

遺伝子治療等臨床研究に関する指針  
人を対象とする医学系研究に関する倫理指針  
の概要について

平成28年12月5日  
厚生労働省大臣官房厚生科学課

# 遺伝子治療等臨床研究に関する指針

平成27年10月1日施行

# 遺伝子治療等臨床研究に関する指針の概要①

(厚生労働省告示)

## 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)

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

平成27年10月1日 廃止

※下記指針の施行のため

### (遺伝子治療等臨床研究に関する指針)

平成27年10月1日 施行

# 遺伝子治療等臨床研究に関する指針の概要②

(厚生労働省告示)

## 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 研究計画書

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

第二十六 厚生労働大臣の調査等

第七章 個人情報等

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

第八章 重篤な有害事象への対応

第三十 重篤な有害事象への対応

第九章 研究の信頼性確保

第三十一 利益相反の管理

第三十二 研究に係る試料及び情報等の保管

第三十三 モニタリング及び監査

第十章 雑則

第三十四 啓発普及

第三十五 施行期日

第三十六 経過措置

# 遺伝子治療等とは

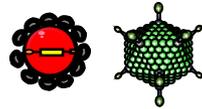
## 定義

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(「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」より)

### 遺伝子治療薬の直接投与 (in vivo 遺伝子治療)

遺伝子治療薬  
(目的遺伝子をベクターに搭載したもの)

ウイルスベクター



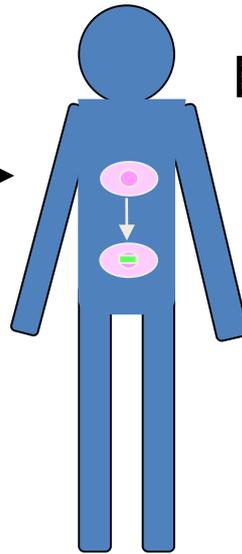
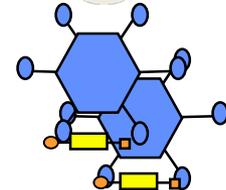
プラスミド  
(Naked DNA)



プラスミド/リポソーム



増殖性組換えウイルス



### 遺伝子導入細胞の投与 (ex vivo 遺伝子治療)

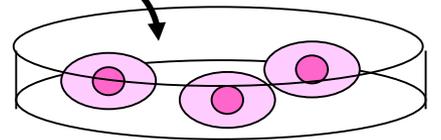
目的細胞の単離  
(自己、同種)



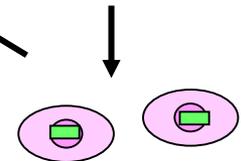
目的細胞

体外培養  
(増幅も)  
遺伝子導入

(ウイルスベクター)



