

第1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
平成29年4月12日(水)	4

遺伝子治療等臨床研究に関する指針の概要について

厚生労働省大臣官房厚生科学課

遺伝子治療等臨床研究に関する指針の概要①

(厚生労働省告示)

1. 基本的考え方

(1) 目的

この指針は、遺伝子治療等の臨床研究（以下「遺伝子治療等臨床研究」という。）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する。

(2) 適用される研究

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、第十二から第三十五までの規定は、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。

2. 主な改正経緯

(遺伝子治療臨床研究に関する指針)

平成14年4月1日 施行

平成16年12月28日 全部改正

※個人情報保護法制定に伴う改正

平成27年10月1日 廃止

※下記指針の施行のため

(遺伝子治療等臨床研究に関する指針)

平成27年10月1日 施行

平成29年4月7日 一部改正

遺伝子治療等臨床研究に関する指針の概要②

(厚生労働省告示)

3. 基本構成

第一章 総則

- 第一 目的
- 第二 用語の定義
- 第三 適用範囲
- 第四 遺伝子治療等臨床研究の対象の要件
- 第五 有効性及び安全性
- 第六 品質等の確認
- 第七 生殖細胞等の遺伝的改変の禁止
- 第八 適切な説明に基づくインフォームド・コンセントの確保
- 第九 公衆衛生上の安全の確保
- 第十 情報の公開
- 第十一 被験者の選定

第二章 研究者等の責務等

- 第十二 研究者の基本的責務等
- 第十三 研究責任者の責務
- 第十四 総括責任者の責務
- 第十五 研究機関
- 第十六 研究機関の長の責務

第三章 研究計画

- 第十七 研究計画書に関する手続
- 第十八 研究計画書の記載事項
- 第十九 研究に関する登録・公表

第四章 倫理審査委員会

- 第二十 倫理審査委員会の設置等
- 第二十一 倫理審査委員会の役割・責務等

第五章 インフォームド・コンセント等

- 第二十二 インフォームド・コンセントを受ける手続等
- 第二十三 代諾者からのインフォームド・コンセントを受ける場合の手続等

第六章 厚生労働大臣の意見等

- 第二十四 厚生労働大臣の意見
- 第二十五 重篤な有害事象等に係る厚生労働大臣の意見
- 第二十六 厚生労働大臣の調査等

第七章 個人情報等及び匿名加工情報

- 第二十七 個人情報等に係る基本的責務
- 第二十八 安全管理
- 第二十九 保有する個人情報の開示等
- 第三十 匿名加工情報の取扱い

第八章 重篤な有害事象への対応

- 第三十一 重篤な有害事象への対応

第九章 研究の信頼性確保

- 第三十二 利益相反の管理
- 第三十三 研究に係る試料及び情報等の保管
- 第三十四 モニタリング及び監査

第十章 雑則

- 第三十五 啓発普及
- 第三十六 施行期日
- 第三十七 経過措置

遺伝子治療等とは

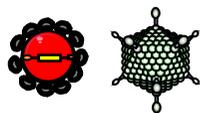
定義

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(「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」より)

遺伝子治療薬の直接投与 (in vivo 遺伝子治療)

遺伝子治療薬
(目的遺伝子をベクターに搭載したもの)

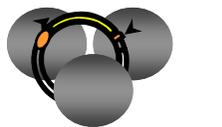
ウイルスベクター



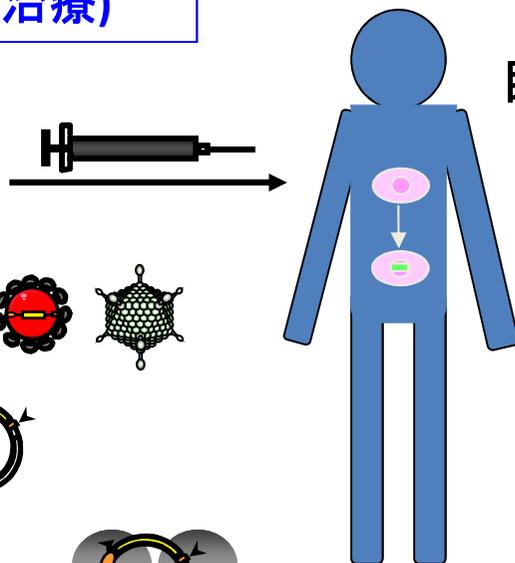
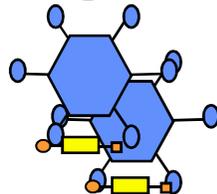
プラスミド
(Naked DNA)



プラスミド/リポソーム



増殖性組換えウイルス



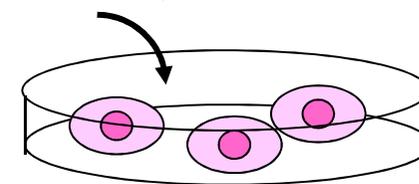
遺伝子導入細胞の投与 (ex vivo 遺伝子治療)

目的細胞の単離
(自己、同種)

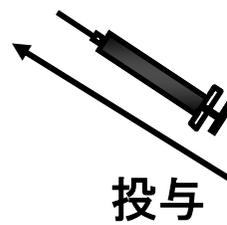
目的細胞

体外培養
(増幅も)
遺伝子導入

(ウイルスベクター)



投与



遺伝子導入細胞³

遺伝子治療等臨床研究の審査体制

再生医療等の安全性の確保等に関する法律 施行前

- **in vivo**遺伝子治療臨床研究、**ex vivo**遺伝子治療臨床研究ともに「遺伝子治療臨床研究に関する指針」の適用対象。
- 研究計画について、遺伝子治療臨床研究に関する審査委員会を経た後、厚生科学審議会 **科学技術部会**にて審議。
- ベクターとして遺伝子組換え生物等を用いる場合は、カルタヘナ法の観点からも遺伝子治療臨床研究に関する審査委員会を経た後、**科学技術部会**にて審査。

再生医療等の安全性の確保等に関する法律 施行後

- **in vivo**遺伝子治療等臨床研究は「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」が適用され、**ex vivo** **遺伝子治療等臨床研究**については「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」の適用対象となる。
- 研究計画について、遺伝子治療等臨床研究に関する審査委員会 (in vivo) 又は 特定認定再生医療等委員会 (ex vivo) を経た後、厚生科学審議会 **再生医療等評価部会**にて審議。
- ベクターとして遺伝子組換え生物等を用いる場合は、カルタヘナ法の観点からも遺伝子治療等臨床研究に関する審査委員会を経た後、**再生医療等評価部会**にて審査。

「遺伝子治療臨床研究に関する指針」に基づく審査の流れ

