バイオ医薬

セルジェンテック

# 遺伝子治療、がん化防ぐ

千葉大学発のバイオベンチャー、セルジェンテック（東京・千代田、麻生雅是社長）が安全性を高めた遺伝子治療の実用化に挑んでいる。患者の体内に治療につながる遺伝子を送り込む際、がん化する危険性の少ない脂肪細胞を使って難病の治療法を開発する。難病治療の期待がかかる遺伝子治療だが、がんにかかるリスクを抑えて普及を促せるか注目が集まる。

「1年の半分は研究所通い」――。麻生社長は最近、千葉大学（千葉市）内のインキュベーション施設にある研究所に足しげく通う。先天性の脂質代謝異常症「LCAT異常」の治療技術を千葉大と共同で開発しており、臨床研究の準備を進めているためだ。

LCAT異常は先天的な病気。コレステロールの代謝にかかわる酵素「LCAT」を肝臓が作り出せなかったり、同酵素の働きが不十分だったりしてコレステロールが細胞に異常に蓄積してしまう。人工透析治療が必要な腎不全など深刻な病気につながることもある。国内では数百人の患者が苦しんでいるが、治療薬がなかった。

セルジェンテックがこの難病の克服に向けて実用化を急いでいるのが遺伝子治療法だ。患者の体内に正常な遺伝子を送り込んで治療する。患者から摘出した脂肪細胞にLCATを作り出す遺伝子を組み込んで患者の体内に戻すことで、脂肪細胞がLCATを長期間にわたり作り続けるようになって、コレステロールの代謝が正常に戻ると期待している。

千葉大の臨床研究に向け、安全性と有効性を支えるデータ収集を進めている

今後は千葉大での臨床研究に着手。厚生労働省の承認を得るため、臨床試験（治験）も実施する方針。2013年の実用化を狙う。

ただ遺伝子治療は遺伝子を組み入れた細胞の染色体が傷つくなどしてがん化する恐れがある。実際に海外ではがん発症の事例も報告されている。薬や手術では治らない難病の克服につながると期待されているが、実用化に向けては細胞のがん化リスクをいかに軽減するかという課題がある。

同社の遺伝子治療は遺伝子を送り込むのに患者から摘出した脂肪細胞を使う点に特徴があり、がん化のリスクの低い状態にある脂肪細胞を活用することに成功した。

遺伝子を脂肪細胞に組み込む際、最低限必要な遺伝子だけを同細胞に取り込ませて染色体へのダメージを防ぐ独自技術も生かす。麻生社長は「がん化リスクを徹底して抑え込んだ遺伝子治療を目指す」と話す。

遺伝子治療は応用の幅が広く、LCAT異常のほか、先天的に血液凝固因子が足りないために出血が止まりにくい血友病向け治療法の開発などにも乗り出す計画だ。

麻生社長の視線の先には血中の糖を調整するインスリンを毎日のように補う重度の糖尿病患者に新たな治療法を提供する夢がある。だが糖尿病は国内だけでも予備軍を含めて2000万人以上と膨大な患者を抱える国民病。LCAT異常や血友病のような希少疾病とは異なる。

患者の脂肪細胞を活用する現状の技術では生産性が低く、治療ニーズに応えられない。さらなる技術革新に向け挑戦は続く。

（新沼大）

**〈会社概要〉**

▽所在地　東京都千代田区神田東松下町17
▽設立　2003年10月
▽資本金　9400万円
▽従業員　8人
▽事業概要　遺伝子治療・再生医療の研究開発