

審査委員会の開催状況
及び実施計画の変更を
適当と認める理由

本臨床研究は、自治医科大学附属病院遺伝子治療臨床研究審査委員会において、遺伝子治療臨床研究に関する指針（平成 16 年文部科学省・厚生労働省告示第 1 号）に即し、その有効性、安全性、倫理性、科学性などについて審査し、妥当であると判断され、平成 18 年 10 月 31 日に承認されたものである。本実施計画の変更については、平成 20 年 2 月 28 日に本審査委員会を開催し、総括責任者から本学第 2 例目の有害事象及び同様の臨床研究を実施している米国カリフォルニア大学サンフランシスコ校医療センターにおける第 5 例目と第 9 例目の有害事象に対する米国食品医薬品局及び共同研究者の Genzyme 社による検証結果の報告を受け、本実施計画の変更の妥当性について審議した。その結果、本審査委員会としては、実施計画の変更については、概ね妥当であると判断したが、更になお動物実験の新知見に対する評価及び上記 3 例の有害事象に関する被験者への説明について改善を指摘し、総括責任者から提出された改善内容を平成 20 年 3 月 3 日～5 日に書面による委員会審議を実施し、実施計画の変更を適当と認めた。

審査委員会の長の職名	氏 名
自治医科大学附属病院遺伝子治療臨床研究審査委員会 委員長 自治医科大学地域医療学 教授	梶井英治 

研究の区分	遺伝子治療臨床研究		遺伝子標識臨床研究
研究の目的	<p>進行したパーキンソン病患者の線条体（被殻）に、芳香族 L アミノ酸脱炭酸酵素（aromatic L-amino acid decarboxylase : AADC）遺伝子を組み込んだアデノ随伴ウイルス（adeno-associated virus : AAV）ベクターを定位脳手術的に注入し、その安全性を検証するとともに、経口投与する L-DOPA によってドパミン産生を促し、パーキンソン症状を改善することを目的とする。ドパミンの過剰合成に伴って生じるジスキネジアは L-DOPA の投与量を減らすことにより予防する。</p>		
対象疾患	進行期パーキンソン病		
変更時期	平成 20 年 3 月 6 日		
変更内容	実施計画書における事項	変更前	変更後
1	7 安全性についての評価 (1) 遺伝子導入方法の安全性 ⑧ がん原生の有無	別紙 1 のとおり	別紙 1 のとおり
2	(4) AAV 以外のウイルスベクターに起因する重篤な有害事象	別紙 1 のとおり	別紙 1 のとおり
3	(5) これまでに実施された臨床試験における成績	別紙 1 のとおり	別紙 1 のとおり

4	9 遺伝子治療臨床研究の実施計画 (5)遺伝子治療臨床研究の実施方法 ②遺伝子導入方法（安全性および有効性に関する事項を除く）	別紙1のとおり	別紙1のとおり (外科手術実施マニュアルを実施計画書に資料7として添付する)
5	④検査項目および観察項目 手術	別紙1のとおり	別紙1のとおり
6	(6)米国における類似の研究との関連	別紙1のとおり	別紙1のとおり
7	文献	別紙1のとおり	別紙1のとおり
変更内容	患者説明文書における事項	変更前	変更後
8	6. パーキンソン病遺伝子治療臨床研究の海外での状況	別紙2のとおり	別紙2のとおり
9	7. 臨床研究の具体的な方法 B 臨床研究のスケジュール(表)	別紙2のとおり	別紙2のとおり

10	E. 予想される危険性および副作用 ケース2	別紙2のとおり	別紙2のとおり
11	1) ウィルスベクターを使うことで起こる危険性 ③神経細胞に遺伝子を入れることで起こる異常(発癌の可能性)	別紙2のとおり	別紙2のとおり
12	2) 手術に伴う危険性(手術の合併症) ①出血(頭の中に出血する可能性)	別紙2のとおり	別紙2のとおり
13	臨床研究への参加に関する同意書	別紙2のとおり	別紙2のとおり
変更内容	資料6 評価スケジュールにおける事項	変更前	変更後
14	評価スケジュール1年目における事項	別紙3のとおり	別紙3のとおり