

平成13年12月12日

遺伝子治療臨床研究に関する新指針（案）に対する御意見の募集について

現在、厚生労働省及び文部科学省共同で「遺伝子治療臨床研究に関する指針」の改定に取り組んでおりますが、関係審議会等の御意見を踏まえ、改定案を取りまとめ、その案に対して、別添のとおり広く一般からの御意見を募集いたしますので、お知らせいたします。

なお、本件については、明日より、厚生労働省のホームページにも掲載いたします。

(<http://www.mhlw.go.jp/public/index.html>)

平成 13 年 12 月 13 日

遺伝子治療臨床研究に関する新指針（案） に関する御意見の募集について

文部科学省
厚生労働省

- 文部科学省及び厚生労働省は、「遺伝子治療臨床研究に関する指針」（平成 6 年 2 月厚生省告示第 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 6 月文部省告示第 79 号）を改定し、新たに共同で遺伝子治療臨床研究に関する指針を策定する作業を進めておりますが、このたび、関係審議会等の議論を踏まえ、標記の新指針（案）をまとめましたので、広く一般の方々に御意見をお願いし、今後の新指針の策定における参考とさせていただくことといたしました。
- 新指針（案）策定の背景、御意見の提出要領等を以下にお示しいたしますので、御意見をいただきたく存じます。
- 新指針（案）についてお寄せいただいた御意見等は、集約した概要を作成し、関係審議会等に報告するとともに、両省において閲覧に供することにより公開されます。
- なお、御意見に対する個別の回答はいたしかねますのでご了承下さい。
- また、特定の人を中傷したり、この新指針（案）の内容に直接関係のない御意見等と判断されるものは受け付けません。

1. 新指針（案）の背景、内容等

別紙 1 において新指針（案）の検討の背景等を、別紙 2-1 及び 2-2 において従来の指針からの改正点の概要及び新指針（案）による研究実施計画の審査の流れを、別紙 3 において新指針（案）の本文をお示ししております（御意見募集の対象は別紙 3 のみ）。

なお、審議会等における議論や提出資料を参照されたい場合は、文部科学省ホームページの科学技術・学術審議会生命倫理・安全部会遺伝子治療臨床研究専門委員

会 (http://www.mext.go.jp/a_menu/shinkou/seimei/index.htm) 又は厚生労働省ホームページの厚生科学審議会科学技術部会遺伝子治療臨床研究の在り方に関する委員会 (<http://www.mhlw.go.jp/shingi/kousei.html#kagaku3>) の項を参照下さい。

2. 御意見の提出要領

(1) 提出方法

下記の意見提出用紙の様式に従って御意見をまとめ、電子メール又は郵送にて提出して下さい。(電話及びファクシミリによる御意見は御遠慮下さい。)

【提出先】

※ 御意見につきましては、いずれの省に御提出いただいても可能ですが、事務の整理上、同じ御意見につきましては、いずれか一省のみに御提出をお願いいたします。

(文部科学省)

- 電子メールの場合 ethics@mext.go.jp (テキスト形式)
- 郵送の場合

〒100-8966 東京都千代田区霞が関1-3-2

文部科学省研究振興局ライフサイエンス課生命倫理・安全対策室

「遺伝子治療臨床研究に関する新指針(案)」御意見募集担当 宛

(厚生労働省)

- 電子メールの場合 genetherapy@mhlw.go.jp (テキスト形式)
- 郵送の場合

〒100-8916 東京都千代田区霞が関1-2-2

厚生労働省大臣官房厚生科学課

「遺伝子治療臨床研究に関する新指針(案)」御意見募集担当 宛

(2) 提出期限

平成14年1月17日(木) 必着

(3) 記載方法等

【様式・枚数等】

- 電子メールの場合

テキスト形式で、全角文字によりお願いいたします。

- 郵送の場合

提出用紙はA4用紙に全角文字で、できるだけ1枚以内でお願いいたします。

意見提出用紙

遺伝子治療臨床研究に関する新指針（案）に対する意見

I. お寄せいただいた方

- 1 氏名：
- 2 所属団体：（特にない場合は「無し」で結構です）
- 3 連絡先の住所・電話番号・又は電子メールアドレス

II. この問題に関する関わりについて

III. 御意見

3. その他

インターネット上の各省ホームページを御覧になれない方は、資料の返送先の住所及び氏名を記載し、160円切手を貼った返信用封筒（A4サイズのコピー用紙が入る角封筒）を同封の上、以下のいずれかまで請求して下さい。また、御意見提出及び資料請求に係る御照会につきましても以下までお願いいたします。

