

協力をお願いいたします。

遺伝子治療の方法

この遺伝子治療では、患者さんより血球分離装置を用いて末梢血から造血幹細胞を採取します。採取した造血幹細胞にレトロウイルスベクターを用いて正常 CYBB 遺伝子を導入し、再び患者さんへ点滴を行う治療をします。

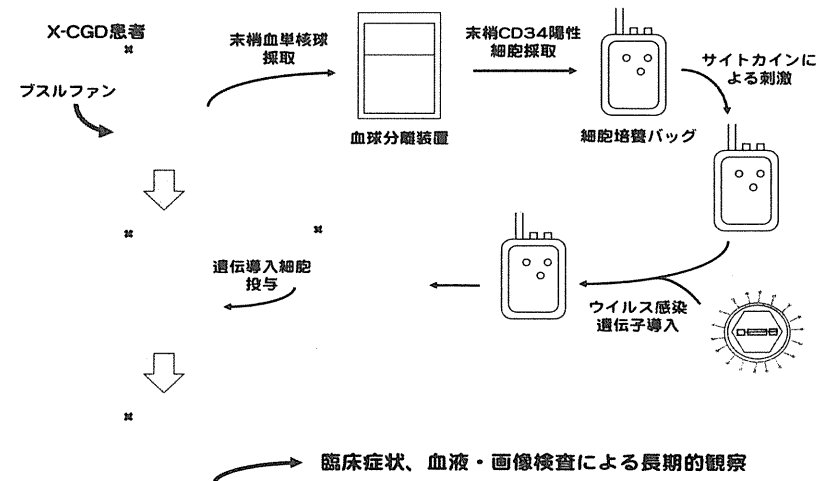
遺伝子導入を行った、造血幹細胞が生着させるため、前処置として、ブスルファンを使用します。

慢性肉芽腫症の患者さんを対象とした

遺伝子治療について

この遺伝子治療は、独立行政法人 国立成育医療研究センターの免疫科で、遺伝子治療の有効性と安全性を確認する臨床研究です。

この遺伝子治療は、慢性肉芽腫症の患者さんに対して、従来の治療法では、根治治療が難しくまた、同種造血幹細胞移植（血縁者からの移植）が困難な方を対象として、治療を行っています。遺伝子治療を行った後、少なくとも5年間は、この治療の有効性と安全性を確認するため情報収集を行っています。そのため、遺伝子治療を行った後、患者さんが感染症に罹患した回数や、抗生剤の使用状況、血液検査の結果などの情報が必要となります。情報提供にご



別添 2 :

個人情報關係

国立成育医療センター個人情報取扱細則

(目的)

第1条 国立成育医療センターで取り扱う個人情報については、情報の漏えいが生じた場合には行政事務の停止や社会的信用の失墜の要因となる可能性がある。本書は、このようなリスクに対し、当センターの職員が個人情報を外部への持ち出し又は送付を行う場合に必要な事項を定める。

(対象)

第2条 本書は、国立成育医療センターの職員を対象とする。

(定義)

第3条 個人情報とは、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）第2条第2項に規定する個人情報をいう。

(許可)

第4条 個人情報を当センター外へ持ち出し又は送付する場合は、以下の条件を遵守するものとして許可する。職員は、本条件を遵守する旨を「個人情報持出誓約書」に記載し、総括個人情報保護管理者に提出すること。

(情報の持ち出しにおける条件)

