

北海道大学医学部附属病院遺伝子治療臨床研究審査委員会審査結果

北海道大学医学部附属病院遺伝子治療臨床研究審査委員会は、本学医学研究科遺伝子治療講座（寄附講座）および本院小児科（医学研究科小児発達医学分野）から申請のあった遺伝子治療臨床研究「アデノシンデアミナーゼ欠損症における血液幹細胞を標的とする遺伝子治療臨床研究」の計画について、委員会を開催して審査を行った。審査にあたっては、実施計画の内容が厚生省「遺伝子治療臨床研究に関する指針」および文部省「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）の一部改正について」に基づき、これらに対応しているかどうかについて慎重に検討した。この結果、以下の各要件を全て満たしているとの結論を得た。

1. 有効性及び安全性の確保

本申請の対象疾患であるアデノシンデアミナーゼ（ADA）欠損症に対する遺伝子治療臨床研究は既に本院において1995年から末梢血T細胞を標的に実施済みであり、その有効性、安全性を確認している。また今回申請の計画書においては、以下2で述べる治癒の可能性があり、3で述べる研究体制も万全であり、4で述べるベクターの品質確認等においても安全性が確保されていると判断される。

2. 対象疾患等

ADA欠損症はこれまでに1)骨髄ドナーの要件が満たされたときには同種骨髄細胞の移植、そのようなドナーが存在しない時には2)ポリエチレングリコール結合ウシADA（PEG-ADA）の投与によって治療されてきた。さらに、PEG-ADAでの治療効果が部分的な場合には3)末梢血リンパ球を標的とする遺伝子治療臨床研究が試みられてきた。しかし、1)は有用性が確立されているが、ドナーがいる症例はほぼ20%に過ぎないこと、2)は免疫機構の再建が部分的であること、3)は既に当該研究者等が実施して、その効果を確認したが、持続が一時的であることなどがそれぞれ問題となっている。

これに対して、今回申請の遺伝子治療臨床研究は、自己血液幹細胞を標的に遺伝子を導入することにより、遺伝子発現はより広範囲の血液細胞に半ば永久的に維持され、これらによってPEG-ADAの中断も可能になる効果が期待される。即ち本研究計画によってADA欠損症の治癒が期待される。

3. 研究体制

本申請では、既設の遺伝子組換えレベルP2の遺伝子治療臨床研究室で遺伝子導入操作が行われる。総括責任者、共同研究者は前回の遺伝子治療臨床研究を経験し、かつその業績並びに今回の臨床研究のための基礎研究からも、研究体制に問題なしと判断される。

4. 品質確認等

(1)本申請の遺伝子治療臨床研究を実施するに当たって、安全性を確保するために重要な確認事項はレトロウイルス同士間あるいはベクターとヒト内因性レトロウイルス間に組換えが起こり、新たな感染性を持った増殖性ウイルスが生じていないことを証明することである。本申請で用いられるベクターは、既に実施された遺伝子治療臨床研究に使用されたベクターに比してこのような組換えが起こらないような更なる工夫がほどこされている(参考文献)。

本申請で使用されるレトロウイルスベクター、レトロウイルスベクター産生細胞はアメリカ合衆国FDAの審査に合格したものであり、安全性を確認する資料が計画書に添付されている(ベクター関連資料)。

増殖性ウイルスは時間の経緯と共に産生される可能性があるので、治療前、治療後においても申請者によってその検索がなされる。

(2)レトロウイルスベクターのプロモーター領域が、挿入された近傍にある癌原遺伝子や癌抑制遺伝子をそれぞれ活性化したり、不活性化して発癌に結びつく可能性が指摘されている。しかし、この可能性を事前に検索することは不可能である。またレトロウイルスベクターを使用したこれまでの遺伝子治療臨床研究は症例数で1000例を超えており、これまでの所、関連する副反応は見出されておらず、その可能性は極めて低いと考えられる。この可能性を憂慮して治療を行わないことより、むしろこの治療によって得られる恩恵を家族のインフォームドコンセントを得て優先させるべきである。

(3)多分化能を持つ血液幹細胞が標的であることの安全性に関してはアデノシンデアミンゼ遺伝子はハウスキーピング遺伝子であり、本来全ての血液細胞に発現していることから、リンパ球以外の細胞での発現も特に問題とならないものと判断される。

5. 適切な説明に基づく被験者(親権者)の同意の確保

本申請においては、既に実施された遺伝子治療臨床研究において使用された「説明と同意書」に新たな治療内容を加えて文部省「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)の一部改正について」に基づき作成された「説明と同意書」に対して親権者から同意が得られている(添付資料3)。

