

# 遺伝子治療の研究開発について

文部科学省 研究振興局  
平成30年3月1日



## 現在支援している遺伝子治療の研究開発

- ◆ 次世代の遺伝子治療を担うシーズ研究の推進
  - 次世代がん医療創生研究事業
  - 橋渡し研究戦略的推進プログラム 等
- ◆ 遺伝子治療を支える基盤技術開発
  - 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業



# 現在支援しているシーズ研究の課題例

## ○次世代がん医療創生研究事業

課題名	研究機関	代表者	対象疾患	研究期間
免疫抑制に対する制御能を有するCAR-T細胞を利用したがん治療法の研究	国立大学法人山口大学	玉田 耕治	固形がん	H28-30
がん生物学とウイルス学の融合による抗がんウイルス創薬システムの開発	国立大学法人東京大学 医科学研究所	藤堂 具紀	n/a	H28-29
個別化T細胞受容体遺伝子導入T細胞療法の臨床応用を目指す独創的かつ革新的ながん抗原およびT細胞受容体スクリーニング法の開発	国立研究開発法人国立 がん研究センター	中面 哲也	肺がん・肝胆膵がん	H28-29
次世代ゲノム編集技術を用いた次世代がん免疫細胞療法の開発	国立大学法人千葉大学	大内 靖夫	n/a	H28-29



# 現在支援しているシーズ研究の課題例

## ○橋渡し研究戦略的推進プログラム

課題名	研究機関	代表者	主な対象疾患	研究開発 ステージ	採択年度
独自開発の全身性の腫瘍溶解性・免疫療法の非臨床開発	鹿児島大学	小賤 健一郎	悪性骨軟部肉腫	前臨床	H29
CXCL2 遺伝子含有HVJ-E による癌免疫遺伝子治療剤の創出を目指した研究	大阪大学	金田 安史	乳がん	前臨床	H29
前臨床・臨床試験を踏まえた、中枢神経症状を伴うライソゾーム病の遺伝子治療法開発	徳島大学	伊藤 孝司	テイーサックス病 (ライソゾーム病)	前臨床	H29
難治性がんを標的破壊する遺伝子組換えワクシニアウイルスによるがんウイルス療法の開発	鳥取大学	中村 貴史	膵臓がん	前臨床	H29
成人T細胞白血病/リンパ腫に対するT細胞受容体遺伝子導入リンパ球輸注療法の開発	三重大学	宮原 慶裕	成人T細胞白血病/ リンパ腫	前臨床	H29
遺伝子組換えヘルペスウイルスを用いたがんのウイルス療法の臨床開発	東京大学	藤堂 具紀	悪性脳腫瘍(膠芽腫)	臨床	H29
高性能国産新規RNAウイルスベクターによる虚血肢治療製剤の開発	九州大学	米満 吉和	閉塞性動脈硬化症	臨床	H29



# 現在支援しているシーズ研究の例

## ○次世代がん医療創生研究事業

免疫抑制に対する制御能を有するCAR-T細胞を利用したがん治療法の研究(H28応用研究ユニット型・研究領域C採択課題)

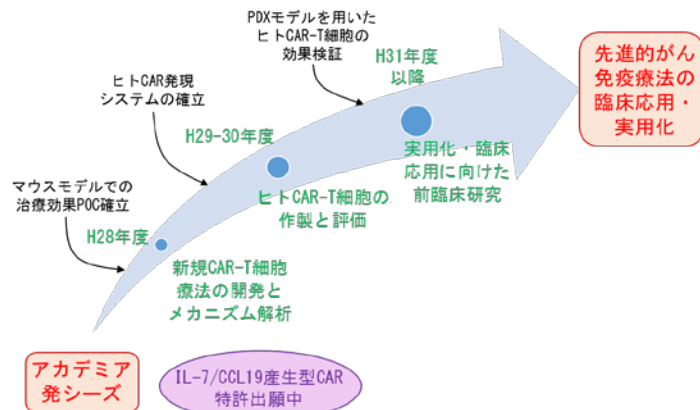
研究代表者： 玉田耕治 山口大学大学院医学系研究科

対象疾患： 固形がん

目標：キメラ抗原受容体の遺伝子導入により誘導されるCAR-T細胞の機能をさらに向上させる技術の開発とヒト腫瘍モデルでの応用

研究概要：

T細胞の増殖や生存、遊走に重要な因子であるIL-7とCCL19を同時に発現するCAR-T細胞は、通常のCAR-T細胞と比べて有意に優れた抗腫瘍効果を発揮し、マウス固形がんモデルにおいて腫瘍の完全拒絶とマウスの長期生存を達成することが示された。



