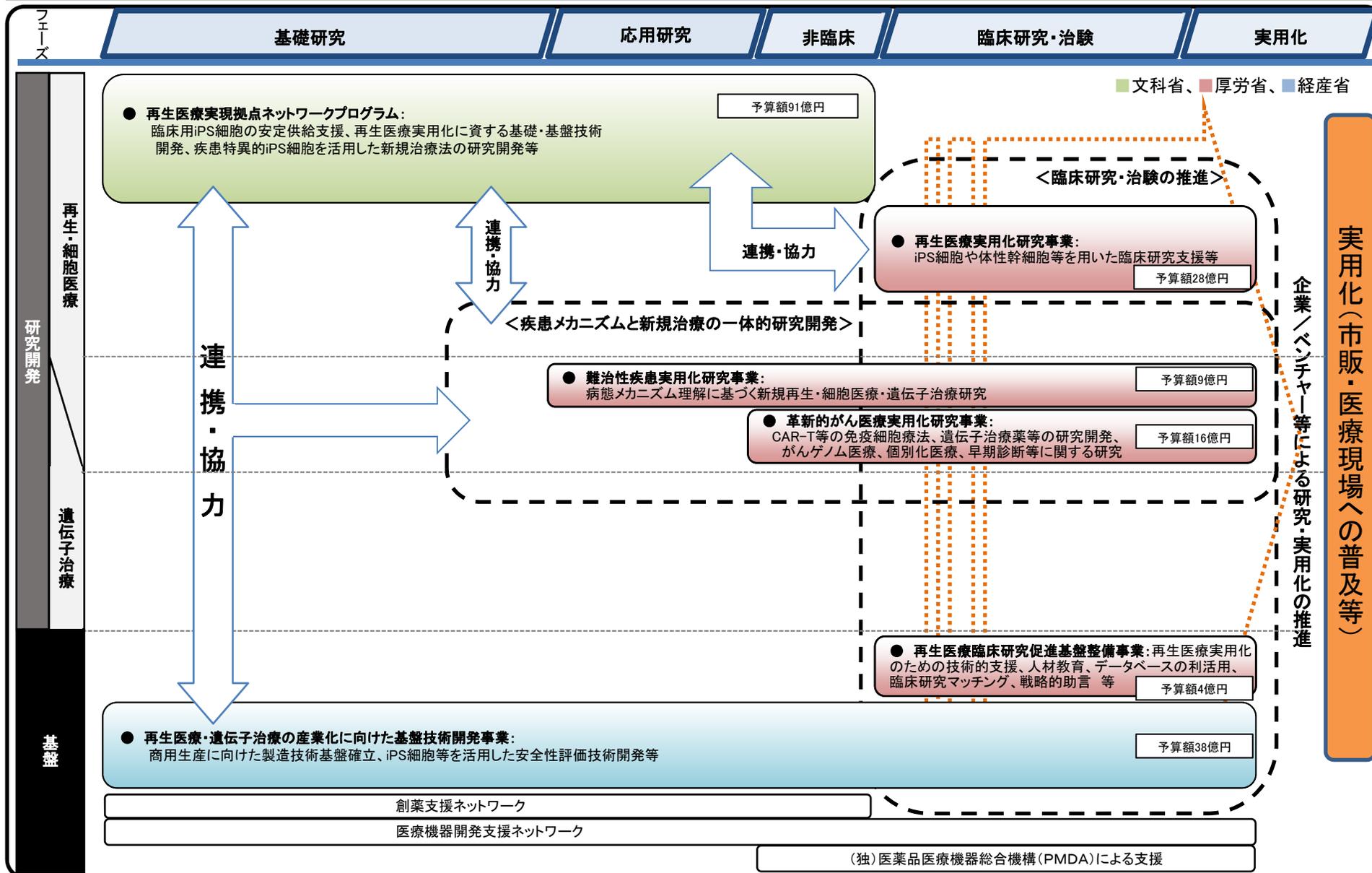


健康・医療戦略(第2期)における 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトについて

3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
令和2年度予算額185億円

再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床・臨床研究、製造基盤技術の開発、疾患特異的iPS細胞等を活用した病態解明・創薬研究、必要な基盤構築を行う。また、遺伝子治療に関する研究開発を行う。



3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト 令和2年度予算のポイント

再生・細胞医療・遺伝子治療や、創薬の実現に資する多様な研究開発を支援し、臨床研究段階への移行を促進

◆ 再生医療実現拠点ネットワークプログラム(文)

- ✓ 臨床応用を見据えた安全性・標準化に関する研究や、iPS細胞ストックの構築に加え、再生医療が望まれる新しい疾患領域や融合研究領域等を対象とする研究拠点を支援
- ✓ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究、次世代の再生医療等の実現に資するシーズや若手研究者の育成、基礎研究の推進に加え、それらを支える倫理・規制面等への支援基盤を整備

再生・細胞医療・遺伝子治療の臨床研究等の推進による実用化促進や、それらに資する技術・人材等の基盤整備

◆ 再生医療実用化研究事業(厚)

