


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

平成 20 年 5 月 1 日に本委員会を開催し、総括責任者から提出された遺伝子治療臨床研究実施計画変更報告書について審査した。

この変更は、米国における同様の臨床研究では phase I が終了し、その結果から AAV-hAAD-2 注入量は $200 \mu\text{l}(3 \times 10^{11} \text{vg})$ の低用量で十分な効果が得られたため、安全面を考慮し $600 \mu\text{l}(9 \times 10^{11} \text{vg})$ の高用量の注入試験は実施しないとの共同研究者 Genzyme 社の計画変更要請を受けて行われた。同社からは同時に、今後 phase II に入るため、本年 9 月までに本研究を終了するようにとの要請もあった。変更前の計画では、第 1 群 (AAV-hAAD-2 注入量 $200 \mu\text{l}(3 \times 10^{11} \text{vg})$) として 3 例実施した後、第 2 群 (AAV-hAAD-2 注入量 $600 \mu\text{l}(9 \times 10^{11} \text{vg})$) 3 例を実施する予定であったが、第 1 群の残り 1 例と当初予定されていた第 2 群の 3 例の計 4 例については、AAV-hAAD-2 注入量 $200 \mu\text{l}(3 \times 10^{11} \text{vg})$ のプロトコールで実施する計画変更である。すなわち、第 1 群として 6 例を実施し、第 2 群の実施は取り止めとするものである。本委員会から、第 1 群を 3 例から 6 例に増やす意義について質問し、総括責任者から、本治療法に関する日本独自の安全性のデータを持ちたいとの回答があった。総括責任者からの変更理由は納得できるものであり、しかも本邦における本治療の実施はまだ 2 例と少ないことから、わが国独自の安全性に関するデータを蓄積することは極めて有用と判断されたため、計画の変更を承認することとした。

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うるジスキネジアはL-DOPAの投与量を減らすことより予防する。</p>		
対象疾患	進行期パーキンソン病		
変更時期	平成20年5月1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 (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
2	9 遺伝子治療臨床研究の実施計画 (1) 遺伝子治療臨床研究を含む全体の治療計画 9-(1)-2 AAV-hAADC-2 の投与方法	別紙1のとおり	別紙1のとおり
3	(5) 遺伝子治療臨床研究の実施方法 (6) 遺伝子治療臨床研究の評価方法、評価基準および中止判定基準 D. 有効性および安全性の安全・効果評価・適応判定部会	別紙1のとおり	別紙1のとおり
4	(6) 米国における類似の計画との関連	別紙1のとおり	別紙1のとおり
5	〈実施計画に添付すべき資料〉 1 研究者の略歴および研究業績	別紙1のとおり	別紙1のとおり
6	4 その他必要な資料	別紙1のとおり	別紙1のとおり