

再生医療・遺伝子治療開発領域における 規制制度について

令和3年3月15日

厚生労働省

1. 再生・細胞医療・遺伝子治療等に係る規制・制度について、検証と運用改善をするべき

- ① ウィルスベクターを用いて体外に取り出した細胞に遺伝子又は遺伝子を導入・改変し、人にその細胞を投与するもの（*ex vivo* 遺伝子治療）は、薬機法上は再生医療等製品に定義され、臨床研究で行う場合についても再生医療法の枠組みとなっている。しかし、直接体内に遺伝子工学的改変を行ったウイルス等を投与するもの（*in vivo* 遺伝子治療）については薬機法上は再生医療等製品に定義されているが、臨床研究で行う場合については、再生医療法の枠組みではなく、臨床研究法と遺伝子治療指針が適用される。
制度全般の見直しが必要ではないか
- ② 遺伝子治療開発については、3重に規制（遺伝子治療指針、臨床研究法、カルタヘナ法）がかかっており、改善をするべき。
- ③ 再生医療等製品の「条件及び期限付き承認」の予見可能性が確保されることが望ましい。

2. 諸外国と我が国で運用が異なるとされている 規制・制度が存在しており、運用状況の検証 と改善事項の整理を行うべき

- ① カルタヘナ法、生物由来原料基準等

1. 再生・細胞医療・遺伝子治療等に係る規制・制度について、検証と運用改善をするべき

- ① ウィルスベクターを用いて体外に取り出した細胞に遺伝子又は遺伝子を導入・改変し、人にその細胞を投与するもの（*ex vivo* 遺伝子治療）は、薬機法上は再生医療等製品に定義され、臨床研究で行う場合についても再生医療法の枠組みとなっている。しかし、直接体内に遺伝子工学的改変を行ったウイルス等を投与するもの（*in vivo* 遺伝子治療）については薬機法上は再生医療等製品に定義されているが、臨床研究で行う場合については、再生医療法の枠組みではなく、臨床研究法と遺伝子治療指針が適用される。
制度全般の見直しが必要ではないか
- ② 遺伝子治療開発については、3重に規制（遺伝子治療指針、臨床研究法、カルタヘナ法）がかかっており、改善をするべき。
- ③ 再生医療等製品の「条件及び期限付き承認」の予見可能性が確保されることが望ましい。

再生医療の実用化を促進する制度的枠組み

再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるようにするための施策の総合的な推進に関する法律【議員立法】平成25年4月26日成立、5月10日公布・施行

再生医療の研究開発から実用化までの施策の総合的な推進を図る

自由診療

臨床研究

再生医療等安全性確保法

【平成25年11月20日成立、11月27日公布】
【平成26年11月25日施行】

再生医療等の安全性の確保等を図るため、再生医療等の提供機関及び細胞培養加工施設についての基準を新たに設ける。

製造販売

薬事法改正法

【平成25年11月20日成立、11月27日公布】
【平成26年11月25日施行】

再生医療の実用化に対応できるよう、再生医療等製品の特性を踏まえた承認・許可制度を新設するため、改正を行う。

迅速性

細胞培養加工について、医療機関から企業への外部委託を可能に

再生医療等製品の特性に応じた早期承認制度の導入

安全性

再生医療等のリスクに応じた三段階の提供基準と計画の届出等の手続、細胞培養加工施設の基準と許可等の手続を定める

患者への説明と同意、使用の対象者に関する事項の記録・保存など市販後の安全対策

安全な再生医療を迅速かつ円滑に

多くの製品を、より早く

再生医療等の安全性の確保等に関する法律の概要

趣 旨

再生医療等の迅速かつ安全な提供等を図るため、再生医療等を提供しようとする者が講ずべき措置を明らかにするとともに、特定細胞加工物の製造の許可等の制度等を定める。

内 容

1. 再生医療等の分類

再生医療等について、人の生命及び健康に与える影響の程度に応じ、「第1種再生医療等」「第2種再生医療等」「第3種再生医療等」に3分類して、それぞれ必要な手続を定める。

