

## 第2回再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 議事概要

■日 時：令和2年11月12日（木）15時00分～16時30分

■場 所：中央合同庁舎第4号館4階共用第4特別会議室

■出席者：

議 長：和泉洋人 内閣官房健康・医療戦略室長

構成員：杉野剛 文部科学省研究振興局長

佐原康之 厚生労働省大臣官房危機管理・医務技術総括審議官

笠松淳也 厚生労働省医政局研究開発振興課長〔代理〕

田中哲也 経済産業省商務情報政策局商務・サービスグループ生物  
化学産業課長〔代理〕

五十嵐隆 国立研究開発法人国立成育医療研究センター理事長

岩間厚志 東京大学医科学研究所幹細胞治療研究センター教授

越智光夫 広島大学学長

金田安史 大阪大学理事・副学長

齋藤英彦 独立行政法人国立病院機構名古屋医療センター名誉院長  
／国立研究開発法人日本医療研究開発機構再生・細胞医療・遺伝  
子治療プロジェクトプログラムディレクター

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

オブザーバー：近藤達也 健康・医療戦略参与

森下竜一 健康・医療戦略参与

■議 事：

- 1) 再生・細胞医療・遺伝子治療における課題等について
- 2) 産業界における再生・細胞医療・遺伝子治療分野の取組状況と課題認識について
- 3) その他

■概 要：

冒頭、議長からの挨拶の後、事務局から資料1－1及び資料1－2、畠構成員から資料2の説明があった。各議事における主な意見は以下の通り。

### 1. 再生・細胞医療・遺伝子治療における課題等について【資料1－1、1－2】

#### <再生・細胞医療>

- 低分子薬で再生したい臓器のまわりの環境を変えるというような、細胞を用いない再生医療についても、基礎研究が進展しているので、検討の視点に加えるべきである。
- バイオマテリアルを細胞とどのようにコンビネーションさせていくかに

についても検討すべきである。

- 希少疾患の治療法を見つけることで一般的な疾患の治療法確立につなげるためには、そこに取り組もうとする産業界への支援が必要である。

#### <遺伝子治療>

- ウイルスベクター増殖用細胞の改良、開発についても、検討の視点に追加すべきである。
- ゲノム編集を検討事項に加えてはどうか。
- 医薬品 GMP (Good Manufacturing Practice) レベルでのベクター製造拠点は地域ごとに必要ではないか。地域活性化にもつながると考えられることから、一極集中でないほうが良いと考える。
- 遺伝子治療を進める上で、ベクター製造が一番のボトルネックである。フェーズ 1 試験において患者に投与する少量のベクター製造への対応が必要であるため、橋渡し拠点のいくつかに対し、少量製造施設整備を支援すべきである。
- ベクター製造について、大量生産をするような企業が国内に無いことが一番の問題であり、ベクター製造施設を有する海外企業を買収するだけでは国内にノウハウが残らないので、アカデミアでの製造に加えて、グローバルにベクターを供給できるような企業を育成していくことが重要である。
- 遺伝子治療については、再生医療等製品と同様に、条件及び期限付き承認で運用することもできるようになっているので、その上でこういった点が問題なのかを具体的に示していただきたい。

#### <共通事項>

- 対象疾患は、いろいろな方法で臨床研究を行うことで見えてくるので、リバース・トランスレーショナル・リサーチ (rTR) を活発に行った上で、対象疾患の選択を行っていくことが重要である。
- 遺伝子治療分野が遅れている原因として、フランスのレトロウイルス遺伝子治療による白血病発症事例の影響が考えられる。両分野の研究者同士の連携は、再生・細胞医療分野で ES、iPS 細胞によるがん化が起こった場合の対応という観点からも検討すべきである。
- レギュラトリーサイエンス、知財戦略、オープン・クローズ戦略について、産学官が議論を行う場が必要である。
- ランダム化比較試験 (RCT) について、再生医療の場合は要求していないはずなので、正確な問題意識を伝えてほしい。

### ＜モダリティーの特徴等＞

- 資料１－２について、ex vivo 遺伝子治療の主な対象疾患として遺伝性疾患も追記すべきである。また、in vivo 遺伝子治療の対象臓器・疾患として血管、感染症を追記すべきである。

## 2. 産業界における再生・細胞医療・遺伝子治療分野の取組状況と課題認識について【資料２】

- 日本では、カルタヘナ法によって、治験開始前に詳細情報を要求されることやウイルスベクターが使いにくいことなどが課題となっているため、今後のグローバルな治験への参画も見据え、海外との規制の統一を図ることが重要である。
- 遺伝子治療と細胞医療が融合した製品（CAR-T（キメラ抗原受容体発現 T 細胞）等）は、医薬品医療機器等法では再生医療等製品として扱えるのに対し、臨床研究指針では遺伝子治療と再生医療が別枠になっており不便なので、アカデミアの役割を最大限生かす観点からも、指針を統一することが望ましい。
- RCT について、ヒストリカルコントロールを取ることもある程度許容することや、使用後の改良などについて、規制の考え方を含めて実行しやすい環境を作るべきである。
- 再生医療等製品を作る産業界なしに医療は進まないの、制度面も含め、必要な部分については、産業界に対する国からの支援が必要である。
- 日本の再生医療の法体系と世界との比較について、条件及び期限付き承認制度は、海外から誤解されることもあるが、安全性という観点からは、海外と比べてもそんな色なく、むしろ日本が一番厳しいのではないかと。有効性の観点についても、再生医療等製品には、治験方法が未確立なもの、治験後の改良、手技の影響等があるため、特に手術手技が必要なものについて長期間の結果を包括的に評価する上で、条件及び期限付き承認制度は合理的である。
- 再生医療等製品の早期承認は、欧米にはない日本の PMDA の救済制度を適用することによって実現したものであり、まさにレギュラトリーサイエンスである。課題を正しく評価したうえでどのような規制を構築していくかというレギュラトリーサイエンスを普及させ、産学官が共同で考え、共通認識を持つようにする必要がある。
- 自家と他家、細胞種による違いについて、企業間にもまだ統一した意見はないが、大量生産可能で、品質が安定するものについては、今後他家細胞

に推移していく可能性がある。

- 他家細胞は、がん化リスクがヘッジできる反面、未知の感染症ウイルスのバイオハザードリスクが自家細胞よりも高いので、有用性だけでなく安全性も考え、さらに、製品と医療行為の場合を分けて議論することが必要ではないか。
- アカデミアからの視点では、日本の遺伝子治療が遅れている原因は、研究者が少ないこと、ベクター等の特許の問題、及びベクター大量投与による安全性の問題などではないかと考えられる。
- カルタヘナ法の申請書については、国立成育医療研究センターの貢献によりひな形が作成されたことで、運用上の問題は軽減されたが、仕様評価書の中で、公知のベクターであっても都度申請しなければならない点は簡略化が望まれる。アデノ随伴ウイルス（AAV）ベクターでも、搭載する遺伝子が異なる毎に手続きが必要となるので、包括的な枠組みがあるとよい。また、今後、多数の治験が始まることを踏まえ、AAV ベクターを投与する際に必要な個室管理の期間をある程度包括的に考えておく必要がある。
- カルタヘナ法について、厚生労働省が医療を担当しているが、経済産業省は試薬と工業用製品を担当しており、ベクターが安全であれば供与核酸のバリエーションについては包括的に承認する制度を実施しているので、医療でも参考にさせていただくと柔軟に運用できるのではないか。
- カルタヘナ法の運用改善について具体的に指摘をいただければ、厚生労働省として検討したい。