

再生・細胞医療・遺伝子治療に関する研究開発の AMEDにおける取組と今後の方向性

2021年1月27日

名古屋医療センター 名誉院長
AMED再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトPD

齋藤 英彦

総論

- 再生・細胞医療・遺伝子治療は、これまで治療が困難だった疾患に対しても可能性があり、患者やご家族の希望である。実際、心不全、パーキンソン病、脊髄損傷、網膜疾患等の臨床試験が始まっている。加えて、今後は、生活習慣病の予防や予後、QOL向上にも対応していかななくてはならない。
- ただ、細胞自体が未知の部分があったり、技術や手法も開発しなければいけない部分も多く、基礎・応用研究から実用化や産業化に向けて、試行錯誤を重ねながら一つずつハードルを越えていかななくてはならない。
骨髄・臍帯血移植やバンクは今日に至るまで30年かかり、医薬品の開発期間は9～17年とされる。
- 山中先生が発見したiPS細胞は、我が国発の強力なツールである。ノーベル賞受賞をきっかけに、我が国のリソースも結集され、先行して始まった体性幹細胞やES細胞の研究開発も一緒になって、短期間で多くの成果が出てきている。
- 遺伝子治療については、ウィルスベクターの製造基盤が整備されつつあり、この基盤のさらなる発展とともに、搭載する遺伝子の研究開発を活発化させるなど、一貫した取組を進めていく必要がある。

総論 つづき

- 我が国には、この分野を切り開いてきた第一線の研究者の元に、若い研究者が育ち、地方にも優秀な研究者がいて、新しい研究の裾野の拡がりも出てきている。また、材料、3Dプリンター、AIやロボット等の異分野融合も活発化、参入企業も増えてきており、日英の共同公募事業も開始したところ。こうしたオープンな形での研究開発を加速していく。
- これまで築いてきた土台を、皆が力を合わせて我が国らしく、さらに大きく発展させ、その成果を患者やご家族の元へしっかり届ける。また、それを持続・発展的に支えていく産業を構築していく。その積み重ねにより、将来的には、我が国の歴史や文化となるよう、この分野を育んでいきたい。



I(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療

期間実績評価

評定
(自己評価)
A

AMED設立後この5年間において、②採択課題のマネジメント見直し、外部機関との連携、再生医療ナショナルコンソーシアムの体制構築やiPS細胞バンク、患者・市民参画(PPI)の取組など、再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善により、①再生医療課題の臨床研究段階又は治験段階への移行47件、iPS細胞を活用した新規治療薬の治験開始4件、周辺機器・装置等の販売開始6製品8品目、省庁における新たなガイドライン策定への貢献など、再生医療研究開発における顕著な成果事例を創出した。また、③研究者交流の推進、若手・国際人材の育成、国際共同公募の実施、患者・一般への情報発信・交流の活動も活性化させており、再生医療分野の基礎研究・応用研究をいち早く実用化・事業化に繋げる基盤を構築した。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

次期は、再生・細胞医療・遺伝子治療事業部という新たな体制において、今期構築した基盤を土台に、再生医療が『3つのLIFE(生命・生活・人生)』に対して可能性と選択肢を拡げ、社会に展開していくための新たなフェーズへ移行し、再生医療分野に留まらない分野融合、若手研究者の参画等による研究の加速、患者や家族、市民の皆様、社会や地域との共創など、オープンな形で再生医療(研究)の社会展開を目指していく。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	A	A	B	A	A	A	A
主務大臣評価	A	B	B	A	A	A	A

①再生医療研究開発における顕著な成果事例

- ①-1 臨床研究・治験の実施の期間実績として、期中上方修正した目標値35件を上回る47件が臨床研究段階又は治験段階に移行し、研究開発を推進した。主な研究課題として、a 神戸アイセンター病院 高橋政代センター長らのiPS細胞由来網膜色素上皮細胞による加齢黄斑変性治療、b 京都大学 高橋淳教授らのiPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞によるパーキンソン病治療、c 大阪大学 澤教授らのiPS細胞由来心筋細胞シートによる重症心不全治療、d 東京医科歯科大学 関矢教授らはの自家滑膜幹細胞による半月板損傷治療等があげられる。
- ①-2 iPS細胞を活用した新規治療薬の探索で、4件の治験が開始された。
- ①-3 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」において、若手研究者による新たな研究シーズの創出も始まった。(令和元年度成果参照)
- ①-4 6社が周辺機器・装置等の実用化を進め、6製品8品目が発売し、1種の既存製品を薬機法に基づくマスターファイル登録した。
- ①-5 ヒト細胞原料の安定供給実現に向けた委員会が、「ヒト(同種)細胞原料供給に係るガイドダンス(初版)」を取り纏め公表した。

②再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

- ②-1 「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」の作成・活用による事業間連携強化、競合技術の比較調査を活用した事業設計等により、事業運営体制を強化した。また、京都大学iPS細胞研究所の臨床用iPS細胞ストックを供給する体制を構築するとともに、疾患iPS細胞バンクの寄託及び活用を推進した。
- ②-2 製薬協や日本CRO協会との共催セミナー、「AMED再生医療研究交流会」と「再生医療公開シンポジウム」での交流・情報交換等の仕組みを構築した。
- ②-3 レギュラトリーサイエンス関連研究課題で規制科学課、創業支援研究課題で難病研究課・臨床研究課によりAMED内連携が進んだ。
- ②-4 再生医療学会を中心とした「ナショナルコンソーシアム」の再生医療等データ登録システム(NRMD)を構築し、活用を進めた。

③研究育成、人的交流、国際連携等に資する活動

- ③-1 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」の中で、次世代のシーズ作りを目指した基礎的な研究開発を実施、及び若手研究者の登用と交流強化を進めた。
- ③-2 「AMED再生医療研究交流会」が、研究者の交流を促進させるとともに若手研究者に発表機会と研究者交流の場として定着した。また、「AMED再生医療公開シンポジウム」が、再生医療について患者及びその家族・一般の理解の促進と研究者が患者・市民のニーズを知る場として定着した。
- ③-3 シンガポール科学技術研究庁A*STAR、英国MRCとの国際連携を強化した。
- ③-4 ヒトiPS細胞由来心筋細胞等を用いた心毒性試験をICHガイドライン化に向けた活動を継続して進めている。

④成果目標達成状況(評価指標)

KPI【2020年までの達成状況】	令和2年3月迄の累積達成状況
<ul style="list-style-type: none"> ・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用 ・再生医療等製品の薬事承認数の増加 	患者由来の疾患特異的iPS細胞を活用した創薬研究により、4件の治験が開始された。これまで累計で5品目、7症例が承認された。
<ul style="list-style-type: none"> ・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 目標35件 	47件(内、治験:21件、対象疾患数:41疾患)が臨床研究又は治験に移行し、対象疾患は着実に拡大、KPIを達成した。
<ul style="list-style-type: none"> ・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化 	6品目8種の製品が発売され、1品目がマスターファイル登録された
<ul style="list-style-type: none"> ・iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言 	産官学連携の検証試験等からiPS心筋で催不整脈リスクの予測可能となり、ICHに作業部会が設置され、本アプローチの利用可能性を検討が始まった。

再生医療実現プロジェクト等の主な成果事例

①神戸アイセンター病院 高橋政代 研究センター長 他

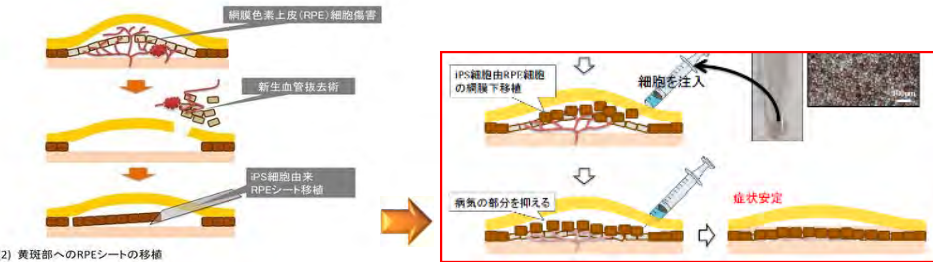


網膜色素変性に対する同種iPS細胞由来網膜シート移植に関する臨床研究



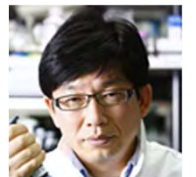
(1) iPS細胞から網膜色素上皮(RPE)シートの作製

➢ 大阪大学第一特定認定再生医療等委員会にて承認され、1例実施



(2) 黄斑部へのRPEシートの移植

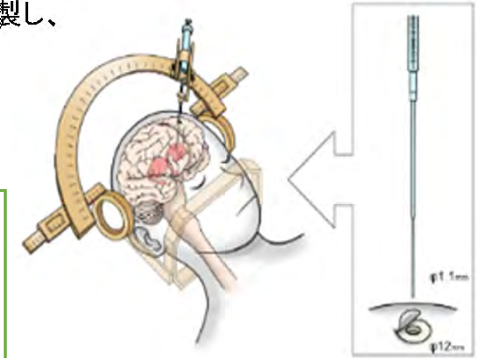
②京都大学 高橋淳 教授 他



パーキンソン病に対する他家iPS細胞を用いた医師主導治験

- パーキンソン病に対して、他家由来iPS細胞からドパミン神経前駆細胞を作製し、移植する医師主導治験
- 現在、4例実施(予定症例数:7例)

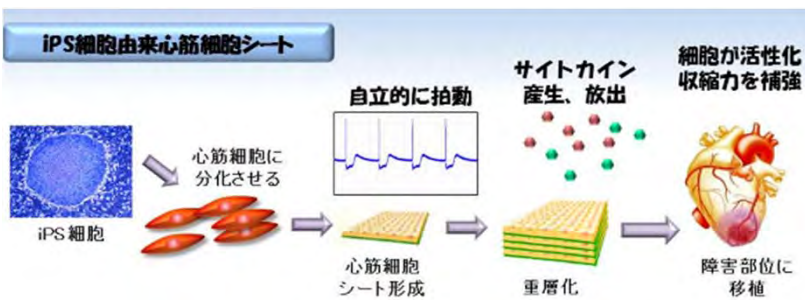
iPS細胞から分化誘導したドパミン神経前駆細胞(約500万個)を、注射針のような器具を用い、パーキンソン病の患者の脳に細胞を注入



③大阪大学 澤芳樹 教授 他



心筋再生治療に関するiPS細胞を用いた医師主導治験



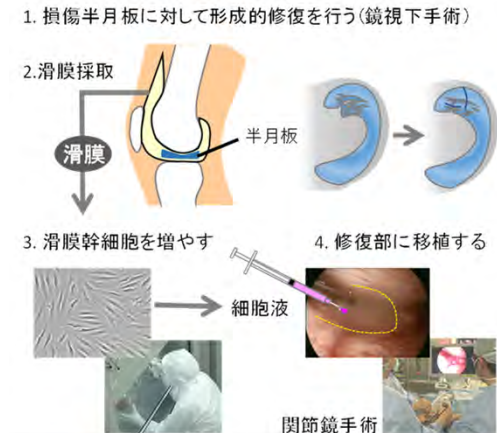
- 他人由来のiPS細胞から作製した心筋細胞シートによる重症心不全(虚血性心筋症)になった患者、最大10例に移植を予定
- 令和元年10月、医薬品医療機器総合機構に医師主導治験届を提出
- 令和2年1月、1例目の被験者にiPS細胞由来心筋細胞シートを移植

④東京医科歯科大学 関矢一郎 教授 他



自家滑膜幹細胞の半月板損傷を対象とする医師主導治験、および変形性膝関節症に対する滑膜幹細胞の関節内注射

- 半月板損傷患者に自家滑膜幹細胞を移植する医師主導治験を実施、再生医療製品として製造販売申請の準備中
- 滑膜幹細胞については、変形性膝関節症患者への実用化にも取組中

