

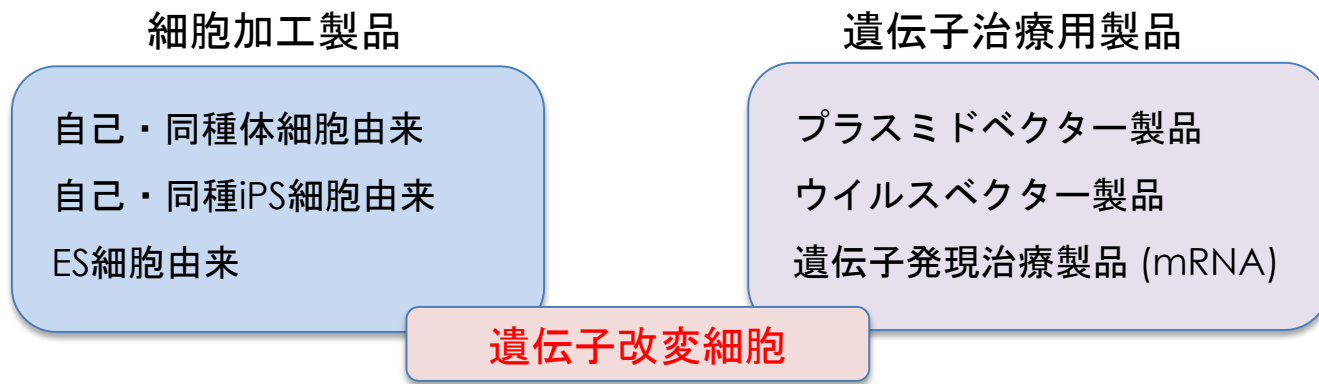
再生・細胞医療と遺伝子治療の融合による新たな価値の創出

図1

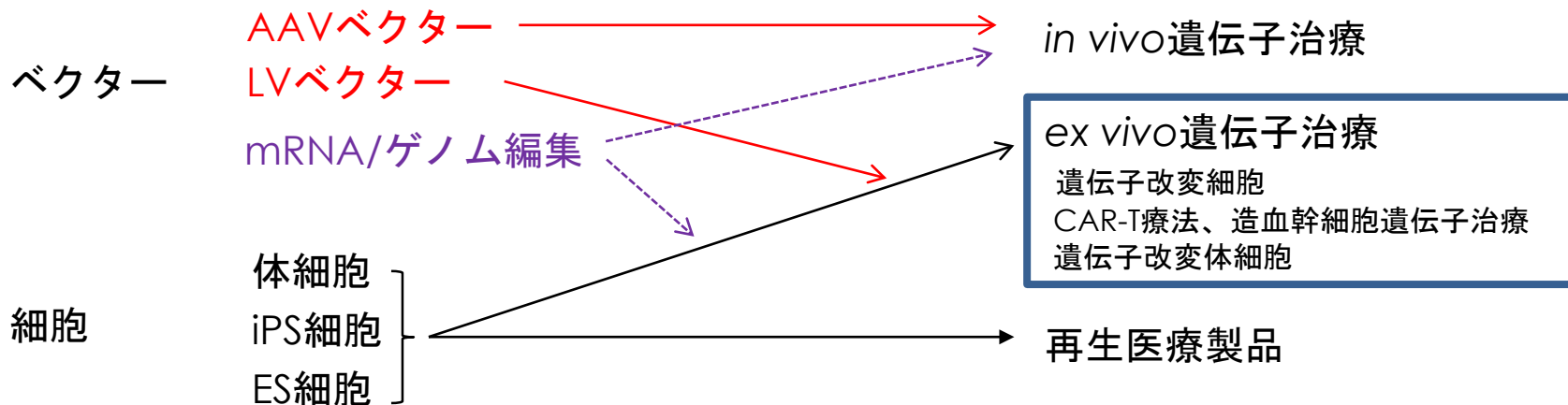
再生医療等製品の分類

第8回再生・細胞医療・
遺伝子治療開発協議会
令和4年5月31日

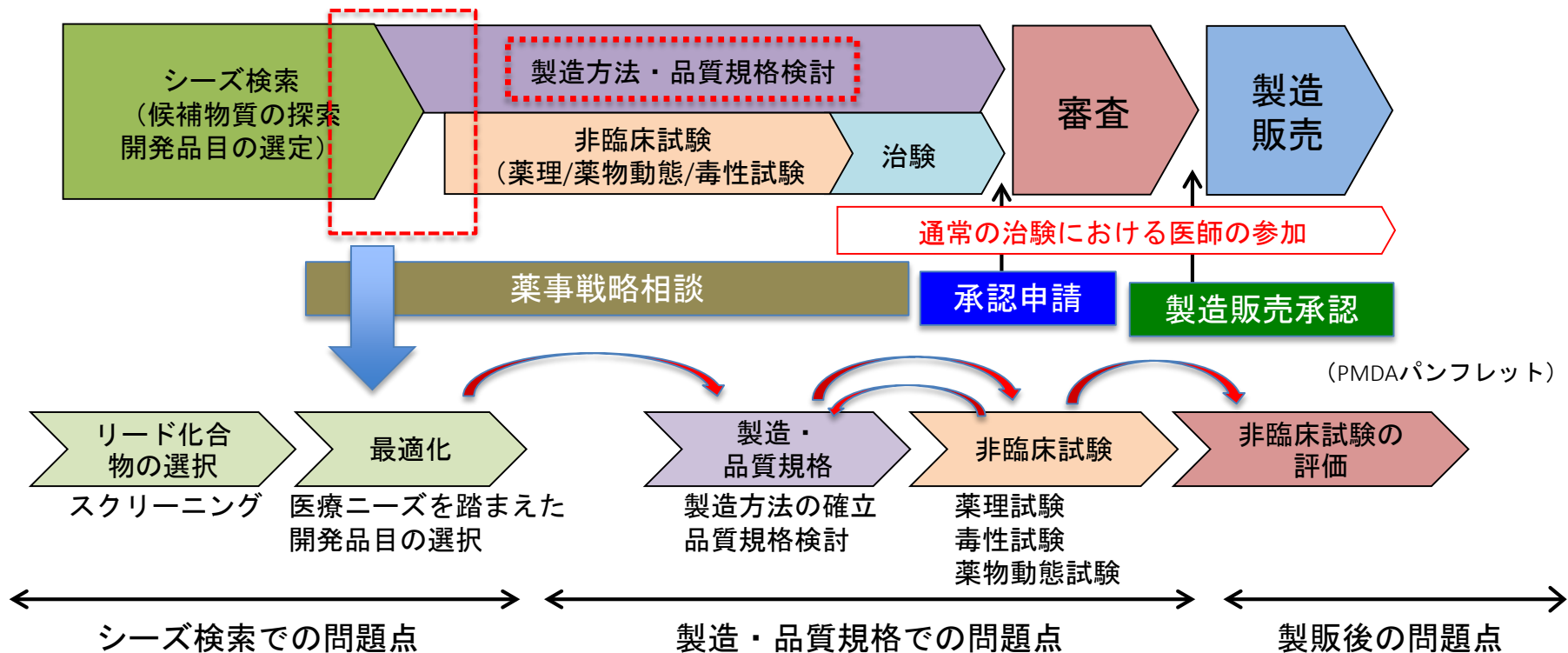
資料1



ウイルスベクターによる製造工程開発を確立し、その方法を細胞医療に応用可能



遺伝子治療用製品の開発工程における課題



アカデミア

- ・ 遺伝子治療での研究者が少なく人材が育たない
- ・ 研究者が医薬品の開発工程を熟知していない
- ・ 信頼性が担保されたデータが取得されていない
- ・ 企業での再現性が取れず開発が断念する
- ・ 期間ベース採択にて研究中途で終了してしまう

製薬企業

- ・ 遺伝子（治療）に馴染みがない
- ・ 再生医療に焦点を当てている企業が多い
- ・ ウイルス（ベクター）の扱いに抵抗がある
- ・ 製造設備投資が高額で手を出せない
- ・ 国内でのバイオベンチャー育成が不足している
- ・ 海外CMOに製造依頼 or 海外CDMOを買収合併する

国内の現状

- ・ アカデミア、バイオベンチャー、大手製薬企業と移行する度に対象とする患者数が増加する
- ・ 製造スケール変更のための製造変更をシームレス化する必要があり、前後の同等性を評価する必要がある
- ・ アカデミアでの製造法は臨床研究など少人数対象であり製造変更における規制概念が定まっていない
- ・ 企業側でとアカデミアの製造法に著しい乖離があり、tech transferが難しく、シームレス化されていない
