

1st Joint Seminar of Center for Gene and Cell Therapy and Center for Stem Cell
Biology Co-hosted by International Joint Usage/Research Center

開催日時：2020年12月1日(火) 17:00~18:15

開催場所：オンライン開催 (Zoom)

セミナーにご参加ご希望の方はポスターの事務局までお問い合わせください。

演者氏名：内田 直也

所属・職名：准教授、医科学研究所遺伝子・細胞治療センター、分子遺伝医学分野

国名：日本

演題：鎌状赤血球貧血症に対する遺伝子治療の開発

概要：鎌状赤血球貧血症はβグロビンの点遺伝子変異によって赤血球が血管閉塞を起こし、貧血、疼痛、臓器障害を生じる病気である。正常の造血幹細胞を移植すると半永久的に治癒することが可能だが、適格なドナーは10%くらいしか見つからない。そこで、患者自身の造血幹細胞を遺伝子レベルで修復する遺伝子治療を研究開発している。造血幹細胞遺伝子治療は、レンチウイルスベクターを使って患者造血幹細胞に正常βグロビン遺伝子を導入することにより、一回の治療で半永久的に治癒することができる。さらに最近では、患者造血幹細胞をゲノム編集することで、ウイルスベクターを導入せずに、点遺伝子変異を修復する遺伝子修復治療も研究している。本セミナーでは鎌状赤血球貧血症に対する造血幹細胞遺伝子治療と遺伝子修復治療について紹介する。(本セミナーは遺伝子・細胞治療センター、幹細胞治療研究センターの共催で行います)

使用言語：日本語

世話人：岡田尚己、谷口英樹、岩間厚志

[ポスター](#)

Seminar Date and Time: 12/01/2020 (Tue) 17:00 ~ 18:15

Venue: online by Zoom

If you would like to attend this seminar, please contact the secretariat address on the poster.

Speaker (Name): Naoya Uchida

Affiliation, Title: Associate Professor, Division of Molecular and Medical Genetics, Center for Gene and Cell Therapy, IMSUT

Country: Japan

Subject: Hematopoietic stem cell-targeted gene therapy for sickle cell disease

Abstract: Sickle cell disease (SCD) is caused by a point mutation in the β -globin gene, resulting in anemia, pain, and organ damage. SCD can be cured by allogeneic hematopoietic stem cell (HSC) transplantation; however, a suitable donor is found for \sim 10% of patients. Therefore, we focused on development of HSC-based therapy with genetic modification to cure SCD. In HSC-targeted gene therapy, normal β -globin gene is added to patient HSCs with a lentiviral delivery, allowing for one-time cure of SCD. Recently, genome editing technologies were generated, and it allows us to develop gene correction of the SCD mutation in the β -globin gene for patient HSCs. In this seminar, HSC-targeted gene addition/gene correction therapy for SCD will be presented. (This seminar is co-hosted by Center for Gene and Cell Therapy and Center for Stem Cell Biology and Regenerative Medicine)

Language: Japanese

Organizer (Host Researcher): Naomi Okada, Hideki Taniguchi, Atsushi Iwama

[Poster](#)