
AMT/NEWSLETTER

Life Science

March 31, 2026

Life Science Newsletter

March 2026

弁護士 近藤 純一 / 弁護士 浅井 茉里菜 / 弁護士 古沢 亮介

Contents

Japanese

再生医療等製品の条件・期限付き承認

I. 再生医療等製品について

1. 定義
2. 規律の内容
3. 補足—再生医療等安全性確保法について—

II. 条件・期限付き承認について

1. 制度の概要
2. 補足—医薬品の条件付承認—

English

Conditional approval for regenerative medicine products

1. Regenerative medicine products

- 1.1 Definition
- 1.2 Framework of regulation
- 1.3 Supplement —the Act on the Safety of Regenerative Medicine—

2. Conditional and time-limited approval

- 2.1 Overview of the system
- 2.2 Supplement —conditional approval for pharmaceuticals—

再生医療等製品の条件・期限付き承認

2026年3月6日、厚生労働省は、iPS細胞を用いた再生医療等製品である、重症心不全に使用されるリハート¹と、パーキンソン病に使用されるアムシエプリ²の2製品を、それぞれ条件・期限付きで承認しました³。iPS細胞を用いた治療製品が実用化されるのは、今回が初めてとなります。

本稿では、承認対象となっている再生医療等製品について、またこれらの製品に対してなされた条件・期限付承認の制度概要について紹介します。

I. 再生医療等製品について

1. 定義

薬機法⁴2条9項において、再生医療等製品は以下のように定義されています。

この法律で「再生医療等製品」とは、次に掲げる物(医薬部外品及び化粧品を除く。)であって、政令で定めるものをいう。

- 一 次に掲げる医療又は獣医療に使用されることが目的とされている物のうち、人又は動物の細胞に培養その他の加工を施したもの
 - イ 人又は動物の身体の構造又は機能の再建、修復又は形成
 - ロ 人又は動物の疾病の治療又は予防
- 二 人又は動物の疾病の治療に使用されることが目的とされている物のうち、人又は動物の細胞に導入され、これらの体内で発現する遺伝子を含有させたもの

ここでいう「政令」とは薬機法施行令のことを指しており、施行令の別表第二で以下のとおり「再生医療等製品」に該当する製品が列挙されています。

ヒト細胞加工製品

- 一 ヒト体細胞加工製品(次号及び第四号に掲げる物を除く。)
- 二 ヒト体性幹細胞加工製品(第四号に掲げる物を除く。)
- 三 ヒト胚性幹細胞加工製品
- 四 ヒト人工多能性幹細胞加工製品

動物細胞加工製品

- 一 動物体細胞加工製品(次号及び第四号に掲げる物を除く。)
- 二 動物体性幹細胞加工製品(第四号に掲げる物を除く。)
- 三 動物胚性幹細胞加工製品
- 四 動物人工多能性幹細胞加工製品

遺伝子治療用製品

- 一 プラスミドベクター製品
- 二 ウイルスベクター製品
- 三 遺伝子発現治療製品(前二号に掲げる物を除く。)

iPS細胞を用いた製品は「ヒト人工多能性幹細胞加工製品」に該当するため、薬機法上の「再生医療等製品」として位

¹ <https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/saiseiDetail/GeneralList/4900X0000241>(リハート)

² <https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/saiseiDetail/GeneralList/4900X0000251>(アムシエプリ)

³ 厚生労働省「上野大臣会見概要」(2026年3月6日)

https://www.mhlw.go.jp/stf/kaiken/daijin/0000194708_00902.html

⁴ <https://laws.e-gov.go.jp/law/335AC0000000145>(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)

置付けられます。

2. 規律の内容

医薬品と同様に、製造販売業や製造業を営むにあたって許可を受ける必要があり(薬機法 23 条の 20 第 1 項、23 条の 22 第 1 項、第 2 項)、品目ごとに製造販売承認を受ける必要があります(23 条の 25 第 1 項)。

