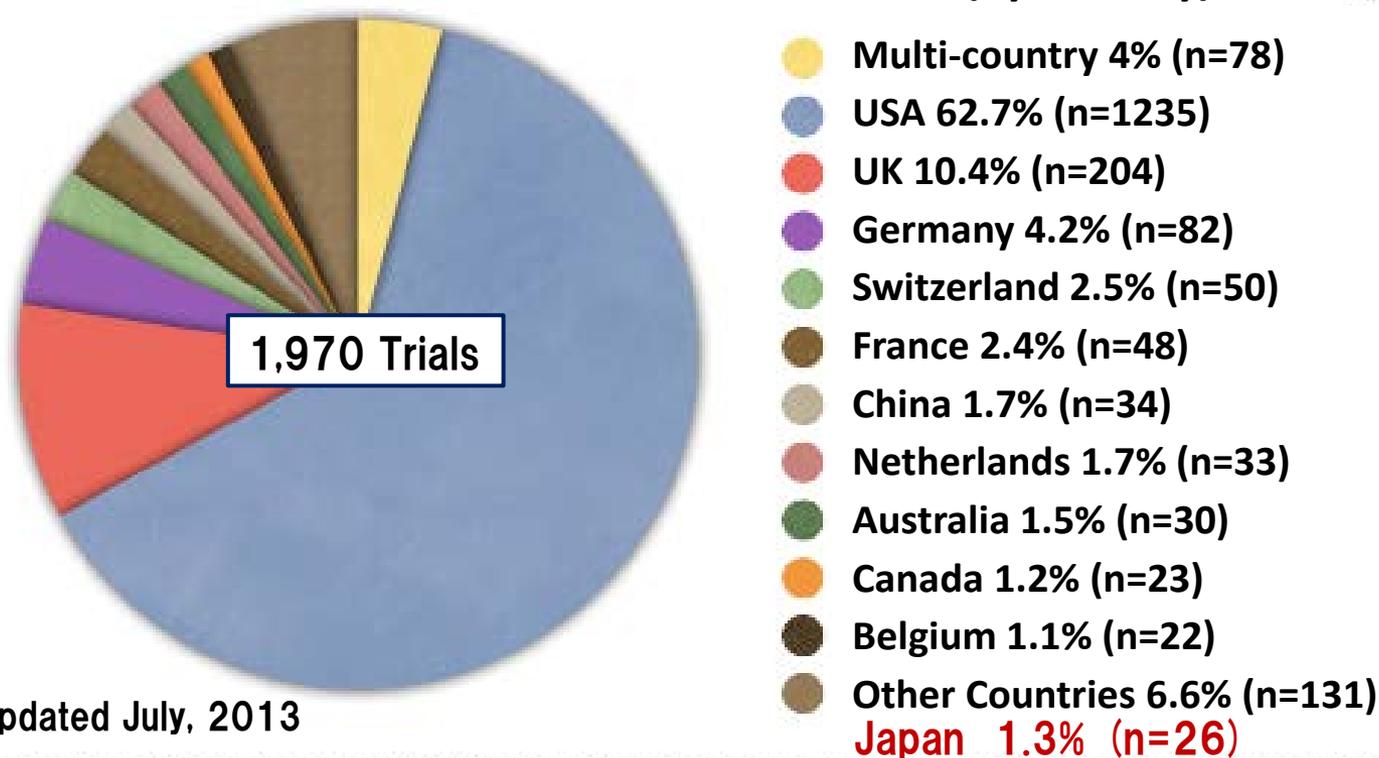


世界における遺伝子治療臨床試験の現況

Geographical Distribution of Gene Therapy Clinical Trials (by Country)



