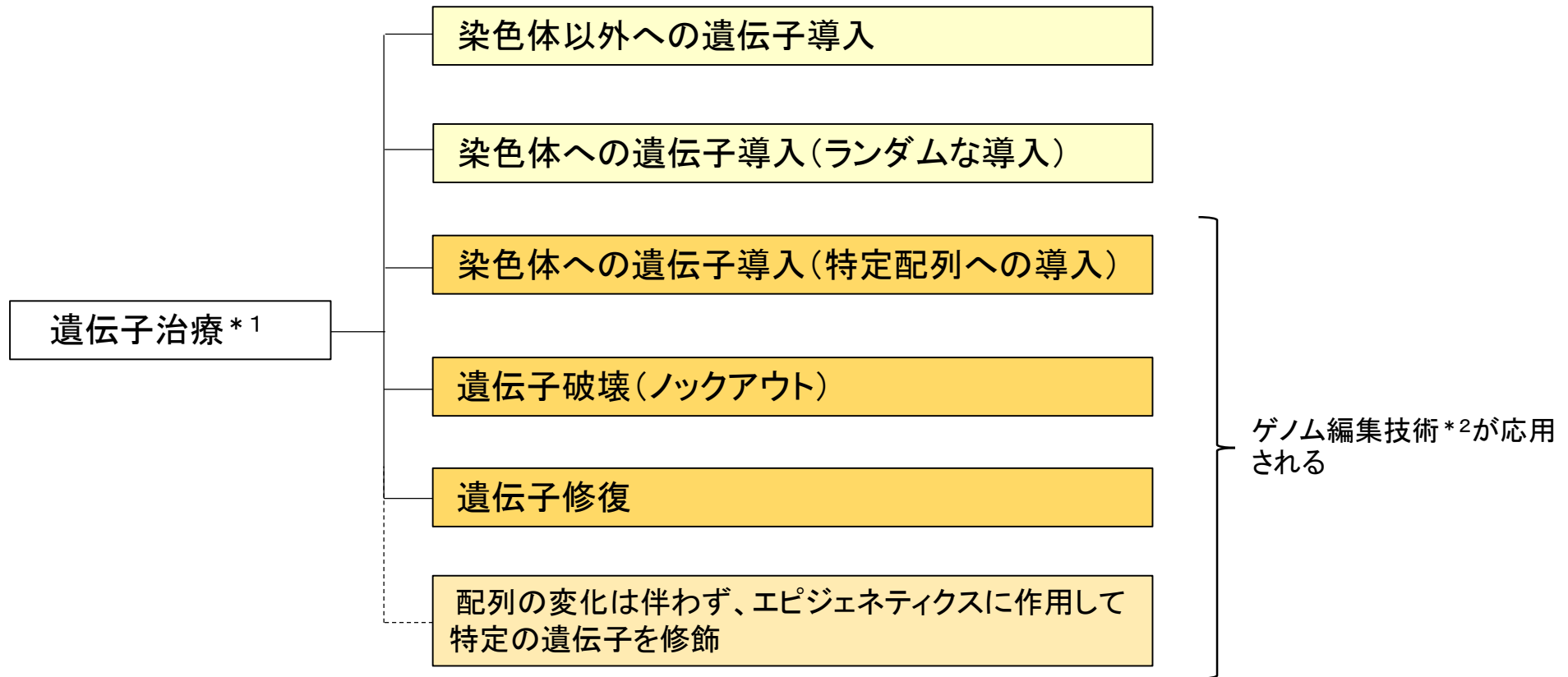


遺伝子治療の研究開発の俯瞰図について

平成30年2月14日

内閣官房
健康・医療戦略室

参考) 遺伝子治療の分類



*1 *In vivo* (遺伝子を体内に投与 / 体内で遺伝子を改変) と *Ex vivo* (遺伝子を導入した細胞 / 遺伝子を改変した細胞を投与) がある

