

第8回再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 議事概要

○日 時：2022年5月31日（火）10時00分～11時30分

○場 所：Web開催（事務局：中央合同庁舎第4号館12階全省庁共用1208特別会議室）

○出席者：

議長	松尾 泰樹	内閣府 科学技術・イノベーション推進事務局長
議長代行	八神 敦雄	内閣府 健康・医療戦略推進事務局長
構成員	池田 貴城	文部科学省 研究振興局長
	佐々木 昌弘	厚生労働省 大臣官房 厚生科学課長 (大臣官房 危機管理・医務技術総括審議官 代理)
	伊原 和人	厚生労働省 医政局長
	田中 一成	経済産業省 商務・サービスグループ 商務・サービス政策統括調整官 (大臣官房 商務・サービス審議官 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
	永井 良三	自治医科大学 学長 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
参考人	小野寺 雅史	国立研究開発法人国立成育医療研究センター成育遺伝研究部部長
オブザーバー	笠貫 宏	健康・医療戦略参与
	三島 良直	国立研究開発法人日本医療研究開発機構 理事長

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 定刻となりましたので、ただいまから第8回「再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会」を開会いたします。

本日は、御多忙の中、御参集いただきまして、ありがとうございます。

今回も、新型コロナウイルス感染症の感染拡大防止のため、オンラインでの開催となっております。

本日、構成員は全員御出席となっております。

また、議題1の関係で、国立成育医療研究センター成育遺伝研究部部長の小野寺雅史様が御出席です。また、オブザーバーとして、笠貫健康・医療戦略参与、それから、三島AMED理事長が御出席です。

それでは、議事に入る前に、本日の資料の確認をさせていただきます。事務局より説明をお願いします。

○神田健康・医療戦略推進事務局参事官 事務局です。

本日の資料は、議事次第に記載しておりますとおり、資料1～4、それから、参考資料1～3までございます。事前にメールで送付しておりますので、御確認いただきますようよろしくお願いいたします。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 それでは、議長であります内閣府科学技術・イノベーション推進事務局長の松尾より開会の御挨拶をさせていただきます。

○松尾科学技術・イノベーション推進事務局長 今、御紹介いただきました内閣府の松尾でございます。

先月開催いたしました第7回再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会におきまして、今後の再生・細胞医療、そして、遺伝子治療の方向性を御議論いただきました。その中で、実用化の推進、再生・細胞医療と遺伝子治療の融合、そして、革新的研究開発といった3つの柱を示していただきました。この方向性を踏まえまして、関係省庁において、その対応について検討を進めていただいております。その結果につきまして、今日は文部科学省及び経済産業省から御報告をいただきたいと思いますと思っております。

また、遺伝子治療の現状と課題及び今後必要な事項について、五十嵐構成員から御紹介いただきました、国立成育医療研究センターの小野寺先生からもプレゼンをいただく予定としております。

これらを踏まえまして、本日は協議会の議論のまとめを御審議いただきたいと思いますと思っております。その上で、6月にも決定されます、政府の成長戦略であります新しい資本主義実行計画、また、健康・医療戦略推進本部で決定します令和5年度の資源配分の方針等々にも反映させていただきたいと思っております。

日本の再生・細胞医療・遺伝子治療の研究が着実に進展し、いち早く社会に実装されること。これを還元できるように、皆様方におかれましては忌憚のない意見をいただければありがたいと思っております。そして、関係省庁及びAMEDにおきましては、この議論を踏まえましてしっかりと今後取り組んでいただくようお願いしたいと思います。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 それでは、議事に入らせていただきます。

議題1でございますけれども「遺伝子治療領域における課題について」で、本日は、五十嵐構成員からの御紹介で、国立成育医療研究センターの小野寺部長から、これまでの御検討の結果を取りまとめられた遺伝子治療領域における課題、必要な機能などについて御紹介いただくことになってございます。

小野寺部長は、これまでに長年にわたって遺伝子治療の実施してこられまして、政府の委員会の委員ですとか、その他、関係の業務に関わっていらしております。

それでは、小野寺部長、御説明のほど、よろしくお願いいたします。

○小野寺部長 国立成育医療研究センターの小野寺です。最初に、このような発表の機会をお与え下さり、誠にありがとうございます。

まず、本日の内容に関してですが、今、御紹介がありましたように、私はおよそ30年近く遺伝子治療に関わって参りました。実際、1995年の北海道大学でのADA欠損症に対する遺伝子治療にも関与しております。

ただ、なかなか国内の遺伝子治療が思ったようには進まず、また、私が小児科医でもあり、私の診ていた患者さんを海外の医療機関に送って遺伝子治療を受けて頂いたという苦い経験もあることから、ここは少し自分なりの考えをまとめて、何かの形でお役に立てればと思い、よく意見交換をさせていただいている先生とともに今年2月に「日本の遺伝子治療を考える有志の会」をつくりました。そして、これまで6回にわたりいろいろと議論を進めて参りまして、本日、その内容を発表したいと思います。なお、今回の発表はあくまでも「有志の会」の話し合いの内容をまとめたものであり、少しでも御出席の先生の参考になればとの程度のものであることをご理解頂ければ幸いです。

まずは遺伝子治療の現状ですが、CAR-T細胞療法を始め本当に多くの遺伝子治療用製品が国内外で開発されております。Worldwideでの遺伝子細胞治療の動向を調査しているWill社のHP (<https://a873679.fmphost.com/fmi/webd/GTCT>) では、2021年の段階で3,180例の遺伝子細胞治療の臨床試験が報告されております。なお、その大半はがんに対する遺伝子細胞治療ですが、私が関係するような単一遺伝子病も370例報告され、その数は感染症や心血管系を凌いでおります。また、これまでに承認された遺伝子治療用製品ですが、in vivo遺伝子治療で6製品、CAR-T細胞療法を含めたex vivo遺伝子治療で11製品が承認されています。ただ、国内で開発された遺伝子治療用製品はコラテジェンとデリタクト 2製品であり、基本的に海外で開発された遺伝子治療用製品を国内で使用するとその莫大な医療費が海外に流出するというのも事実です。

そこで、まず、スライド1を御覧ください。

現在、再生医療等製品は、大きく細胞加工製品と遺伝子治療用製品に分類され、前者には自己・同種体細胞由来製品やiPS細胞、ES細胞由来製品が含まれます。後者にはプラスミドやウイルスベクターなどが含まれ、最近、新型コロナワクチンで有名となったmRNAも遺伝子発現治療製品として遺伝子治療用製品に含まれています。

一方、その中間に位置する製品も存在し、それが中央に記載しているCAR-T細胞療法等の遺伝子改変細胞由来の製品で、今後、機能的あるいは安全性の観点から、何らかの遺伝子を導入した細胞加工製品が新たな再生医療等製品として開発されることが予想されます。なお、この点は、第7回再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会で議論となりました再生・細胞医療と遺伝子治療の融合を意味し、今後は細胞治療に新たな付加価値を与える意味で、