- 第5条 職員は、行政事務の遂行以外の目的で、個人情報を当センター外に持ち出さないこと。
- 職員は、行政事務の遂行の目的で、個人情報を当センター外に持ち出す場合には、個人を特定できる情報を必要最小限にとどめること。
 - 職員は、行政事務の遂行の目的で、個人情報を当センター外に持ち出す場合には、持出先を必要最小限にとどめること。
 - 職員は、個人情報である書面又は保存された電磁的記録媒体を当センター外に持ち出す場合には、安全確保のため、以下の措置を講ずること。
外見から個人情報であることが分からないようにすること。
携行する場合には、封筒、書類鞆等に収め、当該封筒、書類鞆等の盗難、置き忘れ等に注意すること。(USBメモリについては、ネックストラップを使用するなどし、盗難、置き忘れ等の防止に取り組むこと。)
 - 職員は、個人情報が保存された電磁的記録媒体を当センター外に持ち出す場合には、第2項から第4項までの措置に加え、以下の方法を用いて当該記録媒体に保存された情報を保護すること。
暗号化ソフト等により情報を暗号化すること。
機密性が高いと判断される場合には、複数の情報に分割して、それぞれ異なる経路を用いて情報を移送すること。

(情報の送信における条件)

- 第6条 職員は、行政事務の遂行以外の目的で、個人情報を当センター外に送信しないこと。
- 職員は、行政事務の遂行の目的で、個人情報を当センター外に送信する場合には、送信先を必要最小限にとどめること。
 - 職員は、個人情報である電磁的記録を当センター外に送信する場合には、以下の方法を用いて

当該情報を保護すること。

- 暗号化ソフト等により電磁的記録を暗号化すること。
- 機密性が高いと判断される場合には、複数の情報に分割して、それぞれ異なる経路を用いて情報を送信すること。

(情報の利用)

第7条 職員は、個人情報保存された電磁的記録媒体を当センター外で利用する場合には、紛失及び盗難から保護するために、以下の措置を講ずること。

- 電磁的記録媒体を利用中に長時間離席するなど適切な保護が行えない場合には、当該電磁的記録媒体を放置せずに、施錠可能な保管庫、棚等に保管すること。
- 電磁的記録媒体の利用が終了した場合には、当該電磁的記録媒体を机上に放置せずに、施錠可能な保管庫、棚等に保管すること。

2 職員は、個人情報である書面又はこれが含まれる電磁的記録を必要以上に複製しないこと。

(情報の消去)

第8条 職員は、電磁的記録媒体に保存された個人情報について、保存の理由となった業務事務の遂行目的が達成された等、保存する理由が滅失した場合には、速やかに当該情報を消去すること。

(付則)

本細則は平成21年7月1日より施行する。

保有個人情報管理規程

国立成育医療センター

国立成育医療センターにおける保有個人情報管理規程概要

第1章 総則

- ・ 保有個人情報管理体制の整備
- ・ 総括保護管理者、副総括保護管理者、病院等保護管理者、保護管理者、保護担当者等の設置
- ・ 個人情報の適切な管理のための委員会の設置
- ・ 職員の責務の明確化（法令の遵守等）

第2章 保有個人情報の取扱い

- ・ アクセス権限を有する者の制限
- ・ 複製、送信、外部への送信又は持ち出しなどの制限
- ・ 媒体の適切な管理
- ・ 復元又は判読不可能な方法による廃棄等
- ・ 台帳等による取扱状況の記録

第3章 情報システムの安全確保等

- ・ 認証機能の設定等によるアクセス制御
- ・ アクセス記録の保存、分析
- ・ ファイアウォールの設定等による不正アクセスの防止
- ・ コンピュータウィルスによる漏えい等の防止
- ・ 端末の盗難防止等（端末の固定、執務室の施錠等）

第4章 情報処理機器室等の安全管理

- ・ 入退室の管理（入室権限の制限、用件の確認、入退室の記録等）
- ・ 情報処理機器室等の管理（不正侵入対策、防火対策等）

第5章 保有個人情報の提供及び業務の委託等

- ・ 行政機関及び独立行政法人等以外の者に保有個人情報を提供する場合の措置（利用目的、利用するデータの範囲等の書面による確認等）
- ・ 保有個人情報の取扱いに係る業務を委託する場合の措置（適切な委託先の選定、契約書等の記載事項等）

