

再生医療の現在と未来

慶應義塾大学病院
臨床研究推進センター
許斐健二

2024年12月5日（木）

- 再生医療等とは
- 再生医療の過去・現在
- 再生医療の未来

➤再生とは

生物学における再生とは、損傷を受けた組織や器官、四肢などが復元する現象（wikipedia）

例）プラナリアやイモリ、トカゲなどは有名



➤再生とは

生物学における再生とは、損傷を受けた組織や器官、四肢などが復元する現象（wikipediaより）
本来は分化している細胞が脱分化（先祖返り）してから再度、損傷を受けた組織の細胞に分化していく。

再生能力の高いイモリの遺伝子数は人の遺伝子数より多い。
進化の過程でヒトが失った（不要となった）機能がそこにはある・・・

一般的な再生医療のイメージ

働きが悪くなった（働かなくなった）臓器や組織等に対して、新しい臓器や組織等を作製して置き換える。

（本人由来のものと、他人由来のものがある）

例1）傷んできた関節の軟骨・骨を新しいものに置き換える

例2）機能が悪くなってきた心臓を、新しく作った心臓と置き換える

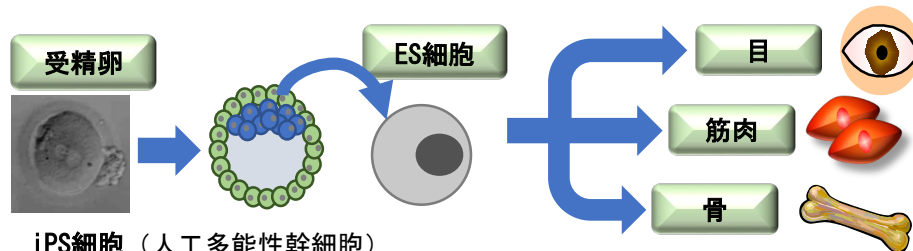
⇒こんなイメージ？ それ以外の再生医療は・・・

再生医療とは、病気やけがで機能不全になった臓器、組織等を再生させる医療であるが、創薬のための再生医療技術の応用も期待されている

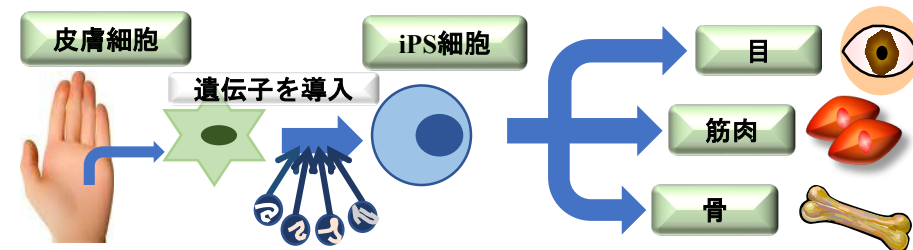
再生医療

【医療】

- ES細胞（胚性幹細胞）
受精卵から作製された細胞。倫理面の課題あり。