6. 被験者の人権保護

十分配慮されていると判断される。

平成14年1月9日

北海道大学医学部附属病院遺伝子治療臨床研究審査委員会

副委員長 小池 隆夫



(2)

北海道大学医学部附属病院遺伝子治療臨床研究審査委員会審査結果

北海道大学医学部附属病院遺伝子治療臨床研究審査委員会は、平成14年5月13日第2回の会議を開き、本院申請の「アデノシンデアミナーゼ欠損症における血液幹細胞を標的とする遺伝子治療臨床研究」に対する厚生労働省小児免疫不全疾患遺伝子治療臨床研究作業委員会の実施計画に対する検討、補正等の意見（以下「意見」）に基づいて、総括責任者が作成した回答書、一部修正、追加した新実施計画書について、次のように審査したので報告する。

1. 全般的事項について

新実施計画書は、ほぼ「意見」どおりに修正、追加されていると判断される。

- 1) 前処置については患児の安全性が損なわれる可能性（特に対象症例2）が強く危惧されるので、これを行わないことを認めた。
- 2) アダジェンによる酵素補充療法の中断についてはその対応を含めて十分にご両親に説明して同意を得るよう要請した。
- 3) 対象症例の実施順位に関しては基本的にはより免疫能の再検が得られている症例1でその安全性を確認して症例2に適應することを認めた。

2. 実施計画概要書について

新実施計画概要書は、ほぼ「意見」どおりに修正、追加されていると判断される。

3. 説明及び同意書について

- 1) 新説明および同意書はほぼ「意見」どおりに記載が整理されていると判断される。
- 2) 本遺伝子治療の目的の一部は永続的効果を得ることではあるが、自己複製能を持つ血液幹細胞への遺伝子導入とその発現の維持が確立されていない現状での臨床研究であることを十分に踏まえた記載であるよう要請した。
- 3) 対象症例1の11歳患児には患者用の説明および同意者を作成するよう要請した。
- 4) 骨髄血採取についてその具体的方法、身体的負担などの説明書を別途作成し、ご両親と患者に十分説明するよう要請した。

平成14年5月13日

北海道大学医学部附属病院遺伝子治療臨床研究審査委員会

副委員長

小池 隆夫



北海道大学医学部附属病院遺伝子治療
臨床研究審査委員会内規

平成6年8月8日
制 定

(目的)

第1条 北海道大学医学部附属病院において行われる遺伝子治療臨床研究について、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9日文部省告示第79号）及び遺伝子治療臨床研究に関する指針（平成6年2月8日厚生省告示第23号）に基づき審査を行うことを目的として北海道大学医学部附属病院に北海道大学医学部附属病院遺伝子治療臨床研究審査委員会（以下「審査委員会」という。）を置く。

(任務)

第2条 審査委員会は、病院長の依頼に基づき次の各号に掲げる任務を行う。

- (1) 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。）等に基づき、当該遺伝子治療臨床研究の適否及び留意点、改善点等について意見を提出する。
- (2) 遺伝子治療臨床研究の実施に関する重大な変更について、その実施の適否及び留意点、改善点等について意見を提出する。
- (3) 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、その評価を行うとともに留意点、改善点等について意見を提出する。

(構成)

第3条 審査委員会は、次の各号に掲げる者をもって構成する。

- (1) 臨床医学系(内科系, 外科系, 中央診療施設等)の教授のうちから 5名
- (2) 基礎医学系(分子生物学, 細胞生物学, 遺伝学, 臨床薬理学及び病理学)の教授のうちから 4名
- (3) 法律に関する専門家 1名
- (4) 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 2名

2 前項各号の委員は科長会において選出し、病院長が委嘱する。

3 第1項各号の委員の任期は2年とし、再任を妨げない。ただし、補欠の委員の任期は前任者の残任期間とする。

(委員長)

第4条 審査委員会に委員長及び副委員長を置き、委員長は委員の互選により選出し、副委員長は委員長が指名する。

2 委員長は、審査委員会を招集し、その議長となる。

3 委員長に事故あるときは、副委員長がその職務を代行する。

(議事)

第5条 審査委員会は、委員の3分の2以上が出席し、かつ、第3条第1項第4号の委員のうち1名の出席がなければ議事を開くことができない。

(運営方針)

