



文部科学省

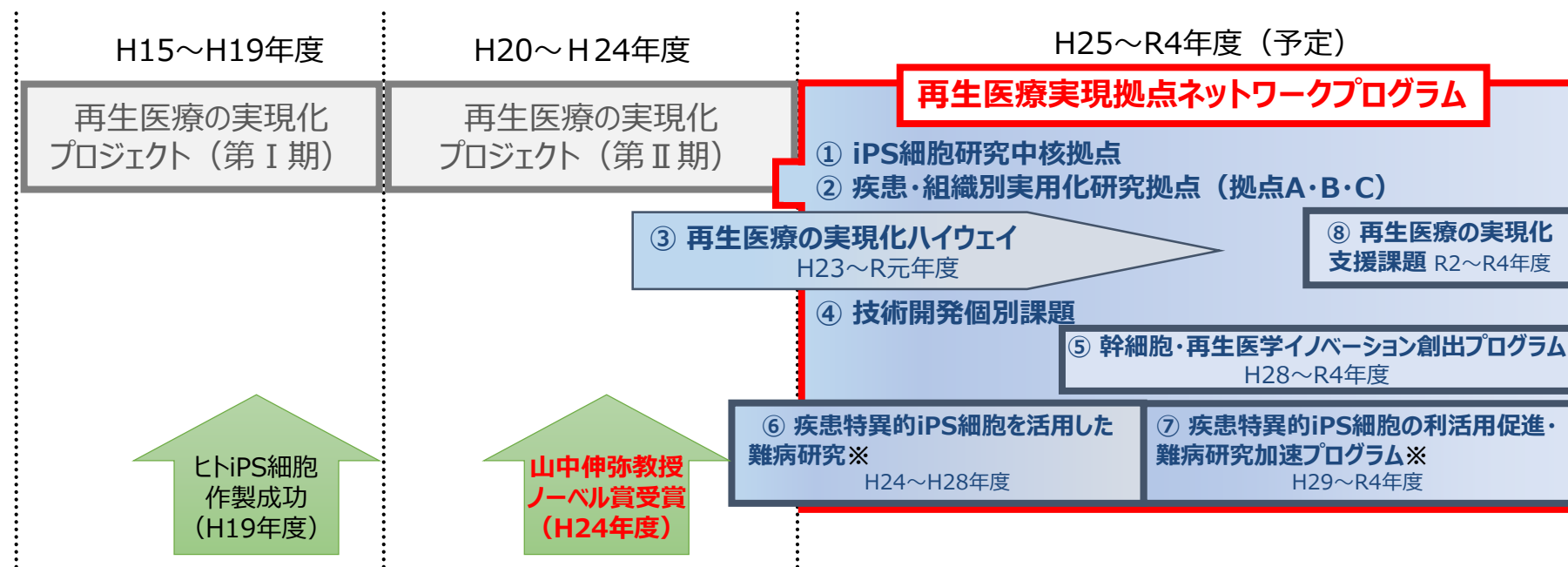
再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る 検討会の議論の取りまとめについて

令和4年5月31日

文部科学省

文部科学省による再生医療研究に対する主な支援の経緯

- 文部科学省における再生医療研究への支援事業は、平成15年度から開始した「再生医療の実現化プロジェクト」として開始され、平成24年度までの2期10年間の支援を実施した。
- 山中伸弥教授が平成24年度にノーベル賞を受賞したことを受け、既存事業を発展する形で、平成25年度から令和4年度までの10年間の事業として、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム（再生NWP）」を開始した。



再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会について

開催趣旨

文部科学省事業の再生NWP（平成25年度～令和4年度）終了後の令和5年度以降の再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方について検討する有識者会議を設置。

委員一覧

（敬称略・五十音順）

青井 貴之	神戸大学教授
荒戸 照世	北海道大学教授
岩間 厚志	東京大学教授
岡田 潔	大阪大学特任准教授
小澤 敬也	自治医科大学名誉教授
木村 徹	住友ファーマ株式会社 代表取締役 専務執行役員
後藤 由季子	東京大学教授
佐々木えりか	実験動物中央研究所 マーモセット 医学生物学研究部長
島田 隆	日本医科大学名誉教授
高橋 政代	神戸市立神戸アイセンター病院 研究センター顧問
◎高橋 良輔	京都大学教授
武田 志津	株式会社日立製作所 専門理事
妻木 範行	大阪大学教授/京都大学教授
中沢 洋三	信州大学教授
中村 雅也	慶應義塾大学教授
畠 賢一郎	一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム 代表理事会長
松尾 真紀子	東京大学特任准教授
○宮園 浩平	国立研究開発法人理化学研究所理事/ 東京大学卓越教授

