



## 海外標準化動向調査(7月)

令和6年度エネルギー需給構造高度化基準認証推進事業費(我が国の国際標準化戦略を強化するための体制構築)  
2024年7月1日

一般財団法人日本規格協会

# ピックアップ：再生医療・バイオ(関連ニュース番号17)



トピック

FDA、異染性白質ジストロフィーの小児に対する初の遺伝子治療を承認

推進組織

Food and Drug Administration (FDA)

内容

ポイント

• [米国食品医薬品局 \(FDA\)](#) は、FDAが承認した初の遺伝子治療薬である[Lenmeldy](#)を承認した。Lenmeldyは、症候性乳児期後期前、症候性若年期前、または症候性若年期初期の[異染性白質ジストロフィー \(Metachromatic leukodystrophy: MLD\)](#)の小児の治療に適応がある。

背景

• MLDは、脳と神経系に影響を及ぼす衰弱性のまれな遺伝病で、米国では4万人に1人の割合で発症すると推定されている。これまで、MLDを治療する方法はなく、治療は通常、支持療法と症状管理が中心となっていた。

概要

• Lenmeldyは、[ARSA遺伝子](#)の機能的コピーを含むように遺伝子改変された患者自身の[造血幹細胞](#)から作られる、1回限りの個別化された単回投与点滴である。

• 幹細胞は患者から採取され、ARSA遺伝子の機能的コピーを追加することによって改変される。

• 改変された幹細胞は患者に移植され、骨髄内で生着（くっついて増殖する）する。

• 改変された幹細胞は、ARSA酵素を産生する骨髄系（免疫）細胞を体内に供給し、有害な[スルファチド](#)の蓄積を分解するのを助け、MLDの進行を止める可能性がある。

• 治療に先立ち、患者は[大量化学療法](#)を受けなければならない。これは、骨髄から細胞を除去し、Lenmeldyで改変された細胞と置き換えるためのプロセスである。

• Lenmeldyの安全性と有効性は、2つの単群非盲検臨床試験および拡大アクセスプログラムでLenmeldyの投与を受けた37人の小児からのデータに基づいて評価され、Lenmeldyによる治療を受けた子供たちを、治療を受けなかった子供たちと比較した。

• MLDの小児では、Lenmeldyによる治療により、未治療の小児と比較して重度の運動障害または死亡のリスクが大幅に減少した。

• Lenmeldyによる治療を受けた未発症の後期乳児期 MLD の小児は全員 6 歳時点で生存していたが、自然経過群の小児では 58% のみだった。

• 5 歳の時点で、治療を受けた子供の 71% が補助なしで歩くことができた。

• 治療を受けた子供の85%は言語と能力のIQスコアが正常でしたが、治療を受けていない子供ではこのような報告はなかった。さらに、発症前の若年性早期MLDおよび症候性若年性早期MLDの小児では、運動疾患および/または認知疾患の減速が見られた。

• 本申請は、[優先審査](#)、[希少疾病用医薬品](#)、[希少小児疾患](#)、[再生医療先進治療 \(RMAT\)](#) の指定を受けた。

出所:FDAのWEBサイト(<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-children-metachromatic-leukodystrophy>)を元にJSAグループ作成

# ピックアップ：再生医療・バイオ(関連ニュース番号18)



トピック

欧州委員会、EUにおけるバイオテクノロジーとバイオ製造業の振興に向けた行動を開始

推進組織

European Commission (EC:欧州委員会)

内容

## ポイント

- 欧州委員会(European Commission (EC))は、欧州経済にとってのバイオテクノロジー産業の重要性を示すため、バイオテクノロジーとバイオ製造業を促進するための措置の提案を示した文書を発表した。EUの長期的競争力に関するコミュニケーションに沿って、課題と障壁を特定し、それらに取り組むことを提案している。

## 背景

- EUのバイオテクノロジーおよびバイオ製造部門は、研究および技術の市場移転、規制の複雑さ、資金調達へのアクセス、技能、バリューチェーンの障害、知的財産、社会的受容、経済的安全性など、いくつかの課題に直面しており、欧州委員会が一連の行動を打ち出しているのはこのためである。

## 概要

2024年3月20日、欧州委員会(EC)は、「[Building the future with nature: Boosting Biotechnology and Biomanufacturing in the EU \(自然とともに未来を築く：EUにおけるバイオテクノロジーとバイオ製造業の促進\)](#)」という、コミュニケーション文書を発表。バイオテクノロジーとバイオ製造は今世紀最も有望な技術分野の1つであるとし、農林業、エネルギー、食品および飼料部門と産業近代化、EUの競争力強化、優れた医療の提供、グリーン化とデジタル化への移行の成功にも貢献すると位置付けている。

具体的な、バイオテクノロジーとバイオ製造部門への措置の提案は次の通り。

- ①研究の活用とイノベーションの促進
- ②市場の需要の刺激
- ③規制経路の合理化
- ④官民投資の促進
- ⑤バイオテクノロジー関連のスキルの強化
- ⑥基準の精緻化と更新
- ⑦協力と相乗効果の支援
- ⑧関与と国際協力の促進
- ⑨AI および生成 AI の使用
- ⑩バイオエコノミー戦略の見直し

欧州委員会は、新しい市場を創出する可能性のあるイノベーションを開発し、規模を拡大するために、欧州イノベーション評議会 (EIC) のアクセラレーター作業プログラム2025にバイオテクノロジーとバイオ製造に関する特定の課題を含めることを提唱する予定である。

この文書の発表に対して、[欧州製薬団体連合会\(EFPIA: European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations\)](#)は、当該分野に対する措置が発表されたことを歓迎するとともに、欧州委員会に対し、次期任務の中心に総合的な健康および生命科学戦略を据えることを要請をした。欧州では過去 20 年間ですでに研究開発投資の世界シェアが 25% 減少しており、世界の他の地域との間の研究開発および製造投資の格差を埋めることは緊急課題であると、業界団体は認識している。

