

# 遺伝子治療臨床研究実施計画について (京都府立医科大学附属病院)

- 京都府立医科大学附属病院から申請のあった遺伝子治療臨床研究実施計画に係る意見について（がん遺伝子治療臨床研究作業委員会） ..... P1
- がん遺伝子治療臨床研究作業委員会委員名簿 ..... P7
- 遺伝子治療臨床研究実施計画申請書・概要書（改訂後） ..... P8
- 遺伝子治療臨床研究実施計画書（改訂後） ..... P22

平成 21 年 9 月 10 日

京都府立医科大学附属病院から申請のあった  
遺伝子治療臨床研究実施計画に係る意見について

がん遺伝子治療臨床研究  
作業委員会  
委員長 島田 隆

京都府立医科大学附属病院から申請のあった下記の遺伝子治療臨床研究実施計画について、本作業委員会で検討を行い、その結果を別紙のとおりとりまとめたので報告いたします。

記

1. ヒト  $\beta$  型インターフェロン発現プラスミド包埋正電荷リポソーム製剤を用いる進行期腎細胞癌の遺伝子治療臨床研究  
申請者：京都府立医科大学附属病院 病院長 木下 茂  
申請日：平成 20 年 7 月 30 日

## 1. 遺伝子治療臨床研究実施計画の概要

- (1) 研究課題名： ヒト β 型インターフェロン発現プラスミド包埋正電荷リポソーム製剤を用いる進行期腎細胞癌の遺伝子治療臨床研究
- (2) 申請年月日： 平成 20 年 7 月 30 日
- (3) 実施施設： 京都府立医科大学附属病院  
代表者： 京都府立医科大学 病院長 木下 茂（平成 21 年 3 月まで）  
京都府立医科大学 病院長 岩井 直躬（平成 21 年 4 月から）
- (4) 総括責任者： 京都府立医科大学大学院医学研究科・泌尿器外科学 教授  
三木 恒治
- (5) 対象疾患： 進行期腎細胞癌  
導入遺伝子： ヒト β 型インターフェロン遺伝子  
ベクターの種類： プラスミド包埋正電荷リポソーム  
用法・用量： 腎細胞がんの転移腫瘍病巣内に、リン酸緩衝液 1 ml 中に 30 μg DNA を含有するヒト β 型インターフェロン発現プラスミド包埋正電荷リポソーム製剤を注入する。1 回につき注入最大 DNA 総量は 250 μg (8.3 ml) とし、週 1 回、合計 6 回注入する。  
研究実施期間： 厚生労働大臣より了承された日から 3 年間  
目標症例数： 5 例

### (6) 研究の概略：

本研究は、原発腫瘍病巣の摘除術後、転移巣に対して行った免疫療法及び分子標的治療が無効等の予後不良進行期腎細胞癌患者を対象として、ヒト β 型インターフェロン発現プラスミド包埋正電荷リポソーム製剤を転移腫瘍病巣内に投与する治療法の安全性の評価を主要エンドポイントとする。また、本治療法の有効性の評価を副次エンドポイントとする。

### (7) その他（外国での状況等）：

本研究で使用するヒト β 型インターフェロン発現プラスミド包埋正電荷リポソーム製剤は、名古屋大学において悪性グリオーマ 5 例を対象として、また、信州大学において悪性黒色腫 5 例を対象として実施された遺伝子治療臨床研究で使用されたものと同じものであり、これらの臨床研究では、今回の臨床研究よりも少ない投与量であるが、特に問題となる副作用は認められていない。

また、米国において非ウイルスベクターを用いる点が類似する臨床研究が 2004 年に報告されている。進行期悪性腫瘍に対しインターロイキン 2 遺伝子の正電荷リポソーム製剤を用い、登録腎細胞がん患者 31 例中、著効 1 例 (3%)、有効 2 例 (6%)、安