

## 2 対象疾患について

2 遺伝子治療開始後20年ほど経過し、有効性・安全性についての情報量が増えてきた状況のなか、対象疾患について、現行指針の要件のままで良いか。

### <現状と課題>

- 現行指針では3つの要件すべてに適合するものに限られている。
- 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ないと対象疾患とならない。
- 遺伝子治療の治療効果は、現在可能なその他の治療法と比較して優れている必要がある。

### <検討のポイント>

- 新規性のないものについては生命を脅かす、又は身体の機能を著しく損なう疾患のみに限定しなくてもよいのではないか。
- 遺伝子治療による治療効果については、現在可能なその他の治療法と比較し、同等、あるいはそれ以上であることが十分に予測されるものでよいか。

### <見直しの方向（案）>

- 新規性がなく、既に治療に用いられているベクターによる臨床研究では、生命を脅かす疾患や、身体の機能を著しく損なう疾患を必須要件から外してはどうか。
- 治療効果については、同等、あるいはそれ以上であることが十分に予測されるものとしてはどうか。
- 疾患の治療だけでなく、予防を目的とするものも対象としてはどうか。

## 関連条文

### 第一章 総則

### 第三 対象疾患等

- 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。
- 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予測されるものであること。

二 遺伝子標識臨床研究の対象は、次のすべての要件に適合するものに限る。

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密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 遺伝子標識臨床研究により得られる医学的知見が、他の方法により得られるもの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 遺伝子標識臨床研究が被験者に対し実施される治療に組み入れて実施できるものであること。