投与



遺伝子導入細胞

# 遺伝子治療等臨床研究の審査体制

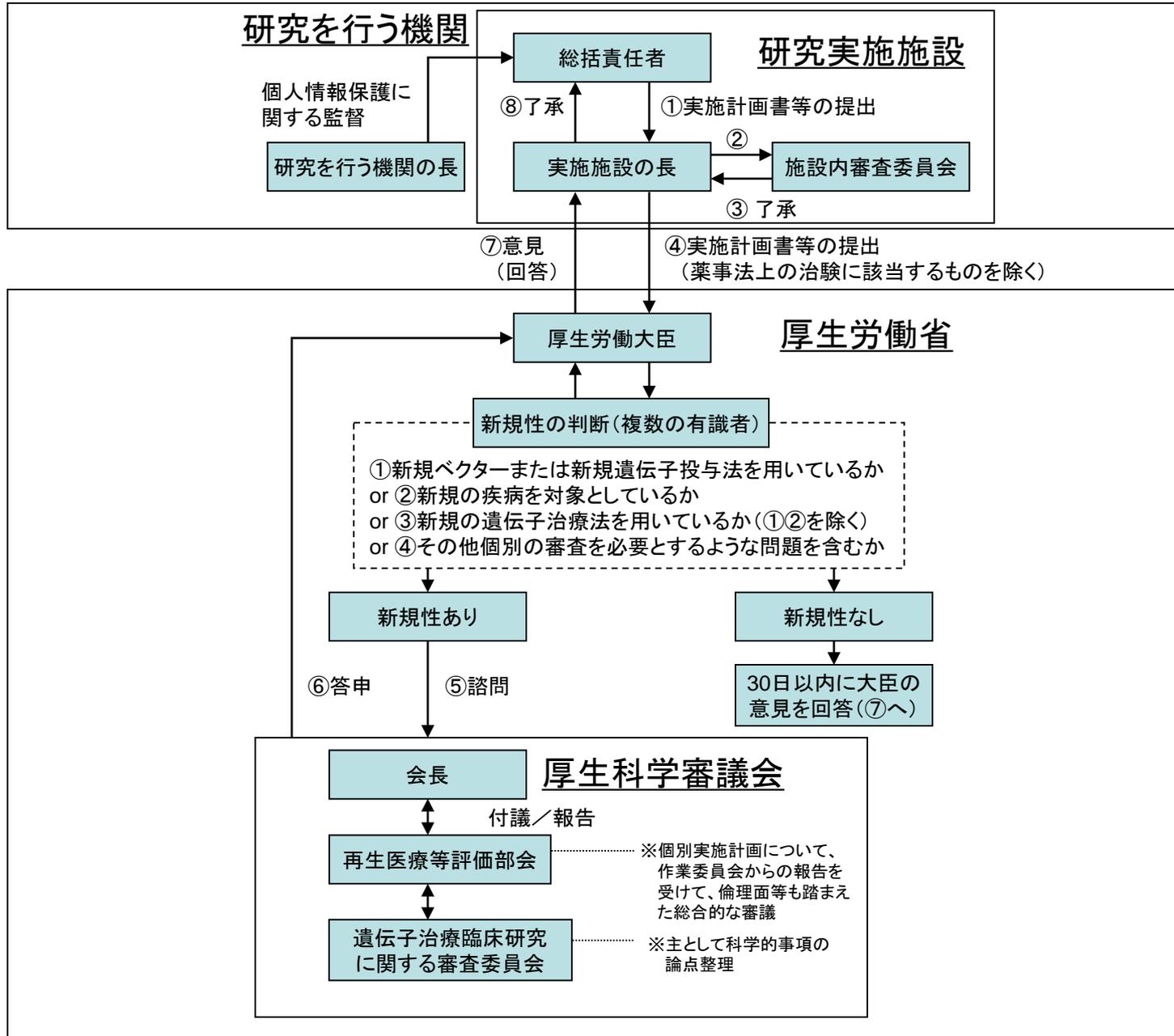
## 再生医療等の安全性の確保等に関する法律 施行前

- **in vivo**遺伝子治療臨床研究、**ex vivo**遺伝子治療臨床研究ともに「遺伝子治療臨床研究に関する指針」の適用対象。
- 研究計画について、遺伝子治療臨床研究に関する審査委員会を経た後、厚生科学審議会 **科学技術部会**にて審議。
- ベクターとして遺伝子組換え生物等を用いる場合は、カルタヘナ法の観点からも遺伝子治療臨床研究に関する審査委員会を経た後、**科学技術部会**にて審査。

## 再生医療等の安全性の確保等に関する法律 施行後

- **in vivo**遺伝子治療等臨床研究は「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」が適用され、**ex vivo** **遺伝子治療等臨床研究**については「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」の適用対象となる。
- 研究計画について、遺伝子治療等臨床研究に関する審査委員会 (in vivo) 又は 特定認定再生医療等委員会 (ex vivo) を経た後、厚生科学審議会 **再生医療等評価部会**にて審議。
- ベクターとして遺伝子組換え生物等を用いる場合は、カルタヘナ法の観点からも遺伝子治療等臨床研究に関する審査委員会を経た後、**再生医療等評価部会**にて審査。