ただし、細胞を加工した製品を用いて身体の修復や疾病の治療を行うという機序が医薬品と全く異なっており、製品が均質でないことなどから、製造販売承認に際しても、医薬品とは異なる観点から有効性及び安全性審査する必要があります。この点から、製造販売承認時には構成細胞や導入遺伝子といった再生医療等製品に特有の事項が審査されることが法定されており(同条 2 項 3 号)、承認申請書の記載事項や添付事項に関する通知⁵⁶も発出されています。

3. 補足－再生医療等安全性確保法について－

なお、「再生医療」については、再生医療等安全性確保法⁷による再生医療等の提供や特定細胞加工物等の製造に関する規制も存在します。品質、有効性及び安全性が確認された不特定多数者向けの製品を企業が製造販売する場合には薬機法が適用され、また医師による薬剤や手技の選択には原則として医師の裁量が認められるのに対し、医師の責任の下で特定の患者に再生医療を施す場面では再生医療等安全性確保法が適用されます。

再生医療等安全性確保法で規制の対象となる「再生医療等」とは「再生医療等技術」を用いて行われる医療のことであり(同法 2 条 1 項)、「再生医療等技術」とは、原則として人の身体の構造若しくは機能の再建、修復若しくは形成又は人の疾病の治療若しくは予防に用いられることが目的とされている、細胞加工物や核酸等を用いる医療技術と定義されています(同条 2 項)。そして、「細胞加工物」とは、人又は動物の細胞に培養その他の加工を施したものとされています(同条 4 項)。もっとも、細胞加工物として再生医療等製品のみをその承認に係る用法等で用いる場合は「再生医療等技術」に該当しないとされています(同条 2 項 1 号括弧書)。

また、同法においてその製造等が規制されている「特定細胞加工物」は、細胞加工物から再生医療等製品を除いたものと定義されています(同条 4 項)。

II. 条件・期限付き承認について

1. 制度の概要

条件・期限付き承認とは、再生医療等製品のうち、品質が不均一であって、申請に係る効能、効果または性能を有すると推定され、またその効能等に比して著しく有害な作用を有するため使用価値がないと推定されるものではない製品について、薬事審議会の意見を聴いて、その適正な使用の確保のために必要な条件及び 7 年を超えない範囲内の期限を付した承認を与えることを認めた制度(薬機法 23 条の 26)です。このような制度は、再生医療等製品には人の細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となり、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時

⁵「再生医療等製品の製造販売承認申請について」(薬食発 0812 第 30 号、平成 26 年 8 月 12 日)

https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?datald=00tc0290&dataType=1&pageNo=1

⁶「再生医療等製品の製造販売承認申請に際し留意すべき事項について」(薬食機参発 0812 第 5 号、平成 26 年 8 月 12 日)

https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?datald=00tc0292&dataType=1&pageNo=1

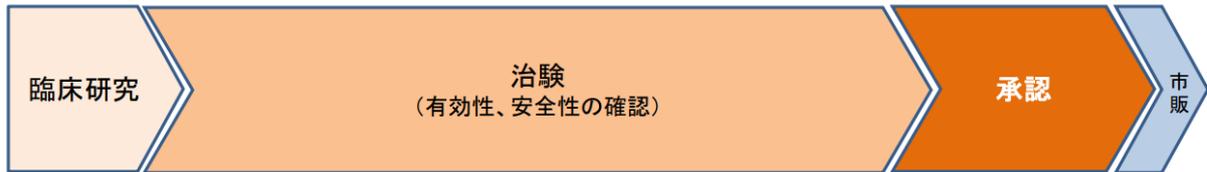
⁷再生医療等の安全性の確保等に関する法律(平成 25 年 11 月 27 日法律第 85 号)

