

検討状況説明資料

再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会

令和5年6月13日
内閣府健康・医療戦略推進事務局

本日の御報告事項

1. 「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）を踏まえた対応状況と今後の課題
2. 協議会における主な議論及び指摘事項

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。

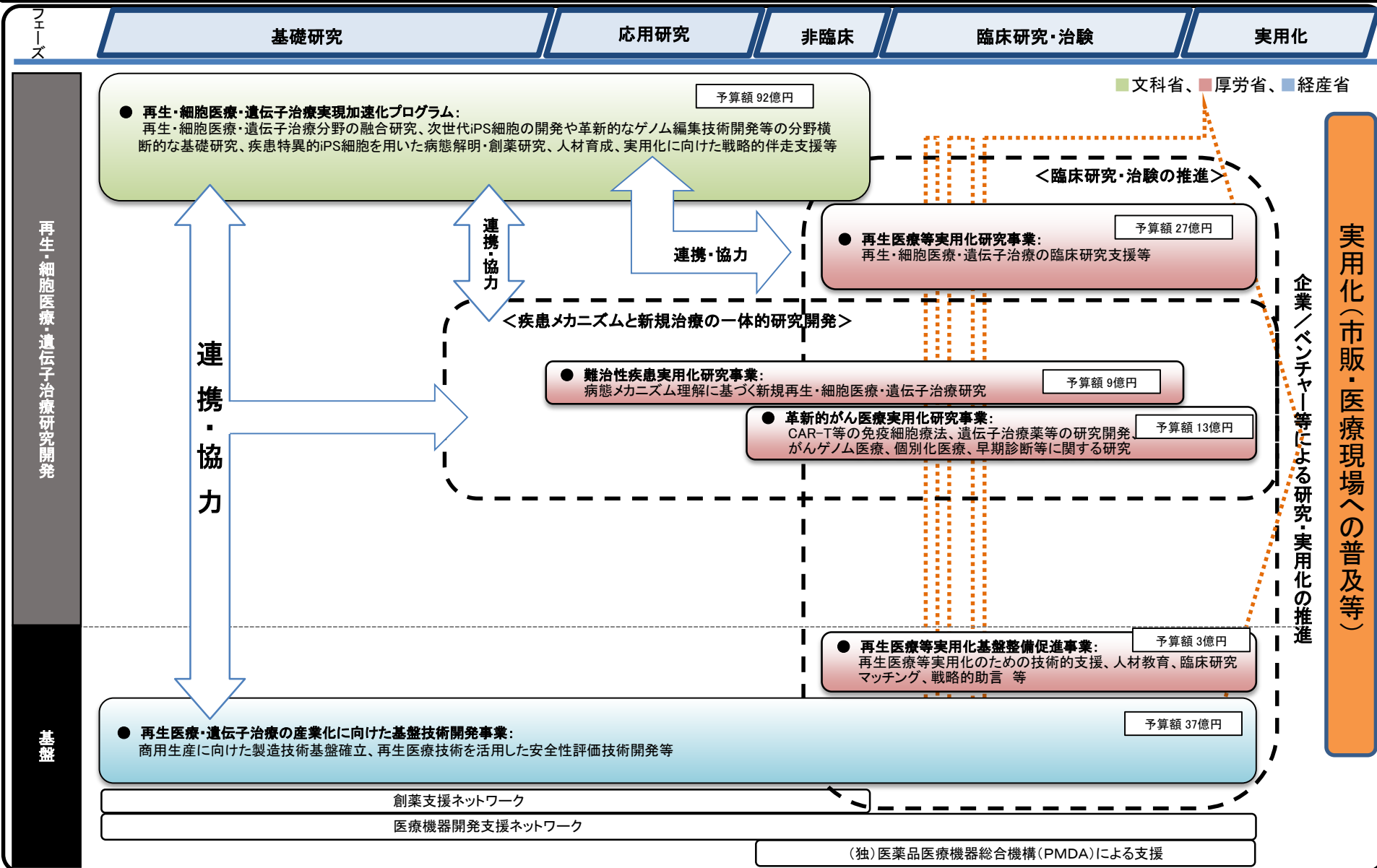
(3) 次世代iPS細胞、オルガノイド、エクソソーム、ゲノム編集による新しい遺伝子治療などの「革新的な研究開発」

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。

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)

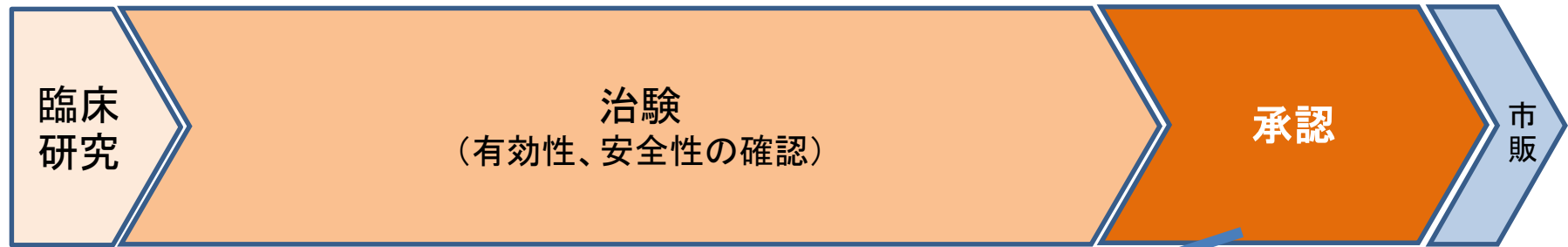
- ✓ 再生医療や遺伝子治療の商用化に向け、細胞やウイルスベクターの効率的な製造技術の開発等を推進
- ✓ 再生医療等製品の原料細胞について、産業界のニーズに応じた国内供給体制整備のための実証研究を推進
- ✓ 再生医療技術を応用して様々なヒト臓器細胞をデバイス化し、医薬品の安全性等を評価するための創薬支援技術を確立
- ✓ 再生・細胞医療・遺伝子治療の製品開発を目指す企業等の製造プロセス構築や評価手法の開発を支援

