

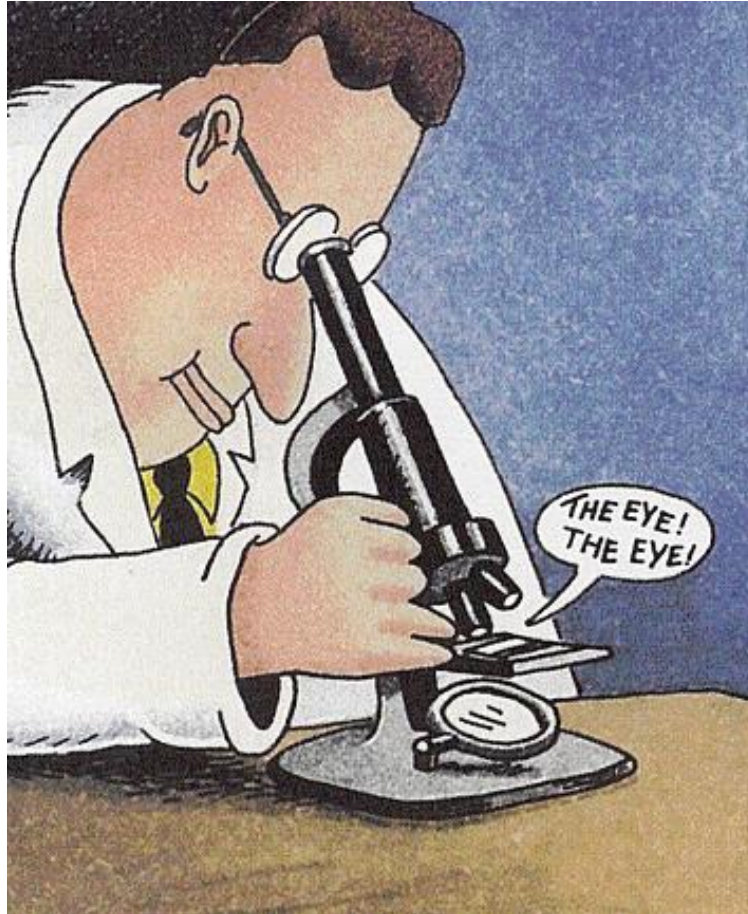


今後の見通し  
臨床試験が約束すること

網膜疾患の治療を  
実験室側から  
患者の待合室にむけて  
動かしていく

ジェラルド・J・チェイダー博士  
南カリフォルニア大学眼科教授

問：我々は、網膜疾患の新しい治療法を  
見つけるために何をしてきたのか？



# 基礎研究分野において、大発展があった

- 現在では、異なるタイプの網膜変性につながる遺伝子変異の半分以上が分かっている。
- また、視細胞の死をもたらす「アポトーシス」と呼ばれる生化学的経路についても分かっており、視細胞を保護することによってアポトーシスを遅らせるニューロン生存因子と呼ばれるいくつかの因子も見つかっている。※
- 多くの網膜疾患の動物モデルが知られている。
- これらは、有効性と安全性が最初に動物モデルで実証されれば、ヒトでの臨床試験の承認がはるかに容易になる為、非常に重要である。
- この講演では、これらの基本的な情報を基に、臨床試験につながっている、または臨床試験につながる可能性のある6つの研究分野をまとめ、網膜疾患の治療法を要約したい。

# ※ アポトーシスとネクローシス

## アポトーシス

アポトーシスで死滅した細胞は、マクロファージ等の貪食細胞によって取り込まれて、消化されると考えられています。最近、アポトーシス細胞がうまく除去されなくなると自己免疫疾患が発症することもわかってきました。

参考：[【長田チーム】](#)

## ネクローシス

主に、細胞内外の環境の悪化によって起こる細胞死であると考えられ、細胞膜が破れて、ネクローシスを起こした細胞中の消化酵素やサイトカインなどが流出し、炎症発生因子となって周囲細胞に重篤な影響を与え、ひどい場合はその組織が壊死することになります。

# まず初めに、加齢黄斑変性症(AMD)の事例 を具体的に見てみよう

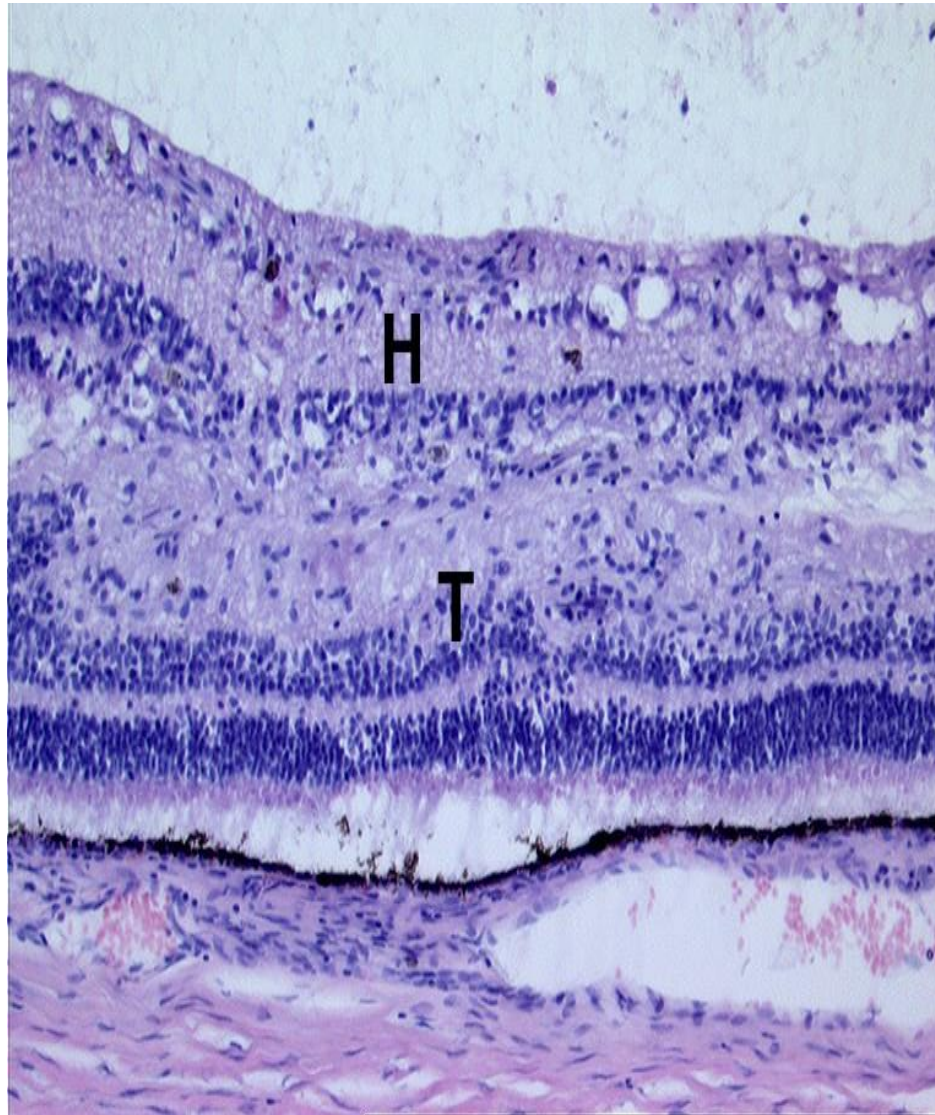
萎縮型AMDの場合、抗酸化剤は、AREDS調査で使用した薬剤のように疾患の進行を遅らせることができる。

※ [AREDS調査](#)は、米国の(NEI)が実施した大規模多施設調査です。

その他の点では、萎縮型AMDは網膜色素変性症(RP)に類似しており、主に今回紹介する6つの治療領域は、萎縮型AMDならびにRPおよび関連網膜疾患に関する治療法である。



# 1) 視細胞の移植



視細胞が死んでいる場合、ドナーの正常な網膜から視細胞を患者の網膜に移植するという方法はどうか？

残念なことに、これは多くの以前の動物研究では限られた成功しか示さなかった。米国のNorman Radtke博士は、臨床試験でヒト胚性幹細胞の視細胞を移植することによって何人かのRP患者を治療する政府の承認を得た。彼は安全性では、良好な結果であったが、有効性は極めて限られていた。では、何か新しいことができるようになったのか？

# その通り！古い移植戦略の最新の修正版 は、有効に働いている。

- Robin Ali博士たちは、RDのマウスモデルにおける視力を改善するために、若い視細胞を使って移植をした。これらの視細胞は、ほとんどの以前の研究で用いられた胚の段階を過ぎているが、まだ十分に発達していない光受容器である。
- 移植後、視覚信号が脳に投射され、その結果、動物の行動における光駆動の変化が生じた。
- Tom Reh博士は、少数の成体マウスの桿体細胞が成熟したRDマウス網膜に組み込まれ、視機能を回復できることを示した。

