

索引

数字

2H2OP法	204
4-IBB	109
5-FU	159
7x19 CAR	133

和文

あ

アキシカブタジンシロルーセル	113, 130
アダジェン	47
アッシャー症候群	71
アデノウイルス	144
アデノ随伴ウイルスベクター	51
アフエレーシス	112
アブスコパル効果	148, 148
アポトーシス	61
アンジオポエチン	164

い

イエスカルタ	81, 130, 217
イビリムマブ	153
異染性脳白質変性症	53
一塩基変異	181
一本鎖抗体	108
遺伝子治療法	11, 40
遺伝子治療臨床研究指針	181
遺伝子導入法	12
遺伝子ノックアウト	195
遺伝性網膜ジストロフィー	83
イノツズマブ・オゾガマイシン	114
イビリムマブ	158
医薬品医療機器総合機構	182
医薬品医療機器等法	172
医療技術評価	190
医療経済評価	191
インテグリン	213

インフュージョンリアクション	229
----------------	-----

う

ウイスコット・アルドリッチ症候群	33, 47
ウイルス療法	149

え

エクソソーム	140
エクソンススキッピング	73
エクソン・インクルージョン	84
エピトープスプレッディング	132
エリブリン	120
エルロチニブ	159
エレクトロポレーション	39
塩基編集	208

お

黄斑ジストロフィー	71
オフターゲット	125, 178, 198, 203, 209
オブジーボ	193
オプトジェネティクス	73
オリゴデンドロサイト	53

か

改良発明	189
核酸医薬	84
家族性リポタンパク質リパーゼ欠損症	19
画期的治療薬	113
活性化誘導細胞死	219
滑膜肉腫	120
カドサイラ	193
カプシド	94, 102
鎌状赤血球病	34, 197
空ベクター	99
カルタヘナ法	94, 170
肝	65
肝細胞増殖因子	164
感染性クローン	102

肝臓がん	81
間葉系幹細胞	87, 95, 140
がん遺伝子	179, 217
ガングリオンドーシス	66
がん精巢抗原	120, 138
がん免疫サイクル	137

き

希小児疾患優先審査バウチャー	71
機能獲得	225
機能喪失	225
キムリア	33, 81, 130, 186, 193, 217
キメラ抗原受容体	129
急性炎症	151
虚血性心疾患	164
筋萎縮性側索硬化症	65
筋ジストロフィー	85
筋ジストロフィー犬	86
擬似腫瘍細胞	223
凝固因子	76

く

クライオ電子顕微鏡	94, 102
グリア細胞	105
グリベラ	19, 187

け

経門脈投与方法	80
血管新生	164
血管内皮細胞増殖因子	164
血漿交換	99
血中維持	119
血液脳関門	19, 33, 53, 55, 64, 102
血液網膜関門	71
血友病	76, 101
ゲノム修復機構	37, 37
ゲノム編集	15, 37, 73, 81, 125, 172, 195, 201, 218
ゲムシタピン	159