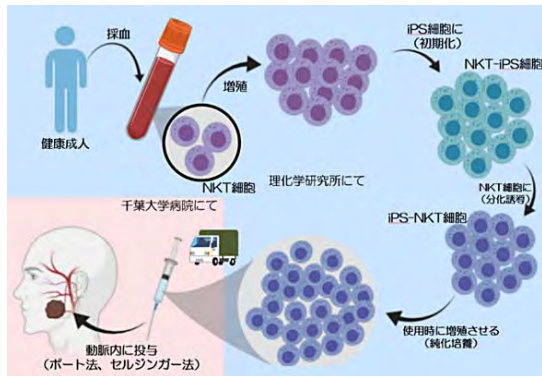


⑤ 理化学研究所 生命医科学研究センター 古関明彦 チームリーダー 他

NKT細胞再生によるがん免疫治療技術開発拠点
再発・進行頭頸部がん患者を対象としたiPS-NKT細胞
動注療法に関する第1相試験



- 世界初、iPS-NKT細胞を血管内に直接投与
- 免疫細胞療法で治験を開始

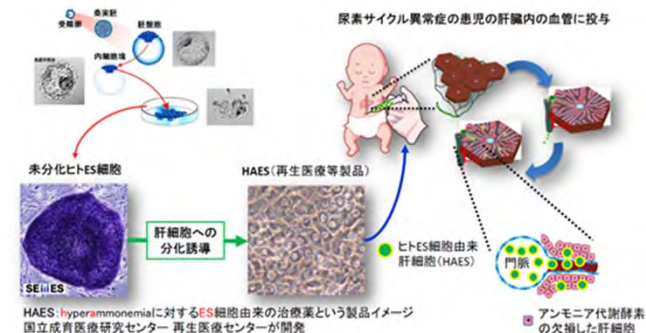


⑥ 国立成育医療研究センター 研究所再生 医療センター 梅澤明弘 センター長 他

重症高アンモニア血症を生じる尿素サイクル異常症に
対するヒト胚性幹 (ES) 細胞由来再生医療等製品に関
する医師主導治験と承認申請に向けた取り組み



- 先天性尿素サイクル異常症でヒトES細胞を用いた治験を実施
- ヒトES細胞由来の肝細胞のヒトへの移植は、世界初



⑦ 「ヒト (同種) 細胞原料供給に係るガイダンス (初版)」の策定への貢献

ヒト細胞原料の安定供給実現に向けた委員会
(委員長：東京医科歯科大学 森尾友宏 教授)

- 「国内医療機関からのヒト(同種)体性幹細胞原料の安定供給モデル事業」の一環として実施
- 平成30年度 ヒト細胞原料の供給にかかる体制整備に向けた研究を開始
- 研究開発事業と並行して、ヒト細胞原料供給に関わる法的・倫理的な課題等を議論する有識者からなる検討委員会を設置し、検討を進めている
- 令和2年3月 ヒト細胞原料の採取や仲介に携わることを目指す医療機・関、学術研究機関及び企業等での活用を狙い、経産省より取り纏ため「ヒト(同種)細胞原料供給に係るガイダンス(初版)」を公表。また、ドナーに対する説明文書及び同意文書 (ic) の参考例文と解説を附属資料として策定

⑧ 遺伝子・細胞治療の実用化に向けた基盤整備

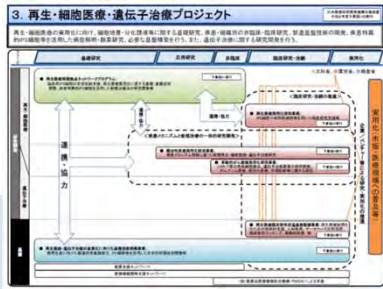
遺伝子治療用ウイルスベクターの共同利用施設が稼働
(次世代バイオ医薬品製造技術研究組合)

- 遺伝子治療用ウイルスベクターについて、複数のベクターの製造法を並列で開発可能な大量製造技術開発拠点として整備



再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトの今後のポイント

- AMEDにおける支援課題の進捗状況や医療（研究）のモダリティの変遷等を踏まえた、今後より一層の促進に当たってのポイントは、以下のとおり。今後これらを意識していくことが必要である。

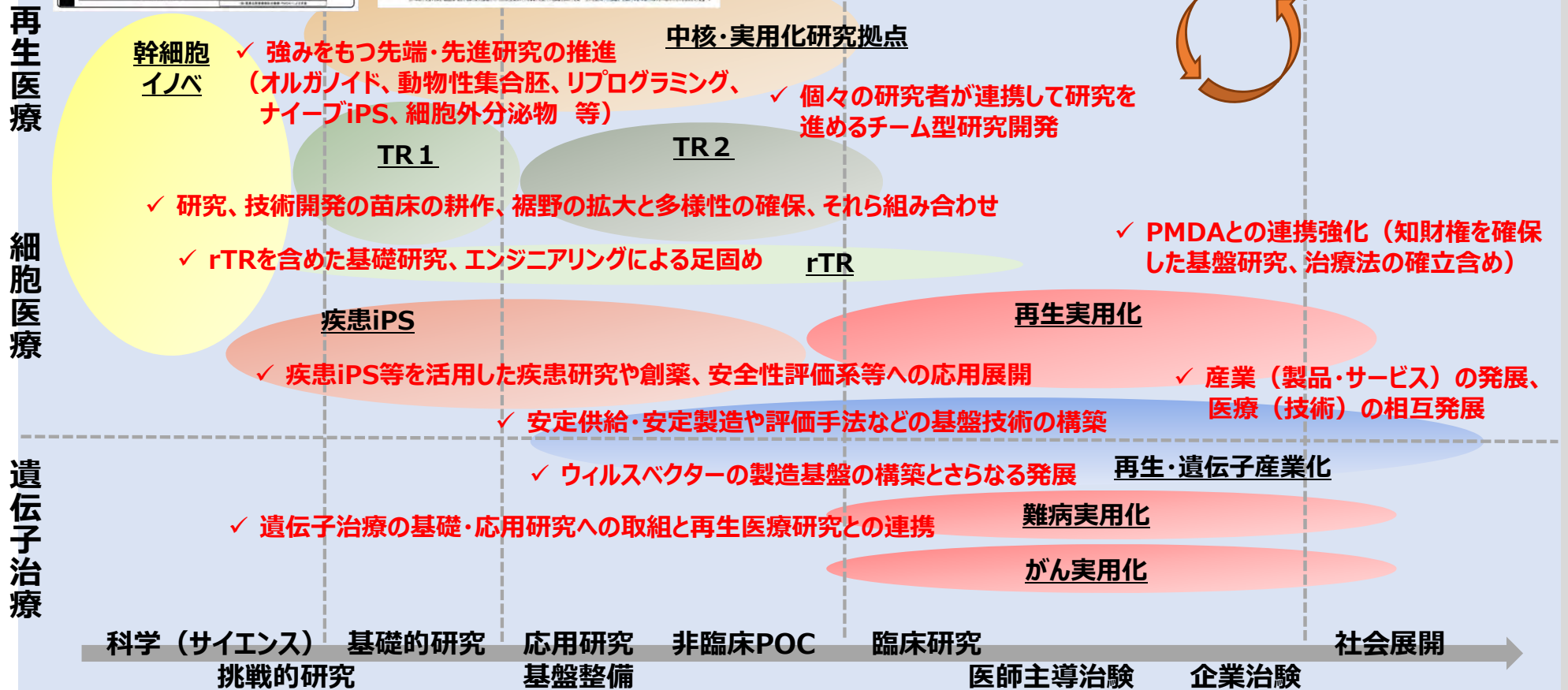


研究分野	研究課題	進捗状況	担当機関	備考
再生医療	幹細胞イノベ	研究開発	理研	
細胞医療	疾患iPS	研究開発	理研	
遺伝子治療	遺伝子治療	研究開発	理研	

※今後より一層の促進に当たってのポイント

- ✓ 個別課題のマネジメントに加え、全体システムのマネジメントへ

- ✓ 多様な連携の促進（オープン化）
 - ・異分野融合、他事業連携
 - ・若手研究者等の参画
 - ・患者・市民参画（PPI）
 - ・社会・地域との共創
 - ・国際連携・国際展開 等



研究・技術開発

- ✓ 我が国が強みをもつ先端・先進研究の推進
(オルガノイド、動物性集合胚、リプログラミング、ナイーブiPS、細胞外分泌物 等)
- ✓ 研究、技術開発の苗床の耕作、裾野の拡大と多様性の確保、それら組み合わせrTRを含めた基礎研究、エンジニアリングによる足固め
- ✓ 疾患iPS等を活用した疾患研究や創薬、安全性評価系等への応用展開
- ✓ 遺伝子治療の基礎・応用研究への取組と再生医療研究との連携
- ✓ 統合的、総合的な医療への横断的な連携が不可欠になってきていることから、個々の研究者が連携して研究を進めるチーム型研究開発

基盤整備

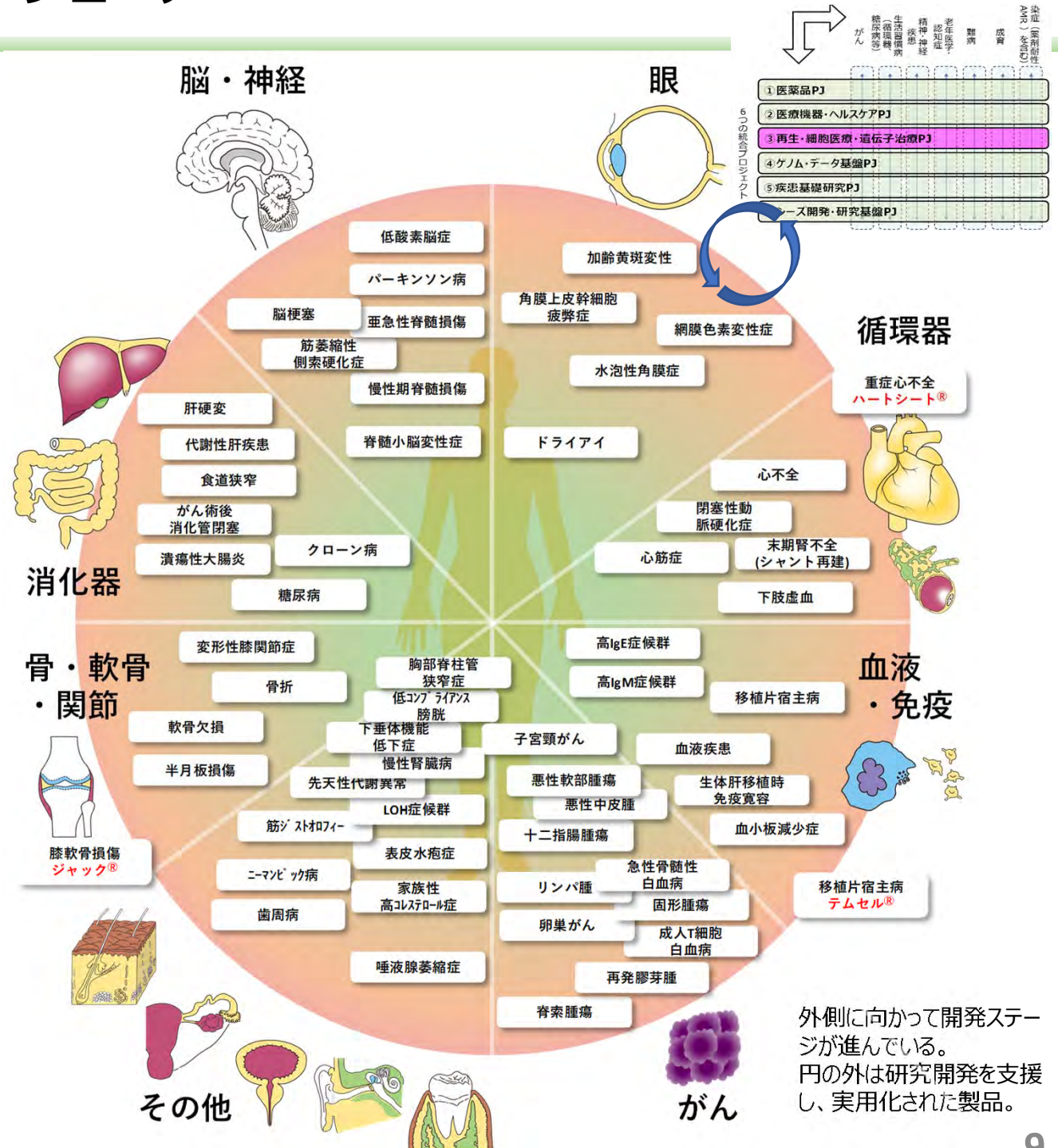
- ✓ 安定供給・安定製造・低コスト化や評価手法などの基盤技術の構築
- ✓ ウィルスベクターの製造基盤の構築とさらなる発展
- ✓ 産業（製品・サービス）の発展、医療（技術）の相互発展

連携促進・その他

- ✓ 多様な連携の促進（オープン化）
(異分野融合、他事業連携、若手研究者等の参画、病院との連携、患者・市民参画（PPI）、社会・地域との共創、国際連携・国際展開等)
- ✓ PMDAとの連携強化（知財権を確保した基盤研究、治療法の確立含め）
- ✓ 個別課題のマネジメントに加え、全体システムのマネジメントへ

