

「再生・細胞医療・遺伝子治療事業(文/厚/経)」支援課題(抜粋)の進捗状況(令和6年2月末時点)

対象疾患	再生・細胞医療・遺伝子治療										iPS創薬		
	眼	神経	循環器	消化管・肝・膵	骨・軟骨・関節	血液・免疫	その他	がん		創薬(薬剤名)又は病態解明を目指す疾患			
臨床応用に至った研究・開発 再生医療等製品名	水疱性角膜炎 ピズノバ 【R5年3月承認】~R2		重症心不全 ハートネット® 【H27年9月条件・期限付承認】~H29	全身性強皮症 自家骨髄単核球移植による血 管再生療法 【R3年7月先進医療開始】	膝関節の軟骨疾患 ジャック® 【H24年7月承認】~H30	急性移植片対宿主病 テムセル®HS注 【H27年9月承認】~H27	腹圧性尿失禁 セル・ジョンセルセラ ピーキット SUI 【R4年2月機器承認】~H30	子宮頸がん TIL療法 【R2年12月先進医療承認】~R2	悪性神経膠腫 テリタゲ®注 【R3年6月条件・期限付承認】~R4				
臨床研究/治験の初回を完了した研究・開発	加齢黄斑変性 加齢黄斑変性 角膜上皮幹細胞疲弊症 表皮融解性魚鱗癬	低酸素脳症 脳梗塞	左室低形成症候群 ~H27 重症下肢虚血 ~H28	術後食道狭窄 ~H29 肝硬変~H28 慢性腎臓病 慢性肺炎等(術上後呼吸器科)	半月板損傷 軟骨欠損 難治性骨折 ~H28		難治性四肢潰瘍 ~H29 口唇口蓋裂 ~H28 中耳炎~H30 表皮水疱症 ~H30 肺炎漏~H29 歯周病~H28	成人T細胞白血病 脊索腫他		家族性アルツハイマー病(プロモクリフチン)			
臨床研究/治験を開始した研究・開発	網膜色素変性症 網膜色素変性症 水疱性角膜炎 水疱性角膜炎 脳出血	パーキンソン病 亜急性性脊髄神経根炎 脳梗塞 ~H28 脊髄損傷 ~H28 ALS ~H28 ALS 孤発性ALS ADCC欠損症 パーキンソン病	重症下肢虚血 心不全 心不全 虚血性心筋症 心不全 拡張型心筋症 急性心筋梗塞 ~H28 末期腎不全(シャント再建) 難治性下肢虚血 慢性虚血性心不全	潰瘍性大腸炎 食道狭窄 肝硬変~H30 肝硬変~H27 クローン病~H30 がん術後消化管閉塞 肝硬変~H29 代謝性肝疾患 肝硬変	軟骨損傷・欠損 膝軟骨欠損 ~H27 膝軟骨損傷 ~H27 慢性腎臓病 クローン病 重症1型糖尿病	膝関節軟骨損傷 関節軟骨欠損 ~H28 低フォスファターゼ症 変形性膝関節症 特異性大腿骨壊死症 変形性膝関節症 腰部脊柱管狭窄症	血小板減少症 移植片対宿主病 原発性免疫不全症 ~H30 生体肝移植時免疫寛容 日和見感染症	歯周病 歯周病 唾液腺萎縮症 シュグレ症候群 筋ジストロフィー 中耳真珠腫	家族性高コレステロール血症 先天性代謝異常 ~H30 腰部脊柱管狭窄症	卵巣がん 悪性リンパ腫 急性骨髄性白血病他 頭頸部がん 十二指腸腫瘍 卵巣がん 前立腺がん	卵巣腫瘍 固形腫瘍 固形がん~R3 婦人科悪性腫瘍 悪性軟部腫瘍	進行性骨化性線維異形成症※1(シロリムス) ALS※1(ホスニチア) 先天性代謝異常※2(アタラント) 遺伝性腎疾患(タムロン)	ALS※1(ロビニール塩酸塩) ベンレド症候群※1(シロリムス)~R01 遺伝性腎疾患(タムロン)
非臨床研究	網膜色素変性症	慢性期不全脊髄損傷 薬剤抵抗性てんかん 慢性期脳梗塞	閉塞性動脈硬化症	肝疾患 糖尿病~R1 肝硬変	変形性膝関節症 骨折	低フォスファターゼ症	口腔乾燥症 耳介欠損症 GLUT1欠損症	家族性高コレステロール血症 熱傷創 表皮水疱症	ニーマンピック病 筋ジストロフィー 先天性代謝異常 OTC欠損症等	子宮頸がん 悪性神経膠腫 急性骨髄性白血病	成人T細胞白血病/リンパ腫 リンパ腫 T-NHL 難治性固形がん		