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (1/19)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
1-1	国際	ISO/TC276 (バイオテクノロジー)	2024/5/1	<p>【概要】<a href="#">ISO/TC276 (バイオテクノロジー)</a> では、バイオテクノロジー・プロセスに関する規格開発が行われている。事務局は<a href="#">Deutsches Institut für Normung (DIN)</a>が担当し、Pメンバーは34か国、Oメンバーは16か国である。日本の国内審議団体は、<a href="#">(一社) 再生医療イノベーションフォーラム</a>である。</p> <p><a href="#">2024年5月1日現在、ISO/TC276において発行済みで有効な規格は35</a>であり、直近で発行されている規格は以下の通り。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ISO 18209-1:2024「バイオテクノロジー — 寄生虫のバイオバンキング — パート 1: 蠕虫」</li> <li>ISO 20688-2:2024「バイオテクノロジー — 核酸合成 — パート 2: 合成された遺伝子断片、遺伝子、およびゲノムの生産および品質管理の要件」</li> </ul> <p><a href="#">2024年5月1日現在、開発中の規格は24</a>であり、その一例を示す。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ISO/CD TR 4752「バイオテクノロジー — 哺乳動物細胞培養における微生物汚染の検出方法の一覧表」</li> <li>ISO/DIS 8472-1「バイオテクノロジー — 幹細胞データのデータ相互運用性 — パート 1: フレームワーク」</li> <li>ISO/DIS 18162「バイオテクノロジー — バイオバンキング — 多能性幹細胞由来のヒト神経幹細胞の要件」</li> <li>ISO/WD TS 20853「バイオテクノロジー — バイオプロセッシング — 治療用バクテリオファージ調製物の一般要件」</li> <li>ISO/WD 24031「バイオテクノロジー — 核酸およびタンパク質ベースのバイオデバイスの一般要件」</li> <li>ISO/DIS 24480「バイオテクノロジー — 塩基配列評価に使用するデータベースの検証」</li> </ul>	International Organization for Standardization (ISO) <a href="https://www.iso.org/committee/4514241.html">https://www.iso.org/committee/4514241.html</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（2/19）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
1-2	国際	ISO/TC 194 (医療機器の生物学的評価)	2024/5/1	<p>【概要】<a href="#">ISO/TC 194 (医療機器の生物学的評価)</a>では、医療用、歯科用材料、および機器の生物学的評価に関する規格開発が行われている。事務局は<a href="#">Deutsches Institut für Normung (DIN)</a>が担当し、Pメンバーは34カ国、Oメンバーは18カ国である。日本の国内審議団体は、<a href="#">(一社)日本医療機器テクノロジー協会</a>である。</p> <p><a href="#">2024年5月1日現在、ISO/TC194において発行済みで有効な規格は37</a>である。</p> <p><a href="#">2024年5月1日現在、開発中の規格は15</a>であり、現在開発中の規格は以下の通り。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ISO/DIS 10993-1「医療機器の生物学的評価 — 第1部: リスク管理プロセスにおける生物学的安全性の評価の要件と一般原則」</li> <li>ISO/AWI 10993-3「医療機器の生物学的評価 — 第3部: 遺伝毒性、発がん性、生殖毒性の試験」</li> <li>ISO/DIS 10993-7「医療機器の生物学的評価 — 第7部: エチレンオキシド滅菌残留物」</li> <li>ISO/AWI 10993-16「医療機器の生物学的評価 — 第16部: 分解生成物と浸出物の毒性動態研究デザイン」</li> <li>ISO/AWI 21762「ヒト組織およびその派生物を利用した医療機器リスク — 管理の適用」</li> </ul>	International Organization for Standardization (ISO) <a href="https://www.iso.org/committee/54508.html">https://www.iso.org/committee/54508.html</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (3/19)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
2	中国	幹細胞由来移植をカモフラージュすることで免疫拒絶反応を回避する	2023/11/23	<p>免疫拒絶反応と潜在的な腫瘍形成の両方のリスクを克服するために、北京の<a href="#">中国科学院</a>の研究者、Baoyang Huたちは、<a href="#">幹細胞</a>から得られた<a href="#">肝細胞</a>が免疫系から見えないように遺伝子操作した。同時に、未成熟で腫瘍形成の可能性のある幹細胞は、依然として免疫系に攻撃され排除される。これを実現するために、未成熟な幹細胞はこれらのタンパク質を作らないのに対し、成熟した肝細胞になった細胞は2種類の免疫抑制タンパク質を作るようにした。その結果、ヒトの免疫系を持つマウスに移植すると、未成熟な幹細胞は破壊され、腫瘍の形成が抑制された。一方、幹細胞由来の肝細胞は免疫攻撃から保護され、免疫のマッチングがないにもかかわらず、マウス内にとどまることができた。同様のアプローチで、心臓細胞や膵臓細胞など、他の幹細胞由来組織を免疫拒絶反応から守ることができる可能性がある。</p> <p>この研究は、本日、<a href="#">Stem Cell Reports</a>誌に発表された。これらの幹細胞由来移植の安全性と有効性については、前臨床試験や臨床試験でさらに検証する必要がある。</p>	INTERNATIONAL SOCIETY FOR STEM CELL RESEARCH (ISSCR) <a href="https://www.isscr.org/isscr-news/camouflagging-stem-cell-derived-transplants-avoids-immune-rejection">https://www.isscr.org/isscr-news/camouflagging-stem-cell-derived-transplants-avoids-immune-rejection</a>
3	韓国	韓国、ワクチンと免疫学のイノベーションを加速	2023/11/23	<p><a href="#">国際ワクチン研究所 (IVI)</a> と <a href="#">韓国科学技術院 (KAIST)</a> は、世界的なワクチン研究協力のための覚書 (MOU) を締結した。この協定に基づき、両国はそれぞれの強みを組み合わせ、相乗効果を発揮することで、革新的な新しいワクチンの開発を加速し、世界の健康を促進するために協力することになる。</p> <p>両組織は、ワクチン免疫応答解析プロジェクト、グローバルヘルスパートナーとの共同研究、医学・生命科学分野の研究と教育の強化、発展途上国における医療とワクチンへのアクセスの改善という4つの主要分野で協力する。</p>	Bio Spectrum / Asia edition <a href="https://www.biospectrumsia.com/news/51/23375/korea-accelerates-innovations-in-vaccines-and-immunology.html">https://www.biospectrumsia.com/news/51/23375/korea-accelerates-innovations-in-vaccines-and-immunology.html</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（4/19）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
4	タイ	GC Genome、タイで遺伝的健康サービスを商業化するためにMP Groupと提携	2023/11/24	<p>韓国の<a href="#">GC Genome Corporation</a>は、タイ・バンコクの<a href="#">MP Group</a>と、遺伝的健康診断「Genome Health」の商品化に関する提携および独占ライセンス契約を締結した。Genome Healthは、<a href="#">次世代シーケンシング (NGS)</a>を利用して、主要ながん種や一般疾患に関連するリスク対立遺伝子を特定する<a href="#">SNPジェノタイピング・サービス</a>で、GC Genomeが開発した。</p> <p>本契約に基づき、GC GenomeはMPグループに対し、タイ国内におけるゲノム・ヘルスの独占的商業化ライセンスを供与する。この提携には、GC Genomeによるタイ国内での遺伝子研究所の運営に必要な不可欠なウェットラボ技術とノウハウの移転も含まれる。技術が引き渡された後、MPグループは「Genechecks」という名称で製品を発売し、タイで販売促進プログラムを開始する予定である。</p>	Bio Spectrum / Asia edition <a href="https://www.biospectrumsia.com/news/56/23317/gc-genome-partners-with-mp-group-to-commercialise-genetic-health-services-in-thailand.html">https://www.biospectrumsia.com/news/56/23317/gc-genome-partners-with-mp-group-to-commercialise-genetic-health-services-in-thailand.html</a>
5	アメリカ	FDA、鎌状赤血球症患者の治療に初の遺伝子治療を承認	2023/12/8	<p>本日、<a href="#">米国食品医薬品局(FDA)</a>は、12歳以上の患者の<a href="#">鎌状赤血球症(SCD)</a>の治療のための初の細胞ベースの遺伝子治療となる、2つのマイルストーン治療法、<a href="#">Casgevy</a>と<a href="#">Lyfgenia</a>を承認した。これらの治療法のうちの1つであるCasgevyは、一種の新しいゲノム編集技術を利用した初のFDA承認治療法であり、遺伝子治療の分野における革新的な進歩を示している。</p> <p>FDA 生物製剤評価研究センター内の治療製品室ディレクターである Nicole Verdun 医学博士は、「鎌状赤血球症は、希少で衰弱性があり、生命を脅かす血液疾患であり、満たされていないニーズが大きいです。本日、2つの細胞ベースの遺伝子治療を承認することで、特にこの病気によって生活に深刻な支障をきたしている個人のためにこの分野を前進させることに興奮しています。遺伝子治療は、特に現在の治療選択肢が限られている希少疾患患者に対して、より標的を絞った効果的な治療を提供できる可能性を秘めています。」と述べた。</p>	Food and Drug Administration (FDA) <a href="https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapies-treat-patients-sickle-cell-disease">https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapies-treat-patients-sickle-cell-disease</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (5/19)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
6	欧州	βサラセミアと重度の鎌状赤血球症を治療する初の遺伝子編集療法	2023/12/15	<p><a href="#">欧州医薬品庁(European Medicines Agency: EMA)</a>は、新規遺伝子編集技術である<a href="#">CRISPR/Cas9</a>を用いた初の医薬品の承認を勧告した。<a href="#">Casgevy (exagamglogene autotemcel)</a>は、<a href="#">造血幹細胞移植</a>が適切で適切なドナーが得られない12歳以上の患者における輸血依存性βサラセミアおよび重症鎌状赤血球症の治療に適応される。</p> <p>βサラセミアと鎌状赤血球症は、ヘモグロビン（赤血球に含まれ、体中に酸素を運ぶタンパク質）の生産や機能に影響を与える遺伝子変異によって引き起こされる2つの遺伝性希少疾患で、両疾患とも、生涯衰弱が続き、生命を脅かす病気である。</p> <p>この新しい治療法は、患者を頻繁な輸血の負担や、鎌状赤血球が細い血管を詰まらせるときに起こる痛みを伴う血管閉塞の危機から解放する可能性があり、患者の生活の質を大幅に改善する可能性がある。</p>	<p>European Medicines Agency (EMA)</p> <p><a href="https://www.ema.europa.eu/en/news/first-gene-editing-therapy-treat-beta-thalassemia-and-severe-sickle-cell-disease">https://www.ema.europa.eu/en/news/first-gene-editing-therapy-treat-beta-thalassemia-and-severe-sickle-cell-disease</a></p>
7	アメリカ	魚のような遺伝子プログラムでヒト網膜細胞を神経細胞に変える	2023/12/22	<p>外傷や病気によって網膜のニューロン(neuron(※1))が失われると、視力障害や失明に至るが、魚類のような一部の動物には、「<a href="#">Muller glia</a>」と呼ばれる別の網膜細胞タイプをニューロンに変えることによって、網膜ニューロンを再生する能力が組み込まれている。しかし、<a href="#">米国Washington大学</a>のThomas Reh教授、Juliette Wohlschlegel教授らによる、ヒトのMuller gliaは、実験室内でその正体を変化させることができ、視力低下を治療する新たなニューロンの供給源となる可能性があるという新たな研究が、『<a href="#">Stem Cell Reports</a>』誌に発表された。</p> <p>Washington大学のThomas Reh博士は、「全体として、私たちの研究は、ヒトのMuller gliaを、新しいニューロンを作ることができる細胞へと再プログラムできるという原理を証明するものです。これは、病気や外傷でニューロンを失った人々の網膜を修復する全く新しい方法を開くものです。」と述べた。</p> <p>※1 ニューロン(neuron)：生物の脳を構成する神経細胞          ※2 ISSCR: INTERNATIONAL SOCIETY FOR STEM CELL RESEARCH; 国際幹細胞学会;</p>	<p>INTERNATIONAL SOCIETY FOR STEM CELL RESEARCH (ISSCR)※2</p> <p><a href="https://www.isscr.org/isscr-news/fish-like-genetic-program-used-to-turn-human-retinal-cells-into-neurons">https://www.isscr.org/isscr-news/fish-like-genetic-program-used-to-turn-human-retinal-cells-into-neurons</a></p>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (6/19)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
8	欧州	動物における抗菌薬の販売および使用データを収集するための新しいプラットフォーム	2024/1/29	<p><a href="#">欧州医薬品庁 (European Medicines Agency :EMA)</a>は、動物における抗菌薬の販売と使用に関する加盟国のデータ収集を支援するため、<a href="#">抗菌販売および使用 (ASU)プラットフォーム</a>を立ち上げた。</p> <p>2024年1月より、<a href="#">欧州連合 (EU)</a>および<a href="#">欧州経済地域 (EEA)</a>の全加盟国は、これらのデータを抗菌薬販売・使用 (ASU)プラットフォームに毎年提出しなければならない。この新たな義務は、抗菌薬耐性と闘うための措置の一つとして、<a href="#">動物用医薬品規則 (規則 (EU) 2019/6)</a>によって導入された。</p>	<p>European Medicines Agency (EMA)</p> <p><a href="https://www.ema.europa.eu/en/new-platform-collection-sales-and-use-data-antimicrobials-animals">https://www.ema.europa.eu/en/new-platform-collection-sales-and-use-data-antimicrobials-animals</a></p>
9	アメリカ	衰弱性眼疾患の治療に効果的な局所遺伝子治療	2024/2/7	<p>マイアミ大学ミラー医学部<a href="#">バスコム・パーマー眼科研究所</a>の研究者らは、皮膚や他の臓器にも影響を及ぼす稀な疾患である<a href="#">ジストロフィー性表皮水疱症 (DEB)</a>の小児患者において、新しい遺伝子治療である<a href="#">B-VEC (VYJUVEK™)</a>が重度の眼の問題を効果的に治療していることを明らかにした。これは、局所遺伝子治療が眼に使用された初めての例である。この症例研究は2月7日付の<a href="#">New England Journal of Medicine</a>誌に掲載された。</p> <p>DEBは、<a href="#">COL7A1遺伝子</a>の変異によって引き起こされ、<a href="#">VII型コラーゲン</a>の産生を阻害し、皮膚、口や胃の中、目に重度の水疱や瘢痕形成を引き起こす。現在14歳の患者は、4歳のときから<a href="#">Bascom Palmer</a>にDEB治療を受けに来ていた。皮膚や目に水疱ができるなどして、視力を著しく失い、まぶたと眼球がくっつく眼瞼下垂症を併発していた。B-VEC はまさにそれを行うために設計された。</p> <p>研究チームは、B-VECの開発元である<a href="#">Krystal Biotech</a>社と緊密に協力し、この治療薬を点眼薬として再製剤化し、試験を実施した。この治療法はすでに皮膚水疱症の臨床試験中であったため、目の問題を抱えるDEB患者の治療へのアクセスを拡大することは比較的容易であった。食品医薬品局からゴーサインが出ると、チームは患者へのB-VECの投与を開始し、良好な結果を得た。</p>	<p>University of Miami Health System (Uhealth)</p> <p><a href="https://news.med.miami.edu/gene-therapy-for-eye-disease/">https://news.med.miami.edu/gene-therapy-for-eye-disease/</a></p>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (7/19)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
10	アメリカ	FDA、切除不能または転移性黒色腫患者を治療する初の細胞療法を承認	2024/2/16	<p>本日、<a href="#">米国食品医薬品局(FDA)</a>は、他の治療法（<a href="#">PD-1阻害抗体</a>、<a href="#">BRAF V600遺伝子変異陽性</a>の場合は<a href="#">BRAF阻害剤</a>と<a href="#">MEK阻害剤</a>の併用または非併用）による治療歴のある、手術で切除できない（切除不能）、または体の他の部位に転移している（転移性）タイプの皮膚がん（Melanoma）成人患者を適応症とする初の細胞療法である<a href="#">Amtagvi (lifileucel)</a> を承認した。</p> <p><a href="#">FDA 生物製剤評価研究センター(CBER)</a>治療製品局局長のNicole Verdun医学博士は「<a href="#">黒色腫</a>は生命を脅かす癌であり、罹患した個人に壊滅的な影響を与える可能性があり、体内の他の領域に転移して拡散する重大なリスクを伴います。本日の承認は、がん患者に対する革新的で安全かつ効果的な治療法の開発に対するFDAの献身と取り組みを反映しています。」と述べた。</p>	<p>Food and Drug Administration (FDA)</p> <p><a href="https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-cellular-therapy-treat-patients-unresectable-or-metastatic-melanoma">https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-cellular-therapy-treat-patients-unresectable-or-metastatic-melanoma</a></p>
