

# 事後評価報告書

開発実施企業 : 桃太郎源株式会社  
代表研究者 : 新見公立大学 学長 公文 裕巳  
(元 岡山大学 大学院 医歯薬学総合研究科 教授)  
研究開発課題名 : がんワクチン機能を有する遺伝子医薬

## 1. 研究開発の目的

本新技術は、がん細胞内で発現すると小胞体ストレスからアポトーシスを起こす REIC 遺伝子を元に、REIC 遺伝子を導入した非増殖型アデノウイルスベクターを遺伝子治療薬とするものである。

本新技術では、遺伝子の超高発現を実現する新規な増殖系を用いて、当初開発した Ad-REIC 製剤（第 1 世代）の 1/10 のウイルスベクター量で同等の効果を實現する第 2 世代の製剤を開発し、ヒトへの適用を検討する。本開発により、難治固形がんを対象とした遺伝子治療薬を實現することが期待される。

## 2. 研究開発の概要

### ① 成果

本開発では、第 2 世代 Ad-REIC 製剤の GMP 製造、および、日米での臨床研究・臨床試験の実施を行った。GMP 製造は当初想定した大量生産に向く方法では製造できなかったものの、別の方法で米国の臨床試験には十分な量の製造を行った。一方、臨床については、日本国内での臨床研究は実施できなかったものの、米国において臨床試験（First In Man）を実施し、最低ドーズの投与例でもがん縮小の効果が得られた。

### ② 今後の展開

日本国内では、岡山大学および桃太郎源株式会社の成果を受け、杏林製薬株式会社が JST の産学共同実用化開発事業（NexTEP）のもと「悪性胸膜中皮腫を対象とする遺伝子治療用医薬品」として採択されて開発を開始した。また、桃太郎源株式会社も米国に別会社を設立し、その会社において引き続き臨床試験を行う予定である。

## 3. 総合所見

GMP 製造の面で当初掲げた開発目標を達成したとは言い難いが、米国での臨床試験において低ドーズでも有効症例が得られていること、杏林製薬株式会社が開発を開始したことなどから、事業化に向けたマイルストーンを達成したと判断する。

ただ、今後の本 Ad-REIC 製剤の開発を考えると、開発実施企業が作用機序を理解し、説明できることが必須であり、開発実施企業には真剣に取り組んでいただきたい。また、GMP 製造についても、今後の更なる開発と上市に向けての必要量を確保出来る見込みが立ったとは言い難いことから、しっかりとしたプロトコルの確立と GMP 製造の能力拡大を図り、本開発成果を事業として成功に導いて頂きたい。

以上