- Ali博士たちは、6種類のマウスのRDモデルで、視細胞移植による退化した網膜の修復を証明している。彼は、後期の病気でさえ、損傷した網膜に移植した正常な視細胞の「強固な統合」を報告した。

- **ボトムライン**: 視細胞移植では、臨床試験や視力回復につながる新しいアイデアが登場した。最も重要なのは、幹細胞移植の使用である。

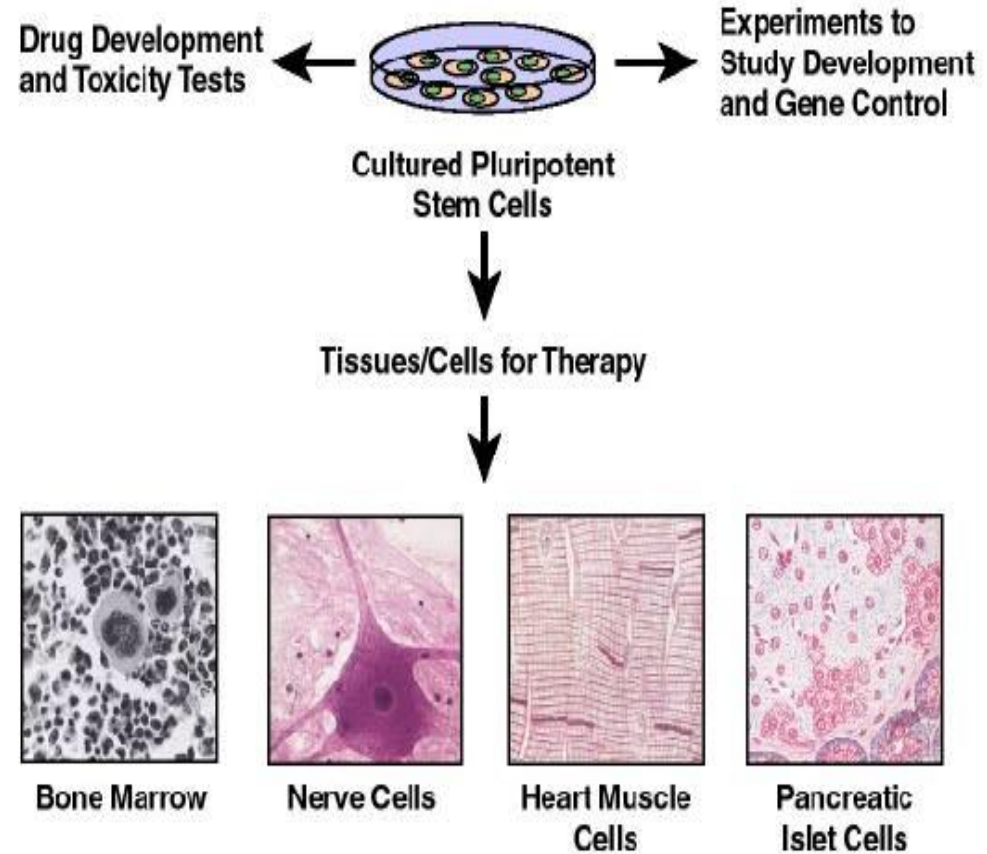


# 幹細胞移植

幹細胞は、視細胞など、すべての異なる成熟細胞タイプに発展する能力を持つ原始多能性細胞である。

したがって、病気の網膜に移植された幹細胞は、変性のために死んだ視細胞を補う可能性がある。

## The Promise of Stem Cell Research



# 幹細胞はどこにあるか？

幹細胞はむろん、胚(胎児)組織に存在する。しかし、多くの成熟組織でも、少数ではあるが存在する。例えば、Derek Van der Kooy博士は、成体マウスの眼の網膜近くに存在する幹細胞を初めて報告した。これらの幹細胞を集めると、真の網膜幹細胞として機能するようになる。

また、皮膚細胞などの成熟細胞のいくつかは、再プログラミングによって幹細胞に戻すことができる。それらを利用すれば、視細胞などの別の成熟細胞タイプに分化するように誘導することも可能になるのである。

# 幹細胞を用いたRP動物モデルにおける 視力修復の事例

Tom Reh博士は、ヒト胚性幹細胞からの特別なタイプの網膜細胞を開発した。これらの細胞がレーバー先天性黒内障(LCA)の形をしたマウスの眼に注入されると、それらは網膜に移動して光受容体層に沈着する。そこで、それらは杆(状体)ロッドと錐状体(コーン)視細胞の生化学マーカーになり始める。

重要なことは、光への反応が対象実験動物において修復されていることである。これに関する臨床試験が計画されている。

# 臨床試験の状況

- 1) オカタ社の企画
- 2) 失明症治療のためのロンドンプロジェクト
- 3) 失明症治療のためのカリフォルニアプロジェクト
- 4) 理化学研究所(日本)
- また、米国のヘンリー・クラッセン博士は、16人のRP患者を対象とした臨床試験を開始している。彼は新しい視細胞を補充するだけでなく、まだ生き残っている錐体細胞の保存に役立つと期待している。
- オカタ社(現アステラス製薬)は、網膜の後ろに未分化の胚性幹細胞を注入し、新鮮な細胞をスターガルト病とAMD患者に供給するための臨床試験を実施している。日本の理研では、幹細胞を使った滲出型AMDの臨床試験が行われている。他のグループは、創出されたヒト多能性幹細胞(ESC)の細胞株を用いて、AMDにおける細胞置換に取り組んでいる。前臨床結果は良好であった。RPへの応用が有望であることは、明白といえる。

## 今後の見通し: 未来の治療法は？



- ・視細胞の直接移植:

まだ実現は見込めない!

- ・視細胞への幹細胞の変換?

研究は継続しており、進歩していくと見込まれる。

- ・他の細胞型からの視細胞再増殖:

基本的な前臨床研究において、進歩していくとみられる。また、新しいヒト生体胚細胞由来ではない幹細胞の使用の機会が増えてくると思われる。



# ※ 視細胞 (Photoreceptor Cells) ～ 2つの視細胞をくらべると ～

## 桿体細胞 (Rod)

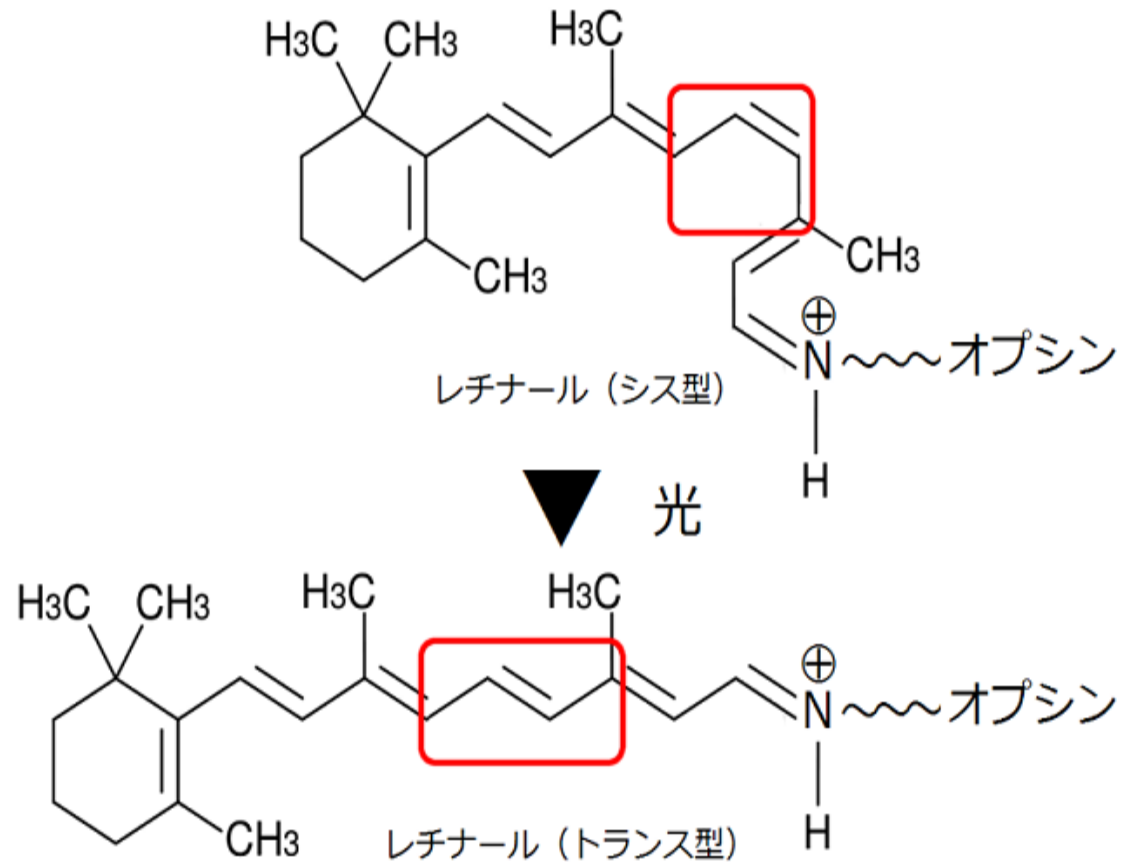
暗所で機能する。光に対する感度が高い。暗い光にも反応するが色を識別できない。主に網膜の周辺部にたくさん分布し、片目に約1億2000万個も存在する