- iPS細胞（人工多能性幹細胞）
体の細胞に特定の遺伝子を導入し作製された細胞。がん化等の課題あり。



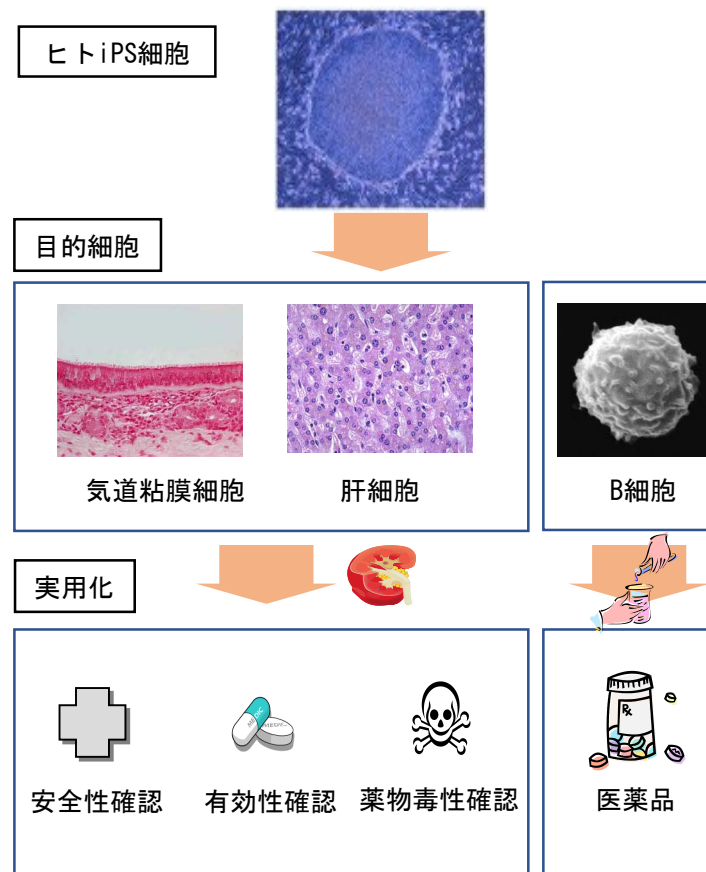
- 体性幹細胞
生物が元々持つ細胞。限定された種類の細胞にしか分化しない。



- 体性幹細胞以外の体細胞
生物が元々持つ細胞。特定の種類の細胞に分化したものであり、それ以外の細胞にならない。

【創薬】

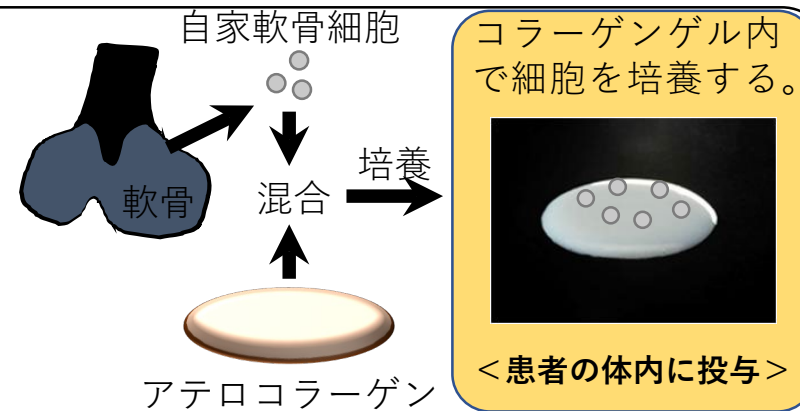
- ヒトiPS細胞等から目的とするヒトの細胞を作製し、薬物の安全性等を確認。



【細胞を使って身体の構造等の再建等を行う例：

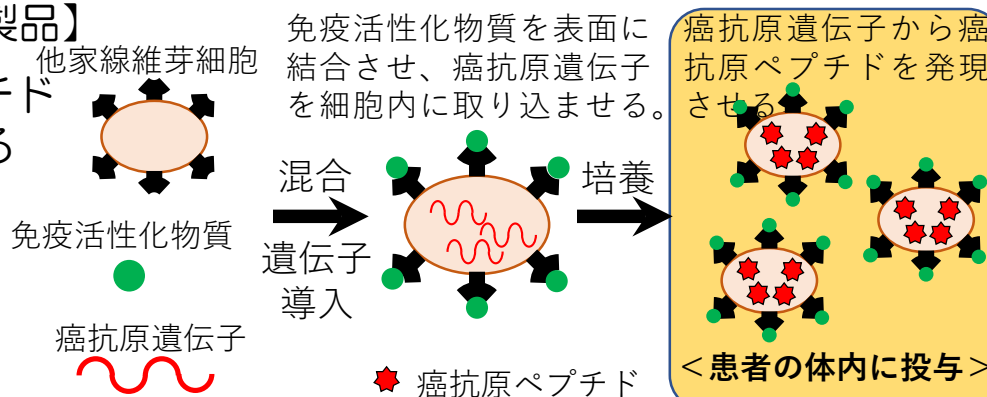
軟骨再生製品】

自家軟骨細胞を生体外のコラーゲンゲル中にて、培養した物。外傷等により欠損した軟骨部位に移植し、軟骨細胞ーコラーゲンゲル等からなる軟骨様組織により、軟骨機能の修復が期待される。



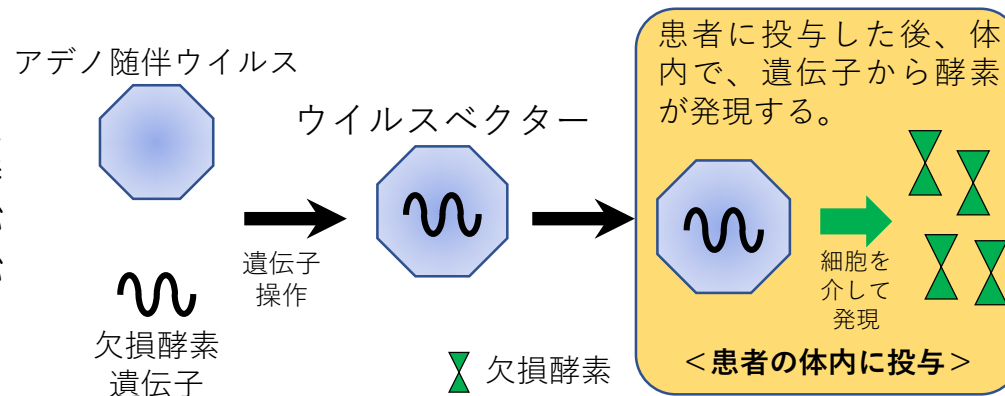
【細胞を使って疾病の治療を行う例：癌免疫製品】

免疫細胞を活性化する物質及び癌抗原ペプチドを含む細胞により、癌免疫機能を増強させることで、癌治療効果が期待される。
※この製品では遺伝子導入も行っている。



【遺伝子治療の例：遺伝性疾患治療製品】

ウイルスに先天的に欠損した遺伝子（例えば、リポ蛋白リパーゼ遺伝子など）を保持させ、患者に投与した後に、導入遺伝子が発現することで、遺伝性疾患の治療効果が期待される。