11	アメリカ	NIST、非営利研究コンソーシアム、AIの潜在的な悪用を防ぐ合成生物学の安全ツールを開発	2024/2/16	<p><a href="#">米商務省標準技術局(NIST)</a>は非営利団体である<a href="#">工学生物学研究コンソーシアム(Engineering Biology Research Consortium: EBRC)</a>と2年間の共同研究契約を締結し、核酸合成に関連する人工知能(AI)の潜在的な悪用から守るためのスクリーニングおよび安全性ツールを開発する。</p> <p>NISTは、最近の「<a href="#">安全、確実、信頼できる人工知能に関する大統領令</a>」の中で、AIの進歩を踏まえ、核酸合成に関する基準、ベストプラクティス、実施ガイドを開発することをNISTを含む複数の機関に課している任務を果たすために、この共同研究を開始した。AIに関する大統領令は、NISTに対し、遺伝子物質の合成に関連するAIの潜在的な悪用から守るためのセーフガードを開発するために、産業界やその他の利害関係者と協力する取り組みを開始するよう求めている。NISTはEBRCと協力して、公共安全を確保するためのベストプラクティスとポリシーを特定する。</p>	<p>NATIONAL INSTITUTE OF STANDARDS AND TECHNOLOGY (NIST)</p> <p><a href="https://www.nist.gov/news-events/news/2024/02/nist-nonprofit-research-consortium-develop-safety-tools-synthetic-biology">https://www.nist.gov/news-events/news/2024/02/nist-nonprofit-research-consortium-develop-safety-tools-synthetic-biology</a></p>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (8/19)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
12	インド	インドは Christian Medical College(CMC) のVellore校で血友病A (FVIII欠損症) に対する遺伝子治療の初のヒト臨床試験を実施した、と Jitendra Singh博士が述べた。	2024/2/28	<p>インドは、血友病A (FVIII欠乏症) に対する遺伝子治療のヒト臨床試験を、<a href="#">Christian Medical College (CMC) Vellore校</a>で初めて実施した。これは本日、<a href="#">Vigyan Bhavan</a>で開催された "National Science Day 2024" プログラムにおいて、連邦科学技術大臣 (独立担当) の Jitendra Singh博士が明らかにしたものである。</p> <p>Jitendra Singh博士はさらに、このプログラムは、バイオテクノロジー学科、幹細胞研究センター (<a href="#">InStem Bengaluru</a>の一部門) が、米国<a href="#">Emory University</a>との協力のもと、Velloreの Christian Medical Collegeで支援していることを明らかにした。この試験では、<a href="#">lentiviral vector</a>を用いて患者自身の<a href="#">造血幹細胞</a>にFVIII導入遺伝子を発現させ、特定の分化した血液細胞からFVIIIを発現させるという新しい技術が用いられた。</p> <p>同博士は、このvectorの製造がインドで間もなく開始され、さらなる臨床試験が進められることへの期待を表明した。</p>	<p>Press Information Bureau Government of India</p> <p><a href="https://pib.gov.in/PressReleasePage.aspx?PRID=2009823">https://pib.gov.in/PressReleasePage.aspx?PRID=2009823</a></p>
13	中国	Stem Cell Reportsのハイライト：新しいタイプの幹細胞が関節炎マウスの膝軟骨再生の可能性を含む	2024/3/5	<p><a href="#">変形性関節症(OA)</a>は、関節軟骨の進行性の不可逆的な変性によって引き起こされ、罹患した関節の痛み、腫れ、動かなくなることが生じが、現在の治療法は症状の緩和に重点を置いているが、変性した軟骨を回復させることはできない。</p> <p>それに代わる治療法として期待されているのが、幹細胞から軟骨を再生させる方法である。軟骨再生に適した幹細胞を求めて、中国・<a href="#">四川大学</a>のZhonghan Li教授らは、いわゆる<a href="#">四肢芽前駆細胞</a>に注目し、遺伝学的手法を用いて、発育中のマウス胚から四肢芽前駆細胞を分離し、OAマウスの膝関節に注入したところ、四肢芽前駆細胞は効率よく新しい軟骨を形成したが、<a href="#">肢性前駆細胞</a>はヒトからは容易に入手できなかった。これを克服するため、Li博士らは未熟な幹細胞で、実験室で大量に増殖させることができる<a href="#">ヒト多能性幹細胞(hPSC)</a>に注目した。プロトコルを徹底的に最適化した結果、研究者らは、遺伝子やタンパク質の発現が胚性四肢芽前駆細胞に酷似したhPSC由来の四肢芽前駆細胞を確かに得た。心強いことに、hPSC由来の四肢芽前駆細胞は、胚性前駆細胞と同様に、OAマウスの膝に移植すると新しい軟骨を作った。</p>	<p>INTERNATIONAL SOCIETY FOR STEM CELL RESEARCH (ISSCR)</p> <p><a href="https://www.isscr.org/isscr-news/highlight-from-stem-cell-reports-new-type-of-stem-cells-contains-potential-for-knee-cartilage-regeneration-in-arthritic-mice">https://www.isscr.org/isscr-news/highlight-from-stem-cell-reports-new-type-of-stem-cells-contains-potential-for-knee-cartilage-regeneration-in-arthritic-mice</a></p>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (9/19)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)	
14	イギリス	Braintree Manufacturing Innovation Center が高度な治療薬を製造するための MHRA ライセンスを取得	2024/3/5	<p>細胞・遺伝子治療産業の発展を専門とする独立イノベーション・テクノロジー組織である <a href="#">Cell and Gene Therapy Catapult (CGT Catapult)</a> は本日、<a href="#">Braintree Manufacturing Innovation Centre (Braintree MIC)</a> が、<a href="#">英国医薬品医療製品規制庁 (MHRA)</a> の治験薬製造・輸入業者認可 (<a href="#">MIA(IMP)</a>) と関連する適正製造規範 (<a href="#">GMP</a>) 証明書の取得に成功したことを発表した。</p> <p>CGT Catapult の最高経営責任者である Matthew Durdy 氏は、「より高度な治療法が臨床試験を開始し、使用が承認されるにつれ、英国では、現在経験したことのない規模でこれらの製品を製造するための十分な容量と能力を確保する必要があります。CGT カタパルトの2番目の製造革新センターとして、我々は Braintree MIC が、開発者が製品を製造するための新しい GMP 認証スペースを提供し、CGT カタパルトと協力して製造プロセスを改良・強化することで、この必要性を満たす上で重要な役割を果たすことを期待しています。」と述べた。</p>	Cell and Gene Therapy Catapult (CGT Catapult)	<a href="https://ct.catapult.org.uk/news/braintree-manufacturing-innovation-centre-receives-mhra-licence-to-manufacture-advanced-therapies">https://ct.catapult.org.uk/news/braintree-manufacturing-innovation-centre-receives-mhra-licence-to-manufacture-advanced-therapies</a>
15	アメリカ	ISSCR が FDA の細胞・遺伝子治療製品の力価保証ガイドンス草案にコメントを提出	2024/3/11	ISSCR は食品医薬品局 (FDA) の「細胞・遺伝子治療 (CGT) 製品の力価保証ガイドンス (案)」に対する <a href="#">コメントを提出した</a> 。ISSCR は、製品ライフサイクルの全段階においてヒト CGT 製品の力価を保証するという FDA のコミットメントを高く評価している。FDA のこのガイドンスは、研究とイノベーションの最前線にいる我々のメンバーの仕事を支援するものである。	INTERNATIONAL SOCIETY FOR STEM CELL RESEARCH (ISSCR)	<a href="https://www.isscr.org/isscr-news/the-isscr-provides-comment-s-on-fdas-draft-guidance-for-potency-assurance-for-cellular-and-gene-therapy-products">https://www.isscr.org/isscr-news/the-isscr-provides-comment-s-on-fdas-draft-guidance-for-potency-assurance-for-cellular-and-gene-therapy-products</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（10/19）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
16	カナダ	エボラ出血熱：科学者が新たな複製方法を発見	2024/3/15	<ul style="list-style-type: none"> <li>・カナダとアメリカの科学者が、エボラ出血熱（主にサハラ以南のアフリカの人々に感染し、しばしば死に至るウイルス）が体内で繁殖する新しい方法を発見した。</li> <li>・ウイルスがubiquitinと呼ばれるヒトのタンパク質とどのように相互作用するかを明らかにすることによって、研究者たちはまた、この病気を予防する新薬の潜在的な標的を特定した。</li> <li>・PLOS Biology誌に掲載されたこの研究には、Montréal大学の薬理学者、Rutgers大学の感染症専門医、Texas大学医学部 (Galveston)の微生物学者、免疫学者、病理学者が参加している。</li> <li>・この新しい研究は、エボラウイルスの複製に関わる重要なタンパク質や経路に光を当て、その分子的な複雑さを解明するものである。高度な分子生物学、細胞生物学、生物物理学、計算科学技術を用いて、研究者らは、ウイルス複製に重要な相互作用をするウイルスとヒトのタンパク質の構造的・機能的側面を明らかにすることができた。</li> <li>・この研究の重要な発見のひとつは、ウイルス複製において中心的な役割を果たす多機能ウイルスタンパク質であるVP35について、新たな相互作用がひとつ同定されたことである。この研究により、エボラウイルスと宿主の免疫システムとの複雑な相互作用が明らかになった。</li> </ul>	Université de Montréal <a href="https://nouvelles.umontreal.ca/en/article/2024/03/15/ebola-scientists-reveal-a-new-way-it-replicates/">https://nouvelles.umontreal.ca/en/article/2024/03/15/ebola-scientists-reveal-a-new-way-it-replicates/</a>
17	アメリカ	FDA、異染性白質ジストロフィーの小児に対する初の遺伝子治療を承認	2024/3/18	<p>米国食品医薬品局 (FDA)は、FDAが承認した初の遺伝子治療薬であるLenmeldyを承認した。Lenmeldyは、症候性乳児期後期前、症候性若年期前、または症候性若年期初期の異染性白質ジストロフィー(Metachromatic leukodystrophy: MLD)の小児の治療に適応がある。</p> <p>MLDは、脳と神経系に影響を及ぼす衰弱性のまれな遺伝病で、米国では4万人に1人の割合で発症すると推定されている。これまで、MLDを治療する方法はなく、治療は通常、支持療法と症状管理が中心となっていた。</p>	Food and Drug Administration (FDA) <a href="https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-children-metachromatic-leukodystrophy">https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-children-metachromatic-leukodystrophy</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（11/19）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
18	欧州	欧州委員会、EUにおけるバイオテクノロジーとバイオ製造業の振興に向けた行動を開始	2024/3/20	<p><a href="#">欧州委員会(European Commission (EC))</a>は、EUにおけるバイオテクノロジーとバイオ製造業を促進するための一連の的を絞った行動を提案した。自然とともに未来を築くためのコミュニケーション」は、EUの長期的競争力に関するコミュニケーションに沿って、課題と障壁を特定し、それらに取り組むことを提案している。</p> <p>EUのバイオテクノロジーおよびバイオ製造部門は、研究および技術の市場移転、規制の複雑さ、資金調達へのアクセス、技能、バリューチェーンの障害、知的財産、社会的受容、経済的安全性など、いくつかの課題に直面しており、欧州委員会が一連の行動を打ち出しているのはこのためである。</p>	European Commission (EC) <a href="https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/en/ip_24_1570">https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/en/ip_24_1570</a>
19	欧州	バイオテクノロジーのイノベーションの世界的状況：現状	2024/3/22	<p>バイオ技術革新の世界的な状況を分析すると、2001年から2020年の間に出願された特許のうち、バイオテクノロジー特許が占める割合は約5%であることがわかる。バイオテクノロジー特許の大部分は産業および医療用途に関連するもので、分析対象となったバイオテクノロジー特許の96%以上を占めている。</p> <p>バイオテクノロジー特許の開発は米国がリードしており（2020年にはバイオテクノロジー特許全体の39%）、次いでEUが18%、中国が急速に進んでいる（10%）。</p> <p>この研究結果は、20年以上にわたる各国の特許取得活動を調査することにより、農業、工業、医療における革新的なバイオテクノロジーの開発を調査した新しいJRCLレポートに掲載されている。</p>	European Commission (EC) <a href="https://joint-research-centre.ec.europa.eu/jrc-news-and-updates/global-landscape-biotech-innovation-state-play-2024-03-20_en">https://joint-research-centre.ec.europa.eu/jrc-news-and-updates/global-landscape-biotech-innovation-state-play-2024-03-20_en</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（12/19）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
20	欧州	多剤耐性菌による感染症と闘う新しい抗生物質	2024/3/22	<p><a href="#">欧州医薬品庁(EMA)</a>は、複雑な腹腔内感染症、尿路感染症、院内肺炎、および治療選択肢が限られている特定の種類の細菌（<a href="#">好気性グラム陰性</a>）による感染症を適応症とする<a href="#">Emblaveo (Aztreonam-Avibactam)</a> について、欧州連合（EU）での販売承認を付与するよう勧告した。</p> <p>Emblaveoは、<a href="#">Aztreonam</a>と<a href="#">Avibactam</a>という2つの活性物質の合剤である。AztreonamはすでにEUで単独使用が承認されており、Avibactamは別の抗生物質（<a href="#">Ceftazidime</a>）との併用が承認されている。Aztreonamは「<a href="#">β-ラクタム系</a>」に属する抗生物質である。細菌の表面にあるタンパク質に結合して作用する。これにより細菌が細胞壁を作るのを妨げ、細菌を死滅させる。</p> <p>Avibactamは、<a href="#">β-ラクタマーゼ</a>と呼ばれる細菌の酵素の働きを阻害する。これらの酵素により、細菌はAztreonamなどのβ-ラクタム系抗生物質を分解することができ、抗生物質の作用に対して耐性を持つようになる。これらの酵素を阻害することにより、AvibactamはAztreonam耐性菌に対するAztreonamの活性を回復させる。</p> <p>Emblaveoは静脈内への点滴投与が可能である。</p>	<p>European Medicines Agency (EMA)</p> <p><a href="https://www.ema.europa.eu/en/news/new-antibiotic-fight-infections-caused-multidrug-resistant-bacteria">https://www.ema.europa.eu/en/news/new-antibiotic-fight-infections-caused-multidrug-resistant-bacteria</a></p>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (13/19)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
21	アメリカ	ホワイトハウス、国家バイオ経済委員会の発足によりバイオテクノロジーとバイオ製造業のリーダーシップを推進	2024/3/22	<p>バイオテクノロジーは、生物学の力を利用して新しいサービスや製品を生み出し、米国の経済と労働力を成長させ、私たちの生活と環境の質を向上させる機会を提供する。バイデン-ハリス政権は、国家バイオ経済委員会を発足させ、米国経済におけるバイオテクノロジーの可能性を実現するための重要な一歩を踏み出した。同委員会は、バイオテクノロジーとバイオ製造を通じて、社会の福祉、国家安全保障、持続可能性、経済生産性、競争力を向上させるため、官民セクターのパートナーと協力する。</p> <p>この理事会はバイデン大統領の<a href="#">対アメリカ投資計画の一部</a>であり、<a href="#">インフレ抑制法</a>、<a href="#">超党派のインフラ法</a>、<a href="#">CHIPSおよび科学法</a>を通じて、歴史的な投資を行っている。これらの投資は、米国の製造業を活性化し、国家安全保障を強化し、すべてのアメリカ人のための持続可能な経済を構築するために、重要な技術を活用する現代的な米国の産業戦略の基盤となっている。バイデン-ハリス政権発足以来、民間企業は200億ドルを超えるバイオ製造への投資を発表している。</p> <p>バイオテクノロジーとバイオ製造業がもたらす経済効果は、今後20年間で急速に拡大し、経済のさまざまな分野で数千人規模の高賃金雇用が創出される見通しである。バイデン大統領が2022年にバイオテクノロジーとバイオ製造業を推進する<a href="#">大統領令</a>を発表して以来、バイデン・ハリス政権は大統領の対米投資行動を通じてこのビジョンの実現に取り組んできた。</p>	<p>THE WHITE HOUSE</p> <p><a href="https://www.whitehouse.gov/ostp/news-updates/2024/03/22/the-white-house-advances-biotechnology-and-biomanufacturing-leadership-with-the-launch-of-the-national-bioeconomy-board/">https://www.whitehouse.gov/ostp/news-updates/2024/03/22/the-white-house-advances-biotechnology-and-biomanufacturing-leadership-with-the-launch-of-the-national-bioeconomy-board/</a></p>
