

再生・細胞医療・遺伝子治療分野における 政府全体の取組について

第4回新しい資本主義実現会議の概要

- ◆ 議事を「科学技術」と題し、令和4年3月8日（火）に開催。4名の有識者よりプレゼン。再生・細胞医療・遺伝子治療分野に関して、山中伸弥京都大学iPS研究所所長（当時）よりプレゼン。
- ◆ 会議の取りまとめとして、岸田総理大臣から以下のとおり表明がなされた。

本日は、科学技術をテーマにして、研究者の皆様にご説明いただいた上で、委員の皆様にご議論を行っていただきました。

科学技術は、社会的価値を追求する手段として、新しい資本主義実現の重要な柱です。近年の我が国は、個々の研究分野の間に垣根があり、研究内容も近視眼になりやすく、若い研究者の潜在能力をいかし切れていない、企業による具体的ニーズを念頭に置いていない、といった問題点が指摘されています。

官民の連携を深め、日本の将来を見据えて、創造的な研究を生み出す制度に変えていかなければなりません。**特に潜在能力の高い若い研究者の卵の皆さんに対して、将来につながるチャンスを提供することを、国を挙げて考えてまいります。**

このような視点を持って、量子技術については、他の技術分野との融合やこれを応用する分野の研究も視野に入れつつ、有志国との連携を念頭に置いて、国家戦略を策定いたします。

AI（人工知能）については、ディープラーニングを重要分野として位置付け、企業による実装を念頭に置いて国家戦略の立案を進めてまいります。

再生・細胞医療・遺伝子治療については、患者さん向けの治療法の開発や創薬など実用化開発を進めてまいります。

バイオものづくりについては、経済成長と地球温暖化などの社会課題の解決の二兎（にと）を追える研究分野として推進してまいります。

クリーンエネルギー分野では、再エネや水素に加え、小型原子力や核融合など非炭素電源の研究開発を進めます。

これら5分野で日本が世界をリードしていく明確な決意の下、大胆かつ重点的な投資を行います。

2025年の大阪・関西万博では、我が国の最新技術を披露し、未来社会への我が国の世界への貢献をしっかりと提示していきます。

研究開発投資には個々の企業の私的収益の2.5倍を超える外部経済があるとの研究があります。この外部経済を内部化するため、研究開発投資の抜本強化が必要です。

私自身が先頭に立って、専門家の協力を得つつ、**この春にまとめる新しい資本主義の実行計画に、科学技術政策についての強い国家意志を盛り込んでいきたいと考えております。**



資料2 論点案（科学技術）【抜粋】

1. 科学技術・イノベーション

- 研究開発による社会的な収益は開発企業自身の私的収益よりも2.5倍以上大きいとの研究もある。こうした研究開発の投資の外部性は市場任せでは解決しない。官民連携による研究開発投資の実施によって社会的な投資効果を最大化することが重要ではないか。
- 初期の失敗を許容し、長期に成果をきちんと求める研究開発助成制度は、研究成果を短期に求め続ける助成制度より、インパクトの高い成果を生むとの実証研究がある。近視眼ではなく長期の視点で創造性を高めるインセンティブ設計が重要ではないか。
- 大学卒業時点などきわめて若い時点での研究者の卵の選抜・支援プログラムが後年の高い業績に貢献するとの研究がある。我が国でも、一部に試み（「未踏」プロジェクト等）があるが、国家規模で展開すべきではないか。
- 若い研究者の潜在能力を仕分けし研究の指導を行う名伯楽を内外から集めるべきではないか。

4. 再生・細胞医療・遺伝子治療

- 今後成長が期待される領域であり、これまでの基礎研究の成果をベースに、次世代の医療として実用化すべく、研究開発、創薬・産業化、製造技術への投資等を推進すべきではないか。
- 再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い、革新的な研究開発により新たな付加価値を生み出すべきではないか。

