

## 医療研究開発革新基盤創成事業（GiCLE）課題の中止について

参天製薬株式会社の研究開発課題に対し、下記のとおり課題の中止を承認しました。

### 記

#### 1. 中止を承認した課題

|       |                        |
|-------|------------------------|
| 課題名   | 遺伝性眼科疾患に対する遺伝子治療薬の研究開発 |
| 代表機関  | 参天製薬株式会社               |
| 公募型   | 一般型                    |
| 公募タイプ | 研究開発タイプ                |

#### 2. 事業における実施内容

本提案の目的は、日本人の視覚障害及び失明の原因疾患として第3位であり、指定難病の一つである網膜色素変性症において、日本人患者に多い変異遺伝子に対する遺伝子治療薬を研究開発することである。

本課題では、治療遺伝子を搭載したウイルスベクターの作製を行い、非臨床試験、Phase1/Phase2 試験を実施する。

#### 3. 評価結果

本研究のコンセプトを検証する実証実験を実施した結果ウイルスベクターによる網膜視細胞への遺伝子導入が確認できず、本コンセプトに従った研究開発の継続が困難である状況を踏まえ、代表機関が会社経営上の方針で本課題の中止を申請しているものであり、本課題の中止は妥当であると判断した。

以上