遺伝子を導入した細胞の製品化が新たな価値の創出を生むのではないかと考えております。

次に、国内の課題を整理したいと思います。スライド2を御覧ください。

基本的に遺伝子治療用製品の開発はほぼ医薬品の開発と同様で、まず、シーズ開発があり、その製造方法や規格を決定し、非臨床安全性試験を行い、安全性が確認された段階で治験を実施する。そして、その結果に基づき有効性が評価されれば製造販売承認を受け、製品の商品化が決定されるとの流れになっております。このように、遺伝子治療用製品の開発は「シーズ開発」、「製造・規格・非臨床試験・治験」ならびに「製造販売後」の3つに大きく区分することができます。ただ、遺伝子治療用製品では主にウイルスベクターが使われ、また、CAR-T細胞療法のような細胞加工製品では患者由来細胞を用いることからその原材料として資材（研究材料）に非常な不均一性があり、この点からこれまでの医薬品開発とは大きく異なり、種々の問題が発生すると思われます。

それでは、各区分における問題点を考えたいと思います。まず、シーズ開発に関わるアカデミアの領域ですがここには複数問題点がありますが、やはりその最大の問題点は開発する研究者が医薬品開発工程を十分に理解していないことだと思います。そのため開発工程において得られた結果に信頼性が担保されていないのが現状です。具体的に説明しますと、近年、欧米では新たなシーズ開発においてその非臨床試験を行う場合でも品質が担保された資材を用いて安全性や有効性（POC）を証明しており、その結果を学術論文として投稿しています。一方、国内のアカデミアの論文は品質が担保されていない資材を用いて実施されたものが多く、その研究結果を用いて論文化しているためシーズが企業に移管した際、企業側は再度、品質の担保された資材を用いて改めてPOCを確認する必要があり、まさに二度手間の状態になっております。また、時には企業で再現性が取れず、その研究開発を断念することもあります。

企業側におきましても「遺伝子治療に馴染みがない」ですとか、「ウイルスベクターの取扱いに抵抗がある」、あるいは「ウイルスベクター製造設備が高額である」との意見があり、また、国内の遺伝子治療に関するバイオベンチャーが不足していることから海外のCMOへの製造を委託したり、時には海外のCDMOを買収することも実際に行われています。

次に、製造・品質に対する問題点です。何らかの形でシーズ開発がなされ、いよいよ製造に移行するわけですが、基本的に製造工程はアカデミア、バイオベンチャー、大手企業で大きく異なり、Phase I、Phase II、Phase IIIと移行する度に患者数が増加し、それに合わせて製造規模が拡大されていくことになります。特に、遺伝子治療用製品においては培養する細胞数が増加し、その後の精製工程も全く違うものとなります。たとえば、Phase I/II相ではフラスコを用いて培養していたものが、Phase IIIになると2,000Lのバイオリアクターを5台、10台と使いながら大量のウイルスベクターを製造していく作業工程に変化していきます。ただ、そこで問題になるのが、このスケールアップの段階での前後関係、すなわち、製造工程のシームレス化を図る必要があり、製造変更に伴う同等性・同質性を担保していく必要があります。同時に、その同等性・同質性を評価する特性解析の決定も重要

な課題となっております。さらにアカデミアと企業の製造方法が異なる場合、アカデミアでの製造工程を企業側に移行した場合、同等性・同質性が担保できず製造が停止することがあり、この製造工程に関する技術移管（テックトランスファー）をどのように行うかも重要な案件となっております。これに対して欧米では、これまで30年の製造の経験があり、同時にFDA/EMA等の規制当局とアカデミア、企業がコンソーシアムを形成して、各々の問題点に対するコンセプトンペーパーを作成し、いかにシームレス化を保ちながら製造規模の拡張を図っていくかを検討しております。

最後に、製造販売後承認後の課題です。まず、これまで述べてきたように市販後は医薬品の安定供給の観点から大量製造を可能とする大手企業による製造プラントの設置が必要です。また、ウイルスベクターを使用した場合は環境への影響評価、すなわちカルタヘナ法への対応が必要であり、これら遺伝子治療用製品の管理・使用を適切に行える専門病院の設置が必要です。そして、治療後の安全性評価（市販後調査）を行い、長期にわたる患者フォローも必要です。あと、遺伝子治療用製品の高額化も問題となっていますから、この辺の対応も検討して行く必要はあります。

これらのことを考えますと、各工程に対する個別の解決策を提示しても全体としてはうまく進まないと思われ、スライド3に示すように遺伝子治療開発の全工程、すなわち、シーズ開発、製造・規格、非臨床試験、治験、マーケティングに関する戦略を包括的に判断（プロセス診断）できる体制が国内に必要ではないかと考える次第です。

それでは、私たちが考えた国内で遺伝子治療用製品開発のための必須3要素を説明させていただきます。

まず、1つ目はベクター開発支援です。これは現時点ではウイルスベクターの製造を考えておりますが、AAVやLVベクターの製造や非臨床試験の実施を支援するところです。特に重要なのは、製造に関して国内規制のみではなく、FDA/EMA等の海外の規制にも対応できる製造工程開発を行うことです。なお、できればアカデミアの先生が何らかの研究費を獲得した段階から、シーズ開発のためにコンサルテーションを受けて頂くことが重要で、そのベクターの製造工程開発や非臨床試験の充足性を一緒に検討することで確実な研究開発が進められると思います。なお、製造施設の設置はかなり高額ですが、Phase I/II程度に対応できる小規模の公的なGMP製造施設はあった方が良く思っております。これは単に高額な企業委託を回避できるのみではなく、先ほどお話した技術移管（テックトランスファー）にもうまく対応できるためです。

2番目は臨床研究開発支援です。これはどちらかというとソフトの面ですが、国内外の遺伝子治療用製品の開発規制に精通している担当者による臨床プロトコル作成支援です。また、治験実施に関する臨床薬理の問題や患者登録、モニタリング等の支援を行うことです。

3番目は実際に遺伝子細胞治療を行う医療機関に関してです。ここでは拠点病院とよびますが、この拠点病院は特殊な遺伝子治療用製品を扱う治療を確実に実施できることが求

められます。特に、遺伝子治療の場合、その対象疾患が全身臓器に及びますので、たとえば目の疾患とか心臓の疾患等に関してはその対象疾患に精通しており、標準的な並びに先進的医療の実施が可能で、何らかの重篤な不具合が発症した際にはその対応を含めた処置が行える集中治療室を有する総合的な医療機関が求められます。さらに使用するベクターがウイルス由来製品が多いため、カルタヘナ法を含めた遺伝子治療用製品を適切に管理・使用できる医療機関が求められます。そして、治験実施施設としてその事務能力を有し、国内外の遺伝子治療に関する情報を適切に収集、評価、対応できる場所であることが求められます。なお、これらの観点から遺伝子細胞治療に関する専門的な知識を有する医療スタッフは必要であり、今後もこれら先進医療継続のために次世代の育成は重要であり、たとえばon-site trainingを含めた若いスタッフに対してこれら技術の習得のための教育的機能を有し、情報公開の積極的に行える医療機関の設置が必要と考えます。

このように私は3つの案を提示しましたが、最も重要な点はこれら各項目が独立して存在するのではなく、1つの合議体として機能することが重要で、遺伝子細胞治療の開発を一貫性を持ってシームレスに支えていける体制整備が必要であると考えます。

私の発表は以上です。御清聴ありがとうございました。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長　ありがとうございました。