- 原発性免疫不全症…………… 44, 63
 原発性リンパ浮腫…………… 167
- こ**
 抗AAV抗体…………… 80
 抗PD-1…………… 153
 抗原親和性…………… 138
 抗原喪失…………… 224
 抗原逃避…………… 132
 交差反応…………… 101
 酵素補充療法…………… 52
 公知技術…………… 189
 後天性免疫不全症…………… 26
 小型化ジストロフィン…………… 86
 コクサッキーウイルス…………… 151
 骨髄異形成症候群…………… 49
 骨髄間隙…………… 45
 骨髄球形共通前駆細胞…………… 58
 骨髄非破壊性レジメン…………… 119
 骨髄由来抑制性細胞…………… 137
 固定床式バイオリアクター…………… 91
 コラテジェン…………… 166, 186
 混入HCP…………… 94
 合理的設計法…………… 104
 ゴルジ装置…………… 103
 ゴーシェ病…………… 52, 200
- さ**
 再生医療等安全性確保法…………… 171
 再生医療等製品…………… 160, 173
 再生医療法…………… 182
 サイトカイン放出症候群…………… 115, 219
 細胞改変治療…………… 11
 細胞外マトリクス…………… 138
 細胞修復治療…………… 11
 細胞傷害性T細胞…………… 148, 227
 細胞性免疫…………… 97
 細胞増殖…………… 60
 先駆け審査指定制度…………… 147
 サラセミア…………… 31, 34, 39
 サルファチド…………… 55
- し**
 視細胞…………… 70, 71
 質調整生存年…………… 192
 腫瘍関連線維芽細胞…………… 137
- 腫瘍関連マクロファージ…………… 137
 腫瘍サンプル…………… 223
 腫瘍浸潤リンパ球…………… 118
 主要組織適合遺伝子複合体…………… 117, 130
 腫瘍微小環境…………… 134
 腫瘍免疫誘導…………… 157
 腫瘍溶解性ウイルス…………… 149, 156
 硝子体…………… 106
 小胞体ストレス…………… 78
 新規CAR-T細胞…………… 121
 シングルセル解析…………… 224
 新生血管内皮細胞…………… 138
 深層学習…………… 95
 地固め治療…………… 213
 自己不活化型ベクター…………… 29
 自殺遺伝子…………… 11
 ジストロフィン補充療法…………… 85
 樹状細胞…………… 148
 受精卵…………… 198
 上皮間葉転換…………… 140
 上皮系腫瘍…………… 120
 静脈注射…………… 65
 腎線維症…………… 20
- す**
 睥β細胞…………… 20
 睥がん…………… 159, 224
 ステロイド…………… 115
- せ**
 制御性T細胞…………… 137, 151
 生存…………… 192
 生存優位性…………… 45
 脊髄性筋萎縮症…………… 19, 65, 84, 90, 101
 線条体…………… 106
 先天性黒内障…………… 19
 先天的免疫寛容…………… 87
- そ**
 早期承認制度…………… 166
 相同組換え…………… 37, 197, 201
 挿入変異…………… 12
 造血幹細胞…………… 45, 78, 197
 造血幹細胞遺伝子治療…………… 57
- 造腫瘍性…………… 229
 増殖優位性…………… 45
 ゾルゲンスマ…………… 19, 74, 81, 84
- た**
 多能性造血幹細胞…………… 57
 多能性造血前駆細胞…………… 58
 多発性骨髄腫…………… 133, 212
 タンパク質補充遺伝子療法…………… 11
 ダイオキシシン…………… 61
 ダイマライザー…………… 229
- ち**
 チサゲンレクルユーセル…………… 130
 中央社会保険医療協議会…………… 193
 中枢神経系…………… 65
 中枢性トレンス…………… 119
 中和抗体…………… 80, 96, 102
 腸内細菌叢…………… 136, 138
- て**
 定期補充療法…………… 76
 低酸素刺激…………… 164
 テリルジー…………… 193
 テロメア…………… 144
 テロメライシン…………… 144
 テロメラーゼ…………… 144
 デュシェンヌ型筋ジストロフィー…………… 94, 207
 デリバリー…………… 203
 天然指向性…………… 150
- と**
 糖鎖…………… 103
 糖鎖修飾…………… 94, 213
 特定臨床研究…………… 169
 特許…………… 184
 トランスサイトーシス…………… 103
 トランスポゾン…………… 217
 トリプルトランスフェクション…………… 21
 トレーサビリティ…………… 94
 同種造血幹細胞移植…………… 115
 毒性プロファイル…………… 157
 ドパミン…………… 65
 ドライバー変異…………… 224

な・に・ぬ

ナイーブT細胞	46
ナブパクリタキセル	160
ニッチ	63
ヌシネルセン	84

ね

ネオアジュバント療法	153
ネオアンチゲン	124, 139, 222
ネオアンチゲン反応性T細胞	223

は

白血病	46
発現増強剤	94
ハプロ移植	47
ハンチントン病	106
ハンチントン舞蹈病	40
バイオロジクス	90
バイスタンダー編集	209
バルデー・ビードル症候群	71
バーコード	104
パゾパニブ	120
パッケージング	27
パッケージング細胞	30
パッケージングシグナル	26
パーキンソン病	34, 65

