

※本プレスリリースは、報道関係者の皆さまへの情報提供を目的としております。

※本製剤は、日本を含め現在開発段階にある未承認の製剤です。



報道関係各位

2025 年 11 月 26 日

国立大学法人鹿児島大学

サーブ・バイオフーマ株式会社

原発性悪性骨腫瘍に対する本承認を目指した、腫瘍溶解性ウイルス「Surv.m-CRA-1」の第Ⅲ相医師主導治験（多施設共同）の開始について

～ 国内研究者が独自開発した腫瘍溶解性ウイルスについて

日本初（再生医療等製品）、世界 2 例目の「本」承認取得を目指す ～

国立大学法人鹿児島大学（所在地：鹿児島県鹿児島市、以下「鹿児島大学」）の小賤健一郎（鹿児島大学大学院医歯学総合研究科 遺伝子治療・再生医学分野 教授 兼 サーブ・バイオフーマ株式会社（鹿児島大学発・認定ベンチャー 本社：鹿児島県鹿児島市、代表取締役社長：山田昌樹、以下「サーブ」）創業者・会長・最高科学責任者）を研究開発代表者（総括責任者）、永野聡（鹿児島大学 医学部保健学科 理学療法学専攻 臨床理学療法学 教授）を治験調整／責任医師とする研究グループは、独自開発した腫瘍溶解性アデノウイルス「Surv.m-CRA-1（サバイビン反応性・多因子増殖制御型アデノウイルス-1）」について、世界初の原発性悪性骨腫瘍への本承認（実用化）を目指した多施設共同（鹿児島大学病院、他）の第Ⅲ相医師主導治験を開始します。

「Surv.m-CRA-1」は、がん細胞で特異的に活性化する「サバイビンプロモーター」を搭載した腫瘍溶解性ウイルスです。正常細胞を傷害することなく、がん細胞のみでウイルスが増殖し、選択的にがん細胞を死滅させることができます。そのため、高い治療効果と安全性を併せ持ち、さらに既存治療法が効かないがん幹細胞にも作用する、新しいがん治療薬（再生医療等製品）として期待されています。

有効な治療法が確立していない難治性がんの克服を目指し、第一弾として希少がんである原発性悪性骨腫瘍を対象に実用化を進めています。第Ⅱ相医師主導治験でポジティブな結果が得られたことから、今回、原発性悪性骨腫瘍に対する本承認取得を目指す第Ⅲ相医師主導治験の開始に至りました。

なお、日本のアカデミア（大学などの研究機関）で開発された遺伝子治療製品が、本承認を目指す第Ⅲ相医師主導治験に到達したのは今回が日本初となります。さらに、腫瘍溶解性ウイルスの本承認は世界（欧米諸国）でもこれまでに 1 例（日本では条件付き承認が 1 例）しかなく、本成果は日本初、世界 2 例目の本承認取得を目指す挑戦となります。

さらに、原発性悪性骨腫瘍は有効な治療法が限られており、新規治療薬の開発も進んでいない、極めてアンメット・メディカル・ニーズの高い希少がんとなります。特に遺伝子治療に限定しますと、原発性悪性骨腫瘍に対して承認された遺伝子治療薬は腫瘍溶解性ウイルスに限らず世界でも未だ例はなく、「Surv.m-CRA-1」が承認されますと世界初となります。

さて、令和 7 年 2 月 18 日に第 3 期医療分野研究開発推進計画（2025～2029 年度）が健康・医療戦略推進本部で決定され、同日に第 3 期健康・医療戦略が閣議決定されました。

第 3 期健康・医療戦略の基本理念は、①世界最高水準の技術を用いた医療の提供と、②新産業創出等による産業の活性化、社会課題を解決し、経済成長に結びつけることです。

その基本方針として、「健康長寿社会の実現に向け世界最高水準の医療技術に資する研究開発を推進し、その成果により産業競争力強化にも貢献する」とこと、「絶え間なく創薬シーズを創出し、出口志向性を強化して成果の実用化を加速する」ことが定められています。

この推進のため、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「AMED」）による支援を中核として、8 つの統合プロジェクトが再編・決定されました。

本研究においては、AMED を中心とする多数の公的競争的研究費を獲得することで（後述）、基礎研究、非臨床開発、第 I 相ならびに II 相医師主導治験を進めました。

