

## 国内外の開発動向分析・市場規模予測 海外政府の投資動向について

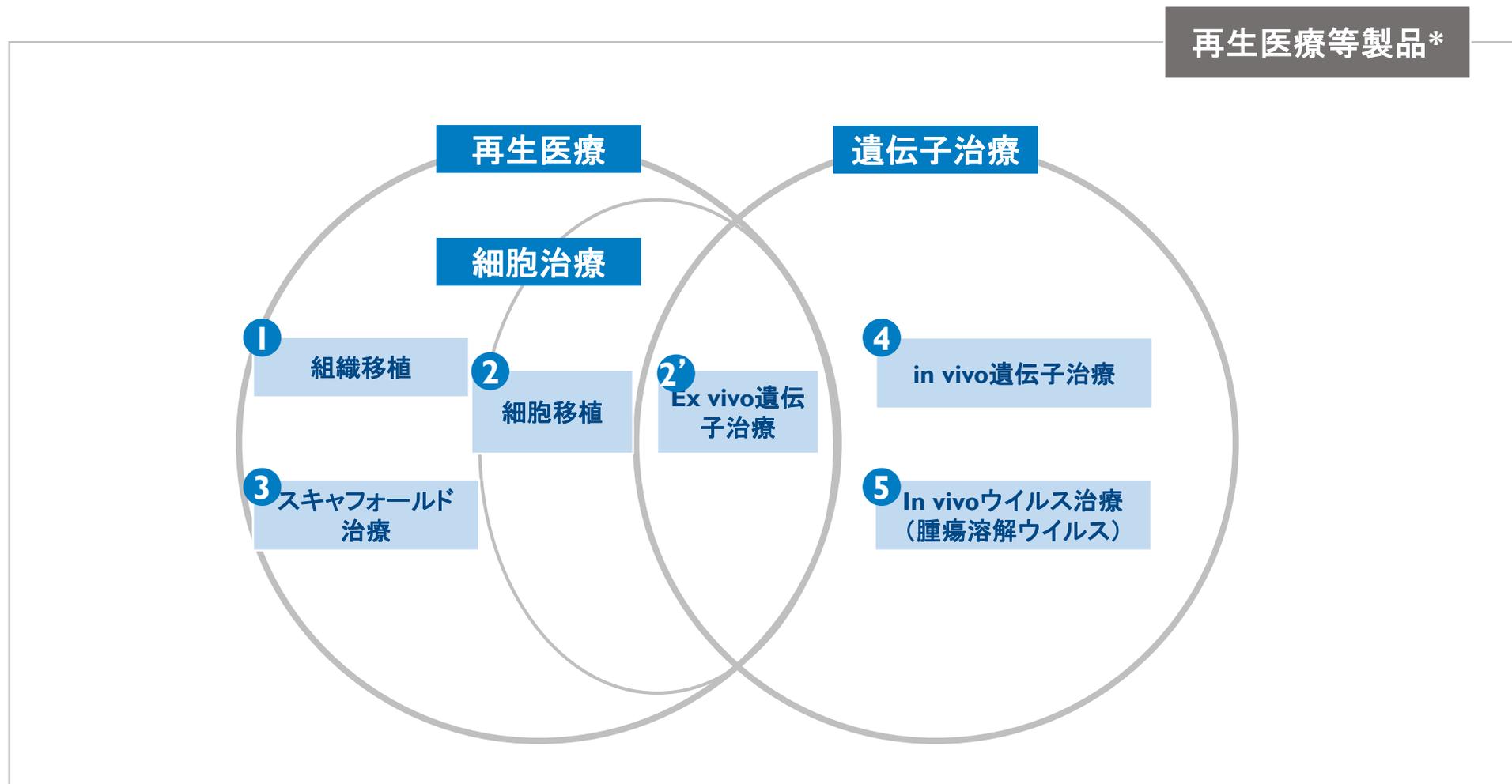
講演資料

2020年09月2日

## 用語の定義

### 再生医療・細胞治療・遺伝子治療の定義

本資料での用語の定義は以下の通り。



出所：アーサー・ディ・リトル分析

\*ウイルス治療のうち、遺伝子を導入しないものは再生医療等製品には含まれないことに留意が必要

本日は、グローバルの市場・開発動向と海外政府の投資動向から、市場獲得・代替に向けた方向性の分析結果をご紹介します。

## 国内外の開発動向・市場規模予測

### 1章

グローバルの開発動向分析

### 2章

対象疾患の疾患別の競争環境分析

### 3章

市場規模予測とロードマップ

## 海外政府の投資動向

### 4章

米国（NIH）の投資動向

### 5章

イギリス（CGTカタパルト）  
の投資動向

### 6章

欧米の投資動向からの示唆まとめ

- 1 グローバルの開発動向分析
- 2 対象疾患の疾患別の競争環境分析
- 3 市場規模予測とロードマップ
- 4 米国（NIH）の投資動向
- 5 イギリス（CGTカタパルト）の投資動向
- 6 欧米の投資動向からの示唆まとめ

# 上市品の動向

## グローバルにおける上市済み再生医療等製品

再生医療・遺伝子治療は欧州・米国・韓国を中心に複数品目が承認されている。

2019年12月時点**	製品名(対象疾患、承認年)		
欧州(44製品)	韓国(23製品)	日本(9製品)**	米国(29製品)
<ul style="list-style-type: none"> <li>■ MACI (筋骨格、2012)*</li> <li>■ Glybera (内分泌・代謝、2013)*</li> <li>■ Provenge, DC (がん、2013)*</li> <li>■ Holoclar (眼、2015)</li> <li>■ Imlygic, T-Vec (がん、2015)</li> <li>■ Strimvelis (免疫、2016)</li> <li>■ Zalmoxis (免疫、2016)</li> <li>■ Spherox (筋骨格、2017)</li> <li>■ Alofisel (消化器、2018)</li> <li>■ Luxturna (眼、2018)</li> <li>■ Kymriah (がん、2018)</li> <li>■ Yescarta (がん、2018)</li> <li>■ Zynteglo (血液、2019)</li> </ul> <p>その他31製品</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ Chondron (筋骨格、2001)</li> <li>■ Holoderm (皮膚、2002)</li> <li>■ Kaloderm (皮膚、2005)</li> <li>■ Keraheal (皮膚、2006)</li> <li>■ CreaVax-RCC (がん、2007)</li> <li>■ Immunocell-LC (がん、2007)</li> <li>■ RMS Ossron (筋骨格、2009)</li> <li>■ QueenCell (皮膚、2010)</li> <li>■ CureSkin (皮膚、2011)</li> <li>■ Hearticellgram-AMI (心血管、2011)</li> <li>■ Cartistem, MSC (筋骨格、2012)</li> <li>■ Cupistem (消化器、2012)</li> <li>■ Neuronata-R (中枢神経、2014)</li> <li>■ Keraheal-allo (皮膚、2015)</li> <li>■ Rosmir (皮膚、2017)</li> <li>■ Invossa-K (筋骨格、2017)</li> </ul> <p>その他7製品</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ JACE (皮膚、2007, 2016, 2018)</li> <li>■ JACC (筋骨格、2012)</li> <li>■ TEMCELL, MSC (免疫、2015)</li> <li>■ HeartSheet (心血管、2015)</li> <li>■ Stemirac (中枢神経、2018)</li> <li>■ Kymriah (がん、2019)</li> <li>■ Collategene (心血管、2019)</li> <li>■ Zolgensma (中枢神経、2020)</li> <li>■ Nepic (角膜、2020)</li> </ul> <p><b>ニュージーランド(3製品)</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>■ Prochymal, MSC (免疫、2012)</li> <li>■ ReCell/CellSpray (皮膚)</li> <li>■ Ortho-ACI (筋骨格)</li> </ul> <p><b>カナダ(3製品)</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>■ Prochymal, MSC (免疫、2012)</li> <li>■ Yescarta (がん、2019)、など</li> </ul> <p><b>オーストラリア(3製品)</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>■ ReCell/CellSpray (皮膚)</li> <li>■ Cartogen (筋骨格)</li> <li>■ Ortho-ACI (筋骨格、2017)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ MACI (筋骨格、2016)</li> <li>■ Carticel (筋骨格、1997)</li> <li>■ Provenge, DC (がん、2010)</li> <li>■ Laviv, fibrocell (皮膚、2011)</li> <li>■ HemaCord (がん、2011)</li> <li>■ Gintuit (歯、2012)</li> <li>■ HPC, Cord Blood (がん、2013)</li> <li>■ Ducord (血液、2012)</li> <li>■ Allocord (血液、2013)</li> <li>■ Imlygic, T-Vec (がん、2015)</li> <li>■ Clevecord (血液、2016)</li> <li>■ Kymriah (がん、2017)</li> <li>■ Luxturna (眼、2017)</li> <li>■ Yescarta (がん、2017)</li> <li>■ Zolgensma (中枢神経、2019)</li> </ul> <p>その他14製品</p> <p><b>シンガポール(3製品)</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>■ Chondrotransplant (筋骨格、2002)</li> <li>■ ReCell/CellSpray (皮膚)</li> <li>■ Cartogen (筋骨格)</li> </ul>

**凡例:**

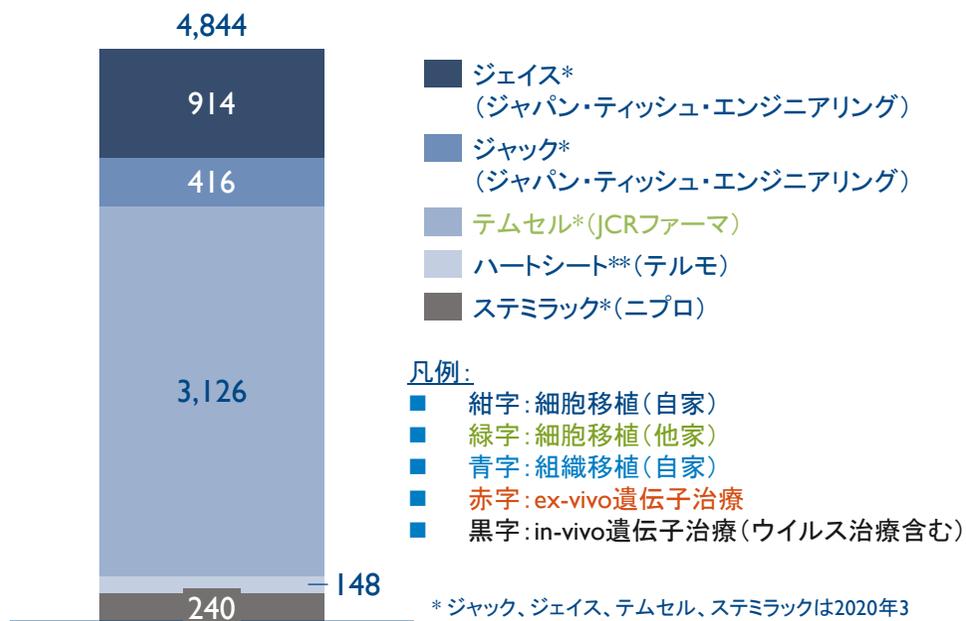
- 青字:細胞移植(自家)
- 緑字:細胞移植(他家)
- 赤字:ex-vivo遺伝子治療
- 黒字:in-vivo遺伝子治療
- 橙字:in-vivoウイルス治療

\* 現在は販売中止 \*\* 日本は2020年8月時点  
 出所: 開発品データベース (ADL作成)、各国のウェブサイトよりアーサー・ディ・リトル作成

国内の再生医療等製品の市場は2019年度で約48億円。2019年4月以降、4製品が上市されており、今後市場は拡大していくものと想定される。

国内上市品の売上規模(2019年度)

単位: 百万円



凡例:

- 紺字: 細胞移植(自家)
- 緑字: 細胞移植(他家)
- 青字: 組織移植(自家)
- 赤字: ex-vivo遺伝子治療
- 黒字: in-vivo遺伝子治療(ウイルス治療含む)

\* ジャック、ジェイス、テムセル、ステミラックは2020年3月期売上

\*\* ハートシートは2016年～2018年の間で十数例の実施例があるというデータから、年間の販売数を10例程度と仮定。標準治療価格を積算することで算出

2019年4月以降に販売開始した製品の売上

	売上	売上の集計期間
キムリア (ノバルティス)	167百万円***	2019年8月～11月
コラテジェン (アンジェス)	20百万円****	2019年9月～2020年6月
ゾルゲンスマ (ノバルティス)	不明	2020年5月発売のため
ネピック (ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング)	不明	2020年7月発売のため

\*\*\* 販売開始以降～11月までの時点での投与例は数例程度であることから、販売数量を5例と仮定。標準治療価格を積算することで算出

\*\*\*\* 2019年12月期・2020年12月期第2四半期の合計

出所: ADLデータベース、各社プレスリリースよりアーサー・ディ・リトル作成

現在国内で承認されている再生医療等製品は9製品であり、最大約1億6,700万円の薬価がついている。

2020年8月時点

## 国内の再生医療等製品の承認品目一覧(1/2)

製品名	承認／保険 収載年	企業	対象疾患	投与方法	薬価／材料価格	標準治療価格
ヒト（自己）表皮由来細胞シート「ジェイス」	2007年承認 2009年保険収載	ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	重症熱傷 先天性巨大色素性母斑	①皮膚組織を採取②約3週間培養③外科手術により移植	材料価格： ①採取・培養キット 4,380,000円 ②調整・移植キット 151,000円/枚*	1042万円 (調整・移植キットを算定限度の40枚使用した場合)
ヒト（自己）軟骨由来組織「ジャック」	2012年承認 2013年保険収載	ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	膝関節における外傷性軟骨欠損症又は離断性骨軟骨炎	①関節鏡手術で膝の軟骨を採取②約4週間培養③外科手術により移植	材料価格： ①採取・培養キット 879,000円 ②調整・移植キット 1,250,000円	212.9万円
ヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞「テムセルHS注」	2015年承認 2015年保険収載	JCRファーマ	造血幹細胞治療後の急性移植片対宿主病（GVHD）	1週間に2回、4週間、静注により投与	薬価： 86万8680円 (1バッグ)	1390万円 (37～72kgの患者、8回投与の場合)
ヒト（自己）骨格筋由来細胞シート「ハートシート」	2015年承認 (条件・期限付) 2015年保険収載	テルモ	重症心不全	①筋生検の手技により骨格筋を採取②約7週間培養③外科手術により移植	材料価格**： Aキット6,360,000円 Bキット1,680,000円	1476万円 (Aキット+Bキット5枚)
ヒト（自己）骨髄由来間葉系幹細胞「ステミラック注」	2018年承認 (条件・期限付) 2019年保険収載	ニプロ	・外傷性脊髄損傷（ASIA機能障害尺度がA、BまたはC）	①腸骨より骨髄液を採取②間葉系幹細胞を分離し約2週間培養③静注により投与	薬価： 1495万7755円 (1回分)	1495万7755円

出所：厚生労働省「新再生医療等製品の承認品目一覧」、各製品の添付文書を基にアーサー・ディ・リトル作成

\*算定限度：40枚（重症熱傷）・30枚（先天性巨大色素性母斑） \*\*Aキット：患者の細胞を採取するためのキット、Bキット：培養した骨格筋芽細胞と細胞をシート化するためのキット。関連技術料として「組織試験採取、切採法」500点、「心膜切除術」9420点が算定可能

現在国内で承認されている再生医療等製品は9製品であり、最大約1億6,700万円の薬価がついている。

2020年8月時点

## 国内の再生医療等製品の承認品目一覧(2/2)

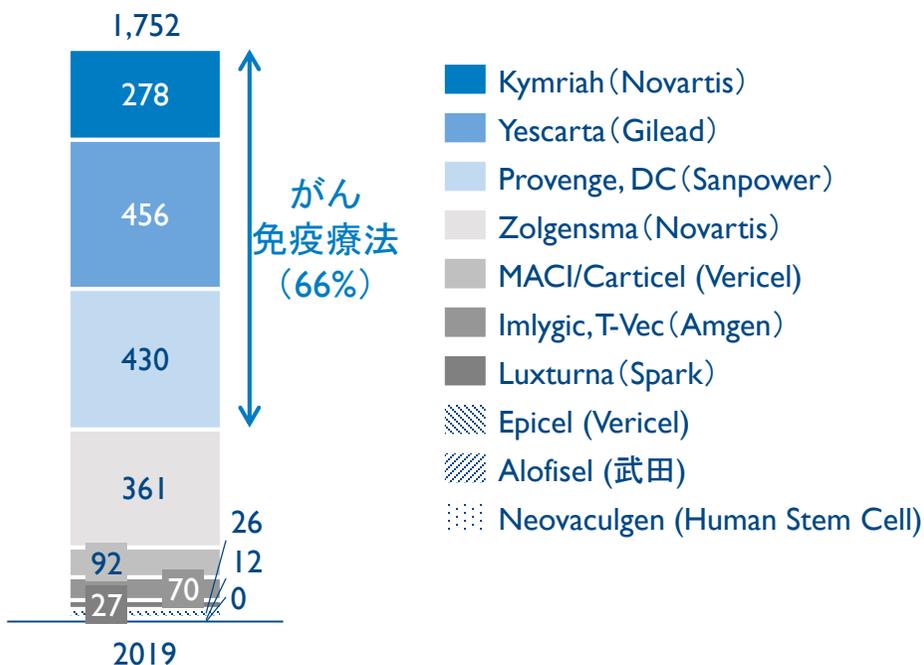
製品名	承認／保険 収載年	企業	対象疾患	投与方法	薬価／材料価格	標準治療価格
キメラ抗原受容体T細胞 (CAR-T) 療法「キムリア点滴静注」	2019年承認 2019年保険収載	ノバルティスファーマ	<ul style="list-style-type: none"> <li>再発または難治性CD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病 (B-ALL)</li> <li>再発または難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 (DLBCL)</li> </ul>	単回静脈投与	薬価： 3349万3407円 (1回分)	3349万3407円
ヒト肝細胞増殖因子 (HGF) 遺伝子治療薬「コラテジェン筋注」	2019年承認 (条件・期限付) 2019年保険収載	アンジェス	<ul style="list-style-type: none"> <li>標準薬物治療の効果が不十分で、血行再建術が難しい慢性動脈閉塞症 (閉塞性動脈硬化症・バージャー病)</li> </ul>	1ヶ所あたり0.5mgを8ヶ所に4週間間隔で2回筋肉内投与	薬価： 60万360円 (1回分)	120万720円
ヒト運動神経細胞生存 (SMN) 遺伝子治療薬「ゾルゲンスマ点滴静注」	2020年承認 2020年保険収載	ノバルティスファーマ	<ul style="list-style-type: none"> <li>脊髄性筋萎縮症患者 (坑AAV抗体が陰性)</li> </ul>	単回静脈投与	薬価： 1億6707万7222円 (1回分)	1億6707万7222円
ヒト (自己) 角膜輪部由来角膜上皮細胞シート「ネピック」	2020年承認 2020年保険収載	ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	<ul style="list-style-type: none"> <li>角膜上皮幹細胞疲弊患者 (重症度ステージIIA、IIBまたはIII)</li> </ul>	①角膜上皮細胞を採取②約4週間培養③外科手術により移植	材料価格*： ①組織運搬セット 4,280,000円 ②培養角膜上皮パッケージ5,470,000円	975万円

