

遺伝子治療等臨床研究に関する指針の全部を改正する件（案）（概要）

1. 改正の趣旨

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。）は、遺伝子治療等臨床研究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している。

今般、ゲノム編集技術の進歩により外部から遺伝子を導入せずに効率よく遺伝子を改変することが可能となっていることを踏まえ、及び臨床研究法（平成29年法律第16号。以下「法」という。）等の施行に伴い、所要の改正を行うものである。

2. 改正の内容

(1) 総則（第一章関係）

○用語の定義（第二関係）

- ① 「遺伝子治療等」の定義について、疾病の治療又は予防を目的とした以下のいずれかに該当する行為とする。
 - (i) 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。
 - (ii) 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。
 - (iii) 遺伝子を改変した細胞を人の体内に投与すること。
- ② 「遺伝子治療等臨床研究」の定義を、「遺伝子治療等を行うことにより、当該遺伝子治療等の有効性又は安全性を明らかにする研究」とする。
- ③ 「研究機関」の定義を「遺伝子治療等臨床研究を実施する個人又は法人その他の団体」とし、「研究機関の長」の定義を、「遺伝子治療等臨床研究を実施する個人又は法人その他の団体の代表者（医療機関にあっては、医療機関の管理者を含む。）」とする。
- ④ 「最終産物」の定義について、以下のいずれかに該当するものとする。
 - (i) 疾病の治療又は予防のための遺伝子が組み込まれたDNA又はウイルスその他の粒子であって、被験者に投与するため最終的に作製されたもの（以下「組換え遺伝子等」という。）
 - (ii) 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、核酸その他の物質
- ⑤ 「重篤な有害事象」の定義について、以下のいずれかに該当するものとする。
 - (i) 死亡
 - (ii) 死亡につながるおそれのある有害事象

- (iii) 治療のために医療機関への入院又は入院期間の延長が必要とされる有害事象
- (iv) 障害
- (v) 障害につながるおそれのある有害事象
- (vi) (i) から (v) までの規定に準じて重篤である有害事象
- (vii) 後世代における先天性の疾病又は異常

○適用範囲（第三関係）

法に定める臨床研究に該当する遺伝子治療等臨床研究について、指針第二章から第十章までの規定に基づく手続の実施を求めないこととする。

○生殖細胞等の遺伝的改変の禁止（第七関係）

人の生殖細胞又は胚を対象とした遺伝子治療等臨床研究の禁止を明確化する。

○情報の公開（第十関係）

法に定める臨床研究に該当する遺伝子治療等臨床研究にあつては、臨床研究法施行規則（平成 30 年厚生労働省令第 17 号）に規定するデータベースに、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）に定める再生医療等に該当する遺伝子治療等臨床研究にあつては、再生医療等の安全性の確保等に関する法律施行規則（平成 26 年厚生労働省令第 110 号）に規定するデータベースに登録され、その情報は適切かつ正確に公開されなければならないこととする。

(2) 遺伝子治療等臨床研究に関し遵守すべき事項等（第二章～第十章関係）

遺伝子治療等臨床研究（法に定める臨床研究を除く。）に関し遵守すべき事項等について、以下のとおり改正する。

○研究責任者の責務（第十三、第十七及び第三十一関係）

現在、研究機関の長の責務となっている以下のことを研究責任者の責務とし、研究機関の長の責務から削除する。

- ① 研究計画書の作成等に当たり、倫理審査委員会の意見を求め、又は当該研究計画書の変更に当たり、倫理審査委員会に通知すること。
- ② 業務の一部を委託する場合に、委託を受けた者に対する必要かつ適切な監督を行うこと。
- ③ 遺伝子治療等臨床研究が指針に適合していることについて、必要に

