



遺伝子治療における 遺伝子組換え生物の取扱いについて

SAKURAI Akira, Ph.D.
Senior Scientist for Biopharmaceutical Quality
Center for Product Evaluation
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA), Japan

カルタヘナ法とは

正式名称：
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)

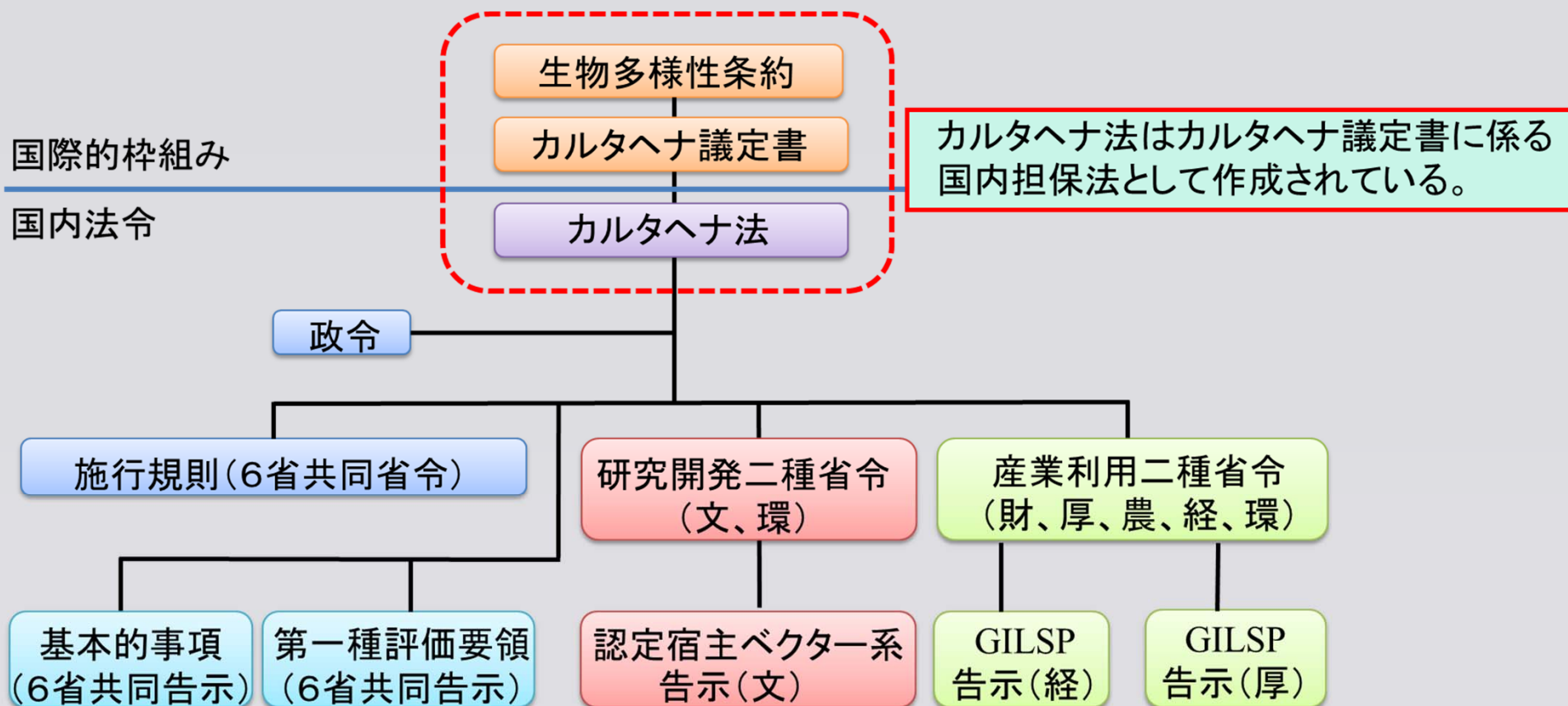
カルタヘナ法は略称です。

生物多様性条約における
「**生物の多様性に関する条約**のバイオセーフティに関する**カルタヘナ**議定書」
に基づいて制定されたため、カルタヘナ法と呼ばれる。

この法律の目的は生物の多様性を守ること

研究や農業も範疇です。

カルタヘナ法の体系図



医薬品等の製造、流通、治験などは厚労省の所掌。

生物の多様性に関する条約

生物多様性条約

カルタヘナ議定書

カルタヘナ法



目的

- 生物多様性の保全
- 生物多様性の構成要素の持続可能な利用
- 遺伝資源の利用から生ずる利益の公正かつ衡平な配分

概略

- 1993年に本邦締結(2023年時点で196か国が締結、USは未締結)
- ワシントン条約やラムサール条約の補完を目的
- **カルタヘナ議定書**(組換え生物の取り扱い)、名古屋議定書(利益の均等な配分)などは当該条約に基づく国際合意

生物の多様性に関する条約のバイオセーフティに関する カルタヘナ議定書

目的

- 特に**国境を越える移動**に焦点を合わせて、LMOの**安全な**移送、取扱い及び**利用**の分野において十分な水準の保護を確保することに寄与すること

※LMO (Living Modified Organisms) 現代のバイオテクノロジーにより改変された生物。組換えDNA技術及び科を越える細胞融合技術によって得られたもの

適用範囲

- **生物の多様性の保全及び持続可能な利用に悪影響(人の健康に対する危険も考慮したもの)を及ぼす可能性のあるLMOの国境を越える移動、通過、取扱い及び利用について適用**
- 医薬品である改変された生物の**国境を越える移動**については、適用しない

生物多様性条約

カルタヘナ議定書

カルタヘナ法

カルタヘナ法

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

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
- 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

対象

- 遺伝子組換え生物等(LMO)

以下の技術を用いて得られた核酸又は複製物を有する生物

- ・ 細胞外において核酸を加工する技術
- ・ 異なる分類学上の科に属する生物の細胞を融合する技術

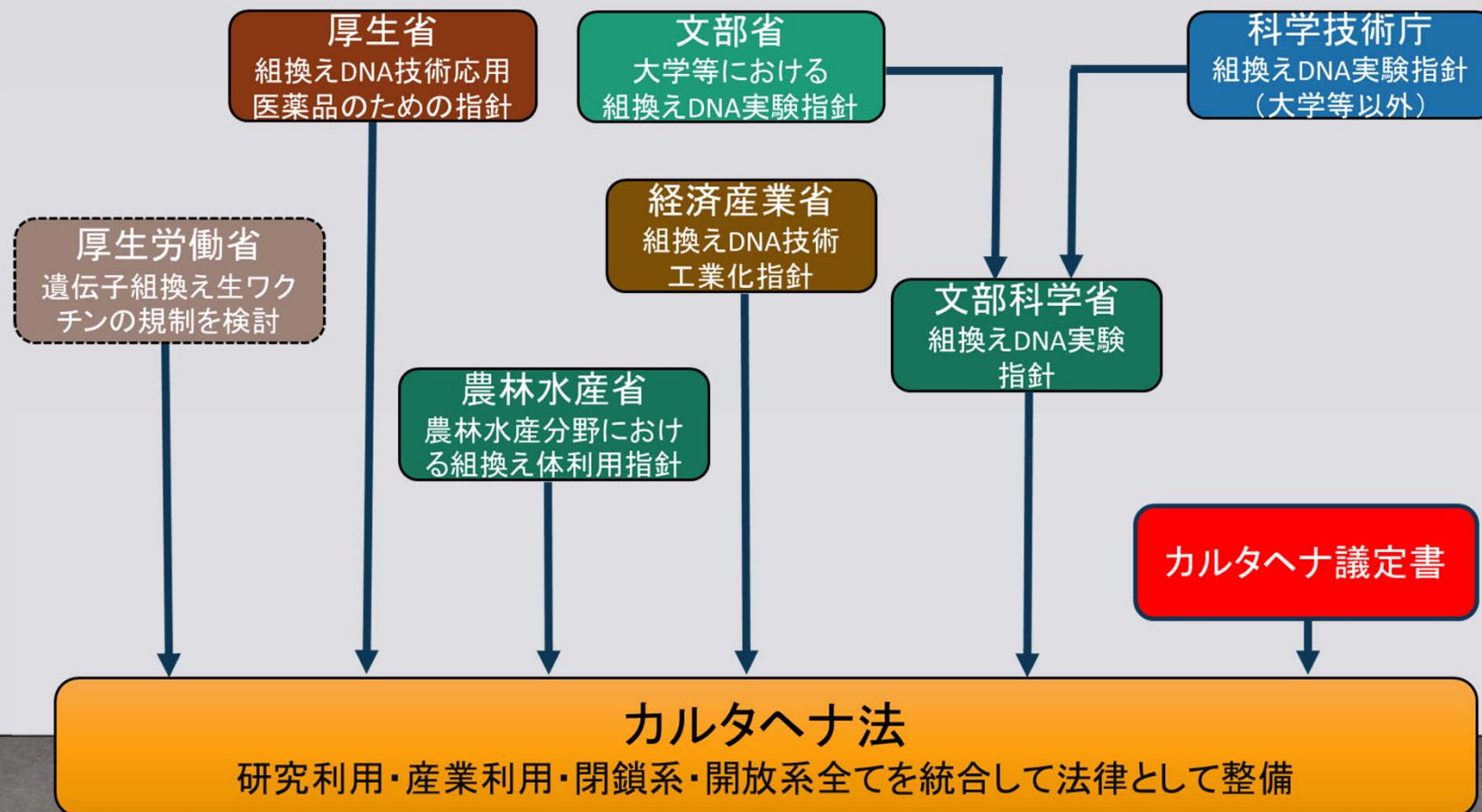
生物多様性条約

カルタヘナ議定書

カルタヘナ法

カルタヘナ法の経緯

議定書よりも広い適用範囲。



各省庁の所掌のイメージ

研究二種



研究
文部科学省

市場流通を想定しない

産業二種



農業・畜産等
農林水産省

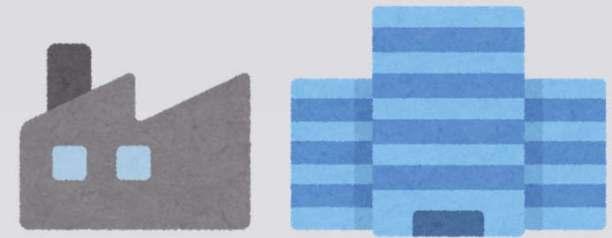


ヒト用医薬品等
厚生労働省

市場流通するもの



酒類
財務省



それ以外の流通品
経済産業省

遺伝子組換え体の拡散防止、環境影響評価の規制の各国比較

国名		カルタヘナ議定書 批准	環境影響評価	環境影響評価 根拠法	試験前の 環境影響評価 (審査期間)	承認申請時の 環境影響評価
日本		○	必要 試験開始前	平成15年法律第97号 (カルタヘナ法)	必要 (実績 ¹ : 0.9-4.3か月 中央値: 3.2か月)	規程を更新する ときのみ必要
英国		○	必要 試験開始前 及び 承認申請時	(試験開始前) DIRECTIVE 2001/18/EC DIRECTIVE 2009/41/EC に基づく 国内法 (承認申請時) EC/726/2004に基づき EMAが評価 英国はEU離脱以降は 国内法で対応	必要 (3-4か月 ²)	必要
EU	ドイツ	○			必要 (4-9か月 ²)	必要
	フランス	○			必要 (6か月以内 ²)	必要
米国		×	必要 承認申請時	The National Environmental Policy Act of 1969 (NEPA)	不要だが、 増殖性ウイルスのみ 試験届内で評価	必要

