

薬事・食品衛生審議会  
再生医療等製品・生物由来技術部会  
議 事 次 第

1. 開 会

2. 審議事項

議題1 ヒト(自己)表皮由来細胞シートを希少疾病用再生医療等製品として指定することの可否について  
(資料No.1)

議題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第4条に基づく遺伝子組換え生物等の第一種使用規程の承認について(G47Δ)  
(資料No.2-1)  
(資料No.2-2)

議題3 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第13条に基づく遺伝子組換え生物等の第二種使用等の拡散防止措置の確認について(MS3 II-NYES01-siTCR)  
(資料No.3-1)  
(資料No.3-2)  
(資料No.4-1)  
(資料No.4-2)

3. 報告事項

議題1 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第13条に基づく遺伝子組換え生物等の第二種使用等をする間に執るべき拡散防止措置の確認を行った品目について  
(資料No.5)

4. その他

5. 閉 会

希少疾病用再生医療等製品概要

名称	ヒト自家移植組織（販売名：ジェイス）
予定される 効能・効果	先天性巨大色素性母斑患者の母斑切除部に適用し、速やかに上皮化させることを目的とする。
申請者名	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング
対象疾患について	<p>先天性巨大色素性母斑（本疾患）は、生まれつき存在するいわゆる黒褐色のあざで、体幹、四肢、頭部などに現れる大きなサイズ（成人になった段階で直径 20 cm 以上、幼児では体幹で直径約 6 cm、頭部で直径約 9 cm）のものを指す。本疾患は成長とともに軽快することではなく、整容的観点だけでなく、将来的に悪性黒色腫を発症するおそれがあることから、早期の切除が望ましいとされている。</p> <p>一般的に、治療が必要な本疾患の患者数は、新生児の約 2 万人に 1 人と言われている。本邦における年間出生数等から試算すると、患者数は 5 万人未満と推定される。</p>
対象疾患に対する本剤の効能・効果等について	<p>本疾患は、母斑を切除し、母斑切除部を修復することにより治療される。しかし、既存の治療法では、広範囲の母斑への対応が難しいこと、手術侵襲が大きいこと等の問題がある。また、肥厚性瘢痕や感染症が生じるリスク等から、母斑切除部を術後速やかに上皮化させることが重要である。そこで、本品を母斑切除部に移植することにより、上皮化を促進することができる。と考える。</p> <p>本品の使用により、既存療法の欠点が軽減され、母斑切除部の保護、速やかな上皮化、感染症リスクの低減、及び肥厚性瘢痕の抑制が期待できる。さらに、少量の皮膚から培養表皮を作製できるため、既存療法と比較して患者の負担が軽減し、これまで治療の対象外であった広範囲の母斑や、新生児や乳幼児に対応することが可能となる。また、整容面においても良好な結果が得られ、患者本人やその家族の QOL の向上につながる。と期待できる。</p> <p>現在、「先天性巨大色素性母斑患者を対象とした自家培養表皮の臨床試験」（医師主導治験）及び「J-TEC-01 の先天性巨大色素性母斑を対象とする自家培養表皮の臨床試験から長期への移行臨床試験」（申請者による長期フォローアップ治験）が実施されている。</p>

遺伝子組換え生物等の第一種使用規程の承認及び第二種使用等の拡散防止措置の確認について

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）第 4 条において、遺伝子組換え生物等の第一種使用等をしようとする者は、遺伝子組換え生物等の種類ごとに第一種使用規定を定め主務大臣の承認を受けなければならないとされており、第 13 条において、遺伝子組換え生物の第二種使用等（閉鎖系での使用等）をしようとする者は、主務大臣に承認をうけた拡散防止措置をとらなければならないとされている。今般、下記 2 品目について、第一種使用規程の承認及び第二種使用等をする際の拡散防止措置の確認について御審議いただいたもの。

議題	品目名	申請者	使用の区分	用途
2	大腸菌 lacZ 遺伝子を発現し、 $\gamma$ 34.5 遺伝子・UL39 遺伝子・ $\alpha$ 47 遺伝子を不活化された制限増殖型遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス 1 型（F 株由来）（G47 $\Delta$ ）	東京大学医科学研究所附属病院	第一種使用等	再生医療等製品の医師主導治験
3	HLA-A*02:01 拘束性 NY-ESO-1 ペプチドを特異的に認識する T 細胞受容体（TCR） $\alpha$ 鎖及び $\beta$ 鎖、並びに内在性の TCR $\alpha$ 鎖及び $\beta$ 鎖遺伝子に干渉する siRNA を発現し、Gibbon ape 白血病ウイルスの Env タンパク質をエンベロープに持つ非増殖性の遺伝子組換えモロニーマウス白血病ウイルス（MS3 II-NYES01-siTCR）	タカラバイオ株式会社	第二種使用等（カテゴリー 1）	再生医療等製品の製造