第6章 安全確保上の対応及び第7章雑則

- ・ 保有個人情報の漏えい等安全確保の上で問題となる事案が発生した場合の報告

及び再発防止策の実施、事実関係の公表等

- 教育研修の実施
- 管理の状況についての指導監督の実施
- 各課における記録媒体、保管方法等の点検の実施
- 措置の評価及び見直し等

国立成育医療センター保有個人情報管理規程

目次

- 第1章 総則（第1条—第8条）
- 第2章 保有個人情報の取扱い（第9条—第14条）
- 第3章 情報システムの安全確保等（第15条—第26条）
- 第4章 情報処理機器室等の安全管理（第27条—第30条）
- 第5章 保有個人情報の提供及び業務の委託等（第31条—第35条）
- 第6章 安全確保上の対応（第36条—第41条）
- 第7章 雑則（第42条—第47条）
- 附則

第1章 総則

（目的）

第1条 この規程は、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。以下「法」という。）第6条及び厚生労働省保有個人情報管理規程（平成17年厚生労働省訓第3号）の規定に基づき、国立成育医療センター（以下「センター」という。）の保有する個人情報の適切な管理のために必要な措置について定め、その保有個人情報の漏えい、滅失、き損等を防止し、適正な管理を図ることを目的とする。

（定義）

- 第2条 この規程において「個人情報」とは、法第2条第2項に規定する個人情報をいう。
- 2 この規程において、「保有個人情報」とは、法第2条第3項の保有個人情報のうち、センターが保有しているものをいう。
- 3 この規程において「病院等」とは、センターに置かれる運営局、病院及び研究所をいい、「病院長等」とは、これらの運営局、病院及び研究所の長をいう。
- 4 この規程において「課等」とは、センターに置かれる部、課及び室をいい、「課長等」とは、別表に掲げる部、課及び室の長をいう。
- 5 この規程において「情報システム」とは、ハードウェア、ソフトウェア、ネットワーク及び記録媒体で構成されるものであって、これら全体で業務処理を行うものをいう。

（保有個人情報の管理に関する事務）

第3条 運営局長は、センターにおける総括個人情報保護管理者として、保有個人情報の管理に関する規程類の整備、保有個人情報の管理に関する指導監督、教育研修の実施その他のセンターにおける保有個人情報の管理に関する事務を総括するものとする。

第4条 庶務課長は、センターにおける副総括個人情報保護管理者として、センターにおける保有個人情報の管理に関する事務に関して運営局長を補佐する。

- 2 庶務課長は、庶務課の職員に総括個人情報保護担当者として、庶務課長が処理することとされた事務を行わせることができる。

第5条 保有個人情報を取り扱う院長等は、病院等個人情報保護管理者として、当該病院等における保有個人情報の管理に関する事務を総括するものとする。

2 病院長等は、病院等の職員のうちから主任個人情報保護担当者を指名し、病院長等が処理することとされた事務を行わせることができる。

3 前項に規定する主任個人情報保護担当者は、前条第二項に規定する総括個人情報保護担当者を兼務することができる。

第6条 保有個人情報を取り扱う課等の課長等は、個人情報保護管理者として、各課等における保有個人情報を適切に管理するものとする。

2 課長等は、当該課等の職員のうちから個人情報保護担当者を指名することができる。

3 個人情報保護担当者は、課長等を補佐し、当該課等における保有個人情報の管理する事務を担当する。

(保有個人情報の適切な管理のための委員会)

第7条 運営局長は、保有個人情報の管理に係る重要事項の決定、連絡・調整等を行うため、必要があると認めるときは、委員会を設け、随時に開催することができる。

(職員の責務)

第8条 保有個人情報の取扱いに従事する職員は、法の趣旨に則り、関連する法令及び規程等の定め並びに運営局長、病院長等、庶務課長、課長等、総括個人情報保護担当者、主任個人情報保護担当者及び個人情報保護担当者の指示に従い、保有個人情報を取り扱わなければならない。

第2章 保有個人情報の取扱い

(アクセス制限)

