

「人を対象とする生命科学・医学系研究についての情報公開文書」

研究課題名：HAT_A2細胞由来アデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターの生体における発現特性の評価

・はじめに

「アデノ随伴ウイルス(AAV)ベクター」とは、アデノ随伴ウイルスのゲノム(遺伝情報を担うDNAやRNA)から、増殖や病原性にかかわる部分を取り除き、導入したい遺伝子を組み込んだものです。私たちは、AAVベクターを注射などによって人体に送り込み、治療効果のある遺伝子を細胞に届けることで病気を治すことを目標とした、遺伝子治療の研究を行っています。こうした研究を行う際には、血液、組織、細胞など人のからだの一部で、研究に用いられるもの(「試料」といいます)や診断や治療の経過中に記録された病名、投薬内容、検査結果など人の健康に関する情報(「情報」といいます)を用います。ここでは、既に保管されているこうした試料や情報の利用についてご説明します。

・研究に用いる試料や情報の利用目的と利用方法(他機関に提供する場合にはその方法を含みます)について

AAVベクターを作成するには、ヒト由来の細胞が必要となります。これには現在、世界的にHEK293細胞という細胞が用いられています。しかしHEK293細胞はヒト胎児の細胞由来のため、HEK293細胞から得られたAAVベクターの臨床応用は倫理的な事項が常に問題となります。一方で、HAT_A2細胞はわが国で開発された羊膜(胎児を包む膜)由来の細胞であり、HEK293細胞に代わるAAVベクター産生細胞として期待されています。本研究は、HAT_A2細胞由来のAAVベクターとHEK293細胞由来のAAVベクターを作成し、マウスの脳に直接投与して、遺伝子発現効率・遺伝子発現細胞種など、同等の性質を持つことを検証することが目的です。

この研究では、次世代バイオ医薬品製造技術研究組合(川崎集中研・株式会社ちとせ研究所)より提供されたヒト羊膜由来HAT_A2細胞を使用する予定です。このHAT_A2細胞は、国立成育医療研究センターから次世代バイオ医薬品製造技術研究組合に提供された胞衣組織(胎盤、臍帯、羊膜)より単離・樹立されたものです。胞衣組織の提供者には、提供前に、主治医あるいは主治医の指示を受けた者により、国立成育医療研究センターに設置された倫理審査委員会により承認された倫理計画書に基づいて十分な説明がなされ、採取試料等の所有権放棄等について承諾を得ています。

・研究の対象となられる方

この研究で使用する HAT_A2 細胞は、国立成育医療研究センターから次世代バイオ医薬品製造技術研究組合に提供された胞衣組織（胎盤、臍帯、羊膜）より単離・樹立されたものです。胞衣組織の提供者には、提供前に、主治医あるいは主治医の指示を受けた者により、国立成育医療研究センターに設置された倫理審査委員会により承認された倫理計画書に基づいて十分な説明がなされ、採取試料等の所有権放棄等について承諾を得ています。

この研究において、群馬大学で新規に試料・情報を取得したり、群馬大学にある既存の試料・情報を使用したりすることはありません。

また、既に個人情報が分からないように加工された試料を用いるため、研究の対象となることを希望されない場合であっても、研究から除外することはできません。

・研究期間

研究を行う期間は学部等の長の許可日より 2030 年 12 月 31 日までです。

試料・情報を利用又は提供を開始する予定日は 2025 年 10 月です。

・研究に用いる試料・情報の項目

本研究で利用する試料は、ヒト羊膜由来の HAT_A2 細胞です。

この HAT_A2 細胞を利用して AAV ベクターを作成し、マウスの脳に直接投与し、脳への発現様式を HEK293 細胞由来の AAV ベクターと比較・検証します。

・予想される不利益(負担・リスク)及び利益

この研究に利用する HAT_A2 細胞の提供者となった患者さんが直接受けることのできる不利益（リスク）及び利益はありませんが、将来研究成果は難治性遺伝子疾患の病態解明および新しい治療法の発見の一助になり、多くの患者さんの治療と健康に貢献できる可能性があると考えています。提供者に対する経済的負担および謝礼はありません。

・個人情報の管理について

この研究で使用予定の HAT_A2 細胞は、提供元において既に個人情報が加工されており、個人情報を含みません。取り扱いにおいては、本計画の研究責任者および研究担当者のみがアクセス可能な環境下で、以下の方法に従って管理を行います。

- ・ 紙媒体：施錠された専用ロッカーに保管し、アクセス権限を持つ者のみが取り扱います。
- ・ 電磁的記録：パスワード保護が施されたパソコンや外部ハードディスクに保存し、ウイルス対策ソフトにより不正アクセスを防止します。

また、この研究では、使用する HAT_A2 細胞に対してゲノム配列の解読を行わず、個人を特定できる情報は一切取得しないため、個人情報漏洩するリスクはありません。

・ 試料・情報の保管及び廃棄

この研究で使用する HAT_A2 細胞は、使用前まで脳神経再生医学教室の-80℃の冷凍庫に保管し、必要なタイミングで解凍し、37℃、5% CO₂の条件下で培養を行います。実験に必要な細胞を増殖させ、ストック（ワーキングセルバンク）を作製後、再度-80℃の冷凍庫で保管します。管理責任者は、研究責任者である群馬大学大学院医学系研究科・脳神経再生医学分野の平井宏和です。保管期間は原則永年、最短でも2030年12月31日までは保管し必要に応じて廃棄処理を行います。使用済みの細胞は、適切な不活化処理を行った後、群馬大学の規則に従い、非感染性廃棄物として廃棄します。不活化処理については、オートクレーブ（例：121℃、20分間）や、その他適切な方法に従って行います。