それでは、御質問、御意見を賜りたいと思いますけれども、最初に、五十嵐構成員から補足等、御発言はありますでしょうか。

○五十嵐構成員　小野寺部長に話をする機会を与えていただきましてありがとうございます。

私からは、2点申し上げたいと思います。

一つは、既に皆さんは御存じかと思いますが、英国や米国では遺伝子治療に投入される研究予算が再生医療よりも今は多い状況になっています。そして、市場予測も遺伝子治療ははるかに多いという予測が今は出ています。

そういう中で、今、部長がお話しになりましたように、統合的に遺伝子治療を推進するための国の指導によるプロジェクトあるいは機関が英国あるいは米国にはできていて、国を挙げて推進している状況になっています。それに比べると、日本はまだそういう取組が少ないのではないかと感じているところです。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長　ありがとうございます。

それでは、御質問、御意見など、構成員の皆様方からありましたらよろしく願いいたします。

金田構成員、お願いいたします。

○金田構成員　小野寺先生、どうもありがとうございます。

先生とは長く遺伝子治療の活性化に関して議論させていただいて、これをまとめていただいて、そのとおりに思っております。特に開発工程における課題はおっしゃるとおりだと思っています。

私は2つ御質問というか、今日の話とはずれるので申し訳ないのですが、やはり最も重要な一つは、五十嵐先生がおっしゃった予算のこともあります。先生が2番目のスライドの「アカデミア」の最初に書いておられる「遺伝子治療での研究者が少なく人材が育たない」。だから、そういうところに対してどういうふうにすればいいのかというのが一つ。

もう一つは、先生が最後におっしゃった遺伝子細胞拠点病院はいい発想ではあるのですが、現実を考えれば、特定臨床研究とか医師主導治験等にかかなり専門性が問われる。そういうものが橋渡し拠点として幾つか育ってきておりますので、現実的にはそういうところと遺伝子治療の専門家とがうまく連携する。そういったことが必要なのではないかと。これだけの病院はなかなか難しいのではないかと思います。以上、いかがでしょうか。

○小野寺部長 まず、先生がおっしゃるとおりだと思います。問題はいかに遺伝子細胞治療に関わる人材を育成していくかだと思います。なお、本日は説明しませんでした。最終的には関連学会ですとか規制としてのPMDAと一緒に遺伝子細胞治療に関わる方向性を、拠点病院からの公開されたデータを基にガイドラインですとかガイダンスを作成する予定で、その点からも関連学会を含めたアカデミアの先生と共に若手に人材育成プログラムも作成できるのではないかと考えます。また、これまで述べてきたことですが、遺伝子治療に関わる若手研究者の発見したシーズをこの体制の下にその研究者と一緒に開発することで若手研究者の育成を促進できるのではないかと考えております。

最後に、3番目の先生の質問に関してですが、これは先生がおっしゃるとおりであえて遺伝子治療のための拠点病院設置は必要ではなく、遺伝子治療実施に関して一定の能力を有する総合的な医療機関（中核病院等）で代替できると思います。ただ、拠点病院として重要なのは適切な遺伝子治療用製品の治験を実施できる医療機関であり、その医療機関で実施した治験を基に新たなガイダンス等、たとえば再生医療等製品でみられる最適治療推進ガイドラインのようなものを作成し、そのガイダンス等を用いて全国どこでも安全な遺伝子細胞治療が実施できればと考えております。

○金田構成員 ありがとうございます。了解しました。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 ほかはいかがでしょうか。

それでは、ありがとうございました。また、この後、全体の議論の中で戻って御質問などをいただいても結構かと思います。

それでは、次の議題に移らせていただきます。

議題2としまして、文部科学省の検討会でこれまで議論されてきた結果ということで「再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会の議論の取りまとめについて」、資料2に基づいて文部科学省より御説明をよろしくお願いいたします。

○池田文部科学省研究振興局長 文部科学省研究振興局長の池田でございます。よろしくお願いいたします。資料2に基づきまして、再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会における議論の取りまとめについて御説明させていただきます。これは概要でございます。

まず、1 ページ目を御覧ください。1 ページ目は、文科省における支援策のこれまでの経緯と現状です。

「再生医療の実現化プロジェクト」を平成15年度より開始して、平成24年度までの2期10年間の支援を実施してきております。その後、山中先生が平成24年度にノーベル賞を受賞したことを受け、再生医療の実用化に向け、iPS細胞を含む幹細胞・再生医学研究を加速するため、平成25年度から10か年で令和4年度まで、今年度までの事業として、太い赤枠で囲っております再生医療実現拠点ネットワークプログラムを開始して、本年度が最終年度を迎えるということでございます。

2 ページ目を御覧ください。文部科学省で開催いたしました検討会の概要についてでございます。

この検討会につきましては、本協議会の第5回でも御説明させていただいておりますが、このプログラム終了後の令和5年度以降の再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方について検討するため、昨年5月からスタートし、計8回にわたって開催いたしました。検討会の委員も出ておりますが、本協議会の構成員でもある岩間先生、畠先生にも御参画いただいております。

3 ページ目を御覧ください。先週5月27日に第8回が行われまして、この8回目の検討会で報告書の取りまとめを行っております。ここからは報告書の内容について御説明させていただきます。

まず、前段として、国内外の動向について整理しております。世界における再生・細胞医療・遺伝子治療分野の研究開発は活発化しており、左側のグラフのとおり、市場規模は令和22年には令和2年時点の20倍になると推計されております。アメリカでは、右側のグラフのとおり、NIHによるiPS細胞関連研究への支援が継続的に増加してきております。また、アメリカではex vivo遺伝子治療研究への支援は、この分野のNIHの支援の約7割以上となっている状況でございます。

一方、我が国の研究開発の成果といたしましては、一番下のところにありますけれども、論文につきましては、iPS細胞研究は世界第2位、ES細胞研究はアメリカ、中国、イギリスに次いで4位となっている一方で、遺伝子治療研究のシェアはごくわずかでございます。また、iPS細胞研究の国際的な特許出願動向については、近年も増加傾向にあり、世界第2位となっております。

次に、4 ページを御覧いただきたいと思います。これまでの再生医療実現拠点ネットワークプログラムの成果についてまとめております。

まず、iPS細胞中核拠点についてでございますが、この拠点である京都大学におきましては、iPS細胞の初期化メカニズムの解明等の基礎研究、安全性の高いiPS細胞作製に向けた基盤技術の確立に向けた研究等が行われました。また、免疫拒絶反応が起こりにくいと考えられる細胞の型を有した血液等から再生医療用iPS細胞を作り、日本人の人口の約40%に適合するiPS細胞ストックを整備いたしました。

次に、疾患・組織別実用化研究拠点につきましては、世界トップレベルの研究開発を支える多数の研究拠点・研究基盤を整備しております。御覧いただいておりますとおり、当該拠点で実施した多数の研究が臨床研究・治験段階に進展しております。

さらに、iPS創薬促進のため、理化学研究所に患者由来のiPS細胞バンクを構築いたしております。また、疾患iPS細胞の活用により、多数の治療薬候補の同定や治療薬候補の治験につながっています。

