

世界屈指のCDMOがサービスの幅を拡大 遺伝子治療製品でも業界随一の エンドツーエンドサービスプロバイダへ進化

低分子からバイオ医薬品まで、エンドツーエンドサービスを提供する世界屈指のCDMOとして知られるサーモフィッシャーサイエンティフィックのファーマサービスが、昨今対応する製品領域を拡大している。創薬モダリティの多様化という市場トレンドの中で、今後大きく成長が見込まれる遺伝子治療製品にまでサービスの幅を広げているのだ。専門性が求められるこの分野において、同社がいかんして高いレベルでのサービスを提供していくのか、2021年12月8～10日に幕張メッセで行われた第3回再生医療EXPOでの招待講演内容をもとに探る。

CDMOとしての特長



谷元 浩二 氏

シニアディレクター、
アジアパシフィック事業
開発部門長

まずは、サーモフィッシャーのCDMOとしての特長と実績を簡単に整理したい。谷元浩二氏は講演で、「前臨床段階からのサポートに始まり、治験用原薬、製剤の開発・製造、さらには治験薬の包装・ラベリング・配送まで対応することに加え、上市後の商用生産まで網羅的にソリューションを提供していること」が特長であると説明。このエンドツーエンドのサポート体制という強みを活かし、これまで世界約1,200社に対する支援を行い、過去10年間でFDAに117品目が承認された実績を持つ。「FDAからの承認品目数はCDMO業界トップで、2～4番手のCDMOによる数の合算よりも大きい」（谷元氏）といい、まさに世界トップランナーとして、数多くの企業のサポートを行っているグローバルCDMOであることが同社の強みだ。

遺伝子治療製品への参入

そんなサーモフィッシャーのファーマサービスが、2019年にウイルスベクターのCDMOである米国のBrammer BIOを買収したことをきっかけに、遺伝子治療製品に参入した。そして、2019年より遺伝子・細胞治療サービスに関する買収や設備投資に約3,300億円を投じるなど積極的な投資を行い、特に遺伝子治療製品においても、エンドツーエンドでのサービス

提供という特長を反映している。遺伝子治療製品における同社のカバー範囲は図1に示す通りだ。

「目的遺伝子やヘルパープラスミドの開発などリサーチ段階からサポートし、実際の開発・製造段階としてプラスミドDNAサービスを提供する。プラスミドDNAは重要中間体、出発物質として取り扱われるほか、そのものが原薬として使用されることもあり、ここからさらに3つの領域へサービスを展開している」と谷元氏は解説。細胞医薬品製造サービスとウイルスベクターサービスでは、治験薬GMP製造、スケールアップなどすでに多くの実績を積み重ねており、超低温保管や配送など治験薬管理のサービスまで行っている。また、新型コロナウイルス感染症のワクチンでも注目を浴びたmRNA技術に関するサービスも適宜準備を進めている。プラスミドDNAを鋳型としてRNAを作成し、最終的に脂質ナノ粒子で包んでバイアルに充填するというプロセスを現在構築中なのだという。

開発初期の入口から、ラベリングやロジスティクスなどの管理という出口まで、一貫した体制をすでに整えている同社だが、谷元氏は「現在ウイルスベクターでは世界に6施設を有しており、現在新たに建設中の