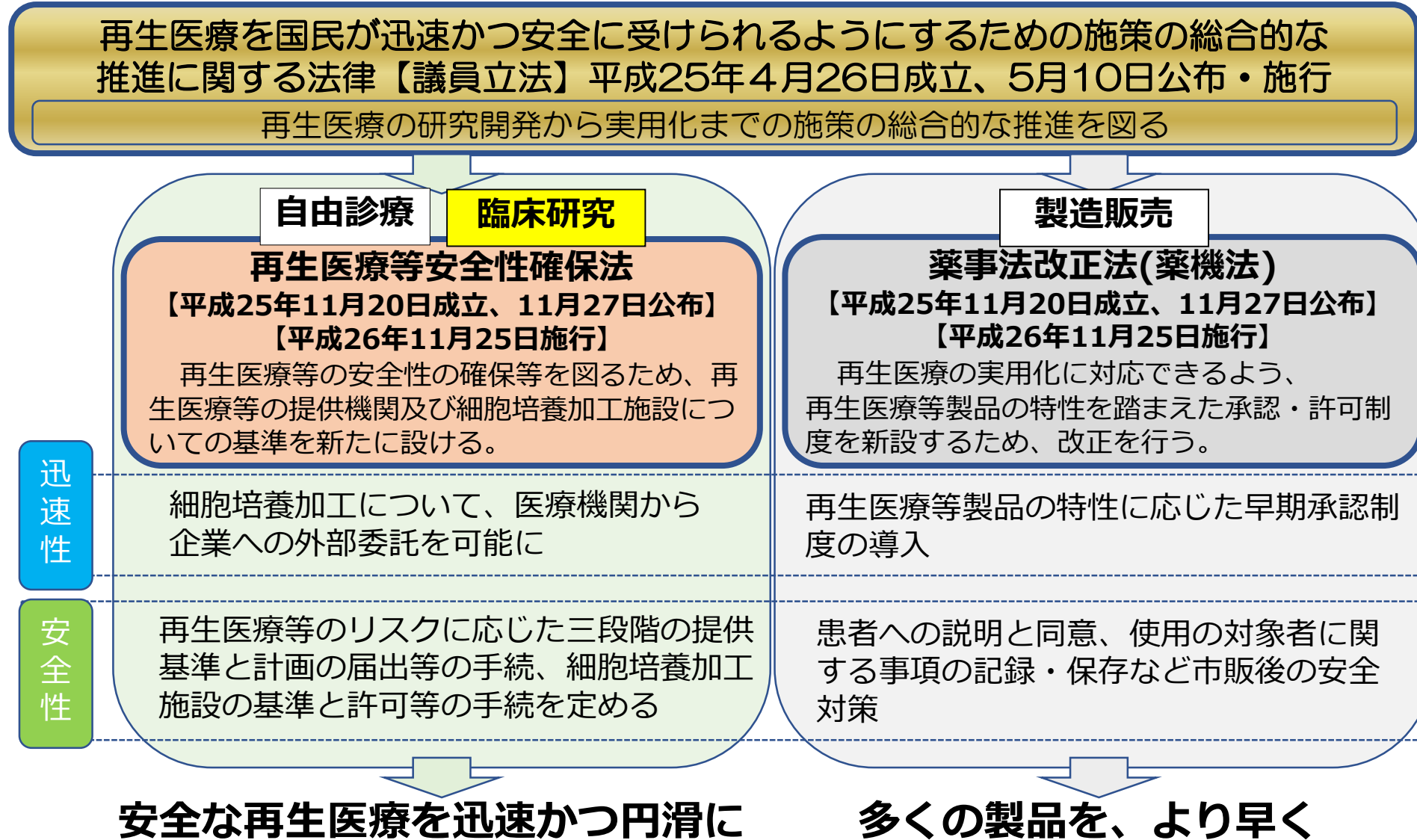
再生医療を医療として実施するには

- | | | |
|------------------|---|-----------------|
| 1) 自由診療（治療）として実施 | } | 再生医療等
安全性確保法 |
| 2) 研究として実施 | | |
| 3) 治験として実施 | } | 薬機法 |
| 4) 再生医療等製品として提供 | | |

2つの法律（規則）があり、どちらかの法律の下で行う必要があります。

再生医療の実用化を促進するために新しい法律が定められたり、 既にある法律も改正された

山中先生がノーベル生理学・医学賞を受賞したのは 平成24年（2012年）



これらの法律の意義は？

これらの法律が施行される前は？

なぜこれらの法律が出来たのか？

法律のメリット・デメリットは？

これらの法律が施行される前は

再生医療を医療として実施するには、

- 1) 自由診療として実施 ⇒ 規制なし
- 2) 研究として実施
⇒ ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針
- 3) 治験として製品開発 ⇒ 薬事法下で実施
- 4) 医薬品もしくは医療機器として提供

なぜこれらの法律が出来たのか

- 1) 山中先生がiPS細胞でノーベル生理学・医学賞を受賞(2012)された。
⇒ 再生医療を日本の産業などにすることも含めて、
国として再生医療を支援（推進）する気運が高まってきた。
- 2) 実際に再生医療を実施する医療機関が増えてきた。
⇒ 医療の現場で再生医療が研究や治療（一部は自由診療）として
実施される機会が増えてきた。
- 3) 不適切な再生医療により死亡事故が発生した。
⇒ 指針だけでは対応が不十分と考えられ、法規制が必要と考えられた。
- 4) 薬事法においては細胞を加工した製品についての定義がなかった。
⇒ 医薬品か医療機器として分類されていた。

イノベーション

（新たな考えや技術などを取り入れて新たな価値を生み出し、社会に変革を起こす） のためにはルール（規制）が必要

innovation = invention + commercialization

イノベーション = 発明 + 商用化（新しい活用）

某クリニックでの死亡事故

平成22年X月 ○○国の会社の協力病院として開院

平成22年Y月 幹細胞治療剤の投与を受けた男性が肺動脈塞栓症（血栓）で死亡
（自身の幹細胞△億個を下肢に点滴静注⇒心停止）
幹細胞投与との因果関係は不明

平成23年Z月 閉院

こういったことが繰り返されてしまうと、再生医療に対し
負のイメージ（安全でない医療、危ない医療）が先行してしまい、
本当に必要なはずの再生医療を推進できなくなる。

法律のメリット・デメリット

メリット

- 再生医療を実施する際に、どのように実施すれば良いか、手順や責任が明確になる。
- 罰則規定も含め、不適切な医療を制限できる。
- 再生医療を受ける者の安全性を確保しやすくなる。

デメリット

- 手続き（再生医療等を提供する）のための作業が多くなる。
- 再生医療を提供するためのコストが以前よりかかる。

法律（法令）は改正可能

法律は時代に即したものに変わることができる・変える必要がある。

再生医療等の安全性の確保法に関する法律（再生医療等安全性確保法）

附 則 抄

（検討）

第二条 政府は、**この法律の施行後五年以内**に、この法律の施行の状況、再生医療等を取り巻く状況の変化等を勘案し、この法律の規定に検討を加え、必要があると認めるときは、その結果に基づいて所要の措置を講ずるものとする。

医薬品医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（薬機法）

附 則 （平成二五年十一月二七日法律第八四号） 抄

（検討）

第六十六条 政府は、**この法律の施行後五年を目途**として、この法律による改正後の規定の実施状況を勘案し、必要があると認めるときは、当該規定について検討を加え、その結果に基づいて必要な措置を講ずるものとする。

5年以内が目途（5年以上経過してから・・・）

再生医療等安全性確保法： 改正の議論（以下のような点について）が終わり・・・

➤ 再生医療等の範囲？

⇒ 薬機法と投与されるものの範囲（適用範囲）が異なる（後述）

➤ 科学的妥当性について??

