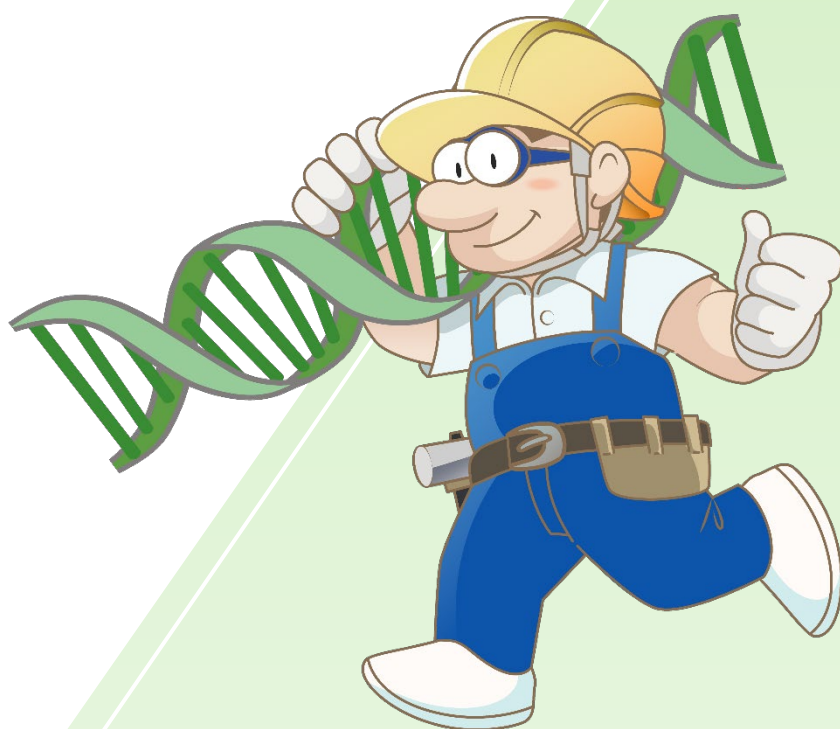


わかる遺伝子細胞治療



国立成育医療研究センター
遺伝子細胞治療推進センター

遺伝子細胞治療 一般向け参考資料



内容

はじめに	4
遺伝子とは	5
遺伝子細胞治療について	6
遺伝子細胞治療とその他の治療法のちがい	8
遺伝子細胞治療を受ける前に知ってほしいこと	8
本資料の取扱いについて	9