ひ

非相同末端結合	37
疲弊・不応化	139
標準化	93, 100
標的抗原陰性クローン	115
費用効果分析	191
費用効用分析	192
費用最小化分析	191
費用便益分析	192
微小残存病変	112
病勢コントロール	158
ビレーズトリ	193

ふ

ファブリー病	56
ファンconi貧血	200
複合免疫療法	135
フラッシング法	99
フルダラビン	63

フローサイトメトリー	58
ブスルファン	54, 63
ブリモツモマブ	114
分子進化法	104
プラスミドベクター	28
プレリキサホル	61

へ

ペムプロリズマブ	105
閉塞性末梢血管疾患	164
併用療法	158
ヘパラン硫酸	102
ヘルパーフリー法	91
ペプチドディスプレイ	104

ほ・ま

ホスト細胞	93
翻訳後変化	213
マクロピノサイトーシス	103
マスター細胞バンク	91
慢性肉芽腫症	34, 48, 58, 200

み・む

ミオパチー	65
ミクログリア	33, 53
脈絡膜血管新生	74
ムコ多糖症	19, 55, 66

め

メソテリン	230
メラノーマ	158
メラノーマ関連抗原	119
免疫原性	151, 198, 225
免疫原性細胞死	148, 151
免疫チェックポイント	158, 224
免疫疲弊	218
免疫抑制剤	99

も

網膜分離症	71
網膜変性症	70
モゾビル	61
モグリテイ	138
モノクローナル抗体	211

や・ゆ・よ

薬剤誘導発現系	30
薬価	19, 74

ユニバーサルCAR-T	126
ユビキチン修飾	94
ユビキチンプロテアソーム系	104
ユルトミリス	193
養子免疫療法	222
腰椎穿刺	65

ろ

ライソゾーム蓄積症	51
ライソゾーム病	65
ラクスターナ	19, 71, 81, 83

り

立体構造	213
リツキサン	63
リンパ球枯渴法	134
リンパ球性共通前駆細胞	58

れ

レトロウイルス	217
レトロウイルスベクター	25, 45, 200
レトロネクチン	45
レブコビ	47
レンチウイルス	217
レンチウイルスベクター	25, 45, 51, 185

ろ・わ

老化	144
ワーキング細胞バンク	91

欧文

A

AADC	65
AADC欠損症	65
AAP	19
AAV9	105
AAVR	22
AAVベクター	18, 39, 184, 206
ADA	47, 200
ADA欠損症	34
AIDS	39
ALD	33
ALL	112, 124
ALS	65

AncAAV 105
 anergy 139
 APRIL 114
 AR 83
 ARSA 53

B

Barcode-Seq法 22
 BBB 64
 BCMA 113, 213
 Busulfan 33
 bystander効果 30
 βサラセミア 197

C

c-MET 103
 C-REV 156
 CAD 164
 CADTH 191
 CAF 137
 Canavan病 65
 Canerpaturev 156
 capsid shuffling 94
 CAR 108, 129
 CAR-T 33, 138, 187
 CAR-T細胞 171, 211
 CAR-T細胞療法
 15, 124, 217, 222, 230
 CCR5 遺伝子 195
 CD19 213
 CD28 109
 CDDP 144
 CDR 191
 CGD 34, 48, 58
 CID 229
 cisplatin 144
 ClinicalTrials.gov 18, 65, 152
 CLL 112
 CLN 66
 CLOUD-HSPC 58
 CMP 58
 cost-effectiveness 190
 CRISPR-Cas 33
 CRISPR-Cas3 203

CRISPR-Cas9 37, 50, 70, 81,
 125, 178, 189, 196, 201, 207,
 218, 230
 CRS 115
 CTA 138
 CTL 148, 187, 227
 CTLA-4 158
 CTL療法 228

D

DAMPs 151
 DLBCL 124, 130
 DMD 85
 dmPGE2 61
 DNAシャフリング 104
 DNA二本鎖切断 145
 DNAバーコード 94
 driver変異 139
 DSB 81, 145, 176