（文部科学省）

〒100-8966 東京都千代田区霞が関1-3-2

文部科学省研究振興局ライフサイエンス課生命倫理・安全対策室

「遺伝子治療臨床研究に関する新指針（案）」御意見募集担当

TEL 03（5253）4111（内線4113）

（厚生労働省）

〒100-8916 東京都千代田区霞が関1-2-2

厚生労働省大臣官房厚生科学課

「遺伝子治療臨床研究に関する新指針（案）」御意見募集担当

TEL 03（3595）2171（直通）

遺伝子治療臨床研究の在り方の見直しについて

1. 背景

(1) 厚生労働省、文部科学省の指針

① 個々の研究計画毎に、施設内の審査委員会の審議を経て、厚生労働大臣に、大学等にあつては文部科学大臣にもあわせて、意見を求め、関係審議会の審議を経て、研究を実施。

② 薬事法上の治験に該当する場合は、依頼者である企業等が薬事法の規定に基づく治験届を提出。

(2) 規制緩和推進3カ年計画での指摘事項(平成12年3月31日閣議決定)

遺伝子治療等の新技術を、十分な情報の下、自己責任で本人が、その治療方法として選択する場合、それを制限する合理的な理由は見あたらないことを踏まえ、新しい技術での治療を実質的に制限している状況を改善するよう検討する。

(3) 厚生科学審議会答申(平成11年5月18日)

遺伝子治療臨床研究の個別事前審査において、ある程度普及した遺伝子治療臨床研究については、審査準則の制定と自主審査体制の充実を検討すべきであるとの提言。

2. これまでの検討

平成12年12月12日、旧厚生科学審議会と旧学術審議会の遺伝子治療臨床研究の在り方に関する合同委員会を開催。

3. 米国の現状

約400の遺伝子治療臨床研究が許可されており(約90%が第I相、約10%が第II相)、4000例以上の患者に遺伝子治療が行われている。米国国立健康研究所(NIH)では、新規性、社会的重要性の高い研究計画*のみに限り、設置されている遺伝子組換え諮問委員会(RAC)で審査がなされている。その他、米国では治験に限らず全ての臨床研究について、米国食品医薬品庁(FDA)への実施の届出が義務づけられており、その一つとして、遺伝子治療の臨床研究についても、FDAへの届出が必要となっている。

*米国NIH・RACは、従来、実質的にすべての遺伝子治療臨床研究を対象に事前に審査を行ってきたが、1995年、当初心配された予期せぬ副作用報告がないこと、申請件数が大幅に増加したことなどから、新規性の高い計画(新規のベクター又は遺伝子導入法方を利用するもの、遺伝子治療研究対象として新規の疾患を対象とするものなど)に限定。

4. スケジュール

パブリックコメントを求めた後、今年度末を目途に告示する。

従来の「遺伝子治療臨床研究に関する指針」からの改正点の概要

従来の厚生労働省及び文部科学省それぞれの指針を廃止し、新たに両省共同で指針を策定することとするが、従来の指針からの変更（改正）点の概要は以下のとおりである。

1. 国における審査の迅速化等

- 従来の指針においては、すべての遺伝子治療臨床研究について、実施施設の長が実施計画書を厚生労働大臣に提出して意見を求め、厚生労働大臣は厚生科学審議会の意見を聴いて、意見を述べることとされている。

さらに、実施施設が大学等である場合には、実施施設の長は文部科学大臣にも実施計画書を提出して意見を求め、文部科学大臣は科学技術・学術審議会の意見を聴いて、意見を述べることとされている。

- 今回の改正においては、次により審査の迅速化を図ることとしている。
 - ・ 厚生労働大臣は、意見を述べるに当たり、
 - ① 当該研究において国内で初めての治療法が用いられるなど新規性を有するか否か、その他個別審査の必要な事項を有するか否かについて専門家の意見を聴き、
 - ② 新規性等を有しない場合は速やかに意見を述べることとし、
 - ③ 新規性等を有する場合のみ厚生科学審議会の意見を聴くこととする。
 - ・ 実施施設が大学等である場合には、実施施設の長は、文部科学大臣に対して意見を求めるのではなく、厚生労働大臣への意見の求めの写しや研究報告書等を提出することとする。また、厚生労働大臣は、その意見の写しを文部科学大臣に送付することとする。