応じ、点検及び評価を行い、その結果に基づき適切な対応をとること。

- ④ 遺伝子治療等臨床研究の倫理的妥当性若しくは科学的合理性を損なう事実若しくは情報又は損なうおそれのある情報であって遺伝子治療等臨床研究の継続に影響を与えると考えられるものを得た場合及び遺伝子治療等臨床研究の実施の適正性若しくは研究結果に対する信頼を損なう事実若しくは情報又は損なうおそれのある情報を得た場合に、必要に応じて倫理審査委員会に意見を求めるとともに、厚生労働大臣に報告すること。
- ⑤ 遺伝子治療等臨床研究を終了（中止の場合を含む。以下同じ。）したときは、その結果等を取りまとめた総括報告書を作成し、当該遺伝子治療等臨床研究に関する審査を行った倫理審査委員会の意見を聴き、総括報告書の写し等を厚生労働大臣に提出すること。
- ⑥ 研究機関の長の許可を得た研究計画書等について、厚生労働大臣に提出すること。
- ⑦ 有害事象等の発生状況について、倫理審査委員会が意見を述べた日から1か月以内に、報告対象期間内の有害事象の発生状況等について、厚生労働大臣に文書で報告すること。
- ⑧ 遺伝子治療等臨床研究の進捗状況及び研究結果について、研究機関の長に報告するとともに、倫理審査委員会へ意見を求め、厚生労働大臣に対し報告を行うこと。
- ⑨ あらかじめ、重篤な有害事象が発生した際の手順書を作成し、必要な措置を講じるとともに、当該事象の発生を知った場合には、倫理審査委員会の意見を聴いて必要な措置を講じ、当該事象について、厚生労働大臣に報告すること。

○総括責任者の責務（第十四関係）

研究計画書の作成等に当たり、他の研究機関の研究責任者が作成した研究計画書と一括して倫理審査委員会に意見を求め、その意見を尊重し、自らの所属する研究機関の長の許可を得、一括して遅滞なく厚生労働大臣に報告することを、新たに責務に加える。

○研究機関の長の責務（第十六関係）

遺伝子治療等臨床研究の進捗状況及び研究結果について、研究責任者から報告を受け、必要に応じ、研究責任者に対しその留意事項、改善事項等に関して指示を与えることを、新たに責務に加える。

○研究計画書の記載事項（第十八関係）

遺伝子改変技術を用いた遺伝子治療等臨床研究に対応するため、研究計画書に記載すべき事項として、以下に掲げる遺伝子の改変に用いるタンパク質、核酸等の情報に関する事項を追加する。

- ① 開発の経緯
- ② 導入するタンパク質、核酸等の機能及び構造
- ③ 遺伝子の改変の方法
- ④ 被験者に投与する最終産物の組成

○厚生労働大臣の意見（第二十四関係）

遺伝子改変技術を用いた遺伝子治療等臨床研究に対応するため、厚生労働大臣が厚生科学審議会の意見を聴く場合として、遺伝子の改変に用いられるタンパク質、核酸等であって新規のもの又は遺伝子の新規の改変方法を用いている場合を追加する。

○遺伝子治療等臨床研究に係る試料及び情報等の保管（第三十三関係）

研究責任者は、臨床研究法施行規則に定める多施設共同研究として遺伝子治療等臨床研究を行うに当たり、他の研究責任者に対し試料等を提供する場合には、個人情報保護の観点から、個人情報の全部又は一部を削除するための措置を採るよう努めなければならないこととする。

(3) 法に定める臨床研究に該当する遺伝子治療等臨床研究に関し遵守すべき事項等（新設）

法に定める臨床研究に該当する遺伝子治療等臨床研究について遵守すべき事項は、法の規定によるほか、以下のとおりとする。

○研究機関の長の責務

- ① 研究責任者から、遺伝子治療等臨床研究の実施又は研究計画書の重大な変更の許可を求められたときは、倫理審査委員会の述べた意見を参考に厚生労働大臣に意見を求め、その意見を尊重し、当該許可又は不許可その他研究に関し必要な措置について決定しなければならないこととする。
- ② ①の場合において、他の研究機関と共同して実施する遺伝子治療等臨床研究について厚生労働大臣に意見を求めるときは、総括責任者が所属する研究機関の長が一括して意見を求めなければならないこととする。

○研究計画書に関する手続

- ① 研究機関の長は、倫理審査委員会及び厚生労働大臣の意見を尊重し、遺伝子治療等臨床研究の実施の許可又は不許可その他遺伝子治療等臨床研究について必要な措置を決定しなければならないこととする。この場合において、研究機関の長は、倫理審査委員会又は厚生労働大臣が研究の実施について不適當である旨の意見を述べたときは、当該研究の実施を許可してはならないこととする。
- ② 研究責任者は、研究計画書に定めるところにより、遺伝子治療等臨床研究の進捗状況、遺伝子治療等臨床研究の実施に伴う有害事象の発生状況等を、研究機関の長、総括責任者及び倫理審査委員会に文書で報告しなければならないこととする。この場合において、進捗状況に関しては、少なくとも毎年1回以上、報告するものとする。
- ③ 研究責任者は、遺伝子治療等臨床研究の進捗状況、遺伝子治療等臨床研究の実施に伴う有害事象の発生状況等について、研究機関の長に報告するとともに、被験者に対して適切な対応をとらなければならないこととする。この場合において、当該研究責任者は、倫理審査委員会から意見を聴き、その意見を尊重し、有害事象の状況、改善事項等に関して必要な措置を講じるとともに、厚生労働大臣に対し報告を行わなければならないこととする。

