

令和 7 年 5 月 30 日

科 発 0530 第 44 号

産 情 発 0530 第 6 号

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厚生科学課長

厚生労働省医薬産業振興・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」
の施行に伴う「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」等の取扱いについて

「遺伝子治療等臨床研究に関する指針（平成 27 年厚生労働省告示第 344 号。以下「指針」という。）」に基づき実施される遺伝子治療等の臨床研究（以下「遺伝子治療等臨床研究」という。）については、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（昭和 35 年法律第 145 号。以下「医薬品医療機器等法」という。）第 2 条第 17 項に規定する治験又は再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成 25 年法律第 85 号。以下「法」という。）第 2 条第 1 項に規定する再生医療等に該当する遺伝子治療等臨床研究を除き、指針により、その適正な実施を図ってきたところです。

今般、「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。）が令和 7 年 5 月 31 日に施行することに伴い、核酸等を用いる医療技術が法の対象となることから、指針の取り扱いについては、下記のとおりとしますので、御了知の上、貴管下医療機関及び関係機関等への周知をお願いいたします。

なお、本通知は改正法の施行の日（令和 7 年 5 月 31 日）から適用し、同日付けで「遺伝子治療臨床研究に関する「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」に基づく第一種使用規程承認申請の手続き等について」（平成 16 年 2 月 19 日付け科発第 0219001 号厚生労働省大臣官房厚生科学課長通知）を廃止します。

記

1. 改正法の施行後に新たに遺伝子治療等臨床研究を実施しようとする場合について

指針第 1 章第 2 の 1 における遺伝子治療等の定義において、「(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」のうち「遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与すること。」

及び「(3) 遺伝子を改変した細胞を人の体内に投与すること。」に該当する遺伝子治療等は既に法の対象であったところ、今般の改正法の施行により、核酸等を用いる医療技術が新たに法の対象となり、遺伝子治療等の定義「(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。」のうち「遺伝子を人の体内に投与すること」及び「(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」に該当する遺伝子治療等が改正法に規定する核酸等を用いる医療技術に該当することから、指針における遺伝子治療等臨床研究の実施については、法が適用される。このため、新たに遺伝子治療等を実施しようとする場合は、法に基づく手続きを行い、その実施にあたっては、引き続き指針第1章の規定を遵守すること。

なお、核酸等を用いる医療技術を用いて再生医療等を実施する場合の「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。以下「カルタヘナ法」という。）」の規定に基づく手続き等については、「再生医療等の安全性の確保等に関する法律に基づく再生医療等に係る関連した「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」に基づく手続等について」（令和7年5月30日付け医政研発0530第1号厚生労働省医政局研究開発政策課長通知）を参照すること。

2. 改正法の施行前において指針に基づく遺伝子治療等を実施しており、改正法の施行後1年を経過した後においても遺伝子治療等を実施しようとする場合について

改正法の施行後1年を経過後も遺伝子治療等臨床研究を行おうとする場合については、改正法附則第3条第1項の規定に基づき、改正法の施行日から起算して1年を経過するまでの間に、改正後の法第4条第1項に基づき再生医療等提供計画を厚生労働大臣に提出する必要があることに留意すること。この際、指針第1章第3の1の規定に基づき、法に加え、引き続き指針第1章の規定を遵守すること。なお、改正法の施行後、遺伝子治療等臨床研究に使用される遺伝子その他の人に投与される物質を製造する施設についても、改正法附則第6条の規定に基づき、改正法の施行日から起算して6ヶ月を経過する日までの間に、改正後の法に基づく手続きが必要となることに留意すること。

なお、改正法の施行に伴う移行期間の詳細及び必要な手続きについては、「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附則の規定に基づく再生医療等の安全性の確保等に関する法律に関連する手続の経過措置について」（令和7年5月30日付け医政研発0530第4号厚生労働省医政局研究開発政策課長通知）を参照すること。

3. 改正法の施行前において指針に基づく遺伝子治療等を実施しているが、改正法の施行後1年を経過した後においても遺伝子治療等は実施せず、観察研究のみを実施しようとする場合について

改正法の施行前において指針に基づく遺伝子治療等臨床研究を実施しており、改正法の施行後1年を経過した後に、新たに最終産物の被験者への投与を行わない場合については、法が適用されないものの、引き続き指針第1章から第3章又は「臨床研究法」（平成29年法律第16号）並びに指針第1章及び第3章の規定について遵守すること。

なお、改正法の施行前において遺伝子治療等が実施された被験者を対象に、改正法の施行後

において、新たに遺伝子治療等を行わず、例えば長期追跡のみを行う観察研究を実施するなどの新たな臨床研究を開始した場合は、「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」（令和3年文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第1号）の規定を遵守すること。

なお、指針第1章第2の1における遺伝子治療等の定義のうち、「(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。」のうち「遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与すること。」及び「(3) 遺伝子を改変した細胞を人の体内に投与すること。」については、「再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行規則」（平成26年厚生労働省令第110号）第2条第2号に該当することから、引き続き、法及び指針第1章の規定を遵守すること。