⇒ 研究と治療の両方が含まれてるが・・・

妥当性として有効性の判断をする際、治療はどうするのか。

➤ 定期報告の内容???

⇒ 妥当性とも関係 もし有効性を考えるのであれば、治療でも定期報告の機会に有効性の評価項目も含めるべきでは？

薬機法：再生医療等以外で改正されたものが複数あり

⇒ 「先駆け審査指定制度」や「条件付き早期承認制度」の法制化

添付文書の電子的方法による提供

その他、薬剤師・薬局の在り方の見直しや虚偽・誇大広告に対する課徴金制度等

再生医療等、どの法律下で実施するかで変わる??

再生医療等安全性確保法

「再生医療等技術」とは、次に掲げる医療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、細胞加工物を用いるもの

- 一 人の身体の構造又は機能の再建、修復又は形成
- 二 人の疾病の治療又は予防

「細胞加工物」とは、人又は動物の細胞に培養その他の加工を施したものをいい、「特定細胞加工物」とは、再生医療等に用いられる細胞加工物のうち再生医療等製品であるものの以外のものをいう。

⇒再生医療等安全性確保法では、*in-vivo*遺伝子治療はウイルスベクターを直接投与するので、細胞加工物を投与しない。したがって再生医療等安全性確保法が適用されない。（*ex-vivo*遺伝子治療は適用範囲内）

*in-vivo*遺伝子治療は「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」に従って実施。（臨床研究以外（治療）は何に従うの??）

薬機法

この法律で「再生医療等製品」とは、次に掲げる物（医薬部外品及び化粧品を除く。）であつて、政令で定めるものをいう。

- 一 次に掲げる医療又は獣医療に使用されることが目的とされている物のうち、人又は動物の細胞に培養その他の加工を施したもの
 - イ 人又は動物の身体の構造又は機能の再建、修復又は形成
 - ロ 人又は動物の疾病の治療又は予防
- 二 人又は動物の疾病の治療に使用されることが目的とされている物のうち、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含むもの

⇒薬機法下では*in-vivo*遺伝子治療で用いられるウイルスベクターが二として再生医療等製品として定義されている。

再生医療等製品の定義

薬機法 第二条第九項

この法律で「再生医療等製品」とは、次に掲げる物（医薬部外品及び化粧品を除く。）であつて、政令で定めるものをいう。

- 一 次に掲げる医療又は獣医療に使用されることが目的とされている物のうち、人又は動物の細胞に培養その他の加工を施したもの
- イ 人又は動物の身体の構造又は機能の再建、修復又は形成
- ロ 人又は動物の疾病の治療又は予防
- 二 人又は動物の疾病の**治療に使用されることが目的とされている物のうち、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含むさせたもの**

予防は定義に含まれない。
⇒ワクチンは医薬品
アストラゼネカのCOVID-19のワクチンはウイルスベクターを用いているが、遺伝子治療用製品にはならない。

薬機法施行令 第一条の二

法第二条第九項 の再生医療等製品は、別表第二のとおりとする。

別表第二 （第一条の二関係）

ヒト細胞加工製品

- 一 ヒト体細胞加工製品（次号及び第四号に掲げる物を除く。）
- 二 ヒト体性幹細胞加工製品（第四号に掲げる物を除く。）
- 三 ヒト胚性幹細胞加工製品
- 四 ヒト人工多能性幹細胞加工製品

動物細胞加工製品

- 一 動物体細胞加工製品（次号及び第四号に掲げる物を除く。）
- 二 動物体性幹細胞加工製品（第四号に掲げる物を除く。）
- 三 動物胚性幹細胞加工製品
- 四 動物人工多能性幹細胞加工製品