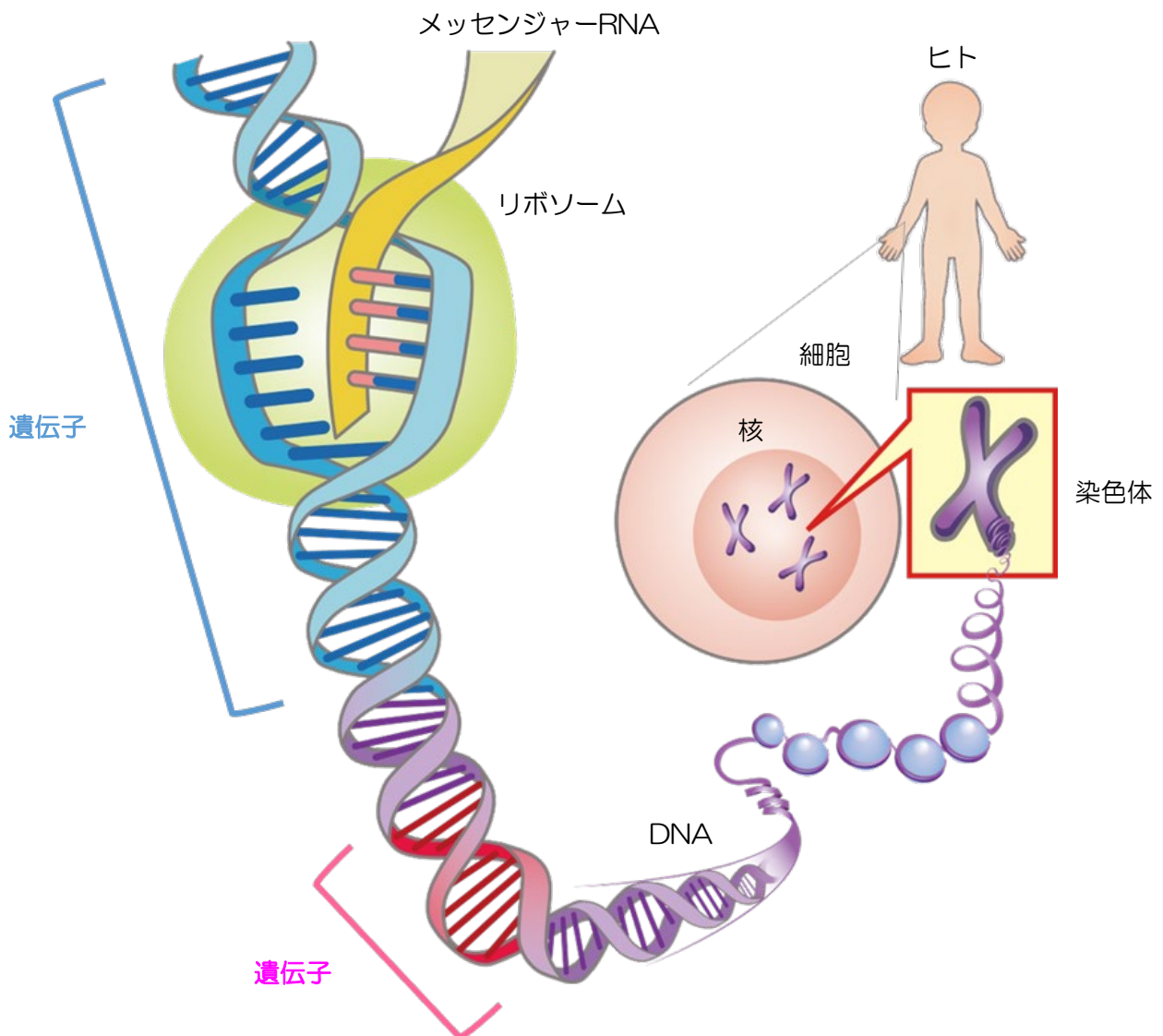
はじめに

病気の中には、遺伝子の変化が原因で発症するものがあり、未だに有効な治療法が存在しないものもあります。しかし、最近、このような病気に対して「**遺伝子細胞治療**」という新しい治療法が開発され、世界各国で盛んに研究が進められています。特に、免疫疾患、神経筋疾患、眼疾患や代謝性疾患などの分野で開発が著しく進んでおり、安全性と有効性の試験結果からすでに国から承認を受けた遺伝子細胞治療も存在します。

