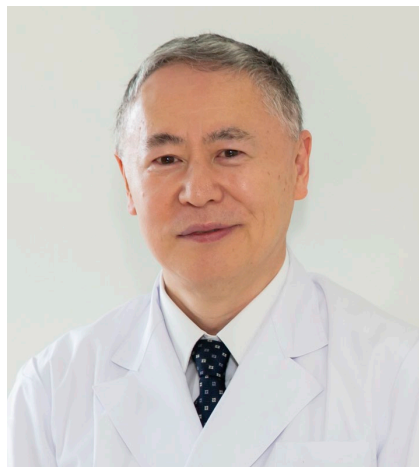


臨床応用が進む神経変性疾患の遺伝子治療



自治医科大学
オープンイノベーションセンター
神経遺伝子治療部門 客員教授

村松 慎一氏

神経細胞に効率よく遺伝子を導入し長期に発現させることができるアデノ随伴ウイルス（AAV）ベクターを応用して、神経疾患に対する遺伝子治療が急速に発展している。私たちは、パーキンソン病に対してドパミンの生合成に必要な酵素のcDNAを搭載したAAVベクターを定位脳手術により被殻に注入する遺伝子治療を開発してきた。このうち、レボドパをドパミンに変換する芳香族アミノ酸脱炭酸酵素（AADC）を発現するAAVベクターは、AADC欠損症に対する製剤（Upstaza®, Kebilidi®）として欧米で薬事承認されている。本年5月からはパーキンソン病に対しAADCに加えてレボドパの合成に関わる2種類の酵素遺伝子も同時に発現する方法の治験を開始している。また、筋萎縮性側索硬化症(ALS)に対して、広範な中枢神経領域の神経細胞に遺伝子導入可能なAAV.GTXベクターを使用して、RNA編集酵素のADAR2を運動ニューロンに発現する遺伝子治療の治験を実施している。これらについて紹介する。