

国立成育医療研究センター  
遺伝子細胞治療推進センター

## 特別セミナー

# 造血幹細胞を用いた 遺伝子細胞治療の開発

2021年6月25日（金）

**15:00** ～ （2周年記念シンポジウム終了後）

Microsoft Teams オンライン開催  
参加費無料

事前登録 2周年記念シンポジウム登録者は不要

登録フォームURL：

<https://forms.office.com/r/vSPw14UWPf>



東京大学医科学研究所、遺伝子・細胞治療センター、  
分子遺伝医学分野

**内田直也** 先生

造血幹細胞遺伝子治療は、第3世代レンチウイルスベクターを用いて患者造血幹細胞の染色体DNAに正常遺伝子を導入することで、様々な先天性疾患を一回の治療で生涯に渡って治療することが可能となる。

最近、鎌状赤血球貧血症に対する造血幹細胞遺伝子治療後に白血病の合併が報告され、旧世代ベクターによる挿入変異が回帰されたが、癌遺伝子周辺への挿入は無く、疾患の基本病態と移植前処置が原因として考えられている。造血幹細胞遺伝子治療の有効性や安全性について、アメリカの現状を含めて紹介する。