対象疾患の現状と今後のアプローチ

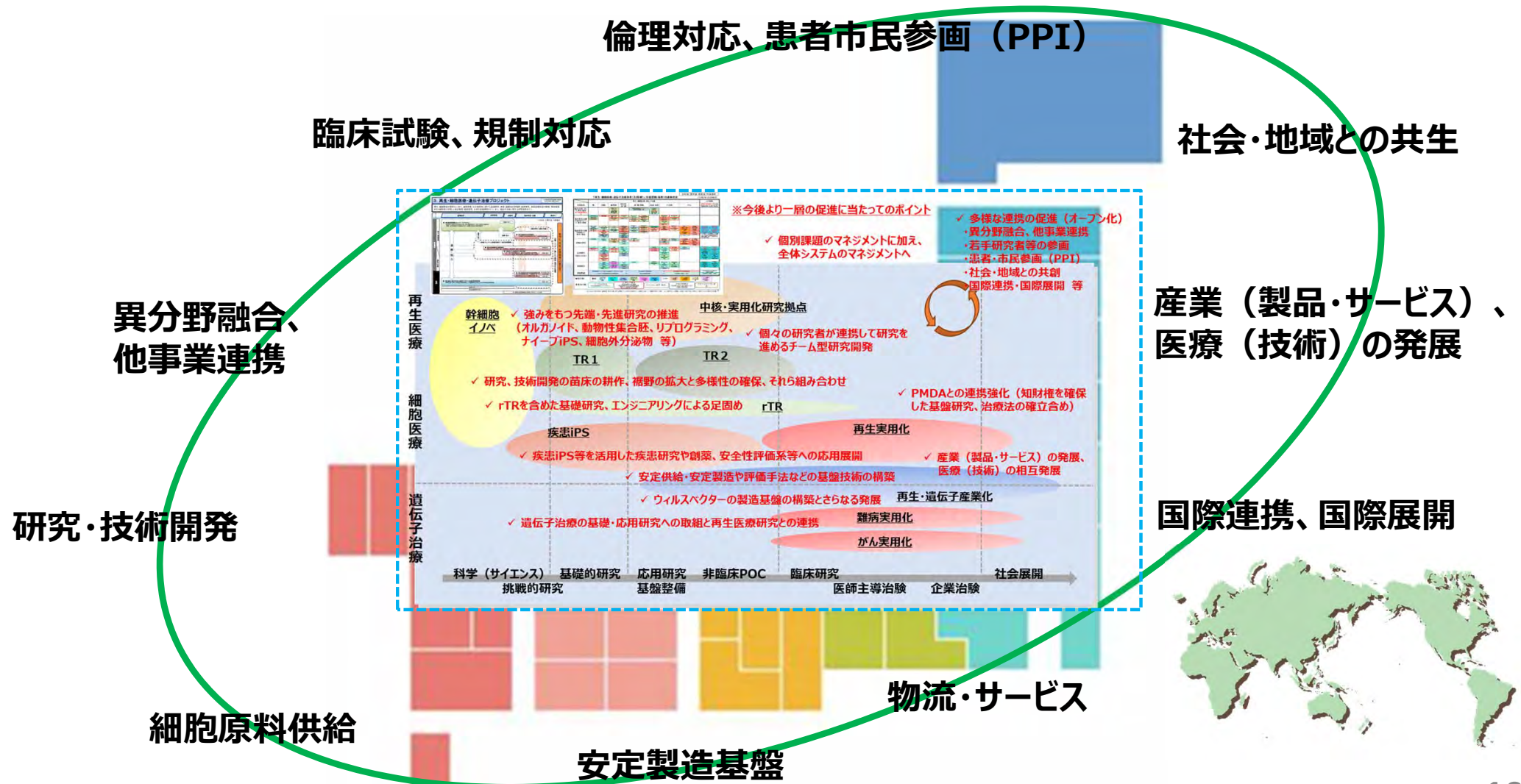
- ADL調査やAMED第2期の推進体制等を踏まえ、以下のこと等についてより一層意図をもって進めていく必要がある。
- ✓市場規模だけでなく、疾病負担やQOL、予防や予後、難病・希少疾患への対応など、**多様な側面から評価**
- ✓真に**再生医療や遺伝子治療でない**と治療できない疾患領域。アンメットメディカルニーズが高く、iPS細胞等幹細胞を用いる**技術的優位性が高い疾患領域**
- ✓**各疾患領域と柔軟かつ綿密に連携**（コーディネーター（DC）や各疾患事業等）
- 再生医療については、固形がんや感染症なども対象に入ってくるであろうし、遺伝子治療も再生医療との連携により、**今後、多因子疾患や生活習慣病などのより複雑な疾患への道も拓けてくる。**



外側に向かって開発ステージが進んでいる。
円の外は研究開発を支援し、実用化された製品。

今後10年を見据えたAMEDにおける研究開発システム（再生・細胞医療・遺伝子治療）

- 再生・細胞医療・遺伝子治療が将来に中心的な役割を担い得ることを見据え、**多様なシーズを世界に先駆けて、連続、発展的に実用化、産業化し、我が国らしく社会に展開できるよう、AMEDがハブとなって各ステークホルダーとの連携を積極的に進めながら、全体パッケージとしてより充実したものにしていくことが重要である。**

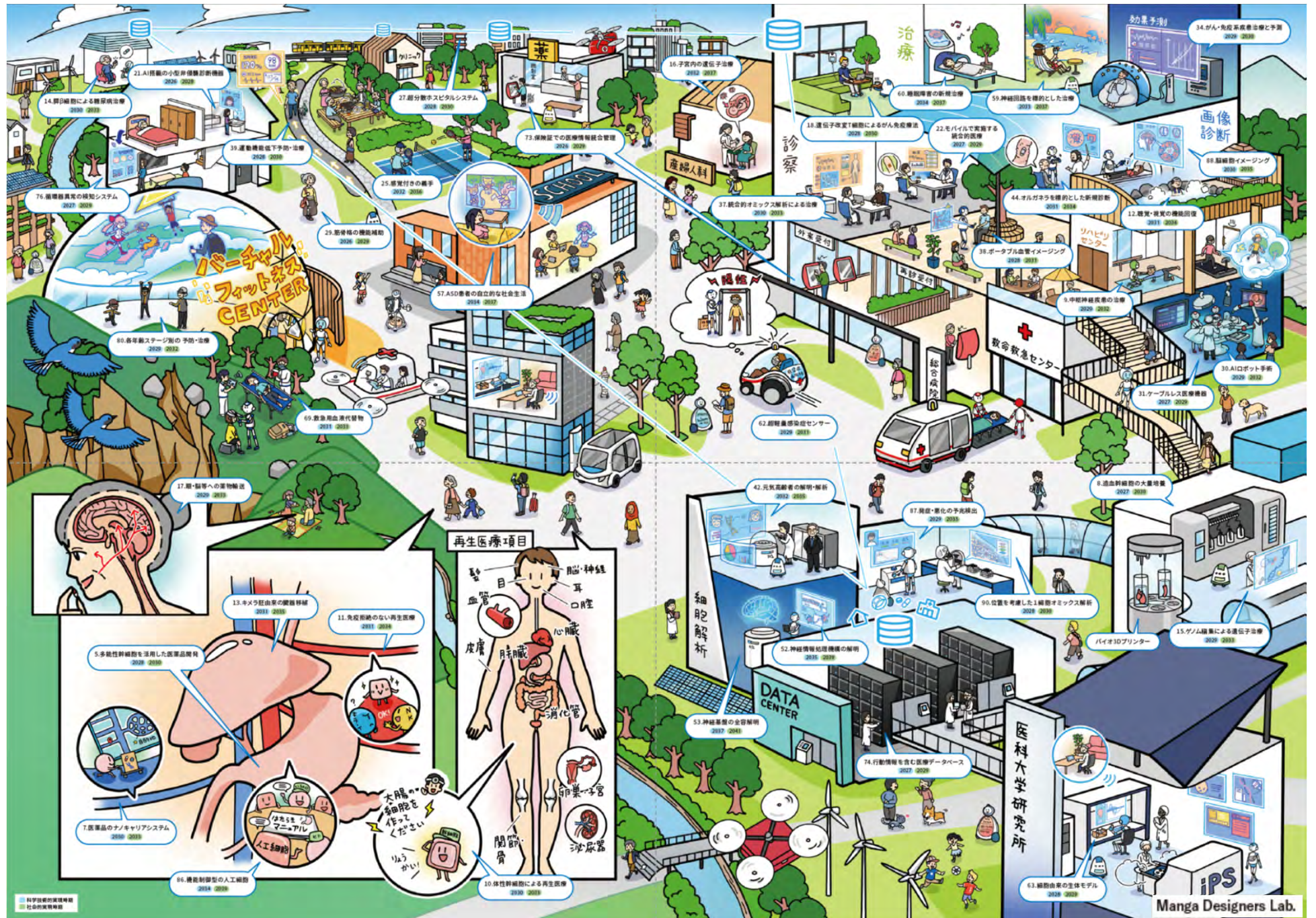


2040年の社会のイメージ (健康・医療編)

令和2年度版科学技術白書を参考とし、科学技術・学術政策研究所（NISTEP）第11回科学技術予測調査を元に、AMEDにて広報・イベント用素材として作成

暮らし

身体



病院

研究所

最後に（医の希望）

世界的な人口増加と資源不足、地球温暖化、偏狭なナショナリズム、宗教間の争い、経済至上主義の結果、地域格差、経済格差、医療格差が拡大、将来に希望の見えづらい時代。

「生命の平等」を基本に据える医学・医療は、疾病の予防、診断、治療および健康増進を通じて、利他の精神により、人々に希望を与えることができるのではないか。

「生老病死」に寄り添う不変の精神

常に治癒を提供することはできないが、不治の病を持つ患者に対しても話に耳を傾け慰める、つらさや悲しみに共感する、支える、手を握ること

革新技术の医への活用

医療を支える、新しい診断・治療法の研究開発および臨床導入、ロボット、AIやナノテクなど最新テクノロジーの医療応用

持続性のあるシステムの構築

超高齢化・人口減少社会における医療・介護システムの持続可能性

關 連 資 料

AMEDプロジェクトの推進方針

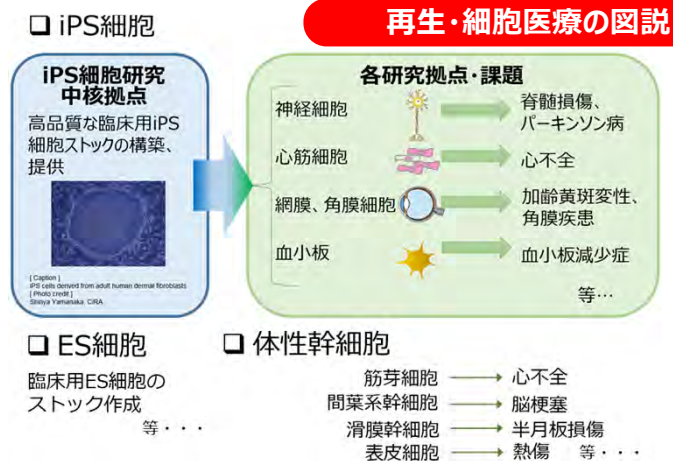
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトの推進方針

プロジェクトの概要

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・臨床研究や製造基盤技術の開発、疾患特異的iPS細胞等を活用した難病等の病態解明・創薬研究及び必要な基盤構築を行う。また、遺伝子治療について、遺伝子導入技術や遺伝子編集技術に関する研究開発を行う。さらに、これらの分野融合的な研究開発を推進する。特に、以下の具体例に示すテーマの研究開発に重点的に取り組む。

具体的な研究開発内容

- 再生医療技術の研究段階から臨床実装への一層の推進 →
- 幹細胞の特性に応じた細胞株の樹立、培養、分化誘導等に関する基礎的な技術
- 疾患特異的iPS細胞に資する研究開発、灌流培養を用いた臓器チップの開発、及びこれらを応用した難病等の病態解明・創薬研究や薬剤代謝等の前臨床試験
- 再生・細胞医療や創薬研究等に用いる細胞原料を含む生体材料や研究資源の品質管理・供給基盤構築
- 細胞組織の三次元化等の臓器再生に関する技術
- 遺伝子治療に関する安全で高生産かつ安価な国産ホスト細胞樹立及び標準的なウイルスベクターの構築 →
- オフターゲットでの変異発現等の既存の技術課題への対応可能な遺伝子編集技術、及び免疫細胞機能の強化や幹細胞を経ない分化誘導等の、再生・細胞医療と遺伝子治療の融合研究を進めるための基礎的な技術
- 大量培養や精製、品質評価・管理手法等の製造関連技術 →



