

遺伝子治療の研究開発の推進における 今後の対策と工程(案)

内閣官房 健康・医療戦略室

➤ AMEDにおける遺伝子治療の研究開発

- 個別シーズ研究 p1
- 汎用性のある技術開発研究 p2
- インフラ整備に係る研究 p3

➤ その他

- 知財戦略 p4
- カルタヘナ法等規制 p4

➤ 工程表 p5

AMEDにおける遺伝子治療の研究開発

＜個別シーズ研究＞

課題			対策案	担当	
①	臨床試験	<ul style="list-style-type: none"> ■ 医師主導又は企業治験による研究の推進 	AMED ・ 難治性疾患実用化事業	既に <u>遺伝子治療の医師主導治験や臨床研究も支援されている</u> が、 今後は、 新たに「治療効果へのインパクトが大きい課題を優先的に採択する」 等を採択要件とし、 遺伝子治療のように治療効果へのインパクトが大きい課題を優先的に採択すること を検討する。	厚労省
		<ul style="list-style-type: none"> ■ 上記のための支援機能の充実（企業参画を条件とする等） 	AMED ・ 革新的がん医療実用化研究事業	既に「がん研究10か年戦略」に沿って平成30年度も 革新的がん診断・治療薬の実用化に関する医師主導治験や臨床試験等を実施 しているが、 遺伝子治療等新規治療開発を目指して今後も各がん種に適した治療研究を継続していく。	
②	非臨床試験	<ul style="list-style-type: none"> ■ 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）を参考に研究を推進 	AMED ・ 難治性疾患実用化事業 ・ 革新的がん医療実用化研究事業	既に 実用化段階に移行する研究開発課題においてはPMDAの対面助言を受けその結果を研究開発計画に反映することとする等、PMDAの対面助言等を参考に研究開発を推進 しており、引き続き実施していく。	厚労省
③	応用研究	<ul style="list-style-type: none"> ■ 適切な動物モデルでのPOC取得 	AMED ・ 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	今後、 適切な動物モデルを用いて非臨床POC取得等を目指すアカデミア発の革新的なシーズに対する支援を強化 するとともに、関係省庁と連携して研究の 早い段階から遺伝子治療の実用化を見据えた課題管理を行う ことにより、シーズ研究の成果を円滑に実用化へ繋げる。	文科省
			AMED ・ 難治性疾患実用化事業 ・ 革新的がん医療実用化研究事業	既に 実用化にむけた開発段階において必要な場合は非臨床POCの確立を成果として求めており 、引き続き成果として求めていく。	厚労省
④	基礎研究	<ul style="list-style-type: none"> ■ 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の実施 ■ 基礎研究フェーズにおけるシーズの円滑な吸い上げ 	AMED ・ 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	今後、 特許取得等を目指すアカデミア発の革新的なシーズに対する支援を強化 するとともに、関係省庁と連携して研究の 早い段階から遺伝子治療の実用化を見据えた課題管理を行う ことや、PS・POの目利きを生かした優れた基礎研究の成果の吸い上げを行うことにより、シーズ研究の成果を円滑に実用化へ繋げる。	文科省

AMEDにおける遺伝子治療の研究開発 <汎用性のある技術開発研究>

課題		対策案		担当
⑤	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)	AMED <ul style="list-style-type: none"> 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業(～平成30年度) 新規事業(平成31年度～) 	既に 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業(～平成30年度)において新規ウイルスベクター技術の開発を推進 しているが、平成31年度以降は、 次世代医薬品等の創出に係る革新的基盤技術の開発を行う新規事業において、より多様な医療応用に向けた遺伝子治療用ベクターとその利用技術の開発(ウイルスベクター等の細胞への運搬技術等)を検討 する。	文科省
⑥	新規ゲノム編集技術、新規発現制御技術の開発(遺伝子修復機構等の研究を含む)	AMED <ul style="list-style-type: none"> 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業(～平成30年度) 新規事業(平成31年度～) 	既に 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業(～平成30年度)においてCRISPR-Cas9の高機能化を推進 しているが、平成31年度以降は、 次世代医薬品等の創出に係る革新的基盤技術の開発を行う新規事業において、より多様な医療応用に向けたゲノム編集技術等の更なる高度化(小型化、オフターゲット回避などの酵素エンジニアリング技術、点変異の修正技術等)を検討 する。	文科省
⑦	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	AMED <ul style="list-style-type: none"> 医薬品等規制調和・評価研究事業 厚労省 行政	「ゲノム編集を利用した遺伝子治療用製品の安全性評価に関する研究(平成28-30年度、代表研究者:内田恵理子)」と、「遺伝子治療におけるカルタヘナ法第一種使用規程の考え方に関する研究(平成28～30年度、研究代表者:小野寺雅史)」を実施 している。これらの研究成果を踏まえ、 平成31年度中を目途に遺伝子治療用製品開発に関わるガイダンス等を策定する予定 である。また、平成31年度以降も技術の進歩を踏まえつつ、遺伝子治療用製品開発の参考となるガイダンス改定案等の検討の研究を実施する予定である。	厚労省

