

事務連絡
令和3年1月15日

各都道府県衛生主管部（局）薬務主管課 御中

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課

「医薬品等におけるゲノム編集技術の利用により得られた生物
の取扱いについて」に関する質疑応答集（Q&A）について

医薬品等におけるゲノム編集技術の利用により得られた生物の取扱いについては、「医薬品等におけるゲノム編集技術の利用により得られた生物の取扱いについて」（令和2年3月23日付け薬生発第0323第1号厚生労働省医薬・生活衛生局長通知。以下「局長通知」という。）においてお示ししているところです。今般、局長通知に関する質疑応答集を別添のとおり取りまとめましたので、貴職におかれましても十分御了知の上、貴管下関係事業者等にその周知徹底を図るとともに、その実施に遺漏ないようよろしくお願いいたします。



(別添)

「医薬品等におけるゲノム編集技術の利用により得られた生物の取扱いについて」に関する質疑応答集 (Q&A)

本 Q&A で使用する用語は局長通知に準拠する他、以下のとおりとします。

- ・ 情報提供：局長通知 2. (2) ① (i) に示す情報提供
- ・ 対象生物：ゲノム編集技術の利用により得られた生物のうち細胞外で加工した核酸を含まないことを確認した生物

(問 1) 「最終的に得られた生物に細胞外で加工した核酸が含まれない場合」はカルタヘナ法の規制の対象外とのことだが、「細胞外で加工した核酸が含まれない」ことはどのように確認すればよいのか。

(答 1) 「細胞外で加工した核酸が含まれない」ことの確認に当たっては、環境省通知の別紙「ゲノム編集技術の利用により得られた生物のカルタヘナ法における規制対象範囲」を参考としてください。なお、最終的に得られた生物に細胞外で加工した核酸が含まれないことについては、PMDA の「カルタヘナ法関連事項相談」を実施し確認することを推奨します。

(問 2) ゲノム編集技術の利用により得られた生物が、カルタヘナ法の規制対象に該当するかの判断に当たっては、PMDA が実施する「カルタヘナ法関連事項相談」を受けることが必須になるのか。

(答 2) 「カルタヘナ法関連事項相談」を受けることは必須ではありませんが、核酸が残存していた場合はカルタヘナ法の規制対象になるので、本相談の活用を推奨します。

(問 3) 一度、最終的に得られた生物に細胞外で加工した核酸が含まれないことを確認済みである。再度、別の手法によるゲノム編集技術を行い、同様に細胞外で加工した核酸が含まれない同じ生物を作製する場合でも、再度情報提供が必要か。

(答 3) 別紙様式の「ゲノム編集技術により得られた生物の名称」が同じであっても、「使用したゲノム編集技術の種類・導入方法」が異なる場合は、再度情報提供をしてください。

(問4) 開放系における使用等に先立って情報提供が求められているが、情報提供すれば直ちに当該生物の使用等を行ってよいか。

(答4) 差し支えない。

(問5) 情報提供は対象生物を日本国内で取り扱う者全てから行わなければならないのか。

(答5) 対象生物を国内で管理する者、すなわち製造販売業者もしくは選任製造販売業者又は治験依頼者もしくは治験国内管理人から情報提供を行ってください。

ただし、買収、合併、事業譲渡等により、対象生物を管理する者が変更となった場合は、譲受者と譲渡者との関係を証する書類を添付したうえで、譲受者から医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課に対して情報提供を行ってください。

また、自ら治験を実施しようとする者が対象生物を用いて行う多施設共同の治験においては、原則として、治験の届出代表者が各実施医療機関と調整を行った後、一つの情報提供を提出してください。この場合、提出者の欄は治験の届出代表者のみ記載してください。なお、治験調整医師が代表して情報提供を行うことができない特段の事情がある場合には、各治験責任医師が、多施設共同治験であることがわかるように備考欄に記載してそれぞれ情報提供を行ってください。

(問6) 情報提供した項目のうち、どの項目の概要が J-BCH のウェブサイトに掲載されるのか。

(答6) 環境省通知では、(b) 改変した生物の分類学上の種、(e) 当該改変により付与された形質の変化、(g) 当該生物の用途、(h) 当該生物を使用した場合に生物多様性影響が生ずる可能性に関する考察の概要及び主務官庁名等を J-BCH のウェブサイトにて年度ごとに掲載するとされています。

(問7) 閉鎖系における使用等における適切な拡散防止措置とは、具体的にどのような程度のものが想定されるか。

(答7) ゲノム編集を施す生物の特性を踏まえ、「遺伝子組換え生物等の第二種

使用等のうち産業上の使用等に当たって執るべき拡散防止措置等を定める省令」(平成16年財務・厚生労働・農林水産・経済産業・環境省令第1号)や「遺伝子組換え微生物の使用等による医薬品等の製造における拡散防止措置等について」(平成16年2月19日付け薬食発第0219011号厚生労働省医薬食品局長通知)を参考に、各使用者でご判断ください。

(問8) ゲノム編集技術の利用により、細胞外で加工した核酸を含まない生物を海外の製造所で製造する場合(例えば、海外でバッチを製造し、日本で小分け以降の工程を行う場合)はどのように対応すればよいか。

(答8) 日本における工程に関しては答7と同様に対応してください。なお、対象生物であることが不明瞭である場合は、PMDAの「カルタヘナ法関連事項相談」を実施し、カルタヘナ法への該当性について確認することを検討してください。

(問9) 使用等の開始後、生物多様性への影響が生ずるおそれがあると判断した場合は、直ちに、生物多様性影響評価を防止するために必要な措置を執ることが求められているが、どのような措置を執る必要があるのか。

(答9) 使用等の開始後に核酸の残存が発覚した場合は、直ちに使用等を中止するとともに、速やかにカルタヘナ法に基づく第1種使用規程の承認を取得することが必要です。

一方、核酸は残存していないが、生物多様性に影響が生ずるおそれが発覚した場合は、カルタヘナ法に基づく第1種使用規程に準じたSOP等を使用者の責任において速やかに規定してください。

(問10) 使用等の開始後、生物多様性への影響が生ずるおそれがあると判断した場合は、速やかに医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課に報告することが求められているが、どのような事項を報告する必要があるのか。

(答10) 現時点で想定される報告事項としては、以下の3点が考えられます。

- ① どのような生物多様性影響が生ずるおそれがあるのか
- ② 核酸の残存の有無
- ③ 医薬品等の品質及び安全性への影響の有無

なお、③について、医薬品等の品質及び安全性へ影響がある場合は、別途、薬機法に基づく副作用又は不具合報告も必要であることに留意してく

ださい。