再生医療等製品の条件・期限付承認制度の導入

第9回再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 資料2から抜粋

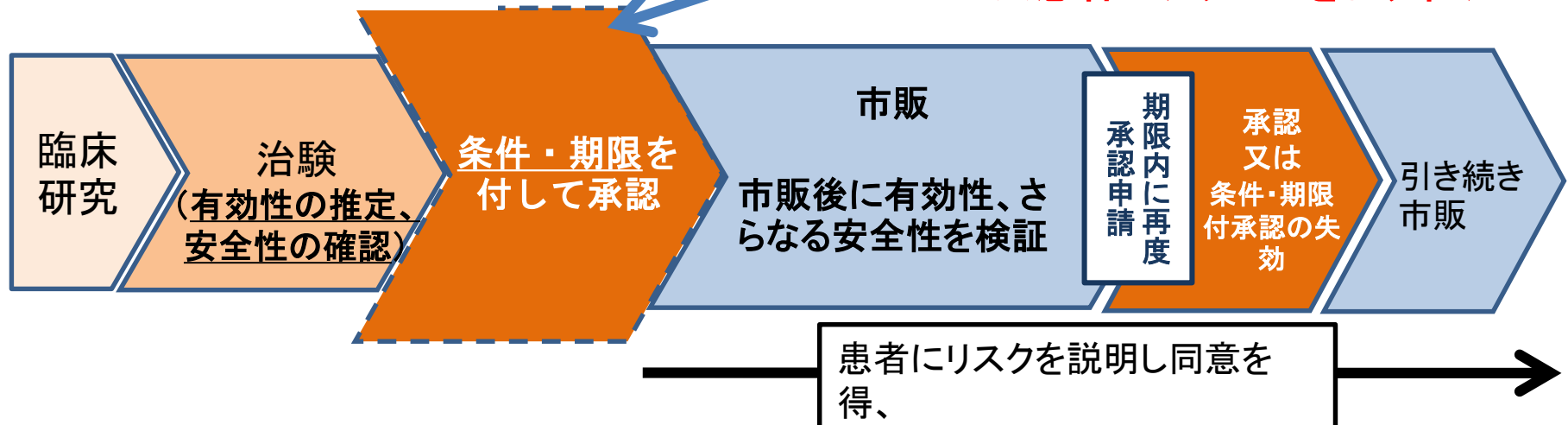
＜再生医療等製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点＞
人・動物の細胞や遺伝子を用いることから、不均質となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。

【従来の承認までの道筋】



【再生医療等製品の早期の実用化に対応した承認制度】

※患者のアクセスをより早く！



- ・有効性については、一定数の限られた症例から、従来より短期間で有効性を推定。
- ・安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。

条件及び期限付き承認に関する検討状況について

第9回再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 資料2から抜粋

【現状と課題】

- 条件及び期限付き承認制度は、再生医療等製品の品質の不均一性等を踏まえて制度化されたが、「有効性の推定」のエビデンスレベル、すなわち、**制度適用の判断基準を明確にすることにより、開発予見性を高めることが重要**である。

→ **厚労省検討会で検討中。PMDAも参加。**

検討事項

- 本検討会は、条件及び期限付き承認における製造販売後承認条件評価として実施する製造販売後使用成績調査又は製造販売後臨床試験のデザインに当たってどのような点に留意すべきか等に関する基本的な考え方を検討。
- 再生医療等製品の開発において製造販売後の試験や調査の計画が適切に策定されるよう、開発者が留意すべき点を示す。

構成委員（敬称省略・五十音順）

- 上村鋼平 東京大学大学院医学系研究科 生物統計情報学講座
情報学環・学際情報学府 特任講師
- 小野寺雅史 国立研究開発法人 国立成育医療研究センター遺伝子細胞治療推進センター センター長
- 鹿野真弓 東京理科大学薬学部 薬学科 教授
- 森尾友宏 東京医科歯科大学大学院医歯学総合研究科
発生発達病態学分野 教授
- 森豊隆志 東京大学臨床研究推進センター長 教授
- ◎ 佐藤陽治 国立医薬品食品衛生研究所 再生細胞医療製品部 部長
◎事務局
- オブザーバー 厚生労働省 医薬・生活衛生局 医療機器審査管理課
PMDA 再生医療製品等審査部

検討状況

- 厚労省検討会（次世代医療機器・再生医療等製品評価指標作成事業 再生医療審査WG）
- PMDAもオブザーバーとして参加。令和4年10月に第1回WGを立ち上げ、これまで3回開催。
- 現在、評価指標案を作成中。令和5年度中に取りまとめ予定。

協議会における主な議論及び指摘

■ 実用化支援・伴走支援・環境整備

- ✓ 再生医療の知財戦略、オープンクローズ戦略等が定まっていない。医薬品とは異なることが顕在化してきており、伴走支援の基本方針について検討が必要。
- ✓ バイオベンチャー育成は10年以上前から取り組んできた。我が国で育たない原因の分析が必要。
- ✓ 研究開発の初期段階から、アカデミアだけでなく企業と一体になって取り組むべき。
- ✓ 海外市場も念頭においた研究開発及び支援は重要。国際展開を見据えた支援が不足しているのではないか。国際共同治験の取組を進めるべき。治験拠点の在り方についても、NIHなど海外拠点を参考に斬新な思想で見直すことが必要ではないか。
- ✓ 輸入に過度に依存せずに物品を確保できるサプライチェーンの構築。
- ✓ 高額な機器は、個々のラボが所有・整備するのではなく、利用補助者及び機器管理者を配備し、使用料だけで若手やベンチャーも利用できる共用化を進めることが重要。