22	ベルギー	EUの医療技術評価ガイドラインに関するARMの声明	2024/3/25	<p>EU 医療技術評価 (HTA) 調整グループの「<a href="#">定量的証拠合成のための方法論的ガイドライン: 直接比較と間接比較</a>」の発表は、希少疾患患者と<a href="#">先進的治療薬 (ATMP)</a> 部門にとって落胆するニュースとなっている。</p> <p>このガイドラインは、希少疾患の治療法を評価するための単群試験が倫理的、科学的、実践的な理由から必要な場合があるという<a href="#">ARM (Alliance for Regenerative Medicine)</a>、患者団体、学術センターが提示した説得力のある証拠を無視している。さらに、疾患登録などの実世界のデータに基づく情報があれば、単群試験で臨床上の利点を適切に実証できる。調整グループのアプローチは、多くの ATMP について決定的でない <a href="#">JCA (Joint Clinical Assessment)</a> 報告書をもたらす可能性が高く、患者のアクセスを大幅に遅らせ、EU および国家レベルでの <a href="#">EU HTA 規制</a> の実施を危険にさらすことになる。</p>	<p>Alliance for Regenerative Medicine (ARM)</p> <p><a href="https://alliancerm.org/press-release/arm-statement-on-the-eu-health-technology-assessment-guidelines/">https://alliancerm.org/press-release/arm-statement-on-the-eu-health-technology-assessment-guidelines/</a></p>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（14/19）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
23	韓国	韓国政府、世界トップのバイオ製造拠点目指し、「バイオ製造革新戦略」発表	2024/4/8	<p><a href="#">韓国産業通商資源部</a>は4月1日、「バイオ製造競争力強化会議（第5回輸出懸案戦略会議）」を開催した。会議には<a href="#">サムスンバイオロジクス</a>や<a href="#">セルトリオン</a>などのバイオ医薬品製造企業や、バイオ素材・部品・装置メーカー、<a href="#">韓国バイオ協会</a>などの関係機関が参加した。会議では、産業通商資源部が「<a href="#">バイオ製造革新戦略</a>」を発表し、韓国が世界トップのバイオ医薬品製造拠点になるべく、2030年までに「バイオ医薬品生産額15兆ウォン（約1兆6,500億円、1ウォン＝約0.11円）、輸出額100億ドル」を達成するとして目標を掲げた。</p> <p>目標達成のための戦略として、次の4点を挙げた。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・バイオ医薬品製造で圧倒的優位を確立</li> <li>・世界的なバイオ素材・部品・装置企業を育成</li> <li>・グローバル生産拠点への跳躍基盤を構築</li> <li>・バイオ医薬品の「経済領土」を拡大</li> </ul>	韓国産業通商資源部 <a href="https://www.jetro.go.jp/biznews/2024/04/78dd69a54fabade1.html">https://www.jetro.go.jp/biznews/2024/04/78dd69a54fabade1.html</a>
24	アメリカ	腫瘍プロファイリング研究により、免疫療法と殺がんウイルスの併用が示唆される	2024/4/11	<p>マイアミ大学ミラー校医学部の一部であるシルベスター総合がんセンターが主導する現在進行中の研究で、免疫療法と癌を破壊するウイルスを組み合わせることで、発生率が増加している稀な癌である神経内分泌腫瘍を治療する道が開けるかもしれないというデータが、米国がん研究学会で発表された。</p> <p>シルベスターの血液・腫瘍学主任臨床フェローである筆頭著者Samuel Kareff医学博士は、「ある種のウイルスはがん細胞を破壊して死滅させることができ、複数の臨床研究がその効果を検証している。このような溶媒和(※)ウイルスの医療における役割は、現在のところ限られているが、研究者たちは、その殺腫瘍力を増幅させる方法を理解し始めている。」と述べた。</p> <p>※溶媒和：溶質分子またはイオンをいくつかの溶媒分子がとりまいて一つの集団をつくる現象。</p>	University of Miami Health System (Uhealth) <a href="https://news.miami.edu/combin-ing-immunot-herapy-with-cancer-killing-viruses/">https://news.miami.edu/combin-ing-immunot-herapy-with-cancer-killing-viruses/</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（15/19）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
25	アメリカ	UNC チャペルヒルの研究者は、生きた細胞のように機能する人工細胞を作成	2024/4/23	<p><a href="#">ノースカロライナ大学チャペルヒル校(UNC)</a>の研究者Ronit Freemanとその同僚たちは、『<a href="#">Nature Chemistry</a>』誌に発表した新しい研究の中で、DNAとタンパク質（生命の重要な構成要素）を操作して、体内の細胞と同じように見え、同じように機能する細胞を作り出すために行った手順について述べている。この分野では初となるこの成果は、再生医療、薬物送達システム、診断ツールなどの取り組みに示唆を与えるものである。</p> <p>「この発見により、環境の変化に敏感で動的に動作する織物や組織を工学的に考えることができますようになります」と、UNC 芸術科学大学の応用物理科学部に研究室を置くFreeman氏は述べた。</p>	University of North Carolina at Chapel Hill <a href="https://research.unc.edu/2024/04/23/unc-chapel-hill-researchers-create-artificial-cells-that-act-like-living-cells/">https://research.unc.edu/2024/04/23/unc-chapel-hill-researchers-create-artificial-cells-that-act-like-living-cells/</a>
26	アメリカ	FDAが合併症のない尿路感染症の新しい治療法を承認	2024/4/24	<p>本日、米国食品医薬品局(FDA)は、大腸菌、プロテウス・ミラビリス、および<a href="#">黄色ブドウ球菌</a>の感受性分離株によって引き起こされる単純性<a href="#">尿路感染症 (UTI: urinary tract infection)</a> の成人女性の治療薬として、<a href="#">Pivya (pivmecillinam)</a>錠剤を承認した。</p> <p>「UTIは、女性に影響を与える非常に一般的な症状であり、抗生物質使用の最も頻繁な理由の1つです。FDAは、新しい抗生物質が安全で効果的であることが証明されれば、その利用を促進することに尽力しており、Pivyaは合併症のない尿路感染症に対する追加の治療選択肢を提供することになる。」と、FDA医薬品評価研究センター抗感染症部門ディレクターのPeter Kim医学博士、修士課程博士は述べている。</p>	Food and Drug Administration (FDA) <a href="https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-new-treatment-uncomplicated-urinary-tract-infections">https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-new-treatment-uncomplicated-urinary-tract-infections</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（16/19）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
27	欧州	ヒト用医薬品委員会 (CHMP) の会議ハイライト 2024年4月22日～25日	2024/4/26	<p><a href="#">欧州医薬品庁(EMA)</a>の<a href="#">ヒト医薬品委員会 (CHMP)</a> は、2024年4月の会合で8つの医薬品を承認するよう勧告した。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・CHMPは、<a href="#">第VIII因子</a>の欠乏による稀な遺伝性出血性疾患である血友病A患者における出血の治療および予防を適応症とする<a href="#">Altuvoct*</a> (<a href="#">efanesoctocog alfa</a>) の販売承認を推奨した。</li> <li>・CHMPは、治療歴のある転移性結腸・直腸癌患者を適応症とする<a href="#">Fruzaqla</a> (<a href="#">fruquintinib</a>) について、肯定的意見を採択した。</li> <li>・抵抗性高血圧治療薬<a href="#">Jeraygo</a> (一般名：<a href="#">aprocitentan</a>) について、CHMPは肯定的見解を示した。</li> <li>・<a href="#">Obgemsa</a> (<a href="#">vibegron</a>) は、成人の過活動膀胱症候群の治療薬として肯定的意見を得た。</li> <li>・CHMPは<a href="#">Truqap</a> (<a href="#">capiwasertib</a>) について、1つ以上の特定の変異を有する局所進行性または転移性乳癌の治療薬として肯定的見解を示した。</li> <li>・CHMPは2つの<a href="#">バイオシミラー医薬品</a>に肯定的意見を採択した： <ul style="list-style-type: none"> <li><a href="#">Tofidence</a> (<a href="#">tocilizumab</a>)：関節リウマチ、COVID-19、多関節型若年性特発性関節炎、全身型若年性特発性関節炎の治療薬。</li> <li><a href="#">Wezenla</a> (<a href="#">ustekinumab</a>)：小児尋常性乾癬を含む尋常性乾癬、関節症性乾癬、クローン病の治療薬。</li> </ul> </li> <li>・乳がんおよび脂肪肉腫（脂肪組織に発生する稀な癌）の治療を適応とするジェネリック医薬品である<a href="#">Eribulin Baxter</a> (<a href="#">eribulin</a>) については、肯定的見解が採択された。</li> </ul>	<p>European Medicines Agency (EMA)</p> <p><a href="https://www.ema.europa.eu/en/news/meetings-highlights-committee-medical-products-human-use-chmp-22-25-april-2024">https://www.ema.europa.eu/en/news/meetings-highlights-committee-medical-products-human-use-chmp-22-25-april-2024</a></p>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (17/19)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
28	アメリカ	腎臓がんリスクに関連する50のゲノム領域が新たに同定される	2024/4/26	腎臓癌の遺伝的感受性に関する新たな解析において、国際的な研究チームが、腎臓癌の発症リスクに関連するゲノム上の50の領域を新たに特定した。これらの知見は、腎臓癌の分子基盤の理解を進め、リスクの高い人のスクリーニングに役立て、新たな創薬標的を特定するために利用される可能性がある。この研究は、 <a href="https://www.nih.gov">米国国立衛生研究所 (NIH)</a> の一部である <a href="https://www.nci.nih.gov">国立癌研究所 (NCI)</a> の科学者が主導した。	National Institutes of Health (NIH) <a href="https://www.nih.gov/news-events/news-releases/analysis-identifies-50-new-genomic-regions-associated-kidney-cancer-risk">https://www.nih.gov/news-events/news-releases/analysis-identifies-50-new-genomic-regions-associated-kidney-cancer-risk</a>
29	アメリカ	FDA、動物のゲノム変化へのアプローチを明確化	2024/5/1	本日、 <a href="https://www.fda.gov">米国食品医薬品局(FDA)</a> は、動物の <a href="https://www.fda.gov/oc/genomic-alterations">意図的ゲノム改変(IGA)</a> に関するFDAの規制プロセスを前進させるための重要なステップを踏み出した。更新されたガイダンス文書は、規制の柔軟性、予測可能性、および効率性を高めるために、革新的な動物および獣医学的製品の開発を評価し、支援するためのアプローチをさらに近代化するというFDAのコミットメントを強調するものである。さらに、動物用IGAの規制に関する役割と責任を明確にするため、 <a href="https://www.usda.gov">米国農務省(United States Department of Agriculture : USDA)</a> と覚書を締結した。  FDA獣医学センター所長の Tracey Forfa氏は、「動物バイオテクノロジーの技術革新は、ヒトと動物の健康を向上させるための多大な機会を提供するものであり、FDAとして、科学の進化に対応した最新の規制アプローチを維持する必要があることを認識しています。これらのガイダンス文書の更新は、製品の安全性を確保しつつ、技術革新を促進するという我々のコミットメントを示すものです。これらの技術は、動物の疾病抵抗性、人獣共通感染症伝播の制御、動物飼育の改善、食品生産と品質の向上など、多くの用途と公衆および動物の健康に大きな利益をもたらすことが期待されています。」と述べた。	Food and Drug Administration (FDA) <a href="https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-clarifies-approach-genomic-alterations-animals">https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-clarifies-approach-genomic-alterations-animals</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（18/19）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
30	アメリカ	シルベスターの研究者が脳転移に取り組むナノ粒子を開発	2024/5/6	<p>がんが脳に侵入すると、その後の治療が困難になることがある。これらの二次腫瘍と呼ばれる脳転移は、乳がん、肺がん、結腸がんなどの固形がんから発生することが最も多く、予後不良を伴うことがよくある。</p> <p>マイアミ大学ミラー医科大学付属シルベスター総合がんセンターの研究チームは、脳転移の治療に使用できるナノ粒子を開発した。シルベスター社の技術革新担当アシスタント・ディレクターで、ミラー・スクールの生化学・分子生物学准教授であるShanta Dhar博士率いる研究者たちは、5月6日付の『米国科学アカデミー』誌のProceedingsに発表した論文で、この新しい方法について述べた。研究者らは、ミトコンドリアを標的とした2種類の前駆医薬品を粒子に担持させることで、実験室での研究において、この方法が乳がんや脳腫瘍を縮小させることができることを示した。</p>	University of Miami Health System (Uhealth) <a href="https://news.miami.edu/sylvesters-researchers-develop-nanoparticles-for-brain-metastases/">https://news.miami.edu/sylvesters-researchers-develop-nanoparticles-for-brain-metastases/</a>
31	アメリカ	bluebird bio社、LYFGENIA™ 遺伝子治療のための最初の細胞採取完了を発表	2024/5/6	<p><a href="#">bluebird bio社</a> (Nasdaq: BLUE) は本日、血管閉塞性イベントの既往歴のある患者における鎌状赤血球症治療のための1回限りの遺伝子治療であるLYFGENIA (lovotibeglogene autotemcel) の最初の商業的細胞採取を完了したと発表しました。LYFGENIAは2023年12月にFDAにより承認され、鎌状赤血球症に対する遺伝子治療として最も深く研究され、この分野で最も長い追跡調査を行っている。</p> <p>国立小児病院の血液・骨髄移植部門のチーフであるDavid Jacobsohn医学博士は「私たちは、鎌状赤血球症の患者から商業的に細胞を採取した国内初のセンターであることに興奮しており、この新しいアプローチを用いる先駆者であることを誇りに思っています。鎌状赤血球症を治療するための遺伝子治療が最近承認されたことは、患者ケアにおける非常に大きなブレイクスルーであり、この疾患と闘う子供たちを目の当たりにしている家族にとって明るい兆しです。莫大な負担を強いられる中、遺伝子治療は画期的な治療法であり、より良い未来への希望の光です。」と、述べた。</p>	Bluebird Bio <a href="https://investor.bluebirdbio.com/news-releases/news-release-details/bluebird-bio-announces-completion-first-cell-collection">https://investor.bluebirdbio.com/news-releases/news-release-details/bluebird-bio-announces-completion-first-cell-collection</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（19/19）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
32	中国	上海マテリアメ ディカ研究所など が、上皮成長因 子受容体変異 を標的とした肺 がんの薬剤推奨 プラットフォームを 構築	2024/5/8	最近、 <a href="#">中国科学院上海マテリアメディカ研究所</a> のZhu Weiliang/Xu Zhijianチームは、 <a href="#">上海肺病院</a> のXie Dongチーム、 <a href="#">南京医科大学第一付属病院</a> のDing Yingチームと共同で「 <a href="#">D3EGFR (EGFR 遺伝子変異)</a> を有する肺がんに対する深層学習による薬剤感受性予測と薬剤反応情報検索のための Web server」に関する研究論文を公開した。この研究は、 <a href="#">上皮成長因子受容体 (EGFR) 変異</a> を持つ患者のための臨床投薬データベースとEGFR変異薬剤感受性予測モデルを構築することにより、臨床医が合理的で信頼性の高い個別の治療計画を立てるのに役立つことが期待される。	上海市人民政府 <a href="https://www.shanghai.gov.cn/nw31406/20240508/a086ef72620d4f6d977850603f1ede5f.html">https://www.shanghai.gov.cn/nw31406/20240508/a086ef72620d4f6d977850603f1ede5f.html</a>
33	中国	新しい幹細胞研究が肝移植に示唆を与えるかもしれない	2024/5/10	異なる動物種で培養された肝細胞が完全に機能するかどうかを調べるため、北京にある <a href="#">中国科学院</a> のWei Li博士らは、マウスの <a href="#">胚性幹細胞</a> をラットの初期胚に注入した。この操作された胚から生まれたマウスとラットのキメラは、肝臓を含む体のほとんどの部分にマウスの細胞を含んでいた。キメラ肝臓から濃縮された生きたマウス肝細胞の割合は20.6%に達し、マウス-ラットキメラで培養されたマウス肝細胞は、実験室ベースの検査で正常な外観と成熟した機能を示した。さらに、マウス-ラットキメラのマウス肝細胞は、肝障害マウスに移植することができ、慢性 <a href="#">肝線維症</a> の緩和において正常マウス肝細胞と同様の治療効果を示した。今後、ブタのような大型動物でヒト肝細胞を増殖させる効率的な技術を開発し、これらのヒト肝細胞が完全に機能するかどうかを調査する必要がある。	INTERNATIONAL SOCIETY FOR STEM CELL RESEARCH (ISSCR) <a href="https://www.isscr.org/isscr-news/new-stem-cell-research-may-have-implications-for-liver-transplantation">https://www.isscr.org/isscr-news/new-stem-cell-research-may-have-implications-for-liver-transplantation</a>



