



再生・細胞医療・遺伝子治療分野における 新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 を踏まえた文部科学省の対応について

令和5年6月2日

文部科学省

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム

令和5年度予算額 9,155百万円（新規）
 ※令和4年度は再生医療実現拠点ネットワークプログラム（9,066百万円）で実施 文部科学省

令和4年度第2次補正予算額 1,725百万円

背景・課題 / 事業内容

（事業期間：令和5年度～令和9年度）

- 「経済財政運営と改革の基本方針2022」では**再生・細胞医療・遺伝子治療分野は国益に直結する分野**と明示されており、「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画」でも、**次世代iPS細胞やオルガノイド等の革新的な研究開発を進めると共に、実用化に向けて、再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い一体的な研究開発を推進**することが掲げられている。
- **再生・細胞医療・遺伝子治療の融合研究の推進、若手研究者の育成促進**と裾野の拡大、**異分野・他機関との連携**と人材育成機能を包括した**チーム型研究**の推進、**リバーストランスレーショナルリサーチ**の実施、**中核拠点をハブ**とした**連携・相乗効果の創出**、**開発早期から出口を見据えた研究開発と戦略的伴走支援の充実**、**疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明や創薬研究の推進**を行う。

① 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題

- ・ 再生・細胞医療・遺伝子治療分野の**融合研究**を推進
- ・ 革新的な創薬・治療法の実用化を見据えた**基礎・応用研究**の実施
- ・ 治療法の臨床試験に直結する**非臨床PoC取得**研究の実施
- ・ 次世代を担う研究者の輩出に向けた**若手研究**の促進
- ・ **リバーストランスレーショナルリサーチ**の実施
- ・ 異分野研究者・企業等との総合力を生かした**チーム型研究**を推進

② 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点

- ・ 次世代iPS細胞の開発、リプログラミングの解明、革新的なゲノム編集**技術開発**等の再生・細胞医療・遺伝子治療分野の**共通基盤研究**の実施
- ・ 分野内外の研究者や医療・産業界との連携を促す**ハブ機能の構築**

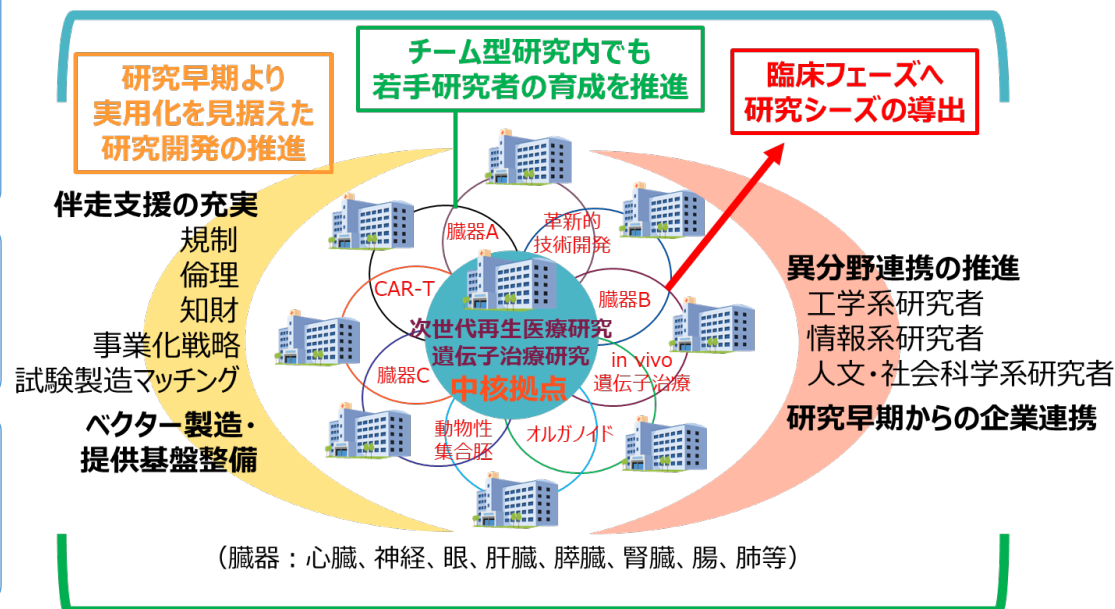
③ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

- ・ 難病等の患者由来の疾患特異的iPS細胞等を活用した**疾患発症機構の解明、病態解析技術の高度化、創薬研究**の推進
- ・ **疾患付随情報が充実した疾患特異的iPS細胞バンク**の整備と利活用促進

④ 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

- ・ 実用化に向けた問題解決等のための**規制・倫理・知的財産面の伴走支援**
- ・ 研究早期からの**事業化戦略作成支援**
- ・ ベクター（細胞へ遺伝子を導入する媒体）の**製造・提供基盤整備**
 ※令和4年度第2次補正予算にて設備整備費用を措置
- ・ 細胞・ベクターの**試験製造マッチング支援**

