

事業名

遺伝子治療薬の品質規格設計・開発

事業実施期間

令和3年4月1日～令和4年2月28日

補助対象経費及び補助金額（実績額）

5,348,079円 / 5,000,000円

（企業・法人名）株式会社レストアビジョン

1. 事業の内容

視覚再生遺伝子治療薬の研究開発

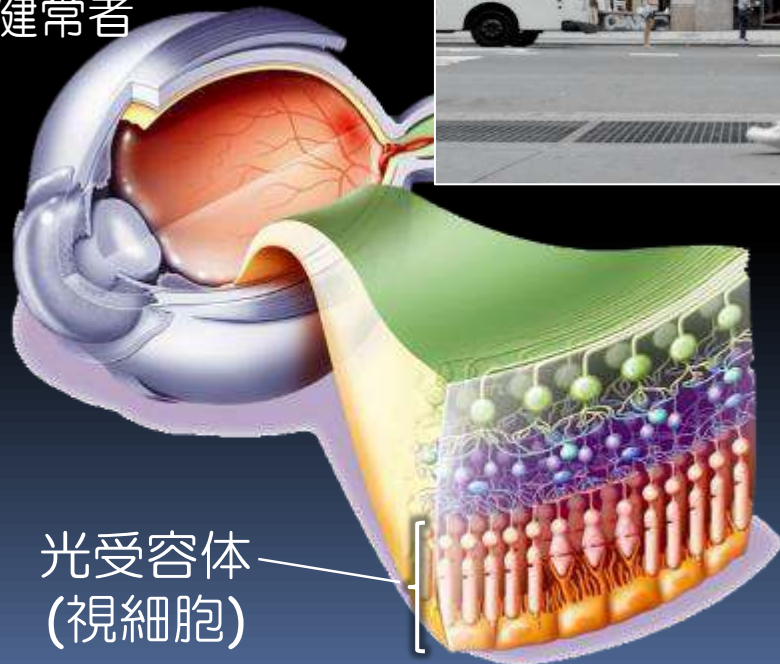
失明難病: 網膜色素変性症(RP)

- 視覚障害の社会コスト：8兆円超/年(日本)
- 視覚障害原因第2位(14%; 日本)
- 有効な治療法のない指定難病 (希少疾患)

Roberts et al. Arch Ophthalmol. 2010

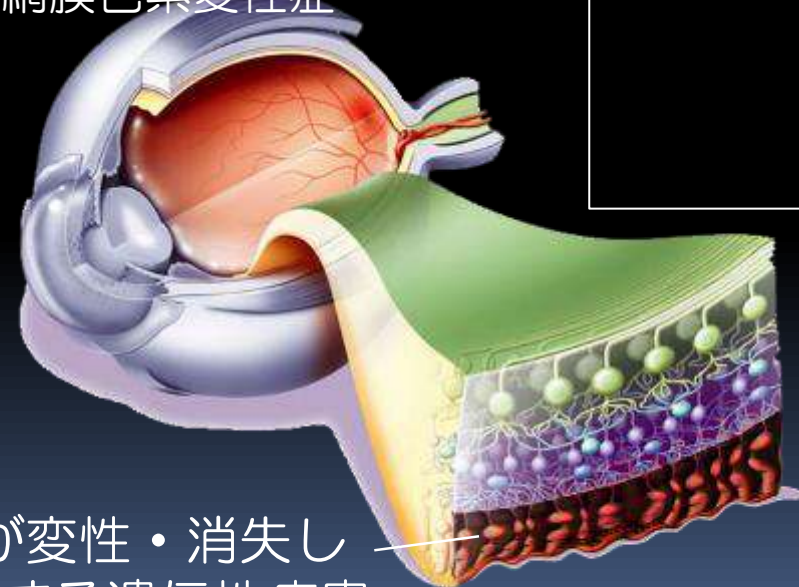
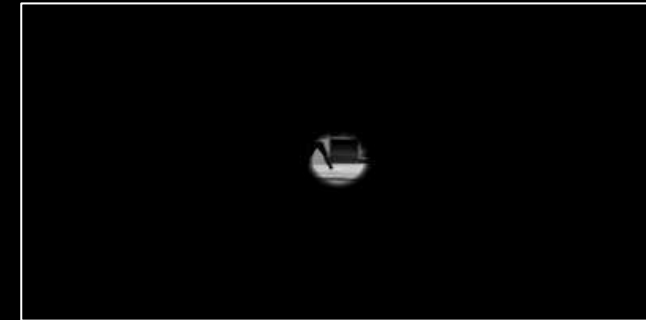
Morizane et al. Japanese Journal of Ophthalmology. 2019

健常者



光受容体
(視細胞)