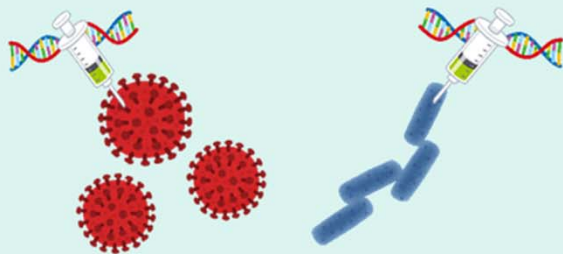
¹ 令和三年度の実績。 ² 出典 Regulatory Rapporteur, Volume 16, Issue 4, April 2019

カルタヘナ法は欧州のGMO規制を参考に作られているため基本構成は同じ。

カルタヘナ法の対象となる遺伝子組換え生物

カルタヘナ法上の組換え生物

遺伝子操作されたウイルス・細菌



遺伝子操作された動植物

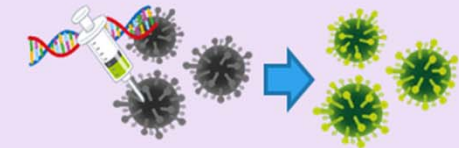


カルタヘナ法上の組換え生物には該当しない例

遺伝子組換えに該当しない



自然発生又は交配による作成



遺伝子操作後が自然界のものと同等

「生物」に該当しない



自然条件で個体にならないもの
(培養細胞など)



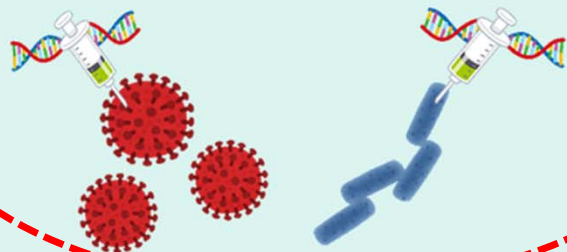
人間

遺伝子操作によって環境影響がありそうかに重点が置かれている。

カルタヘナ法の対象となる遺伝子組換え生物

カルタヘナ法上の組換え生物

遺伝子操作されたウイルス・細菌



遺伝子操作された動植物

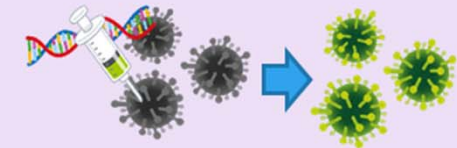


カルタヘナ法上の組換え生物には該当しない例

遺伝子組換えに該当しない



自然発生又は交配による作成



遺伝子操作後が自然界のものと同等

「生物」に該当しない



自然条件で個体にならないもの
(培養細胞など)



人間

遺伝子操作によって環境影響がありそうかに重点が置かれている。

カルタヘナ法の区分

区分	使用方法	審査のポイント	例示
第一種 使用規程 (承認)	開放系	設定した使用方法において、環境への影響及び第三者への伝播を防止可能かという観点で審査する	遺伝子治療用ウイルスベクター
	閉鎖系による拡散防止措置をとることなく、遺伝子組換え生物等を使用する		
第二種 拡散防止 措置 (確認)	閉鎖系	閉鎖系を構築する拡散防止措置が、対象となる遺伝子組換え生物等に対して適切に拡散を防止可能かを審査する。	CAR-T細胞を作成するためのウイルスベクター、タンパク質発現大腸菌など
	閉鎖系で遺伝子組換え生物等を使用する		

カルタヘナ法の区分

区分	使用方法	審査のポイント	例示
第一種 使用規程 (承認)	開放系	治験や市販において、環境への影響及び第三者への伝播を防止可能かという観点で審査する	遺伝子治療用ウイルスベクター
	閉鎖系による拡散防止措置をとることなく、遺伝子組換え生物等を使用する		
第二種 拡散防止 措置 (確認)	閉鎖系	製造や試験において、拡散防止措置が、対象となる遺伝子組換え生物等に対して適切に拡散を防止可能かを審査する。	CAR-T細胞を作成するためのウイルスベクター、タンパク質発現大腸菌など
	閉鎖系で遺伝子組換え生物等を使用する		

例外：ex vivo 遺伝子治療の細胞に活性のあるベクターが残存していれば
残存ベクターに対して第一種使用規程が必要

第一種使用規程と第二種使用等拡散防止措置の根本的な違い

第一種使用規程は、対象となる遺伝子組換え生物等を本邦で用いるためのルール。
国内で用いる限り全員がこのルールに従う必要がある。
したがって、施設ごとに出す必要はない。

