

ブスルファンの危険性には以下のようなものがあります。

・ けいれん

これは、ブスルファンが脳脊髄液中に流れ込むことで起こるとされ、ブスルファンの重大な副作用として知られています。これを予防するために、ブスルファンを数回に分けてゆっくりと点滴し、また、投与前には“けいれん”を抑えるための抗てんかん薬（クロナゼパム）を投与します。また、吐き気が強いときは、吐き気止め（グラニセトロン）を投与します。

・ 造血能低下

ブスルファンの投与により造血能（新しい血液を造る能力）が低下して、赤血球が減少する貧血、白血球の減少による感染症、血小板の減少による出血が起こる可能性があります。これらに対しては、投与後に複数回血液検査を行い、必要であれば輸血等を含めて迅速に対処いたします。なお、ブスルファン投与により、一定期間あなたの造血機能は低下し、免疫機能も低下しますので、造血能が回復するまでは、感染症よぼうのために個室に入院していただきます。

・ 肝障害

ブスルファンの重大な副作用として、肝中心静脈閉塞症（VOD）があります。これは肝臓の細い静脈が急速につまり、そのため肝臓が急激に腫れ、腹水（おなかに水が貯まる）や黄疸を発症する病気です。急激な肝不全により死亡する時もあります。これに対しては、初期症状を見逃さないように血液検査や画像診断を含めて細心の注意を払いながら経過を観察し、何かの異常が発症した際は、迅速に、かつ適切な処置を行います。

・その他

ブスルファンにはこのほかにも、皮膚毒性、間質性肺炎などの副作用や長期的には不妊や歯芽萌芽障害（歯が生えてこない）などが生じることがあります。

4) 遺伝子導入細胞投与と危険性

最後のブスルファンを投与した翌日、あなたの全身状態を確認した上で、遺伝子導入細胞をゆっくりと（10分以上かけて）静脈より投与します。安全確認のために3日間はあなたの血圧、脈拍、体温、呼吸などの全身状態を注意深く観察します。

もし、状態が安定しなければ、この観察は継続して行われます。また、安全性を確認したウイルスベクターを使用したとしても、万一のことを考えて、あなたの身体の中にウイルスがないことを確認するまで（投与後2日目）、排泄物の処理を含めて生活面で一定の制限があります。詳細は、入院時にご説明いたします。ウイルスの安全性ならびに造血系の回復が確認された段階で、個室での入院は終了し、その後は血液検査等の結果を基に退院の日程が決定されます。

遺 伝子導入細胞の投与に関する危険性としては、アレルギー反応（かゆみ、発疹、発熱）などが考えられますが、症状に応じて適切に対処いたします。

5) 退院後の短期的観察

退院後も、遺伝子導入の効果や副作用を観察するため、私たちはあなたの健康に関する情報を全て記録する必要があります。たとえば、感染の回数、抗生剤の使用量、休学日数や欠勤数などです。これら情報の記録は、国立成育医療センターに来られる前の医療機関でも行うことができますが、最初の5年間は最低でも6ヶ月に一度は、国立成育医療センターの外来で診察を受けてください。もし、何か予期せぬ

ことや重大なことが発生いたしましたら、お近くの医療機関ならびに私たちに直ぐに連絡を入れて下さい。

#### 6) 退院後の長期的観察

少なくとも15年間はあなたの病状、身体所見、血液検査結果などを確認する必要があります。これは、長期にわたり遺伝子を導入した細胞が変化を起こしていないかを調べるのが目的で、今回使用したレトロウイルスベクターの安全性を評価するために必要なものです。国立成育医療センターの受診が困難な場合は、お近くの医療機関で構いませんので、その医療機関の名称、所在地、連絡法を私たちにお知らせ下さい。

### 5. 重大な危険性について

次に、今回の遺伝子治療臨床研究において生じる可能性のある危険性についてお話しします。

#### 1) 投与細胞が生着しない危険性

投与する細胞はあなたの造血幹細胞ですから、あなたの骨髄に生着しない可能性は少ないと考えられます。それでも、何らかの原因により投与した**細胞が生着しない危険性**が考えられます。生着しない状態が長引きますと、造血能の低下により貧血、感染症の増大、出血などの症状が生じますので、その場合には予め**保存しておいたあなたの造血幹細胞を投与**します。しかし、もし、この投与によっても造血能が回復しない場合は、危険性を十分に考慮した上、**臍帯血などあなた以外の幹細胞を用いた移植**もその治療の一つとして検討します。