## 錐体細胞 (Cone)

明るい光にしか反応しないが色を識別できる所で機能する。黄斑部を中心に分布。片目におよそ650万個存在する。

眼は、この2種類の視細胞によって、網膜に結んだ物体の像の明暗や色や形をとらえる。

# ※ ロドプシンのロドとプシンの元とは？①



桿体細胞に含まれる視物質はロドプシンといい、オプシンというタンパク質とレチナール(ビタミンAのアルデヒド)が結びついた構造をしている。

ロドプシンは緑青色の光を最も吸収するので赤紫色に見える。これによりロド(赤い)オプシン「視紅」と呼ばれている。

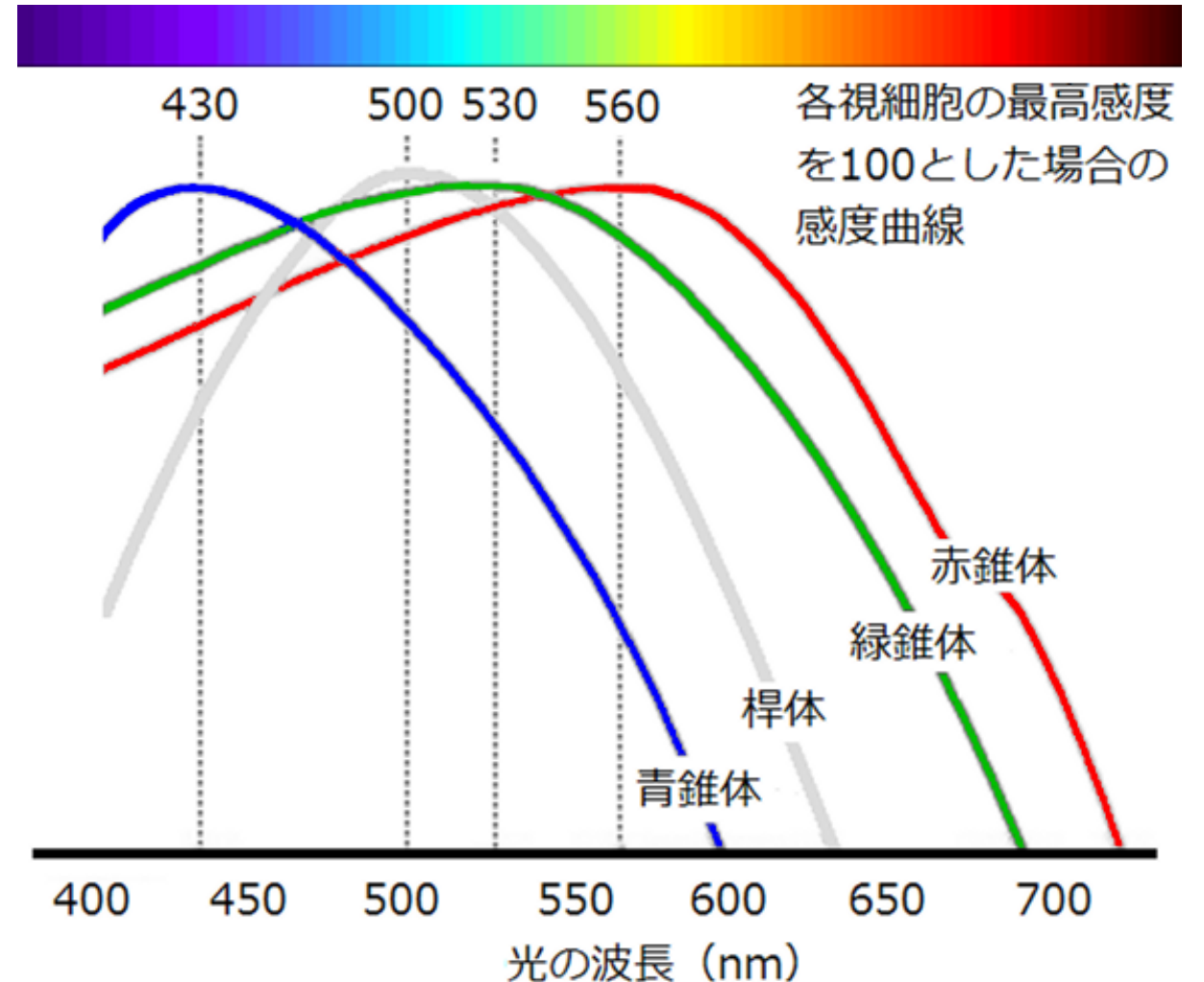
光吸収により、レチナールのシス型よりトランス型へ構造が変化すると、レチナールとオプシンの結合が切れ、無色の「視白」になる。

## ※ ロドプシンのロドとプシンの元とは？②

桿体細胞のロドプシンは緑青色の光を最も吸収する。そのために暗所（錐体細胞が働かない）での視界はモノクロに見える。

錐体細胞の視物質は、ヨドプシンといい、レチナールとオプシンが結びついた構造をしている。

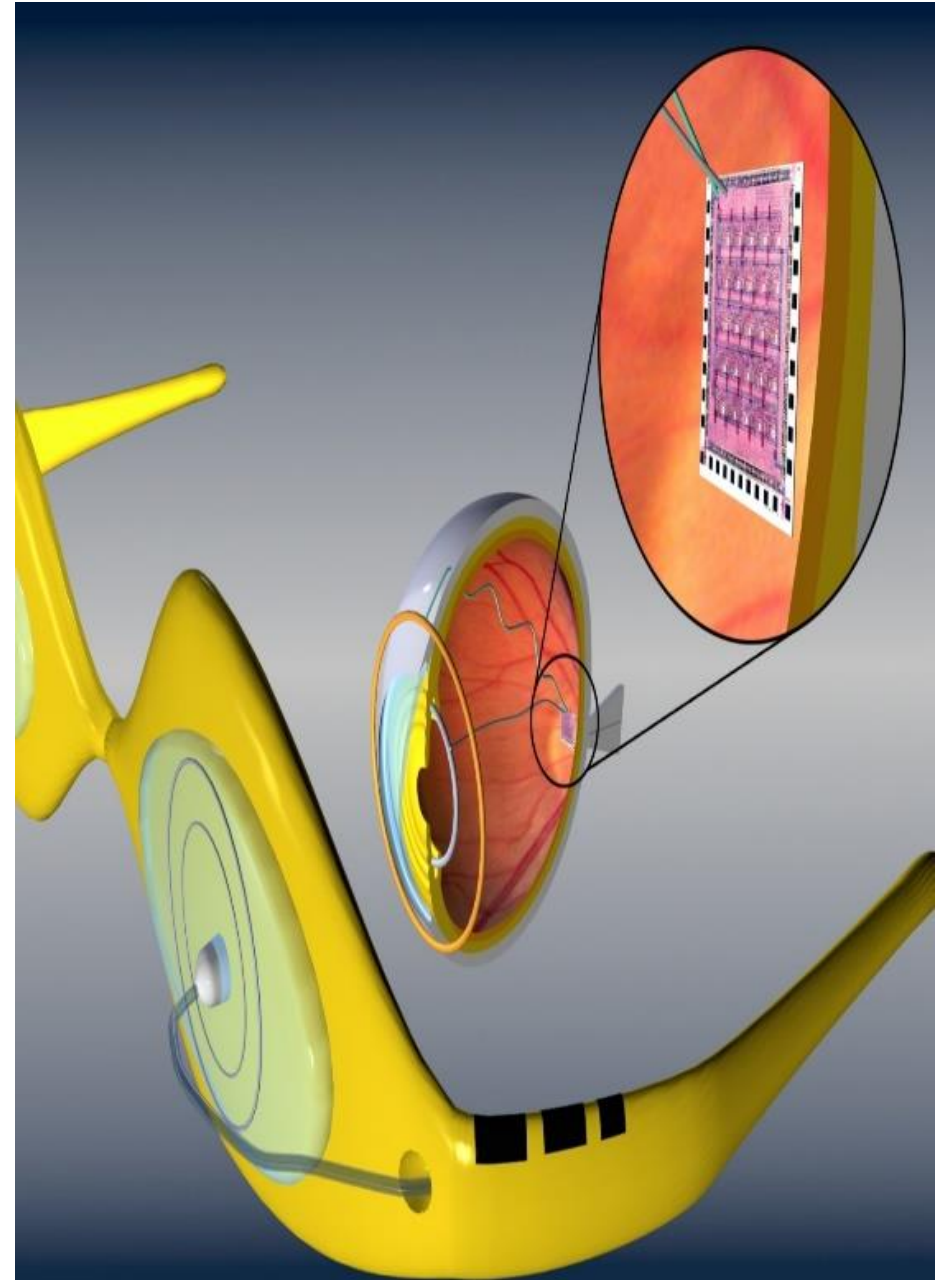
しかし、赤、緑、青錐体細胞は、それぞれオプシンの構造が異なっている。このオプシンの構造の違いにより、赤・緑・青の光を弁別できる。