間を要すること⁸、患者数が極めて少ないものが多いと考えられること⁹などから、患者がより早くアクセスできるように 2013 年の薬機法改正で設けられました。

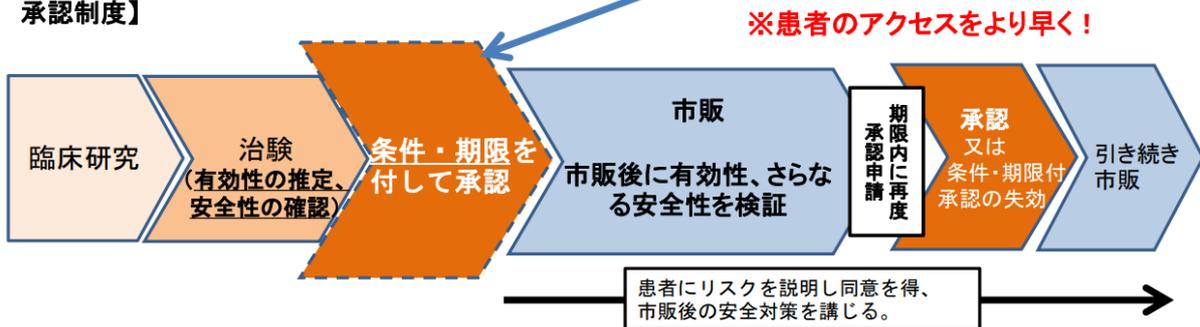
【従来の承認までの道筋】

＜再生医療等製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点＞

人の細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。



【再生医療等製品の早期の実用化に対応した承認制度】



- ・有効性については、一定数の限られた症例から、従来より短期間で有効性を推定。
- ・安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。

12

(出典：厚生労働省「薬事法等の一部を改正する法律の概要(平成 25 年 11 月 27 日法律第 84 号)」12 頁)

このような承認を受けた者は、1 年ごとに当該製品の使用成績等について調査し、製品出荷数量や不具合の発現状況等の事項を厚生労働大臣に報告する必要がある(同条 3 項、薬機法施行規則 137 条の 35 第 2 項)ほか、承認の期限内に改めて通常承認の申請を行う必要があります(薬機法 23 条の 26 第 5 項、23 条の 25 第 1 項)。

2 補足 – 医薬品の条件付き承認 –

なお、薬機法においては、医薬品についても、速やかな患者アクセスを確保する観点から条件付き承認の制度が設けられており、直近の法改正の対象ともなっています。

改正後の薬機法(以下、2026 年 5 月 1 日施行後の薬機法を「新薬機法」といいます。)の下では、医薬品について、①希少疾病用医薬品などの医療上特に必要性が高く、②申請に係る効能、効果または性能を有すると推定され、③またその効能等に比して著しく有害な作用を有するため使用価値がないと推定されるものではない場合には、当該医薬品の品質、有効性及び安全性に関する調査の実施、適正な使用の確保のために必要な措置の実施その他の必要な条件を付して承認することが可能となります(新薬機法 14 条の 2 の 2 第 1 項)。なお、医療機器等についても同様の規定が存在します(新薬機法 23 条の 2 の 6 の 2 第 1 項)。また、新薬機法 74 条の 2 より、条件付き承認の取り消しが可能となります。

本改正によって、条件付き承認制度を適用される医薬品等の範囲が拡大し、希少・重篤な疾患の治療のための医薬品により早期にアクセス可能となることが期待されています。

再生医療等製品の条件・期限付き承認の場合は期限が付されており、この期限内に再度承認申請を行う必要があるのに対し、医薬品・医療機器の条件付き承認については期限の定めはなく、所定の調査や措置を実施すれば足りるという違いがあります。

⁸ 厚生労働省「薬事法等の一部を改正する法律の概要(平成 25 年法律第 84 号)」(平成 25 年 11 月 27 日)

<https://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-11120000-iyakushokuhinkyoku/0000066816.pdf>

⁹ 再生医療における制度的枠組みに関する検討会「再生・細胞医療に関する臨床研究から実用化への切れ目ない移行を可能とする制度的枠組みについて」(平成 23 年 3 月 30 日)

<https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r98520000017446-att/2r9852000001745n.pdf>

Conditional approval for regenerative medicine products

On March 6, 2026, the Ministry of Health, Labour and Welfare (MHLW) approved two iPS cell-based regenerative medicine products—RiHEART¹, intended for use in severe heart failure, and AMCHEPRY², intended for use in Parkinson’s disease—each under a conditional, time-limited approval³. This marks the first time that iPS cell-based products have been brought into practical use.

This article introduces regenerative medicine products subject to approval and outlines the framework of the conditional, time-limited approval system applied to these products.

