

# 「再生・細胞医療・遺伝子治療事業(文/厚/経)」支援課題(抜粋)の進捗状況

文科省(厚労省・経産省)作成資料

(令和3年2月末時点)

第4回再生・細胞医療・  
遺伝子治療開発協議会

参考資料4

令和3年3月15日

対象疾患	再生・細胞医療・遺伝子治療								iPS創薬		
	眼	神経	循環器	消化管・肝・膵	骨・軟・関節	血液・免疫	その他	がん	創薬(薬剤名)又は病態解明を目指す疾患		
臨床応用に至った研究・開発 再生医療等製品名			重症心不全 【H27年9月条件及び期限付き承認】 ~H29		膝関節の軟骨疾患 ジャック® 【H24年7月承認】 ~H30	急性移植片対宿主病 テムセル®HS注 【H27年9月承認】 ~H27		子宮頸がん TIL療法 【R2年12月先進医療承認】			
臨床研究/治験の初回を完了した研究・開発	加齢黄斑変性 加齢黄斑変性 水疱性角膜炎	低酸素脳症	左室低形成症候群 ~H27 重症下肢虚血 ~H28	術後食道狭窄 ~H29 肝硬変 ~H28	半月板損傷 軟骨欠損 難治性骨折 ~H28	骨軟骨炎・骨折 ~H28	難治性四肢潰瘍 ~H29 腹圧性尿失禁 ~H30 中耳炎 ~H30 口唇口蓋裂 ~H28 表皮水疱症 ~H30 歯周病 ~H28	成人T細胞白血病 脊索腫他 再発性芽腫			
臨床研究/治験を開始した研究・開発	角膜上皮幹細胞疲弊症 網膜色素変性症 網膜色素変性症	パーキンソン病 亜急性期脊髄損傷 脳梗塞 脳梗塞 ~H28 脊髄損傷 ~H28 筋萎縮性側索硬化症 ~H28	心不全 心不全 虚血性心筋症 急性心筋梗塞 ~H28 末期腎不全(シャント再建)	潰瘍性大腸炎 食道狭窄 肝硬変 ~H30 肝硬変 ~H27 クローン病 ~H30 がん術後消化管閉塞 肝硬変 ~H29 代謝性肝疾患	軟骨損傷・欠損 膝関節軟骨損傷 膝軟骨欠損 ~H27 膝軟骨損傷 ~H27 変形性膝関節症	膝関節軟骨損傷 関節軟骨欠損 ~H28 低フォスファターゼ症 変形性膝関節症	血小板減少症 移植物対宿主病 原発性免疫不全症 ~H30 生体肝移植時免疫寛容	菌周病 家族性高コレステロール血症 先天性代謝異常 ~H30	卵巣がん 悪性リンパ腫 急性骨髄性白血病他 がん 十二指腸腫瘍	進行性骨化性線維異形成症(シロリムス) 筋萎縮性側索硬化症(ロビニロール塩酸塩) ベントレドール症候群(シロリムス) 筋萎縮性側索硬化症(ボスチニブ) ※ iPS創薬における研究課題は、①から橋渡されて、厚労省の「難治性疾患実用化研究事業」又は「臨床研究・治験推進研究事業」にて医師主導治験が支援。 ※ 令和2年7月末時点の進捗で記す。	
非臨床研究	水疱性角膜炎	慢性期不全脊髄損傷 筋萎縮性側索硬化症	閉塞性動脈硬化症 下肢虚血	肝疾患 代謝性肝疾患・肝硬変 糖尿病	変形性膝関節症 骨折		家族性高コレステロール血症 熱傷創 ニーマンピック病 筋ジストロフィー	成人T細胞白血病/リンパ腫 卵巣がん 難治がん 悪性軟部腫瘍 悪性中皮腫			
応用研究 非臨床POC取得まで	ドライアイ 網膜色素変性症 ~R01	脳梗塞 慢性期完全脊髄損傷 脊髄小脳変性症 脳梗塞 遺伝性難聴 筋萎縮性側索硬化症 筋萎縮性側索硬化症	心筋症 拡張型心筋症 ファブリー病/拡張型心筋症	糖尿病 ~H29 肝硬変 ~H29 肝硬変 クローン病 肝線維症 肝硬変			血液疾患 高IgE症候群 高IgM症候群	筋ジストロフィー LOH症候群 下垂体機能低下症 慢性腎臓病 低コンプライアンス膀胱 腰部脊柱管狭窄症	子宮頸がん	精神・神経疾患 骨・軟骨疾患 筋疾患 下垂体疾患 致死性不整脈を起こす心筋症 早老症 遺伝性腎疾患 ダウン症	血液・免疫疾患 呼吸器疾患 軟骨無形成 ~H28 心筋症 内分泌・代謝疾患 てんかん性脳症 拡張型心筋症
基礎研究		脳梗塞 自閉スペクトラム症 脳疾患 脳梗塞 ~H30	心筋梗塞後の心不全(心筋リプログラミング) 心疾患(心筋の成熟化を誘導) ~H30	糖尿病 潰瘍性大腸炎 肝線維化 1型糖尿病	軟骨組織		血液疾患 ~H30 移植時免疫制御 血小板減少症 造血幹細胞輸血	難治性呼吸器疾患 韧带損傷 腎不全 ~H30 皮膚潰瘍	肺がん	臓器線維症 成育期疾患 ミトコンドリア病 先天性代謝異常	肝線維化 ~H30 運動神経疾患 無虹彩症 心疾患
基盤整備	国内医療機関からのヒト(同種)体性幹細胞原料の安定供給モデル事業		再生医療産業化促進基盤整備			再生医療臨床研究促進基盤整備事業		再生医療技術を用いた創薬支援基盤技術の開発		疾患特異的iPS細胞バンク事業	
	QbDに基づく再生医療等製品製造の基盤開発事業		遺伝子治療製造技術開発			再生医療用iPS細胞ストック拠点					

種別分類:

細胞: 他家iPS細胞を用いた課題 | 自家iPS細胞を用いた課題 | ES細胞を用いた課題 | 体性(幹)細胞を用いた課題 | ダイレクトリプログラミング技術を用いた課題 | 疾患特異的iPS細胞を用いた課題

ベクター: ex vivo 遺伝子治療課題(ウイルス) | ex vivo 遺伝子治療課題(非ウイルス) | in vivo 遺伝子治療課題 | ゲノム編集技術を用いた課題

事業別分類:

① 文部科学省  
再生医療実現拠点ネットワークプログラム

② 厚生労働省  
再生医療実用化研究事業  
再生医療臨床研究促進基盤整備事業  
革新的がん医療実用化研究事業  
難治性疾患実用化研究事業

①から②に連携・橋渡し

③ 経済産業省  
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

①または②が③と連携

注1:AMEDで支援する再生・細胞医療・遺伝子治療に関する課題のうち、①②③に記載されている事業で支援している課題を抜粋して記載 注2:支援が終了した課題は、支援終了年度(末尾に付随する~H数字)における進捗状況で記す