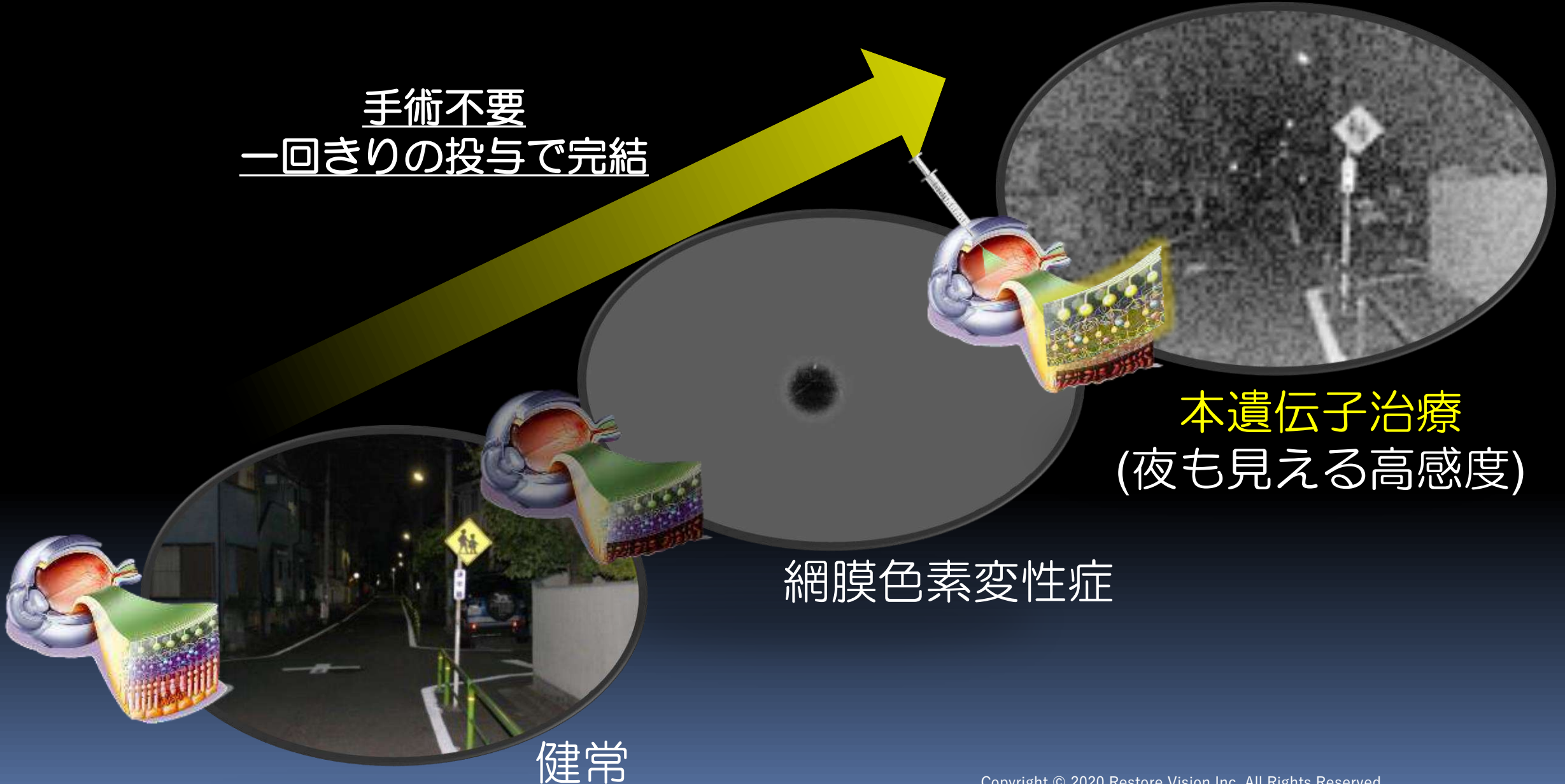
網膜色素変性症



光受容体が変性・消失し
徐々に失明する遺伝性疾患

ソリューション:視覚再生遺伝子治療

手術不要
一回きりの投与で完結



当社コア技術：キメラロドプシン



ロドプシン	感度	自立性	開発企業
動物型	高	依存	
微生物型	低	自立	
キメラ	高	自立	

動物型・微生物型の良いところ取りをした
高感度・自立で働き続ける光センサータンパク質

※特許第6757024号、ほか3件の特許出願中

私たちの治療イメージ

<https://youtu.be/VILBLxlzJCw>



2. 目的達成状況

設定目標：遺伝子治療用製品の品質規格に関連する分析データを取得し、PMDA相談を実施

方法：大手CDMOにて試作製造された最終産物を用いて、実施計画に記載した特性解析を実施する。

結果：

- 当初計画と比較して特性解析の対象とするサンプル数は少なくなったものの、本事業にて我が国では開発例の少ないAAV遺伝子治療薬について、今後の開発において参照可能な特性解析データを取得することができた。本事業の対象とできなかったサンプルについては、2022年度以降に実施予定である。
- またPMDA相談については本事業を通じて有識者と協議した結果、現時点では品質試験の考え方に関する疑義がないため不要と判断。2022年度以降に実施を計画している

3. 期待される効果／神戸医療産業都市の発展に与える効果

弊社が開発する遺伝子治療薬について、品質評価項目のデータを取得できたことで、今後の製品の比較の指標となるデータを取得することができ、弊社開発を前進させる成果になった。

また、本事業は神戸医療産業都市に本拠を置く企業や地元大学との連携により実施した。

今後も神戸医療産業都市にて遺伝子治療薬の製剤開発の実績をつくっていくことで、神戸医療産業都市の発展への貢献が期待できる

4. 今後の展開

- 患者さんに薬を届けることを最優先に考えた開発計画を推進
- アカデミアから世界に通用する再生医療等製品の導出モデルケースを目指す
- 最終的には再生医療の治療に止まらず、患者の社会復帰までのシステムの構築を

