

# 「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(令和5年4月末時点)

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・軟骨・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	水疱性角膜症 ヒズバ 【R5年3月承認】~R2	重症心不全 ハードシート® 【H27年9月条件・期限付承認】~H29	全身性強皮症 自家骨髄単核球移植による血管再生療法 【R3年7月先進医療開始】		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	腹圧性尿失禁 セル・シオンセルセラ ビーキット SUI 【R4年2月機器承認】~H30	子宮頸がん TIL療法 【R2年12月先進医療承認】~R2	悪性神経腫 テリタゲ®注 【R3年6月条件・期限付承認】~R4		
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 角膜上皮幹細胞疲弊症 表皮融解性魚鱗癬	低酸素脳症 脳梗塞	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 慢性腎臓病 慢性膵炎等(摘出後膵島移植)	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 口唇口蓋裂 ~H28 中耳炎~H30 肺炎漏~H29 表皮水疱症 ~H30 菌周病~H28	成人T細胞白血病 脊索腫他	家族性アルツハイマー病(7ロモクリテン)		
臨床研究/治験を開始した研究・開発	網膜色素変性症 網膜色素変性症 水疱性角膜症	パーキンソン病 亜急性壊死性膵炎 脳梗塞 ~H28 脊髄損傷 ~H28 ALS ~H28 ALS 孤発性ALS ADCC欠損症 パーキンソン病	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) 下肢虚血	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 肝硬変	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	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 移植片対宿主病 原発性免疫不全症 ~H30 生体肝移植時免疫寛容	菌周病 菌周病 唾腺萎縮症 シェーグレン症候群 筋ジストロフィー 腰部脊柱管狭窄症	卵巣がん 悪性リンパ腫 急性骨髄性白血病他 頭頸部がん 十二指腸腫瘍 卵巣がん 前立腺がん	固形腫瘍 リンパ腫 B-NHL ~R4 卵巣腫瘍 固形腫瘍 固形がん~R3 婦人科悪性腫瘍	進行性骨化性線維形成症※1(シロムス) ALS※1(ロビニール塩酸塩) ペンドレッド症候群※1(シロムス) ~R01 ALS※1(ホスノチア) 先天性代謝異常※2(ブクテジン)
非臨床研究		慢性期不全脊髄損傷 脳出血	閉塞性動脈硬化症	肝疾患 糖尿病~R1 肝硬変	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	ニーマニック病 筋ジストロフィー	子宮頸がん 難治がん 悪性軟部腫瘍 悪性中皮腫	成人T細胞白血病/リンパ腫 リンパ腫 T-NHL 難治性固形がん	※1 ①から橋渡しされ、厚労省の「難治性疾患実用化研究事業」、「臨床研究・治験推進研究事業」が医師主導治験を支援。 ※2 ①から橋渡しされ、文科省の「橋渡し研究プログラム」が医師主導治験を支援。
応用研究 非臨床POC取得まで	ドライアイ-R3 網膜色素変性症 ~R1	脳梗塞 脳梗塞~R4 慢性期完全脊髄損傷 脊髄小脳変性症 脳梗塞~R3 遺伝性難聴 ALS ALS ALS ALS ヘリツェウス・ムツハツパー病	心筋症~R3 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~R4 クローン病~R4 肝線維症~R3 代謝性肝疾患・肝硬変 糖尿病	軟骨組織	血液疾患 高IgE症候群 高IgM症候群 血友病B 血友病A 血友病A	筋ジストロフィー~R3 LOH症候群~R3 下垂体機能低下症~R2 慢性腎臓病 低コングライアンス膀胱~R3 ホソ病 慢性腎不全 急性腎不全	五研系表皮水疱症 先天代謝異常 OTC欠損症等 オートファジー病 天疱瘡症 フェルケルン尿症 新生児肺障害 ~R4	多発性骨髄腫	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~R3 自閉スペクトラム症 ~R2 脳疾患~R3 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 ~H30 潰瘍性大腸炎 ~R3 肝線維化 1型糖尿病~R3	軟骨組織~R3	血液疾患 ~H30 移植時免疫制御 ~R4 血小板減少症 ~R4 造血幹細胞輸血 ~R4	難治性呼吸器疾患 韌帯損傷~R3 腎不全 ~H30 皮膚潰瘍~R3	妊娠高血圧症候群~R1 筋ジストロフィー~R3 ダウン症	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			再生医療等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		
	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・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題			疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題		

**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・細胞医療・遺伝子治療実用化加速化プログラム

② 厚生労働省  
再生医療等実用化研究事業  
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配置