

令和2年6月22日  
千葉大学医学部附属病院

## 脂肪細胞を用いた再生医療・遺伝子治療製品の実用化へ 遺伝性難病の治療で、千葉大学が治験開始

体外に取り出した脂肪細胞に正常な遺伝子を導入して患者に投与

千葉大学病院（病院長 横手 幸太郎）は、家族性LCAT欠損症（厚生労働省より難病指定されている遺伝病）を対象とした再生医療・遺伝子治療用脂肪細胞医薬品の実用化を目指して、医薬品医療機器総合機構（PMDA）及び当院の治験審査委員会の審査を終了し、医師主導治験を開始することとなりました。

<家族性LCAT欠損症とは>※詳細後述

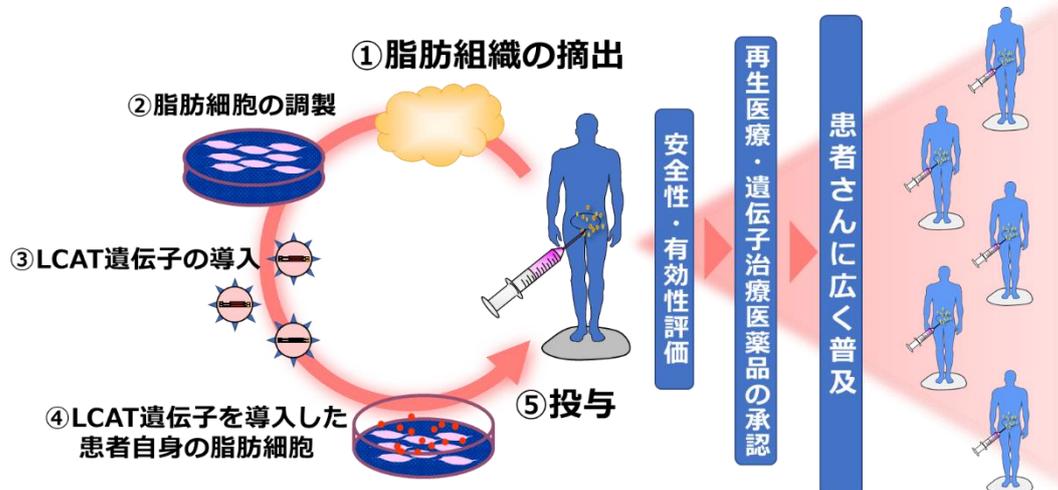
家族性LCAT欠損症は厚生労働省より難病指定され、コレステロール代謝の異常に伴い、腎機能障害、視力障害、溶血性貧血などを引き起こす遺伝病で、効果的な治療法はありません。

<脂肪細胞とは>

これまで実用化されている再生医療・遺伝子治療は、血球細胞を用いたものですが、新たな治療法では、脂肪細胞を用いており、これが実用化されれば、世界初となります。脂肪細胞は、寿命が長く、がん化しにくいとされているため、安全な治療法で、その効果は長期に亘って持続すると考えられています。

<今回の治療法のポイント>

家族性LCAT欠損症の患者さんから抽出した脂肪細胞に正常なLCAT遺伝子を導入したうえで本人の皮下に一回投与することにより、導入した遺伝子が正常なLCATの補充を行い、症状の改善が期待されるという画期的な治療法です。



### <これまでの経緯と今後の可能性>

千葉大学病院では、既に再生医療等安全性確保法の下、第一種再生医療研究で、家族性LCAT欠損症の患者さん1例を対象として、同様の治療を行い、現在に至るまで3年以上経過観察を行い、安全性が確認され、またLCAT欠損によるコレステロール代謝の改善が持続して観察されています。

今回の治験は、この臨床研究の成果を受けて、研究グループ内でさらに検討し、薬機法（医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律）の下、PMDAの厳格な審査を受けた計画に基づき実施されるもので、千葉大学病院が患者さんにLCAT遺伝子を導入した脂肪細胞の投与を行い、その後の安全性や有効性を評価します。患者さんに投与される細胞の調製は、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行います。今後、この治験の結果に基づいて再生医療・遺伝子治療用脂肪細胞医薬品としての承認を目指します。

難病には、血友病やライソゾーム病といった、酵素やタンパク質の補充が日々必要な病気が多くあります。この治験の成果は、多くの遺伝病に限らず糖尿病などの生活習慣病に新たな治療法を提供するものと期待されます。

### <用語解説>

#### 1) 家族性LCAT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、過剰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。頻度の低い遺伝疾患であり、治療法がない難病。平成27年7月1日付で厚生労働省より難病指定された(指定番号259番)。

#### 2) 治験

「臨床試験」とは実際に人を対象として、新たな治療法の安全性や効果のデータを集める研究のことを言い、この臨床試験の中で、薬機法（医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律）の下、より多くの患者さんに提供できるように、国からの承認を得る目的でおこなう臨床試験を「治験」と言う。

#### 3) 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を再生医療と呼ぶ。千葉大学が既に実施中の臨床研究は再生医療等安全性確保法（2014.11.25より施行）においてリスクが最も高い第一種再生医療等技術を用いた研究にあたる。特定認定再生医療等委員会および厚生労働省の審査を受け、再生医療等安全性確保法の下、厳格な基準を満たしていることが認められている計画である。

### <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

### <ニュースリリースに関するお問い合わせ先>

千葉大学医学部附属病院 病院広報室 坂井・高井・丸山

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