

遺伝子治療製品の過去・現在・未来

国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子医薬部長 内藤幹彦

1970年代に遺伝子工学の技術が確立されてから遺伝子を物として取り扱う事ができるようになり、遺伝子を利用して疾患を治療する遺伝子治療の概念が生まれた。世界で最初の遺伝子治療は、1990年に米国で Adenosine deaminase (ADA) 欠損症患者に対して行われた。この治療は患者さんから取り出した T リンパ球に ADA 遺伝子を導入して身体に戻すという方法で行われ、臨床的に有効であると判定された。日本でも 1995年に ADA 欠損症患者に対して最初の遺伝子治療が行われた。これらの報告により遺伝子治療に対する期待は大いに高まったが、その後遺伝子導入に使用したレトロウィルスの挿入変異が原因とされる白血病発症等の有害事象が報告され、一時遺伝子治療に対する期待感は大きく後退した。しかし、ベクター等の改良により安全性も改善され、臨床研究や治験として遺伝病やがんなど様々な疾患に対する遺伝子治療が試みられるようになった。そして 2012年に、家族性リポプロテインリパーゼ欠損症患者に対する遺伝子治療製品が、欧米先進国で初めての遺伝子治療製品として EU で承認された。

このような状況の中で 2012年、米国遺伝子細胞治療学会は5～7年以内に遺伝子治療の実用化が期待される疾患 (Target10) をリストアップした。近年は大手製薬企業による遺伝子治療製品の治験も進行しており、近い将来の実用化が期待されている。またゲノム編集技術等の進歩により、異常な遺伝子を修正するという新しい遺伝子治療も視野に入ってきている。

日本における遺伝子治療は、臨床研究に比べ治験の実施が少ない事などが指摘されている。この要因はさまざま考えられるが、遺伝子治療製品の開発を促進するためには、遺伝子治療に関連する指針等の見直しや法整備を含めたレギュラトリーサイエンスを推進し、治験を実施しにくくしている要因を取り除くことが重要である。講演では遺伝子治療のレギュラトリーサイエンスにおける国立医薬品食品衛生研究所の活動についても紹介する。