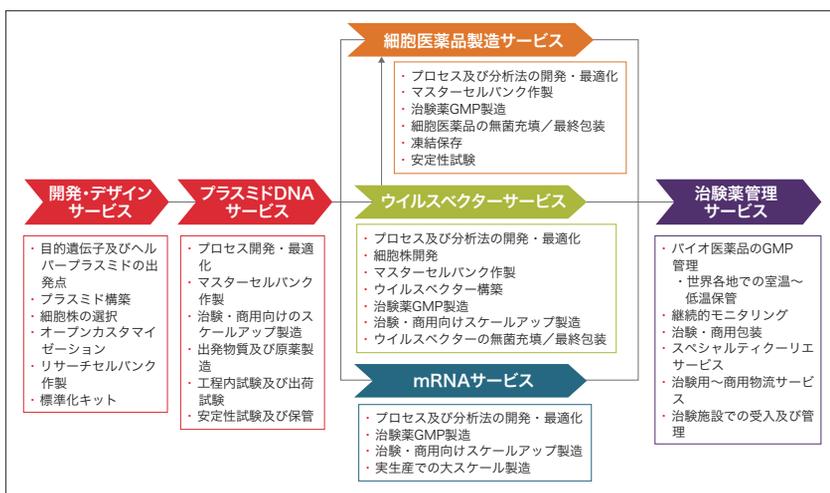


図1 先端治療を支援する総合的サービスと幅広い技術力

施設が完成すると、CDMOとして世界で最大のウイルスベクター製造キャパシティを保有することになる」と、継続的に設備投資を行っていることも紹介し、今後もサービスのさらなる強化を図っていくことを示唆した。

開発・製造加速化のためにクリアすべき課題



Christopher Murphy 氏

VP/General Manager,
Viral Vector Services,
Pharma Services

サーモフィッシャーのファーマサービスは、このように遺伝子治療製品においても幅広い対応力・充実した各サービスを提供しており、今回講演の中で、ウイルスベクターサービス部門のバイスプレジデントを務める Christopher Murphy 氏は、特にウイルスベク

ター製品を例に、市場環境の変化を踏まえ、開発・製造の加速化がいかに重要であるかという観点からサービスについて紹介した。

遺伝子治療市場では、現在世界で600を超える治療薬候補（ワクチンを含む）が非臨床～臨床第Ⅲ相段階にあり、2030年までにその数は2,000にまで増加すると予測されていると言われており、競争が激化する中で開発と生産をより迅速に行っていくことが必須になるが、遺伝子治療ではその専門性の高さから課題も多いのが現状だ。開発段階での製法変更などに伴う同等性の担保や堅牢な分析技術、生産能力、CMCに関わる規制対応、高い専門性をもつ人材の確保など、クリアすべき課題は多い。Murphy氏はこれらを総括して「課題を解決するためには、専門性とキャパシティという2点が重要になる」とし、そのために重要な考え方として“統合”というキーワードをあげた。つまり、課題それぞれを単独のものとして捉えるのではなく、すべてを“統合”して全体を最適化することで、シームレスで迅速な開発・生産を実現していくという考え方である。同社では、ウイルスベクター製造においても、プラ

スミド製造からプロセス開発、ロジスティクスまで一貫してサービスを提供しているが、このように各要素を統合することが、開発と生産の迅速化につながるのだ（図2）。

柔軟な生産戦略の立案を

*in vivo*もしくは*ex vivo* 遺伝子治療薬の多くは単回投与によって治療効果を発揮するため、必要な生産量がピークから数年後には減少していくケースがあるということを意味する。そのため、生産キャパシティを柔軟に変更することも必要だ。Murphy氏は「ニーズを満たすために必要なキャパシティを確保することが重要で、施設や設備の確保、製造に必要な原材料や試薬の需要対応、市場へのアクセス要件などを鑑み、製品特性に応じた生産計画の下でプロジェクトを推し進めることが要件になる」と、市場での需要量を見極めながら、ライフサイクルに応じた生産戦略を立案することの必要性も訴えた。

サーモフィッシャーのファーマサービスは、冒頭に述べた通り、低分子・バイオ医薬でエンドツーエンドサービスを提供してきた豊富な実績を持つが、その特長を最大限に活かし、迅速な開発推進と柔軟な生産計画の実現という両輪で、市場の“これから”をけん引する遺伝子治療製品の分野でも、世界をリードするCDMOとして顧客をサポートしていくであろう。

最近ではmRNAのサービスにおいても、開発から商業生産までのエンドツーエンドサービスを開始し、さらにニーズが高まっている最先端の新しい創薬モダリティに対応したCDMOサービスも提供している。



図2 エンドツーエンドのソリューションによりウイルスベクターの開発・上市を支援