2. 被験者の同意の文書による取得

- 従来の指針は、被験者の同意は文書又は口頭によることとされているが、今回の改正により、口頭による同意は認めず、文書によることとする。

3. 審査委員会の構成等

- 今回の改正により、新たに、
 - ・ 審査委員会は、男女両性から構成され、複数の外部委員を含むべきこと
 - ・ 審査委員会による審査の過程を記録・保管し、個人情報等を除き公開すべきこととする。

4. 適用除外

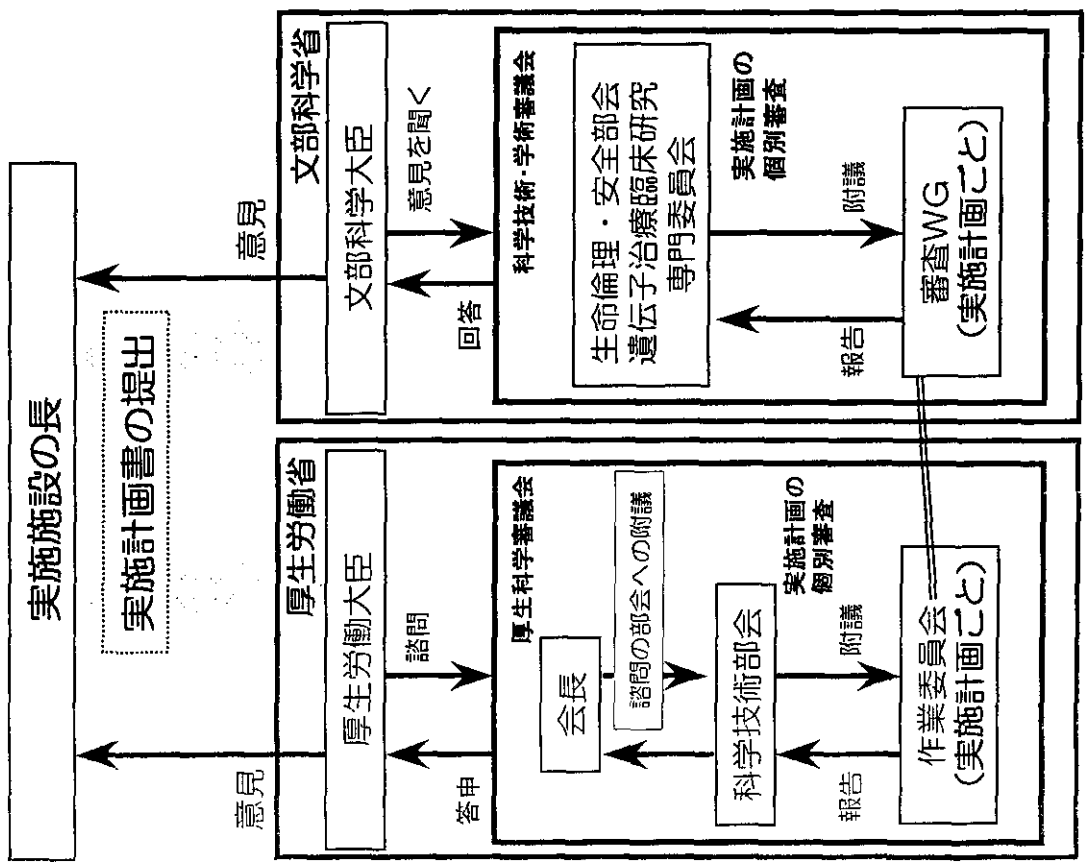
- 今回の改正により、薬事法に定める治験に該当する遺伝子治療臨床研究は、薬事法に基づく規制にゆだね、指針の対象外とする。