- ✓ 我が国の再生医療を世界に先駆けて実用化することを目的として、臨床研究や医師主導治験等について支援を実施
- ✓ 非臨床段階から臨床段階へ移行した課題の臨床研究や、治験の実施に係る細胞加工物の製造・品質管理等について十分な支援を実施

◆ 再生医療臨床研究促進基盤整備事業(厚)

- ✓ 日本再生医療学会を中心に大学病院や企業団体が参画する連合体(ナショナルコンソーシアム)を構築し、研究に必要な技術的支援、人材育成、データベースの利活用等を支援することで、再生医療実用化のための基盤整備を実施

◆ 難治性疾患実用化研究事業(厚)

- ✓ 希少難治性疾患の克服を目指し、「発病の機構が明らかでない」、「治療方法が確立していない」、「希少な疾病」、「長期の療養を必要とする」の4要素を満たす難病に対して、画期的な再生・細胞医療・遺伝子治療の開発を推進
- ✓ 【拡充】パイプラインの見直しにより、シーズの探索・最適化を行うシーズ探索研究(ステップ0)や非臨床試験を実施する(ステップ1)課題を優先的に推進。希少難治性疾患は単一遺伝子疾患が多く含まれていることから遺伝子治療の対象となり得るため、遺伝子治療法開発を目指す研究を推進

◆ 革新的がん医療実用化研究事業(厚)

- ✓ ゲノム医療の実装に備え、新規薬剤開発において、日本発の個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発に関する課題や、適応拡大等による実用化を目指す課題を引き続き支援
- ✓ 【拡充】がん免疫(細胞)療法、遺伝子治療、ウイルス療法、ゲノム編集技術等の研究開発や医師主導治験等を支援

幹細胞や遺伝子治療薬等の実用化に向けた製造技術基盤を確立

◆ 再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業(経)

- ✓ 再生医療や遺伝子治療の商用化に向けた製造技術開発などの研究を推進
- ✓ 【新規】有効性、安全性、再現性の高い再生医療等製品の効率的な開発に必要な製造基盤の確立を推進

