

別表1 研究計画書に記載しなければならない事項及びその内容

事項	内容
1 遺伝子治療等臨床研究の名称	
2 研究責任者及びその他の研究者（他の研究機関と共同して研究を実施する場合には、総括責任者及び共同研究機関の研究責任者を含む。）の氏名並びに当該遺伝子治療等臨床研究において果たす役割	(1) 研究責任者の氏名 (2) 研究責任者以外の研究者の氏名及びその担当する役割
3 研究機関及び共同研究機関の名称及びその所在地	
4 遺伝子治療等臨床研究の目的及び意義	
5 遺伝子治療等臨床研究の実施方法及び期間	(1) 遺伝子治療等臨床研究を含む全体の治療計画 (2) 遺伝子治療等臨床研究の実施方法 ① 対照群の設置方法 ② 被験者への遺伝子導入方法（品質、安全性、有効性及び非臨床試験に関する事項を除く。） ③ 前処置及び併用療法の有無 ④ 臨床検査項目及び観察項目 ⑤ 予測される副作用及びその対処方法 ⑥ 遺伝子治療等臨床研究の評価方法、評価基準及び中止判断基準 ⑦ 症例記録に関する記録用紙等の様式 (3) 研究期間及び目標被験者数
6 対象疾患及びその選定理由	(1) 対象疾患に関する現時点での知見 (2) 当該遺伝子治療等臨床研究の概要 (3) 他の治療法との比較及び遺伝子治療を選択した理由
7 被験者の選定方針	被験者の選択基準及び除外基準
8 導入する遺伝子及び遺伝子の導入方法 (※)	
(1) 開発の経緯	当該導入遺伝子及び当該遺伝子導入方法を選択した理由やベクターに関する安全性情報等
(2) 導入する遺伝子	1) 遺伝子治療用ベクターの遺伝子構造

	2) 導入遺伝子の由来及び構造と機能 3) 発現調節エレメントの構造と機能 4) 導入遺伝子からの発現産物の構造と機能 5) その他のエレメント及び翻訳可能領域の配置と機能
(3) 遺伝子の導入方法	1) <u>ウイルスベクターを用いて遺伝子導入を行う場合</u> イ ウイルスベクターの由来、粒子構造と機能 ロ ウイルスベクターの製造方法 ① 製造に用いる原材料 ② ウイルスベクターの製造に用いるプラスミドやウイルス、細胞等の構築方法及びバンクシステム ③ ウイルスベクターの製造工程と工程管理 2) <u>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</u> イ 遺伝子導入方法 ロ プラスミドベクター及びキャリアーの作製方法 ① 製造に用いる原材料 ② プラスミドベクターの構築方法及びバンクシステム ③ キャリアーの構造又は組成（キャリアーを用いて遺伝子導入する場合） ④ プラスミドベクターの製造工程と工程管理 【参考】 3) <u>体外で目的細胞に遺伝子導入を行う場合（ex vivo 遺伝子治療等臨床研究の場合）</u> イ 標的とする細胞の種類、採取法及び加工方法 ロ ドナーの適格性 ハ 遺伝子導入細胞の加工方法（遺伝子導

		入操作及び細胞培養)
	(4) 被験者に投与する最終産物の組成	
9	特性解析と品質試験 (※)	(1) ウイルスペクターや非ウイルスベクターの特性解析と品質試験 1) 特性解析 2) 感染性因子に関する試験 ① 無菌試験 (細菌及びカビの試験) ② マイコプラズマ否定試験 ③ 迷入感染性因子 (ウイルス) 試験 ④ 増殖性ウイルス試験 (ウイルスベクターの場合) 3) 純度試験 (不純物試験) 4) 力価・生物活性 (導入遺伝子の活性を含む。) 5) 含量 (投与における物理量等) 6) 製品の特性に応じて実施する試験 7) 安定性 【参考】 (2) 遺伝子導入細胞の特性解析と品質試験 (ex vivo 遺伝子治療等臨床研究の場合) 遺伝子導入細胞の特性解析と品質試験 1) 特性解析 2) 感染性因子に関する試験 ① 無菌試験 (細菌及びカビの試験) ② マイコプラズマ否定試験 ③ 迷入感染性因子 (ウイルス) 試験 ④ 増殖性ウイルス試験 (ウイルスベクターの場合) 3) 純度試験 (不純物試験) 4) 細胞数

