

遺伝子治療の最近の動向

日本医科大学分子遺伝学教室 島田 隆

遺伝子治療は遺伝病やがんなどの難治性疾患の新しい治療法として期待されている。1990年に米国で先天性免疫不全症に対する治療が行われて以来、現在までに1700を超える臨床研究が世界中で開始されている。この間、ウイルスベクターの安全性の問題により一時研究が停滞したことがあったが、最近では様々な疾患の治療で有効性が明らかになっている。これまでに遺伝子治療の成功例として報告されているものとして、原発性免疫不全症、先天性視覚障害であるレーバー病、神経変性疾患であるパーキンソン病や副腎白質ジストロフィー、血友病などがある。このような状況を踏まえ、米国遺伝子治療学会では今後5-7年以内に実用化可能な遺伝子治療の対象疾患として原発性免疫不全症や血友病を含む10疾患(Target 10)を発表し、精力的に遺伝子治療臨床研究を推し進めている。又、大手製薬企業による遺伝子治療の治験の計画が発表されている。

一方で日本での遺伝子治療臨床研究は欧米に比較し大きく遅れている。これまでに承認された臨床プロトコールの数は22件しかない。しかもほとんどが欧米で開発されたプロトコールであり、日本オリジナルのものは少ない。この原因として①遺伝子治療研究に対する公的研究費が少ないこと、②臨床用ベクターの供給体制が整備されていないこと、③遺伝子治療の申請手続きが煩雑で審査に時間がかかること等が指摘されている。更に、我が国では遺伝子治療臨床研究と遺伝子治療薬の開発が、異なる審査方法で行われていることも問題になっている。現行の遺伝子治療臨床研究の指針(ガイドライン)は遺伝子治療創生期の平成6年に作られたものの修正版で、最近の遺伝子治療研究の進歩に対応できていない。日本の遺伝子治療研究を活性化し、迅速な臨床応用を可能にするためには欧米の基準も取り入れた新しい指針を作成することが急務である。



島田 隆 (しまだ たかし)

日本医科大学分子遺伝学教室教授。1974年日本医科大学医学部卒業。日本医大小児科、国立がんセンター研究所生化学部門を経て1981年から米国NIH、NHLBI、Nienhuis(ニーンハイス)研究室に留学。1991年に帰国して日本医科大学生化学第2講座主任教授。現在は小児科学講座教授、遺伝診療科部長を兼務している。専門分野は遺伝子導入技術の開発と遺伝子治療。1992年以来厚労省の遺伝子治療関係の委員会委員としてガイドラインの作成や臨床プロトコールの審査に従事し、2011年からは遺伝子治療作業委員会委員長。