再生・細胞医療・遺伝子治療分野の今後の取組について

(令和4年5月31日 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会) 【抜粋】

6. 今後の対応の方向性

- 本領域については、これまでの協議会の議論、関係省庁における検討状況等を踏まえて、以下のような方向性に関係するステークホルダーが共有するとともに、関係省庁が一体となった支援を行い、次世代医療として次のステージに押し進めるべきである。

(1) 基礎研究の成果をベースに「実用化」を推進

アンメットメディカルニーズに応え、患者に新たな医療を届けることを目指す。

再生医療については、10年間の研究支援により、世界初の臨床研究が複数進行し、論文、特許、人材ともに厚みを持ちつつある。今後は、これまでの取組により培われた強みを損なうことなく、有機化学等の工学分野、周辺産業、スタートアップ、知財などに係る様々なステークホルダーが参画して取組を進め、有効な技術を次世代医療として患者に届ける。

そのためには、研究開発費の支援だけではなく、例えば、事業化に向けたハンズオン支援、有効性評価や臨床POC取得に向けた各研究開発段階における支援等の取組を含め、支援の質を高めていく。

(2) 再生・細胞医療と遺伝子治療の「融合」研究による新たな価値創出

遺伝子治療領域については、グローバルには有望な投資先となっている一方で、我が国では基盤強化が必要。我が国独自の技術の実現や既存技術の未適応疾患への適用などにより、まだ巻き返しが可能である。

第2期健康・医療戦略で再生・細胞医療と遺伝子治療が一体となった統合プロジェクトが位置づけられたことを踏まえ、再生・細胞医療・遺伝子治療の融合研究、本領域における強みを持った病院等の臨床研究拠点整備、細胞・ベクター等の製造基盤の強化等の取組を通じ、両分野の融合による新たな価値の創出を促す。

(3) 次世代iPS細胞、オルガノイド、エクソソーム、ゲノム編集による新しい遺伝子治療などの「革新的な研究開発」

再生医療については細胞レベルからスケールアップし人工臓器にたどり着くまでにはなお基礎研究が必要。さらに、次世代iPS細胞、オルガノイド、細胞から分泌されるエクソソームや、ゲノム編集医療など、基礎研究領域には新規モダリティが存在。幅広く、革新的な研究開発を進め、萌芽期にある技術を今後の医薬品や医療につなげていく。

新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画

～人・技術・スタートアップへの投資の実現～（令和4年6月7日閣議決定）【抜粋】

Ⅲ. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

（4）再生・細胞医療・遺伝子治療等

①再生・細胞医療・遺伝子治療

再生・細胞医療・遺伝子治療については、新たな医療技術の臨床研究・治験の推進、これらの医療技術の製品化に向けた研究開発、治療に用いる細胞・ベクター（ウイルスなど細胞へ遺伝子を導入するための媒介）の製造基盤強化、人材育成等を進め、有効な技術を実用化につなげる。再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い、遺伝子治療におけるゲノム編集技術を再生・細胞医療に応用するなど一体的な研究開発や臨床研究拠点の整備を進める。

ゲノム編集技術に加え、分化効率が高い又は拒絶反応が低い次世代のiPS細胞、それぞれの人の特性に合った薬効等を試験できるオルガノイド（試験管内で人工的に作られるミニ臓器）、細胞から分泌されるエクソソームの病気の診断や治療への活用に向けた研究開発等、革新的な研究開発を進める。

