

第74回再生医療等評価部会

令和4年3月10日

資料2

再生医療等安全性確保法の5年後見直しに係る検討

*in vivo*遺伝子治療に対する規制の検討（法に含む関連技術の範囲、疾病等報告）、
法に基づく手続の緩和・改善（手続の実施主体、先進医療）

厚生労働省 医政局 研究開発振興課
再生医療等研究推進室

再生医療等安全性確保法施行5年後の見直しの検討に係る中間整理の概要

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

- in vivo遺伝子治療について、何らかの法的枠組みを設ける方向で、具体的内容を速やかに検討すべき。
- 対象とする技術の範囲、当該医療の提供に当たって求める手続、使用するウイルスベクター等の安全性確保対策などについて議論を行うべき。

(2) 再生医療等のリスク分類・法の適用除外範囲の見直し

- 薬事承認された医療機器を用いて製造される特定細胞加工物を用いた再生医療等技術について、手続を緩和することを検討すべき。
- 他家細胞を用いた医療技術を含め、その他の再生医療等技術のリスク分類や、法の適用除外範囲についても見直しを検討すべき。
- 保険収載された再生医療等技術について、手続を緩和することを検討すべき。

2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

(1) 再生医療等の有効性の確認

- 提供された再生医療等の科学的妥当性（有効性を含む。）に係るデータを収集し、一定程度確認を可能とする方策について、検討すべき。
- 具体的には、評価方法を提供計画の記載事項とすること、定期報告に記載する妥当性の評価についての記載整備、公表等について検討すべき。

(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

- 細胞バンク等での細胞の保管の方法等について、一定の基準等を設定することが可能か検討すべき。
- 再生医療等を行う医師・歯科医師の専門的知識について、学会の認定医等の資格を有することをもって担保すべき。
- 一度再生医療等委員会で不適とされたにも関わらず、提供計画を是正せずに他の委員会を探す事案について、対策の必要性を検討すべき。

(3) 認定再生医療等委員会の質の担保

- 認定再生医療等委員会が適切に審査等業務を行うことができるよう、一定のガイダンスを示すことを検討すべき。
- 認定再生医療等委員会に対する定期報告や立入検査、欠格要件等の規定の必要性を検討すべき。

(4) 細胞培養加工施設 (CPC) の質の担保

- 特定細胞加工物のリスクに応じてCPCの構造基準を分けることや、低リスクのものは届出を不要とすることが妥当か検討すべき。
- 届出制のCPCの構造基準の遵守状況や、遵守事項の遵守状況について、まずは実態の把握等を行うことを検討すべき。

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

- 研究特有の手続については、手続の主体を医療機関の管理者ではなく、実施責任者とすることを検討すべき。
- 先進医療として行う場合の審査過程の簡略化等について、先進医療会議等において検討すべき。

(2) 再生医療等の拠点機関の設定

(3) 細胞の安定的な確保

- 細胞の安定的な確保に資する観点から、細胞バンク等において必要となる措置を明確化することを検討すべき。

in vivo 遺伝子治療に対する規制の検討：法の対象とする範囲 法に含む関連技術の範囲について

法見直しに係るワーキンググループとりまとめ

- 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、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こととされた。
- また、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こととされた。

日本遺伝子細胞治療学会のご意見

- 科学的エビデンスの乏しいままに、例えばがん治療やその他の難病治療を謳ってmRNAを人に投与する自由診療を許容しないようにすべきである。
- mRNA全長を細胞内に導入することをして、「遺伝子治療等」技術との近似性が低いとする説明は根拠が乏しく、mRNAを遺伝子治療用製品やワクチンに含めている薬機法とも整合しない。

日本ゲノム編集学会のご意見

- ウイルスベクターを使用しないエピゲノム編集技術に関しては、どこまでが本法の適応内かは薬機法も含めた今後の議論が重要だろう。
- 特にゲノム編集技術を応用した技術で遺伝子改変リスクを伴う場合においては、安全性の観点から枠組を構築することは理解できる。一方、理論上はDNA切断を伴わないと考えられる技術が、将来的にヒトにおいてDNA切断を伴わないことが実証された場合には、範囲外にすべきである。

in vivo 遺伝子治療に対する規制の検討：法の対象とする範囲 法に含む関連技術の範囲について

現状

- ワーキンググループでは、遺伝子治療等（遺伝子の導入又は改変を行う技術）の関連技術を「最終的にタンパク質等の発現もしくは発現制御を行うこと」を目的としている技術と定義して、技術的・リスク的な観点から関連技術を整理した。
- その中で、「ゲノム編集技術を応用した技術」は、遺伝子治療等技術との近似性が高く、これに準じた同等の「未知のリスクを有する技術」に該当するが、それ以外の関連技術については、技術毎に想定されるリスクが様々で、かつ技術群として明確な切り分けが困難であるとされた。
- 一方で、ワーキンググループ以降も研究開発が進み、新たな技術（※）が出現している。

（※）例：げっ歯類においてmRNAを*in vivo*投与し、CAR-T細胞を誘導 *Science* 375,91-96 (2022)

