

再生・細胞医療・遺伝子治療分野の
今後の取組について

令和4年5月31日

再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会

1. はじめに

- 令和2年度から5年間となる健康・医療戦略（以下「戦略」という。）及び医療分野研究開発計画（以下「計画」という。）においては、モダリティ（技術・手法）等を軸とした6つの統合プロジェクトに再編され、3つ目の統合プロジェクトとして「再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト」が位置付けられた。
- 戦略では、推進本部の下に、統合プロジェクトを踏まえた協議会を設置し検討を行うこととされていることを踏まえ、令和2年7月29日に再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会（以下「協議会」という。）が設置され、これまでに8回の協議会を開催してきた。
- 協議会では、世界の研究開発動向等も踏まえつつ、
 - ①戦略・計画の掲げる2024年度までの目標達成に向けた課題と今後の対応
 - ②概ね2030年頃までの研究開発ロードマップ
 を取りまとめることとしており、令和3年5月28日に中間まとめを公表した。
- 本報告は、協議会におけるこれまでの検討状況を踏まえ、再生・細胞医療・遺伝子治療領域（以下「本領域」という。）の中長期的な研究開発を見据えつつ、今後の取組の在り方を提言するものである。

2. 医療分野研究開発における本領域の位置づけ

- 協議会における議論では、「再生・細胞医療」については組織幹細胞、ES細胞、iPS細胞を、「遺伝子治療」についてはex vivo 遺伝子治療、in vivo 遺伝子治療を整理している。医薬品モダリティの中では、本領域は萌芽期～導入期にある技術と位置づけられる（図1）。

