

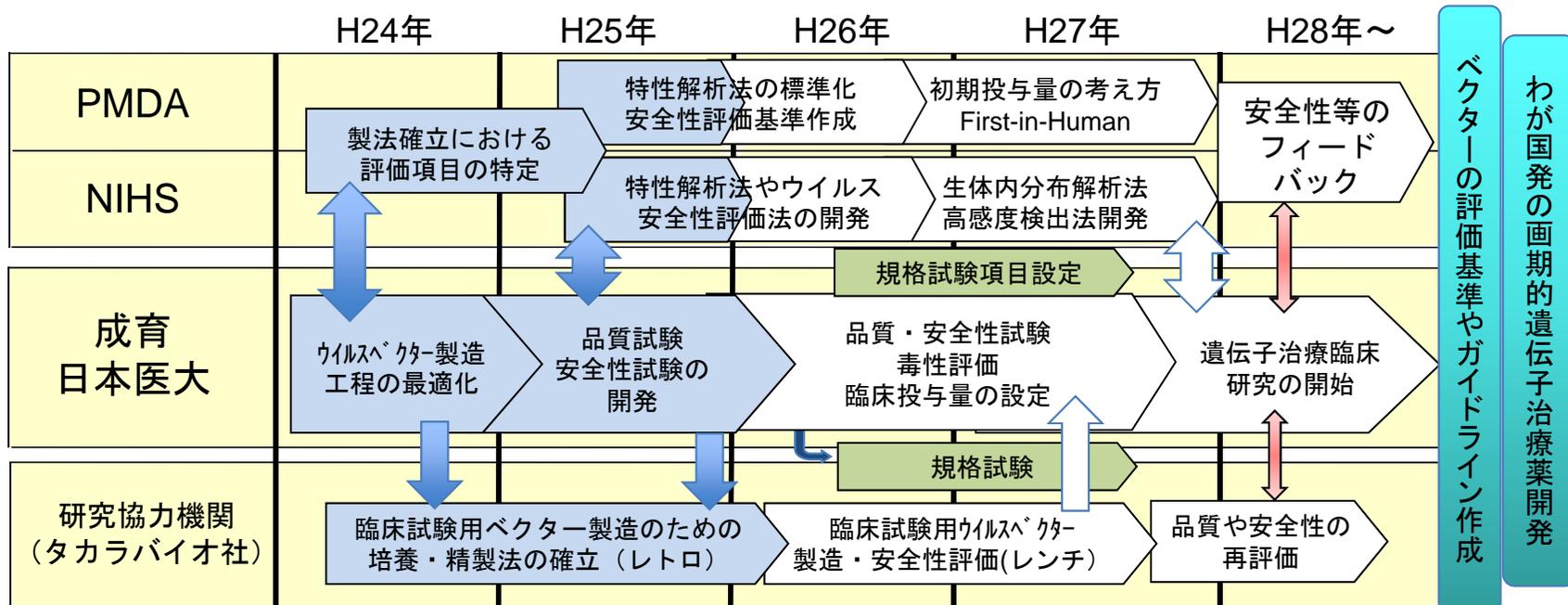
# 目標達成に向けたロードマップ

## 遺伝性難病に対する独自の遺伝子治療薬臨床開発

### 開発する遺伝子治療薬

- 慢性肉芽腫症、ウィスコット・アルドリッチ症候群治療用レンチウイルスベクター
- 異染性白質ジストロフィー、低ホスファターゼ症治療用アデノ随伴ウイルスベクター

### 我が国独自の遺伝子治療薬シーズ育成と評価基準やガイドライン作成



# 遺伝子治療薬ガイドラインの改定案作成と個別 遺伝子治療薬のコンセプトペーパー案作成

## 評価研究のコンセプトペーパーへの取り込み

