

## 「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」の改定について

### 1. 改正の趣旨

近年のゲノム編集技術の進歩により、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おり、ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療等臨床研究全般についてその適正な実施を確保するため、遺伝子を導入しないゲノム編集技術による遺伝子治療等臨床研究を「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。)の対象とする。

臨床研究法(平成29年法律第16号)の施行に伴い同法の適用を受けることとなる遺伝子治療等臨床研究については、同法が規定する臨床研究一般についての事項は同法に規定する手続を実施することとなるため、所要の規定の整備を行う。

なお、遺伝子治療等臨床研究の適正な実施を図るため、遺伝子治療特有の事項(研究開始前の厚生労働大臣の意見、最終産物の保管期間等)については引き続き指針の規定の遵守を求める。

### 2. 主な改正内容

#### (1) ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療等臨床研究を指針の対象とするための改正事項

##### 用語の定義

「遺伝子治療等臨床研究」の定義において、「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」による遺伝子治療等臨床研究を新たに追加する。

##### 研究計画書の記載事項

ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療等臨床研究に対応するため、遺伝子の改変に用いるタンパク質又は核酸等の情報についての項目を追加する。

#### (2) 臨床研究法の適用を受ける遺伝子治療等臨床研究において、臨床研究法に規定する事項を実施することによる改正事項

##### 倫理審査委員会の役割・責務等

臨床研究法の適用を受ける遺伝子治療等臨床研究においては、臨床研究法第6条、第7条等により実施計画の作成及び変更等について、臨床研究法第23条に規定する認定臨床研究審査委員会に意見を聴くこととなるため、重ねて指針の倫理審査委員会の意見を求めることは不要とする。

##### インフォームド・コンセント、個人情報等の取扱い、利益相反の管理、モニタリング及び監査等

臨床研究法の適用を受ける遺伝子治療等臨床研究においては、臨床研究法の規定によるため、指針において規定しないこととする。

#### (3) 臨床研究法の適用を受ける遺伝子治療等臨床研究において、遺伝子治療特有のものとして引き続き指針により求める事項

#### 厚生労働大臣の意見

実施前又は重大な変更にあたっては、引き続き指針により、厚生労働大臣に意見を求めることとする。

また、ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療等臨床研究に対応するため、厚生労働大臣が意見を求められたときに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」を追加する。

#### 重篤な有害事象への対応

臨床研究法施行規則に定める疾病等（臨床研究に起因するものと疑われる疾病、障害若しくは死亡又は感染症）を臨床研究法第 14 条の規定により厚生労働大臣に報告することになるが、引き続き指針により、その他の重篤な有害事象（因果関係の有無を問わず、全ての好ましくない若しくは意図しない傷病又はその徴候（臨床検査値の異常を含む。））についても厚生労働大臣への報告を求める。

#### 追跡調査

安全性及び有効性の確保の観点から、引き続き指針により、実施後も効果及び副作用について追跡調査を行うこととする。

#### 研究に係る試料及び情報等の保管

臨床研究法の規定により臨床研究に関する記録を 5 年間保管することになるが、引き続き指針により、最終産物について一定期間の保管を、最終産物投与前後の血清等の試料及び情報等について実施後少なくとも 10 年以上の必要とされる期間の保存を求める。

#### 審査委員会における審査資料の保管

指針の倫理審査委員会と同様に、臨床研究法第 23 条に規定する認定臨床研究審査委員会にも、当該認定臨床研究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 10 年を経過した日まで適切に保管するよう求める。

### 3 . 施行期日等

公布日：平成 30 年 3 月（予定）

施行日：臨床研究法の施行の日