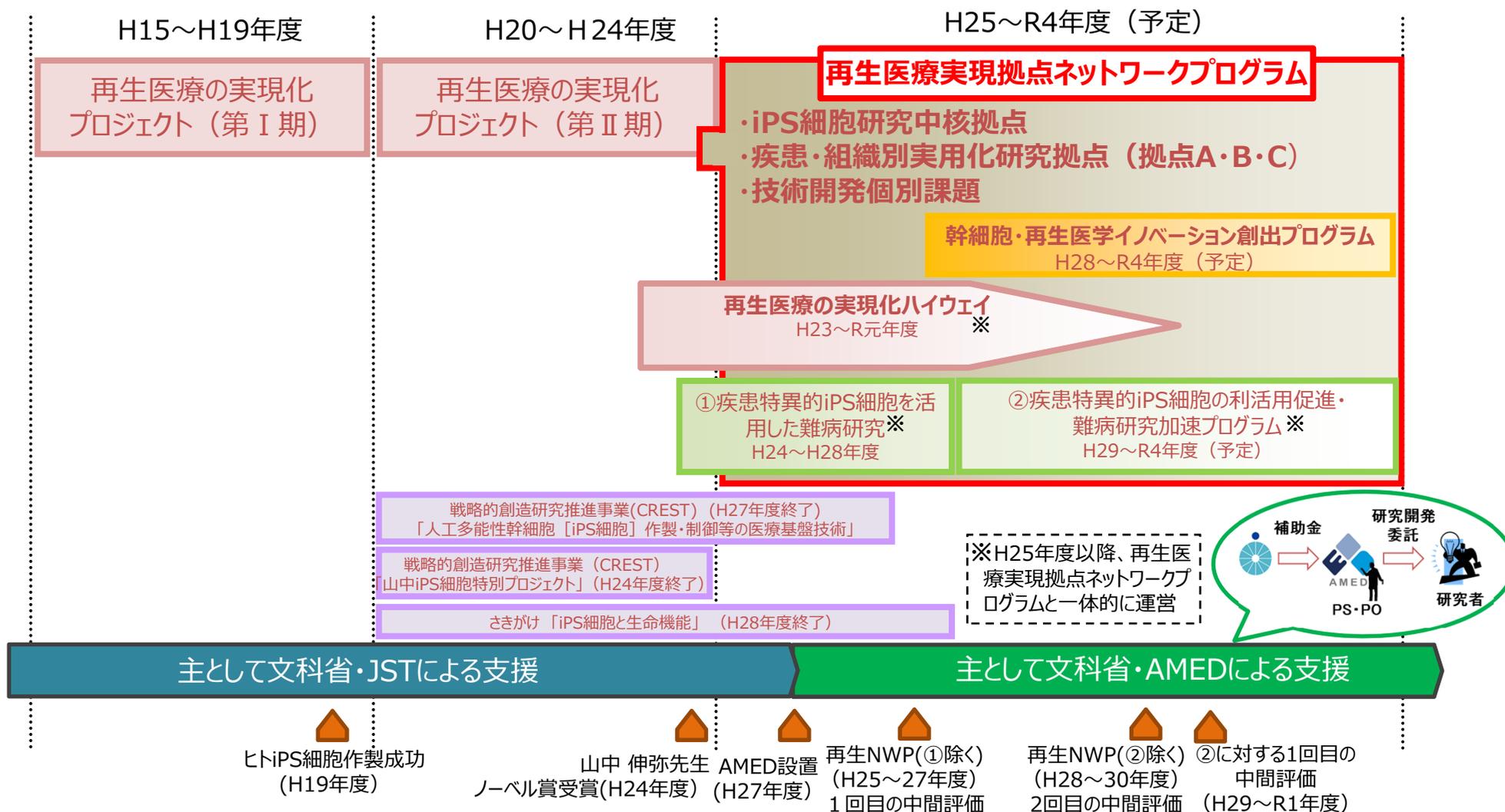
文部科学省における幹細胞・再生医学研究に対する主な支援



文部科学省
提出資料

主な経緯

1. H15年度より開始された「経済活性化のための研究プロジェクト（リーディングプロジェクト）」の1つとして、これまでの医療を根本的に変革する可能性のある再生医療の実現を目指し、「**再生医療の実現化プロジェクト（第I期）**」を開始。
2. H19年度の山中伸弥教授によるiPS細胞の作製成功を受け、ES細胞や体性幹細胞のみならず、iPS細胞も重点支援の対象として、「**再生医療の実現化プロジェクト（第II期）**」等を開始。
3. 再生医療の実用化に向け、さらにiPS細胞を含む幹細胞・再生医学研究を加速するため、「**再生医療実現拠点ネットワークプログラム（再生NWP）**」を開始。



再生医療実現拠点ネットワークプログラム

令和2年度予算額 : 9,066百万円
 (前年度予算額 : 9,066百万円)

文部科学省
提出資料

概要

京都大学iPS細胞研究所を中核拠点とした研究機関の連携体制を構築し、厚生労働省及び経済産業省との連携の下、**iPS細胞等を用いた革新的な再生医療・創薬**をいち早く実現するための研究開発を推進。

【令和2年度のポイント】

- iPS細胞研究は引き続き支援しつつ、**革新的あるいは異分野融合による手法・手技等を用いた研究拠点を支援**(①)
- **早期に臨床応用を目指す新たなシーズ**(②)や、若手を優先的に次世代の再生医療・創薬の実現に資する**挑戦的な研究開発**(③)を、細胞種を問わず継続的に支援・育成
- **iPS創薬の適応領域を広げる研究開発**、それを加速する**iPS細胞バンクの充実**を支援(④)
- **臨床応用に係る規制や倫理面、知財、国際展開へのサポート体制**を構築・強化(⑤)

iPS細胞研究中核拠点 **再生医療**

2,700百万円 (2,700百万円)

- 臨床応用を見据えた安全性・標準化に関する研究等を実施し、再生医療用iPS細胞ストックを構築

① 疾患・組織別実用化研究拠点 **再生医療**

3,000百万円 (3,150百万円)

- 疾患・組織別に再生医療の実現を目指す研究体制を構築

② 技術開発個別課題 **再生医療**

1,055百万円 (810百万円)

- 早期に臨床応用を目指す新たなシーズの育成

③ 幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム **再生医療** **iPS創薬** 600百万円 (500百万円)

- 若手を優先的に次世代の再生医療・創薬の実現に資する**挑戦的な研究開発**

④ 疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム **iPS創薬**

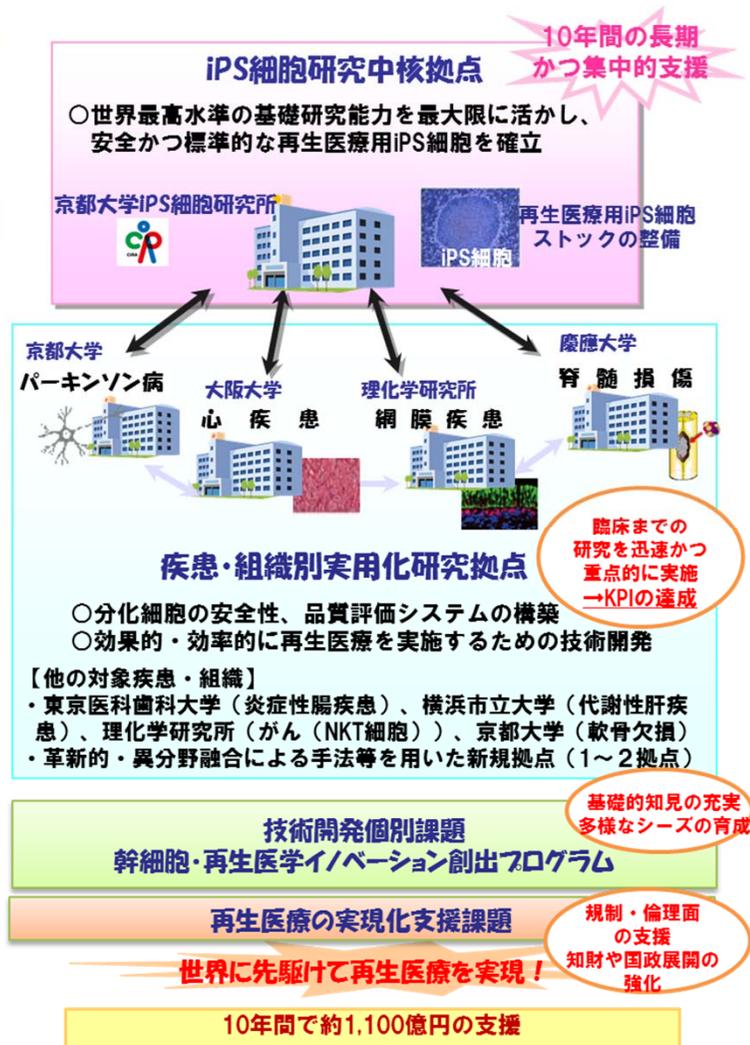
1,050百万円 (1,050百万円)