AMEDにおける遺伝子治療の研究開発 <インフラ整備に係る研究>

課題		対策案	担当	
⑧	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)	<p>AMED</p> <ul style="list-style-type: none"> 新規事業(平成30年度調整費、平成31年度～) 	<p>・ベクター製造は、異分野の業界による多段階の工程が必要な融合技術であるため、必要な要素技術を開発し、結集させることで、高価格化しがちな新規モダリティである遺伝子治療分野において、高品質で安価なベクター製造技術の開発を目指す新規事業を検討する。</p> <p>・具体的には、産業界が有する、又は今後整備するGMP設備に技術移転出来るレベルの高品質ベクター製造プロセスを確立するために、総合的な戦略や推進方法を検討する産学官連携の協議会を設置・運営しながら、異分野の業界やアカデミアが参加するオープンラボでの研究開発を早期に開始する。</p>	経産省
		<p>AMED</p> <ul style="list-style-type: none"> 創薬基盤推進研究事業 		<p>・本分野の人材は不足していることから、AMEDがバイオ医薬品(抗体医薬品、遺伝子治療用ウイルスベクター等が対象)の生産技術等に関わる人材育成プログラム開発事業を公募済みであり、専門人材育成を視野に入れた人材育成に資する教育プログラムを作成する予定</p>
⑨	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	<p>AMED</p> <ul style="list-style-type: none"> 上記新規事業(平成31年度～) 	<p>・今後、新規事業においてベクターの最適な培養技術の開発や、高度な品質管理を可能にする精製技術を開発すると共に、解析技術の高度化研究を進めることを検討する。</p> <p>・開発された試験法等を実用化するため、規制部門と連携しながら産業界による安全性試験等の施設整備を加速する。</p>	経産省

その他 <知財戦略>

課題		対策案	担当
⑩	AMED 対象課題	<p><u>実用化促進の観点から、課題内容にあわせ、オープン領域・クローズ領域の設定も含めた知財支援を継続。</u></p> <p>研究開発動向や特許出願等の状況を俯瞰し、課題横断的な知財戦略の分析、情報発信を随時行っているところ、<u>今後、遺伝子治療分野において、課題横断的な知財戦略の分析・情報発信を進める予定。</u></p>	AMED
⑪	AMED 対象課題以外を含む	<p>研究者及び産学連携担当者の知財リテラシー向上のため、AMED対象課題問わず、以下の支援を実施。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ <u>知財セミナー、講演、e-learningの提供</u> ・ <u>知財戦略に関する調査研究結果の提供</u> ・ <u>コンサルタント・リエゾンによる一般的な知財戦略についての相談対応</u> <p><u>シーズ・ニーズマッチングのプラットフォームとして、「AMEDぷらっと」を提供(平成30年4月)</u></p>	
⑫	特許庁事業	<p>知的財産の視点から、出口・活用を見据えた戦略の策定を支援するため、<u>「知的財産プロデューサー派遣事業*」を実施</u>しており、公的資金が投入され、革新的技術の研究開発プロジェクトを推進している大学や研究開発コンソーシアム等へ、研究成果を事業化に結びつける知的財産の専門家を派遣している。</p> <p>*:工業所有権情報・研修館(INPIT)にて、平成23年度から実施。</p>	特許庁

その他 <カルタヘナ法等規制>

課題		対策案	担当
⑬	カルタヘナ法等の運用の合理化	<p>AMED</p> <p>■ 医薬品等規制調和・評価研究事業</p> <p>厚労省 行政</p>	厚労省
⑭	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	<p>薬事承認の申請資料は治験で得られたデータに基づき作成されることが原則である。ただし、<u>臨床研究法の下で実施された臨床研究データの活用については、臨床研究実施基準で定められた内容を踏まえ、今後検討する予定。</u></p>	厚労省

工程表

		平成29年度以前	平成30年度	平成31年度	平成32年度	
AMED における 遺伝子 治療の 研究 開発	個別シーズの研究	①臨床試験フェーズ	①難治性事業／新がん事業(平成28年度～)	①治療効果の大きい課題の優先採択の検討		
		②非臨床試験フェーズ	②難治性事業／革新がん事業(平成28年度～)			
		③応用研究フェーズ	③次世代がん事業(平成28年度～)／橋渡し事業(平成29年度～)／難治性事業／革新がん事業(平成28年度～)等	③非臨床POC取得等を目指すアカデミア発革新的シーズへの支援強化		
		④基礎研究フェーズ	④次世代がん事業(平成28年度～)／橋渡し事業(平成29年度～)等	④特許取得等を目指す革新的シーズへの支援強化		
汎用性のある技術的 研究	⑤遺伝子治療用ベクターの開発	⑤革新バイオ事業(平成26年度～)		⑤新規事業		
	⑥新規ゲノム編集技術、遺伝子発現制御技術の開発	⑥革新バイオ事業(平成26年度～)		⑥新規事業		
	⑦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	⑦規制調和・評価研究事業 研究課題:ゲノム編集の安全性評価(平成28～30年度)				
インフラ整備に係る研 究	⑧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及び関連する生産技術の開発		⑧新規事業	⑧新規事業		
	⑨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		⑧創薬基盤推進研究事業・人材育成プログラム開発	⑨新規事業		
その他	知財戦略	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	⑩各課題に対する知財支援(平成27年度～)	⑩遺伝子治療における知財戦略の分析・情報発信		
		⑩AMED対象課題	⑩知財研修等知財リテラシー向上支援(平成28年度～)	⑩シーズ・ニーズマッチングプラットフォームの提供		
	⑪AMED対象課題以外を含む					
カルタヘナ法等規制	⑬カルタヘナ法等の運用の合理化	⑬規制調和・評価研究事業 研究課題:カルタヘナ法の考え方(平成28～30年度)				
関係省庁の取組	⑦⑬厚労省 行政			⑦ガイダンス等		
	⑫特許庁事業		⑫知的財産プロデューサー派遣事業(平成23～31年度)	⑬カルタヘナ法等手続き簡略化		
	⑭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		⑭臨床研究データの活用に関する検討			