5. その他

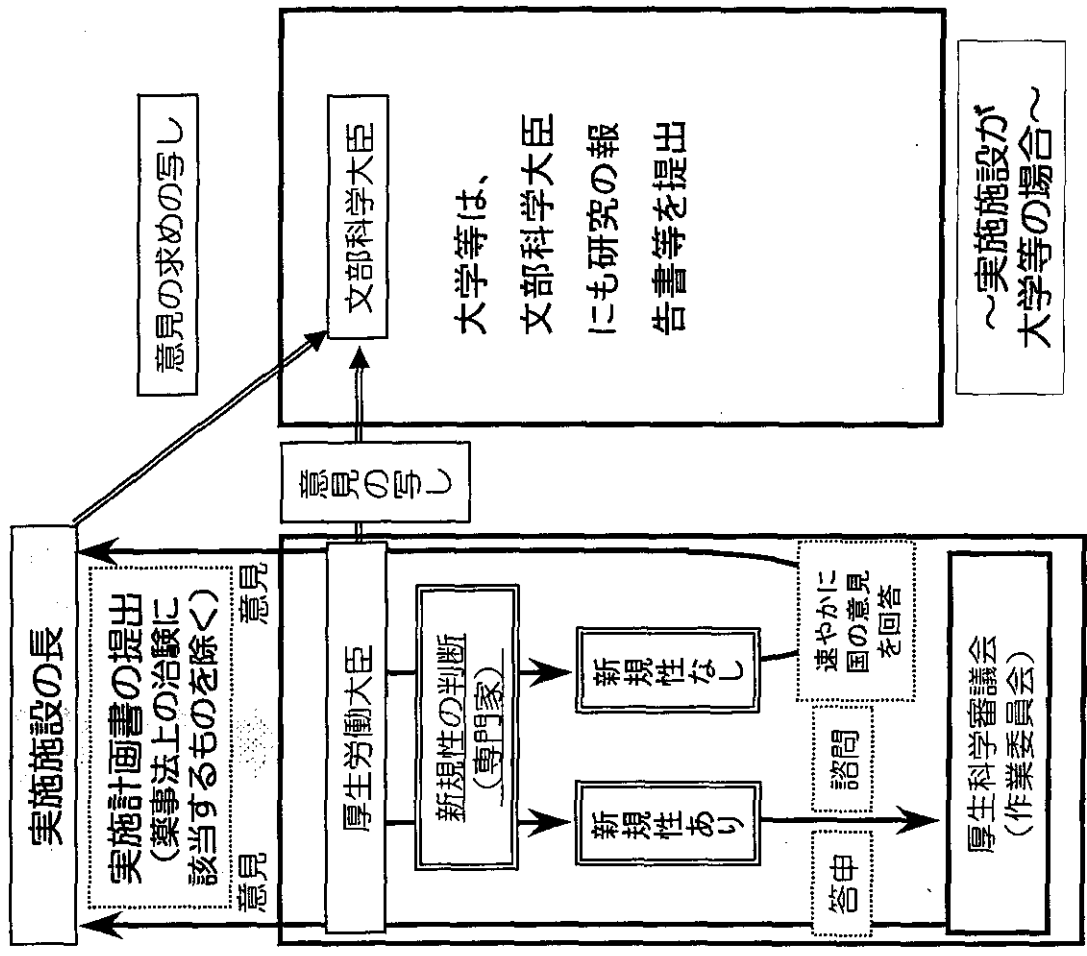
- その他所要の規定の整備を行う。

遺伝子治療臨床研究の実施計画審査の流れ (イメージ)

現行



改正後



遺伝子治療臨床研究に関する指針（案）

※ 下線部は、厚生労働省指針又は文部科学省指針からの主な変更部分

第一章 総則

第一 目的

この指針は、遺伝子治療の臨床研究（以下「遺伝子治療臨床研究」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適正な実施を図ることを目的とする。

第二 定義

- 一 この指針において「遺伝子治療」とは、疾病の治療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及び次の二に定める遺伝子標識をいう。
- 二 この指針において「遺伝子標識」とは、疾病の治療法の開発を目的として標識となる遺伝子又は標識となる遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与することをいう。
- 三 この指針において「研究者」とは、遺伝子治療臨床研究を実施する者をいう。
- 四 この指針において「総括責任者」とは、遺伝子治療臨床研究を実施する研究者に必要な指示を行うほか、遺伝子治療臨床研究を総括する立場にある研究者をいう。
- 五 この指針において「実施施設」とは、遺伝子治療臨床研究が実施される施設をいう。

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られるものとする。
 - 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に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られるものとする。
 - 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。