## 2) レトロウイルスベクターの危険性

今回使用するベクターはマウスの細胞に感染するレトロウイルスから作製されました。このウイルスはモロニーマウス白血病ウイルスと呼ばれ、自然界ではマウスの細胞に白血病を起こすウイルスですが、今回、遺伝子治療用として使用するために種々の工夫がなされました。たとえば、このウイルスベクターは、一度、細胞に感染すると二度と他の細胞に感染しないように改変されておりますので、あなたの身体で新しいウイルスが出現する可能性は極めて少ないと考えられます。もし、それでもなおこのようなウイルス（**野生型ウイルス**）が検出されましたら、**抗ウイルス薬**等を用いて早急に処置します。

次に、レトロウイルスベクターの最も**重大な副作用**について説明します。

私たちの染色体の中には、がん遺伝子やがんの発生を抑える遺伝子（がん抑制遺伝子）が存在します。今回使用するウイルスベクターは特にこれらの遺伝子の近くに入りやすいことが知られており、なんらかの理由で、このウイルスの挿入（染色体に入ること）が、近くにあるこれらががん遺伝子を活性化したり、逆にがん抑制遺伝子の働きを抑えたりする可能性があります。もし、このようなことが起これば、遺伝子を導入された細胞が本来の性格を変え、**悪性化（がん）へと進む**ことが心配されます。一般に、ひとつのがん遺伝子が活性化したり、またはひとつのがん抑制遺伝子が障害されたりするだけで、がんになることは少ないと考えられていますが、発がんの危険性が増大することは否定できません。実際に2002年10月、フランスから以下のような事例が報告されました。

問題となったのは、フランスで行われた **X 連鎖性重症複合免疫不全症(X-SCID)** という重い免疫不全症に対するレトロウイルスベクターを用いた遺伝子治療です。

この病気は免疫機能が低下することで重い感染症を繰り返す病気で、原因として共通ガンマ鎖  $\gamma$ c という遺伝子に異常があることがわかっています。この病気に対しても幹細胞移植が有効ですが、適当な移植ドナーが見つからない子どもは早期のうちに重い感染症で亡くなります。そのような中、フランスのネッカー小児病院のフィッシャー博士らは、レトロウイルスベクターを用いて X-SCID 患者本人の造血幹細胞に正常な  $\gamma$ c 遺伝子を導入して患者へ戻す遺伝子治療を 1999 年 3 月より開始しました。これまでに 11 名の方にこの遺伝子治療を行い、9 名で治療が成功し、患児は重い感染症の心配なく普通の生活ができるようになりました。この結果は有名な学術雑誌に発表され、**遺伝子治療の最大の成功例**として世界中の注目を集めました。しかし、この遺伝子治療を受けた 4 例目の方が、**急性リンパ性白血病**（リンパ球のがん）を発症しました。ただ、この方はすぐ化学療法を受けられ、白血病は寛解状態（治まった状態）になっています。白血病が起こった原因は、治療に使用したレトロウイルスベクターが染色体に組み込まれた際、近くにあったがん関連遺伝子も一緒に活性化されたためと考えられています。このように遺伝子治療を受けられ白血病を発症した方は現在まで 4 名おられ、うち 1 名の方は残念ながら治療の効果なく亡くなられています。また、同様な治療をおこなっているイギリスのグループでも 10 名中 1 名白血病を発症しております(平成 19 年 12 月時点)。

一方、慢性肉芽腫に対するレトロウイルスベクターを用いた遺伝子治療についてですが、現在までアメリカで 12 名（7 名が X-CGD で、残り 5 名は異なるタイプの CGD）、欧州で 7 名（ドイツ 2 名、スイス 1 名、イギリス 4 名）、韓国が 2 名の合計 21 名の方に行われています。

## これまで行われた慢性肉芽腫症の遺伝子治療臨床研究

| 開始年  | 実施国  | 症例 | タイプ     | ブスルファン | 治療効果  | 血液異常 |
|------|------|----|---------|--------|-------|------|
| 1995 | アメリカ | 5  | p47 (-) | 使用しない  | なし    | なし   |
| 1999 | アメリカ | 5  | X-CGD   | 使用しない  | なし    | なし   |
| 2003 | ドイツ  | 2  | X-CGD   | 使用する   | あり    | あり   |
|      | スイス  | 1  | X-CGD   | 使用する   | あり    | あり   |
|      | イギリス | 4  | X-CGD   | 使用する   | なし    | なし   |
| 2006 | アメリカ | 2  | X-CGD   | 使用する   | あり/なし | なし   |
| 2007 | 韓国   | 2  | X-CGD   | 使用する   | ?     | なし   |

