

平成 27 年 8 月 12 日  
科発 0812 第 1 号

関係試験研究機関の長  
関係大学の長  
関係学会の長  
都道府県知事  
特別区の長  
保健所政令市の長  
関係団体の長

殿

厚生労働省大臣官房厚生科学課長

椎 葉 茂 樹

### 「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」について

遺伝子治療臨床研究については、「遺伝子治療臨床研究に関する指針」（平成 16 年文部科学省・厚生労働省告示第 2 号。以下「旧指針」という。）により、その適正な実施を図ってきたところであるが、今般、旧指針を廃止し、新たに「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。）を定め、平成 27 年 8 月 12 日に告示したところである。指針の制定の趣旨及び旧指針からの変更点等は下記のとおりであるので、御了知の上、関係者に対する周知方お願いするとともに、指針を遵守し、研究が適切に行われるよう、必要な組織体制や内規の整備等の措置を図られるようお願いする。

### 記

#### 第 1 制定の趣旨について

旧指針については、平成 14 年の告示以降、個人情報保護法等に対応した改正が平成 16 年に行われたものの、遺伝子治療に関する考え方や審査方法自体については改

正が行われていなかった。

一方、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」（平成 25 年文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第 1 号）は平成 25 年 2 月に全面改正され、また、平成 26 年 12 月には「疫学研究に関する倫理指針」（平成 19 年文部科学省・厚生労働省告示第 1 号）と「臨床研究に関する倫理指針」（平成 20 年厚生労働省告示第 415 号）が統合され、新たに「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」（平成 26 年文部科学省・厚生労働省告示第 3 号。以下「医学系研究指針」とする。）が制定された。

旧指針についても国内における申請件数の増加、近年改正された研究指針との整合性の確保、諸外国の動向や最近の遺伝子治療臨床研究の状況の変化を踏まえ、改正が必要と考えられたことから、平成 23 年 10 月 17 日に「遺伝子治療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「委員会」という。）を設置し、計 8 回にわたり検討を行った。委員会での検討を踏まえ、遺伝子治療臨床研究の医療上の有用性及び倫理性を確保しつつ、審査手続の簡素化及び迅速化を図ることその他遺伝子治療臨床研究の適正な推進を図ることを目的として、種々の改正を行った。

また、「遺伝子治療臨床研究に関する指針」（平成 6 年厚生省告示第 23 号）及び「大学等における遺伝子治療臨床研究に関するガイドライン」（平成 6 年文部省告示第 79 号）並びに旧指針（以下「旧指針等」という。）により、約 20 年間に於いて、大学等における遺伝子治療臨床研究が適正に実施されてきたことを踏まえ、審査手続の簡素化及び迅速化を図る観点から、大学等からの遺伝子治療臨床研究に係る申請書の写し等の文部科学大臣への提出に係る規定を廃止することとした。これに伴い、厚生労働省及び文部科学省で共管の指針であった旧指針を廃止し、厚生労働省単独所管として新たに指針を制定することとしたものである。

## 第 2 旧指針からの主な変更点

### 1. 遺伝子治療の定義及び適用範囲に関する事項（第二、第三関係）

指針における「遺伝子治療等」の定義を、「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」とし、疾病の治療に加えて、予防を目的とした行為を含めることとした。また、これに伴い、指針では、「遺伝子治療」ではなく、「遺伝子治療等」と表記することとした。

### 2. 研究対象要件に関する事項（第四関係）

旧指針において遺伝子治療臨床研究の対象の要件として規定されていた「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の著しく損なう疾患」を削除し、研究対象要件を緩和することとした。

### 3. 多施設共同研究に関する事項

#### (1) 総括責任者について（第二、第十四関係）

指針においては、多施設共同研究を実施する際は、総括責任者を置くことと

- し、その責務等についても規定することとした。
- (2) 審査体制について（第十六、第十七関係）
- 多施設共同研究における審査体制等の規定について、他の研究指針との整合性を図るため、多施設共同研究を行う場合は、一つの倫理審査委員会による一括した審査を求めることができることを規定した。また、厚生労働大臣に意見を求める際も同様に、一括審査の規定を追加した。
4. 倫理審査委員会に関する事項
- (1) 研究に関する審査資料の保存について（第二十関係）
- 指針では、他の研究指針との整合性を図り、審査資料について、研究の終了が報告された日から 10 年を経過した日まで適切に保管しなければならないこととした。
- (2) 教育・研修について（第二十一関係）
- 審査の質を担保するために、倫理審査委員会の委員及びその事務に従事する者の教育及び研修に関する規定を定めた。
5. 研究終了後の対応に関する事項
- (1) 追跡調査について（第十三関係）
- 研究責任者は、遺伝子治療等臨床研究実施後においても、安全性及び有効性の確保の観点から、遺伝子治療等による効果及び副作用について適当な期間の追跡調査を行うことを規定した。
- (2) 記録の保存について（第三十二関係）
- 研究終了後、長期間経過してからの有害事象等の発生を想定し、記録（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のことをいう。以下同じ。）の保存期間について、旧指針で規定されていた少なくとも 5 年から少なくとも 10 年以上へと変更した。また、記録以外にも、最終産物の保存についても規定した。
6. 他の研究指針と同様に新たに規定した事項（第二十三、第三十三等関係）
- 医学系研究指針やその他の研究指針との整合性を図るため、インフォームド・アセント、モニタリング・監査等について新たに規定した。
7. 大臣への報告に関する事項（第十六関係）
- 旧指針は厚生労働省と文部科学省の共管であり、大学等の場合は研究状況の把握のため研究計画書の写し等の提出を厚生労働大臣に加えて、文部科学大臣に対しても重複して求めていた。指針は厚生労働省の単管の指針とし、各種の報告書類については、文部科学大臣への提出を不要とした。

