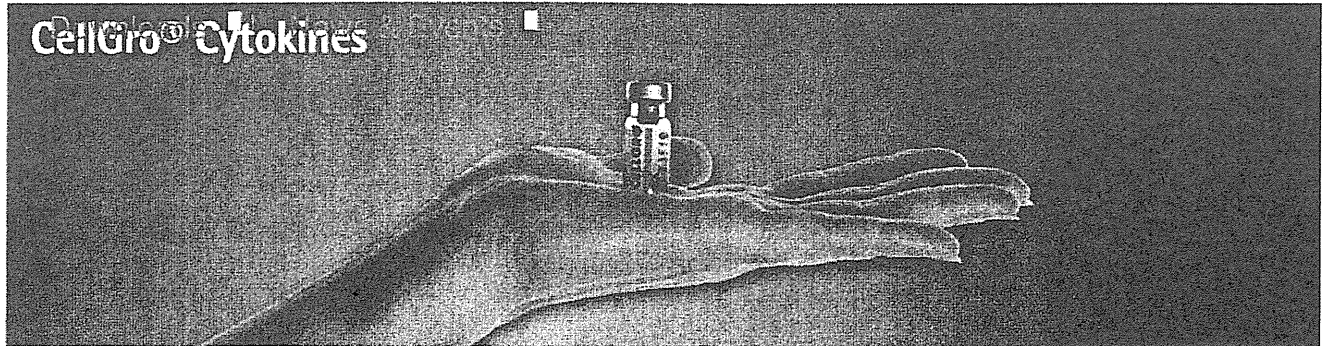


[Search](#) | [Sitemap](#) | [Legal Notice](#) | [Contact](#)



[Products](#) | [Research & Development](#) | [Company](#) | [Regulatory Support](#) |

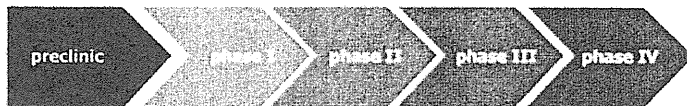


[Home](#) » [Products](#) » [Product Lines](#) » [CellGro® Cytokines](#)

[Contact & Order Form](#)

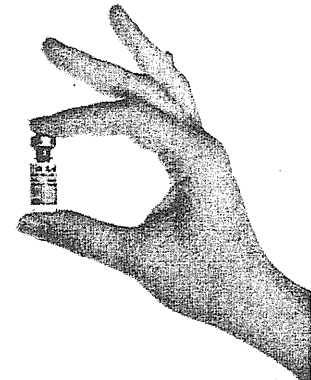
CellGro® Cytokines

High-Quality – High Performance for all Clinical Phases



- CellGro® Preclinical Cytokines for preclinical ex vivo use
- CellGro® GMP Cytokines for clinical ex vivo use

CellGro® Cytokines comprise selected human cytokines used for ex vivo cell culture in the field of cell and gene therapy. CellGro® Cytokines are superior products. We not only provide a product of consistent highest quality, but also all documentation and regulatory support crucial for your success. CellGenix supplies recombinant human cytokines produced in E. coli manufactured exclusively with safe and qualified raw materials in the production and purification process. CellGro® Cytokines combine a maximum of quality and safety with excellent performance due to state-of-the-art production, quality control, and documentation expertise. A batch-specific certificate of analysis is provided with each cytokine.



[CellGro® Preclinical Cytokines GMP Cytokines](#)

[CellGro®](#)