	5) 生存率 6) 力価・生物活性 7) 安定性
10	被験者への投与に用いられる特殊な機器や医療材料 (※)
11	非臨床試験における安全性及び有効性の評価 (※)
	(1) 臨床的有効性を予測するための試験 (2) 生体内分布 (3) 非臨床試験における安全性の評価 (4) 非臨床試験の成績の総括
12	遺伝子治療等臨床研究の実施が可能であると判断した理由
13	第二十二に規定するインフォームド・コンセントを受ける手続等 (同規定による説明及び同意に関する事項を含む。)
14	個人情報等の取扱い (匿名化する場合にはその方法を含む。)
15	被験者に生じる負担並びに予測されるリスク及び利益、これらの総合的評価並びに当該負担及びリスクを最小化する対策
16	試料・情報 (研究に用いられる情報に係る資料を含む。) の保管及び廃棄の方法
17	研究機関の長及び倫理審査委員会への報告内容及び方法
18	研究の資金源等、研究機関の遺伝子

治療等臨床研究に係る利益相反及び個人の収益等、研究者の遺伝子治療等臨床研究に係る利益相反に関する状況	
19 遺伝子治療等臨床研究に関する情報公開の方法	
20 被験者等及びその関係者からの相談等への対応	
21 代諾者からインフォームド・コンセントを受ける場合には、第二十三の規定による手続（第二十二及び第二十三の規定による代諾者の選定方針並びに説明及び同意に関する事項を含む。）	
22 インフォームド・アセントを得る場合には、第二十三の規定による手続（説明に関する事項を含む。）	
23 被験者に経済的負担又は謝礼がある場合には、その旨及びその内容	
24 重篤な有害事象が発生した際の対応	
25 遺伝子治療等臨床研究によって生じた健康被害に対する補償の有無及びその内容	
26 被験者への遺伝子治療等臨床研究の実施後における医療の提供に関する対応	
27 遺伝子治療等臨床研究の実施に伴い、被験者の健康、子孫に受け継がれ得る遺伝的特徴等に関する重要な知見が得られる可能性がある場合には、被験者に係る研究結果（偶発的所見を含む。）の取扱い	※当該研究において、ヒトゲノム・遺伝子の解析を行う予定があり、被験者の健康、子孫に受け継がれ得る遺伝的特徴等に関する重要な知見が得られる可能性がある場合は本項目を記載すること。単に、導入遺伝子がゲノムに組み込まれる可能性をもって本項目を記載する必要はない。
28 遺伝子治療等臨床研究に関する業務の一部を委託する場合には、当該業務内容及び委託先の監督方法	
29 被験者から取得された試料・情報について、被験者等から同意を受ける時点では特定されない将来の研究のために用いら	

れる可能性又は他の研究機関に提供する可能性がある場合には、その旨と同意を受けるときにおいて想定される内容	
30 第三十四の規定によるモニタリング及び監査の実施体制及び実施手順	
31 その他必要な事項	

（※）の項目の記載に当たっては、別表1の別添「遺伝子治療等臨床研究計画書に係る品質及び安全性に関する評価項目の記載における留意事項について」を参照すること。

別表2 研究計画書に添付しなければならない資料及びその内容

資料	内容
1 研究者の略歴及び研究業績	
2 研究機関の施設設備の状況	
3 研究機関における当該遺伝子治療等臨床研究に関する有効性を示唆する試験及び安全性に関する研究の成果がある場合には、当該試験及び研究の成果 ^{*1, *2}	(1) 培養細胞や実験動物を用いた研究の成果 ① 研究の概要に加え、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発現とその持続性、導入された遺伝子により発現されたタンパク質等の機能等についての詳細な研究成果 ② 臨床研究における有効性の示唆、又は安全性の担保に関し、研究機関等で得られている詳細なデータ及びその総括 (2) 関連する研究成果についての投稿論文等の情報
4 遺伝子治療等臨床研究に関連する研究機関以外の国内外の研究状況	特に同一のベクター又は当該ベクターの基になったベクターを用いて実施された国内外の研究状況
5 インフォームド・コンセントにおける説明文書及び同意文書の様式	インフォームド・コンセントにおける説明文書及び同意文書様式（インフォームド・アセントを受ける場合はインフォームド・アセントにおける説明文書及び同意文書様式も含む。）
6 その他必要な資料 ^{*2}	(1) 類似の遺伝子治療等臨床研究の成果 (2) ベクターの全塩基配列 (3) ベクター作製方法に関する詳細な情報 (4) ベクターの試験成績書（ベクターの品質試験やベクターの安全性試験を含む。） (5) 遺伝子導入細胞の詳細な調製方法（培地、培養方法等の資料や遺伝子導入細胞の試験成績を含む。） (6) 個人情報取扱実施規程

*1：外部機関より導入したベクターを使用する研究の場合は、導入先から得た詳細なデー

タを添付すること。

*2：必要となる資料の範囲は目的とする遺伝子治療等やベクターの特性に応じて異なるため、全ての研究においてこれら全ての資料の提出を求めるものではなく、実施する研究に応じて必要と判断される資料を提出すること。