この公的研究成果を責任をもって社会へ還元するため、第 II 相治験の後半以降、今回の第 III 相医師主導治験に関しては、鹿児島大学認定ベンチャーであるサーブが社会実装に向けた取り組みを進めています。また、治験完了後の承認申請および承認取得後の販売については、日本臓器製薬株式会社と提携しており、速やかに患者の皆様へ提供できる体制を整えています。

このように本研究成果は、まさに第 3 期健康・医療戦略の基本理念・方針を具現化したものといえ、8 つの統合プロジェクトのうちの、再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト、橋渡し・臨床加速化プロジェクト、さらにイノベーション・エコシステムプロジェクトの成功事例ともいえるものです。

さらに現在、国家施策として、官民連携の戦略的投資を促進し、世界共通の課題解決に資する製品、サービス及びインフラを提供することにより、更なる我が国経済の成長を実現するため、政府は内閣に日本成長戦略本部を設置し、更にその具体化に向けて、日本成長戦略本部の下、日本成長戦略会議（議長＝高市早苗首相）を開催しています。

当該日本成長戦略会議においては、総合経済対策における重点 17 分野の一つとして、「創薬・先端医療」を掲げ、「再生・細胞医療・遺伝子治療の研究開発を促進」や「革新的がん医療の研究開発を支援」、「継続的に創薬スタートアップから革新的新薬を生み出す創薬基盤・インフラの強化を支援」などを具体的施策に位置付けています。本研究成果は、まさにこれら国家的重点政策の実現に大きく寄与することが期待されます。

今後も、鹿児島大学及びサーブは、共同研究機関、支援機関、AMED 等の公的機関と連携しながら、「Surv.m-CRA-1」を含む遺伝子治療薬の開発・社会実装を実現し、グローバルに解決が求められているアンメット・メディカルニーズの難治性疾患の克服と、日本発の創薬・先端医療の発展という日本の成長に貢献していきます。

<多施設共同・第 III 相医師主導治験の概要>

- 治験課題名：
進行性の原発性悪性骨腫瘍を対象としたサバイビン反応性増殖制御型アデノウイルス-1
（Surv.m-CRA-1）の反復腫瘍内局所投与の検証試験
- 対象疾患：

進行性の原発性悪性骨腫瘍

➤ 治験デザイン：

多施設・非盲検（対象群のないオープンラベル）・医師主導治験

➤ 実施施設：

鹿児島大学病院、他

<鹿児島大学研究グループ及びサブコメント>

鹿児島大学大学院医歯学総合研究科 遺伝子治療・再生医学分野 教授

兼 サーブ・バイオフーマ株式会社 創業者・取締役会長・最高科学責任者（CSO） ^{こさい}小賤 健一郎

私は、「多因子増殖制御型アデノウイルス（m-CRA）」作製技術を独自に開発し、同技術を用いて安全性と治療効果が極めて高くがん幹細胞も治療できる革新的性能の「サバイビン反応性-多因子増殖制御型アデノウイルス（Surv.m-CRA）」を開発しました。今回、原発性悪性骨腫瘍に対する本承認を前提とした第Ⅲ相試験の開始に至りました。これまで多くのご支援を頂いた鹿児島大学、国立がん研究センター中央病院、久留米大学の研究ならびに支援チーム、サーブならびにご支援頂いている機関、AMED 等の公的機関の皆様に、改めて御礼申し上げます。今後も Surv.m-CRA シリーズの一日も早い社会実装化に向けて研究開発を加速して参ります。

鹿児島大学医学部保健学科 理学療法学専攻 臨床理学療法学 教授 永野 聡

私は、これまでに実施した Surv.m-CRA-1 を用いた第Ⅰ相及び第Ⅱ相試験、並びに今回の第Ⅲ相試験において、治験責任医師として参画しています。原発性悪性骨腫瘍については、いまだに30年以上も前の治療薬が使われるなど、近年新しい薬が開発されていない状況です。このような中、Surv.m-CRA-1 は、これまでの治験で長期観察にご同意頂いた患者さんについて、投与後も長期にわたり治療効果が継続し、かつ骨リモデリングが確認されたケースがありました。本剤が、患者さんにとっての新たな治療選択肢となることを大いに期待しています。