*2 ゲノム編集技術: 生物のゲノムを狙ったDNA配列を認識する部分と、そこを特異的に切断する人工の核酸分解酵素(ヌクレアーゼ) からなるものを用いて、細胞の持つDNA修復機構を利用し、切断による遺伝子の不活化又は、切断箇所への人工のDNA断片の挿入により、遺伝子の改変を行う技術。従来の遺伝子組換えと異なり、ゲノムに編集の痕跡を残さず、改変される。

(生命倫理専門調査会「ヒト受精卵へのゲノム編集技術を用いる研究について(中間まとめ)」(平成28年4月22日))

再生・細胞医療/遺伝子治療の研究状況

赤字: 実用化(日本) 青字: 実用化(欧米) 黒字: 臨床試験(日欧米) 灰字: 非臨床・応用・基礎

	① がん 1) 血液がん 2) 固形がん	② 単一遺伝子性疾患	③ 感染症	④ 心血管疾患	⑤ 神経疾患	⑥ 眼疾患	⑦ 筋骨格系疾患	⑧ その他
終末分化細胞・体性幹細胞	-	-	-	心不全 (骨格筋芽細胞) 末梢動脈疾患(単核球)	脳梗塞、 脊髄損傷 (神経幹細胞・骨髄幹細胞)	角膜上皮幹細胞 疲弊症 (角膜上皮細胞)	軟骨損傷 (軟骨細胞、 滑膜幹細胞)	急性GVHD (骨髄間葉系幹細胞) 皮膚創傷 (表皮細胞)
ES/iPS細胞	-	先天性 アンモニア代謝異常症 (肝細胞)	-	心不全 (心筋細胞)	パーキンソン病、 脳梗塞、 脊髄損傷 (神経細胞)	加齢黄斑変性症 (網膜色素上皮細胞) 角膜炎 (角膜上皮細胞)	軟骨損傷 (軟骨細胞)	GVHD予防 (間葉系幹細胞) 糖尿病 (膵細胞、人工膵臓) 輸血 (血小板)
免疫細胞	-	活性化リンパ球療法 樹状細胞ワクチン療法	-	-	-	-	-	-

移植細胞の生着・免疫拒絶

腫瘍形成(未分化細胞混入による)、がん化(継代等による)

Ex vivo									
ゲノム編集なし	リンパ腫、白血病 (CAR-T細胞) GVHD重症化予防 (T細胞)	食道がん (T細胞)	原発性免疫不全症候群 (造血幹細胞) 副腎白質ジストロフィー、 βサラセミア(造血幹細胞) 表皮水疱症 (表皮細胞)	-	-	-	-	-	
ゲノム編集あり	リンパ腫 白血病 (他家CAR-T細胞)	肺がん、メラノーマ (T細胞)	表皮水疱症 (表皮幹細胞)	HIV (造血幹細胞、 T細胞)	-	-	-	-	
In vivo									
ゲノム編集なし	-	メラノーマ (腫瘍溶解性ウイルス) 脳腫瘍 (腫瘍溶解性ウイルス) 肺・前立腺がん (がん抑制遺伝子)	先天性代謝異常症 レーバー先天性黒内障 血友病 ライソゾーム病 筋ジストロフィー AADC欠損症	CMV 予防ワクチン	末梢動脈疾患、 冠動脈疾患等、 心不全 (再生)	パーキンソン病 等 脳梗塞、 脊髄損傷 (再生)	加齢黄斑変性症、 網膜変性症等	軟骨・骨格筋損傷 (再生)	肝不全(再生)、 糖尿病(再生)、 腸疾患(再生)、 慢性腎臓病(再生)
ゲノム編集あり	-	-	ライソゾーム病 血友病	-	-	-	-	-	

標的臓器・細胞での安定的遺伝子発現(臓器指向性、遺伝子導入効率)

編集効率(ゲノム編集)

免疫原性

体外へのウイルス排出

がん化(挿入変異による)

オフターゲット(ゲノム編集)

製造(コスト、設備)、薬事戦略相談、知財戦略等

技術的な課題

緑枠: 基礎(有効性)
赤枠: 基礎(安全性)
青枠: 基盤

再生・細胞医療

遺伝子治療

遺伝子治療におけるAMED支援事業(イメージ)