出所：厚生労働省「新再生医療等製品の承認品目一覧」、各製品の添付文書を基にアーサー・ディ・リトル作成

海外における主要な再生医療・遺伝子治療製品の規模は2019年時点で1,752百万米ドル。その内、上市が続くがん免疫療法の市場規模は7割弱を占める。

再生医療・遺伝子治療の  
主要な\*1海外上市品の売上規模(2019年\*2)

単位:百万米ドル



主要な上市品の概要

製品名	上市年/国	概要
Neovaculgen (Human Stem Cell)	2011(欧)	• キャリアはプラスミド • 末梢動脈疾患が対象疾患
Alofisel (武田)	2018(欧)	• 他家脂肪由来幹細胞 • 肛門複雑瘻孔が対象疾患
Epicel (Vericel)	1987年(米)	• 自家皮膚細胞 • 皮膚潰瘍・創傷が対象疾患
Luxturna (Spark Therapeutics)	2017(米) 2018(欧)	• キャリアはAAV • レーザー先天性黒内障が対象疾患
Imlygic, T-Vec (Amgen)	2015(米) 2015(欧)	• キャリアは腫瘍溶解性ヘルペスウイルスI型 • メラノーマが対象疾患
Cartigel (Vericel)	1997(欧・米・韓)	• 自家軟骨細胞 • 軟骨損傷が対象疾患
MACI (Vericel)	2012(欧)* 2016(米)	• 自家軟骨細胞 • 軟骨損傷が対象疾患
Kymriah (Novartis)	2017(米) 2018(欧) 2019(日)	• 自家T細胞にレンチウイルスで導入 • 急性リンパ芽球性白血病(ALL) (小児、若年成人)が対象疾患
Yescarta (Gilead)	2017(米) 2018(欧) 2019(加)	• 自家T細胞にレトロウイルスで導入 • びまん性大細胞型B細胞性リンパ腫が対象疾患
Provenge, DC (Sanpower)	2010(米)* 2013(欧)	• 自家免疫細胞 • 前立腺がんが対象疾患

\*大きな市場である米国・欧州に上市経験のある製品を抽出  
出所: ADLデータベース、各社プレスリリース等の公開情報よりアーサー・ディ・リトル作成

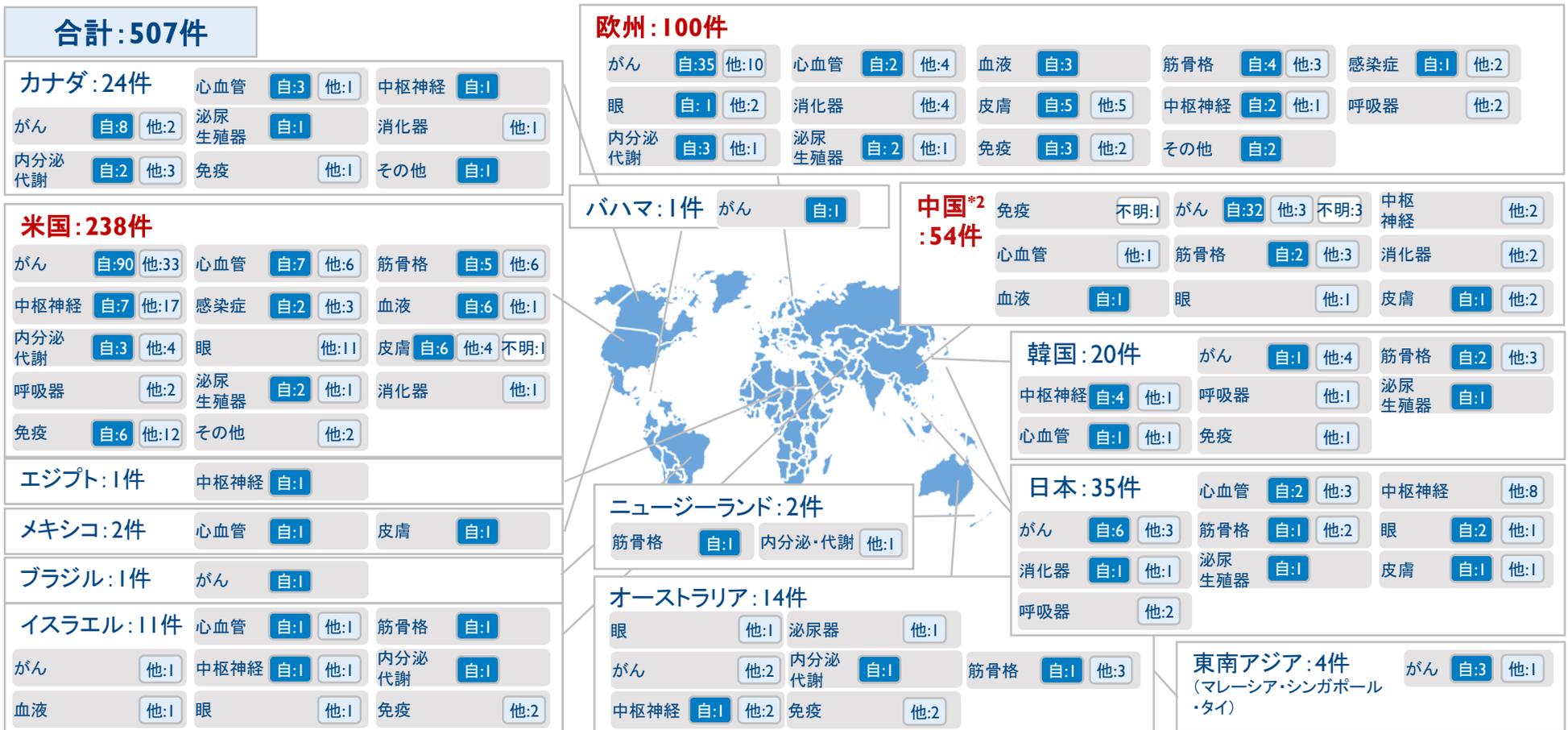
\*現在は販売中止

再生・細胞医薬品の開発品数は米国・欧州・中国の順で多く、開発が活発化している。

2020年1月時点

地域別の再生・細胞治療品開発品数 (ex vivo遺伝子治療を含む) \*1

自家細胞使用製品数  
使用細胞分類  
他家細胞使用製品数  
細胞ソース不明な製品数



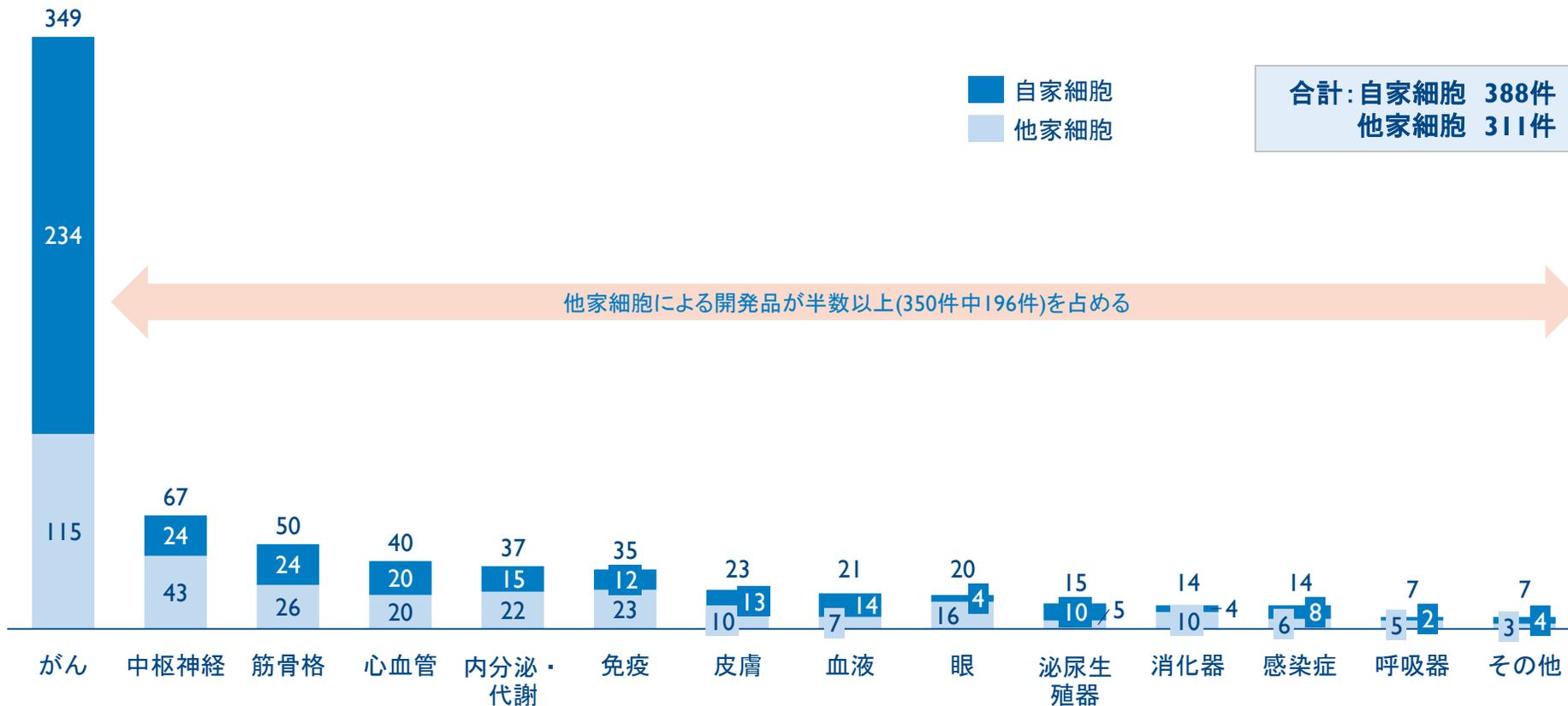
\*1：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント \*2：含、台湾

出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

再生・細胞治療の開発品は、がん領域が過半を占め、自家細胞が主流。がん以外の疾患領域では、他家細胞を用いた開発品が半数以上を占める。

2020年1月時点

疾患分類・自家/他家別の再生・細胞治療開発件数 (ex vivo遺伝子治療を含む)\*1



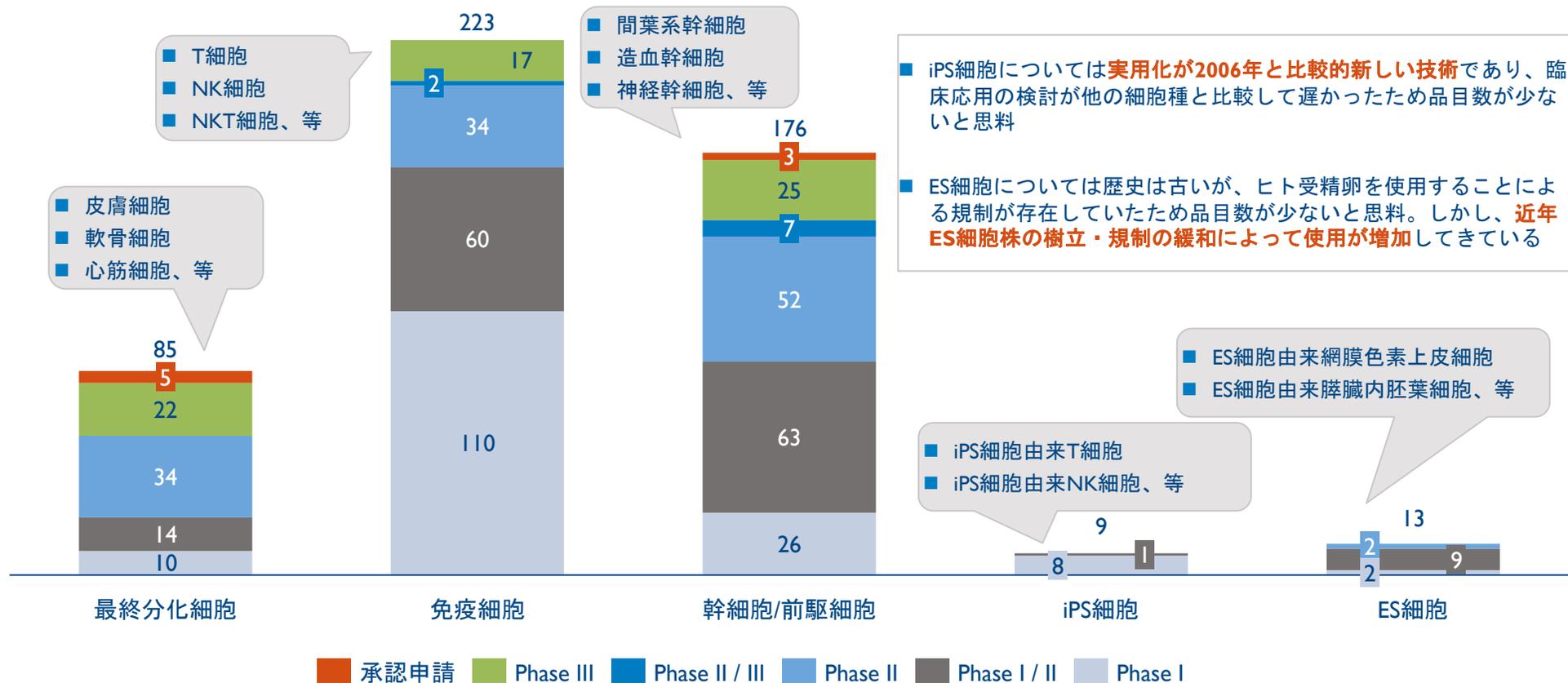
\*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類が不明な製品はカウントしない。

出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

T細胞などの免疫細胞や、間葉系幹細胞などの幹細胞／前駆細胞を使用した開発品が先行。iPS細胞やES細胞を使用した開発品目は初期段階に限定的。

2020年1月時点

細胞種類別の開発段階 (ex vivo遺伝子治療を含む) \*1



- iPS細胞については**実用化が2006年と比較的新しい技術**であり、臨床応用の検討が他の細胞種と比較して遅かったため品目数が少ないと思料
- ES細胞については歴史は古いが、ヒト受精卵を使用することによる規制が存在していたため品目数が少ないと思料。しかし、**近年ES細胞株の樹立・規制の緩和によって使用が増加**してきている

