

その他の資料

目 次

	ページ
1. 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	1
2. 遺伝子治療臨床研究に関する指針の概要	9
3. 遺伝子製剤の提供について（通知）	10
4. 付録資料	
1) 悪性黒色腫に対する抗がん剤の適正使用ガイドライン（試案）	11
2) 悪性黒色腫転移巣への各種サイトカイン局注の効果	23
3) ノードマウス移植ヒト悪性黒色腫への IFN- β 蛋白局注の効果	24
4) 悪性黒色腫の遺伝子治療の報告（種類、効果、安全性）	25

○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

（平成六年六月九日
文部省告示第七十九号）

改正 平成二二年 五月二八日文部省告示第一二六号

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を次のように定める。

目次

- 第一章 総則
- 第二章 遺伝子治療臨床研究の要件
- 第三章 被験者の人権保護
- 第四章 研究及び審査の体制
- 第五章 研究実施及び終了の手続
- 第六章 文部大臣の意見等
- 第七章 雑則

別表 第一章 総則

（目的）

第一 このガイドラインは、大学等における遺伝子治療の臨床研究

国立学校 第四節 その他（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）

に関し必要な事項を定め、当該研究の科学的妥当性及び倫理性を確保し、もってその適切な実施を図ることを目的とする。

（定義）

第二 このガイドラインにおいて用いられる用語は、次の各号に掲げる定義によるものとする。

1 「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（以下「狭義の遺伝子治療」という。）及び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（以下「遺伝子標識」という。）をいう。

2 「遺伝子治療の臨床研究」とは、前号による臨床研究（以下「遺伝子治療臨床研究」という。）をいう。

3 「研究者」とは、遺伝子治療臨床研究を実施する者をいう。

4 「総括責任者」とは、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。

5 「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。

6 「大学等」とは、大学及び文部大臣の所管に属する公益法人で学術研究を目的とするものをいう。

第二章 遺伝子治療臨床研究の要件

（有効性及び安全性の確保）

第一 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。

（対象疾患等）

第二 狭義の遺伝子治療の臨床研究の対象は、次の各号に掲げる要件に全て適合するものに限られるものとする。

1 生命を脅かすか又は生活の質を著しく損なう難治疾患であること。

2 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 遺伝子治療臨床研究の被験者にとって、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予測されるものであること。

二 遺伝子標識の臨床研究の対象は、次の各号に掲げる要件に全て適合するものに限られるものとする。

1 生命を脅かすか又は生活の質を著しく損なう難治疾患であること。

2 遺伝子標識により得られる医学的知見が、目的とした治療法と密接不可分であり他の方法では得難いことが予測されるものであること。

3 遺伝子標識は、現在行われている治療法に組み入れて実施

されるものであること。

（品質等の確認）

第三 遺伝子治療臨床研究に使用される遺伝子その他ヒト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。

（生殖細胞の遺伝的改変の禁止）

第四 ヒトの生殖細胞の遺伝的改変を目的とした遺伝子治療臨床研究及びヒトの生殖細胞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、行わないものとする。

（公衆衛生上の安全の配慮）

第五 遺伝子治療臨床研究の実施に当たっては、公衆衛生上の安全が十分配慮されるものとする。

（適切な説明に基づく被験者の同意の確保）

第六 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。

第三章 被験者の人権保護

（被験者の決定）

第一 遺伝子治療臨床研究の被験者（以下「被験者」という。）の決定に当たっては、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。

（被験者の同意）

第二 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、次条に掲げる事項を被験者に説明し、文書又は口頭により自由意思による同意を得るものとする。口頭による同意を得た場合にあっては、その同意に関する記録を残すものとする。

二 同意の能力を欠く等により被験者本人の同意を得ることは困難であるが、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、その法定代理人等被験者に代わって同意を成し得る者の同意に関する文書及び同意者と被験者本人の関係を示す文書を残すものとする。

（被験者に対する説明事項）

第三 総括責任者等は、第二の同意を得るに当たり、次の各号の事項を被験者（第二の二の規定に該当する場合にあっては、被験者に代わって同意を成し得る者）に対し平易な言葉で説明し、理解を得るものとする。

