

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム
再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題
研究開発課題評価(令和7年度実施)
中間評価結果報告書

研究開発課題名	遺伝子治療研究の実用化促進に向けた研究者製造施設マッチング整備
代表機関名	東京大学 医科学研究所
研究開発代表者名	岡田 尚巳 教授

1. 研究概要

(1)各研究開発課題へのマッチング支援

非臨床 PoC 獲得および将来の臨床研究や治験に向けた製造技術開発への支援体制を構築する。主に非臨床 PoC 取得段階となる課題を対象とし、必要とする治療開発用ベクターの適切な製造先が見つからない研究開発課題の相談に応じる。製造条件の検討に対する助言、GxP(GMP、GCTP 等)対応可能な製造受託機関を紹介・仲介する。

(2)実用化支援

支援対象課題の非臨床 PoC 取得、前臨床試験の実施を目指し、本課題で非臨床 PoC/安全性試験に使用する非臨床試験用ベクターを安価で迅速に提供できる体制を整備する。支援課題の試験製造等を行う発注先との調整・連携を行う。

(3)調査・研究開発

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム内の各研究開発課題のベクター製造に係るニーズ調査を行う(シーズを研究するアカデミア側、試験製造及び製品製造の受け手となる企業・産業界側双方のニーズ)。国内外 CDMO 等の最新の受託製造機関の性能・仕様や製造実績、設備投資等の動向などの各研究開発課題への支援等に必要な調査研究を行うとともに、ベクター製造に必要な条件について第三者として再現性の検証等を行うための一次的な実験を行う。

2. 評価結果

代表機関を中心に専門人材が効率的に連携した支援体制を構築し、円滑な技術移管を意識して企業との連携を進めている点、複数の研究課題に対して試験製造に係る伴走支援を行った点、その実務遂行に伴いノウハウを蓄積した点は高く評価される。代表機関や分担機関と異なる研究機関の研究開発課題に対してもベクター製造に関する相談対応、GxP 対応の受託機関紹介などの試験製造支援を実施している。国内外 CDMO に関する情報収集、分析について適切に実施している。支援課題 D-1.「細胞製造支援課題」との協力により製造や規制対応の幅広い伴走支援を展開し、一般社団法人バイオロジクス研究・トレーニングセンター(BCRET)との連携を通じた人材育成も実施している。本支援事業終了後の持続性の確保に向け、法人の設立も検討されている点は高く評価される。今後、考案されている支援モデルの実現性をいっそう高めるため、将来の GMP 製造コストの低減策の検討をさらに進めるとともに、伴走支援対象課題数を拡大し、我が国の遺伝子治療の底上げに貢献していくことが期待される。