

再生・細胞医療・遺伝子治療に関して寄せられたご意見

※ 本資料は、再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会の有識者構成員等から寄せられたご意見を、事務局において整理したものである。

再生・細胞医療

○モダリティ（技術・手法）

- ・コストや安全面などを考慮したうえで、疾患別・用途別の細胞種の使い分けが必要。
- ・米国でも我が国でもES細胞、iPS細胞双方で臨床試験が開始されていることから、今後、原材料としてiPS細胞やES細胞を使用した開発品も考慮すべき。
- ・オルガノイド、ミニ臓器はさらなる発展が期待できる。

○対象疾患

- ・これまでの医薬品開発における対象疾患は慢性疾患など症例の多いものが対象とされてきたが、希少疾患の治療法を見つけることで一般的な疾患の治療法確立につながる戦略も重要であり、そのための治験の在り方を検討することも必要。
- ・生活習慣病、慢性疾患への適応拡大や予防法開発への対応の検討も必要。

○エコシステム*

- ・本領域の研究開発の進展を踏まえ、基礎研究から臨床研究への橋渡しを強化するとともに、今後はリバース・トランスレーショナル・リサーチ、産学連携にも注力すべき。

* 本資料では、医療分野の研究開発について基礎研究から実用化までに至るまでの活動の総体を「エコシステム」として整理している。

遺伝子治療

○モダリティ（技術・手法）

- ・現在はアデノ随伴ウイルスベクター（AAV）が主流であるが、今後は、安全性の観点から非ウイルスベクターの開発が重要。

○エコシステム

- ・遺伝子治療の実用化を加速するためには、品質管理・製造管理の基準を満たした生産体制等を組み込んだ、アカデミアやベンチャーが使えるようなオープンイノベーションのためのプラットフォームが必要。
- ・大企業とアカデミアの橋渡しが必要であり、ベンチャー等がそのミッションを担う

ことが重要。

- ・基礎研究から医薬品としての承認までをシームレスに結びつける産学官共同の包括的体制が必要。
- ・医薬品 GMP (Good Manufacturing Practice) レベルでのベクター製造が必要であり、製造企業を育成すべき。
- ・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。
- ・ベクターやゲノム編集技術 (CRISPR-Cas9 など) の利用料が高額なので、国産のベクターやゲノム編集技術の開発が必要。また、ベクター以外での遺伝子導入技術の開発も必要。
- ・中長期的な基礎研究を含め、日本の独自技術を知財化すべき。

○制度面

- ・現行規制の中では、遺伝子治療製品に対して通常の医薬品と同じ基準で安全性・安定性を求めており、莫大な投資が必要となっている。(製造過程での GMP/GCTP (Good Gene, Cellular, and Tissue-based Products Manufacturing Practice) 適合性、臨床側での GCP (Good Clinical Practice) に沿った治験等)
- ・非臨床研究・臨床研究で抑えるべきポイントを定めたガイドラインや最低条件の提示が必要。
- ・カルタヘナ法の運用状況の検証が必要。

共通事項

○モダリティ (技術・手法)

- ・生産技術や品質管理の高度化に向けて、AI 技術の導入、自動車産業等の高度な生産技術を持つ分野からの知見導入が必要。
- ・医療分野と工学系のアカデミアとの分野融合が必要。

○対象疾患

- ・対象疾患ごとの治療アプローチの評価・整理・選択による新規技術開発の方向性が必要。

○エコシステム

- ・臨床研究デザインのコンサルティング人材が不足。バイオデザインの導入や企業の臨床研究をオーソライズする仕組みが必要。
- ・再生・細胞医療分野におけるこの 10 年の細胞培養・移植技術の飛躍的な進歩を遺伝子治療分野と共有するためにも、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が必要。

○制度面

- ・ 臨床研究においてランダム化比較試験（RCT）を要求するのではなくヒストリカルコントロール（過去に実施された臨床試験成績を比較の対照とすること）の活用を可能とすべき。