

「遺伝子治療等臨床研究に関する指針を定める件（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 27 年 2 月 25 日

「遺伝子治療等臨床研究に関する指針を定める件（案）」について、平成 26 年 12 月 23 日から平成 27 年 1 月 21 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、5名の個人から、延べ8件の意見が提出された。パブリックコメント提出意見について、委員会で検討を行った結果、新指針案の変更は行わなかった。提出された意見に対する回答について、以下のとおり取りまとめた。

○主なパブリックコメント提出意見及び意見に対する考え方（案）

番号	意見要旨	回答
1	現行の「遺伝子治療臨床研究に関する指針」（以下「現行指針」という。）において、記録の保存の規定（第七章 第一）については、治験や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にも適用されているが、これらは他の法令の適用を受けているため、指針においては、適用除外とすべきではないか。	ご意見のとおり、治験や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係る記録の保存については、遺伝子治療等臨床研究に関する指針（以下「指針」という。）以外の法令の適用を受けているため、指針においては、適用除外としております。
2	「遺伝子を導入する操作を行った細胞」は「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。）の第2条第5項において規定される第一種再生医療等技術であることから、特定認定再生医療等委員会での審査事項に該当すると思われるが、他方、指針の適用対象にも該当するように思われる。両者の棲み分けをどのように理解すればよいか。	指針においては、法の適用対象となる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は、基本的に適用除外となります。 しかしながら、法制度を問わず、遺伝子治療等臨床研究を実施するに当たって配慮が必要な事項（指針の総則等）については、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であっても適用対象となります。
3	指針の「対象疾患等」は緩和しすぎである。現行指針の対象疾患の規定に、その疾患の予防も加える程度の改正に留めるべきである。	当該変更については、慢性疾患への対応等も考慮して疾患の限定を削除したものです。安全面については、引き続き研究の実施について倫理審査委員会や厚生労働大臣の意見を尊重するよう規定して

		<p>いることに加え、記録の保存期間の延長や追跡調査の規定を新たに追加し、今後も適切に研究が実施されるよう配慮の上、指針を見直しました。</p>
4	<p>多施設共同研究において、総括責任者が許可等を受けなければならない「研究機関の長」とは、どの研究機関の長を指すのか。総括責任者の所属する研究機関の長1人から許可等を受ければ足りるのではないか。</p>	<p>ご意見のとおり、多施設共同研究において総括責任者が許可等を求める「研究機関の長」は、当該総括責任者が所属する研究機関の長を指します。</p>
5	<p>倫理審査委員会については、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」(以下「医学系研究指針」という。)の倫理審査委員会や法の特定認定再生医療等委員会のように、研究機関以外が設置した審査委員会による審査も可能とすべきではないか。</p>	<p>ご意見のとおり、指針においても、研究機関以外が設置した倫理審査委員会による審査を可能としています。</p>
6	<p>遺伝子治療等臨床研究の実施状況について一定程度の情報公開を定めるべきである。</p>	<p>ご意見のとおり、情報公開については、指針では「啓発普及」において、研究者は、あらゆる機会を利用して遺伝子治療等臨床研究に関し、情報の提供等啓発普及に努めるよう規定しています。また、「研究に関する登録・公表」においても、研究責任者は、公開データベースに当該研究の概要を登録し、研究の進捗等に応じて適宜更新を行うよう規定しています。</p>
7	<p>監査に関して「必要に応じ監査を実施」と規定されているが、研究計画書に監査の実施を定めた場合に監査を実施しなければならないという理解でよろしいか。</p>	<p>監査については、医学系研究指針と同様とすべきだと考えており、記載についても同一としています。監査の実施の有無については、第一義的には研究責任者が研究計画書の作成に当たって判断し、その妥当性を含めて倫理審査委員会で審査され、その倫理審査委員会及び厚生労働大臣の意見を踏まえ研究機関の長が許可・不許可を決定するものです。したが</p>

		<p>って、ご意見のとおり、研究計画書に監査の実施を規定した遺伝子治療等臨床研究において、監査を実施する必要があります。</p>
8	<p>モニタリング及び監査に従事する者について、当該研究機関に属する者でもよいのか、他の研究機関等の第三者機関に委任することが望ましいのか、何らかの要件の規定が必要ではないか。</p>	<p>監査については、医学系研究指針と同様とすべきだと考えており、記載についても同一としています。従事者の要件等の詳細については、今後とりまとめられる医学系研究指針のガイダンスや指針のQ&Aにおいて解説を行います。</p>

(参考) パブリックコメントで意見があった箇所の規定について

○適用される研究 (番号 1、2)

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。

○遺伝子治療等臨床研究の対象の要件 (番号 3)

改正指針	現行指針
<p>遺伝子治療等臨床研究の対象の要件</p> <p>一 遺伝子治療等臨床研究の対象は、次のすべての要件に適合するものに限る。</p> <p>1 遺伝子治療等臨床研究による治療・予防効果が、現在可能な他の方法と比較して同等以上であることが十分に予測されるものであること。</p> <p>2 被験者にとって遺伝子治療等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予測されるものであること。また、当該遺伝子治療等臨床研究が予防を目的とする場合には、利益が不利益を大きく上回ることが十分予測されるものであること。</p>	<p>対象疾患等</p> <p>一 遺伝子治療臨床研究 (遺伝子標識の臨床研究 (以下「遺伝子標識臨床研究」という。)) を除く。以下この第三で同じ。) の対象は、次のすべての要件に適合するものに限る。</p> <p><u>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。</u></p> <p>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。</p> <p>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予測されるものであること。</p>

