

# 治験研究講演会 in 東京

## 遺伝子治療

自治医科大学/東京大学医科学研究所

村松 慎一

2019年2月2日

東京 弘済会館



# アデノ随伴ウイルス ベクター

Adeno-associated virus (AAV) vector

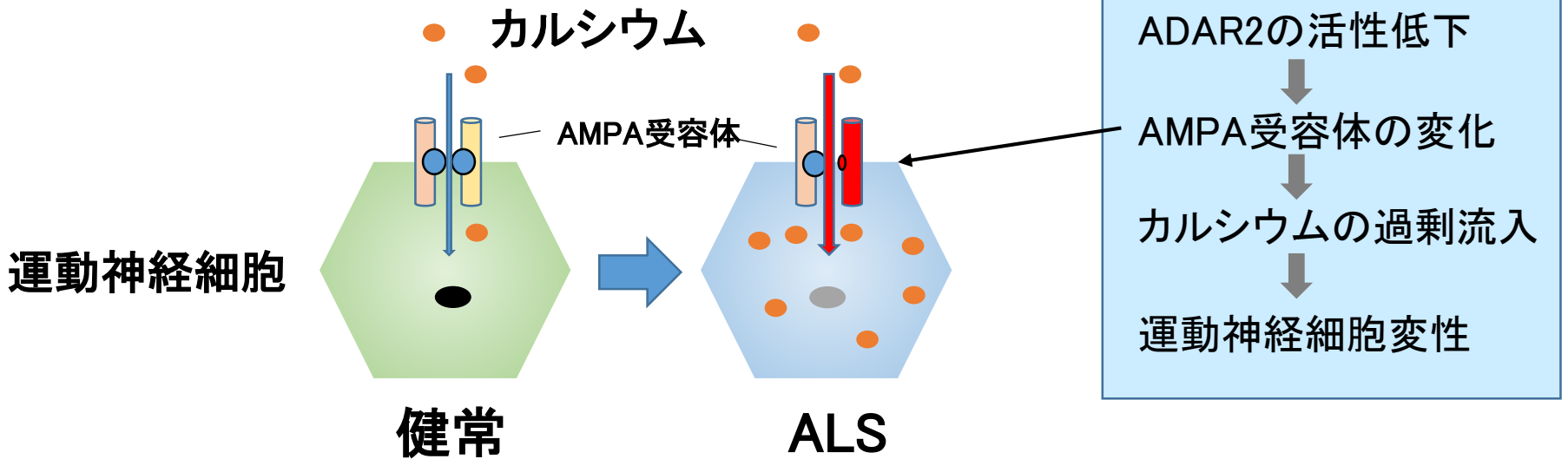
- 非病原性ウイルス由来
- 神経細胞に遺伝子導入可能
- 長期発現(15年<)



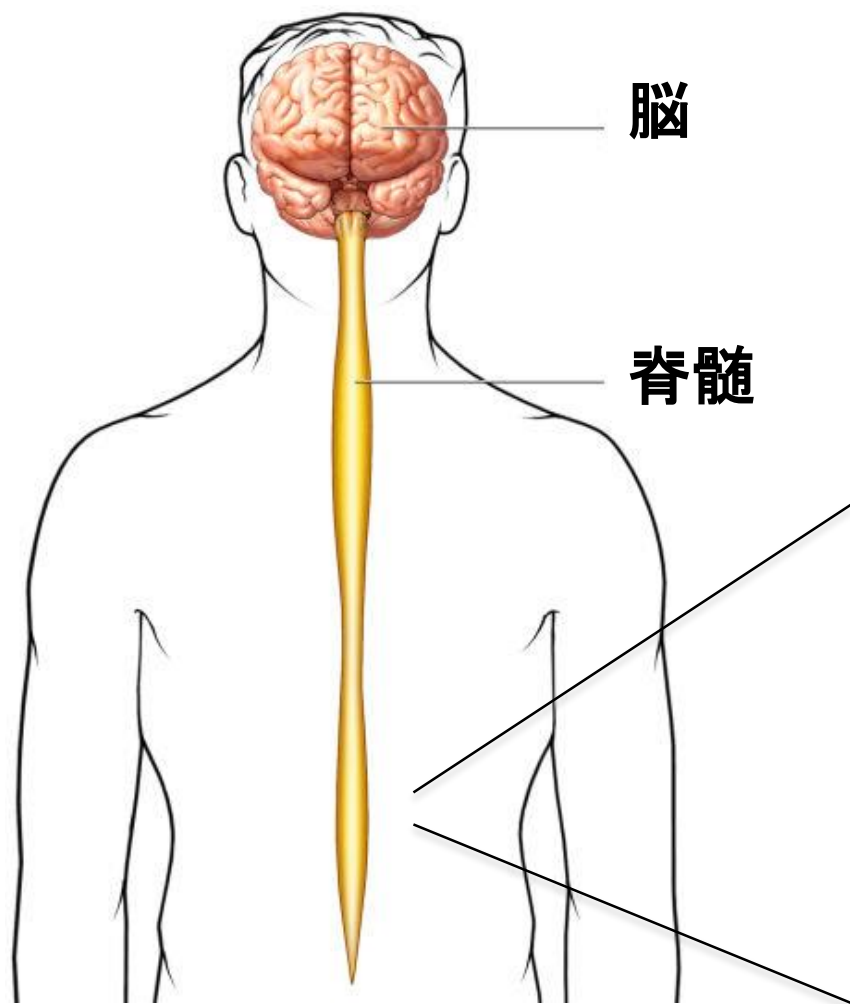
# RNA編集酵素のADAR2の活性が低下している

## 運動神経細胞のAMPA受容体

編集 CAG → C | G → アルギニン  
未編集 CAG → CAG → グルタミン  
(DNA) (mRNA) (アミノ酸)



# ALSの遺伝子治療



AAV-ADAR2

