

## 遺伝子治療の研究開発の推進について

ゲノム医療実現推進に関する  
アドバイザリーボード  
構成員 春日 雅人

### 1. CAR-T療法の clinical trial の現状

- ・現在（2018年1月）全世界で301の clinical trial が行われているが、その内訳は、以下の通りである。

124	（中国）
99	（米国）
51	（ヨーロッパ）
13	（カナダ）
3	（日本）

- ・難治性 ALL に対する CAR-T 療法の費用（入院費等も含めての総額）  
米国：1億円  
中国：300万円

### 2. 日本における遺伝子治療の研究開発の課題と対策

#### （1）一般的な新しい治療法の開発（例えば創薬など）における課題

- ・研究開発を担う研究者をアカデミアにおいて正當に評価する仕組みの欠如
- ・ベンチャー企業が育っていない環境

#### （2）遺伝子治療の研究開発における課題と方策

課題① カルタヘナ法への対応のために、臨床試験の規制対応を並行して、多大な労力と時間を取られる。

- ・カルタヘナ法は、環境保護のため遺伝子組換え生物の輸出入規制に関する国際条約（カルタヘナ議定書）に対応する国内法。国際条約は医薬品を除外しているが、国内法では医薬品もウイルスも対象とする。アメリカはカルタヘナ議定書を批准しておらず、欧州では医薬品を除外している。従って、日本だけが医薬品開発においてカルタヘナ法の規制を受ける状況となっている。
- ・遺伝子治療の開発において、ウィルスベクターの自然環境への影響を

評価したり、ウィルス排出の状況を把握して感染防御策を講じることは非常に重要であるが、欧米と同様、これらは医薬品開発の一環として臨床試験の過程で実施することも可能である。

方策① カルタヘナ法における医薬品および医薬品開発に関する手続を簡素化する。

課題② 遺伝子治療研究に従事する人材、特に若手が育っていない。

研究者は研究費の出る研究テーマを選ばざるを得ない。過去、遺伝子治療に関して研究費が不十分な時期があった可能性がある。

方策② 遺伝子治療を対象とした研究、特に若手の研究者が応募しやすい基盤研究（パテントを取得するための基礎研究）も含めてその研究費枠を拡大する。

課題③ 遺伝子治療に関する知識と経験を持つ企業が少ない。

従って、アカデミアが自ら治験薬の GMP 製造と品質管理を行うこととなり、また、企業が遺伝子治療薬の開発参入に、より慎重な姿勢をとることとなる。