第9条 課長等は、保有個人情報の秘匿性等その内容に応じて、当該保有個人情報にアクセスをする権限（以下「アクセス権限」という。）を有する者をその利用目的を達成するために必要最小限の職員に限るものとする。

2 アクセス権限を有しない職員は、保有個人情報にアクセスをしてはならない。

3 職員は、アクセス権限を有する場合であっても、業務上の目的以外の目的で保有個人情報にアクセスをしてはならない。

(複製等の制限)

第10条 職員は、保有個人情報の複製、送信、外部への送付又は持ち出し等の業務を行うときは、「個人情報取扱細則」に従うものとする。

(誤りの訂正等)

第11条 職員は、保有個人情報の内容に誤り等を発見した場合には、課長等の指示に従い、訂正等を行うものとする。

(媒体の管理等)

第12条 職員は、課長等の指示に従い、保有個人情報が記録されている媒体を定められた場所に保管するとともに、必要に応じ、耐火金庫等への保管、施錠等を行うものとする。

(廃棄等)

第13条 職員は、保有個人情報又は保有個人情報が記録されている媒体（端末及びサーバに内蔵されているものを含む。）が不要となった場合には、課長等の指示に従い、当該保有個人情報の復元又は判読が不可能な方法による当該情報の消去又は当該媒体の廃棄を行うものとする。

（保有個人情報の取扱状況の記録）

第14条 課長等は、必要に応じて保有個人情報の秘匿性等その内容に応じた台帳等を整備して、当該保有個人情報の利用及び保管等の取扱いの状況について記録するものとする。

第3章 情報システムの安全確保等

（アクセス制御）

第15条 課長等（情報システムを取り扱う課長に限る。以下この章及び次章において同じ。）は、保有個人情報（情報システムで取り扱うものに限る。以下この章（第21条を除く。）及び次章において同じ。）の秘匿性等その内容に応じて、パスワード等（パスワード、ICカード、生体情報等をいう。以下同じ。）を使用して権限を識別する機能（以下「認証機能」という。）を設定する等のアクセス制御のために必要な措置を講ずるものとする。

第16条 課長等は、前条の措置を講ずる場合には、パスワード等の管理に関する定め（整備（その定期又は随時の見直しを含む。）、パスワード等の読取防止等を行うために必要な措置を講ずるものとする。

2 職員は、自己の利用する保有個人情報に関して認証機能が設定されている場合、その認証機能の適切な運用を行うものとする。

（アクセス記録）

第17条 課長等は、保有個人情報の秘匿性等その内容に応じて、当該保有個人情報へのアクセス状況を記録し、その記録（以下「アクセス記録」という。）を一定の期間保存し、及びアクセス記録を定期的に又は随時に分析するために必要な措置を講ずるものとする。

2 課長は、アクセス記録の改ざん、窃取又は不正な消去の防止のために必要な措置を講ずるものとする。

（外部からの不正アクセスの防止）

第18条 課長等は、保有個人情報を取り扱う情報システムへの外部からの不正アクセスを防止するため、ファイアウォールの設定によるネットワーク経路制御等の必要な措置を講ずるものとする。

（コンピュータウイルスによる漏えい等の防止）

第19条 課長等は、コンピュータウイルスによる保有個人情報の漏えい、滅失又はき損の防止のため、コンピュータウイルスの感染防止等に必要な措置を講ずるものとする。

（暗号化）

第20条 課長等は、保有個人情報の秘匿性等その内容に応じて、その暗号化のために必要な措置を講ずるものとする。

(入力情報の照合等)

第21条 職員は、情報システムで取り扱う保有個人情報の重要度に応じて、入力原票と入力内容との照合、処理前後の当該保有個人情報の内容の確認、既存の保有個人情報との照合等を行うものとする。

(バックアップ)

第22条 課長等は、保有個人情報の重要度に応じて、バックアップを作成し、分散保管するために必要な措置を講ずるものとする。

(情報システム設計書等の管理)

