

(別紙1)

総括研究報告書

課題番号	2022E-3				
研究開発課題名	小児難治性疾患に対する遺伝子細胞治療の実装化に向けた体制整備				
分類*	<input checked="" type="checkbox"/> ①	<input type="checkbox"/> ②	<input type="checkbox"/> ③	<input checked="" type="checkbox"/> ④	<input type="checkbox"/> ⑤ <input type="checkbox"/> ⑥ <input type="checkbox"/> ⑦
区分	<input type="checkbox"/> A	<input type="checkbox"/> B	<input type="checkbox"/> C	<input checked="" type="checkbox"/> E	<input type="checkbox"/> S
主任研究者	所属	遺伝子細胞治療推進センター			
	役職	センター長			
	氏名	小野寺 雅史			
実施期間	2023年 4月 1日 ~ 2024年 3月 31日				

成果の概要

現在、欧米を中心に小児難治性疾患に対する遺伝子細胞治療の臨床開発が積極的に進められている。一方、我が国では医療側を含め産学の相互連携が不足しており、遺伝子治療実施に関する包括的な体制整備がなされていない。本研究では、遺伝子細胞治療推進センター（GCPセンター）が中心となり、小児難治性疾患に対する遺伝子細胞治療を当センターで実施し、そこで得られる経験や知見を集約することで当センターが国内の遺伝子細胞治療実施に関するアカデミック臨床研究機関（ARO）として機能することを目指す。

当センターでは、現在も造血幹細胞遺伝子治療を受けた ADA 欠損症、慢性肉芽腫症、ウィスコット・アルドリッチ症候群の3名患者を当センターで経過観察し、その安全性・有効性を評価している。また、今年度はB細胞系白血病に対するCAR-T療法（キムリア点滴静注）を2例、アデノ随伴ウイルス（AAV）ベクターを用いた *in vivo* 遺伝子治療ではデュシェンヌ型筋ジストロフィーを治験として2例、そして、血液内科と協働でファンコニー貧血に対する $\alpha\beta$ T & B細胞除去ハプロ移植を実施した。さらに、眼科と協働で遺伝性網膜色素変性症（RPGRIP欠損症）の *in vivo* 遺伝子治療を医師主導治験として次世代医薬品製造技術研究組合（MAB組合）の分担事業として進めている。なお、当センターでの実施体制の構築に関しては、担当医のみならず看護部、薬剤部、臨床検査部等と連携して行っており、治験実施に関しては臨床研究センターと共同で行い、on-site training を通してその経験の習得を図っている

一方、今年度GCPセンターが行った遺伝子細胞治療に関するコンサルテーションは13件（企業8件、医療機関・アカデミア5件）であり、国の遺伝子細胞治療に関する委員会としてPMDA 専門委員、薬事・食品衛生審議会 再生医療等製品・生物由来技術部会委員、大阪大学第二特定認定再生医療等委員会委員を兼務している。外部への周知活動に関しては、2023年7月14日にLINK-J&成育共催セミナー「どうする日本の遺伝子」を開催し、321名の参加者があり、高評価を受けた。