第6条 審査委員会は、第1条の目的につき、第2条に掲げる事項に関して科学的、倫理的面から総合的に審査する。

2 審査委員会は、審査にあたり実施計画の総括責任者を出席させ、実施計画書等の内容について、説明又は意見を聴取することができる。

3 審査委員会は、その審査が公正に行われるよう活動の自由及び独立が保証される。

4 審査委員会の構成及び組織、運営並びに審査の過程は、記録・保管し、個人のプライバシーに関する事項を除き公開する。

5 審査事項についての結論は、出席委員の3分の2以上の合意によって定めるものとする。

6 審査委員会委員長は、審査終了後速やかに、その結果を文書をもって病院長に報告するものとする。

(医学専門委員)

第7条 審査委員会に専門的事項を検討するため、必要に応じ、医学専門委員を置くことができる。

2 医学専門委員は、審査委員会委員をもって充てる。ただし、必要がある場合には、審査委員会委員以外の者をもって充てることができる。

(秘密の保護)

第8条 研究者、審査委員会の委員及び病院長は、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。

(庶務)

第9条 審査委員会の庶務は、事務部総務課において処理する。

附 則

この内規は、平成6年8月8日から施行する。

附 則

この内規は、平成7年1月12日から施行する。

附 則

この内規は、平成7年3月2日から施行する。

北海道大学医学部附属病院遺伝子治療臨床研究
審査委員会委員

平成13年12月21日現在

| | | | | |
|------|------------|----|------|---------|
| 委員長 | 医附属病院 | 教授 | 小林邦彦 | 研究者（除外） |
| 副委員長 | 医附属病院 | 教授 | 小池隆夫 | |
| 委員 | 医附属病院 | 教授 | 小柳知彦 | |
| // | 医附属病院 | 教授 | 藤堂省 | |
| // | 医附属病院 | 教授 | 宮崎勝巳 | |
| // | 医学研究科 | 教授 | 三輪聡一 | |
| // | 医学研究科 | 教授 | 長嶋和郎 | |
| // | 医学研究科 | 教授 | 吉木敬 | |
| // | 医学研究科 | 教授 | 藤田博美 | |
| // | 法学研究科 | 教授 | 常本照樹 | |
| // | 弁護士 | | 斎藤祐三 | |
| // | (株)太平洋観光札幌 | 社長 | 高崎愛子 | |

小林委員長については、実施計画書提出者に該当するため除外
委員長代行として、小池副委員長が議長

○文部科学省告示第一号
厚生労働省告示第一号

遺伝子治療臨床研究に関する指針を次のように定めたので公表する。

平成十四年三月二十七日

文部科学大臣 遠山 敦子
厚生労働大臣 坂口 力

遺伝子治療臨床研究に関する指針

目次

- 第一章 総則
- 第二章 被験者の人権保護
- 第三章 研究及び審査の体制
- 第四章 研究実施の手続
- 第五章 厚生労働大臣の意見等
- 第六章 雑則
- 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 被験者にとつ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、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成九年厚生省令第二十八号）第十七条第一項において求められる水準に達している施設において製造され、その品質、有効性及び安全性が確認されているものに限定されるものとする。

第六 生殖細胞等の遺伝的改変の禁止

人の生殖細胞又は胚（一の細胞又は細胞群であつて、そのまま又は動物の胎内において発生の過程を経ることにより一の個体に成長する可能性のあるもののうち、胎盤の形成を開始する前のものをいう。以下同じ。）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胚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、行つ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つては、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つ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つては、被験者の意思及び利益を代弁できると考えられる者）に対し十分な理解が得られるよう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、意義及び方法

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つても何ら不利益を受けることはな

らな

- 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

- 一 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

- 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とも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（明治二十九年法律第八十九号）第三十四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、男性委員及び女性委員双方から構成され、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、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、記録を作成してこれを保管し、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、実施施設の長の了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 第三章第五の二の四に定める規則

- 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つて、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 新規の遺伝子治療方法を用いていること（一又は二に該当するものを除く。）。

- 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、三の規定による厚生科学審議会からの意見の聴取が必要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とき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る意見を記載した書面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、実施施設の長その他研究に携わる関係者は、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二及び第四の規定は、薬事法（昭和三十五年法律第四百十五号）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 施行期日等

- 一 この指針は、平成十四年四月一日から施行する。
- 二 遺伝子治療臨床研究に関する指針（平成六年厚生省告示第二十三号）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（平成六年文部省告示第七十九号）（三において「旧指針等」という。）は、廃止する。
- 三 この指針の施行前に旧指針等の規定によってした手続その他の行為であつて、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。