※ 分類は、細胞や投与方法等を総合的に勘案し、厚生労働省令で第1種：iPS細胞等、第2種：体性幹細胞等、第3種：体細胞等と規定。

2. 再生医療等の提供に係る手続

- 第1種再生医療等 提供計画について、特定認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。一定期間の実施制限期間を設け、その期間内に、厚生労働大臣が厚生科学審議会の意見を聴いて安全性等について確認。安全性等の基準に適合していないときは、計画の変更を命令。
- 第2種再生医療等 提供計画について、特定認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。
- 第3種再生医療等 提供計画について、認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。

※ 特定認定再生医療等委員会は、特に高度な審査能力と第三者性を有するもの。

※ 第1種再生医療等、第2種再生医療等を提供する医療機関については、一定の施設・人員要件を課す。

3. 適正な提供のための措置等

- インフォームド・コンセント、個人情報保護のための措置等について定める。
- 疾病等の発生は、厚生労働大臣へ報告。厚生労働大臣は、厚生科学審議会の意見を聴いて、必要な措置をとる。
- 安全性確保等のため必要なときは、改善命令を実施。改善命令違反の場合は再生医療等の提供を制限。保健衛生上の危害の発生拡大防止のため必要なときは、再生医療等の提供の一時停止など応急措置を命令。
- 厚生労働大臣は、定期的に再生医療等の実施状況について把握し、その概要について公表する。

4. 特定細胞加工物の製造の許可等

- 特定細胞加工物の製造を許可制（医療機関等の場合には届出）とし、医療機関が特定細胞加工物の製造を委託する場合には、許可等を受けた者又は届出をした者に委託しなければならないこととする。

施行期日

平成26年11月25日（公布日：平成25年11月27日）

リスクに応じた再生医療等安全性確保法の手続き

第1種再生医療等

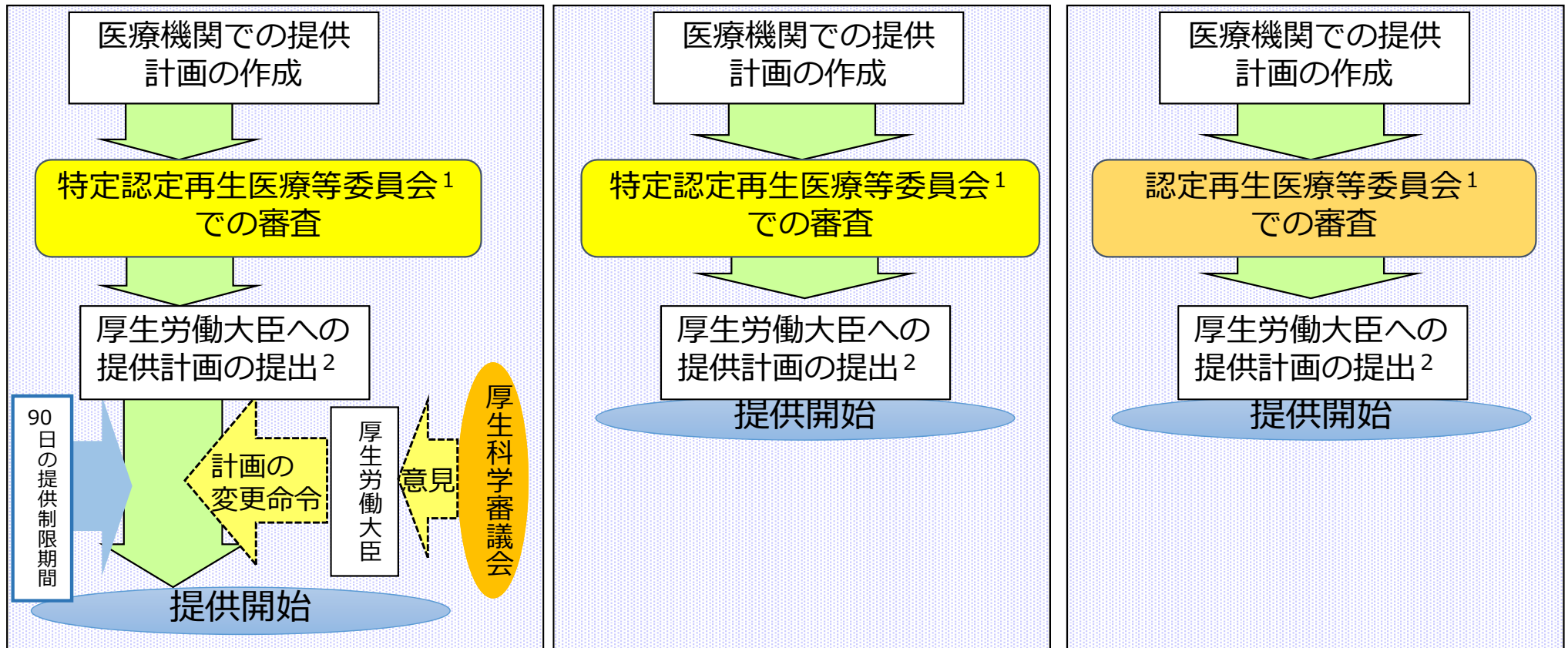
ヒトに未実施など高リスク
(ES細胞、iPS細胞等)

