

第4回再生・細胞医療・ 遺伝子治療開発協議会	参考資料2
令和3年3月15日	

(第1回再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 資料1)

# 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会について

---

## 1. 位置づけ

- 政府が講ずべき医療分野の研究開発並びにその環境の整備及び成果の普及に関する施策の集中的かつ計画的な推進を図るもの。健康・医療戦略推進本部が、健康・医療戦略に即して策定。
- 第2期計画の期間は、2020～2024年度の5年間。

## 2. 基本的な方針

- 基礎から実用化までの一貫した研究開発： AMEDによる支援を中核とした産学官連携による基礎から実用化まで一貫した研究開発の推進と成果の実用化。
- モダリティ等を軸とした統合プロジェクト推進： モダリティ等を軸に統合プロジェクトを再編し、疾患研究は統合プロジェクトの中で特定の疾患毎に柔軟にマネジメント。予防／診断／治療／予後・QOLにも着目。
- 最先端の研究開発を支える環境の整備： 臨床研究拠点病院等の研究基盤、イノベーション・エコシステム、データ利活用基盤、人材育成、成果実用化のための審査体制の整備等の環境整備を推進。

## 3. 医療分野の研究開発の一体的推進

- 他の資金配分機関、インハウス研究機関、民間企業とも連携しつつ、AMEDによる支援を中核とした研究開発を推進。
- AMED及びインハウス研究機関の医療分野の研究開発について、健康・医療戦略推進本部で一元的に予算要求配分調整。

### 6つの統合プロジェクト(PJ)

- プログラムディレクター(PD)の下で、各省の事業を連携させ、基礎から実用化まで一体的に推進。

#### 医薬品

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創業標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。

#### 医療機器・ヘルスケア

AI・IoT技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化、予防・QOL向上等に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。

#### 再生・細胞医療・遺伝子治療

再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に向け、基礎研究や非臨床・臨床研究、応用研究、必要な基盤構築を行いつつ、分野融合的な研究開発を推進する。

#### ゲノム・データ基盤

ゲノム医療、個別化医療の実現を目指し、ゲノム・データ基盤構築、全ゲノム解析等実行計画の実施、及びこれらの利活用による、ライフステージを俯瞰した疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進する。

#### 疾患基礎研究

医療分野の研究開発への応用を目指し、脳機能、免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。

#### シーズ開発・研究基盤

新規モダリティの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究や国際共同研究を推進する。また、橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院において、シーズの発掘・移転や質の高い臨床研究・治験の実施のための体制や仕組みを整備する。

### ムーンショット型研究開発

- 健康・医療分野においても、実現すれば大きなインパクトが期待される社会課題に対し、CSTIの目標とも十分に連携しつつ、野心的な目標に基づくムーンショット型の研究開発を関係府省が連携して推進。

### インハウス研究開発

- 今後重点的に取り組む研究開発テーマ、AMED等との連携や分担のあり方等について、令和2年度中に検討し、取りまとめる。

### 疾患研究

- 多様な疾患への対応や感染症等への機動的対応のため、統合プロジェクトを横断する形で疾患ごとのコーディネーターによる柔軟なマネジメントを実施。
- 基礎的な研究から実用化まで戦略的・体系的かつ一貫した研究開発が推進されるよう、プロジェクト間連携を常時十分に確保。

【我が国において社会課題となる主な疾患分野での研究開発】

#### がん

がんの本態解明や、がんゲノム情報等の臨床データに基づいた研究開発、個別化治療に資する診断薬・治療薬や免疫療法、遺伝子治療等の新たな治療法実用化まで一貫した研究開発を行う。

#### 生活習慣病

糖尿病、循環器病や腎疾患、免疫アレルギー疾患等の生活習慣病の病態解明や、発症・重症化予防、診断・治療法、予後改善、QOL向上等に資する研究開発を行う。

#### 精神・神経疾患

慢性疼痛の機序解明や精神・神経疾患の診断・治療のための標的分子探索、脳神経の動作原理等解明を進め、客観的診断法・評価法の確立や発症予防に資する研究開発を行う。

#### 老年医学・認知症

薬剤試験対応コホート構築、ゲノム情報等集積により認知症の病態解明、バイオマーカー開発を進め、非薬物療法確立、予防・進行抑制の基盤を整備し、また、老化制御メカニズムの解明研究等を行う。

#### 難病

患者の実態把握から実用化を目指した研究まで切れ目なく支援。病因・病態解明や画期的診断・治療・予防法の開発に資するゲノム・臨床データ等の集積、共有化、再生・細胞医療、遺伝子治療、核酸医薬等による治療法実用化まで一貫した研究開発を行う。研究成果を診断基準・診療ガイドライン等にも活用。

#### 成育

周産期・小児期から生殖期に至る心身の健康や疾患に関する予防・診断、早期介入、治療方法や、女性ホルモン関連疾患、疾患性差・至適薬物療法等の性差にかかわる研究開発を行う。

#### 感染症

新型コロナウイルス感染症等の基礎研究や診断・治療薬・ワクチン等の研究開発、BSL4施設等の感染症研究拠点への支援、アウトブレイクに備えた研究開発基盤やデータ利活用を推進する。