2000年以前の遺伝子治療では骨髄に空きスペースを造る前処置は行っていませんでした。その治療効果はほとんどありませんでした。しかし、2003年のドイツを中心とした遺伝子治療からブスルファンによる前処置が開始され、半数以上の症例で肝臓の消失や脊椎炎の治癒などの有効性が報告されています。ただ、これら遺伝子治療においては**血液の異常（2例でMDSという前がん状態の病変）**が報告されています。今回使用するベクターはアメリカで使用されたものと同一のもので、今のところ白血病を含む血液の異常は報告されていませんが、**がんを発症する危険性**がないとは言えません。

このようなことから、現在、レトロウイルスベクターを用いて遺伝子治療を行う場合、遺伝子治療が与える利益がその危険性（主に白血病を起こす危険性）を大きく上回ると考えられ、また、これらの危険性に関して治療を受けられる方ならびにそのご家族が十分に正しく理解し、ご本人（あるいは後見人）の意思により同意がなされた場合にのみ行うことが可能となっています。

**私たちは、あなたの症状から考えて、今回、白血病を起こす危険性を考慮に入れても、あなたが遺伝子治療から得られる利益が大きいと考えて、この遺伝子治療臨床研究を提案させていただきました。**ですから、あなたには、この点を十分に理解した上で、今回の遺伝子治療臨床研究の参加に関する意思を確認していただきたいと考えております。なぜなら、たとえ遺伝子治療が成功しても、このような重大な危険性により死亡する場合もあるからです。私たちが生涯にわたりあなたの健康状態を注意深く観察いたします。もし、がんなどが発症した場合は、現在ある白血病の治療法に準じて化学療法を行い、必要に応じて造血幹細胞移植も考慮いたします。

### 3) 免疫能が回復しない危険性

たとえ移植した細胞があなたの骨髄に生着し、造血能が回復しても、遺伝子を導入した細胞が十分に働かない場合は、あなたの免疫能（病原体を殺菌する能力）は回復いたしません。この場合は、現在行っている抗菌剤、抗真菌剤、ガンマイインターフェロンの治療を継続することになりますが、状況によっては非血縁者骨髄あるいは臍帯血由来の幹細胞移植も考慮します。その場合、再度、その内容を詳細に説明いたします。なお、**今回の臨床研究においてさらなる遺伝子導入細胞の投与はありません。**また、将来において同様の遺伝子治療臨床研究を行う場合は、再度、その内容を詳細に説明して、別の文書による同意書を頂きたいと考えております。

### 4) 子どもを持つ際の問題点

今回、使用するベクターがあなたの生殖細胞に影響を与える可能性は極めて低いと思われませんが、その危険性を完全に否定することは出来ませんので、**一定期間（5年程度）の避妊**にご協力ください。また、多くのがんの方は、大量の抗がん剤や移

植治療後に子どもを持つのが困難とされています。今回の研究で使用するブスルファンにもこのような副作用（不妊）が知られています。このような方のため、将来の妊娠に備え、精子や卵子を保存される方法が確立しています。今回使用するブスルファンの量は通常の造血幹細胞移植の際に用いられる量と比べて明らかに少ないのですが、将来、あなたが子どもを持つ能力に何らかの影響を与えることは否定できません。生殖細胞の保存に関しては、今回の臨床研究には含まれていませんので、これらの情報がご希望であれば、医療スタッフにご相談ください。

## 6. 治療効果に関して

今回の遺伝子治療臨床研究の効果が期待した通りであった場合、遺伝子導入造血幹細胞はあなたの骨髄中で正常に機能する好中球を生み出し、現在ある重い感染症が治ることが期待できます。また、これら造血幹細胞は長期にわたりあなたの骨髄中に留まっていますので、将来にわたって重い感染症に罹る頻度は減少すると思います。また、これらの細胞は、あなた自身の細胞でありますから、これまで行われてきた他人からの輸血や顆粒球輸注とは異なり、アレルギー反応もありません。つまり、長期間あなたのQOL（生活の質）の向上が期待できます。

