

# 国内30万人、世界1,500万人 難治性てんかんの遺伝子治療法開発

## 群馬大学で医師主導治験目指す 年内にベンチャー設立

未来先端研究機構 ウイルスベクター開発研究センター長 大学院医学系研究科 脳神経再生医学分野 教授

### 平井 宏和 [ひらい ひろかず]

#### 【プロフィール】

1989年、神戸大学医学部卒業。附属病院での臨床研修を経て、1994年に博士課程を修了し、医学博士を取得。同年よりドイツ・マックスプランク脳研究所にてフンボルト財団研究員として研究に従事。1996年には理化学研究所(伊藤正男研究室)研究員、2001年には米国セントジュード小児研究病院スペシャルフェローを歴任。2004年、金沢大学(革新脳科学領域)助教授に就任。2006年より群馬大学教授を務め、2019年からは群馬大学ウイルスベクター開発研究センター長を兼任している。

#### 主な受賞・役職等

- ・日本遺伝子細胞治療学会タカラバイオ研究奨励賞(2023年)
- ・Blue Flame Award (米国NPO) (2025年)
- ・日本遺伝子細胞治療学会認定医
- ・第15回日本マーマセット研究会大会長(2026年)
- ・第50回日本神経科学大会／第4回CJK国際会議大会長(2027年)



脳神経科学の研究者で、わが国のウイルスベクター開発の第一人者である平井宏和群馬大学ウイルスベクター開発研究センター長・大学院医学系研究科教授が、自身が開発したウイルスベクター／プロモーターを使って難治性てんかんの遺伝子治療法を開発、同大学医学部附属病院などで患者を対象にした臨床試験の準備を進めている。

てんかんの患者は日本に100万人、世界では5,000万人いて、その30%が既存の薬剤では抑えきれず、難治性てんかんと呼ばれている。外科的に、脳のなかの発作の焦点部位を切除する治療法もあるが、侵襲が大きく、焦点を除去しても発作が完全に消失しない例も少なくない。今回開発した遺伝子治療法は、安全かつ有効な長期的治療効果が期待できる。

研究成果をこうした患者さんに届けるため2026年中に製剤開発のためのベンチャー企業を設立する。

遺伝子治療を目的とする、わが国初の本格的なアデノ随伴ウイルスベクター創薬プロジェクトである。

欧米ではこの分野に研究者・企業が続々と参入して研究開発が加速、難病治療のウイルスベクター製剤が相次いで開発・承認されている。平井教授は「欧米とは違った切り口でわが国が独自のウイルスベクター開発をして遺伝子治療に結びつける余地は残されている」と語る。日本独自の切り口、創薬のストーリーとは？



本特集では、①ウイルスベクターを利用した遺伝子治療の基礎知識、②ウイルスベクター開発実績日本一、③開発した抑制性ニューロン特異的プロモーター、④最初の治療対象「難治性てんかん」、⑤医師主導治験目指す——の5つの記事で、本創薬プロジェクトの現状を紹介する。