

厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患克服研究事業）  
平成 26 年度～28 年度総合研究報告書

ALD、MLD 等のライソゾーム病遺伝子治療調査研究

分担研究者： 大橋 十也 （東京慈恵会医科大学）

研究要旨

副腎白質ジストロフィー(ALD) 異染性脳白質変性症(MLD)の造血幹細胞を標的としたレンチウイルスベクターを用いての当該正常遺伝子の導入による遺伝子治療の臨床試験の世界的な状況を論文、国内、国外学会の聴講、学会主催などにより調査研究した。その結果、両試験とも非常に良好な結果であり、早期の本邦への導入が期待された。

研究協力者氏名 大橋十也

所属機関名及び所属機関における職名

東京慈恵会医科大学総合医科学研究センター  
センター長、同大小児科 教授

(倫理面への配慮)

該当なし

A．研究目的

現在小児期発症の代表的疾患である。  
MLD,ALDへのレンチウイルスベクターを用いた造血幹細胞を標的とした遺伝子治療の臨床試験が欧米で進んでいる。しかしながら本邦では、これら臨床試験は進んでいない。この問題点を明らかにするため、論文の精読、国内外の関連学会を聴講、当該研究者へのインタビューにより最新情報を集め現状を分析した。

B．研究方法

論文はPub Medなどを利用して検索した。  
また聴講した遺伝子治療関連学会は以下の通りである。

1. 日本遺伝子細胞治療学会  
(2014,2015,2016)
2. 欧州遺伝子細胞治療学会(2015,2016)
3. 第58回日本先天代謝異常学会(2014,2015,2016)
4. 第7回国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム(2015,2016,2017)

C．研究結果

3年間の纏めとして28年度報告書に記載。

D．考察

3年間の纏めとして28年度報告書に記載。

E．結論

3年間の纏めとして28年度報告書に記載。

F．研究発表

1. 論文発表  
なし
2. 学会発表  
なし

G．知的財産権の出願・登録状況

なし