第2種再生医療等

現在実施中など中リスク
(体性幹細胞等)

第3種再生医療等

リスクの低いもの
(体細胞を加工等)



(注1) 「認定再生医療等委員会」とは、再生医療等技術や法律の専門家等の有識者からなる合議制の委員会で、一定の手続により厚生労働大臣の認定を受けたものをいい、「特定認定再生医療等委員会」は、認定再生医療等委員会のうち、特に高度な審査能力、第三者性を有するもの。

(注2) 厚生労働大臣への提供計画の提出の手續を義務付ける。提供計画を提出せずに再生医療等を提供した場合は、罰則が適用される。

臨床研究法と再生医療法の関係について

- 未承認・適応外の再生医療等製品を用いた臨床研究は、再生医療法の対象であるため、臨床研究法のうち、臨床研究の実施に係る手続きを定めた第2章は、適用除外となる。

| 再生医療等製品を用いた研究の区分 | | 臨床研究法 第2章 (臨床研究の実施) | 臨床研究法 第4章 (資金提供関係) |
|--------------------------------|--------|--|-----------------------|
| 再生医療等製品が 未承認 適応外 | 資金提供あり | 適用除外 (再生医療法の対象) ※未承認・適応外の医薬品・医療機器を併用する場合を含め、臨床研究法ではなく、再生医療法の規定に従う。 | 適用 |
| | 資金提供なし | | — |
| 再生医療等製品が 適応内 | 資金提供あり | 適用 (義務) | 適用 |
| | 資金提供なし | 適用 (努力義務) | — |

遺伝子治療等とは

定義

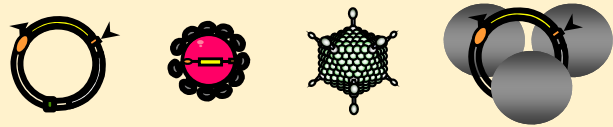
「遺伝子治療等」とは、疾病の治療や予防を目的とした次のいずれかに該当する行為をいう。

- (1) 遺伝子又は遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与すること。
- (2) 特定の塩基配列を標的として人の遺伝子を改変すること。
- (3) 遺伝子を改変した細胞を人の体内に投与すること。

※「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」より抜粋

遺伝子治療薬の直接投与 (in vivo遺伝子治療)

- 遺伝子導入
ウイルスベクター
プラスミド (Naked DNA)
プラスミド/リポソーム
増殖性組換ウイルス等



- タンパク質、RNAなどの遺伝子改変
ゲノム編集技術等



臨床研究法による手続

(※臨床研究として行う場合のみ)

+

遺伝子治療等臨床研究に関する指針による手続

(※臨床研究として行う場合のみ)

遺伝子導入細胞の投与 (ex vivo遺伝子治療)

標的細胞を取り出す
(自己、同種)

標的細胞

(造血幹細胞、T細胞等)

(ベクター、ゲノム編集など)

体外培養・増幅

遺伝子導入・改変

投与

遺伝子導入細胞

再生医療等安全性確保法による手続

(※臨床研究として行う場合、治療として行う場合の両方)

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 | 遺伝子治療等 | 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 (<i>ex vivo</i> 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 | | |
| | ※「等」は予防 | 遺伝子 (<i>in vivo</i> 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。