- 難病等の患者由来のiPS細胞を用いた疾患発症機構の解明、創薬研究等を更に加速
- ヒトiPS細胞バンクの活用促進のための基盤整備
- 広く適応可能な新分化誘導法の開発やiPS研究実績豊富な研究者のマッチング

⑤ 再生医療の実現化支援課題

360百万円 (360百万円)

- 知財戦略、規制対応、生命倫理上の問題等の支援体制を構築し、iPS細胞等の実用化を推進



○ 再生医療の実用化に向け、ヒト幹細胞の腫瘍化リスクなどに対する安全性確保のための研究、機能不全となった組織や臓器の治療方法の探索のための研究、臨床研究の早い段階から出口を見据えて企業の協力を得ながらプロトコルを組む研究、ヒト幹細胞の保存方法などの確立のための研究、再生医療及び関連事業の基準設定のための研究を支援し、治験・先進医療へ着実に繋げることを目的とする。
また、日本国内だけでなく海外にも展開可能な再生医療等技術を目指し研究を行うことを重視する。

1) 再生医療の実用化に向けた研究の支援

ア. 安全性の確保のための研究

安全性を確保するため、実用化の課題となっている分野（がん化等）に対する研究を支援。



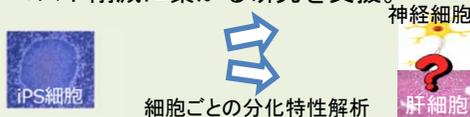
イ. 治療方法探索のための研究

iPS細胞や体性幹細胞等を用いた、実用化に近い治療方法に係る臨床研究を支援。



ウ. iPS細胞等の多能性幹細胞の臨床応用に向けた細胞特性解析のための研究

臨床に用いるiPS細胞等の多能性幹細胞が持つ株ごとの細胞特性を解析し、臨床応用の加速化、コスト削減に繋がる研究を支援。



エ. 産学連携による研究

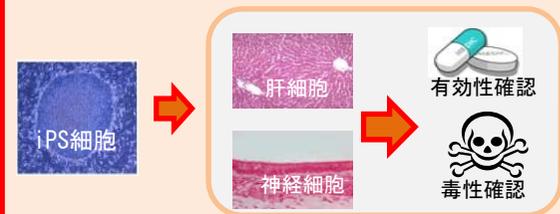
アカデミア発のシーズを、速やかに実用化につなげていくためアカデミアと企業が協力して行う研究に対して支援。



2) 創薬応用に向けた研究の支援

カ. 多能性幹細胞・体性幹細胞等を利用した創薬応用のための研究

臨床研究・治験の移行段階にある医薬品の候補化合物等について、効果的・効率的な研究の実施に向けた安全性評価法等に関する研究開発を支援。



オ. 臨床研究等の実施中に生じた課題解決のための研究

臨床研究や治験等を実施する中で発生した課題について、課題解決のための研究を支援。



3) 基盤的支援

研究成果をイ、エの個別事業にフィードバック

キ. 再生医療等技術の効率化のための研究

再生医療の効率化につながる技術の開発・向上や研究プロセスの刷新を図るための研究を支援。



ク. 再生医療等技術の国際展開のための研究

国内での早期実用化を目指して臨床での検証を実施しているところであり、世界的な市場展開も視野に入ってきている段階であるため、製造方法（培養添加物等）や品質管理方法、移送方法（凍結保存液等）の研究を支援。

