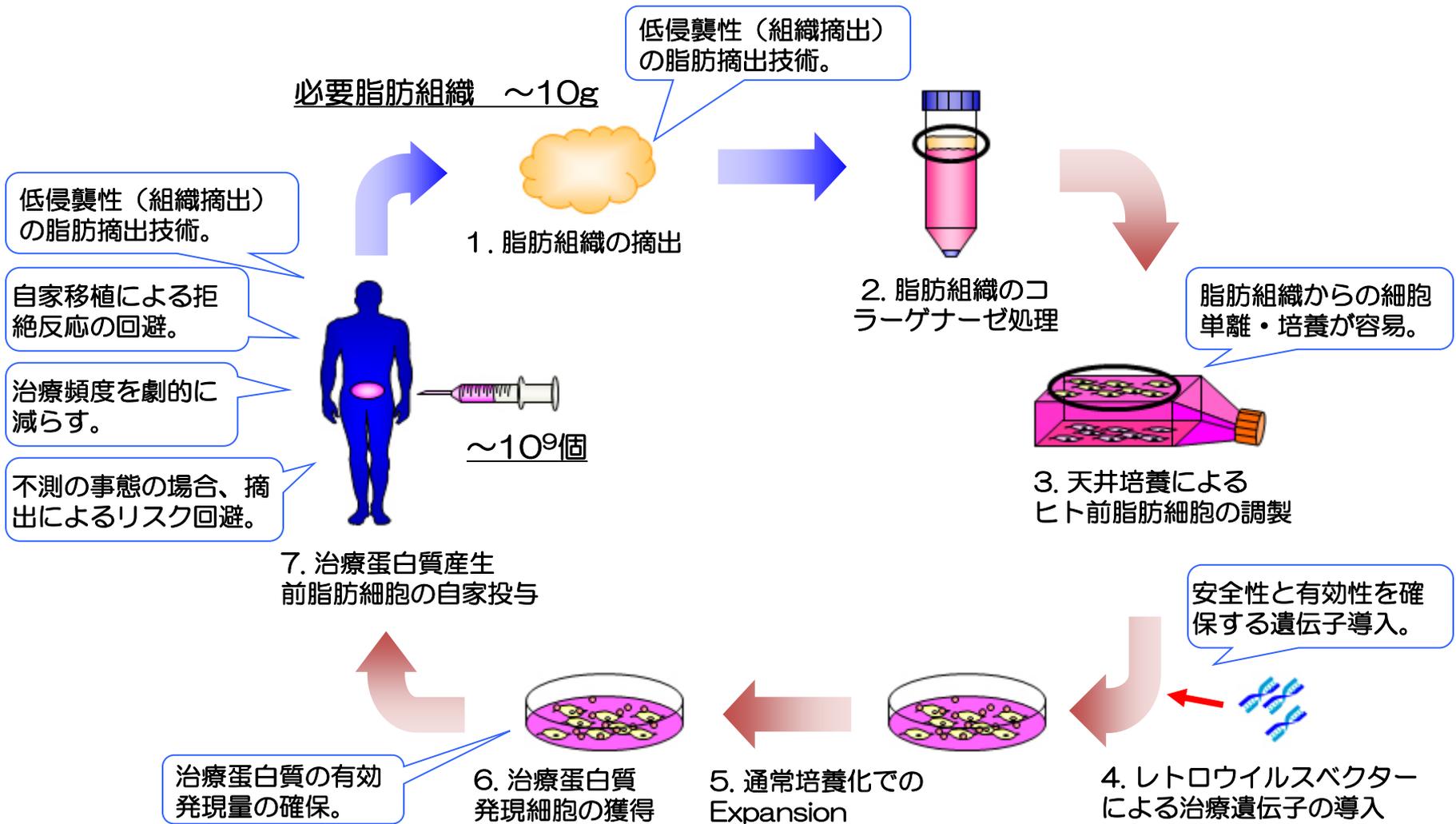


# 脂肪細胞を用いた持続的酵素補充療法による難病治療



ヒトの体内には血中ではたらく酵素・タンパク質が数多くあります。そのような酵素がはたらかなくなると、体の色々な臓器に様々な障害が発生し、時には患者さんの生命にかかわることがあります。

そのような病気の一つに**家族性レシチン:コレステロールアシルトランスフェラーゼ (LCAT) 欠損症**があります(詳細は別の資料を参照ください)。

このような酵素を生まれながらに持たない患者さんにはその酵素を血液中に補充する治療法(酵素補充療法)が有効です。

私たちは、古くから形成外科で臨床治療として脂肪移植が行われていることに着眼し、患者さんの脂肪細胞から酵素を分泌する細胞を作り、患者さんに移植することでその酵素を持続的に体内で作り出し、症状を長期に改善できるような治療法の開発を進めています。

# 家族性LCAT欠損症とは？

-平成27年7月1日付で厚生労働省より難病に指定されています(指定難病259) -

コレステロールを排泄するはたらきを持つ善玉コレステロール(HDLコレステロール)のはたらきに大切な酵素であるLCATの欠損した遺伝性の病気で、世界的にも治療法が無い難病です。

患者さんは、不要なコレステロールを処理することができないため、余分なコレステロールが眼や腎臓などに蓄積します。これらが原因で角膜混濁(眼が濁る)や40~60歳で腎機能障害から腎不全を合併することがあります。