また、間接的ですが、私たちも遺伝子治療に関する知識、情報が増え、CGDを含めた多くの先天性疾患に対する遺伝子治療の発展に大いに役立つものと思われま

す。



## 7. 費用に関して

この遺伝子治療臨床研究では、**健康保険等の公的な医療保険は適応されません。**その代わりに、臨床研究に参加するための必要な経費、たとえば治療用ベクターの代金や遺伝子導入細胞の調製費、また、その際に使用する薬剤の代金、ならびに今回の遺伝子治療臨床研究の安全性を確認するための必要な検査や個室使用料等は本臨床研究グループが全て負担します。この臨床研究に参加することで、あなたが今まで以上に余分のお金を負担していただくことはありません。ただし、今回の遺伝子治療臨床研究期間中であっても、遺伝子治療に直接関与しない病状に対する治療費に関してはこれまでどおり公的医療保険が適応され、その医療費にかかる一部の負担金はあなたの負担となります。

なお、この遺伝子治療に参加することでの経済的な報酬はありません。また、あなたが臨床研究に参加するために、あなたやご家族が仕事を休んだりして収入が減ったとしても、その分の補償はされません。

## 8. 副作用発生時に関して

この臨床研究に関して、あなたが副作用などによる何らかの健康被害を受けた場合は適切な治療が受けられますので、すぐに担当医に連絡をお願い致します。あなたの健康被害がこの臨床研究と因果関係があるかどうかの判定は、研究者とは利害関係のない独立した審査委員会が行います。この臨床研究との因果関係が否定できないと判定された副作用に対する検査や治療にかかる医療費は、本臨床研究グループが支払いますので、あなたの医療負担はありません。また、今回の臨床研究に関連のある健康被害は、症状が固定するまで（その健康被害が発症してから最長 15

年まで)の医療費を本臨床研究グループが支払います。ただし、健康被害が生じた場合の医療費以外の実費や症状が固定した後の治療費、療養費については補償されません。上記の補償の条件は国立成育医療センター以外の医療機関で検査・治療した場合にも同様に適応します。

## 9. 個人情報に関して

あなたの個人情報とは、お名前、住所、生年月日、電話番号、カルテ番号など、あなたを特定できる情報です。今回の遺伝子治療臨床研究を行う国立成育医療センターでは、あなたの個人情報は「行政機関の保有する個人情報の保護に関する法律」(平成15年法律第58号)にしたがって取り扱われます。この臨床研究を共同で行う他の施設の研究者もこれにしたがっています。あなたの個人情報が外部に漏れることはありません。ただし、今回の臨床研究は日本において初めて行われ、広く社会の注目するものでありますから、治療成績、副作用は公開が原則となっております。ただし、そのような場合でも、あなたと特定できないように配慮することをお約束いたします。

なお、公開に関する個別のケース(保険の加入等)に関しては、まず、あなたに相談してから決定します。ただし、公的な機関からの緊急性のある要請に関しては、その限りではないことをご理解ください。

国立成育医療センターでは、個人情報の取扱いや診療情報の開示に関する問い合わせ窓口を設けております。この研究に関する個人情報、診療情報の開示についてのご相談窓口は、次の通りです。

## 10. おねがい

### 1) 住所や連絡先が変わった時のおねがい

遺伝子治療は急速に発展する分野であり、ほぼ、毎日のように新しい進展が報告されています。あなたがこれらの情報を知ることは極めて重要と考えるので、私たちが入手した情報を速やかにお伝えします。このため、住所変更ならびに電話等の連絡方法変更の際には、速やかに私たちに連絡願います。

### 2) この臨床研究から離れられる際のおねがい

あなたはいつでもこの研究から離脱することが可能です。ただ、ブスルファン投与により長期間白血球数が減少し、重症な感染症が起こる危険性があるため、一旦、ブスルファンを投与した後は、私たちはあなたに遺伝子導入細胞の投与を受けられることを強く要望します。また、白血病の危険性ならびに野生型ウイルス出現のモニターのためにも可能な限り、外来通院の継続をお願いします。

### 3) 保存サンプルに関するおねがい

私たちは必要な検査のために使用された後、不要となったあなたの血液細胞や組織検体を、将来の研究のために保存したいと考えております。これは、今回の遺伝子治療臨床研究が一般の医療行為とは異なり、あなたの医学的な治療には直接結びつかない検査も多いからです。また、将来において予期せぬ副作用の検査のために必要となる場合もあります。各検査に関しては、あらためてご説明し、承諾の有無を確認させていただきます。なお、この検体保存にご同意頂けなくとも、この臨床研究に参加することは可能です。