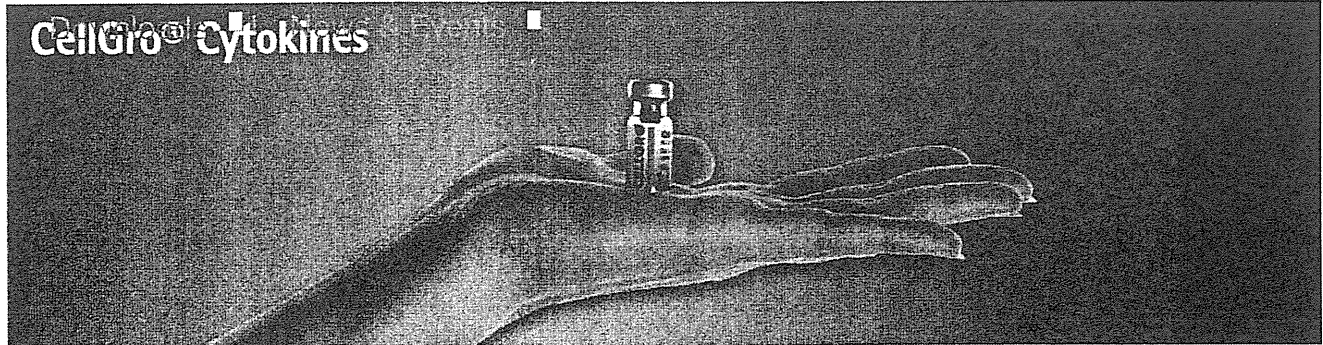
References

CellGro® products have been used in a variety of settings and many clinical trials throughout the world. Please do not hesitate to contact our customer service team for an up-to-date reference list.

[Search](#) | [Sitemap](#) | [Legal Notice](#) | [Contact](#)



[Products](#) | [Research & Development](#) | [Company](#) | [Regulatory Support](#) |



[Home](#) » [Products](#) » [Product Lines](#) » [CellGro® Cytokines](#) » [GMP Grade for Clinical Ex Vivo Use](#)

[Contact & Order Form](#)

GMP Grade for Clinical Ex Vivo Use

The choice of your cytokines will influence the result of your ex vivo cell culture substantially. CellGro® GMP Cytokines combine a maximum of quality and safety with excellent performance due to our state-of-the art GMP production, quality control, and documentation systems.

The products are manufactured, tested and released in compliance with the relevant GMP guidelines. USP chapter <1043> has been considered in the design of these products. CellGro® IL-4 is worldwide the first cytokine that complies with USP chapter <92>.

CellGro® GMP Cytokines

[EGF](#)
[bFGF \(FGF-2\)](#)
[Flt-3L](#)
[GM-CSF](#)
[IL-1 beta](#)
[IL-3](#)
[IL-4 USP](#)
[IL-6](#)
[IL-7](#)
[IL-10](#)
[IL-15](#)
 IL-21*
[PDGF-BB](#)
[SCF](#)
[TNF-alpha](#)
[TPO](#)

Regulatory Compliance

validated production and QC procedure
 FDA drug master file cross reference available
 animal-derived component free production in *E. coli*
 frequent facility audits by customers and authorities

Quality controls include

specific activity (WHO standard)
 sterility (Ph. Eur.)
 endotoxin (Ph. Eur.)
 purity
 identity
 host-cell DNA
 protein content

Intended Use

for clinical ex vivo use
 not intended for human in vivo application

Documentation

certificate of analysis (batch-specific)
 drug master file cross reference (on request)
 production sheet (on request)
 product data sheet (as download)
 material safety data sheet (on request)

*) *coming soon*

【新旧対照表】

遺伝子治療臨床研究実施計画書

ページ	旧	新
5		「11 利益相反に関して -56」挿入
6	「11. 参考文献」	「12.参考文献」
8	「緒方勤」	異動のため削除
13	「HCIO-」	「CIO-」
16	「50～60%」	「60%」
17	「前処置を」	「前処置と」
18		「なお、投与量は同一レトロウイルスベクターにより遺伝子治療臨床研究を行ったNIH例に従い、体重あたり10mgとする。」挿入
19	「1%」	「10%」
23	「HCIO-」	「CIO-」
29	「ウイルス上」	「ベクター上」
29		「レトロ」挿入
29	「ウイルス」	削除
29	「ウイルス」	削除
29	「ウイルス上」	「ベクター上」
31	「ウイルス上」	「ベクター上」
32	「ウイルス上」	「ベクター上」
33	「無毒性」	「エンドトキシンに有無」
33		「レトロ」挿入
34	「ウイルス」	「レトロウイルスベクター」
35		「レトロウイルス」挿入
35		「また、ウィスコット・アルドリッチ症候群(WAS)においても同様に、治療ベクターがLMO-2遺伝子近傍に挿入されたことによる白血病の発症が報告されている。」挿入