## 海外標準化動向調査(12月)

令和6年度エネルギー需給構造高度化基準認証推進事業費(我が国の国際標準化戦略を強化するための体制構築)  
2024年12月1日

一般財団法人日本規格協会

# ピックアップ：再生医療・バイオ(関連ニュース番号5)



トピック

科学者が人間の脳内の遺伝子機能を制御するネットワークをマッピング

推進組織

[NIH](#)(National Institutes of Health：米国国立衛生研究所)

内容

ポイント

- NIH が資金提供した研究で、研究者のコンソーシアムが精神疾患のある人とない人の脳における遺伝子調節ネットワークの最大かつ最先端の多次元マップを作成した。これらのマップは、脳の生物学的経路と細胞機能を調整する多くの調節要素を詳細に示している。

背景

- 遺伝的リスクが統合失調症、心的外傷後ストレス障害、うつ病などの精神疾患にどこで、どのように、いつ寄与するかを解明を進める研究の中で、今回の分析は、これまでの研究結果を拡張し、人間の脳の複数の皮質および皮質下領域を調査した。

概要

- NIHの支援を受けたこの研究では、2,500人以上のドナーの死後脳組織を使用して、脳の発達のさまざまな段階と複数の脳関連疾患にわたる遺伝子調節ネットワークをマッピングした。
- これらの脳領域は、意思決定、記憶、学習、感情、報酬処理、運動制御など、さまざまな重要なプロセスで重要な役割を果たしている。
- NIH の国立精神衛生研究所 ([NIMH](#)) (※)所長のジョシュア A. ゴードン医学博士は、「自由に共有される重要なリソースは、研究者が精神疾患の原因となる可能性のある遺伝子変異を特定し、新しい治療薬の潜在的な分子標的を特定するのに役立ちます。」と述べた。
- この研究は、Science、Science Advances、Scientific Reports に15本の論文として掲載されている。論文では、いくつかの重要なテーマに沿って調査結果が報告されている。
  - ◆ 発達中の脳と成人の脳の両方において、遺伝子変異、調節要素、および発現遺伝子のさまざまな分子形態を細胞レベルの調節ネットワークにリンクする集団レベルの分析
  - ◆ 精神疾患および神経発達障害と診断された個人の前頭前野の単一細胞レベルのマップ
  - ◆ 量的形質遺伝子座（観察可能な形質にリンクされた DNA セグメント）に関連する調節要素と遺伝子変異の機能を検証する実験分析

※国立精神衛生研究所 (NIMH)：精神障害の研究を主導する連邦機関で、NIMH は、世界最大の生物医学研究機関である国立衛生研究所 (NIH) を構成する 27 の研究所およびセンターの1つで、NIH は、米国保健福祉省 ([HHS](#)) の一部である。

出所:米国保健福祉省のWebサイト (<https://www.nih.gov/news-events/news-releases/scientists-map-networks-regulating-gene-function-human-brain>) を元にJSAグループが作成

