

新しい遺伝子治療用／蛋白質性医薬品の創製に向けて —産業化に際して考慮すべき指針等—  
Guidelines to be Considered on Innovative Development of Novel Gene Therapy/Recombinant  
Protein Products

○永田 龍二<sup>1</sup>(<sup>1</sup>国立衛研・遺細)

遺伝子組換え技術、蛋白質工学、動物育種・繁殖技術などの先端技術や生命科学の急速な進歩を踏まえて、わが国においても、創薬や医療技術の新たなシーズとなり得る基礎的／基盤的研究成果が多くの研究実験室から続々と生み出されている。これら最先端の研究成果を画期的な医薬品・医療技術として結実させ、実際に医療現場で用いられるようになるまでの開発過程においては、薬学分野にかぎっても、医薬品等の品質評価・管理、産業規模に至るまでの製造方法、感染性物質の混入に対する安全性、動物等を用いた安全性評価、薬効の裏付け、体内動態など様々な点について検討する必要があるが、例えばヒトと動物間での種差の問題や産業化に伴う経済的問題も含めて、開発には種々の困難を伴うことも事実である。実験室における先端科学技術の成果をシーズとして、優れた医薬品・医療技術を迅速かつ効率的に開発し、科学技術の恩恵を最も望ましい形で国民に還元するためには、関連する指針等の十分な理解が重要となる。指針類は、新たな医薬品や医療技術を1日でも早く国民のもとに提供するための流れをより適正、円滑に推進することを目的としており、開発にあたっての望ましい考え方やアプローチ法、適切な試験項目やその方法、作成すべきデータなどについて示したものである。

本講演では、新しい医薬品の創製に向けた産業化の現状を概説すると共に、遺伝子治療用医薬品や蛋白質性医薬品を例にとり、産業化に際して考慮すべき指針等について説明したい。