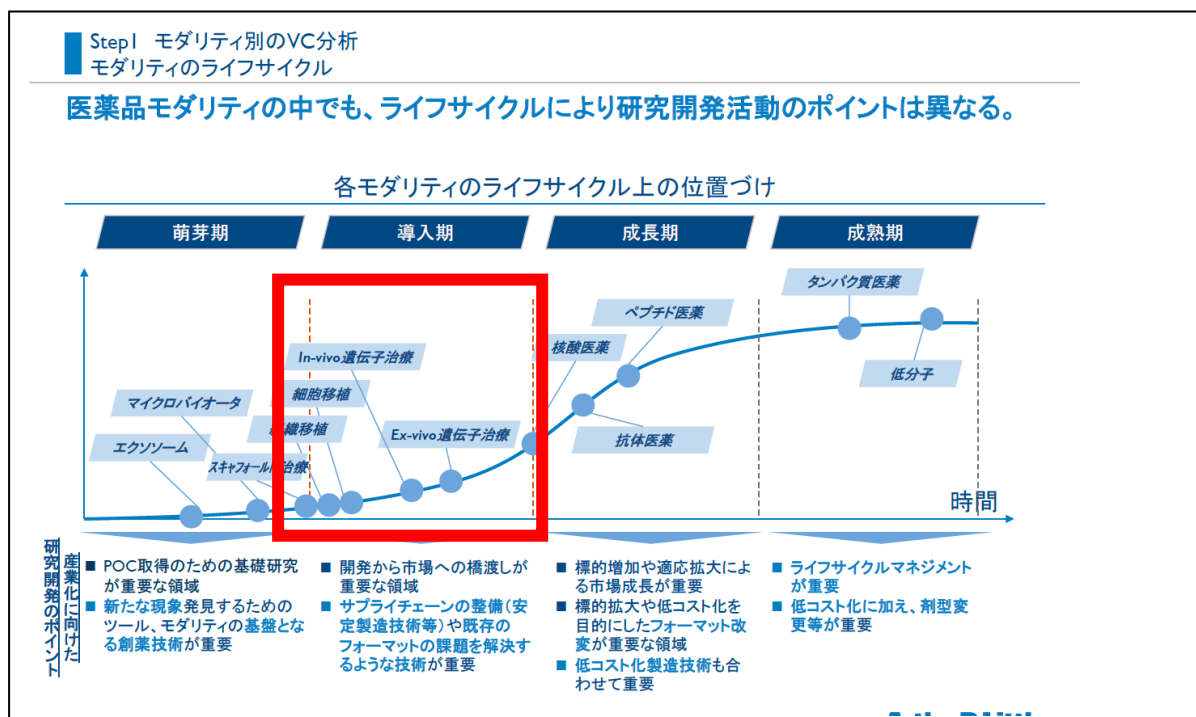


図1 第2回医薬品開発協議会 参考資料2より抜粋

3. 国内外の動向

(国内外の開発動向・市場規模予測)

- 世界における本領域の開発は活発化し、細胞移植や遺伝子治療が市場拡大を大きく牽引しており、2040年頃には2020年における市場規模の約20倍となるとの推計もある(図2)。

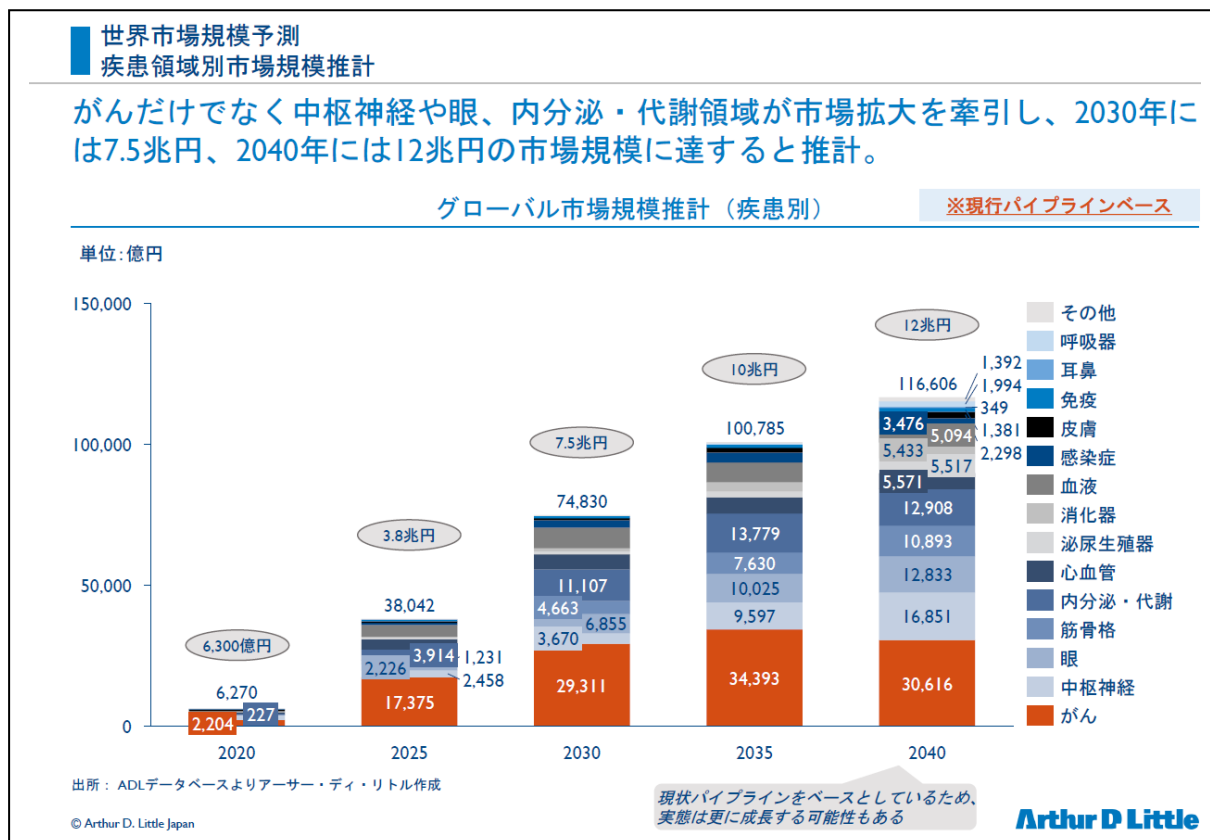


図2 第1回再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 資料4より抜粋

(各国政府による支援)

