

遺伝子治療用製品の品質及び安全性の確保に関する指針改定案に関する質疑応答  
(Q&A)

Q1. 本指針は遺伝子導入された非ヒト由来加工細胞製品を適用範囲としているか？

A1. 適用範囲とならないが、開発の過程で本指針を参考にすることは有用と考える。

Q2. ウイルスベクターにおける遺伝子発現構成体は何を指すのか？

A2. ウイルスベクター中のウイルスゲノム全体を指す。

Q3. 第2章、2.、同一製品の臨床使用経験がない場合で、類似の製品を用いた臨床研究が既に行われている場合には、その概要、成果及び本製品との関係を説明すること。」における「類似の製品」とは何か？

A3. 例えばプロモーター、エンハンサー等に違いはあるものの、開発しようとする製品の有効性及び安全性の説明に利用することが可能である製品を想定している。

Q4. 第3章、1.、(5)、「導入される全ての遺伝子の翻訳可能領域を明らかにすること」の「翻訳可能領域」はどの部分を指すのか？

A4. 翻訳可能領域は、遺伝子発現構成体の中で、翻訳可能な目的遺伝子及び目的遺伝子以外の遺伝子の全ての塩基配列を指す。

Q5. ベクターの構築手順について、どの程度の説明が必要か？

A5. 遺伝子の入手方法、ベクターの構造、ベクターの作製方法、フロー図等によるベクターの作製過程を記載する必要がある。

Q6. ウイルスベクターの全塩基配列解析は必須であるか？

A6. ウイルスベクターの全塩基配列解析は、データベースから得られた理論的配列解析だけでなく、実際のウイルスベクター内にある塩基配列を解析し、理論的配列と比較することは重要と考える。ただ、ウイルスベクターによっては全塩基配列の解析が困難な場合も想定されるため、「可能な限り」としている。

Q7. 遺伝子治療のフォロー期間はどのように設定すればよいか？

A7. 使用するベクターの種類や疾患等によってフォロー期間は異なるため、一律に決定することは困難であり、機構と個別に相談してほしい。

