

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109074h0003
研究開発課題名 : 網膜色素変性に対する視細胞保護遺伝子治療の実用化に関する研究～医師主導治験への移行を目指した研究～
研究代表機関名 : 国立大学法人九州大学
研究開発代表者名 : 池田康博

評価委員会のコメント :

○評価できる点、推進すべき点、研究事業にとって必要である理由

ステップ1の目標である医師主導治験の準備は完了できたようである。

計画通りに研究が進められた。ステップ2への見通しを持っている。

ベクターそのものも国内で産み出されており、日本発の創薬として国内外の医療に貢献できることが期待される。

網膜色素変性症に対する遺伝子治療の研究開発を着実に進めた。

網膜色素変性に対する視細胞保護遺伝子治療のための準備が着々と進んでおり、非臨床試験、臨床第I相試験が終了し、医師主導臨床治験が始まる準備が出来上がった。PMDA RS 戦略相談も進んでおり、企業導出の方向性もありそう。

国際的に見ても重要な開発課題である。

網膜色素変性症に対する視細胞保護遺伝子治療薬の国内製造体制を確立した。

すでに非臨床のデータをそろえており、治験に関する相談もPMDAとほぼ完了できており、次年度に開始できる見込みが高い。

順調に進捗しており、評価できる。

非臨床試験は完了し、cGMPグレード治験薬製造、治験プロトコルについて期限内目途が立っている。

既に臨床研究でヒトへの投与が行われており、またPMDAから求められた追加の安全性試験も実施され、安全性が確認されている。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

有効性に関するバイオマーカーは得られていないようである。

栄養因子で、進行抑制でしかないため、効果の判定が難しいことが懸念される。

治験期間が長くなることから、脱落のリスクがある。

重症者には効果が得られないとのことであるが、効果の得られる対象者で既存の治療との比較が必要。また、治験対象のスクリーニング法や体制作りについても示されていない。

有効性やこの遺伝子治療の強みがまだ明確でない点であるが、この点については治験を実施してみないとまだわからない部分が多いのかもしれない。

プレゼンをする時に、評価をする委員は、今回の話を初めて評価する委員もいるので、これまでの研究の鍵となるデータ（有効性など）も含めてほしい。

臨床研究では有効性が確認されていない。遺伝子治療で原因遺伝子を治療する目的ではないので有効性を得ることは難しいかもしれない。

以上