施行～令和元年 省令改正・通知発出等

- 平成29年11月：臍帯血事案を踏まえ、再生医療等提供機関に関する情報公表のあり方を見直す省令改正
- 平成31年4月：臨床研究法との運用の整合性を図るとともに、法の運用改善を図るための省令改正 等

令和元年7月 第40回 再生医療等評価部会

- 再生医療等安全性確保法施行後5年を目途とした検討を開始

8月 第41回 再生医療等評価部会

- 関係団体からのヒアリング（日本再生医療学会、日本遺伝子細胞治療学会、再生医療イノベーションフォーラム）
- 認定再生医療等委員会における審査の質向上事業の活動報告

9月・10月 第42回・第43回 再生医療等評価部会

- 再生医療等安全性確保法の施行後5年の検討に関する論点案について議論

11月 第44回 再生医療等評価部会

- 再生医療等安全性確保法の施行後5年の検討に関する論点と検討の方向性案について議論

12月 第45回 再生医療等評価部会

- 再生医療等安全性確保法の施行後5年の見直しに係る検討の中間整理案について議論

12月25日 中間整理 公表

令和2年4月 第1回 法見直しに係るワーキンググループ

令和2年6月 特別研究班、施行規則の改正

- 特別研究班：①遺伝子治療（主にin vivo）に対する法的枠組み ②再生医療等技術のリスク分類・適用除外範囲等
- 施行規則の改正：第一種再生医療等技術として、遺伝子を改変する操作を行った細胞を用いる医療技術等を追加

令和3年1月 第2回 法見直しに係るワーキンググループ

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。

(2) 再生医療等のリスク分類・法の適用除外範囲の見直し

- 現在、その大半が第3種再生医療等に分類されるゲノム編集技術について、第1種再生医療等に分類すべき。
- 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。

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。

(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。等

(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。



- 厚生労働省において、見直しの検討を進めるとともに、現行制度の運用の改善で対応できること等については、早急に取り組むべき。
- 一部については、専門家で構成されるワーキンググループを設置するなどし、引き続き検討を進めるべき。

【令和2年度厚生科学特別研究事業（～令和3年3月）】 in vivo遺伝子治療の規制構築に向けた研究

（研究の背景）

遺伝子工学的改変を行ったウイルス等を直接体内に投与するin vivo遺伝子治療は、臨床研究として行う場合は臨床研究法及び遺伝子治療等臨床研究に関する指針の対象となっているが、診療として行われる場合には特段の規制がかかっていない。

in vivo遺伝子治療は、ex vivo 遺伝子治療（遺伝子工学的改変を行った細胞を体内に投与する遺伝子治療）と同様に、安全面や倫理面の課題、後世への遺伝的影響、治療に用いるウイルス等による生物多様性への影響等の課題があると考えられており、in vivo遺伝子治療を安全に提供しながら開発・普及を推進していくためにも、診療も含めた何らかの法的枠組みを可及的速やかに設ける方向で検討すべきとの提言（※）がなされている。

※厚生科学審議会再生医療等評価部会：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中間整理（2019年12月25日）

| | | 対象技術 | 研究 | 診療 |
|--------------------|---------|---|--------------------------------|------|
| 再生医療等 ※「等」は細胞治療 | 遺伝子治療等 | 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 | | |
| | ※「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 |

（研究概要）

再生医療等安全性確保法において、ex vivo遺伝子治療と合わせてin vivo遺伝子治療も対象とすることについても意見が出されているところではあるが、in vivo遺伝子治療は細胞加工物を用いる医療技術ではないため、同法の枠組みを単純に活用できないことには留意する必要がある。そのため、まずはin vivo遺伝子治療の規制を検討する上で必要となる、①対象とする技術の範囲、②使用するウイルスベクター等の安全性確保対策等の具体的な内容について、③当該医療の提供にあたって求められる手続について遺伝子治療の専門的な見地を踏まえた調査を行い、診療として行われる場合を含め、その規制の在り方に関して研究する。