## V. おわりに

このしおりをお読みになって、今回の遺伝子治療臨床研究について、ご理解していただけたでしょうか？ 何かわからないことや心配なことがございましたら、何なりと下記の担当医師までご連絡ください。

## VI. Q & A

### ○ 慢性肉芽腫症について

#### Q1. どんな病気ですか？

A1. 病原体（細菌や真菌）を攻撃する好中球の異常で、体内に侵入してきた病原体を殺すことができず、からだのいたるところに感染を引き起こす病気です。このため、ときに排除できない病原体に反応して肉芽腫（こぶ）を作ることもあります。



好中球



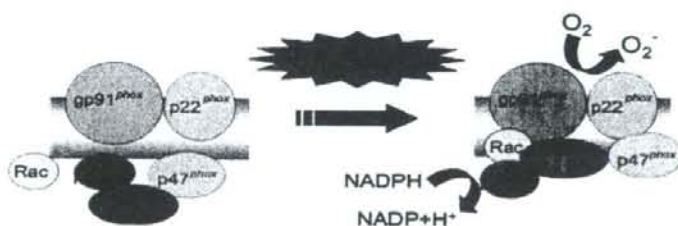
細菌を貪食する好中球



巨大細胞とリンパ球浸潤  
(肉芽形成)

#### Q2. どんな検査で診断しているのですか？

A2. 好中球が活性酸素をつくれなことから診断します。この検査には様々な種類がありますが、最終的には、原因遺伝子のgp91<sup>phox</sup>遺伝子の検査を行います。



感染後、活性酸素 (O<sub>2</sub><sup>-</sup>) を作る反応でgp91<sup>phox</sup>は重要な構成タンパク質

#### Q3. この病気は遺伝しますか？

A3. CGDは遺伝する病気です。伴性劣性遺伝（男性のみで、今回の対象疾患）と常染色体劣性遺伝（両性に現れる）の2つのタイプがありますが、日本では伴性劣性遺伝が多いため、患者さんの男女比もおおよそ7対1で男児に多く見られます。

**Q4. どのような症状がありますか？**

A4. 発熱や咳（肺炎）、リンパ節の腫れ（リンパ節炎）、皮膚の膿瘍（皮膚膿瘍）、肛門周囲の膿瘍（肛門周囲膿瘍）、下痢や腹痛（腸炎）を繰り返します。その他、肝臓や骨にうみ膿が貯まることもあり、また、感染を繰り返すため成長が妨げられて低身長になる場合もあります。