遺伝子治療製造技術開発の例

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。



* rTR = reverse Translational Research

3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトの推進方針



プログラムディレクターとしての推進方針

<第1期取り組みの結果>

- 再生医療では、臨床段階への移行数が47件、製造販売承認件数が5件、先駆け審査指定制度が9件であり、実用化に向けて着実に進展した。
- 再生医療技術の創薬への応用では、開発候補品の同定が6疾患（H28.5時点）となった。また、AMED再生事業で樹立し理研BRCへ寄託した疾患特異的iPS細胞約853症例、健常人由来iPS細胞約170症例と拡大した。

<世界および国内の研究動向>

- iPS・ESを活用した再生・細胞医療の研究開発が世界的に進展した。また、国内でも、成育医療研究センターがES細胞から作製した肝細胞を「尿素サイクル異常症」を新生児に移植する治験を世界で初めて実施した。
- 遺伝子治療の実用化が勃興期となり、国内においても初の遺伝子治療薬「コラテジェン」が承認された。
- 中国が著しく台頭し、Top Journalでも目立つ存在となった。
- 海外ではアカデミアと企業の連携が進んでいる。

<第2期の基本方針（PDとしての重点化課題）>

- 再生医療の本格的なプログラム発足から7年、AMED発足から5年を経て、基礎・応用研究が進み、多くの研究が臨床研究や治験へ移行
⇒ 第1期で構築してきた基盤を土台に、臨床実装へ向けて、研究開発をしっかりと推進
- 再生・細胞医療・遺伝子治療の研究現場における研究課題は多数存在
⇒ リバーストランスクリプターなども含め、基礎研究の推進、研究基盤の確保等に着実に取り組むことも重要
- 再生・細胞医療・遺伝子治療が、将来の『3つのLIFE』の可能性と選択肢を拡げ、社会に展開していく、新たなフェーズへ
⇒ 再生・細胞医療・遺伝子治療に留まらない分野融合、若手研究者の参画、国際連携等による研究加速・裾野拡大

<関係省庁への要望>

- 基礎・応用段階の文科省、実用化・規制対応の厚労省、産業発展支援の経産省が、戦略室、AMEDと連携・協力して進めてきた。臨床に向けた課題も多いが、将来の医療に不可欠で、国際的にも注力している。引き続き、政府一丸の後押しをお願いしたい。
- 知財権を確保した治療法の確立においては、PMDAによる審査段階においても柔軟に手法を改善する必要がある、PMDA審査プロセスでの協力を強化していただきたい。

AMEDのこれまでの取組

(AMED第1期：2015年度～2019年度)

再生医療実現プロジェクト（AMED第1期：2015年度～2019年度）

- AMED第1期において、基礎・応用研究が進み、多くの研究が臨床研究や治験へ移行。併せて、細胞供給、臨床研究や産業化の基盤や環境の整備も進められてきた。KPIについても達成でき、法人評価の期間実績評価ではA評価をいただいた。
- これら構築してきた基盤を土台に、臨床実装へ向けて、研究開発をしっかりと推進、発展させていくことが重要である。

前期 医療分野研究開発推進計画（抜粋）

iPS細胞等を用いた再生医療の迅速な実現に向けて、

- 基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援
- 再生医療関連事業のための基盤整備
- iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援をすすめ、新薬開発の効率性の向上

【2020年までの達成目標】

- ❖ iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用
（臨床研究又は治験の開始）
- ❖ 再生医療等製品の薬事承認数の増加
- ❖ 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35件
- ❖ 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化
- ❖ iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言

最近の主な成果

□ 再生医療

- 臨床段階への移行数 **47件** (H25~H30年度の累計)
- 製造販売承認件数 **5件** (現時点)
- 先駆け審査指定制度 **9件** (H31.2時点)

□ 創薬への応用

- 開発候補品の同定 **6疾患** (H28.5時点)
- AMED再生事業で樹立、理研BRCへ寄託した細胞
 - 疾患特異的iPS細胞 **約853症例** (R01.12時点)
 - 健常人由来iPS細胞 **約170症例** (R01.12時点)

最近の主な成果（2018～2019年度）

■ 再生医療 ● 臨床研究段階

研究課題名	代表研究者	疾患
同種血小板輸血製剤の上市に向けた開発	京都大学 江藤教授	血液疾患
難治性唾液腺萎縮症に対する高機能細胞治療薬E-MNCに関する臨床研究	長崎大学 朝比奈教授	難治性唾液腺萎縮症
自家腸上皮幹細胞移植による炎症性腸疾患の粘膜再生治療に関する研究	東京医科歯科大学 渡辺教授	潰瘍性大腸炎
革新的ハイブリッド細胞療法の創出を目指した研究	大阪大学 金田教授	卵巣癌
亜急性期脊髄損傷に対するiPS細胞由来神経前駆細胞を用いた再生医療	慶應大学 中村教授	亜急性期骨髄損傷
iPS細胞由来角膜上皮細胞シートのfirst-in-human臨床研究	大阪大学 西田教授	角膜上皮幹細胞疲弊症
自己脂肪組織幹細胞及び多血小板血漿を用いた歯周組織再生医療技術の妥当性及び提供方法の検討	順天堂大学 飛田准教授	歯周病
バイオ3Dプリンタを用いて造形した小口径Scaffold free細胞人工血管の臨床研究	佐賀大学 中山教授	人工血管
体細胞復帰変異によるモザイク健常皮膚由来の培養表皮シートを用いた表皮融解性魚鱗癬の治療法開発	名古屋大学 秋山教授	表皮融解性魚鱗癬
重症下肢虚血に対する脱分化脂肪細胞(DFAT)を用いた細胞治療の実用化	日本大学 松本教授	重症下肢虚血
同種iPS細胞由来軟骨移植による関節軟骨損傷の再生	京都大学 妻木教授	関節軟骨損傷
同種細胞シートを用いた変形性膝関節症に対する再生医療の実現	東海大学 佐藤教授	変形性膝関節症
変形性膝関節症に対する滑膜幹細胞の関節内注射	東京医科歯科大学 関矢教授	変形性膝関節症
高密度スキャフォールドフリー脂肪由来幹細胞構造体を用いた骨軟骨組織再生の実用化推進臨床研究	九州大学 中島教授	関節疾患
骨髄由来間葉系細胞による顎骨再生療法の評価と臨床展開	名古屋大学 岡部助教	顎骨欠損
iPS細胞由来網膜色素上皮（RPE）を用いた網膜変性疾患に対する臨床研究	神戸アイセンター病院 研究センター 高橋センター長	網膜色素変性

最近の主な成果（2018～2019年度）

■ 再生医療 ● 治験段階

研究題名	代表研究者	疾患
重症高アンモニア血症を生じる尿素サイクル異常症に対するヒト胚性幹(ES)細胞由来再生医療等製品に関する医師主導治験	国立成育医療研究センター 研究所 梅澤副所長	重症高アンモニア血症
パーキンソン病、脳血管障害に対するiPS細胞由来神経細胞移植による機能再生治療法の開発	京都大学 高橋教授	パーキンソン病
重症心筋症に対するヒトiPS細胞由来心筋細胞シート移植による治療法の開発	大阪大学 澤教授	心不全
同種臍帯由来間葉系細胞を用いた重症急性移植片対宿主病に対する医師主導治験を目指した研究	東京大学 長村准教授	GVHD
同種歯根膜由来間葉系幹細胞シートによる歯周組織の再建	東京医科歯科大学 岩田教授	歯周疾患
自家末梢血CD34陽性細胞移植による骨・血管再生療法に関する医師主導治験	神戸大学 黒田教授	難治性骨折
医師主導治験による肝硬変に対する自己皮下脂肪組織由来再生（幹）細胞を用いる治療開発	金沢大学 金子教授	肝硬変
長期保存型3次元再生皮下軟骨の医師主導治験の実施	東京大学 星教授	口唇口蓋裂
脳梗塞急性期患者を対象とした自家BMSC脳内投与による再生治療の第1相試験（RAINBOW研究）	北海道大学 寶金教授	脳梗塞
自家滑膜幹細胞の半月板損傷を対象とする医師主導治験	東京医科歯科大学 関矢教授	半月板損傷
培養角膜内皮細胞を用いた水疱性角膜症に対する革新的再生医療の社会還元	京都府立医科大学 木下教授	水疱性角膜症

最近の主な成果（2018～2019年度）

■ 創薬への応用

- ✓ Pendred症候群の難聴・めまいに対する、シロリムス少量療法の医師主導治験(慶應大学 岡野教授 小川教授 他)
- ✓ 筋萎縮性側索硬化症(ALS)に対する、ロピニロール塩酸塩の医師主導治験(慶應大学 岡野教授 中原教授 他)
- ✓ 筋萎縮性側索硬化症(ALS)に対する、ボスチニブの医師主導治験(京都大学iPS細胞研究所 井上教授 他)

ほか、2017年度から進行性骨化性線維異形成症（FOP）の進行を抑える薬剤医師主導治験が開始（京都大学 戸口田教授）

■ 安全性

- ✓ iPS細胞由来分化細胞・組織を用いた医薬品の毒性評価への応用
- ✓ 移植細胞の造腫瘍性評価に関する多施設共同研究体制の構築 等

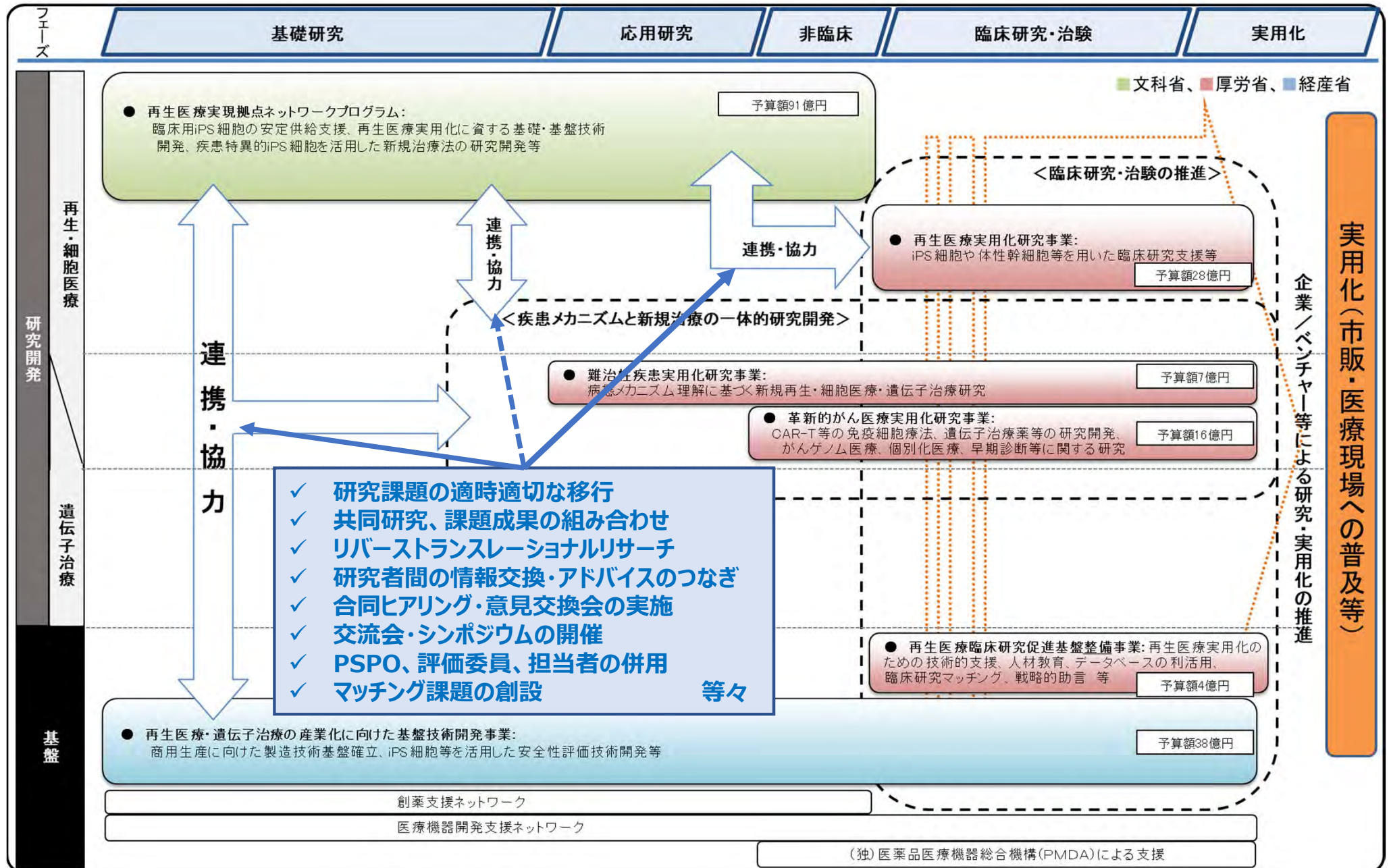
■ 製品化

- ✓ 生物由来原料基準をクリアし、再生医療向けとして臨床実験に使用可能なヒトiPS細胞用培養液「ReproMed™ iPSC Medium」 等

■ ガイダンス

- ✓ ヒト（同種）細胞原料供給に係るガイダンス（初版）（METI）

AMEDにおける事業間をつなぐ連携・協力の取組

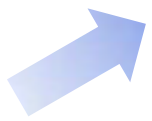


再生医療（研究開発） 関連参考データ

支援課題数・支援額

2015年度 → 2019年度

62課題
(160億円)