\*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、細胞種が不明な製品はカウントしない。  
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

iPS 細胞以外の細胞種は、米国での臨床試験実施数が圧倒的に多い。

2020年1月時点

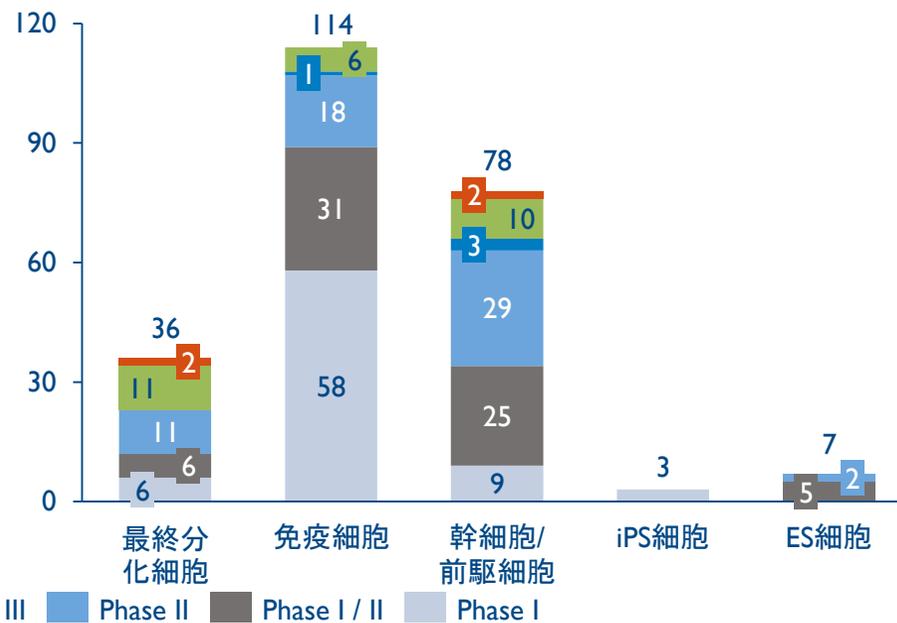
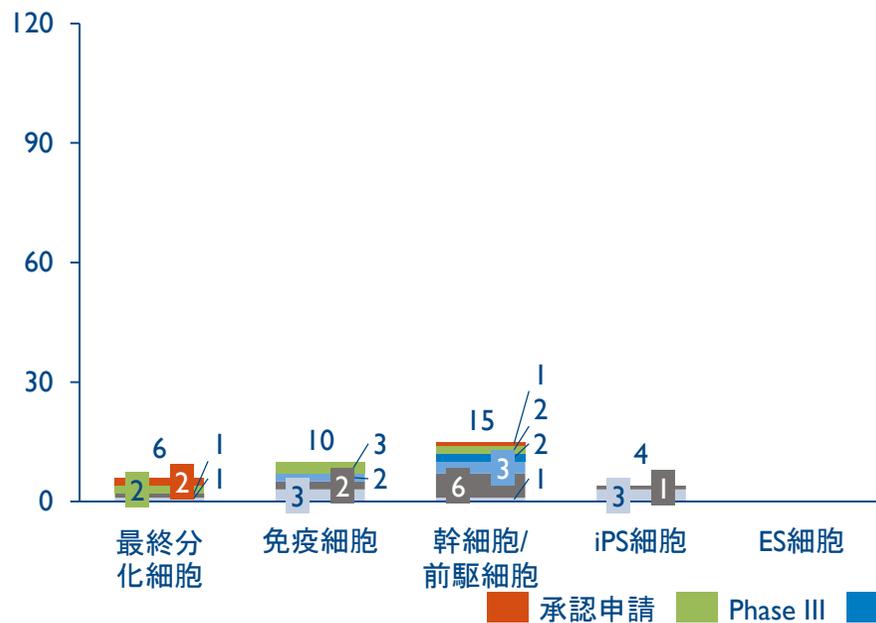
細胞種類別の開発段階（臨床試験実施国による分類）\*1

日本

米国

- 日本では企業が関与しない医師主導型の臨床試験が多く、企業主導型の臨床試験が少ない（本分析は企業が関与している臨床試験をカウント）⇒産官学のエコシステムに遅れが出ている可能性

- KymriahやYescarta等の成功により、がんへの免疫細胞治療のポテンシャルが評価され投資が加速
- MSCなどの体性幹細胞についても、大規模臨床試験を実施可能なベンチャーが多数出現したことで、開発・投資が活発化



\*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類が不明な製品はカウントしない。

臨床試験実施国による分類であり企業の所属国でないことに留意。

出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

# 遺伝子治療 遺伝子治療製品の開発品-開発エリア別

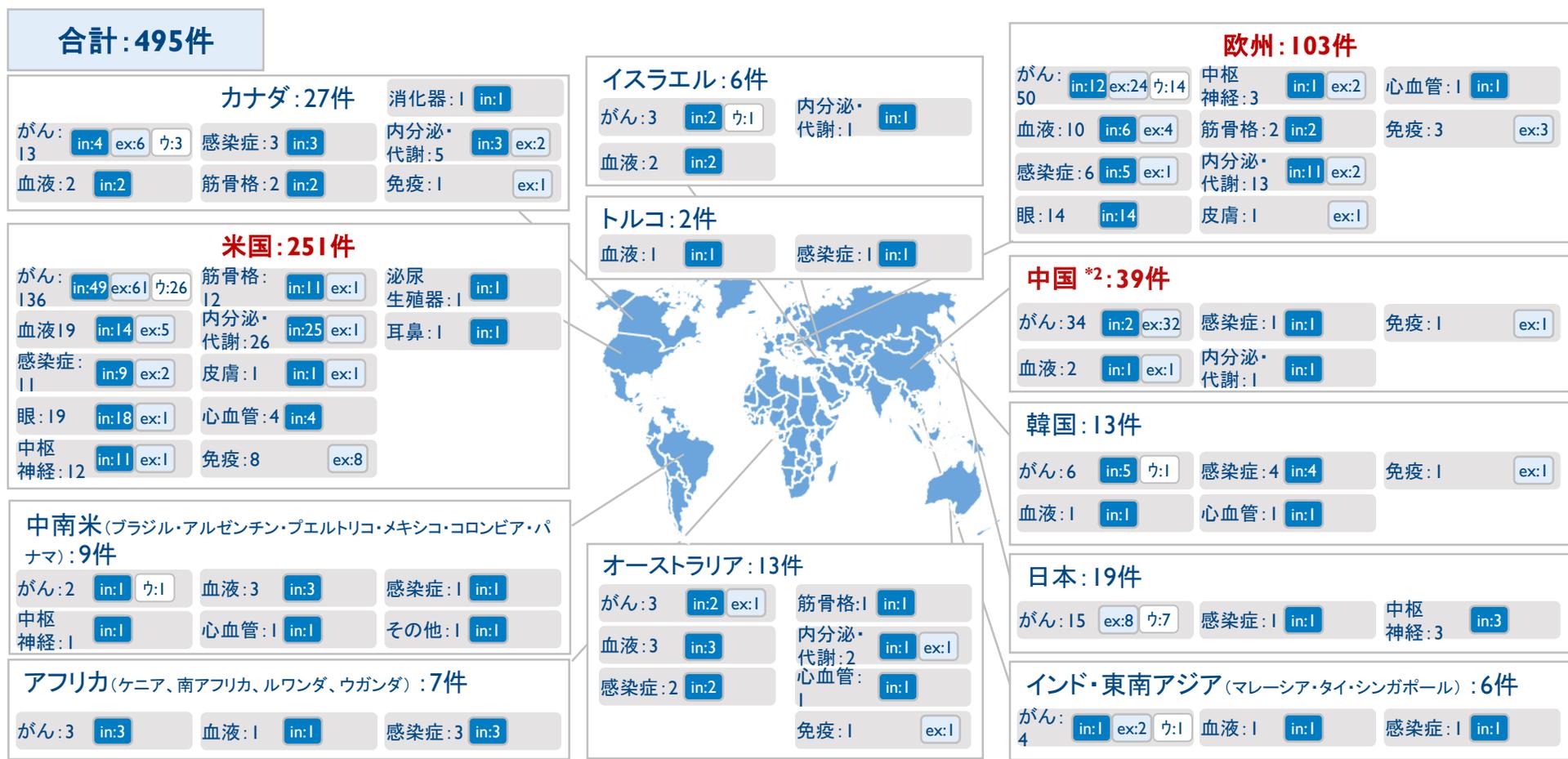
分析対象： Phase I Phase II Phase III  
Phase I/II Phase II/III 承認申請

遺伝子治療の開発品数は米国・欧州・中国の順が多い。

2020年1月時点

地域別の遺伝子治療品開発製品数\*1

凡例  
In vivo遺伝子治療開発製品数  
Ex vivo遺伝子治療開発製品数  
In vivoウイルス治療開発製品数

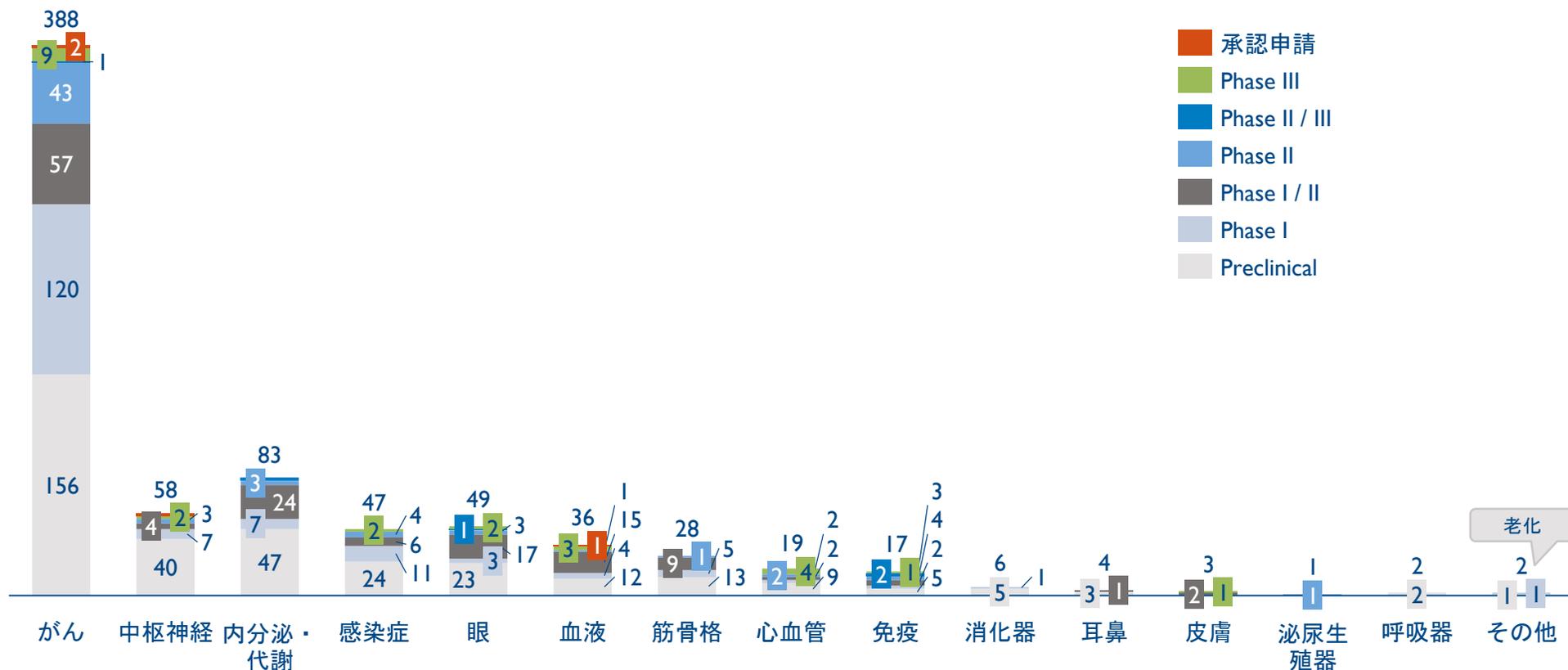


\*1：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント \*2：含、台湾

出所：ADLデータベースよりアサー・ディ・リトル作成

遺伝子治療ではがん領域の開発品目数が非常に多く、開発の中心となっている。

疾患分類別の各臨床段階における開発製品数\*1

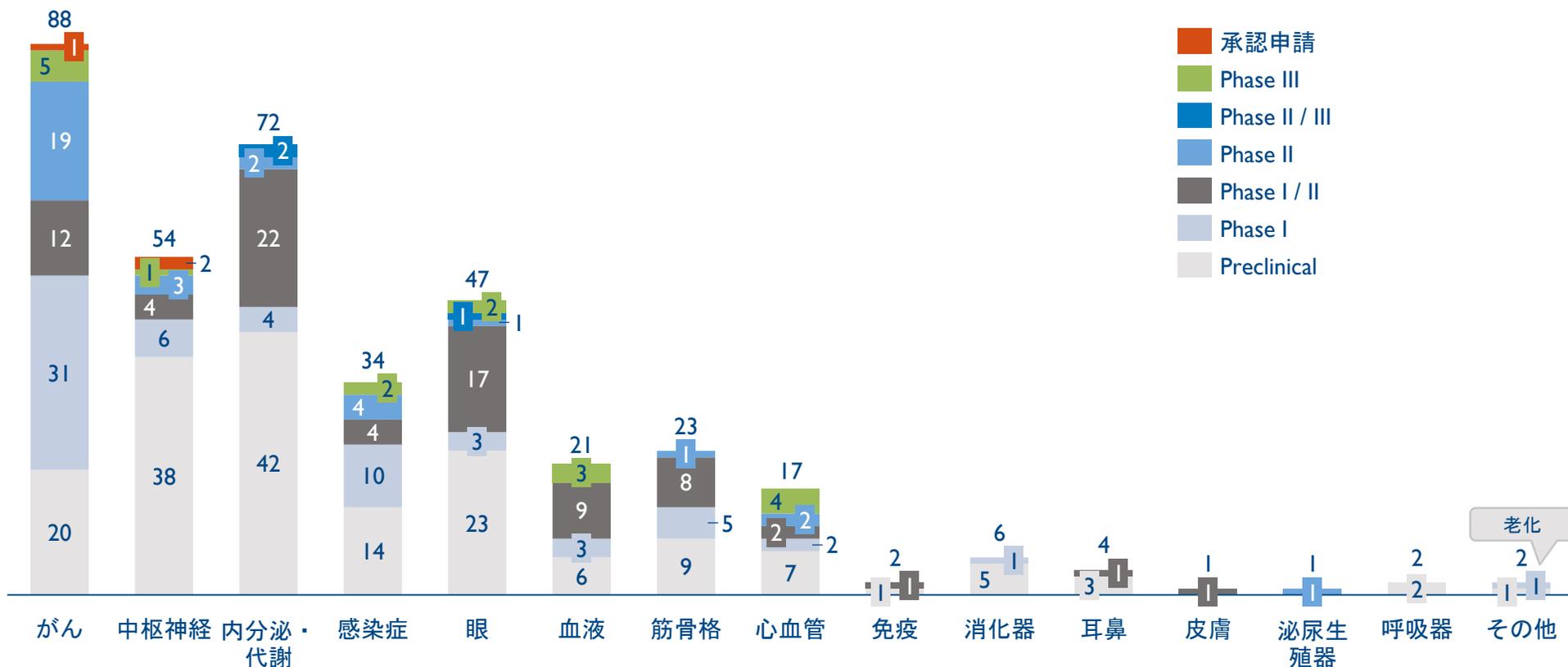


\*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類が不明な製品はカウントしない。in vivo遺伝子治療、ex vivo遺伝子治療、in vivoウイルス治療の合計。

出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

in vivo遺伝子治療においては、がんが多いものの、内分泌・代謝や中枢神経、眼などの遺伝性疾患においても開発が活発に行われている。

疾患分類別の各臨床段階における開発製品数\*1 (in vivo遺伝子治療)

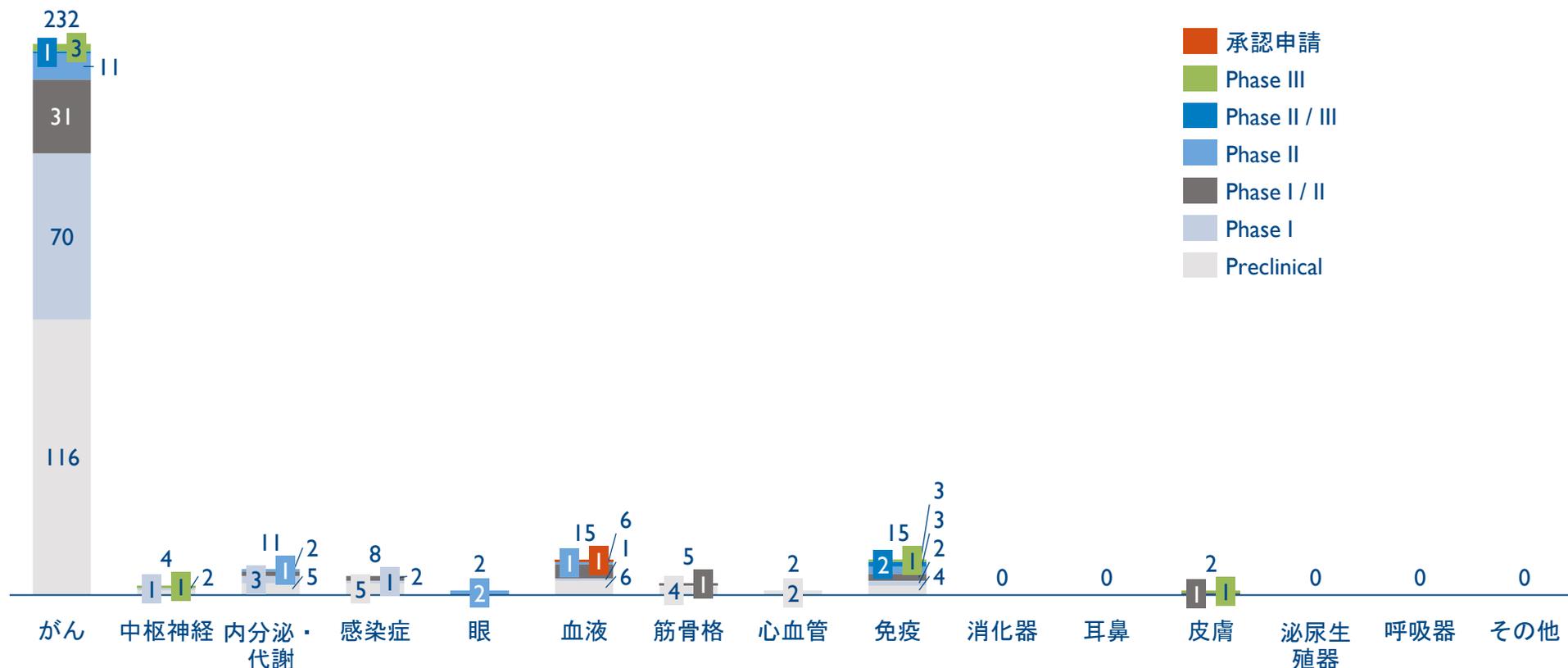


\*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類が不明な製品はカウントしない。

出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

ex vivo遺伝子治療ではがんが大半を占めるが、血液や免疫など造血幹細胞の遺伝子編集による治療法開発も進展している。

疾患分類別の各臨床段階における開発製品数\*1 (ex vivo遺伝子治療)



