

( 具体的かつ詳細に記入すること )  
厚生労働科学研究費補助金 ( 難治性疾患克服研究事業 )  
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 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。それら個人情報の取り扱いに関して、研究分担者の所属する東京慈恵会医科大学において、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

総数498に対し171の返信があった ( 34.3% )。主要項目である、現時点での遺伝子治療の希望に関して、希望は113件 ( 66% )、希望しないは43件 ( 25% )、不明15件 ( 9% ) であった。遺伝子治療に関する情報源としては受診している医療機関 ( 124件 ) と患者会 ( 133件 ) から最も多かった。インターネット等のメディアの活用 ( 18件 ) は少なかった。患者間で知識の偏りが大きく、インターネットを活用している患者は学术论文からも詳細な情報を得ているものがある一方で、全く知識がない者も少なくなかった ( 46件、26.9% )。効果に関する質問では、他の既存治療より効果が高いとの回答が53件であったが、一方で、効果がない可能性もあるとの回答が45件であった。医療や国に対する要望としては、費用軽減26件、早期実現件19件が目立った。

D . 考察

現時点での遺伝子治療への希望は多いが、患者及びその家族間に、知識の偏りが大きく、十分理解した上での希望というよりも、期待が大きいということの現れであると考えられた。効果に期待していながらも、効果が得られない場合もあると認識しており、冷静に情報を受け止める態度があることも窺えた。情報源としてはインターネットを利用しているものは多くなかった。ネットでの情報へのアクセスの困難さと、収集したとしても理解するのが困難であるためと考えられた。

E . 結論

遺伝子治療の実施にあたり、十分な情報提供

を行う必要がある。また、それ以前に、各患者に平等な事前情報を与える必要がある。既存の情報媒体を強化しつつ、インターネットでアクセスしやすくかつ理解しやすい情報提供を行うことが効率的であると考えられた。

#### 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

## 作成上の留意事項

### 1. 「A. 研究目的」について

- ・厚生労働行政の課題との関連性を含めて記入すること。

### 2. 「B. 研究方法」について

- (1) 実施経過が分かるように具体的に記入すること。

- (2) 「(倫理面への配慮)」には、研究対象者に対する人権擁護上の配慮、研究方法による研究対象者に対する不利益、危険性の排除や説明と同意(インフォームド・コンセント)に関わる状況、実験に動物に対する動物愛護上の配慮など、当該研究を行った際に実施した倫理面への配慮の内容及び方法について、具体的に記入すること。倫理面の問題がないと判断した場合には、その旨を記入するとともに必ず理由を明記すること。

なお、ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針(平成25年文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第1号)、人を対象とする医学系研究に関する倫理指針(平成26年文部科学省・厚生労働省告示第3号)、遺伝子治療等臨床研究に関する指針(平成27年厚生労働省告示第344号)、厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針(平成18年6月1日付厚生労働省大臣官房厚生科学課長通知)及び申請者が所属する研究機関で定めた倫理規定等を遵守するとともに、あらかじめ当該研究機関の長等の承認、届出、確認等が必要な研究については、研究開始前に所定の手続を行うこと。

### 3. 「C. 研究結果」について

- ・当該年度の研究成果が明らかになるように具体的に記入すること。

### 4. 「F. 健康危険情報」について

- ・研究分担者や研究協力者の把握した情報・意見等についても研究代表者がとりまとめて総括研究報告書に記入すること。

### 5. その他

- (1) 日本工業規格A列4番の用紙を用いること。

- (2) 文字の大きさは、10～12ポイント程度とする。