

遺伝子治療で遺伝病は治るの？

著者	安居 光國
雑誌名	Rikatan : 理科の探検
ページ	60-61
発行年	2018-06
URL	http://hdl.handle.net/10258/00010043

遺伝子治療で遺伝病は治るの？

答える人

安居 光國

YASUI Mitsukuni



一滴の血液からさまざまな病気を調べることができる時代になりました。遺伝子の間違いから先天性疾患をはじめ、がん、生活習慣病などになりやすい人を見分けることができます。当然ながら、遺伝子を修復すれば病気を治せるのではないかと期待されるでしょう。それが遺伝子治療です。世界最初の遺伝子治療は、1990年に先天性免疫不全症（ADA 欠損症）に対して米国でおこなわれました。日本でも1995年に北大で4歳の男児に実施されました。それから約25年がたち、今では遺伝子治療が世界中の大学病院に限らず先進医療クリニックでも実施されています。がん治療なら100～300万円が相場です。

遺伝病って？

遺伝病は遺伝子の異常が関係しておこる病気のことです。家族性高コレステロール血症、血友病、パーキンソン病、メラノーマ、ハンチントン舞蹈病など多くの疾病があります。遺伝子の異常ですから、多くは子孫に遺伝する病気が多いのですが、今では、喫煙によって引き起こされた遺伝子異常が原因のガンも含まれます。

DNAは4種の塩基（A、T、G、C）だけで遺伝暗号が作られており、人ではこれが30億対もあります。もし、重要な場所の塩基が別のものに変わると、機能が変わってしまいます。

たった1つの変化でも重症になることがあります。コンピュータープログラムに例えると、必要なプログラムの書き忘れではなく、膨大なプログラム中の単純なスペルミスが原因で、指示が伝わらなかったり、間違っって伝わったりするようなものです。診断は、遺伝子工学技術で塩基の間違い箇所を特定します。

遺伝子治療法

多くの症例では、働きの悪い遺伝子の代わりに正常な遺伝子や特別な機能をウイルスにのせて体内に運び込みます。がん細胞に対しては、がんを抑える遺伝子を送り込みます。初期のころは難治療疾患ばかりでしたが、今は、遺伝子治療実績の7割ががんが占めています。

体外遺伝子治療

体内遺伝子治療

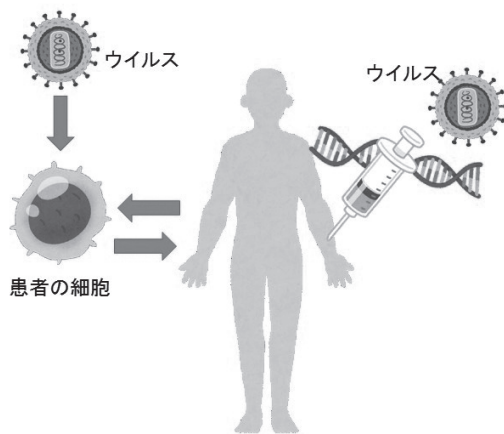


図1 遺伝子治療

特集

遺伝子治療は安全ですか？

遺伝子治療にウイルスを使うと聞くと、多くの方は「本当に大丈夫なの？」と思ったことでしょう。ウイルスが引き起こす病気には、インフルエンザ、肺炎、白血病、エイズと死にいたるものが多くあります。正直に言うと、万が一ですが、危険が伴います。もちろん、ウイルスの危険な病原性を無くして、人の体に対する強い感染力だけを残したものに改造します。表は遺伝子を細胞や体内に輸送するために用いるウイルスなどをまとめましたが、今なお、ほとんどの治療にはウイルスを使用しています。

表 ささまざまな遺伝子輸送方法

ウイルス (細胞感染)	非増殖性	レトロウイルス、アデノウイルス、レンチウイルス、アデノ随伴ウイルス、センダイウイルス
	増殖性	腸潰瘍性ウイルス
非ウイルス	プラスミド	裸のDNA、リボソーム複合体、ポリマー複合体
	バクテリア	遺伝子改変細菌

そのため、遺伝子治療を受けることのできる患者さんは、ほかの治療法がない、死に至る状況であるなど、死と遺伝子治療を天秤にかけたものがほとんどです。残念なことに、効果がなく失敗だったどころか、逆にガンになってしまった例もあります。もちろん、事前に安全性の確認をし、安全審査を受けてから治療を実施している一方、患者さんにはインフォームド・コンセントが欠かせません。

また、「遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律」(カルタヘナ法)を批准している日本と批准していない米国では、手続きの簡便さに差があり、世界の実施例の6割が米国という状況です。

DNA ワクチン

これまでのワクチンは、不活化ワクチン、弱毒生ワクチンなどで、免疫源となるウイルスタンパク質を接種して免疫を誘導します。このように体外から投与するワクチンとは異なり、DNA ワクチンは、プラスミドという環状のDNAにウイルスのタンパク質遺伝子を搭載して投与し、免疫源のタンパク質を体内の細胞に産生させるというものです。手法は遺伝子治療と同様です。利点は、流行中のインフルエンザに即応できることです。

遺伝子治療の未来

医療の世界では「薬と毒は表裏一体」という考えがあり、ドラマのように「私、失敗しないので」なんて言うドクターはいません。限りなく遺伝子治療の安全性を検討しています。そのためか、現在の遺伝子治療は遺伝子導入技術を使った「遺伝子を治療しない遺伝子治療」であるので、「安全だが効かない」と揶揄されています。

そこで、遺伝子を直接に治療する遺伝子治療の研究が始まりました。これにはゲノム編集(CRISPR-Cas9)が最有力候補になっています。この技術を使うと、異常遺伝子の変異を直接に修復できる、異常遺伝子を破壊できる、安全な場所に遺伝子を組込むことができる、遺伝子の発現調整ができるなどの有利な点があります。数十年後には、きっと「遺伝子治療で遺伝病は治る」と言えるようになるでしょう。

プロフィール

やすい みつくに

室蘭工業大学工学研究科バイオコース准教授

遺伝子組換えはマニュアルやプロトコルがしっかりとありますが、結局は実験者の腕前次第と感じています。