

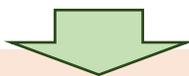
再生・細胞医療・遺伝子治療分野の 研究開発における論点と対応案について

令和6年4月4日

内閣府 健康・医療戦略推進事務局
文部科学省

再生・細胞医療・遺伝子治療分野の現状・特殊性

- 再生・細胞医療・遺伝子治療は、アンメットメディカルニーズに応え得るモダリティ
- 細胞培養や分化誘導、遺伝子改変技術等、他の分野にはない固有の特長・特徴
- 我が国発の技術であるiPS細胞は世界トップレベルの研究開発を推進
- 遺伝子治療の分野は世界と比べて遅れており、かつ遺伝子治療の分野は世界的に市場拡大の動き
- 我が国発のシーズから生まれた再生医療等製品数は12品目を数えるなど実用化も進展
- 他方、高い製造コストや各製品の市場規模、海外との技術開発競争などのビジネスリスクが存在
- 新たな製品を生み出し本分野をさらに成長させるには、用途の幅を広げ、売上と投資のサイクルを回す観点も必要
- 今後飛躍できるか否かは第3期これからの5年にかかっている



今後の方向性

- 世界最高水準の医療を国民に提供するという目標のもと、本分野の研究開発を基礎から実用化まで官民あわせて推進し、新しい治療法を開発して製品化につなげる。
- 再生医療等製品に限らず、例えば動物実験代替等の潮流の変化も踏まえつつ、本分野の技術の実用化・製品化の用途を創薬支援等に広げ、産業応用を進める。



目指すべき姿

★2040年

- 難病、高齢者疾患、慢性疾患に対する特効薬/治療法が日本で開発され、根治可能・治療可能な疾患が増加している
- グローバル展開に資する研究開発の推進により、日本発シーズが世界に展開されている

★2030年

- 上記2040年の姿の実現に向け、再生・細胞・遺伝子治療分野の研究開発による次世代医療の提供が促進されている
- 強い知財に基づいたシーズ等がアカデミアから創出されている
- 技術や知識を持った再生医療を支える人材が充実し始めている

(資料：花村遼,実験医学: Vol.41,No.3;2023、再生医療で描く日本の未来研究会 2024年2月14日 事業構想大学院大学「ロードマップ」)

項目1：再生・細胞医療領域の課題と対応の方向性

大論点

これまでの再生・細胞医療領域への投資により成果が創出されつつあり、第3期では「実用化」を加速化させる必要がある。iPS細胞等を用いた実用化に向け、再生医療等製品の創出に加え、MPSや疾患特異的iPSを用いた創薬等の他の技術への活用も加速させていく必要があるのではないか。

小論点	対応案
1. iPS細胞がより適した疾患、臓器はあるか。 これまでに実用化されているもの以外でも実用化を進めるべき疾患、臓器を特定する必要がある。	研究成果の実用化に向けて、再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い多様な研究開発を推進する。 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で実施しているMPS※技術の研究開発による作用機序や毒性評価解析の成果を踏まえつつ、iPS細胞で再現をすることが適した臓器を引き続き検討する。(文、経) ※MPS=Microphysiological system ヒト生体模倣システム
2. 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。	オルガノイド(ミニ臓器含む)、エクソソーム等を含め、新しい治療手法となりうる新規技術について、革新的な研究開発を推進する。(文)
3. 製剤化、実用化の推進や企業参入の障壁として、環境・人材・製造整備の問題や、輸送面、制度上の課題が存在するのではないか。	令和4年度第二次補正予算「再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けた環境整備事業費補助金」を通じて、研究開発～製造～治験までを途中の輸送も含めて一貫して実施出来る拠点を整備したところ。拠点の整備と運用を通じて課題の洗い出しと対応を進め、普及の足掛かりとする。同時に製造拠点の強化や人材育成については、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等で継続的に取り組んでいく。(経)
4. iPS細胞を用いた再生医療は、疾患・対象患者が限定され、高コストになる特徴がある。 iPS細胞技術等の利用法を医療の他(疾患モデル、創薬標的の探索、毒性試験等)にも追求することが必要。	患者由来のiPS細胞等から疾患モデルを構築し、そのモデルを活用することで疾患の治療薬候補の同定が行われる等の進展が見られる。患者由来のiPS細胞から疾患と関連する細胞やオルガノイドを分化培養させ疾患モデルを構築し、そのモデルを活用することで難病の病態解明や創薬標的を探索する研究開発を再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム等で強化する。 近年開発が加速化している新たな創薬分野(抗体医薬、核酸医薬、遺伝子治療薬)については、構造が複雑で従来の低分子医薬品の動物実験データからは予測できない副作用があることから、iPS細胞の技術を用いてチップ上に生体を模倣し、毒性や作用機序を精緻に予測する生体模倣システムの開発が有用であり、これを再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業等を通じて加速する。(文、経)