### 第3 施行期日及び経過措置

平成 27 年 10 月 1 日から施行する。旧指針は同日廃止するが、指針の施行前に旧

指針等の規定によってした手続等であって、この指針に対応する規定があるものは、この指針の相当の規定によってしたものとみなすこととした。

#### 第4 研究計画書の記載事項等に関する事項

研究計画書の記載事項等については、次によることとする。

- (1) 指針第十八の一及び二の「研究計画書の記載事項」及び「研究計画書に添付しなければならない資料」の具体的な内容は、各々別表1及び別表2のとおりである。なお、別表1の別添「遺伝子治療等臨床研究計画書に係る品質及び安全性に関する評価項目の記載における留意事項について」については、in vivo 遺伝子治療等臨床研究に係る研究計画書のうち品質及び安全性に関する評価項目を記載する際の留意事項として取りまとめたものであるが、ex vivo 遺伝子治療等臨床研究に用いる遺伝子を導入した細胞の品質及び安全性に係る評価においても共通して考慮すべき事項である。したがって、別表1の別添については、「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）に基づくex vivo 遺伝子治療等臨床研究の提供計画に係る研究計画書の作成においても、準拠することが望ましい。
- (2) 指針第十六の三の1により研究機関の長が厚生労働大臣に遺伝子治療等臨床研究の実施について意見を求めようとする場合は、別紙様式第1に指針第二十四の二に掲げる書類を添付して申請することとする。また、指針第十六の三の1により研究機関の長が厚生労働大臣に遺伝子治療等臨床研究の重大な変更について意見を求めようとする場合は、別紙様式第2により申請することとする。
- (3) 指針第十六の四の1により研究機関の長が厚生労働大臣に報告を行う場合は、報告する内容に応じて次の各々の様式によることとする。
  - ① 研究計画に係る事項の変更 別紙様式第3
  - ② 研究の中止 別紙様式第4
  - ③ 研究の終了 別紙様式第5
- (4) 指針第十六の四の2により、研究機関の長が厚生労働大臣に総括報告書の写しを提出する場合には、上記(3)の研究の終了の場合の報告(別紙様式第5)に当該総括報告書の写しを添付することとする。
- (5) 指針第十六の四の3及び第三十の四の3により、研究機関の長が厚生労働大臣に報告を行う場合は、別紙様式第6によることとする。なお、重大な事態が生じ、又は研究の実施に影響を及ぼすおそれがある情報を入手したため、当該遺伝子治療等臨床研究を中止する場合は、別紙様式第4によることとする。
- (6) 上記(2)から(5)までによる厚生労働大臣への意見照会、厚生労働大臣への報告の送付先は、第6に規定する指針運用窓口とする。

## 第5 申請様式等について

遺伝子治療等臨床研究の申請又は報告に必要な様式については、厚生労働省のホームページに掲載している。また、指針の各規定の解釈や具体的な申請手続の留意点等については追って「Q&A」を策定し、同ホームページに掲載するので、適宜参照願いたい。

○研究に関する指針について 「3 遺伝子治療等臨床研究に関する指針」

<http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/hokabunya/kenkyujigyou/i-kenkyu/index.html>

## 第6 指針運用窓口について

指針の運用に関する疑義照会及び厚生労働大臣への報告書等の送付については、下記に掲げる指針運用窓口において受け付けることとする。

なお、医学的又は技術的に専門的な事項にわたる内容については、必要に応じ専門家の意見も踏まえて対応する。

### 【指針運用窓口】

厚生労働省大臣官房厚生科学課

住所：〒100-8916 東京都千代田区霞が関1-2-2

電話：03-5253-1111（代表）内線 3820

03-3595-2171（直通）

FAX：03-3503-0183

## 第7 その他

遺伝子治療等臨床研究の実施に伴い事前に厚生労働大臣への意見照会が必要となる事象は、研究の実施（別紙様式第1）及び重大な研究計画の変更（別紙様式第2）である。

遺伝子治療等臨床研究の実施に伴い厚生労働大臣への報告が必要となる事象は、重大ではない研究計画の変更（別紙様式第3）、研究の中止（別紙様式第4）、研究の終了（別紙様式第5）及び重大事態等発生の報告（別紙様式第6）である。また、現に実施している又は過去に実施した遺伝子治療等臨床研究について、本指針に適合していないことを知った場合は、速やかに上記連絡先に報告すること。

重大事態等の発生の報告に関して、研究機関の長が厚生労働大臣に対し報告しなければならない重大事態等及びその報告期限は以下とする。これらが生じた場合は、速やかにその概況及び対処の方針を第一報として上記連絡先に報告し、期限日までに、別紙様式第6により厚生労働大臣に対し報告すること。

<有害事象等の報告期限>

ア 7日以内に報告が必要なもの

次に掲げる症例等の発生のうち、当該遺伝子治療等臨床研究によるものと疑われるもの又は当該遺伝子治療等臨床研究によるものと疑われる感染症によるもの

- ・死亡
- ・死亡につながるおそれのある症例

イ 15日以内に報告が必要なもの

① 次に掲げる症例等の発生のうち、当該遺伝子治療等臨床研究によるものと疑われるもの又は当該遺伝子治療等臨床研究によるものと疑われる感染症によるもの

- ・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症例
  - ・永続的又は顕著な障害・機能不全に陥るもの
  - ・子孫に先天異常を来すもの
- ② 遺伝子治療等臨床研究に関連する情報の漏えい等、被験者等の人権を尊重する観点又は遺伝子治療等臨床研究の実施上の観点から重大な懸念が生じた場合
- ③ 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
- ④ 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の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