経済財政運営と改革の基本方針2022 新しい資本主義へ

～課題解決を成長のエンジンに変え、持続可能な経済を実現～

（令和4年6月7日閣議決定）【抜粋】

第2章 新しい資本主義に向けた改革

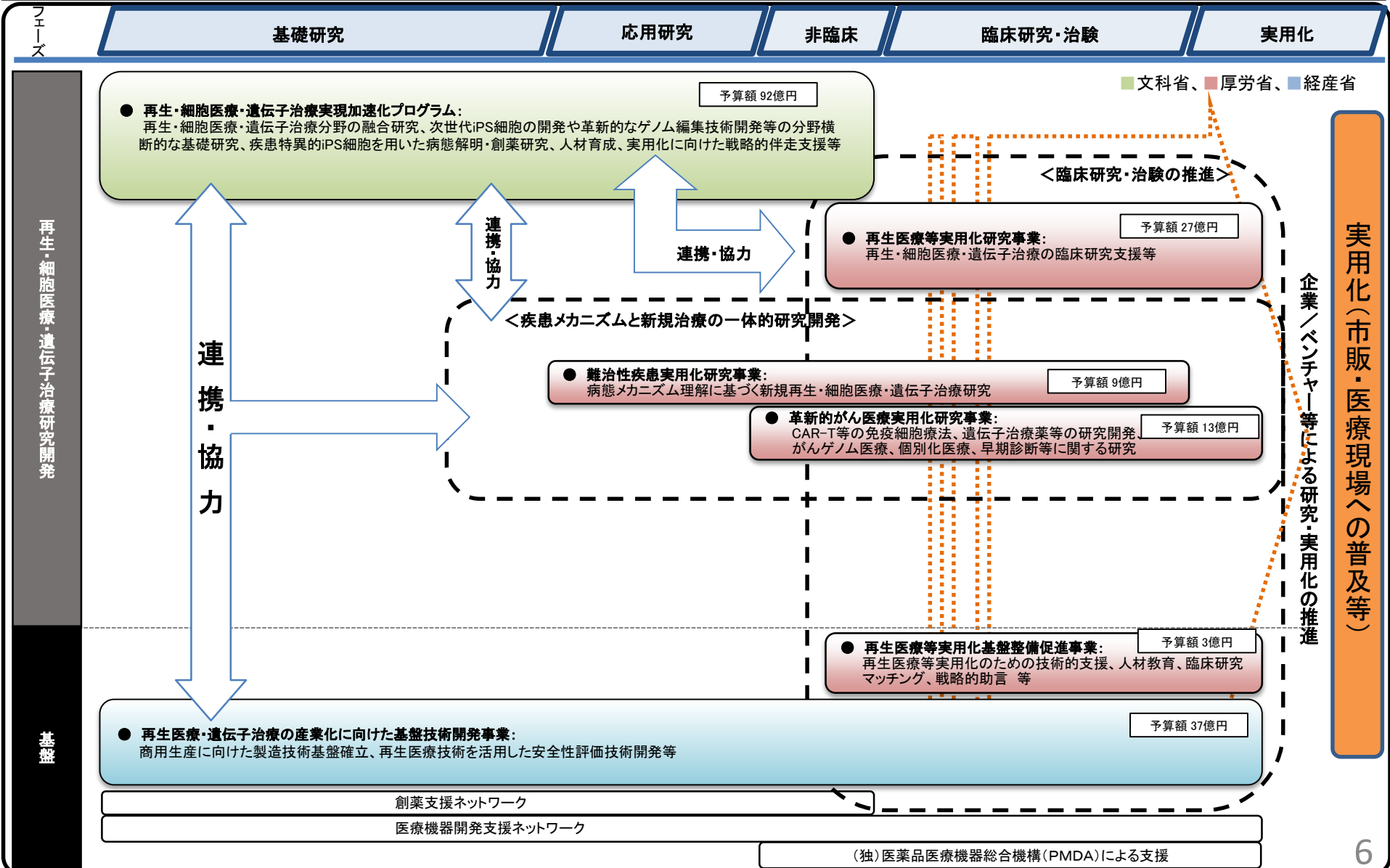
（2）科学技術・イノベーションへの投資

社会課題を経済成長のエンジンへと押し上げていくためには、科学技術・イノベーションの力が不可欠である。特に、量子、AI、バイオものづくり、再生・細胞医療・遺伝子治療等のバイオテクノロジー・医療分野は我が国の国益に直結する科学技術分野である。（略）。