・ 研究成果の帰属について

この研究により得られた結果が、特許権等の知的財産を生み出す可能性があります。その場合でも、特許権等は研究者もしくは所属する研究機関に帰属することになり、試料の提供者にこの権利が生じることはありません。

・ 研究資金について

この研究は、日本医療研究開発機構の再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業（遺伝子治療開発加速化研究事業）の研究開発として実施され、この事業の研究費によってまかなわれます。

・ 利益相反に関する事項について

研究グループが公的資金以外に製薬企業などからの資金提供を受けている場合に、臨床研究が企業の利益のために行われているのではないか、あるいは臨床研究の結果の公表が公正に行われられないのではないか（企業に有利な結果しか公表されないのではないか）などといった疑問が生じることがあります。これを利益相反（患者さんの利益と研究グループや製薬企業などの利益が相反している

状態)と呼びます。研究責任者の平井宏和は、タカラバイオ株式会社と AAV ベクターに関する共同研究を行っています。この研究の利害関係については、群馬大学利益相反マネジメント委員会の承認を得ております。また、この研究過程を定期的に群馬大学利益相反マネジメント委員会へ報告などを行うことにより、この研究の利害関係について公正性を保ちます。

・「群馬大学 人を対象とする医学系研究倫理審査委員会」について

この研究を実施することの妥当性や方法については、多くの専門家によって十分検討されています。群馬大学では人を対象とする医学系研究倫理審査委員会を設置しており、この委員会において科学的、倫理的に問題ないかどうかについて審査し、承認を受けています。

・研究組織について

この研究は、群馬大学大学院医学系研究科・脳神経再生医学分野が主体となって行っています。

この研究を担当する研究責任者、研究分担者は以下のとおりです。

研究責任者

所属・職名：群馬大学大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野・教授
氏名：平井宏和
連絡先：hirai@gunma-u.ac.jp

研究分担者

所属・職名：群馬大学大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野・講師
氏名：今野歩
連絡先：konnoa@gunma-u.ac.jp

研究分担者

所属・職名：群馬大学大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野・助教
氏名：松崎泰教
連絡先：y.matsuzaki@gunma-u.ac.jp

研究分担者

所属・職名：群馬大学大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野・助教
氏名：深井悠貴
連絡先：fukai-y@gunma-u.ac.jp

研究分担者

所属・職名:群馬大学大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野・特任助教
氏名:青木遼
連絡先:ryo-aoki@gunma-u.ac.jp

研究分担者

所属・職名:群馬大学大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野・博士研究員
氏名:兎谷翔太
連絡先:s-togai@gunma-u.ac.jp

研究分担者

所属・職名:群馬大学大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野・大学院生
氏名:孫海倫 (Sun Hailun)
連絡先:m2320019@gunma-u.ac.jp

研究分担者

所属・職名:群馬大学大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野・大学院生
氏名:Javkhlan Bold
連絡先:m2320602@gunma-u.ac.jp

研究分担者

所属・職名:群馬大学大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野・大学院生
氏名:星野礼央和
連絡先:m2520038@gunma-u.ac.jp

研究分担者

所属・職名:群馬大学大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野・大学院生
氏名:丸山篤造
連絡先:m2520041@gunma-u.ac.jp

研究分担者

所属・職名:群馬大学大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野・大学院生
氏名:坂本賢司
連絡先:m2410010@gunma-u.ac.jp

・研究対象者の権利に関して情報が欲しい場合あるいは健康被害が生じたときに連絡をとるべき相談窓口について

研究対象者がこの研究および研究対象者の権利に関してさらに情報が欲しい場合、または研究対象者に健康被害が発生した場合に、研究対象者が連絡をとる担当者は下記のとおりです。何かお聞きになりたいことがありましたら、どうぞ遠慮なくいつでもご連絡ください。

試料・情報を研究に用いることについて、対象者となることを希望されない方は、下記連絡先までご連絡下さい。研究対象者とならない場合でも不利益が生じることはありません。

【問合せ・苦情等の相談窓口（連絡先）】

所属・職名：群馬大学大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野・教授
氏名：平井 宏和
連絡先：〒371-8511 群馬県前橋市昭和町 3-39-22
Tel：027-220-7934（受付）

上記の窓口では、問合せ・苦情等の他、次の事柄について受け付けています。

- （1）研究計画書および研究の方法に関する資料の閲覧（又は入手）ならびにその方法 ※他の研究対象者の個人情報および知的財産の保護等に支障がない範囲内に限られます。
- （2）研究対象者の個人情報についての開示およびその手続（手数料の額も含まれます。）
- （3）研究対象者の個人情報の開示、訂正等、利用停止等について、請求に応じられない場合にはその理由の説明
- （4）研究対象者から提供された試料・情報の利用に関する通知
 - ①試料・情報の利用目的および利用方法（他の機関へ提供される場合はその方法を含む。）
 - ②利用し、または提供する試料・情報の項目
 - ③利用する者の範囲
 - ④試料・情報の管理について責任を有する者の氏名または名称