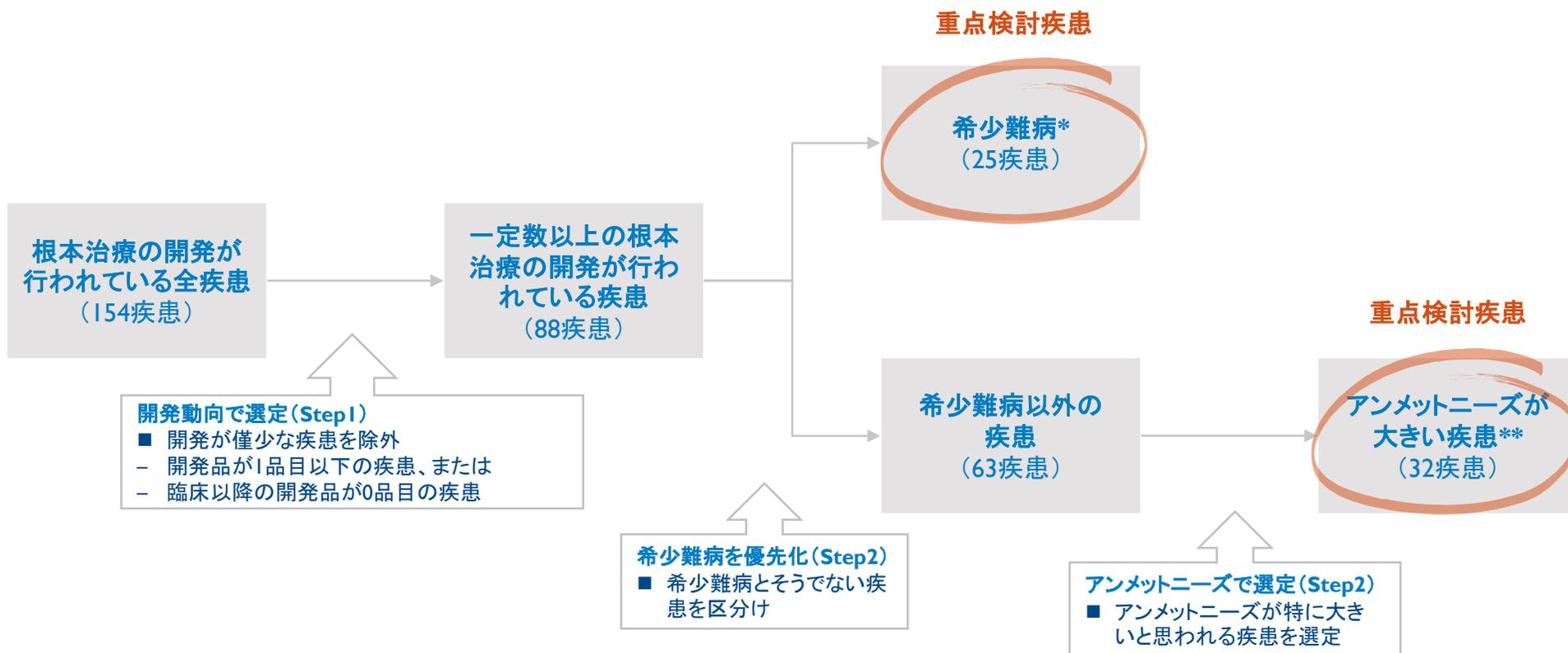
\*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類が不明な製品はカウントしない。

出所: ADLデータベースよりアサー・ディ・リトル作成

- 1 グローバルの開発動向分析
- 2 対象疾患の疾患別の競争環境分析
- 3 市場規模予測とロードマップ
- 4 米国（NIH）の投資動向
- 5 イギリス（CGTカタパルト）の投資動向
- 6 欧米の投資動向からの示唆まとめ

開発動向とアンメットニーズの観点から検討疾患を選定した。指定難病は優先的に検討疾患とした。

### 検討疾患の選定プロセス



\*: 指定難病のうち、受給者証保持者数が1万人以下の疾患を選定

\*\* : 著効する治療法が限定的な疾患や、投与頻度等既存治療の改善が求められている疾患を選定

下記の検討疾患について、市場性/開発動向の深堀検討を実施。

検討疾患リスト

疾患領域	疾患名	希少難病*
がん	固形がん	
	血液がん	
心血管	虚血性心疾患	
	重症下肢虚血	
	末梢動脈疾患	
	心筋症	✓
	肺動脈性肺高血圧症	✓
中枢神経	筋萎縮性側索硬化症	✓
	多発性硬化症	✓
	脳梗塞	
	外傷性脳損傷	
	脊髄損傷	
	パーキンソン病	
	副腎白質ジストロフィー	✓
	末梢神経障害/神経因性疼痛	
	アルツハイマー病	
	脊髄小脳変性症	✓
筋骨格	脊髄性筋萎縮症	✓
	レット症候群	
	視神経脊髄炎	
	関節リウマチ	
	筋ミオパチー	✓
	関節症	
	筋ジストロフィー	✓
	椎間板変性	
重症筋無力症	✓	
関節軟骨欠損		

疾患領域	疾患名	希少難病*
内分泌・代謝	ライソゾーム病	✓
	嚢胞性線維症	✓
	先天性代謝障害	✓
	クリグラー・ナジャー症候群	
	糖尿病	
血液	尿素サイクル異常症	✓
	血友病A/B	
	ヘモグロビン異常症	✓
	再生不良性貧血	✓
	ファンconi貧血	✓
	血液凝固障害	
眼	加齢黄斑変性	
	網膜色素変性	✓
	アッシュャー症候群	✓
	黄斑ジストロフィー	✓
	レーバー先天性黒内障	
皮膚	皮膚潰瘍/創傷/熱傷	
	強皮症	✓
	表皮水疱症	✓
消化器	肝硬変/肝不全	
	原発性硬化性胆管炎	✓
	クローン病	✓
感染症	HIV	
	結核	
免疫	移植片対宿主病	
	原発性免疫不全症候群	✓
泌尿生殖器	腎不全	
耳鼻	難聴	
呼吸器	慢性肺疾患	
その他	歯周病	

\*: 指定難病のうち、受給者証保持者数が1万人以下の疾患

### 分析の前提

- 全世界における2020年1月時点の開発状況を分析
  - ADLデータベースをもとに、各疾患における各モダリティの開発状況を分析
- 2020年1月時点における各種開発状況や臨床試験結果、エキスパートインタビュー等を参考に、各疾患において有望技術を選定

### 有望技術選定の基準

- 以下に該当するものを有望技術として選定
  - 臨床試験において著効例や効果が示された場合
  - 効果発現のメカニズムが明確であり著効が期待できる場合
  - 他のモダリティで開発が進展しておらず、競合がない場合
- ただし、同一疾患領域において著効例や大規模臨床試験による効果検証済みの例が複数のモダリティで確認された場合は、有望技術は未詳とした

### 実用化時期の基準

- 前臨床・基礎研究段階 : 超長期
- Phase I、Phase I/II段階 : 長期
- Phase II段階 : 中期
- Phase II/III、Phase III段階 : 短期

### 留意事項

- 今後の臨床試験結果によって有望技術は変化する可能性
  - 特に前臨床試験段階の開発品については、今後臨床試験の結果での著効が確認されれば有望技術となる可能性



- **Ex vivo**遺伝子治療が有望だと思われる領域はがん、炎症性疾患、単一遺伝子疾患、感染症
- **In vivo**遺伝子治療は疾患理解が進み、遺伝子導入による治療効果が見込める単一遺伝子疾患、パーキンソン病で有望。但し、核酸や低分子等のモダリティとのすみ分け可能性もあり。
  - 単一遺伝子疾患、パーキンソン病では治療効果が見込める遺伝子が同定されており、遺伝子導入による治療が有効
  - 但し核酸や低分子などで一定の効果を示す例も散見され、今後のエビデンス次第では棲み分け可能性あり
- 加齢黄斑変性や糖尿病では、**in vivo**遺伝子治療による根本治療が見込まれるが、同様に細胞移植でも効果が期待されており、有効性等のデータに依存すると思料
- 細胞移植（パラクライン）については、臨床試験が進捗している心血管・中枢神経で市場化可能性あり
  - 心血管領域では後期臨床試験が進んでおり市場シェア獲得の可能性はある（他のモダリティの臨床試験の結果にも依存）
  - 中枢神経領域では臨床初期段階、臨床試験の結果次第では市場拡大する可能性あり（他モダリティの臨床試験の結果にも依存）
- 細胞移植（生着）は効果が出ている血液・皮膚では有望だが、その他の疾患領域でも臨床試験の結果次第では市場拡大の可能性あり
- 神経損傷、筋骨格損傷に対する再生医療は著効例が少なく、有望技術は今後の臨床試験結果に大きく左右される
- 一部疾患については、再生医療・遺伝子治療の普及のために抗体医薬品などの既存治療との差別化が特に必要
  - がん、炎症性疾患、単一遺伝子疾患では、既存治療が一定の治療効果を発揮しているものが多い
  - そのため、単価が高く発展途上にある再生医療・遺伝子治療が普及するためには、既存治療との差別化に特に留意が必要

- 1 グローバルの開発動向分析
- 2 対象疾患の疾患別の競争環境分析
- 3 市場規模予測とロードマップ
- 4 米国（NIH）の投資動向
- 5 イギリス（CGTカタパルト）の投資動向
- 6 欧米の投資動向からの示唆まとめ

### 市場規模算出の前提

- 2020年1月時点における開発パイプラインをもとに算出しており、新規技術のブレイクスルーにより長期的な予想は大きく変わりうる
  - 現在根本治療のターゲットにされていない疾患については推測が困難なため算出の対象外
  - 将来的に登場する新規技術も予測困難であるため勘案せず
- 安全性が担保され、大きな有害事象もなく開発が進むと仮定
- それぞれの疾患において有効性が実証されると仮定
  - 既存治療がある疾患においては、治療効果が高く既存治療との差別化が可能と仮定
  - 既存治療がない疾患においては、十分な治療効果を発揮可能と仮定
- 日米欧の全人口と中国・インドの10%の人口（全世界人口の約20%）が先進医療を享受可能と可能と仮定して、グローバルの対象患者数を試算

### 市場規模算出の方法

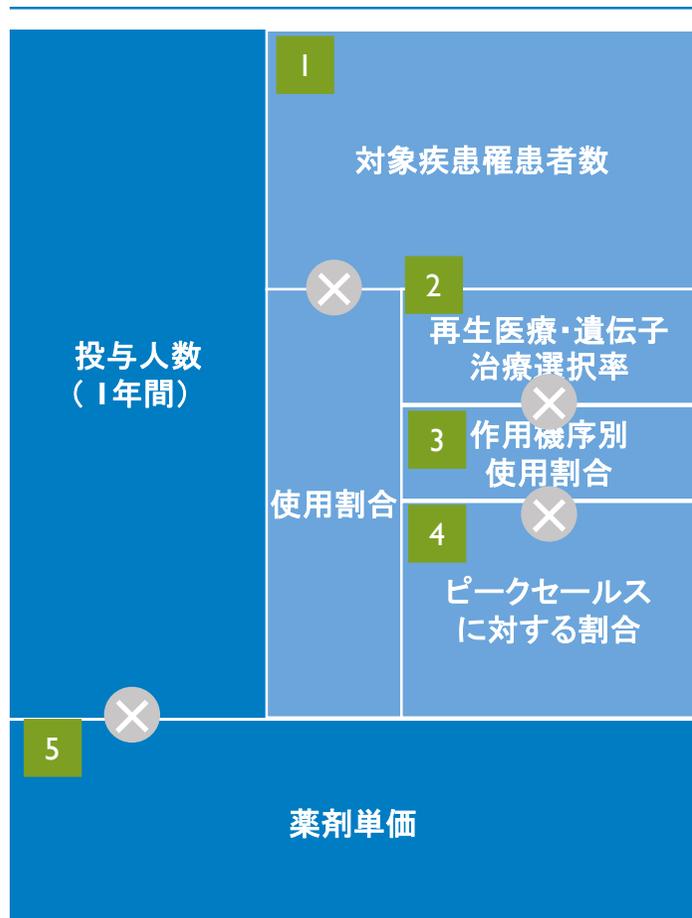
- 現在の開発品がターゲットとする各疾患において売上規模を算出し、それらを積み上げて市場規模を算出
  - 製品ごとの売上は算出せず、疾患ごとの市場規模を算出

### 留意事項

- 再生医療・遺伝子治療の対象患者数、選択率やそれに基づく推計市場規模は2020年1月時点における仮説であり、臨床試験結果や他モダリティの効果によって変わる可能性
- 同一疾患内においては、後期臨床試験のパイプライン数が多い作用機序ほど市場規模が大きくなる試算方法
  - パイプライン数に基づく試算のため、個別の開発品の有効性は考慮されていない

「投与人数×薬剤単価」により各疾患で再生医療・遺伝子治療法の市場規模を積み上げることで年間市場規模を算出。

## 市場規模算出ロジック



## 概要

- 対象患者数、年間の対象疾患罹患患者数を公開情報より引用\*
  - 年間罹患数が取得可能な場合は潜在対象患者数/年間罹患数で有病期間を算出
  - 有病期間が取得可能な場合は潜在対象患者数/有病期間で年間罹患数を算出
  - 適用患者は重症患者に限定されると仮定し公開情報より引用\*
- 根本治療や自然減による患者減少、新規患者数を勘案して患者人数推移を推計
- 疾患別に再生医療・遺伝子治療の選択率を設定\*\*
  - 年間使用者数 / 治療対象患者数を再生医療・遺伝子治療と定義
- 開発品の効果や他の治療法の有効性を鑑みて再生医療・遺伝子治療選択率を設定\*\*
- パイプラインの合計成功確率は有望度と相関があると想定し、再生医療・遺伝子治療選択率を作用機序ごとの合計成功確率で按分することで、モダリティ別使用率を算出
- 上市時期は合計成功確率を基に推計
  - 合計成功確率が10-50%のものは2035年に上市、100%未満のものは2030年に上市、100%以上のものはパイプラインで最も開発が進んでいるものが滞りなく上市すると仮定
- ピークセールスに達するまで数年かかると仮定し、各作用機序に対して上市后X年目の割合を算出
- 「疾患×作用機序」のマトリクスに対して、価格を仮定
  - 疾患：患者数を基にUltra-rare disease、Rare disease、Common diseaseの3種に分類
  - 作用機序：スキャフォールド治療、組織移植、細胞移植、Ex vivo遺伝子治療、In vivo遺伝子治療、In vivoウイルス治療の6種に分類
- 上市後は1年毎に3%ずつ薬価が下落すると仮定