35	「癌遺伝子を有し」	「マウスにおいて急性白血病を発症し」
38	「2002」	「2004」
38	「と有効性とは」	「が」
38	「し、その後も重篤な感染症を発症していないこと」	「したこと」
40	「1-9」	「1-8」
44		「レトロ」挿入
45	「ウイルス」	「レトロウイルスベクター」
45	「ウイルス」	「ベクター」
45	「ウイルス上」	「ベクター上」
45	「ウイルス」	「ベクター」
46		「なお、事前に行うブスルファンの試験投与にて投与量を調整することもある。」挿入
48	「遺伝子治療関連検査項目」	「特殊検査(遺伝子治療関連の検査)」
51	PCR等により定期的に遺伝子導入細胞のクロナリティーを確認し、必要に応じてその挿入部位の同定を試みる。	「抗gp91phox抗体(7D5)を用いたFACSや定量PCR法にて、患者体内の遺伝子導入細胞の動態を追跡し、必要に応じて(増加傾向が確認された場合など)、遺伝子導入細胞のクローン数を確認できるLAM-PCRを行い、その挿入部位をpyrosequence法にて同定する。」
52		「11. 利益相反に関して」挿入
56		「今回の遺伝子治療臨床研究に関わる全ての研究者、医師はいかなる企業とも利益相反関係にないことをここに示す(当センターにおけるCOI委員会に申請済)」挿入
57	「11.参考文献」	「12.参考文献」

計画概要書

ページ	旧	新
1	無菌室	無菌治療室
1	「緒方勤 国立成育医療研究センター研究所・部長 遺伝子導入効率、挿入部位等の解析」	異動のため削除
3	「HCIO-」	「CIO-」

3	「50～60%程度と」	「60%程度に」
3	「X-CGDを」	「X-CGDと」
4	「されては」	「なされては」
4	「おいてを」	「おいて」
4		「エンドトキシン」挿入
5	「無菌性・無毒性(エンドトキシン)の検査」	「無菌性、エンドトキシン試験」
5	「ウイルスベクター」	「レトロウイルスベクター」
5	「ベクター」	「レトロウイルスベクター」
5	「内在性の癌遺伝子を有し」	「マウスにおいて急性白血病を発症し
5	「MFGSgp91も」	「MFGSgp91に」
6	「ウイルスの封じ込め」	「周囲からのウイルス封じ込め」
6	「その安全性と有効性が」	「その安全性は」
6	「適当判定」	「適応判定」
7	「・無毒性」	「及びエンドトキシンがないこと」
7	「遺伝子治療関連検査項目」	「特殊検査(遺伝子治療関連の検査)」
8	<p>「3) レトロウイルスベクターの危険性 今回使用したレトロウイルスベクターより野生型レトロウイルス(RCR)が出現する可能性は極めて低い、定期的にPCR等にてRCRの存在を確認し、もし、確認されたら詳細な検査の下、抗レトロウイルス剤を使用する。 今回使用したレトロウイルスベクターにより造血系異常が発症する危険性は否定できない。ただ、下記に示すように、造血系異常を起こしやすい状況は、SCID-X1のようにT細胞が完全に欠損しており、さらに治療遺伝子が共通ガンマ鎖(γ_c)のような増殖に関わる遺伝子を使用した場合とドイツ・スイスでの慢性肉芽腫症で使われたSFFVのような強力なLTRを有するレトロウイルスベクターを使用した場合に限られる。」</p>	<p>「3) レトロウイルスベクターの危険性 今回使用したレトロウイルスベクターより野生型レトロウイルス(RCR)が出現する可能性は極めて低い、定期的にPCR等にてRCRの存在を確認し、もし、確認されたら詳細な検査の下、抗ウイルス剤等を使用する。 今回使用したレトロウイルスベクターにより造血系異常が発症する危険性は否定できない。実際、下記に示すように、SCID-X1やウィスコット・アルドリッチ症候群(WAS)のようにT細胞が欠損しているか、機能異常を示す症例ならびにドイツ・スイスでの肉芽腫症で見られたようにSFFVのような強力なLTRを有するレトロウイルスベクターを使用した場合に造血系異常が発症している。」</p>
8	「0」	「1」
8	「0/10」	「1/10」
8	「ベクター」	「レトロウイルスベクター」
8	「4年」	「5年」