179課題
(148億円)

AMED調べ

論文数（国別）

1998年 ~ 2018年

ES細胞
第4位

iPS細胞
第2位

図6 ESC 論文数（国別）

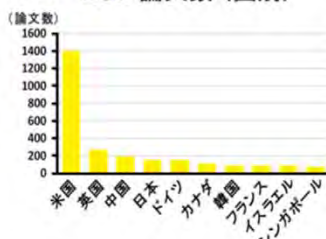
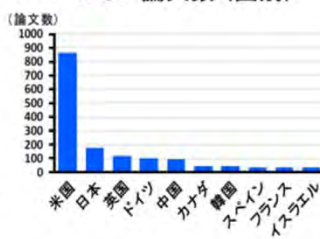


図7 iPSC 論文数（国別）



文科省 幹細胞・再生医学戦略作業部会 報告書
(令和元年9月)

特許（出願数）

iPS細胞関連

2017年
267件

2018年
国籍別第2位

図11 iPS細胞関連特許出願数（分野別・年別推移）

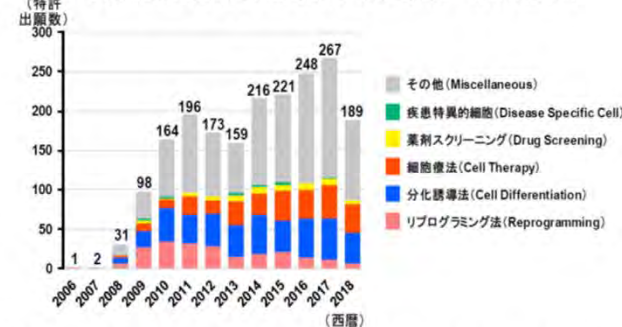
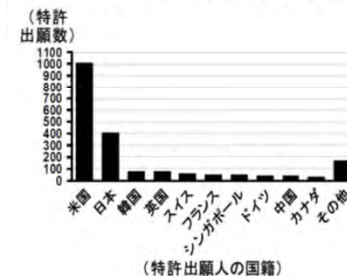


図12 iPS細胞関連特許出願総数（出願人国籍別）



文科省 幹細胞・再生医学戦略作業部会 報告書
(令和元年9月)

FIRM加入数

2011年 → 2020年

14社



258社



FIRM調べ

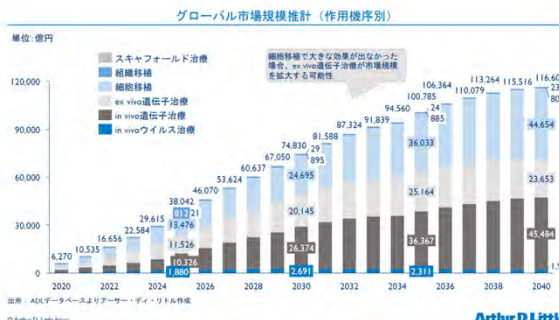
市場規模（推計）

2020年 → 2040年

約4千億円



約7兆円



【AMED調査研究】
2019年度再生医療・遺伝子治療の市場調査

研究開発の現状と今後の方向性

「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2年9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・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			重症心不全 ハートシート® 【H27年9月 条件及び期 限付き承認】 ~H29		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						
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 水疱性角膜炎	低酸素脳症	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	半月板損傷 軟骨欠損 難治性骨折 ~H28		難治性四肢潰瘍~H29 中耳炎~H30 肺炎漏~H29 表皮水疱症 ~H30 菌周病~H28	腹圧性尿失禁 ~H30 口唇口蓋裂 ~H28	成人T細胞白 血病 脊索腫他 再発嚙芽腫			
臨床研究/治験 を開始した研究・開発	角膜上皮幹細胞 融解症 網膜色素変性 症 網膜色素変性 症	ハーキンソン病 亜急性期脊髄 損傷 脳梗塞 筋萎縮性側索 硬化症 脳梗塞 ~H28 脊髄損傷 ~H28	心不全 心不全 虚血性心筋症 急性心筋梗塞 ~H28 末期腎不全 (シャント再 建)	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	軟骨損傷・欠 損 膝軟骨欠損 ~H27 膝軟骨損傷 ~H27 変形性膝関節 症	膝関節軟骨損 傷 関節軟骨欠損 ~H28 低フォスファテ ゼ 変形性膝関節 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	菌周病 家族性高コル ステロール血症 ~H28 先天性代謝異常 ~H30 唾液腺萎縮症	卵巣がん 悪性リンパ腫 急性骨髄性白 血病他 がん	固形腫瘍 リンパ腫他 NHL 筋萎縮性側索 硬化症(ロビ ニロール塩酸 塩) 筋萎縮性側索 硬化症(ボス フェニス)	進行性骨化性 線維異形成症 (シロリムス) ベントリド症 候群(シロリム ス)-R01	※ iPS創薬における研究課題は、①から橋渡 されて、厚労省の「難治性疾患実用化研究事 業」又は「臨床研究・治験推進研究事業」にて 医師主導治験が支援。 ※ 令和2年7月末 時点の進捗で配置。
非臨床研究	水疱性角膜炎	慢性期不全 脊髄損傷	閉塞性動脈硬 化症 下肢虚血	肝疾患 代謝性肝疾 患・肝硬変 糖尿病	変形性膝関節 症 骨折		家族性高コル ステロール血症 熱傷創 ニーマンピック病	家族性高コル ステロール血症	十二指腸腫瘍 卵巣がん 難治がん 悪性軟部腫瘍 悪性中皮腫	成人T細胞白 血病/リンパ腫 固形がん リンパ腫 T-NHL 固形腫瘍 卵巣腫瘍		
応用研究 非臨床POC取得まで	ドライアイ 網膜色素変性 症 ~R01	脳梗塞 慢性期完全 脊髄損傷 脊髄小脳変性 症 脳梗塞 遺伝性難聴 筋萎縮性側索 硬化症 筋萎縮性側索 硬化症	心筋症 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 クローン病 肝線維症 肝硬変			血液疾患 高IgE症候群 高IgM症候群	筋シストロー LOH症候群 下垂体機能 低下症 慢性腎臓病 低コンプライアンス 膀胱 腰部脊柱管狭 窄症	表皮水疱症 先天性代謝異常 OTC欠損症等	子宮頸がん	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 を起こす心筋 症 早老症 遺伝性腎疾患 ダウン症	血液・免疫疾 患 呼吸器疾患 軟骨無形成 症~H28 心筋症 内分泌・代謝 疾患 がん/心臓性 脳症 拡張型心筋症
基礎研究		脳梗塞 自閉スペクトラム 症 脳疾患 脳梗塞 ~H30	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 肝線維化 1型糖尿病	軟骨組織		血液疾患 H30 移植時免疫制 御 血小板減少症 造血幹細胞輸 血	難治性呼吸器 疾患 韧带損傷 腎不全 ~H30 皮膚潰瘍	妊娠高血圧症 候群 筋シストロー 新生児肺障害	肺がん	臓器線維症 成育期疾患 ミトコンドリア 先天性代謝異 常	肝線維化 ~H30 運動神経疾患 無虹彩症 心疾患
基盤整備	国内医療機関からのヒト(同種)体性幹細胞原料の安定供給モデル事業			再生医療産業化促進基盤整備			再生医療臨床研究促進基盤整備事業			再生医療技術を用いた創薬支援 基盤技術の開発		
	QbDに基づく再生医療等製品製造の基盤開発事業			遺伝子治療製造技術開発			再生医療用iPS細胞ストック拠点			疾患特異的iPS細胞バンク事業		

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 | タイレグリブリンゲ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

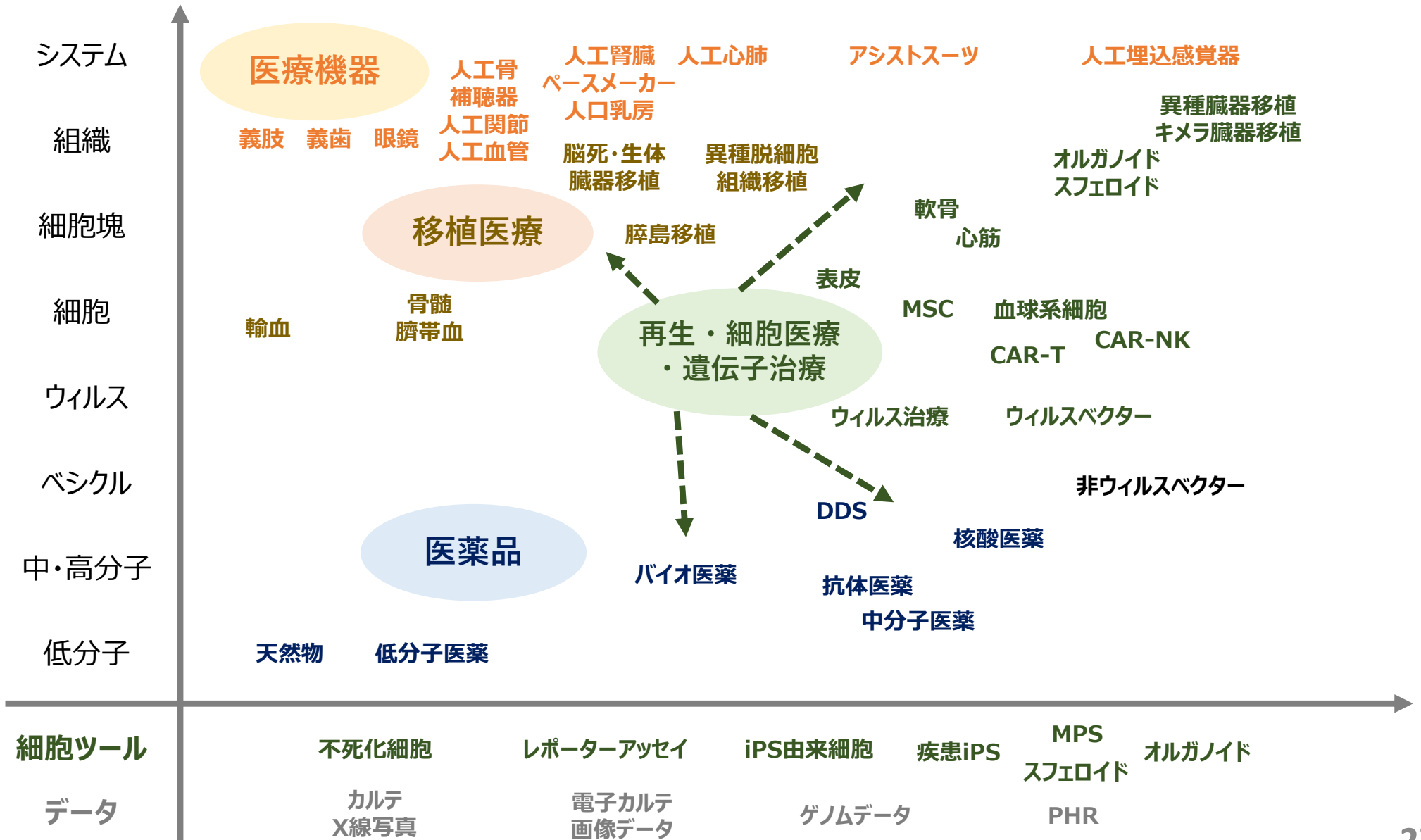
事業別分類:

① 文部科学省 再生医療実現拠点ネットワークプログラム | ② 厚生労働省 再生医療実用化研究事業 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 | ①から②に連携・橋渡し | 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

医療（研究開発）のモダリティの変遷

- 再生・細胞医療・遺伝子治療は、医薬品、医療機器、移植医療など、各領域の間に位置しており、各領域とも競争、連携しながら、今後より重要な役割を担い得るものである。

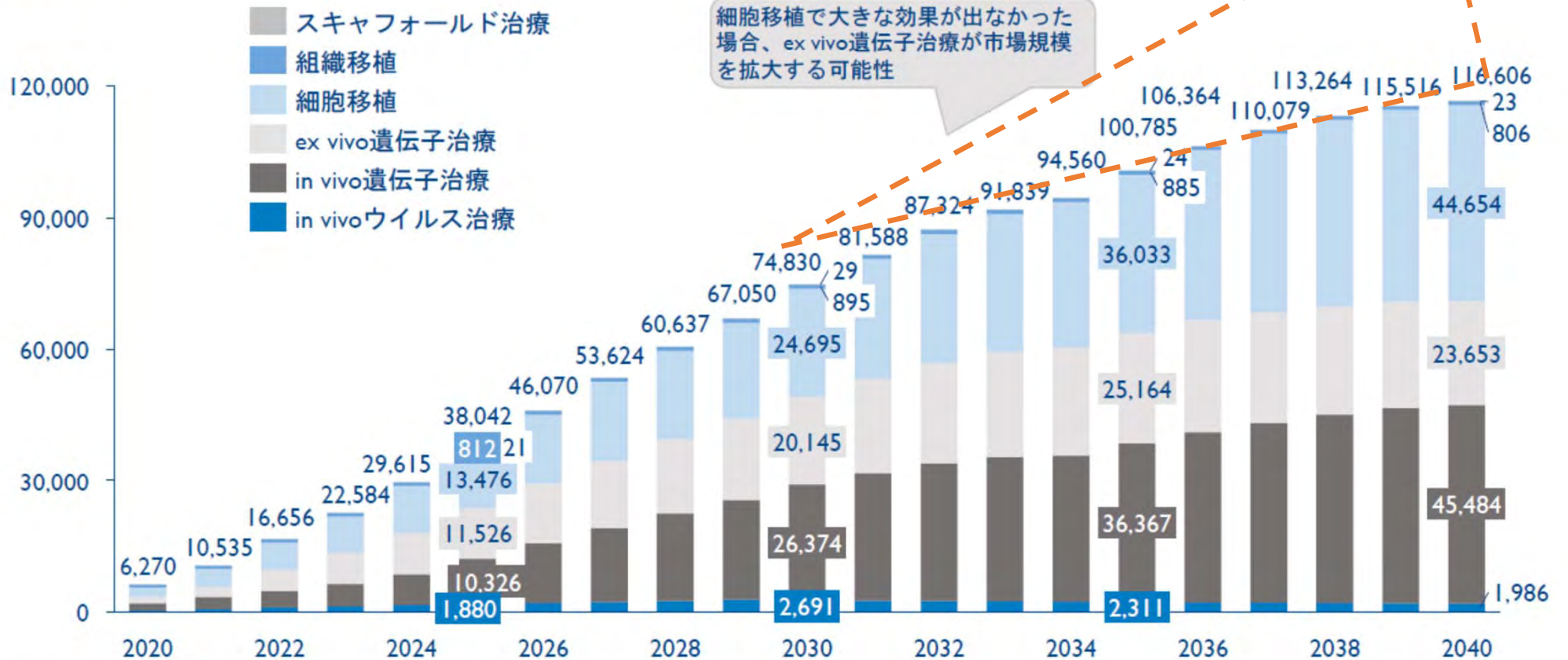


4-3. 世界市場規模予測
作用機序別市場規模推計

細胞移植やIn vivo、Ex vivo遺伝子治療が市場拡大を大きく牽引。組織移植やスキャフォールド治療、in vivoウイルス治療の拡大余地は限定的な見込み。

グローバル市場規模推計（作用機序別）

単位：億円



出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

7-2. 再生医療・遺伝子治療の貢献価値
再生医療・遺伝子治療の社会的価値

2040年の社会負担が大きく、再生医療・遺伝子治療によるインパクトの大きな疾患領域はがん、心疾患、神経疾患、脳血管疾患、糖尿病となる。

	2040年の社会負担の大きさ		再生医療・遺伝子治療による貢献価値の大きさ		
	医療費概算*	疾病負担 (DALYs**) 男性/女性	死亡回避	社会負担の軽減	医療費の削減
がん	6.3兆円	11位/16位***	✓✓ 難治性のがんの完治	✓ 社会復帰の早期化	✓ 再発防止による 生涯医療費削減可能性
損傷 (骨折)	5.3兆円	7位/6位 (転倒)	— (貢献余地は限定的)	— (貢献余地は限定的)	— (根本治療の開発はない)
心疾患 (含・虚血性心疾患)	3.8兆円	2位/4位	✓ 重症患者の延命可能性	✓ QOL向上による社会負担軽減	— (内科的治療が主流であり 削減余地は不明)
神経疾患	2.2兆円	1位/1位 (アルツハイマー病)	— (致死性の疾患ではない)	✓✓ 介護負担の大幅削減	— (既存有効治療がない)
内分泌・代謝	2.1兆円	10位 (肝硬変)	— (致死性の疾患ではない)	✓ QOL向上による社会負担軽減	— (内科治療や臓器移植が主流 で削減余地は不明)
糸球体・ 腎疾患	1.9兆円	20位/14位 (慢性腎臓病)	— (致死性の疾患ではない)	— (貢献余地は限定的)	✓ 透析費用の削減の可能性
脳血管疾患	1.5兆円	5位/3位 (脳卒中)	— (致死性の疾患ではない)	✓✓ 介護負担の大幅削減	✓ 入院期間短縮等による 生涯削減可能性
糖尿病	1.1兆円	8位/7位	— (致死性の疾患ではない)	✓ QOL向上による社会負担軽減	✓ 透析費用が削減できる可能性
高血圧性疾患	1.1兆円	— (20位以降)	— (致死性の疾患ではない)	— (貢献余地は限定的)	— (根本治療の開発は限定的)
皮膚疾患	0.9兆円	— (20位以降)	— (致死性の疾患ではない)	✓ QOL向上による社会負担軽減	— (内科的治療が主流であり 貢献余地は限定的)

✓✓: 直接的な死亡回避に貢献
✓: 延命等で間接的に貢献
✓✓: 効果により介護負担減少
✓: QOL向上による社会負担減少
✓: 医療費削減可能性あり

出所: 我が国の疾病負担に基づく医薬品、医療機器及び医療技術の開発等の資源配分の確立のための研究よりアーサー・ディ・リトル分析、医療費概算で上位10疾患につき分析を実施 *ADL変動シナリオ (患者当たり医療費を2013-2017年の変化率で2040年まで変化すると仮定し性別・年齢ごとに外挿) の試算結果を採用

DALYs: 障害調整質的年数 *がん種により順位が異なる (男性の最高は大腸がんで11位、女性の最高は膵がんで16位)



7-2. 再生医療・遺伝子治療の貢献価値
根本治療による公的支出削減額

心疾患や腎不全、血友病、脳血管疾患（脳梗塞）に関して根本治療が浸透した際、各疾患で数百億円から数千億円単位の公的支出が削減可能と試算。

疾患	公的支出算出の仮定		根本治療による公的支出の変化	
	根本治療の費用	公的支出削減額	一人当たり	日本全体
心疾患 (高血圧性を除く)	<ul style="list-style-type: none"> ■ 1,500万円/人 ■ 10年間の効果持続を仮定 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 年間6万4千人の入院患者のうち、20%が根本治療を適用可能と仮定 ■ そのうち50%の患者が外来へ切替が可能で状態まで回復すると仮定 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 年間1,110万円の削減 - 根本治療のコストは年平均150万円 - 削減額は年間約1,260万円^{*1} 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 年間710億円の削減
腎不全	<ul style="list-style-type: none"> ■ 1,500万円/人 ■ 10年間の効果持続を仮定 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 透析患者33万人のうち10%が根本治療を適用可能と仮定 ■ そのうち50%が透析が不要になると仮定 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 年間330万円の削減 - 根本治療のコストは年平均150万円 - 削減額は年間約480万円^{*2} 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 年間540億円の削減
血友病A	<ul style="list-style-type: none"> ■ 5,000万円/人 ■ 10年間の効果持続を仮定 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 6,455人の患者のうち中等症以上（82%）が根本治療を適用可能と仮定 ■ そのうち50%が根治し、抗体医薬品の継続投与が不要になると仮定 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 年間4,700万円の削減 - 根本治療のコストは年平均500万円 - 削減額は年間約5,200万円^{*3} 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 年間1,200億円の削減
脳梗塞	<ul style="list-style-type: none"> ■ 1,500万円/人 ■ 10年間の効果持続を仮定 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 脳卒中救急搬送される年間33万人のうち、60%が脳梗塞と仮定し、そのうち20%が根本治療適用可能と仮定 ■ 要介護5になる患者を治療により要介護2の状態に留められると仮定 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 年間50万円の削減 - 根本治療のコストは年平均150万円 - 削減額は年間約200万円^{*4} 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 年間200億円の削減

*1：入院、入院外の医療費はそれぞれ9,350億円、2,665億円、患者数はそれぞれ64千人、134.2千人

*2：透析患者の月あたりの医療費が約40万円であることより算出

*3：患者体重を60kg、ヘムライブラを1.5 mg/kgで週1回投与していると想定。現在第VIII因子投与されている患者も年間薬価は同程度と想定されるため、全患者にヘムライブラが投与されていると仮定して算出

*4：各要介護度の利用限度額より算出

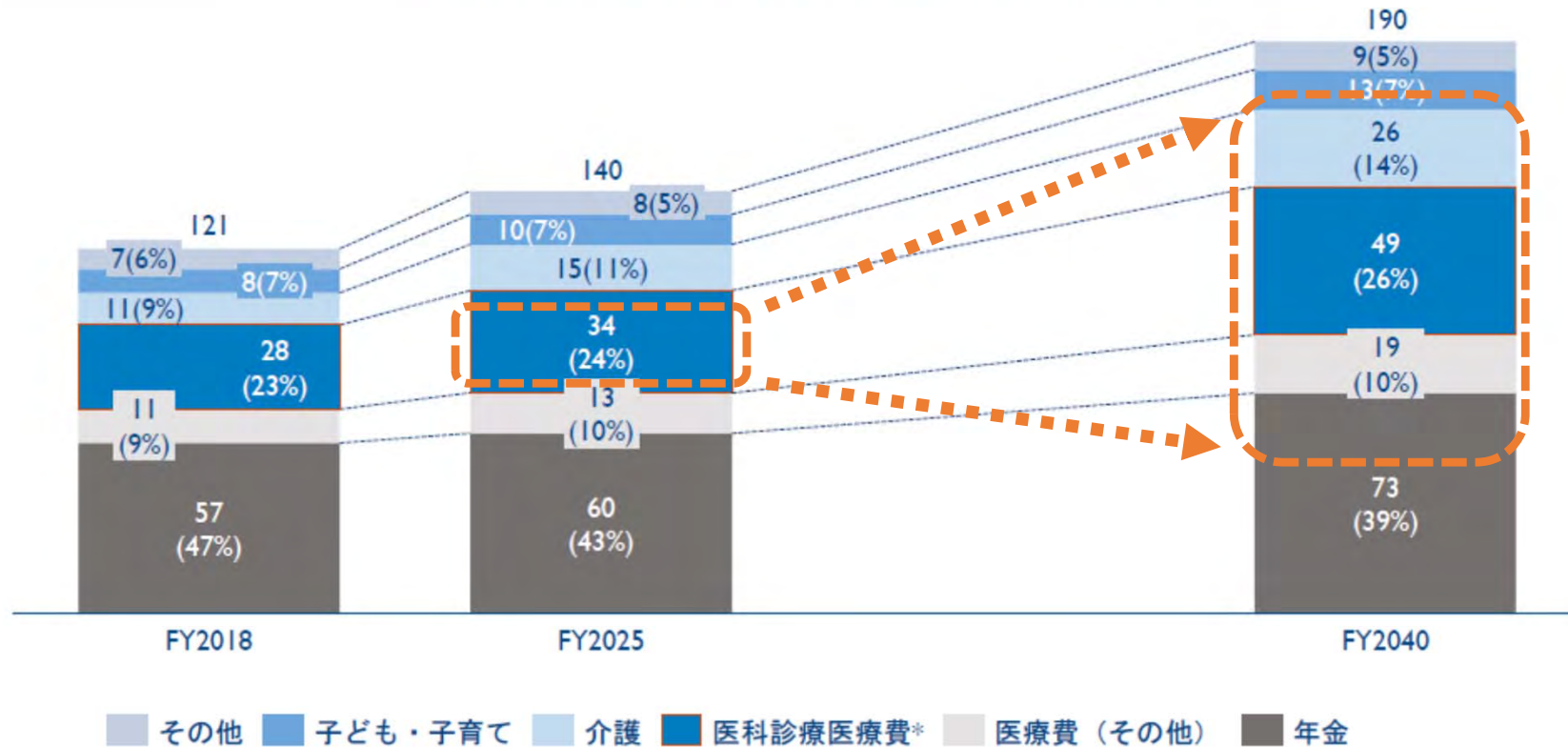
出所：平成29年度医療給付実態調査、平成29年度患者調査、平成29年度国民医療費の概況、国立がんセンターがん情報サービス、日本透析医学会HP、全腎協HP、中外製薬HP、出版健康保険組合HPよりアーサー・ディ・リトル作成