\*: 各疾患における文献、政府統計等から引用

\*\* : P115-P118を参照

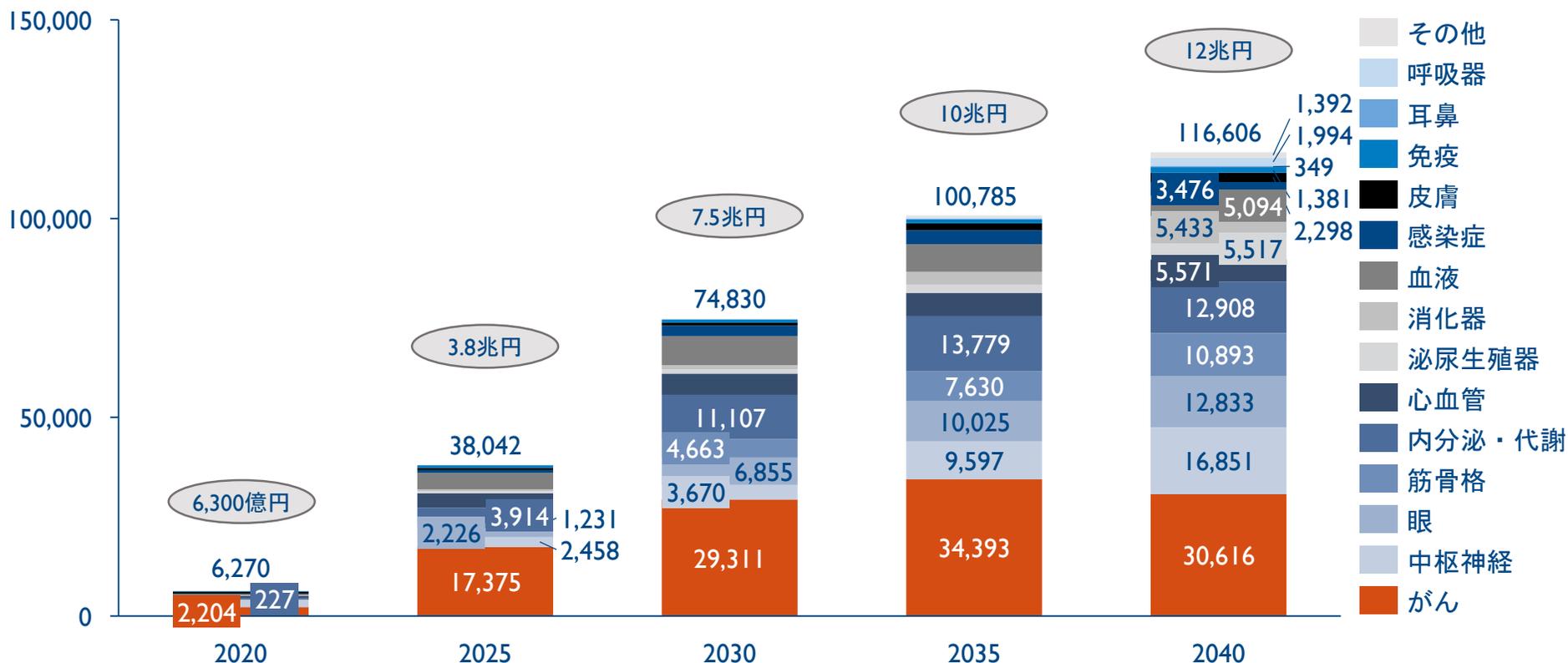
# 世界市場規模予測 疾患領域別市場規模推計

がんだけでなく中枢神経や眼、内分泌・代謝領域が市場拡大を牽引し、2030年には7.5兆円、2040年には12兆円の市場規模に達すると推計。

## グローバル市場規模推計（疾患別）

※現行パイプラインベース

単位：億円



出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

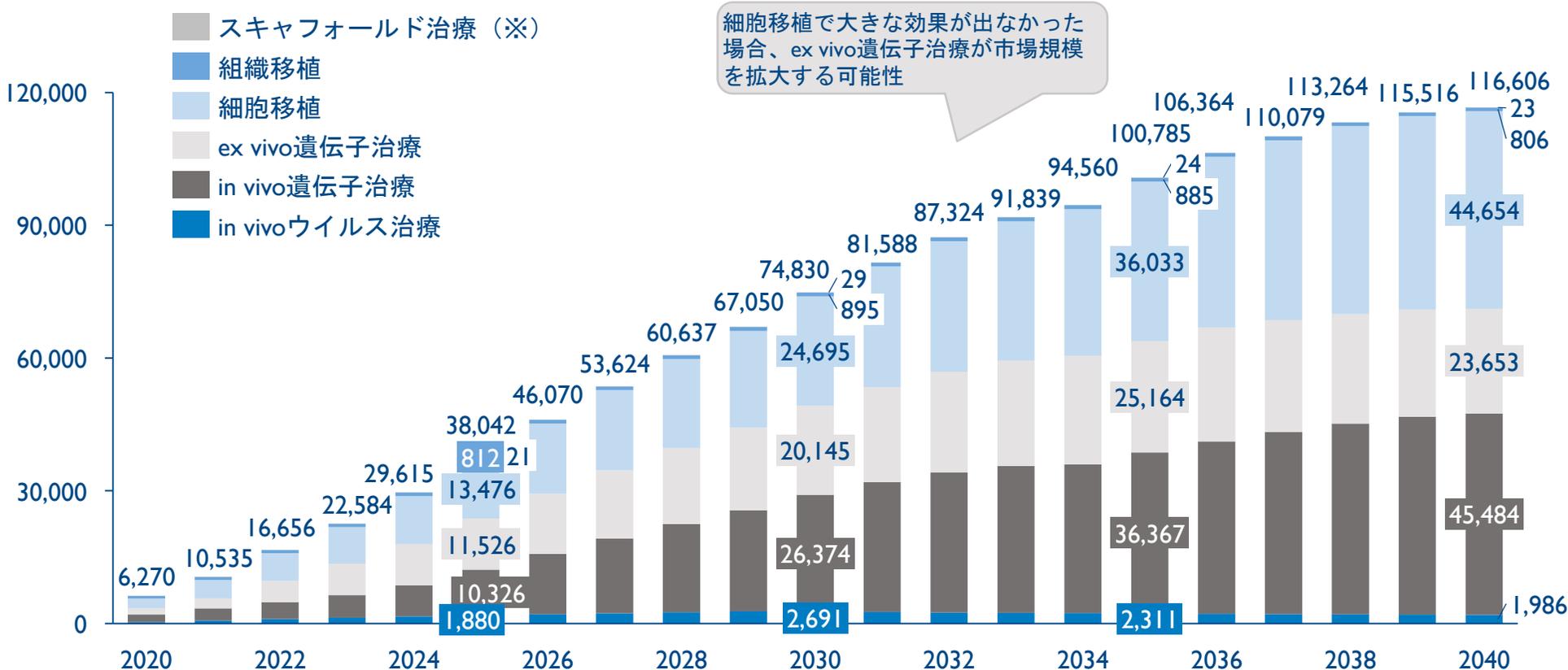
現状パイプラインをベースとしているため、  
実態は更に成長する可能性もある

細胞移植やIn vivo、Ex vivo遺伝子治療が市場拡大を大きく牽引。組織移植やスキャフォールド治療、in vivoウイルス治療の拡大余地は限定的な見込み。

グローバル市場規模推計（作用機序別）

※現行パイプラインベース

単位：億円



出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

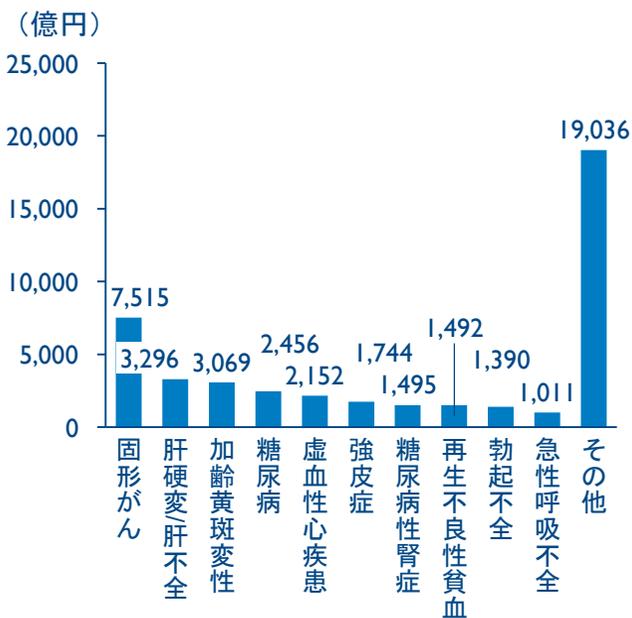
※合成物質などを用いた医薬品として開発されているスキャフォールドを試算。脱細胞組織を用いたスキャフォールドは含まない

Ex vivo遺伝子治療はがんや血液・感染症など一部の疾患のみで市場規模が拡大。細胞移植やin vivo遺伝子治療は幅広い疾患に適用され市場を獲得すると推計。

### 2040年におけるグローバル市場規模推計

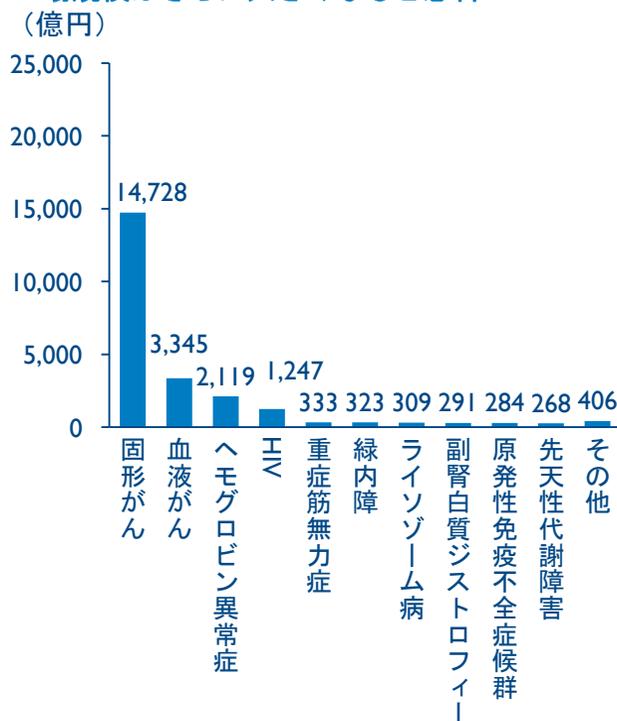
#### 細胞移植 (計4.5兆円)

- 固形がんを始めとして様々な疾患で市場を獲得する可能性



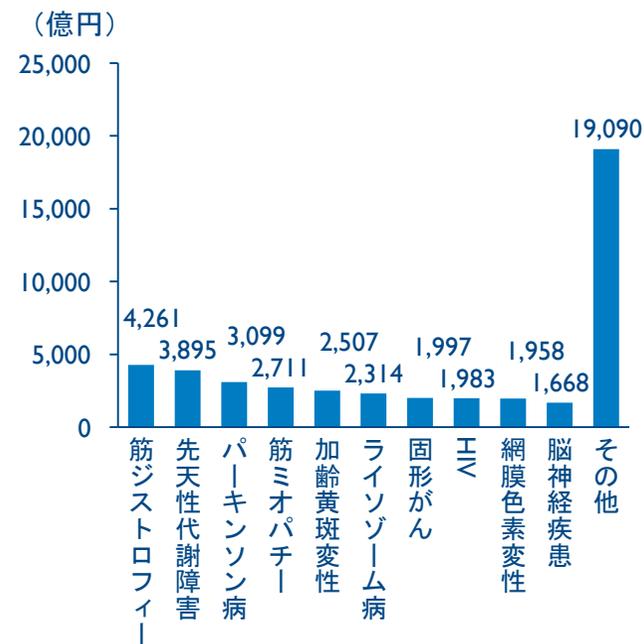
#### Ex vivo遺伝子治療 (計2.4兆円)

- 固形がん、血液がん、ヘモグロビン異常症、HIVのみ市場が大きくなると想定
- 固形がんにおける成否が市場規模を左右
- 幅広い疾患で開発が増加すれば潜在的な市場規模はさらに大きくなると思料



#### In vivo遺伝子治療 (計4.5兆円)

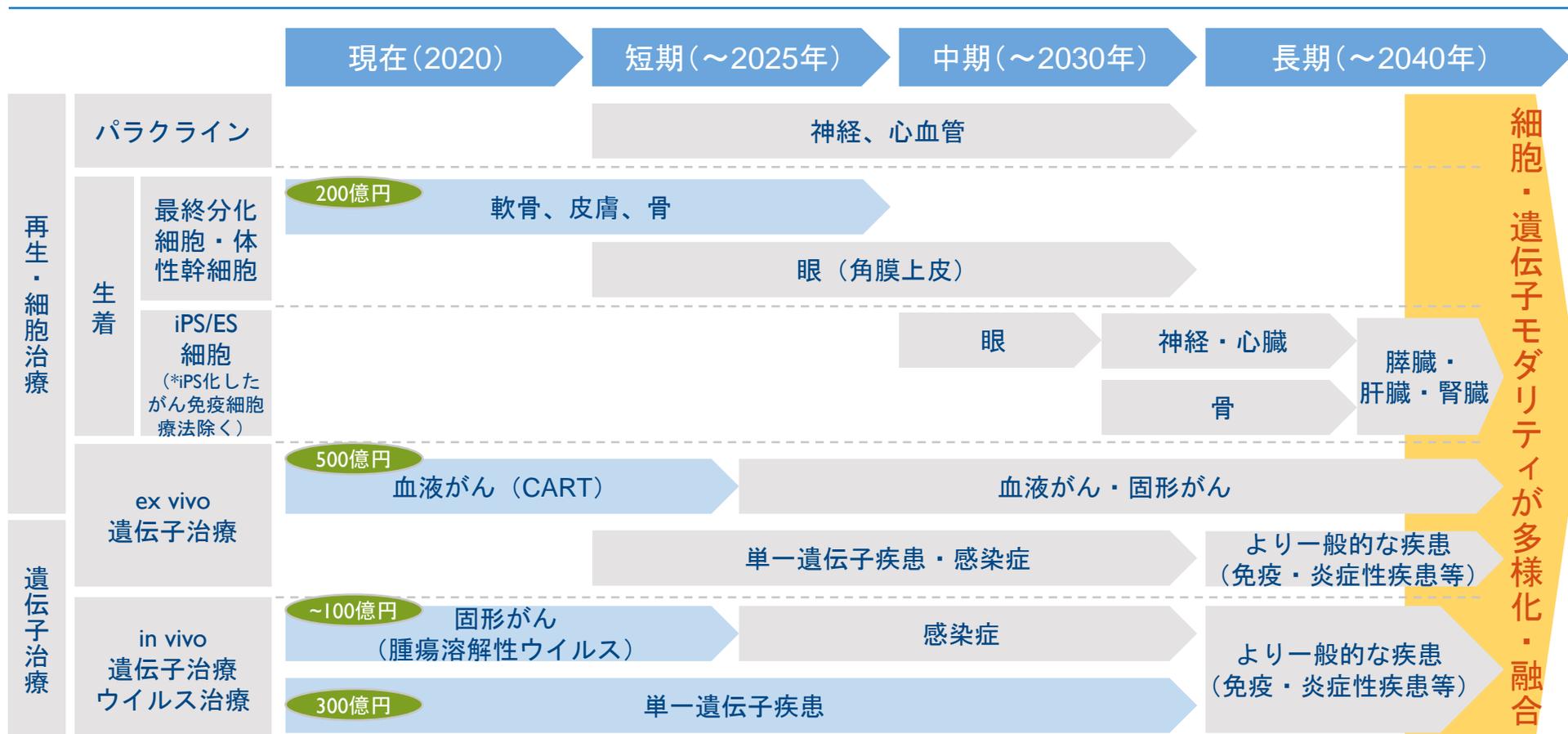
- 筋ジストロフィーなど単一遺伝子疾患を始め様々な疾患で市場を獲得する可能性



出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

当面の市場の中心は、軟骨・皮膚・骨（細胞移植）、血液がん（Ex-vivo遺伝子）、単一遺伝子疾患（In-vivo遺伝子）。長期的には多様な疾患で拡大。

主な再生医療・遺伝子治療の実用化時期



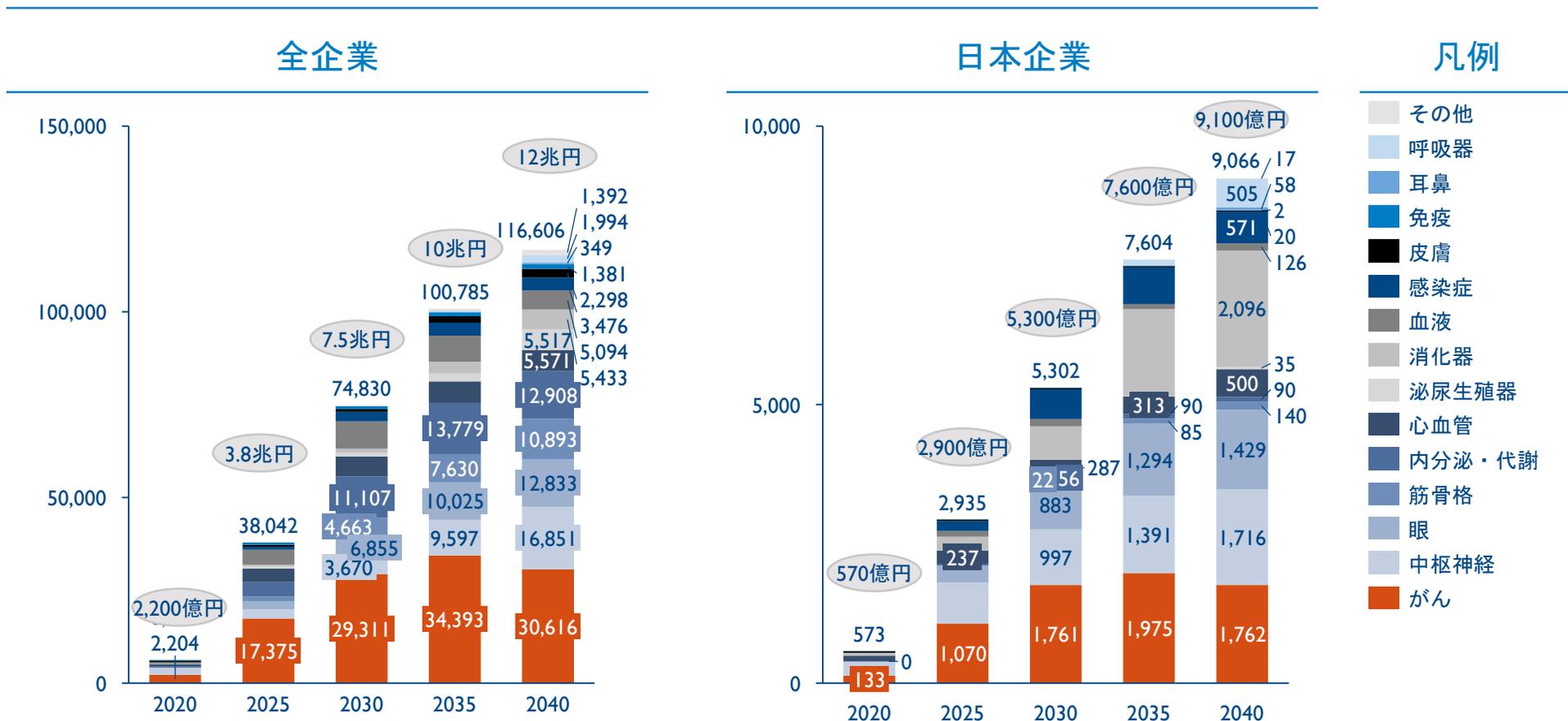
出所：開発品データベース、各種公開情報よりアーサー・ディ・リトル分析

\*市場規模の数字は2019年時点の概算

■ 我が国の市場獲得可能性  
 国産再生医療・遺伝子治療の売上推計(グローバル)