8	「、骨髄異形成症候群(MDS)のような」	削除
10	「造血異常」	「造血系異常」
10	「考えられる」	「考える」

IC_4版		
ページ	旧	新
6		「また、前処置として使用するブスルファンの適量を決めるため、試験投与を行います。」挿入
6	「この検査結果」	「これら検査結果」
7	「体重による投与方法は以下の通りです。」	「体重による投与量・投与方法は以下の通りですが、薬に対する個人差があるため、予め行ったブスルファンの試験投与にてその量を調整する可能性があります。」
7		なお、投与するブスルファンの量は同様の遺伝子治療臨床研究を行ったNIHの例に従っています。
8	「治り、その後も重い感染症を発症していないことから」	「治ったことから」
		「長期的な感染症の予防に関しては、体内に残っている遺伝子導入細胞数が極端に少ないため、その効果は科学的には証明されていません。また、」挿入
8	「異なる」	「大きく異なる」
10		「また、最近ではウイスコット・アルドリッチ症候群(WAS)において遺伝子治療を受けた患者さん1名に、上記X連鎖重症複合免疫不全症での遺伝子治療で見られたのと同じ白血病が発症したと報告があります。また、使用したベクターは異なりますが、レンチウイルスベクターを用いたヘモグロビン症で、ある遺伝子(HMGA2)の近くに治療遺伝子を持った細胞が増殖したとの報告があります。」挿入
11		「(前処置を行った症例3名、前処置を行わなかった症例5名の合計8症例)」挿入
14		「なお、この臨床研究に関わる全ての研究者、医師はいかなる企業とも利益相反関係にないことをお伝えします。」挿入

CGDのパフレット

ページ	旧	新
11		「(ブスルファン使用前で5名、使用後で3名)」挿入

資料

ページ	旧	新
6	緒方勤 略歴および研究業績	異動のため削除

(照会 : 平成24年1月30日)

回答 : 平成24年2月 6日

遺伝子治療臨床研究作業委員会 照会・指摘事項

(独立行政法人国立成育医療研究センター)

1. 作業委員会での質疑応答内容を踏まえ、同意説明文書での他の臨床試験に関する記載について、再検討を行ってください。

(回答)

作業委員会での質疑応答内容を踏まえ、説明同意文書の「6. この研究の参加により期待される効果と、予想される不利益 1」期待される効果について」の項を下記のように変更致しました。なお、表における変更場所は赤字で示します。なお、改訂したICを添付します(資料1)。

今回の臨床研究では、大きく分けて2つの効果が期待されます。それは、今ある重い感染症が治まること(即時的な感染治療効果)と長期にわたり重い感染症にかからないこと(長期的な感染予防効果)です。即時的な感染治療効果に関しては、2006年にアメリカで同様の遺伝子治療を受けた慢性肉芽腫症3名のうち、2名の方において肝膿瘍や肺膿瘍などの重い感染症が軽快したことから、今回の遺伝子治療においても速やかな感染症の改善効果は期待できると思います。ただ、感染症に対する予防効果に関しては、体内に残った治療遺伝子を持つ細胞(遺伝子導入細胞)が極端に少ないため、今回の遺伝子治療において長期にわたる感染症予防効果が得られる可能性は低いかもしれません。これは、他の原発性免疫不全症(X連鎖重症複合免疫不全症やアデノシン・デアミナーゼ欠損症など)に対する遺伝子治療とは異なり、慢性肉芽腫症では治療遺伝子を持つ細胞が他の細胞より良く増える特性(これを増殖優位性とよびます)をもたないことが原因とされています。つまり、X連鎖重症複合免疫不全症やアデノシン・デアミナーゼ欠損症では、治療遺伝子を持つ細胞の方が周りの細胞より良く増えるので、体内で治療遺伝子を持つ細胞が十分に増え、その結果、長期にわたる感染症の予防効果が続くと考えられています。また、アメリカで遺伝子治療を受けた慢性肉芽腫症の3名のうち1名の方は真菌感染症が改善せず、治療効果と予防効果は全くありませんでした。具体的な内容を下記の表に示します。