- 英国では、2012年に細胞治療カタパルトが立ち上げられ、臨床研究を中心に支援を開始され、2018年には遺伝子治療領域に拡張された。また、大規模GMPセンターを保有し、アカデミアの研究成果の橋渡しネットワークが構築された。また、2013年に再生医療プラットフォームが開始され、2018年より研究分野と対象疾患を絞った3つの再生医療研究拠点を整備し、基礎研究から疾患・領域を意識した臨床開発へ投資を集中した。
- 米国NIHによるiPS細胞への投資は継続的に増加し、2019年にiPS細胞の再生医療への投資縮小があったと同時に、iPS細胞の病態理解研究への投資が大きく拡大し、全体の投資増加をけん引している。また、米国NIHが本領域に投資している研究のうち、ex vivo 遺伝子治療は7割以上を占めている状況である。さらに、2021年にNIHはBespoke Gene Therapy Consortium (BGTC) を立ち上げ、遺伝子治療製品の開発を推進している。
- 我が国では、ヒトiPS細胞の作製に成功した山中伸弥京都大学教授による2012年

のノーベル賞受賞を踏まえた10年1,100億円の支援（文部科学省所管事業）を含む日本医療研究開発機構（AMED）事業を中心に基礎から実用化まで一貫した支援が行われており、世界初となる臨床研究が開始されているほか、再生医療等製品¹は令和3年度までに16製品が薬事承認（実用化）されている。

4. 研究開発動向（注目すべき主な新規技術）²

- 本領域において注目すべき主な新規技術は以下のとおりである。

（1）再生・細胞医療領域

栄養・増殖因子・エクソソーム等のパラクリン効果、疾患 iPS 細胞、オルガノイド、臓器チップ、ダイレクトリプログラミング、再生・細胞医療の境界拡大（再生誘導医薬、生体適合材料・無細胞化組織による細胞移植のない再生医療など）

（2）遺伝子治療領域

CAR-T、免疫細胞作成技術（iPS 細胞から遺伝子治療薬原料の製造）、CRISPR/Cas9 に代わる新規ゲノム編集技術、新規遺伝子導入ベクター、ゲノム編集医療

5. 協議会において指摘された主な課題

- 協議会の議論の中で指摘された主な課題は以下のとおり。

（1）再生・細胞医療領域

- ・オルガノイド、ミニ臓器は更なる発展が期待できる。エクソソームなど細胞を用いない新規技術についても注目すべき。
- ・基礎研究から臨床研究への橋渡し、リバース・トランスレーショナル・リサーチ（rTR）及び産学連携に注力すべき。
- ・商業利用を見据えた細胞供給システムの構築が必要。
- ・創薬において、ヒト由来の iPS 細胞を用いて有効性や安全性を試験することにより動物実験を代替できる。
- ・有効性の検証が課題であり、コントロールを適切に設定した検証が必要。また、群間比較でなくとも、治療前後で経過・効果を臨床の観点から評価し、数例～十数例でも効果がわかるものを重点的に支援すべき。

（2）遺伝子治療領域

- ・遺伝子治療の人材層が薄いため、基礎研究の強化や若手育成研究拠点が必要。ウイルス研究や感染症研究における成果は、遺伝子治療に応用できることから、こうした分野の研究者も取り込んでいくことが必要。
- ・国産のベクターやゲノム編集技術の開発が必要。また、ウイルスベクター増殖用

