

医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）中間評価結果

1. 中間評価を実施した課題

課題名	血友病 B に対する遺伝子治療用製品の研究開発
代表機関	田辺三菱製薬株式会社
公募型	一般型
公募タイプ	研究開発タイプ

2. 本課題の概要

血友病 B は血液凝固第 IX 因子遺伝子変異が原因となって発症する遺伝性出血性疾患であり、国内に約 1,100 名の患者が存在する。血友病 B 患者には凝固因子製剤の定期補充療法が幼少期から行われているが、週 1～2 回の静脈注射が生涯必要であり、多大な負担となっている。

本課題は、遺伝子治療により正常な血液凝固第 IX 因子遺伝子を患者体内に導入して血友病 B の根治を目指すものであり、特に新規ウイルスベクターを使用することで従来に比べ、より遺伝子治療を容易にする技術を開発するものである。

3. 評価結果

研究開発等の進捗状況及び今後の見込みについて評価した結果の概要を以下に示す。

「他社競合薬に対する明確な優位性が認められず、今後の研究開発戦略の見直しが必要な状況であるとともに、代表機関自身が事業化に必要な最低基準を達成できなかったと判断していることから、開発継続は困難と考える。」

以上、研究開発実施計画書にもとづき、進捗を確認した結果、本課題の継続を不可と評価した。

以上