- ・ 日本語による規制対応にて海外展開が難しい

なお、欧米では

- ・ ベクター製造に関し30余年の経験があり、その基盤が確立
- ・ 製造変更に関する規格設定は規制当局（FDA/EMA）の連携

- ・ 市販後に向けたlarge scaleでの製造法の確立
- ・ カルタヘナ法を含め遺伝子細胞治療拠点病院整備
- ・ 患者登録、治験参加、PMS
- ・ 高額薬価

遺伝子治療用製品開発の全工程を包括的に診断・評価し、 国内で遺伝子細胞治療を実施するための3要項

1. ベクター製造開発支援（AAV、LVベクター等の製造・非臨床試験）
海外規制（FDA/EMA）にも対応した製造工程/特性解析/非臨床試験の開発を行い
 - ・ シーズ開発に関するコンサルテーションの受付
 - ・ 非臨床ベクターの製造及び非臨床試験の充足性の確認支援
 - ・ 臨床ベクターの製造（small scale GMP製造施設の整備）
2. 遺伝子細胞治療臨床開発支援（治験等の実施に向けて）
国内薬事（PMDA）に精通した担当者による
 - ・ 疾患及び対象患者の適合性確認
 - ・ 臨床プロトコル作成支援
 - ・ 倫理・薬事・PMS相談支援
 - ・ 治験モニタリング、監査実施
3. 遺伝子細胞拠点病院（実際の治験実施機関）
対象疾患に精通し、標準的/先進的/集中治療が行える総合医療機関で
 - ・ カルタヘナ法を含めて遺伝子治療用製品の適切な管理・使用
 - ・ 拠点病院としての事務能力を有し、国内外の情報を適切に収集、評価、対応
 - ・ 遺伝子治療に関する専門的な知識を有する医療スタッフが在籍
 - ・ 遺伝子治療に関する教育的機能を有し、得られた情報・知見を広く公開