

遺伝子治療の光と影

これまで紹介してきたように遺伝子研究によって多くの病気が遺伝子の異常によって起ることがわかってきました。

遺伝子治療とは

病気の原因が遺伝子の異常にあるなら、人工的に作った「正常な遺伝子」を外から細胞に入れて、細胞本来の機能をとりもどすというのが遺伝子治療の考え方です。

世界で初めてヒトに対する遺伝子治療が行われたのは一九九〇年。対象となったのは、ADA欠損症とい



続 僕の講義ノート ②②



大阪府立大学先端科学研究所

森 利明

(もりとしあき)

先天性代謝異常症の四女の児でした。この子は生まれながらにして、ADAという酵素を作る遺伝子に異常があるために重症の免疫不全症になっていました。米国立衛生研究所はこの子にADAを作る正常な遺伝子を投与して治療効果をあげたのです。

その後、遺伝子治療はいろいろな病気の治療に心用されるようになってきました。たとえば、ある特定の遺伝子に異常があつてガンになった場合、これを不活性化する遺伝子を投与するとか、ガンを抑制する遺伝

子の働きが不活化していれば、正常なガン抑制遺伝子を細胞に組み込むとか、日本でも多くの大病院で遺伝子治療の研究がおこなわれてきました。

ところが一年前に、フランスで先天性免疫疾患の治療のために遺伝子治療を受けた患者(幼児)が、白血病を発症しました。正常な細胞から取り出した遺伝子をマウスの白血球ウイルスから作ったベクターを使って患者の造血幹細胞に入れて、リンパ球の数と機能を回復させることを狙いました。ベクターとは、治療に使う遺伝子を患者の体内に入れるための「運び屋」で、通常、無害化したウイルスが使われます。しかし思わぬ副作用が起こってしまったのです。患者に投与したウイルスは造血幹細胞を白血球に変える遺伝子を活性化

遺伝子治療で
思わぬ副作用が

ところが一年前に、フ

遺伝子治療の対象になる主な病気

病名	症状	遺伝子導入対象細胞
ADA欠損症	ADA遺伝子が正常に働かないためにリンパ球が障害を受け、重症複合免疫不全症をおこす	T細胞 造血幹細胞
家族性コレステロール血症	コレステロールを処理する蛋白質が欠乏して血中のコレステロールが著しく高くなり、心筋梗塞などをおこす	肝細胞
囊胞性繊維症	ある蛋白を作る遺伝子に欠陥があるため、全身の外分泌腺の機能に異常が生じ、呼吸不全などをおこす	繊維芽細胞
血友病	血漿の中に含まれている血液凝固因子が欠乏し血液が固まらなくなり、出血すると止まらなくなる	繊維芽細胞
癌	脳腫瘍 悪性黒色腫 神経芽細胞腫 腎臓癌 など、癌細胞を直接壊す方法と、癌に対する免疫力を高める方法がある	腫瘍細胞 リンパ球
エイズ	HIV感染により免疫機能が破壊され、様々な感染症が現れて死に至る	繊維芽細胞 リンパ球 造血幹細胞

化してしまい、ガン遺伝子を刺激して白血病になったよつです。このため、フランス政府はすべての遺伝子治療を禁止しました。この事実が遺伝子治療がもつ危険性として深刻に受け止められ、米国や日本でも遺伝子治療が一時中止されました。

実は十数年前のことです
が、わたしはマウスの白血球細胞を健康なマウスに注射しようとしたところ、マウスが飛ばれて針先を蹴飛ばされ、自分の手に刺さったことがあります。マウスの白血球細胞は人間のそれとはちがうので問題はありませんでした。以来マウスの扱いには極めて慎重になりました。(つづく)