第23条 課長等は、保有個人情報に係る情報システムの設計書、仕様書、ネットワーク構成図等の文書について漏えい等が行われないよう、その保管、複製、廃棄等について必要な措置を講ずるものとする。

(端末の限定)

第24条 課長等は、保有個人情報の秘匿性等その内容に応じて、その処理を行う端末を限定するために必要な措置を講ずるものとする。

(端末の盗難防止等)

第25条 課長等は、端末の盗難又は紛失の防止のため、端末の固定、執務室の施錠等の必要な措置を講ずるものとする。

2 職員は、課長等が必要があると認めるときを除き、端末を外部へ持ち出し、又は外部から持ち込んで서는ならない。

(第三者の閲覧防止)

第26条 職員は、端末の使用に当たっては、保有個人情報が第三者に閲覧されないよう、使用状況に応じて情報システムからログオフを行うことを徹底する等の必要な措置を講ずるものとする。

第4章 情報処理機器室等の安全管理

(入退室の管理)

第27条 課長等は、保有個人情報を取り扱う基幹的なサーバ等の機器を設置する部屋(以下「情報処理機器室」という。)に入室する権限を有する者を定めるとともに、用件の確認、入退室の記録、部外者の識別、部外者が入室する場合の職員の立会い等の措置を講ずるものとする。

2 課長等は、必要があると認めるときは、情報処理機器室の出入口の特定、所在表示の制限等の措置を講ずるものとする。

3 課長等は、情報処理機器室の入退室の管理について、必要があると認めるときは、入室に係る認証機能を設定し、及びパスワード等の管理に関する定めを整備(その定期又は随時の見直しを含む。)、パスワードの読取防止等を行うために必要な措置を講ずるものとする。

(情報処理機器室の管理)

第28条 課長等は、外部からの不正な侵入に備え、情報処理機器室に施錠装置、警報装置、監視設備等の設置等の措置を講ずるものとする。

2 課長等は、災害等に備え、情報処理機器室に、耐震、防火、防煙、防水等の必要な措置を講ずるとともに、サーバ等の機器の予備電源の確保、配線の損傷防止等の措置を講ずるものとする。

(保管施設の管理)

第29条 課長等は、保有個人情報を記録する電磁的記録媒体を保管するための施設を設けている場合において、必要があると認めるときは、前2条に規定する措置に準じて、所要の措置を講ずるものとする。

(執務室等に設置する場合の特例)

第30条 課長等は、情報処理機器室について、専用の部屋を確保するのが困難である等の理由により執務室内にサーバ等を設置する場合において、必要があると認めるときは、第27条及び第28条に規定する措置に準じて、所要の措置を講ずるものとする。

第5章 保有個人情報の提供及び業務の委託等

(保有個人情報の提供)

第31条 課長等は、法第8条第2項第3号及び第4号の規定に基づき他の行政機関及び独立行政法人等以外の者に保有個人情報を提供する場合には、原則として、提供先における利用目的、利用する業務の根拠法令、利用する記録範囲及び記録項目、利用形態等について書面を取り交わすものとする。

第32条 課長等は、法第8条第2項第3号及び第4号の規定に基づき行政機関及び独立行政法人等以外の者に保有個人情報を提供する場合には、安全確保の措置を要求するとともに、必要があると認めるときは、提供前又は随時に実地の調査等を行い措置状況を確認し、その結果を記録するとともに、改善要求等の措置を講ずるものとする。

第33条 課長等は、法第8条第2項第3号の規定に基づき行政機関又は独立行政法人等に保有個人情報を提供する場合において、必要があると認めるときは、前2条に規定する措置を講ずるものとする。

(業務の委託等)

第34条 課長等は、保有個人情報の取扱いに係る業務を外部に委託する場合には、個人情報の適切な管理を行う能力を有しない者を選定することがないよう、必要な措置を講ずるものとする。また、契約書に、次に掲げる事項を明記するとともに、委託先における責任者等の管理体制、個人情報の管理の状況についての検査に関する事項等の必要な事項について書面で確認するものとする。