◎主査 ○副主査

開催実績

【第1回】（令和3年3月5日）

- ・ 現状報告（事務局）
- ・ 本分野に関する研究開発動向

【第2回】（同 4月20日）

- ・ これまでの成果と今後について
- ・ 遺伝子治療研究の在り方について

【第3回】（同 5月11日）

- ・ 疾患iPS細胞バンクとその利活用の在り方について
- ・ 中核拠点の在り方について

【第4回】（同 6月10日）

- ・ 産業界から見た開発推進策、産学官連携策について
- ・ 遺伝子治療研究の在り方について
- ・ 中間とりまとめ（案）について

【第5回】（同 7月14日）

- ・ 中間とりまとめ（案）について

【第6回】（同 12月7日）

- ・ 支援課題の在り方について
- ・ 疾患iPS細胞研究の在り方について

【第7回】（令和4年3月8日）

- ・ 再生医療実現拠点ネットワークプログラムの令和4年度予算案について
- ・ 再生医療実現拠点ネットワークプログラム事後評価結果（案）について

【第8回】（令和4年5月27日）

- ・ 新しい資本主義実現会議及び再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会における検討状況
- ・ 再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方について（案）

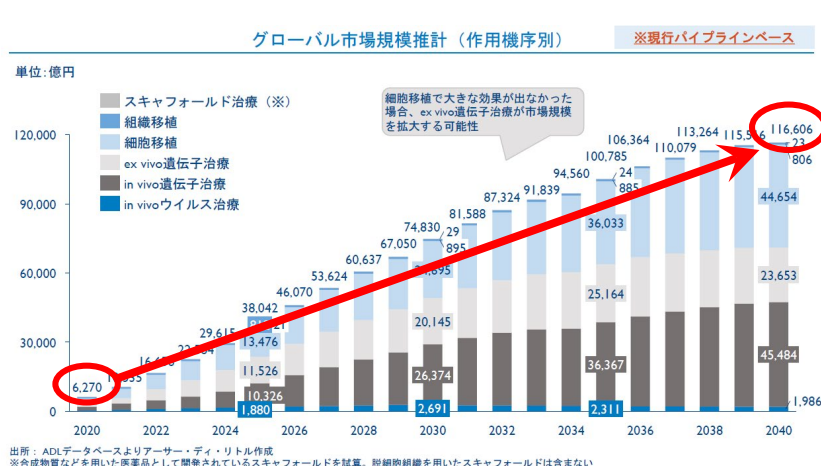
「再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方について」①

- 再生NWPの取組状況や国内外の動向等を整理し、第8回再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会（令和4年5月27日開催）において、令和5年度以降の再生・細胞医療・遺伝子治療研究の推進に向けた報告書「再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方について」を取りまとめた。

国内外の動向

（国際動向）

- 世界における本分野の研究開発は活発化。**市場規模**は令和22年には令和2年時点の**20倍になると推計**。米国、欧州、中国にて多くの開発品が生み出されている。
- 米国では、**NIHによるiPS細胞関連研究への支援が継続的に増加**（令和元年：986億円）。また、NIHの本分野の支援の7割以上がex vivo遺伝子治療研究。



（我が国の研究開発の成果）

- 論文について、**iPS細胞研究は世界第2位**、**ES細胞研究は、米中英に次いで4位**。遺伝子治療研究のシェアはごく僅か。
- iPS細胞研究の国際的な**特許出願動向**は、近年も増加傾向にあり、**世界第2位**。

再生NWPの成果

(iPS細胞中核拠点)

- iPS細胞研究中核拠点である京都大学において、iPS細胞の初期化メカニズムの解明等の基礎研究、**安全性の高いiPS細胞作製に向けた基盤技術の確立に向けた研究**等が行われた。
- 免疫拒絶反応が起こりにくいと考えられる細胞の型（ホモHLA型）を有した血液等から再生医療用iPS細胞を作り、**日本人の人口の約40%に適合するiPS細胞ストックを整備**した。

(疾患・組織別実用化研究拠点)

- 世界トップレベルの研究開発を支える多数の**研究拠点・研究基盤を整備**し、当該拠点で実施した**多数の研究が臨床研究・治験段階に進展**した。

(参考：再生NWPを通じて臨床研究・治験に進展したもの)

