

基盤技術の融合で進化する治療法

◆ 遺伝子治療した自家培養表皮を用いる接合型表皮水疱症の治療

2017年11月、再生医療と遺伝子治療を組み合わせた新しい治療法の成果が発表された。ドイツのルール大学とイタリアのモデナ大学などのグループの発表によれば、接合型表皮水疱症という皮膚が脆弱になる遺伝性疾患に対し、遺伝子治療を行った自家培養表皮を移植することで、その治療に成功した。自家培養表皮は、日本でもジャパン・ティッシュ・エンジニアリングが再生医療等製品として販売しているが、それに遺伝子治療を加えた最先端の研究成果である。

この治療は、患者から4cm²の異常のない皮膚を採取して、疾患の原因遺伝子であるLAMB3の修正を行い、0.85m²の大きさの皮膚になるまで培養した後、3回に分けて移植し、患者の80%の皮膚を置き換えたものである。

17年はCAR-T（キメラ抗体受容体T細胞）療法デビューの年でもあった。17年8月にスイスの製薬会社ノバルティスの急性白血病を対象とする治療法Kymriahが、17年10月に米国の製薬会社ギリアドのびまん性細胞型B細胞リンパ腫を対象とする治療法Yescartaが、相次いで米国食品医薬品局により承認された。

CAR-T療法とは、患者の体内のT細胞（免疫細胞の1種）を取り出し、がん細胞を攻撃するように遺伝子改変を加えた後、増殖させて患者の体内に戻す治療法で、培養細胞と遺伝子治療を組み合わせた最新のがん治療法である。

◆ さまざまな基盤技術が融合して発展する治療法

CAR-T療法はがん免疫療法の一つとして捉えられており、接合型表皮水疱症の治療法は再生医療の発展系として捉えられるであろう。その科学的な背景と、対象とする疾患は大きく異なる。しかし、患者から細胞を採取し、遺伝子改変を施し、細胞を増幅し、患者に戻すという基盤技術は共通している。これらの治療法を可能にしたのは、医療グレードの細胞培養法や、人間の細胞を対象とする遺伝子操作などの大きな進歩である。今後、ゲノム編集技術が遺伝子変換をより容易に正確にするなど、個々の基盤技術が発展する中、さらに、さまざまな技術が融合して新しい治療法を産み出してゆくであろう。

【戸潤一孔】