この資料は、「遺伝子細胞治療」を一般の方により深く知っていただくために作成したものです。ぜひ、理解を深めるためにお役立てください。

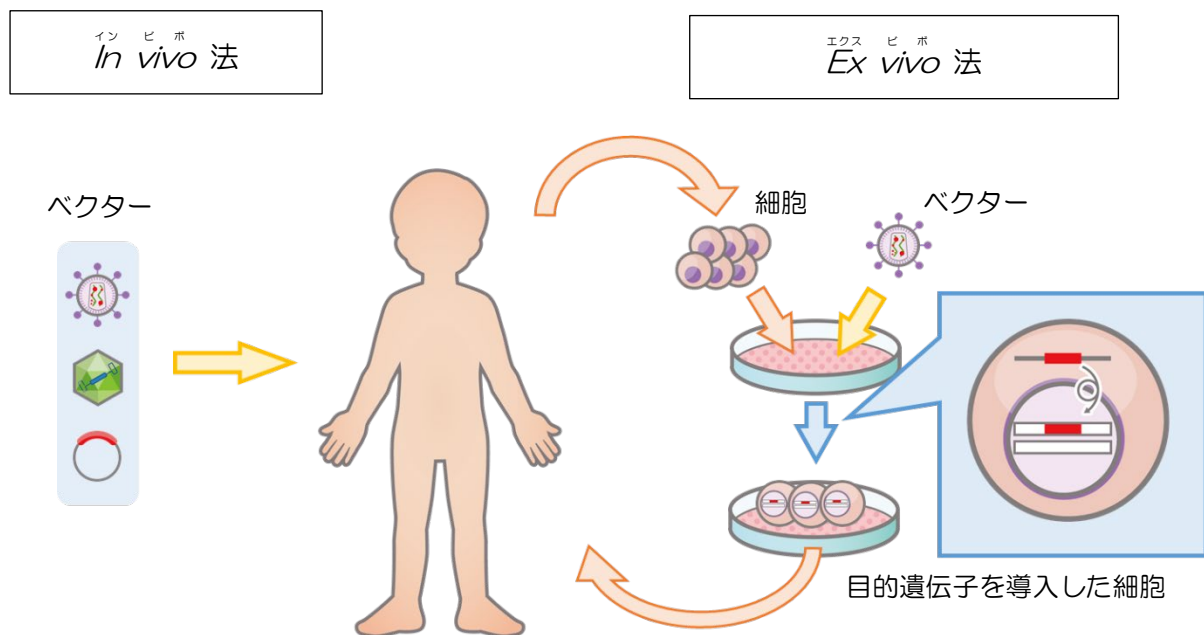
遺伝子とは

- 私たちの体は、たくさんの「細胞」でできています。
- 細胞の中には「核」があり、その核の中には「DNA（デオキシリボ核酸）」という物質があります。
- 「遺伝子」は、DNAの中にあって、体をつくるための必要な情報の一単位です。
- 遺伝子情報は、「メッセンジャーRNA（リボ核酸）」という物質にコピーされ、メッセンジャーRNAの情報をもとに「タンパク質」が作り出されます。
- 作り出されたタンパク質は、身体を作る筋肉や皮膚などの主成分になるほか、消化や代謝といった生命維持に必要な酵素などになります。



遺伝子細胞治療について

- 遺伝子細胞治療とは、外から新たな遺伝子を投与し、働かなくなった細胞を助けたり新たな機能を加えたりすることによって、病気の治療や予防を行う方法です。
- 遺伝子細胞治療は以下の2種類に分けられます。
 - **In vivo 法**：治療あるいは予防を目的として作られた遺伝子（**目的遺伝子**）を直接体内に投与する方法
 - **Ex vivo 法**：血液細胞などの細胞を一度体外に取り出し、取り出した細胞に目的遺伝子を導入した後に体内に戻す方法
- 目的遺伝子は、ヒト細胞内で正常なタンパク質をつくるように設計・製造されたものです。
- 「**ベクター**」とは、ヒト細胞や核に目的遺伝子を組み入れる（導入する）ために使用される運搬体のことです。



- 核内に導入された目的遺伝子は、持続的にタンパク質を作り出すことができます。そのため、遺伝子の変化が原因で発症する病気では1回の遺伝子細胞治療によって長期的な治療効果が得られます。
- 最近、**ゲノム編集技術**を用いた遺伝子細胞治療の開発が進んでいます。ゲノム編集技術は遺伝子の特定の情報を選択的に改変する技術で、さらに多くの難治性疾患に対する治療への応用が期待されています。

