

遺伝子治療の研究開発の推進について

日本癌治療学会 理事長

北川 雄光

1. 日本における遺伝子治療の研究開発の課題と方策(1/2)

①有望なシーズを開発するための研究支援体制の不足

- 方策
- 先天性疾患やがんに対する遺伝子治療に特化した大型研究費の充実
 - 遺伝子治療の有望なシーズに対する知財確保への支援体制の強化
 - 遺伝子治療を臨床開発するベンチャー企業への財政支援の拡充、中長期的なベンチャー支援が可能なファンドの確立

②ヒトへ投与可能な遺伝子治療用製剤の開発支援体制の不足

- 方策
- GMP基準のウイルスベクターを大量生産できるアカデミア・企業の強化、受託企業の製造施設の整備支援（大規模バイオリアクター）、受託企業間連携の推進（技術共有、コンソーシアム化）
 - ウイルスベクターの安全性試験を行うためのアカデミア・企業の強化、実験動物の充実（コトンラット、ハムスター）、受託企業間連携の推進（技術共有、コンソーシアム化）
 - ウイルスベクターを使用するための法規制の緩和による開発の促進（カルタヘナ法規制の緩和、製造施設の適応除外）

1. 日本における遺伝子治療の研究開発の課題と方策(2/2)

③遺伝子治療の臨床研究・治験を行うための人材育成や支援体制の不足

- 方策
- 遺伝子治療を行うための医師・看護師・薬剤師などの人材育成の強化、理解不足による治験責任医師や参加施設の確保困難の解消、遺伝子治療の啓発活動の充実（関連学会の協力）
 - 産学官の連携による遺伝子治療の臨床応用を実現するチームの構築
 - 遺伝子治療の臨床研究・医師主導治験に特化した大型研究費の充実
 - 法規制による遺伝子治療製剤を使用可能な施設の制限の緩和・撤廃、カルタヘナ法規制の緩和（薬事承認時の適応除外）、国内規定の明文化・簡素化と中央IRB制度の活用

2. AMEDにおける遺伝子治療の研究開発の課題と方策

1) 遺伝子治療のシーズ開発に関する課題

- 方策
- 各種がんや先天性疾患に対する治療効果を示す遺伝子群の同定
 - 有効な治療法のない難病に対する遺伝子治療の積極的な開発支援

2) 汎用性のある技術的研究に関する課題

- 方策
- 治療遺伝子を細胞内に効率的かつ持続的に誘導する技術の開発
 - 副作用が少なく体外排出後に不活化されるウイルスベクターの開発
 - 新規ゲノム編集ツールそのものの開発、
ゲノム編集ツールの設計・解析等の周辺技術の改良

3) インフラ整備に関する課題 (ウイルスベクターの製造・試験に関する技術的課題)

- 方策
- ウイルスベクターを効率的に安価に製造できる技術の開発
 - ウイルスベクターを小規模な施設で製造できる技術の開発
 - ウイルスベクターに対する動物を用いない新しい安全性試験の開発

3. 遺伝子治療の研究開発のための制度・知財確保の課題と方策

① 遺伝子治療の研究開発のための制度について

- 方策
- 遺伝子治療用ウイルスベクターの使用に関する法規制の段階的緩和
 - 日本発の遺伝子治療の早期承認に向けた政府主導の開発支援
 - 海外で承認されている薬剤の臨床試験の速やかな開始
 - 産学官のチームによる遺伝子治療の臨床開発の負担軽減と効率化
 - 臨床研究中核病院等の制度の中での遺伝子治療の体制整備と人材育成システムを構築

② 遺伝子治療の研究開発のための知財確保について

- 方策
- 難病に対する遺伝子治療の有望シーズの知財確保への支援体制
 - 遺伝子治療の知財確保に関する専門家の育成と企業への開発支援
 - 遺伝子治療の基礎研究から臨床応用までのシームレスな開発支援