	症例 1	症例 2	症例 3
年齢	28 歳	28 歳	19 歳
遺伝子導入効率	73%	41%	25%
移植直後の遺伝子導入細胞の比率	26%	5%	4%
最終的な遺伝子導入細胞の比率(期間)	0.7~1% (3年)	0%	0.03% (2年)
遺伝子治療前の感染症	ブドウ球菌の巨大肝膿瘍。3~6ヶ月ごとに感染症に罹患	真菌肺感染症(Paecilomyces)。胸部から肋骨にわたり膿瘍を形成し、2年間	アスペルギルス肺炎。1年間の抗真菌剤にても改善せず。

		のドレナージ施行	
遺伝子治療後の感染症	新たな肝膿瘍	真菌感染症のため6ヶ月後に死亡。 移植準備中	肝膿瘍を1回発症
遺伝子治療後の治療	抗生剤のみで軽快	ICU管理	外科的切除と抗菌剤にて現在は軽快
遺伝子治療の感染治療効果	あり	なし	あり
遺伝子治療の感染予防効果	不明	なし	不明

このように遺伝子治療の効果は患者さんごとで大きく異なり、また、症状の回復程度や治療効果が続く期間も患者さんによって異なることが予想されます。特に、前述のように慢性肉芽腫症では、治療遺伝子を持つ細胞が体内で増え易いという特性をもたないため、他の原発性免疫不全症で見られるような遺伝子治療の劇的な治療効果が得られない場合が多いとされています。さらに、慢性肉芽腫症に合併する腸炎に関しては造血幹細胞移植と同様に、遺伝子治療でも改善すると推測されます。しかし、これまで腸炎を合併した慢性肉芽腫症の方に対する遺伝子治療は行われておらず、腸炎に関する治療効果は不明です。

2. 平成23年11月28日付の照会事項6. に関して、「適応判定委員会」、「評価判定委員会」に外部委員を入れることを検討してください。

(回答)

「遺伝子治療臨床研究適応・評価判定委員会」の委員構成に外部委員を入れることとしました(資料2)

【新旧対照表】

IC_4版

ページ	旧	新
8	<p>「1)期待される効果について この臨床研究で行われる遺伝子治療が治療効果を示すと、現在、発症している重い感染症がおさまり、その後も慢性肉芽腫症による重い病状が発症しにくくなることが予想されます。これは、2006年に同一プロトコールで行われたアメリカの遺伝子治療で、遺伝子治療を受けた3名のうち2名の方で肝膿瘍や肺膿瘍などの感染症が治ったことから推測されます。ただ、長期的な感染症の予防に関しては、体内に残っている遺伝子導入細胞数が極端に少ないため、その効果は科学的には証明されていません。また、残念ながら残り1名の方は全く治療効果を確認できず、感染症は治癒しませんでした。具体的な内容を下記の表に示します。」</p>	<p>「1)期待される効果について 今回の臨床研究では、大きく分けて2つの効果が期待されます。それは、今ある重い感染症が治まること(即時的な感染治療効果)と長年にわたり重い感染症にかからないこと(長期的な感染予防効果)です。即時的な感染治療効果に関しては、2006年にアメリカで同様の遺伝子治療を受けた慢性肉芽腫症3名のうち、2名の方において肝膿瘍や肺膿瘍などの重い感染症が軽快したことから、今回の遺伝子治療においても速やかな感染症の改善効果は期待できると思います。ただ、感染症に対する予防効果に関しては、体内に残った治療遺伝子を持つ細胞(遺伝子導入細胞)が極端に少ないため、今回の遺伝子治療において長年にわたる感染症予防効果が得られる可能性は低いかもしれません。これは、他の原発性免疫不全症(X連鎖重症複合免疫不全症やアデノシン・デアミナーゼ欠損症など)に対する遺伝子治療とは異なり、慢性肉芽腫症では治療遺伝子を持つ細胞が他の細胞より良く増える特性(これを増殖優位性とよびます)をもたないことが原因とされています。つまり、X連鎖重症複合免疫不全症やアデノシン・デアミナーゼ欠損症では、治療遺伝子を持つ細胞の方が周りの細胞より良く増えるので、体内で治療遺伝子を持つ細胞が十分に増え、その結果、長年にわたる感染症の予防効果が続くと考えられています。また、アメリカで遺伝子治療を受けた慢性肉芽腫症の3名のうち1名の方は真菌感染症が改善せず、治療効果と予防効果は全くありませんでした。具体的な内容を下記の表に示します。」</p>
8	<p>表内最下段 「遺伝子治療の感染予防効果 あり なし あり」</p>	<p>表内最下段 「遺伝子治療の感染治療効果 あり なし あり 遺伝子治療の感染予防効果 不明 なし 不明」</p>