原因不明の腎機能障害として見逃されている場合もあると思われます。

## 典型的な臨床所見

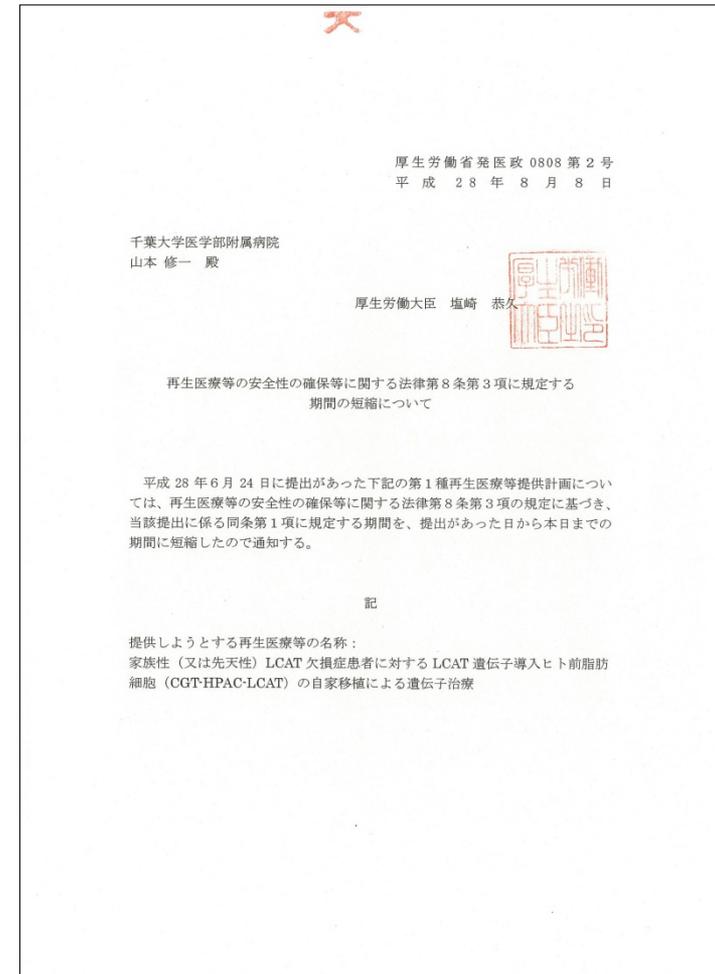
- 低HDLコレステロール(10 mg/dL未満が多い)  
さらに下記のいずれかもしくは両方を合併
  - 角膜混濁
  - 蛋白尿/腎機能障害

# 再生医療安全性確保法のもと、家族性LCAT欠損症を対象とした 第一種再生医療臨床研究として実施が認められました

平成28年8月8日に再生医療等安全性確保法のもと認可を受けて、家族性LCAT欠損症の患者さんを対象とした**世界で初めての遺伝子治療研究**を開始することとなりました。

**家族性LCAT欠損症の臨床所見に合致(もしくは疑わしい)し、かつ本治療法に関心をお持ちの患者さんがおられましたら、詳しい説明などさせて頂きますので下記までご一報ください。**

連絡先：  
千葉大学医学部附属病院未来開拓センター  
黒田正幸  
TEL: 043-226-2718  
E-mail: kurodam@faculty.chiba-u.jp



# 患者様、主治医の先生方へ

千葉大学では家族性LCAT欠損症を対象として以下の研究を進めています。

1. 家族性LCAT欠損症の病態研究
2. 家族性LCAT欠損症を対象とした第一種再生医療臨床研究

## 典型的な家族性LCAT欠損症の臨床所見

- 低HDLコレステロール(10 mg/dL未満が多い)

さらに下記のいずれかもしくは両方を合併

- 角膜混濁
- 蛋白尿/腎機能障害

- このような臨床所見に合致する、もしくは疑わしい患者様
- 千葉大学で実施中の第一種再生医療臨床研究にご興味をお持ちの患者様

# 脂肪細胞を用いた酵素補充療法の開発

## 健常人研究協力者(ボランティア)を募集しています！

千葉大学では脂肪細胞を用いた酵素補充療法をより早く患者さんのもとに届けられるように技術開発研究を進めています。

そのためには人の脂肪組織から取り出した脂肪細胞を使った研究が必要です。これまで千葉大学では20人程度の健常人の方から形成外科で、10～20g程度の脂肪組織を頂き研究を積み重ねてきました。

この技術をより良いものにするため、もう少し健常人の方のご協力が必要です。

本研究の趣旨に賛同し、脂肪組織を提供いただける健常者の方、もしくは本件に興味のある方はぜひご連絡を！

連絡先:

千葉大学医学部附属病院未来開拓センター

黒田正幸

TEL: 043-226-2718

# 今後の展望

最初の対象疾患：家族性LCAT欠損症

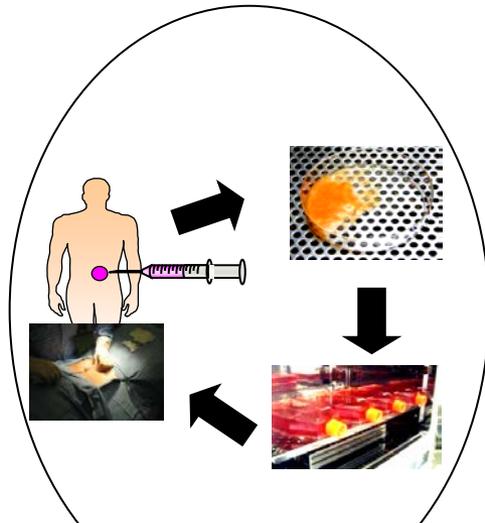
第一種再生医療臨床研究

治験

薬事承認



他の難治性疾患への応用研究



安全性/有効性  
の評価



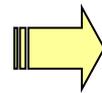
ライソゾーム病

網膜変性症

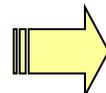
血友病

中枢神経性疾患

糖尿病



他家移植への応用研究



海外研究者・企業との共同研究/提携