- (1) 個人情報に関する秘密保持等の義務
- (2) 再委託の制限又は条件に関する事項
- (3) 個人情報の複製等の制限に関する事項

- (4) 個人情報の漏えい等の事案の発生時における対応に関する事項
- (5) 委託終了時における個人情報の消去及び媒体の返却に関する事項
- (6) 違反した場合における契約解除の措置
- (7) その他必要な事項

第35条 保有個人情報の取扱いに係る業務を派遣労働者によって行わせる場合には、労働者派遣契約書に秘密保持義務等個人情報の取扱いに関する事項を明記するものとする。

第6章 安全確保上の問題への対応

(事案の報告及び再発防止措置)

第36条 保有個人情報の漏えい等安全確保の上で問題となる事案が発生した場合に、その事実を知った職員は、速やかに当該保有個人情報を管理する課長等に報告しなければならない。

第37条 課長等は、被害の拡大防止又は復旧等のために必要な措置を講じなければならない。

第38条 課長等は、事案の発生した経緯、被害状況等を調査し、病院長等及び運営局長に報告しなければならない。ただし、特に重大と認める事案が発生した場合には、直ちに運営局長に当該事案の内容等について報告しなければならない。

第39条 課長等は、事案の内容等に応じ、運営局長の指示に基づき当該事案の内容、経緯、被害状況等を総長等に速やかに報告しなければならない。

第40条 課長等は、事案の発生した原因を分析し、再発防止のために必要な措置を講じなければならない。

(公表等)

第41条 課長等は、事案の内容、影響等に応じて、事実関係及び再発防止策の公表、当該事案に係る本人への対応等の措置を講じなければならない。

第7章 雑則

(教育研修)

第42条 運営局長は、保有個人情報の取扱いに従事する職員に対し、保有個人情報の取扱いについて理解を深め、個人情報の保護に関する意識の高揚を図るための啓発その他必要な教育研修を行うものとする。

2 運営局長は、保有個人情報を取り扱う情報システムの管理に関する事務に従事する職員に対し、保有個人情報の適切な管理のために、情報システムの管理、運用及びセキュリティ対策に関して必要な教育研修を行うものとする。

3 課長等は、当該課等の職員に対し、保有個人情報の適切な管理のために、運営局長の実施する教育研修への参加の機会を付与する等の必要な措置を講ずるものとする。

(監査等)

第43条 運営局長は、保有個人情報の適切な管理について必要があると認めるときは、

病院長等又は課長等に対し保有個人情報の管理の状況について報告を求め、又は監査を行うことができる。

(点検)

第44条 課長等は、必要に応じ自ら管理責任を有する保有個人情報の記録媒体、処理経路、保管方法等について点検を行い、必要があると認めるときは、その結果を病院長等及び運営局長に報告するものとする。

(評価及び見直し)

第45条 病院長等及び課長等は、保有個人情報の適切な管理のため、前条の点検の結果等を踏まえ、実効性等の観点から保有個人情報の記録媒体、処理経路、保管方法等を評価し、必要があると認めるときは、職員への教育研修の実施及び業務改善等を行うものとする。

(保有個人情報の管理の細則)

第46条 センターの保有する個人情報の管理に関し、この規程に定めるもののほか、「病院情報システム運用管理規程」「診療情報諸記録管理規程」「診療情報の2次利用に関する規程」「倫理委員会規程」「病院遺伝子検査取扱規程」の定めるところによるものとする。

2 センターの保有個人情報の管理に関する必要事項は、運営局長が定めるものとする。

第47条 課長等は、必要に応じ個人情報の特性及び利用・管理の実態に応じて、保有個人情報の適切な管理に関する定めを作成するものとする。

附 則

この規程は、平成17年4月1日から施行する。

附 則

この規程は、平成17年10月1日から施行する。

附 則

この規程は、平成18年10月1日から施行する。

附 則

この規程は、平成20年4月1日から施行する。

附 則

この規程は、平成20年10月1日から施行する。

附 則

この規程は、平成21年4月1日から施行する。

附 則

この規程は、平成21年7月1日から施行する。

別添 3 :