## 2) 人工網膜

死滅した視細胞の機能を補完するために電子補綴装置を使用する。これには、通常、網膜表面に埋め込まれた小さな「パッチ」が含まれる。

設計に応じて、「パッチ」は、視覚刺激に反応する光感受性ダイオードまたは小さな電極を含む。いずれにしても、それは死滅した視細胞の代わりにその機能をはたす。



# 世界中の多くのグループが人工網膜に取り組んでいる。

- ドイツのRetina Implant AG社は、この分野で優れたリーダーである。製品としては、Alpha AMSというデバイスがあり、ヨーロッパでの移植が可能である。
- Second Sight Medical Products社には、製品としてArgus IIというデバイスがあり、現在、200人以上の患者が使用している。
- 他の学術グループや企業も、今後数年間で商用製品につながる他のタイプの網膜デバイスに優れた研究を行っている。
- 日本、韓国、オーストラリア、アイルランド、米国などのグループである。



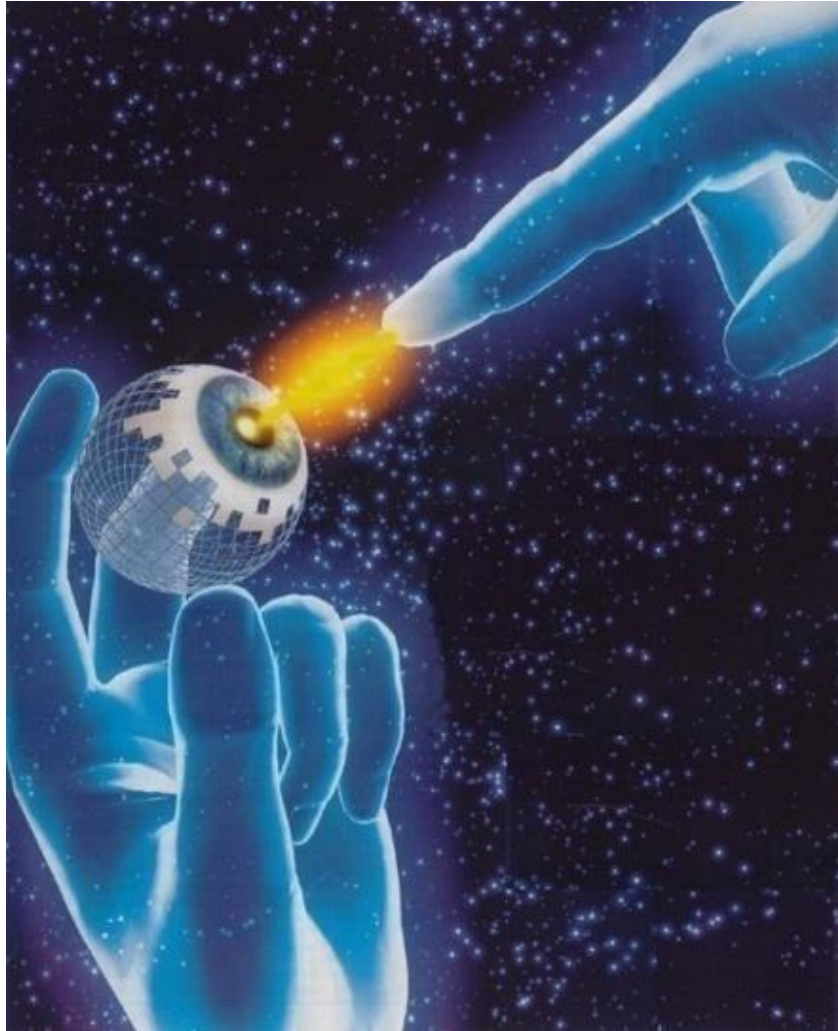
# 網膜インプラントは現在 2社から入手可能である

- 1) 網膜インプラントの Alpha AMSは、ドイツ、フランス、イングランド、スペインに設立される施設が増え、ドイツの6ヶ所にある。
- 2) Argus IIは現在、米国とヨーロッパのいくつかの病院で利用可能である。  
Argus IIが埋め込み可能な場所には、北米の17都市。ヨーロッパでは、Argus IIは英国、フランス、ドイツ、オランダ、そしてまもなくオーストラリアで利用可能である。

# 要約

- Argus IIとAlphaの使用による結果で、AMS人工装具は非常に優れていることが分かっている。医学的、社会的ニーズへの貢献度も素晴らしい。財政的報酬があれば、患者医療費と政府援助の両方の節約にも大きな効果がある。安全性の問題は、利用されて10年という期間においては、大丈夫といえる。
- 視力の回復は、生活の質を大幅に改善するはずである。読書能力と顔認識の回復は、家庭および職場でほぼ正常な仕事ができるようになる。他の治療法が利用可能でない患者に対して、多くの重篤な視力障害を有するRD患者に対してと同様、広く適用可能である。

私たちはいま、どの  
段階にいるのか？



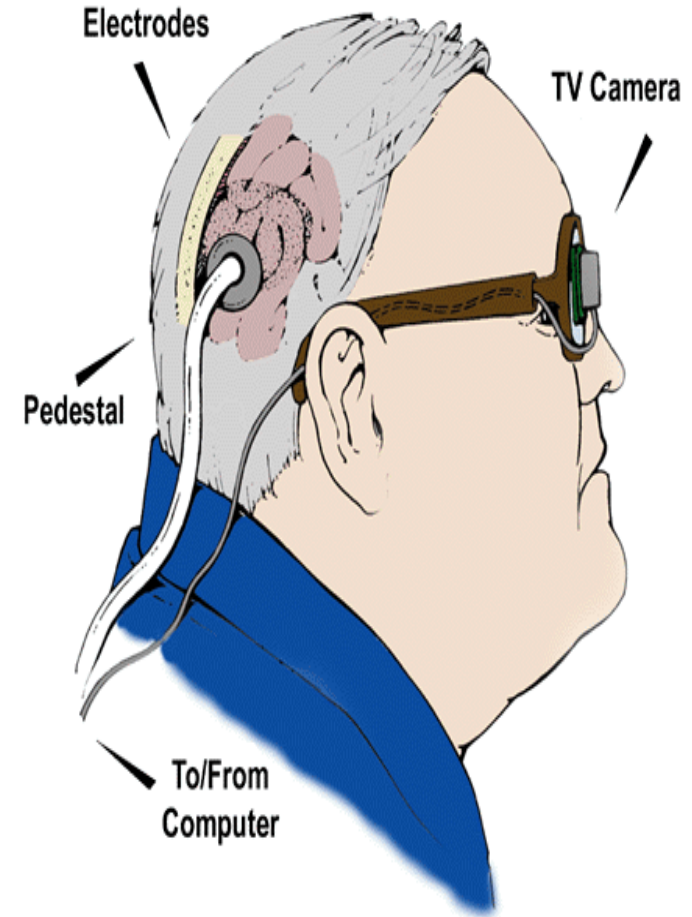
RPの臨床試験は成功裏に推移してきたが、試験は継続される。

- Alpha AMSシステムはヨーロッパで販売されている。ARGUS IIシステムは、欧州および米国の進行したRP一般に、移植が可能である。萎縮型AMDに関する研究は、始まったところである。顔認識と読書能力と色覚に関する技術の進歩が目覚ましく発展してきている

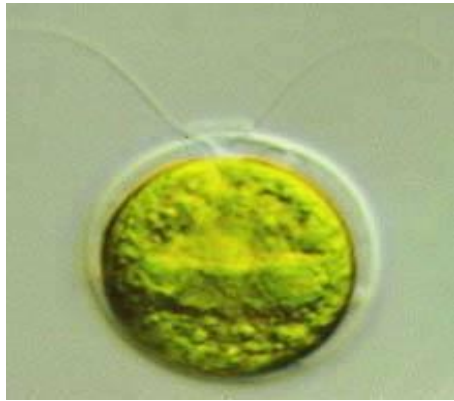
# 脳補綴(Brain Prosthesis)

- 脳補綴(Brain Prosthesis)グループは、眼球を完全に迂回する脳皮質人工器官に取り組んでいる。
  - 過去にウィリアム・ドベル博士のグループは、早期にヒトへのインプラントを行ったが、結果は思わしくなかった。
- ➡
- 最近では、SSMPのOrion 1と呼ばれる皮質人工器官が開発されており、眼球を完全に迂回する。

## Cortical Implant



### 3) Optogenetics (オプトジェネティクス) (Photoswitches) 光遺伝子(光電スイッチ)



クラミドモナス (Chlamydomonas) は、チャンネル ロドプシン(channel rhodopsin) と呼ばれる光感受性タンパク質を含む、小さな単細胞藻類である。