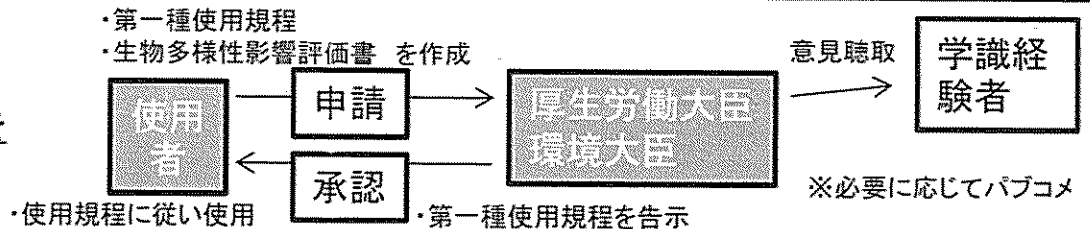
遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律(カルタヘナ法)の概要

**目的** 国際的に協力して生物の多様性の確保を図るため、遺伝子組換え生物等の使用等の規制に関する措置を講ずることにより、生物多様性条約カルタヘナ議定書の的確かつ円滑な実施を確保。

**主務大臣による基本的事項の公表** 遺伝子組換え生物等の使用等による生物多様性影響を防止するための施策の実施に関する基本的な事項等を定め、これを公表。

遺伝子組換え生物等の使用等に係る措置

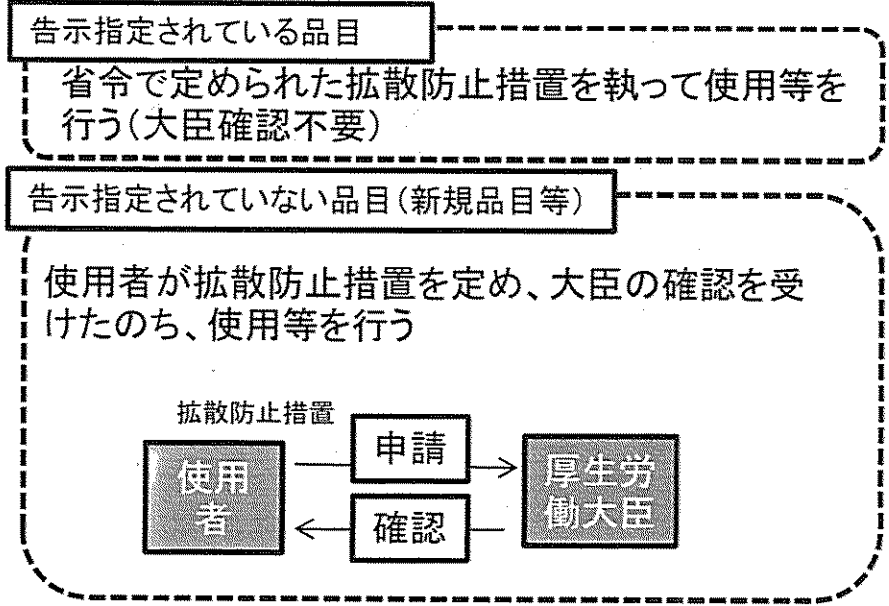
**「第一種使用等」** 環境中への拡散防止措置を執ら<sup>ず</sup>に行う使用等



**「第二種使用等」** 環境中への拡散防止措置を執<sup>つて</sup>行う使用等

リスク等の性質により区分

GILSP 特殊な培養条件下以外では増殖が制限されること、病原性がないこと等のため最小限の拡散防止措置を執ることにより使用等を行うことができるもの
カテゴリー1 GILPS以外であって、病原性がある可能性が低いもの
カテゴリー2 ヒトに感染性はあるが発症の可能性は少なく、予防対策及び有効な治療法があるもの
カテゴリー3 ヒトに対し病原性があり、取り扱う際にかなりの注意を必要とするが、感染・発症してもその危険度は、比較的低く、予防対策及び有効な治療法があるもの



**その他** 未承認の遺伝子組換え生物等の輸入の有無を検査する仕組み、輸出の際の相手国への情報提供、科学的知見の充実のための措置、国民の意見の聴取、違反者への措置命令、罰則等所要の規定を整備。