

遺伝子治療臨床研究に関する指針の一部を改正する件について（概要）

1. 改正の趣旨

- 遺伝子治療臨床研究については、「遺伝子治療臨床研究に関する指針」（平成 16 年文部科学省・厚生労働省告示第 2 号。以下「指針」という。）を定め、その適正な実施を図ってきたところである。
- 再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成 25 年法律第 85 号。以下「再生医療等安全性確保法」という。）では、再生医療等の提供に関する基準を定め、当該基準に従って再生医療等が提供されることを求めている。
- また、再生医療等を提供しようとする病院等に対し、再生医療等提供計画の提出を求めているが、これについては、同法の施行の際に現に再生医療等を提供している病院等については、1 年間の猶予措置（経過措置）が認められている（再生医療等安全性確保法附則第 3 条）。
- 再生医療等安全性確保法の施行に伴い、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臨床研究（以下 *ex vivo* 遺伝子治療臨床研究という。）の提供は再生医療等安全性確保法第 2 条第 1 項に規定する「再生医療等」に該当することとなることから、指針の適用範囲について所要の改正を行った。
- また、薬事法等の一部を改正する法律（平成 25 年法律第 84 号。以下「薬事法等改正法」という。）の施行に伴い、指針の文言について所要の改正を行った。

2. 改正の内容

（1）再生医療等安全性確保法の施行に伴う改正について

① 指針の適用範囲の改正

再生医療等安全性確保法の施行に伴い、*ex vivo* 遺伝子治療の提供は再生医療等安全性確保法第 2 条第 1 項に規定する「再生医療等」に該当することとなる。そのため、*ex vivo* 遺伝子治療臨床研究は、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して手続の重複を排除した。ただし、「生殖細胞等の遺伝的改変の禁止」（指針第 1 章の第 6）等、再生医療等安全性確保法の適用となる *ex vivo* 遺伝子治療臨床研究にも等しく適用されるべきである規定については、治験の取扱い同様、引き続き本指針の対象とした。

(2) 薬事法等改正法の施行に伴う改正について

① 引用省令名の変更

薬事法等改正法の施行に伴い、遺伝子治療臨床研究に使用される遺伝子その他の人に投与される物質の品質等の確認を行うべき省令が、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成9年厚生省令第28号）から再生医療等製品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成26年厚生労働省令第89号）に移行することから、指針中の省令名の引用箇所の改正を行った。

② 薬事法の法律名の変更

薬事法等改正法の施行に伴い、薬事法の法律名が変更になったことに伴う改正を行った。

3. 経過措置について

○ 再生医療等安全性確保法第4条第1項の規定による再生医療等提供計画の提出については、同法附則第3条により、1年間の経過措置が設けられている。

そのため、*ex vivo* 遺伝子治療臨床研究についても、同計画を提出するまでの間は、従前同様、指針の規定が適用される。

遺伝子治療臨床研究に関する指針の一部を改正する件（案）に関する
パブリックコメントの募集結果について

平成 26 年 11 月 25 日
厚生労働省大臣官房厚生科学課
文部科学省研究振興局ライフサイエンス課生命倫理・安全対策室

「遺伝子治療臨床研究に関する指針」（以下「指針」という。）の一部を改正する件について、平成 26 年 10 月 11 日から 11 月 9 日まで「電子政府の総合窓口(e-Gov)」を通じてパブリックコメントを行ったところ、2名の個人から、延べ2件の御意見が提出されました。

お寄せいただいた御意見とそれに対する回答について、以下のとおり取りまとめました。なお、取りまとめの都合上、本パブリックコメント募集の対象となる御意見についてののみ、集約させていただいた形での回答となっております

今回、御意見をお寄せいただきました方々の御協力に厚く御礼申し上げます。

意見要旨	回答
今回の改正は、エボラ出血熱の流行に対応するためのものでしょうか。また、今回の改正により、遺伝子治療とは、遺伝子を直接体内に入れることになるのでしょうか。	今回の改正については、エボラ出血熱の流行へ対応するものではなく、平成 26 年 11 月 25 日に「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」（以下「法」という。）が施行されることに伴い、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臨床研究が法第 2 条第 1 項に規定する「再生医療等」に該当することとなるため、指針の適用範囲等について改正を行うためのものです。 また、現行の指針においても、遺伝子を人の体内に投与する臨床研究とともに遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与する臨床研究をその対象としています。