■ 規制

- ✓ 規制の基準は欧米と足並みをそろえる必要がある。
- ✓ 生物由来原料の議論は、特に企業にとって重要な事項。
- ✓ 我が国の細胞を輸出して使ってもらうために、規制に関する検討が必要。

■ 遺伝子治療

- ✓ 非臨床用ベクターであってもGMP準拠が不可欠。取組を進めるべき。
- ✓ 遺伝子治療は遅れている。ゲノム編集に参入の際は何が隘路か整理し、他国の状況と比較・分析して、戦略を立てることが必要。
- ✓ in vivo遺伝子治療の研究開発ではCRISPR-Casの特許が強い。今から日本が参入する価値や戦略をどう考えるか。

■ 人材育成等

- ✓ 自動化やA Iの発展を踏まえ、例えば細胞培養を担うための人材適性について検討を要する。プロトコルを正確に遂行する、プロトコルに沿いつつもその場での的確に判断する等、人材育成方針と質の担保が必要。
- ✓ 伴走支援に必要な人材はどの程度プールされているのか。
- ✓ ドラッグロスの問題。現状を整理したうえで戦略を考えるべき。

参 考 资 料

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム

令和5年度予算額 9,155百万円（新規）

※令和4年度は再生医療実現拠点ネットワークプログラム（9,066百万円）で実施

令和4年度第2次補正予算額 1,725百万円

（事業期間：令和5年度～令和9年度）

背景・課題 / 事業内容

- 「経済財政運営と改革の基本方針2022」では再生・細胞医療・遺伝子治療分野は国益に直結する分野と明示されており、「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画」でも、次世代iPS細胞やオルガノイド等の革新的な研究開発を進めると共に、実用化に向けて、再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い一体的な研究開発を推進することが掲げられている。
- 再生・細胞医療・遺伝子治療の融合研究の推進、若手研究者の育成促進と裾野の拡大、異分野・他機関との連携と人材育成機能を包括したチーム型研究の推進、リバーストランスレショナルリサーチの実施、中核拠点をハブとした連携・相乗効果の創出、開発早期から出口を見据えた研究開発と戦略的伴走支援の充実、疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明や創薬研究の推進を行う。

① 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題

- ・ 再生・細胞医療・遺伝子治療分野の融合研究を推進
- ・ 革新的な創薬・治療法の実用化を見据えた基礎・応用研究の実施
- ・ 治療法の臨床試験に直結する非臨床PoC取得研究の実施
- ・ 次世代を担う研究者の輩出に向けた若手研究の促進
- ・ リバーストランスレショナルリサーチの実施
- ・ 異分野研究者・企業等との総合力を生かしたチーム型研究を推進

② 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点

- ・ 次世代iPS細胞の開発、リプログラミングの解明、革新的なゲノム編集技術開発等の再生・細胞医療・遺伝子治療分野の共通基盤研究の実施
- ・ 分野内外の研究者や医療・産業界との連携を促すハブ機能の構築

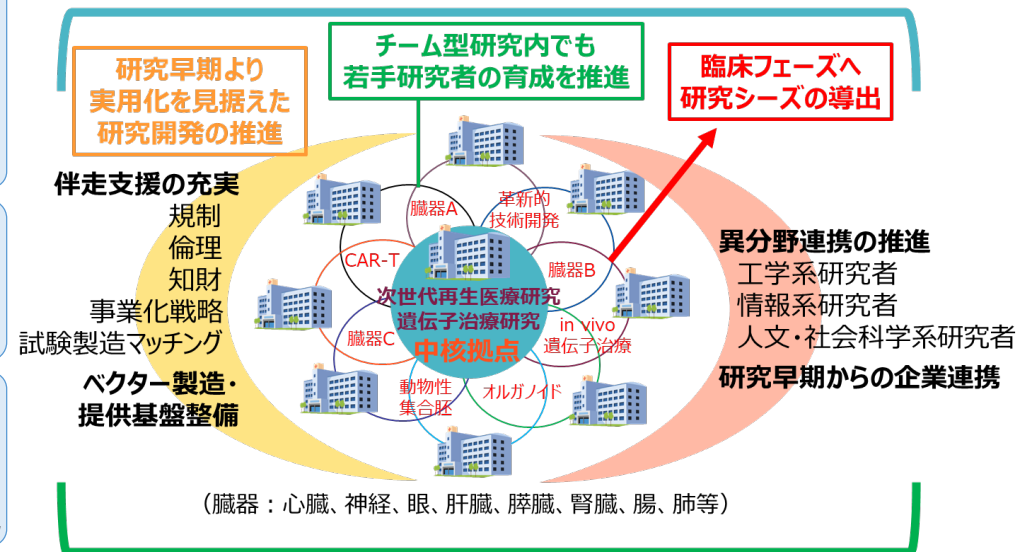
③ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

- ・ 難病等の患者由来の疾患特異的iPS細胞等を活用した疾患発症機構の解明、病態解析技術の高度化、創薬研究の推進
- ・ 疾患付随情報が充実した疾患特異的iPS細胞バンクの整備と利活用促進

④ 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

- ・ 実用化に向けた問題解決等のための規制・倫理・知的財産面の伴走支援
- ・ 研究早期からの事業化戦略作成支援
- ・ ベクター（細胞へ遺伝子を導入する媒体）の製造・提供基盤整備
※令和4年度第2次補正予算にて設備整備費用を措置
- ・ 細胞・ベクターの試験製造マッチング支援