国内全体が影響を受けます。

第二種使用等拡散防止措置は、対象となる遺伝子組換え生物等を申請した施設で用いるときのシステム。遺伝子組換え生物等と施設の組み合わせごとに別途設定される。

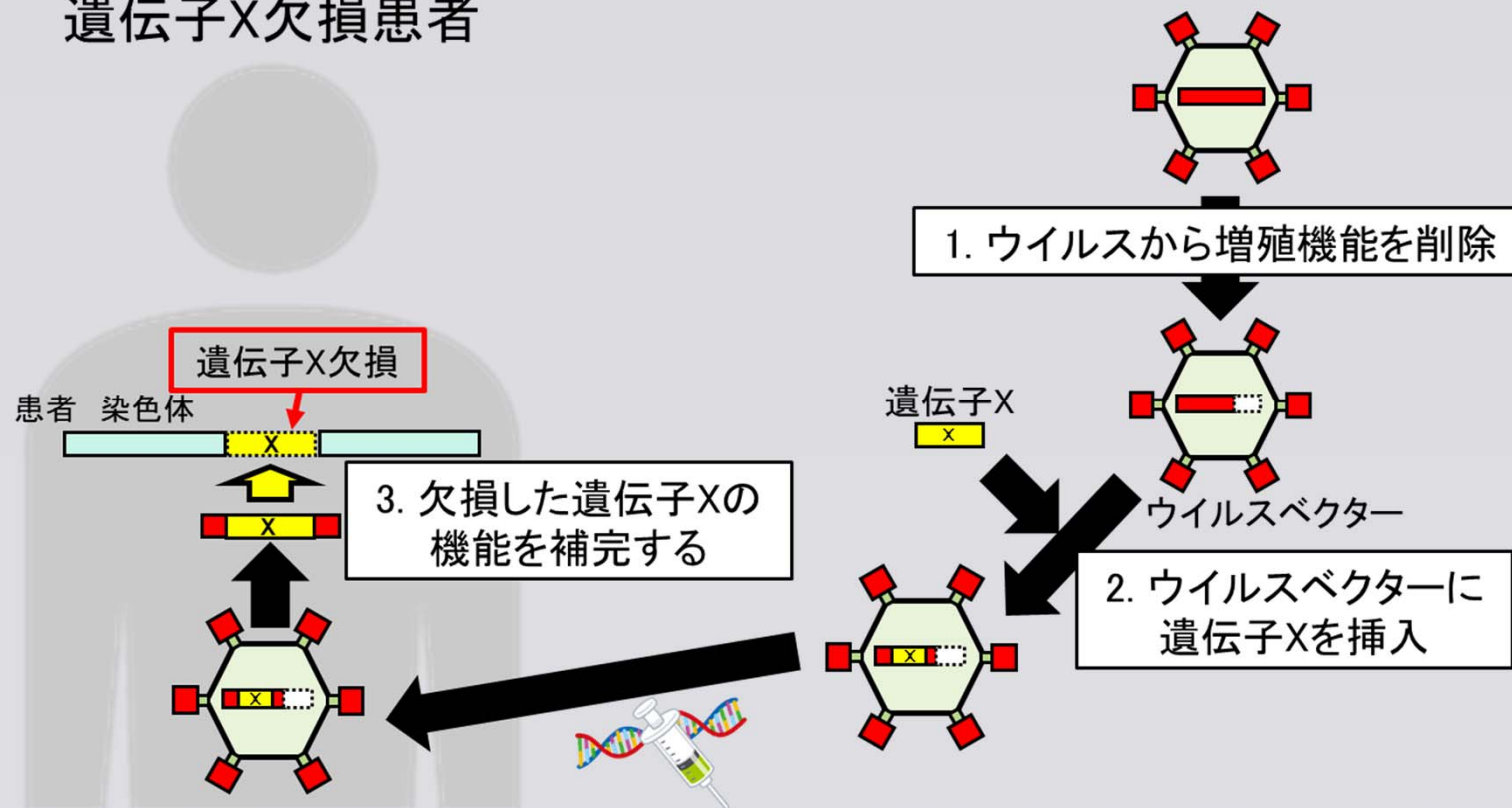
対象施設のみで完結します。

一般的に遺伝子組換え生物を用いるもの

- *in vivo*遺伝子治療（遺伝子治療用製品）
- ウイルスベクターワクチン
- *ex vivo*遺伝子治療（ヒト細胞加工製品）

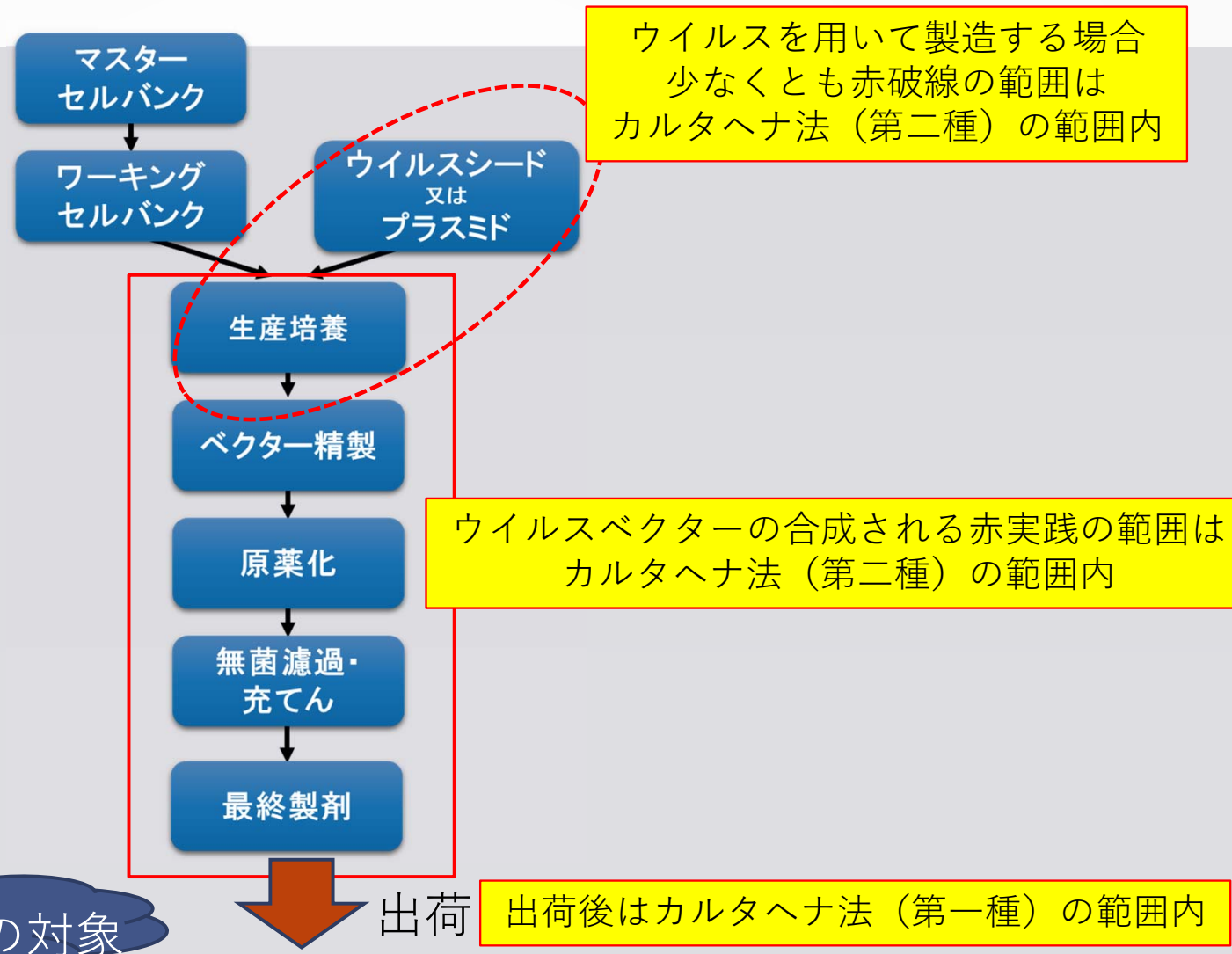
in vivo 遺伝子治療のイメージ

遺伝子X欠損患者

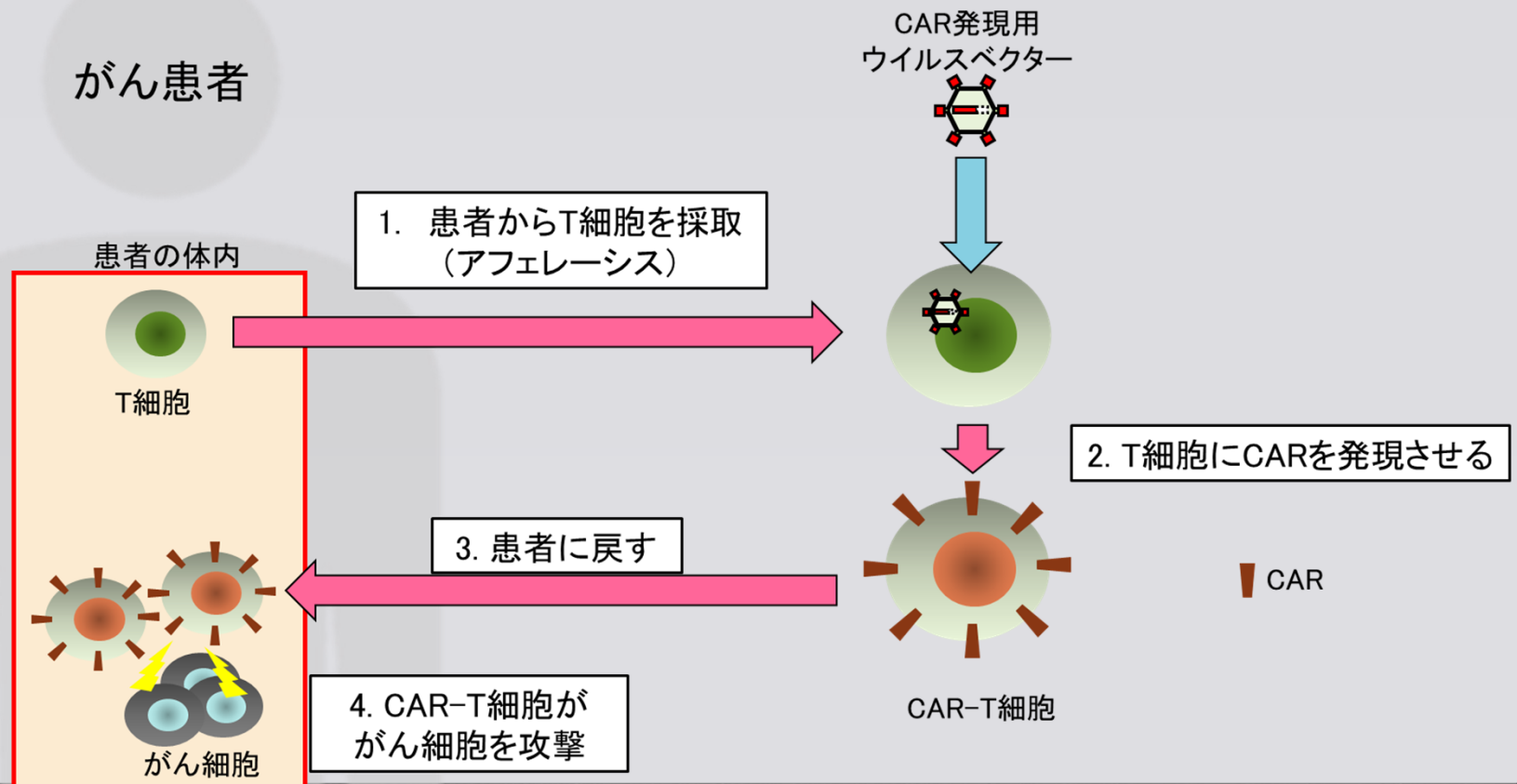


ベクターを投与するので「遺伝子治療用製品」

in vivo 遺伝子治療製品の 製造工程例



ex vivo 遺伝子治療のイメージ

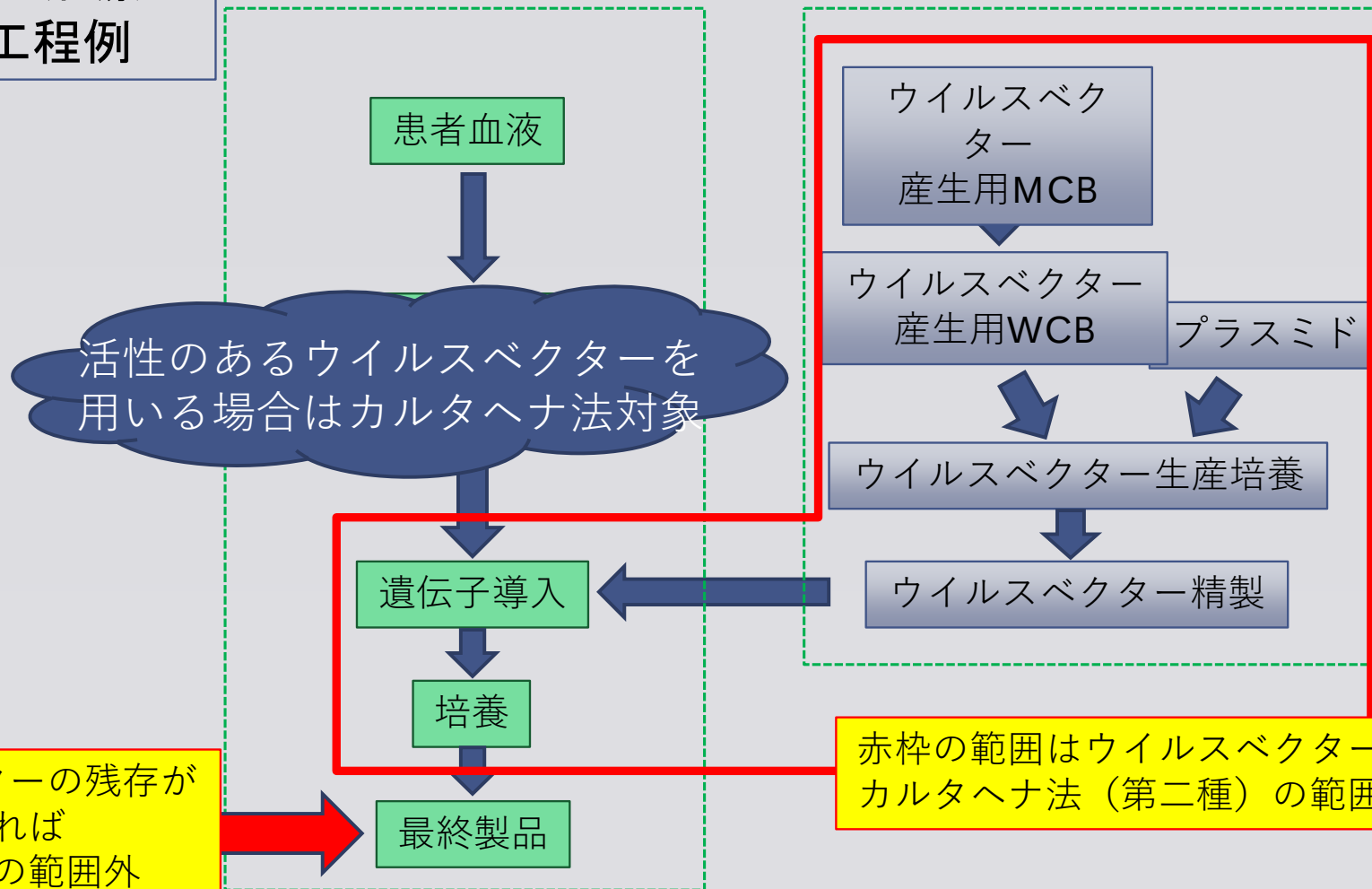


細胞を投与するので「細胞加工製品」

ex vivo 遺伝子治療の
細胞製造工程例

CAR-T細胞の製造工程

ウイルスベクターの製造工程



最終製品はベクターの残存が
否定できれば
