

# Gene Therapy Research Institution Co., Ltd.

## 株式会社遺伝子治療研究所

### 会社概要

創立 2014年5月16日

本社所在地 神奈川県川崎市川崎区殿町 3-25-22  
ライフイノベーションセンター 414

代表者 浅井克仁

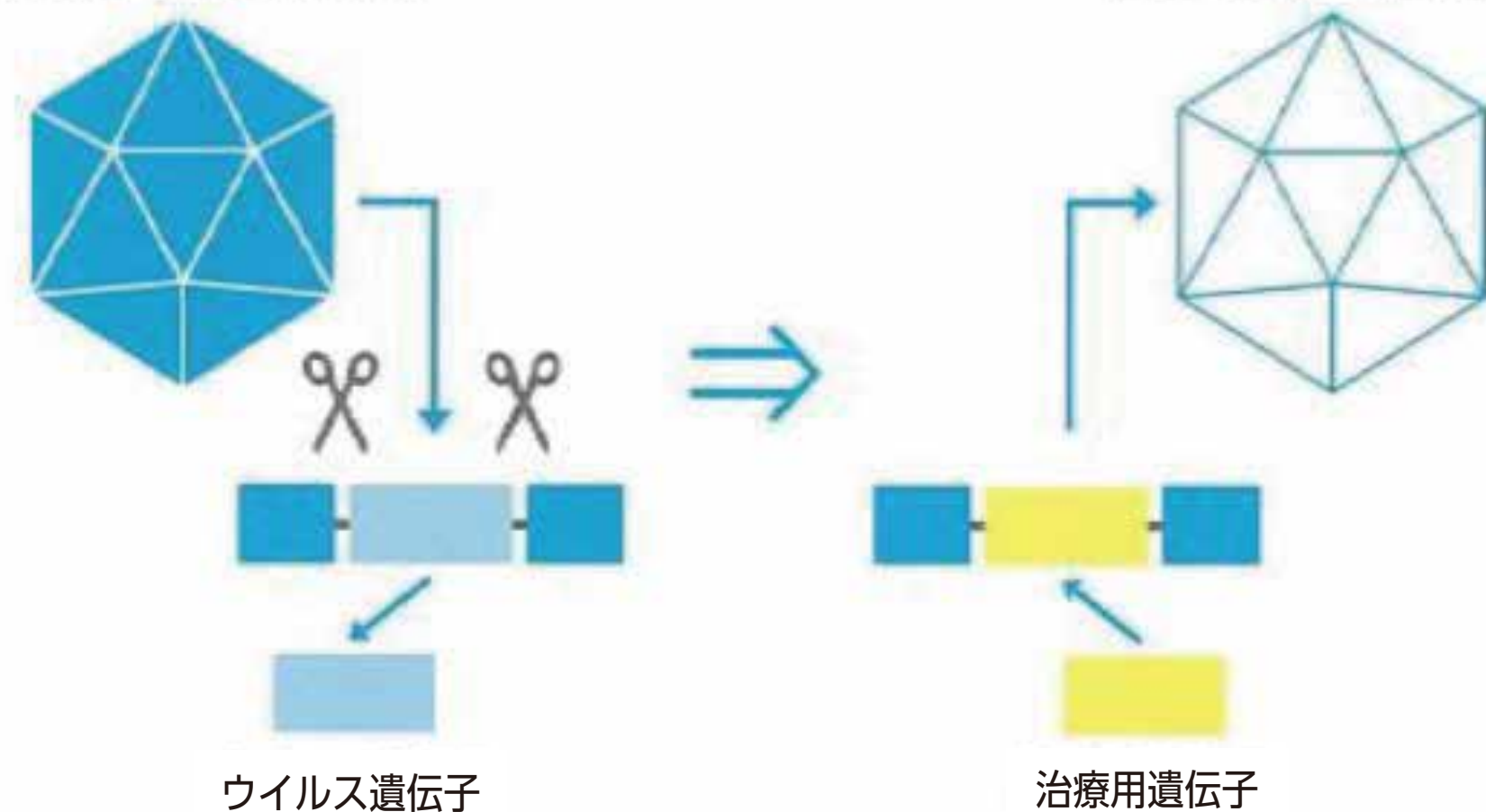
www.genetherapy-ri.com

株式会社遺伝子治療研究所は、当社取締役兼自治医科大学・村松慎一特命教授が開発した、アデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターを利用した遺伝子治療に関する基盤技術を基に、その実用化を主たる事業目的として、2014年5月に設立された。遺伝子治療のコンセプトは、「標的細胞に目的遺伝子を導入し、導入遺伝子を発現させて病態を改善すること」であるが、AAVベクターを利用した遺伝子治療は、1回の投与で長期間に渡り効果が持続し、安全性が高い(副作用が想定されない)という特

