

# 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<sub>H</sub>H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