

【医療関連事業】指定取得のお知らせ
NY-ESO-1・siTCR®遺伝子治療薬の
希少疾病用再生医療等製品指定のお知らせ

大塚製薬株式会社(本社:東京都、代表取締役社長:井上眞、以下「大塚製薬」)は、日本国内でタカラバイオ株式会社(本社:滋賀県、代表取締役社長:仲尾功一、以下「タカラバイオ」)と共同開発を進めている「NY-ESO-1・siTCR®遺伝子治療薬(開発コード:TBI-1301、国際一般名:mipetresgene autoleucel)」が、厚生労働省により滑膜肉腫を対象とした希少疾病用再生医療等製品に指定されましたのでお知らせします。

TBI-1301は、タカラバイオが創製したTCR遺伝子導入T細胞療法(TCR-T細胞療法)で、2018年4月に大塚製薬とタカラバイオは日本国内における共同開発・独占販売契約を締結して、共同開発を実施しています。

<語句説明>

希少疾病用再生医療等製品

医薬品医療機器等法に基づき、当該再生医療等製品の用途に係る対象者数が国内において5万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして、厚生労働大臣が指定するものです。医療上の必要性が高いにも関わらず、患者数が少ないことにより国内では十分にその研究が進んでいない状況をふまえ、安全かつ良質な治療法を一日も早く医療現場に提供することを目的に、開発を支援・促進する制度です。

滑膜肉腫

滑膜肉腫は悪性軟部腫瘍の1つであり、悪性度が高く、局所転移及び遠隔転移を生じる予後不良の疾患です。滑膜肉腫症例ではNY-ESO-1抗原発現率が高く、NY-ESO-1抗原が比較的均一に腫瘍組織全体に発現し、また、細胞あたりの発現量が高いという特徴があります。

NY-ESO-1・siTCR®遺伝子治療薬(開発コード:TBI-1301、国際一般名:mipetresgene autoleucel)

がん患者から採取したリンパ球(T細胞)に、NY-ESO-1抗原を発現する細胞を特異的に認識するTCR遺伝子を体外で導入し、培養によって増殖させた後に治療薬として患者に輸注します。TCR遺伝子が導入されたリンパ球が、NY-ESO-1抗原を発現するがん細胞を認識して攻撃し、消滅させることが期待されます。TCR遺伝子を導入するにあたりsiTCRベクター技術を用いるため、このTCR遺伝子治療を、特にsiTCR®遺伝子治療と呼んでいます。2018年3月に厚生労働省より先駆け審査指定制度対象品目に指定されています。