第四 有効性及び安全性

遺伝子治療臨床研究は、有効かつ安全なものであることが十分な科学的知見に基づき予測されるものに限られるものとする。

第五 品質等の確認

遺伝子治療臨床研究に使用される遺伝子その他の人に投与される物質については、その品質、有効性及び安全性が確認されているものに限られるものとする。

第六 生殖細胞等の遺伝的改変の禁止

人の生殖細胞又は受精卵の遺伝的改変を目的とした遺伝子治療臨床研究及び人の生殖細胞又は受精卵の遺伝的改変をもたらすおそれのある遺伝子治療臨床研究は、行ってはならないものとする。

第七 適切な説明に基づく被験者の同意の確保

遺伝子治療臨床研究は、適切な説明に基づく被験者の同意（インフォームド・コンセント）が確実に確保されて実施されなければならないものとする。

第八 公衆衛生上の安全の確保

遺伝子治療臨床研究は、公衆衛生上の安全が十分確保されて実施されなければならないものとする。

第二章 被験者の人権保護

第一 被験者の選定

被験者の選定に当たっては、人権保護の観点から、病状、年齢、同意能力等を考慮し、慎重に検討されるものとする。

第二 被験者の同意

- 一 総括責任者又は総括責任者の指示を受けた医師である研究者（以下「総括責任者等」という。）は、遺伝子治療臨床研究の実施に際し、第三に掲げる説明事項を被験者に説明し、文書により自由意思による同意を得るものとする。
- 二 同意能力を欠く等被験者本人の同意を得ることが困難であるが、遺伝子治療臨床研究を実施することが被験者にとって有用であることが十分に予測される場合には、当該被験者の法定代理人等被験者の意思及び利益を代弁できると考えられる者の文書による同意を得るものとする。この場合においては、当該同意に関する記録及び同意者と当該被験者の関係を示す記録を残すものとする。

第三 被験者に対する説明事項

総括責任者等は、第二の同意を得るに当たり次のすべての事項を被験者（第二の二に該当する場合にあっては、被験者の意思及び利益を代弁できると考えられる者）に対し可能な限り平易な用語を用いて説明するものとする。

- 一 遺伝子治療臨床研究の目的及び方法
- 二 遺伝子治療臨床研究により予期される効果及び危険
- 三 他の治療法の有無、内容並びに当該治療法により予期される効果及び危険
- 四 被験者が遺伝子治療臨床研究の実施に同意しない場合であっても何ら不利益を受けることはないこと。
- 五 被験者が遺伝子治療臨床研究の実施に同意した場合であっても随時これを撤回できること。
- 六 その他被験者の人権の保護に関し必要な事項

第三章 研究及び審査の体制

第一 研究者

- 一 研究者（総括責任者を除く。）は、総括責任者を補助し遺伝子治療臨床研究の実施計画に関する資料を作成するとともに、当該計画を実施し、総括責任者に対し必要な報告を行うものとする。
- 二 研究者は、遺伝子治療臨床研究を適正に実施するために必要な専門的知識又は臨床経験を有する者とする。

第二 総括責任者

- 一 総括責任者は、次の業務を行うものとする。
 - 1 遺伝子治療臨床研究の実施に関して内外の入手し得る資料及び情報に基づき、遺伝子治療臨床研究の医療上の有用性及び倫理性について検討すること。
 - 2 1の検討の結果に基づき、遺伝子治療臨床研究の実施計画を記載した書類（以下「実施計画書」という。）を作成し、実施施設の長の了承を求めること。
 - 3 遺伝子治療臨床研究を総括し、研究者に必要な指示を行うこと。
 - 4 遺伝子治療臨床研究が実施計画書に従い適切に実施されていることを随時確認すること。
 - 5 遺伝子治療臨床研究の進行状況及び結果に関し、実施施設の長及び審査委員会に対し必要な報告を行うこと。
 - 6 1から5までに定めるもののほか、遺伝子治療臨床研究を総括するに当たって必要となる措置を講ずること。
- 二 総括責任者は、一の遺伝子治療臨床研究について一名とし、一に掲げる業務を適確に実施できる者とする。

第三 実施施設

実施施設は、次のすべての要件を満たすものとする。

- 一 十分な臨床観察及び検査並びにこれらの結果の分析及び評価を行うことができる人的能力及び施設機能を備えたものであること。
- 二 被験者の病状に応じた必要な措置を採ることができる人的能力及び施設機能を備えたものであること。
- 三 審査委員会が置かれているものであること。

