

日本生物工学会の和文誌編集委員会は、Fuji Sankei Business i.の企画特集に編集協力をし、第3水曜日に記事を掲載しております。2015年4月15日付で、第13回「遺伝子治療」が掲載されました。次回は、2015年5月20日に掲載予定です。

⇒ [過去に掲載された記事一覧はこちら](#)

企画特集

### 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、病状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伝子導入法の進歩が待たれる。

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ラ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

### 遺伝子治療の流れ

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開発がますます重要となる。

（バイオインダストリー協会 矢野美穂子）  
協力：日本生物工学会

次回は5月20日に掲載

Fuji Sankei Business i. 2015年4月15日掲載