3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
令和5年度予算額181億円

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。



3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト 令和5年度予算のポイント

再生・細胞医療・遺伝子治療や、創薬の実現に資する多様な研究開発を支援し、臨床研究段階への移行を促進

◆【新規】再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム(文)

- ✓ 再生・細胞医療・遺伝子治療の分野内融合研究や異分野連携による総合力を活かしたチーム型研究の推進、次世代の医療の実用化につながる革新的なシーズ創出に加え、中核拠点をハブとして連携・相乗効果を創出
- ✓ 疾患iPS細胞を用いた病態解明や創薬研究の推進、次世代を担う若手人材の育成、開発早期から出口を見据えた研究開発とその戦略的伴走支援の充実等を実施

再生・細胞医療・遺伝子治療の臨床研究等の推進による実用化促進や、それらに資する技術・人材等の基盤整備

◆ 再生医療等実用化研究事業(厚)

- ✓ 我が国の再生医療等を実用化することを目的として、特にin vivo遺伝子治療の臨床研究や医師主導治験等を支援対象に追加
- ✓ 非臨床段階から臨床段階へ移行した課題の臨床研究や、治験の実施に係る細胞加工物の製造・品質管理等について十分な支援を実施

◆ 再生医療等実用化基盤整備促進事業(厚)

- ✓ 日本再生医療学会を中心とした大学病院や企業団体が参画する連合体(ナショナルコンソーシアム)において、大学・医療機関・ベンチャー等を対象とし、研究に必要な技術的支援、人材育成等を支援することで、再生医療実用化のための基盤整備を実施

◆ 難治性疾患実用化研究事業(厚)

- ✓ 希少難治性疾患の克服を目指し、「発病の機構が明らかでない」、「治療方法が確立していない」、「希少な疾病」、「長期の療養を必要とする」の4要素を満たす難病に対して、画期的な再生・細胞医療・遺伝子治療の開発を推進

◆ 革新的がん医療実用化研究事業(厚)

- ✓ がん免疫(細胞)療法、遺伝子治療、ウイルス療法等の研究開発や医師主導治験等を引き続き支援。特に、遺伝子改変免疫細胞(CAR-T)による難治性がんを対象とした医師主導治験の更なる推進及び製薬企業とのマッチング支援等を推進

再生・細胞医療や遺伝子治療薬等の実用化に向けた製造技術基盤を確立

◆ 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(経)

- ✓ 再生医療や遺伝子治療の商用化に向け、細胞やウイルスベクターの効率的な製造技術の開発等を推進
- ✓ 再生医療等製品の原料細胞について、産業界のニーズに応じた国内供給体制整備のための実証研究を推進
- ✓ 再生医療技術を応用して様々なヒト臓器細胞をデバイス化し、医薬品の安全性等を評価するための創薬支援技術を確立
- ✓ 再生・細胞医療・遺伝子治療の製品開発を目指す企業等の製造プロセス構築や評価手法の開発を支援

參考資料

新しい資本主義実現会議とは

- ◆ 新しい資本主義実現本部（※1）の下、「成長と分配の好循環」と「コロナ後の新しい社会の開拓」をコンセプトとした新しい資本主義（※2）を実現していくため、それに向けたビジョンを示し、その具体化を進める会議。