- 1 遺伝子治療臨床研究の目的及び方法
- 2 予期される効果及び危険性
- 3 他の治療法について、その有無及び内容並びに予期される効果及び危険性
- 4 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

国立学校 第四節 その他（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）

一一一九・47

あっても不利益は受けないこと。

5 被験者が遺伝子治療臨床研究の実施に同意した場合でも随時これを撤回できること

6 その他被験者の人権の保護に関し必要な事項

第四章 研究及び審査の体制

（総括責任者）

第一 総括責任者は、次の各号に定める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科学的妥当性及び倫理性について検討すること。

2 前号の結果に基づき、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。

4 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。

5 遺伝子治療臨床研究の開始、終了、予期しない事態の発生等に関し実施施設の長及び審査委員会に対し必要な説明及び報告を行うこと。

6 前各号の定めるもののほか、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、遺伝子治療臨床研究を総括し、前項に掲げる業務を的確に実施できる者とする。

三 総括責任者は、一つの遺伝子治療臨床研究について一名とする。

（研究者）

第二 研究者（総括責任者を除く。）は、総括責任者の指示に基づき遺伝子治療臨床研究の計画の策定及び実施並びに総括責任者への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切に実施するため必要な専門知識又は臨床経験を有する者とする。

（実施施設）

第三 実施施設は、次の各号の要件を満たすものとする。

1 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。

2 緊急時に必要な措置をと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。

（実施施設の長）

第四 実施施設の長は次の各号に掲げる業務を行うものとする。

1 総括責任者から遺伝子治療臨床研究の実施の了承を求めら

れた時、遺伝子治療臨床研究の実施について第五に定める審査委員会及び文部大臣に意見を求め、その意見に基づき必要な指示を与え、又は実施を了承すること。

2 遺伝子治療臨床研究の進捗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点、改善点等に関して指示を与え、又は文部大臣に対し報告等を行うこと。

（審査委員会）

第五 実施施設には審査委員会を置くものとする。

二 審査委員会は、実施施設の長の依頼を受け、次の各号に定める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ガイドラインに沿って審査を行い、その適否及び留意点、改善点等について意見を提出すること。

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、このガイドラインに沿って審査を行い、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こと。

3 遺伝子治療臨床研究の進捗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、その留意点、改善点等について意見を提出すること。

三 審査委員会は、次の各号に掲げる要件を満たすものとする。

1 遺伝子治療臨床研究の実施に関する科学的及び倫理的事項を総合的に審査するにふさわしい識見を有する分子生物学、細胞生物学、遺伝学、臨床薬理学及び病理学等の基礎医学の専門家、当該遺伝子治療臨床研究の対象となる疾患に係る臨床医及び法律に関する専門家並びに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により構成されているものであること。

2 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。

3 審査委員会の構成及び組織並びに運営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は公開すること。

4 審査委員会による審査の過程は、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こと。

第五章 研究実施及び終了の手続

(実施施設の長の了承)

第一 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事前に実施施設の長の了承を得るものとする。

二 総括責任者は、前項の了承を得るに当たって実施計画書を作成し、実施施設の長に提出するものとする。

(実施計画書)

第二 実施計画書には、別表に掲げる事項が記載されるものとする。

二 実施計画書には、平易な言葉でその概要を記述した要旨を添付するものとする。

(総括報告書)

第三 総括責任者は、遺伝子治療臨床研究の終了の確認後直ちに次の各号に定める事項を記載した総括報告書を作成し、実施施設の長へ提出するものとする。

1 遺伝子治療臨床研究の目的及びその実施期間

2 遺伝子治療臨床研究を実施した施設の名称及び所在地

3 総括責任者及び研究者の氏名

4 遺伝子治療臨床研究の実施方法

5 遺伝子治療臨床研究の結果及び考察

二 総括報告書には、総括責任者が署名及び押印すること。

第六章 文部大臣の意見等

(文部大臣の意見等)