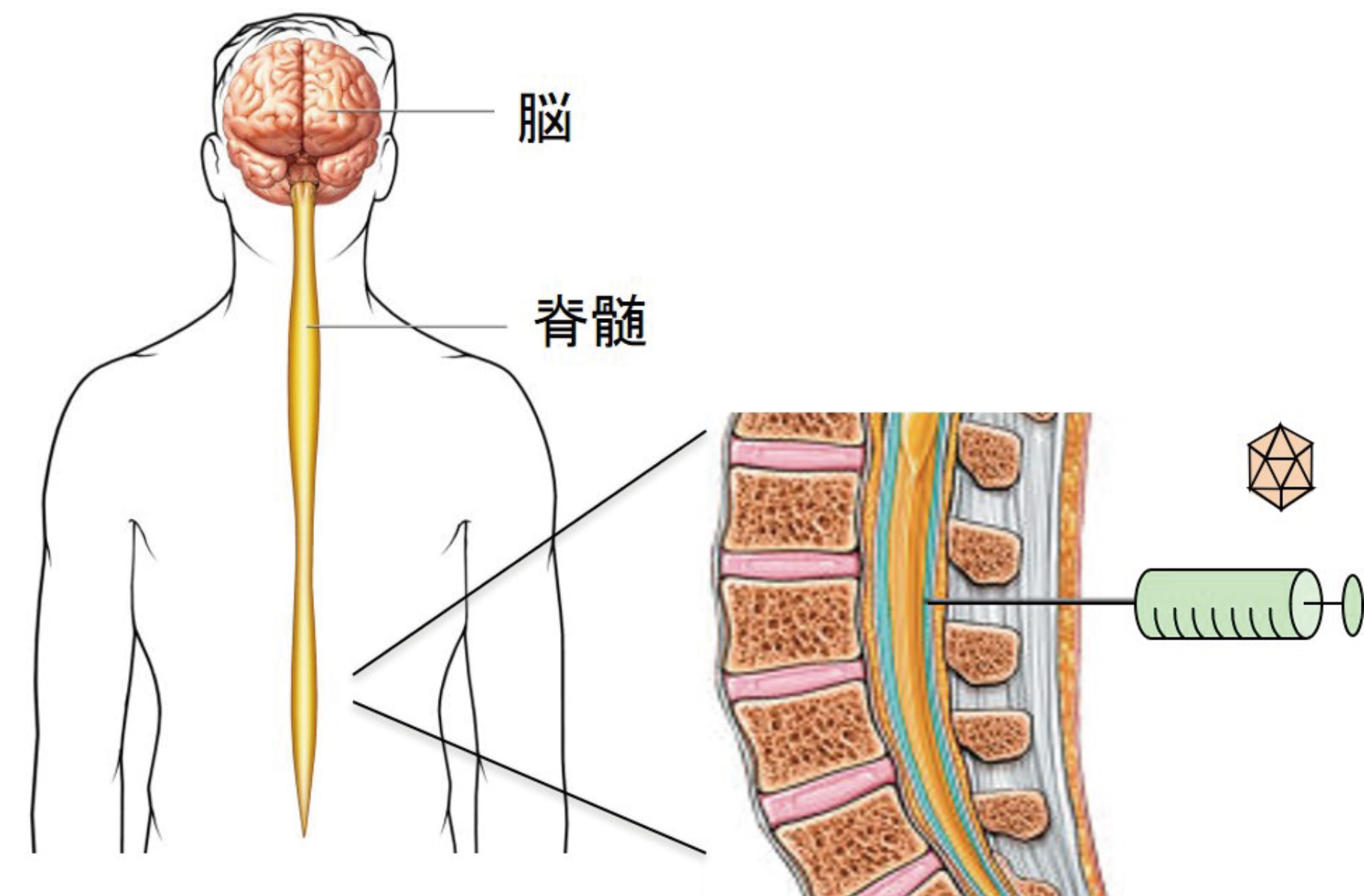
徴を有している。当社では、対症療法のみで根本的な治療薬のない孤発性ALS(筋萎縮性側索硬化症)、パーキンソン病、AADC欠損症、脊髄小脳失調症(1型)、テイ-サックス病、アルツハイマー病等の神経変性疾患、先天性代謝疾患を含む単一遺伝子病等の遺伝子治療開発に取り組んでおり、この分野におけるリーディングカンパニーとなることを目指している。

アデノ随伴ウイルス (AAV)

AAV ベクター (運び屋)



アデノ随伴ウイルス (AAV) ベクター



ALSの遺伝子治療では腰椎穿刺により単回投与