



平成25年5月17日  
千葉大学医学部附属病院

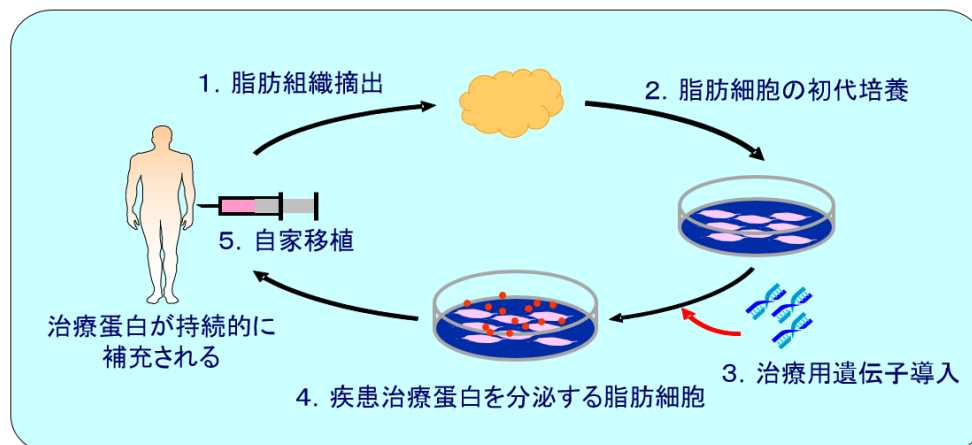
## 世界に先駆けて、脂肪細胞を用いた遺伝子治療研究を開始

家族性 LCAT 欠損症をはじめ、血友病やライソゾーム病などの治療法開発に福音

千葉大学医学部附属病院では、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（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）を対象とした遺伝子治療臨床研究の実施に関して、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、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。今回の治療法は、千葉大学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2005年から厚生労働科学研究費補助金（千葉大学）およびNEDO研究開発型実用化支援事業（セルジェンテック社）の支援を受け、行ってきた共同研究により開発されたものです。

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福音となる技術として期待されます。現在は、厚生労働科学研究費補助金（千葉大学）の支援を受け、薬事承認を目指した研究を継続しています。

千葉大学は引き続き、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。

#### 1) 家族性 LCAT 欠損症とは

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が数多く知られています。これらの疾患では体内の様々な臓器に障害が生じ、患者さんの生命予後に重大な影響を及ぼします。そのような疾患の一つとして家族性レシチン：コレステロールアシルトランスフェラーゼ（LCAT）欠損症が知られています。この疾患は LCAT 酵素の遺伝子異常による先天性疾患で、善玉コレステロール（HDL）の機能異常をきたし、HDL がゼロもしくは著明に低くなり体内のコレステロールを正常に処理できなくなるため、結果として、角膜混濁や重篤な腎機能障害をきたす疾患です。この疾患は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です。