## ○橋渡し研究戦略的推進プログラム

遺伝子組換えヘルペスウイルスを用いたがんのウイルス療法の臨床開発(H29シーズC採択課題)

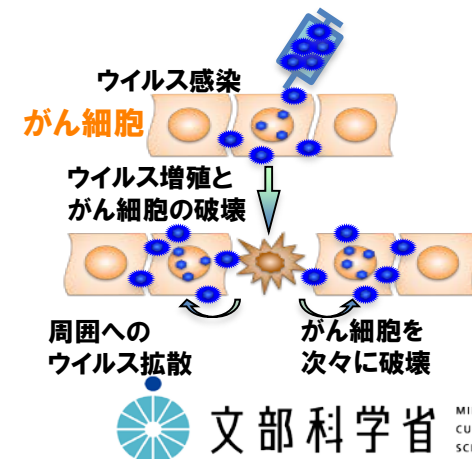
研究代表者： 藤堂具紀 東京大学医科学研究所

対象疾患： 悪性脳腫瘍(膠芽腫)

目標：第三世代がん治療用単純ヘルペスウイルスI型(HSV-1)G47 $\Delta$ の膠芽腫を対象とした再生医療等製品としての承認

研究概要：

G47 $\Delta$ ががん細胞で複製し、がん細胞を直接破壊することに加え、がん細胞に特異的な抗腫瘍免疫を誘導することを利用した画期的な治療法を開発した。現在Phase IIの医師主導治験が進行中。



# 現在支援している基盤技術開発の例

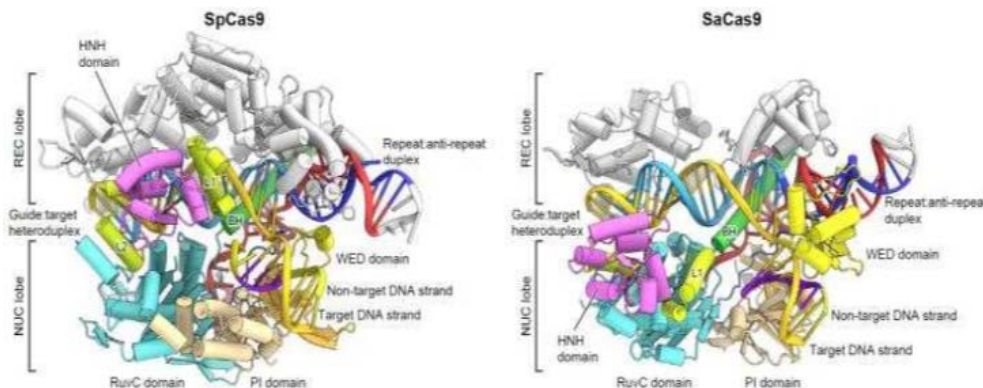
## ○革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業

### 新規CRISPR-Cas9システムセットの開発とその医療応用

〔研究代表者：濡木理 東京大学大学院理学系研究科〕

医療応用で、より使いやすい新規ゲノム編集技術の創出をめざし、以下の基盤技術開発を推進。

- ①立体構造情報をもとに高機能なCas9酵素の創出  
(ねらった遺伝子を活性化させる機能を持つCas9、薬剤によって切断活性を制御できるCas9等)
- ②細胞内へCas9酵素を高効率で導入する技術の開発 (Cas9の小型化)
- ③疾患動物モデルを用いた治療法開発 (X-SCIDブタのex vivo遺伝子治療等)



東京大学の改変CRISPR  
酵素技術をベースに創  
薬ベンチャーが設立  
「EdiGENE(2016年1月)」



# 今後の遺伝子治療の研究開発の強化ポイント

- ◆ 継続的なシーズの創出、産学連携システムの構築
- ◆ 遺伝子治療を支える基盤技術開発（ゲノム編集技術や細胞への運搬技術 等）の強化

（ゲノム編集技術に係る検討例）

- ・ゲノム編集ツールの更なる高度化、周辺特許の確保
- ・RNA編集、エピゲノム編集による治療基盤技術の確立
- ・点変異の修正技術の確立