# 「遺伝子治療臨床研究に関する指針」に基づく審査の流れ



# ゲノム編集技術と遺伝子治療等臨床研究指針について

## 遺伝子治療等臨床研究指針について(抜粋)

平成27年8月12日 厚生労働省告示

### ◆ 用語の定義 (第一章第一)

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。

### ◆ 対象の要件 (第一章第四)

次のすべての要件に適合するものに限る。

1. 治療・予防効果が、現在可能な他の方法と比較して同等以上であることが十分予測されるもの。
2. 被験者にとって遺伝子治療等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。

また、当該遺伝子治療等臨床研究が予防を目的とする場合には、不易が不利益を大きく上回ることが十分予測されるものであること。

### ◆ 生殖細胞等の遺伝的改変の禁止 (第一章第七)

人の生殖細胞又は胚の遺伝的改変を目的とした遺伝子治療等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等臨床研究は、行ってはならない。

## 遺伝子治療等臨床研究指針とゲノム編集技術との関係性

これまで、いわゆるゲノム編集技術を用いた遺伝子治療等臨床研究が科学技術部会、再生医療等評価部会で審議された実績はない。

＜平成26年8月29日 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議事録＞

○ゲノム編集は入れる、入れないという議論をここで簡単に結論できるものではないように思われる。遺伝子治療に含めるかどうかという話に関して、まだ世界でも決まっていないところがあるかと思う。

(山口委員長)

○あらかじめ定義をするのはあまり得策ではないような気がしていて、むしろ定義は時代とともに変わっていく可能性もあるので、むしろ定義をあまりせずに、ケース・バイ・ケースで判断していく方針でよいのかなと思う。(山口委員長)

# 生殖細胞等の遺伝的改変の禁止(第一章第七)について

## 生殖細胞等の遺伝的改変の禁止(第一章第七)

人の生殖細胞又は胚(一の細胞又は細胞群であって、そのまま人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等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等臨床研究は、行ってはならない。

## (平成6年2月8日厚科第54号厚生省大臣官房厚生科学課長通知) 施行通知

< 遺伝子治療臨床研究に関する指針について (抜粋) >

### 4. 生殖細胞の遺伝的改変の禁止

遺伝子治療には体細胞を対象とするものと生殖細胞を対象とするものがあるが、生殖細胞に対するものは、現時点では、個体に与える影響について科学的に未解明の部分が多いこと、導入された遺伝子が次世代に受け継がれる可能性が高く、その影響が被験者だけにとどまらない恐れが大きいこと等から、更に慎重な取扱いが必要と考えられる。

したがって、指針は体細胞を対象とする臨床研究に限ることとし、生殖細胞に影響を与える恐れのあるものは実施してはならないこととした。

(補足) 生殖細胞等の遺伝的改変の禁止はex vivo遺伝子治療等臨床研究にも適応される。

< 遺伝子治療臨床研究指針 施行通知(一部改正時)(平成26年11月25日) >

ex vivo遺伝子治療臨床研究は、再生医療等安全性確保法に基づく規制に委ねることとし、基本的に本指針の対象外として手続の重複を排除した。ただし、本指針第1章並びに第7章第1、第3、第6及び第7の規定は、再生医療等安全性確保法の適用となるex vivo遺伝子治療臨床研究にも等しく適用されるべきであることから、これらを適用することとした。

※第1章第6 生殖細胞等の遺伝的改変の禁止

# 遺伝子治療等臨床研究指針で上乗せになる事項(抜粋)

## 遺伝子治療等臨床研究指針

### 第一章第六 品質等の確認

- ・GCP若しくはGLPにおいて求められる水準に達している施設
- ・再生医療安全確保法の特定細胞加工物製造事業者が、同法の規定による細胞培養加工施設において製造されているもの。

### 第一章第七 生殖細胞等の遺伝的改変の 禁止

人の生殖細胞又は胚の遺伝的改変を目的とした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研究は、行っ  
てはならない。