¹ 遺伝子治療用製品を含む

² 主な出典：第3回協議会（令和3年1月27日）参考資料6

細胞や、非ウイルスベクターの開発も重要。また、ベクターやゲノム編集技術（CRISPR-Cas9 など）の利用料が高額となっている状況も踏まえると、我が国独自技術の知財化を見据え、中長期的な基礎研究を支援すべき。

- ・医薬品 GMP レベルでのベクター製造拠点が必要。
- ・ベンチャーによる大企業とアカデミアの橋渡しが重要。

（3）モダリティ共通

- ・医療分野と工学系（情報・AI や有機化学）のアカデミアとの分野融合や、再生・細胞医療分野と遺伝子治療分野の研究者同士の連携による融合が重要。
- ・実用化に向けたアドバイスができる人材によるハンズオン支援が AMED 事業にあると効果的。事業化経験のあるアカデミアが他のアカデミアに助言することも有効。
- ・知財については、研究初期段階で事業の将来構想を考え、ゴールからの逆算で知財戦略を作り、それに基づいてどのように研究を進めるかが重要であり、知財戦略構築支援やリテラシーの向上が必要。また、製造方法や品質管理などの周辺技術も差別化に際して重要。
- ・臨床研究デザインのコンサルティング人材や培養・精製プロセス開発や製造等の人材育成の強化が必要。
- ・再生医療等製品の研究開発・製造販売を行う企業が事業で十分な収益を確保し、次なるイノベーションに再投資できるよう、市場開拓を支援する必要がある。
- ・研究開発初期から海外の規制や標準も念頭に置くことが重要である。
- ・条件付及び期限付承認における「有効性の推定」にあたり、何等かガイドラインのようなものがあることが、国際的な透明性と市場確保に重要である。
- ・カルタヘナ法については手続き簡素化が図られたが、引き続き規制・制度の運用の更なる効率的運用が要望されている。

6. 今後の対応の方向性

- 本領域については、これまでの協議会の議論、関係省庁における検討状況等を踏まえて、以下のような方向性を関係するステークホルダーが共有するとともに、関係省庁が一体となった支援を行い、次世代医療として次のステージに押し進めるべきである。

（1）基礎研究の成果をベースに「実用化」を推進

アンメットメディカルニーズに応え、患者に新たな医療を届けることを目指す。再生医療については、10年間の研究支援により、世界初の臨床研究が複数進行し、論文、特許、人材ともに厚みを持ちつつある。今後は、これまでの取組により培われた強みを損なうことなく、有機化学等の工学分野、周辺産業、スタートアップ、知財などに係る様々なステークホルダーが参画して取組を進め、有効な技術を次世代医療として患者に届ける。

そのためには、研究開発費の支援だけではなく、例えば、事業化に向けたハン

ズオン支援、有効性評価や臨床 POC 取得に向けた各研究開発段階における支援等の取組を含め、支援の質を高めていく。

(2) 再生・細胞医療と遺伝子治療の「融合」研究による新たな価値創出

遺伝子治療領域については、グローバルには有望な投資先となっている一方で、我が国では基盤強化が必要。我が国独自の技術の実現や既存技術の未適応疾患への適用などにより、まだ巻き返しが可能である。

第2期健康・医療戦略で再生・細胞医療と遺伝子治療が一体となった統合プロジェクトが位置づけられたことを踏まえ、再生・細胞医療・遺伝子治療の融合研究、本領域における強みを持った病院等の臨床研究拠点整備、細胞・ベクター等の製造基盤の強化等の取組を通じ、両分野の融合による新たな価値の創出を促す。

(3) 次世代 iPS 細胞、オルガノイド、エクソソーム、ゲノム編集による新しい遺伝子治療などの「革新的な研究開発」

再生医療については細胞レベルからスケールアップし人工臓器にたどり着くまでにはなお基礎研究が必要。さらに、次世代 iPS 細胞、オルガノイド、細胞から分泌されるエクソソームや、ゲノム編集医療など、基礎研究領域には新規モダリティが存在。幅広く、革新的な研究開発を進め、萌芽期にある技術を今後の医薬品や医療につなげていく。