- 多くの動物細胞や植物細胞には、光に反応して電気信号を生成するタンパク質がある。
- 例えば.....  
分子工学を用いて、チャンネルロドプシン分子をRD実験動物の残存網膜細胞(例えば、神経節細胞)に挿入して光感受性を回復させることができる。光信号を脳に伝えることができ、脳は少なくとも「点灯」または「消灯」の状況を区別することができる。



# 異なる種類の光電スイッチを異なるタイプの 残存RD網膜細胞に挿入することができる

- Roska博士は、RDマウスモデルで視覚機能を回復させるために、光電スイッチを網膜双極細胞に挿入できることを示した。
- 玉井辰弥博士は、RDマウス網膜の神経節細胞を標的としたChannel Rhodopsin2という光電スイッチを使用すれば、視力回復に有効であると述べた。
- Roska博士はハロロドプシン(halorhodopsin)と呼ばれるもう一つの光電スイッチを残存錐体細胞に用いて、マウスRPモデルで光感受性を回復させることができると述べる。

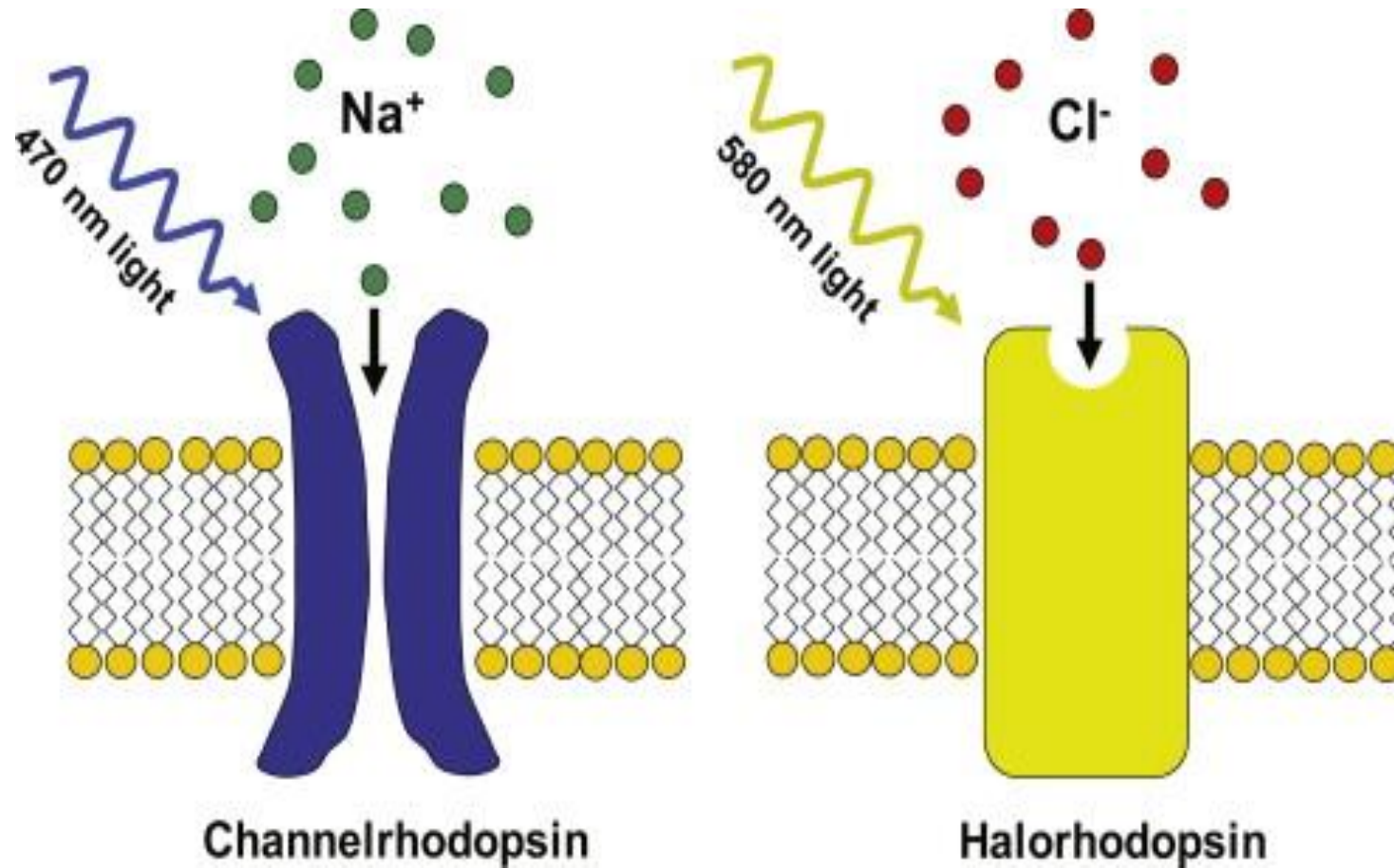
# 光遺伝子企業 (Optogenetics Companies)

- いくつかの企業が、光遺伝子による治療の臨床試験段階まで持ってくるために、生まれているか、または作られている。
- 例えば、GenSight Biologics は、フランスで新たに生まれた遺伝子治療会社である
- パリのサヘル博士が開発した治療法をテストしている。

彼は、RP動物モデルにおいて、光感受性を発現するタンパク質であるハロロドプシン遺伝子を残存網膜細胞に届けるために遺伝子治療を使用する。

ハロロドプシンも、チャンネルロドプシンと同様、光エネルギーを受けて、視覚信号に変換する。

# ※ チャネルロドプシンと ハロロドプシンの対比



## ※ チャネルロドプシン

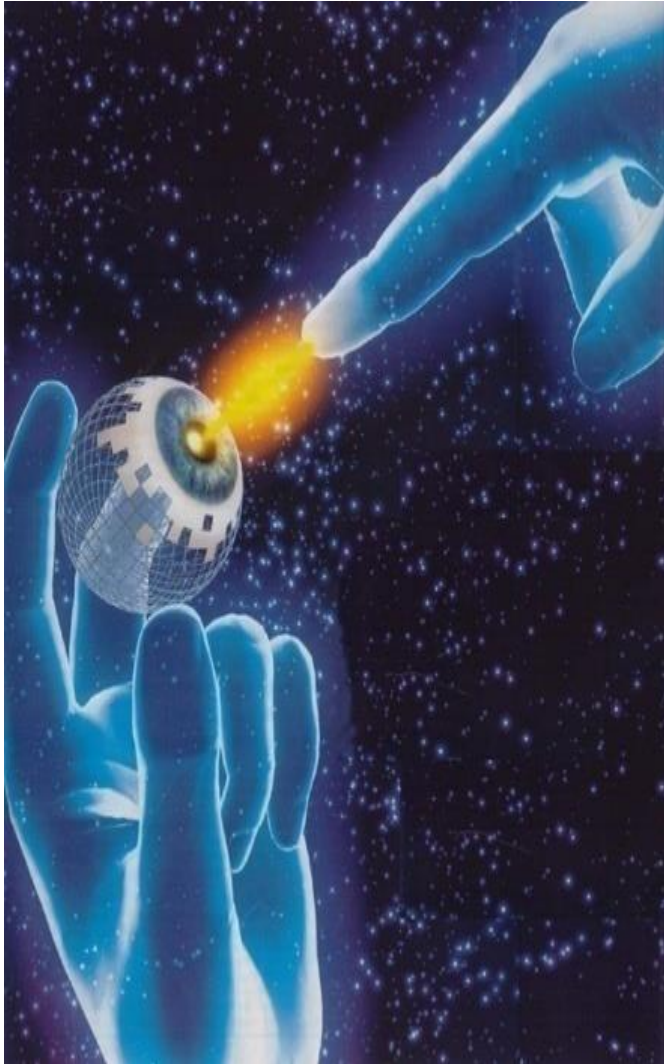
(A) 青色光がchannelrhodopsin-2に当たると、チャンネルが開き、陽イオンの細胞内への流入が可能になる。膜電位は脱分極するために、内蔵する非選択的陽イオンチャンネル(ナトリウムイオンポンプ)が活性化され、青色光照射後に活性化状態が長時間維持される。

