

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109077h0003
研究開発課題名 : 分子病態に基づく神経変性疾患の遺伝子治療開発
研究代表機関名 : 学校法人自治医科大学
研究開発代表者名 : 村松慎一

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の目標はほぼ達成できたようである。

支援期間中に製造サイトやセルバングの変更を行うこととなったが、計画立て直しを経て、研究を継続している。

ほぼ、計画通りに進められた。次のステップへの進展が期待できる。

ターゲットが明確であり治療効果が期待される。

ALSに対する遺伝子治療の研究開発を着実に進めた。

地道に方法の改良を進めている。

使用する医薬品の収率が低い問題は解決しつつある。治験プロトコルに関するPMDAとの話し合いは継続中である。

末梢血管からBBBを超えて中枢神経系に移行するAAVベクター系を開発したことは高く評価できる。

ベクター製造段階で生じた問題を克服でき、医師主導治験へと進める形にまで達成できている点。

ウイルス製造のコンタミでは進捗が遅れたが、その他は順調に進捗しており評価できる。

AAVベクターの大量製造ができるようになったこと、治験に向けた様々な準備が進んでいることは評価できる。

開発の困難な遺伝子治療の治験に向けて順調に進んでいる。

本研究対象疾患以前に、遺伝子治療の実施経験がある点。他施設による自然歴研究との連携が行なわれている点。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

ベクター培養方法の改良に時間を要したようである。

試験用製剤の製造収率などは、本来ならばもっと前の段階で確認すべきことであったと思われる。結果として本支援機関の間ではステップ1で求められる非臨床試験は終了できず、先送りとなっている。

GMPベクター製剤の製造に失敗し、現在、改良した方法で製造中。

使用する医薬品の再製造に取り掛かっており、進捗が遅れている（バキュロウイルスの混入などにより）。

進捗が遅れている。

ベクター製造の遅れにより、治験薬の品質・安全性試験が終了していない。

大量生産体制の確立が順調にいくかどうかはまだ未知数。

製造工程の特性解析試験、治験薬の品質試験、非臨床安全性試験など、研究実施の遅延が予測される。

以上