

核酸等を用いる医療技術により再生医療等を提供しようとする際に再生医療等提供計画に添付する「提供する再生医療等の詳細を記した書類」（研究の場合は研究計画書）に添付が必要な資料及びその内容について

核酸等を用いる医療技術により再生医療等を提供しようとする際には、別紙 1 の記載事項の詳細を示した下記の文書を添付すること。

記

- 第 1 再生医療等提供機関及び特定細胞加工物等製造施設の構造設備及びバイオリスク管理の状況に関する以下の事項に係る資料
- 1 特定細胞加工物等製造施設における病原性を持つ微生物等の管理に係る構造及び設備における、施行通知Ⅶ. (13) 省令第 89 条第 13 号関係及び施行通知Ⅶ. (14) 省令第 89 条第 15 号関係に関する事項
 - 2 特定細胞加工物等製造施設におけるバイオセーフティ及びバイオセキュリティの規程に関する事項
- 第 2 再生医療等提供機関における当該再生医療等又はそれに類似する再生医療等に関する有効性を示す又は示唆する試験及び安全性に関する以下の研究成果がある場合には、当該試験及び研究の成果^{※1※2}に係る資料
- 1 培養細胞や実験動物を用いた研究の成果
 - 2 研究の概要に加え、培養細胞における遺伝子導入又はゲノム編集等の効率、導入遺伝子の発現又はゲノム編集等により生じた変化とその持続性、導入遺伝子又はゲノム編集等により発現したタンパク質等の機能等についての詳細な研究成果
 - 3 臨床研究における有効性の示唆、又は安全性の担保に関し、研究機関等で得られている詳細なデータ及びその総括
 - 4 関連する研究成果についての投稿論文等の情報
- 第 3 再生医療等提供機関以外において、国内外で実施されている当該核酸等又はそれに類似したものを用いた医療技術に関する研究又は医療の提供の状況に係る資料
- 第 4 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）に規定される遺伝子組換え生物等を用いる場合であって、その第一種使用規程が承認されていない場合には、「再生医療等の安全性の確保等に関する法律に基づく再生医療等に関連した「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」に基づく手続等について」（令和 7 年 5 月 30 日付け医政研発 0530 第 1 号厚生労働省医政局研究開発政策課長通知）に示された提出予定の第一種使用規程申請書、生物多様性影響評価書及びその他の文書（申請書等）
- 第 5 その他必要な以下の事項に係る資料^{※2}

- 1 類似の核酸等を用いた医療技術に関する臨床研究の成果
- 2 核酸等の全塩基配列（核酸等としてゲノム編集酵素を用いる場合は当該酵素をコードする遺伝子配列）
- 3 核酸等がタンパク質である場合は、その一次構造
- 4 核酸等の製造方法に関する詳細な情報
- 5 核酸等の試験成績書（品質試験や安全性試験を含む。）

※1 用いる核酸等について、外部の特定細胞加工物等製造施設に製造を委託する場合は、委託先から得た詳細なデータを添付すること。

※2 必要となる資料の範囲は、用いる核酸等の特性に応じて異なるため、全ての研究においてこれら全ての資料の提出を求めるものではなく、実施する再生医療等に応じて必要と判断される資料を提出すること。

核酸等を用いる医療技術により再生医療等を提供しようとする際に再生医療等提供計画に添付する「提供する再生医療等の詳細を記した書類」（研究の場合は研究計画書）に記載及び添付が必要な事項（別紙 1 及び 2）に関するチェックリスト

別紙 1 に関するチェックリスト

番号	項目	確認欄	対応頁
第 1 核酸等を用いる再生医療等について			
1-1	対象疾患に関する現時点での知見	☐	
1-2	提供しようとする核酸等を用いる医療技術による再生医療等の概要	☐	
第 2 核酸等及びその導入方法			
2-1	核酸等の概要について	☐	
2-2	核酸等の導入方法について		
2-2(1)	核酸等の導入方法	☐	
2-2(2)	核酸等の導入方法を選択した理由	☐	
2-3	導入する核酸等		
2-3(1)	核酸等の構造及び特性	☐	
2-3(2)	核酸等の由来及び由来となった生物における当該核酸等の特性や機能	☐	
2-3(3)	発現調節エレメントの構造と機能（核酸等として核酸を用いる場合に限る。）	☐	
2-3(4)	核酸等によりタンパク質や mRNA 等が発現する場合は、その発現産物の構造と機能等（核酸等として核酸を用いる場合に限る。）	☐	
2-3(5)	その他のエレメント及び翻訳可能領域の配置と機能（核酸等として核酸を用いる場合に限る。）	☐	
2-3(6)	ゲノム編集等を行う方法及びその作用（ゲノム編集等を行う場合に限る。）	☐	
2-4	核酸等の製造及び導入方法		
2-4(1)	核酸等送達技術に関する事項		
2-4(1) ア	核酸等送達技術の種類	☐	
2-4(1) イ	核酸等送達技術の構造、構築方法の詳細	☐	
2-4(1) ウ	製造方法等		
2-4(1) ウ(ア)	製造に用いる原材料	☐	
2-4(1) ウ(イ)	製造方法	☐	
2-4(1) ウ(ウ)	製造工程と工程管理	☐	

