

厚生労働科学研究費補助金（医療技術実用化総合研究事業）  
分担研究報告書

臨床研究薬（SIV-hPEDF）の網膜下投与の治療効果の評価と原因遺伝子との因果関係の検討

研究分担者	池田 康博	九州大学病院	眼科	助教
	吉田 茂生	九州大学病院	眼科	講師
	村上 祐介	九州大学病院	眼科	医員

**研究要旨** 本研究では、遺伝子治療臨床研究の被験者それぞれにおける治療効果と原因遺伝子の因果関係を検討するために、被験者の原因遺伝子検索を実施する体制を整備することを目的とする。平成 24 年 8 月に厚生労働大臣より臨床研究実施計画の了承を取得し、平成 25 年 3 月より遺伝子治療臨床研究を開始した。本年度は、さらに 4 例の被験者への投与を実施し、低用量群 5 名への投与を完了した。被験者から採取されたサンプルは手順に従って適切に保存されている。

#### A . 研究目的

遺伝子治療臨床研究の被験者それぞれにおける治療効果と原因遺伝子の因果関係を検討するために、被験者の原因遺伝子検索を実施する体制を整備することを目的とする。

#### B . 研究方法

被験者から採取されたサンプルからの DNA 抽出法、保存法の手順作成し、既知の原因遺伝子を検出するためのプライマーやプローブを設計する。

##### （倫理面への配慮）

「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針（平成 20 年 12 月 1 日一部改正）に基づいて、ゲノム診断を施行する。

#### C . 研究結果

手順に従い、被験者から採取されたサンプルは適切に保存されている。また、既知の原因遺伝子を検出するためのプライマーやプローブを設計

し、適正化を実施している。

さらに、全ゲノム解析による原因遺伝子検索を実施するため、他施設との共同研究についての話し合いを開始した。

#### D , E . 考察、結論

原因遺伝子検査を実施する体制が順調に整備されており、臨床研究における効果判定後速やかに検査を実施することが可能となる予定である。

#### F . 健康危険情報

なし

#### G . 研究発表

##### 1 . 論文発表

なし

##### 2 . 学会発表

なし

#### H . 知的財産権の出願・登録状況

**1.特許取得**

なし

**2.実用新案登録**

なし

**3.その他**

なし