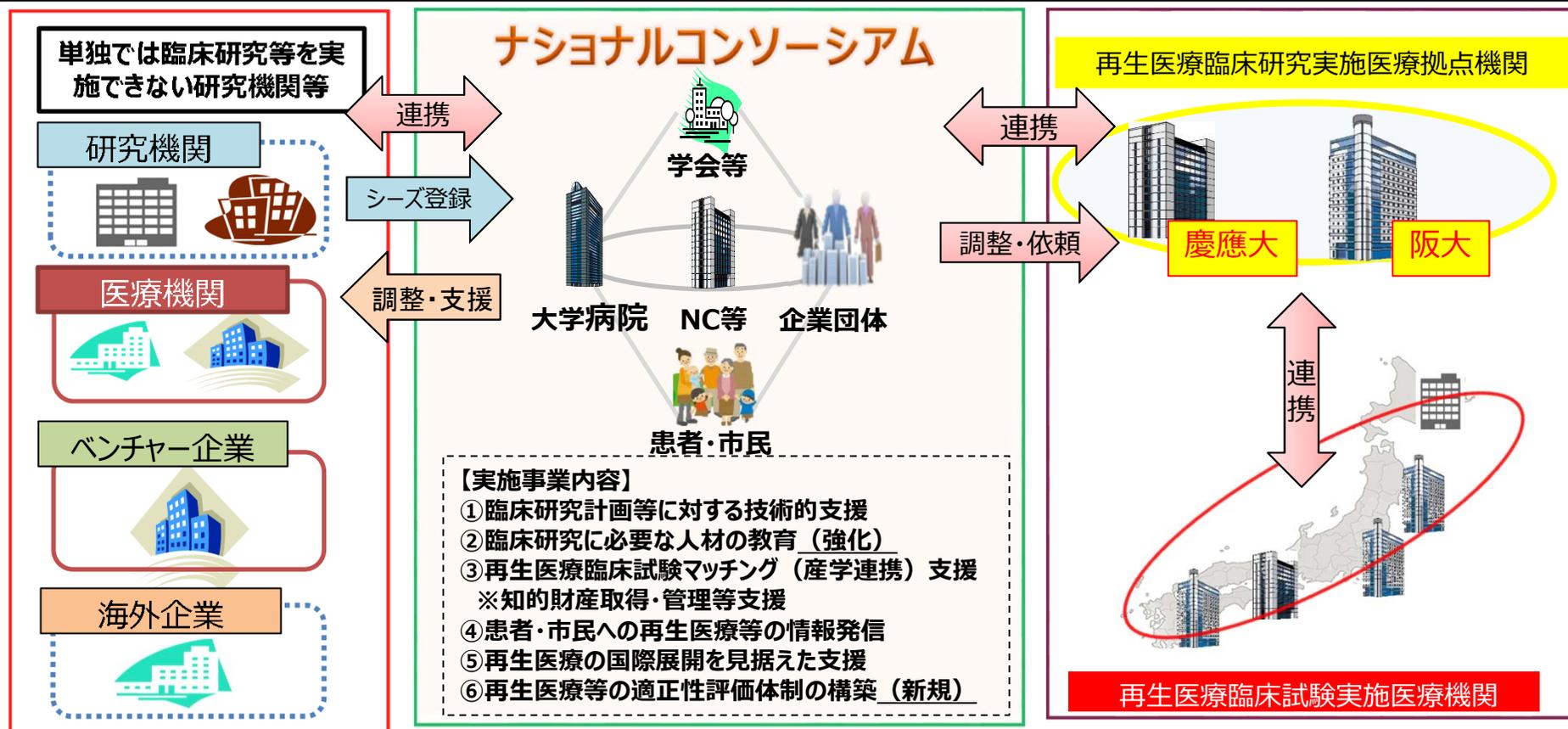


再生医療実用化基盤整備促進事業

令和2年度までに本事業で構築した日本再生医療学会を中心とした大学病院や企業団体が参画する連合体（ナショナルコンソーシアム）において、①研究計画等に対する技術的支援を行うとともに、研究基盤の更なる底上げを図るため、②臨床研究に必要な人材の教育の体制を強化し、再生医療の実用化を推進する。

また、再生医療の知識・経験を有する再生医療臨床試験実施拠点機関といった医療機関等と連携し、③単独での臨床研究が実施困難な国内外の研究機関・ベンチャー企業等と国内の医療機関とのマッチングの支援を行うことや、知的財産取得・管理等に関する戦略的助言、④再生医療等の適切な情報提供をするための患者・市民参画型イベントの開催、⑤再生医療の国際展開を見据えた支援を実施する。

なお、令和3年度からは、再生医療等提供機関が作成する再生医療等提供計画について、認定再生医療等委員会または再生医療等提供機関からの依頼により、⑥再生医療等の安全性・科学的妥当性を科学的に議論・評価する体制を構築し、適切な医療を国民が受けられる環境の構築を図る。