中核拠点をハブとした各研究機関、異分野研究者、産業界、医療機関、支援機関による研究分野・対象臓器ごとの多彩なバーチャルラボ化の推進



本分野全体として若手研究者の人材育成を積極的に推進

【事業スキーム】



遺伝子治療の実用化を加速するためのアカデミア用ベクター製造開発基盤の整備

令和4年度第2次補正予算額

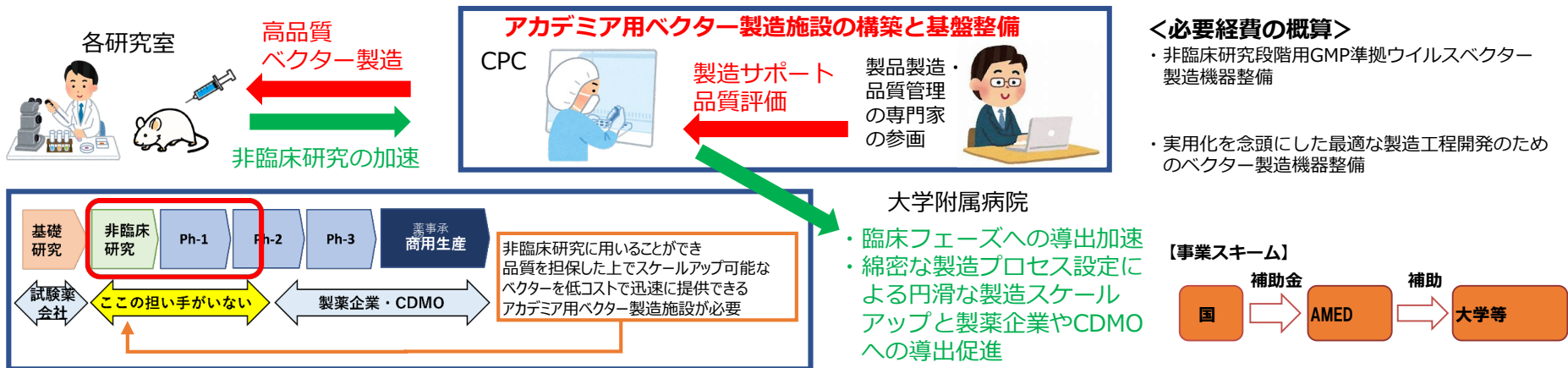
17億円

背景・課題

- 遺伝子治療分野は大幅な市場拡大が見込まれているため国際競争が激化。多数の開発品が欧米を中心に生み出されているが、我が国は僅か。
- 我が国も遺伝子治療の研究を進めており、AAVベクター※を中心に新規ベクター開発研究等も着実に進展。※ベクター：細胞へ遺伝子を導入する際の媒介
- 「経済財政運営と改革の基本方針2022」に再生・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と位置付けられており、「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画」にも治療に用いる細胞・ベクター製造基盤を強化し、有効な技術を実用化につなげることが掲げられている。
- 一方で、我が国には、遺伝子治療の実用化フェーズで求められる基準（GMP基準）を見据えた高い品質を有する非臨床研究段階用ベクターを少量・多品種・低価格で製造できるところが無いため、基礎的なシーズを臨床フェーズへ進め実用化する上で致命的なボトルネックとなっている。

事業内容

- 工学系研究者や企業の製造部門経験者などの製品製造・品質管理の専門家と医学系研究者が参画して、シーズ毎に実用化を念頭にしたベクター製造工程開発（製造・品質管理技術開発及び重要な工程指標の最適化に基づくベクター製造工程開発）とそれを踏まえたGMP準拠のベクター製造を行い、少量・多品種・低価格で高品質の非臨床研究用GMP準拠ウイルスベクターを迅速に提供可能とするために、必要な基盤整備をする。
- 具体的には、既存のCPC施設等に、非臨床研究用ウイルスベクター（AAVベクター等）の製造開発のためのGMP準拠ベクター製造機器、GMP準拠の製造に向けて実用化を念頭にした最適なベクター製造工程開発に必要な機器及び品質管理・品質評価機器を整備する。



「がん研究10か年戦略」に基づいたがん研究開発
(根治・予防・共生 ～患者・社会と協働するがん研究～)

応用領域

臨床領域

革新的がん医療実用化研究事業

サポート機関 がんの本態解明から革新的な医療実用化に向けた一貫したマネジメントスキームの確立研究

(R5新規) 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の強化

研究内容

| | |
|------|-------------------------------|
| 領域1 | がんの本態解明に関する研究 |
| 領域2 | がんの予防法や早期発見手法に関する研究 |
| 領域3 | アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究 |
| 領域4 | 患者に優しい新規医療技術開発に関する研究 |
| 領域5 | 新たな標準治療を創るための研究 |
| 領域6 | ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域 |
| 全ゲノム | がん・難病全ゲノム解析等実行プログラム (がん領域) |

PJ(モダリティ)

