

第3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3年1月27日（水）15時00分～16時30分

■場所：Web会議システムによるオンライン開催

■出席者：

議長：和泉洋人 内閣官房健康・医療戦略室長

構成員：塩崎正晴 文部科学省大臣官房審議官（研究振興局及び高等教育政策連携担当）〔代理〕

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〕

蓮見由佳 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課長補佐〔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
会会長

オブザーバー：近藤達也 健康・医療戦略参与

中山譲治 健康・医療戦略参与

森下竜一 健康・医療戦略参与

参考人等：澤芳樹 日本再生医療学会理事長

岡野栄之 日本再生医療学会副理事長

藤堂具紀 日本遺伝子細胞治療学会理事長

福原浩 日本遺伝子細胞治療学会副事務局長・理事

三島良直 国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）理事長

■議 事：

- 1）再生・細胞医療・遺伝子治療分野における研究開発に関する取組状況と課題認識について
- 2）再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会における検討の軸について
- 3）その他

■概 要：

冒頭、議長からの挨拶の後、澤芳樹日本再生医療学会理事長から資料1－1、藤堂具紀日本遺伝子細胞治療学会理事長から資料1－2、齋藤構成員から資料1－3に基づき説明があった。その後、事務局から資料2の説明があった。

1. 再生・細胞医療・遺伝子治療分野における研究開発に関する取組状況と課題認識について【資料 1-1、1-2、1-3】

構成員からの質問に対する参考人の補足説明は以下の通り。

＜再生・細胞医療＞

- 再生医療に用いるエクソソームについては、間葉系幹細胞（MSC）由来が基本的なものであり、MSC 特有のポテンシャルもあるが、iPS 細胞から作成した各種分化細胞に由来するエクソソームはより高い効果が期待できる可能性があるため、今後、疾患に応じて広く適応され、従来の低分子化合物による治療効果をカバーするような治療への展開を期待している。
- エクソソーム中に含まれる構成分子についてはヘテロなものでありながら治療効果を示しており、今後、マイクロ RNA 等の構成分子と有効性を詳細に検証することで最終的には治療へつながっていくのではないかと考えている。
- 再生医療等製品を用いるにあたって、従来の治験方針・体制で行える場合は、幅広い医療施設で実施可能であるが、特殊な疾患を対象とする場合や再生医療等安全性確保法の第 1 種のようにリスクと新規性が高いものは、まずは限られた高度医療機関で実施し、その後、段階を追って普及させていく必要があると考えられる。第 2 種、特に第 3 種であれば、多くの医療機関で実施可能であるが、品質管理が重要である。
- my iPS プロジェクトについては、iPS 細胞作成技術の改良に伴い製造期間やコスト等が大幅に短縮されていることから技術的には実現可能であるが、米国等でも同様のプロジェクトが進んでおり、今後世界的にも競争が激しくなる分野であると考えられる。

＜遺伝子治療＞

- ゲノム編集については、カルタヘナ法から除外するのが国際動向であるにもかかわらず、我が国では対象となり得る。外来遺伝子を組み込まない改変もあるが、組み込む場合も、ゲノム編集ではない遺伝子組換え技術と区別する必要があるのかという疑問がある。
- CAR-T 細胞（キメラ抗原受容体発現 T 細胞）療法の将来性については、個別化医療であるためコストと時間がかかること等から、全てのがんに普及するにはハードルがあると考えている。分子標的型の戦略にならざるを得ないため、対象疾患が限られてくるが、今後どのような技術革新が必要なのか、十分な検討の上、生活習慣病のように多くの一般的な患者を対象とする治療法としての展開も期待している。

2. 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会における検討の軸について【資料 2】

主な意見は以下の通り。

<再生・細胞医療>

- 検討の軸を踏まえ、日本再生医療学会が AMED のナショナルコンソーシアム事業で推進してきた、知財戦略・出口戦略を見据えた産学医の共同研究、リバース・トランスレーショナル・リサーチ、臨床情報共有の取組を更に展開したい。特に、再生医療の臨床研究と製品開発の促進、安全性・有効性の保証等を目的として構築しているデータベース「再生医療等データ登録システム（NRMD）」については、リバース・トランスレーショナル・リサーチの強化に資するものであり、発展させていきたい。
- 今後、エクソソーム、間葉系幹細胞などパラクライン効果に基づくものについては安全性を確認しつつ更なる普及を進めて行くことが必要である。さらに、遺伝子治療を組み合わせることによって、導入する細胞の治療効果を高めることや、ダイレクトリプログラミング等により体内に存在する細胞から失われた細胞を再生することなどが重要な観点になると考える。
- 高分子化合物やエクソソームのようなヒト由来の生体高分子を創薬利用しようとする場合には、物質が持つ種特異性によって動物実験では思うような結果が得られない場合が多い。これに対してヒト由来の iPS 細胞を用いて有効性や安全性を試験することにより動物実験を代替できる可能性があるが、PMDA での議論はまだ不十分なので、働きかけをすすめて欲しい。

<遺伝子治療>

- 遺伝子治療領域において、現在の臨床研究の 3 分の 2 はがんを対象としている。ベクター製造や承認申請にコストがかかるという課題を解決して、患者数が少ないが疾患数の多い単一遺伝子疾患に対する遺伝子治療を促進する必要がある。米国では NIH 傘下の National Center for Advancing Translational Sciences (NCATS) が、共通のウイルスベクターを作り、非臨床 POC 取得・安全性試験を行い、遺伝子治療に取り組む企業に提供するというプラットフォームを作り始めている。将来我が国でも同様のプラットフォームができれば単一遺伝子疾患に対する遺伝子治療も進展するのではないかな。

<共通事項>

- 医療実装の基盤となる知財戦略について、刻々と更新される世界の特許がどこまで有効なのかという最新の情報を持つことも重要ではないか。

今後、再生・細胞医療分野及び遺伝子治療分野における我が国の強み、実現時期等を踏まえ、2030 年頃までの研究開発ロードマップに向けて引き続き議論を行うとともに、両分野における規制・制度の課題については、次回協議会において厚生労働省より考え方、整理等について説明を行う予定。