検討の方向性

- 「関連技術」については、「遺伝子治療等」技術と技術やリスクが近似するものについては迅速に対応できる法体系とすることとし、「ゲノム編集技術を応用した技術」は法の対象範囲とする。
- 一方で、「mRNAを利用する技術」については、昨今の技術進歩も踏まえ、法の対象範囲とするかどうか、今後ワーキンググループ等で検討することとしてはどうか。

(参考) 遺伝子治療および関連技術の分類




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*)

関連技術の分類	技術の種類			
	ゲノム編集技術 を応用した 技術(※)	mRNAに直接 作用する技術	リボソーム に直接作用 する技術	その他
ウイルスベクター・ プラスミド・遺伝子組み 換え細菌ベクター	すべて遺伝子導入技術に該当			
モダリティ (細胞 への導 入方 法)	mRNA		mRNAワク チン	
ゲノム編集関連タンパク 質 (Cas 9 タンパク +sgRNA複合体など)	ヒストン修飾 等	RNA編集		
mRNA以外の核酸		siRNA, miRNA, アンチ センス核酸		デコイ核酸
その他(今後実用化が想 定されるモダリティを含 む)				ステロイド ホルモン

最終的に
タンパク質等の
・発現
・発現制御
のいずれかを行う技
術

表内に記載の関連技術は現状該当するものを例示している
(※) DNAの改変を行わず核内で目的塩基配列 (染色体DNA) に結合することで発現調節を行う技術

-  理論上 (現状) 考えられない
  今後技術として考えられるが、例示できるものとして現状考えられるものがない
 「遺伝子治療等」技術に近似性がある

in vivo遺伝子治療の規制構築に向けた研究班最終報告書、表1 (一部改変)

(参考) 遺伝子治療技術・関連技術のイメージ図



- 疾病等報告について



再生医療等安全性確保法における疾病等報告について

現状と課題

- 再生医療等安全性確保法において、再生医療等提供機関の管理者は、再生医療等提供計画に記載された再生医療等の提供に起因するものと疑われる疾病、障害若しくは死亡又は感染症の発生を知ったときは、再生医療等提供計画に記載された認定再生医療等委員会（法第17条）及び厚生労働大臣（法第18条）に報告しなければならない。
- 遺伝子治療等臨床研究に関する指針において、研究責任者は、遺伝子治療等臨床研究の実施において重篤な有害事象（※）の発生を知った場合には、速やかに、その旨を研究機関の長及び総括責任者に報告するとともに、倫理審査委員会に意見を求め、必要な措置を講じるとともに、速やかに厚生労働大臣に報告しなければならない（指針第2章第7節第1の2）。
（※）この指針において「有害事象」とは、実施された遺伝子治療等臨床研究との因果関係の有無を問わず、被験者に生じた全ての好ましくない若しくは意図しない傷病又はその徴候（臨床検査値の異常を含む。）をいう。
- 現状、遺伝子治療の提供後に発生した事象について、再生医療等安全性確保法と遺伝子治療等臨床研究に関する指針において、報告する事項が異なる。
- その他の法規では、例えば臨床研究法においては、再生医療等安全性確保法と同様に「特定臨床研究の実施に起因するものと疑われる疾病、障害若しくは死亡又は感染症」について報告を求めている。

検討の方向性

- 遺伝子治療を再生医療等安全確保法の枠組みに含めるにあたり、遺伝子治療の提供後に発生した事象の報告は、現行法や他法との整合性等を踏まえ、再生法で規定される疾病等とすることでどうか。

(参考) 関連法規における疾病等報告について

臨床研究法（疾病等報告）	薬機法（副作用等報告）	再生医療法（疾病等報告）	遺伝子治療等臨床研究指針（重篤な有害事象への対応）
<p>（認定臨床研究審査委員会への報告）</p> <p>第十三条 特定臨床研究実施者は、特定臨床研究の実施に起因するものと疑われる疾病、障害若しくは死亡又は感染症（次条及び第二十三条第一項において「疾病等」という。）の発生を知ったときは、厚生労働省令で定めるところにより、その旨を当該特定臨床研究の実施計画に記載されている認定臨床研究審査委員会に報告しなければならない。</p> <p>（厚生労働大臣への報告）</p> <p>第十四条 特定臨床研究実施者は、特定臨床研究の実施に起因するものと疑われる疾病等の発生に関する事項で厚生労働省令で定めるものを知ったときは、厚生労働省令で定めるところにより、その旨を厚生労働大臣に報告しなければならない。</p>	<p>（治験の取扱い）</p> <p>第八十条の二</p> <p>6 治験の依頼をした者又は自ら治験を実施した者は、当該治験の対象とされる薬物等その他の当該治験において用いる薬物等（以下「治験使用薬物等」という。）について、当該治験使用薬物等の副作用によるものと疑われる疾病、障害又は死亡の発生、当該治験使用薬物等の使用によるものと疑われる感染症の発生その他の治験使用薬物等の有効性及び安全性に関する事項で厚生労働省令で定めるものを知ったときは、その旨を厚生労働省令で定めるところにより厚生労働大臣に報告しなければならない。この場合において、厚生労働大臣は、当該報告に係る情報の整理又は当該報告に関する調査を行うものとする。</p>	<p>（認定再生医療等委員会への疾病等の報告）</p> <p>第十七条 再生医療等提供機関の管理者は、再生医療等提供計画に記載された再生医療等の提供に起因するものと疑われる疾病、障害若しくは死亡又は感染症の発生を知ったときは、厚生労働省令で定めるところにより、その旨を再生医療等提供計画に記載された認定再生医療等委員会に報告しなければならない。</p> <p>（厚生労働大臣への疾病等の報告）</p> <p>第十八条 再生医療等提供機関の管理者は、再生医療等提供計画に記載された再生医療等の提供に起因するものと疑われる疾病、障害若しくは死亡又は感染症の発生に関する事項で厚生労働省令で定めるものを知ったときは、厚生労働省令で定めるところにより、その旨を厚生労働大臣に報告しなければならない。</p>	<p>（重篤な有害事象への対応）</p> <p>第2章 第7節 第1 重篤な有害事象への対応</p> <p>2 研究責任者の対応</p> <p>(1) 研究責任者は、遺伝子治療等臨床研究の実施において重篤な有害事象の発生を知った場合には、速やかに、その旨を研究機関の長及び総括責任者に報告するとともに、(2)の規定による手順書等に従い、適切な対応を図らなければならない。また、当該遺伝子治療等臨床研究の実施に携わる研究者に対して、速やかに当該有害事象の発生に係る情報を共有しなければならない。この場合において、研究責任者は、当該有害事象について、倫理審査委員会に意見を求め、必要な措置を講じるとともに、速やかに厚生労働大臣に報告しなければならない。</p>