5 ページ目を御覧ください。今年度で終了する再生医療実現拠点ネットワークプログラムにつきまして、文部科学省における研究及び開発に関する評価指針を踏まえて、事後評価委員会におきまして評価を実施した結果をこのページにまとめております。

具体的には、ここに並べてありますけれども、この再生医療実現拠点ネットワークプログラムは、意義の高い成果を創出した一方で「患者さんが臨床でその恩恵にあずかることができる」までには、まだ幾つかのステップがあり、切れ目ない研究支援が重要であるという指摘。

それから、異分野の研究者や産業界の参入が十分とは言えないという指摘もございます。特に、規制・倫理領域や遺伝子治療の若手研究者の育成が急務であるという御指摘もございます。

また、基礎的理解を深め、科学的な裏づけの下での臨床応用が重要という御指摘。

若手経営者の育成、異分野の研究者の積極的な参入や産業界との連携、関係省庁間のさらなる連携により、基礎研究から社会実装への切れ目ない支援が必要である。

さらに、中核的な拠点を設け、分野全体の成果創出を目指すことが必要である。

基礎研究段階からの知的財産支援等の実用化を見据えた取組が重要といった指摘もございました。

6 ページ目を御覧いただきたいと思います。今、申し上げてきたことを踏まえ、令和5年度以降の再生・細胞医療・遺伝子治療研究の推進に向けた提言について、大別して5点を取りまとめていただいております。

1 つ目は「再生・細胞医療・遺伝子治療の融合と分野全体の発展」でございます。ここでは、国際的に見ても我が国の再生医療分野は強みを有するが、研究成果の実用化に向けて引き続き基礎的な検討・研究が必要。再生・細胞医療・遺伝子治療という縦割りではなく、より一層の融合研究の推進が必要。in vivo遺伝子治療研究も支援対象に追加し、融合研究を推進するなど、遺伝子治療研究への支援も重要。アカデミアと再生・細胞医療・遺伝子治療製造施設との認識の相違の解消やマッチング支援等を行い、研究成果の実用化に向けた切れ目ない支援を行うべき。若手研究者の育成などについて指摘されています。

また、2 つ目については「幅広い異分野との分野横断研究の実施」でございます。この中では、工学系やELSI等の異分野の研究者とのコラボレーションを図るといったことや、研究の初期段階からの産業界の参画推進、知財や規制制度に係る助言・支援、開発早期からの出口を見据えた研究開発を実施する。リバーストランスレーショナルリサーチの推進

ををするといった内容が列挙されております。

7 ページを御覧ください。

3 点目から 5 点目までを並べておりますけれども、3 つ目は「本分野における研究者人材を最大限に活かすチーム型研究体制（バーチャルラボ）」でございます。この中では、研究者を糾合し、有機的に連携させるチーム型研究体制の構築等が述べられております。

4 点目は「中核拠点をハブとした相乗効果の創出」でございます。ここでは、本分野の最先端の基礎研究を総合的に実施し得る中核的な拠点機能が必要で、特に研究者や産業界、医療機関等との連携ネットワークの中核的な役割もこの中核的な拠点が担うべきといったことも提言されております。

最後の 5 つ目で「疾患 iPS 細胞を用いた研究の更なる推進」でございます。

そして、こうした 5 点の方向性も踏まえて、報告書の帰結として、最後のところに挙げておりますが、次世代の医療技術や創薬につながる革新的なシーズを創出するための基礎研究の強化が必須であることと、また、実用化・産業化を確実に進めていくためには、規制・倫理・知的財産面での支援や関係省庁間の連携、アカデミアと産業界の連携、基礎研究者と臨床研究者の連携、それぞれの取組のさらなる強化が重要といった内容でまとめているところでございます。

説明は以上でございます。よろしくお願いいたします。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 ありがとうございます。

それでは、ただいまの御説明に対して御質問などがございましたらよろしくお願いいたします。

永井構成員、よろしくお願いいたします。

○永井構成員 永井です。ありがとうございます。私も 5 月 27 日の検討会に出席しておりまして、これからの在り方についての報告書をよく読ませていただきました。

この中で非常に重要な指摘は、これまでも課題でしたけれども、有効性の評価、それから、臨床 POC の確立が強調されています。科学的裏づけの下での臨床応用を進めることを明記していただいたのは大変よかったと思います。

これに関係して、この後、臨床応用をしていくためには薬事承認の段階を経ないといけないわけです。そこがまだ十分に制度が整備されていないように思います。再生医療は必ずしも有効性が明確でないままに薬事の条件付・期限付承認制度で継続することがあるのですけれども、この制度は世界で議論されています。これはやはり、厚労省にはしっかりと評価をしていただきたいと思います。

せっかくよい治療法でも、承認制度の中できちんと評価しめないと、後で否定されたり、逆に有効性を見落としていたりなどということもあります。その条件付・期限付承認制度は、ある意味で開発と規制の一体的な進め方でもありますので、この中で有効性の評価をきちんとしていただきたいと思います。これはむしろ厚労省にこれからお願いしたいところだと思います。実際、開発者の思いと PMDA の評価の間に意見が食い違うことがあるようですので、

ガイドラインをつくることで厚労省の対応をお願いしたいと思います。特に市販後の調査結果などについては、きちんと科学的な審査をするべきだと思います。いろいろと議論があるのであれば、制度自体も今後見直しが必要ではないかと思います。

以上です。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長　ありがとうございます。

本件については、厚生労働省から何かレスポンスはありますでしょうか。

厚生労働省、いかがですか。

○佐々木厚生労働省大臣官房厚生科学課長　御指摘ありがとうございます。厚生科学課の佐々木ですが、浅沼危機管理・医務技術総括審議官の代理で出席しております。今の永井先生の御指摘につきましては、PMDA、また、厚生労働省内でも医薬・生活衛生局の担当になりますので、趣旨をよく伝え、何より大事なものは、せっかく研究開発で積み上げてきたものが手戻りすることのないようにということだと思いますので、そのようにしたいと思います。御指摘ありがとうございました。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長　次に、岩間構成員、よろしくお願いいたします。

○岩間構成員　ありがとうございます。

私は、令和4年度のAMEDの再生医療・遺伝子治療の課題の採択にも関与しておりますが、途中経過を御報告いたしますと、既に今回の課題の中には遺伝子治療あるいはゲノム編集といった課題が多く含まれておりました。また、再生の分野からそういった遺伝子治療、ゲノム編集の技術を取り入れた課題もたくさんありまして、そういった意味では既にこの答申にありますような、こういった分野の融合傾向は明らかに見てとることができます。

ただ、そういった中で、こういった新しい課題に対応する体制がどこまで整備されているかという点で非常に疑問でありまして、今日、小野寺部長からまとめていただきましたように、やはり日本における遺伝子治療あるいはゲノム編集に対応した体制整備がシームレスにアカデミアから次のステップへと引き継げるようなシステムが必要ではないかと感じているところであります。

そういった意味では、この答申にもありますように、このアカデミアと製造施設との認識の相違の解消・マッチング支援などといった支援あるいは体制整備が非常に重要な段階にあると思いますので、ぜひ、そのあたりを御検討いただければと思っているところであります。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長　ありがとうございます。

