

平成 17 年 10 月 12 日

各 位

会 社 名 ディナベック株式会社  
代表者名 代表取締役社長 長谷川 護  
問合せ先 総務財務部 清水 優一  
TEL : ( 029 ) 838 0540  
E-mail : [info@dnavec-corp.com](mailto:info@dnavec-corp.com)

**九州大学病院の遺伝子治療臨床研究**  
**厚生科学部会科学技術委員会での実施計画承認のお知らせ**  
**~ 新しい概念の遺伝子治療研究がスタート ~**

本日午前中に行われた厚生労働省・厚生審議会科学技術部会において、九州大学医学部付属病院が申請しておりました遺伝子治療の臨床研究計画（総括責任者：前原喜彦外科学教授）の審議が終了致しました。近々厚生労働大臣ならびに文部科学大臣の正式の認可があり次第、実施の運びとなります。この臨床研究が成功すれば、他に有効な治療法のない「重症虚血肢」の多くの患者の救済に道を開くこととなります。また、純国産技術に由来する世界で類をみない新しい概念の遺伝子治療技術を提供することによって、日本が遺伝子治療の分野で世界をリードすることにも道を開くこととなります。

この臨床研究の対象となる疾患は、さまざまな要因によって引き起こされる動脈硬化によって下肢の血行が阻害された結果、歩行困難、下肢疼痛からやがて下肢の潰瘍や壊死に至り、その25%の患者は下肢切断に至るといふ悲惨な病気です。切断に至った場合、数年後には反対側の足の切断も余技なくされる場合が30%、またその間の死亡率は50%にもなります。今回の臨床研究では、特に潰瘍や壊死になり切断をも予想されるいわゆる「重症虚血肢」を直接の対象としています。このような患者は国内には入院患者数としても10万人程度おり、世界的にはその10倍を遥かに超えると考えられます。食生活の欧米化はこの患者数をますます増加させるものと予想されます。これまでのところ有効な治療法はなく、このような悲惨な症状の進行を阻止し改善する新しい治療法の出現が渴望されていました。

今回の九州大学の臨床研究は、下肢に新しい血管を作らせ、血行を再開させて治療しようという「血管新生遺伝子治療」です。既にアメリカや日本においてこの血管新生遺

伝子治療は試みられていますが、九州大学の臨床研究では、これまでにない全く新しい概念に基づく治療法を用います。それは「細胞質遺伝子治療」というものです。患者のDNAに原理的に影響を与えないので、これまでの遺伝子治療が普及する障害となっていた患者の遺伝情報を担っているDNAが書き換えられてしまう可能性を回避することができる画期的な治療法です。

具体的に説明します。まず、採用された治療用の遺伝子は、この疾病の遺伝子治療としては初めて使われる遺伝子「塩基性線維芽細胞増殖因子」FGF-2です。この遺伝子は患者の体内で自らが働く他、血管新生に作用する他の数種の遺伝子の発現を強力に高めて正常な機能をもつ血管を下肢に作り出します。FGF-2は血中には殆ど漏れて行かないので、患者の別の組織に入って作用するという事はないと考えられます。

そして、このFGF-2遺伝子を患者の体内に運び込むベクターとしてはセンダイウイルスベクターを使用します。このベクターは日本の国家プロジェクトであった「ディナベック研究所（現ディナベック株式会社、茨城県つくば市）」が世界で初めて開発したものです。これまでのDNAを細胞に運び込むベクターとは異なりRNAを細胞に運び込むので、設計図としてのDNAが存在している細胞核に入らずその外側の細胞質に留まり大量に治療用蛋白質（この治療ではFGF-2蛋白質）を作り出します。従って患者の設計図としてのDNAには全く作用することはない、薬の役割を果たすFGF-2蛋白質が大量に供給されますので、安全性とともに高い有効性が期待できます。現在、遺伝子治療研究はこれまで使われてきたベクターのさまざまな問題で必ずしも期待に沿えるような臨床成績を与えておりません。特に、患者の遺伝子の設計図としてのDNAの書き換えの恐れについての議論は深刻になっています。フランスにおいては実際に白血病を引き起こす例が報告されるに至っています。このような恐れのないベクターとして日本の国家プロジェクトが開発してきたセンダイウイルスベクターをこの臨床研究が世界で初めて使用します。

マウスやウサギを用いた前臨床研究では、この遺伝子治療製剤が下肢の血行を再開させ、下肢の虚血による脱落を有効に阻止することが確認されています。今回の臨床研究は、フェーズ / aに相当するもので、安全性を確認することが主要目的になりますが、一部有効性に関するデータも検討します。結果が良好であればフェーズ b以降の臨床研究計画に継続してゆきます。

本臨床研究は、「細胞質遺伝子治療」という新しい概念を世界に提案する試みです。先端医療技術の開発の面で日本が世界をリードすることが期待されていますが、この「細胞質遺伝子治療」という新しい概念が、先端医療の革新に大きく役立つと考えています。

以上