○総括責任者の責務 (番号 4)

一 総括責任者は、次の業務を行わなければならない。

- 1 総括責任者は、遺伝子治療等臨床研究の実施に関して国内外の入手し得る資料及び情報に基づき、遺伝子治療等臨床研究の医療上の有用性及び倫理性について検討を行い、その検討の結果を踏まえて、あらかじめ、研究計画書を作成し、研

研究機関の長の許可を求めなければならない。研究計画書を変更するときも同様とする。

- 2 総括責任者は、遺伝子治療等臨床研究を総括し、他の研究責任者に必要な指示を与えるとともに、適宜、他の研究責任者に対する教育及び研修を行わなければならない。
 - 3 総括責任者は、第十三の一の2(2)又は(3)の規定により報告を受けた場合は、自らが所属する研究機関の長及び全ての研究責任者に対し、速やかに、その旨を報告しなければならない。また、総括責任者は、自らが所属する研究機関の長の指示を受ける前に、必要に応じ、遺伝子治療等臨床研究の中止又は暫定的な措置を講ずることができる。
 - 4 総括責任者は、遺伝子治療等臨床研究を総括するに当たって、その他の必要な措置を講じなければならない。
- 二 複数の研究機関で実施する遺伝子治療等臨床研究において、総括責任者は、遺伝子治療等臨床研究1件につき1名とし、各研究機関の研究責任者の中から1名に限り選任するものとする。
- 三 総括責任者は、研究責任者の業務を行うとともに、他の研究責任者から依頼された第十九の一の規定による遺伝子治療等臨床研究の研究計画書の登録を代表して行うことができる。この場合には、当該遺伝子治療等臨床研究を実施する全ての研究機関に関する情報も登録しなければならない。

○研究機関（倫理審査委員会の設置を要件から外した）（番号5）

実施施設は、次のすべての要件を満たさなければならない。

- 一 十分な臨床観察及び検査並びにこれらの結果の分析及び評価を行うことができる人的能力及び施設機能を備えたものであること。
- 二 被験者の病状に応じた必要な措置を採ることができる人的能力及び施設機能を備えたものであること。
- 三 審査委員会が置かれているものであること。

※現行指針から下線の要件を外すこととした。実施施設に必ずしも倫理審査委員会の設置は必要ないこととした。

○研究に関する登録・公表（番号6）

一 研究の概要及び結果の登録

研究責任者（複数の研究機関で実施する遺伝子治療等臨床研究の場合にあっては、総括責任者又は研究責任者）は、遺伝子治療等臨床研究について、国立大学附属病院長会議、一般財団法人日本医薬情報センター又は公益社団法人日本医師会が設置している公開データベースに、当該遺伝子治療等臨床研究の概要をその実施に先立って登録し、研

研究計画書の変更及び遺伝子治療等臨床研究の進捗に応じて適宜更新しなければならない、また、遺伝子治療等臨床研究を終了したときは、遅滞なく、当該遺伝子治療等臨床研究の結果を登録しなければならない。ただし、被験者等及びその関係者の人権又は研究者及びその関係者の権利利益の保護のため非公開とすることが必要な内容として、倫理審査委員会の意見を受けて研究機関の長が許可したものについては、この限りでない。

○モニタリング及び監査（番号 7、8）

- 一 研究責任者は、遺伝子治療等臨床研究の信頼性の確保に努めなければならない、研究機関の長の許可を受けた研究計画書に定めるところにより、モニタリング及び必要に応じて監査を実施しなければならない。
- 二 研究責任者は、研究機関の長の許可を受けた研究計画書に定めるところにより適切にモニタリング及び監査が行われるよう、モニタリングに従事する者及び監査に従事する者に対して必要な指導・管理を行わなければならない。
- 三 研究責任者は、監査の対象となる遺伝子治療等臨床研究の実施に携わる者及びそのモニタリングに従事する者に、監査を行わせてはならない。
- 四 モニタリングに従事する者は、当該モニタリングの結果を研究責任者に報告しなければならない。また、監査に従事する者は、当該監査の結果を研究責任者及び研究機関の長に報告しなければならない。
- 五 モニタリングに従事する者及び監査に従事する者は、その業務上知り得た情報を正当な理由なく漏らしてはならない。その業務に従事しなくなった後も同様とする。
- 六 研究機関の長は、一の規定によるモニタリング及び監査の実施に協力するとともに、当該実施に必要な措置を講じなければならない。

※人を対象とする医学系研究に関する倫理指針（平成 26 年文部科学省・厚生労働省告示第 3 号）のガイダンスにおける監査に関する記載事項

- ・監査の必要性については、研究の社会的及び学術的な意義、研究対象者への負担並びに予測されるリスク及び利益等を踏まえ、研究の質や透明性の確保等の観点から総合的に評価し、一義的には研究計画書の作成に際して研究責任者が判断し、その判断の妥当性を含めて倫理審査委員会の審査を受ける必要がある。
- ・監査に従事する者は当該研究に携わる者及びモニタリングに従事する者以外であれば、当該研究機関内の者でもよい。