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (1/13)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)	
1-1	国際	ISO/TC276 (バイオテクノロジー)	2024/10/1	<p>【概要】<a href="#">ISO/TC276 (バイオテクノロジー)</a> では、バイオテクノロジー・プロセスに関する規格開発が行われている。事務局は<a href="#">Deutsches Institut für Normung (DIN)</a> が担当し、Pメンバーは40か国、Oメンバーは15か国である。</p> <p>日本の国内審議団体は、<a href="#">(一社) 再生医療イノベーションフォーラム</a>である。</p> <p><a href="#">2024年10月1日現在、ISO/TC276において発行済みで有効な規格は37</a>であり、直近で発行されている規格は以下の通り。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ISO 8472-1:2024「バイオテクノロジー — 幹細胞データの相互運用性」</li> <li>ISO 24479:2024「バイオテクノロジー — 細胞形態学的分析 — 細胞形態学的特徴を定量化するための細胞形態測定の一般的な要件と考慮事項」</li> </ul> <p><a href="#">2024年10月1日現在、開発中の規格は27</a>であり、その一例を示す。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ISO/AWI 8472-3「バイオテクノロジー — 幹細胞データの相互運用性 — パート 3: データベース構造のスキーマ」</li> <li>ISO/AWI 9491-1「バイオテクノロジー — 個別化医療研究における予測計算モデル — パート 1: モデルの構築、検証、妥当性確認」</li> <li>ISO/DIS 20309「バイオテクノロジー — バイオバンキング — 深海生物材料の要件」</li> <li>ISO/AWI 23494-2「バイオテクノロジー — 生物材料およびデータの起源情報モデル — パート 2: 共通起源モデル」</li> <li>ISO/AWI 23565「バイオテクノロジー — バイオプロセス — 治療用細胞の製造に使用される機器システムの一般的な要件と考慮事項」</li> <li>ISO/AWI 25347「バイオテクノロジー — バイオプロセス — 細胞外小胞の精製に関する一般的な要件」</li> </ul>	International Organization for Standardization (ISO)	<a href="https://www.iso.org/committee/4514241.html">https://www.iso.org/committee/4514241.html</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（2/13）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)	
1-2	国際	ISO/TC 194 (医療機器の生物学的評価)	2024/10/1	<p>【概要】<a href="#">ISO/TC 194 (医療機器の生物学的評価)</a> では、医療用、歯科用材料、および機器の生物学的評価に関する規格開発が行われている。事務局は<a href="#">Deutsches Institut für Normung (DIN)</a> が担当し、Pメンバーは34か国、Oメンバーは18か国である。日本の国内審議団体は、<a href="#">(一社) 日本医療機器テクノロジー協会</a>である。</p> <p><a href="#">2024年10月1日現在、ISO/TC194において発行済みで有効な規格は37</a>である。</p> <p><a href="#">2024年10月1日現在、開発中の規格は16</a>であり、その一例を示す。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ISO/AWI 8250「医療機器の清浄度 - プロセス設計と試験方法」</li> <li>ISO/DIS 10993-2「医療機器の生物学的評価 - パート 2: 動物福祉の要件」</li> <li>ISO/DIS 10993-6「医療機器の生物学的評価 - 第 6 部: 埋め込み後の局所的影響の試験」</li> <li>ISO/WD 18969「医療機器の臨床評価」</li> <li>ISO/AWI TR 24850「医療機器成分の危険情報源」</li> </ul>	International Organization for Standardization (ISO)	<a href="https://www.iso.org/committee/54508.html">https://www.iso.org/committee/54508.html</a>
2	アメリカ	科学者らが視力に影響を与える神経変性疾患の遺伝的基礎を解明	2024/5/15	<p>国立衛生研究所 (NIH) の研究者が率いる科学者チームは、運動機能、視覚、ホルモン調節に影響を及ぼすさまざまな症状を網羅する<a href="#">PNPLA6</a>遺伝子に関連する神経変性疾患の根底にある複雑な分子メカニズムを解明した。BRAIN誌に掲載されたこの研究により、PNPLA6 関連疾患に対する臨床、遺伝子、分子レベルでのより深い理解が得られ、カスタマイズされた診断および治療アプローチへの道が開かれる。</p> <p>PNPLA6関連疾患は、ニューロン内の脂質代謝と膜安定性の調節に関与する酵素 (<a href="#">神経障害標的エステラーゼ (NTE)</a> として知られる) の機能を損なう変異により発生する。NTE 活性の阻害は、<a href="#">有機リン誘発性遅発性ニューロパチー</a>、<a href="#">遺伝性痙性対麻痺</a>、<a href="#">プーシェ・ノイハイザー症候群</a>、<a href="#">オリバー・マクファーレン症候群</a>などの神経疾患に関連している。</p>	National Institutes of Health (NIH)	<a href="https://www.nih.gov/news-events/news-releases/scientists-unravel-genetic-basis-neurodegenerative-disorders-affect-vision">https://www.nih.gov/news-events/news-releases/scientists-unravel-genetic-basis-neurodegenerative-disorders-affect-vision</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (3/13)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
3	欧州	欧州医薬品ネットワークがWHOの指定機関に指定	2024/5/20	<p><a href="#">欧州医薬品規制ネットワーク (EMRN)</a> は、世界保健機関 (WHO) によって <a href="#">WHO Listed Authority (WLA)</a> に指定されている。これは、欧州委員会、EMA、および欧州経済領域加盟国の 30 の国家当局から構成されるネットワークが、国際的な規制基準、ガイドライン、および慣行を満たしていると認められていることを意味する。</p> <p>EMAの事務局長エマー・クック氏は「欧州連合 (EU) 医薬品ネットワークが、最高の規制基準で運営されている世界的基準機関としてWHOに正式に認められたことを嬉しく思います。この認定は、EMAとEUがすでに行っている、世界的に医薬品依存の実践を促進するための重要な取り組みに正式な基盤を提供します。私たちは、入手可能な医薬品が安全で、有効で、高品質であることを保証する取り組みを継続し、WHOや世界中の他の規制当局と協力して世界の公衆衛生の向上に取り組んでいくことを楽しみにしています。」と述べた。</p>	<a href="#">European Medicines Agency (EMA)</a> <a href="https://www.ema.europa.eu/en/news/european-medicines-network-designated-who-listed-authority">https://www.ema.europa.eu/en/news/european-medicines-network-designated-who-listed-authority</a>
4	アメリカ	新しいポッドキャスト・エピソードオリゴの独占はない発達中の大脳皮質におけるオリゴデンドロサイト前駆細胞	2024/5/22	<p><a href="#">髄鞘形成</a>は、哺乳類の脳発達における最後の出来事のひとつであり、ヒトでは成人期まで続くと考えられている。成人期においても、進行中の低レベルの髄鞘形成は、神経の<a href="#">ホメオスタシス</a>や、学習や記憶などのダイナミックなプロセスにとって不可欠である。髄鞘形成の欠損は、<a href="#">白質</a>に異常をきたし、神経細胞機能を崩壊させるが、<a href="#">CNS</a>のさまざまな疾患において観察される。このような障害を緩和するための一つの戦略は、上流の前駆体である<a href="#">オリゴデンドロサイト前駆細胞 (OPC)</a> から<a href="#">ミエリン</a>を形成するオリゴデンドロサイトの生成を促進することである。しかしながら、これらのOPCが、成人の中枢神経系における傷害や疾患において、再ミエリン化に寄与するかどうかは、依然として不明である。成人の<a href="#">乏突起髓形成</a>と再髄鞘化をよりよく理解するために、本日のゲストは、生後早期の髄鞘形成過程におけるマウスOPCと、成人の傷害によって誘導された成人の再髄鞘形成過程におけるOPCを特徴付け、比較した。この発見は、ミエリン修復を目的とした治療的介入にとって重要な意味を持つ。</p>	<a href="#">INTERNATIONAL SOCIETY FOR STEM CELL RESEARCH (ISSCR)</a> <a href="https://www.isscr.org/isscr-news/podcast-episode-no-oglio-monopoly">https://www.isscr.org/isscr-news/podcast-episode-no-oglio-monopoly</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (4/13)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
5	アメリカ	科学者が人間の脳内の遺伝子機能を制御するネットワークをマッピング	2024/5/25	<p>研究者のコンソーシアムが、精神疾患のある人とない人の脳における遺伝子調節ネットワークの最大かつ最先端の多次元マップを作成した。これらのマップには、脳の生物学的経路と細胞機能を調整する多くの調節要素が詳細に示されている。国立衛生研究所 (NIH) の支援を受けたこの研究では、2,500 人以上のドナーの死後脳組織を使用して、脳の発達のさまざまな段階と複数の脳関連疾患にわたる遺伝子調節ネットワークをマッピングした。</p> <p>NIH の国立精神衛生研究所 (NIMH) 所長のジョシュア A. ゴードン医学博士は「これらの画期的な発見は、遺伝的リスクが統合失調症、心的外傷後ストレス障害、うつ病などの精神疾患にどこで、どのように、いつ寄与するかについての理解を深めるものです。さらに、自由に共有される重要なリソースは、研究者が精神疾患の原因となる可能性のある遺伝子変異を正確に特定し、新しい治療薬の潜在的な分子標的を特定するのに役立ちます。」と述べた。</p>	National Institutes of Health (NIH) <a href="https://www.nih.gov/news-events/news-releases/scientists-map-networks-regulating-gene-function-human-brain">https://www.nih.gov/news-events/news-releases/scientists-map-networks-regulating-gene-function-human-brain</a>
6	アメリカ	FDA、2つの希少疾患に対する初の互換性のあるバイオシミラーを承認	2024/5/28	<p><a href="#">米国食品医薬品局(FDA: Food and Drug Administration)</a>は、特定の希少疾患の治療薬として、<a href="#">Food and Drug Administration (FDA)</a> <a href="#">Soliris (エクリズマブ)</a> と互換性のある初の <a href="#">バイオシミラー</a> として <a href="#">Bkemv (エクリズマブ-aeeb)</a> を承認した。</p> <p>Bkemv は、現在 Soliris にも承認されている以下の治療適応症に対して承認されている。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ <a href="#">発作性夜間血色素尿症 (PNH)</a> 患者の溶血を軽減する治療。</li> <li>・ <a href="#">補体介在性血栓性微小血管症</a> を抑制するための <a href="#">非典型溶血性尿毒症症候群 (aHUS)</a> 患者の治療。</li> </ul> <p>FDAの医薬品評価研究センターの生物製剤およびバイオシミラー局長サラ・イム氏は、「希少疾患の多くは生命を脅かすものであり、その多くは治療法がありません。FDAは、現在治療の選択肢が限られている希少疾患の患者へのアクセスを拡大できる、安全で効果的な互換性のあるバイオシミラー治療の開発を促進することに尽力しています。」と述べた。</p>	<a href="https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-interchangeable-biosimilar-two-rare-diseases">https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-interchangeable-biosimilar-two-rare-diseases</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (5/13)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
7	欧州	血友病Bに対する新たな遺伝子治療	2024/5/31	<p>EMAは、<a href="#">第IX因子阻害剤</a>（第IX因子補充薬に対して免疫系が産生する自己抗体）を持たず、変異型<a href="#">アデノ随伴ウイルス</a>血清型Rh74（AAVRh74var）に対する抗体が検出されない成人の重度および中等度血友病Bの治療薬として、<a href="#">Durveqtix（フィダナコゲン エラパルボベック）</a>の欧州連合（EU）での条件付き販売承認を付与することを推奨した。</p> <p>血友病 B は、まれな遺伝性の出血性疾患である。この疾患は、出血を止め傷口を塞ぐために血栓を作るのに必要なタンパク質である凝固因子 IX の欠乏によって引き起こされる。このタンパク質がないと、血友病 B の患者は簡単にあざができ、出血の頻度と期間が長くなります。関節、筋肉、脳を含む内臓の出血など、深刻な合併症を引き起こす可能性がある。現在承認されている血友病Bの薬のほとんどは、出血を予防または治療するために頻繁かつ生涯にわたる静脈内注入を必要とする。患者は、持続的な出血予防を提供し、注入の頻度を減らし、生活の質を向上させる新たな治療法をさらに必要としている。Durveqtix は、体内で因子 IX を自ら生成し、出血を予防および抑制することを目的として、1 回の注入で投与される遺伝子治療である。</p>	<p>European Medicines Agency (EMA)</p> <p><a href="https://www.ema.europa.eu/en/news/new-gene-therapy-treatment-haemophilia-b">https://www.ema.europa.eu/en/news/new-gene-therapy-treatment-haemophilia-b</a></p>
8	アメリカ/韓国	ARMとCARM、米国と韓国における細胞・遺伝子治療の規制調和を推進するための戦略的提携を発表	2024/6/4	<p><a href="#">再生医療連合（ARM）</a>と韓国の<a href="#">先端再生医療協議会（CARM）</a>は、<a href="#">細胞・遺伝子治療（CGT）</a>に関する海外交流の拡大と規制の調和を図る覚書（MOU）を締結した。この画期的なパートナーシップは、米国と韓国の規制枠組みの整合化と、この分野の動向の共同監視と報告に向けた取り組みを強化することを目的としている。これは、COVID-19パンデミックの間および直後に一時停止されていた両組織間の以前のパートナーシップを更新し、活性化させるものである。</p> <p>合意には以下の内容が含まれる。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>各組織のそれぞれの地域における動向を報告する。</li> <li>各会員企業へのパートナーシップサポートの提供</li> <li>規制の調和のための国際フォーラムへの参加。</li> <li>国家標準化機関を通じて再生医療産業の標準化に協力する。</li> <li>両国のCGT業界の現状調査に関する情報交換と共同出版の可能性の検討。</li> </ul>	<p>Alliance for Regenerative Medicine (ARM)</p> <p><a href="https://alliancerm.org/press-release/arm-and-carm-announce-strategic-partnership/">https://alliancerm.org/press-release/arm-and-carm-announce-strategic-partnership/</a></p>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（6/13）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)	
9	アメリカ	FDA、デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者に対する遺伝子治療の承認を拡大	2024/6/20	<p>米国食品医薬品局は、<a href="#">デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）</a> 遺伝子の変異が確認された4歳以上の歩行可能および歩行不可能なDMD患者に対するDMD治療用遺伝子療法である<a href="#">Elevidys</a>（デランディ ストロゲン モキセパルボベック-ロクル）の承認範囲を拡大した。</p> <p>Elevidysは、DMD遺伝子の変異が確認されたDMD患者で、歩行可能な4～5歳の患者を対象に、迅速承認の対象となっていた。本日の措置により、Elevidysは、DMD遺伝子の変異が確認されたDMD患者で、歩行可能な4歳以上の患者に対して従来の承認を受け、DMD遺伝子の変異が確認されたDMD患者で、歩行不可能な4歳以上の患者に対しても迅速承認を受けた。この決定を下すにあたり、FDAは、製品に関連する潜在的リスク、生命を脅かす疾患の性質および衰弱性、緊急に満たされていない医療ニーズなど、証拠の全体を考慮した。</p>	Food and Drug Administration (FDA)	<a href="https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-expands-approval-gene-therapy-patients-duchenne-muscular-dystrophy">https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-expands-approval-gene-therapy-patients-duchenne-muscular-dystrophy</a>
10	アメリカ	科学者らがALSにおける脳細胞喪失に関連する遺伝子を特定	2024/6/21	<p>小規模な研究で、研究者らは、一連の遺伝子が<a href="#">孤発性筋萎縮性側索硬化症（ALS）</a>のニューロン死を引き起こす仕組みを発見した。<a href="#">ネイチャー・エイジング誌に掲載されたこの研究結果</a>は、ALSの根本原因に関する洞察を提供し、病気の進行を阻止する新しい方法につながる可能性がある。この研究は、国立衛生研究所 (NIH) の資金提供を受けて行われた。</p> <p>ALSは、筋肉を制御する脳と脊髄の神経細胞である運動ニューロンを攻撃する進行性の神経疾患で、筋力低下、麻痺、そして最終的には死に至る。ALSのほとんどの症例は散発性で、家族歴やその他の明らかな危険因子のない人に発生する。</p> <p>研究者らは、ALS患者および健康なドナーの死後脳組織から採取した何千ものニューロンの遺伝子プロファイルを分析することで、ALSおよび<a href="#">前頭側頭型認知症（FTD）</a>のリスク遺伝子のレベルが高いことを特定した。これらの遺伝子は、マーカーTHY1を発現する運動ニューロン的一种である<a href="#">ベッツ細胞</a>で特に顕著であった。ALS患者では、これが他のニューロンの破壊と関連しており、タンパク質の構築、輸送、分解の能力を妨げている。<a href="#">SOD1</a>、<a href="#">KIF5A</a>、<a href="#">CHCHD10</a>などの遺伝子は、<a href="#">ALS/FTD</a>に関連する最も一般的な遺伝子である。</p>	National Institutes of Health (NIH)	<a href="https://www.nih.gov/news-events/news-releases/scientists-identify-genes-linked-brain-cell-loss-als">https://www.nih.gov/news-events/news-releases/scientists-identify-genes-linked-brain-cell-loss-als</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (7/13)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
11	アメリカ	FDA ガイダンス、特定の臨床研究に必要な多様性行動計画に関する新たな詳細を提供	2024/6/26	<p>米国食品医薬品局(FDA)は、医薬品スポンサーが特定の臨床試験を支援するために多様性行動計画を提出するのを支援するため、「<a href="#">臨床試験における過小評価された集団の参加者の登録を改善するための多様性行動計画</a>」というガイダンス草案を発行した。多様性行動計画は、歴史的に過小評価された集団の参加者の臨床試験への登録を増やし、医薬品を使用する可能性のある患者についてFDAが受け取るデータを改善することを目的としている。</p> <p>臨床試験における多様性を高めることは、幅広い患者集団にわたって結果の適用範囲を広げるだけでなく、研究中の疾患や医薬品に対する理解を深め、患者の間で医薬品を安全かつ効果的に使用するための貴重な洞察を提供する。</p>	Food and Drug Administration (FDA) <a href="https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-guidance-provides-new-details-diversity-action-plans-required-certain-clinical-studies">https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-guidance-provides-new-details-diversity-action-plans-required-certain-clinical-studies</a>
12	アメリカ	転移性固形腫瘍患者の一部に免疫療法のアプローチが効果がある可能性を示す	2024/7/11	<p>小規模臨床試験の初期結果から、新しい細胞免疫療法のアプローチが<a href="#">転移性固形腫瘍</a>の治療に有効である可能性が示唆された。この試験では、国立衛生研究所 (NIH) の研究者らが、各患者の正常な白血球 (リンパ球) を遺伝子操作して、特定のがん細胞を認識して攻撃する受容体を生成した。これらの初期結果は、転移性大腸がん患者で、すでに複数の治療を受けていた患者から得られたものである。パーソナライズされた免疫療法により、一部の患者の腫瘍が縮小した。(リンクは外部です)そして、腫瘍の再発を最大7か月間抑制することができた。この研究結果は、2024年7月11日にネイチャー・メディシン誌に掲載された。</p> <p>細胞免疫療法の1つである<a href="#">キメラ抗原受容体 (CAR) T 細胞療法</a>は、すでに一部の血液がんの効果があることが示されており、<a href="#">腫瘍浸潤リンパ球 (TIL) 療法</a>と呼ばれる別の療法は転移性<a href="#">黒色腫</a>に効果があることが証明されている。しかし、NCI がん研究センター (CCR) のスティーブン A. ローゼンバーグ医学博士によると、これまでのところ、他の固形がんにも有効な細胞療法は見つかっていない。ローゼンバーグ医学博士は、CCR 外科部門のマリア パークハースト博士とともにこの研究を共同で主導した。</p>	National Institutes of Health (NIH) <a href="https://www.nih.gov/news-events/news-releases/immunotherapy-approach-shows-potential-some-people-metastatic-solid-tumors">https://www.nih.gov/news-events/news-releases/immunotherapy-approach-shows-potential-some-people-metastatic-solid-tumors</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (8/13)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)	
13	アメリカ	NIHの研究者が変性眼疾患の潜在的な治療ターゲットを発見	2024/7/26	<p>国立衛生研究所 (NIH) の研究者らは、目の網膜の細胞が老廃物を除去するプロセスにおける機能障害の原因を発見した。NIH とボルチモアのジョンズ ホプキンス大学の科学者による報告書では、<a href="#">AKT2</a> と呼ばれる因子の変化が<a href="#">リソソーム</a>と呼ばれる細胞小器官の機能にどのように影響し、網膜に<a href="#">ドルーゼン</a>と呼ばれる沈着物を生成するのかが詳細に説明されている。ドルーゼンは、ドライ型加齢性黄斑変性症 (AMD) の顕著な兆候である。研究者によると、この発見は、ドルーゼンの形成が AKT2 関連のリソソーム機能不全の下流効果であることを示唆しており、治療介入の新たなターゲットを示している。</p> <p>リソソームは細胞のゴミ処理場のようなもので、目の光を感じる網膜を維持する上で重要な役割を果たしている。<a href="#">網膜色素上皮 (RPE)</a> を構成する主要な細胞は、網膜の活発に活動するニューロンに酸素と栄養分を供給する。また、リソソームを通じて網膜の老廃物を収集し、処理する。細胞の老廃物処理能力が低下すると、ドルーゼンが形成される。AMD が進行するにつれて、ドルーゼンの数と体積が増加する。しかし、徹底的な研究にもかかわらず、ドルーゼンの形成は依然として大部分が謎に包まれている。</p>	National Institutes of Health (NIH)	<a href="https://www.nih.gov/news-events/news-releases/nih-researchers-discover-potential-therapeutic-target-degenerative-eye-disease">https://www.nih.gov/news-events/news-releases/nih-researchers-discover-potential-therapeutic-target-degenerative-eye-disease</a>
14	アメリカ	FDA、転移性滑膜肉腫の成人患者を治療する初の遺伝子治療を承認	2024/8/2	<p>米国食品医薬品局は、以前に化学療法を受け、<a href="#">HLA</a>抗原A*02:01P、-A*02:02P、-A*02:03P、または-A*02:06P陽性であり、FDA認可の<a href="#">コンパニオン診断装置</a>によって腫瘍が<a href="#">MAGE-A4抗原</a>を発現していると判定された、切除不能または転移性<a href="#">滑膜肉腫</a>の成人の治療を適応とする遺伝子治療薬 <a href="#">Tecelra</a> (アフアミトレスゲン オートロイセル) を承認した。</p> <p>滑膜肉腫は、悪性細胞が体の軟部組織で増殖して腫瘍を形成する、まれなタイプの癌である。このタイプの癌は体の多くの部位で発生する可能性があるが、最も一般的には四肢で発生する。癌細胞は体の他の部位に広がることもある。滑膜肉腫は、米国で毎年約 1,000 人を襲い、30 代以下の成人男性に最も多く発生する。治療には通常、腫瘍を除去する手術が含まれるが、腫瘍が大きい場合、除去後に再発した場合、または元の場所を超えて広がっている場合は、放射線療法や化学療法も含まれる場合がある。</p>	Food and Drug Administration (FDA)	<a href="https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-treat-adults-metastatic-synovial-sarcoma">https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-treat-adults-metastatic-synovial-sarcoma</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (9/13)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
15	アメリカ	ISSCRは、細胞ベースの医療製品に使用するために拡大されたヒト同種細胞の安全性試験に関するFDAのガイダンス草案に回答する。	2024/8/6	2024年7月29日、ISSCRは食品医薬品局（FDA）の「細胞ベースの医療製品に使用するために増設されたヒト同種細胞の安全性試験に関するガイダンス（案）」に対する <a href="#">コメントを提出した</a> 。ISSCRは、適切な細胞安全性試験を決定するための推奨事項を共有したいというFDAの意向を支持し、FDAのイニシアチブを補完するコメントを提出する。具体的には、ISSCRはゲノム検査要件の明確化を要求し、シーケンシングの深さと細胞遺伝学的検査に関するガイダンスの調整を提案する。さらに、ISSCRは包括的な安全性評価を確実にするために、シーケンシングと細胞遺伝学的検査の両方を用いることを推奨する。	INTERNATIONAL SOCIETY FOR STEM CELL RESEARCH (ISSCR) <a href="https://www.isscr.org/isscr-news/the-isscr-responds-to-fdas-draft-guidance-on-safety-testing-of-human-allogeneic-cells-expanded-for-use-in-cell-based-medical-products">https://www.isscr.org/isscr-news/the-isscr-responds-to-fdas-draft-guidance-on-safety-testing-of-human-allogeneic-cells-expanded-for-use-in-cell-based-medical-products</a>
16	アメリカ	FDAの販売承認により梅毒診断の第一段階へのアクセスが向上	2024/8/16	<p>米国食品医薬品局は、<a href="#">NOWDiagnostics社</a>に、初めて知る梅毒検査の販売許可を与えた。これは、ヒトの血液中の<a href="#">梅毒トレポネーマ抗体</a>を検出する、初めての家庭用市販検査である。このタイプの検査結果だけでは、梅毒感染を診断するには不十分であり、梅毒の診断を確認するために追加の検査を行う必要がある。</p> <p>米国疾病予防管理センターによると、米国における梅毒の症例報告数は2018年から2022年の間に80%増加し（115,000件から207,000件以上）、数十年にわたる増加傾向が続いている。今回の措置以前は、梅毒感染の可能性についてユーザーに知らせる市販の検査はなかった。この検査は、処方箋なしで自宅で約 15 分で結果を提供し、個人が医療提供者と次のステップをより適切に判断するために使用できる。</p>	Food and Drug Administration (FDA) <a href="https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-marketing-authorization-enables-increased-access-first-step-syphilis-diagnosis">https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-marketing-authorization-enables-increased-access-first-step-syphilis-diagnosis</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（10/13）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
17	アメリカ	FDA、現在流行している変異株に対する防御力を高めるため、改良されたmRNA COVID-19ワクチンを承認・認可	2024/8/22	<p>米国食品医薬品局は、<a href="#">SARS-CoV-2のオミクロン変異株KP.2</a>に対応する単価（単一）成分を含むように更新された<a href="#">mRNA COVID-19ワクチン</a>（2024～2025年処方）を承認し、<a href="#">緊急使用許可（EUA）</a>を付与した。mRNA COVID-19ワクチンは、現在流行している変異株をより厳密に標的とし、入院や死亡を含むCOVID-19の深刻な結果に対するより優れた保護を提供するために、この処方でも更新された。今回の措置は、ModernaTX Inc.とPfizer Inc.が製造する更新されたmRNA COVID-19ワクチンに関連している。</p> <p>FDAは6月初旬、認可および承認されたCOVID-19ワクチンの製造業者に対し、COVID-19ワクチン（2024～2025年処方）は単価<a href="#">JN.1ワクチン</a>であるべきであると勧告した。その後、SARS-CoV-2のさらなる進化とCOVID-19症例の増加に基づき、FDAは、可能であればCOVID-19ワクチン（2024～2025年処方）の推奨JN.1系統はKP.2株であると決定し、製造業者に勧告した。</p>	Food and Drug Administration (FDA) <a href="https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-and-authorizes-updated-mrna-covid-19-vaccines-better-protect-against-currently">https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-and-authorizes-updated-mrna-covid-19-vaccines-better-protect-against-currently</a>
18	アメリカ	血液や唾液から生物学的年齢を読み取る？それほど単純ではない	2024/8/23	<p>人は遺伝的、環境的要因によって生物学的に異なる速度で年をとるため、年代と生物学的年齢は必ずしも一致しない。近年、この新しい科学への関心が高まるにつれ、消費者が直接測定できる生物学的年齢検査がますます利用しやすくなり、人気を集めている。これらの検査の多くは、患者の血液や唾液中のDNAの明確な変化を調べることによって行われる。このような変化は、細胞が加齢するにつれて多くなり、“<a href="#">エピジェネティック・クロック</a>”として知られる現象である。しかし、重要なことは、エピジェネティック・クロックが人体内の約200種類の細胞で同じようなペースで進行しているかどうかは現在のところ不明だということである。</p> <p><a href="#">ハーバード大学医学部</a>と <a href="#">マサチューセッツ総合病院</a>のコンラート・ホッヘドリンガー氏、レベッカ・ゴレロフ氏らによる最近の研究は、『<a href="#">Stem Cell Reports</a>』誌に掲載され、この疑問に光を当てることを目的としている。ある組織の単一細胞のDNA変化を、すべての細胞が混在している状態ではなく、個別に測定したところ、骨格筋、血液、気管の幹細胞は、成熟した細胞よりもエピジェネティック年齢が低いことが明らかになった。皮膚や腸などの他の組織の幹細胞は、成熟した細胞と同じエピジェネティック年齢であったからである。</p>	INTERNATIONAL SOCIETY FOR STEM CELL RESEARCH (ISSCR) <a href="https://www.isscr.org/isscr-news/reading-your-biological-age-in-your-blood-or-saliva-its-not-as-simple-as-that">https://www.isscr.org/isscr-news/reading-your-biological-age-in-your-blood-or-saliva-its-not-as-simple-as-that</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (11/13)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
19	アメリカ	鎌状赤血球症に対する「低強度」血液幹細胞移植は肺の健康に安全と思われる	2024/8/27	<p>標準的な幹細胞移植よりもマイルドな前処置剤を使用する、いわゆる低強度血液幹細胞移植は、肺にダメージを与えないようで、<a href="#">鎌状赤血球症 (SCD)</a> 患者の一部では肺機能の改善に役立つ可能性があることが、国立衛生研究所 (NIH) でこの処置を受けた成人を対象にした3年間の研究で明らかになった。</p> <p>肺組織の損傷と肺機能の悪化は、鎌状赤血球症という血液疾患の患者にとって、大きな合併症であり、主な死亡原因となっている。米国胸部学会誌に発表されたこの新しい研究は、多くの成人にとって忍容性が高い傾向にある、それほど重篤ではないタイプの移植が、それ自体で肺にさらなる損傷を引き起こしたり、悪化させたりするのかどうかの答えを出すのに役立つ。</p>	National Institutes of Health (NIH) <a href="https://www.nih.gov/news-events/news-releases/low-intensity-blood-stem-cell-transplants-sickle-cell-appear-safe-lung-health">https://www.nih.gov/news-events/news-releases/low-intensity-blood-stem-cell-transplants-sickle-cell-appear-safe-lung-health</a>
20	アメリカ	精神疾患の遺伝的ルーツを大規模に解読することを目指す科学者たち	2024/9/13	<p>統合失調症、<a href="#">双極性障害</a>、自閉症、うつ病を含む神経発達・精神疾患 (NPD) は、個人、その家族、社会全体にとって有害であり、多くの場合、いまだに有効な治療法がない。特定の遺伝子の遺伝子変異がNPD発症の可能性を高めることは次第に明らかになりつつあり、現在までに数百の“リスク遺伝子”が同定されているが、NPDに関連するその役割は謎のままである。</p> <p>この真相を究明するため、米国立精神衛生研究所 (NIMH) は、2023年に<a href="#">SSPsyGene (sspsygene.ucsc.edu)</a> と呼ばれるコンソーシアムを発足させ、米国の有名大学の研究チームを結集し、250の高リスク遺伝子に焦点を当ててNPDの遺伝的起源を明らかにすることを共同目標としている。貢献者の中には、<a href="#">エンデバー・ヘルス</a> (旧ノースショア大学ヘルスシステム) と<a href="#">シカゴ大学</a> (米国) のJubao Duan氏と<a href="#">ラトガース大学</a> (米国) のZhiping Pang氏のチームがあり、彼らはヒト幹細胞でNPDリスク遺伝子を変異させる方法を開発した。改変された細胞では、選択されたNPDリスク遺伝子が変異し、機能的タンパク質を作らなくなる。変異させた幹細胞はその後、神経細胞やその他の脳細胞に変化させることができ、ヒトの脳を簡略化した実験室版でリスク遺伝子変異の結果をモデル化することができる。</p>	INTERNATIONAL SOCIETY FOR STEM CELL RESEARCH (ISSCR) <a href="https://www.isscr.org/isscr-news/scientists-aim-to-decode-the-genetic-roots-of-mental-illness-on-a-large-scale">https://www.isscr.org/isscr-news/scientists-aim-to-decode-the-genetic-roots-of-mental-illness-on-a-large-scale</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細（12/13）

