

## ○遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保に関する指針の改正について

(平成14年3月29日)

(医薬発第0329004号)

(各都道府県知事あて厚生労働省医薬局長通知)

今般、遺伝子治療臨床研究に関する指針(平成14年文部科学省・厚生労働省告示第1号。以下、「研究指針」という。)が告示されたことに伴い、遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保に関する指針(平成7年11月15日付け薬発第1062号薬務局長通知)(以下、「指針」という。)を別添のとおり改正し、下記のとおり、その取扱いを定めたので、御了知の上、貴管下関係者に対する周知徹底方よろしくご指導願いたい。

### 記

#### 第1 改正の背景と趣旨

遺伝子治療臨床研究については、「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6年6月文部省告示第七十九号)」により、その適正な実施を図ってきたところであるが、今般、遺伝子治療用医薬品の臨床研究にかかる事前審査を医療上の有用性及び倫理性を確保しつつ、審査手続の簡素化及び迅速化を図ること等を目的として、研究指針が制定されたところである。また、薬事法に定める治験に該当する遺伝子治療臨床研究(以下、「遺伝子治療に関する治験」という。)は、基本的に研究指針の対象外として手続の重複を排除することとされたところである。

本指針の改正は、研究指針において遺伝子治療に関する治験が基本的に適用除外されたことに伴い、倫理的事項の取扱い等の整備や確認申請の実施方法の変更を行い、研究指針との整合性を図ることを主な目的とする。

これにより遺伝子治療に関する治験について、基本的に研究指針によらず本指針に基づき一元的に取り扱われ、手続の簡素化及び迅速化が図られるものとなる。

#### 第2 旧指針等からの変更点

##### 1 指針の目的に関する事項

研究指針との整合性を図るため、品質及び安全性の確保を確認することとするだけでなく、倫理的事項等についても確認することができるようにしたこと。

##### 2 倫理性に関する事項

治験については、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令(平成9年厚生省令第28号)に基づき実施され、倫理性についても適切に配慮がなされているが、遺伝子治療薬の開発にあたっては、その倫理性の確保が特に課題とされていることから、倫理性について十分に配慮する旨、明記したこと。

また、倫理性にかかる十分な配慮を確認するため、本指針に基づく確認申請にあたり、倫理的事項等にかかる確認を行うために必要な書類の提出を求めることとしたこと。

##### 3 確認申請の取扱いに関する事項

確認申請については、遺伝子治療に関する治験を実施する者が自主的に確認を求めてきたところであるが、研究指針が遺伝子臨床研究を行う前に申請を行うことを義務付けていることなどから、確認申請についても義務化したこと。

##### 4 その他

研究指針の第1章、第6章第1及び第3については、薬事法に定める治験についても引き続き適用されることから、その規定に基づき治験を実施することを念のため明記したこと。

#### 第3 その他

1 本指針は、平成14年4月1日より適用すること。ただし、改正前指針に基づき既に実施した手続については、改めて指針に基づき実施する必要はないこと。

2 遺伝子治療用医薬品の種類や特性、臨床上の適用法は多種多様であり、また、本分野における科学的進歩や経験の蓄積は日進月歩であるので、本指針を一律に適用したり、本指針の内容が必要事項すべてを包含しているとみなすことが必ずしも適切でない場合もあることから、個々の医薬品についての試験の実施や評価に際しては本指針の趣旨を踏まえ、その時点の学問の進歩を反映した合理的根拠に基づき、ケースバイケースの原則で柔軟に対応するものであること。

#### (別添)

1 第1章第1を下記のとおり改めること。

##### 第1 目的

本指針は、遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性等の確保のために必要な基本的事項を定めるものである。

2 第9章を下記のとおり改めること。

##### 第9章 倫理性への配慮

遺伝子治療用医薬品の開発にあたっては、その倫理性が特に求められていることから、倫理

的事項についても十分に配慮すること。

3 第10章を下記のとおりとすること。

第10章 その他

- 1 遺伝子治療用医薬品の製造業者又は輸入業者は、遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性等の確保を期するため、当該医薬品が本指針に適合していることの確認を厚生労働大臣に求めなければならない。
- 2 遺伝子治療用医薬品の製造業者又は輸入業者は、遺伝子治療に関する情報を収集し、自らが取り扱う遺伝子治療用医薬品の評価に影響を及ぼす知見を発見した場合には、速やかに厚生労働大臣に報告しなければならない。
- 3 遺伝子治療臨床研究に関する指針第1章、第6章第1及び第3については、薬事法に定める治験であっても適用されるので留意されたい。また、その他の部分についても、参考にすることが望ましい。

4 別記中のⅨに下記を追加すること。

(11) 倫理的配慮

- ・ 遺伝子治療臨床試験の実施に当たり、配慮すべき患者等への倫理的事項について記載する。治験審査委員会における審査の過程及び結果、運営等の規則を示す書類を提出すること。