項目2：遺伝子治療領域の課題と対応の方向性

大論点

世界的な市場拡大、開発進展に対し、日本は大きく遅れており、第3期では参入形態についての戦略が必要ではないか。どこに注力し、何を優先して取り組むべきか、何が隘路か海外動向も勘案しつつ戦略を持って取り組む必要がある。

小論点	対応案
1. 遺伝子治療を日本が取り組むうえで、血液がん以外の疾患領域（固形がん、難病等）の研究開発推進が必要。	in vivo遺伝子治療を研究対象とすることに加え、再生・細胞医療と遺伝子治療を一体的に取り組む融合研究を推進する。さらに、様々な疾患を対象に遺伝子治療技術を含む新たな治療技術開発を再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムで推進する。また、研究開発段階が変わる際の壁を低くすると共に、令和6年度から開始されるがん10か年戦略（第5次）に従った支援を革新的がん医療実用化研究事業等で推進する。（文、厚）
2. ベクターやAAV、ゲノム編集技術(CRISPR-Cas9など)の利用料が高額であるため、国産のベクターやゲノム編集技術の開発が必要。ウイルスベクター細胞や非ウイルスベクターの開発も重要。	基礎研究段階から知的財産支援などの実用化を見据えた伴走支援を行いながら、我が国発のゲノム編集技術を活用した新規治療法の開発等を実施する。また、中核拠点も活用して、新たなゲノム編集技術や遺伝子送達技術開発など本分野の基盤的な研究開発に取り組む。GMP準拠非臨床用ウイルスベクター製造基盤整備を実施し、既存技術に基づいたベクター製造開発に取り組む。また、既にGMP準拠ベクター製造体制を有する機関に対して、臨床試験に使用する高品質ベクターの製造基盤整備の支援を行う。 さらに、国産のウイルスベクター産生細胞の技術開発からそれらを用いた商用でのベクター製造技術開発、およびゲノム編集技術を用いた遺伝子改変細胞の製造技術開発にも、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等で取り組む。（内、文、厚、経）
3. 医薬品GMPレベルでのベクター製造拠点が必要。サプライチェーンの観点から国内整備が重要。	GMP準拠非臨床用ウイルスベクター製造基盤整備を実施し、国内でのアカデミア向けの少量多品種なニーズに対応できるウイルスベクター製造基盤の構築を進める。GMPレベルでのベクター製造が可能なCDMOを育成すべく再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業等により支援を実施する。（文、経）
4. 今後遺伝子治療の分野を活性化させるには研究開発の強化や若手育成研究拠点が重要。また、若手の海外研究経験、海外研究者とのネットワーク形成も重要。	再生・細胞医療・遺伝子治療加速化プログラムにおいて、再生・細胞医療と遺伝子治療が一体となった研究を実施できるよう京都大学iPS細胞研究所（CiRA）、自治医科大学、国立成育医療研究センター、CiRA財団が中核拠点となり、遺伝子治療分野も含む研究開発を引き続き強化するとともに、遺伝子治療分野も含む幅広い専門技術を有する若手研究者の育成を進める。（文）