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
21	アメリカ	FDA、ニーマン・ピック病C型に対する初の治療法を承認	2024/9/20	<p>米国食品医薬品局は、<a href="#">ニーマン・ピック病C型 (NPC)</a> の治療のための経口薬である<a href="#">ミプリファ (アリモクロモル)</a> を承認した。ミプリファは、酵素阻害剤<a href="#">ミグルスタット</a>との併用で、成人および2歳以上の小児のNPCに関連する神経症状の治療薬として承認されている。ミプリファは、FDAがNPCの治療薬として承認した最初の薬剤である。</p> <p>NPC は、進行性の神経症状と臓器機能障害を引き起こす稀な遺伝病である。NPC1 または NPC2 遺伝子の変異が原因で、細胞内のコレステロールやその他の脂質の必要な輸送に影響を及ぼす。その結果、これらの細胞は正常に機能しなくなり、最終的に臓器障害を引き起こす。平均すると、この壊滅的な病気に罹患した人の寿命はわずか13年程度である。</p>	Food and Drug Administration (FDA) <a href="https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-treatment-niemann-pick-disease-type-c">https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-treatment-niemann-pick-disease-type-c</a>
22	アメリカ	科学者らが稀な遺伝性眼疾患の原因遺伝子を発見	2024/9/26	<p>国立衛生研究所 (NIH) の科学者らは、一部の<a href="#">遺伝性網膜疾患 (IRD)</a> の原因遺伝子を特定した。IRDは、目の光を感じる網膜にダメージを与え、視力を脅かす疾患群である。IRDは世界中で200万人以上が罹患しているが、個々の疾患はまれであり、十分な数の患者を特定して研究し、治療法を開発するための臨床試験を実施するのは困難である。研究結果は、<a href="#">JAMA Ophthalmology誌</a>に掲載された。</p> <p>血縁関係のない6人の参加者を対象とした小規模な研究で、研究者らは遺伝子<a href="#">UBAP1L</a>を、読書などの中心視力に使われる目の一部である黄斑に影響を及ぼす問題 (<a href="#">黄斑症</a>)、色覚を可能にする錐体細胞に影響を及ぼす問題 (<a href="#">錐体ジストロフィー</a>)、夜間視力を可能にする桿体細胞にも影響を及ぼす疾患 (<a href="#">錐体桿体ジストロフィー</a>) など、さまざまな網膜ジストロフィーの形態と関連付けた。患者らは成人期初期に網膜ジストロフィーの症状が現れ、成人期後期までに重度の視力喪失に進行した。</p>	National Institutes of Health (NIH) <a href="https://www.nih.gov/news-events/news-releases/scientists-discover-gene-responsible-rare-inherited-eye-disease">https://www.nih.gov/news-events/news-releases/scientists-discover-gene-responsible-rare-inherited-eye-disease</a>

