

「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」改正の方向性について

(現時点での方向性を示したものであり、今後の議論と法令審査により文言は変更される。)

改正の方向性	現行
「遺伝子治療等」の定義 (第二の一)	
この指針において「遺伝子治療等」とは、 <u>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、及び特定の塩基配列を標的として人の遺伝子を改変すること又は遺伝子を改変した細胞を人の体内に投与することをいう。</u>	この指針において「遺伝子治療等」とは、 <u>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をいう。</u>
「最終産物」の定義 (第二の十六)	
この指針において「最終産物」とは、 <u>被験者に投与する最終的に作製された疾病の治療又は予防のための遺伝子が組み込まれた DNA 及びこれを含むウイルスその他の粒子 (以下「組換え遺伝子等」という。)、又は特定の塩基配列を標的として遺伝子を改変するために用いるタンパク質若しくは核酸等をいう。</u>	この指針において「最終産物」とは、 <u>被験者に投与する最終的に作製された疾病の治療又は予防のための遺伝子が組み込まれた DNA 又はこれを含むウイルスその他の粒子 (以下「組換え遺伝子等」という。)</u> 等をいう。
生殖細胞等の遺伝子治療等臨床研究の禁止 (第七)	
<u>第七 生殖細胞等を対象とする遺伝子治療等臨床研究の禁止等</u> 人の生殖細胞又は胚(一の細胞又は細胞群であって、そのまま人又は動物の胎内において発生の過程を経ることにより一の個体に成長する可能性のあるもののうち、胎盤の形成を開始する前のものをいう。以下同じ。)を <u>対象とした遺伝子治療等臨床研究及び人の生殖細胞又は胚に対して遺伝的改変を行うおそれのある遺伝子治療等臨床研究は、行ってはならない。</u>	<u>第七 生殖細胞等の遺伝的改変の禁止</u> 人の生殖細胞又は胚(一の細胞又は細胞群であって、そのまま人又は動物の胎内において発生の過程を経ることにより一の個体に成長する可能性のあるもののうち、胎盤の形成を開始する前のものをいう。以下同じ。)の <u>遺伝的改変を目的とした遺伝子治療等臨床研究及び人の生殖細胞又は胚の遺伝的改変をもたらすおそれのある遺伝子治療等臨床研究は、行ってはならない。</u>

研究計画書の記載事項（第十八）	
<p>①～⑦ （略）</p> <p>⑧ 導入する遺伝子及び遺伝子の導入方法</p> <p>(1) 開発の経緯</p> <p>(2) 導入する遺伝子</p> <p>(3) 遺伝子の導入方法</p> <p>(4) 被験者に投与する最終産物の組成</p> <p>⑨ 遺伝子の改変に用いるタンパク質又は核酸等の情報</p> <p>(1) 開発の経緯</p> <p>(2) 導入するタンパク質や核酸等</p> <p>(3) 遺伝子の改変の方法</p> <p>(4) 被験者に投与する最終産物の組成</p> <p>⑩～⑳ （略）</p>	<p>①～⑦ （略）</p> <p>⑧ 導入する遺伝子及び遺伝子の導入方法</p> <p>(1) 開発の経緯</p> <p>(2) 導入する遺伝子</p> <p>(3) 遺伝子の導入方法</p> <p>(4) 被験者に投与する最終産物の組成（新設）</p> <p>⑨～⑳ （略）</p>
厚生労働大臣の意見における新規性の判断（第二十四の三）	
<p>厚生労働大臣は、二の規定に基づき意見を求められた場合において、複数の有識者の意見を踏まえ、当該遺伝子治療等臨床研究が次に掲げる事項のいずれかに該当すると判断するときは、当該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厚生科学審議会の意見を聴くものとする。</p> <p>① 組換え遺伝子等であって、当該遺伝子を細胞内に導入する際に用いられる新規のもの又は新規の遺伝子投与方法を用いていること。</p> <p>② 遺伝子の改変に用いられるタンパク質若しくは核酸等で新規のもの又は新規の遺伝子の改変方法を用いていること。</p> <p>③ 新規の疾病を対象としていること。</p> <p>④ 新規の遺伝子治療等の方法を用いていること（①、②又は③に該当する</p>	<p>厚生労働大臣は、二の規定に基づき意見を求められた場合において、複数の有識者の意見を踏まえ、当該遺伝子治療等臨床研究が次に掲げる事項のいずれかに該当すると判断するときは、当該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厚生科学審議会の意見を聴くものとする。</p> <p>① 組換え遺伝子であって、当該遺伝子を細胞内に導入する際に用いられる新規のもの又は新規の遺伝子投与方法を用いていること。（新設）</p> <p>② 新規の疾病を対象としていること。</p> <p>③ 新規の遺伝子治療等の方法を用いていること（①又は②に該当するもの</p>

ものを除く。)。 ⑤ その他個別の審査を必要とするよ うな事項を含んでいること。	を除く。)。 ④ その他個別の審査を必要とするよ うな事項を含んでいること。
--	--

第 6 回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	資料 1 - 2
平成 30 年 1 月 19 日 (金)	

「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」の検討課題の追加について

1. 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) (以下「指針」という。) 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。

指針について、急速に発展するゲノム編集技術に対応するため、厚生科学審議会再生医療等評価部会に「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」(以下「専門委員会」という。) が設置 (第 17 回再生医療等評価部会 (平成 29 年 2 月 1 日) において決定) されており、現在、指針の改正など必要な検討を行っているところである。

しかし、専門委員会設置後、平成 29 年 4 月 14 日に臨床研究法 (平成 29 年法律第 16 号) が公布され、in vivo 遺伝子治療等臨床研究は、指針に加え、臨床研究法の適用も受けることとなった。このため、臨床研究法の施行日 (公布日から 1 年を超えない範囲内において政令で定める日) までに、臨床研究法に整合するよう指針の見直しに向けた検討も併せて行う必要がある。

なお、ex vivo 遺伝子治療等臨床研究は、引き続き再生医療等安全確保法の適用を受ける。

2. 検討課題

指針の改正に向けて、in vivo 遺伝子治療等臨床研究が臨床研究法の適用を受ける場合の論点について、引き続き指針による国の審査等を必要とするか、必要な場合には指針と臨床研究法の整合を図る観点から検討を行う (別紙 1)。

3. 検討主体

現在設置されている専門委員会 (委員名簿は別紙 2 のとおり) において、本課題についても検討を行う。