

第3回遺伝子治療臨床研究審査委員会議事要旨

日時 平成26年1月8日(水) 17:15~18:15

場所 未来医療センター視聴覚セミナー室(外来中診棟4階)

出席者: 森井委員、澤委員、山本委員、加藤委員、掛江委員、大菌委員、森委員、山下委員、金井委員、菊池委員、原田委員

議題1. 委員長、副委員長の選出

事務局より本委員会開催につき、まず委員長と副委員長の選出が必要である旨の説明があった。委員会規程に則り、委員長は互選により大菌委員に、副委員長は大菌委員長からの指名により、山下委員が選出された。

議題2. 「慢性動脈閉塞症(閉塞性動脈硬化症及びビュルガー病)を対象としたAMG0001の筋肉内投与による遺伝子治療」の新規申請について審議

申請者より資料を用いて新規申請について説明があり、以下の質疑応答があった。

Q:国内臨床研究と海外臨床試験の成績の違いは

A:主要評価項目がハードエンドポイント(下肢切断)であること。登録された患者の潰瘍の程度がかなり重症であることにより、成績の違いが発生した。

Q:6症例でなぜ7施設で実施するのか

A:症例数が希少なため、安全域をもって設定した。

Q:繰り返し投与によるアナフィラキシーの発生の可能性はないか

A:これまでの臨床試験の結果からはないと考えており、本臨床研究での危険性は低いと考えている。ただ危険性が低いという判断の妥当性について、薬事承認申請の際にはPMDAとの相談になると考えられる。

Q:同意説明文書で血管再生について動物実験の記載しかないが、治験で分かっていることがあるのであれば、記載するべきでは。

A:治験では症状の改善についての結果が得られているのみで、血管再生が起こっていることを示す明確なエビデンスはないため、記載していない。

以上の議論を含め、以下の指摘があった。

1. 併用薬について、主要評価項目で併用薬の増量による評価からの除外が明記されている以上、併用可能な部分で増量の制限を加えるとバイアスの原因となるので記載するべきではない。

2. 鎮痛剤の投与量に関しては、バイアスを除くため、実際にどの程度服用しているのか、患者自身にチェックさせるようにすべき。また、基準量の1.3倍と記載されているが、基準量とはいつどの程度投与されたもののことを指すのか明確にするべき。

3. 研究薬の投与に関して、どの部位に打つのか基準を明確にし、その基準については実施計画書上にも記載するべき。

4. 組織体制について、臨床研究を実施する研究者の技術、知識の担保を行うための教育等の組織体制、有効性について評価を一定にするために、誰がどのように評価するのか、またモニタリング、データマネジメントをだれがどのように行うのかを追記すべき。また、評価については1か所に集積して同じ評価者のもとで評価を行う等、施設間での評価のばらつきを防ぐようにしておくべきと考えられる。

5. 説明文書についての補償の記載の仕方において、補償内容について、具体的に記載するか、別紙を添付するようにすることを勧める。

以上の指摘事項に関して、今回の申請資料に明記されていないが、標準作業手順書等すでに対応されているものが多いとの申請者からの回答も踏まえ、本申請は「修正の上承認」となった。

(その他)

1. 次回遺伝子治療臨床研究審査委員会の日程について
次回の議題の予定は、現時点ではないため、次回の日程については別途連絡があることとなった。

以上