**Q5. 現在どんな治療が行われていますか？**

A5. 症状に合わせて、下に示す複数の薬を使用します。

- ・ ST合剤（バクタ）

CGDの感染予防に最も効果のある抗菌剤です。

- ・ 抗真菌剤（イトリゾールやファンギゾン）

真菌（アスペルギルスやカンジダ）の感染を予防する薬です。

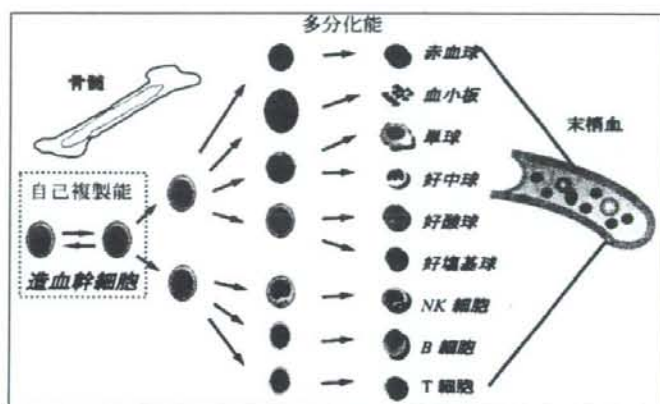
- ・ インターフェロン・ガンマ（イムノマックス）

週に1～3回、皮膚に注射する感染予防の薬です。

## ○造血幹細胞移植について

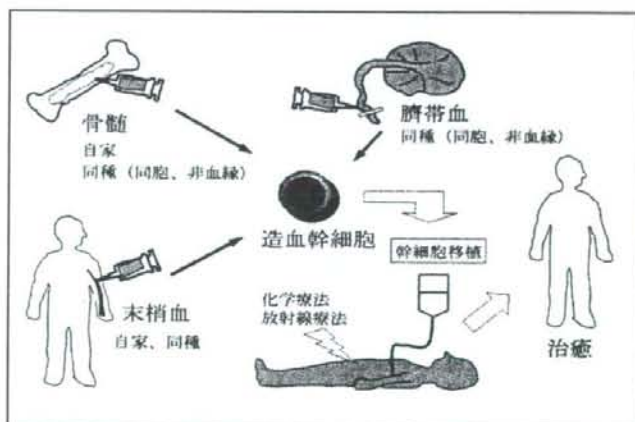
### Q1. 造血幹細胞とは？

A1. 骨髄中に留まり、増殖を繰り返しながら、一生にわたり血液細胞を供給し続ける細胞です。造血幹細胞から分化した血液細胞には、赤血球、好中球、リンパ球、血小板などがあり、この造血幹細胞が正常な血液細胞を供給できなくなると白血病や再生不良性貧血になります。



### Q2. 造血幹細胞移植とは？

A2. 正常に機能しなくなった骨髄幹細胞を放射線療法や強い薬（前処置）により死滅させ、そこに正常な造血幹細胞を血管から投与する方法です。造血幹細胞は、骨髄、末梢血、臍帯血から得ることができ、また、他人からの場合は同種、あらかじめ保存していた自分の細胞の場合は自家と呼びます。



**Q3. 造血幹細胞移植が行える条件とは？**

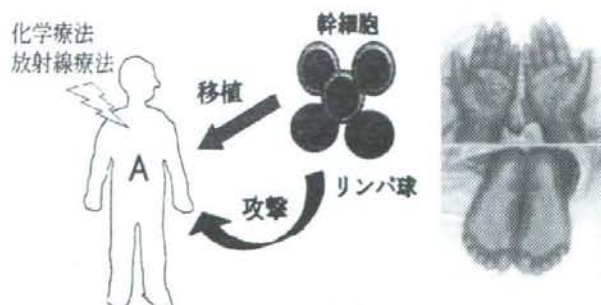
A3. 造血幹細胞移植を行うには、ドナー（幹細胞を提供するヒト）とレシピエント（移植を受けるヒト）のHLA（ヒト白血球抗原）を合わせなければなりません。HLAはA、B、CとDP、DQ、DRの6座がありますが、移植の際に必要なのはA、B、DRの3座です。ただ、A座には25種類以上、B座には50種類以上、DR座にも15種類以上の型が存在するため、その組み合わせは膨大となり、自分を同一の型のヒトを見つけるのは困難です（これが、適当なドナーが見つからない原因です）。親子の場合、子どもは両親から一本ずつもらうので、兄弟間ではHLAが一致する割合は25%となります。また、子ども1と3では、3/6（A1、B12、DR3）の一致となります。

|    | A 座  |     | B 座 |     | DR 座 |     | HLA        |             |
|----|------|-----|-----|-----|------|-----|------------|-------------|
| 父親 | A211 | A25 | B12 | B60 | DR4  | DR5 | A2-B12-DR4 | A25-B60-DR5 |
| 母親 | A1   | A25 | B12 | B70 | DR3  | DR5 | A1-B12-DR3 | A25-B70-DR5 |

| 子ども | A 座 |     | B 座 |     | DR 座 |     | HLA         |             |
|-----|-----|-----|-----|-----|------|-----|-------------|-------------|
| 1   | A2  | A1  | B12 | B12 | DR4  | DR3 | A2-B12-DR4  | A1-B12-DR3  |
| 2   | A2  | A25 | B12 | B70 | DR4  | DR5 | A2-B12-DR4  | A25-B70-DR5 |
| 3   | A25 | A1  | B60 | B12 | DR5  | DR3 | A25-B60-DR5 | A1-B12-DR3  |
| 4   | A25 | A25 | B60 | B70 | DR5  | DR5 | A25-B60-DR5 | A25-B70-DR5 |

**Q4. 造血幹細胞移植の問題とは？**

A4. 一番の問題は、上記のようにHLAが一致しない移植を行った場合、移植の際に混入していたドナーのリンパ球がレシピエントの臓器を攻撃する移植片対宿主病（GvHD）と呼ばれる病態です。症状として発疹や下痢、肝機能障害を引き起こし、重症の場合は死亡することをあります。