○研究計画書の記載事項

研究計画書は、以下の事項を含むものでなければならないこととする。

- ① 導入する遺伝子に関し以下に掲げる事項
 - (i) 開発の経緯
 - (ii) 導入する遺伝子の機能及び構造
 - (iii) 遺伝子の導入方法
 - (iv) 被験者に投与する最終産物の組成
- ② 遺伝子の改変に用いるタンパク質、核酸等に関し以下に掲げる事項
 - (i) 開発の経緯
 - (ii) 導入するタンパク質、核酸等の機能及び構造
 - (iii) 遺伝子の改変の方法
 - (iv) 被験者に投与する最終産物の組成
- ③ 特性解析及び品質試験の結果
- ④ 被験者への投与に用いられる特殊な機器及び医療材料

○倫理審査委員会の設置等

倫理審査委員会の設置者は、倫理審査委員会が審査を行った遺伝子治療等臨床研究に関する審査資料を、当該遺伝子治療等臨床研究の終了について報告された日から起算して10年を経過する日までの間、適切に保管しなければならないこととする。

○インフォームド・コンセントを受ける手続等

① 外国にある者へ試料・情報を提供する場合の取扱い

外国にある者に対し、試料・情報を提供する場合は、当該外国にある者が個人情報の保護に関する法律施行規則（平成28年個人情報保護委員会規則第3号）に定められた国にあるとき又は同規則に定める基準に適合する体制を整備しているときを除き、当該外国にある者に対し試料・情報を提供することについて、被験者又はその代諾者（以下「被験者等」という。）の適切な同意を受けなければならないこととする。ただし、被験者等の適切な同意を受けることが困難な場合であって以下に掲げる要件のいずれかに該当するときは、当該同意の有無にかかわらず、当該試料・情報を外国にある者に提供することができることとする。

（i） 当該試料・情報が以下のいずれかに該当すること。

イ 匿名化されているものであること。

ロ 匿名加工情報であること。

ハ 学術研究の用に供する場合その他の当該試料・情報を提供することに特段の理由がある場合であって、以下に掲げる全ての事項を被験者等に通知し、又は公開しているときは、匿名化されているものであること。

（イ） 試料・情報の利用目的、利用者の範囲及び利用方法

（ロ） 提供する試料・情報の項目

（ハ） 試料・情報の管理について責任を有する者の氏名又は名称

（ii） （i）に該当しない場合であって、学術研究の用に供するときその他の当該試料・情報を提供することに特段の理由があるときは、以下に掲げる全ての事項を被験者等に通知し、又は公開し、かつ、当該外国にある者に提供することについて拒否できる機会を保障することについて、倫理審査委員会の意見を聴いた上で、研究機関の長の許可を得ていること。

イ 試料・情報の利用目的、利用者の範囲及び利用方法

- ロ 提供する試料・情報の項目
- ハ 試料・情報の管理について責任を有する者の氏名又は名称
- ニ 被験者又はその代理人の求めに応じて、被験者が識別される試料・情報の提供を停止する旨
- ホ ニの被験者又はその代理人の求めを受け付ける方法

② 研究者その他の研究の実施に携わる関係者(以下「研究者等」という。)は、外国にある者に対し試料・情報を提供したときは、当該試料・情報の提供に関する記録を作成しなければならないこととする。この場合において、研究責任者は、研究者等が作成した当該記録を、当該試料・情報の提供をした日から起算して3年を経過する日までの間、適切に保管しなければならないこととする。

