

はしがき

2014年に「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、「再生医療等安全性確保法」という）が施行されてから、10年が経過しました。2020年に始まった新型コロナウイルス感染症の感染拡大により一時的に停滞した時期もありましたが、再生医療等を実施する医療機関は増加傾向にあり、本書執筆時点で約4,200件の医療機関が再生医療等を提供しています。

また、内閣官房の「新しい資本主義実現会議」でも再生医療が取り上げられ、新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画においても、再生・細胞医療・遺伝子治療分野が投資を促進する分野の1つとして位置付けられ、再生医療を国として積極的に推進していく姿勢が示されています。

著者も、再生医療等の発展が少子高齢化が進む中でより多くの人々が元気に働き暮らすことができる社会の実現や、外貨獲得などによる国や地域の経済発展に繋がるものと信じて、再生医療等にかかわる医療機関や事業者の支援をライフワークとして取り組んでいます。

一方で、本書の執筆中にも再生医療等を受けた方が重篤な感染症を患い、入院を要する事例が報告されるなど、再生医療の提供における安全性が十分に確保されていない例も存在しています。さらに、再生医療政策の抜本的な見直しを求める陳情書が厚生労働省に提出されるなど、再生医療等安全性確保法の目的である「迅速かつ安全な提供及び普及の促進」に向けて、様々な課題が浮き彫りになっているのが現状です。

このような状況下で、再生医療等を実施しようとする医療機関や、それをサポートする手続代行業者、コンサルティング業者が再生医療等安全性確保法や関連法令を正しく理解し、適切に手続きを進めることがますます重要になっています。

本書は、再生医療等の安全かつ適正な発展、その先にある国や地域の発展を願い、これらの方々に向けた実務的なガイドとして執筆いたしました。

再生医療等に関する手続きは、必要な書類や情報、知識が多岐にわたるにもかかわらず、手引きやひな型、記載例が十分に整備されていないため、非常に複雑で理解しにくいものとなっています。著者自身も、再生医療等安全性確保法や関連法令を何度も読み返し、厚生労働省や地方厚生局の担当者への問合せを重ね、膨大な時間と労力をかけて再生医療等に関する業務を習得してきました。こうして培った知識やノウハウを本書に凝縮しましたので、再生医療等に関する手続きを円滑に進めるための一助となれば幸いです。

令和7年1月

林 大輔

第1章 再生医療等の可能性

- 1 「再生医療等安全性確保法」制定の経緯 8
- 2 再生医療等の広がり 9
- 3 再生医療等の今後の展望 12
 - (1) 再生医療等には該当しない類似の治療法の普及 12
 - (2) 改正再生医療等安全性確保法の成立 14

第2章 再生医療等に関する基礎知識

- 1 再生医療等安全性確保法 18
 - (1) 再生医療等提供計画の提出 19
 - (2) 認定再生医療等委員会の設置 19
 - (3) 特定細胞加工物製造届出・許可申請・認定申請 20
- 2 再生医療等とは 22
 - (1) 再生医療等の定義 22
 - (2) 再生医療等に該当する治療法の例 25
 - (3) 再生医療等に該当しない治療法の例 27
 - (4) 薬機法との関係 27
 - (5) 注意点 28
- 3 再生医療等のリスク分類 30
- 4 主要な再生医療等技術 35
 - (1) 脂肪由来幹細胞を用いた治療 35
 - (2) 多血小板血漿（PRP）を用いた治療 37
 - (3) がん免疫細胞療法 37
 - (4) 線維芽細胞移植 38
- 5 再生医療等の活用場面(どのような施設で実施されているか) 38

第3章 再生医療等の実施のために必要となる知識(法令・通知など)

- 1 再生医療等提供基準 42

(1) 人員に関する基準	43
(2) 細胞の入手に関する基準	45
(3) 特定細胞加工物の製造及び品質管理に関する基準	47
(4) 再生医療等を行う際の責務	48
(5) 再生医療等を受ける者に対する説明及び同意	49
2 細胞培養加工施設の構造設備基準	51
3 特定細胞加工物製造事業者の遵守事項	54
4 課長通知	55
5 記載要領	55