項目3：再生・細胞医療・遺伝子治療領域の課題と対応の方向性

大論点 再生・細胞医療・遺伝子治療の分野で固有の課題（研究、規制、環境等）があり、それが分野全体の発展を阻害しているのではないか。

小論点	対応案
<p>1. 医療分野と工学系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革新的研究開発の推進が重要。また、異分野連携で研究開発に自動化やロボティクス導入を進めることで、実験の均質化や開発加速が期待される。</p>	<p>再生・細胞医療と遺伝子治療分野との融合研究を引き続き推進する。また、工学分野と医療分野を含めた異分野融合によるチーム型研究を推進し、異分野融合型の研究開発を進展させる。また、再生・細胞医療領域の研究開発と遺伝子治療領域の研究開発の交流及び連携を誘発する機会を設けるなどにより、新しい発想や研究領域を横断する共同研究を促す。（内、文）</p>
<p>2. 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。</p>	<p>研究成果の海外展開も見すえて、海外の規制や標準等についても調査を行い、その結果に基づいた研究早期からの知財戦略や事業化戦略についての伴走支援強化の取組みを引き続き実施する。併せて、優れた伴走支援者の育成・確保に向け、研究開発現場の人材流動を促す。また、国内で開発中の再生医療等製品を早期に国際展開するための取組みを引き続き実施する。さらに、海外の規制も参考にしつつ、再生医療の研究開発初期から原料として必要となるヒト細胞の供給に係る品質管理の手法等を定めた留意点文書の策定を実施。（内、文、厚、経）</p>
<p>3. 高額な機器は、使用料だけで若手やベンチャーも利用できる環境整備（共用化）を進めることが重要。</p>	<p>PJ1の生命科学・創薬研究支援基盤事業において、先端研究基盤に基づく生命科学・創薬研究の研究支援を強化するため、最先端機器の更なる整備や、技術の高度化、横断的な連携を引き続き進める。（文）</p>
<p>4. 条件及び期限付き承認における「有効性の推定」にあたりガイドライン等があることが、国際的透明性、市場確保に重要。</p>	<p>条件及び期限付き承認制度の適用範囲などを明確化したガイダンスを取りまとめ、令和6年3月29日に通知発出したところ。引き続き、条件及び期限付き承認制度の適正な運用を図っていく。（厚）</p>

項目3：再生・細胞医療・遺伝子治療領域の課題と対応の方向性

大論点 再生・細胞医療・遺伝子治療の分野で固有の課題（研究、規制、環境等）があり、それが分野全体の発展を阻害しているのではないか。

小論点	対応案
5. カルタヘナ法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。	これまでカルタヘナ法に基づき通知により手続きの運用改善を図ってきたところ、今後も再生医療等製品に係る業界団体との定期的な会合を開催し、効率的な運用について検討していく予定。（厚）
6. 生物由来原料基準について、規制要件を時代に即した内容に適宜更新、国際的整合性を図る必要性があるのではないか。	令和6年度までのAMED研究班で検討を行っており、その検討結果を踏まえて対応を行うことを予定している。（厚）
7. 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。知財戦略支援、リテラシーの向上が重要。	支援課題において、基礎研究段階からシーズの将来性を予測しバックキャスト的な視点で知財戦略や事業化戦略などの実用化を見据えた伴走支援を引き続き行う。AMEDの創薬コーディネーターのような伴走支援、知財獲得のサポートを含む実用化支援、PJ6の橋渡し拠点の積極的な活用等様々な方策を講じ、研究の早期段階から知財戦略の策定や企業へのライセンス等の支援を充実する。（内、文）
8. 実用化の推進に向けては、アカデミアから企業へ橋渡しを担うベンチャーの活躍が重要。	多様な研究財源の獲得を目指して、創薬ベンチャーエコシステム強化事業によるベンチャーへの直接支援とVCによる支援の継続、海外VCの日本への呼び込みに取り組む。（厚、経）スタートアップの立ち上げ時及び立ち上げ初期からの継続的なハンズオン支援を推進する。（内・文・厚・経）