

薬食発0701第13号  
平成25年7月1日

各都道府県知事 殿

厚生労働省医薬食品局長  
( 公 印 省 略 )

### 遺伝子治療用医薬品における確認申請制度の廃止について

遺伝子治療の目的に使用される医薬品（治験薬を含む。以下「遺伝子治療用医薬品」という。）については、「遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保に関する指針について」（平成7年11月15日付け薬発第1062号厚生省薬務局長通知（平成16年12月28日最終改正）。以下「1062号通知」という。）において、安全性及び品質確保のため必要な基本的要件として「遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保に関する指針」（以下「指針」という。）を定め、治験計画の届出を行う前に当該遺伝子治療用医薬品が指針に適合していることの確認を厚生労働大臣に求めることとしてきたところである。

今般、規制改革実施計画（平成25年6月14日閣議決定）において、遺伝子治療用医薬品については、その確認申請制度を薬事戦略相談に代替することを早急に検討することとされたこと等を踏まえ、遺伝子治療用医薬品の確認申請制度を廃止し、下記のとおり取り扱うこととしたので、貴管下関係業者等に対し周知方御配慮願いたい。

なお、1062号通知は、平成25年8月31日をもって廃止する。

### 記

#### 1 確認申請制度の廃止について

- (1) 平成25年8月31日をもって1062号通知に基づく確認申請制度を廃止すること。

ただし、遺伝子治療用医薬品の開発に当たっては、治験計画の届出の際にヒトに投与するための品質や安全性に関するデータ等が不足している場合は治験実施が認められない場合があるため留意する必要があること。従って、治験が円滑に実施されるよう、治験計画の届出を行う前には品質及び安全性を確認するために、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「総合機構」という。）が行う薬事戦略相談を適切に活用されたいこと。

なお、薬事戦略相談の実施方法の詳細については、「医薬品・医療機器薬事戦略相談事業の実施について」（平成25年7月1日付け薬機発第0701001号）を参照されたいこと。

## 2 経過措置等について

平成25年7月1日から同年8月31日までの間は、1062号通知に基づく確認申請制度又は薬事戦略相談のいずれを活用しても差し支えないこと。また、同日までに1062号通知に基づく確認の申請が行われている品目の取扱いについては、なお従前の例によること。ただし、同年7月1日以降に1062号通知に基づく確認の申請を取り下げ、改めて薬事戦略相談に申し込むことを妨げるものではないこと。

なお、1062号通知に基づき確認された品目に係る治験計画の届出を行うときは、引き続き、当該治験計画の届書の備考欄に、当該治験薬が遺伝子治療用医薬品である旨及び確認を受けた年月日を記載すること。

## 3 その他

(1) 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）に基づく遺伝子組換え生物等の使用等に係る承認及び確認の申請については、従来どおり必要であること。また、第一種使用規程の承認申請については、「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の施行について」（平成16年2月19日付け薬食発第0219008号）記の第2の4の（5）において、1062号通知に基づく確認申請と可能な限り同時に行うこととしてきたが、今般の取扱いの変更を踏まえ、該当する品目については医薬食品局審査管理課又は総合機構再生医療製品等審査部と事前に協議等を行い、標準的事務処理期間に留意して申請を行われたいこと。

(2) 今後の対応につき不明な点がある場合は、医薬食品局審査管理課に相談すること。