グローバルにおける国産の再生医療・遺伝子治療製品の売上は2030年に5,300億円、2040年に9,100億円程度となり、全体の1/10未満になると推計

グローバル市場規模推計 (疾患別、億円)

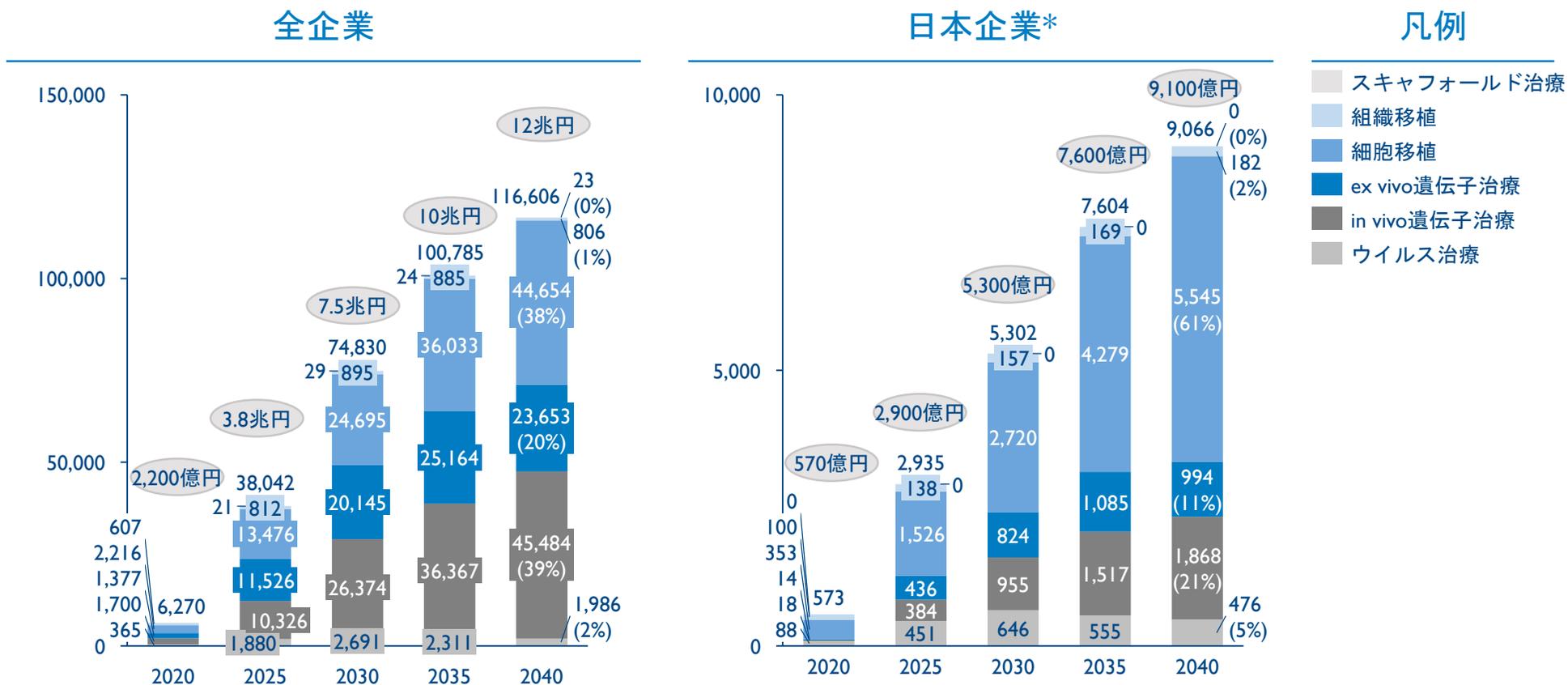


出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

■ 我が国の市場獲得可能性  
 国産再生医療・遺伝子治療の売上推計(作用機序別)

グローバルでの傾向と異なり、日本企業に関してはin vivo/ex vivo遺伝子治療の市場拡大は限定的で、売上の半分以上が細胞移植に偏ると推計。

グローバル市場規模推計 (作用機序別、億円)

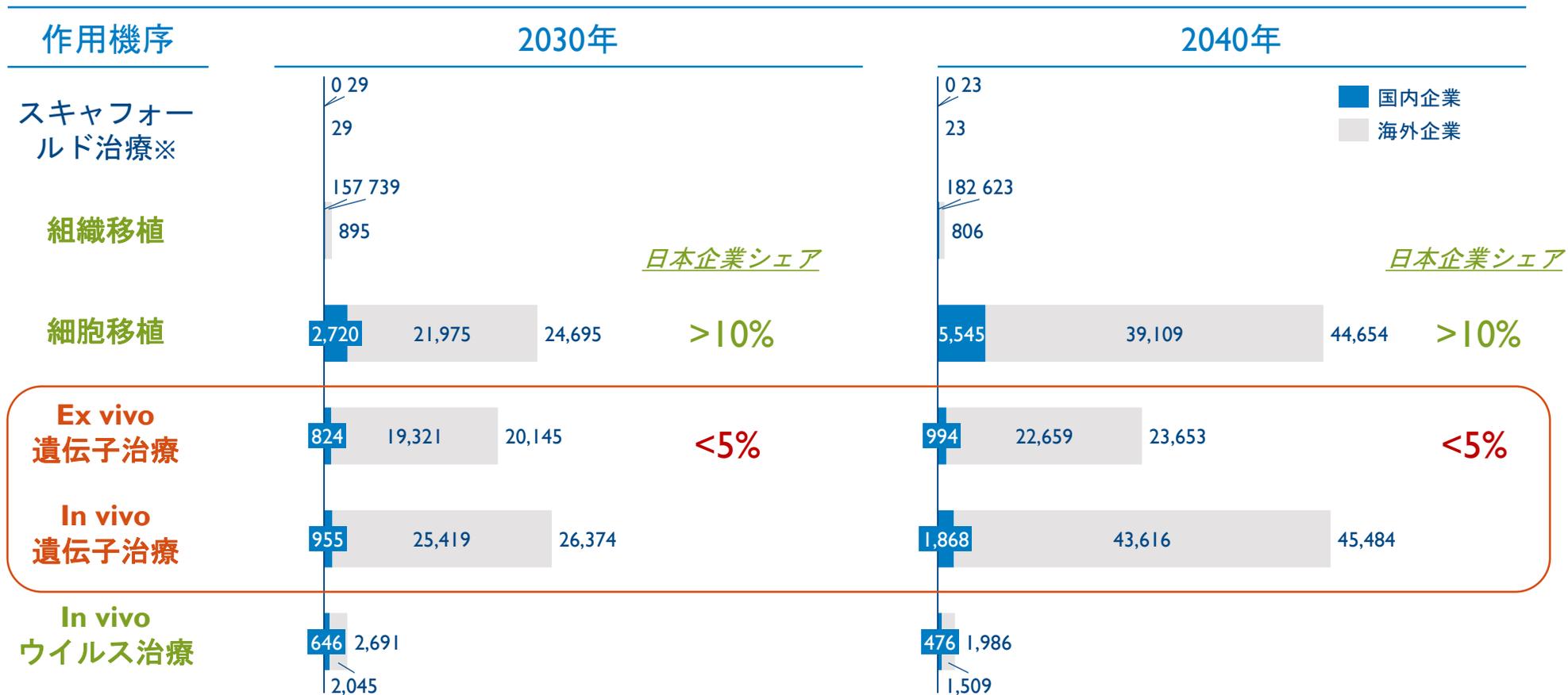


出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成  
 \*日本企業が開発しているパイプラインの試算結果

# 再生医療・遺伝子治療における日本企業のグローバルシェア推計：作用機序別

グローバルでは細胞移植では10%以上のシェアを獲得できるが、in vivo、ex vivo 遺伝子治療では5%のシェアに満たない。

国内企業、海外企業の再生医療・遺伝子治療のグローバル売上高（億円）



緑字：2040年時点で日本企業のシェアが10%以上、赤字：2040年時点で日本企業のシェアが10%未満

出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

※合成物質などを用いた医薬品として開発されているスキャフォールドを試算。脱細胞組織を用いたスキャフォールドは含まない

# 1-3章まとめ：疾患別の市場拡大に向けたポイント

主要な疾患における2030年、2040年に予測される市場動向は以下の通り。

再生医療・遺伝子治療の市場の80%以上をカバー

	2030年の市場規模		2040年の市場規模	
	市場規模 (世界/日本【円】)	市場動向	市場規模 (世界/日本【円】)	市場動向
がん	2.9兆円/ 5,100億円	■ 自家細胞を中心にCAR-T等のEx-vivo遺伝子治療が中心。血液がんから固形がんへの適用が進み、市場が急拡大する	3.1兆円/ 6,400億円	■ 細胞の改良が進み、より安価で治療効果の高いEx-vivo遺伝子治療が市場を獲得する
単一遺伝子疾患	2.1兆円/ 1,400億円	■ In-vivo遺伝子治療の開発が進んでいる疾患で実用化し、大きな市場を形成	2.5兆円/ 890億円	■ In-vivo遺伝子治療がほとんどの単一遺伝子疾患に浸透し、根治する時代が到来する
中枢神経	3,700億円/ 400億円	■ 希少疾患のIn-vivo遺伝子治療に加え、脳梗塞・脊椎損傷等を対象とした細胞移植が市場を形成	1.7兆円/ 1,220億円	■ パーキンソン病やアルツハイマー病などの難病において生着の細胞移植が市場を牽引
眼	6,900億円/ 1030億円	■ 加齢黄斑変性や網膜色素変性を中心に、In-vivo遺伝子治療が中心となり市場を形成 ■ 細胞移植も一部市場を形成	1.3兆円/ 1,030億	■ In-vivo遺伝子治療で様々な眼に関する疾患が根治する時代が到来する ■ 細胞移植も一部市場を形成
筋骨格	4,700億円/ 400億円	■ In-vivo遺伝子治療を活用した筋ジストロフィーが市場の中心。 ■ 関節症など、老化に伴う疾患の市場は限定的。	1.1兆円/ 580億円	■ 筋ジス、筋ミオパチー、関節リウマチで、in vivo遺伝子治療が中心に市場を拡大。関節リウマチや関節症などは一部、細胞移植も市場を形成
内分泌・代謝	1.1兆円/ 450億円	■ In-vivo遺伝子治療を活用した先天性代謝障害等の単一遺伝子疾患を中心に市場を形成	1.3兆円/ 410億円	■ 単一遺伝子疾患に加え、糖尿病などで細胞移植による治療が一部進展する
心血管	5,400億円/ 300億	■ 虚血性心疾患や重症下肢虚血で細胞移植やIn-vivo遺伝子治療使われ始め、市場が浸透していく	5,600億円/ 400億円	■ 虚血性心疾患や重症下肢虚血で細胞移植やIn-vivo遺伝子治療の適応が拡大。

出所：開発品データベースよりアーサー・ディ・リトル分析

## 1-3章まとめ：モダリティ別の市場拡大に向けたポイント

再生医療では既存治療法に対する高い有効性の証明が不可欠。遺伝子治療では、適応拡大に向けた技術の改良、市場アクセスに課題の軸足が移りつつある。

### 市場創出・拡大に向けたポイント

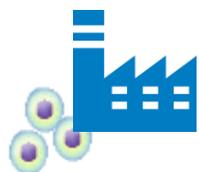
再生医療（細胞治療）	体性幹細胞	<ul style="list-style-type: none"><li>■ がん：CAR-TなどのEx vivo遺伝子治療に対する優位性の証明が必要</li><li>■ がん以外：既存治療に対する劇的な有効性もしくは既存治療がない領域での有効性の証明が必須<ul style="list-style-type: none"><li>- 心血管：重症心不全等の重症患者セグメントに対する有効性の証明</li><li>- 神経：脊髄損傷や脳梗塞等の既存治療がない領域での有効性の証明、病態が明確なパーキンソン病等での生着による既存治療に対する高い効果の証明</li><li>- 筋骨格：既に確立されている（例：人工関節や外科手術）治療法に対して劇的な有効性且つ低コスト化</li><li>- 皮膚：重症患者に対する細胞治療の有効性は証明済。更なる浸透に向けて、適応の拡大や使い勝手の改善・低コスト化が必要</li><li>- 眼：加齢黄斑変性等で遺伝子治療に対する優位性の証明と細胞投与の簡便化が必要</li></ul></li></ul>
	最終分化細胞	
	iPS細胞 ／ES細胞	<ul style="list-style-type: none"><li>■ 心血管・中枢神経・腎臓・肝臓等各種応用は進んでいるが、今後の臨床試験の結果に左右</li><li>■ がん：細胞免疫細胞療法への応用では、iPS化による初期化が原理上有効である可能性があり、複数プレーヤが開発中</li><li>■ FDAからはiPSのゲノム不安定性が指摘されており、がん以外への適応では安全性面の更なる検証も不可欠</li><li>■ （iPS細胞の創薬支援や病理理解への応用は積極的な研究投資が行われており、今後も市場が拡大する見込み）</li></ul>
	Ex vivo 遺伝子治療	<ul style="list-style-type: none"><li>■ がん：血液がんにおける改良（奏効率の向上や再発・副作用の低減）が必要。今後、CD19以外への有効な標的の拡大（CD20,21,38等）や、固形がんへの有効性の証明が市場拡大のポイント</li><li>■ がん以外：自己免疫疾患などで他モダリティ（抗体など）を上回る優位性が示せるかどうかのポイント</li></ul>
遺伝子治療	In vivo 遺伝子治療	<ul style="list-style-type: none"><li>■ 長期の安全性と持続的な有効性の証明、他モダリティ（核酸等）に対する費用対効果面での優位性の証明</li><li>■ （更なる拡大に向けて）単一遺伝子疾患から他の疾患への展開</li></ul>
	In vivo ウイルス治療	<ul style="list-style-type: none"><li>■ がん：既存治療にない有効性の証明、他治療法（免疫チェックポイント阻害薬等）との併用による効果の大幅な向上など、既存治療に対する優位性の証明</li></ul>

出所：開発品データベースよりアサー・ディ・リトル分析

各々の方向性において、異なる疾患をターゲットにして、必要な技術や社会基盤を取り揃えていく必要がある。

### 再生医療・遺伝子治療の方向性

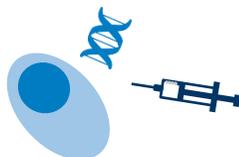
革新的治療



重症化予防



希少疾患根治



### 適応疾患（例）

- がん
- 中枢神経疾患
- 自己免疫疾患
- 心疾患
  
- 骨・筋骨格
- 免疫・炎症疾患
- 老化に伴う各種機能の低下
- 遺伝的要因の一般的な疾患

### 必要な技術基盤（例）

- 難治性疾患の病態理解（iPS細胞等を活用した病態理解の基礎研究等）
- 革新的な細胞改変・遺伝子編集技術
- 高品質な細胞バンク（疾患特異的な細胞バンク等）
  
- 疾患分類の詳細化、生活習慣病の上流要因の解明と細分化
- Ready-madeで安価な再生医薬（エクソソームや再生誘導医薬品等）
- 安価な遺伝子治療のための基盤技術（安価な新規ベクター等）
  
- 全ゲノムシーケンス体制
- 遺伝子治療の提供と効果のモニタリング体制
- 人工染色体等、複数遺伝子の制御技術

- 1 グローバルの開発動向分析
- 2 対象疾患の疾患別の競争環境分析
- 3 市場規模予測とロードマップ
- 4 米国（NIH）の投資動向
- 5 イギリス（CGTカタパルト）の投資動向
- 6 欧米の投資動向からの示唆まとめ