第4章 再生医療等の実施に向けた事前準備、検討事項など

1 法令、通知などの正しい理解	58
2 再生医療等の内容の検討	59
(1) 診療科目、実施医師の専門分野	59
(2) 再生医療等を導入する目的、対象とする患者層	60
(3) 導入のための予算	60
(4) 再生医療等に該当しない治療法との比較検討	61
3 代行業者への依頼の検討	62
4 再生医療等の区分の確認	64
5 再生医療等のリスク分類の確認	66
6 治療法ごとの検討事項	67
(1) 多血小板血漿療法	67
(2) 脂肪由来幹細胞を用いた治療	70
7 審査を依頼する認定再生医療等委員会の選定	74

第5章 再生医療等提供計画の提出

1 概要	80
2 再生医療等提供計画及び添付書類の作成の流れ	82
(1) 文献調査、収集	83
(2) 添付書類の作成	90

(3) 再生医療等提供計画の作成	136
3 再生医療等提供計画作成後の流れ	158
(1) 委員会審査	158
(2) 地方厚生局への提出	159
(3) 受理、再生医療等の提供開始	162

第6章 再生医療等提供計画提出後の手続き

1 変更手続	166
(1) 軽微な変更を除く変更	168
(2) 軽微な変更	169
(3) 医療機関の移転	169
2 定期報告	170
3 疾病などの報告	173
4 再生医療等提供の中止・終了	175

第7章 再生医療等提供計画提出以外の手続き

1 特定細胞加工物製造届	178
(1) 特定細胞加工物製造届の手続方法（新規届出）	180
(2) 特定細胞加工物製造届提出後の手続き	189
2 再生医療等委員会認定申請	193
(1) 申請書記載事項及び添付書類	194
(2) 認定の要件	196

第8章 実務上の注意事項・よくあるトラブル事例など

1 再生医療等提供に関する注意事項、トラブル事例	202
(1) 地域による相違点	202
(2) 法人成りの際の注意事項	202
(3) 美容やアンチエイジング目的の再生医療等実施における注意事項	203

（４）記録の未作成	204
（５）定期報告の未提出、期限超過	205
（６）変更届、軽微変更届の未提出、期限超過	206
（７）経過観察方法の不備	206
２ 特定細胞加工物製造に関する注意事項、トラブル事例	207
（１）製造場所の選定についての注意事項	207
（２）手順書等の未作成	209
（３）記録の未作成	210
３ 他法令との関係に関する注意事項、トラブル事例	212
（１）医療広告規制への抵触	212
（２）混合診療	213

●凡 例●

本書では、法令関係において、以下のように省略している場合があります。

・再生医療等安全性確保法	再生医療等の安全性の確保等に関する法律
・政 令	再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行令
・省 令	再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行規則
・再生医療推進法	再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるようにするための施策の総合的な推進に関する法律
・薬機法	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
・再生医療推進法	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

第1章

再生医療等の可能性

第1章では、再生医療等に関する法律が制定された経緯や、現在の実施状況、今後の展望について解説します。

1 「再生医療等安全性確保法」制定の経緯

2006年に京都大学の山中伸弥教授により、マウスのiPS細胞（人工多能性幹細胞）が世界で初めて作製され、翌年の2007年にヒトのiPS細胞が樹立されたことにより、失われた組織、器官などの再生や、従来の医療では治療が困難であった難病の治療などを可能とする「再生医療」への期待は急激に高まりました。

そのような期待の高まりもあり、2013年には議員立法により「再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるようにするための施策の総合的な推進に関する法律（平成25年法律第84号）」（以下、「再生医療推進法」という）が制定されるなど、国を挙げて再生医療の推進に取り組む姿勢が示されました。

一方で、当時は再生医療の安全性や有効性を確保するための法制度が整備されておらず、民間の医療機関による十分な科学的根拠に基づかない幹細胞や免疫細胞を用いた治療が広まっており、直接的な因果関係は証明されていないものの、2010年に自己脂肪由来の幹細胞の点滴を受けた方が肺塞栓症により死亡する事故も発生しています。

そのような状況もあり、「再生医療等の迅速かつ安全な提供及び普及の促進を図り、もって医療の質及び保健衛生の向上に寄与すること」を目的として2013年に「再生医療等安全性確保法」が制定、公布され、2014年に施行されました。従来は再生医療に用いる細胞加工物を医療機関以外の製造業者が製造、販売する行為は、未承認無許可医薬品の製造、販売に該当し薬事法による規制対象となっていました。細胞加工物を投与する治療法自体は法規制の対象外でした。再生医療等安全性確保法が定められたことにより、細胞加工物を投与する治療法自体が「再生医療等」