遺伝子治療用製品

- 一 プラスミドベクター製品
- 二 **ウイルスベクター製品**
- 三 遺伝子発現治療製品（前二号に掲げる物を除く。）

再生医療等安全性確保法と薬機法は法律として規制しようとしている事項が少し異なっている。

現在、承認されている再生医療等製品

これまでに承認された再生医療等製品 21品目 しかし・・・

➤ ヒト細胞加工品

- 平成19年 ジェイス（自己培養表皮シート）＊1 重症熱傷、先天性色素母斑、栄養障害型/接合部型表皮水疱症
- 平成24年 ジャック（自己軟骨組織）＊1 膝関節の外傷性軟骨欠損症/離断性骨軟骨炎
- 平成27年 テムセルHS注（同種骨髄由来間葉系幹細胞）造血幹細胞移植術後の急性GVHD
- 平成27年 ハートシート（自己骨格筋由来細胞シート）★ 虚血性心疾患による重症心不全
- 平成30年 ステミラック（自己骨髄由来間葉系幹細胞）★ 脊髄損傷に伴う神経症候/機能障害
- 平成31年 キムリア（CAR-T細胞：自己遺伝子改変T細胞）B細胞急性リンパ芽球性白血病/リンパ腫
- 令和2年 ネピック（自己角膜上皮細胞シート） 角膜上皮幹細胞疲弊症
- 令和3年 イエスカルタ点滴静注（CAR-T細胞：自己遺伝子改変T細胞） 再発又は難治性の大細胞B型リンパ腫
- 令和3年 ブレヤンジ静注（CAR-T細胞：自己遺伝子改変T細胞）再発又は難治性の大細胞B型リンパ腫又は難治性濾胞性リンパ腫
- 令和3年 オキュラル（自己口腔粘膜上皮シート） 角膜上皮幹細胞疲弊症
- 令和3年 アロフィセル（同種皮下脂肪組織由来間葉系幹細胞） 非活動性又は軽度の活動期クローン病患者における複雑痔瘻の治療
- 令和4年 サクラシー（自己口腔粘膜上皮シート） 角膜上皮幹細胞疲弊症における眼表面の癒着軽減
- 令和4年 アベクマ（CAR-T細胞：自己遺伝子改変T細胞） 再発又は難治性の多発性骨髄腫
- 令和4年 カービクティ（CAR-T細胞：自己遺伝子改変T細胞） 再発又は難治性の多発性骨髄腫
- 令和5年 ジャスミン（自己培養表皮シート） 非外科的治療が無効又は適応とならない白斑
- 令和5年 ビズノバ（同種培養角膜内皮細胞） 水疱性角膜症
- 令和6年 アクーゴ（同種骨髄由来間葉系幹細胞）★ 外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺

➤ 遺伝子治療用製品

- 平成31年 コラテジェン（プラスミドベクター）★ 慢性動脈閉塞症における潰瘍
- 令和2年 ゾルゲンスマ（アデノ随伴ウイルスベクター） 脊髓性筋萎縮症
- 令和3年 デリダクト（遺伝子組換え単純ヘルペスウイルスⅠ型）★ 悪性神経膠腫
- 令和5年 ルクスターナ（アデノ随伴ウイルスベクター） 遺伝子性網膜ジストロフィー

- 他家製品が増えていくであろう
（製造コスト・流通の問題、遺伝子改変技術の発展）
- 遺伝子治療（in-vivoもex-vivo）が増えていくであろう
- 遺伝子改変技術を含んだ製品も増えていくであろう

日本における臨床研究の進め方（考え方）

➤ そもそも再生医療等を患者に提供するには、

- | | | |
|--------------|---|-------------|
| ① 臨床研究（臨床試験） | } | 再生医療等安全性確保法 |
| ② 治療（保険適用外） | | |
| ③ 治験（臨床試験） | } | 薬機法 |
| ④ 治療（保険適用内） | | |