## ※ ハロロドプシン

(B) 橙色の光がハロロドプシンに当たると、陰イオンチャンネル(塩素イオンポンプ)の細胞内への流入が可能となる。

内蔵する塩素イオンポンプが働くと神経活動は活性化されるが、膜電位を過分極させ、すぐに、神経活動の抑制に導かれる。

# 今後の見通し: 将来の治療法は・・・？



光電スイッチの基本的な仕事は、まだ開発中である。一部の光電スイッチは、波長が非常に高く、網膜に損傷を与えるほどの波長の光の場合にのみ機能する。

光電スイッチは、視覚として役立つために研究開発されてきたが、人によっては、反応が遅すぎる場合もあれば、うまくいく場合もある。

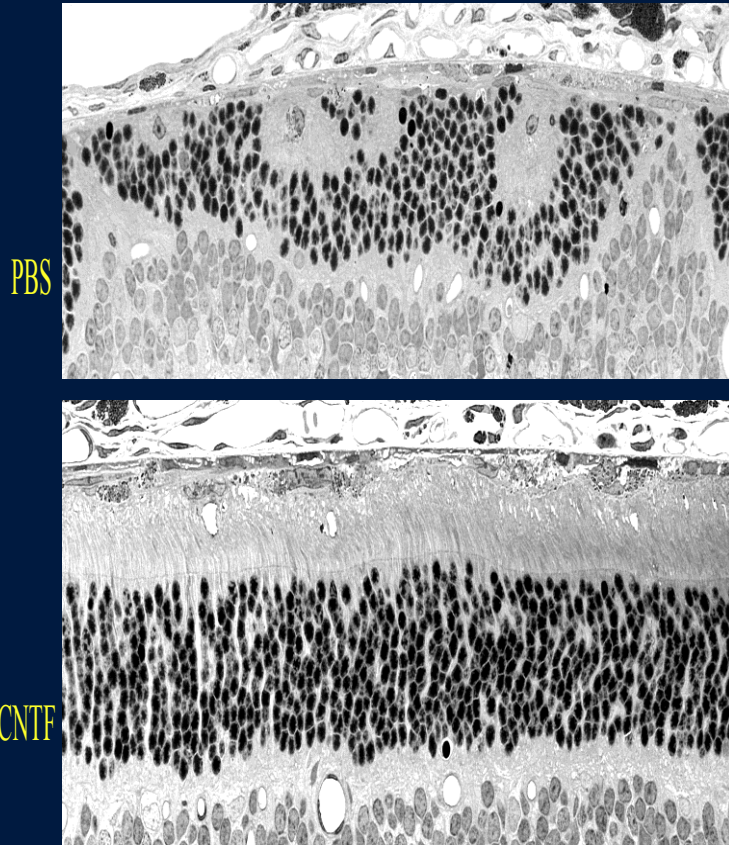
RP動物モデルにおいては、特定の光スイッチを残存網膜細胞に挿入することについてのいくつかの優れた研究がされてきた。

将来、オプトジェネティクス(Optogenetics)による視力機能の回復が期待される。



## 4) 神経保護

7 Days after PDT: PBS vs. CNTF



この方法は、光受容体の死滅を遅延させるために、ニューロン(神経細胞)生存物質を使用する。これはいくつかのRP実験動物モデルにおいて証明されている。

1990年、LaVail博士と彼のグループは、RPの動物モデルの眼に、自然成長因子(bFGF)が注入されたとき、それが光受容体細胞変性を遅延させる可能性があることを初めて示した。

それ以来、脳、網膜および他の組織において、CNTFのような多くの自然因子が、光受容体細胞死を阻害することが発見された。

これらは現在、合わせて「神経栄養因子」または「ニューロン-生存因子」と呼ばれている。

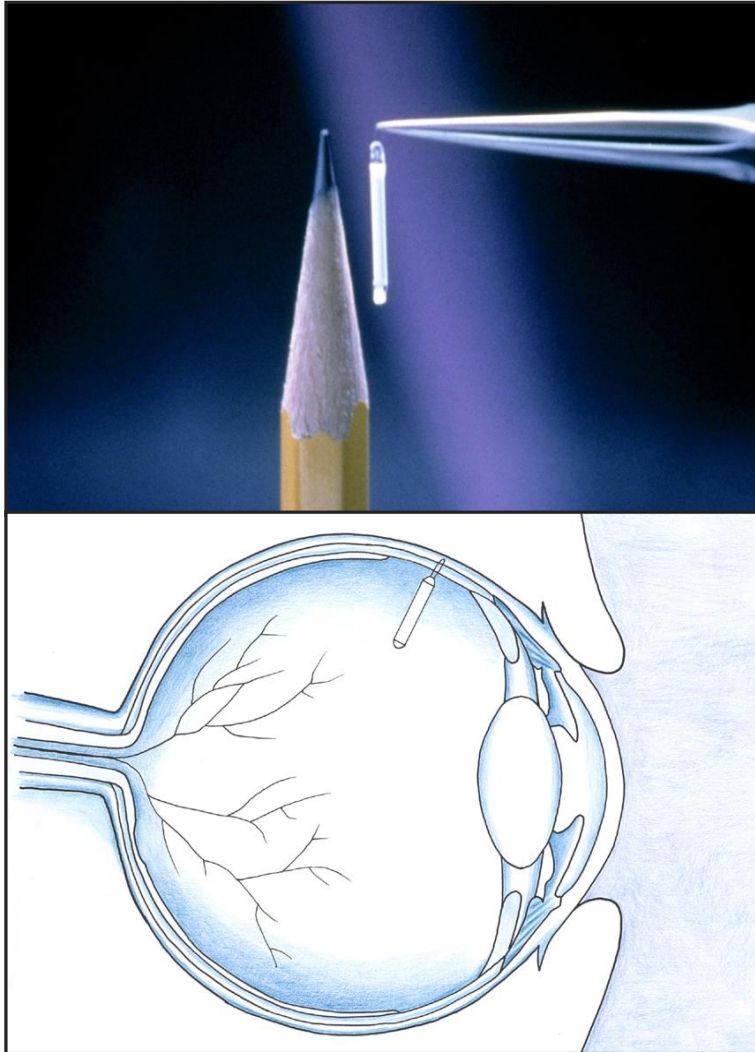
## ※ bFGF

bFGF(塩基性線維芽細胞成長因子: basic fibroblast growth factor)は、ヒトES/iPS細胞培養時に未分化性を維持させながら、細胞を増殖させるために必須の因子とされており、ヒトES/iPS細胞をはじめ各種幹細胞の維持培養に使用されている。

## ※ CNTF

CNTF(毛様体神経栄養因子)は、IL-6ファミリーに属する神経栄養因子。毛様体ニューロンの極めて重要な生存因子として発見され、他の様々な神経細胞の生存にも重要であることが知られている。

# 臨床試験の状況



Neurotech社は、RPF及び萎縮型AMD患者のCNTFの臨床試験中である。

カプセル化細胞技術と呼ばれる手法を用いて、ニューロン生存タンパク質CNTFを病気の網膜に届ける。同社のカプセル化細胞技術(ECT)では、小さなカプセルが外科的に患者の眼の中に入れられる。カプセルの中には、CNTFを生産するため、生化学的に生成された特別な生存細胞を入れておく。CNTFはカプセルを離れて網膜に入り、病変のある光受容細胞に到達する。それにより、光受容細胞の保護に役立つ。

# 多くの神経細胞生存因子が、 テストされるのを待っている

例えば、サヘル博士たちの事例では、桿体由来錐体生存因子(RdCVF)が、錐体細胞生存能力を促進する強力な薬剤であることを示している。

錐体細胞は、網膜中心部にあり、鮮明で色を識別するのに使用されるので、光受容細胞の最も重要なタイプである。

ラベージュ博士らは、ニューロン生存物質として作用し、網膜視細胞の保護と視力の残存を可能にする、30以上の天然および人工の因子を同定した。

# 電気刺激は、光受容体の細胞寿命を延ばし、視覚機能を高めるもう一つの方法である

電流を治療的に使用するという考え方はかなり古いですが、手法は新しくなっている。

網膜色素変性症患者の網膜への影響を試験するために、経角膜電気刺激(TES)を試験する臨床試験が実施されている。

TES装置を眼の前に置き、電気刺激を角膜を通して網膜に与える。網膜の電氣的刺激は、神経栄養因子の分泌を増加させ、網膜細胞を保護する可能性がある。

Okuvision社のTESは、欧州でCEマーク認可を取得している。

# 今後の見通し: 将来の治療法は・・・？



現在のNeurotech社の臨床試験はすぐに完了するはずである。

多発性硬化症、同種疾患および萎縮型AMDに対して、最初の効果的で汎用的に利用可能な治療法がでてくるであろう。

しかし、まだテストを待っている因子はたくさんある！人工薬剤、自然因子単独で、または、それらを組み合わせて……。



## 5) 抗酸化物質

中期段階の萎縮型AMD患者では、抗酸化物質が疾患の進行を遅らせることが明白である。これは加齢黄斑変性症研究(AREDS)の臨床試験で証明されてきた。AREDS製剤は、一般に使用可能である。

網膜色素変性症では、Van VeenとCampochiaroの2つの研究グループが、抗酸化物質がRP動物モデルの網膜変性過程を遅らせることを実証した。

これらの研究が対象としていたのは、アポトーシスによる光受容体の細胞死であった。



# 抗酸化物質の臨床試験について



成分：ルテイン、ゼアキサンチン、アルファ-リポ酸、L-グルタチオン、ライコムババウムの抽出物(ウルフベリー)

van Veen博士は、網膜変性をもつ実験動物に対して、抗酸化物質の特別な組み合わせを考えて食べさせ、網膜変性プロセスを遅らせた。

それらの因子は、組み合わせて薬剤になり、Retina Complexと呼ばれている。

この前臨床試験に基づいて、スペインでの小規模な臨床試験がRP患者および萎縮型AMD患者で完了した。結果の初期報告は良好であったが、現在は、最終報告を待っている段階である。より広範な試験が計画されなければならない