鹿児島大学病院 病院長 石塚 賢治

小賤先生が開発された Surv.m-CRA-1 は、鹿児島大学病院 整形外科で骨軟部腫瘍への First-In-Human 医師主導治験を令和2年4月に完了し、令和3年からは悪性骨腫瘍への多施設共同（本院整形外科、国立がん研究センター中央病院、久留米大学病院）の医師主導治験第Ⅱ相に進み、高い安全性と有効性を確認しております。また本院消化器内科で実施した膵癌への第Ⅰ／Ⅱ相医師主導治験においても、高い安全性と一定の有効性を確認しております。

bench to bedside の象徴ともいべき本プロジェクトはいよいよ第Ⅲ相試験を開始することとなりました。このことは第Ⅰ相試験から取り組んできた私ども鹿児島大学病院としても大変誇らしいことであり、本試験においても高品質の臨床試験を行い、安全かつ適切に日本発の革新的がん治療薬の有用性を検討できるよう病院一丸となって貢献して参ります。

サーブ・バイオフーマ株式会社 代表取締役社長 山田 昌樹

今回、当社の共同研究パートナーである鹿児島大学において、世界2例目となる腫瘍溶解性ウイルス治療薬の本承認を前提とした第Ⅲ相試験を開始することになり大変嬉しく思います。治験完了後の、承認申請並びに本承認取得後の販売については、すでに整形外科領域に強みを持つ日本臓器製薬株式会社と提携済みです。原発性悪性骨腫瘍に苦しめている患者様に一日でも早く治療薬をお届けできるよう、今後も鹿児島大学や日

本臓器製薬株式会社と連携して開発を加速して参ります。

<Surv.m-CRA-1 の研究開発の主な公的研究費>

1. 国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下、「AMED」）研究費 革新的がん医療実用化研究事業、令和3年度～令和5年度、「独自開発・革新性能の増殖制御型アデノウイルスの骨腫瘍（希少・難治性がん）承認への第Ⅱ相医師主導治験」（研究開発代表者 小賤健一郎）
2. AMED 研究費 革新的がん医療実用化研究事業、平成30年度～令和2年度、「独自開発の革新的な増殖制御型アデノウイルスの肉腫への承認申請を目指した医師主導治験」（研究開発代表者 小賤健一郎）
3. AMED 研究費 革新的がん医療実用化研究事業、平成27年度～29年度、「肉腫への革新医薬実用化を目指した独自開発の増殖制御型アデノウイルスの医師主導治験」（研究開発代表者 小賤健一郎）
4. AMED 研究費 橋渡し研究加速ネットワークプログラム（支援拠点：京都大学） 研究開発施設共用等促進費補助金 シーズC（但し H26 年度は文科省事業）、平成26年度～平成27年度、「独自開発の増殖制御型ウイルス医薬の難治癌への医師主導治験」（研究代表者 小賤健一郎）
5. 厚生労働科学研究費補助金（以下、「厚労科研」） がん対策推進総合研究事業（革新的がん医療実用化研究事業）、平成24年度～平成26年度、「難治癌を標的治療できる完全オリジナルのウイルス遺伝子医薬の実用化のための前臨床研究」（研究開発代表者 小賤健一郎）
6. 厚労科研 第3次対がん総合戦略研究事業（革新的治療分野）、平成22年度～平成25年度、「独自 m-CRA ベクターによる癌幹細胞の同定・標的治療技術の開発と革新的な遺伝子治療の実現」（研究開発代表者 小賤健一郎）
7. 厚労科研 第3次対がん総合戦略研究事業（革新的治療分野）、平成19年度～平成21年度、「増殖型ベクターと幹細胞のオリジナル技術による革新的な癌遺伝子治療法の開発」（研究開発代表者 小賤健一郎）
8. 厚労科研 第3次対がん総合戦略研究事業（革新的治療分野）、平成16年度～平成18年度、「独自開発した多因子による癌特異的増殖制御型アデノウイルスベクターによる革新的な癌遺伝子治療法の実現」（研究開発代表者 小賤健一郎）
9. 国立研究開発法人 科学技術振興機構（JST） 独創的シーズ展開事業 大学発ベンチャー創出推進、平成19年度～平成21年度、「完全オリジナルの癌遺伝子治療 m-CRA ベクターを基盤とした試薬・医薬総合的ベンチャーの創出」（研究開発代表者 小賤健一郎）

補足情報

腫瘍溶解性ウイルスについて

がん細胞でのみ選択的に増殖して破壊するよう遺伝子改変されたウイルスです。ウイルスががん細胞を直接破壊する効果に加え、その過程で放出されるがん抗原が、患者様自身の免疫を活性化させ、がんを攻撃するよう促す効果も期待される新しいがん治療法です。