次に、笠貫参与、よろしくお願いいたします。

○笠貫参与　先ほど永井構成員から御指摘になったこと、レギュラトリーサイエンスの立場から非常に大切な問題だと認識しています。

再生医療が、個人差での品質が不均一となるためデータ収集、評価に時間がかかるという意味で条件つき早期承認制度の意義は理解しておりますけれども、有効性の推定が必ずしも明確ではないと感じています。

今回の緊急承認制度でも、有効性については推定という言葉を使っています。再生医療での有効性の推定と緊急時における推定という意味は、異なると思っています。国際規制調和の観点からも、科学技術立国として慎重に、ガイドラインで透明性を示していただきたいと思っています。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 貴重な御指摘、ありがとうございました。

それでは、ほかにございませんようでしたら、先ほど岩間構成員の御指摘がございましたが、文部科学省から何かコメントはございますでしょうか。

○池田文部科学省研究振興局長 いろいろな御意見、ありがとうございました。

また、先週、永井先生にもPDとして御参加いただきまして、今のプログラムが今年度で最終年度になりますので、これから夏に向けて来年度以降にどうあるべきか、課題も明確になってまいりました。特に岩間先生から御指摘いただいた体制整備の重要性は言われていますけれども、これをシームレスにつなげていくことが非常に大きな課題だと思っています。

それから、融合もこの報告書では方向性を示していただいていますけれども、実際にいかに融合領域が進んでいくかも含めて、次の事業でしっかりと支えていけるよう、関係府省とも連携しながら、概算要求に向けていろいろ具体的に検討してまいりたいと思いますので、引き続きよろしくお願いいたします。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 ありがとうございます。

それでは、この議題につきましてはここまでとさせていただきます。

次に、議題3といたしまして「製造基盤の強化、新規市場開拓の必要性について」です。経済産業省より資料3に基づいて御説明をよろしくお願いいたします。

○田中経済産業省商務・サービスグループ商務・サービス政策統括調整官 経済産業省の商務・サービス政策統括調整官の田中でございます。資料3に基づいて、再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に当たっての重要な課題として、今回、2つ御説明したいと思います。一つは製造基盤の強化、特に人材育成。さらに、新規市場開拓でございます。

2ページに進んでいただきまして、まず、製造基盤について御説明申し上げます。

御存じのとおり、再生・細胞医療・遺伝子治療の領域、これは生ものである細胞とかウイルスベクターを扱いますので、品質のばらつき、歩留りの低さ、こういったものが産業化のボトルネックとなっております。作業工程が複雑で手作業が多いことや、海外産の試薬・素材に高いロイヤリティを支払っていることなども要因となり、なかなか製造コストが下がりづらいことも課題となっております。また、当然ながら、原料となる良質な細胞を安定的に確保することにも課題がございます。このため、経済産業省は細胞などの製造基盤技術の高度化や安定した細胞原料の確保に取り組んできております。

3ページは経済産業省の行っている事業の一覧を示しております。

右の「事業イメージ」に5つのプロジェクトを示しておりますが、製造技術の高度化という観点からは、番号（1）は細胞について、（4）はウイルスベクターについて、それ

ぞれの製造及び品質評価の技術開発を行っております。また（２）は原料となる細胞の安定供給のための実証事業をしております。（３）は少し観点が変わりますが、再生医療の技術を応用して、動物を用いた非臨床研究等の代替手段となる創薬支援ツールの開発を行っております。最後に、（５）はベンチャーなどによる再生医療等製品の産業化を加速するための、シーズ段階での製造プロセス構築等を支援しております。

４ページでございます。さらに今後、実用化を進めるための課題としては、やはり製造現場における人材の不足ではないかと考えております。

この４ページの表は製薬企業に対して実施されたアンケートの結果でございますが、特に赤字で書いてありますとおり、培養プロセス研究、スケールアップ/製造を担う人材。GMP管理、品質管理、薬事プロセスといった分野の人材に関して、回答者の多くが不足していると回答しております。特にバイオ医薬品の中でも、この細胞やウイルスベクターを扱う再生・細胞医療・遺伝子治療の製造に関しては、これまでの医薬品とは全く異なる知識・ノウハウが必要でありますので、なかなか、ほかの産業やほかのモダリティからの人材流入も期待しにくいところでございます。したがって、自然に任せているだけでは、人材不足の問題はなかなか解決されそうにないので、国として育成に取り組む必要があるのではないかと考えております。

５ページでございます。医薬品の業界の方々が構成するBCRET、一般社団法人バイオリジクス研究・トレーニングセンターという組織がございます。こちらでは過去のAMED事業で整備された実習施設、教育プログラムなどを活用して、バイオ医薬品のうち抗体医薬品の開発・製造を担う産業人材の育成を行っております。

机上配付資料には実際にBCRETのトレーニングの様子を写真を入れておりますが、実際の機材に触れながら実務を経験するという教育をしております。こういった実務研修が必要でありまして、今後、製造するための機械・機材を備えた場所を整備するなどし、この実務研修を含む充実した人材育成事業を立ち上げていくことが重要ではないかと考えております。

６ページに外国の事例を示しております。左側がアメリカ、右側がアイルランドの事例でございます。彼らは10年以上前から製造に特化した人材育成を重視しておりまして、専用の実技トレーニング施設を整備して、研究開発と人材育成の両輪でプログラムを提供しております。

７ページには韓国の事例を示しております。韓国は、先ほどのアイルランドの教育プログラムを導入して、まさにK-NIBRTと呼ばれる人材育成プログラムを立ち上げております。特に、昨年度には約60億円の国費を投入して拠点整備をしておりまして、まさに先行的にmRNAのワクチンの製造人材育成を進めるための研修プログラムが開始されております。

こうした韓国の製造インフラが評価されて、WHOは今年２月、韓国を「グローバルバイオ人材養成ハブ」に指定しておりまして、アジアの中の低所得国が自国でワクチン生産できるように人材を韓国に招待して教育訓練を提供する計画となっております。

こういう点からすると、なかなか韓国に大きく先行されておるところでございますけれども、我が国としてもワクチンの国産化、さらに先に行くバイオ医薬品の国産化をやるためには早急に新たなバイオ医薬品の製造人材育成を進める必要があるのではないかと考えております。

次に、新規の市場開拓について御説明申し上げます。8ページでございます。

これは御存じのとおり、主要の先進国の医薬品市場を示したもので、日本の医薬品市場は縮小トレンドでございまして、こういった市場の縮小が続く中で、日本の投資先の市場としての魅力は低下している、国内だけでは収益を確保しづらいという声が聞かれます。

9ページで、これも皆さん御存じのとおり、再生医療等製品の薬価でございます。

日本の再生医療等製品の薬価は欧米と比べても低く設定されておりますし、年々引き下げられていく可能性もあります。これは、企業にとっては開発した製品の収益性を維持することが困難であるとする要因にもなりえます。こういった中で、ではどうしていったらいいのかということ、考えていかなければいけないのではないのでしょうか。

