しに向けた厚生科学審議会再生医療等評価部会においては、こうしたものについて、一律に法において提供計画の提出等を求めることは適切ではないとの結論が示された。

「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」抜粋 (令和4年6月3日厚生科学審議会再生医療等評価部会)

<遺伝子治療・関連技術を用いたワクチンの扱い>

- 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なるという点で概ね意見が一致した。

(中略)

- 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、個別に除くという点で概ね意見が一致した。

再生医療等安全性確保法の対象としないワクチンの考え方、具体的な選定方法について（論点）

第88回厚生科学審議会感染症部会

資料1

2024(令和6)年8月8日

（考え方）

- 本仕組みは、感染症が蔓延する地域に渡航する者が必要なワクチンの接種を迅速に受けることで、我が国における感染症の蔓延を防止するという公衆衛生上の必要性を踏まえたもの。

この趣旨に鑑み、再生医療等安全性確保法の適用から除外するワクチンは、医薬品の品質、有効性及び安全性を確保する上で我が国と同等の水準にあると認められる医薬品の製造販売の承認の制度又はこれに相当する制度を有している国（以下「同等水準国」という。）において承認を受けたものに限定することとしてはどうか。

具体的には、医薬品医療機器等法の特例承認制度と同様の範囲の国（アメリカ合衆国、英国、カナダ、ドイツ及びフランス）において承認を受けたワクチンであって、当該承認に係る用法用量により用いられるワクチンに限定することとしてはどうか。

（具体的な選定方法）

- 上記の考え方に照らし、再生医療等安全性確保法の適用から除外するワクチンの選定に当たっては、感染症の蔓延防止の必要性や、当該ワクチンの有効性及び安全性について、専門的見地から検証した上で選定する必要がある。

このため、ワクチンの選定に当たっては、本部会及び再生医療等評価部会において検証を行い、その結果を踏まえることとしてはどうか。

- 本仕組みの目的である感染症の蔓延防止を着実に達成するためには、最新の感染症の流行状況やそれに対応するワクチンの状況等に応じ、再生医療等安全性確保法の適用から除外するワクチンの範囲を迅速に見直すことが必要。

このため、本仕組みの基本的となる考え方及び運用方法（審議会からの意見聴取）を政令に規定しつつ、具体的なワクチンの名称については通知等において定めることとしてはどうか。