© Arthur D. Little Japan

7-1. 将来医療費・社会保障費の推計
社会保障給付費の見通し：政府シナリオ

政府シナリオでは2040年度には医科診療医療費が49兆円程度まで増大すると見込まれている。

政府シナリオによる社会保障給付費の見通し



注：「計画ベース」（地域医療構想及び第3期医療費適正化計画、介護は第7期介護保険事業計画を基礎とした場合）の見通しを記載。経済成長の前提はベースケース。

*：平成29年度において、医療費のなかで医科診療医療費が占める割合が71.6%であったため、その数字を基に試算。

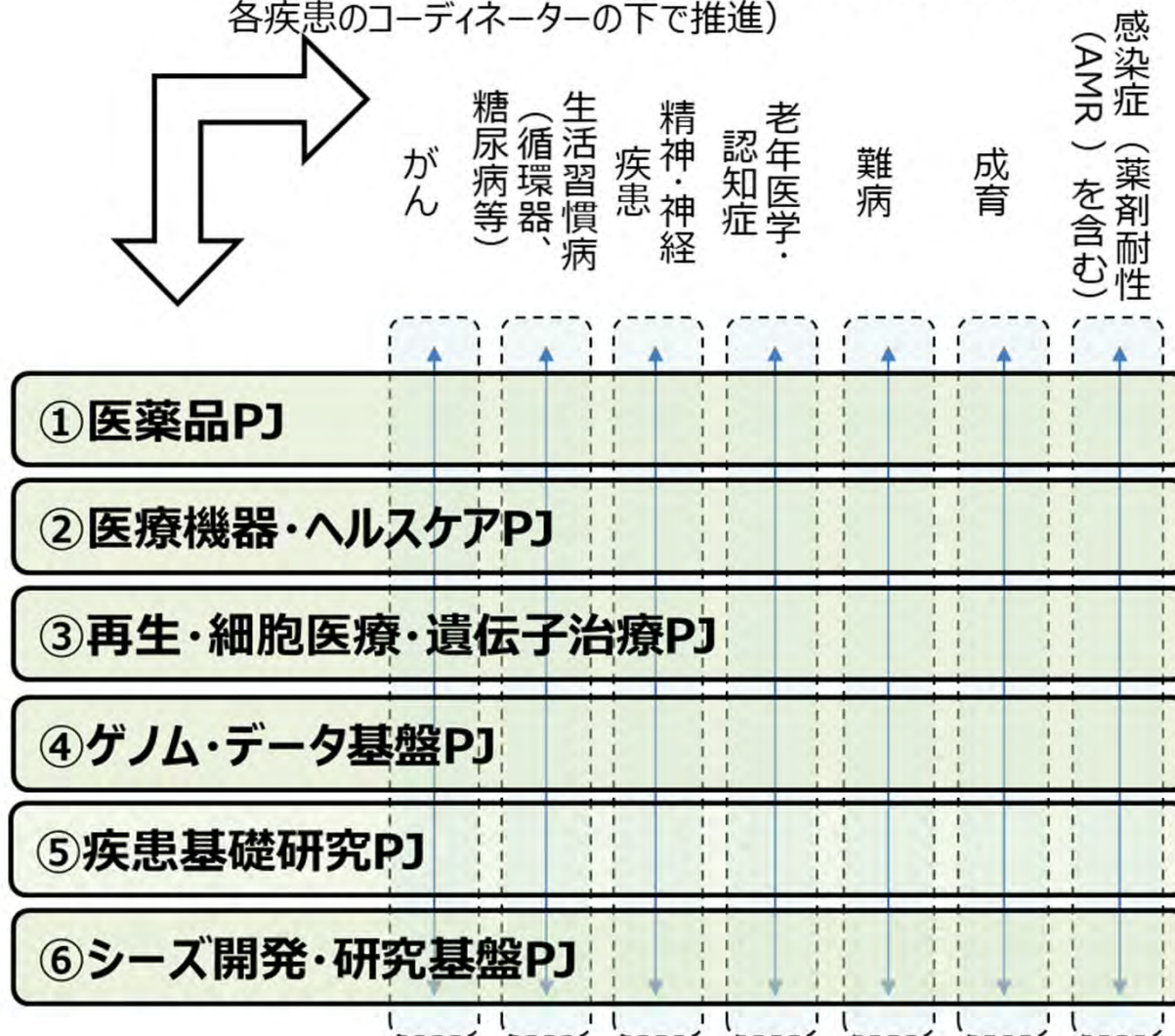
出所：内閣官房・内閣府・財務省・厚生労働省『2040年を見据えた社会保障の将来見通し』、平成29年度国民医療費の概況よりアーサー・ディ・リトル作成

第二期健康・医療戦略、中長期計画に定められた 6つの統合プロジェクトでの研究開発の推進

6プロジェクトの成果を最大化するための事業横断的な特定疾患に柔軟にマネジメント（プロジェクト横断的に対応できる体制、各疾患のコーディネーターの下で推進）

- モダリティ等を軸とした6つの「統合プロジェクト」を定め、プログラムディレクター（PD）の下で、関係府省の事業を連携させ、基礎から実用化まで一元的に推進。
- 疾患研究は統合プロジェクトを横断する形で、各疾患領域のコーディネーター（DC）による柔軟なマネジメントができるよう推進。
- 健康寿命延伸を意識し、「予防／診断／治療／予後・QOL」といった開発目的を明確にした技術アプローチを実施。

6つの統合プロジェクト



AMEDにおける今後のマネジメント

研究・技術開発の見える化

- 研究・技術開発の汎用性や展開性、体系化、革新・斬新的なものも含めたバラエティやバランスを俯瞰する
- 必要に応じた特定枠の設定、ポートフォリオ導入などのマネジメント
- 例えば、基礎研究やエンジニアリングの重点化、分野融合の促進、競合研究の比較 など

文科省(厚労省・経産省)作成資料
「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2年7月末時点)

対象疾患	眼	神経	循環器	消化器・肝・膵	骨・軟・関節	皮膚・免疫	血液・免疫	その他	がん	その他
臨床応用・実用化された研究・開発										
臨床研究/試験の進捗が完了した研究・開発										
臨床研究/試験を開始した研究・開発										
基礎研究										
基礎整備										

種別分類: 創薬、診断、治療、予防、健康増進、ヘルスケア、その他

事業別分類: ① 文部科学省、② 厚生労働省、③ 経済産業省、④ その他

見える化の有用性

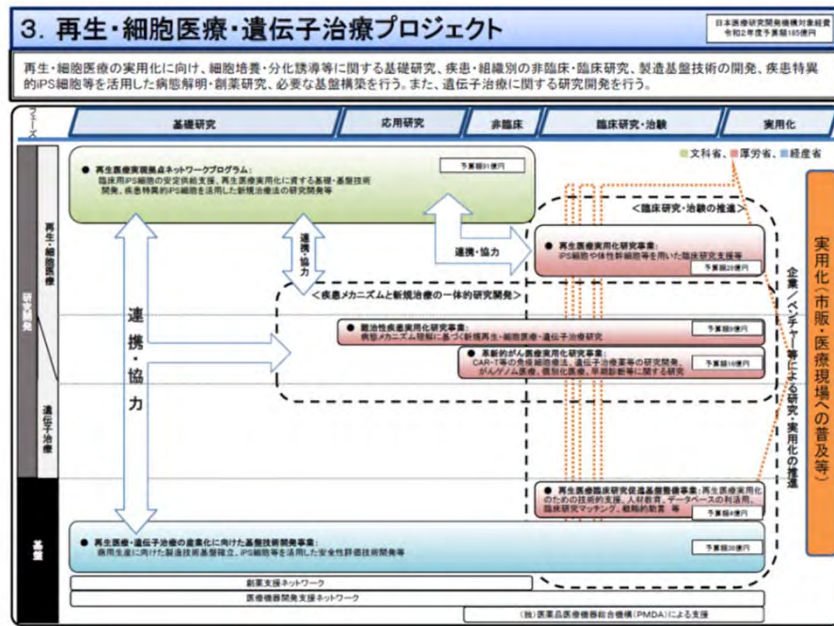
- ・研究者の立ち位置や方向性の確認
- ・政策・施策の反映とフォローアップ
- ・関係者のコミュニケーションツール、ビジョンの共有 など

対象疾患（希少・難病、未病・予後、QOL含む）の見える化

- 対象疾患の汎用性や展開性、体系化、市場規模、疾病負担や医療費などのインパクト評価が俯瞰できる見える化
- 必要に応じた特定枠の設定、ポートフォリオ導入などのマネジメント
- 例えば、インパクトの高い疾患研究の重点化、難病・希少疾患研究のリバランス、政策・施策に応じた設定、競合研究の比較 など

個別課題のマネジメントに加え、全体システムのマネジメントへ

持続制のあるシステムの構築



- AMEDの研究開発システムは、関係府省の協力の下、現在、基礎・応用、実用化・規制対応、産業発展支援と研究開発システムとしてはプログラムが揃ってきたところ。
- 医薬品と医療機器に続く、第3局となる再生医療等製品の承認はまだ9品目。臨床に向けた課題（有効性、安全性、安定性、コスト等）は多いが、医薬品や医療機器と異なり、細胞や生体組織そのものを扱うものであり、その良さや難しさもある。
- 再生医療と遺伝子治療の分野の一体的運用によるシナジー効果に期待。

- 疾患特異的iPS細胞・臓器チップ等を用いた病態解明・創薬研究への応用も重要な課題。
- 将来の医療に不可欠で、国際的にも注力しており、引き続き、政府一丸の後押しを期待。
- 知財権を確保した治療法の確立においては、PMDAによる審査段階においても柔軟に手法を改善する必要があり、審査プロセスでの協力を強化（情報共有や意見交換等）。
- これまでの成果を基盤として、再生・細胞医療・遺伝子治療が『3つのLIFE（生命、生活、人生）』において可能性と選択肢を広げ、オープンな形で社会に展開していくフェーズへ。
- 臨床研究含めた研究開発システムが構築されつつあるが、これが、10年後、20年後に社会や地域に展開、定着する基盤・社会システムにもなり得るものかも意識。

