

第8回遺伝子治療シンポジウム の報告

近畿バイオインダストリー振興会議が主催し、近畿経済局と日本遺伝子治療学会が後援する第8回遺伝子治療シンポジウムは平成22年2月5日(金)午後1時より千里阪急ホテル(大阪府豊中市)において開催された。今回のテーマは“我が国における遺伝子医薬品承認に向けての課題と取り組み”である。参加者は約120名で今回は特に企業からの参加者が多かった。

まず主催者の近畿バイオインダストリー振興会議の清水理事長、後援の日本遺伝子治療学会の金田理事長の挨拶があった。

第1部は国内外の現状と題して、小澤健夫氏(POC クリニカルリサーチ・社長)が“遺伝子医薬品の国内外の現状”をテーマに話された。現在Phase IIIに新たに7件の遺伝子治療が入っていること、眼科領域の疾患(先天性黒内障)が加わったこと、遺伝子医薬品として申請されているp53 遺伝子搭載 Adenovirus vector (USA), HGF (Japan), HSV-tk 遺伝子搭載 Adenovirus vector (Crepro®) (EU)があるが、Crepro®の申請が却下されたこと、などが紹介された。また治験に入るまでの時間を短縮させるために臨床研究のときに医薬品審査も盛り込んだ申請が望ましいのではないかという提言もあった。

山口照英氏(国立医薬品食品衛生研究所・部長)は“遺伝子医薬品についての各国の規制当局の現状”と題して話された。日米欧の医薬品規制調和会議(ICH)内での、ウイルスベクターや腫瘍溶解性ウイルス規制に対する見解、ICH内にGene Therapy Discussion Groupの設置などが紹介された。

第2部は“遺伝子治療臨床研究申請の問題点”として臨床研究を進めてきた4名の演者からの講演である。

最初は藤堂具紀氏(東大医学部付属病院・特任教授)が“我が国におけるウイルス療法の臨床開発”と題して、自身で新たに開発された腫瘍溶解性の第3世代遺伝子組み換えヘルペスウイルス(G47Δ)を用いた悪性グリオーマの遺伝子治療臨床研究の経過について紹介された。また我が国の遺伝子治療審査においては、厚労省による臨床研究の審査と医薬品機構による治験薬の審査の2本立てになっているので、臨床研究と治験の一本化を進めて円滑で効率の良い審査体制にしてほしいという提言や、企業参画の初期リスクをなくすための国策の必要性を語られた。

後藤章暢氏(兵庫医科大学・教授)は前立腺がんに対して前立腺特異的オステオカルシンプロモーターを用いたアデノウイルスベクターによる自殺遺伝子治療の開発経験を語られ、現在申請中の臨床研究と合わせて、大学における審査体制の較差、ベクター製造の困難さなどを紹介され我が国の遺伝子治療推進体制に対する問題提起をされた。那須保友氏(岡山大学・教授)は岡山大学において自身が推進された2つのがん治療臨床研究を総括され、岡山大学におけるトランスレーショナルリサーチ、臨床研究、臨床治験の推進のための産学連携拠点であるICONTや岡山大学発の新規治療遺伝子REICを用いた癌治療臨床研究の申請についても紹介された。

小野寺雅史氏(国立成育医療センター・部長)は“いかに遺伝子治療用臨床ベクターを用意するか”と題して、遺伝性疾患の遺伝子治療の国内外の現状を紹介され、今後の方針を提言された。その中で、副腎白質ジストロフィーの遺伝子治療は、脱髄の発症前から治療を開始して効果が期待できること、慢性肉芽腫症では患者が少ないので国際共同研究として施行されている取り組み、および Wiscott-Aldrich 症候群の遺伝子治療ではフランスにおけるNPO団体がdonationで資金を集めている現状などが紹介された。日本においては遺伝子治療学会と医薬品機構や食品衛生研究所間の実質的な連携が今後必要であると述べられた。

第3部は“遺伝子医薬品開発の現状と要望”と題して、まず須田浩之氏(アンジェスMG社・部長)がHGF プラスミドの承認取得に向けた取り組みについて話された。特にPhase IIIでの患者数の確保が難しかったが、結局は臨床医個々への個人的な依頼が最も効果的であった現実を紹介された。

次いで臨床医の立場から、安部井誠人氏（筑波大学・准教授）が、治療学の主体は患者であるという立場から、従来の医薬はリスクを伴う現実を前提として開発されてきたので、遺伝子治療を特別に危険なものともみなすべきではなく、リスクのない理想を前提として評価すべきでないことを強調された。

第4部は今後の進め方ということで、パネラーと司会者が壇上にあがりフロアとのパネル討論を行った。フロアからの質問や提言が多くパネラーとの間で熱い議論がかわされた。特に印象に残った発言を紹介する。

- ・臨床研究をやって治験に入るという二重のステップが無駄のように思えるので、一本化できないか？
- ・現状では臨床研究と治験の一本化はできないが、審査の円滑化のためには臨床研究から治験レベルの申請内容やデータマネージメントを要求するような質の高い臨床研究を進める姿勢が望ましい。特に全国のTR拠点ではそのようにすべき。
- ・遺伝子治療を進めて遺伝子医薬品を開発していくためには、資金や人材、設備が必要なことは今に始まったことではないが、それに加えて国際的なネットワークが必要だろう。国際的に歩調を合わせて進めるような臨床研究、治験を行うような体制が望ましい。そうすれば我が国の難渋な審査体制が少しは和らぐのではないか？
- ・ベクターの製造拠点は作りすぎないこと。維持は難しい。いずれ企業に譲り渡すような方向性を持つべき。
- ・知財の海外流出を防いで日本独自の遺伝子治療を推進するためには産学連携が大切なのは言うまでもない。日本の企業は海外ばかりにしか目を向けていないといわれるが、そうでもない企業も多い、リスク覚悟で将来の投資を考えている企業もあるのだから、学のほうも積極的に協力体制を求めべき。
- ・将来の投資と思って遺伝子治療をはじめとする先端医療に協力する方向性は確かに日本の企業にある。しかしそのためには、しっかりした知財を確保してもらいたい。アカデミアがオリジナルな研究成果をもとに強い特許をもってれば企業は協力するのはやぶさかではない。
- ・稀少疾患の遺伝子治療には企業は手を出さないことが多い。Donation system を作ってその資金をもとに別枠で進める体制も必要だろう。
- ・本日の議論に出たことは、10年以上前にOrkin-Motulsky panel report が出て、当時の遺伝子治療の総括が行われた時にも、今後の必要性として議論に出ている。それが今も出てくることは、いかに進めるべきかという戦略や戦術が皆無だった、あるいは間違っていたといえるだろう。今後は遺伝子治療の実現に必要な体制の構築のために、どうやって解決していくかという戦略を練る必要があり、それを実行に移す行動力が求められる。日本遺伝子治療学会がその一端を担って推進すべきであろうことは間違いない。

以上、フロアから予想以上に多くのしかも的確な指摘や意見をいただくことができたことはうれしい誤算であった。今後もこのような議論を続け、その中から少しでも行動に移していくべきであると感じた。

最後に、第16回日本遺伝子治療学会の会頭である小澤敬也氏（自治医科大学・教授）から今年の7月1-3日に宇都宮で開催される日本遺伝子治療学会の準備状況の紹介がなされた。

すでに準備も整い、海外からの演者やアジアセッションも決まり盛会が期待できそうである。今年からタカラバイオグラントが設けられたというアナウンスもあった。

予定時刻を30分超過して、午後6時40分に終了した。

（報告者：日本遺伝子治療学会理事長 金田安史）