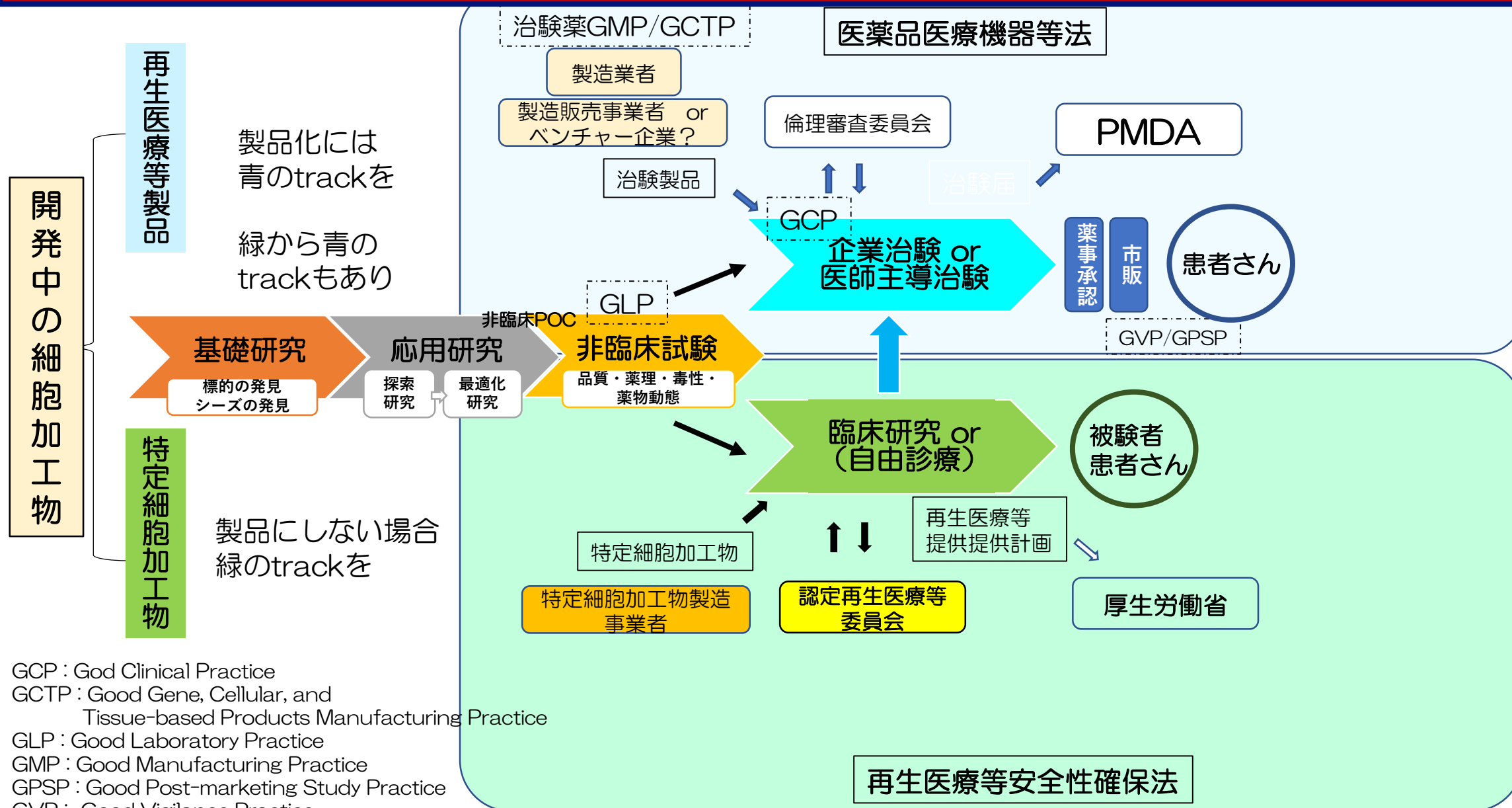
の4つの選択肢がある。

➤ このうち、②で実施する際に問題となる（なっている）のは有効性や安全性が確立していない再生医療等を、治療（自費診療）として提供してよいのかという点がある。

（有効性と安全性が確立（検証）されている治療の場合、用いる細胞加工物は薬機法で承認されている、もしくは臨床研究で一定程度の有効性と安全性の推定などがされているもののはず）
 例外としては海外で有効性や安全性が検証されていて、日本ではこれらがまだ検証されていないもの。

➤ つまり、新規（有効性や安全性について確認されていないもの）の再生医療等の提供を検討している場合、
 ① か ③ で始めることが普通。

再生医療等製品と特定細胞加工物の開発及び規制の違い等



日本における臨床研究の進め方（考え方）

➤ ① か ③の どちらで始めるのが良いのか。

	メリット	デメリット	規制
臨床研究で開始	• PMDAへの相談が必須でない（研究の時点では） • 研究を実施するための費用が治験費用より少なくて済む可能性がある • 臨床研究の結果を用いて、次のステップに進むべきかの判断が可能（開発費の取得も含めて）	• 承認申請までのステップが長くなり、トータルでの開発費用・時間がかかる。	再生医療等安全性確保法
治験で開始	• 臨床研究にかかる時間と費用を省略できる ⇒開発がより早く進む • 結果が早くみえてくる	• 治験からいきなりスタートするので治験費用を確保する必要がある • 有効性や安全性が良く分からない状態でスタートすることになる • PMDAとの対面助言等を終えていないと試験は開始できない。	薬機法

実例) A大学 : 角膜疾患 臨床研究 ⇒ 治験
 B大学 : 循環器疾患 臨床研究+治験（ほぼ同時進行型）
 C大学 : パーキンソン病 治験

上記のメリット、デメリットを勘案して開発計画を立案すると良い。

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

産情発 0614 第 7 号
令和 6 年 6 月 14 日

各
都道府県知事
保健所設置市長
特別区長

殿

厚生労働省大臣官房
医薬産業振興・医療情報審議官
(公 印 省 略)

「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」
の公布について

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（令和 6 年法律第 51 号。以下「改正法」という。）については、本日公布され、順次施行することとされたところです。

改正法の概要は別添 1 のとおりですので、御了知の上、関係団体、関係機関等に周知願います。（改正の趣旨、内容等の詳細については必要に応じて別添 2 又は別添 3 を御参照ください。）

なお、今後、改正法の施行に必要な政省令及び通知の改正を行うこととしており、その内容については別途通知する予定です。

別添 1 改正法の概要

別添 2 改正法の官報

別添 3 改正法の趣旨及び主な内容

改正法の概要

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案の概要

第93回再生医療等評価部会
 令和6年3月28日

資料1 - 1

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

公布の日から起算して1年以内において政令で定める日

再生医療等の安全性の確保等に関する法律（安確法）

1. 遺伝子治療を規制の対象に追加
2. 再生医療等の提供基盤強化（認定再生医療等委員会の公正な審査の確保）

（臨床研究法）

1. 医薬品等の適応外使用にかかる 特定臨床研究等の範囲の見直し
2. 通常の医療での研究でも、研究対象者に著しい負担を与える検査等を行う場合は、臨床研究法の対象となる旨を明確化

1. 遺伝子治療を規制の対象に追加
2. 再生医療等の提供基盤強化（認定再生医療等委員会の公正な審査の確保）

再生医療・遺伝子治療等に関する規制の体系図

		対象技術	研究	診療
再生医療等 ※「等」は細胞治療		細胞 例：iPS細胞を心筋細胞に分化させ、人に移植	再生医療等 安全性確保法	
		細胞・遺伝子 (ex vivo遺伝子治療) 例：体外でリンパ球（細胞）に遺伝子改変を施し、人に移植		
	遺伝子治療等 ※「等」は予防	遺伝子 (in vivo遺伝子治療) 例：ウイルスによって遺伝子を体内に導入し、タンパク質を発現させる	遺伝子治療等 臨床研究指針 ・ 臨床研究法	規制なし

