

※第17回再生医療等評価部会（平成29年2月1日）提示資料

遺伝子治療等臨床研究に関する指針の見直しに 関する専門委員会の設置について

1. 設置の趣旨

遺伝子治療等臨床研究については、遺伝子治療等臨床研究に関する指針（平成27年厚生労働省告示第344号）により、研究者が遵守すべき事項を定め、研究の適正な実施に努めてきたところである。

ゲノム編集技術はここ数年で急速に発展しており、海外では既に臨床試験も実施されている。今後、国内においても *in vivo*, *ex vivo* を問わずゲノム編集技術を用いた遺伝子治療等臨床研究の提供計画が提出される可能性を踏まえ、厚生科学審議会再生医療等評価部会に本委員会を設置し、指針の改正も視野に入れて必要な検討を行う。

※再生医療等安全性確保法（平成25年法律第85号）が施行されて以降は、*ex vivo* 遺伝子治療等臨床研究は、再生医療等安全性確保法に基づく規制に委ねることとし、基本的に本指針の対象外となった。ただし、本指針第1章及び雑則は、遺伝子治療等臨床研究を実施するに当たって共通して配慮が必要な事項であるため、法とともに指針の上記箇所に従う必要がある。

2. 検討課題

遺伝子治療等の定義及び適応範囲（ゲノム編集技術を用いた消失・ノックアウト等も適応範囲になるか）等の論点について、遺伝子治療等臨床研究を取り巻く状況等を踏まえ検討を行う。

3. 構成

医学研究者（遺伝子治療等、ゲノム編集技術）、医療関係者、法学・倫理専門家等から構成する。（委員及び委員長は、厚生科学審議会再生医療等評価部会運営細則第2条及び第3条に基づき、再生医療等評価部会長が指名する。）

4. 運営方法

委員会の運営事務局は大臣官房厚生科学課で行う。

遺伝子治療等臨床研究に関する指針の概要について

厚生労働省大臣官房厚生科学課

遺伝子治療等臨床研究に関する指針の概要①

(厚生労働省告示)

1. 基本的考え方

(1) 目的

この指針は、遺伝子治療等の臨床研究（以下「遺伝子治療等臨床研究」という。）に
関し遵守すべき事項を定め、もって遺伝子治療等臨床研究の医療上の有用性及び倫理
性を確保し、社会に開かれた形での適正な実施を図ることを目的とする。

(2) 適用される研究

この指針は、我が国の研究機関により実施され、又は日本国内において実施される遺伝
子治療等臨床研究を対象とする。

ただし、第十二から第三十四までの規定は、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（昭和35年法律第145号）に定める治験に該当する遺
伝子治療等臨床研究及び遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与する遺伝子治療等
臨床研究については、適用しない。

2. 主な改正経緯

(遺伝子治療臨床研究に関する指針)

平成14年4月1日 施行

平成16年12月28日 全部改正

※個人情報保護法制定に伴う改正

平成27年10月1日 廃止

※下記指針の施行のため

(遺伝子治療等臨床研究に関する指針)

平成27年10月1日 施行 - 3-

遺伝子治療等臨床研究に関する指針の概要②

(厚生労働省告示)

3. 基本構成

第一章 総則

- 第一 目的
- 第二 用語の定義
- 第三 適用範囲
- 第四 遺伝子治療等臨床研究の対象の要件
- 第五 有効性及び安全性
- 第六 品質等の確認
- 第七 生殖細胞等の遺伝的改変の禁止
- 第八 適切な説明に基づくインフォームド・コンセントの確保

第二章 研究者等の責務等

- 第九 公衆衛生上の安全の確保
- 第十 情報の公開
- 第十一 被験者の選定
- 第十二 研究者の基本的責務等
- 第十三 研究責任者の責務
- 第十四 総括責任者の責務
- 第十五 研究機関
- 第十六 研究機関の長の責務

第三章 研究計画

- 第十七 研究計画書に関する手続
- 第十八 研究計画書の記載事項
- 第十九 研究に関する登録・公表

第四章 倫理審査委員会

- 第二十 倫理審査委員会の設置等
- 第二十一 倫理審査委員会の役割・責務等

第五章 インフォームド・コンセント等

- 第二十二 インフォームド・コンセントを受ける手続等
- 第二十三 代諾者からのインフォームド・コンセントを受ける場合の手続等

第六章 厚生労働大臣の意見等

- 第二十四 厚生労働大臣の意見
- 第二十五 重篤な有害事象等に係る厚生労働大臣の
- 第二十六 厚生労働大臣の調査等

第七章 個人情報等

- 第二十七 個人情報等に係る基本的責務
- 第二十八 安全管理
- 第二十九 保有する個人情報の開示等

第八章 重篤な有害事象への対応

- 第三十 重篤な有害事象への対応

第九章 研究の信頼性確保

- 第三十一 利益相反の管理
- 第三十二 研究に係る試料及び情報等の保管
- 第三十三 モニタリング及び監査

第十章 雜則

- 第三十四 啓発普及
- 第三十五 施行期日
- 第三十六 経過措置

遺伝子治療等とは

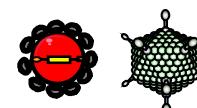
定義

疾病の治療や予防を目的として遺伝子又は遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与すること（「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」より）

遺伝子治療薬の直接投与 (*in vivo* 遺伝子治療)

遺伝子治療薬
(目的遺伝子をベクターに搭載したもの)

ウイルスベクター



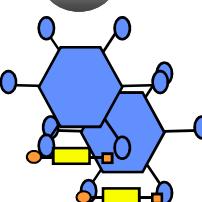
プラスミド
(Naked DNA)



プラスミド/リポソーム



増殖性組換えウイルス



遺伝子導入細胞の投与 (*ex vivo* 遺伝子治療)

目的細胞の単離
(自己、同種)

(ウイルスベクター)

目的細胞

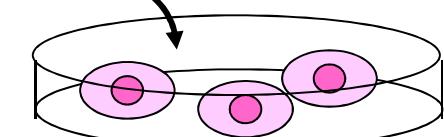
体外培養

(增幅も)

遺伝子導入



投与



遺伝子導入細胞