

海外規制当局の遺伝子治療指針の比較

	米国食品医薬品局 (FDA) 遺伝子治療・細胞治療指針	米国国立衛生研究所 (NIH) 組換えDNA研究指針	欧州医薬品庁 (EMA) 遺伝子導入用医薬品指針	日本 <u>遺伝子治療臨床研究に関する指針</u>
定義	遺伝子治療とは、生細胞の遺伝物質 (genetic material) の改変に基づく医療行為である	遺伝子導入とは、組換えDNA分子や組換えDNA分子に由来するDNA又はRNAを患者に意図的に導入すること (組換えDNA分子の定義: ①細胞外で天然又は合成DNA断片を結合して作製されたDNA分子で、細胞内で複製可能なもの、または①を細胞内で複製することによりできたもの)	遺伝子導入 (gene transfer) とは治療、予防、診断の目的で遺伝物質 (genetic material) を意図的に体細胞に導入すること	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及び二に定める遺伝子標識
目的	治療、予防、細胞標識		治療、予防、診断、身体機能の回復・修正・改変	疾病の治療、遺伝子標識
対象疾患	特に規定なし		特に規定なし	次のすべての要件に適合 1. 重篤な遺伝性疾患、がん、後天性免疫不全症候群その他の生命を脅かす疾患又は身体の機能を著しく損なう疾患であること。 2 遺伝子治療臨床研究による治療効果が、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 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。
除外規定等	予防用ワクチンとして用いるウイルスやDNA調製品は除外 (感染症予防用プラスミドには別のガイダンスあり)	微生物抗原を体内で一時的に発現させることにより生体の免疫機能を誘導・増強することを主な目的とする臨床研究は除外	化学合成オリゴヌクレオチド (アンチセンスオリゴ、RNA/DNA キメラ) は除外	臨床研究指針では予防について明確に記載されていない (遺伝子治療薬指針の解釈ではDNA ワクチンを含めるとされている)