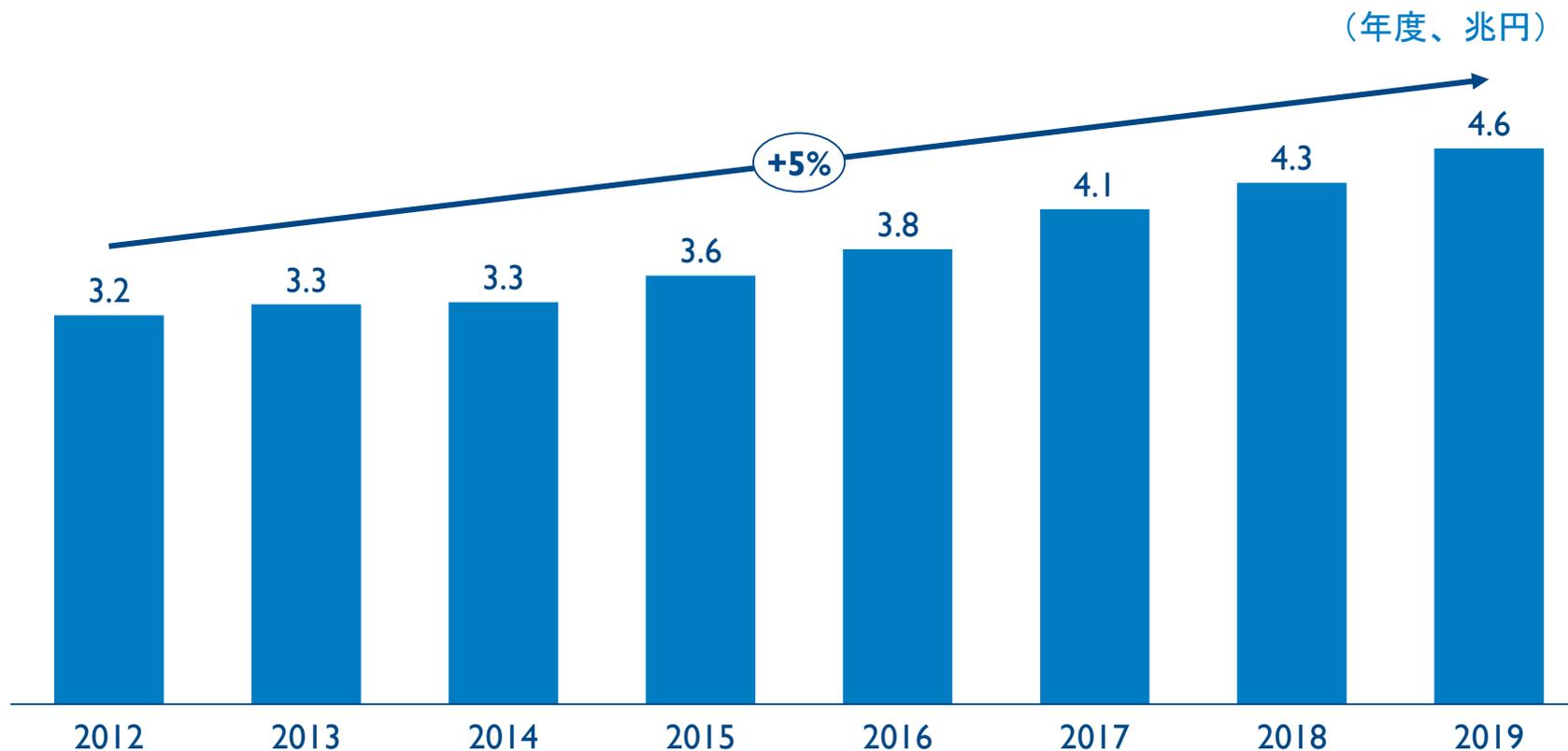
本日は米国NIHと英国のCGTカタパルトの動向を中心にご紹介。

国	機関名	分析概要
米国	NIH	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ NIHにおける予算配分への思想</li> <li>■ 再生医療・遺伝子治療への投資動向（ファンディング額上位200課題の技術領域分析）</li> <li>■ iPS細胞への投資動向</li> </ul>
	CIRM	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ CIRMの年間予算推移及びその内訳</li> <li>■ 全採択約1,000課題における主要投資技術領域・対象疾患領域</li> </ul>
	FDA	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 再生医療、遺伝子治療、エクソソームにおける規制動向</li> </ul>
ヨーロッパ	EU	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 再生医療・遺伝子治療への投資動向（ファンディング額500万€以上の課題の技術領域分析）</li> </ul>
	英国	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 英国における再生医療・遺伝子治療の臨床研究数の推移</li> <li>■ 注力技術領域、対象疾患領域、自家細胞・他家細胞割合</li> </ul>
	オランダ	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 再生医療・遺伝子治療への支援研究実績</li> </ul>

出所：国立研究開発法人科学技術振興機構（JST）再生医療JAPAN2019辻先生発表資料、日本医療研究開発機構「再生医療に関わる海外団体における知的財産戦略・知的財産マネジメントの現状調査」を基にアーサー・ディ・リトル作成

NIHは継続的にファンディング額を拡大してきており、2019年度には4.6兆円の資金額となる。

### NIHのファンディング額推移\*



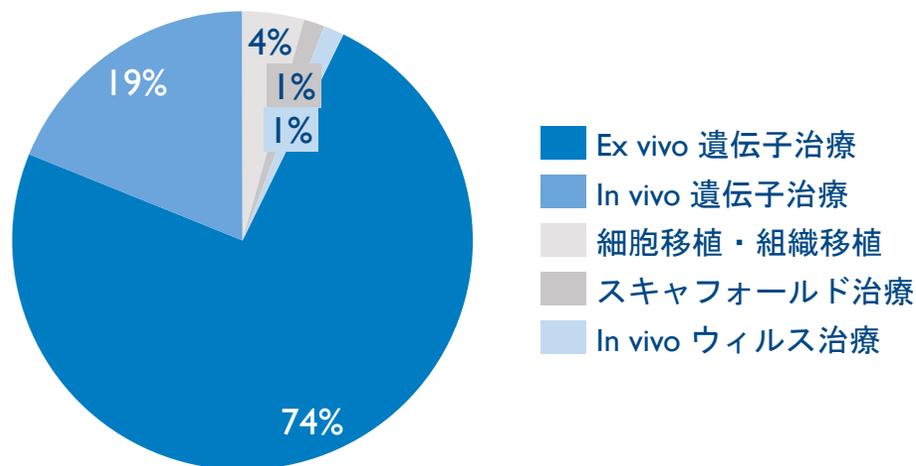
出所：Congressional Research Service 「National Institutes of Health (NIH) Funding: FY1994-Fy2020」を基にアーサー・ディ・リトル作成

\*概算、1米ドル=110円

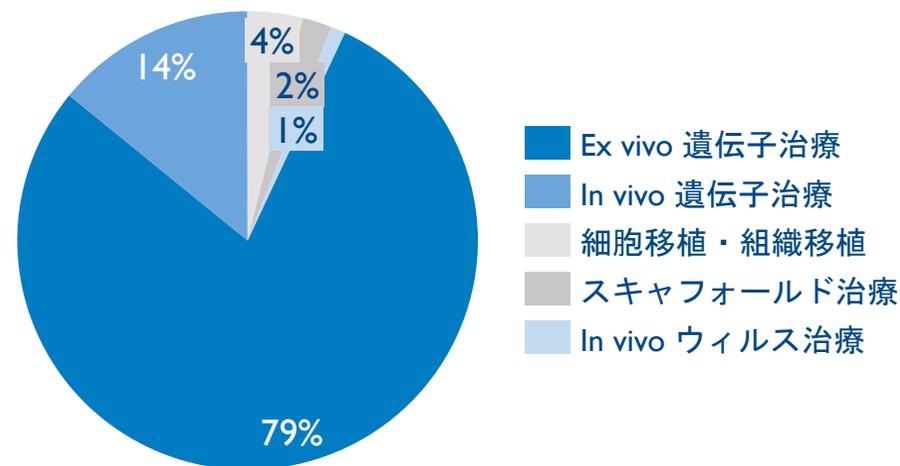
NIHが再生・遺伝子治療領域に投資している研究のうち、Ex vivo遺伝子治療は研究数・投資額で7割以上を占めている。

NIHの再生・遺伝子治療領域における投資領域内訳\* (2019年度)

研究数ベース



ファンディング額ベース



【分析方法】“gene therapy”“cell therapy”“regenerative medicine”“engineered cell”“CAR-T”“TCR-T”“chimera antigen receptor”のワードが含まれる研究のうち、ファンディング額上位200件を対象に、細胞医療・遺伝子治療の研究領域に該当する研究内容を分析

出所：JST研究開発戦略センター（CRDS）の辻先生分析資料を基に、アーサー・ディ・リトル作成

NIHによるファンディングは原則として疾患別となる。分野横断的な研究の場合、NIH長官権限の大型予算によりファンディングされている。

## NIHのファンディングにおける思想



- 疾患軸によるファンディングが行われる
  - 疾患軸で研究センターが存在しており、研究支援プログラムである「R series」は研究所ごとに公募を実施
- がん研究所 (NCI) は中でも格上組織としてポジショニングしており、別途の予算申請できる権限を有する
- NIH長官の権限が強く、分野横断的な研究プログラムの場合は、長官がもつ予算で支援を行うケースが多い
  - 2000年後半に組織改革が行われ、NIH長官の権限が強化し専用予算が新設。分野横断研究のように片方が予算をもつことに負担の大きな研究に関して長官持ち予算によって支援が行われる。

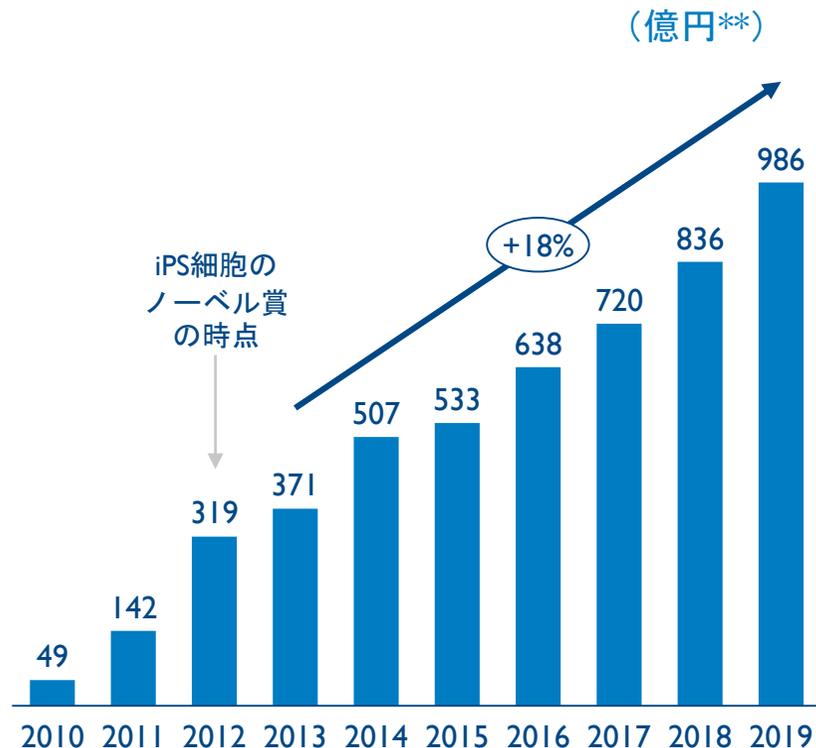
NIHによるiPS細胞関連研究への投資は継続的に増加。2019年には1,446件の研究に対して986億円がファンディングされている。

## NIHのiPS細胞関連研究への投資規模推移\*

### 総研究数



### 総ファンディング額



出所：NIH Research Portfolio Online Reporting Toolsを基にアーサー・ディ・リトル作成

\*NIHがファンディングしている研究のうち、「iPSC」を含む研究数を抽出

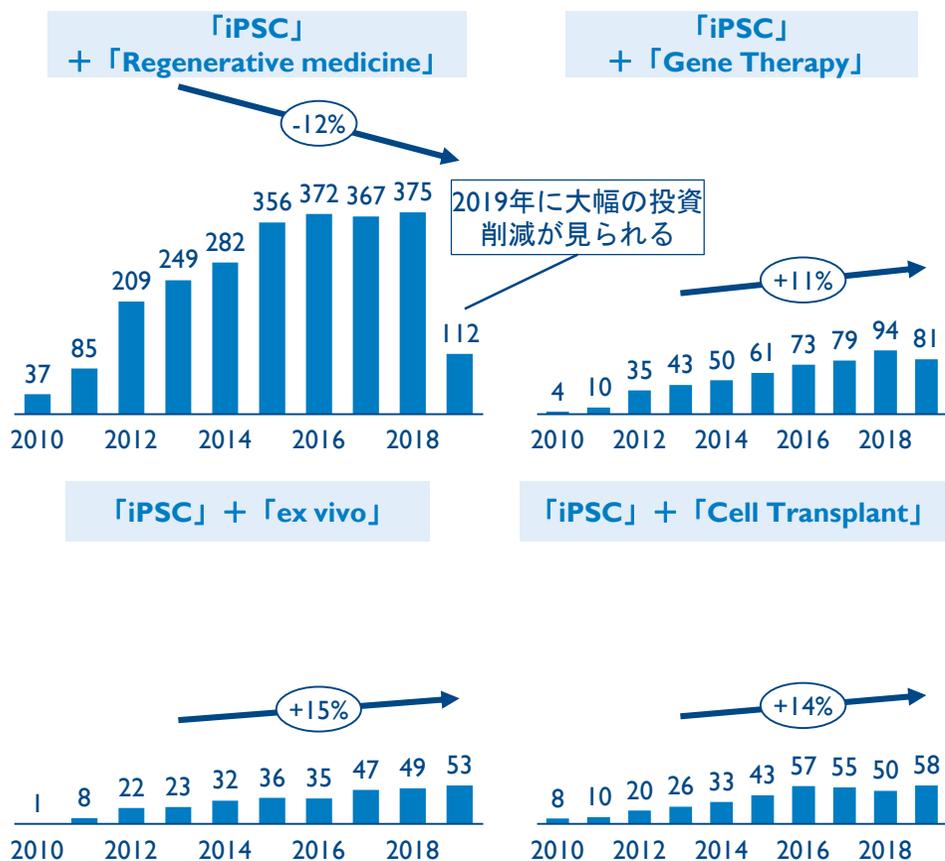
\*\*概算、1米ドル=110円

© Arthur D. Little Japan

近年になって、iPS細胞の病態理解への研究活用に対する投資が増えている。

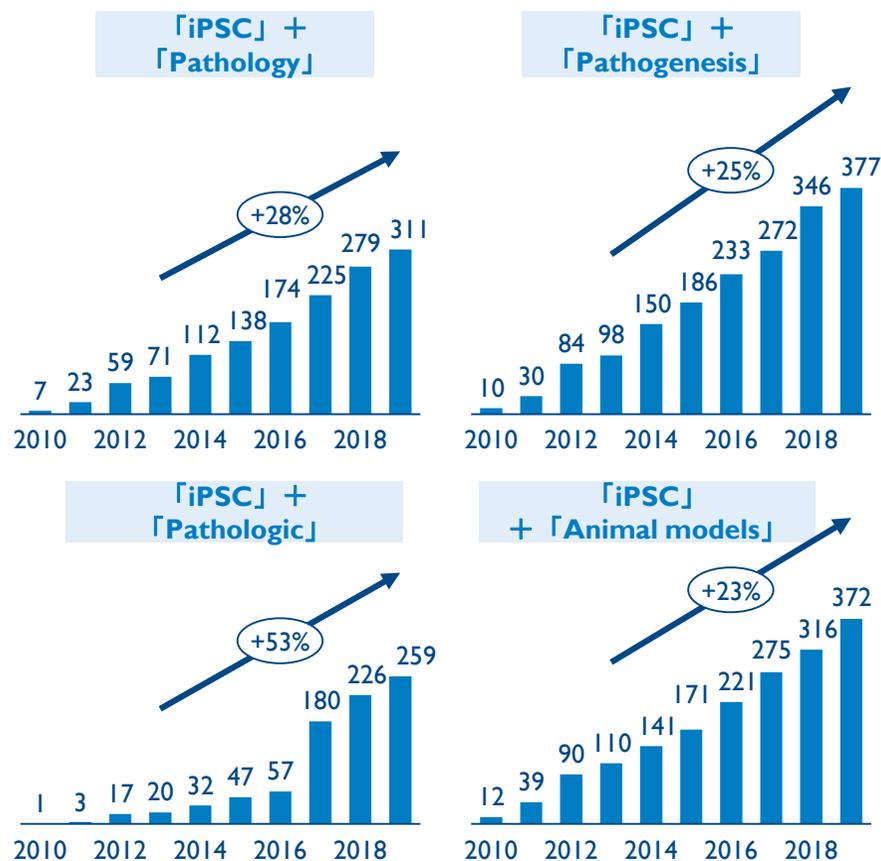
iPS細胞関連研究全体の内、再生医療・遺伝子治療関連研究数\*

検索語  
(件数)



iPS細胞関連研究全体の内、病態理解関連研究数\*

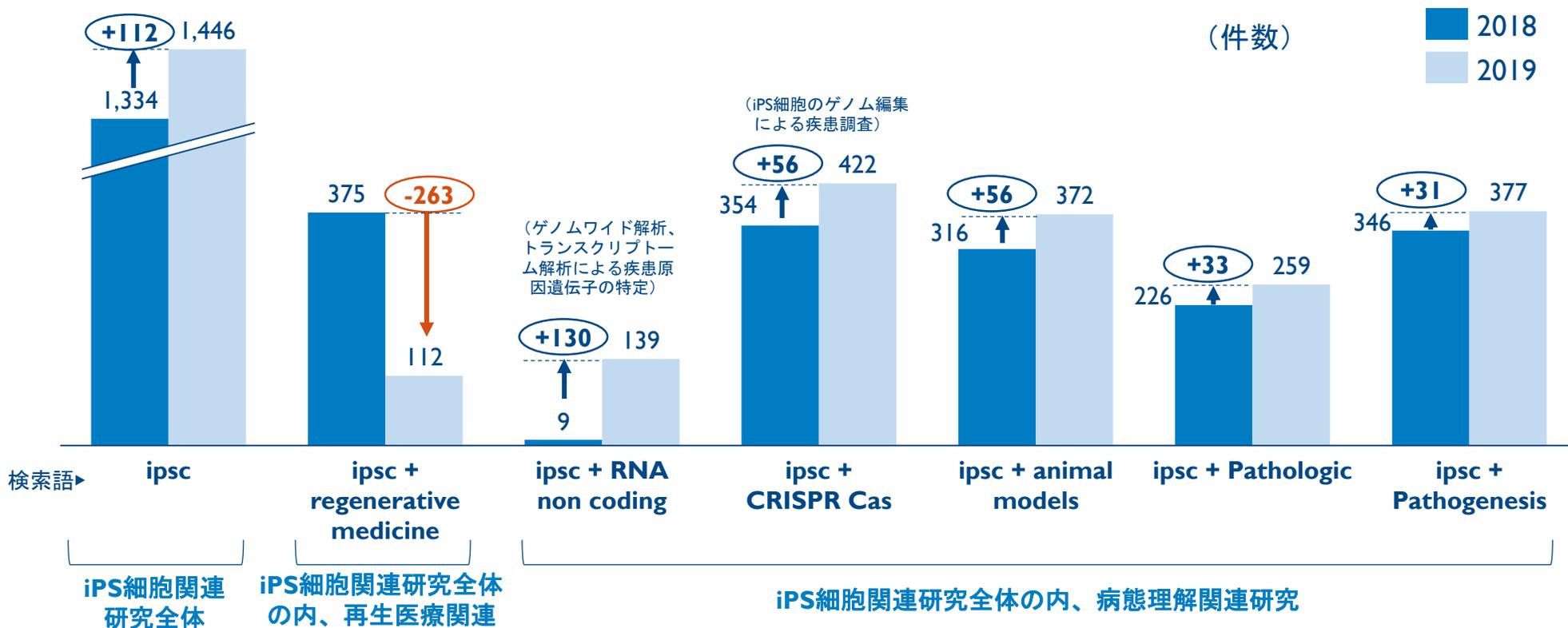
検索語  
(件数)