○厚生労働大臣の意見

- ① 厚生労働大臣は、研究機関の長の求めに応じ、あらかじめ遺伝子治療等臨床研究の実施又は研究計画書の重大な変更に関し意見を述べるものとする。
- ② 研究機関の長は、遺伝子治療等臨床研究の実施等について厚生労働大臣に対し意見を求めるに当たっては、以下の書類を提出しなければならないこととする。
 - (i) 研究計画書
 - (ii) 研究者の略歴及び研究業績
 - (iii) 研究機関の施設設備の状況
 - (iv) 遺伝子治療等臨床研究に関する有効性を示唆する試験及び安全性に関する研究の成果がある場合には、当該試験及び研究の成果
 - (v) 遺伝子治療等臨床研究に関連する研究機関以外の国内外の研究状況
 - (vi) 倫理審査委員会における審査の過程及び結果を示す書類
 - (vii) その他必要な資料
- ③ 厚生労働大臣は、②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以下のいずれかに該当すると判断したときは、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。
 - (i) 組換え遺伝子等であって、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遺伝子の新規の投与方法を用いているこ

と。

- (ii) 遺伝子の改変に用いられるタンパク質、核酸等であって新規のもの又は遺伝子の新規の改変方法を用いていること。
- (iii) 新規の疾病を対象としていること。
- (iv) 新規の遺伝子治療等の方法を用いていること（(i) から (iii) までのいずれかに該当するものを除く。）。
- (v) その他厚生科学審議会の意見を聴くことが必要と認められる事項を含んでいること。

- ④ 厚生労働大臣は、③の規定により厚生科学審議会の意見を聴取する必要がないと判断したときは、意見を求められた日から起算して30日以内に、当該遺伝子治療等臨床研究の実施に関し意見を述べるものとする。

○重篤な有害事象等に係る厚生労働大臣の意見

厚生労働大臣は、重篤な有害事象等の発生について研究責任者から報告を受けた場合には、必要に応じ、当該遺伝子治療等臨床研究に関して意見を述べるものとする。

○厚生労働大臣の調査等

厚生労働大臣は、前2項目において意見を述べるときその他必要があると認めるときは、研究機関の長に対し必要な資料の提出を求めるとともに、当該研究機関の長の承諾を得て当該研究機関の調査その他必要な調査を行うものとする。

○重篤な有害事象への対応

① 研究者の対応

重篤な有害事象の発生を知った場合には、②(ii)の規定による手順書等に従い、被験者等への説明等、必要な措置を講じるとともに、速やかに研究責任者に報告しなければならないこととする。

② 研究責任者の対応

- (i) 重篤な有害事象の発生を知った場合には、速やかに、その旨を研究機関の長及び総括責任者に報告するとともに、(ii)の規定による手順書等に従い、適切な対応を図らなければならないが、また、速やかに当該遺伝子治療等臨床研究の実施に携わる研究者に対して、当該有害事象の発生に係る情報を共有しなければならないこととする。この場合において、研究責任者は、当該有害事象に

ついて、倫理審査委員会の意見を聴き、必要な措置を講じるとともに、速やかに厚生労働大臣に報告しなければならないこととする。

(ii) あらかじめ、重篤な有害事象が発生した際に研究者が実施すべき事項に関する手順書を作成し、当該手順書に従って適正かつ円滑に対応が行われるよう必要な措置を講じなければならないこととする。

③ 総括責任者の対応

②(i)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他の研究機関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こととする。

④ 研究機関の長の対応

研究責任者が当該有害事象に関する倫理審査委員会の意見を聴く前に、必要に応じ、研究責任者に対し、遺伝子治療等臨床研究の中止又は暫定的な措置を講じるよう指示することができることとする。

○遺伝子治療等臨床研究に係る試料及び情報等の保管

研究責任者は、被験者が将来新たに病原体に感染した場合等に、その原因が遺伝子治療等臨床研究に起因するかどうかを明らかにするため、最終産物を一定期間保管するとともに、当該被験者に最終産物を投与する前後の血清等の試料及び情報等について、総括報告書を研究機関の長及び総括責任者に提出した日から起算して10年を経過する日までの間、適切に保存することとする。この場合において、研究機関の長は、当該期間、最終産物等が適切に保管されるよう必要な監督を行わなければならないこととする。

○普及啓発

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する普及啓発に努めるものとする。

(4) その他所要の改正

必要な経過措置を設けるとともに、その他所要の改正を行う。

3. 根拠規定

行政手続法（平成5年法律第88号）第36条

4. 告示日等

- 告示日：平成 31 年 2 月下旬（予定）
- 適用期日：平成 31 年 4 月 1 日（予定）