2-4(2)	ゲノム編集等システム又は mRNA に関する事項		
2-4(2) ア	ゲノム編集等システム又は mRNA の種類	☐	
2-4(2) イ	ゲノム編集等システム又は mRNA の構造、製造方法の詳細	☐	
2-4(2) イ(ア)	製造に用いる原材料	☐	
2-4(2) イ(イ)	製造方法	☐	
2-4(2) イ(ウ)	製造工程と工程管理	☐	
2-5	再生医療等を受ける者に投与する核酸等の最終産物の組成	☐	
第3 核酸等の特性解析と品質試験			
3-1	特性解析	☐	
3-2	感染因子に関する試験	☐	
3-3	純度試験（不純物試験）	☐	
3-4	力価・生物活性（核酸等の発現活性を含む。）	☐	
3-5	含量（投与における物理量等）	☐	
3-6	安定性	☐	
第4 安全性及び有効性の評価			
4-1	非臨床試験における安全性及び有効性の評価		
4-1(1)	臨床的有効性を予測するための試験	☐	
4-1(2)	生体内分布	☐	
4-1(3)	非臨床試験における安全性の評価	☐	
4-1(4)	非臨床試験の成績の総括	☐	
4-2	臨床研究での安全性及び有効性の評価		
4-2(1)	臨床的有効性を示すための試験	☐	
4-2(2)	体内動態と排出	☐	
4-2(3)	臨床研究における安全性の評価	☐	
4-2(4)	臨床試験の成績の総括	☐	
4-3	再生医療等を受ける者への投与に用いられる特殊な機器や医療材料	☐	
第5 その他必要な事項		☐	

別紙2に関するチェックリスト

番号	項目	確認欄	添付書類 番号
第1 再生医療等提供機関及び特定細胞加工物等製造施設の構造設備及びバイオリスク管理の状況に関する資料			
1-1	特定細胞加工物等製造施設における病原性を持つ微生物等の管理に係る構造及び設備における、施行通知Ⅶ. (13) 省令	☐	

	第 89 条第 13 号関係及び施行通知Ⅶ. (14) 省令 89 条第 15 号関係に関する事項		
1-2	特定細胞加工物等製造施設におけるバイオセーフティ及びバイオセキュリティの規程に関する事項	☐	
第 2 再生医療等提供機関における当該再生医療等又はそれに類似する再生医療等に関する有効性を示す又は示唆する試験及び安全性に関する研究成果がある場合には、当該試験及び研究の成果に係る資料			
2-1	培養細胞や実験動物を用いた研究の成果	☐	
2-2	研究の概要に加え、培養細胞における遺伝子導入又はゲノム編集等の効率、導入遺伝子の発現又はゲノム編集等により生じた変化とその持続性、導入遺伝子又はゲノム編集等により発現したタンパク質等の機能等についての詳細な研究成果	☐	
2-3	臨床研究における有効性の示唆、又は安全性の担保に関し、研究機関等で得られている詳細なデータ及びその総括	☐	
2-4	関連する研究成果についての投稿論文等の情報	☐	
第 3 再生医療等提供機関以外において、国内外で実施されている当該核酸等又はそれに類似したものを用いた医療技術に関する研究又は医療の提供の状況に係る資料		☐	
第 4 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に規定される遺伝子組換え生物等を用いる場合であって、その第一種使用規程が承認されていない場合には、提出予定の第一種使用規程申請書、生物多様性影響評価書及びその他の文書（申請書等）		☐	
第 5 その他必要な資料			
5-1	類似の核酸等を用いた医療技術に関する臨床研究の成果	☐	
5-2	核酸等の全塩基配列（核酸等としてゲノム編集酵素を用いる場合は当該酵素をコードする遺伝子配列）	☐	
5-3	核酸等がタンパク質である場合は、その一次構造	☐	
5-4	核酸等の製造方法に関する詳細な情報	☐	
5-5	核酸等の試験成績書（品質試験や安全性試験を含む。）	☐	

核酸等を用いる医療技術により再生医療等を提供しようとする際に再生医療等提供計画に添付する「提供する再生医療等の詳細を記した書類」（研究の場合は研究計画書）に記載及び添付が必要な事項（別紙 1 及び 2）に関するチェックリスト