出所：NIH Research Portfolio Online Reporting Toolsを基にアーサー・ディ・リトル作成  
\*NIHがファンディングしている研究のうち、該当するキーワードを含む研究数を抽出  
© Arthur D. Little Japan

再生医療への投資縮小があったと同時に、iPS細胞のRNA non codingを含めた病態理解活用への投資拡大があり、iPS細胞研究全体の投資増加を牽引したと推察。

## 2018年-2019年におけるNIHのiPS細胞関連研究への投資推移\*



出所：NIH Research Portfolio Online Reporting Toolsを基にアーサー・ディ・リトル作成

\*NIHがファンディングしている研究のうち、該当キーワードを含む研究を抽出

- 1 グローバルの開発動向分析
- 2 対象疾患の疾患別の競争環境分析
- 3 市場規模予測とロードマップ
- 4 米国（NIH）の投資動向
- 5 イギリス（CGTカタパルト）の投資動向
- 6 欧米の投資動向からの示唆まとめ

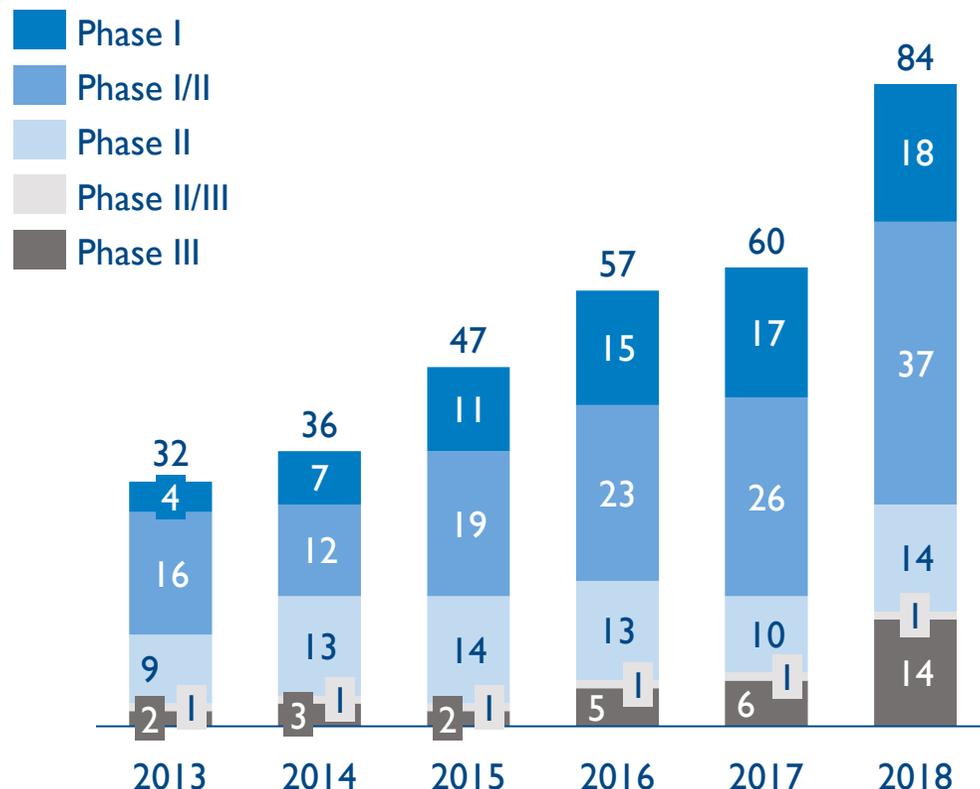
英国政府は近年、研究分野と疾患領域を意識した臨床開発に投資を集中。また、遺伝子治療への投資強化も見られる。

	2008	2012	2013	2017	2018								
政府の投資動向	<ul style="list-style-type: none"> <li>再生医療専門ファンディングパネルが設置され、初めて本格的な議論が開始</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>国家戦略としての再生医療戦略を策定し、<b>実質的な予算分配が実行開始</b>（A Strategy for UK Regenerative Medicine）</li> <li>細胞治療カタパルトの設立（<b>約50M£の投資</b>）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>政府の戦略的投資8分野に「再生医療」が選定</b></li> <li>再生医療プラットフォーム（UKRMP）の開始（<b>約25M£の投資</b>、2013-2017）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>先端治療への英国全体の患者のアクセラを向上させる三つの治療センター（Advanced Therapy Treatment Centres）（<b>約21M£の投資</b>）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>細胞治療・遺伝子治療のカタパルトの設立（<b>約60M£の投資</b>）</li> <li>再生医療プラットフォーム2の開始（UKRMP2）（<b>約17M£の投資</b>、2018-2023）</li> <li>カタパルトへの追加投資（<b>780M£</b>）</li> </ul>								
支援プログラム内容		<p><b>細胞治療カタパルト</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ロンドンの中心部の病院内に拠点しており、細胞治療における臨床研究を中心に支援</li> </ul>	<p><b>再生医療プラットフォーム（UKRMP）</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>基礎研究、周辺技術を幅広く支援（下記、支援内容の例）                     <ul style="list-style-type: none"> <li>細胞の挙動、分化と製造</li> <li>幹細胞ニッチの操作と探索</li> <li>治療提供のための無細胞（スマートマテリアル）アプローチ</li> </ul> </li> </ul>	<p><b>Advanced Therapy Treatment Centres（ATTC）</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>主要都市3つに拠点をもち、ネットワークを構築し先端治療の患者のアクセラを加速</li> </ul>	<p><b>再生医療プラットフォーム2（UKRMP2）</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>研究分野と対象疾患を絞った三つの研究拠点が中心</li> </ul> <table border="1"> <thead> <tr> <th>研究分野</th> <th>対象疾患</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>多能性幹細胞</td> <td>パーキンソン病、神経障害性難病</td> </tr> <tr> <td>人工細胞環境</td> <td>肝臓、関節、肺の修復</td> </tr> <tr> <td>足場とバイオマトリックス</td> <td>眼、筋骨格系、肝臓</td> </tr> </tbody> </table>	研究分野	対象疾患	多能性幹細胞	パーキンソン病、神経障害性難病	人工細胞環境	肝臓、関節、肺の修復	足場とバイオマトリックス	眼、筋骨格系、肝臓
研究分野	対象疾患												
多能性幹細胞	パーキンソン病、神経障害性難病												
人工細胞環境	肝臓、関節、肺の修復												
足場とバイオマトリックス	眼、筋骨格系、肝臓												
		<p>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</p>											
		<p>細胞治療に加えて、遺伝子治療へ投資領域を拡張</p>			<p><b>細胞治療・遺伝子治療のカタパルト</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>細胞治療に加え、遺伝子治療のアカデミアの研究成果を商業化へ橋渡しするネットワークを構築</li> <li>大規模GMPセンターを保有</li> </ul>								

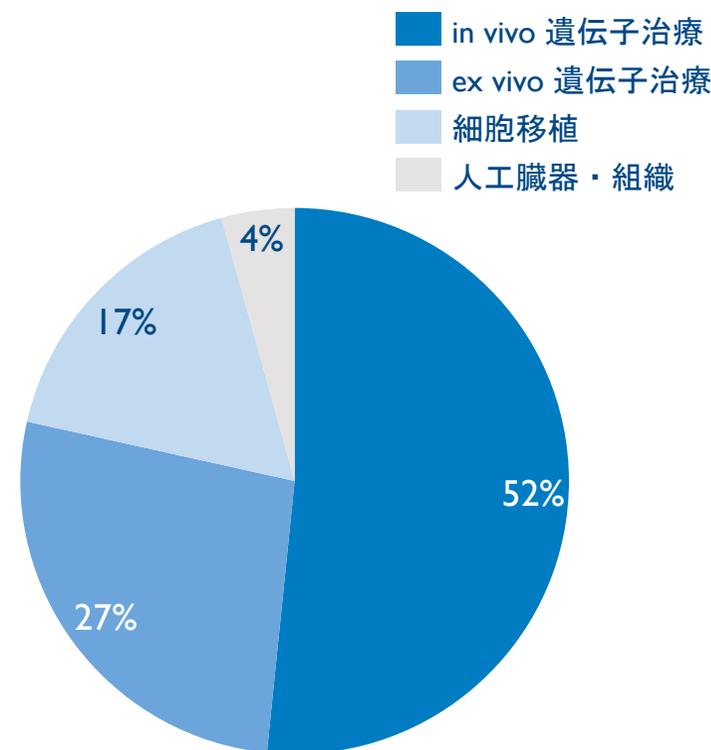
出所：CGT Catapult公式ホームページ、JST研究開発戦略センター『再生医療 研究開発動向 国際比較』を基にアーサー・ディ・リトル作成

英国で実施される再生医療・遺伝子治療の臨床研究は継続的に増加。近年ではin vivo/ex vivo遺伝子治療で約8割を占めている。

英国の再生医療・遺伝子治療の臨床研究数の推移\*



近年の技術領域\*\* 2019年6月時点



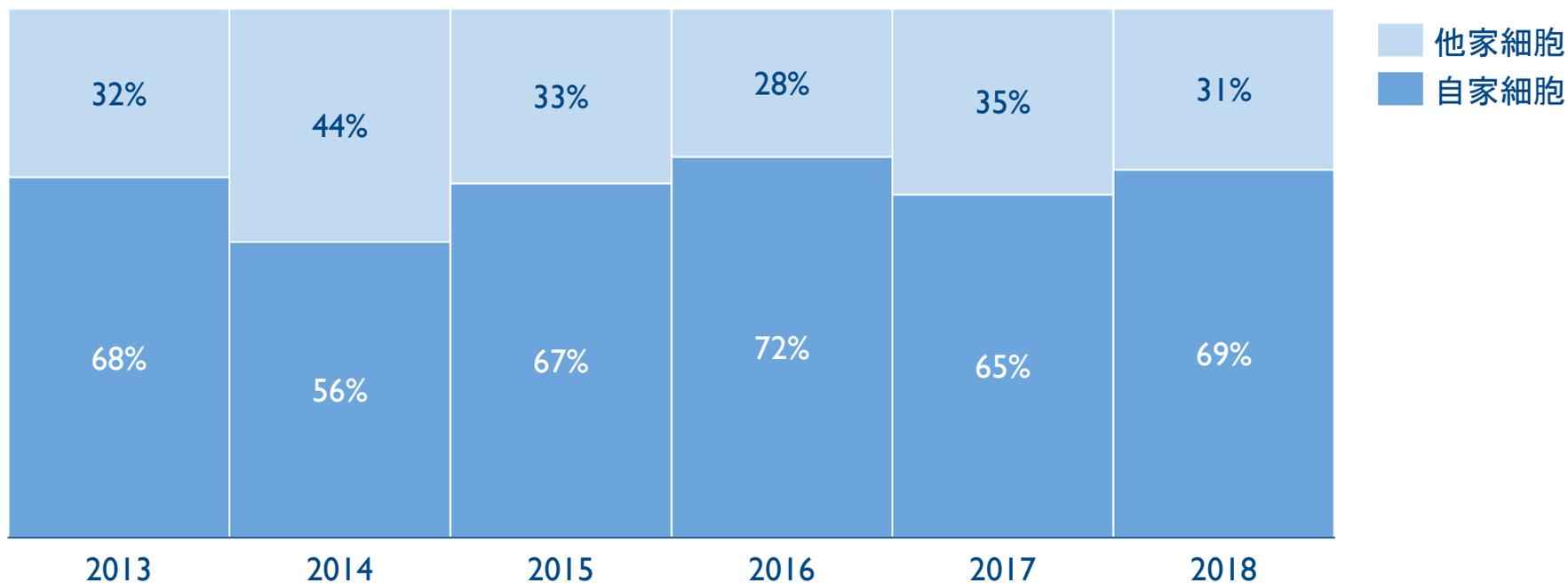
\*英国で実施される臨床研究を対象に集計

\*\*2019年6月時点で進行中の再生医療・遺伝子治療の研究を対象とする

出所：The Cell Therapy Catapult UK Clinical Trials Database, Leading Innovation The UK's ATMP Landscape (ARM)を基にアーサー・ディ・リトル作成  
© Arthur D. Little Japan

英国では過去5年間にわたり自家細胞が開発の主流となっている。

### 英国における再生医療・遺伝子治療臨床研究の自家・他家細胞割合\*



\*英国で実施される臨床研究を対象に集計

出所：The Cell Therapy Catapult UK Clinical Trials Databaseを基にアーサー・ディ・リトル作成

© Arthur D. Little Japan

- 1 グローバルの開発動向分析
- 2 対象疾患の疾患別の競争環境分析
- 3 市場規模予測とロードマップ
- 4 米国（NIH）の投資動向
- 5 イギリス（CGTカタパルト）の投資動向
- 6 欧米の投資動向からの示唆まとめ

## 米国NIH、英国CGTカタパルトの投資動向分析まとめ

### 米国NIHの投資動向まとめ

- NIHによる投資額の全体予算は、2019年に約4.6兆円となり、継続的に増加している。
- 疾患研究所別に投資が行われ、分野横断的な研究の場合はNIH長官権限の予算枠でファンディングしている。
- 再生医療・遺伝子治療関連の投資は、全体のおよそ7割がex vivo遺伝子治療に該当する。
- iPS細胞関連では、継続的に増加しており、2019年には1,446件の研究に対して986億円が投資されている。IPS細胞を用いた組織再生への投資は大きく減少している一方、病態理解に関連する投資が大きく伸びている。
  - 特に、ゲノムワイド解析、ゲノム編集による疾患原因遺伝子の特定による病態理解研究への注力

### 英国の投資動向まとめ

- 英国政府は2012年に専門組織カタパルトを立ち上げ支援を開始。設立初期には細胞治療の基礎研究に注力していたが、近年では遺伝子治療まで領域を広げ、臨床開発を意識した方向に投資をシフト
- 再生医療に関しては、研究分野と対象疾患を絞った3つの研究拠点が中心となっている
  - 1. 多能性幹細胞を利用したパーキンソン病・神経障害性難病、2. 人工細胞環境の調整による肝臓・関節・肺の修復、3. バイオマトリックスを利用した眼・筋骨格系・肝臓
- 英国のパイプラインは、遺伝子治療（In vivo、Exvivo）が全体の約8割を占め、細胞治療は自家細胞が主流。
- 2018年には製造・治療施設への大型投資をしており、企業・患者へのアクセス向上を図っている

Ex vivo遺伝子治療  
への注力

iPS細胞は病態解明  
への応用に注力

インキュベーション組織  
とエコシステム

# Arthur D Little

Arthur D. Little has been at the forefront of innovation since 1886. We are an acknowledged thought leader in linking strategy, innovation and transformation in technology-intensive and converging industries. We navigate our clients through changing business ecosystems to uncover new growth opportunities. We enable our clients to build innovation capabilities and transform their organizations.

Our consultants have strong practical industry experience combined with excellent knowledge of key trends and dynamics. Arthur D. Little is present in the most important business centers around the world. We are proud to serve most of the Fortune 1000 companies, in addition to other leading firms and public sector organizations.

For further information please visit [www.adlittle.com](http://www.adlittle.com).

© Arthur D. Little 2020. All rights reserved.

Contact :

花村 遼 (Partner)  
[hanamura.ryo@adlittle.com](mailto:hanamura.ryo@adlittle.com)

田原健太郎 (Consultant)  
[tahara.kentaro@adlittle.com](mailto:tahara.kentaro@adlittle.com)

Arthur D. Little Japan – Tokyo  
Contact:

Shiodome City Center 33F  
1-5-2 Higashi Shimbashi, Minato-ku  
105-7133 Tokyo  
T: +81 3 6264-6300 (Reception)  
[www.adlittle.com](http://www.adlittle.com)