

目 次

I . 総括研究報告	
AADC欠損症に対する遺伝子治療の臨床研究 -----	2
山形 崇倫	
(資料1) 遺伝子治療臨床研究実施計画書 -----	9
(資料2) 作業報告書：AAV-hAADC-2 製造一式 -----	78
II . 分担研究報告	
1 . AADC 欠損症に対する遺伝子治療の臨床研究 -----	84
GMP レベルベクターの作製と生物多様性評価	
村松慎一	
(資料1) AAV-hAADC-2 の品質試験 -----	87
(資料2) 生物多様性影響評価書 -----	90
2 . アデノ随伴ウイルスベクターを用いた遺伝子治療における -----	104
諸条件の基礎的検討	
小澤敬也	
3 . AADC欠損症に対する遺伝子治療の臨床研究 -----	106
-定位脳手術法の確立	
中嶋 剛	
(資料) 注入用カニューレおよびポンプ -----	108
4 . AADC欠損症に対する遺伝子治療の臨床研究-手術法の検討 -----	111
渡辺英寿	
5 . AADC欠損症遺伝子治療実施に向けた手術および -----	112
術後管理体制の検討	
竹内 護	
(資料) 治療施設の地図及び見取り図 -----	114
6 . AADC 欠損症におけるロチゴチンパッチの有用性の検討 -----	121
加藤 光広	
7 . アデノ随伴ウイルスによる小児期遺伝性疾患治療 -----	124
~ 新規 AADC 欠損症患者の診断と適応疾患拡大を目指して ~	
小坂 仁	
III . 研究成果の刊行に関する一覧表 -----	132
IV . 研究成果の刊行物・別刷 -----	138