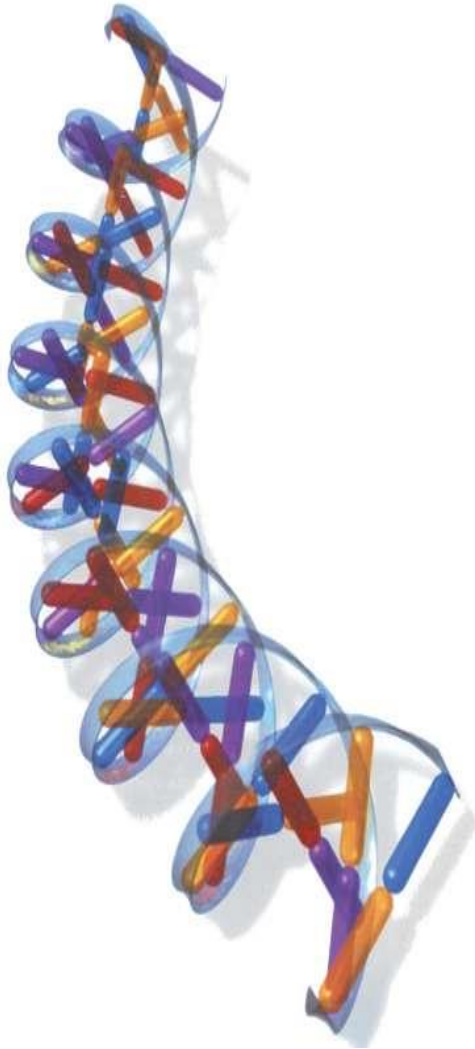
# 今後の見通し: 将来の治療法は・・・？



萎縮型AMDの場合、抗酸化物質は少なくとも中期段階の疾患で機能することが知られている。網膜色素変性症の場合は、Retina Complexなどの臨床試験の完了を待つ必要がある。将来的には、RPおよびAMD実験動物モデルで、そしてヒトで試験できる多くの種類の抗酸化物質が見つかるであろう。今のところは、あなたのお母さんのアドバイスを聞いて、果物と野菜を食べることが大事であろう！



## 6) 遺伝子療法

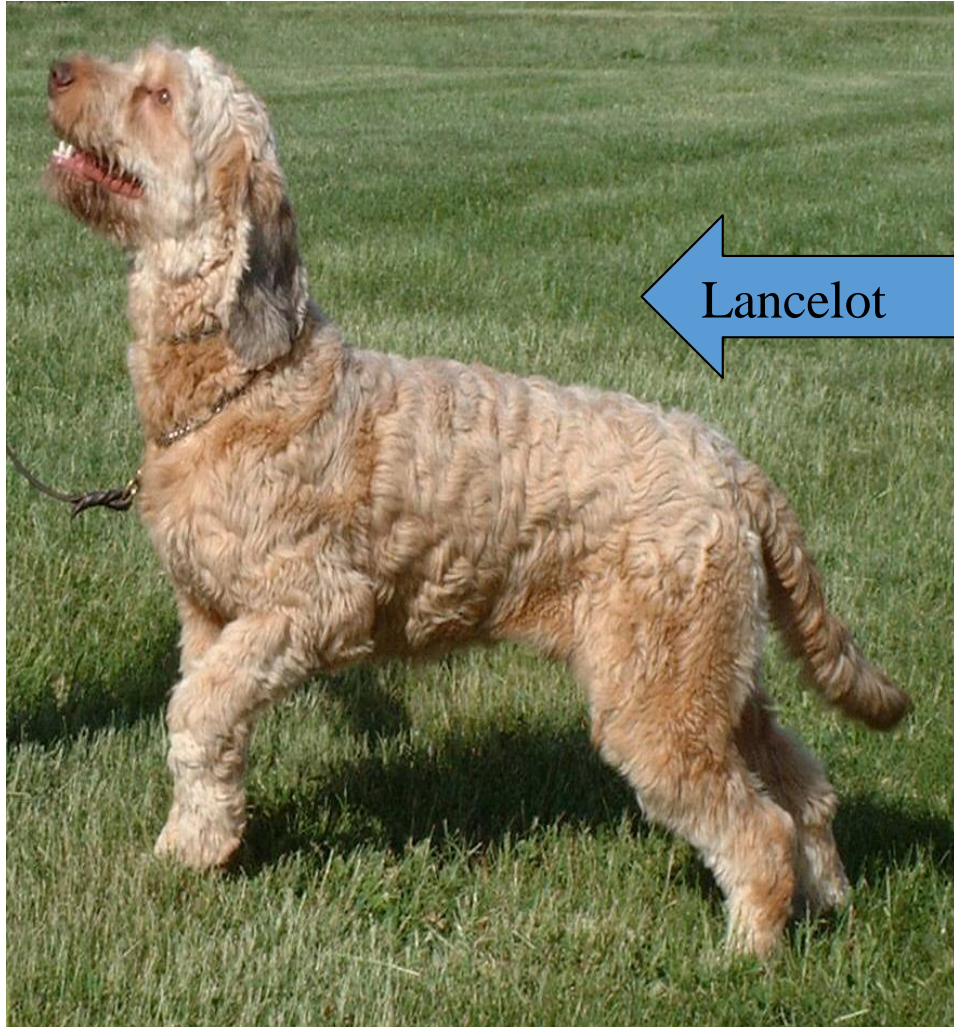


遺伝子治療は、残存細胞の欠損変異遺伝子を、遺伝子の新しい通常のコピーに置き換える。新しい遺伝子は、細胞の機能を修復する正常なタンパク質を合成する青写真として機能する。

異なる種類の遺伝子治療が利用可能である。これらは劣性型、優性型およびX連鎖型といった網膜色素変性症のすべての遺伝型に対応している。

重要なことは、光受容体喪失後の疾患プロセスのかなり後期に治療が行われたとしても、RP実験動物モデルにおける遺伝子療法の長期的にわたる良好な効果がでてきていることである

# 遺伝子治療



2001年、Gus Aguirre博士と同僚たちは、Leber先天盲(LCA)（RPE65遺伝子異常）モデルであるブリアード(Briard)犬の視覚機能の顕著な回復を報告した。

※ Lancelot(この犬の名前)

- これらの視機能に先天的異常をもった犬たちも、治療後、生涯にわたって良く見えるようになった。[ベネット博士によると](#)、最近では、少ししか光受容細胞が残っていない老犬も含め、多くの犬の治療結果は良好のようである

# 遺伝子治療の臨床試験

新しく、かつ刺激的なニュースは、遺伝子治療が人間の視機能を回復させるという情報である。

約5年前、ロビン・アリ博士たちは、LCAを有する特定の患者にRPE65遺伝子の正常なコピーを供給する最初の遺伝子治療臨床試験を開始した。

まもなく、他のグループ（Bennett博士、Jacobson博士など）が同様の試験を開始し、治療を受けたほとんどの患者たちは、視野が幾分か改善されてきたようである。

現在は早期治療、すなわち子供患者の治療に焦点が当てられている。この分野での成功が、他の多くの網膜変性疾患の治療のモデルとして使用可能となってきた。



# LCAのための遺伝子療法治療について...

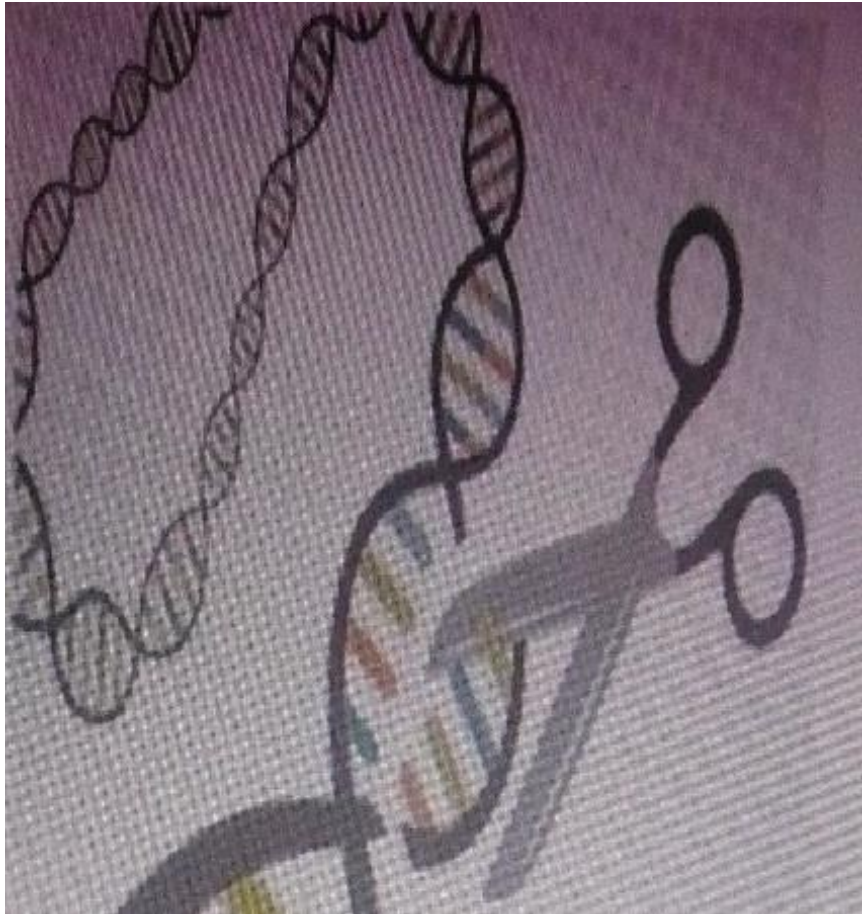
Spark Therapeutics社は、RPE65媒介性網膜変性症および早期発症型RPの一般的治療薬Luvturnaと呼ばれる自社製品の臨床試験を完了した。