【研究代表者（◎）・分担者】（敬称略）

金沢工業大学加齢医工学先端技術研究所 山口 照英（◎）、国立医薬品食品衛生研究所 佐藤 陽治、内田 恵理子
国立研究開発法人国立成育医療研究センター 掛江 直子、独立行政法人医薬品医療機器総合機構 藤原 康宏、櫻井 陽
国立大学法人大阪大学大学院工学研究科 紀ノ岡 正博、株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング 黒田 享

※ メンバーについては第1回再生医療等安全性確保法の見直しに係るワーキンググループ資料（2020年4月22日）より抜粋

1. 再生・細胞医療・遺伝子治療等に係る規制・制度について、検証と運用改善をするべき

- ① ウィルスベクターを用いて体外に取り出した細胞に遺伝子又は遺伝子を導入・改変し、人にその細胞を投与するもの（*ex vivo* 遺伝子治療）は、薬機法上は再生医療等製品に定義され、臨床研究で行う場合についても再生医療法の枠組みとなっている。しかし、直接体内に遺伝子工学的改変を行ったウイルス等を投与するもの（*in vivo* 遺伝子治療）については薬機法上は再生医療等製品に定義されているが、臨床研究で行う場合については、再生医療法の枠組みではなく、臨床研究法と遺伝子治療指針が適用される。
制度全般の見直しが必要ではないか
- ② 遺伝子治療開発については、3重に規制（遺伝子治療指針、臨床研究法、カルタヘナ法）がかかっており、改善をするべき。
- ③ 再生医療等製品の「条件及び期限付き承認」の予見可能性が確保されることが望ましい。

(参考) in vivo遺伝子治療開発の規制の体系図

「臨床研究法」「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」「カルタヘナ法(第一種使用等)に基づく規定内容の違い

遺伝子指針

- ・ 有害事象発生時の手続
 - 研究との因果に関わらず大臣報告が必要
- ・ 試料及び情報、倫理審査の資料を長期間保存
 - 臨床研究法が5年であるのに対し、10年の保存を規定
- ・ 海外へ試料及び情報を提供する際の手続
- ・ 研究の実施や研究計画書の変更にあたり、厚生労働大臣に意見を求める手続

カルタヘナ法

○生物多様性影響評価書

- ・ 宿主情報
- ・ 遺伝子組換え生物等の調製・使用等に関する情報
 - 供与核酸・ベクターの情報
 - 調製方法
 - 形質発現の安定性 等
- ・ 生物多様性影響の評価
 - 他の微生物を減少させる性質
 - 病原性
 - 有害物質の産生性
 - 核酸を水平伝達する性質 等

臨床研究法の成立を受け、遺伝子指針を改正 (点線→実線へ)

再生医療等評価部会で承認
(平成31年1月)

施行
(平成31年2月)

