

研究結果報告書（概要）

研究課題名：遺伝子治療用製品の臨床使用における生物多様性影響評価に関する海外状況の把握

主たる研究者（所属部署）：平田 雅一（再生医療製品等審査部）

【目的】

遺伝子治療用製品は、目的の遺伝子を導入するために遺伝子組換えを行ったウイルスや微生物を用いる場合が多いが、製品が遺伝子組換え生物(GMO)を含む場合には、生物多様性条約のカルタヘナ議定書に基づく国内法が適用され、事前に生物多様性影響評価を実施しなければならない。その妥当性とそれに基づく使用規定の審査は遺伝子治療用製品の地検届の調査と同様に PMDA の業務の一つである。

海外では、医薬品の治験届出の受理や調査を行う組織と生物多様性影響の審査を行う組織は必ずしも一致しない。カルタヘナ議定書を批准していないために遺伝子治療用製品の臨床使用における生物多様性影響評価を求めていると思われる地域もある。しかし、そのような場合でも製品の承認審査時には環境影響評価を要求している地域もある。遺伝子治療用製品は対象患者が少ない等の理由から国際共同治験の実施が選択される場合も推定されるため、これらの製品に関する海外の状況を的確に把握しておく必要がある。本研究は、遺伝子治療用製品に関して、現状を確認し、集約して整理することにより、海外での審査の実施状況を明らかにする。本邦において遺伝子治療用製品の臨床使用に必要な手続きにおける審査で、治験薬概要書等、通常の治験相談等で用意される資料等を活用できうる情報を整理し、機構でのカルタヘナ法関連審査に資することを目的とする。

【研究方法】

本邦に近い規制となっている欧州連合（EU）の規制当局の公表資料、文献等により、EU 加盟各国における遺伝子組換え生物を用いた臨床研究等の実態を把握する。遺伝子治療用製品の分類、製品のライフサイクル等の側面から、審査体制や審査方式の比較を行い、治験薬概要書などの内容から本邦でのカルタヘナ法審査資料に用いることのできる情報を整理し、開発計画の過程でカルタヘナ法審査資料を充足させるのに有用な情報を提供できるように検討する。

【結果・考察】

EU では GMO の利用は、環境との接触を封じ込める **Contained use** と、それ以外の **Deliberate release** の 2 種類が認められており、本邦の第 2 種使用、第 1 種使用と類似している。EU 内での遺伝子治療臨床試験の実施件数は、英国、ドイツ、フランスの順にこれら 3 カ国が上位を占めているが、英国では **Contained use** 規制の下での実施が非常に多く、フランスでは **Contained use** 規制と **Deliberate release** 規制の両方の規制に沿った実施がなされている。ドイツでは、臨床試験は全て **Deliberate release** である。臨床試験計画の承認と、これら GMO 規制の審査は、英国では別の規制当局で実施されており、フランスとドイツは、窓口はほぼ一本化されている。公表されている 2003 年以降の **Deliberate use** での臨床試験件数では、これら 3 カ国の他、オランダ、スペインでの実施件数が多かった。米国 FDA は遺伝子治療用製品の承認審査時に環境影響評価結果の提出を求めている。

【結論】

欧米での遺伝子治療製品の使用では環境影響評価にもとづいてリスクレベルに応じた使用方法が採用されている。治験薬概要書の一部を第 1 種使用規定審査の資料とできる可能性が考えられた。