10ページはiPS細胞関連のベンチャーの資金調達の日米比較です。再生・細胞医療・遺伝子治療の研究開発については、初期の段階でかなりの資金が必要だと言われております。アメリカでは、図で事例も示しておりますけれども、初期段階から数百億円規模のまとまった金額の資金調達が可能だと言われております。一方で、日本は調達可能な資金規模がアメリカより1～2桁小さい。これは裏返して言うと、日本がそれだけ効率的にやれているということかもしれませんが、資金調達は何度も繰り返す必要がございますので、なかなか資金調達に時間が取られまして研究開発ができない、集中できないという声も聞かれます。こうしたことから、意欲あるベンチャーほど日本を捨てて海外に行ってしまうことになるのではないかとというような懸念も聞かれます。

11ページでございますけれども、グローバルでの再生医療等製品の承認状況を示しております。国内市場を見据えながら、さらに海外に活路を見いだすことも重要ではないかと考えている材料の一つでございますが、この表は日本で承認された製品の一覧で、白塗りが国内に技術の起源があるもの、グレー塗りが海外に技術の起源があるものでございますけれども、海外発シーズは日本を含む複数の国で承認を受けておりますが、なかなか国内に起源を持つものは海外で承認を受けていないような状況でございます。したがって、今の状況はなかなか海外の市場を取りに行けていない状況でございます。こうした状況に少してこ入れすることができないかと考えております。

最後の12ページでございます。先ほども申しましたとおり、日本の再生医療等製品を開発する企業は優れた技術を持っていっておりますけれども、国内の限られた市場だけではなかなか十分な収益を得られていない状況でございます。左側のグラフは2社、A社、B社の財務状況を載せておりますけれども、なかなか苦しい状況になっております。収益性が見通しが立たないと次のイノベーションに向けた投資に踏み切れず、産業として発展しない、好循環が続いていかない状況になってまいります。

したがって、良い循環に持っていくための方策として、新たな市場の開拓を後押しできないかと考えております。大きく2つの市場を考えております。

1つは海外市場です。先ほど申しましたとおり、海外に出て行って、そこでマーケットを取っていくようなものを応援できないか。ただ、なかなか海外進出は難しゅうございまして、現地での事業化をサポートする企業との連携、さらには海外の市場や規制を踏まえた綿密な事業計画も必要でございます。そういった戦略、現地拠点、現地の医療機関との連携といったことを、海外市場開拓を後押しするために支援できないかと考えております。

もう1つは国内の新たな市場です。インバウンド市場など、公的保険の外にも新たな市場が存在しております。アジアを中心に日本の医療技術に対する信頼性は非常に高く、医療ツーリズムのような形で日本のすばらしい再生医療技術の提供の裾野を広げること、さらには、医療機関と提携した新たな医療サービスの開発を行うことなどができるかと考えております。当然ながら、患者へのメリット、信頼性の確保といった検証は必要でございますし、医療機関との綿密な連携が必要不可欠というのは当然のことでございます。さらには、もう一つ、公的保険外で発生する医療費の負担の観点から、民間保険会社との新たな保険製品の開発といった取組もあり得るのではないかと思います。

こうした取組により新しい市場を開拓して、この分野で優れた技術を持つ企業の収益性確保、ひいては良い循環につなげていけないかと思っております。

以上でございます。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 ありがとうございます。

それでは、この御説明に対して御質問などがありましたらよろしく願いいたします。

越智構成員、よろしくお願いします。

○越智構成員 ありがとうございます。よく問題点が整理されて分かりました。

私からは2点のコメントをさせていただきたいというか、お願いも含めてなのですが、再生医療等製品を開発する企業の財務状況を2社お示ししていただいたのですが、十分な収益が得られず経営状況が悪化するということで、かなり踏ん張ってきているけれども、やはり収益としては赤字となっています。

広島大学のある東広島市に、半導体に関して過去にエルピーダメモリというものがあって、今はマイクロン社に買収されて非常に収益を上げているところです。今、国の支援を行って半導体の市場をまた取りに行こうとしているようなことを考えると、せっかく再生医療等製品を開発して供給する企業がここまで踏ん張っているにもかかわらず、この赤字の状態が長く続いているのはどこに問題があるのかをやはりヒアリングする場を設定する必要があるのではないのかと思います。

もちろん、海外進出にというところもあるのですが、私自身島根医科大学の頃に培養軟骨移植を試みて、J-TECに技術移転したのですが、それを中国で展開するという一方で、かなりいろいろな人に会って頑張ったのですが、これはなかなか、それなりに国の事情などもあって簡単ではない。これは3年ぐらいかけて、科学技術系のトップの人

にお会いして、その人からは面白い試みなのでやったらどうかという話も数年前にあったのですが、挫折したところです。

ですから、海外市場は大変有望なのですけれども、それぞれの国の規制等があつて、最初から国際的なレベルのレギュレーションに合致するようなもので始めておくということです。もう一点、ワクチン生産体制強化のための2300億円ほどの補正予算が経産省からバイオ医薬品製造拠点等整備事業がついているということで、デュアルユースでやっていくということなのではけれども、やはり海外のガイドラインのエデュケーションというものを最初から導入した形で立ち上げていくようなことも必要なのではないかと痛切に考えているところです。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 ありがとうございます。

続いて、笠貫参与、よろしくお願いいたします。

○笠貫参与 ありがとうございます。御発表の中で、日本のみ市場が縮小しているということはショックです。

薬価の問題については、中医協の費用対効果部会で科学的に妥当なのかどうかについて検討していただきたいと思います。

日本は韓国に比べ、バイオ医薬品だけではなくバイオシミラーも非常に遅れています。ワクチンとのデュアルユース設備とするという施設整備を、新型コロナパンデミック下において迅速に進めることが必要だと感じました。

もう一つ、ベンチャーの研究開発において、日本ではVCからの資金調達の規模が小さいということですが、再生医療等においてTL0の信託機能がどの程度使われているのか。TL0は知財の管理だけではなくてスタートアップまでファンディングができるかと思うのですが、これをフルに活用してもベンチャーの資金調達が難しいのかどうか。困難であるならば、国がどのように支援していくのかということについても御検討いただけたらと思います。

インバウンドという話が出ましたが、日本の市場が縮小していく中で海外展開をしていくときに、先ほどの条件付・早期承認制度が国際規制調和という枠組でも信頼されるものになるように、有効性の推定についてのガイドラインをつくるべきだということを強く感じましたので、よろしくお願いいたします。

以上です。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 ありがとうございます。

それでは、お二方から御指摘ございました。越智構成員から再生医療製品に関する企業の財務状況との関係の話、海外市場の話のコメント。それから、笠貫参与からも製造技術における国際競争の中での位置づけ、あるいはスタートアップの支援ですとか、有効性の提示、ガイドラインといった御指摘がございました。

経済産業省から何かレスポンスはございますでしょうか。

○田中経済産業省商務・サービスグループ商務・サービス政策統括調整官 ありがとうございます。

ざいます。越智先生の御指摘、半導体の例などは本当に身にしみて感じます。

恐らく畠構成員が手を挙げていらっしゃると思いますので、一番お詳しいと思いますけれども、相当踏ん張っていらっしゃると思います。今後は企業の皆様にいろいろとヒアリングをさせていただき、新たな取組の企画に反映させていきたいと思います。

