

報道関係者各位

2020年8月25日

国立成育医療研究センター

国立精神・神経医療研究センター

**遺伝子治療の診療や治験を適切に実施するマニュアル作りへ着手  
～「国立成育」と「国立精神・神経」が神経・筋疾患における共同研究～**

国立成育医療研究センター（所在地：東京都世田谷区大蔵、理事長：五十嵐隆）遺伝子細胞治療推進センターの小野寺雅史、中國正祥、および国立精神・神経医療研究センター（所在地：東京都小平市小川東町、理事長：水澤英洋）トランスレーショナル・メディカルセンターの小牧宏文、病院の本橋裕子らのグループは、神経・筋疾患に対する遺伝子治療において診療や治験を適切に実施するために必要な医療体制を検討して、マニュアル整備などの研究を共同で開始します。

遺伝子治療の製品に関する資料は製薬会社が作成していますが、医療機関において誰が何を担当するかなどの具体的な対応は各々の施設環境にあわせて医療関係者が整備しなければなりません。本研究は、特に神経・筋疾患に対する遺伝子治療において医療機関における治療体制および自宅における療養環境の確立を目指して、両ナショナルセンターの専門知識、技術、経験から、他の医療機関の施設環境でも応用できるようなマニュアル作りなどを行います。さらに、国立成育医療研究センターと国立精神・神経医療研究センターはそれぞれの専門性を生かし、国内における神経・筋疾患に対する遺伝子治療の推進を図ります。

**【背景】**

遺伝子治療には、体内に直接目的の遺伝子を投与する *in vivo* 遺伝子治療と、体外で主に自己の細胞に遺伝子を導入し、その細胞を患者に投与する *ex vivo* 遺伝子治療があります。特に、神経・筋疾患に対してはアデノ随伴ウイルスベクターを用いた *in vivo* 遺伝子治療の開発が急速に進んでおり、顕著で持続的な治療効果も数多く報告されています。

一方、遺伝子治療を実施する際は使用する製品の特性を十分に理解し、関連する法律や指針に則った実施体制を整備することが求められており、製品の管理・調製および患者の体液や排泄物に対する処理方法を予め定めておく必要があります。例えば、上記ウイルスベクター製品を使用する場合には、医療機関での治療時のみならず、退院後の自宅療養においても、カルタヘナ法<sup>\*</sup>に準拠した環境基準をクリアすることが求められています。

※ カルタヘナ法：遺伝子組換え生物などを使用などする際の規制措置を講じることで、生物多様性への悪影響を未然に防ぐことなどを目的に定められた法律。

**【問い合わせ先】**

国立研究開発法人 国立成育医療研究センター 企画戦略局 広報企画室 村上・近藤  
電話：03-3416-0181（代表） E-mail:koho@ncchd.go.jp

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター 総務課広報係  
電話：042-341-2711（代表） E-mail:ncnp-kouhou@ncnp.go.jp