- ① 医薬品
- ② 医療機器・ヘルスケア
- ③ 再生/細胞医療・遺伝子治療
- ④ ゲノム・データ基盤
- ⑤ 疾患基礎研究

次世代がん医療加速化研究事業

導出

還元

連携・協力

医療機器等における先進的研究開発・開発体制強化事業

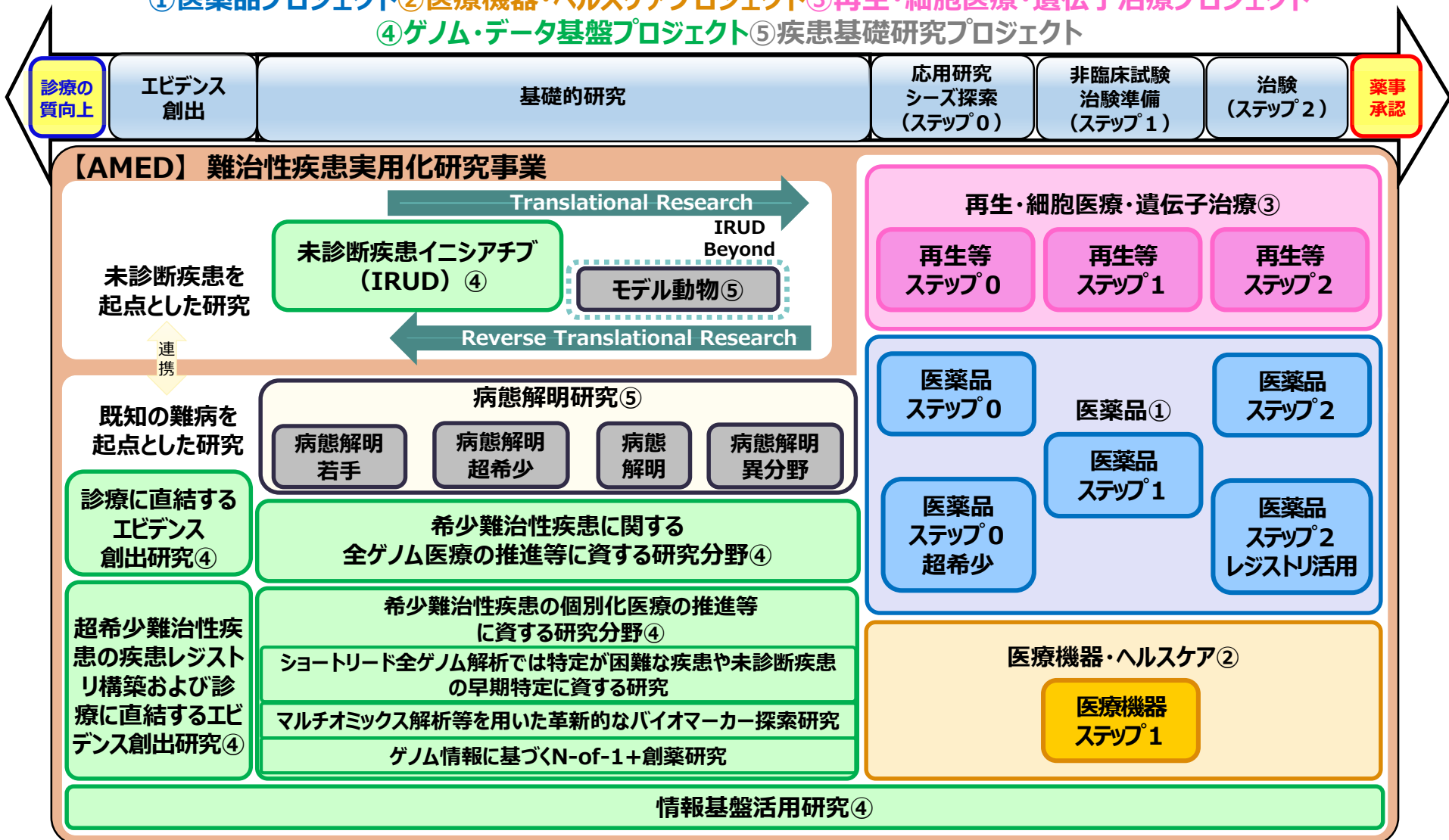
医療・介護・健康データ活用基盤高度化事業(高度遠隔医療ネットワーク実用化研究事業)

研究支援基盤： 創薬支援ネットワーク、PMDA、がん臨床試験ネットワーク

ゲノム医療の推進に伴い、個別化される治療方針の中で、未だに多くの遺伝子異常に対して適切な治療方法が確立されておらず、有望シーズを実際に発見・開発する必要がある。また、既に国内外において特定のがんに対して製造販売承認されているがん治療薬又はがん以外の疾患の治療薬に関して、適応拡大等による実用化が望まれる。ゲノム医療の実装に備え、新規薬剤開発において、日本発の個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発に関する課題や、適応拡大等による実用化をめざす課題を、引き続き支援する。

がん免疫(細胞)療法、遺伝子治療、ウイルス療法、ゲノム編集技術等の前臨床研究や医師主導治験等

①医薬品プロジェクト ②医療機器・ヘルスケアプロジェクト ③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
④ゲノム・データ基盤プロジェクト ⑤疾患基礎研究プロジェクト



連携

再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

再生医療等実用化研究事業

- 再生医療等の実用化に向け、細胞移植時のヒト幹細胞の腫瘍化や微生物汚染等のリスクに対する安全性確保のための研究、機能不全となった組織や臓器の治療方法探索のための臨床研究、臨床開発の早い段階から出口を見据え、企業の協力を得ながら品質・非臨床データの取得や医師主導治験の実施を進める研究、再生医療等の品質及び安全性を担保する評価基準策定に向けた研究等を支援し、再生医療等製品・先進医療へ着実に繋げることを目的とする。また、日本国内だけでなく海外にも展開可能な再生医療等技術の確立を目指す研究を重視する。
- 令和5年度は、研究開発の進んでいないin vivo 遺伝子治療の実用化に向け、遺伝子導入、改変等が有効と考えられる疾患の治療方法探索のための臨床開発の早い段階から出口を見据え、企業の協力を得ながら品質・非臨床データの取得や臨床研究・医師主導治験の実施を進める研究を支援し、遺伝子治療製品・先進医療へ着実に繋げることを目的とする。特に、in vivo遺伝子治療の臨床研究・医師主導治験の支援及び、その準備段階の支援については、重点的な支援を行い、着実な実用化を目指す。

1) 再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に向けた研究の支援

ア. 安全性の確保のための研究

安全性を確保するため、実用化の課題となっている分野（がん化等）に対する研究を支援。



イ. 治療方法探索のための研究

再生・細胞医療を用いた、実用化に近い治療方法に係る臨床研究を支援。



ウ. 多能性幹細胞の臨床応用に向けた細胞特性解析のための研究

臨床に用いる多能性幹細胞が持つ株ごとの細胞特性を解析し、臨床応用の加速化、コスト削減に繋がる研究を支援。



エ. 産学連携による研究

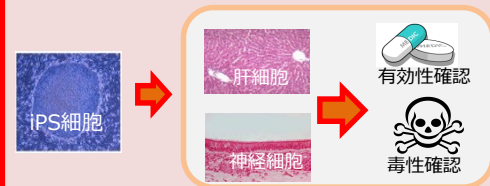
アカデミア発のシーズを、速やかに実用化につなげていくためアカデミアと企業が協力して行う、再生・細胞医療・遺伝子治療に関する研究に対して支援。



