

医薬機審発 1023 第 2 号
令和 5 年 10 月 23 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

「遺伝子治療用製品等の品質及び安全性の確保について」の一部改正について

再生医療等製品のうち遺伝子治療用製品及び遺伝子導入細胞からなるヒト細胞加工製品（治験製品を含む）について、「遺伝子治療用製品等の品質及び安全性の確保について」（令和元年 7 年 9 日付け薬生機審発0709第 2 号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知。以下「課長通知」）において、品質及び安全性の確保のために必要となる基本的な技術的事項として「遺伝子治療用製品等の品質及び安全性の確保に関する指針」を定めているところです。

今般、「「遺伝子治療用製品の非臨床生体内分布の考え方」について」（令和 5 年10月23日付け医薬機審発1023第 1 号厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長通知）が発出されたことに伴い、課長通知を別紙 1 の新旧表のとおり改正しましたので、貴管下関係業者等に対して周知方御配慮願います。

なお、改正後の課長通知は別紙 2 のとおりです

新	旧
<p>第4章 非臨床試験 (略)</p> <p>2. 生体内分布</p> <p>遺伝子治療用製品等の安全性及び有効性を評価するための基礎データとして、「<u>「遺伝子治療用製品の非臨床生体内分布の考え方」について</u>」(令和5年10月23日付け医薬機審発1023第1号厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長通知)を参考に、適切な動物を用いて遺伝子治療用製品等の生体内分布を明らかにすること。生体内分布の解析から、目的とする生体組織への分布だけでなく、目的としない生体組織及び生殖細胞への分布を明らかにすることにより、ヒトでの安全性や意図しない組込みリスクを評価する際に着目すべき器官を明らかにすることが可能になる。ベクターの分布や消失を含めた持続性を明らかにすることにより、ヒトでの適切な解析時期に関する情報が得られる。さらに、生体内分布データは、毒性試験で組織特異的に検出された異常所見の毒性学的意義を考察する際に有用な場合がある。</p> <p>(以下略)</p>	<p>第4章 非臨床試験 (略)</p> <p>2. 生体内分布</p> <p>遺伝子治療用製品等の安全性及び有効性を評価するための基礎データとして、適切な動物を用いて遺伝子治療用製品等の生体内分布を明らかにすること。生体内分布の解析から、目的とする生体組織への分布だけでなく、目的としない生体組織及び生殖細胞への分布を明らかにすることにより、ヒトでの安全性や意図しない組込みリスクを評価する際に着目すべき器官を明らかにすることが可能になる。ベクターの分布や消失を含めた持続性を明らかにすることにより、ヒトでの適切な解析時期に関する情報が得られる。さらに、生体内分布データは、毒性試験で組織特異的に検出された異常所見の毒性学的意義を考察する際に有用な場合がある。</p> <p>(以下略)</p>

薬生機審発0709第2号
令和元年7月9日
[一部改正]令和5年10月23日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

遺伝子治療用製品等の品質及び安全性の確保について

遺伝子治療の目的に使用される医薬品（治験薬を含む。以下「遺伝子治療用医薬品」という。）については、「遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保について」（平成25年7月1日付け薬食審査発0701第4号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知。以下「旧課長通知」という。）において、品質及び安全性確保のために必要な基本的要件として「遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保に関する指針」（以下「旧指針」という。）を定めているところです。

厚生労働省では、革新的な医薬品、医療機器及び再生医療等製品の実用化を促進するため、平成24年度から平成28年度まで、最先端の技術を研究・開発している大学・研究機関等において、レギュラトリーサイエンスを基盤とした品質及び安全性の評価方法の確立を図るためのガイドラインの作成を行うとともに、当該大学・研究機関等と独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）及び国立医薬品食品衛生研究所との間で人材交流を行う事業を実施しました。

今般、本事業において提案された指針改正案をもとに、科学技術の進歩や臨床試験の実施状況を踏まえて旧指針の内容を見直すとともに、海外規制当局の動向を踏まえ、再生医療等製品のうち遺伝子治療用製品及び遺伝子導入細胞からなるヒト細胞加工製品（治験製品を含む。以下「遺伝子治療用製品等」という。）の品質及び安全性の確保のために必要となる基本的な技術的事項として、「遺伝子治療用製品等の品質及び安全性の確保に関する指針」を別添のとおり策定し、下記のとおり取り扱うこととしましたので、製造販売承認申請に当たって参考とするよう、貴管下関係業者等に対して周知方御配慮願います。

なお、本通知の発出に伴い、旧課長通知は廃止します。

記

- 1 「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」(平成 27 年厚生労働省告示 344 号) 第 1 章については、遺伝子治療用製品等の治験にも適用されるので留意すること。また、同指針のその他の部分についても、参考にすることが望ましいこと。
- 2 「遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律」(平成 15 年法律第 97 号) に基づく遺伝子組換え生物等の使用等に係る承認及び確認の申請は、従来どおり必要であること。このため、承認及び確認の申請に際しては、PMDA 再生医療製品等審査部と事前に協議等を行い、標準的事務処理期間に留意して申請を行われたいこと。

以上