カルタヘナ法の範囲外

赤枠の範囲はウイルスベクターを用いるため
カルタヘナ法（第二種）の範囲内



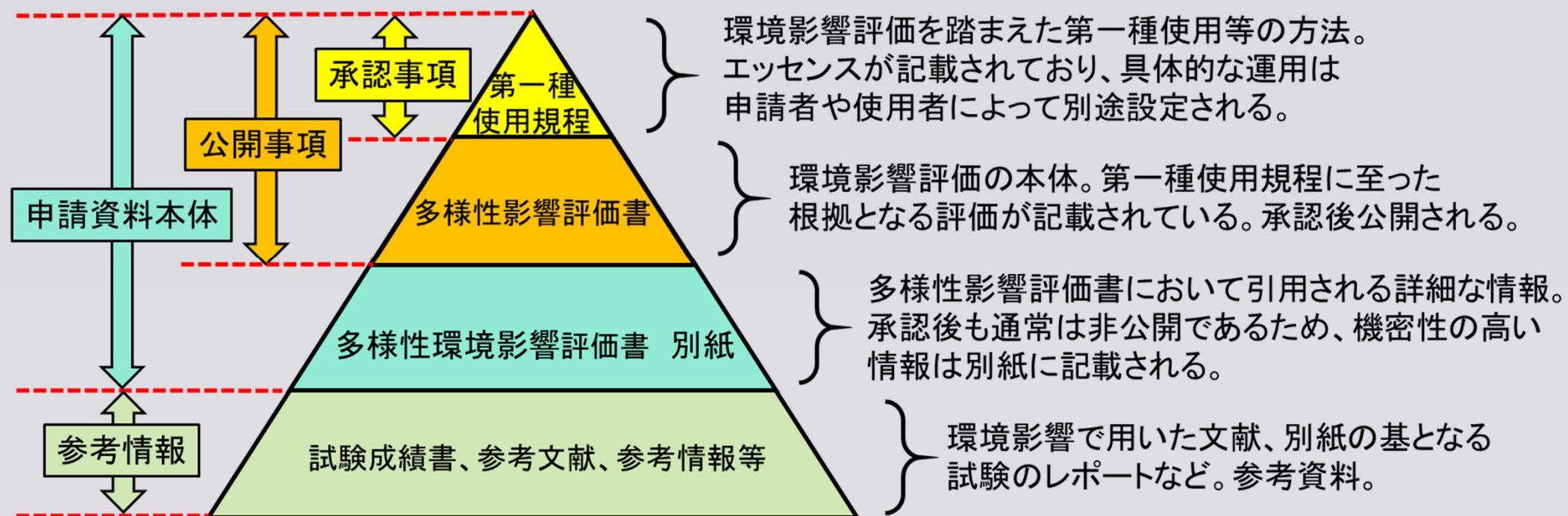
カルタヘナ法 第一種使用規程の考え方

//////////////////// カルタヘナ法第一種使用規程とは

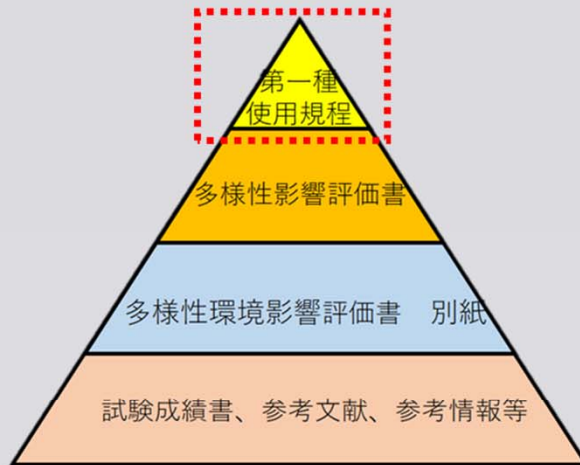
対象となる遺伝子組換え生物等について、
特定の施設等に限定せず使用する場合は使用規程の順守が必要。

- 第一種使用規程は大臣の承認が必要
- 第一種使用規程自体は詳細なルールではなくエッセンス
- 誰であろうとも国内で使用する場合は使用規程の順守が必要。
- 内容については告示として公開される。
- 臨床研究、治験、臨床使用を始める前に第一種使用規程の承認が必要。

第一種使用規程承認申請書における資料構成



第一種使用規程承認申請書



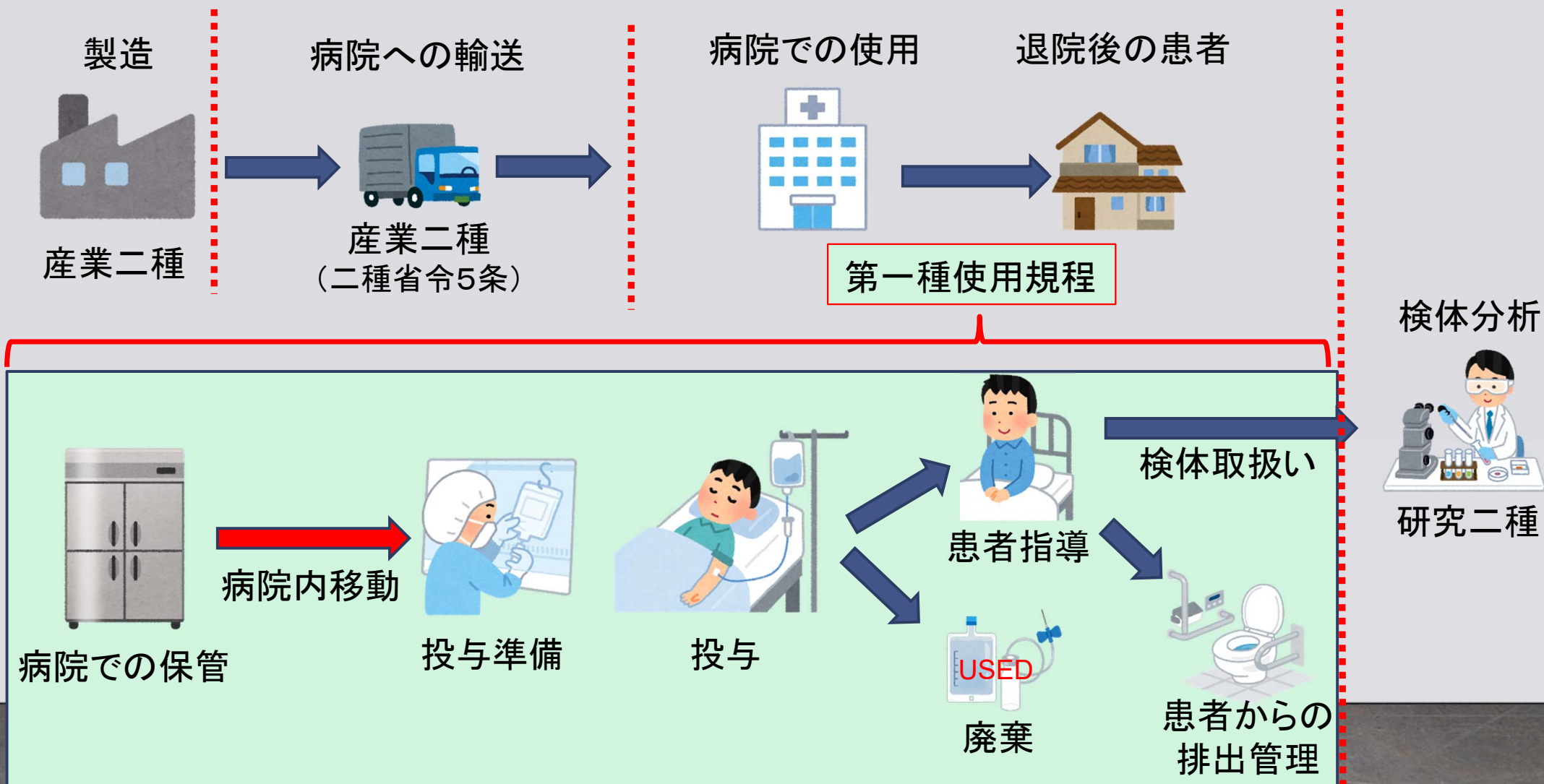
記載内容

本遺伝子組換え生物等の原液の保管
 本遺伝子組換え生物等の原液の希釈液の調製及び保管
 運搬
 患者への投与
 投与後の患者からの排出の管理
 患者検体の取り扱い
 感染性廃棄物等の処理