として規制対象となりました。諸外国の多くは現在でも再生医療に用いる細胞加工物を医薬品や医療機器と同じように製品として規制する法体系になっており、再生医療を治療法として規制している国は世界的に見ても稀です。

なお、再生医療等安全性確保法の制定と同時に薬事法が改正され、「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、「薬機法」という）によって再生医療等に用いる細胞加工物を「再生医療等製品」として規制する法体系も存在しています。

再生医療等安全性確保法と薬機法による規制の違いの詳細については後述しますが、本書では主に再生医療等安全性確保法による「再生医療等」について解説します。

2 再生医療等の広がり

再生医療等安全性確保法の制定により、再生医療等を実施する医療機関は事前に「再生医療等提供計画」を提出することが義務付けられ、その後も1年に1回の定期報告が必要となったことから、日本国内で再生医療等を実施している医療機関数、実施されている再生医療等の内容、件数や再生医療等を受けた人数を把握することが可能となりました。

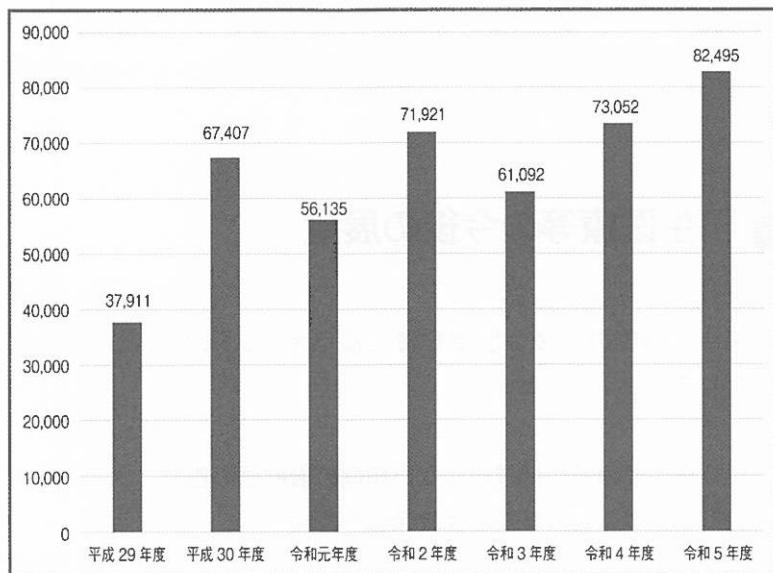
再生医療等を実施している医療機関数について、厚生労働省のHP「再生医療等提供機関の情報について（<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000186471.html>）」によると、本書執筆時点での日本全国で治療目的の再生医療等提供計画を提出している医療機関数は4,239件（第一種、第二種、第三種の合計）となっています。2024年2月9日に公開された医療施設調査に

よると、日本全国の医療機関数は 180,715 施設あるため、再生医療等提供計画を提出している医療機関は全体の約 2.34% という計算となります。全国で 2.34% の医療機関でしか再生医療等が提供されていないという数字を見ると、再生医療等にはまだまだ伸び代があると考えられます。

続いて、実施されている再生医療等の内容についても「再生医療等提供機関の情報について」にて公開されている情報をもとに集計すると（第一種は民間の医療機関で治療目的で実施されている事例が存在しないため割愛）、第二種再生医療等で最も多いのが脂肪由来幹細胞を用いた治療で約 970 件、次に多いのが多血小板血漿（PRP）を用いた治療で約 600 件、3 番目に多いのが線維芽細胞移植で約 130 件となっています。第三種再生医療等では、最も多いのががん免疫療法で約 3,320 件、次に多いのが多血小板血漿を用いた治療で約 1,540 件、3 番目に多いのが自家血小板含有フィブリンゲルを用いた治療で約 800 件となっています。これらの治療法の中でも、本書執筆時点で特に注目度が高く、多くの医療機関で導入が検討されているのは「脂肪由来幹細胞」を用いた治療です。脂肪由来幹細胞を用いた治療は、様々な疾患の治療に効果があるといわれており、非常に高額な治療（患者負担額 200 ～ 300 万円程度）となりますが、インバウンド需要等もあり新型コロナウイルス感染症が落ち着いてから大幅に増加している治療法です。

