

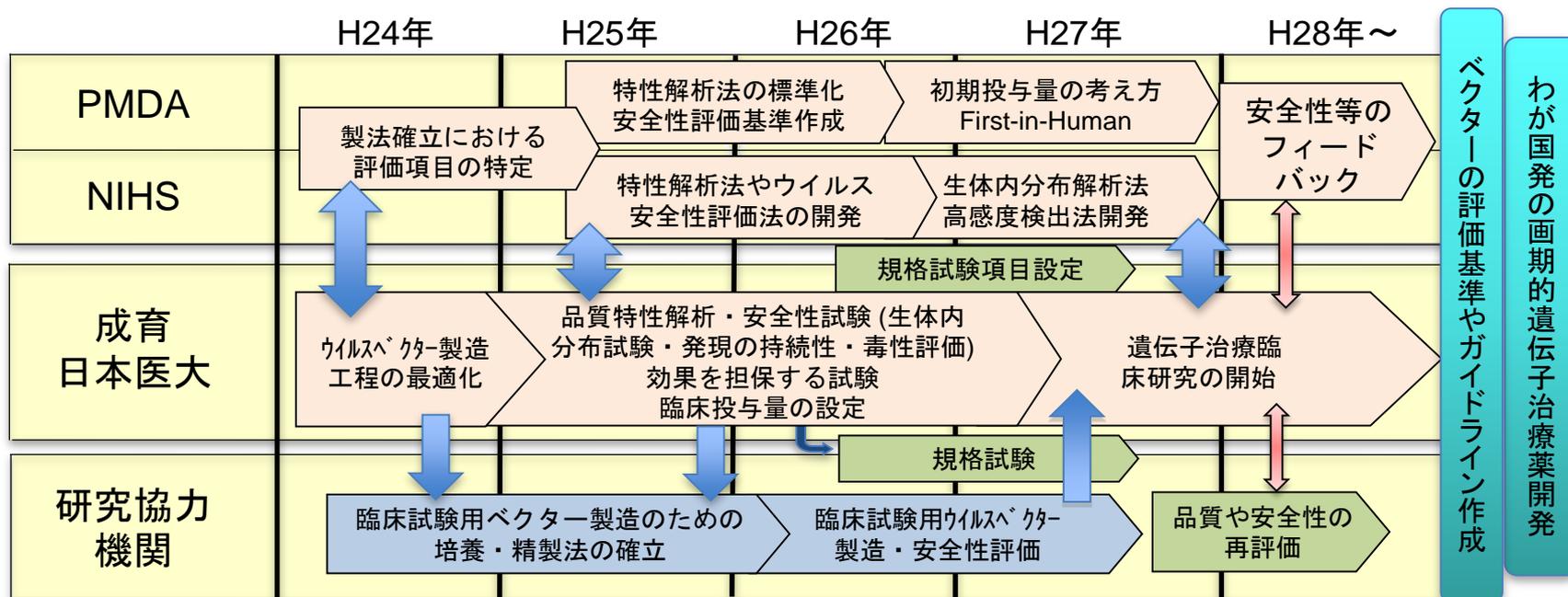
目標達成に向けたロードマップ

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



有用性・社会的意義

- 遺伝性難病に対する我が国独自の遺伝子治療薬（レンチウイルス、AAVベクター）の開発
- がんを含む種々の疾患に対する臨床用ベクターの評価基準の設定とガイドラインの作成
- 遺伝子治療に関する貴重なデータが蓄積され、それに基づく新たな遺伝子治療薬の開発
- 医師主導型治験への展開ならびに遺伝子治療薬拡大に伴う企業の活性化