

# 第10回

## 日本バイオベンチャー大賞

### 日本バイオベンチャー奨励賞

#### 株式会社遺伝子治療研究所

自治医科大学の村松慎一特命教授(当社取締役)が創製したアデノ随伴ウイルス(AAV)ベクター技術を基盤とし、主に中枢神経(CNS)領域の疾患に対するin vivo遺伝子治療の実用化を目的とするバイオベンチャー。

AAVベクターは、治療用目的遺伝子を高い効率で神経細胞に導入することができ、また安全性も高いため、近年欧米を中心とした研究チームが臨床応用に取り組んでいる。

村松教授は、CNS疾患に対する遺伝子治療研究の先駆者であり、脳や脊髄に効率的に遺伝子導入するための独自の改良型AAVベクターの開発に成功している。

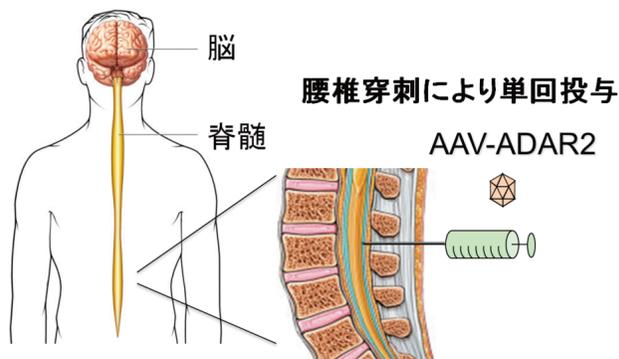
現在、パーキンソン病、AADC欠損症、筋萎縮性側索硬化症(ALS)、アルツハイマー病、脊髄小脳変性症1型を対象とした5品目の遺伝子治療用製剤の薬事承認を目指した開発を行っている。これらは全て、単回投与で長期間の効果発現を期待するものである。

川崎市内の製造施設は200Lの培養槽を備え、AAVベクターのGMP製造を目指す。同規模のバキュロ製法によるAAVベクターの製造開発は、日本では初めてとなる。この開発が完了すれば、AAVベクターに搭載する目的遺伝子を容易に変更して、様々な疾患に対する遺伝子治療薬の製剤開発を迅速かつ低コストで行う事が可能となる。

#### 主な開発パイプライン

対象疾患	共同研究先	基礎研究	非臨床研究		臨床研究 (ヒトでの POC確立)	製造・品質開発 セルバンク・ システム開発 製造方法開発	薬機法承認手続き			
			安全性試験 薬効薬理試験 (マウス)	安全性試験 (ブタ、サル)			前臨床試験	第I/II相 臨床試験	第III相 臨床試験	
筋萎縮性側索硬化症 (ALS)	自治医科大学 東京大学医学部大学院 東京大学医科学研究所	完了	完了	完了	完了	完了	2017	2018	2020	
AADC欠損症	自治医科大学	完了	完了	完了	完了	完了	2017	2018	2020	
パーキンソン病	自治医科大学 東京大学医科学研究所	完了	完了	完了	完了	完了	2017	2018	2020	
アルツハイマー病	自治医科大学 東京大学医科学研究所	完了	完了	完了	完了	完了	2018	2019	2021	
脊髄小脳変性症 (1型)	自治医科大学 東京医科歯科大学 北海道大学	完了	完了	完了	完了	完了	2017	2018	2019	2021

#### 孤発性 ALS に対する遺伝子治療 (AAV ベクターの髄腔内投与)



#### 会社概要

設立 2014年5月16日  
 本社 〒210-0821 神奈川県川崎市川崎区殿町三丁目25番22号  
 ライフイノベーションセンター414  
 TEL : 044-589-5900  
 資本金 147.5百万円  
 代表取締役 浅井 克仁 氏