

## 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. 中止を承認した課題

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	田辺ファーマ株式会社
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(FIX)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 FIX 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製品を開発するものである。

### 3. 評価結果

代表機関が会社の方針で本課題の中止を申請したことに対し、以下のように中止は妥当であると評価されたため、当機構は本委託研究開発の中止を決定した。

#### [評価結果概要]

本研究開発の対象としたベクターは、マイルストーンに設定した非臨床目標（先行品に対する優越性）を達成できなかった。本ベクターの技術的限界と競合薬の進展を踏まえ、血友病 B 遺伝子治療薬の開発は断念するとの会社判断は妥当である。

以上