本遺伝子治療臨床研究に対する Malech 博士の同意書



Harry L. Malech, M.D., Chief
Laboratory of Host Defenses
National Institute of Allergy and Infectious Diseases

National Institutes of Health
Building 10-CRC, Room 5-3750
10 CENTER DR MSC 1456
BETHESDA, MD 20892-1456

TEL: (301) 480-6916
FAX: (301) 402-0789
Email: hmalech@nih.gov

June 1, 2009

Masafumi Onodera, MD, PhD
Director, Department of Genetics
National Research Institute for Child Health and Development
2-10-1 Okura, Setagaya-ku, Tokyo, Japan, 157-8535

Dear Dr. Onodera,

It is my pleasure to confirm that Dr. Elizabeth M. Kang and I, and the others of my staff involved in clinical and basic research related to development of gene therapy for X-linked chronic granulomatous disease (CGD) in the Genetic Immunotherapy Section of the Laboratory of Host defenses, National Institute of Allergy and Infectious Diseases, National Institutes of Health, are fully committed to providing support as external collaborators for the execution of your gene therapy clinical trial of "Gene Therapy Clinical Trial for Chronic Granulomatous Disease Targeting the Patients' Hematopoietic Stem Cells" that is currently under development and review in Japan.

I understand that in this study you plan to utilize the same MFGSgp91 vector that we currently are using to treat our patients in an ongoing clinical trial of gene therapy for X-linked CGD here at the NIH. It is our intent to provide to you a portion of the same vector lots we are using in our our clinical trial. Similar to our clinical trial you will use this vector for the transfer and expression of the human CYBB gene into X-linked CGD patient hematopoietic stem cells (CD34+ cells) to control severe infection. We originally developed this vector in 1998 with subsequent production of other lots of the vector, and we now have a consolidated experience in its clinical use here at NIH hospital, where Dr. Kang is the clinical Principle Investigator coordinating the clinical studies in context of these CGD treatments. We are also ready to provide you with the up to date information on gene therapy including our trials being performed. Once you have received your regulatory approvals of your final version of your protocol, we will provide those documents to our IRB and other regulatory agencies including the FDA to allow us to send vector to you for your clinical trial. I hope that this letter provides evidence of our full support and enthusiasm in assisting you with the definition and the execution of your gene therapy clinical trial in Japan.

Sincerely,

Harry L. Malech, M.D.

2009年6月1日

国立成育医療センター

成育遺伝部 部長

小野寺 雅史先生

私と Elizabeth M. Kang 博士は、米国国立衛生研究所・国立アレルギー感染症部門・宿主防御研究室 (Laboratory of Host Defenses, National Institute of Allergy and Infectious Diseases, National Institutes of Health) で X 連鎖慢性肉芽腫症に対する遺伝子治療を行っています。関連する臨床・基礎研究スタッフを含め我々は、現在日本で計画される“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”を実施する上で、外部の共同研究者として全面的に支援することを約束しそれを承認します。

貴研究では、X 連鎖慢性肉芽腫症に対する遺伝子治療で我々が NIH で患者治療に用いた MFGSgp91 ベクターと同一ベクターを利用します。そのため、我々の研究で用いたものと同じのベクターを貴方へ分配することを決定します。貴方では、我々の臨床研究と同様に重症感染症を制御する目的で、ヒト *CYBB* 遺伝子を X 連鎖慢性肉芽腫症患者の造血幹細胞 (CD34+細胞) へ導入・発現するためにこのベクターを使用します。このベクターはそもそも 1998 年に他のベクターとともに当施設で開発されました。そして現在 NIH では、主任臨床研究者として Kang 博士が臨床研究した慢性肉芽腫症に対する治療法を取り入れ、注意深く臨床的に応用しています。また、我々の研究成果を含む遺伝子治療の最新情報を提供する準備もあります。貴方のプロトコルが最終的に認可されたのち、こちらで貴方の臨床研究のためベクターを供給する許可を得るために、その書類を IRB や FDA を含めた関連機関へすみやかに提出します。本証書では、日本における貴方の遺伝子治療臨床研究の定義を明確化し遂行するために我々は誠意を持って全面的に支援することを証明します。