また、再生医療等を受けた人数については、厚生労働省が毎年公表している定期報告の取りまとめの概要によると、図表 1-1 のように推移しています。

図表 1 - 1 再生医療等を受けた者の人数（治療のみ）



(厚生労働省)

新型コロナウイルス感染症の影響もあってか令和元（2019）年度、令和 3（2021）年度においては前年度よりも減少していますが、大まかな傾向としては年々増加している傾向にあり、令和 5（2023）年度には前年度と比較して約 9,500 人も増加しています。

再生医療等を受けた人の数の増加については、再生医療等に対する知名度の向上や、新型コロナウイルス感染症の影響が落ち着き訪日外国人が増加していることなどが要因として考えられ、今後も増加していく可能性が高いと思われます。

以上のとおり、再生医療等を提供している医療機関数は全体の約 2.34%とまだまだ伸び代があり、医療機関からするとまだ導入している医療機関数が少ないため再生医療等の導入により競合他院との差別化に繋がり、手続きの代行業者からするとこれからも再生医療等に関する手続きの依頼は増えていくことが予想され、

魅力的な業務であると考えられます。

特に、今後も脂肪由来幹細胞を用いた治療については増加していくことが予想され、大きな可能性を秘めた治療法となっています。

3 再生医療等の今後の展望

再生医療等の今後の展望を考えるうえで、以下の2点が重要となります。

- (1) 再生医療等には該当しない類似の治療法の普及
- (2) 改正再生医療等安全性確保法の成立

(1) 再生医療等には該当しない類似の治療法の普及

詳しくは後述しますが、再生医療等安全性確保法によって規制される再生医療等の要件の1つとして、「細胞加工物を用いた医療技術」であることが定められています。そのため、「細胞加工物」を用いない場合は再生医療等には該当せず、再生医療等安全性確保法の規制対象とはなりません。そのため、再生医療等安全性確保法が施行され、再生医療等が規制の対象となって以降、細胞加工物を用いず再生医療等には該当しない類似の治療法の普及も進んでいます。

このような治療法として普及が進んでいるものの代表例として、幹細胞培養上清¹、エクソソーム²等の細胞外小胞を用いた治療法が挙げられます。

脂肪由来幹細胞を代表とする幹細胞はそれ自身が様々な種類の細胞に分化する能力(多能性)を有しており、幹細胞の投与が様々

な疾患に有効であると考えられている根拠の1つとなっています。しかしながら、幹細胞には多能性以外にも様々な成長因子や抗炎症因子、エクソソームなどの細胞外小胞を分泌する能力があることがわかっており、そのような能力も幹細胞の投与による治療効果に重要な役割を果たしていると考えられています。そのため、幹細胞自体を含んでいなくても幹細胞培養上清や、培養上清からさらにエクソソームのみを分離して投与することでも幹細胞治療に近い効果が得られるとして、幹細胞培養上清やエクソソームを用いた治療を導入する医療機関も多くなっています。

培養上清やエクソソームを用いた治療法は、日本国内外で様々な疾患に対する臨床研究が進んでいるものの、安全性や有効性について十分なエビデンスが蓄積されておらず、医薬品等として承認された事例はありません。そのような状況であるのにもかかわらず、細胞加工物を用いていないことから再生医療等安全性確保法の規制対象外となっており、安全性、有効性について十分なエビデンスが蓄積されていない治療法が無規制で実施されていることを危惧する意見もあります。また、治療法としての安全性、有効性も十分に担保されているとはいえないことに加えて、培養上清やエクソソームの原料や製造方法についても製造者によってばらつきが大きく、品質を担保する方法がないことも課題となっています。東京医科大学の研究グループは、自由診療を行っているクリニックで使用されているエクソソームの製品12品目について解析を行った結果、3品目でエクソソームが含まれていることが確認できなかったという研究結果を発表しています。