※カルタヘナ第一種使用等申請と遺伝子指針の審査については、同一の審議体（遺伝子治療臨床研究に関する審査委員会）で行っている。

- ・ インフォームドコンセントの手続
- ・ 個人情報等の取扱い
- ・ 利益相反の管理
- ・ モニタリング及び監査 等

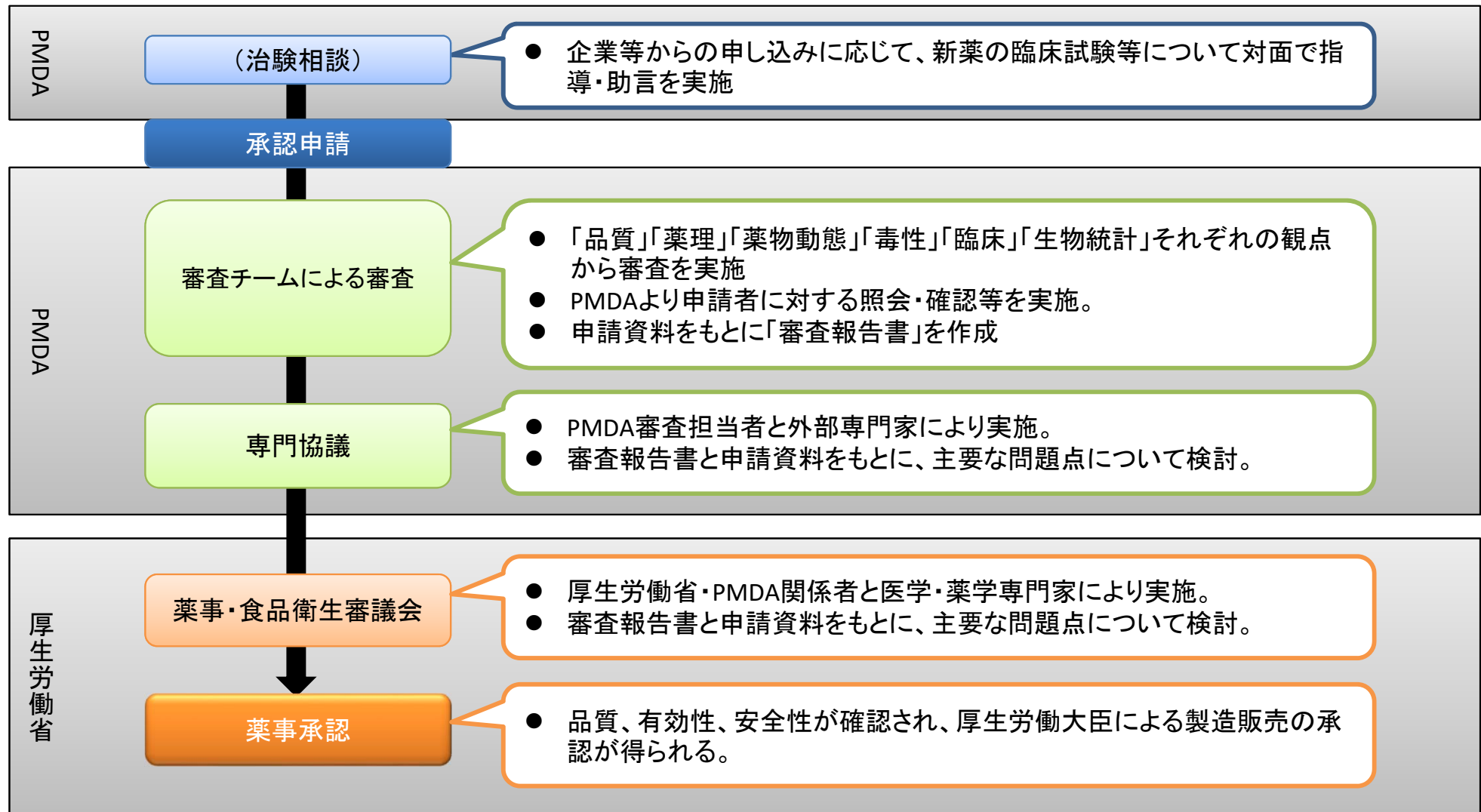
- ・ 認定臨床研究審査委員会による審査意見業務
- ・ 研究資金等の提供に関する契約の締結及び情報等の公表 等

臨床研究法

1. 再生・細胞医療・遺伝子治療等に係る規制・制度について、検証と運用改善をするべき

- ① ウィルスベクターを用いて体外に取り出した細胞に遺伝子又は遺伝子を導入・改変し、人にその細胞を投与するもの（*ex vivo* 遺伝子治療）は、薬機法上は再生医療等製品に定義され、臨床研究で行う場合についても再生医療法の枠組みとなっている。しかし、直接体内に遺伝子工学的改変を行ったウイルス等を投与するもの（*in vivo* 遺伝子治療）については薬機法上は再生医療等製品に定義されているが、臨床研究で行う場合については、再生医療法の枠組みではなく、臨床研究法と遺伝子治療指針が適用される。
制度全般の見直しが必要ではないか
- ② 遺伝子治療開発については、3重に規制（遺伝子治療指針、臨床研究法、カルタヘナ法）がかかっており、改善をするべき。
- ③ 再生医療等製品の「条件及び期限付き承認」の予見可能性が確保されることが望ましい。

