

## 臨床遺伝子・細胞治療センター

### 1. スタッフ（2024年4月1日現在）

センター長 小坂 仁  
副センター長 大嶺 謙、村松 一洋  
構成員

（小児神経・先天代謝部門）

小坂 仁、村松 一洋、小島 華林、宮内 彰彦、  
中村 幸恵、溝部 吉高、三谷 忠宏、月田貴和子、  
山形 崇倫

（神経・感覚器部門）

川合 謙介、村松 慎一、森田 光哉、中嶋 剛、  
大貫 良幸、野田 昌生

（血液腫瘍部門）

神田 善伸、大森 司、嶋田 明、大嶺 謙、  
川原 勇太、藤原慎一郎

（臨床研究部門）

北山 丈二、星出 聡、坂東 政司、若松 朋恵、  
澤口 武尊、石山 裕美、豊泉沙代子、山崎 晶司、  
服部 由

（遺伝子診断・遺伝カウンセリング部門）

松本 歩

（看護部門）

小堀 憂子（4A師長）、谷島 雅子（7東師長）

（薬剤部門）

今井 靖、中澤 寛仁、釜井 聡子、吉岡 崇幸、  
片野 昌宏

（検査部門）

寺島 洋一、土谷こずえ

### 2. 臨床遺伝子・細胞治療センターの特徴

（1）センター設置の背景

近年、遺伝子治療開発は世界的に活発になっており、臨床応用に進んでいる治療も出てきている。国内では脊髄性筋萎縮症に対するゾルゲンスマや悪性腫瘍に対するCAR-T療法などが薬事承認を得ており、海外では副腎白質ジストロフィーを始め、数疾患が承認を得ている。さらに多数の治療法が治験に進んでいる。国も、遺伝子治療に力を入れ始めており、今後、研究費等の支援が増加することも期待される。自治医科大学では、遺伝子治療研究センターが作られ、遺伝子治療の基礎研究から臨床応用に向けた研究が盛んに行われている。また、自治医科大学附属病院でも、AADC欠損症やParkinson病、筋萎縮性側索硬化症に対する遺伝子治療の治験が開始され、保険収載されたゾルゲンスマ治療も含め、国内でも最先進的な治療が行われている。

（2）設置の目的

この様な状況を踏まえ、自治医科大学附属病院の診療各部門で遺伝子治療に関与している関係者により構成された当センターは、遺伝子治療研究センターと連携し、遺伝子・細胞治療の臨床応用のさらなる促進と充実、治療の実施や安全性の確立、倫理的課題の検討、治験計画策定など、遺伝子・細胞治療に関する治療の実施について関係者を支援することを目的とし活動する。医師主導治験の促進、企業治験の導入、保険承認治療の積極的な実施による患者増、研究費の獲得等により、収益増加も期待される。これらの活動を通じ、国内で先進的な施設として学会等での指導的な地位を確立し、世界に発信することにより、自治医科大学附属病院が遺伝子・細胞治療に対する日本の中心施設となることを目指す。

（3）活動内容

- ①遺伝子・細胞治療の医師主導治験を支援し、保険収載を目指す。
- ②企業治験に関する情報を収集し、企業治験を積極的に導入する。
- ③ゾルゲンスマ、CAR-T治療等、保険収載された遺伝子治療の積極的な実施と治療経過、効果・安全性の状況把握（院内／院外）
- ④カンファレンス開催  
遺伝子・細胞治療治験経過、治験実施計画書の協議、世界的な遺伝子治療実施状況の把握、安全性の確認や倫理的課題の検討
- ⑤遺伝子治療、カルタヘナ法等、教育的セミナー実施
- ⑥研究費獲得検討

日本遺伝子細胞治療学会では遺伝子治療認定医制度が開始され、施設認定も検討されており、その受け皿となる。

- ⑦若手医師・スタッフに関心を広げ、遺伝子・細胞治療従事者を育成する。
- ⑧積極的な広報を行い、自治医科大学附属病院のブランディングを目的とする。

### 3. 会議開催実績

2023/4/27キックオフミーティング

- ・臨床遺伝子・細胞治療センターの設置について
- ・遺伝子細胞治療に関わる主管型医師主導治験の実施状況について
- ・自治医大での遺伝子治療の実施例と今年度の予定について

2023/6/29 第1回

- ・ GULT1の治験のタイムテーブルについて
- ・ 他治験の状況について
- ・ 医師主導治験の状況について

2023/7/20 第2回

- ・ GULT1治験について
- ・ 新規CARについて
- ・ 臨床試験を目指した前臨床開発の工程について
- ・ 遺伝子治療研究センターの最近の情報について

2023/9/1 第3回

- ・ 難治性肝疾患に対する画期的な小児ゲノム編集治療について

2023/10/26 第4回

- ・ GULT1の経過について
- ・ 当院における医師主導治験の現状と課題について

2023/11/16 第5回

- ・ てんかんの遺伝子治療について
- ・ 欧州遺伝子細胞治療学会の報告について

#### 4. 2024年の目標・事業計画等

当センターは2023.4月に設置され、設置目的である遺伝子・細胞治療に関する治療を実施する関係者への支援の活動をすることで医師主導治験の促進等を図り、日本の遺伝子細胞治療・開発に対する中心的施設となるための活動を継続する。