



European Federation of Pharmaceutical  
Industries and Associations

2016年5月11日

厚生労働省 大臣官房参事官(医療機器・再生医療等製品審査管理担当)  
医薬・生活衛生局 審査管理課 医療機器・再生医療等製品審査管理室 室長  
磯部 総一郎 殿  
環境省 自然環境局  
野生生物課外来生物対策室 室長  
曾宮 和夫 殿

欧州製薬団体連合会  
会長 カーステン ブルン

## カルタヘナ法に係る要望書について

平素より欧州製薬団体連合会の事業並びに製薬産業の活動にご支援を賜り厚く御礼申し上げます。

さて、この度欧州製薬団体連合会では会員会社の意見を踏まえ、「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)」に関する懸念事項等を取りまとめましたので、添付の通り要望書として提出致します。

昨今、遺伝子治療や再生医療などの先端的医療に係る開発は国内外を問わず目覚ましく進歩しており、今後、本邦における国際的な開発競争力を備える上でも、カルタヘナ議定書に基づく国内法の運用は重要な課題と考えております。

是非とも前向きにご検討頂きますようお願い申し上げます。

以上

お問合せ先:

欧州製薬団体連合会  
事務局 齋藤直一  
TEL: 03-6301-3066  
FAX: 03-6301-3060  
Mail: [info@efpia.jp](mailto:info@efpia.jp)

欧州製薬団体連合会  
バイオ医薬品部会 早田 悟  
TEL: 080-6861-4763  
FAX: 03-5786-6358  
Mail: [satoru.2.hayata@gsk.com](mailto:satoru.2.hayata@gsk.com)

## “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)”に関する要望書

欧州製薬団体連合会(EFPIA Japan)  
バイオロジクス委員会

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(通称、カルタヘナ法)は、本邦において遺伝子組換え生物の使用等について規制をするものであり、2003年9月に発行されたカルタヘナ議定書に基づき、生物多様性条約カルタヘナ議定書を適切に運用するための法律として2004年2月に施行されている。

カルタヘナ議定書は、現代のバイオテクノロジーにより改変された生物(Living Modified Organisms; LMO)の国境を越える移動に先立ち、輸入国がLMOによる生物多様性の保全及び持続可能な利用への影響を評価し、輸入の可否を決定するための手続きなど、国際的な枠組みを定めたものである。2016年2月現在でこの締結国は世界170の国や地域に上り、国際的に重要な取り組みと考えられるが、LMOの規制に反対する米国、カナダ、オーストラリアなどは未締結国となっている。また、カルタヘナ議定書の対象範囲はLMOを対象とすると規定しているが、ヒトに使用する医薬品は対象外とすることがカルタヘナ議定書の第5条で明記されている。

一方、日本においてカルタヘナ法は、現状、ヒトに使用する医薬品を含めて運用されている。

昨今、遺伝子治療や再生医療など先端的医療に係わる開発は国内外を問わず目覚ましく進歩しており、今後、本邦においてこれらの国際的な開発競争に備える上でも、カルタヘナ議定書に基づく国内法の運用について、今般、医薬品及び薬機法上の再生医療等製品(以下、医薬品等)をカルタヘナ法の規制対象から除くなど緩和や見直しの要望を行うものである。

## 1. 本邦における現状の問題点

医薬品等がカルタヘナ法の規制対象であることから以下のような諸問題が生じており、当該開発品における治験の開始遅延、日本からの国際共同治験への参画遅延などをきたす可能性が高い。更に、この影響により将来的なドラッグラグに繋がる懸念が考えられる。

- ① カルタヘナ法に関する承認又は確認手続きが開発段階の極めて早期に必要となる。  
国内で当該品の開発を行う際には、治験薬/治験製品の製造を行う前に第二種使用等に関する厚生労働大臣の確認を、また国内で閉鎖系でない環境下で治験薬/治験製品が使用される場合にはその治験開始前までに医療機関において第一種使用等に関する厚生労働大臣の承認を得ることとなっている。このように、カルタヘナ法に関する承認又は確認手続きは開発段階の極めて早期に付加的な時間が必要となる。
- ② カルタヘナ法に関する承認又は確認を得るまでにかなりの時間を必要とする。  
第二種使用等に関する厚生労働大臣の確認には 3 か月、第一種使用等に関する厚生労働大臣の承認には 6 か月が、当局側の標準事務処理時間として設定されている。付随して、企業側が要する事前の準備、申請資料の作成時間及び事前審査への対応等のため更に数か月の期間が必要である。結果として、企業が申請の準備から承認又は確認を受けるまでには概ね 1 年程度のリードタイムが必要で、通常の治験準備期間に加えてこのようなカルタヘナ法への対応を必要とする。
- ③ カルタヘナ法に係る薬事制度には国際間の相違があり、ハーモナイゼーションが未整備である。  
欧米諸国においては、カルタヘナ議定書の非締結国はもとより、締結国においても医薬品等に関して日本と同様な規制を求められることはない。欧米諸国において、医薬品等の遺伝子工学的改変に係る実質的な評価は、治験申請(IND 又は CTA)時に行われており、日本のようなカルタヘナ法に基づく事前の承認又は確認は求められていない。このようにカルタヘナ法に係る薬事制度や審査資料などについては国際的なハーモナイゼーションが整備されていないことから、国際共同試験の開始準備に際して非効率な状況が生じている。