(参考) 再生医療等安全性確保法における疾病等報告について

再生医療等安全性確保法

(認定再生医療等委員会への疾病等の報告)

第十七条 再生医療等提供機関の管理者は、再生医療等提供計画に記載された再生医療等の提供に起因するものと疑われる疾病、障害若しくは死亡又は感染症の発生を知ったときは、厚生労働省令で定めるところにより、その旨を再生医療等提供計画に記載された認定再生医療等委員会に報告しなければならない。

(厚生労働大臣への疾病等の報告)

第十八条 再生医療等提供機関の管理者は、再生医療等提供計画に記載された再生医療等の提供に起因するものと疑われる疾病、障害若しくは死亡又は感染症の発生に関する事項で厚生労働省令で定めるものを知ったときは、厚生労働省令で定めるところにより、その旨を厚生労働大臣に報告しなければならない。

遺伝子治療等臨床研究に関する指針

第2章 第7節 第1 重篤な有害事象への対応

2 研究責任者の対応

- (1) 研究責任者は、遺伝子治療等臨床研究の実施において重篤な有害事象の発生を知った場合には、速やかに、その旨を研究機関の長及び総括責任者に報告するとともに、(2)の規定による手順書等に従い、適切な対応を図らなければならない。また、当該遺伝子治療等臨床研究の実施に携わる研究者に対して、速やかに当該有害事象の発生に係る情報を共有しなければならない。この場合において、研究責任者は、当該有害事象について、倫理審査委員会に意見を求め、必要な措置を講じるとともに、速やかに厚生労働大臣に報告しなければならない。

第1章 第1節 第2 用語の定義

23 この指針において「有害事象」とは、実施された遺伝子治療等臨床研究との因果関係の有無を問わず、被験者に生じた全ての好ましくない若しくは意図しない傷病又はその徴候（臨床検査値の異常を含む。）をいう。

24 この指針において「重篤な有害事象」とは、有害事象のうち、次のいずれかに該当するものをいう。

- (1) 死亡 (2) 死亡につながるおそれのある有害事象 (3) 治療のために医療機関への入院又は入院期間の延長が必要とされる有害事象 (4) 障害 (5) 障害につながるおそれのある有害事象 (6) (1)から(5)までの規定に準じて重篤である有害事象 (7) 後世代における先天性の疾病又は異常

(参考) 再生医療等安全性確保法における疾病等報告について

再生医療等安全性確保法 施行規則

(認定再生医療等委員会への疾病等の報告)

第三十五条 提供機関管理者は、再生医療等提供計画に記載された再生医療等の提供について、次に掲げる事項を知ったときは、それぞれ当該各号に定める期間内に当該事項を、再生医療等提供計画に記載された認定再生医療等委員会に報告しなければならない。

- 一 次に掲げる疾病等の発生のうち、当該再生医療等の提供によるものと疑われるもの又は当該再生医療等の提供によるものと疑われる感染症によるもの
七日
 - イ 死亡
 - ロ 死亡につながるおそれのある症例
 - 二 次に掲げる疾病等の発生のうち、当該再生医療等の提供によるものと疑われるもの又は当該再生医療等の提供によるものと疑われる感染症によるもの
十五日
 - イ 治療のために医療機関への入院又は入院期間の延長が必要とされる症例
 - ロ 障害
 - ハ 障害につながるおそれのある症例
 - ニ 重篤である症例
 - ホ 後世代における先天性の疾病又は異常
 - 三 再生医療等の提供によるものと疑われる又は当該再生医療等の提供によるものと疑われる感染症による疾病等の発生（前二号に掲げるものを除く。）再生医療等提供計画を厚生労働大臣に提出した日から起算して六十日ごとに当該期間満了後十日以内
- 2 前項（次条第二項において読み替えて準用する場合を含む。）の規定は、再生医療等を多施設共同研究として行う場合について準用する。この場合において、同項中「提供機関管理者」とあるのは、「代表管理者」と読み替えるものとする。

