

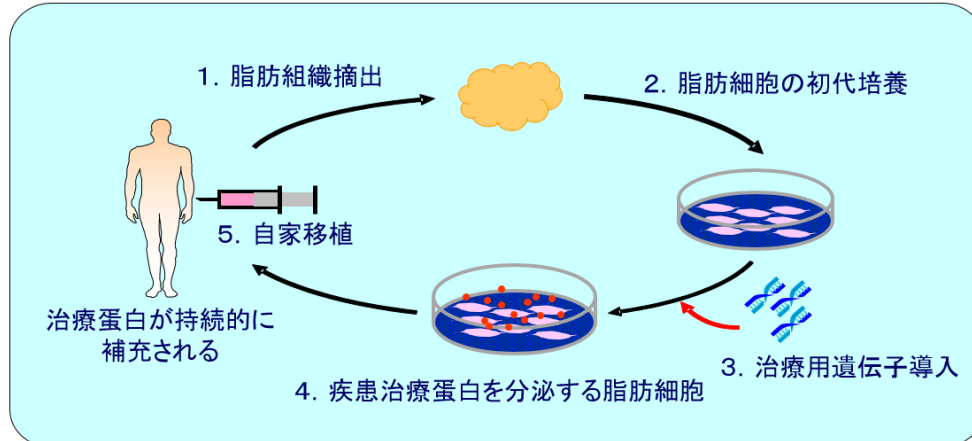
平成28年 8月16日  
千葉大学医学部附属病院

世界に先駆け、患者さんの脂肪細胞を使った遺伝子治療法を開始  
～実用化に向けた臨床試験が承認 難病治療法開発に期待～

千葉大学病院（病院長 山本 修一 千葉市中央区亥鼻 1-8-1）は、このたび、世界で初めての遺伝子治療研究となる、家族性 LCAT 欠損症（注1）（血液中の酵素を欠いているために重篤な症状を示す疾患の一つ）を対象とした第一種再生医療臨床研究（注2）の実施に関して、8月8日（月）厚生労働省より承認を得ました。

この治療法は、家族性 LCAT 欠損症の患者さんの脂肪組織から採取した脂肪細胞を体外で培養し、遺伝的に欠損している LCAT 遺伝子を導入、LCAT 蛋白を造り出すように加工したのちに患者さん自身へ再び移植し、正常な LCAT 蛋白を持続的に体内へ補充するものです。

難病治療蛋白を供給する遺伝子導入脂肪細胞の自家移植治療

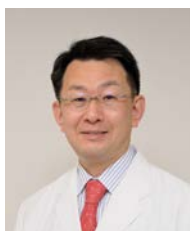


千葉大学病院では、脂肪細胞がヒトの細胞の中でも特に寿命が長く、またがん化などの変化も生じにくいなどの特徴に着目し、難病を治療するために蛋白を分泌するよう加工した治療用遺伝子導入ヒト脂肪細胞の実用化研究を進めてきました。今回の臨床での治療研究は、平成26年11月25日より施行された再生医療等安全性確保法の下、千葉大学病院と千葉大学発バイオベンチャーのセルジェンテック株式会社が日本医療研究開発機構（AMED）から支援を受け、患者さんを対象とした臨床試験を進めるものです。

この技術は、今後、家族性 LCAT 欠損症のみならず血友病やライソゾーム病など多くの難病治療法開発に繋がる技術として期待されます。

千葉大学病院は引き続き、難病克服へ向けた実用化をセルジェンテック社と共同で行い、将来的にはインスリンを補充し糖尿病の治療に役立てることを目指した研究を進める予定です。セルジェンテック社は、これらの研究成果に基づき、難病治療用の加工ヒト脂肪細胞の研究開発を進め、遺伝子細胞医薬品としての承認・実用化を目指します。

<糖尿病・代謝・内分泌内科 横手幸太郎教授よりコメント>



LCAT は、体の余分なコレステロールを取り除くために必要な酵素の一種です。LCAT 欠損症は有害なコレステロールが体に溜まってしまい、瞳（ひとみ）が白く濁ってしまったり、腎臓の働きが悪くなって透析に至ることがある大変珍しい病気です。これまで根本的な治療法がありませんでしたが、患者さんご自身の脂肪細胞を使った新しい遺伝子治療法を開発し、このたび、新たに制定された法律のもと、この治療法の実用化へ向けた臨床試験が承認され、大きなステップを踏み出すことができます。

<用語解説>

1) 家族性<sup>かぞくせい</sup>LCAT<sup>エルキヤットけっそんしょう</sup>欠損症

LCAT を作り出す遺伝子の異常で LCAT 蛋白を体の中に作り出すことができない病気。LCAT が十分にはたらくことができないため、血液中の善玉コレステロール（HDL）が著しく減少し、余分なコレステロールが腎臓や目などに蓄積し腎機能障害、角膜混濁、溶血性貧血などの障害を起こす疾患。比較的まれな遺伝疾患であり、治療法が確立されていない難病。平成 27 年 7 月 1 日付で厚生労働省より難病指定された。

2) 第一種再生医療研究

病気やけがで損なわれた臓器や組織の働きを再生させるために、細胞や組織を体外で培養したり、加工したりして体に移植する医療。再生医療安全性確保法でリスクが最も高い「第一種」として、特定認定再生医療等委員会および厚生労働省の承認を受け、安全性が確保された再生医療を実施するための厳格な基準を満たしていることを意味します。

本件に関するお問い合わせ先  
千葉大学医学部附属病院  
未来開拓センター・特任准教授  
黒田 正幸

Tel : 043-226-2718  
E-mail : kurodam@faculty.chiba-u.jp

取材に関するお問い合わせ先  
千葉大学医学部附属病院  
総務課広報係 坂本・丸山

Tel : 043-226-2225 Fax : 043-224-3830  
E-mail : xae6025@office.chiba-u.jp

※本リリースは 8/22（月）文部科学記者会、厚生労働記者会、厚生日比谷クラブに送信いたします。