

## 「アデノ随伴ウイルス(AAV)ベクター製品の安全性評価の考え方」に関する総説のご案内

このたび、「アデノ随伴ウイルス(AAV)ベクター製品の安全性評価の考え方」に関する総説を、医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス誌に発表しましたので、下記のとおり御案内申し上げます。

AAV ベクターは長期の遺伝子発現が可能であることなどから、遺伝性疾患に対する有望な新規モダリティとして近年注目を集めており、2026年1月までに日米欧のいずれかで10品目が承認されています<sup>1)</sup>。AAV ベクターの安全性評価に関する留意点については、厚生労働省より発出された「遺伝子治療用製品等の品質及び安全性の確保について」<sup>2)</sup>における記載が参考となりますが、AAV ベクター製品を実際に開発するにあたり、「具体的に何を、いつまでに、どのように評価すべきか」については、十分に整理されておらず、開発者ならびに規制関係者においてもコンセンサスが得られていない状況にありました。

この背景の下、AMED 医薬品等規制調和・評価研究事業「AAV ベクターを用いた遺伝子治療用製品の安全性評価法に関する研究」班(代表:山本武範 国立医薬品食品衛生研究所・遺伝子医薬部第一室長)では、医薬品医療機器総合機構(PMDA)を含む産官学の関係者ならびに日本製薬工業協会(革新的医薬品・医療技術課題対応チーム)との連携の下、審査報告書等の既知情報の整理および安全性評価の在り方に関する議論を重ね、2024年12月に「AAV ベクター製品の安全性評価の考え方」と題するシンポジウムを開催しました<sup>3)</sup>。

このたび、当該シンポジウムにおいて議論した「動物種選択」、「毒性試験の試験期間」、「免疫反応の評価」、「ゲノム挿入評価」、「生殖組織への分布と次世代への移行リスク」、「がん化リスク評価」、「不純物の評価」等の考え方を、医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス誌(Vol.56, No.5:2025年10月号)の特集「AAV ベクター製品の安全性評価の考え方」において、序論を含む6報の総説として取りまとめましたので、ご案内します。これらの総説は、国立医薬品食品衛生研究所・遺伝子医薬部ホームページにおける「規制に関する文書等」<sup>4)</sup>よりダウンロード可能です。具体的な総説の一覧は以下のとおりです。

1. 序論:アデノ随伴ウイルス(AAV)ベクター製品の安全性評価の考え方  
[https://www.nihs.go.jp/mtgt/section-1/PMRJ/RS56-05\\_p.348-350.pdf](https://www.nihs.go.jp/mtgt/section-1/PMRJ/RS56-05_p.348-350.pdf)
2. 既承認 AAV ベクター製品の非臨床安全性評価  
[https://www.nihs.go.jp/mtgt/section-1/PMRJ/RS56-05\\_p.351-362.pdf](https://www.nihs.go.jp/mtgt/section-1/PMRJ/RS56-05_p.351-362.pdf)
3. AAV ベクター製品の一般毒性評価及び免疫毒性評価  
[https://www.nihs.go.jp/mtgt/section-1/PMRJ/RS56-05\\_p.363-369.pdf](https://www.nihs.go.jp/mtgt/section-1/PMRJ/RS56-05_p.363-369.pdf)
4. AAV ベクター製品の遺伝子組込み評価並びに腫瘍形成及びがん化の可能性の評価  
[https://www.nihs.go.jp/mtgt/section-1/PMRJ/RS56-05\\_p.370-376.pdf](https://www.nihs.go.jp/mtgt/section-1/PMRJ/RS56-05_p.370-376.pdf)
5. AAV ベクター製品の生殖細胞を介した次世代移行リスク及び生殖発生毒性評価  
[https://www.nihs.go.jp/mtgt/section-1/PMRJ/RS56-05\\_p.377-383.pdf](https://www.nihs.go.jp/mtgt/section-1/PMRJ/RS56-05_p.377-383.pdf)
6. AAV ベクター製品に含まれる不純物と安全性評価  
[https://www.nihs.go.jp/mtgt/section-1/PMRJ/RS56-05\\_p.384-392.pdf](https://www.nihs.go.jp/mtgt/section-1/PMRJ/RS56-05_p.384-392.pdf)

本総説を関係する多くの皆さまにご覧いただき、AAV ベクター製品の開発促進と安全性確保の一助となりましたら幸いです。

なお、本総説の概要は、第 53 回日本毒性学会学術年会におけるシンポジウム「アデノ随伴ウイルスベクター製品の安全性評価の考え方」(2026 年 7 月 2 日午前開催)にてご紹介する予定です。併せてご案内いたします。よろしくお願い申し上げます。

国立医薬品食品衛生研究所・遺伝子医薬部  
井上 貴雄

- 
- 1) <https://www.nihs.go.jp/mtgt/pdf/section1-1.pdf>
  - 2) 厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長. 遺伝子治療用製品等の品質及び安全性の確保について. 薬生機審発 0709 第 2 号, 令和元年 7 月 9 日(一部改正, 医薬機審発 1023 第 2 号, 令和 5 年 10 月 23 日).
  - 3) <http://www.nihs.go.jp/mtgt/section2/kakusanRSsymp20.pdf>
  - 4) [https://www.nihs.go.jp/mtgt/section1\\_document.html](https://www.nihs.go.jp/mtgt/section1_document.html)