(厚生労働大臣への疾病等の報告)

第三十六条 法第十八条の厚生労働省令で定める事項は、前条第一項第一号及び第二号に掲げる事項とする。

- 2 前条（第一項第三号を除く。）の規定は、法第十八条の規定による厚生労働大臣への報告について準用する。この場合において、前条第一項中「再生医療等提供計画に記載された認定再生医療等委員会」とあるのは「厚生労働大臣」と読み替えるものとする。

再生医療等安全性確保法施行5年後の見直しの検討に係る中間整理の概要

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

- in vivo遺伝子治療について、何らかの法的枠組みを設ける方向で、具体的内容を速やかに検討すべき。
- 対象とする技術の範囲、当該医療の提供に当たって求める手続、使用するウイルスベクター等の安全性確保対策などについて議論を行うべき。

(2) 再生医療等のリスク分類・法の適用除外範囲の見直し

- 薬事承認された医療機器を用いて製造される特定細胞加工物を用いた再生医療等技術について、手続を緩和することを検討すべき。
- 他家細胞を用いた医療技術を含め、その他の再生医療等技術のリスク分類や、法の適用除外範囲についても見直しを検討すべき。
- 保険収載された再生医療等技術について、手続を緩和することを検討すべき。

2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

(1) 再生医療等の有効性の確認

- 提供された再生医療等の科学的妥当性（有効性を含む。）に係るデータを収集し、一定程度確認を可能とする方策について、検討すべき。
- 具体的には、評価方法を提供計画の記載事項とすること、定期報告に記載する妥当性の評価についての記載整備、公表等について検討すべき。

(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

- 細胞バンク等での細胞の保管の方法等について、一定の基準等を設定することが可能か検討すべき。
- 再生医療等を行う医師・歯科医師の専門的知識について、学会の認定医等の資格を有することをもって担保すべき。
- 一度再生医療等委員会で不適とされたにも関わらず、提供計画を是正せずに他の委員会を探す事案について、対策の必要性を検討すべき。

(3) 認定再生医療等委員会の質の担保

- 認定再生医療等委員会が適切に審査等業務を行うことができるよう、一定のガイダンスを示すことを検討すべき。
- 認定再生医療等委員会に対する定期報告や立入検査、欠格要件等の規定の必要性を検討すべき。

(4) 細胞培養加工施設 (CPC) の質の担保

- 特定細胞加工物のリスクに応じてCPCの構造基準を分けることや、低リスクのものは届出を不要とすることが妥当か検討すべき。
- 届出制のCPCの構造基準の遵守状況や、遵守事項の遵守状況について、まずは実態の把握等を行うことを検討すべき。

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

- 研究特有の手続については、手続の主体を医療機関の管理者ではなく、実施責任者とすることを検討すべき。
- 先進医療として行う場合の審査過程の簡略化等について、先進医療会議等において検討すべき。

(2) 再生医療等の拠点機関の設定

(3) 細胞の安定的な確保

- 細胞の安定的な確保に資する観点から、細胞バンク等において必要となる措置を明確化することを検討すべき。

3 (1) 法に基づく手続の緩和・改善

■ 手続の実施主体の変更

- 再生医療等安全性確保法施行 5 年後の見直しの検討に係る中間整理（令和元年12月25日）

現状と課題

- 現行の再生医療等安全性確保法においては、再生医療等提供計画の提出等のほか、研究計画書の作成やモニタリングといった手続の責任主体を、医療機関の管理者と定めている。
- 一方、臨床研究法においては、臨床研究を実施する場合の手続の責任主体について、法律上は「研究を実施する者」、省令において研究責任医師としている。
- このため、再生医療等安全性確保法に基づき臨床研究を行う場合と、臨床研究法に基づき臨床研究を行う場合において、手続に齟齬が生じている。