応用研究 非臨床POC取得まで	ドライアイ-R3 網膜色素変性症 天疱瘡(眼型)	脳梗塞~R4 慢性期完全脊髄損傷 脊髄小脳変性症 脳梗塞~R3 遺伝性難聴 脳梗塞	心筋症~R3 拡張型心筋症 ファブリー病/拡張型心筋症	糖尿病 ~H29 肝硬変~H29 肝硬変~R4 クローン病~R4 肝線維症~R3 代謝性肝疾患・肝硬変 糖尿病 短腸症候群 OTC欠損症 プロテインC欠損症 肝硬変	軟骨組織 先天性気管狭窄症 椎間板変性症 歯周病		血液疾患 高IgE症候群 高IgM症候群 血友病B 血友病A 血友病A 原発性免疫不全症 GATA2異常症 慢性肉芽腫症 制御性T細胞製剤	筋ジストロフィー~R3 LOH症候群~R3 下垂体機能低下症~R2 慢性腎臓病 低コンプライアンス膀胱~R3 慢性腎不全 急性腎不全	オートファジー病 レット症候群 天疱瘡症 フェルカト尿症 新生児肺障害~R4 ボンバ病	多発性骨髄腫 膵臓がん 非ホジキンリンパ種		精神・神経疾患 骨・軟骨疾患 筋疾患 下垂体疾患 致死性不整脈を起す心筋症 早老症 ダウン症	血液・免疫疾患 呼吸器疾患 軟骨無形成 ~H28 心筋症 内分泌・代謝疾患 てんかん性脳症 拡張型心筋症
基礎研究	遺伝性網膜疾患 緑内障	脳梗塞~R3 自閉スペクトラム症 ~R2 脳疾患~R3 脳梗塞 ~H30 Rett症候群 筋萎縮性側索硬化症 脊髄損傷	心筋梗塞後の心不全(心筋リプログラミング) 心疾患(心筋の成熟化を誘導) ~H30	糖尿病 ~H30 潰瘍性大腸炎 ~R3 肝線維化 1型糖尿病~R3	軟骨組織~R3 変形性関節症		血液疾患 ~H30 移植時免疫制御 ~R4 血小板減少症 ~R4 造血幹細胞輸血 ~R4	難治性呼吸器疾患 靱帯損傷~R3 腎不全 ~H30 皮膚潰瘍~R3	妊娠高血圧症候群~R1 筋ジストロフィー~R3 ダウン症 毛髪再生	肺がん GPC陽性卵巣がん 固形がん 固形がん		臓器線維症 肝線維化 ~H30 成育期疾患 運動神経疾患 ミトコンドリア病 無虹彩症 先天性代謝異常 心疾患	
基盤整備	再生医療産業化促進基盤整備 QbDIに基づく再生医療等製品製造の基盤開発事業										再生医療等臨床研究促進基盤整備事業 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題		再生医療技術を用いた創薬支援基盤技術の開発 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

種別分類:

細胞: 他家iPS細胞を用いた課題 | 自家iPS細胞を用いた課題 | ES細胞を用いた課題 | 体性(幹)細胞を用いた課題 | ダイレクトプログラミング技術を用いた課題 | 疾患特異的iPS細胞を用いた課題

ベクター: ex vivo 遺伝子治療課題(ウイルス) | ex vivo 遺伝子治療課題(非ウイルス) | in vivo 遺伝子治療課題 | ゲノム編集技術を用いた課題

事業別分類:

① 文部科学省
再生・細胞医療・遺伝子治療実用化加速化プログラム

② 厚生労働省
再生医療等実用化研究事業
再生医療臨床研究促進基盤整備事業
革新的がん医療実用化研究事業
難治性疾患実用化研究事業

③ 経済産業省
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

①から②に連携・橋渡し | ①または②が③と連携

注1:AMEDで支援する再生・細胞医療・遺伝子治療に関する課題のうち、①②③に記載されている事業で支援している課題を抜粋して記載 注2:支援が終了した課題は、支援終了年度(末尾に付随する~H数字)における進捗状況で配置