第一 文部大臣は、実施施設の長の求めに応じ、当該施設での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 前項の意見を述べるに当たって、文部大臣は学術審議会特定研究領域推進分科会バイオサイエンス部会に設置した専門委員

会の意見を聴取するものとする。

三 実施施設の長は、文部大臣の意見を求めるに当たって、次の各号の掲げる書類を提出するものとする。

1 実施計画書

2 審査委員会により作成された実施計画に関する審査の過程及び結果を示す書類

3 審査委員会の組織、構成及び運営方法を記した書類（調査等）

第二 文部大臣は、第一の一の意見を述べるに当たって必要があると認めるときは、実施施設の長に対し、第一の三に掲げる書類以外の資料の提出を求めるほか実施施設の長の承諾を得て当該施設の調査を行うものとする。

（総括報告書の提出等）

第三 実施施設の長は、総括報告書を総括責任者から受理したときは速やかにその写しを文部大臣に提出するものとする。

二 実施施設の長は、被験者が死亡した場合その他遺伝子治療臨床研究の実施に際して重大な事態が生じたとして総括責任者から報告を受けたときは速やかにその旨を文部大臣に報告するものとする。

第七章 雑則

（記録の保存）

第一 遺伝子治療臨床研究に関する記録は、保管の責任者を定め、適切な状態の下で保存されるものとする。

（秘密の保護）

第二 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。

（情報の公開）

第三 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適切かつ正確な情報の公表等の措置を講じるよう努めるものとする。

（普及啓発）

第四 研究者は、あらゆる機会を通じて遺伝子治療臨床研究に関する情報の提供等の普及啓発活動を行うよう努めるものとする。

附 則（平成二十一年五月二十八日文部省告示二二六号）

この告示は、公布の日から施行する。

一	研究の名称
二	研究者の氏名及び担当する役割
	(1) 総括責任者の氏名及びその担当する役割
	(2) 総括責任者以外の研究者の氏名及びその担当する役割
三	遺伝子治療臨床研究の実施施設の名称及びその所在地
四	遺伝子治療臨床研究の目的
五	遺伝子治療臨床研究の対象疾患を選んだ理論的根拠
	(1) 治療を直接の目的とした遺伝子治療臨床研究を行う場合
	① 対象疾患に関する現時点での知見
	② 当該遺伝子治療臨床研究の概要
	③ 他の治療法との比較及び遺伝子治療を選択した理由
	(2) 治療法の開発を目的とした遺伝子標識臨床研究を行う場合
	① 対象疾患に関する現時点での知見
	② 被験者に対して行われる治療との関係
	③ 当該遺伝子標識臨床研究の概要
	④ 他の方法との比較及び遺伝子標識を採択した理由
六	遺伝子及び遺伝子導入方法
	(1) 人に導入する遺伝子の構造と性質
	① 人に導入する遺伝子の構造
	② 人に導入する遺伝子の性質

	③ 導入遺伝子からの生成物の構造及び生物活性
	(2) 本計画で使用するその他の組換えDNAの構造と性質
	(3) 標的細胞とした細胞の由来及び生物学的特徴並びに当該細胞を標的細胞とした理由
	(4) 遺伝子導入方法の概略及び当導入法を選択した理由
	(5) ウイルスベクターを用いて遺伝子導入を行う場合
	① 野生型ウイルスの生物学的特徴及び人に対する影響
	② ウイルスベクターの作製方法
	③ ウイルスベクターの構造
	④ ウイルスベクターの生物学的特徴
	(6) ウイルスベクター以外の方法を用いて遺伝子導入を行う場合
	① 遺伝子導入方法の理論的根拠
	② 使用するベクター(担体)の作製方法
	③ 使用するベクター(担体)の構造又は組成
	④ 使用するベクター(担体)の生物学的特徴
七	これまでの研究成果
	(1) 培養細胞等を用いた研究成果
	① 実験計画の概要
	② 培養細胞における遺伝子導入効率及び導入された遺伝子の構造と安定性
	③ 培養細胞に導入された遺伝子の機能
	④ 培養細胞を用いた実験の評価