第四 実施施設の長

実施施設の長は、次の業務を行うものとする。

- 一 総括責任者から遺伝子治療臨床研究の実施（当該遺伝子治療臨床研究の重大な変更を含む。第四章第三を除き、以下同じ。）の了承を求められた際に、遺伝子治療臨床研究の実施について審査委員会及び厚生労働大臣に意見を求めるとともに、当該意見に基づき必要な指示を与え、実施を了承すること。
- 二 遺伝子治療臨床研究の進行状況及び結果について、総括責任者又は審査委員会から報告又は意見を受け、必要に応じ、総括責任者に対しその留意事項、改善事項等に関して指示を与えると同時に厚生労働大臣に対し報告を行うこと。
- 三 総括責任者から受理した総括報告書の写しを速やかに厚生労働大臣に提出すること。
- 四 被験者の死亡その他遺伝子治療臨床研究の実施に際して生じた重大な事態及び遺伝

子治療臨床研究の実施に影響を及ぼすおそれがある情報について、速やかに厚生労働大臣に報告すること。

五 実施施設が大学、大学共同利用機関又は文部科学大臣が所管する法人であって、法律により直接に設立された法人若しくは民法（明治29年法律第89号）第34条の規定により設立された法人（以下「大学等」という。）である場合においては、一から四までに掲げるもののほか、一の規定による意見の求めの写しを文部科学大臣に提出するとともに、二及び四の規定による報告並びに三の規定による提出を文部科学大臣に対しても行うこと。

第五 審査委員会

一 審査委員会は、次の業務を行うものとする。

1 実施計画書等に基づき、当該遺伝子治療臨床研究の実施についてこの指針に即し審査を行い、その適否及び留意事項、改善事項等について、実施施設の長に対し意見を提出するとともに、当該審査の過程の記録を作成し、これを保管すること。

2 遺伝子治療臨床研究の進行状況及び結果について報告を受け、必要に応じて調査を行い、その留意事項、改善事項等について実施施設の長に対し、意見を提出すること。

二 審査委員会は、次のすべての要件を満たすものとする。

1 審査委員会は、遺伝子治療臨床研究の実施に関する医療上の有用性及び倫理性を総合的に審査できるよう分子生物学、細胞生物学、遺伝学、臨床薬理学、病理学等の基礎医学の専門家、遺伝子治療臨床研究の対象となる疾患に係る臨床医、法律に関する専門家及び生命倫理に関する意見を述べるにふさわしい識見を有する者を含めて構成されるものであること。

2 審査委員会は、男女両性から構成され、複数の外部委員を含むものとすること。

3 審査委員会における審査が公正に行われるよう審査委員会の活動の自由及び独立が保障されていること。なお、実施計画書を提出している研究者は、倫理審査委員会の求めに応じてその会議に出席し、説明する場合を除き、当該遺伝子治療臨床研究に関する審査に参加できないものであること。

4 審査委員会の構成、組織及び運営並びに公開その他遺伝子治療臨床研究の審査に必要な手続に関する規則が定められ、公開されているものであること。

5 審査委員会による審査の過程は、記録・保管し、個人の情報、研究の独創性及び知的財産権の保護に支障を生じるおそれのある事項を除き公開すること。

第四章 研究実施の手続

第一 研究の開始の手続

一 総括責任者は、遺伝子治療臨床研究を実施するに当たっては、あらかじめ実施計画書を作成し、実施施設の長の下承を得るものとする。

二 一の実施計画書には、次の事項を記載するものとする。

1 遺伝子治療臨床研究の名称

2 総括責任者及びその他の研究者の氏名並びに当該遺伝子治療臨床研究において果たす役割

3 実施施設の名称及びその所在地

4 遺伝子治療臨床研究の目的

5 対象疾患及びその選定理由

- 6 遺伝子の種類及びその導入方法
 - 7 安全性についての評価
 - 8 遺伝子治療臨床研究の実施が可能であると判断した理由
 - 9 遺伝子治療臨床研究の実施計画
 - 10 その他必要な事項
- 三 一の実施計画書には、次の資料を添付するものとする。
- 1 研究者の略歴及び研究業績
 - 2 実施施設の施設設備の状況
 - 3 実施施設における当該遺伝子治療臨床研究に関する培養細胞、実験動物を用いた研究成果
 - 4 遺伝子治療臨床研究に関連する実施施設以外の内外の研究状況
 - 5 その他必要な資料
- 四 実施計画書には、その概要を可能な限り平易な用語を用いて記載した要旨を添付するものとする。

