

# 米国NIHにおける「遺伝子治療ベクタープラットフォームパイロットプロジェクト (PaVe-GT)」の概要について

PaVe-GTは4つの疾患に対し共通のウイルスベクターを利用し、遺伝子治療の開発と臨床試験の効率の大幅な向上を目指すパイロットプロジェクト。

## 概要 PaVe-GT Platform Vector Gene Therapy

発足年	■ 2017年(外部への発表は2020年11月が初)
名称	■ the Platform Vector Gene Therapy (PaVe-GT) pilot project
ミッション	■ 遺伝子治療の開発と臨床試験の効率を大幅に向上させることができるかどうかを検証する - 4種類の希少疾患を対象に標準化したプロセスを使用
実施形態	■ NIHの内部研究プログラム(NIH Intramural Research Program(IRP))の中で実施
予算	■ 本PJTの予算はIRPの予算(2021年度予算: 9,800万米ドル)内に含まれる ■ 主任研究者数の比率から考えると、本PJTの予算は数10万ドル程度と想定される - IRP全体での主任研究者数:1,200人、本PJTの主任研究者数2人⇒ $9,800万 \div 1,200 \times 2 \div 16$ 万米ドル
実施期間	■ 数年程度と想定される - 本PJでは基礎研究~PI/2まで実施する計画(現在は基礎研究実施中)
方法	■ 4疾患に対し同じ施設・方法で製造したAAV(アデノ随伴ウイルス)-9ベクターを利用

出所: NIHウェブサイト

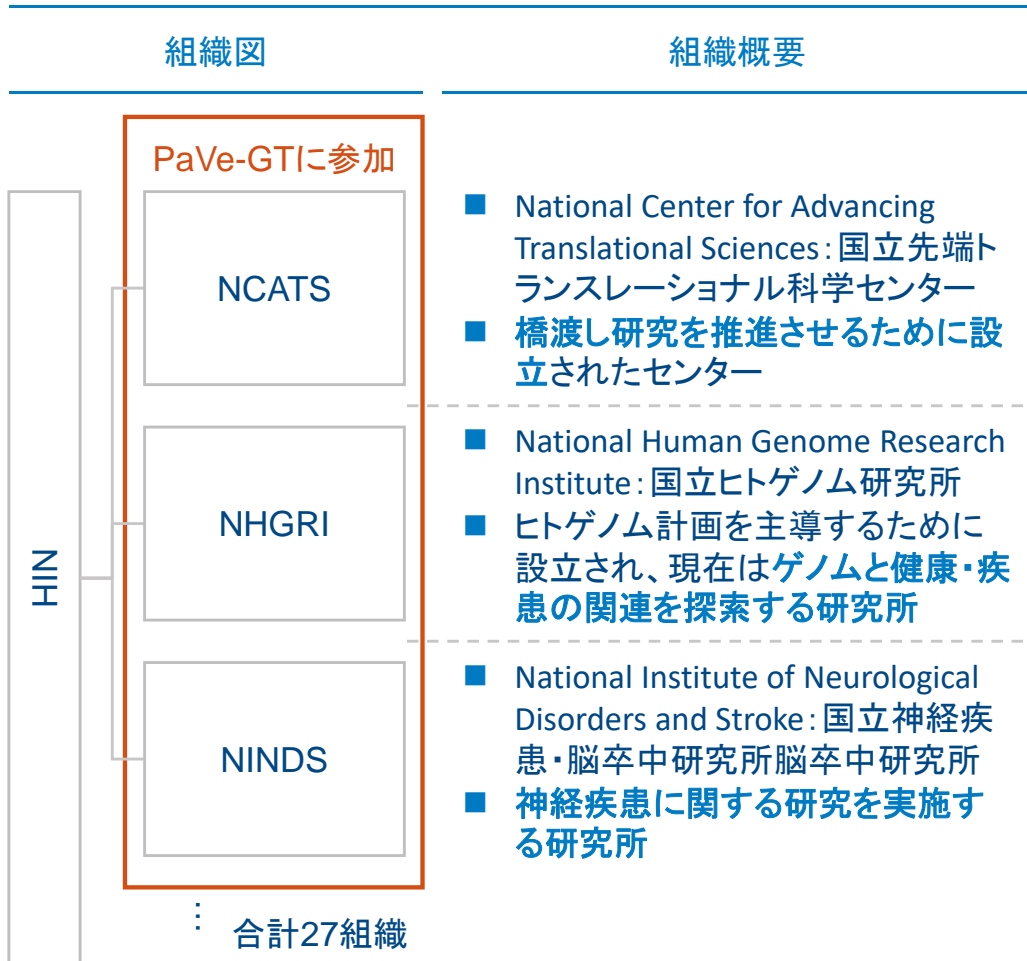
## 取り組みとポイント

対象4疾患	
利点	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 同じベクターを用いることでCMC、前臨床、臨床の各段階で時間とリソースを節約可</li> <li>- ベクター製品の特性評価、生物分配、毒性試験など</li> <li>- 臨床段階では有機酸血症と先天性筋痛症候群は2疾患ずつのマスタープロトコルに分類可</li> </ul>
疾患選定基準	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ アンメットニーズが高く、一方で治療法開発の実現可能性がある疾患を選定</li> <li>- アンメットニーズが高い             <ul style="list-style-type: none"> <li>- 有効な治療法がない</li> <li>- 先行する遺伝子治療開発がない</li> </ul> </li> <li>- 治療法開発の実現可能性がある             <ul style="list-style-type: none"> <li>- NIHクリニカルセンターで既に研究中</li> <li>- AAV遺伝子治療が可能</li> <li>- 疾患の機序が解明済</li> <li>- 臨床試験の実施に十分な患者数</li> </ul> </li> </ul>

# ■ 米国NIHにおける「遺伝子治療ベクタープラットフォームパイロットプロジェクト (PaVe-GT)」の概要について

PaVe-GTはNIH傘下の複数の組織の専門家を集めて1つのチームとして機能させることで、橋渡し研究を実現する。

## 組織体制



出所: NIHウェブサイト

## プロジェクトにおけるそれぞれの役割