- ④ カルタヘナ法への該当性について企業と当局の間に疑義が生じる場合がある。  
上述の通り、当該開発品がカルタヘナ法の適応となる場合、本邦では厚生労働大臣の承認または確認が必要となる。しかしながら、当該開発品がカルタヘナ法の適応とならないと企業が考える場合においても、遺伝子治療や再生医療という新規性から、カルタヘナ法への該当性について PMDA と事前に協議することが事実上必要とされている。また、カルタヘナ法に関しては、第一種使用等と第二種使用等の区分があり、例えば当該開発品が第二種使用等には該当するが、第一種使用等には該当しないと企業側が判断していても、PMDA との合意が得られない場合もある（遺伝子治療用製品における残存ウイルスの評価など）。そのため、カルタヘナ法への該当性が明確な場合にのみならず、該当しないと企業が考える場合においても事前確認を必要とする状況が生じており、治験開始の遅れにつながる場合がある。

## 2. 要望内容

カルタヘナ法が 2003 年に 6 省共同で制定された以降、2013 年には遺伝子治療や再生医療などに関する基本 3 法令が制定され、さらに 2014 年に健康・医療戦略が、また 2015 年には国際薬事規制調和戦略が策定されて再生医療等製品の世界同時開発や 2020 年頃までに達成すべき成果目標(KPI)が示されている。このような状況を鑑み、上述のようなカルタヘナ法に関連する諸問題が早急に解決されなければ、企業あるいはアカデミアにおける遺伝子治療や再生医療などに係る開発あるいは研究促進にブレーキがかかり、ドラッグラグを引き起こし、ひいては国の戦略として掲げられている KPI やグローバルな開発促進に大きな影響を及ぼしかねないと考えられる。

現在、遺伝子治療や再生医療などの治験開始にあたっては、日本独自のカルタヘナ法に基づく承認や確認対応のために薬事戦略相談にて PMDA と申請前に実質的な協議が行われることが通例となっており、また治験開始後も薬機法や GCP 省令等に準拠して、限定した施設かつ少数例の患者に対して厳密な管理下で治験が管理されている。

このような使用実態も勘案の上、遺伝子治療や再生医療の世界同時開発に対応して、いち早く日本の患者さんに使用可能とするため、以下の事項について要望する。

- 遺伝子治療や再生医療などの実用化促進及び今後日本が更に国際競争力を高めることを目的に、グローバルな視点においても本邦での開発が促進しやすい環境となるよう多角的な評価が行われること
- カルタヘナ法の施行状況について、必要がある場合には所要の措置を講ずると規定された同法附則第 7 条に準拠し、カルタヘナ議定書第 5 条に基づき医薬品等をカルタヘナ法による管理下から除外することも視野に入れて検討すること。
- 諸外国の規制・運用状況も参照して、医薬品等に関する現行のカルタヘナ法に係る承認・確認の審査プロセスを見直すこと
  - 医薬品等に係る生物の多様性の確保に関しては薬事戦略相談等を利用して事前に評価し、早期に治験が開始できる体制を整えると同時に、最終的な審査は当該医薬品等の承認審査時に併せて行うなど、その審査方法を工夫すること
  - 生物の多様性の確保に関する評価資料は、欧米とのハーモナイゼーションを視野に、海外における生物の多様性の確保に関する資料の受け入れを図ること
  - 企業及びアカデミアによる再生医療の実用化を一層促進していくために、日本における生物の多様性の確保に関する評価方法や手続きなどについてのガイダンスなどを手順書にて明文化すること

以上のとおり、本件につきましては、前向きかつ具体的な検討が早々に行われるよう切に要望致します。

以上