これまでの主な議論

- 医療の提供の責任は管理者においた上で、研究に係る手続の責任主体は、管理者ではなく実施責任者にすべきではないかとの意見があった。

今後の対応の方向性

- 法において規定する手続のうち、研究特有の手続については、手続の主体を医療機関の管理者ではなく、実施責任者とすることを検討すべきである。

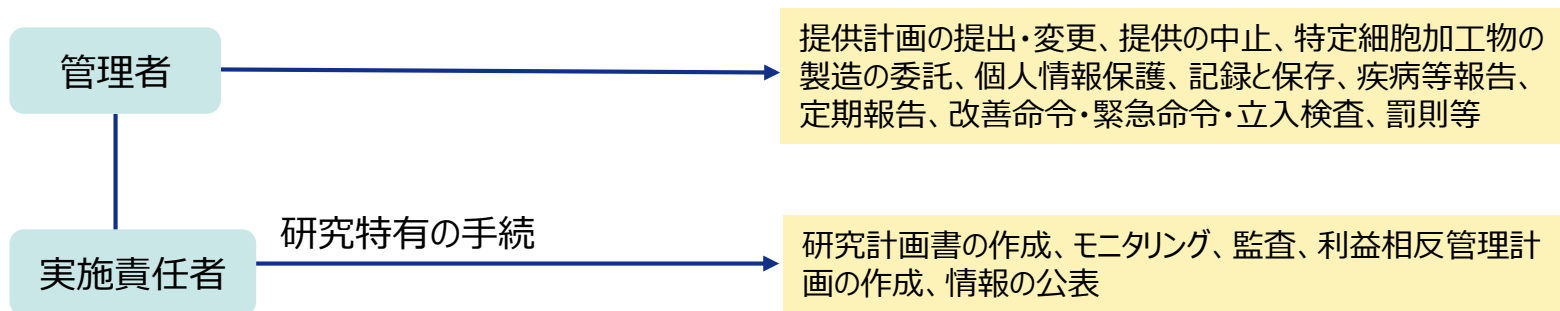
3 (1) 法に基づく手続の緩和・改善

■ 手続の実施主体の変更

検討の方向性

- 再生医療等安全性確保法は、再生医療等の安全性の確保等を目的としていることから、医療法上の責任者である医療機関の管理者に再生医療等の提供に関する責務を課している。
- 一方、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、医療の提供そのものではないことから、現場のニーズ等を踏まえつつ、当該研究の実施責任者において行うこととしてはどうか。

改正案



再生医療等安全性確保法施行5年後の見直しの検討に係る中間整理の概要

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

- in vivo遺伝子治療について、何らかの法的枠組みを設ける方向で、具体的内容を速やかに検討すべき。
- 対象とする技術の範囲、当該医療の提供に当たって求める手続、使用するウイルスベクター等の安全性確保対策などについて議論を行うべき。

(2) 再生医療等のリスク分類・法の適用除外範囲の見直し

- 薬事承認された医療機器を用いて製造される特定細胞加工物を用いた再生医療等技術について、手続を緩和することを検討すべき。
- 他家細胞を用いた医療技術を含め、その他の再生医療等技術のリスク分類や、法の適用除外範囲についても見直しを検討すべき。
- 保険収載された再生医療等技術について、手続を緩和することを検討すべき。

2. 再生医療等の安全性及び科学的妥当性の確保

(1) 再生医療等の有効性の確認

- 提供された再生医療等の科学的妥当性（有効性を含む。）に係るデータを収集し、一定程度確認を可能とする方策について、検討すべき。
- 具体的には、評価方法を提供計画の記載事項とすること、定期報告に記載する妥当性の評価についての記載整備、公表等について検討すべき。

(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

- 細胞バンク等での細胞の保管の方法等について、一定の基準等を設定することが可能か検討すべき。
- 再生医療等を行う医師・歯科医師の専門的知識について、学会の認定医等の資格を有することをもって担保すべき。
- 一度再生医療等委員会で不適とされたにも関わらず、提供計画を是正せずに他の委員会を探す事案について、対策の必要性を検討すべき。

(3) 認定再生医療等委員会の質の担保

- 認定再生医療等委員会が適切に審査等業務を行うことができるよう、一定のガイダンスを示すことを検討すべき。
- 認定再生医療等委員会に対する定期報告や立入検査、欠格要件等の規定の必要性を検討すべき。

(4) 細胞培養加工施設 (CPC) の質の担保

- 特定細胞加工物のリスクに応じてCPCの構造基準を分けることや、低リスクのものは届出を不要とすることが妥当か検討すべき。
- 届出制のCPCの構造基準の遵守状況や、遵守事項の遵守状況について、まずは実態の把握等を行うことを検討すべき。

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

- 研究特有の手続については、手続の主体を医療機関の管理者ではなく、実施責任者とすることを検討すべき。
- 先進医療として行う場合の審査過程の簡略化等について、先進医療会議等において検討すべき。

(2) 再生医療等の拠点機関の設定

(3) 細胞の安定的な確保

- 細胞の安定的な確保に資する観点から、細胞バンク等において必要となる措置を明確化することを検討すべき。

3 (1) 法に基づく手続の緩和・改善 ・先進医療として行う場合の手続

- 再生医療等安全性確保法施行 5 年後の見直しの検討に係る中間整理（令和元年12月25日）

現状と課題

- 再生医療等安全性確保法の下で行う臨床研究について、先進医療として申請する場合、認定再生医療等委員会（第一種の場合は、加えて再生医療等評価部会）に加え、先進医療技術審査部会及び先進医療会議でも審議を行う必要がある。

これまでの主な議論

- 先進医療について、法に基づく審査と審査内容が重なる部分については、先進医療の手続の省略が可能か否かについて、臨床研究法に基づく臨床研究の取扱いを参考にしつつ、先進医療会議等において検討していただくのがよいのではないかと意見があった。

今後の対応の方向性

- 先進医療として臨床研究を実施する場合で、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、臨床研究法に基づく臨床研究の取扱いも参考にしつつ、先進医療会議等において検討すべきである。

3 (1) 法に基づく手続の緩和・改善 ・先進医療として行う場合の手続

現状

【再生医療等安全性確保法】

- 再生医療等安全性確保法の施行（平成26年11月25日）以降に、先進医療Bとして承認された再生医療等は8件あり、うち1件が保険収載された（※1）。
- 最先端医療迅速評価制度により、第一種再生医療等技術には迅速な審議体制が整備されている（p19,20）。
- 認定臨床研究審査委員会及び認定再生医療等委員会における研究に関する審査事項については、概ね一致している（p21）。