様式第1（第7条関係）

第一種使用規程承認申請書	
令和 年 月 日	
厚生労働大臣 殿 環境大臣 殿	
氏名 ○○○○株式会社 申請者 代表取締役 ○○ ○○ （印） 住所 東京都○○	
第一種使用規程について承認を受けたいので、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条第2項（同法第9条第4項において準用する場合を含む。）の規定により、次のとおり申請します。	
遺伝子組換え生物等の種類の名称	
遺伝子組換え生物等の第一種使用等の内容	ヒトの遺伝子治療を目的とした投与、保管、運搬及び廃棄並びにこれらに付随する行為
遺伝子組換え生物等の第一種使用等の方法	本遺伝子組換え生物等の原液の保管 (1) 本遺伝子組換え生物等の原液は、容器に密封された状態で遺伝子組換え生物等である旨を表示し、治療施設内の適切に管理された【冷凍庫／冷蔵庫】において保管する。 本遺伝子組換え生物等の原液の希釈液の調製及び保管 (2) 本遺伝子組換え生物等の原液の希釈液の調製は、治療施設の他の区画と明確に区別された作業室内で行い、作業室内での本遺伝子組換え生物等の拡散を最小限に留める。 (3) 希釈液は、容器に入れ、漏出しない状態で保管する。 運搬 (4) 本遺伝子組換え生物等の治療施設内での運搬は、漏出させない措置を

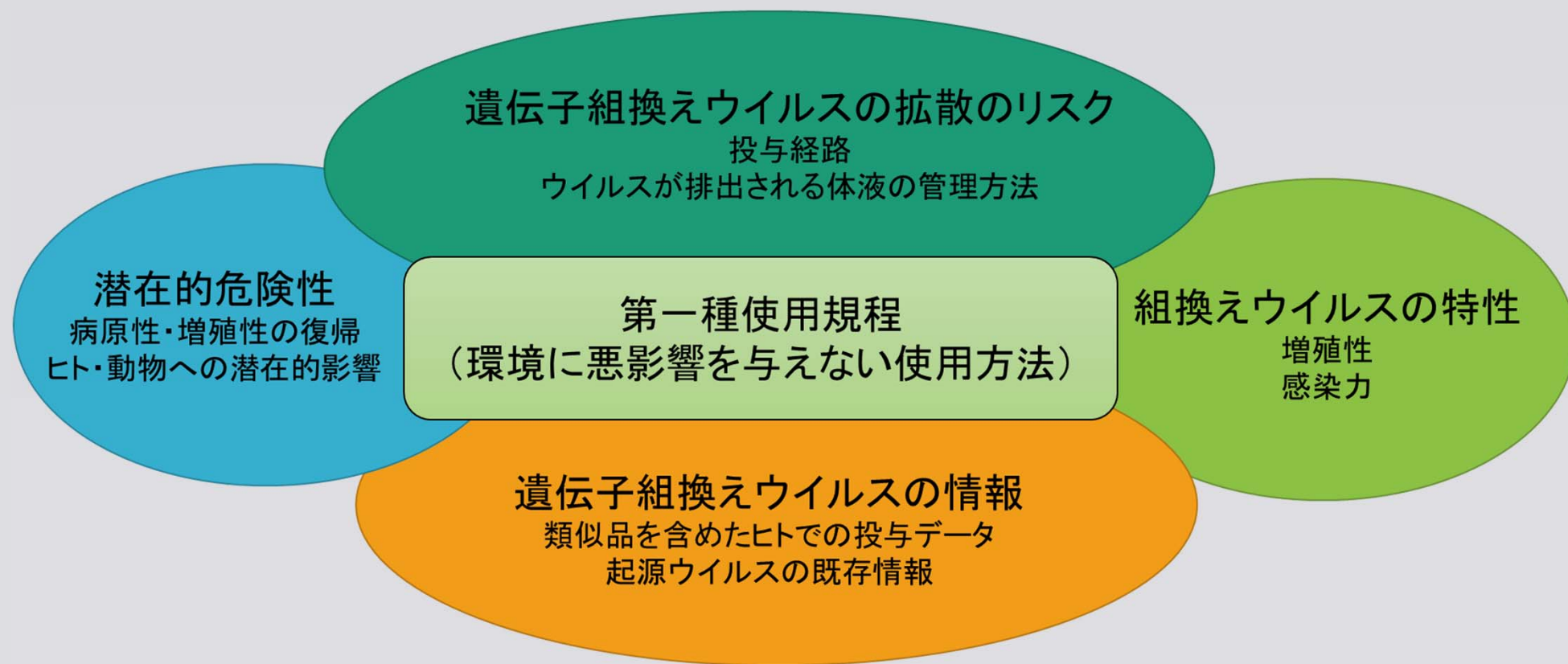
第一種使用規程の範囲のイメージ



カルタヘナ法第一種使用規程承認申請のポイント

- 遺伝子組換え生物等を開放系で使用するためには、第一種使用規程の承認申請が**必須**です。
- 対象となる遺伝子組換え生物等の開放系での使用方法(**第一種使用規程**)の適切性が審査されます。
- 審査のためには、遺伝子組換え生物等の環境へ与える影響を評価した**生物多様性影響評価書**を提出し、申請した第一種使用規程に基づき使用すれば、環境への悪影響はないことを示す必要があります。

環境へ悪影響を与えないルールを設定する





カルタヘナ法 第二種使用等拡散防止措置の考え方

カルタヘナ法第二種使用等拡散防止措置とは

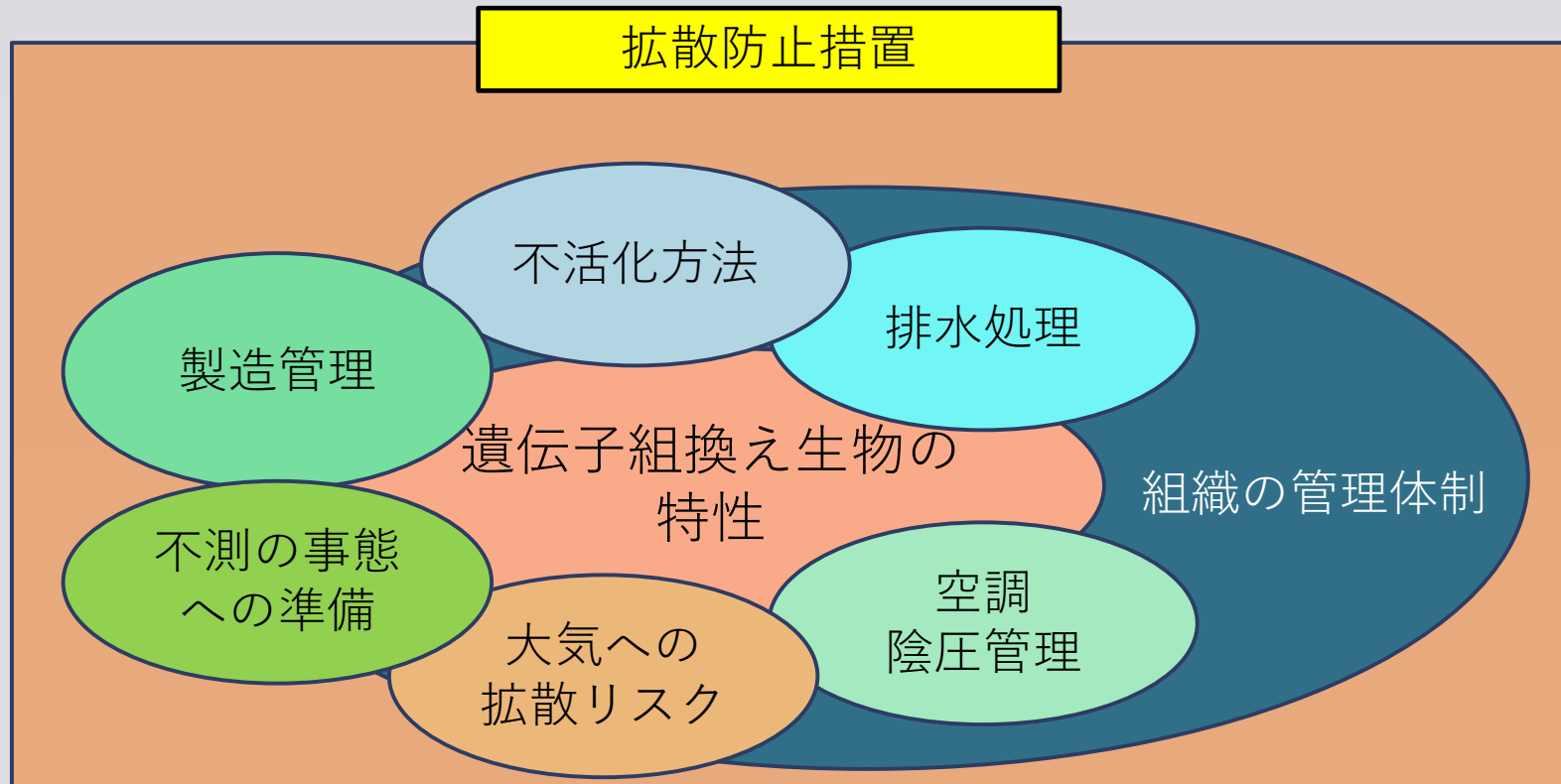
対象となる遺伝子組換え生物等について、
施設外へ拡散しないように設定されている措置（ハード・ソフト）。

- 第二種使用等拡散防止措置は施設ごとに確認される
- 施設の機能の確認であり、大臣確認が必要（一部確認不要なものもあり）
- 使用する遺伝子組換え生物の拡散能力に応じて措置が変わる。
- 内容については施設情報なので公開されない。
- 治験薬・市販薬の製造を始める前に大臣確認が必要（一部例外あり）

カルタヘナ法第二種使用等拡散防止措置確認申請のポイント

- 遺伝子組換え生物等がGILSP告示に記載されている宿主、供与核酸の組み合わせであれば、産業二種省令の要求を満たす施設を用いる必要がありますが、第二種使用等にあたって大臣確認は不要です。
- 大臣確認が必要な場合、対象となる遺伝子組換え生物等の特徴（遺伝子配列、病原性、不活化手段など）と施設の拡散防止措置の内容を提示し、施設の拡散防止措置の手段が当該遺伝子組換え生物等の拡散防止に適切であることを説明する必要があります。

環境へ放出しない体制を構築する





カルタヘナ法の手続きについて

カルタヘナ法（第一種）の事務処理期間

	2019年度（8件）	2020年度（6件）	2021年度（8件）	2022年度（15件）
行政側事務処理期間 （通知上の処理期間6カ月）	4.7カ月 （2.6カ月-6.6カ月）	4.2カ月 （3.6カ月-6.3カ月）	3.2カ月 （0.9カ月-4.3カ月）	3.3カ月 （1.3カ月-5.3カ月）
総事務処理期間（参考値）	5.9カ月 （3.2カ月-9.9カ月）	6.6カ月 （5.1カ月-10.5カ月）	3.5カ月 （0.9カ月-4.9カ月）	5.0カ月 （1.3カ月-7.5カ月）

