

遺伝子治療に関する規則について

平成30年2月14日

厚生労働省

遺伝子治療に関する規制

遺伝子治療の治験や臨床研究は、1) インフォームド・コンセントや秘密保持等の被験者保護の確保、2) 科学性と倫理性の確保、3) 計画書の第三者委員会による審査等の人間を対象とする医学研究の倫理的原則(ヘルシンキ宣言)を遵守して実施される。

	治験	臨床研究
in vivo遺伝子治療	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 (薬機法)	臨床研究法(施行後) + 遺伝子治療等臨床研究に関する指針
ex vivo遺伝子治療		再生医療等の安全性の確保等に関する法律 (再生医療等安全確保法)

- 治験については、遺伝子治療も薬機法の規定に基づき実施される。
- in vivo遺伝子治療研究は、遺伝子治療等臨床研究に関する指針に基づき実施される。
なお、臨床研究法の施行後は、臨床研究法の適用を受けることとなる。
(in vivo: 体内に遺伝子を投与)
- ex vivo遺伝子治療臨床研究は、再生医療等安全確保法に基づき実施される。
(ex vivo: 体外で遺伝子を導入)

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、第十二から第三十四までの規定は、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) 別に文科省ガイドライン

平成6年2月8日 施行

(遺伝子治療臨床研究に関する指針) 文科省ガイドラインと統合

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

(遺伝子治療等臨床研究に関する指針) 厚労省単独指針

平成27年10月1日 施行

平成29年4月7日 一部改正

※個人情報保護法改正に伴う改正

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

「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」の改正に向けた検討について

1 検討の目的

- 近年急速に進歩を遂げている**ゲノム編集技術を用いた臨床研究について医療上の有用性及び倫理性を確保する**
- 臨床研究法が、平成30年4月に施行されることとなり、医薬品等を用いる遺伝子治療等臨床研究が同法の適用を受けることから、法に加えて継続して指針で規定すべき事項があるか否かを検討する

2 これまでの議論の経過

- 平成29年4月に「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」を立ち上げ、6回開催
(委員長: 日本薬科大学客員教授山口照英)
- 第6回委員会(平成30年1月19日)で中間とりまとめ

①ゲノム編集技術に関して

従来の「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」に加えて、「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」による疾病の治療・予防も「遺伝子治療等」に含め、指針の枠組みの中で取り扱う。

②臨床研究法との関係に関して

臨床研究法の対象となる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については引き続き指針の規定の遵守を求める。

(遺伝子治療特有の事項の例)

- ・実施前又は重大な変更を行う前の厚生労働大臣の意見
- ・追跡調査、最終産物・審査資料等の保存
- ・すべての重篤な有害事象について厚生労働大臣に報告 等

3 今後のスケジュール

2月パブリックコメント、3月見直し委員会、再生医療等評価部会で審議し公布、4月施行(予定)

再生医療等の安全性の確保等に関する法律の概要

趣 旨

再生医療等の迅速かつ安全な提供等を図るため、再生医療等を提供しようとする者が講ずべき措置を明らかにするとともに、特定細胞加工物の製造の許可等の制度等を定める。

内 容

1. 再生医療等の分類

再生医療等について、人の生命及び健康に与える影響の程度に応じ、「第1種再生医療等」「第2種再生医療等」「第3種再生医療等」に3分類して、それぞれ必要な手続を定める。

※ 分類は、細胞や投与方法等を総合的に勘案し、厚生労働省令で第1種：iPS細胞等、第2種：体性幹細胞等、第3種：体細胞等と規定。

2. 再生医療等の提供に係る手続

- 第1種再生医療等 提供計画について、特定認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。一定期間の実施制限期間を設け、その期間内に、厚生労働大臣が厚生科学審議会の意見を聴いて安全性等について確認。安全性等の基準に適合していないときは、計画の変更を命令。
- 第2種再生医療等 提供計画について、特定認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。
- 第3種再生医療等 提供計画について、認定再生医療等委員会の意見を聴いた上で、厚生労働大臣に提出して実施。
 - ※ 特定認定再生医療等委員会は、特に高度な審査能力と第三者性を有するもの。
 - ※ 第1種再生医療等、第2種再生医療等を提供する医療機関については、一定の施設・人員要件を課す。

3. 適正な提供のための措置等

- インフォームド・コンセント、個人情報保護のための措置等について定める。
- 疾病等の発生は、厚生労働大臣へ報告。厚生労働大臣は、厚生科学審議会の意見を聴いて、必要な措置をとる。
- 安全性確保等のため必要なときは、改善命令を実施。改善命令違反の場合は再生医療等の提供を制限。保健衛生上の危害の発生拡大防止のため必要なときは、再生医療等の提供の一時停止など応急措置を命令。
- 厚生労働大臣は、定期的に再生医療等の実施状況について把握し、その概要について公表する。

