

第2回遺伝子治療臨床研究に関する指針の見直しに関する専門委員会	資料
平成25年7月26日	2

平成22年度「遺伝子治療臨床研究推進のための指針見直しに向けた調査研究」(研究代表者 日本医科大学 島田隆教授) 総括研究報告書において指摘された検討事項

- 1 遺伝子治療の定義および適用範囲について
- 2 対象疾患について
- 3 iPS細胞を用いた臨床研究の取り扱いについて
- 4 多施設共同研究について
- 5 審査体制について
- 6 実施施設から厚生労働大臣への各種報告について
- 7 情報の公開について
- 8 記録の保存について
- 9 個人情報の保護に関する措置について※
- 10 人権保護に関する事項について※

※ 疫学・臨床研究に関する指針との共通事項

## 1 遺伝子治療の定義および適用範囲について

### <現状>

#### 1) 遺伝子治療の定義

「遺伝子治療」：疾病の治療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及び次に定める遺伝子標識をいう。

「遺伝子標識」：疾病の治療法の開発を目的として標識となる遺伝子又は標識となる遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与することをいう。

定義について：化学合成した DNA や RNA、自然界に存在する DNA、RNA やウイルスの投与について、指針の対象かどうかの記載がない。

また、「予防」は含まれていない。

適用範囲について：適用範囲を規定する明確な記載はない。

## 2 対象疾患について

### <現状>

1) 対象疾患は以下の3つの要件すべてに適合するものに限られている。

- ① 重篤な遺伝性疾患、がん、後天性免疫不全症候群その他の生命を脅かす疾患又は身体の機能を著しく損なう疾患であること。
- ② 遺伝子治療臨床研究による治療効果が、現在可能な他の方法と比較して優れていることが十分に予測されるものであること。
- ③ 被験者にとって遺伝子治療臨床研究により得られる利益が、不利益を上回ることが十分に予測されるものであること。

現行指針作成時は遺伝子治療の安全性が確立していなかったため、重篤な疾患に限定するとともに、3つの要件すべてを満たす必要がある。

## 3 iPS細胞を用いた臨床研究の取り扱いについて

### <現状>

iPS細胞作製時の遺伝子導入は現行指針における遺伝子治療の「疾病の治療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」という定義に該当し、本指針の適用範囲に含まれるとも考えられる。

一方、「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」はiPS細胞を用いる臨床研究も対象としているため、両指針が適用されると判断した場合、2つの審

査委員会で二重に審査するという申請者にとって煩雑な事態も想定される。

そこで現状では、当面の対応として、「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する審査委員会」に遺伝子治療の専門家である審査委員が加わり、審議を行っている。

#### 4 多施設共同研究について

##### <現状>

- 1) 複数の「研究機関」が共同で研究を行う場合、各機関に「研究責任者」を置いているが、それらを統括する者はいない。
- 2) 治療を行わない機関（ベクターの作製やベクターを導入した細胞を作製するだけの機関）の定義はない。

#### 5 審査体制について

##### <現状>

- 1) 現状では施設内倫理委員会と厚生労働大臣の意見という2段階審査を行っている。新規性のないものは30日以内に、新規性のあるものは厚生科学審議会での審議後に意見が厚生労働大臣より回答される。
- 2) ウイルスベクターの専門家は限られており、施設内審査のみで研究を行うことは、遺伝子治療の安全性を十分確保するうえで難しい。

#### 6 実施施設から厚生労働大臣への各種報告について

##### <現状>

- 1) 研究経過報告書の提出は求められていない。
- 2) 研究終了後の追跡調査期間の設定がない。
- 3) 重大事態等報告書や終了報告書の提出期限が明記されていない。

#### 7 情報の公開について

##### <現状>

- 1) 研究計画または実施している臨床研究に関する情報の公開についての具体的な方法が現状では記載されていない。
- 2) 一方、臨床研究に関する倫理指針では実施する臨床研究について、登録するように求めており、実際に登録システムがある。(国立大学附属病院

長会議、財団法人日本医薬情報センター及び社団法人日本医師会)

## 8 記録の保存

### <現状>

- 1) 現行の指針での記録の保存は5年間。  
ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針では10年の保存を義務付けている。

## 9 個人情報の保護に関する措置について

### <現状>

- 1) 第6章の個人情報の保護に関する措置は、内容が個人情報保護法の一般的な解説となっている。

## 10 人権保護に関する事項について

### <現状>

- 1) 未成年者に対する研究におけるインフォームドアセントなどについての記載がない。