中央値
（最小値-最大値）

- 2019年以降の運用改善により、申請者側の手続きの利便性が向上しており、2021年度には大幅な事務処理期間の改善も認められている。
- COVID-19ワクチンの審査は特例対応により数週間で審査を終えているため集計からは除外。
- 申請者の処理期間について目標値は設定していないため、総事務処理期間は参考値。
- 2018年度以前は運用が大きく異なり比較できないため除外。

カクタヘナ法（第二種）の事務処理期間

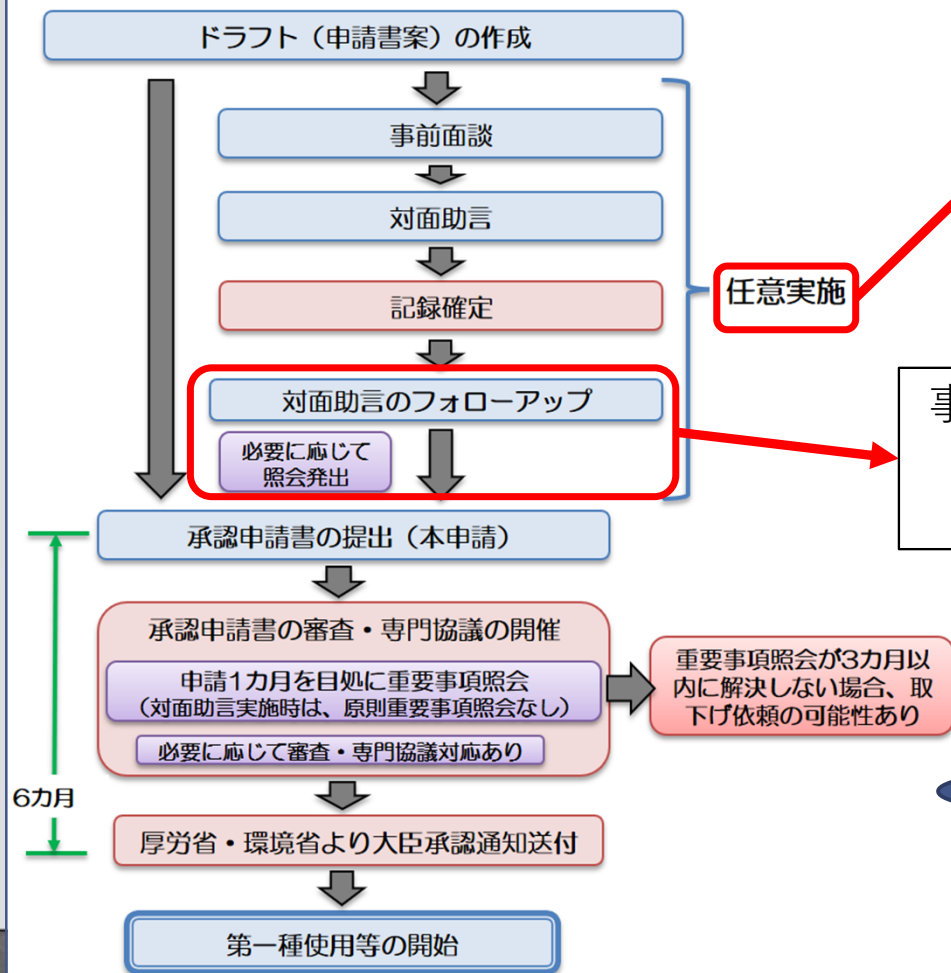
	2019年度(28件)	2020年度(45件)	2021年度(50件)	2022年度(18件)
行政側事務処理期間 (通知上の処理期間3カ月)	0.9カ月 (0.3カ月-1.2カ月)	1.1カ月 (0.2カ月-2.1カ月)	0.8カ月 (0.2カ月-2.9カ月)	1.3カ月 (0.6カ月-2.1カ月)
総事務処理期間(参考値)	0.9カ月 (0.3カ月-1.2カ月)	1.1カ月 (0.2カ月-2.1カ月)	0.8カ月 (0.2カ月-4.5カ月)	1.5カ月 (0.6カ月-6.2カ月)

中央値
(最小値-最大値)

- 第二種申請は以前から時間はかかっていなかったが、事前の手続きの撤廃により申請者の利便性が増した。なお、新規性が高くかつ環境へ影響を与える恐れのある遺伝子組換え生物等は、審査中に専門家の意見を聴取する可能性がある。
- COVID-19関連の審査は特例対応により数日で審査を終えているため集計からは除外。
- 申請者の処理期間について目標値は設定していないため、総事務処理期間は参考値。

対面助言の活用 (第一種)

第一種承認申請の流れ



申請前に機構の助言を利用するかどうかは
完全に任意です。
申請が初めてならお勧めします。

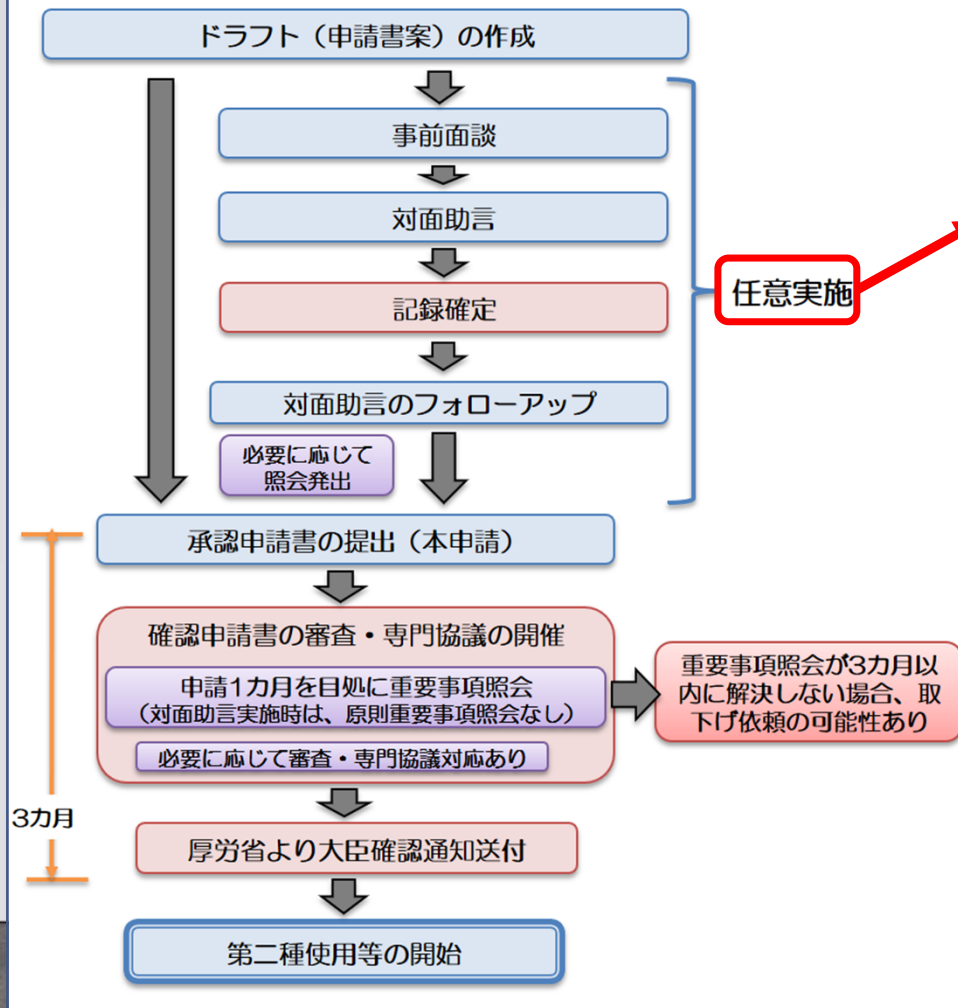
事前審査前相談（対面助言）を活用した場合に限り
機構は無料でフォローアップします。
(希望者のみ)

有料のサポートになります。

対面助言の活用 (第二種)