### 第二章第十三 研究責任者の基本的責務等

研究責任者は、研究の実施後においても、適当な期間の追跡調  
査その他の必要な措置を講ずるように努めなければならない。

### 第六章 厚生労働大臣の意見

第二十四 厚生労働大臣は研究の実施又は当該研究の重大な  
変更に関し意見を述べるものとする。

また、次の①～④に該当する場合は厚生科学審議会の意見を  
聴くものとする。

- ①組み換え遺伝子であって、新規のもの又は新規の投与方法  
であるもの
- ②新規の疾病を対象としているもの
- ③新規の遺伝子治療等の方法を用いるもの(①②を除く)
- ④その他個別の審査を必要とする事項を含んでいること

# 人を対象とする医学系研究に関する 倫理指針

平成26年12月22日施行

# 人を対象とする医学系研究に関する倫理指針の概要①

## (文部科学省、厚生労働省告示)

### 1. 基本的考え方

#### (1) 目的

本指針は、人を対象とする医学系研究に携わる全ての関係者が遵守すべき事項を定めることにより、人間の尊厳及び人権が守られ、研究の適正な推進が図られるようにすることを目的とする。

#### (2) 適用される研究

人（試料・情報を含む。）を対象として、傷病の成因（健康に関する様々な事象の頻度及び分布並びにそれらに影響を与える要因を含む。）及び病態の理解並びに傷病の予防方法並びに医療における診断方法及び治療方法の改善又は有効性の検証を通じて、国民の健康の保持増進又は患者の傷病からの回復若しくは生活の質の向上に資する知識を得ることを目的として実施される研究

### 2. 主な改正経緯

平成14年7月1日 疫学研究指針 施行

平成15年7月30日 臨床研究指針 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

平成19年8月16日 全部改正（疫学）

※疫学研究を指導する者の指導・監督責務の追加、研究機関の長の責務に係る事項の改正、疫学研究の指針への適合性の点検等、研究対象者の保護 等

平成20年7月31日 全部改正（臨床）

平成26年12月22日 全部改正

※疫学研究指針と臨床研究指針の統合

# 人を対象とする医学系研究に関する倫理指針の概要②

## (文部科学省、厚生労働省告示)

### 3. 基本構成

前文

第1章 総則

第1 目的及び基本方針

第2 用語の定義

第3 適用範囲

第2章 研究者等の責務等

第4 研究者等の基本的責務

第5 研究責任者の責務

第6 研究機関の長の責務

第3章 研究計画書

第7 研究計画書に関する手続

第8 研究計画書の記載事項

第9 研究に関する登録・公表

第4章 倫理審査委員会

第10 倫理審査委員会の設置等

第11 倫理審査委員会の役割・責務等

第5章 インフォームド・コンセント等

第12 インフォームド・コンセントを受ける手続等

第13 代諾者等からインフォームド・コンセントを受ける場合の手続等

第6章 個人情報等

第14 個人情報等に係る基本的責務

第15 安全管理

第16 保有する個人情報の開示等

第7章 重篤な有害事象への対応

第17 重篤な有害事象への対応

第8章 研究の信頼性確保

第18 利益相反の管理

第19 研究に係る試料及び情報等の保管

第20 モニタリング及び監査

第9章 その他

第21 施行期日

第22 経過措置

第23 見直し

# 疫学指針及び臨床指針の見直し

- 疫学指針と臨床指針は、近年の研究の多様化に伴い、適用関係が不明確になってきたため、平成25年2月より、文部科学省及び厚生労働省の合同会議において見直しの検討を開始。
- 最近の臨床研究における不適正事案も踏まえて検討を進め、平成26年12月に両指針を「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」として統合。

疫学研究に関する倫理指針(疫学指針)

平成14年施行（平成19年全部改正）  
（文部科学省・厚生労働省告示）

臨床研究に関する倫理指針(臨床指針)

