

ポリエチレン・グリコール包埋 ウシ由来アデノシン・デアミナーゼ開発について

ポリエチレン・グリコール包埋ウシ由来アデノシン・デアミナーゼ（PEG-ADA）に対する下記の要望（要望者：日本先天代謝異常学会）については、第11回検討会議で医療上の必要性が高いと判断され、平成24年4月6日に開発企業の公募を行ったところである。今般、本要望の開発について、要望者より以下の見解が提出された。

1. 要望の概要

要望番号	成分名	販売名	要望内容
Ⅱ-204	ポリエチレン・グリコール包埋ウシ由来アデノシン・デアミナーゼ	アダジェン (ADAGEN®)	アデノシン・デアミナーゼ（ADA）欠損症に対する酵素補充療法

2. 要望者からの見解

要望番号：Ⅱ-204の要望書、「1. 要望内容に関連する事項」に関して補足説明を行う。

1. 要望の内容

「要望する医薬品」の成分名（一般名）に、ポリエチレン・グリコール包埋ウシ由来アデノシン・デアミナーゼ（PEG-ADA、販売名 ADAGEN®）の代替品となる可能性があり、現在、米国で開発中であるポリエチレン・グリコール包埋遺伝子組換えウシ アデノシン・デアミナーゼ（PEG-rADA）を追加し、PEG-rADA を優先して開発することを要望する。

2. 要望の妥当性

これまで PEG-ADA としては国内外問わず専ら ADAGEN® が使用されてきた。ADAGEN® の ADA はウシの腸を原材料としていることから、使用にあたっては生物由来製品特有のリスクが想定されるが、重症複合型免疫不全症という致命的な疾患に対する有用性が認められ米国で承認・欧米で使用さ

れており、本邦では未承認であるため個人輸入などにより使用されてきた。要望番号：Ⅱ-204の要望書はこの点を踏まえ作成した。

要望書提出後、遺伝子組換え製品が米国で開発中であり、当該製剤では生物由来製品特有のリスクが回避可能であることが判明した。また、米国ではADAGEN®から遺伝子組換え製品に切り替える治験が実施予定である。学会としては遺伝子組換え製品でも構わないと考えており、将来的には遺伝子組換え製品への供給製剤の切り替えが予測されることから、本邦においてはPEG-rADAを優先的に開発すべきと考える。

3. 対応（案）について

検討会議における医療上の必要性の評価以降に、ウシ由来製品に代わる遺伝子組換え技術を用いた新たな製品が海外で開発されており、将来的には当該製品への切り替えが予測される状況などを踏まえると、本要望については、ウシ由来製品の代わりに遺伝子組換え製品の開発を行うことで差し支えないと考える。

なお、企業における開発状況については、今後も引き続き検討会議で報告していくこととする。