○ 他の資金配分機関等とAMED・インハウス研究機関の間での情報共有・連携を十分に確保できる仕組みを構築。

### 他の資金配分機関

JSPS

JST

NEDO

等

### AMEDの果たすべき役割

- 研究開発・データマネジメント、基金等による産学連携や実用化の支援。
- 研究不正防止の取組や国際戦略の推進。

### 研究開発の環境整備

- 研究基盤整備や先端的研究開発推進人材の育成、研究公正性の確保。
- 法令遵守・ELSI対応、薬事規制の適正運用・レギュラトリーサイエンス。

## 3. 集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策

### 3.1 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発

#### (3) 6つの統合プロジェクト

##### ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト（科技、◎文、厚、経）

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。

特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。

- 再生医療技術の研究段階から臨床実装への一層の推進
- 幹細胞の特性に応じた細胞株の樹立、培養、分化誘導等に関する基礎的な技術
- 疾患特異的iPS細胞の適応拡大に資する研究開発、灌流培養を用いた臓器チップの開発、及びこれらを応用した難病等の病態解明・創薬研究や薬剤代謝等の前臨床試験
- 再生・細胞医療や創薬研究等に用いる細胞原料を含む生体材料や研究資源の品質管理・供給基盤構築
- 細胞組織の三次元化等の臓器再生に関する技術
- 遺伝子治療に関する安全で高生産かつ安価な国産ホスト細胞樹立及び標準的なウイルスベクターの構築
- オフターゲットでの変異発現等の既存の技術課題への対応可能な遺伝子編集技術、及び免疫細胞機能の強化や幹細胞を経ない分化誘導等の、再生・細胞医療と遺伝子治療の融合研究を進めるための基礎的な技術
- 大量培養や精製、品質評価・管理手法等の製造関連技術

# 【参考】再生・細胞医療・遺伝子治療領域（「医療分野研究開発推進計画」抜粋）

## 4. 医療分野研究開発等施策を集中的かつ計画的に推進するために必要な事項

### 4.1 医療分野の研究開発に関する成果目標(KPI)

本計画の推進により本計画の対象期間(2024年度末まで)に達成を目指す成果目標(KPI)を統合プロジェクト毎に以下のとおり設定する。

#### ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

##### <アウトプット>

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・非臨床POCの取得件数 25件(うち遺伝子治療 5件)
- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター175以上)への論文掲載件数 400件

##### ○実用化に関する指標

- ・治験に移行した研究課題数 20件(うち遺伝子治療 2件)

##### (その他管理指標)

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・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

##### ○実用化に関する指標

- ・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)

##### <アウトカム>

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・シーズの他事業への導出件数 30件

##### ○実用化に関する指標

- ・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)
- ・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 2件以上

##### (その他管理指標)

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況

##### ○実用化に関する指標

- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況
- ・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

# 第2期医療分野研究開発推進計画の推進体制について

第24回健康・医療戦略推進専門調査会  
(令和2年8月3日開催)  
【資料3-1】

## 健康・医療戦略推進本部

本部長：内閣総理大臣  
副本部長：内閣官房長官及び健康・医療戦略担当大臣  
本部長：その他国務大臣

- ・健康・医療戦略の案の作成及び実施の推進
- ・医療分野の研究開発の司令塔機能の本部の役割
  - 医療分野研究開発推進計画の作成及び実施の推進
  - 医療分野の研究開発関連予算の総合的な予算要求配分調整 等

政策的助言

専門的調査

本部令第2条

本部令第1条

健康・医療戦略参与会合

健康・医療戦略推進専門調査会

- ・医療関係機関・産業界等の有識者
- ・健康・医療分野の成長戦略
- ・医療分野の研究開発の出口戦略
- 等に関する専門的助言

- ・医療分野の研究開発に関する専門家
- ・医療分野研究開発推進計画の作成及び実施の推進に関する調査・検討

## 健康・医療戦略推進会議

本部令第2条

議長：健康・医療戦略担当大臣  
議長代行：健康・医療戦略担当大臣を補佐する内閣府副大臣  
副議長：健康・医療戦略担当大臣を補佐する内閣府大臣政務官及び内閣総理大臣補佐官（健康・医療戦略室長）  
構成員：関係府省局長クラス

【第1期】



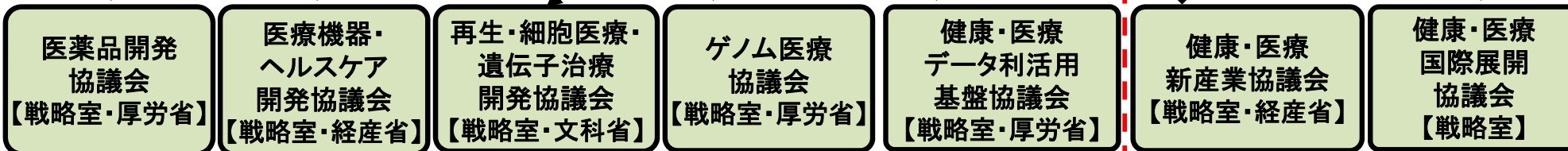
充実

充実

新設

統合

【第2期】



R2.7.29設置

R2.7.29設置

R2.7.29設置

R1.10.11設置

調整中

R2.7.29設置

R2.7.29設置

R2.7.29 一部改正

医療分野研究開発推進計画関連の協議会



## 5.施策の推進

### ○推進本部の取組

- 推進本部の下に、必要に応じ、研究開発、新産業創出等の各論に係る協議会を設置し、その検討内容に応じた産学官の幅広い関係者の参画を得て、関連施策のフォローアップや検討を行う。とりわけ研究開発に関しては、統合プロジェクトを踏まえた協議会を設置し、推進する重点領域や、人材、データ利活用等の環境の整備も含めて検討を行う。

## ○検討事項(案)

再生・細胞医療・遺伝子治療領域において、

- ① 戦略・計画の掲げる2024年(令和6年)度までの目標達成に向けた課題と今後の対応
- ② 国内外の研究開発動向の変化、市場分析、将来予測等を踏まえた、概ね2030年頃までの研究開発ロードマップ(国及び企業の投資ターゲットや施策・制度面で必要な対応・時期を明確化)

をとりまとめることとしてはどうか。