

医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）課題の中止について

1. 中止を不承認とした課題

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

本課題は、血液凝固第 IX 因子（FIX）遺伝子変異が原因となって発症する血友病 B を遺伝子治療により治療する技術を開発するものである。具体的には、有効性を高める手段として新規ベクターによる遺伝子治療用製品や投与方法を開発し、臨床試験で効果を確認する。本開発により、血友病 B 患者は生涯にわたる週 1~2 回の静脈注射から解放され、QOL の改善に大きく貢献することが期待される。

3. 評価結果

本研究開発の対象としたベクターについての各種条件検討が十分とは言えず、また、継続して当該ベクターの優位性を追求する価値があることから、中止は妥当ではない。

以上