申請前に機構の助言を利用するかどうかは
完全に**任意**です。
一般的な組換え生物
(大腸菌、AAVベクターなど) の
第二種の対面助言は**非推奨**です。

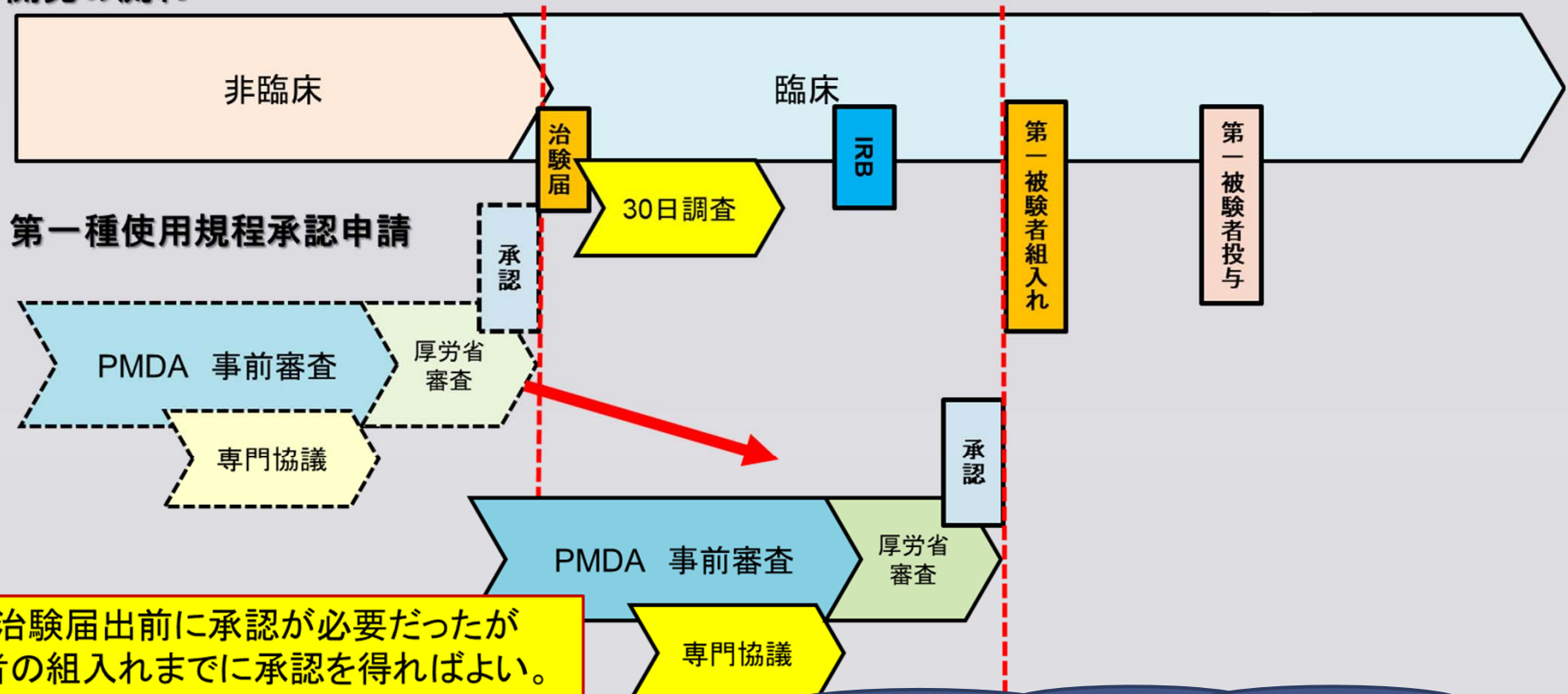
第二種確認申請の流れ



特殊な生物を使う場合のみ
対面助言を検討してください。

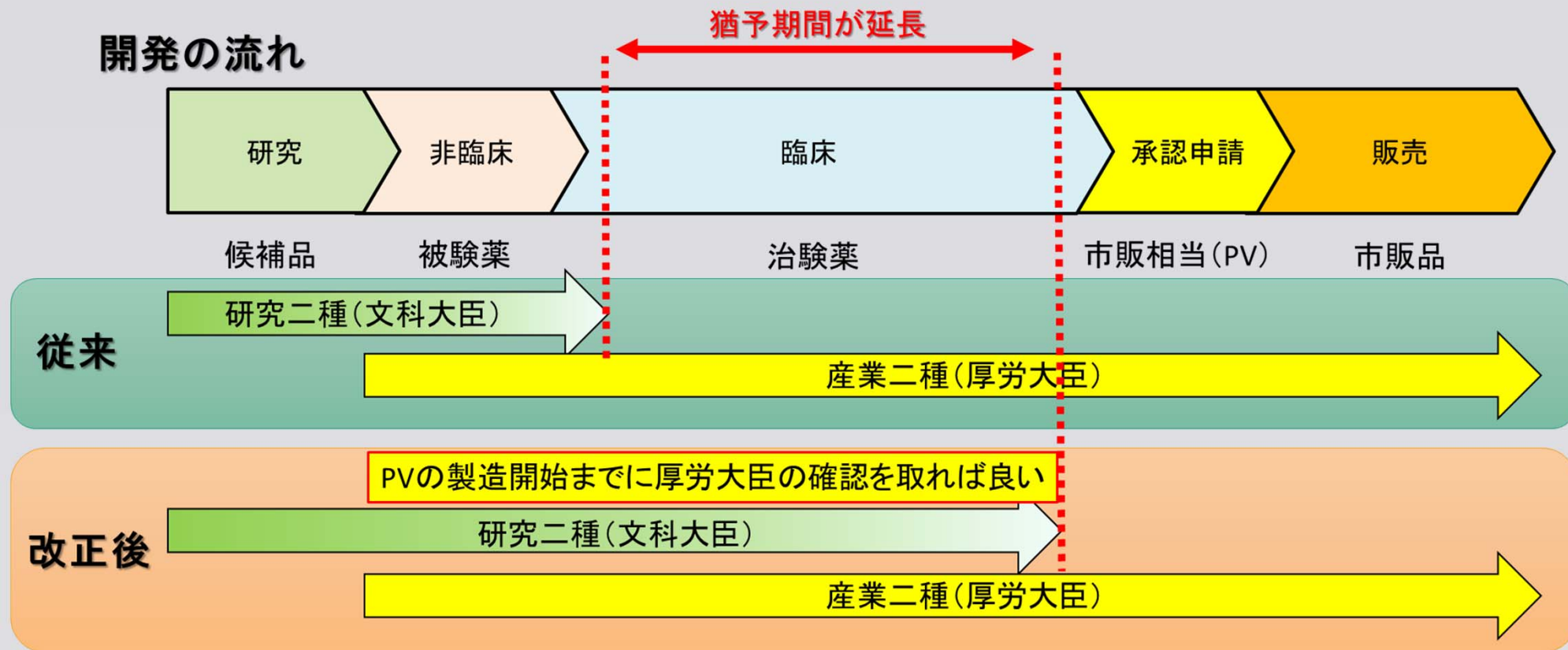
第一種使用規程承認のリミット

開発の流れ



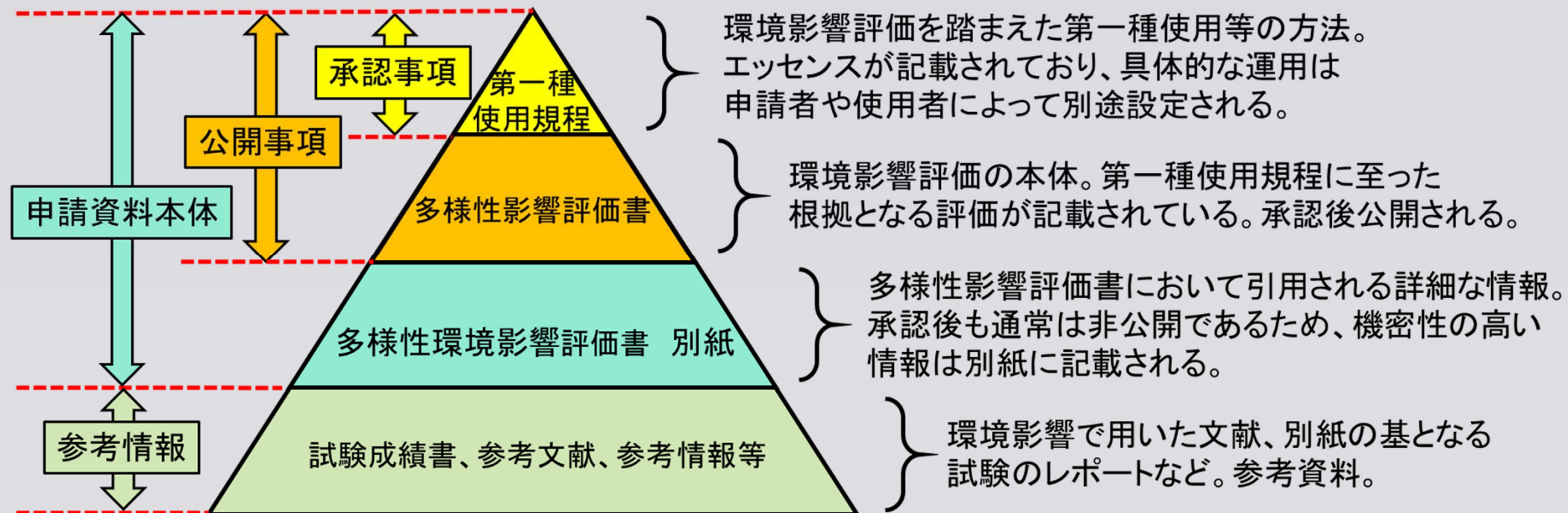
IRBや他の準備に承認が必要なこともあります。

第二種使用規程承認のリミット



本邦開発なら研究二種でPV製造直前まで猶予期間があります。

第一種使用規程承認申請書における資料構成



第一種の記載例

[ホーム](#)
[審査関連業務](#)
[安全対策業務](#)
[健康被害救済業務](#)
[レギュラトリーサイエンス・基準作成調査・日本薬局方](#)
[国際活動 \(ICH-IMDRF等\)](#)

[このページをよくみるページ一覧に追加する](#)
[本文のみ印刷する](#)

[ホーム](#) > [審査関連業務](#) > [承認審査業務\(申請、審査等\)](#) > [カルタヘナ法に係る申請](#) > [様式・法令・通知](#)

[審査関連業務](#)

- 審査関連業務の概要
- 相談業務
- 治験関連業務
- 承認審査業務(申請、審査等)
- 申請等手続き
- 審査等について
- 承認情報
- 原薬等登録原簿(MF)

[医薬品加剤](#)

- 外国製造業者の手続き等
- カルタヘナ法に係る申請

[様式・法令・通知・関連情報等](#)

- 輸出証明

[製造業許可関連調査業務](#)

- 信頼性保証業務 (GLP/GCP/GSP)
- GMP/QMS/GCTP適合性調査業務
- 再審査・再評価・使用成績評価業務
- 登録証証機関に対する調査業務

[審査等手数料・対面助言等](#)

様式・法令・通知・関連情報等

1. 様式・記載例

第一種使用等関係

手続	様式等の名称	備考
1	第一種使用規程承認申請 (第一種使用規程変更申請も同一の様式)	<第一種使用規程承認申請書> - 第一種使用規程承認申請書(施行規則様式第1) ㉔ - アデノ随伴ウイルス(令和5年4月版) ㉔ - アデノウイルス、ヘルペスウイルス(令和5年4月版) ㉔ - レンチウイルス等遺伝子導入細胞(令和3年12月版) ㉔ <生物多様性影響評価書> - 生物多様性影響評価書(平成19年9月13日付け薬食発第0913005号別紙様式) ㉔ - 生物多様性影響評価書の記載留意事項に関する補足解説(令和5年4月版) ㉔ - アデノ随伴ウイルス(令和5年2月版) ㉔
2	第一種申請書差換え	差換え願(令和4年2月3日付け事務連絡別紙第2) ㉔ (新旧対照表付)
3	第一種住所等変更届出	住所等変更届出書(施行規則様式第2) ㉔

第一種使用規程の記載例

様式第1 (第7条関係)

第一種使用規程承認申請書 令和 年 月 日

厚生労働大臣 殿
環境大臣 殿

氏名 ○○○○株式会社
申請書 代表取締役 ○○ ○○ (印)
住所 東京都○○

第一種使用規程について承認を仰ぐため、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条第2項 (同法第9条第4項において準用する場合を含む。)の規定により、次のとおり申請します。