1. Regenerative medicine products

1.1 Definition

Under Article 2, Paragraph 9 of the Act on Securing Quality, Efficacy and Safety of Products Including Pharmaceuticals and Medical Devices (PMD Act), regenerative medicine products are defined as follows:

The term “regenerative medicine product” used in this Act refers to the following items (excluding quasi-pharmaceutical products and cosmetics), as specified by Cabinet Order:

- (i) the following items intended for use in human or animal healthcare which are obtained after culturing or other processes using human or animal cells:
 - (a) reconstruction, repairing or formation of the structure or function of the bodies of humans or animals;
 - (b) treatment or prevention of disease in humans or animals;
- (ii) items intended for use in the treatment of disease in humans or animals which are introduced into cells of humans or animals and contain genes to be expressed in their bodies.

Here, the term “Cabinet Order” refers to the Enforcement Order of the PMD Act. Appendix Table 2 of the Enforcement Order sets forth the products that fall under “regenerative medicine products” as follows:

Human cell-processed products

- (i) Processed human somatic cell products (excluding those listed in the following item and in item (iv))
- (ii) Processed human somatic stem cell products (excluding those listed in item (iv))
- (iii) Processed human embryonic stem cell products
- (iv) Processed human induced pluripotent stem cell products

Animal cell-processed products

- (i) Processed animal somatic cell products (excluding those listed in the following item and in item (iv))
- (ii) Processed animal somatic stem cell products (excluding those listed in item (iv))
- (iii) Processed animal embryonic stem cell products
- (iv) Processed animal induced pluripotent stem cell products

Gene therapy products

- (i) Plasmid vector products
- (ii) Viral vector products
- (iii) Gene expression therapy products (excluding those listed in the preceding two items)

iPS cell-based products fall under “Processed human induced pluripotent stem cell products” and are therefore classified as “regenerative medicine product” under the PMD Act.

¹ <https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/saiseiDetail/GeneralList/4900X0000241> (RiHEART)

² <https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/saiseiDetail/GeneralList/4900X0000251> (AMCHEPRY)

³ MHLW “Press Conference Summary: Minister Ueno” (March 6, 2026)
https://www.mhlw.go.jp/stf/kaiken/daijin/0000194708_00902.html

1.2 Framework of regulation

As with pharmaceuticals, a license is required to engage in the business of marketing and manufacturing regenerative medicine products. (Articles 23-20(1), 23-22(1) and (2) of the PMD Act), and marketing approval must be obtained for each item (Article 23-25(1)).

However, because the mechanism by which cell-processed products repair the body or treat disease is fundamentally different from that of pharmaceuticals and the fact that such products are often heterogeneous in quality, efficacy and safety, regenerative medicine products must be evaluated from perspectives different from those applied to pharmaceuticals even in the situation of marketing approval. Accordingly, the PMD Act provides that matters specific to regenerative medicine products—such as the constitutive cells and transgenes—are to be examined at the time of marketing approval (Article 23-25(2)(iii)), and notifications⁴⁵ regarding the items to be included in marketing approval applications and their attachments have also been issued.

1.3 Supplement – the Act on the Safety of Regenerative Medicine –

Note that, with respect to “regenerative medicine,” there is also regulation under the Act on the Safety of Regenerative Medicine⁶ governing the provision of regenerative medical services and the manufacture of specific processed cells, etc. While the PMD Act applies when a company manufactures and markets products (intended for an unspecified large population) whose quality, efficacy and safety have been confirmed, the Act on the Safety of Regenerative Medicine applies in situations where regenerative medical treatment is provided to specific patients under the responsibility of a physician, even though, in principle, physicians are afforded discretion in selecting drugs and procedures.

Under the Act on the Safety of Regenerative Medicine, “regenerative medicine” subject to regulation means medical care performed using “regenerative medical technology” (Article 2(1)). “Regenerative medical technologies” are defined as medical technology that use processed cells, nucleic acids, etc., and are intended for the purpose of reconstruction, repair or formation of the structure or function of the human body, or for the treatment or prevention of human disease, in principle (Article 2(2)). “Processed cells” are defined as human or animal cells that have been cultured or otherwise processed (Article 2(4)). However, when a technology uses only regenerative medicine product in accordance with the uses for which it has been approved on the PMD Act, it is not considered to fall within “regenerative medical technology” (Article 2(2)(i) in parentheses).