別紙 1 に関する事項

番号	項目	確認欄	対応頁
第 1	核酸等を用いる再生医療等について		
1-1	対象疾患に関する現時点での知見	☐	
1-2	提供しようとする核酸等を用いる医療技術による再生医療等の概要	☐	
第 2	核酸等及びその導入方法		
2-1	核酸等の概要について	☐	
2-2	核酸等の導入方法について		
2-2 (1)	核酸等の導入方法	☐	
2-2 (2)	核酸等の導入方法を選択した理由	☐	
2-3	導入する核酸等		
2-3 (1)	核酸等の構造及び特性	☐	
2-3 (2)	核酸等の由来及び由来となった生物における当該核酸等の特性や機能	☐	
2-3 (3)	発現調節エレメントの構造と機能（核酸等として核酸を用いる場合に限る。）	☐	
2-3 (4)	核酸等によりタンパク質やmRNA等が発現する場合は、その発現産物の構造と機能等（核酸等として核酸を用いる場合に限る。）	☐	
2-3 (5)	その他のエレメント及び翻訳可能領域の配置と機能（核酸等として核酸を用いる場合に限る。）	☐	
2-3 (6)	ゲノム編集等を行う方法及びその作用（ゲノム編集等を行う場合に限る。）	☐	
2-4	核酸等の製造及び導入方法		
2-4 (1)	核酸等送達技術に関する事項		
2-4 (1) ア	核酸等送達技術の種類	☐	
2-4 (1) イ	核酸等送達技術の構造、構築方法の詳細	☐	
2-4 (1) ウ	製造方法等		
2-4 (1) ウ (ア)	製造に用いる原材料	☐	
2-4 (1) ウ (イ)	製造方法	☐	
2-4 (1) ウ (ウ)	製造工程と工程管理	☐	
2-4 (2)	ゲノム編集等システム又はmRNAに関する事項		
2-4 (2) ア	ゲノム編集等システム又はmRNAの種類	☐	
2-4 (2) イ	ゲノム編集等システム又はmRNAの構造、製造方法の詳細	☐	
2-4 (2) イ (ア)	製造に用いる原材料	☐	
2-4 (2) イ (イ)	製造方法	☐	
2-4 (2) イ (ウ)	製造工程と工程管理	☐	
2-5	再生医療等を受ける者に投与する核酸等の最終産物の組成	☐	
第 3	核酸等の特性解析と品質試験		
3-1	特性解析	☐	
3-2	感染因子に関する試験	☐	
3-3	純度試験（不純物試験）	☐	
3-4	力価・生物活性（核酸等の発現活性を含む。）	☐	
3-5	含量（投与における物理量等）	☐	
3-6	安定性	☐	
第 4	安全性及び有効性の評価		
4-1	非臨床試験における安全性及び有効性の評価		
4-1 (1)	臨床的有効性を予測するための試験	☐	
4-1 (2)	生体内分布	☐	

4-1 (3)	非臨床試験における安全性の評価	☐	
4-1 (4)	非臨床試験の成績の総括	☐	
4-2	臨床研究での安全性及び有効性の評価		
4-2 (1)	臨床的有効性を示すための試験	☐	
4-2 (2)	体内動態と排出	☐	
4-2 (3)	臨床研究における安全性の評価	☐	
4-2 (4)	臨床試験の成績の総括	☐	
4-5	再生医療等を受ける者への投与に用いられる特殊な機器や医療材料	☐	
第 5	その他必要な事項	☐	

別紙 2 に関する事項

番号	項目	確認欄	添付書類 番号
第 1	再生医療等提供機関及び特定細胞加工物等製造施設の構造設備及びバイオリスク管理の状況に関する資料		
1-1	特定細胞加工物等製造施設における病原性を持つ微生物等の管理に係る構造及び設備における、施行通知Ⅶ. (13) 省令第89条第13号関係及び施行通知Ⅶ. (14) 省令第89条第15号関係に関する事項	☐	
1-2	特定細胞加工物等製造施設におけるバイオセーフティ及びバイオセキュリティの規程に関する事項	☐	
第 2	再生医療等提供機関における当該再生医療等又はそれに類似する再生医療等に関する有効性を示す又は示唆する試験及び安全性に関する研究成果がある場合には、当該試験及び研究の成果に係る資料		
2-1	培養細胞や実験動物を用いた研究の成果	☐	
2-2	研究の概要に加え、培養細胞における遺伝子導入又はゲノム編集等の効率、導入遺伝子の発現又はゲノム編集等により生じた変化とその持続性、導入遺伝子又はゲノム編集等により発現したタンパク質等の機能等についての詳細な研究成果	☐	
2-3	臨床研究における有効性の示唆、又は安全性の担保に関し、研究機関等で得られている詳細なデータ及びその総括	☐	
2-4	関連する研究成果についての投稿論文等の情報	☐	
第 3	再生医療等提供機関以外において、国内外で実施されている当該核酸等又はそれに類似したものをを用いた医療技術に関する研究又は医療の提供の状況に係る資料	☐	
第 4	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に規定される遺伝子組換え生物等を用いる場合であって、その第一種使用規程が承認されていない場合には、提出予定の第一種使用規程申請書、生物多様性影響評価書及びその他の文書（申請書等）	☐	
第 5	その他必要な以下の事項に係る資料		
5-1	類似の核酸等を用いた医療技術に関する臨床研究の成果	☐	
5-2	核酸等の全塩基配列（核酸等としてゲノム編集酵素を用いる場合は当該酵素をコードする遺伝子配列）	☐	
5-3	核酸等がタンパク質である場合は、その一次構造	☐	
5-4	核酸等の製造方法に関する詳細な情報	☐	
5-5	核酸等の試験成績書（品質試験や安全性試験を含む。）	☐	