

事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109194h0002
研究開発課題名 : 遺伝子治療用 AAV ベクターの GCTP 基準受託製造施設の整備
研究代表機関名 : 株式会社遺伝子治療研究所
研究開発代表者名 : 川瀬雅子

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

ほぼ計画通りに遂行できている。

タカラバイオの問題点を改良、先に進んだ。

計画に従って進められた。

基本技術はすでに確立されている。

遺伝子治療用 AAV ベクターの受託製造体制の整備を進め、GCTP 施設適合性調査を待つ段階まで進めている。

ベクター受託製造施設の稼働という最終目標は達成できている。

本課題は、日本における今後の臨床用 AAV ウイルスベクター供給体制を広げるためには重要である。

効率を大幅に向上させ、世界水準に近づけ、素晴らしい成果を達成した。今後も更なる発展が期待される。

欧米での標準となる 200L 培養槽を用いた遺伝子治療用 AAV ベクター製造機器類を設置し、「再生医療等製品製造業」の許可申請を完了した (PMDA による実地検査待ち)。試験製造において最終的な工程 SOP の確認を行い、2018 年 1 月から GCTP 基準での運用を開始できる見込みである。品質管理体制については経験者の採用を行い、品質管理の SOP を含め年内完成を目指されている。2018 年 1 月以降、自社開発品 (ALS 等 4 疾患で計 8 バッチ) のみならず、受託製造 2 社 (各 1 バッチ) が内定しており、受託製造体制も準備が進んでいる。順調な進捗である。

AAV ベクターをバキュロウイルスベクターを利用して 200L 培養槽で大規模に製造可能な施設は日本にはこれまでなく、臨床用 AAV ベクターの受託製造が可能な体制が整備されたことは喜ばしいことである。

国内初の GMP200L reactor による ALS 治験薬製造にこぎつけた。

○疑問点、改善すべき点、その他助言等

タンクが 1 つという点はリスクかと思う。

まだシングルユースの状態。

将来的な受託の見込みが不透明。

製造効率が向上したとはいえ、米国に比べて低い。治験段階は良いとして、上市品が得られた際にも、同じ施設で製造することに懸念がある。

タンクが一つしかないため、一旦、トラブルが起こったときが問題となる。リスクマネジメント体制の確立が問題。

未だ体制及び体力もかなり弱いと考えられる。

今後の自社開発製品、及び、受託製造のための最低限の水準を達成したが、欧米での最先端の水準にはまだ到達できていない。

今後さらなるベクター収量の改善と、AAV2, 9 とは標的組織が異なる他の血清型の AAV ベクターを受託製造可能な体制の整備が望まれる。

今後の開発を考えるとまだ足りない。本人の責任ではない。

以上