鹿児島大学小賤教授（サブ会長兼 CSO）が独自開発した腫瘍溶解性ウイルス「Surv.m-CRA」シリーズは、がん細胞で特異的に活性化する「サバイビンプロモーター」を搭載しており、極めて高いがん特異性を有しています。

原発性悪性骨腫瘍について

骨そのものから発生する悪性腫瘍であり、日本国内では年間 800 人程度、欧米では年間 1 万人程度の発症頻度の、いわゆる希少がん（数が少ないが故に診療・受療上、不利な状況にあると考えられるがん種）の代表です。骨肉腫など若年層に多く見られるものもある一方、多くの原発性悪性骨腫瘍には有効な治療がなく、遺伝子治療、分子標的薬、免疫チェックポイント阻害剤などの革新的な医薬品の開発も十分に進んでいない、極めてアンメット・メディカル・ニーズの高い難治性がんの一つであり、新たな治療選択肢が求められています。

なお、原発性悪性骨腫瘍に対して承認された遺伝子治療薬は世界でも未だ例がありません。

＜研究グループ（代表・共同研究者）＞

1. 国立大学法人鹿児島大学 大学院医歯学総合研究科 遺伝子治療・再生医学分野 教授、同研究科・附属 南九州先端医療開発センター センター長、同研究科 革新的治療開発センター センター長／同大学病院 探索的医療開発センター センター長 ／サブ・バイオファーマ株式会社 創業者・取締役会長・最高科学責任者／内閣府 健康・医療戦略推進専門調査会 委員 小賤 健一郎（研究開発代表者・統括責任者）
2. 国立大学法人鹿児島大学 医学部保健学科 理学療法学専攻 臨床理学療法学 教授／大学病院 革新的治療開発センター 副センター長 永野 聡（治験調整医師・鹿児島大学治験責任医師）
3. 国立大学法人鹿児島大学 大学院医歯学総合研究科 整形外科学分野 教授／大学病院 整形・運動機能センター 教授／センター長 谷口 昇（整形外科学統括責任者・治験分担医師）
4. 国立大学法人鹿児島大学 大学院医歯学総合研究科 薬物動態制御学分野 教授／大学病院 薬剤部 部長／臨床研究管理センター 治験管理部門 部門長 寺園 英之（治験調整事務局統括責任者）
5. 国立大学法人鹿児島大学 大学病院 薬剤部／臨床研究管理センター 治験管理部門 薬剤主任 二川 俊隆（治験調整事務局実務責任者）
6. 国立大学法人鹿児島大学 大学院医歯学総合研究科 遺伝子治療・再生医学分野 助教 松田 恵理子（治験支援実務責任者）
7. 国立大学法人鹿児島大学 理事・副学長／大学院医歯学総合研究科 血管代謝病態解析学分野 教授 橋口 照人（検査統括責任者）
8. 国立大学法人鹿児島大学 大学院医歯学総合研究科 血管代謝病態解析学分野 准教授／大学病院 検査部 部長 山口 宗一（検査実務責任者）
9. 国立大学法人鹿児島大学 大学院医歯学総合研究科 放射線診断治療学分野 教授／大学病院 放射線部 部長 吉浦 敬（画像評価統括責任者）
10. 国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院 骨軟部腫瘍・リハビリテーション科 科長／希少がんセンター センター長 川井 章（国立がん研究センター中央病院治験責任医師）
11. 国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院 骨軟部腫瘍・リハビリテーション科 医長 岩田 慎太郎（国立がん研究センター中央病院治験分担医師）
12. 学校法人久留米大学 医学部医学科 整形外科学講座 主任教授 平岡 弘二（久留米大学病院治験責任医師）

13. サーブ・バイオフーマ株式会社（鹿児島大学認定ベンチャー） 代表取締役社長 山田 昌樹（実用化支援）

<研究に関するお問合せ先>

小賤 健一郎（こさい けんいちろう）

国立大学法人鹿児島大学 大学院医歯学総合研究科 遺伝子治療・再生医学分野 教授

TEL: 099-275-5219

E-mail（分野代表）：gt-rm@m.kufm.kagoshima-u.ac.jp

<報道・取材に関するお問合せ>

国立大学法人鹿児島大学 鹿児島大学医歯学総合研究科等 総務課 総務係

TEL： 099-275-6105

E-mail：isgsoumu@kuas.kagoshima-u.ac.jp

サーブ・バイオフーマ株式会社 管理部

TEL：03-6824-2310

E-mail：info@survbiopharma.co.jp

以上