第二 研究中の手続

総括責任者は、遺伝子治療臨床研究の進行状況を審査委員会及び実施施設の長に随時報告するものとする。

第三 研究の終了の手続

総括責任者は、遺伝子治療臨床研究の終了後直ちに次の事項を記載した総括報告書を作成し、実施施設の長に対し提出するものとする。

- 一 遺伝子治療臨床研究の目的及びその実施期間
- 二 総括責任者及びその他の研究者の氏名
- 三 実施施設の名称及び所在地
- 四 遺伝子治療臨床研究の実施方法
- 五 遺伝子治療臨床研究の結果及び考察
- 六 その他必要な事項

第五章 厚生労働大臣の意見等

第一 厚生労働大臣の意見

- 一 厚生労働大臣は、実施施設の長の求めに応じ、あらかじめ当該実施施設における遺伝子治療臨床研究の実施に関し意見を述べるものとする。
- 二 実施施設の長は、第三章第四の一に基づき厚生労働大臣に対し意見を求めるに当たって、次の書類を提出するものとする。
 - 1 実施計画書及び当該実施計画書に添付する資料
 - 2 審査委員会における審査の過程及び結果を示す書類
 - 3 第三章第五の二の4に定める規則
- 三 厚生労働大臣は、二に基づき意見を求められた場合において、複数の有識者の意見を踏まえ、当該遺伝子治療臨床研究が次に掲げる事項のいずれかに該当すると判断するときは、当該遺伝子治療臨床研究の医療上の有用性及び倫理性について厚生科学審議会の意見を聴くものとする。
 - 1 新規のベクター（疾病の治療のための遺伝子が組み込まれたDNA又はこれを含むウイルスその他の粒子であって、当該遺伝子を細胞内に導入する際に用いられる

ものをいう。)又は新規の遺伝子投与方法を用いていること。

2 新規の疾病を対象としていること。

3 その他新規の遺伝子治療方法を用いていること。

4 その他個別の審査を必要とするような事項を含んでいること。

四 厚生労働大臣は、三において厚生科学審議会の意見を聴く必要がないと判断する場合には、意見を求められた日から三十日以内に、当該遺伝子治療臨床研究の実施に関し意見を述べるものとする。

第二 重大な事態等に係る厚生労働大臣の意見

厚生労働大臣は、第三章第四の四に基づき実施施設の長から報告を受けた場合には、必要に応じ、遺伝子治療臨床研究に関して意見を述べるものとする。

第三 厚生労働大臣の調査等

厚生労働大臣は、第一の一又は第二の意見を述べる時その他必要があると認めるときは、実施施設の長に対し第一の三に定める書類以外の資料の提出を求めるとともに、当該実施施設の長の承諾を得て当該実施施設の調査その他必要な調査を行うものとする。

第四 文部科学大臣への連絡

厚生労働大臣は、実施施設が大学等である場合においては、第一の一又は第二の規定により述べた意見の写しを文部科学大臣に送付するものとする。

第六章 雑則

第一 記録の保存

実施施設の長は、遺伝子治療臨床研究に関する記録に関し、保管責任者を定め、適切な状態の下で、研究終了後少なくとも五年間保存しなければならないものとする。

第二 秘密の保護

研究者、審査委員会の委員及び実施施設の長は、遺伝子治療臨床研究を行う上で知り得た個人に関する秘密を正当な理由なく漏らしてはならないものとする。その職を辞した後も同様とする。

第三 情報の公開

実施施設の長は、計画又は実施している遺伝子治療臨床研究に関する情報の適切かつ正確な公開に努めるものとする。

第四 啓発普及

研究者は、あらゆる機会を利用して遺伝子治療臨床研究に関し、情報の提供等啓発普及に努めるものとする。

第五 適用除外

第二章から第五章まで及び本章第一から第四までの規定は、薬事法（昭和三十五年法律第百四十五号）に定める治験に該当する遺伝子治療臨床研究については、適用しない。

第六 手続等の効力

この指針の施行前に遺伝子治療臨床研究に関する指針（平成六年二月厚生省告示第二

十三号) 又は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(平成六年六月文部省告示第七十九号)の規定によってした手続その他の行為であって、この指針に相当の規定があるものは、この指針の相当の規定によってしたものとみなす。