

# 標的指向性を有するin vivo遺伝子治療用製品ベクターに関する評価の考え方ーCAR T開発事例から

### 背景3. 【研究開発状況】

生体内製造のCAR-T細胞に関しては前臨床段階

国内： 科研費2020－2022年度基盤研究(B)「標的指向性 mRNA送達に基づく生体内CAR T細胞作製によるがん免疫治療」

米国： • [Clinical Research Division, Fred Hutchinson Cancer Research Center](#)  
• [Abintus Bio, Inc.](#)  
• [Umoja Biopharma](#)  
• [Sana Biotechnology](#)  
• [Precision BioSciences](#)

欧州： [Molecular Biotechnology and Gene Therapy, Paul-Ehrlich-Institut](#)

#### 【関連する海外のガイドライン】

- Draft Guidance for Industry: Human Gene Therapy Products Incorporating Human Genome Editing (in vivo genome modification について送達法を掲載)
- Drug Products, Including Biological Products, that Contain Nanomaterials Guidance for Industry April 2022 (LNPが含まれるが、標的指向性ではない)

ウイルスベクターや非ウイルスベクターを用いて、生体内で効率的かつ安全にCAR-T細胞等を作製する技術について臨床試験の実施に向けた留意点(非臨床、品質)はこれまでに整理されていない。

ベクターやCAR導入の方法により品質や安全性評価が異なる



ウイルスベクター、化成品キャリアについて開発情報及び現時点での留意点を記す

in vivoの特定細胞に送達する遺伝子導入方法の可能性と創薬での実施可能性、事例としてCAR T等を取りあげ、現時点のエビデンスから実現へのステップを整理する

#### 【関連する国内の指針】

遺伝子治療用製品等の品質及び安全性の確保に関する指針