（※1）新しい資本主義を実現していくため、内閣に設置。本部長を内閣総理大臣、副本部長を新しい資本主義担当大臣及び内閣官房長官、本部員を他の全ての国务大臣で構成。

（※2）「緊急提言～未来を切り拓く「新しい資本主義」とその起動に向けて～」（令和3年11月8日新しい資本主義実現会議）では、新しい資本主義について以下のように指摘している。
「1980年代以降、短期の株主価値重視の傾向が強まり、中間層の伸び悩みや格差の拡大、下請企業へのしわ寄せ、自然環境等への悪影響が生じており、政府、民間企業、大学等、地域社会、国民・生活者が課題解決に向け、それぞれの役割を果たしていく必要がある。民間企業において人的資本など未来への投資を強化することで、中長期的に稼ぐ力を高め、その収益を賃上げ等の分配や更なる未来投資へ循環させることで持続的な成長を実現する。そして、現場で働く従業員や下請企業も含めて、広く関係者の幸せにつながる、多様なステークホルダーを重視した、持続可能な資本主義を構築していく。市場機能の活用により経済成長を実現することを基本としつつ、不十分な部分については政府が適切に補完することを通じて、官民が連携し、新しい時代の経済を創る必要がある。」

- ◆ 構成員

内閣総理大臣（議長）

新しい資本主義担当大臣、内閣官房長官（副議長）

財務大臣、厚生労働大臣、経済産業大臣

その他内閣総理大臣が指名する国务大臣及び内閣総理大臣が指名する有識者

翁 百合	株式会社日本総合研究所理事長
川邊 健太郎	Zホールディングス株式会社代表取締役社長
櫻田 謙悟	経済同友会代表幹事
澤田 拓子	塩野義製薬株式会社取締役副社長兼ヘルスケア戦略本部長
渋谷 健	シブサワ・アンド・カンパニー株式会社代表取締役
諏訪 貴子	ダイヤ精機株式会社代表取締役社長
十倉 雅和	日本経済団体連合会会長
富山 和彦	株式会社経営共創基盤グループ会長
平野 未来	株式会社シナモン代表取締役社長CEO
松尾 豊	東京大学大学院工学系研究科教授
三村 明夫	日本商工会議所会頭
村上 由美子	Mpower Partners GP, Limited. ゼネラル・パートナー
米良 はるか	READYFOR 株式会社代表取締役CEO
柳川 範之	東京大学大学院経済学研究科教授
芳野 友子	日本労働組合総連合会会長