8	<p>「このような遺伝子治療の効果は患者さんごとで異なり、また、症状の回復程度や治療効果が続く期間も患者さんによって大きく異なることが予想されます。慢性肉芽腫症により発症する腸炎に関しては造血幹細胞移植により治ることから、今回の遺伝子治療により良くなることは期待されますが、現在まで腸炎に対しての遺伝子治療は行われておらず、その治療効果に関しては断定できません。」</p>	<p>「このように遺伝子治療の効果は患者さんごとで大きく異なり、また、症状の回復程度や治療効果が続く期間も患者さんによって異なることが予想されます。特に、前述のように慢性肉芽腫症では、治療遺伝子を持つ細胞が体内で増えやすいという特性をもたないため、他の原発性免疫不全症で見られるような遺伝子治療の劇的な治療効果が得られない場合が多いとされています。さらに、慢性肉芽腫症に合併する腸炎に関しては造血幹細胞移植と同様に、遺伝子治療でも改善すると推測されます。しかし、これまで腸炎を合併した慢性肉芽腫症の方に対する遺伝子治療は行われておらず、腸炎に関する治療効果は不明です。」</p>
---	--	---

添付資料1「実施施設の市悦設備状況」

ページ	旧	新
1	(独)国立成育医療研究センター病院・8階西病棟・無菌治療室	(独)国立成育医療研究センター病院・8階西病棟・細胞治療室

カルタヘナ

ページ	旧	新
4	無菌治療室 マウス	細胞治療室 マスク
6	レトロウイルスベクター	遺伝子組換え生物
8	本遺伝子組換え生物(レトロウイルスベクター)	本遺伝子組換え生物
10	本遺伝子組換え生物(レトロウイルスベクター)	本遺伝子組換え生物
11	7AD	7D5
13	無菌治療室 マウス	細胞治療室 マスク
14	無菌治療室 本遺伝子組換え生物(レトロウイルスベクター) MFGSgp91の活性を認めた症例はない。	細胞治療室 本遺伝子組換え生物 患者体内にRCRを検出していない。

遺伝子治療臨床研究に係る生物多様性影響
評価に関する作業委員会

平成 24 年 1 月 13 日（金） 16:00～18:30

2012年1月13日 厚生科学審議会科学技術部会第11回遺伝子治療臨床研究に係る生物多様性影響評価に関する作業委員会議事概要

厚生労働省大臣官房厚生科学課

- 日時 平成24年1月13日（金）16:00～18:30
- 場所 厚生労働省 共用第6会議室（2階）
- 出席者
（委員）
小渕委員長、島田委員長代理
斎藤委員、山口委員

