

審査結果

別添 1-1：同意説明書、同意書および同意撤回書

- P4 1. 「はじめに」の 5 行目の実験的治療というのは表現がつよいので、表現を弱めること。委員よりは「研究段階の治療法」、「まだ確立した治療法ではない」などの方が表現が弱いとの意見がでた。
- P5 4-1) -④に同種造血幹細胞移植のための適当なドナーが見つからないだけでなく、HLA の一致度、細胞数などを具体的に明示すること。
- P5 4-1) -⑤で「治療を継続しても、病状が悪化すると見込まれる方…」でも計画書の P40 にあるようにもう少し具体的に書くこと。また何の治療か分からないので「感染症の治療を継続しても…」にすること。
- P5 4-2) -③ 成人で本人よりの同意取得が困難な精神障害を有している方にすること。
- P5 4-2) -⑤で重篤なアレルギーを起こす可能性のある方は除外されているが、何に対してどの程度のアレルギーを指すのかをもう少し詳細に明示すること。
- P8 6.-1) 期待される効果についてで、アメリカ NIH の結果を詳しく記載すること。可能なら、どれくらいの期間、どの程度の遺伝子導入細胞が残っていたか、タンパク質の発現はどうだったか、臨床症状の改善の持続期間はどうかなどに関して出来る限りの情報を記載すること。
- P10 の表でベクターの種類を記載すること。もしくはフランスの X-SCID と今回のベクターに近いベクターであることを記載すること。
- P12 の 9 の補償に関する事で、金銭的な補償はしないことを明記すること。

インフォームドアセントの中学生向き（アセント C）

- 5 年間の避妊のこと、不妊になる可能性について記載すること。不妊の可能性に関しては米国 COG（小児がんグループ）が抗がん剤による晩期障害を記載しているガイドラインがあるのでそれを参考にすること。これに関しては湯坐委員に問い合わせること。

遺伝子治療臨床研究実施計画申請書（別紙）の遺伝子治療臨床研究の安全性、 有効性判定基準

- 2) 被験者のスコアリングに関する記載があるが、このスコアリングを何に基づいて決めたかを簡単に記載すること。