J-TECの中国への展開の例もございました。まさにそこで、やはり海外に行くのは一筋縄ではいけないので、初期段階から海外の状況をよく把握し、いろいろ想定して事業を進めなくてはならない。こうした障害があるところに、何らかの政府の果たす役割がないのかということを考えていきたいと思っております。

ワクチン生産体制強化のためのバイオ医薬品製造拠点等整備事業について、越智先生や笠貫先生からの御指摘がありました。まだ今は公募期間中なのでどういうところが手を挙げているかはまだ分かりませんが、海外規制等との関係も頭に入れて進めてまいりたいと思います。

加えて、ベンチャーのお話が笠貫先生からありました。やはりTLOとかも含めて資金が不足しているということでございます。目利き能力もなかなかないということかもしれませんけれども、補正予算の中で経済産業省が感染症に特化したベンチャー支援をやっておりますので、そういった中でうまくエコシステムができていけないかと考えております。

取りあえず、以上です。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 ありがとうございます。

それでは、畠構成員、よろしくお願いいたします。

○畠構成員 御説明、本当にありがとうございました。大変重要な点が幾つかありました。また、越智先生からもお話がありましたように、企業が海外にどう出ていくかというところで資金力の点にある種の課題があるかと思えます。

私から数点、先ほどの御説明にありました製造基盤の整備は大変重要な点であります。本協議会でも遺伝子治療のベクター製造施設等、先ほどもお話をいただきました。また、こちら先ほどの御説明にありましたが、種々の原料など、資材の調達リスク等も今後考えて進めていく必要があるかと思っております。

その中で、人材育成についても重要な課題かと思えます。今回御提示いただきましたスライドにありましたように、実は産業側にとりましては、この人材育成の必要性は喫緊の課題でございます。これは卵が先か鶏が先かという問題でもあろうかと思いますが、本来、関連産業が発展した後に、それに付随したOJTとしての人材育成ができていくべきなのだろうと思います。しかしその一方では、開発の主戦場が海外に出てしまうリスクがある中、長期的展望に立って積極的に人材育成に注力する必要があるのだろうと思います。

将来にわたる開発能力、そして、適切な生産能力を維持することも必要であろうと思いますので、我々、業界団体としましてもこうした人材育成に関する活動を進めておりますが、ぜひとも共通の話題として、できる限り具体的に、この人材育成について推し進めていっていただければありがたいと思います。

また、新たな市場の開拓という点については全く同感であります。現時点ではベンチャー企業のみならず、先ほどもお話がありましたように、大手製薬企業も含めて、この再生・細胞医療の出口戦略については不透明感が否定できません。

遺伝子治療の場合にはまた違う観点が必要かもしれませんが、今日御指摘にありましたように再生医療の場合、とりわけ細胞を使ったものに関しては保存安定性の問題で、現地生産が基本になるかと思います。さらに言えば、かなり高額なモダリティについて、グローバル戦略がどこまでできるのかという、さまざまな課題があるのだろーと思ひます。

そういった意味ではメディカルインバウンド、患者さんが積極的に治療を受けにツーリズムを行うということも含めまして、今後、方向性を持ったさまざまな議論が必要であると思ひます。

以上、コメントさせていただきました。ありがとうございます。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 ありがとうございます。

経済産業省から何かレスポンスはございますか。

○田中経済産業省商務・サービスグループ商務・サービス政策統括調整官 畠構成員、ありがとうございます。人材育成を具体的に進めていくようにという御指摘をいただきました。業界とか関係省庁とも相談しながら、喫緊の課題として、これを具体的に進めていきたいと思ひております。

市場開拓のところも、インバウンドの可能性について御指摘いただきました。様々な特徴も踏まえて、慎重にかつ信頼性をちゃんと確保しながらやれるよう、これも様々な省庁と業界と連携してやっていきたいと思ひます。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 ありがとうございます。

特に人材育成、人材の問題については、先ほどの文部科学省の検討会のまとめにおいてもアカデミアの人材の育成についてというお話がございました。これは共通する課題だと思ひますので、引き続き関係各省とも連携してしっかり検討してまいりたいと思ひます。ありがとうございます。

それでは、最後になりますけれども、議題4として、本協議会における議論の取りまとめということで、資料4で事務局から用意させていただいております。御説明をよろしくお願ひいたします。

○神田健康・医療戦略推進事務局参事官 事務局の神田です。資料4の説明をさせていただきます。資料4を御覧ください。昨年5月に協議会として中間取りまとめを行っておりますけれども、それをベースとしつつ、これまでの検討を踏まえたものとしてまとめてございます。

1 ページを御覧ください。「1. はじめに」とございますけれども、最後の●がござひますが、協議会におけるこれまでの検討状況を踏まえて、中長期的な研究開発を見据えつつ、今後の取組の在り方を提言するものということでまとめてございます。

2. から4. については、基本的に中間取りまとめを踏襲したものとなっております。

3 ページ目の 5. で、協議会において指摘された課題をまとめております。中間取りまとめから幾つか追加しております。

(1) の最後のポツですけれども、有効性の検証が課題であるということで、効果が分かるものを重点的に支援すべきと、永井先生から御指摘いただいた内容を加えてございます。

4 ページの (3) でありますけれども、2 つ目のポツで、実用化に向けたハンズオン支援が有効という御指摘を金田構成員からいただいております。これを追加してございます。

3 つ目のポツ、知財戦略、知財リテラシーの向上が重要という御指摘は以前、畠構成員からいただいたものです。

5 つ目のポツは、先ほど経済産業省の発表を受けて記載させていただいております。

最後の 6 ポツ目は、前回、森下参与から御指摘いただいておりますけれども、カルタヘナ法について、引き続き運用のさらなる改善が要望されているということを記載させていただいております。

続きまして「6. 今後の対応の方向性」ですけれども、ここの記載につきましては、前回、この協議会で御議論いただいた内容となっております。

それから、7. からは新たな記載でして「7. 支援の具体的な内容」を書かせていただいております。関係省庁において取り組むべき具体的な内容になります。

最初のポツですけれども、文科省関連になります。「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」が今年度が最終年度ですが、本日報告いただいた検討会の報告書を踏まえて、これまでに培った強みを損なうことのないよう、支援を行うべきであると書かせていただいております。

下から 2 つ目のポツですけれども、厚生労働省関係の内容になります。再生医療等安全性確保法の見直しとしまして、in vivo 遺伝子治療に対する規制もカバーする方向であることが前々回の協議会で報告されておりますが、支援事業の対象についても in vivo 遺伝子治療まで拡大する旨を書いております。

その下のポツですが、遺伝子治療の臨床研究の強みを持った病院等の必要性を踏まえて、拠点の整備を推進する旨を記載してございます。

6 ページのポツですけれども、これは経産省関連で、先ほどプレゼンをいただいたところですが、産業化に向けて、製造人材の育成、それから、新規市場開拓支援について記載してございます。

次の 1 つ目の●ですけれども、これは永井先生からも御指摘を受けたものですが、有効な技術を届ける観点から、AMEDにおいてPOC取得が見込まれる課題を優先的に採択していくべきとしてございます。