In addition, “specific processed cells” whose manufacture, etc. is regulated under the Act are defined as processed cells excluding regenerative medicine products (Article 2, Paragraph 4).

2. Conditional and time-limited approval

2.1 Overview of the system

The conditional and time-limited approval system, provided for in Article 23-26 of the PMD Act, permits

⁴ “Applications for Marketing Authorization for Regenerative Medicine Products” (PFSB Notification, August 12, 2014)

https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc0290&dataType=1&pageNo=1

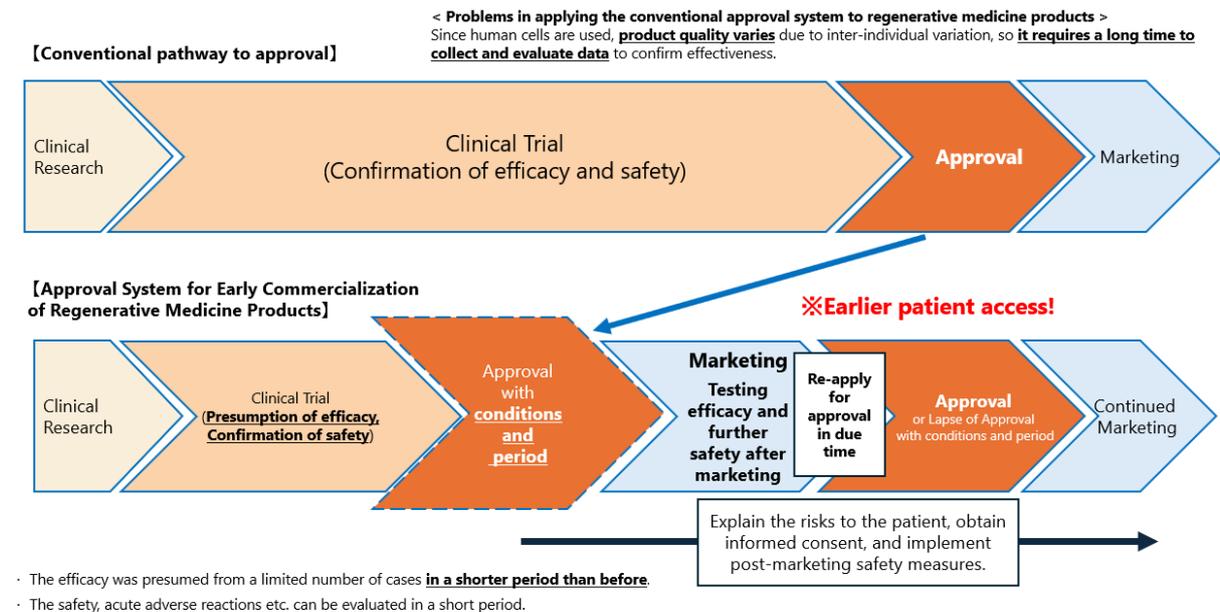
⁵ “Points to Note When Applying for Marketing Authorization for Regenerative Medicine Products” (PFSB Notification, August 12, 2014)

https://www.mhlw.go.jp/web/t_doc?dataId=00tc0292&dataType=1&pageNo=1

⁶ Act on the Safety of Regenerative Medicine (Act No. 85 of November 27, 2013)

granting of approvals with necessary conditions and for a period not exceeding seven years. Such approvals may be granted after hearing the opinion of the Pharmaceutical Affairs Council, in respect of regenerative medicine products whose quality is heterogeneous, which are presumed to possess the efficacy, effectiveness or performance claimed in the application, and which are not presumed to have no value in use due to significantly harmful action concerning their efficacy.

This system was established by the 2013 amendment to the PMD Act to facilitate earlier patient access to regenerative medicine products. Owing to the use of human cells in such products, they tend to exhibit heterogeneous quality reflecting individual differences, often taking a long time for the collection and evaluation of efficacy data⁷, and frequently only involve a very small patient population⁸.



(Source: MHLW, “Outline of the Act for Partial Amendment of the Pharmaceutical Affairs Act (Act No. 84 of November 27, 2013),” p. 12; translated by the authors.)