【臨床研究法】

- 臨床研究法に基づく臨床研究については、一定の要件を満たす場合に、先進医療会議における科学的評価が迅速化されている（p22）。
- 先進医療として実施する臨床研究において、認定臨床研究審査委員会における審査の後、先進医療技術審査部会、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臨床研究審査委員会の審査意見業務については、例えば委員長のみの確認をもって行う簡便な審査を実施、事後的に認定委員会に変更内容を報告すること（※2）として差し支えない（※3）とされている。

（※1）J003-4 多血小板血漿処置、（※2）臨床研究法施行規則第80条第4項に基づく取扱い、（※3）臨床研究法の施行等に関するQ&A（統合版）について（令和元年11月13日付け厚生労働省医政局研究開発振興課 事務連絡）

検討の方向性

- 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、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してはどうか。
- なお、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迅速化については、まず、先進医療技術審査部会で検討することとしてはどうか。

(参考) 先進医療について

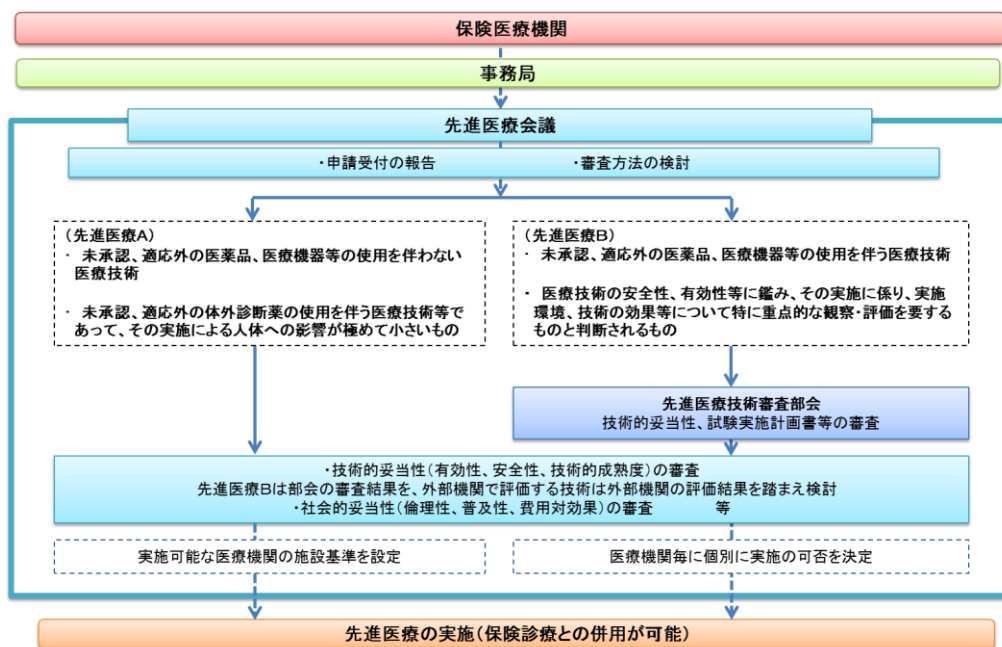
先進医療とは

- 未だ保険診療として認められていない先進的な医療技術等について、安全性、有効性等を確保するための施設基準等を設定し、保険診療と保険外診療との併用を認め、将来的な保険導入に向けた評価を行う制度。
- 入院基本料など一般の診療と共通する部分（基礎的部分）については保険が適用され、先進医療部分は原則として患者の自己負担。
- 個別の医療技術が先進医療として認められるためには、先進医療会議等で安全性、有効性等の審査を受ける必要があり、実施する医療機関は厚生労働大臣への届出又は承認が必要。

再生医療等技術の場合

- 申請医療機関が、先進医療実施届出書及び添付書類等（認定再生医療等委員会で「適」とされた提供計画等）を医政局研究開発振興課に提出。
- 先進医療技術審査部会にて新規技術の技術的妥当性、試験実施計画等を審査した後、先進医療会議において科学的評価が行われる。

先進医療の申請から保険適用までの流れ



(参考) 最先端医療迅速評価制度により、第一種再生医療等技術には迅速な審議体制が準備されている

最先端医療迅速評価制度 (※1)

- 日本再興戦略において、「保険診療と保険外の安全な先進医療を幅広く併用して受けられるようにするため、新たに外部機関等による専門評価体制を創設し、評価の迅速化・効率化を図る」とされたことにより、平成25年11月29日より「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において医療上の必要性が高いとされた抗がん剤に係る専門評価体制が創設。
- 日本再興戦略改定2014においては、「抗がん剤に続き、再生医療や医療機器についても、これらの分野の評価に特化した専門評価組織を年度内に立ち上げ、保険収載に向けた先進医療の評価の迅速化・効率化を図る」とされた。
- 具体的には、現行の先進医療技術審査部会の中に、迅速な評価が可能となるように、運用上の工夫を行った分科会（再生医療、医療機器）が設置され、当該分科会で技術的妥当性等について評価の後、先進医療会議で社会的妥当性の審査を行い、当該技術の実施の適否を決定される。