※ [米国食品医薬品局](#) (Food and Drug Administration; FDA) は、アメリカ合衆国保健福祉省 (Department of Health and Human Services, HHS) 配下の政府機関。連邦食品・医薬品・化粧品法を根拠とし、医療品規制、食の安全を責務とする。

同社は、米国FDAの人への一般的使用に関する最終承認を得ており、欧州薬事局への申請もされている。

※ [欧州医薬品庁](#) (European Medicines Agency、略称: EMA) は、欧州連合の専門機関のひとつで前身は1995年に設立される。2004年までは欧州医薬品審査庁[1] (European Agency for the Evaluation of Medicinal Products) として知られていた。現在はイギリスのロンドンに所在しているが、同国のEU離脱決定を受けて、2019年3月末までにオランダのアムステルダムへ拠点を移す予定)

# クリスパー(CRISPR)による遺伝子編集・遺伝子治療の未来は？



クリスパーは、バクテリアが、侵入してくるウイルスを無効化するために使用する自然発生DNA編集プロセスである。

この技術によって、遺伝子異常を修正するためにヒト細胞内の突然変異した遺伝子を、実験室の中で正確に編集(変更)することができるのである。

※ 温泉などに住む古細菌の免疫防御機構を利用した編集技術

# クリスパーによる遺伝子編集

クリスパーの技術は、遺伝子内のDNAの標的(となる突然変異した)領域を切り取る、あるいは、それ自体を正確に修復する優れた分子のハサミのように機能する。だから、それは真に重要な技術だといえる。例えば、従来の遺伝子治療技術ではうまく機能しない非常に大きい遺伝子にも、クリスパーなら適用できるからである。

ただ、残念ながら、いまのところ、いくつかの問題点があることも明らかである。しかし、有効である事実は間違いない。したがって、これは今後も伸びていく技術である。

エディタス(Editas)社は、CPE290 遺伝子の突然変異に起因する LCA10の編集療法を開発中である。臨床試験が始まっている。

# 今後の見通し: 将来の治療法は・・・？

臨床試験は次のようなものが進行中あるいは予定されている①



- 優性、劣性およびX連鎖RPの治療
- MERTK サウジアラビアのアブード教授の開発した治療薬
- LCAの治療 LCA 1 (GUCY2D) フロリダ大(UF)眼科Boye SE1教授の研究した有効蛋白質
- LCA 5 レベシリン(Lebercillin)連合研究団体が共同開発した有効蛋白質
- スターガルト(Stargardt)病の研究 (ProgStar(米国網膜基金が中心となって立ち上げたStargardt病研究組織による))

▪ 網膜症(Retinoschisis) AGTC(Applied Genetic Technologies Corporation)社の治療法。NEI(米国国立眼科研究所)は、富士フイルムなどと共同での治療法開発試験をしている。

# 進行中あるいは予定されている臨床試験②

- アッシャー(Usher)症候群の治療  
Ushstat(アッシャー症候群の臨床研究サイト: 米国網膜基金の寄付金で立ち上げ)
- コロイデレミア(Choroideremia)の治療法  
英国のMacLaren博士たちが開発したコロイデレミアなどの治療法。
- 遺伝子治療は、神経保護薬や抗酸化剤など、他の療法と組み合わせて試験されることもある。

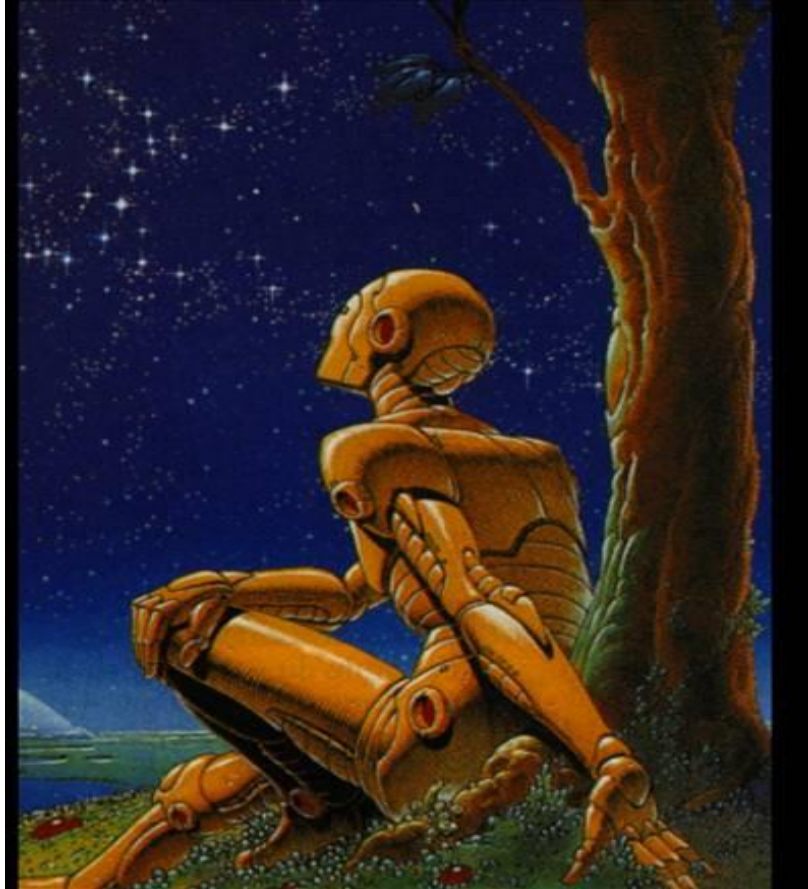
※ コロイデレミア(choroideremia)は、小児期から学童期の男児が夜盲で発症し、進行性の視野障害が生じる。網膜色素上皮と脈絡膜の進行性萎縮を来す病気で、進行すると著しい視野障害が起こる。中心視力は、比較的晩期まで保たれる。X連鎖劣性遺伝の病気。患者は男性がほとんどだが、保因者である女性にも眼底異常や夜盲が出現するのが特徴。遺伝カウンセリングが重要な病気。







# さらに、未来を見すえて...



私は、科学的闇の時代から、ついに啓かれた臨床試験の時代に入ったことに、あなたがたが同意してくださることを願っている。

実験室の机の前での25年以上にわたる研究者たちの懸命な努力の成果が、視覚を修復する有意義な多くの臨床試験につながっている。

このことが、すべてのRD患者の視力を保存し、回復させる新しい治療法につながってくるのである。

※[米NIHが遺伝子編集に1億9000万ドル拠出、臨床研究を加速](#) を参照

# 最後に、皆様に嬉しいお知らせをお伝えしたい

ワシントン州シアトルにあるRI科学・医療諮問委員会の最近の会合で、画期的な結論に達した。

過去の会合では、基本的なRD研究と臨床試験の進展について、通常は約15前後の短い報告がなされていた。

今年は、基礎研究発表時間をとらず、すべて臨床試験についての報告がなされることになった。

すべての網膜変性疾患の治療法に直接つながる臨床研究に焦点を絞っているという理由で、私は、これが大きな進歩だと考えている。

# ご清聴ありがとうございました！

(和訳:JRPS公式WEB管理人)

なお、※印は、参考のために訳者が付け加えた部分であり、チェイダー博士の講演およびパワーポイント資料にはありません。翻訳は、重複する部分はカットしたり、意訳もしております。誤訳もあると思いますので、本来の博士の動画(会員ページにあります)をご覧の上、お気づきの点があれば、管理人までお知らせいただくと幸いです。

JRPS公式WEB管理人:森田三郎

Email: smorita@gmail.com

連絡していただける時は、@ (全角)を@ (半角)に変更してください。よろしく願い申し上げますm(\_\_)m