難治性疾患実用化研究事業

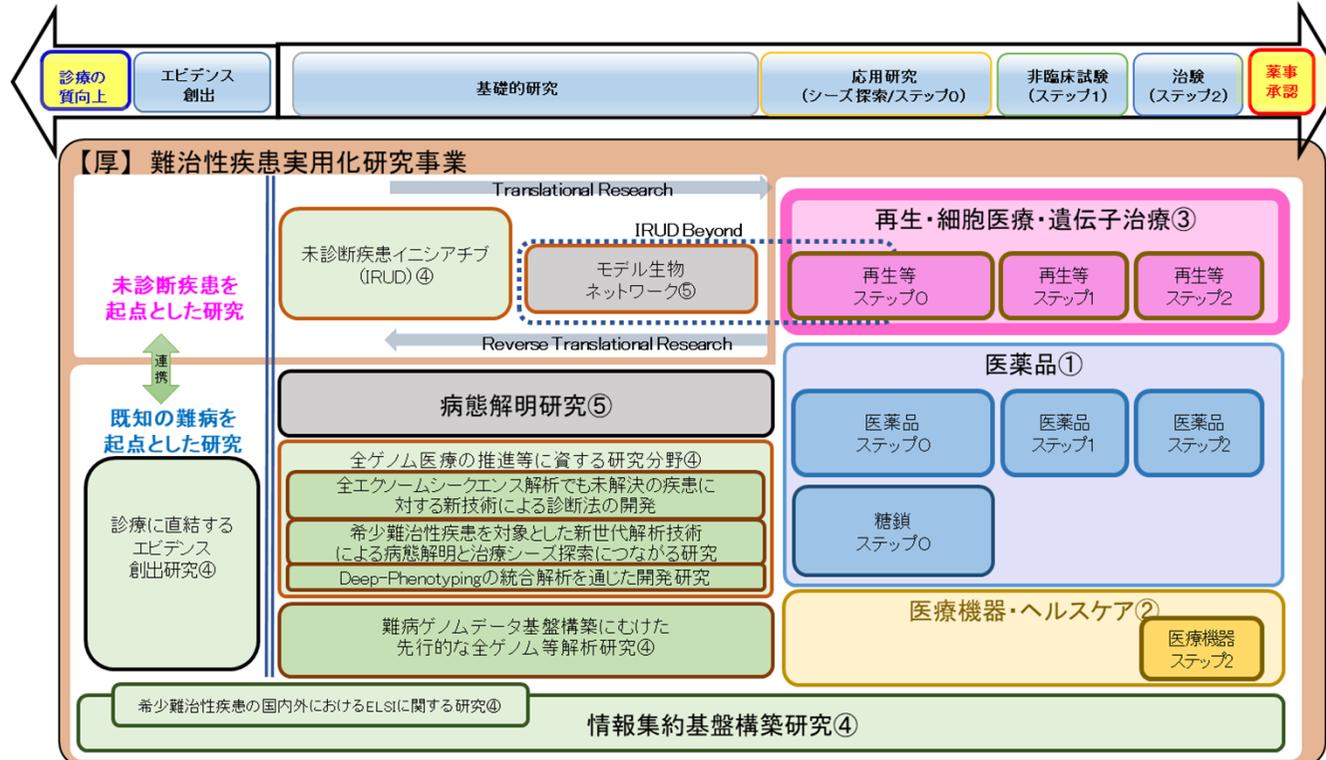
厚生労働省
提出資料

難治性疾患実用化研究事業においては、難病法において規定されている難病※を対象とする。
 難病には遺伝性疾患が多く含まれ、原因遺伝子が解明されている単一遺伝子疾患に対しては遺伝子治療が根本治療になりえ、世界的に遺伝子治療の研究が加速している。また、iPS細胞や骨髄由来幹細胞等を用いた再生医療等製品に関する治験も増加している。
 引き続き有望なシーズを創出し、非臨床試験にて治験（臨床試験）のためのデータを取得したうえで治験により臨床POCを取得することで創出したシーズの企業導出を実現する。
 なお、研究の推進にあたり、「遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業」と連携・協力・情報共有の上実施する。

※「発病の機構が明らかでない」、「治療方法が確立していない」、「希少な疾病」、「長期の療養を必要とする」の4要素を満たす

【難治性疾患実用化研究事業の全体像】

①医薬品プロジェクト ②医療機器・ヘルスケアプロジェクト ③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト ④ゲノム・データ基盤プロジェクト ⑤疾患基礎研究プロジェクト

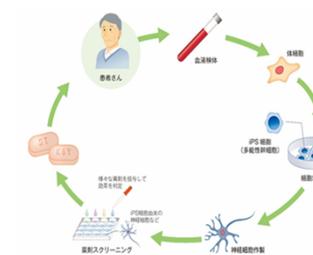


iPS創薬に基づいた医師主導治験を開始

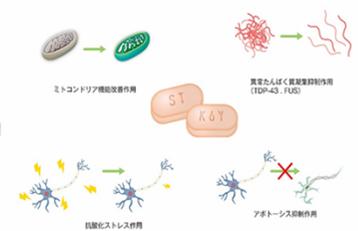
筋萎縮性側索硬化症

(平成30年度実績)