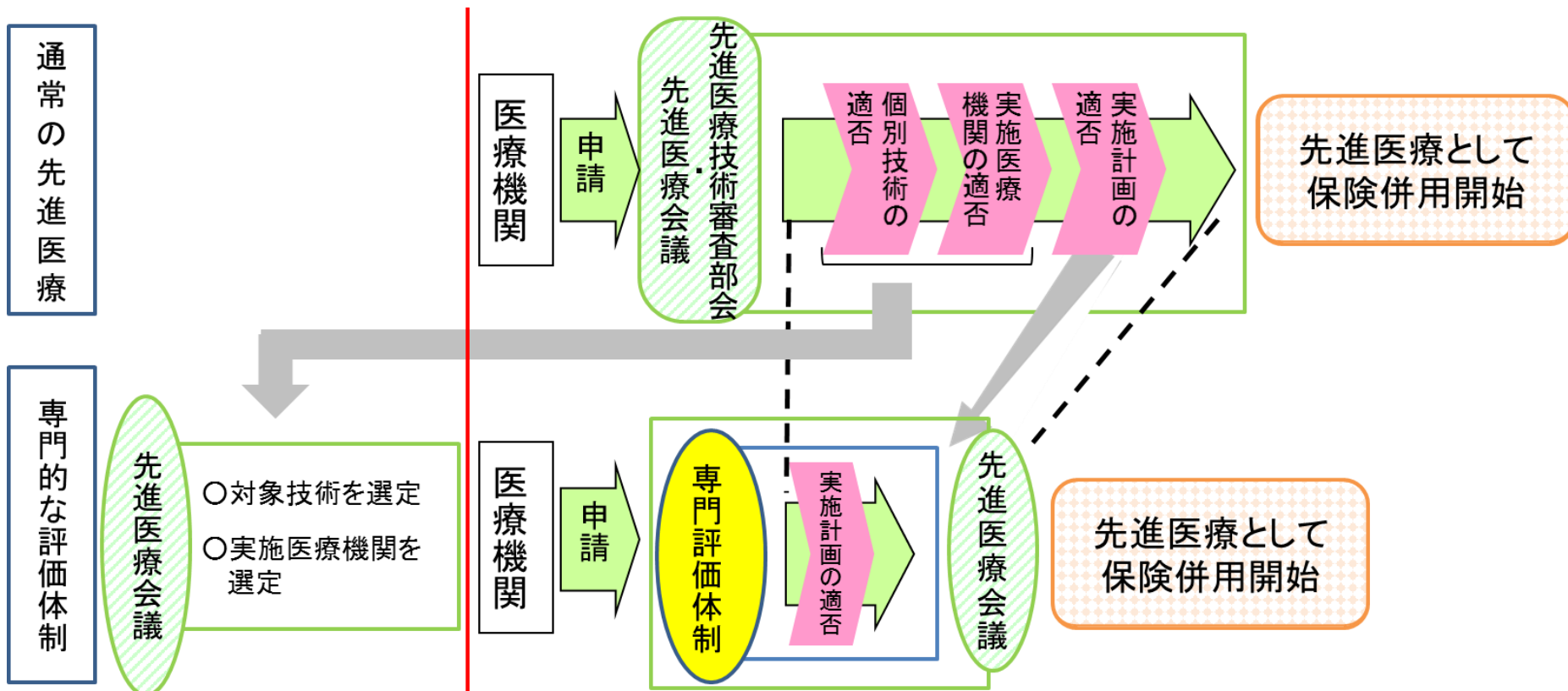
第一種再生医療等技術を用いる場合 (※2)

- 第一種再生医療等技術は、速やかに先進医療会議で先進医療としての適格性を確認。
- 先進医療会議で認められたものについては、先進医療技術審査部会において実施する技術的妥当性・試験実施計画等の審査を、部会に設置された再生医療評価委員会で行うことができ、その結果を先進医療会議に報告。
- 先進医療実施届出書を提出できる医療機関は、以下のうち先進医療会議が認めたものとされる。
 - ア 臨床研究中核病院
 - イ 再生医療等安全性確保法に基づき第一種再生医療等技術を用いて行われる再生医療等の提供を行ったこと経験のある保険医療機関

(※1) 第24回先進医療技術審査部会資料5-2「先進医療に係る最先端医療迅速評価制度の運用の具体的方法について(案)」平成26年12月11日より

(※2) 「厚生労働大臣の定める先進医療及び施設基準の制定等に伴う手続等の取扱いについて」の一部改正について(医政研発0201第2号、令和3年2月1日)より

(参考) 最先端医療迅速評価制度 (第一種再生医療等技術で利用可能)



	対象技術	実施医療機関	専門評価体制
抗がん剤	未承認薬等検討会議で、医療上の必要性が高いとされた抗がん剤	臨床研究中核病院、臨床研究品質確保体制整備病院、早期・探索的臨床試験拠点、特定機能病院及び都道府県がん診療連携拠点病院(適応外薬を用いるものに限る)から選定	先進医療評価委員会 (国立がん研究センター)
再生医療	特定認定再生医療等委員会で審議され承認された第1種再生医療等	臨床研究中核病院、臨床研究品質確保体制整備病院、早期・探索的臨床試験拠点、これまで第1種再生医療等の承認を得た経験のある病院などから選定	再生医療評価委員会
医療機器	「医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会」において早期導入をすることが妥当とされた品目	臨床研究中核病院、臨床研究品質確保体制整備病院、早期・探索的臨床試験拠点及び特定機能病院から選定	医療機器評価委員会