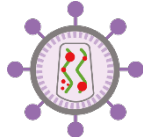
ベクターの種類について

ベクターには「ウイルスベクター」と「非ウイルスベクター」があります。

「ウイルスベクター」は、ウイルスが細胞に入り込む性質を利用して、目的遺伝子を細胞内または核内に導入するウイルス由来の運搬体のことです。

ウイルスを利用する理由はウイルスが自身の遺伝子である DNA や RNA を感染した細胞に組み入れる性質に優れているためですが、遺伝子細胞治療で使用されるウイルスは人工的に改変され、新たな感染症が起らないように工夫されています。

ウイルスベクターの種類としては、レンチウイルスベクター、レトロウイルスベクター、アデノ随伴ウイルスベクター、アデノウイルスベクターなどがあり、治療対象の病気、目的遺伝子の大きさ、標的とする細胞などに応じて適したウイルスベクターが選択されます。



レンチウイルスベクター



アデノ随伴ウイルスベクター

ウイルスベクター以外のベクターを「非ウイルスベクター」といいます。環状の DNA で構成されたプラスミドベクターやバクテリアベクターなどがあります。



プラスミドベクター

遺伝子細胞治療とその他の治療法のちがい

遺伝子細胞治療は、従来の治療法と作用機序や期待される治療効果が違います。

	遺伝子細胞治療	核酸医薬品	酵素補充療法
作用の特徴	核の中に目的遺伝子を導入し、新たに目的のタンパク質を作り出す。	DNA、RNAなどの核酸を投与し、目的のタンパク質の発現を調節する。	不足している酵素やタンパク質を遺伝子組換えタンパク質として投与する。
治療の特徴	1回の治療で、数年～十数年以上の持続的な効果を期待ができる。そのため、長期的な観察が必要。	効果を維持するために、繰り返し投与し、個々にあわせて投与量を調整する必要がある。	効果を維持するために、繰り返し投与し、個々にあわせて投与量を調整する必要がある。

遺伝子細胞治療の開発が進んでいる病気の例としては、神経筋疾患、血液疾患、代謝異常症、原発性免疫不全症などがあります。

遺伝子細胞治療を受ける前に知ってほしいこと

- 遺伝子細胞治療の治療効果には個人差があり、また、副作用が起こることもあります。そのため、一人一人について治療後の安全性と有効性の評価が必要です。
- ウイルスベクターに対する抗体をもっている患者さんがいます。この場合、十分な効果が期待できないことがあります。
- 持続的な作用が期待される製品ですが、その反面、安全性や有効性を評価するために長期間にわたり医学的観察（長期フォローアップ）が必要になります。
- 特別な法律（カルタヘナ法[※]）の対象となる遺伝子細胞治療があります。この場合、ある一定期間は体液の接触防止方法や排出物の廃棄方法が定められています。

※ カルタヘナ法：「遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律」の通称

**遺伝子細胞治療を受ける際に、気になることがあれば、
担当医や医療スタッフにご相談ください**

本資料の取扱いについて

- 本資料は、一般の方が、「遺伝子細胞治療」に関する理解を深めるために作成されたものです。内容や文章は、成人向けとなっています。
- 企業主導の治験や臨床試験などの企業活動または営利目的での利用を希望される場合、以下の「お問い合わせフォーム」にて事前にご相談ください。

国立成育医療研究センター 遺伝子細胞治療推進センター 「お問い合わせフォーム」

https://www.ncchd.go.jp/center/activity/gcp_center/contact.html#3tab



- 本資料の利用によって生じた損害などに関しては一切の責任を負いかねますので、あらかじめご了承ください。
- 本資料中のイラストは、公益財団法人 政策医療振興財団の助成を受けて作成しました。この著作権は、国立成育医療研究センターにあります。
- 国立成育医療研究センター 遺伝子細胞治療推進センターの許諾なく、本資料で使用しているイラストの一部または全部を転用・複製・転載・頒布・切除・販売することを禁じます。

本資料「わかる遺伝子細胞治療」の作成にあたり、ご協力をいただきました皆様に、心より感謝申し上げます。