■ iPS細胞を用いた治療薬探索



■ ALSに対するロピニロール塩酸塩の期待される作用

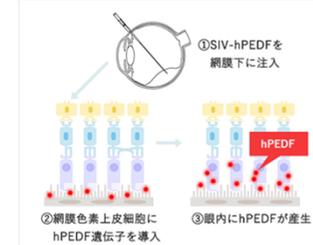


日本初の眼科領域における遺伝子治療の医師主導治験を開始

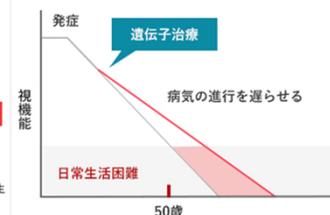
(令和元年度実績)

網膜色素変性症

■ ヒト色素上皮由来因子遺伝子の導入



■ hPEDFの視細胞保護による病気の進行抑制

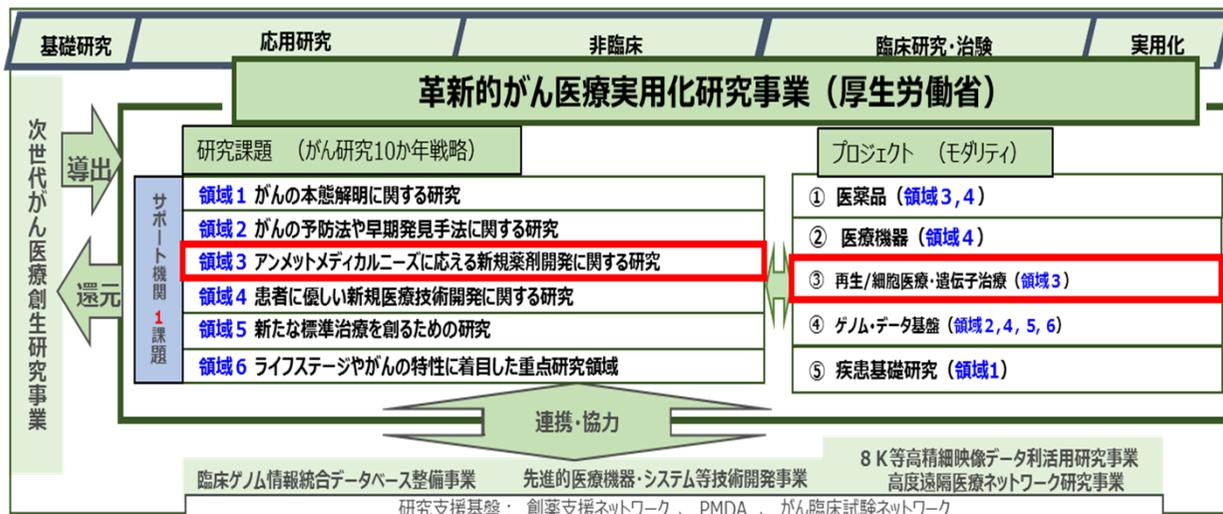


革新的がん医療実用化研究事業

厚生労働省
提出資料

革新的がん医療実用化研究事業は「がん研究10か年戦略」で掲げられた8領域のうち6領域に設定され、革新的な予防、早期発見、診断、治療等、がん医療の実用化を目指した、主に応用領域後半から臨床領域にかけての研究事業である。

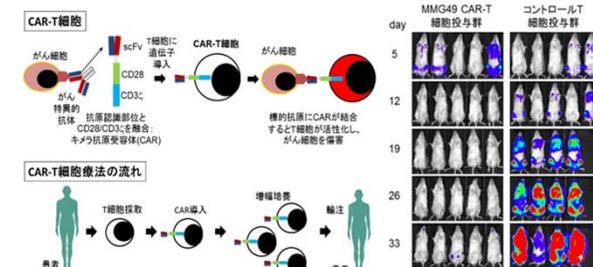
本事業では、「がん研究10か年戦略」を踏まえて、我が国の死亡原因の第一位であるがんについて、患者・社会と協働した研究を総合的かつ計画的に推進することにより、がんの根治、がんの予防、がんとの共生をより一層実現し、「がん対策推進基本計画」の全体目標である「がんによる死亡者の減少」、「全てのがん患者とその家族の苦痛の軽減と療養生活の質の維持向上」、「がんになっても安心して暮らせる社会の構築」を達成することを目指す。



各プロジェクトでの主な研究内容:

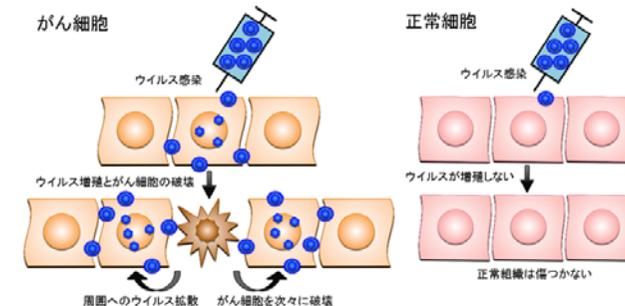
- 【医薬品】個別化治療に資する診断薬・治療薬の研究開発や難治性がん、希少がんなどを中心とした、国外適応外薬や未承認薬の実用化を目指した臨床試験
- 【医療機器】治療効果の高い低侵襲治療を可能とする先端技術等を応用・実装した医療機器の研究開発
- 【再生・細胞医療・遺伝子治療】がん免疫(細胞)療法、遺伝子治療、ウイルス療法等、ゲノム編集技術等を活用した新たな治療法の研究開発
- 【ゲノム・データ基盤】難治性のがんの早期発見を可能とするイメージング技術や放射線治療技術の研究開発、治療の有効性または治療の安全性・QOLの向上を目指した新たな標準治療確立のための多施設共同臨床試験、ライフステージやがんの特性に着目した小児、AYA、難治性、高齢者のがんの標準治療確立のための多施設共同臨床試験
- 【疾患基礎研究】がんの本態を構成する生物学的な特性について、特に個体におけるがん細胞・がん組織の特性を明らかにすることで新たな医療シーズの開発に資する研究

CAR-T細胞療法の開発 (多発性骨髄腫)



本結果をもとに2018年に国内企業へ導出され、以後の臨床開発は企業のもとでおこなう予定。

革新的抗がんウイルス療法の実用化臨床研究 (膠芽腫)



1年生存率92%と高い有効性を示した(標準治療の1年生存率は15%)ことから、2018年に有効中止とした。本結果をもとに国内導出先企業とともに製造販売承認申請をおこなう予定である。

再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業

経済産業省
提出資料

令和2年度予算額 **38.0億円（35.8億円）**

商務・サービスグループ 生物化学産業課
03-3501-8625

事業の内容

事業目的・概要

- 再生医療は、臨床現場の新たな治療の選択肢となるとともに、創薬ツールとしての応用が期待されており、市場の急速な拡大が予想されます。
- また、遺伝子治療については、汎用性のある基盤技術開発などへの支援の必要性が医療分野の学会などにより求められています。
- 再生医療・遺伝子治療の産業化を促進するために、
 - 再生医療技術を応用し、様々な臓器の細胞を活用した、医薬品の安全性等を評価するための応用技術の開発
 - 再生医療等製品の商用生産に向けた製造・評価技術の開発及びその運用のための研究開発
 - 有効性、安全性、再現性の高い再生医療等製品の効率的な開発に必要な技術基盤の確立
 - 高品質な遺伝子治療薬を製造するために必要な高度製造技術開発等を進めていきます。

成果目標

- 平成27年度から令和6年度までの10年間の事業であり、再生医療分野・遺伝子治療分野の産業化を目指します。具体的には、
- 令和6年度までに、再生医療等製品の薬事申請数8件
 - 令和6年度までに、本事業で開発した創薬支援ツールの製薬企業等の利用件数30件
- 等を目指します。なお、これらの目標を達成するために、令和2年度は細胞原料の安定供給について、一定の成果を取りまとめます。

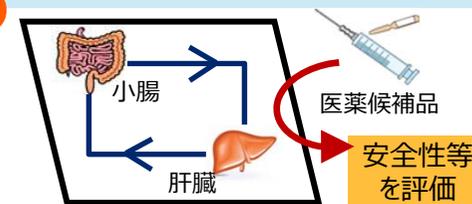
条件（対象者、対象行為、補助率等）



事業イメージ

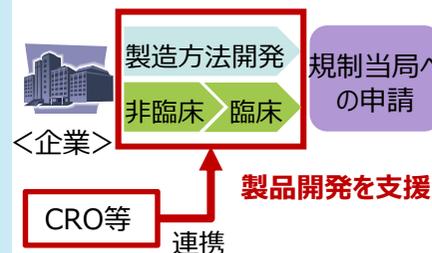
(1) 創薬支援基盤技術開発

- iPS細胞等から分化誘導される各種臓器の細胞等を用いたチップを開発する。



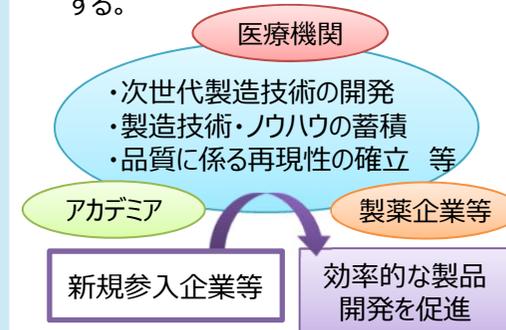
(2) 産業化促進研究開発

- 再生医療等製品の商用生産に向けた製造プロセス構築、評価手法開発及び製造関連技術とその運用のための研究開発を行う。



(3) 再生医療製造基盤技術開発

- 新規参入企業等が有効性、安全性、再現性の高い再生医療等製品を効率的に開発できるよう、技術基盤を確立する。



(4) 遺伝子治療製造技術開発

- 遺伝子治療に関する高品質で安全性の高い治療用ベクターの培養・製造技術等を開発し、国際競争力のある大量製造技術を確立する。

