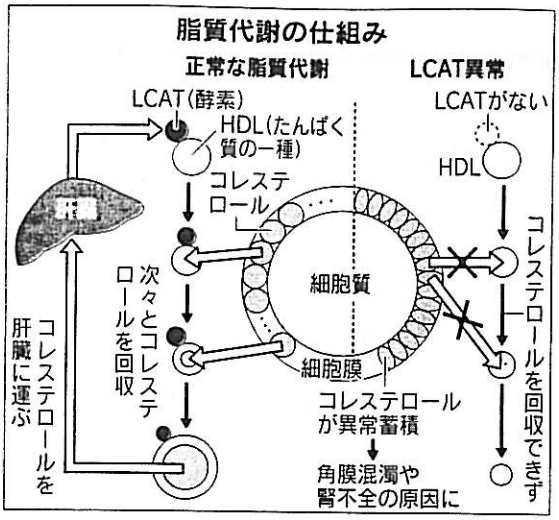
日経産業新聞
2009 9. 29 (火)

千葉大発ＶＢ

脂質代謝異常に治療法

患者の脂肪細胞遺伝子組み換え 13年にも実用化



千葉大学発バイオベンチャー（ＶＢ）のセルジェンテック（東京・千代田、麻生雅是社長）は千葉大と共同で、先天性の脂質代謝異常症「ＬＣＡＴ異常」を治療する技術を確立した。患者から摘出した脂肪細胞に治療につながる酵素を作り出せる機能を加え、患者の体内に戻す。同病は腎不全などを引き起こすが治療薬がなかった。今後は臨床試験（治験）に取り掛かり、２０１３年にも実用化を目指す。

患者から採取した脂肪細胞に、健康な人の肝臓細胞から取り出した遺伝子を組み込む。これにより、たんぱく質の一種「ＨＤＬ」が細胞からコレステロールを取り込むのに必要な酵素「ＬＣＡＴ」を作り出せるようにして、再び体内に戻す。遺伝子の運び役にはレトロウイルスを活用する。

同社と千葉大は、ＬＣＡＴを作り出すのに最低限必要な遺伝子だけを、脂肪細胞に取り込ませる技術を確立した。

遺伝子を組み入れた細胞は染色体が傷つくなどして、がん化する恐れがある。同技術は染色体などをなるべく傷つけずに済ませるためのもので、がん化のリスクを抑えられるという。脂肪細胞は元々、がん化する恐れが低いが、一段と安全性を高める狙い。同社と千葉大は同技術について現在、特許申請を準備中。

今後は千葉大が同治療法の臨床研究をするほか、同社が厚生労働省からの承認取得を目指して臨床試験（治験）をする計画。13年にも実用化し、国内で年20億円程度の売り上げを目指す。

▼ＬＣＡＴ異常　先天的な病気で、肝臓が「ＬＣＡＴ」と呼ばれる酵素を作れなかったり、作り出した酵素の働きが弱かったりする。

同酵素はたんぱく質の一種である「ＨＤＬ」と結合し、ＨＤＬがコレステロールを取り込むようにする機能を持つ。同酵素がないとコレステロールの回収が進まず、細胞に異常蓄積する。失明の恐れがある角膜混濁や、人工透析が必要な腎不全の原因になる。国内患者数は数百人とみられる。