## 【再生医療・バイオ】関連記事詳細 (13/13)

番号	地域・国	情報記事・タイトル	発行日	要旨	情報源 (機関・団体名/URL)
23	アメリカ	HIV感染者とドナー間の腎臓移植は安全である	2024/10/16	<p>米国の多施設観察研究において、HIV感染死体ドナー（HIV D+）からHIV感染レシピエント（HIV R+）への腎臓移植は安全であり、HIV非感染ドナー（HIV D-）からの腎臓移植と同等であることが確認された。観察された臨床結果は小規模パイロット研究と一致していたが、国立衛生研究所（NIH）が資金提供したこの臨床試験は、統計的に非劣性を実証した初めての試験であり、これは研究対象のアプローチが標準的な臨床診療と同等に優れていることを意味する。</p> <p>腎臓移植は、HIV感染者や末期腎疾患患者に延命効果をもたらすが、臓器不足によりアクセスが制限されている。さらに、HIV感染者は臓器待機リストに載っている間に死亡するリスクが高く、HIV非感染者よりも移植を受けにくい状況にある。これらの不均衡に対処するために、2015年にHIV臓器政策平等法（HOPE）が施行され、HIV感染者のドナーとレシピエントの間での移植が合法化された。現在、HOPE法では、この移植を研究環境に限定し、結果を慎重に評価している。結果には、移植後の生存、移植後の腎機能（移植片生存とも呼ばれる）、および腎拒絶反応が含まれる。研究では、ドナーから遺伝的に異なる2つ目のHIV株を取得し、それがレシピエントのHIV疾患に影響を及ぼす可能性があるなど、この移植に特有の潜在的リスクも評価している。</p>	National Institutes of Health (NIH) <a href="https://www.nih.gov/news-events/news-releases/kidney-transplantation-between-donors-recipient-hiv-safe">https://www.nih.gov/news-events/news-releases/kidney-transplantation-between-donors-recipient-hiv-safe</a>