- 議事
議事概要
（概要は以下のとおり。）
九州大学病院及び国立成育医療研究センターより申請のあった遺伝子治療臨床研究に係る「第一種使用規程承認申請（別紙1及び2参照）」に関する生物多様性影響の評価について、審議が行われた。
その結果、申請のあった第一種使用規程及び生物多様性影響評価書に関しては、概ね妥当であるが、使用規程等の記録について、事務局より申請者に記載整備を指示することとされ、記録を整備した上で、委員長の確認を得た後に、別途行われている遺伝子治療臨床研究作業委員会で遺伝子治療臨床研究実施計画についての審議が終了した後、併せて科学技術部会に報告することとされた。
引き続き、三重大学医学部附属、大阪大学医学部附属病院及び田附興風会医学研究所北野病院より申請のあった遺伝子治療臨床研究に係る「第一種使用規程承認申請（別紙3参照）」に関する生物多様性影響の評価について、審議が行われた。
その結果、申請のあった第一種使用規程及び生物多様性影響評価書に関しては、妥当であるとされ、科学技術部会に報告することとされた。
引き続き、東京大学医学部附属より申請のあった遺伝子治療臨床研究に係る「第一種使用規程承認申請（別紙4参照）」に関する生物多様性影響の評価について、審議が行われた。
その結果、申請のあった第一種使用規程及び生物多様性影響評価書に関しては、概ね妥当であるが、患者の個差管理に関する事項に関する、各委員からの指摘について、事務局より申請者に照会し、その回答を確認することが必要とされた。その上で科学技術部会に報告することとされた。

（別紙2）遺伝子治療臨床研究に係る「遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律」に基づく第一種使用規程承認申請の内容
（平成24年1月13日書送分）

申請者	国立成育医療研究センター 総長
申請年月日	平成23年9月29日
遺伝子組換え生物等の種類の名	ヒトcytochrome b-245,beta polypeptide (CYBB) 遺伝子を含み、マウスアノフトロピックウイルス4070Aのエンペロープタンパク質を有する増殖能欠損型モロニーマウス白血病ウイルスベクター-MFGSgp91
遺伝子組換え生物等の第一種使用等の内容	治療施設におけるヒト遺伝子治療を目的とした使用、保管、運搬及び廃棄並びにこれらに付随する行為
治療施設の名	国立成育医療研究センター病院及び研究所
備考	遺伝子治療臨床研究実施計画（平成23年9月29日申請）については、厚生科学審議会科学技術部会遺伝子治療臨床研究作業委員会において現在審査中。 研究の名称：慢性肉芽腫症に対する造血幹細胞を標的とした遺伝子治療臨床研究

遺伝子治療臨床研究に係る生物多様性影響評価に関する作業委員会委員名簿

- 氏 名 所 属
- 岩崎 一弘 （独）国立環境研究所主任研究員
 - 小渕 敬也 （自治医科大学医学部教授）
 - 神田 忠仁 ((独)理化学研究所新興・再興感染症研究ネットワーク推進センター業務展開チーム チームリーダー)
 - 斎藤 泉 （東京大学医科学研究所遺伝子解析施設教授）
 - 島田 隆 （日本医科大学医学部教授）
 - 早川 秀夫 （近畿大学薬学総合研究所所長）
 - 山口 照英 （国立医薬品食品衛生研究所生物薬品部研究員）

○委員長 （五十音順 敬称略 平成24年1月13日）

<照会先>
厚生労働省大臣官房厚生科学課

担当 研究企画官 尾崎 （内線3803）
バイオテクノロジー専門官 高畑 （内線3820）

電話 03(5253)1111 ((代表))
03(3595)2171 (直通)

○ 第一種使用規程承認申請書及び生物多様性影響評価書

36. 申請書等に記載されている施設名と別紙8の施設名を同じとして下さい。
(クリーンルームとの表記)

(回答)

了解しました。「無菌治療室」に変更致します。

37. 生じうる RCR も MoMLV と同等だと考えられ、微量の RCR が生物多様性に影響を与える可能性は無いと思われませんが、RCR 出現の可能性に関する記載の追加を行ってください。(RCR は、パッケージング細胞に存在するレトロウイルス cDNA とベクターゲノムの組換えによって生じます。使用された 293-SPA 細胞の作成過程の説明から、gag/pol と env 遺伝子が細胞染色体の異なる部位に組み込まれていると思われませんが、異なる部位に組み込まれていれば、RCR の出現には二度の組換えが必要になり、出現の可能性は極めて低くなります。)

(回答)