2) 創薬応用に向けた研究の支援

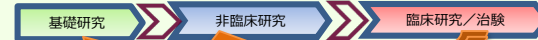
カ. 多能性幹細胞・体性幹細胞等を利用した創薬応用のための研究

臨床研究・治験の移行段階にある医薬品の候補化合物等について、効果的・効率的な研究の実施に向けた安全性評価法等に関する研究開発を支援。



オ. 臨床研究等における課題解決・新たな治療法の開発に係る研究

臨床研究や治験における有効性及び安全性の評価に必要な臨床情報のデータ収集等により、再生医療等の臨床開発における課題を解決し、新たな治療法の確立に繋がる研究を支援。



3) 基盤的支援

研究成果をイ、エの個別事業にフィードバック

キ. 再生医療等技術の効率化のための研究

再生医療の効率化につながる技術の開発・向上や研究プロセスの刷新を図るための研究を支援。



ク. 再生医療等技術の国際展開のための研究

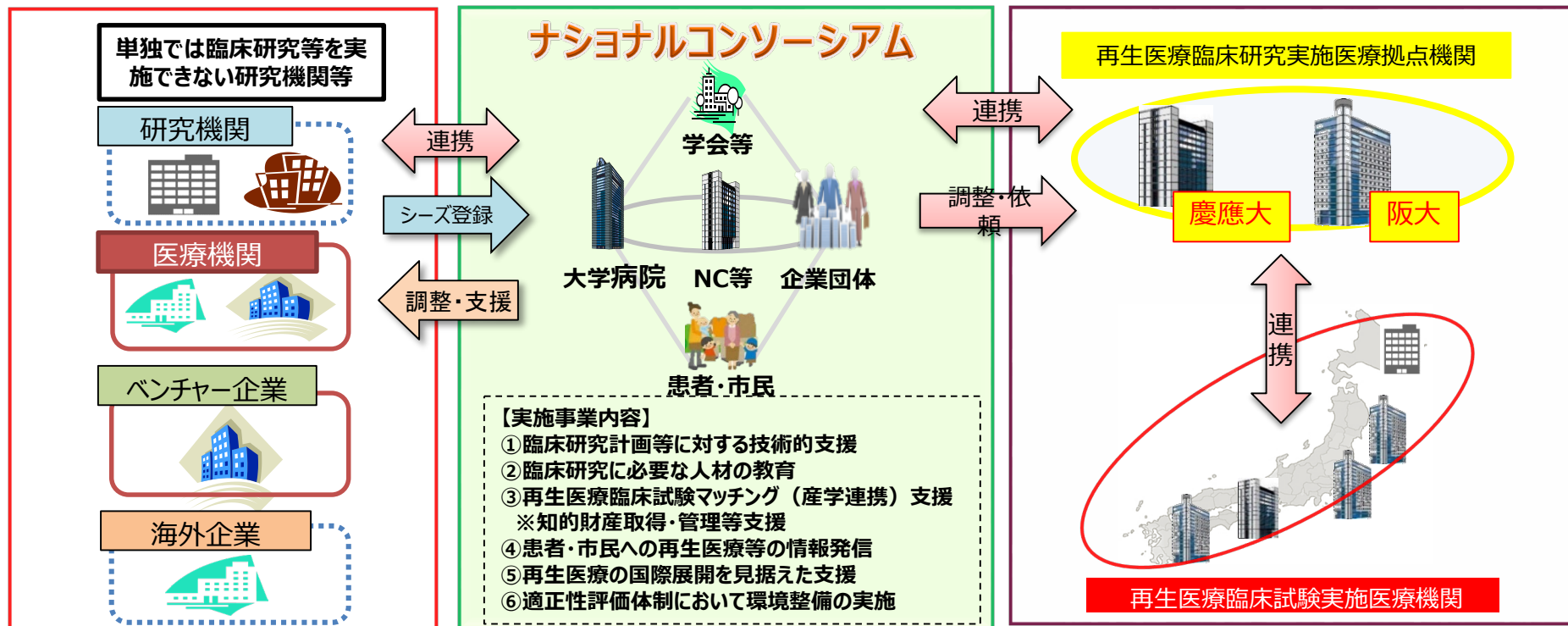
国内での早期実用化を目指して臨床での検証を実施しているところであり、世界的な市場展開も視野に入ってきている段階であるため、製造方法（培養添加物等）や品質管理方法、移送方法（凍結保存液等）の研究を支援。



再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

再生医療等実用化基盤整備促進事業

- 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、①研究計画等に対する技術的支援を行うとともに、研究基盤の更なる底上げを図るため、②臨床研究に必要な人材の教育の体制を強化し、再生医療の実用化を推進する。また、再生医療の知識・経験を有する再生医療臨床試験実施拠点機関といった医療機関等と連携し、③単独での臨床研究が実施困難な国内外の研究機関・ベンチャー企業等と国内の医療機関とのマッチングの支援を行うことや、知的財産取得・管理等に関する戦略的助言、④再生医療等の適切な情報提供をするための患者・市民参画型イベントの開催、⑤再生医療の国際展開を見据えた支援を実施する。なお、令和3年度から構築している⑥再生医療等の安全性・科学的妥当性を科学的に議論・評価する体制において適切な医療を国民が受けられる環境整備を図る。



