

# 「再生医療等の安全性の確保等に関する法律及び臨床研究法の一部を改正する法律」の施行に伴う「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」の取扱いについて

# 「再生医療等の安全性の確保等に関する法律及び臨床研究法の一部を改正する法律」の施行に伴う遺伝子治療等臨床研究に関する指針の取扱いについて

- 遺伝子治療等臨床研究については、「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」（平成27年厚生労働省告示第344号。以下「指針」という。）に従い実施されてきた。「再生医療等の安全性の確保等に関する法律及び臨床研究法の一部を改正する法律」（令和6年法律第51号。以下「改正法」という。）により再生医療等の安全性の確保に関する法律（平成25年法律第85号。以下「再生医療等安全性確保法」という。）の一部が改正され、令和7年5月31日に施行され、*in vivo* 遺伝子治療等が新たに再生医療等安全性確保法に基づき実施されることとなる。

改正法の施行により再生医療等安全性確保法の対象となる*in vivo*遺伝子治療等は臨床研究の実施状況、時期に応じて以下の㊦、㊧の取扱いとする※1※2。

遺伝子治療等の技術	施行後の移行期間（1年間）以降	改正法施行前及び施行後移行期間の取扱い	改正法移行期間終了後の取扱い	区分
<i>in vivo</i> 遺伝子治療等	新たに患者への投与を行う場合	指針（第1章及び第3章）+ 臨床研究法 or 指針（第1章から第3章）	指針（第1章）+ 再生医療等安全性確保法	㊦
	新たに患者への投与を行わず、観察のみを行う場合	指針（第1章及び第3章）+ 臨床研究法 or 指針（第1章から第3章）		㊧
<i>ex vivo</i> 遺伝子治療等		指針（第1章）+ 再生医療等安全性確保法		㊨

※1 「医薬品、医療機器等の品質、安全性及び有効性の確保等に関する法律」（昭和35年法律第145号。以下「医薬品医療機器等法」という。）に規定する治験の場合には、*in vivo*、*ex vivo*に依らず、改正法施行前後で取扱いに変更はなく、指針（第1章）+ 医薬品医療機器等法が適用される。

※2 上記㊦～㊨以外にも、改正法施行後に、指針に基づく遺伝子治療等臨床研究が実施された被験者を対象に、新たに遺伝子治療等を行わずに、例えば、長期追跡のみを行う観察研究を新たに実施する場合であって、当該研究が「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」（令和3年文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第1号）が規定する人を対象とする生命科学・医学系研究に該当する場合は、当該指針の規定に従う（従前と対応に変更はない）。

**報告事項** 現に指針に基づき実施中の*in vivo*遺伝子治療等臨床研究であって、移行期間終了後に新たに患者への投与を実施しないもの（上記㊧）については、従前のおり、重篤な有害事象等が発生した場合には、指針に基づく対応を「遺伝子治療臨床研究に関する審査委員会」で諮った上で、本部会に報告をする取扱いとする。

## 遺伝子治療等臨床研究に関する指針に基づき実施中の臨床研究の取扱いについて

- 臨床研究等提出・公開システム（jRCT）上、指針に該当する研究として公表されている研究で、前ページ表中の④に該当する研究に該当し、研究終了のステータスになっていないため、改正法施行後も実施される可能性がある研究課題は以下の2課題であった（令和7年5月7日現在）。

臨床研究実施計画番号	研究名称	実施医療機関	実施期間 (終了日)	進捗状況
jRCTs033180325	進行性嗅神経芽細胞腫患者に対する増殖型遺伝子組換え単純ヘルペスウイルスG47Δを用いた遺伝子治療（ウイルス療法）の臨床研究	東京大学医科学研究所附属病院	2028/6/27	募集中断/Suspended
jRCTs033210603	前立腺癌に対するG47Δを用いたウイルス療法	杏林大学医学部附属病院	2028/3/31	募集中/Recruiting

これらの計画については、移行期間終了後も患者への投与を行う場合は、移行期間中に再生医療等安全性確保法に基づく再生医療等提供基準への適合性の確認がなされるまでの間は、引き続き指針に基づく対応について本部会に報告する。