Persons granted such approvals are required to conduct an annual survey of the product’s post-marketing performance and to report matters such as product shipment quantity and the occurrence of defects to the Minister of Health, Labour and Welfare (Article 23-26(3) of the PMD Act and Article 137-35(2) of the Enforcement Regulations of the PMD Act). In addition, they must re-apply for standard marketing approval within the approval period (Article 23-26(5) and Article 23-25(1) of the PMD Act).

2.2 Supplement – conditional approval for pharmaceuticals –

The PMD Act also provides a system of conditional approval for pharmaceuticals to ensure earlier patient

⁷ MHLW “Outline of the Act for Partial Amendment of the Pharmaceutical Affairs Act (Act No. 84 of 2013)” (November 27, 2013)

<https://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-11120000-iyakushokuhinkyoku/0000066816.pdf>

⁸ Study Group on Institutional Frameworks in Regenerative Medicine “Institutional Framework for Enabling Seamless Transition from Clinical Research to Practical Application in Regenerative and Cellular Medicine” (March 30, 2011)

<https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r98520000017446-att/2r9852000001745n.pdf>

access, and this system was the subject to the recent amendment of the Act.

Under the amended PMD Act (hereinafter the "New PMD Act," which comes into force on May 1, 2026), a pharmaceutical may be granted conditional approval where: (i) it addresses a medical need that is particularly high, such as an orphan drug for a rare disease; (ii) it is presumed to possess the efficacy, effectiveness or performance claimed in the application; and (iii) it is not presumed to have no value in use due to significantly harmful action concerning its efficacy. In such cases, approval may be granted subject to conditions including the conduct of investigations concerning the product's quality, efficacy and safety, the implementation of measures required to ensure proper use, and other necessary conditions (Article 14-2-2(1) of the New PMD Act). A similar provision applies to medical devices (Article 23-2-6-2(1) of the New PMD Act). In addition, Article 74-2 of the New PMD Act provides for possible revocation of conditional approval.

The amendment is expected to expand the range of pharmaceuticals eligible for conditional approval and thereby improve earlier access to medicines for the treatment of rare and serious diseases.

There is an important difference between the system for regenerative medicine products and for pharmaceuticals/medical devices: conditional and time-limited approval for regenerative medicine products is granted with a specified time limit, and the holder must submit a further approval application within that period. In contrast, conditional approval for pharmaceuticals and medical devices is not subject to a prescribed time limit. Compliance is achieved by carrying out the required investigations and measures attached to the approval.

-
-
- 本ニュースレターの内容は、一般的な情報提供であり、具体的な法的アドバイスではありません。お問い合わせ等ございましたら、下記弁護士までご遠慮なくご連絡下さいますよう、お願いいたします。

This newsletter is published as a general service to clients and friends and does not constitute legal advice. Should you wish to receive further information or advice, please contact the authors as follows:

- 本ニュースレターの執筆者は、以下のとおりです。
弁護士 [近藤 純一 \(junichi.kondo_grp@amt-law.com\)](mailto:junichi.kondo_grp@amt-law.com)
弁護士 [浅井 茉里菜 \(marina.asai@amt-law.com\)](mailto:marina.asai@amt-law.com)
弁護士 [古沢 亮介 \(ryosuke.kozawa@amt-law.com\)](mailto:ryosuke.kozawa@amt-law.com)

Authors:

[Junichi Kondo \(junichi.kondo_grp@amt-law.com\)](mailto:junichi.kondo_grp@amt-law.com)

[Marina Asai \(marina.asai@amt-law.com\)](mailto:marina.asai@amt-law.com)

[Ryosuke Kozawa \(ryosuke.kozawa@amt-law.com\)](mailto:ryosuke.kozawa@amt-law.com)

- ニュースレターの配信停止をご希望の場合には、お手数ですが、[お問い合わせ](#)にてお手続き下さいますようお願いいたします。

If you wish to unsubscribe from future publications, kindly contact us at [General Inquiry](#).

- ニュースレターのバックナンバーは、[こちら](#)にてご覧いただけます。

The back issues of the newsletter are available [here](#).