※ 遺伝子組換え生物等を使用する場合、生物多様性への対応の観点から、カルタヘナ法が適用される。

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

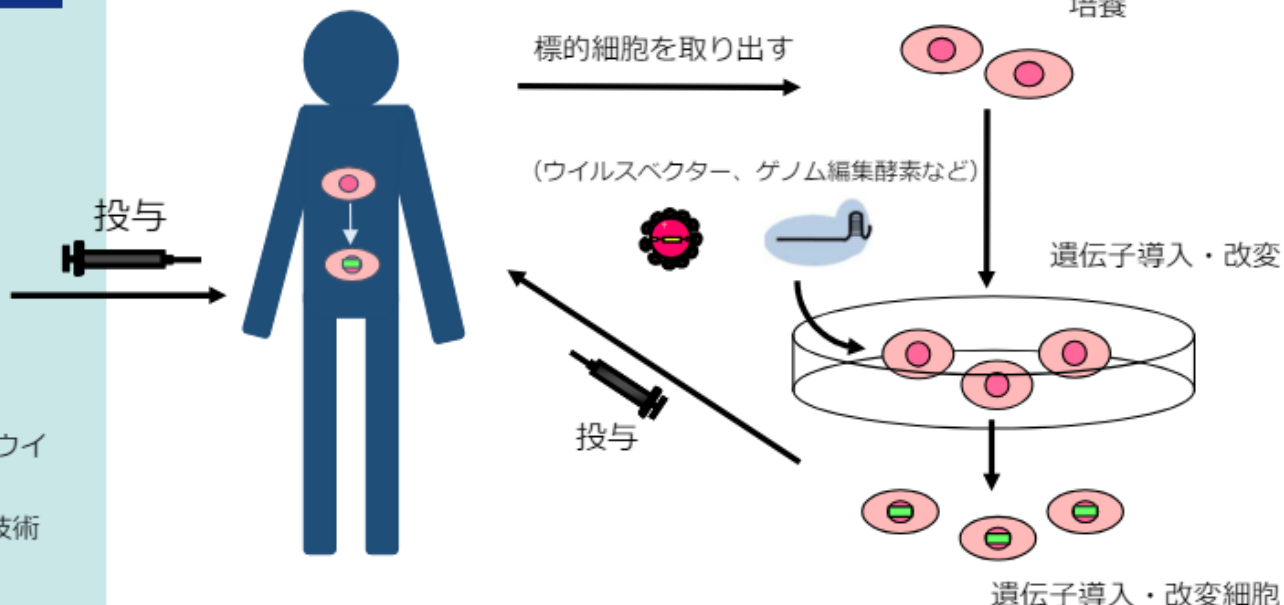
細胞加工物を用いない遺伝子治療
(in vivo遺伝子治療)
⇒ 核酸等を用いる医療技術を用いて行われる医療

■ 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

※ 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



(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

ひと、くらし、みらいのために



厚生労働省
Ministry of Health, Labour and Welfare

(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。）

(参考) 「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

- 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



(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



(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)

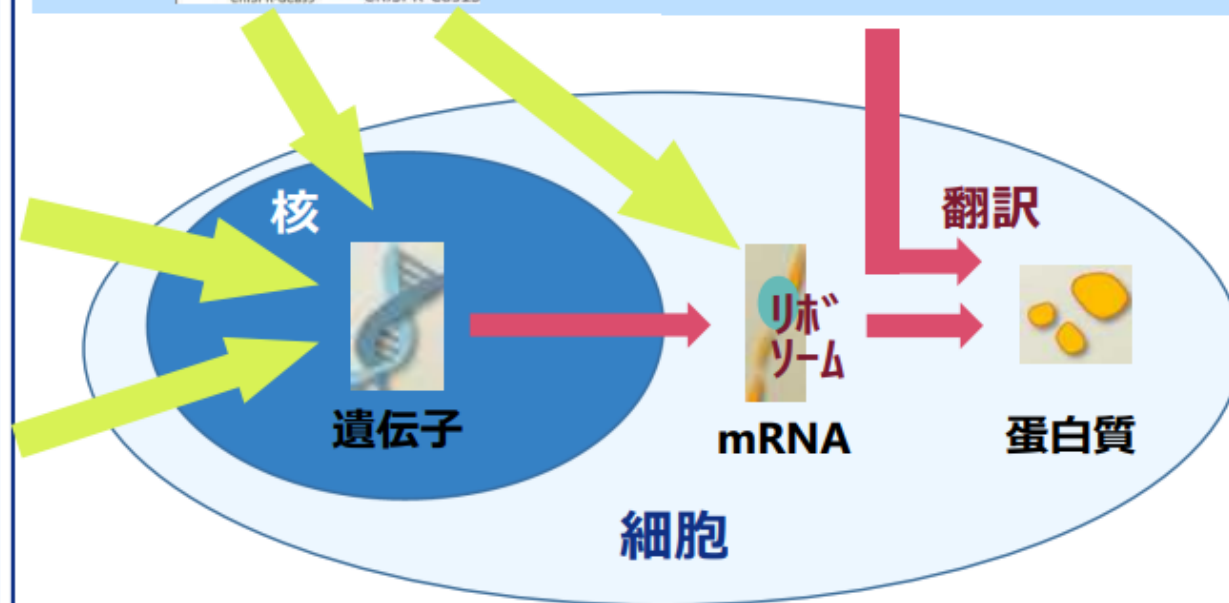
- ・CRISPR-dCas9システムに要する酵素を用いて、**エピゲノム編集(※2)を行う**
- ・CRISPR-Cas13システムに要する酵素を用いて、**mRNA編集を行う**
- (※2)遺伝子は改変せずに遺伝子発現に影響を与える技術



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。

(1)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

- 今般の法改正により、in vivo遺伝子治療が再生医療等安全性確保法等に位置づけられたことを踏まえ、適切な再生医療等の提供がなされるよう、認定再生医療等委員会による審査体制を整理する必要がある。
- 現行の再生医療等安全性確保法や関連通知において、ex vivo遺伝子治療を行おうとする場合には、**「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」に定める審査体制と同等の体制を備える認定再生医療等委員会において審査を受けること**を求めている。

(参考) 遺伝子治療等臨床研究に関する指針（平成31年厚生労働省告示第48号。令和5年一部改正。）

2 構成及び会議の成立要件等

- (1) 倫理審査委員会の委員の構成は、遺伝子治療等臨床研究の調査及び審査を適切に実施できるよう、次に掲げる全ての要件に適合するものでなければならず、また、イからハまでに掲げる者は、それぞれ他の要件を兼ねることはできない。会議の成立についても、同様とする。