Updated July, 2013

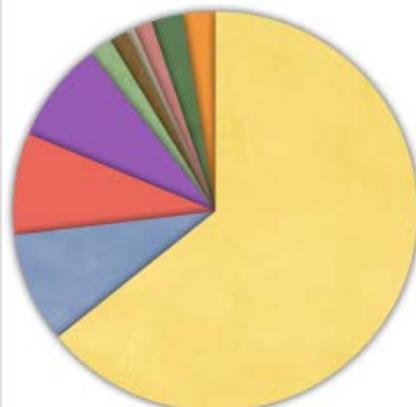
The Journal of Gene Medicine, © 2013 John Wiley and Sons Ltd

www.wiley.co.uk/genmed/clinical

2013年7月までに世界で登録されている臨床試験件数は1970件であるが、日本は26件と極端に少なく、臨床応用に関して欧米に著しい後れをとっている現状が理解できる。

遺伝子治療：多彩な臨床試験に基づく今日的成果と日本の課題

Indications Addressed by Gene Therapy Clinical Trials



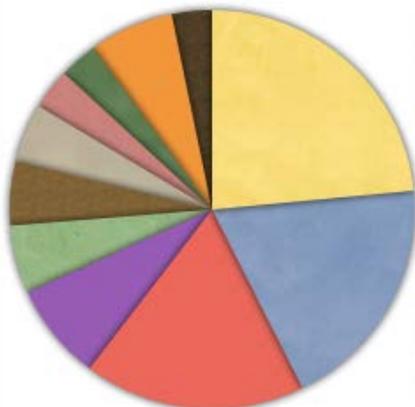
- Cancer diseases 64.2% (n=1264)
- Monogenic diseases 8.9% (n=176)
- Infectious diseases 8.2% (n=162)
- Cardiovascular diseases 8.1% (n=160)
- Neurological diseases 1.9% (n=37)
- Ocular diseases 1.4% (n=28)
- Inflammatory diseases 0.7% (n=13)
- Other diseases 1.4% (n=28)
- Gene marking 2.5% (n=50)
- Healthy volunteers 2.6% (n=51)

Updated July, 2013

The Journal of Gene Medicine, © 2013 John Wiley and Sons Ltd

www.wiley.co.uk/genmed/clinical

Vectors Used in Gene Therapy Clinical Trials



- Adenovirus 23.5% (n=476)
- Retrovirus 19.1% (n=388)
- Naked/Plasmid DNA 17.7% (n=359)
- Vaccinia virus 7.8% (n=159)
- Lipofection 5.5% (n=112)
- Adeno-associated virus 5.2% (n=105)
- Poxvirus 4.8% (n=97)
- Lentivirus 3.3% (n=67)
- Herpes simplex virus 3.1% (n=62)
- Other categories 6.8% (n=137)
- Unknown 3.2% (n=65)

Updated July, 2013

The Journal of Gene Medicine, © 2013 John Wiley and Sons Ltd

www.wiley.co.uk/genmed/clinical

今日的成果と要素技術

造血幹細胞遺伝子治療法の確立:

- 重症免疫不全症に対する安定した長期成績、副腎白質ジストロフィーなどでの成功例の報告
- レンチウイルスの応用による安全性向上

AAVベクターの臨床応用: タンパク質・酵素の

- 長期補充療法としての安全性・有効性の確立
- 日米欧初の遺伝子治療用医薬品 **Glybera**の欧州での承認 (2012年)
- レーバー先天性黒内障、血友病Bなど**単一遺伝子疾患**に加えて**パーキンソン病**での有効性が実証

がんの遺伝子治療の進歩:

- キメラ受容体 (CAR) 遺伝子を導入した自己T細胞を用いる**養子免疫がん遺伝子治療**:リンパ性白血病、悪性リンパ腫に対する有効性報告
- **腫瘍溶解性ウイルス**:新しい治療戦略の提示
- **次世代がんワクチン戦略**:『武装化腫瘍溶解性ウイルス』、『REIC遺伝子発現アデノウイルス』

日本の緊急課題

研究開発基盤、臨床用ウイルスベクターの供給体制、臨床試験実施体制の迅速整備!