7. 支援の具体的な内容

- 6. を踏まえて、既存の取組に加えて、今後速やかに関係省庁において以下のような取組を推進すべきである。

- ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」は令和4年度で「10年1,100億円」の支援が終了する。「再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方について」（文部科学省再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会）(※)を踏まえ、これまでに培った強みを損なうことのないよう、支援を行うべきである。

(※)同報告書では、分野全体の発展（次世代技術の革新的研究開発、rTRの推進等）、ELSI研究、産業界との連携・アカデミア発ベンチャーの育成、チーム型研究体制（バーチャルラボ）の構築、中核拠点をハブとした相乗効果の創出、疾患 iPS 細胞を用いた更なる研究の推進といった取組の必要性が提言されている。

- ・なお、革新的な研究開発や再生・細胞医療と遺伝子治療の融合研究への支援はもちろんのこと、科学的裏付けの下で臨床応用を進めるための rTR の推進、基礎研究段階からの規制対応や知的財産支援等、実用化を見据えた伴走支援を充実する。
- ・また、基礎研究段階における新たなモダリティなど革新的な研究開発を推進するとともに、本領域における若手研究者育成や大学等の研究開発基盤の充実などを通じて、国際的な競争力を維持し、領域全体における発展を図る。
- ・再生医療等安全性確保法の施行後5年見直しの方向性を踏まえ、これまで再生・

細胞医療に支援を限定していた事業による支援の対象を in vivo 遺伝子治療まで拡大する。さらに、適切な治験参加患者ネットワークの構築について検討を進めるほか、遺伝子治療領域においても、製造開発・臨床開発等を支援するための枠組みを構築する。

- ・ 遺伝子治療の臨床研究の強みを持った病院等の必要性を踏まえ、厚生労働省が関係省庁と連携して役割分担を行い、遺伝子治療分野の臨床研究拠点の整備を推進する。
- ・ 再生・細胞医療・遺伝子治療の産業化に向けて、製造人材育成を含む製造技術基盤の確立や、ベンチャー企業等による新規市場開拓支援に向けた新たな支援を実施する。
- 関係省庁から措置された事業を AMED が執行するにあたり、有効な技術を患者に届けるという観点から、非臨床 POC を取得している、ないし非臨床・臨床 POC の取得が見込まれる研究課題を優先的に採択し、本領域の医療の発展や再生医療等製品の市場拡大に寄与させていくべきである。
- 本協議会においては、今後、上記の関係省庁の取組を把握するとともに、規制・制度も含め、必要な支援の在り方や課題に対する解決策を検討していく。また、これまでに扱っていないテーマについてヒアリング等を行いながら、協議会における検討を進めていく。

8. 終わりに

- 令和4年3月8日（火）に開催された「新しい資本主義実現会議」において、岸田内閣総理大臣より、再生・細胞医療・遺伝子治療について、患者さん向けの治療法の開発や創薬など実用化開発を進めること、新しい資本主義の実行計画に盛り込んでいくことが表明された。
- 新しい資本主義とは、「成長と分配の好循環」と「コロナ後の新しい社会の開拓」という言葉に集約されていくが、価値の源泉が資本ではなく人的リソースへシフトして行っている中で、株主価値重視の資本主義から、多様なステークホルダーを重視した、持続可能な資本主義に政策を変更していく一連の活動であると理解できる。
- 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発の果実を医療として実用化し、国民に届けることは、病と戦うすべてのステークホルダーに活力を与え、国民全員が生き生きと人生を楽しむことにつながる新たな価値が、我が国の成長や世界の持続可能性に貢献するものである。本領域に関わる関係者がこの認識を共有し、今後の取組を進めていきたい。

以 上