E

EC 138
 ECM 138
 EDIT-101 73
 effectiveness 190
 efficacy 190
 ELIANA 臨床試験 112
 EMT 140
 ENKL 229
 epitope 138
 error-prone PCR 94
 ERT 52
ex vivo 遺伝子治療 169

F

FGFR 103
 Fontaine分類 165
 FTO 189

G

GAG 66
 GCTP 91
 Glybera 83
 GMFM 54
 GMP 157, 217, 224
 GVHD 63, 115, 126, 218, 229
 γ H2AX 145

H

HDAC阻害剤 94
 HDR 37, 50, 81
 HF10 156
 HGF 164
 HITI 42, 204
 HIV 26
 HSC 57
 HSC-GT 57
 HSCT 51
 HSV-1 150
 HTA 190
 hTERT 144

I

iC9 229
 ICD 148, 151
 ICI療法 138
 IFN-γ 137
 IL2RG 200
*in silico*解析 178
*in silico*設計 94, 104
in vivo 遺伝子治療 169
 ITAM 131
 IVIG 46
 IVT-mRNA 219

K · L

Krabbe病 66
 KRAS 224
 l-dopa 66
 LAG-3 228
 LCA 71
 LCR 33
 LSD 51
 LT-HSC 60
 LTR 78
 LV 25

M

MAAP 20
 MAGE-A4 120
 MART-1 119, 228
 MDA5 151
 MDS 49
 MDSC 137

- meganuclease 37
MHC 117, 126, 130
MHC拘束性T細胞 222
missing-self応答 231
MLD 33, 53
MLP 58
MMEJ 42
MMP 138
mobilization 30
MPP 58
MRD 112
mRNA-CAR 219
MSC 87, 140
MUC1 214
- N**
NAA 65
NAb 100
NHEJ 37, 81, 177
NHS 192
NICE 190
Nickase Cas9 40
NILV 31
NK-CAR 230
NKG2D 114
non-coding RNA 104
NY-ESO-1 119, 120
- O**
OBP-301 144
off the shelf CAR 218
off-the-shelf 124, 230
OTC 65
OV 149
O型糖鎖修飾 214
- P**
p53 181, 224
PAD 164
PAM 38, 202
PAMPs 150
PB 218
pCODR 191
PCT出願 187
PD-1 126, 228
PEG-ADA製剤 47
- PGE2 137
PIC 26
PID 44
piggyBac 218
PITCh 40, 204
PMDA 147, 172
PMO 85
POC 92
Pompe病 66
ProSavin 34
- Q・R**
QALY 192
QbD 93
Ras-MAPキナーゼ経路 131
RCL 30
RCT 166
RECIST 152, 161
RIG-I 151
RP 71
RPE 70
RPE65 71
RV 25
- S**
SaCas 207
SaCas9 202
SB 218
scaffold 137
scFv 108, 129
scRNAseq 58
SFFV 49
sgRNA 125, 178
SIN 46, 78
SIV 34, 73
Sleeping Beauty 218
SMA 65, 84, 90
SpCas 207
SpCas9 202
SR-1 62
ST-HSC 60
STING 151
Strimvelis 47
- T**
TACI 114
TALE 37
TALEN 37, 125, 178, 201
talimogene laherparepvec 152
TAM 137
TCDD 61
TCR 129
TCR-mimic 121
TCR-T 117, 124, 138
Telomelysin 144
TIL 119, 124, 223
TLR 86, 140, 151
TRAC-CAR-T細胞 128
Treg 137
TTF 30
T-VEC 153
T細胞受容体 108, 129
T細胞疲弊 132
- U・V**
universal CAR 218
UPDRS 66
VCN 54
VEGF 138, 164
V_HH抗体 92
- W**
Warburg効果 138
WAS 33, 47, 63
Wilson病 65
WPRE 29
- X**
X-CGD 48
X-SCID 30, 46, 63, 78, 201
XR 83
X連鎖高IgM症候群 50
X連鎖重症複合免疫不全症 200
X連鎖無ガンマグロブリン血症 50
X連鎖リンパ増殖症 50
- Z**
ZFN 37, 125, 178, 196, 201, 206
ZFタンパク質 37
Zynteglo 34, 197