平成15年施行（平成20年全部改正）  
（厚生労働省告示）

疫学（統計的手法による  
病因等の解明）という  
「研究の方法」に着目



臨床（医療現場）とい  
う「研究の場」に着目



人を対象とする医学系研究に  
関する倫理指針（医学系指針）

平成26年12月22日告示

平成27年4月1日施行

# 適用範囲

日本の研究機関により実施され、又は日本国内で実施される人を対象とする医学系研究を対象とする。 （第3の1）

- 人（試料・情報を含む。）を対象として、傷病の成因（健康に関する様々な事象の頻度及び分布並びにそれらに影響を与える要因を含む。）及び病態の理解並びに傷病の予防方法並びに医療における診断方法及び治療方法の改善又は有効性の検証を通じて、国民の健康の保持増進又は患者の傷病からの回復若しくは生活の質の向上に資する知識を得ることを目的として実施される活動 （第2の(1)）

※他の指針の適用範囲に含まれる研究にあっては、**当該指針に規定されていない事項についてはこの指針の規定に従う**

＜指針の対象としない研究＞

- 法令の規定により実施される研究
- 法令の定める基準の適用範囲に含まれる研究
- 既に学術的な価値が定まり、研究用として広く利用され、かつ、一般に入手可能な試料・情報のみを用いる研究
- 既に連結不可能匿名化されている情報のみを用いる研究

# 人を対象とする医学系研究に関する倫理指針の構成

## 構成

前文	第5章	インフォームド・コンセント等
第1章 総則	第6章	個人情報等
第2章 研究者等の責務等	第7章	重篤な有害事象への対応
第3章 研究計画書	第8章	研究の信頼性確保
第4章 倫理審査委員会	第9章	その他

- ◆ この指針は、人を対象とする医学系研究には多様な形態があることに配慮して、基本的な原則を示すにとどめている。
- ◆ 第2章で、研究者等、研究責任者、研究機関の長それぞれの責務について、概括的に規定
- ◆ 第3章以降は、事項別に規定
- この指針の各規定の解釈等は、ガイダンスで解説

# 人を対象とする医学系研究に関する倫理指針の概要

## 【人を対象とする医学系研究に関する倫理指針の主な内容①】

両指針を統合し、人を対象とする医学系研究において求められる、あるいは配慮すべき事項を新たな基準で整理。

### ○インフォームド・コンセントに関する規定の整理

→ 研究により研究対象者(被験者)に生ずる危険等に応じて、インフォームド・コンセントを受ける手続等を整理

### ○インフォームド・アセントに関する規定の新設

→ 未成年者等の社会的に弱い立場にある方々を対象として研究を実施する場合、理解力に応じた分かりやすい説明を行い、研究への賛意(インフォームド・アセント)を得ることを規定で明確化

### ○バンク・アーカイブに関する規定の新設

→ いわゆるバンク・アーカイブといわれる、試料・情報を様々な機関から収集し、他の研究機関に反復継続して分譲する機関について、指針上に位置付け

# 人を対象とする医学系研究に関する倫理指針の概要

## 【人を対象とする医学系研究に関する倫理指針の主な内容②】

### ○研究者等の責務の明確化

- 研究機関の長へ研究に対する総括的な監督義務を課すとともに、研究者への教育・研修の規定を充実

### ○倫理審査委員会に関する規定の見直し

- 委員の構成を見直すとともに、委員の教育・研修を義務化
- 倫理審査委員会の情報公開を厳格化

### ○研究に関する試料・情報等の保存

- 研究に関する試料・情報等について保存を義務化

(例えば、投薬や手術など侵襲及び介入を行う研究に関する情報は、研究終了後5年又は結果の公表後3年のいずれか遅い日まで保存)

### ○利益相反の管理

- 研究責任者や研究者が執るべき措置を明確化

### ○モニタリング、監査

- 侵襲及び介入を伴う研究などにおいて、研究責任者にモニタリングや必要に応じた監査の実施を求める規定を新設