(参考) 先進医療B試験に係る審査項目の比較

審査項目	先進医療会議	先進医療技術審査部会	認定再生医療等委員会	認定臨床研究審査委員会
有効性	○	○	○ (※2)	○ (※2)
安全性	○	○	○ (※2)	○ (※2)
実施体制	—	○	○	○
倫理的観点	○ (※1)	○	○	○
試験実施計画	—	○	○ (※3)	○ (※3)
実施医療機関の適格性	—	○	△ (※4)	○ (※5)
将来的な保険導入を目指す観点からの評価	○	○	—	—
社会的妥当性・効率性・将来の保険収載の必要性の観点からみた保険給付との併用の適否	○	—	—	—

※ 1. 社会的妥当性（社会的倫理的問題等）の観点から評価を行う

※ 2. 研究計画書の記載事項（再生医療等安全性確保法規則第8条の4、臨床研究法規則第14条）通知で詳細説明、記載内容は同一

※ 3. 生物統計家による評価は必須ではない

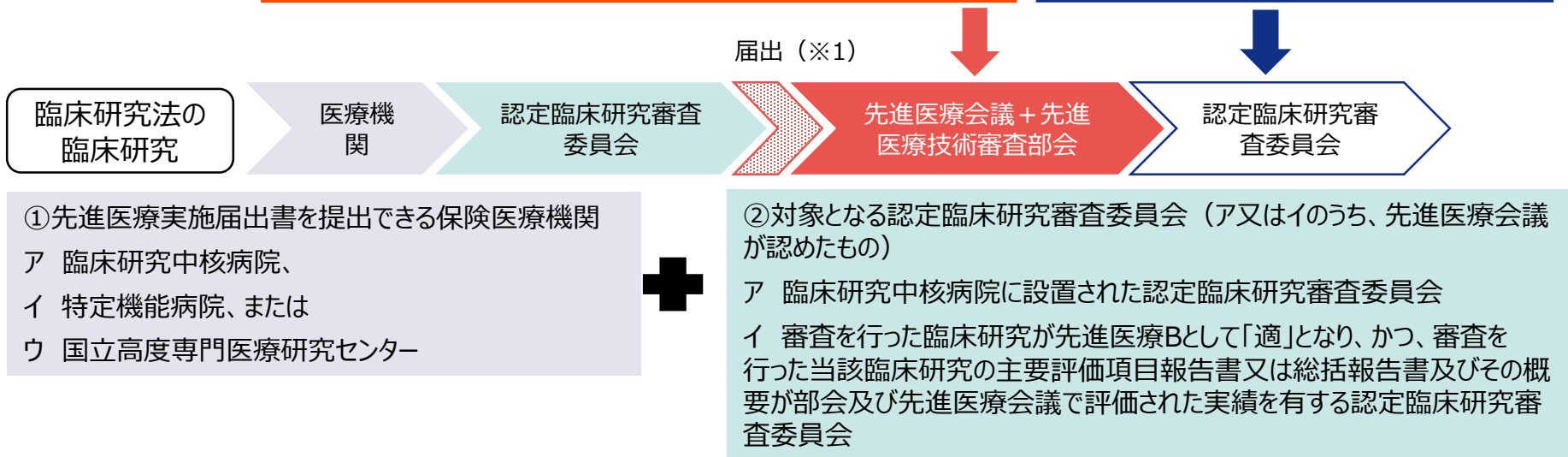
※ 4. 第一種再生医療等又は第二種再生医療等の提供を行う医療機関は、当該医療機関において再生医療等を受ける者に対し、救急医療を行うために必要な施設又は設備を有していなければならない。ただし、他の医療機関と連携することにより、当該者に対し、救急医療を行うために必要な体制があらかじめ確保されている場合には、この限りでない（再生医療等安全性確保法施行規則第6条）

※ 5. 研究責任医師は、臨床研究の内容に応じ、実施医療機関が救急医療に必要な施設又は設備を有していることを確認しなければならない。ただし、他の医療機関と連携することにより、臨床研究の対象者に対し、救急医療を行うために必要な体制があらかじめ確保されている場合には、この限りでない。（臨床研究法施行規則第16条）

(参考) 認定臨床研究審査委員会で承認された先進医療Bに係る新規技術の審査と再生医療の臨床研究の流れの比較

A: ①及び②の要件をいずれも満たす場合においては、先進医療会議における科学的評価が迅速化されている。

B: 研究計画書等に変更があった場合、運用上報告でもよいとされている



迅速化として検討可能なポイント (A、B)



A: 科学的評価の迅速化 (前提条件として、上記①②を参考に検討)

B: 先進医療会議等で研究実施計画書等に変更があった場合、(特定) 認定再生医療等委員会へは報告でもよい

(※1) 先進医療実施届出書を提出する際、試験実施計画書 (監査・モニタリングの標準業務手順書、統計解析計画書を含む) 等の提出が必要

(※2) 現在、再生医療等評価部会構成員を兼ねる部会構成員5名、技術専門員1名

(※3) 現在、再生医療等評価部会構成員を兼ねる会議構成員1名