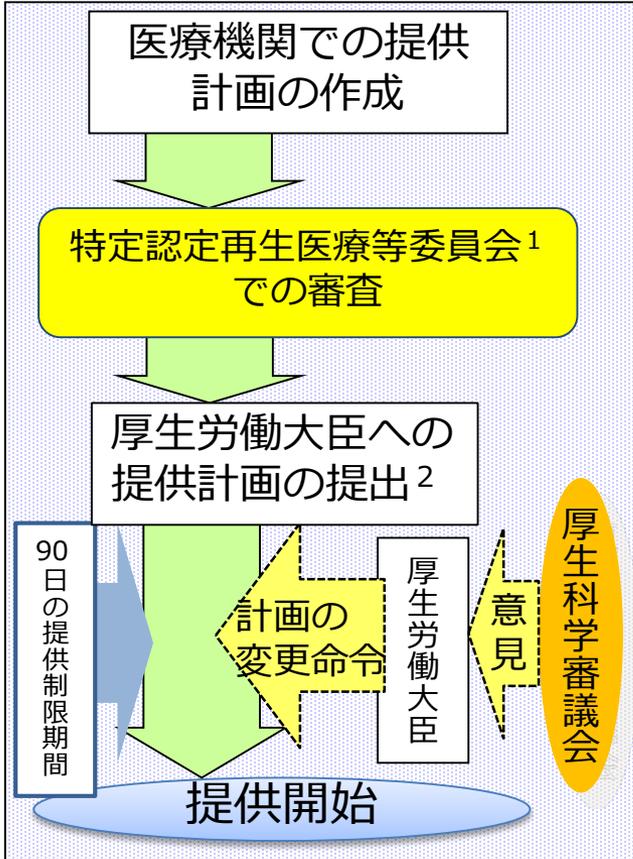
4. 特定細胞加工物の製造の許可等

- 特定細胞加工物の製造を許可制（医療機関等の場合には届出）とし、医療機関が特定細胞加工物の製造を委託する場合には、許可等を受けた者又は届出をした者に委託しなければならないこととする。

リスクに応じた再生医療等安全性確保法の手続き

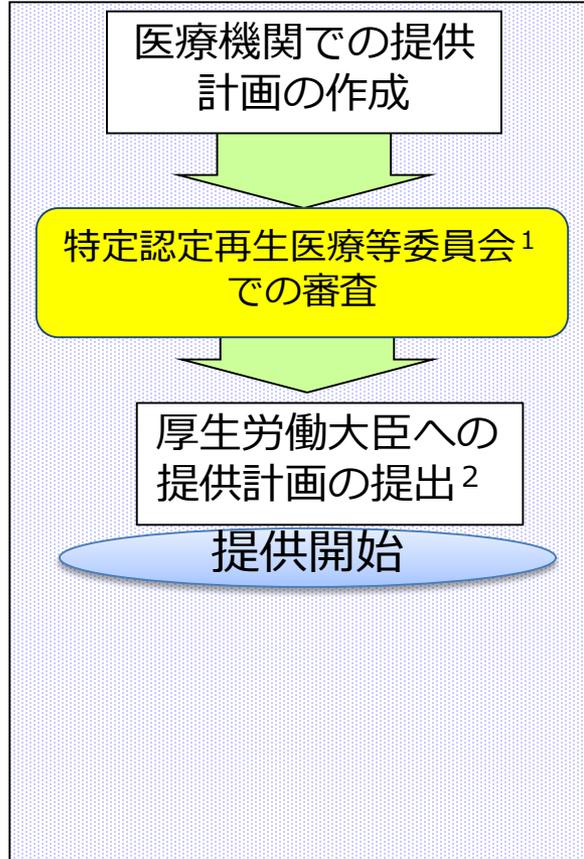
第1種再生医療等

ヒトに未実施など高リスク
(ES細胞、iPS細胞等)



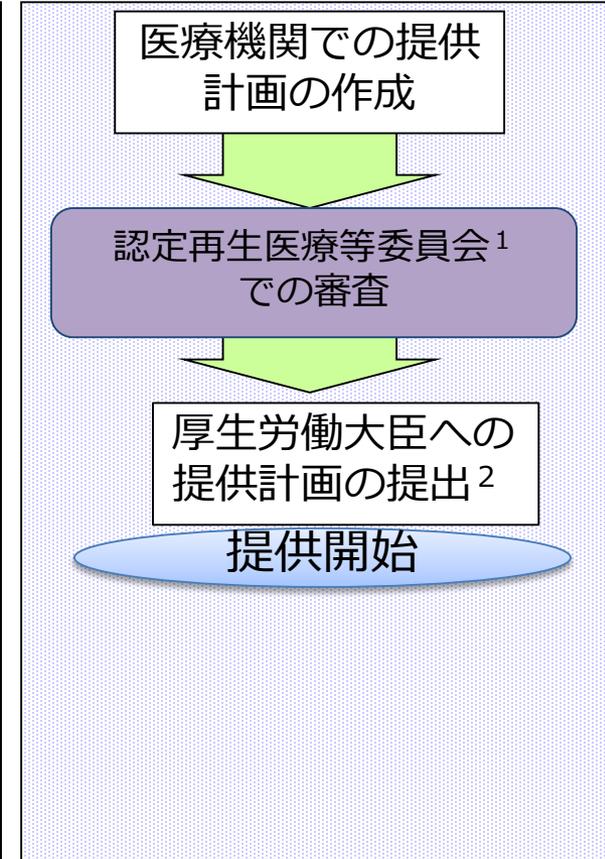
第2種再生医療等

現在実施中など中リスク
(体性幹細胞等)



第3種再生医療等

リスクの低いもの
(体細胞を加工等)



(注1) 「認定再生医療等委員会」とは、再生医療等技術や法律の専門家等の有識者からなる合議制の委員会で、一定の手続により厚生労働大臣の認定を受けたものをいい、「特定認定再生医療等委員会」は、認定再生医療等委員会のうち、特に高度な審査能力、第三者性を有するもの。

(注2) 厚生労働大臣への提供計画の提出の手続を義務付ける。提供計画を提出せずに再生医療等を提供した場合は、罰則が適用される。