<p>(2) 実験動物を用いた研究の成果</p> <p>① 実験計画の概要</p> <p>② 実験動物における遺伝子導入効率及び導入遺伝子の構造と安定性</p> <p>③ 実験動物に導入された遺伝子の機能</p> <p>④ 動物実験の評価</p>	<p>(3) これまでの遺伝子治療臨床研究の成果</p> <p>(4) 関連する研究の成果</p>	<p>八 安全性についての評価</p> <p>(1) 遺伝子導入方法の安全性</p> <p>① 遺伝子導入に用いるウイルスベクター又はその他のベクター（担体）の純度</p> <p>② 患者に投与する物質の純度及び安全性</p> <p>③ 増殖性ウイルス出現の可能性</p> <p>④ 遺伝子導入に用いるウイルスベクター又はその他のベクター（担体）の細胞傷害性</p> <p>⑤ 体内の標的細胞以外の細胞への遺伝子導入の可能性</p> <p>⑥ 患者以外の人への遺伝子導入の可能性</p> <p>⑦ 染色体内への遺伝子が組み込まれる場合の問題点</p> <p>⑧ がん原性の有無</p>	<p>(2) 遺伝子産物の安全性</p> <p>(3) 細胞の安全性</p> <p>① 培養細胞の純度</p> <p>② 細胞の遺伝子型、表現型の安定性</p>
-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	---------------------------------------------------	------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	----------------------------------------------------------------------------------

<p>③ 被験者に投与する細胞の安全性</p>	<p>九 遺伝子治療臨床研究の実施が可能であると判断する根拠</p>	<p>十 遺伝子治療臨床研究の計画</p> <p>(1) 遺伝子治療臨床研究を含む全体の治療計画</p> <p>(2) 被験者の選択基準及び除外基準</p>	<p>(3) 被験者の同意の取得方法</p>	<p>(4) 実施期間及び目標症例数</p>	<p>(5) 遺伝子治療臨床研究の実施方法</p> <p>① 対照群の設定方法</p> <p>② 遺伝子導入方法（安全性及び有効性に関する事項を除く）</p> <p>③ 前処置及び併用療法の有無</p> <p>④ 臨床検査項目及び観察項目</p> <p>⑤ 予測される副作用並びにその対処方法</p> <p>⑥ 遺伝子治療臨床研究の評価方法、評価基準及び中止判定基準</p> <p>⑦ 症例記録に関する記録用紙等の様式</p> <p>⑧ 記録の保存及び成績の公表の方法</p>	<p>十一 当該遺伝子治療臨床研究の実施施設の状況</p>	<p>十二 当該遺伝子治療研究に関する国内外の研究状況</p>	<p>十三 研究者の略歴、研究業績</p>	<p>十四 その他必要な事項</p>
-------------------------	------------------------------------	--------------------------------------------------------------------------------	------------------------	------------------------	------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	-------------------------------	---------------------------------	-----------------------	--------------------

[ホームページへ戻る](#) [目次に戻る](#) [第5章に戻る](#)

表4-2-1 「遺伝子治療臨床研究に関する指針」の概要

○指針の目的

遺伝子治療臨床研究に関し遵守すべき事項を定め、研究の科学的妥当性及び倫理性を確保し、その適正な実施を図ること。

○遺伝子治療臨床研究の対象疾患

- ① 致死性の遺伝子疾患、がん、エイズなどの生命を脅かす疾患であること。
- ② 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こと。
- ③ 被験者の利益が不利益を上回ることが十分に予測されること。

○有効性及び安全性の確保

臨床研究の実施は、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。

○生殖細胞の遺伝的改変の禁止

人の生殖細胞の遺伝的改変を目的とした臨床研究および人の生殖細胞の遺伝的改変をもたらすおそれのある臨床研究は行わない。

○被験者の人権保護

臨床研究の実施に当たって被験者の人権保護の観点からインフォームド・コンセントを確保するため、被験者の選定など必要な説明事項を定めた要件を設けるものとする。

[戻る](#) [目次に戻る](#) [第5章に戻る](#)