

再生・細胞医療・遺伝子治療に係るモダリティの特徴等について（案）

※注1：本資料については、有識者の意見等を基に現状を整理したものであり、一般的に考えられる特徴等をまとめたものである。
※注2：本資料のモダリティの特徴等については、同一種別の中でも特徴に違いがあることや、今後の研究の進展によって課題が解決され得ることに注意が必要。

再生・細胞医療

遺伝子治療

①種別	②定義	③模式図	④安全性 (拒絶反応)	⑤安全性 (造腫瘍性)	⑥量産性	⑦主な対象 臓器・疾患
組織幹細胞 (自家)	各組織・臓器に存在して自己複製能を有し、特定の細胞に分化する幹細胞。自身の細胞をもとに作成されるもの。	<p>特定の細胞に分化したり様々な液性因子を分泌することで、組織の修復・再生を促進したり、炎症反応を抑制する。</p>	限定的	限定的	他に比べて技術的課題は限定的。他家の一部では供給源に課題。	骨・軟骨、神経、皮膚、心・血管、角膜 がん、炎症性疾患、造血・免疫疾患、筋疾患など多様
組織幹細胞 (他家)	各組織・臓器に存在して自己複製能を有し、特定の細胞に分化する幹細胞。他人の細胞をもとに作成されるもの。	<p>造血幹細胞 間葉系幹細胞など</p>	限定的	限定的	他に比べて技術的課題は限定的。他家の一部では供給源に課題。	骨・軟骨、神経、皮膚、心・血管、角膜 がん、炎症性疾患、造血・免疫疾患、筋疾患など多様
ES細胞	受精卵胚盤胞の内部細胞塊から作成され、ほぼ無限の自己複製能と様々な細胞系列への分化能を有する。	<p>受精卵 → ES細胞 → 骨、筋肉、眼など様々な細胞に変化</p>	有り	有り	大量培養法は未だ確立されていない。特に分化後のスケールアップの難易度が高い。	眼、神経、心臓、肝臓、血液、がん
iPS細胞 (自家)	体細胞に特定の遺伝子を導入して作製され、ほぼ無限の自己複製能と様々な細胞系列への分化能を有する。自身の細胞をもとに作成されるもの。	<p>皮膚細胞 血液細胞など → iPS細胞 → 骨、筋肉、眼など様々な細胞に変化</p>	限定的	可能性有り	大量培養法は未だ確立されていない。特に分化後のスケールアップの難易度が高い。	眼、神経、心臓、肝臓、血液、がん
iPS細胞 (他家)	体細胞に特定の遺伝子を導入して作製され、ほぼ無限の自己複製能と様々な細胞系列への分化能を有する。他人の細胞をもとに作成されるもの。	<p>皮膚細胞 血液細胞など → iPS細胞 → 骨、筋肉、眼など様々な細胞に変化</p> <p>遺伝子を導入</p>	限定的	可能性有り	大量培養法は未だ確立されていない。特に分化後のスケールアップの難易度が高い。	眼、神経、心臓、肝臓、血液、がん
ex vivo 遺伝子治療	標的細胞を体外に取り出し、目的の遺伝子を導入してその細胞を体内に投与すること。 (iPS化のための遺伝子導入を除外)	<p>① 人体から標的細胞を取り出す。 ② 体外で細胞を培養し、ベクター（ウイルスなど）を用いて遺伝子を導入。 ③ 遺伝子を導入した細胞を体内に戻すことで、遺伝子を体内に投与。</p>	有り	可能性有り	大量培養法は未だ確立されていない。	がん、遺伝性疾患
in vivo 遺伝子治療 (ウイルス治療を含む)	目的の遺伝子を搭載した遺伝子治療薬を体内に直接投与すること。	<p>① ベクター（ウイルスなど）に特定の遺伝子を組み込む。 ② 遺伝子を組み込んだベクターを体内に投与。</p>	可能性有り	可能性有り	大量培養法は未だ確立されていない。	血管、がん、希少・遺伝性疾患、感染症