イ 分子生物学、細胞生物学、遺伝学、臨床薬理学、病理学等の専門家及び対象疾患に係る臨床医が含まれていること。

ロ 法律に関する専門家及び生命倫理に関する意見を述べるにふさわしい識見を有する者が含まれていること。

ハ 遺伝子治療等臨床研究に関する知識を十分に有しているとは限らない被験者の視点から、客観的な意見を述べることができる者 が含まれていること。

ニ 倫理審査委員会の設置者の所属機関に所属しない者が複数含まれていること。

ホ 男女両性で構成されていること。

ヘ 5名以上であること。

(1)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について

- 現在、再生医療等安全性確保法等に基づき特定細胞加工物を製造する施設（細胞培養加工施設）については、同法において遵守すべき構造設備基準等が定められ、細胞培養加工施設毎に許可を受ける又は届出を行うこと（※）が義務づけられている。

（※）細胞培養加工施設が以下に該当する場合には、許可の取得ではなく届出を行うこととされている。

- ・ 病院又は診療所に設置される場合
- ・ 医薬品医療機器等法の規定による医薬品又は再生医療等製品の製造業の許可を受けた施設である場合
- ・ 移植に用いる造血幹細胞の適切な提供の推進に関する法律の規定による臍帯血供給事業の許可を受けた者が同事業の用に供する施設である場合

- 今般の法改正により、核酸等を製造する施設についても「特定細胞加工物等製造施設」として包含して同様の義務が課され、**許可の取得ではなく届出を行うこととなる範囲の詳細については、厚生労働省令で定める**こととなっている。

- 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CPC、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、**現行の要件に加えて、追加的に求める要件はない**ことは、とりまとめにおいて確認されている。

（改正後）再生医療等安全性確保法

（特定細胞加工物等の製造の許可）

第三十五条 特定細胞加工物等の製造をしようとする者(第四十条第一項の規定に該当する者を除く。)は、厚生労働省令で定めるところにより、特定細胞加工物等製造施設ごとに、厚生労働大臣の許可を受けなければならない。

2～5 （略）

（特定細胞加工物等の製造の届出）

第四十条 特定細胞加工物等製造施設(病院若しくは診療所に設置されるもの又は医薬品医療機器等法第十三条第一項若しくは第二十三条の二十二第一項の許可を受けた製造所に該当するもの若しくは移植に用いる造血幹細胞の適切な提供の推進に関する法律第三十条第一項の臍帯血供給事業の許可を受けた者が臍帯血供給事業の用に供するもののうち厚生労働省令で定めるものに限る。以下この条において同じ。)において特定細胞加工物等の製造をしようとする者は、厚生労働省令で定めるところにより、特定細胞加工物等製造施設ごとに、次に掲げる事項を厚生労働大臣に届け出なければならない。

一～四 （略）

2・3 （略）

(1)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

- 現行の再生医療等安全性確保法等では、適応外使用は一律に法の適用対象となり、実施基準の遵守や実施計画の提出等が義務付けられている。
- 今般の改正により、再生医療等製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法の対象から除外することとされ、その具体的な範囲は省令で規定することとされた。

(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。）

(1)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

対応の方向性

- 資料 1 – 2（令和 6 年度厚生労働科学特別研究班報告）に示されているように、現段階において、再生医療等製品の適応外使用において、承認内の用法・用量等と同程度に有効かつ安全に提供可能な治療としてエビデンスが確立されているものはない。
- これを踏まえ、リスクの低い再生医療等製品等の適応外使用に対する法の適用除外範囲について、現段階では省令に規定を置かないこととし、今後の研究開発の状況に応じ、将来的に適用除外基準を本部会において議論を行うこととしてはどうか。

(特定) 細胞加工物と並び「(特定) 核酸等」が定義される
(安確法 第二条 第五項)

「核酸等」とは、人の体内で当該人の細胞に導入される核酸並びに核酸及びその他の遺伝子の発現と密接な関係を有する物を加工するための機能を有する物（これらを含む。）をいい、「特定核酸等」とは、再生医療等に用いられる核酸等のうち医薬品及び再生医療等製品であるものの以外のものをいうものとする。

1. 遺伝子治療を規制の対象に追加
2. 再生医療等の提供基盤強化(認定再生医療等委員会の公正な審査の確保)

（再生医療等委員会の認定）

第二十六条 （略）再生医療等委員会を設置する者（略）は、その設置する再生医療等委員会が第四項各号に掲げる要件（略）に適合していることについて、厚生労働大臣の認定を受けなければならない。



欠格要件がなかったので新設

厚生労働大臣は、再生医療等委員会の認定の申請があった場合において、申請者が、拘禁刑以上の刑に処せられ、その執行を終わり、又は執行を受けることがなくなるまでの者であるとき等に該当するときは、当該認定をしてはならないものとする。

（報告の徴収）

第三十一条 厚生労働大臣は、認定再生医療等委員会の審査等業務の適切な実施を確保するため必要があると認めるときは、認定委員会設置者に対し、当該審査等業務の実施状況について報告を求めることができる。



立入検査を可能にする規定を新設

- 厚生労働大臣は、認定再生医療等委員会の審査等業務の適切な実施を確保するため必要があると認めるときは、認定再生医療等委員会の設置者に対し、必要な報告をさせ、又は当該職員に、認定再生医療等委員会の設置者の事務所に立ち入り、その帳簿、書類その他の物件を検査させ、若しくは関係者に質問させることができるものとする。
- 報告をせず、若しくは虚偽の報告をし、立入検査を拒み、妨げ、若しくは忌避し、若しくは質問に対し、正当な理由なしに答弁せず、若しくは虚偽の答弁をしたときは、認定を取り消すことができるものとする。

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

パブリックコメント

年内を目途に公布

周知

施行（※令和7年6月15日までの日で政令で定める日）

今この辺り

令和7年5月31日となる

ご清聴ありがとうございました