※敬称略

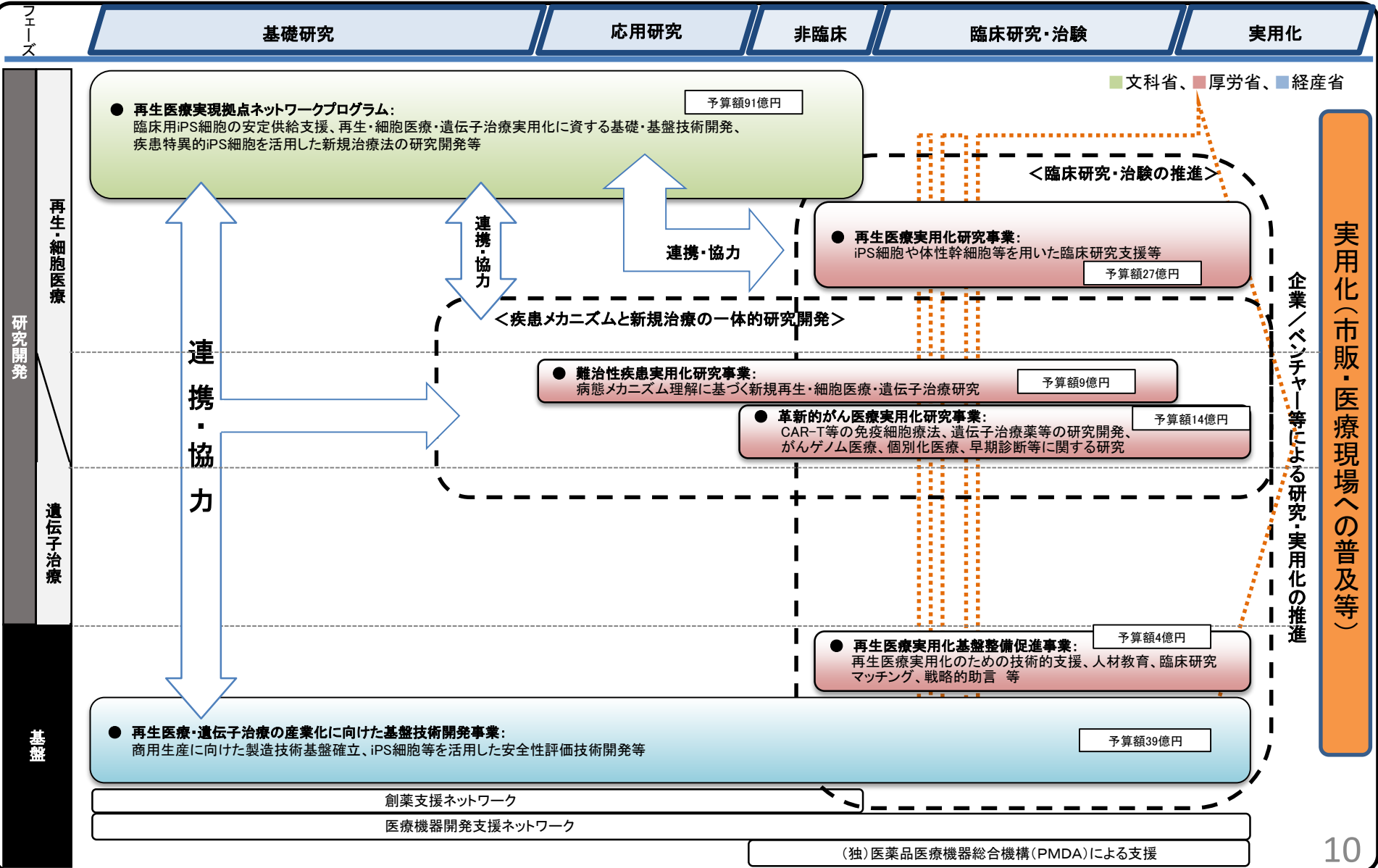
※第4回当時。現在は三村明夫氏に代わり小林健氏。また、ハーバード大学ユニバーシティプロフェッサーのレベッカ・ヘンダーソン氏が構成員に加わっている。

3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

第34回健康・医療戦略推進
専門調査会 資料2から抜粋

日本医療研究開発機構対象経費
令和4年度予算額183億円

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。



再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会、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での議論等を踏まえ、再生・細胞医療・遺伝子治療分野を融合し、人材育成、知的財産権確保、生産支援体制の強化を目指した事業設計、創薬支援技術、遺伝子治療の研究開発の加速等を推進した。第1期の成果が顕在化する時期と重なることもあって、2022年度末の実績で2024年度末までの目標を達成し、順調に進捗していると評価できる。再生・細胞医療・遺伝子治療のさらなる実用化に向けて、異分野融合による独創的な治療技術研究や、製造基盤技術開発等の革新的な研究開発や研究成果の実用化に向けた相談体制強化、生産工程の改善支援等に取り組む必要がある。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進 捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事 項等)
<アウトプット>				
・非臨床POCの取得件数 25件 [うち遺伝子治療 5件]	79件(14/11/54) [40件 (13/10/17)]	A	再生医療実現拠点ネットワークプログラム34件、再生医療実用化研究事業1件、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9件(うち遺伝子治療7件)、難治性疾患実用化研究事業10件(うち遺伝子治療10件)となった。	
・研究成果の科学誌(インパクト ファクター5以上)への論文掲 載件数 400件	450件 (107/137/206)	A	再生医療実現拠点ネットワークプログラムを中心に、再生医療実用化研究事業、難治性疾患実用化研究事業、革新的がん医療実用化研究事業等から206件という多くの論文が発表された。	※クラリベイト InCites Benchmarking より集計
・治験に移行した研究課題数 20件 [うち遺伝子治療 2件]	27件(11/7/9) [15件(6/3/6)]	A	基礎から実用化へのシームレスな支援により、治験に移行する課題が増えておりR4年度も新たに9件(うち遺伝子治療6件)が治験に移行した。	
・研究成果の科学誌(インパクト ファクター5未満等の他の科学 誌)への論文掲載状況	449件 (200/126/123)	A	「研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数」の記載と同様に、インパクトファクターが高い論文のみならず、多くの論文が掲載された。	※クラリベイト InCites Benchmarking より集計
・臨床研究に移行した研究課題 数[うち遺伝子治療の研究課 題数]	12件(4/4/4) [1件(0/1/0)]	A	既に臨床研究、治験による知見が蓄積されている領域では臨床研究を経ずに治験開始を目指す課題が多いが、新たな技術領域での臨床研究への移行も順調に進捗している。遺伝子治療については、薬事承認されたプラットフォームを使用した研究が多く、治験が優先されている。	

