

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患政策研究事業）
分担研究報告書
ライソゾーム病患者に対する新規治療に対する意識調査
研究分担者 横井 貴之 大橋 十也 東京慈恵会医科大学小児科学講座

研究要旨

近年の医療の進歩と社会情勢の変化により、今後、ライソゾーム病・ペルオキシソーム病に対する遺伝子治療の臨床応用の可能性がある。それを効率的かつ効果的に推進していくため、治療を受ける患者およびその家族の知識、理解度および希望を把握することを目的とする。

研究分担者氏名・所属研究機関名及び所属研究機関における職名
(分担研究報告書の場合は、省略)

A．研究目的

海外においてライソゾーム病・ペルオキシソーム病に対する遺伝子治療の治療研究が実施されている。本邦でも遺伝子治療の臨床実施の実現性が出てきた。治療の実施には十分なインフォームド・コンセントが重要である。そこで、現時点における、遺伝子治療に対する、患者または家族の理解度、知識および希望などを調査し、今後、患者への情報提供の内容や方法を充実させるなど、遺伝子治療臨床実施を推進するための情報とする。

B．研究方法

有識者複数人により遺伝子治療に対する意識調査表を作成する。意識調査の内容は遺伝子治療に対する知識と理解度、暫定での希望を調査する内容となっている。患者またはその家族に患者会等を通して郵送による配布・回収する。その結果を項目ごとにデータとしてまとめる。回収・回答数より可能であれば統計的に解析する。

(倫理面への配慮)

意識調査表の中に患者会名や疾患の病型や重症度を問う内容が含まれる。また、個人への郵送のため、回収した時点では、調査票から個人の特定が可能である。それら個人情報取り扱いに関して、研究分担者の所属する康心会汐見台病院において、倫理委員会に申請し、承認さ

れた。

平成 30 年 1 月 15 日、承認番号：13001。

C．研究結果

結果はまだ得られていない。

D．考察

結果はまだ得られていない。

E．結論

結果はまだ得られていない。

F．健康危険情報

(分担研究報告書には記入せずに、総括研究報告書にまとめて記入)

G．研究発表

1. 論文発表

2. 学会発表

(発表誌名巻号・頁・発行年等も記入)

H．知的財産権の出願・登録状況

(予定を含む。)

1. 特許取得

2. 実用新案登録

3. その他