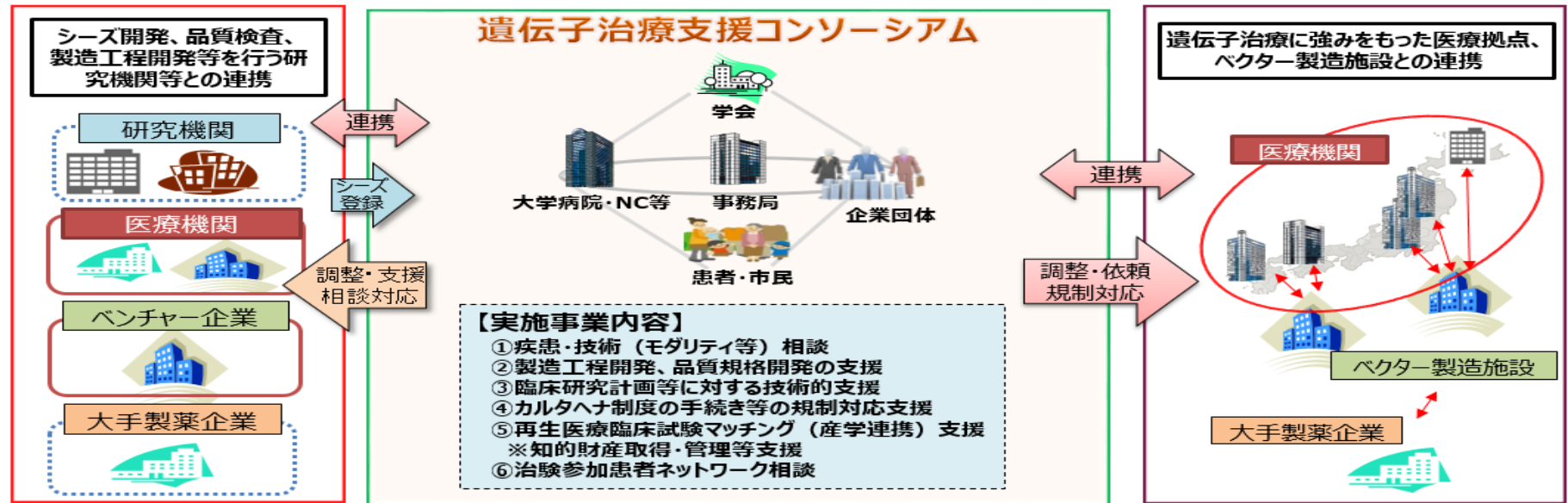
再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト 遺伝子治療実用化基盤整備促進事業

1 事業の目的

- 「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画（令和4年6月7日閣議決定）」において、「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」を進めることとされている。
- in vivo 遺伝子治療は、希少疾患に対する根治治療となりうるためグローバルには多くの製品開発が行われている一方で、我が国では有望なシーズがあるものの、研究開発が進んでおらず、「実用化」を推進するための基盤強化のための取組が急務である。
- 特に、シーズ探索の段階から「実用化」を見据えたベクター開発の必要性が指摘されており、研究開発の初期から製造開発・臨床開発等を支援し、より効率的に「実用化」を推進する枠組みの構築が望まれている。
- 本事業では、その枠組を構築し、製造開発や臨床研究を支援する中で、遺伝子治療の臨床研究に強みを持った病院を増やし、臨床研究に必要な人材への教育支援も行い、オールジャパンで遺伝子治療の研究開発を推進する。
- 具体的には、大学病院や企業団体等の有識者で構成される、遺伝子治療を支援するコンソーシアムを組織する。本コンソーシアムがシーズ開発から研究者の支援を行い、より実用化に向けて効率的なプロセス開発を行えるように支援する。また、知財取得や規制対策支援、治験参加患者ネットワーク支援等、開発から臨床試験まで円滑に進むような支援も行う。

2 事業の概要・スキーム・実施主体等

民間事業者等に対し、事業に要した経費を支出

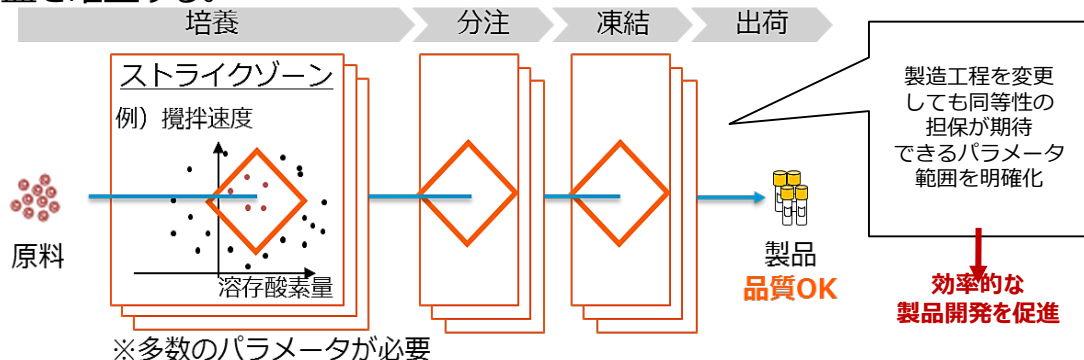


再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤整備事業 【令和5年度当初予算：37億円】

- 再生・細胞医療・遺伝子治療の原料であるヒトの細胞やウイルスは元々均質ではない上に、**製造（培養・精製・加工）も極めて難しく、従来の医薬品のように一定の品質の製品を大量に製造することには大きなハードルがある。**
こうした生産の難しさにより、**価格も高額化。**
- 革新的な研究開発シーズを多くの患者に届け、産業としても成立させるためには、**製造や品質評価の技術の開発が必要不可欠**となっており、本事業ではこうした基盤技術の開発を後押ししている。