了解しました。

評価書 (p10) に記載しました。

「ただ、今回使用するパッケージング細胞株 293-SPA において MoMLV 由来 gag-pol および env 遺伝子は個別のベクターによってその発現が誘導されるため、RCR が出現するための遺伝子組換えは二度必要となる。よって、遺伝子組換えによる RCR 出現の可能性は極めて低いと考えられる。」

【新旧対照表】

生物多様性評価書

ページ	旧	新
3	「クリーンルーム」	「無菌治療室」
10		「ただ、今回使用するパッケージング細胞株 293-SPAにおいてMoMLV由来gag-polおよびenv遺伝子は個別のベクターによってその発現が誘導されるため、RCRが出現するための遺伝子組換えは二度必要となる。よって、遺伝子組換えによるRCR出現の可能性は極めて低いと考えられる。」挿入

(照会 : 平成24年2月2日)

回答 : 平成24年2月6日

生物多様性影響評価に関する作業委員会 照会・指摘事項

(独立行政法人国立成育医療研究センター)

○生物多様性影響評価書

1. P. 8 及び P. 14 において、(レトロウイルスベクター) と記載していますが、却って混乱する記載とと思われますので、削除してください。

(回答)

削除致しました(資料3)

2. P. 11 に (7AD) とありますが、(7D5) の間違いであると思われるので、修正してください。

(回答)

修正致しました。

3. P. 13 の 4) に「環境中への拡散防止措置を適切に執った個室(以下「無菌治療室」と記す)」とありますが、無菌治療室は陽圧であるべきですので、矛盾した記載となっています。適切に修正してください。

(回答)

名称を「細胞治療室」に変更致しました。なお、実施計画書・添付資料1「実施施設の施設設備状況」の名称も同様に変更致しました(資料4)

4. P. 13 の 5) に「マウス及びガウン」とありますが、「マスク」の間違いであると思われるので、修正してください。

(回答)

修正致しました。

5. P. 14 において、「治療を受けた3名に患者においても MFGSgp91 の活性を認めた症例はない」との記載がありますが、この組換え体を認めていないということでしょうか? より分かりやすい記載となるよう修正してください。

(回答)

下記の様に修正致しました。

「また、治療を受けた3名に患者においても患者体内にRCRを検出していない。」

6. 上記1～5の修正点について、必要に応じて第一種使用規程も同様に修正してください。

(回答)

上記1～5の修正点に従い、同様に修正致しました。

IV. 資 料

平成 23 年 1 月 24 日

遺伝子治療研究倫理審査結果通知書

独立行政法人
国立成育医療研究センター総長 殿

遺伝子治療研究臨床研究審査委員会
委員長 大橋 十也



審査課題 慢性肉芽腫症に対する造血幹細胞を標的とした遺伝子治療臨床研究

申請者 小野寺 雅史 (国立成育医療センター成育遺伝研究部長)

平成 22 年 12 月 20 日付にて審査を行った標記実施計画申請書について、当委員会の審査結果を下記のとおり報告します。

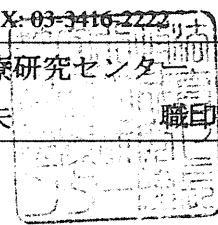
承認 条件付き承認 不承認 継続審査

遺伝子治療臨床研究実施計画申請書

平成 23 年 9 月 29 日
(一部修正) 平成 24 年 2 月 6 日

厚生労働大臣 殿

実 施 施 設	所在地	〒157-8535 東京都世田谷区大蔵 2-10-1
	名 称	(独) 国立成育医療研究センター TEL: 03-3416-0181、FAX: 03-3416-2222
	代 表 者 役職名・氏名	(独) 国立成育医療研究センター 総長 加藤 達夫 職印



下記の遺伝子治療臨床研究について、別添の実実施計画に対する意見を求めます。

記

遺 伝 子 治 療 臨 床 研 究 の 課 題 名	総括責任者の所属・職・氏名
慢性肉芽腫症に対する造血幹細胞を標的とした 遺伝子治療臨床研究	(独)国立成育医療研究センター 研究所成育遺伝研究部 部長 小野寺 雅史