2 つ目の●は本協議会の今後ですけれども、引き続き関係省庁の取組を把握するとともに、規制・制度も含め、必要な支援の在り方を検討していくこととしてございます。

最後は「8. 終わりに」で、最後のメッセージになります。

最初の●は、3月に開催された「新しい資本主義実現会議」におきまして、岸田総理から、再生・細胞医療・遺伝子治療について、実用化開発を進めること、実行計画に盛り込んでいくことが表明された事実を書いております。

最後の●には、研究開発の果実を医療として実用化し、国民に届けることは、関係者に活力を与え、貢献するものであることを認識して、今後の取組を進めていきたいと思いますという旨を書かせていただいております。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 ありがとうございます。

それでは、今、説明のありました事務局からの案に関しまして、御質問、また、御意見をぜひよろしくお願いいたします。

よろしいでしょうか。

本日、これまでの議題でも新たにいろいろな先生方からの御指摘があったかと思います。そういったものも踏まえてでも結構でございますけれども、いかがでしょうか。

それでは、金田構成員、よろしくお願いいたします。

○金田構成員 遺伝子治療に関してですけれども、in vivo遺伝子治療のところを支援すると書かれているのですね。今の日本の遺伝子治療の研究者の中にウイルスの研究者はすごく少ない、ほとんどいないのです。これがやはり大きな問題ではないかと私自身も思っています。

特に今、コロナのワクチン研究が進んでいる中でいろいろなウイルス研究者の方と接する機会があって驚いたのは、我々、遺伝子治療をやっている者からいえば、ベクターでいえばアデノウイルス、ワクシニアウイルスといったものがワクチンのものとしては使われてきたのですけれども、ウイルス学の研究者の中にはもっといろいろな、ロタウイルスとかレオウイルスとか、そういうエンテロウイルスを経口で投与するとか経鼻で投与する。そんなことを既に始めておられるのです。それをベクターとして遺伝子を乗せる。それは遺伝子治療でしょうと申し上げているのですが、彼らはウイルス療法という頭しかない。そういう人たちを今後はやはり取り込んでいく必要があると思います。

腫瘍溶解ウイルスは遺伝子治療の範疇に入っていますけれども、同様に弱毒化した生ウイルスワクチンも実際に人為的に変異を入れてそういうものを作ることができるようになっておりますので、遺伝子を体の中に入れる、予防することから言えば遺伝子治療の範疇に入るのだと思っています。今後、in vivoの遺伝子治療を支援するに当たって、ワクチン開発・生産体制強化戦略に基づく支援事業による支援ができるようになりましたけれども、その中にいろいろな遺伝子治療の技術が実はあるのだということです。今後、やはりそういうワクチンも視野に入れたin vivo遺伝子治療の支援を広げていっていただきたいと感じております。

以上でございます。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 貴重な御指摘、ありがとうございます。

AMEDの三島理事長、挙手されていますでしょうか。よろしくお願いいたします。

○三島理事長 AMEDの三島でございます。いろいろとお話を伺って、ある意味、SCARDAでワクチンに取り組んでいる話と非常に似た点などもございまして、大変勉強になりました。ありがとうございました。

AMEDの役割としましては、まず、やはり再生・細胞医療あるいは遺伝子治療に関連の若手研究者の不足が一つ、この分野の研究に対して若手枠をつけていくようなことを積極的に進めていければと思うところでございます。

それから、先ほどのまとめのところの4ページの「(3) モダリティ共通」で「実用化に向けたアドバイスができる人材によるハンズオン支援がAMED事業にあると効果的」と御指摘をいただいておりますが、今、AMEDでは創薬の事業、それから、医療機器・ヘルスケアの事業というあたりでは非常にハンズオン支援といいますか、いわゆる企業とアカデミアがシーズの時点から伴走していく形で実用化に結んでいるという、かなりそういう方向性が非常に強くなってございますので、そういう意味でも貢献できればと思います。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 ありがとうございます。

それでは、笠貫参与、よろしくお願いいたします。

○笠貫参与 どうもありがとうございます。

先ほどの発言と重なりますが、再生・細胞医療・遺伝子治療の出口戦略としては国内、そして、海外の市場を増やすことが大事だろうと思います。

国内の問題としては、再生医療等についての費用対効果についての研究を進めていただきたいこと。それから、インバウンド、アウトバウンドという観点から、国際的に信頼される有効性の評価が可視化できるガイドラインを海外にも示すことが大事ではないかと思っています。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 貴重な御指摘、ありがとうございます。出口戦略、市場の拡大、それから、有効性の明示ということかと思っています。

それから、永井構成員、よろしくお願いいたします。

○永井構成員 今の笠貫参与の話にも重なりますが、市場獲得といったときに、国際市場に出ていくにはやはり国際標準に準拠した開発が重要であることを記述していただければと思います。これは再生・細胞医療・遺伝子治療に限らず、あらゆる開発品が同様です。別の例ですけれども、MRJなども国際標準で苦労したわけです。せっかくよいものを作っても、基準が国際標準になっていないと全部やり直し、あるいはバリアではね返されてしまうことがあります。国際標準に準拠した開発は最初の段階からきちんと進めていくべきだと思います。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 ありがとうございます。

ほかにはいかがでしょうか。

各省から何かコメントはございますでしょうか。よろしいでしょうか。

それでは、お時間もそろそろ参りましたので、この協議会のまとめのところで何人かの

構成員の先生方からコメントをいただきました。

金田構成員からは、ウイルス療法など、ワクチンの分野をはじめほかの分野で実際、遺伝子治療と非常に密接な関係のある研究などがある。これはまさに、この協議会の御議論の中でもそういう研究の融合でしたり研究者間の連携といったことかと思います。

AMEDからも、若手研究者の不足の話、それから、ハンズオン支援の重要性について。

そして、笠貫参与からは、出口戦略の関係で、市場の獲得に向けて国内と海外、それぞれの課題があること。それから、国際的な信頼性ということで改めて有効性を明らかにしていくガイドラインの必要性。

それから、永井構成員から、同様に、国際市場に出ていくために国際標準に最初から留意することといったコメントをいただいたところでございます。ありがとうございました。

それでは、本日、種々、御意見をいただきました。ただ、大きな方向性としては各構成員からこれで御了解いただいたと私どもとしては受け止めておりますので、方向性としては本日のこのまとめということでまとめさせていただいて、ただ、具体のところでは各構成員などから御意見をいただきましたので、これについては議論のまとめ（案）を必要なものについては少々修正させていただいて、改めて構成員の皆様に御確認いただいた上で、本日付になるかと思いますが、最終的に決定とさせていただきたいと思います。

この議論のまとめにつきましては、今後の段取りでございすけれども、後日、健康・医療戦略推進専門調査会がございすので、これらに対して報告して、また、令和5年度医療分野の研究開発関係予算の資源配分方針の検討に反映させていくというふうに考えてございす。

関係各省におかれては、今後の対応策の具体の検討を引き続きお願いしたいと思ひますので、よろしくお願ひいたします。

それでは、議題はここまでとなつてございすが、今後の本協議会の予定について事務局からよろしくお願ひいたします。

○神田健康・医療戦略推進事務局参事官 事務局です。

次回の会議については、別途調整させていただきたいと思ひます。

○長野健康・医療戦略推進事務局次長 それでは、本日の議事は以上となります。

これをもちまして、第8回「再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会」を閉会いたします。本日はどうもありがとうございました。