※「最新の数値」は計画開始から令和4年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 **11**

再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会、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での議論等を踏まえ、再生・細胞医療・遺伝子治療分野を融合し、人材育成、知的財産権確保、生産支援体制の強化を目指した事業設計、創薬支援技術、遺伝子治療の研究開発の加速等を推進した。第1期の成果が顕在化する時期と重なることもあって、2022年度末の実績で2024年度末までの目標を達成し、順調に進捗していると評価できる。再生・細胞医療・遺伝子治療のさらなる実用化に向けて、異分野融合による独創的な治療技術研究や、製造基盤技術開発等の革新的な研究開発や研究成果の実用化に向けた相談体制強化、生産工程の改善支援等に取り組む必要がある。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進 捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留 意事項等)
＜アウトカム＞				
・シーズの他事業への導出件数 30件	42件 (9/5/28)	A	R4年度は28件と従来以上の件数のシーズが他事業へ導出された。	
・企業へ導出される段階に至った研究課題数 10件 [うち遺伝子治療 2件] [うち企業へ導出された件数 2件]	38件(9/3/26) [9件(5/2/2)] [21件(6/1/14)]	A	再生医療実現拠点ネットワークプログラム14件(うち企業に導出されたもの12件)、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11件(うち遺伝子治療1件、うち企業に導出されたもの2件)、革新的がん医療実用化研究事業1件(うち遺伝子治療1件)が企業へ導出される段階となった。	
・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 2件以上	4件* (1/2/1)	A	再生医療実用化研究事業における「特発性大腿骨頭壊死症に対する自家濃縮骨髄液移植法の臨床研究」が先進医療Bとして認可された。	* 先進医療B 2件、医療機器1件を含む
・関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況	11件 (2/2/7)	A	7件(ISO/TC198WG9、ISO/TC276 WG4、The Standards Initiativeステアリングコミッティ等)	
・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況(臨床研究含む)	39件 (15/11/13)	A	治験移行9件、臨床研究移行4件。なお、治験第2相へ移行2件、治験第3相へ移行1件、臨床研究でFIH1件。	
・遺伝子治療の製造に関する要素技術の研究開発の進展状況	133件 (48/38/47)	A	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ベクター作製、大量製造、精製、製品評価等の44件、再生医療実用化研究事業1件、再生医療実現拠点ネットワークプログラムで2件の製造関連要素技術開発が進展。	

※「最新の数値」は計画開始から令和4年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

(1) 関係府省の主な取組

- ・AMEDにおいて、文部科学省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」における成果を、厚生労働省「再生医療等実用化研究事業」「難治性疾患実用化研究事業」「革新的がん医療実用化研究事業」に橋渡しするとともに、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」による産業基盤の構築の推進など、実用化に向け基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行っている。
- ・文部科学省の「再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会」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(令和4年5月)。