- 加齢黄斑変性（自家・他家）
- 虚血性心筋症（他家）
- パーキンソン病（他家）
- 血小板減少症（自家）
- 亜急性期脊髄損傷（他家）
- 角膜上皮幹細胞疲弊症（他家）
- 膝関節軟骨損傷（他家）
- 網膜色素変性（他家）
- 頭頸部がん（他家）
- 重症心不全（他家）
- 網膜色素上皮不全症（他家）
- 水疱性角膜症（他家）

(疾患iPS細胞バンク)

- iPS創薬促進のため、理化学研究所に患者由来のiPS細胞バンクを構築した。
- 疾患iPS細胞の活用により、**多数の治療薬候補の同定や治療薬候補の治験**につながった。

再生NWPに対する事後評価結果

- 科学的・技術的意義及び社会的・経済的意義の高い成果を創出した一方で、「患者さんが臨床でその恩恵にあずかることができる」までに、まだいくつかのステップがあり、切れ目ない研究支援が重要。
- 異分野の研究者や産業界の参入が十分とはいえない。特に、規制・倫理領域や遺伝子治療の若手研究者の育成が急務。
- 基礎的理解を深め、科学的な裏付けの下での臨床応用が重要。
- 若手研究者の育成支援の継続、異分野の研究者の積極的な参入や確固とした産業界との連携、関係省庁間の更なる連携により、基礎研究から社会実装への切れ目ない支援が必要。
- 基礎研究の更なる推進、分野内外や企業との連携、若手研究者の育成、社会への成果発信等の中心的な役割を担う中核的な拠点を設け、分野全体の成果創出を目指すことが必要。
- ヒトiPS細胞バンクは、十分な臨床データ等を備えたバンキング事業とすべく、一層の充実・強化がなされるべき。
- 出願後の知的財産の確保・権利化に関するサポート、基礎研究段階からの知的財産支援等の実用化を見据えた取組が重要。

今後に向けた提言

(1) 再生・細胞医療・遺伝子治療の融合と分野全体の発展

- 我が国の再生医療分野は、国際的に見ても強みを有するが、研究成果の実用化に向けて**引き続き基礎的な検討・研究が必要**。
- **再生・細胞医療・遺伝子治療という縦割りではなく、より一層の融合研究**の推進が必要。
- **in vivo**遺伝子治療研究も**支援対象に追加**し、上記融合研究を推進するなど、**遺伝子治療研究への支援も重要**。
- アカデミアと再生・細胞医療・遺伝子治療製造施設との認識の相違の解消・マッチング支援等を行い、**研究成果の実用化に向けた切れ目ない支援を行うべき**。
- **若手研究者の育成**を図りつつ、裾野の拡大を進める。
- 細胞やベクター等の技術開発や共通の製造・品質評価基盤について、関係省庁において連携し、整備・充実化を図るべき。

(2) 幅広い異分野との分野横断研究の実施

- 工学系やELSI等の異分野の研究者との**コラボレーション**を図る。
- アカデミアと産業界双方のギャップ解消に向け、研究の初期段階からの産業界の参画推進、知的財産・規制制度に係る助言・支援、**開発早期からの出口を見据えた研究開発**を実施する。リバーストランスレーショナルリサーチ（rTR）の推進をする。

今後に向けた提言（続き）

（3）本分野における研究者人材を最大限に活かすチーム型研究体制（バーチャルラボ）

- ・研究者を糾合し、有機的に連携させる**チーム型研究体制（バーチャルラボ）**を構築することにより、総合力の発揮、人材育成を推進。

（4）中核拠点をハブとした相乗効果の創出

- ・次世代iPS細胞製法の開発や組織・臓器の再生研究、自己修復研究など、本分野の**最先端の基礎研究を総合的に実施しうる中核的な拠点機能が必要**。同拠点が異分野も含めた国内外の研究者、産業界、医療機関等との**連携ネットワークの中核的な役割**も担うべき。

（5）疾患 iPS細胞を用いた研究の更なる推進

- ・疾患iPS細胞を用いた病態・創薬研究の加速のため、優位性が高い疾患領域から付随情報とともに症例数の充実を図るべき。

おわりに

- ・次世代の医療技術や創薬につながる革新的なシーズを創出するための**基礎研究の強化**が必須。
- ・また、実用化・産業化を確実に進めていくためには、**規制・倫理・知的財産面の支援、関係省庁間の連携、アカデミアと産業界の連携、基礎研究者と臨床研究者の連携、それぞれの取組の更なる強化**が重要。