

再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会における検討の軸（案）

再生・細胞医療領域：研究成果の医療実装

（検討の軸）

- ・既存治療に対する優位性又は既存治療がない領域での有効性、コスト、安全面、知財、医療費・社会負担などを考慮した、細胞種別の研究開発の在り方
- ・知財戦略・出口戦略を見据えた産学医共同研究、リバース・トランスレーショナル・リサーチの強化策
- ・臨床情報共有の在り方
- ・大量培養や精製、品質評価・管理手法、輸送保管技術等の製造関連技術開発
- ・規制・制度の検証と運用改善

遺伝子治療領域：市場拡大を見据えた研究開発システムの再構築

（検討の軸）

- ・基礎研究から承認までをシームレスに結びつける、産学官（ベンチャーを含む）共同の研究開発システム（体制・施設・機能）の在り方
- ・国産のベクターやゲノム編集技術の開発
- ・臨床情報共有の在り方
- ・大量培養や精製、品質評価・管理手法、輸送保管技術等の製造関連技術開発
- ・規制・制度の検証と運用改善、国際調和

(参考)

○国内外の開発動向・市場規模予測

- ・再生・細胞医療の開発品は、がん領域が過半を占め自家細胞が主流。がん以外の領域では他家細胞の利用が進展。細胞種では、免疫細胞や幹細胞/前駆細胞を使用した開発品が先行し、iPS 細胞や ES 細胞を使用した開発品は初期段階（iPS は技術が新しく、ES 細胞は倫理的課題が存在）。
- ・遺伝子治療の開発品は、がん領域が中心。in vivo 遺伝子治療においては内分泌・代謝や中枢神経、眼などの遺伝性疾患の開発も活発。ex vivo 遺伝子治療では、造血幹細胞の遺伝子編集による開発も進展。
- ・世界市場規模の予測においては、疾患別では、がんだけでなく、中枢神経や眼、内分泌/代謝領域が市場拡大を牽引。モダリティ別では、細胞移植や in vivo、ex vivo 遺伝子治療が市場拡大を牽引。
- ・2040 年の世界市場約 12 兆円のうち、国産製品はそのうち 1 割程度のシェア（2040 年に約 1 兆円）と予測。現状のままでは、日本企業の遺伝子治療市場拡大は限定的。

○各国政府の動向

- ・英国では、2012 年に細胞治療カタパルトを立ち上げ、臨床研究を中心に支援を開始。2018 年に遺伝子治療領域に拡張し、細胞治療・遺伝子治療カタパルトを設立。大規模 GMP センターを保有し、アカデミアの研究成果の橋渡しネットワークを構築。また、2013 年に再生医療プラットフォームを開始。2018 年より、研究分野と対象疾患を絞った 3 つの再生医療研究拠点を整備し、基礎研究から疾患・領域を意識した臨床開発へ投資を集中。
- ・米国 NIH が再生・遺伝子治療領域に投資している研究のうち、ex vivo 遺伝子治療は 7 割以上を占めている。
- ・米国 NIH による iPS 細胞への投資は継続的に増加。2019 年に iPS 細胞の再生医療への投資縮小があったと同時に、iPS 細胞の病態理解研究への投資が大きく拡大し、全体の投資増加をけん引。

○各省及び AMED の取組状況

- ・第 1 期において、再生医療では、臨床段階への移行数 47 件、製造販売承認件数 5 件、先駆け審査指定制度が 9 件、創薬応用では開発候補品の同定など基礎研究から実用化に向けて着実に進展。国立成育医療研究センターは、ES 細胞から作成した幹細胞を新生児に移植する治験を世界で初めて実施。
- ・文科省が基礎・応用段階、厚労省が実用化・規制対応、経産省が産業発展支援との役割分担の下、AMED が統合的にプロジェクトを推進。
- ・第 2 期医療分野研究開発推進計画においては、「再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト」を 6 つの統合プロジェクトの柱の 1 つとして掲げ、第 1 期の統合プロジェクトになかった遺伝子治療への取組を明記。