

結 果 通 知 書

遺伝子組換え生物等の種類の名称	rep及びcap遺伝子を欠失し、アデノ随伴ウイルス8型rh74株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2型に由来するITRを有し、delandistrogene moxeparvovecマイクロジストロフィン遺伝子を発現する遺伝子組換えアデノ随伴ウイルス（delandistrogene moxeparvovec）
申請者名	中外製薬株式会社
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
申請年月日	令和 6 年 12 月 26 日
概 要	<p>申請の概要は、別添のとおりである。</p> <p>本申請は、サレプタ・セラピューティックス株式会社の申請により、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）第4条に基づく承認を受けた第一種使用規程（令和2年10月6日付け厚生労働省発薬生1006第67号・環自野発第2010064号）に対し、中外製薬株式会社により、遺伝子組換え生物等の種類の名称の変更及び規程の一部を変更するために申請されたものである。変更する事項は、本遺伝子組換え生物等の排出等の検査に係る規定の削除及び感染性廃棄物等の処理に関する規定の追加である。また、既承認の第一種使用規程の記載が整備された。</p> <p>医薬品医療機器総合機構は、当該変更に係る使用により生物多様性に影響を与える可能性はないと考えることから、本申請の遺伝子組換え生物等の第一種使用規程に従って第一種使用等を行う限り、生物多様性に影響を及ぼすおそれはないと判断した。</p>
経 過	<p>① 令和 6 年 12 月 26 日 事前審査受付</p> <p>② 令和 7 年 2 月 6 日 照会</p> <p>③ 令和 7 年 2 月 21 日 回答</p> <p>④ 令和 7 年 2 月 27 日 差換え指示</p> <p>⑤ 令和 7 年 3 月 6 日 差換え</p> <p>⑥ 令和 7 年 3 月 10 日 事前審査終了</p>
備 考	

上記により、カルタヘナ法に基づく第一種使用規程の承認申請に関して、事前審査を実施しましたので、その結果を通知します。

令和 7 年 3 月 10 日

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
理事長 藤原 康弘

厚生労働省医薬局長 殿

I. 申請の概要

提出された第一種使用規程に関する承認申請書において、以下のとおり述べられている。

rep 及び *cap* 遺伝子を欠失し、アデノ随伴ウイルス 8 型 rh74 株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2型に由来するITRを有し、*delandistrogene moxeparvovec* マイクロジストロフィン遺伝子を発現する遺伝子組換えアデノ随伴ウイルス (*delandistrogene moxeparvovec*) (以下「本遺伝子組換え生物等」という。) の第一種使用等の内容は、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である。

本遺伝子組換え生物等の第一種使用等の方法は、以下のとおりである。

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の保管は、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において行う。

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は原液を希釈せずに投与する。原液の投与準備は、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) 投与準備済みの原液は、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執って行う。

患者への投与

- (5) 本遺伝子組換え生物等の投与は、治療施設の他の区画と明確に区別された治療室内で、患者の末梢静脈内に投与することにより行う。投与時は、治療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。

投与後の患者からの排出等の管理

- (6) 投与後、患者の投与部位を消毒し、投与部位から排出される本遺伝子組換え生物等の環境への拡散が最小限となるよう、医師の判断により必要とされる期間、対策を講じる。
- (7) 患者の排出物等から第三者への本遺伝子組換え生物等の伝播を最小限とするために、本遺伝子組換え生物等の投与を受ける患者に適切な指導を行う。

- (8) 投与を受けた患者が当該治療施設以外の医療施設（以下「外部医療施設」という。）で治療を受ける場合には、本遺伝子組換え生物等の投与後、排出等の管理が不要となるまでの期間、外部医療施設に対し第一種使用規程の承認を受けた遺伝子組換え生物等が投与された患者であることが情報提供されるよう、当該患者に適切な指導を行う。

患者検体の取扱い

- (9) 患者から採取した検体（以下「検体」という。）は、治療施設及び外部医療施設（以下「施設等」という。）の規定に従って取り扱う。
- (10) 本遺伝子組換え生物等の投与後、排出等の管理が不要となるまでの期間、検体の検査が外部の受託検査機関（以下「検査機関」という。）に委託される場合は、本遺伝子組換え生物等が漏出しない容器に入れ、施設等から検査機関へ運搬する。検体は検査機関の規定に従って取り扱う。
- (11) 検体の廃棄は、廃棄物の処理及び清掃に関する法律（昭和45年法律第137号）に基づいて施設等又は検査機関で定められた医療廃棄物の管理に係る規程（以下「医療廃棄物管理規程」という。）に従って行う。

感染症廃棄物等の処理

- (12) 本遺伝子組換え生物等の原液の廃棄は、治療施設内で不活化処理を行った上で、医療廃棄物管理規程に従って行う。
- (13) 本遺伝子組換え生物等が付着した可能性のある機器及び器材の廃棄は、医療廃棄物管理規程に従って行う。再利用する機器及び器材にあっては、不活化処理を行い、十分に洗浄する。
- (14) 患者が自宅等で用いたドレッシング材等は、二重袋等に厳重に封じ込めた状態で廃棄する。
- (15) 本遺伝子組換え生物等の原液の廃棄を感染性廃棄物処理業者に委託する場合には、本遺伝子組換え生物等の原液は、漏出しない容器に入れた上で他の医療廃棄物と区別して保管し、感染性廃棄物処理業者へ運搬し、廃棄物の処理及び清掃に関する法律施行令（昭和46年政令第300号）の別表第1の4の項に定める感染性廃棄物（以下「感染性廃棄物」という。）として廃棄する。運搬は、第一種使用規程の承認を受けている遺伝子組換え生物等を含む廃棄物である旨を情報提供して行う。
- (16) 検体等の廃棄を感染性廃棄物処理業者に委託する場合には、検体は漏出しない容器に入れ、本遺伝子組換え生物等が付着した可能性のある機器及び器材は、二重袋等に厳重に封じ込めた状態で、感染性廃棄物処理業者へ運搬し、感染性廃棄物として廃棄する。
- (17) 治療施設外で保管された未開封の本遺伝子組換え生物等を廃棄する場合は、密封された状態で高圧蒸気滅菌処理等により不活化処理を行い、廃棄する。

II. 審査結果

本申請は、令和2年10月6日付けで主務大臣の承認を受けた第一種使用規程に対し、規程の一部を変更するための申請である。医薬品医療機器総合機構は、変更された事項について、生物多様性に影響が生じる内容の変更はないことを確認し、本申請の遺伝子組換え生物等の第一種使用規程に従って第一種使用等を行う限り、生物多様性に影響を及ぼすおそれはないとする申請者の見解は妥当であると判断した。また、変更内容について専門的な議論が必要な特別な論点は存在しないことから、本審査において専門協議の開催は不要と判断した。

以上