2040年の社会のイメージ（健康・医療編）

科学技術トピック

J/D	図中の簡易名称	科学技術トピック	科学技術的 実現時期	社会的 実現時期	J/D	図中の簡易名称	科学技術トピック	科学技術的 実現時期	社会的 実現時期
1	—	慢性疾患の病態のシステムの把握（遺伝子ネットワーク把握）に基づく薬物療法	2028	2032	25	感覚付きの義手	全ての皮膚感覚の脳へのフィードバック機能を備えた義手	2032	2036
2	—	細胞内標的に作用するペプチド・抗体医薬の新規技術	2027	2029	26	—	筋委縮性側索硬化症（ALS）患者等の重度な運動機能障害者の日常生活動作を支援するための、脳活動を直接反映させるニューロロハビリ機器	2032	2036
3	—	低分子化合物・ペプチド・抗体・核酸に次ぐ新規機能分子の医薬	2029	2032	27	超分散ホスピタルシステム	遠隔で、認知症などの治療や介護が可能になる超分散ホスピタルシステム（自宅、クリニック、拠点病院との地域ネットワーク）	2028	2030
4	—	タンパク質高次構造解析に基づき、タンパク質間相互作用（Protein-Protein Interaction: PPI）を阻害する化合物を設計する技術	2029	2031	28	—	がん末期での腸瘻や介護現場において利用可能な、人手が不要の排泄補助機器	2028	2030
5	多能性幹細胞を活用した医薬品開発	生体中での機能を再現可能な多能性幹細胞由来の人工臓器やオルガノイドを使った、薬効・安全性評価技術	2028	2030	29	筋骨格の機能補助	疾患や加齢により衰えた筋骨格系の簡便で安価な機能補助技術	2026	2029
6	—	目的とする組織・器官への送達と細胞内ドラッグデリバリーシステム（DDS）技術を実現させる核酸医薬品	2028	2030	30	AIロボット手術	次世代手術ロボットとAIによる、外科医の熟練によらない標準化された手技	2029	2032
7	医薬品のナノキャリアシステム	（核酸以外の）薬や遺伝子を標的細胞内部の特定部位に運ぶナノキャリアシステム	2030	2033	31	ケーブルレス医療機器	手術室やベッドサイドの全てのケーブルが消失可能となる、次世代半導体によるモニター機器のミニチュア化と無線化	2027	2029
8	造血幹細胞の大量培養	造血幹細胞移植のドナー不足を解決する造血系幹細胞の大量培養技術	2027	2030	32	—	ナノテクノロジーによる生体人工物界面制御の精密化に基づく、高機能インプラント機器やドラッグデリバリーシステム（DDS）技術を実用とする高度な生体適合性材料	2029	2032
9	中枢神経疾患の治療	細胞移植や遺伝子治療による、中枢神経回路網の機能不全【パーキンソン病、筋委縮性側索硬化症（ALS）、脊髄損傷等】に対する治療法	2029	2032	33	—	血液による、がんや認知症の早期診断・病態モニタリング	2027	2029
10	体性幹細胞による再生医療	生体内に内在する幹細胞、あるいは移植された幹細胞の機能を制御することによる再生医療技術	2030	2033	34	がん・免疫系疾患治療と予測	がん、自己免疫疾患、アレルギー疾患に対する免疫系を基盤とした治療およびその効果予測	2029	2030
11	免疫拒絶のない再生医療	免疫拒絶回避を完全にできる同種由来再生医療技術・製品	2031	2034	35	—	自律神経系・精神的ストレス・うつ病と生活習慣病の相互作用の解明による、悪循環をたちきる方法	2030	2034
12	聴覚・視覚の機能回復	細胞医療・遺伝子治療などによる、聴覚や視覚の機能を再生させる医療技術	2031	2034	36	—	胎生期から乳幼児期の環境因子に起因する生活習慣病の予防・治療薬	2032	2036
13	キメラ胚由来の臓器移植	動物の胚とヒト幹細胞由来細胞のキメラ胚（動物性集合胚）から作出されるヒト移植用臓器	2031	2035	37	統合的オミックス解析による治療	非感染性疾患に対する、統合的オミックス解析による病因・病態分類に基づく治療法	2030	2033
14	膵β細胞による糖尿病治療	膵β細胞を再生・増加させる技術に基づく、糖尿病を治癒させる薬剤	2030	2033	38	ポータブル血管イメージング	非侵襲性ポータブル血管イメージングによる定量的血管障害の診断	2028	2031
15	ゲノム編集による遺伝子治療	次世代ゲノム編集技術による、遺伝子修復治療や単一遺伝病の治療を広汎に実現する遺伝子治療法	2029	2033	39	運動機能低下予防・治療	老化に伴う運動機能低下の予防・治療法	2028	2030
16	子宮内の遺伝子治療	先天性遺伝子疾患を対象とした安全性の高い子宮内遺伝子治療法	2032	2037	40	—	疼痛、疲労の定量的診断法と新規治療法	2029	2031
17	眼・脳等への薬物輸送	眼、脳等（到達困難な組織）への薬剤輸送を可能とする技術	2029	2033	41	—	メタゲノム解析・制御による生体恒常性の維持	2030	2034
18	遺伝子改変T細胞によるがん免疫療法	固形がんを標的とする遺伝子改変T細胞を用いた、細胞性免疫を制御することによる免疫療法	2028	2030	42	元気高齢者の解明・解析	元気高齢者の遺伝子解析と環境要因の分析による、疾患抑制機構・老化機構の解明	2032	2035
19	—	食べるワクチン等、経口投与を可能とする次世代ワクチン技術	2029	2032	43	—	生殖細胞劣化予防による不妊回避	2032	2035
20	—	医薬品開発の成功確率を現在比で2倍にする、化合物生成・最適化（有効性・安全性・動態予測を含む）のための人工知能・シミュレーション技術	2028	2031	44	オルガネラを標的とした新規診断	ライブイメージングと生化学的解析等の融合による、オルガネラを標的とした非感染性疾患の新規診断法 ⁴	2031	2034
21	AI搭載の小型非侵襲診断機器	病変部位の迅速識別能力の向上と早期発見が可能となる、非侵襲診断機器（画像など）のコンパクト化とAI導入	2026	2028	45	—	発症頻度に性差のある疾患の病因解明	2032	2035
22	モバイルで実施する統合的医療	ノートPCレベルで、体内の脳動脈瘤など疾患シミュレーション、インプラント機器による治療効果、有効性の予測、術前シミュレーションが可能になるような統合的医療ソフトウェア	2027	2029	46	—	退行性骨粗しょう症の骨折リスクのメカニズム解明による集学的予防法	2030	2032
23	—	患者への負担や医療費を軽減できる簡便なウェアラブル透析装置	2028	2030	47	—	代謝臓器連関を標的とした、生活習慣病、神経変性疾患の予防・治療法	2031	2035
					48	—	生体のエネルギー収支を非侵襲的に定量化する技術に基づく、生活習慣病の治療法	2030	2033
					49	—	薬理遺伝学的検査による薬剤投与の最適化	2029	2030
					50	—	非感染性疾患（NCD）に対する、運動の効用の科学的	2028	2032

J/D	図中の簡易名称	科学技術トピック	科学技術的 実現時期	社会的 実現時期	J/D	図中の簡易名称	科学技術トピック	科学技術的 実現時期	社会的 実現時期
53	神経基盤の全容 解明	記憶・学習・認知・情動等の脳機能および意識、社会性、創造性等の高次精神機能における神経基盤の全容解明	2037	2041	76	循環器異常の検 知システム	生活環境のセンシングやライフログセンシングによる、脳血管障害・心筋梗塞・致死的不整脈などの血管イベントの検知に基づいた救急医療情報システム	2027	2029
54	—	統合失調症の脳病態解明に基づく、社会復帰を可能にする新規治療薬	2035	2039	77	—	医療機器・システムの誤操作や患者状態に合わない設定などに起因する医療過誤の解消に向けた、知的アラート・意思決定支援の人工知能を搭載した医療情報システム	2026	2029
55	—	うつ病・双極性障害の細胞レベルの脳病態分類に基づく、即効性で再発のない新規治療法	2036	2039	78	—	分子薬理知識や生体分子相互作用および患者ゲノムに関する情報に基づく、医薬品の個人別副作用リスクの知的推論アルゴリズムを実装した情報システム	2029	2031
56	—	依存症（薬物、アルコール等）に共通な脳病態の解明に基づく、予防法・再発防止法	2034	2037	79	—	ゲノムに加え、オミックスデータ（エピゲノム・プロテオーム・メタボローム）を数時間以内に1万円以下で体液サンプルからモニタリングする検査技術	2028	2031
57	ASD患者の自立 的な社会生活	自閉スペクトラム症の脳病態に基づく、自律的な社会生活を可能とする治療・介入法	2034	2037	80	各年齢ステージ 別の予防・治療	Developmental Origins of Health and Disease (DOHaD) の解明などに基づく、ライフコース・ヘルスケアの視点からの各年齢ステージでの適切な予防・治療	2029	2032
58	—	アルツハイマー病等の神経変性疾患の発症前バイオマーカーに基づく、発症予防および治療に有効な疾患修飾療法	2032	2035	81	—	ライフコース・ヘルスケアのための大規模コホート	2027	2029
59	神経回路を標的 とした治療	精神・神経疾患に対する深部脳刺激療法、ニューロフィードバック、ウイルスベクター等を用いた神経回路を標的とした治療法	2033	2037	82	—	生命科学・社会学を融合した包括的な要因分析に基づく、健康格差を是正する方法	2028	2031
60	睡眠障害の新規 治療	神経疾患患者にみられる精神症状や睡眠障害の発症機構の解明による、新規治療法	2034	2037	83	—	気候変動に起因する感染症、熱中症など健康課題に資する情報システム	2028	2030
61	—	情動等の脳機能解明に基づく、いじめや不登校への対処法	2034	2038	84	—	新生児期からのゲノム情報の活用のためのELSJ（倫理的・法的・社会的課題）の解決策	2028	2032
62	超軽量感染症セ ンサー	特定の感染症への感染の有無や感染者の他者への感染性、未感染者の感受性を迅速に検知・判定する、汚染区域や航空機内等でも使用可能な超軽量センサー	2029	2031	85	—	多種多体分子システムとしての生体機能を記述する定量的関係性の構築	2031	2035
63	細胞由来の生体 モデル	iPS細胞等の幹細胞から樹立された細胞等を活用した、動物モデルに代替する、感染症治療薬を開発するための効果・副作用試験法	2028	2029	86	機能制御型の人 工細胞	多数で多種類の生体分子が協働して生命システムを作り上げる作動原理を理解した上での人工細胞	2034	2039
64	—	電子カルテシステム、検査・処方等医療データや様々なウェブデータを活用した網羅的感染症サーベイランスシステムによる感染症流行予測・警報発出システム	2027	2029	87	発症・悪化の予 兆検出	予防医療・先制医療に資する、動的ネットワークバイオマーカーを用いた疾病発症・病態悪化の予兆検出技術 ※動的ネットワークバイオマーカー：個々の単一のバイオマーカーとしての性能は高くなくても、それらのネットワークとしては極めて高機能な、複雑系数理モデル学に基づく新しい概念のバイオマーカー	2029	2033
65	—	病原体データベースを用いた未知の病原体の分離・同定技術 ※病原体データベース：ヒトおよびヒト以外の動物等の病原体の網羅的な遺伝子・タンパク情報データベース	2028	2030	88	脳細胞イメージ ング	脳機能を細胞レベルで非侵襲的に測定できるイメージング技術	2030	2035
66	—	新興感染症が及ぼすヒトへの影響（世界的流行を引き起こす可能性、病原性）について、環境・病原体・宿主等因子を総合的に勘案し定量的に予測・評価するシステム	2030	2031	89	—	循環体液中の生体高分子や低分子の低侵襲リアルタイムモニタリングシステム	2030	2033
67	—	薬剤耐性感染症の発生・まん延を制御するシステム [科学（医薬品等）・社会技術（感染対策の新規アプローチ等）]	2029	2032	90	位置を考慮した 1細胞オミックス 解析	細胞の位置情報を保持した上での1細胞オミックス解析技術	2028	2030
68	—	植物により病原体に対して迅速かつ安価に中和抗体を大量生産する技術	2029	2033	91	—	ヒトが接することのできる全生物のゲノム情報の取得（植物・単細胞真核生物・原核生物も含む）・データベース化	2029	2030
69	救急用血液代替 物	緊急時（多臓器不全）及び大量出血時に対応可能な血液代替物	2031	2033	92	—	タンパク質の一次配列情報およびそのタンパク質に作用する物質の立体構造情報から、活性状態のタンパク質の動的立体構造を推定する技術	2029	2033
70	—	細胞内オルガネラ間移動を標的とした新規感染制御技術	2032	2035	93	—	ゲノムの非コード領域の50%以上の領域の機能解明	2029	2033
71	—	マシガザリング災害における、人工知能による重傷者搬送調整システム	2029	2031	94	—	研究成果の真正を証明するための、研究により生じた全計測データ・全画像データを記録・保存し、原データとして認証・保証するシステム	2027	2029
72	—	日常生活（購買・飲食等）から集積されるライフスタイルビッグデータ（匿名加工情報）活用による健康政策	2025	2028	95	—	多くの一般的な実験室で利用可能なラボラトリーオートメーション・実験ロボット	2028	2031
73	保険証での医療 情報統合管理	プレジジョン医療の実現や医療の質向上に資する、JCチップが組み込まれた保険証等による病歴、薬歴、個人ゲノム情報の管理システム	2026	2029			タンパク質の機能において、量子（力学）レベルでの作		
74	—	ゲノム・診療情報、およびウェアラブルセンサーやスマートデバイスにより得られる生体・行動情報を継続的	2027	2029					