- 1 幹細胞を培養した後の培養液から細胞を取り除き、不純物の除去、^{ろ過}濾過、滅菌などを行った上澄み液。幹細胞から分泌された成長因子や抗炎症因子、エクソソームなどの細胞外小胞などが含まれている。
- 2 細胞から分泌される細胞外小胞（細胞由来のタンパク質や核酸が脂質の膜に包まれた顆粒状の物体）の一種で、細胞間の情報伝達に働いていると考えられている。幹細胞培養上清からエクソソームのみを分離する方法により製造される。

このような状況に対して、日本再生医療学会は 2023 年 10 月 27 日にはエクソソームを含む細胞外小胞を用いた治療を、再生医療等安全性確保法の対象とすることを提言し、2024 年 4 月 30 日には細胞外小胞等の臨床応用に関するガイダンスを発表しています。また、厚生労働省も 2024 年 7 月 31 日に再生医療等実施医療機関に対して再生医療学会のガイダンスを参照して安全な実施を求める事務連絡と、都道府県等に対してエクソソーム等に対する無承認無許可医薬品としての薬機法に基づく指導及び取締りの徹底を求める事務連絡を発出しています。

再生医療等に該当せず、再生医療等安全性確保法の規制対象外となっているこのような治療法の動向について注視していくことは、今後の再生医療等の展望を考えるうえで重要となると思われます。

(2) 改正再生医療等安全性確保法の成立

令和 6 (2024) 年 6 月 14 日に「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、「改正再生医療等安全性確保法」という) が公布されました。この改正再生医療等安全性確保法では、「再生医療等安全性確保法の対象拡大及び再生医療等の提供基盤の整備」として、主に以下の 2 点について改正が行われました。

- ① 細胞加工物を用いない遺伝子医療等の規制対象への追加
- ② 認定再生医療等委員会の設置者に対する立入調査、欠格事由の規定の整備

① 細胞加工物を用いない遺伝子医療等の規制対象への追加

従来、遺伝子の導入や改変を行った細胞加工物を用いた治療

(ex vivo 遺伝子治療)は再生医療等安全性確保法の規制対象となっていました。ウイルスベクターやゲノム編集酵素などを用いて体内で直接遺伝子の導入や改変を行う治療 (in vivo 遺伝子治療)は規制対象外となっていました。今回の改正では、in vivo 遺伝子治療についても細胞加工物を用いる治療と同じく感染症やがん化などの安全性のリスクがあるため、再生医療等安全性確保法の規制対象となります。

このような in vivo 遺伝子治療は、再生医療等安全性確保法の制定時点では普及していませんでしたが、近年はがんの治療などを目的として民間のクリニックで実施される事例が増えているため、規制対象として追加される形となります。

② 認定再生医療等委員会の設置者に対する立入調査、欠格事由の規定の整備

従来、認定再生医療等委員会（詳細については後述）については厚生労働省などによる立入調査の規定は設けられておらず、設置者の欠格事由も定められていませんでした。しかしながら、再生医療等を提出する医療機関と審査を行う認定再生医療等委員会の設置者が同じである場合や、特定の企業と関係性を持った認定再生医療等委員会がその企業が関与する再生医療等提供計画を審査する場合などで、適切な審査が行われておらず審査が形骸化しているケースが見られ、審査の適切性を確保するためにこのような改正が行われました。

本書執筆時点では改正再生医療等安全性確保法の具体的な運用を定める政令、省令、通知などが出ておらず、詳細については明らかになっていないものの、再生医療等安全性確保法が改正されたことにより今後の動向にも変化が見られるものと思われます。

林 大輔（はやし だいすけ）

行政書士、高度管理医療機器販売業・貸与業 営業所管理者
林医療福祉行政書士事務所 所長

株式会社サステナメディカル 代表取締役

昭和 63 年兵庫県神戸市生まれ。平成 24 年 3 月関西学院大学大学院理工学研究科生命科学専攻博士前期課程修了、平成 26 年 4 月林大輔行政書士事務所（現林医療福祉行政書士事務所）開業、令和 2 年 1 月株式会社サステナメディカル設立、代表取締役就任。大学院での生命科学の研究を経て再生医療等に関する手続きを専門とした行政書士として開業し、250 件以上の再生医療等提供計画の作成・提出代理を経験している。株式会社サステナメディカルでは再生医療等に使用する医療機器その他の器具の販売、再生医療等の導入に向けたコンサルティング、インバウンド向け再生医療ツーリズムの企画などの業務を行っている。