

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  | 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化加速に向けたウイルスベクター製造・提供基盤整備に関する研究開発 |
| 代表機関名    | 大阪大学  |
| 研究開発代表者名 | 岡崎 利彦 病院教授  |

## 1. 研究概要

遺伝子治療の実用化において使用するウイルスベクターの供給不足が我が国の大きな課題となっている。本研究では ex vivo 遺伝子の実施に頻用されるレンチウイルスベクター並びに in vivo 遺伝子治療として有望なモデルティーターである AAV ベクター等を含めて、我が国の製造インフラ整備の遅れを解消し、非臨床試験～早期臨床試験の実施に必要な少量で多品目の治験薬を迅速に提供可能な体制を構築することを目的とする。研究者との早期からの伴走体制により、基礎研究の段階から将来の商用生産を見据えて、製薬企業等とも連携を図りながら効果的な技術移転を推進する。また海外展開を念頭に、グローバル規制を見据えた製造・品質評価法を確立させる。医工連携による強固な基盤体制のもと、未来医療センター及び共創機構との連携により薬事戦略、知財管理、規制対応、企業導出に至るまで万全の協力体制で取り組むことで、我国最高レベルの製造開発基盤体制の構築を目指す。遺伝子治療を担う高度技術者の人材育成は急務であり、本課題により人材育成に向けた実効性のある取り組みを実践する。本課題により整備される製造体制は、自国開発の促進で治験薬の供給問題・高額薬価等の課題を解消し、そこに関連する製造・品質評価機器や消耗品のサプライチェーンを担う国産周辺産業の需要及び成長と相まって経済的メリットは多大である。

## 2. 評価結果

遺伝子治療の非臨床・早期臨床試験に必要な少量の GMP 準拠ウイルスベクターの供給体制の確立に向けて、ウイルスベクター製造基盤施設の改築が完了し、カルタヘナ 2 種対応、SOP 整備などの施設要件を満たした、体制整備も実施されている。レンチウイルスや AAV ベクターに関して製造プロセス開発や品質試験系を確立し、品質保証体制を整備している。人材育成においても一定の進展がみられる。関連学会やセミナーで本事業について積極的に情報発信している。今後、代表機関以外の研究機関に対する伴奏支援の拡大が必要とされる。レンチウイルスや AAV ベクター製造支援について、目標支援数に向けて、対象や時期を具体化し、達成していくことが期待される。本事業の終了後を見据え、持続可能な体制を検討することが望まれる。