米国国立衛生研究所 (National Institutes of Health)

国立アレルギー感染症部門 (National Institute of Allergy and Infectious Diseases)

宿主防御研究室 (Laboratory of Host Defenses)

Harry L. Malech

別添 4 :

略号一覧

略号

初出頁

- 4 NIH: National Institutes of Health 米国立衛生研究所
- 11 CGD: chronic granulomatous disease 慢性肉芽腫症
- 11 NADPH: nicotinamide adenine dinucleotide phosphate ニコチンアミド
アデニンジヌクレオチドリン酸
- 11 phox: phagocyte oxidase 食細胞オキシダーゼ
- 11 X-CGD: X-linked CGD X連鎖慢性肉芽腫症
- 11 CYBB: cytochrome b245 polypeptide チトクローム b245 ポリペプチド
- 14 IFN- γ : interferon gamma インターフェロンガンマ
- 14 HLA: human leukocyte antigen ヒト白血球抗原
- 14 SCID: severe combined immunodeficiency 重症複合免疫不全症
- 15 DLI: donor lymphocyte infusion ドナーリンパ球輸注
- 15 GVHD: graft versus host disease 移植片対宿主病
- 16 G-CSF: granulocyte colony stimulating factor 顆粒球コロニー刺激因子
- 18 ORF: open reading frame 蛋白質をコードする開始コドンから終止コドン
までの領域
- 21 CD: cluster of differentiation 白血球などの血液細胞の表面に発現してい
る抗原に対応する単クローン抗体
- 22 MoMLV: Moloney murine leukemia virus モロニーマウス白血病ウイルス
- 22 RNA: ribonucleic acid リボ核酸
- 22 DNA: deoxyribonucleic acid デオキシリボ核酸
- 23 RCR: replication competent retrovirus 複製可能なレトロウイルス
- 26 GMP: good manufacturing practice 医薬品及び医薬部外品の製造管理及び品
質管理の基準
- 26 HSA: human serum albumin ヒト血清アルブミン
- 27 PCR: polymerase chain reaction ポリメラーゼ鎖反応
- 27 DHR: dihydro-rhodamine-123 ジヒドロローダミン 好中球の活性酸素産生能を
測定するための色素
- 28 FDA: U. S. Food and drug administration 米国食品医薬品局
- 30 PBS: phosphate-buffered salines リン酸緩衝液
- 32 X-SCID: X-linked SCID X連鎖重症複合免疫不全症
- 32 SFFV: Friend spleen focus-forming virus フレンド白血病レトロウイルス
- 37 SpO₂: oxygen saturation by pulse oximetry 経皮的パルスオキシメータによ
る末梢血酸素飽和度

- 37 AST: aspartate aminotransferase アスパラギン酸アミノトランスフェラーゼ
- 37 ALT: Alanine aminotransferase アラニンアミノトランスフェラーゼ
- 37 HIV: human immunodeficiency virus ヒト免疫不全ウイルス
- 40 SOP: standard operating procedures 標準作業手順書
- 41 SCF: stem cell factor 幹細胞因子
- 41 TPO: thrombopoietin トロンボポエチン
- 41 FLT3-L: FMS-like tyrosine kinase 3 ligand FMS 様チロシンキナーゼリ
ガンド
- 41 IL-3: interleukin 3 インターロイキン 3
- 41 FACS: fluorescence activated cell sorting ベクトンディッキンソン社の登
録商標, flow cytometry (流体を利用した細胞測定法) とほぼ同義
- 41 PET scan: Positron Emission Tomography 陽電子放射断層撮影
- 46 VOD: veno-occlusive disease 肝中心静脈閉塞症