遺伝子組換え生物等の種類	遺伝子組換え生物等の使用等の第一種使用規程等の内容
ヒトの遺伝子治療を目的とした胎芽、胚芽、臓器及び胎盤並びにこれらに付随する行為	本遺伝子組換え生物等の原産の確保
本遺伝子組換え生物等の原産の確保	(1) 本遺伝子組換え生物等の原産は、管轄に属した状態で遺伝子組換え生物等である旨を表示し、治験施設内の適切な管理された【冷凍庫/冷蔵庫】において保管する。
本遺伝子組換え生物等の原産の確保及び保管	(2) 本遺伝子組換え生物等の原産の確保の確保は、治験施設の他の医師と明確に区別された作業室内で行い、作業室内での本遺伝子組換え生物等の取扱を最小限に留める。
本遺伝子組換え生物等の原産の確保及び保管	(3) 汚損等は、管轄に入れ、漏出しなく状態で保管する。
治験	(4) 本遺伝子組換え生物等の治験施設内での運搬は、漏出させない措置を

生物多様性影響評価書の記載例

AAV 記載例
令和3年11月版

生物多様性影響評価書

1 宿主又は宿主の属する分類上の種に関する情報

1. 分類上の位置付け及び自然状態における分布状況
rep及びcap遺伝子を欠失し、アデノ随伴ウイルスの遺伝子に由来するキャプシンタンパク質及びアデノ随伴ウイルスの遺伝子に由来するIIRを有し、ヒト○○を感染する遺伝子組換えアデノ随伴ウイルス⁽¹⁾ (株名、以下「本遺伝子組換え生物等」という。)の宿主は、パルボウイルス科 (Parvoviridae) パルボウイルス属 (Parvovirinae) デペンシウイルス属 (Dependovirus) に属するヒトアデノ随伴ウイルス (adeno-associated virus) (以下、AAV) と呼ばれるウイルスの一つである (図表1、2⁽²⁾)。

AAVの無生殖伝播 (AAV2、AAV4等) では、生殖伝播の歴史より、或人の胎盤が中核作用を有するとされるが、ヒトへの感染性を有するAAVの種別はない。

AAVの宿主は、自己複製能力を欠落しており、感染細胞における複製は、アデノウイルスのpAプロモーターの機能に依存するため、ヘルペスウイルスと近縁に感じられることが多い。

本遺伝子組換え生物等のゲノムの一部は、adeno-associated virus-○ (以下「AAV○」という。)、ヒトキャプシンタンパク質は、adeno-associated virus-○ (以下「AAV○」という。)に由来する。

自然環境及び実験室内において、ヒト以外の動物での複製は観察されていない⁽³⁾。

(注1) 日本とキャプシンの位置関係は異なる場合の記載。日本とキャプシンの位置関係は異なる場合、rep及びcap遺伝子を欠失し、ヒト○○を感染する遺伝子組換えアデノ随伴ウイルス⁽⁴⁾とし、●にはrepとキャプシンの位置関係を記載する。

(注2) 宿主又は宿主の属する分類上の種に関する情報は、自然環境に存在しない。したがって、自然環境に存在しないことを示す。

(注3) 本記載例に示した記載は記載例とし、申請内容が変更された場合には記載を修正すること。また、本記載例は生物多様性への影響の軽減に努めること、申請書の提出と後述の補足説明を併せて行うこと、以後の対応について示す。

AAVの情報は
充実しています。

第二種の記載例

第二種使用等関係			
手 続	様式等の名称	備 考	
5	第二種使用等拡散防止措置確認申請 (チェックリスト) ・ 第二種使用等拡散防止措置確認申請書(産業二種省令様式第1) ㉔ ・ 第二種使用等拡散防止措置確認申請書(遺伝子組換え微生物)チェックリスト(2022年3月版) ㉔ ・ 申請書の記載例について(平成16年7月30日 事務連絡) ㉔ ・ 品質試験のみを行う製造所(令和4年6月版) ㉔ ・ アデノ随伴ウイルスの製造を行う製造所(令和5年2月版) ㉔	品質試験記載例とアデノ随伴ウイルス製造記載例は適宜相互にど参照ください。	
6	第二種申請書差換え ・ 差換え届(令和4年2月3日付け事務連絡別紙6) ㉔ (新旧対照表付)		
7	第二種住所等変更届出 ・ 住所等変更届出書(令和4年2月3日付け事務連絡別紙3) ㉔ (記載例付)	対象となる変更手続 ・ 申請者の名称(会社名、大学名、病院名等)、所在地の変更 ・ 代表者(代表取締役社長、学長、病院長等)の交代に伴う氏名の変更 ・ 製造所の名称、所在地の変更	
8	第二種軽微変更届出 ・ 変更届出書(令和4年2月3日付け事務連絡別紙2) ㉔ (新旧対照表付)	・ 対象となる軽微変更手続については、 カルタヘナ法Q&A ㉔の問33をご参照ください。その上でご質問がある場合は、カルタヘナ関連相談事前面談をお申し込みください。	

製造を行わず、品質試験を行う場合

※遺伝子組換え生物等の製造をせず、品質試験のみを行う場合の記載例

様式第一 (第7条関係) ㉔ 第二種使用等拡散防止措置確認申請書 ㉔ 令和〇年〇月〇日 ㉔

厚生労働大臣 殿 ㉔

氏名 ㉔ ○〇〇株式会社 ㉔
 申請者 ㉔ 代表取締役社長 ○〇 ○〇 ㉔
 住所 ㉔ 東京都〇〇 ㉔

遺伝子組換え生物等(遺伝子組換え微生物)の第二種使用等をするに於ける拡散防止措置の確認を受けたいので、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条第1項の規定により、次のとおり申請します。 ㉔

遺伝子組換え生物等の種類 ㉔ 〇〇〇〇株(株名) ㉔

【記載例】 ㉔
 rep 及び cap 遺伝子を欠失し、●●を発現するアデノ随伴ウイルス◆型(株名) ㉔

【チェックリストより引用】 ㉔
 6. 遺伝子組換えアデノ随伴ウイルスの場合は以下の名称を原則とする。 ㉔
 <ITR とキャプシドの血清型(●)が同じ場合> ㉔
 rep 及び cap 遺伝子を欠失し、●●を発現するアデノ随伴ウイルス◆型(株名) ㉔
 <ITR ㉔ とキャプシド ㉔ の血清型の由来が異なる場合> ㉔
 rep 及び cap 遺伝子を欠失し、アデノ随伴ウイルス◆型に由来するキャプシドタンパク質及びアデノ随伴ウイルス■型に由来する ITR を有し、●●を発現するアデノ随伴ウイルス(株名) ㉔
 7. 当該遺伝子組換え生物等の第一種使用規程が承認されている場合は、名称を補えること。 ㉔

第二種使用等をしようとする場所 ㉔ 〇〇株式会社 世田谷工場 ㉔

製造を行う場合

様式第一 (第7条関係) ㉔ 第二種使用等拡散防止措置確認申請書 ㉔ 令和〇年〇月〇日 ㉔

厚生労働大臣 殿 ㉔

氏名 ㉔ ○〇株式会社 ㉔
 申請者 ㉔ 代表取締役社長 ○〇 ○〇 ㉔
 住所 ㉔ 東京都〇〇 ㉔

遺伝子組換え生物等(遺伝子組換え微生物)の第二種使用等をするに於ける拡散防止措置の確認を受けたいので、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条第1項の規定により、次のとおり申請します。 ㉔

遺伝子組換え生物等の種類 ㉔ 〇〇株(株名) ㉔

【記載例】 ㉔
 <キャプシドの血清型(●)と ITR の血清型(●)が同じ場合> ㉔
 rep 及び cap 遺伝子を欠失し、○○を発現するアデノ随伴ウイルス◆型(株名) ㉔

【記載例】 ㉔
 <キャプシドの血清型(●)と ITR の血清型(■)が異なる場合> ㉔
 rep 及び cap 遺伝子を欠失し、アデノ随伴ウイルス◆型に由来するキャプシドタンパク質及びアデノ随伴ウイルス■型に由来する ITR を有し、○○を発現するアデノ随伴ウイルス(株名) ㉔

第二種使用等をしようとする場所 ㉔ 〇〇株式会社 〇〇工場 ㉔

所在地 ㉔ 郵便番号〇〇〇-〇〇〇〇 ㉔
 東京都〇〇 ㉔

【留意事項】 ㉔
 ※製造施設が複数あり、住所が複数となる場合であっても、管理体制が同一の場合には、1住所として提出すること。 ㉔

治療施設におけるカルタヘナ法第一種使用規程対応マニュアル
カルタヘナ法第一種使用規程承認申請 アデノ随伴ウイルス（2020.10.15 版）対応
2020 年 12 月 9 日版

カルタヘナ法第一種使用規程対応マニュアル

－ 治療施設における遺伝子組換え生物の適正使用について －

国立成育医療研究センター

国立精神・神経医療研究センター



<https://www.ncchd.go.jp/scholar/research/section/genetics/kisei.html>

治療施設におけるカルタヘナ法第一種使用規程対応マニュアル
カルタヘナ法第一種使用規程承認申請 アデノ随伴ウイルス（2020.10.15 版）対応
2020 年 12 月 9 日版

目次

緒言	3
本遺伝子組換え生物等の原液の保管	8
本遺伝子組換え生物等の原液の希釈液の調製及び保管	10
運搬	14
患者への投与	16
投与後の患者からの排出等の管理	18
患者検体の取扱い	22
感染性廃棄物等の処理	24
注意事項	26
参考資料 1：AAV ベクターにおける作業ごとの个人防护具（PPE）の使用例	27
参考資料 2：ポスター及びラベルの掲示例	28



カルタヘナ法のまとめ

- 遺伝子治療用製品の開発でカルタヘナ法の対象となるのはウイルスベクター。細胞側は対象にはならない
- 第一種は開放系での使用。治験や市販が該当する。
- 第二種は閉鎖系での使用。製造施設や試験施設が該当する。
- 第一種の承認期限は一人目の被験者の組入れまで。（行政的には）
- 第二種は文部科学大臣の確認済みであれば、**PV**製造までが承認期限。
- 一般的な内容の記載例は全て**PMDA**のウェブサイトには提示されているため、それを参考に申請可能。
- 病院での実態となる手順は**PMDA**では限界があるため、成育医療センター等の公開情報を活用することが望ましい。

ご視聴ありがとうございました