第三　適用範囲

一　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。

二　日本国外において実施される研究

1　我が国の研究機関が日本国外において遺伝子治療等臨床研究を実施する場合（海外の研究機関と共同して遺伝子治療等臨床研究を実施する場合を含む。）は、この指針に従うとともに、実施地の法令、指針等の基準を遵守しなければならない。ただし、この指針の規定と比較して実施地の法令、指針等の基準の規定が厳格な場合には、この指針の規定に代えて当該実施地の法令、指針等の基準の規定により遺伝子治療等臨床研究を実施するものとする。

2　この指針の規定が日本国外の実施地における法令、指針等の基準の規定より厳格であり、この指針の規定により遺伝子治療等臨床研究を実施することが困難な場合であって、次に掲げる事項が研究計画書に記載され、当該遺伝子治療等臨床研究の実施について倫理審査委員会の意見を聴いて我が国の研究機関の長が許可したときには、この指針の規定に代えて当該実施地の法令、指針等の基準の規定により遺伝子治療等臨床研究を実施することができるものとする。

①　インフォームド・コンセントについて適切な措置が講じられる旨

②　遺伝子治療等臨床研究の実施に伴って取得される個人情報等の保護について適切な措置が講じられる旨

第四　遺伝子治療等臨床研究の対象の要件

遺伝子治療等臨床研究の対象は、次のすべての要件に適合するものに限る。

1　遺伝子治療等臨床研究による治療・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であること。

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であること。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、利益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。

第五　有効性及び安全性

遺伝子治療等臨床研究は、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る。

第六　品質等の確認

遺伝子治療等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９年厚生省令第28号）第17条若しくは再生医療等製品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成26年厚生労働省令第89号）第25条において求められる水準に達している施設又は再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成25年法律第85号）第２条第８項の特定細胞加工物製造事業者が、同法第35条第１項の許可若しくは同法第39条第１項の認定を受けた又は第40条第１項の規定による届出をした細胞培養加工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る。

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（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。

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

遺伝子治療等臨床研究は、適切な説明に基づくインフォームド・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。

第九　公衆衛生上の安全の確保

遺伝子治療等臨床研究は、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。

第十　情報の公開

遺伝子治療等臨床研究は、第十九の一に規定するデータベースに登録され、その情報は適切かつ正確に公開されなければならない。

第十一　被験者の選定

被験者の選定に当たっては、人権保護の観点から、病状、年齢、同意能力等を考慮し、慎重に検討しなければならない。

第二章　研究者等の責務等

第十二　研究者の基本的責務等

一　研究者は、次の業務を行わなければならない。

1　被験者等への配慮

⑴　研究者は、被験者の生命、健康及び人権を尊重して、遺伝子治療等臨床研究を実施しなければならない。

⑵　研究者は、遺伝子治療等臨床研究を実施するに当たっては、あらかじめインフォームド・コンセントを受けなければならない。

⑶　研究者は、被験者等及びその関係者からの相談、問合せ、苦情等（以下「相談等」という。）に適切かつ迅速に対応しなければならない。

⑷　研究者は、遺伝子治療等臨床研究の実施に携わる上で知り得た情報を正当な理由なく漏らしてはならない。遺伝子治療等臨床研究の実施に携わらなくなった後も、同様とする。

⑸　研究者は、遺伝子治療等臨床研究に関連する情報の漏えい等、被験者等の人権を尊重する観点又は遺伝子治療等臨床研究の実施上の観点から重大な懸念が生じた場合には、速やかに研究機関の長及び研究責任者に報告しなければならない。

2　遺伝子治療等臨床研究の倫理的妥当性及び科学的合理性の確保等

⑴　研究者は、法令、指針等を遵守し、倫理審査委員会及び厚生労働大臣の意見を尊重し、研究機関の長が許可した研究計画書に従って、適正に研究を実施しなければならない。

⑵　研究者は、研究責任者を補助し遺伝子治療等臨床研究の研究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、研究責任者に対し必要な報告を行わなければならない。

⑶　研究者は、遺伝子治療等臨床研究の倫理的妥当性若しくは科学的合理性を損なう事実若しくは情報又は損なうおそれのある情報を得た場合（⑷に該当する場合を除く。）には、速やかに研究責任者に報告しなければならない。

⑷　研究者は、遺伝子治療等臨床研究の実施の適正性若しくは研究結果の信頼を損なう事実若しくは情報又は損なうおそれのある情報を得た場合には、速やかに研究責任者又は研究機関の長に報告しなければならない。

3　教育・研修

研究者は、遺伝子治療等臨床研究の実施に先立ち、遺伝子治療等臨床研究に関する倫理並びに当該遺伝子治療等臨床研究の実施に必要な知識及び技術に関する教育・研修を受けなければならない。また、研究期間中も適宜継続して、教育・研修を受けなければならない。

二　研究者は、遺伝子治療等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。