遺伝子治療の開発研究

先天性疾患に対する遺伝子治療の開発

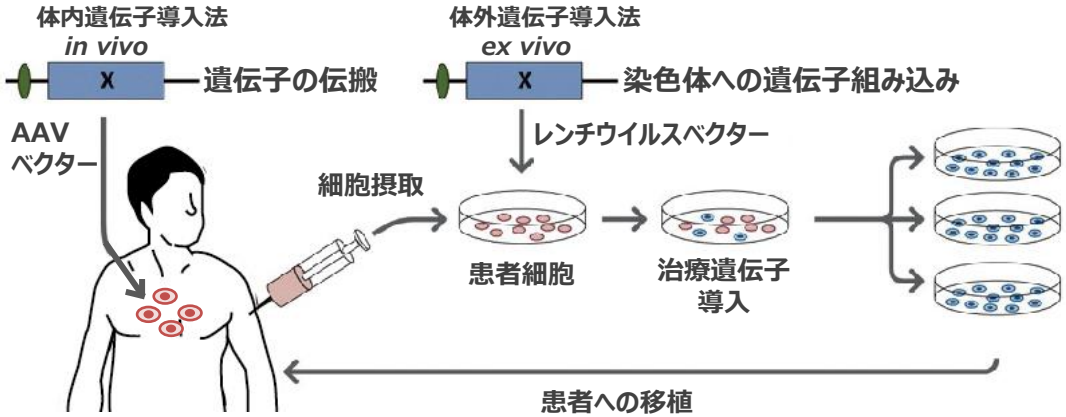


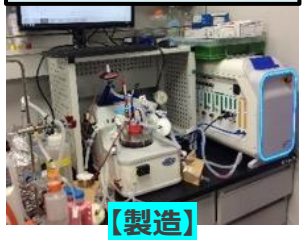
Figure 21.8 Human Molecular Genetics, 4ed. (© Garland Science)

機能強化ホスト細胞

【ベクター産生細胞】

出典：Sun et al. Cell, 2010

バイオリアクター

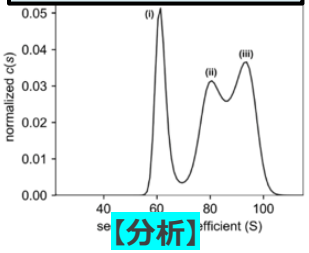


【製造】

クロマトグラフィー

【精製】

分析超遠心



【分析】

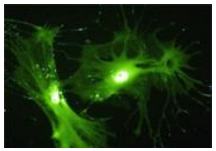
安全で長期間有効な遺伝子治療法の確立を目指す

生体イメージング

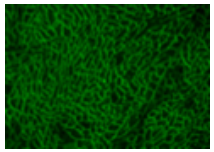
【有効性/安全性】

間葉系幹細胞
↓
免疫調節
↓
ベクター量の低減

炎症制御療法
（企業治験）



ジストロフィン
発現回復



ウイルスベクター
基盤技術の開発

安全性・作製効率

●筋ジストロフィーモデル犬

エクソン・スキップ
小型ジストロフィン
↓
遺伝子の修正
治療効果発現

非臨床試験

分子病態解析
バイオマーカー開発

免疫寛容遺伝子治療（低用量ベクター、長期安定発現）