

遺伝子治療の研究開発の推進における 今後求められる対策について (骨子案)

1. 日本における遺伝子治療の研究開発

【背景】

- 多くは臨床研究に専念し、研究成果を実用化するアカデミアが少なかった。
- 成果を支援する企業、ベンチャー企業の参加がほとんどなかった。
- 基礎研究成果を応用段階から実用化へ進める支援体制が限られていた。

【求められる対策】

- 研究費拡充や教育の充実等による研究者層（特に若手）の充実
- アカデミア研究シーズの的確な評価体制・知財戦略の構築
- アカデミア研究への支援体制の強化（企業連携、TR拠点活用 等）
- 一般国民やメディア等への普及啓発

2. AMEDにおける遺伝子治療の研究開発

【背景】

- がん、難病など様々な事業で採択されており、遺伝子治療として確保された予算枠がないため、求められる要求事項が統一されていない。
- 汎用性のある技術開発や基盤整備などの課題は採択される事業が少ない。

【求められる対策】

1) 体制整備

- 遺伝子治療の研究開発予算の確保
- 公募に際して要求事項を明確化（以下、2）個別のシーズ研究を参照）
- 確実なステージアップを目指した研究開発を推進する支援機能の確保

2) 研究開発

- 個別のシーズ研究：公募に際しては、以下の要求事項を明確化すること
 - ・ 臨床試験フェーズ：医師主導又は企業の治験による研究を進めること
上記のための支援機能を充実させること（企業参画を条件とする等）
 - ・ 非臨床試験フェーズ：治験につなげるため、PMDAの対面助言（薬効薬理試験、用法・用量試験、生体内分布、非臨床安全性・毒性試験等）を参考に研究を実施すること
 - ・ 応用研究フェーズ：適切な動物モデルでのPOC取得を目指すこと
 - ・ 基礎研究フェーズ：細胞・動物レベルでの有効性を示す試験を行い、特許取得を目指す研究を実施すること
基礎研究フェーズにおけるシーズを円滑に吸い上げること

- 汎用性のある技術開発研究
 - ・ 遺伝子治療用ベクターの開発（安全かつ効果的な遺伝子導入を可能とするウイルス・非ウイルスベクターの開発等）
 - ・ 新規ゲノム編集技術、遺伝子発現制御技術の開発（遺伝子修復機構の研究等を含む）
 - ・ 品質、非臨床、安全性、環境影響等の評価やカルタヘナ法対応についてのレギュラトリーサイエンス研究

- インフラ整備に係る研究
 - ・ 治験前からアカデミア等が利用できるGMP準拠のベクター製造施設（主にAAV、レンチウイルス）及び関連する生産技術の開発（人材育成、産官学連携体制の整備を含む）
 - ・ ウイルスベクターの品質検査や毒性試験の国内での施設整備

3. その他（規制、知財）

1) 知財戦略

【背景】

- 本領域は主にアカデミアが主体となって進められてきたことから知財面での戦略に乏しい。
- AMEDでは応用研究以降の出口を見据えた研究課題が守備範囲であるため、汎用性のある技術への支援や必須特許への支援が弱い。

【求められる対策】

- AMED 対象課題問わず、我が国オリジナルな汎用性のある研究についての知財保護戦略

2) カルタヘナ法等規制に基づく運用

【背景】

- 日本では、遺伝子組換え生物等を用いる遺伝子治療について、カルタヘナ法の下で生物多様性影響評価として環境影響評価を実施しているが、欧米においても他の法律に基づき環境影響評価が実施されている。実用化を見据えた臨床開発では、事前にカルタヘナ法に基づく申請・承認を得る必要があることから、よりスムーズな審査を可能とする効率的な運用においては工夫の余地がある。

【求められる対策】

- カルタヘナ法等の運用の合理化
- 遺伝子治療の実用化に向けて、臨床研究で得られた成績を薬事審査で活用するための検討