

「慢性肉芽腫症に対する造血幹細胞遺伝子治療」の審議開始について

(独)国立成育医療研究センターでは、当センター研究所・成育遺伝研究部 小野寺部長より申請のあった「慢性肉芽腫症に対する造血幹細胞を標的とした遺伝子治療臨床研究」の審議を、平成 22 年 5 月 31 日、当センターの遺伝子治療臨床研究審査委員会にて開始いたしました。

この遺伝子治療は、生下時より重い感染症を繰り返す慢性肉芽腫症（まんせいにくげしゅしょう）に対し、患者様から造血幹細胞とよばれる血液細胞を血管から採取し、その細胞にレトロウイルスベクターを用いて正常の遺伝子を導入し、再び、点滴にて患者様に投与する治療法です。

この治療法は、すでに欧米を中心に現在まで 13 名の方が受けられ、抗生剤等を使用しても改善しない重い感染症が治るなど一定の治療効果を上げています。今回は、米国国立衛生研究所のマレック博士と共同研究の下、造血幹細胞移植を行えない患者様に対して、本センターでの治療実施を計画しております。

今後は遺伝子治療臨床研究審査委員会にて、本遺伝子治療の安全性、有効性、倫理性に関し慎重な議論を重ね、遅滞なき実施開始に結び付けたと考えおります。

なお、本件の詳細な内容に関しては、当センター病院内科系専門診療部免疫科（小野寺、河合）までご連絡ください。