(2) 顕著な研究開発成果事例

・iPS細胞から作成した角膜上皮を移植する世界初の臨床研究が完了

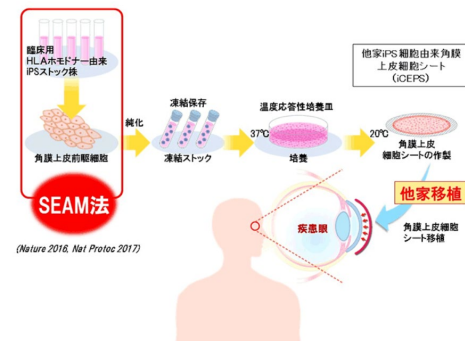
大阪大学(西田幸二教授ほか)で、ヒトiPS細胞から角膜上皮を作製し、4例の角膜疾患患者に移植して再生させる臨床研究の経過観察を完了した。いずれの症例においても拒絶反応や腫瘍形成といった重篤な副作用は認められず、安全性や有効性を示す結果が得られた。

【再生医療等実現拠点ネットワークプログラム／再生医療等実用化研究事業】

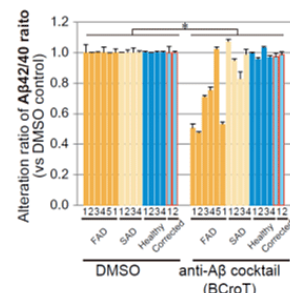
・家族性アルツハイマー病患者を対象とした医師主導治験の実施

京都大学iPS細胞研究所(井上治久教授ほか)で、患者由来のiPS細胞を用いて薬剤スクリーニング系を確立し、パーキンソン病の治療薬であるブロモクリプチンに、アルツハイマー病の進行を抑制する作用があることを見出し、家族性アルツハイマー病患者に対して医師主導治験を行い、安全性が確認され、薬剤の有効性を示唆する結果が得られた。

【再生医療等実現拠点ネットワークプログラム／再生医療等実用化研究事業】



iPS細胞由来角膜上皮細胞シートの臨床研究



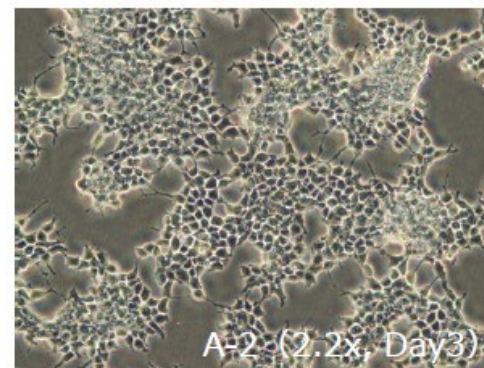
ブロモクリプチン・クロモリン・ピラマートは患者由来大脳神経細胞のAβ42産生を低下

(2) 顕著な研究開発成果事例

・遺伝子治療に用いるウイルスベクターの製造に必要なコア技術の開発

近年、非病原性のアデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターを用いた遺伝子治療の研究開発が広く見られるが、AAVを効率的かつ安定的に生産する技術は世界的にも未だ確立されておらず、産官学が結集し、AAVの製造に必要なコア技術の開発を進めている。

コア技術の1例として、株式会社ちとせ研究所、成育医療研究センター分室等が中心となり運営する次世代バイオ医薬品製造技術研究組合の川崎集中研究所において、国産のウイルスベクター産生細胞株であるA-2細胞株を開発し、予備実験において既存の海外産の細胞株を遙かに上回る生産効率を有することを示した。



A-2細胞株

【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】

・iPS-NKT細胞の安全性確認のための治験の実施

iPS-NKT(ナチュラルキラーT)細胞を用いて、千葉大学において頭頸部がんを対象とした第I相医師主導治験を実施した。本治験では、患者のがん栄養動脈にiPS-NKT細胞を投与し、安全性を確認すると共に有効性についても検証している。開始時の投与量での安全性が確認できたため、更に投与量を増やし治験を継続している。引き続き、適切な投与量について検討を行うとともに、有効性について評価を行っていく。

【再生医療等実用化研究事業／再生医療実現拠点ネットワークプログラム】

iPS-NKT細胞動注療法の概要

