

遺伝子治療

遺伝子治療とは、遺伝性疾患やがんなどの難治性疾患に対し、治療に役立つ遺伝子、または遺伝子を組み込んだ細胞を患者の体に投与することで、病気を治療する方法である。

人の細胞を取り出して体外でその細胞に目的の遺伝子を導入し、その細胞を患者に投与する体外遺伝子治療と、生体に治療用遺伝子を直接投与する体内遺伝子治療に大別される。

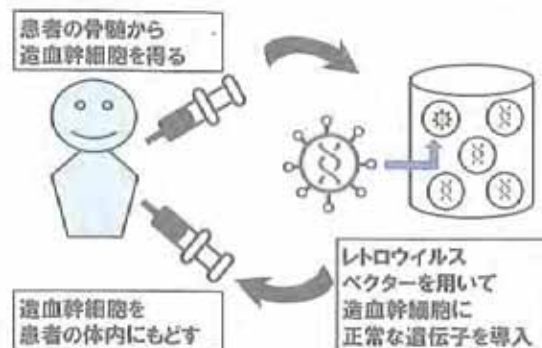
遺伝子を細胞内に送る「運び屋」をベクター（Vector）と呼び、遺伝子治療用ベクターにはウイルスベクターと非ウイル

スベクターがある。

前者には、レトロウイルス、アデノウイルスなどがある。遺伝子導入効率は優れているが、過去には副作用の報告もある。

これに対し、非ウイルスベクター

としては、リポソーム（細胞膜と同じ構造をした人工膜）が使われる。安全性は高いものの遺伝子導入効率ははるかに低いため、新たなベクターの開発や遺



遺伝子治療の流れ

伝子導入法の進展が待たれる。

世界で初めての遺伝子治療は1990年、米国でアデノシンデアミナーゼ欠損症による重度免疫不全患者に行われた。95年には

日本でも北海道で同様の治療が行われた。以後、がんや生活習慣病の遺伝子治療などが実施され、臨床応用が進んでいる。

わが国における最近の事例では2014年7月、白血球の機能異常によって重い感染症を繰り返す、難病の先天性の免疫不全症である「慢性肉芽腫症」の20代男性に対し、国内初の遺伝子治療が行われた。ここでは患者から採取した造血幹細胞にウイルスベクターを用いて正常遺伝子を入れ、注射で身体に戻す体外遺伝子治療が採られた。

一方、企業と病院が共同して、悪性リンパ腫の一種である非ホジキンリンパ腫に対する遺



伝子治療の臨床研究も行われている。

今後、遺伝子治療の実用化が促進されるとの期待もあるが、倫理的な課題も残されている。安全性を十分に確保しつつ、迅速な実用化を図るための研究支援がますます重要となろう。

（バイオインダストリー協会
矢田美恵子）

協力：日本生物工学会

今回は5月20日に掲載