再生医療等製品の承認申請から薬事承認までの流れ

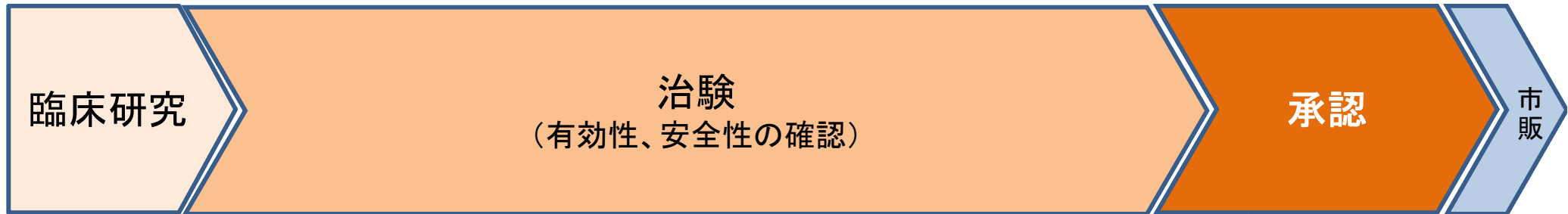


再生医療等製品の実用化に対応した承認制度（条件・期限付承認）

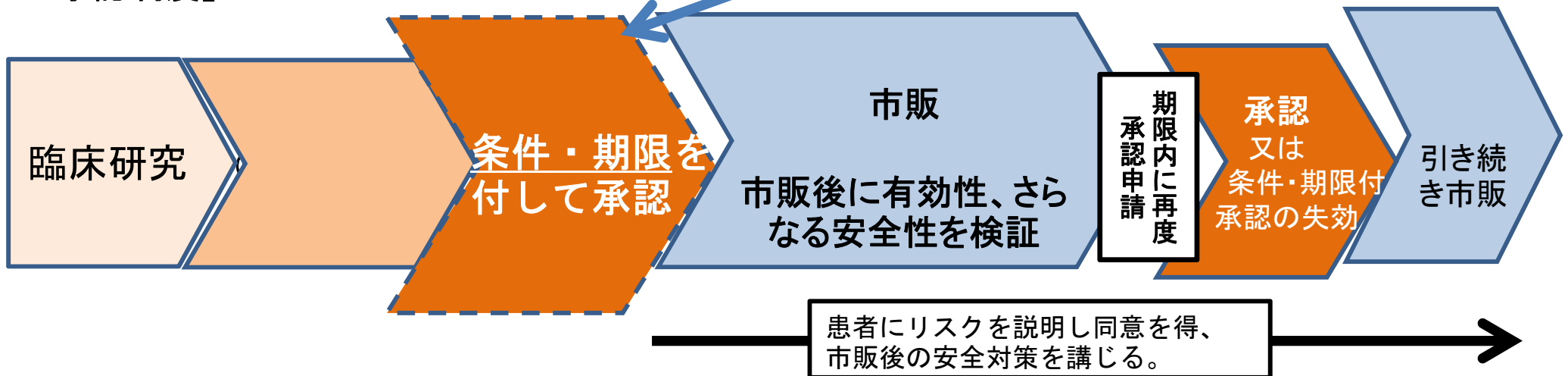
＜再生医療等製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点＞

人の細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。

【従来の承認までの道筋】



【再生医療等製品の早期の実用化に対応した承認制度】



- ・有効性については、一定数の限られた症例から、従来より短期間で有効性を推定。
- ・安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。