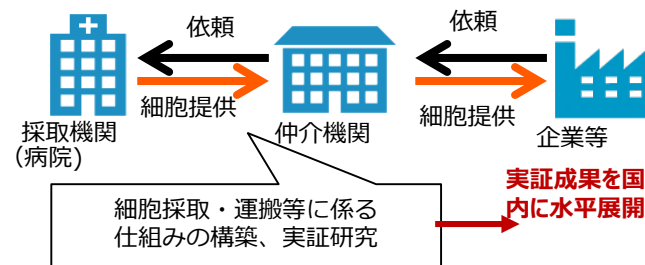
(1) ヒト細胞加工製品製造基盤技術開発

高品質・高均質のヒト細胞加工製品を効率的に製造できるような技術基盤を確立する。



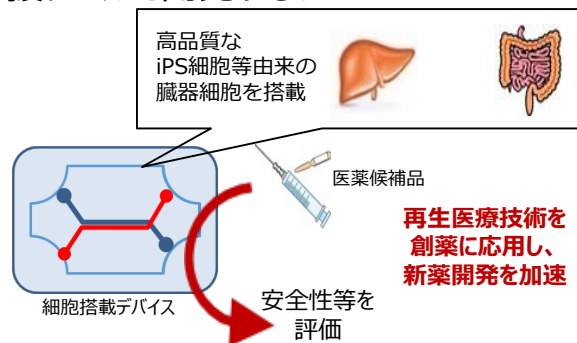
(2) 再生医療用原料細胞安定供給研究開発

品質の確保された細胞原料の採取・運搬等に係る仕組みの構築やそのための手順明確化等に関する実証研究等を行う。



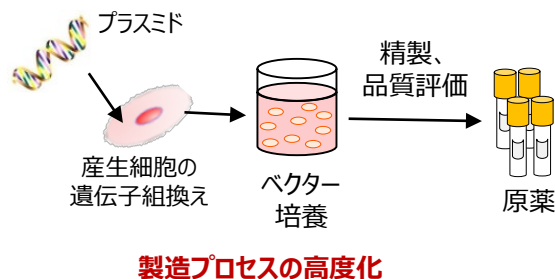
(3) 高度創薬支援ツール基盤技術開発

高品質のiPS細胞等から分化誘導される各種臓器の細胞等を用いた創薬支援ツールを開発する。



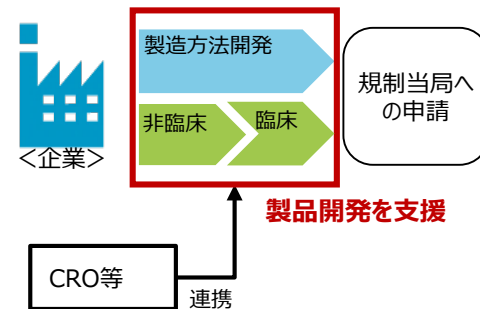
(4) 遺伝子治療製造技術開発

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製造技術等を開発。



(5) 産業化促進研究開発

有望な再生医療シーズの迅速な産業化に向けた製品開発（製造プロセス構築、**新市場開拓**等）を補助。



再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けた環境整備事業【令和4年度補正予算：50億円】

- 再生・細胞医療・遺伝子治療（以下「再生医療」）は、これまで根治が難しかった疾患を治療する技術として、世界的に大きな期待が寄せられており、市場も急速に拡大している分野。一方、優れた製品であるにも関わらず適応症や患者数が限定的となり収益が得られない、自由診療下で治療効果の検証が不十分なまま提供されているといった、社会実装に向けた課題も存在。
- 本事業では、治療効果を科学的・客観的データによって確立し、優れた再生医療を国内外に適切に展開していくための拠点を整備するため、必要な経費を補助する。
- 医療機関や製薬企業、研究機関等が組んだチーム型で応募いただき、最大交付額は15億円／件。

※採択目安：3～5件、補助対象経費：4,993百万円（うち事業費4,800百万円、事務局経費193百万円）



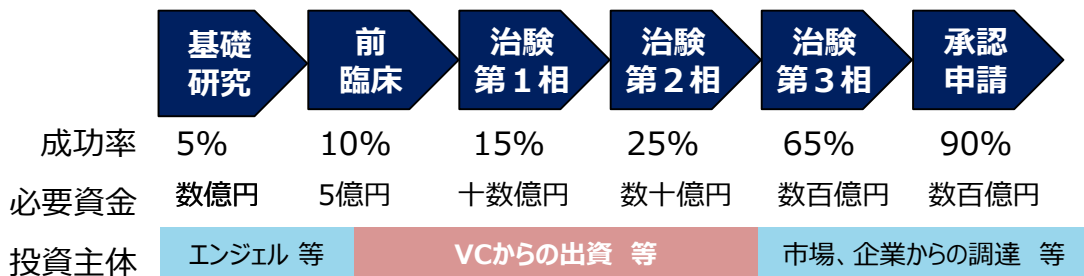
創薬ベンチャーエコシステム強化事業

【令和4年度補正予算:3,000億円】
【令和3年度補正予算:500億円】

- **創薬ベンチャーは**、①開発期間が長い、②開発資金が多額、③成功率が低い、④薬事承認されないと売上げがないなど、ビジネスモデルが特殊で**事業化の難易度が高い**。特に**治験第1相、第2相は、リスクは依然大きい**にもかかわらず、**開発資金が50～100億円**といった規模に跳ね上がる。
- 世界的に新たな医薬品の開発は創薬ベンチャーにシフト。米国に比べて脆弱な**日本の創薬・ベンチャーエコシステムでは、創薬ベンチャーが必要な資金を円滑に調達するのは困難**。

→ 創薬ベンチャーエコシステムを真に強化するため、VCと連携して実用化開発を支援する事業の対象を感染症関連以外にも拡充する。

創薬開発のリスクと資金のイメージ



事業のイメージ

VCの出資を条件に、
民間出資1に対して2倍までの範囲で補助

⇒ 治験費確保の円滑化 + 更なる民間資金の呼び水に

世界の医薬品創薬開発品目数シェア

