

2026年5月8日

報道関係各位

サーブ・バイオフーマ株式会社

## サーブ・バイオフーマ、 腫瘍溶解性ウイルス Surv.m-CRA-1 を用いた、原発性悪性骨腫瘍治療薬 に関して、「希少疾病用再生医療等製品」の指定を取得

サーブ・バイオフーマ株式会社（本社：鹿児島県鹿児島市、代表取締役社長：山田昌樹、創業者・取締役会長兼最高科学責任者：小賤健一郎、以下「当社」）は、当社が独自に開発を進めている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）」を用いた、原発性悪性骨腫瘍の治療薬（以下、「本治療薬」）に関して、2026年5月8日付けで厚生労働大臣より「希少疾病用再生医療等製品」（オーファンドラッグ）の指定を受けましたのでお知らせいたします。

### 背景と意義

腫瘍溶解性ウイルスは、がん細胞を選択的に破壊し、安全性と治療効果に優れた次世代がん治療として世界的に期待が高まる一方、日本国内では腫瘍溶解性ウイルスを含む再生医療等製品の開発が大きく立ち遅れており、日本発の革新的な腫瘍溶解性ウイルスの開発・実用化が切望されております。

このような背景のもと、当社は、当社の創業者で取締役会長兼最高科学責任者の小賤健一郎（鹿児島大学・教授）が独自開発した腫瘍溶解性ウイルス Surv.m-CRA（サバイビン反応性・多因子増殖制御型アデノウイルス）シリーズの社会実装化に向けて研究開発を推進しております。

「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、現在は、原発性悪性骨腫瘍に対する本承認取得を目指す第Ⅲ相医師主導治験を進行中です。

今回、本治療薬に関して、その効能及び効果が、独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（以下、「PMDA」）による審査、並びに厚生労働大臣の諮問機関である薬事審議会における審議等において認められ、厚生労働大臣より「希少疾病用再生医療等製品」（オーファンドラッグ）の指定を受けることとなりました。

希少疾病用再生医療等製品（オーファンドラッグ）指定制度とは、患者数が少ない疾患（希少疾病）に対する治療薬（再生医療等製品）の開発を促進するために、国が製薬企業を支援する目的から、医薬品医療機

器法第 77 条の 2 に基づき、「対象者数」、「医療上の必要性」及び「開発の可能性」に係る基準を満たすことを条件に、薬事審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定するものです。具体的には、対象患者数が本邦において 5 万人未満であること、対象疾患に対して医療上特にその必要性が高いこと、などの条件に合致することが必要となります。

オーファンドラッグに指定された場合、開発費用の助成金交付、優先審査、再審査期間の延長等の優遇措置を受けることが可能となります。

当社は、今回の本治療薬に対する日本におけるオーファンドラッグ指定を皮切りに、今後米国及び欧州においても、本治療薬に関するオーファンドラッグ指定取得を予定しております。日本だけでなくグローバル規模で原発性悪性骨腫瘍という希少疾患に苦しんでいる患者様に対し、一日も早く革新的な本治療薬をお届けできるよう、臨床開発も同時並行で進めてまいります。

当社は、今後もアンメット・メディカル・ニーズに応えるべく、ウイルス治療薬という新しいモダリティを活用し、がん治療および遺伝子治療の新たな可能性を切り拓くとともに、遺伝子治療のグローバルリーダーを目指して、引き続き研究開発を進めてまいります。

## 補足情報

### 希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）指定制度について

国内の対象患者数が 5 万人未満で、医療上の必要性が高い難病治療薬等の研究開発を促進する制度で、医薬品医療機器法第 77 条の 2 に基づき、対象患者数が本邦において 5 万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして、薬事審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定するものです。対象医薬品の種類に応じて、希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器、希少疾病用再生医療等製品の 3 種類があります。

オーファンドラッグに指定された場合、開発費用の助成金交付、税制措置、優先審査、再審査期間の延長の優遇措置を受けることが可能となります。

引用：厚生労働省 希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・希少疾病用再生医療等製品の指定制度の概要

<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html>

### 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法がなく、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。

### 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。

当社独自開発の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。

#### サーブ・バイオファーマ株式会社について

鹿児島大学小賤教授の独自技術の社会実装化を目的に、2022年8月に設立された鹿児島大学発の認定バイオベンチャーです。小賤教授は、独自に開発した「多因子増殖制御型アデノウイルス（m-CRA）」作製技術プラットフォームを用いて、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。悪性骨軟部腫瘍を対象としたリードパイプライン「Surv.m-CRA-1」に続き、3つの免疫遺伝子を搭載し、全身性抗腫瘍免疫誘導で他臓器転移を強力に治療できる「Surv.m-CRA-2-IC」も創出し、現在非臨床開発を進めており、早期の First-In-Human 治験入りを目指しております。上記シリーズに留まらず、今後も、画期的な腫瘍溶解性ウイルス・免疫治療のシーズを効果的かつ持続的に開発・実用化し、遺伝子治療のグローバルリーダーを目指してまいります。

#### お問い合わせ先

サーブ・バイオファーマ株式会社 管理部

電話番号：03-6824-2310

メールアドレス：[info@survbiopharma.co.jp](mailto:info@survbiopharma.co.jp)

以上