再生医療等製品の承認品目

令和3年2月時点

| 製品名（一般的名称） | 効能、効果又は性能 | 製造販売業者 | 備考 |
|----------------------------------|--|-------------------------|--|
| ジェイス（ヒト（自己）表皮由来細胞シート） | 重症熱傷 | 株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング | 平成19年10月29日承認 |
| | 先天性巨大色素性母斑 | | 平成28年9月29日承認 （適応追加） |
| | 表皮水疱症 | | 平成30年12月28日承認 （適応追加） |
| ジャック（ヒト（自己）軟骨皮由来組織） | 膝関節における外傷性軟骨欠損症又は離断性骨軟骨炎（変形性膝関節症を除く）の臨床症状の緩和 | | 平成24年7月27日承認 |
| ネピック（ヒト（自己）角膜輪部由来角膜上皮細胞シート） | 角膜上皮幹細胞疲弊症 | | 令和2年3月19日承認 |
| テムセルHS注（ヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞） | 造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病 | JCRファーマ株式会社 | 平成27年9月18日承認 |
| ハートシート（ヒト（自己）骨格筋由来細胞シート） | 重症心不全 | テルモ株式会社 | 平成27年9月18日承認 （条件・期限付承認） |
| ステミラック注（ヒト（自己）骨髄由来間葉系幹細胞） | 脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善 | ニプロ株式会社 | 平成30年12月28日承認 （条件・期限付承認） 先駆け審査指定品目 |
| コラテジェン筋注用4mg（ベペルミノゲン ペルプラスミド）（※） | 慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善 | アンジェス株式会社 | 平成31年3月26日承認 （条件・期限付承認） |
| キムリア点滴静注（チサゲンレクルユーセル） | 再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病、びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 | ノバルティスファーマ株式会社 | 平成31年3月26日承認 |
| ゾルゲンスマ点滴静注（オナセムノゲン アベパルボク）（※） | 脊髄性筋萎縮症（遺伝子検査により脊髄性筋萎縮症の発症が予測されるものも含む） | | 令和2年3月19日承認 |
| イエスカルタ点滴静注（アキシカブタゲン シロルユーセル） | 再発又は難治性の大細胞型B細胞リンパ腫 | 第一三共株式会社 | 令和3年1月22日承認 |

（※）遺伝子治療用製品

2. 諸外国と我が国で運用が異なるとされている 規制・制度が存在しており、運用状況の検証 と改善事項の整理を行うべき

- ① カルタヘナ法、生物由来原料基準等

生物の多様性に関する条約のバイオセーフティに関するカルタヘナ議定書
(2003年発効) :

第四条 適用範囲

この議定書は、生物の多様性の保全及び持続可能な利用に悪影響（人の健康に対する危険も考慮したもの）を及ぼす可能性のあるすべての改変された生物の国境を越える移動、通過、取扱い及び利用について適用する。

第五条 医薬品

この議定書は、前条の規定にかかわらず、他の関連する国際協定又は国際機関において取り扱われる人のための医薬品である改変された生物の国境を越える移動については、適用しない。もっとも、締約国が輸入の決定に先立ちすべての改変された生物を危険性の評価の対象とする権利を害するものではない。

- ✓ 医薬品の通過、取扱い及び利用については、カルタヘナ議定書の適用範囲に含まれる。

遺伝子組換え生物等の臨床使用の規制の比較

| | 日 本※1 | 米 国 | 欧 州 |
|----------------|--------------------|--|------------------------------|
| カルタヘナ議定書 批准 | あ り | な し | あ り |
| 環境影響評価 の有無 | あ り | あ り | あ り |
| 環境影響評価の 時期 | 臨床試験開始前 承認審査時※2 | 承認審査時 | 臨床試験開始前（加盟国）※3 承認審査時（EMA） |
| 排出データの提出 | 承認申請に必要 | 承認申請に必要 | 承認申請に必要 |
| 排出試験の 実施時期 | Phase Iから | 増殖性ウイルス：Phase Iから 非増殖性ウイルス：Phase II以降 | Phase Iから |

※1 第1種使用として規制 ※2 臨床試験時と使用規程が異なる場合 ※3 EU指令 Directive 2001/18/ECが適用

- ✓ 米国はカルタヘナ議定書を批准していないが、臨床試験において排出データを取得し、承認審査において環境影響を評価している。
- ✓ 欧州はカルタヘナ議定書を批准しており、日本と同様に臨床試験開始前に環境影響評価を実施することが必要である。加盟国の手続には、共通のEU指令が適用される。

- **in vivo**臨床研究に関して、指針改正により臨床研究法との重複を改善し、またカルタヘナ法及び遺伝子指針における審査は同一審議体で対応している。
- 臨床研究及び治療として、**ex vivo**遺伝子治療、**in vivo**遺伝子治療を実施する際の手続き等に関しては、現在再生医療法の見直しの中でその枠組みを検討中。
- 治験に関するカルタヘナ法の審査及び薬事承認審査は**PMDA**で対応しており、更なる効率化のための運用改善につき検討中。
- 関連する法令等の運用については、引き続き見直しを継続する。