

日米 EU 医薬品規制調和国際会議（ICH）  
遺伝子治療専門家グループ（GTDG）  
「声明」  
[仮訳]

ICH GTDG 会議  
2005 年 5 月 9~10 日  
ブリュッセル

## 1. 今回の会議の概略

今回の会議では、日米 EU 医薬品規制調和国際会議（ICH）各極（日本、アメリカ合衆国（米国）、ヨーロッパ連合（EU））における遺伝子治療に関する最新情報の紹介、及び 2004 年の ICH 遺伝子治療専門家グループ（GTDG）で合意された主要議題に関する情報交換などが行われた。さらに、2005 年及び 2006 年の今後の活動に関する組織体制についても議論された。ICH 3 極の各代表者（規制当局及び産業界の遺伝子治療専門家を含む）並びにカナダ保健省、欧州自由貿易連合（EFTA）<sup>1</sup>及び世界保健機関（WHO）の各代表者が参加した。

## 2. ICH 各極からの最新情報

### 重症複合免疫不全症（SCID）に対する遺伝子治療

フランスでの SCID-XI（X1 連鎖重症複合免疫不全症）遺伝子治療臨床研究において T 細胞リンパ増殖性疾患の副作用が発現した 3 例目の症例が本年 1 月 24 日付で報告<sup>2</sup>されたことを受けて、その後 ICH 3 極でとられた措置 / 対応について、各極から報告がなされた。ICH 3 極では、それぞれの規制当局の科学諮問委員会が招集され、その結論を踏まえて適切な規制が実施されている<sup>3</sup>。3 極では SCID に関する遺伝子治療臨床研究が実施中であり、当該遺伝子治療のリスク - ベネフィットについて個々のプロトコールごとに今回各極で再評価が行われている。何件か実施されている SCID に対する遺伝子治療臨床研究のうちの 1 件で白血病の副作用がみられたものの、遺伝子治療の臨床的有用性が実際に確認されている。同様に、慢性肉芽腫性疾患（CGD）の遺伝子治療臨床研究においても将来有望な予備的結果が示されている。

レトロウイルスの染色体挿入変異による発がんのリスクに関して、3 極は議論を継続した。現時点では決定的な結論を導くだけの情報が十分にはそろっていない。GTDG では、遺伝子治療用ベクターの構造とベクターの挿入変異による発がんのリスクとの間の関連性の評価、及び挿入変異による発がんのリスクにベクターの構造が及ぼす影響の評価を目的とした研究プログラムを開始する意義について議論した。

### ICH 各極間での情報交換 / 共有のための新しいツール

EU の規制当局代表者から、欧州委員会及び欧州医薬品庁（EMEA）が遺伝子治療や細胞 / 組織治療を含む先端治療・技術についての専用ウェブページ<sup>4</sup>を最近開設したことが

<sup>1</sup> 訳注：現在、ノルウェー王国、スイス連邦、アイスランド共和国及びリヒテンシュタイン公国との 4 力国が加盟。

<sup>2</sup> 訳注：<http://agmed.sante.gouv.fr/htm/10/filcopsr/050103en.htm>。

<sup>3</sup> 訳注：日本における対応については、厚生労働省厚生科学審議会科学技術部会配布資料（2005 年 3 月 18 日開催）を参照のこと（<http://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2005/03/s0318-8i.html>）。

<sup>4</sup> 訳注：<http://www.emea.eu.int/htms/human/itf/itfintro.htm>。

報告された。また、日本の規制当局代表者（国立医薬品食品衛生研究所遺伝子細胞医薬部長）から、日本における腫瘍溶解性ウイルス及び遺伝子治療の開発状況を総覧した国立医薬品食品衛生研究所のウェブページ（英語）<sup>1</sup>が現在開設されている旨報告された。GTDG では、これら日欧のウェブページのアドレスを共有することで合意した<sup>2</sup>。これらのウェブページは、各極内部での遺伝子治療に関する情報の交換／共有を容易にすることを目的としている。

### 3. 遺伝子治療用ベクターの生殖細胞系列への伝達のリスクを最小化するための ICH「見解」

本トピックについては、今や ICH としての「見解」( "Considerations" )を作成する適切な時期にあると考えられるという点で GTDG は合意した。さらに、3 極が合意可能な一般的方策を示す「提案」( "Proposal" )を作成していくことで合意した。本トピックに関するワークショップを 2006 年に開催する計画である。そのワークショップでの結論及び本トピックに関して ICH 各極で得られる知見に基づき、ICH「見解」を完成させる予定である。これにより作成・公表される ICH「見解」は、遺伝子治療領域での国際調和に向けた第一歩となるであろう。

### 4. 2005 年 11 月開催の ICH 遺伝子治療公開ワークショップ

腫瘍溶解性ウイルスに関する GTDG 公開ワークショップを ICH の一環として 2005 年 11 月に米国で開催することについては、前回の ICH 会議の際に ICH 運営委員会も同意している。当該ワークショップの目的は、臨床的安全性も含めた腫瘍溶解性ウイルスの臨床開発に関連する諸問題を抽出し、討論することである。ワークショップで話題とする予定のウイルスは、アデノウイルス、単純ヘルペスウイルス、レオウイルス、ニューカッスル病ウイルス、麻疹ウイルス及びセンダイウイルスなどである。GTDG では、ワークショップ終了後に当該ワークショップの総括を作成して ICH 運営委員会に提出する計画である。

### 5. その他の今後の活動予定

GTDG では、GTDG 会議における議論や情報を広く公開して社会との情報交換／共有を図ることが有用であると改めて確認した。加えて、GTDG は、会議の結論を公表する際の形式として主に以下の 2 つの路線があるであろうという点で同意した。

- ・ 研究が急速に発展しているさなかにある領域のトピックについては ICH「見解」( "Considerations" )
- ・ 既に ICH 各極で十分な知識や経験の蓄積があるトピックについては ICH ガイドライン ( "Guidelines" )

次の GTDG 正式会議は、ICH 運営委員会・専門家作業部会と並行して 2005 年 11 月に開催される予定である。

<sup>1</sup> 訳注 : <http://www.nih.go.jp/cgtp/cgtp/sec1/index1-e.html>。日本語のウェブページのアドレスは <http://www.nih.go.jp/cgtp/cgtp/sec1/index1-j.html>。

<sup>2</sup> 訳注 : 米国国立衛生研究所 ( NIH ) の米国遺伝子治療臨床研究データベース ( GeMCRIS ) ウェブページのアドレスは <http://www4.od.nih.gov/oba/RAC/GeMCRIS/GeMCRIS.htm>。