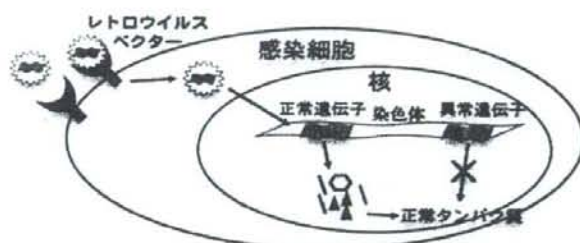




## ○今回遺伝子治療について

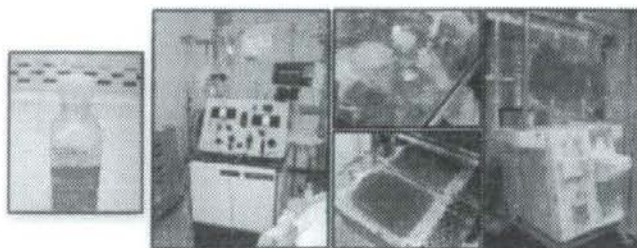
### Q1. レトロウイルスベクターとは？

A1. 遺伝子は細胞の核（染色体）とよばれるところにあり、遺伝子治療では、そこに外から正常な遺伝子を運び込む必要があります。レトロウイルスとよばれるウイルスは、もともと自分の遺伝子を感染した細胞の核に運び込み、組み入れる能力を持っています。そこで、このレトロウイルスの特性を活かし、病気の細胞の核に正常遺伝子を運び込むために作製されたもので、別名ウイルスの「遺伝子の運び屋」とも呼ばれます。ただ、染色体のどこに入り込むかは分かりませんので、感染した細胞は正常遺伝子と異常遺伝子の二つを持つことになります。



### Q2. 遺伝子導入法とは？

A2. レトロウイルスは培地とよばれる細胞を維持する液体に溶けており、ここに造血幹細胞を入れ、数時間の間、混ぜておくだけで感染します。ただ、これら細胞は身体に戻すことから、全ての操作は特別な細胞培養室で、閉鎖系回路を用い行われます。



ウイルスベクターと閉鎖系培養システム

### Q3. 遺伝子治療の白血病化とは？

A3. レトロウイルスは感染した細胞の染色体のどこに入り込むかは分かりませんので、ときにがん遺伝子とよばれるがんに関連のある遺伝子の近くに組み込まれることがあります。このとき、レトロウイルスの影響が強く、がん遺伝子が活性化された場合、がん（白血病）を起こしやすくなると考えられています。



### Q4. ウイルスベクターの入手先は？

A4. アメリカの国立衛生研究所（NIH）のMalech博士が依頼し、アメリカの企業Magentaが作製したものを入手します。

## ○ その他

### Q1. インフォームド・コンセントとは？

A1. 英語でInformed Consentとつづり、日本語で「同意と説明」のことです。インフォームド・コンセントでは、医師が患者に対して行う検査や治療を十分に説明し、その検査、治療を受ける患者が理解・納得した上で、文書による同意を示すことです。以前は、口頭（口約束）でも認められましたが、現在では文書による同意が必要です。ただ、患者が一定の年齢に達し院内場合は、親権者が代わりに同意を示すことができます。

### Q2. セカンド・オピニオンとは？

A2. 英語でSecond opinionとつづり、直訳すると「第二の意見」のことです。具体的には受けようとしている検査や治療に関して、担当医師以外の第三者（医師など）の意見を聞くことで、以前はあまり見られませんでした。最近ではセカンド・オピニオンを起こっている医療機関も増えてあります。検査や治療に関して他の専門医の話聞くことは、実際にその検査や治療を受けるかどうかを決める際に大変に参考になると思います。

### Q3. 臨床研究とは？

A3. 医療の場で、新しい診断法や治療法の有効性、安全性を確かめるには、どうしてもヒトを対象とした研究を行わなければなりません。そのため、病気の診断や治療法の開発など、患者の生活の質の向上を目指したヒトを対象とした医学的な研究を臨床研究とよんでいます。現在、臨床研究を行うためには、厚生労働省が定めた「臨床研究に関する倫理指針」に基づき申請書を作成し、各医療機関が有する倫理審査委員会の承認が必要です（遺伝子治療の場合は、さらに国の審査が必要）。

## **VII. 用語集**