中核拠点をハブとした各研究機関、異分野研究者、産業界、医療機関、支援機関による研究分野・対象臓器ごとの多彩なバーチャルラボ化の推進



本分野全体として若手研究者の人材育成を積極的に推進

【事業スキーム】



遺伝子治療の実用化を加速するためのアカデミア用ベクター製造開発基盤の整備

令和4年度第2次補正予算額

17億円

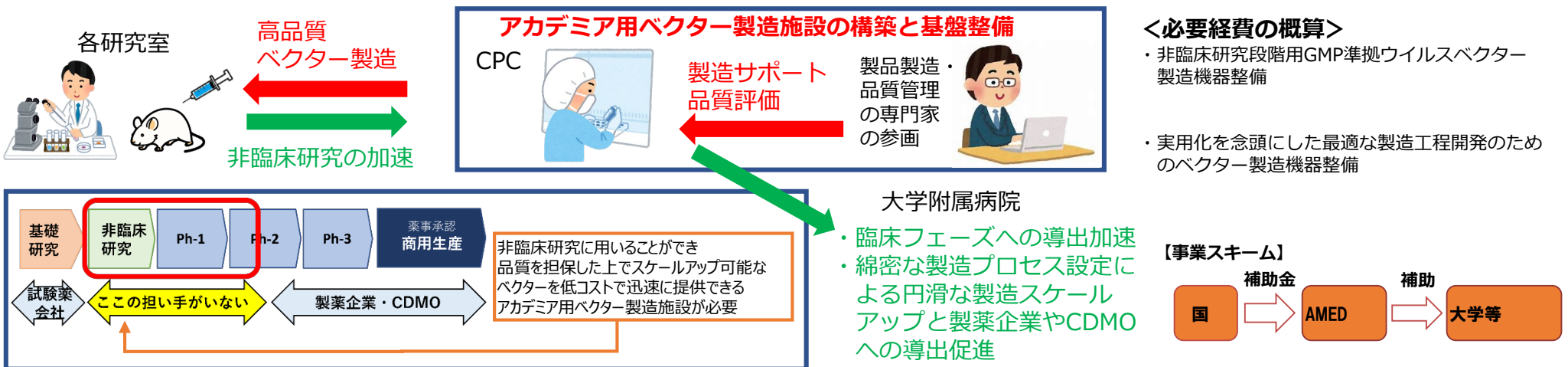


背景・課題

- 遺伝子治療分野は大幅な市場拡大が見込まれているため国際競争が激化。多数の開発品が欧米を中心に生み出されているが、我が国は僅か。
- 我が国も遺伝子治療の研究を進めており、AAVベクター※を中心に新規ベクター開発研究等も着実に進展。※ベクター：細胞へ遺伝子を導入する際の媒介
- 「経済財政運営と改革の基本方針2022」に再生・細胞医療・遺伝子治療等のバイオテクノロジー・医療分野は我が国の国益に直結する科学技術分野と位置付けられており、「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画」にも治療に用いる細胞・ベクター製造基盤を強化し、有効な技術を実用化につなげることが掲げられている。
- 一方で、我が国には、遺伝子治療の実用化フェーズで求められる基準（GMP基準）を見据えた高い品質を有する非臨床研究段階用ベクターを少量・多品種・低価格で製造できる場所が無いため、基礎的なシーズを臨床フェーズへ進め実用化する上で致命的なボトルネックとなっている。

事業内容

- 工学系研究者や企業の製造部門経験者などの製品製造・品質管理の専門家と医学系研究者が参画して、シーズ毎に実用化を念頭にしたベクター製造工程開発（製造・品質管理技術開発及び重要な工程指標の最適化に基づくベクター製造工程開発）とそれを踏まえたGMP準拠のベクター製造を行い、少量・多品種・低価格で高品質の非臨床研究用GMP準拠ウイルスベクターを迅速に提供可能とするために、必要な基盤整備をする。
- 具体的には、既存のCPC施設等に、非臨床研究用ウイルスベクター（AAVベクター等）の製造開発のためのGMP準拠ベクター製造機器、GMP準拠の製造に向けて実用化を念頭にした最適なベクター製造工程開発に必要な機器及び品質管理・品質評価機器を整備する。



再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 公募採択結果

■ 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（非臨床PoC取得課題）

非臨床PoC取得	応募件数	採択件数
チーム型	27件	8件
チーム型・rTR	4件	1件
個別型	21件	7件
個別型・rTR	3件	1件

■ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

	応募件数	採択件数
病態解明課題（若手）	8件	4件
病態解明課題（一般）	19件	3件
病態解明課題（チーム）	6件	2件
バンク利活用促進課題	1件	1件
技術開発課題（若手）	3件	1件
技術開発課題（一般）	7件	3件
創薬スクリーニング系確立課題	7件	3件
疾患特異的iPS細胞利活用促進のための共同研究支援課題	1件	1件
疾患特異的iPS細胞利活用促進のための共同研究課題	22件	9件

■ 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題（ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題）

	応募件数	採択件数
ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題	4件	1件

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム R5採択課題一覧



文部科学省

再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（非臨床PoC取得課題）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
チーム型	R5	R7-9	難治性肝疾患に対する画期的な小児ゲノム編集治療の創出	自治医科大学	大森 司
			iPS細胞を用いた脳梗塞治療実現のための応用研究	京都大学	高橋 淳
			機能強化型肝臓オルガノイドを用いた UTOpiAシステムの開発	大阪大学	武部 貴則
			NASH肝硬変を対象としたヒトiPSC肝臓オルガノイド移植治療法の開発	東京大学	谷口 英樹
			ニューロリハビリテーション療法を併用した慢性期脊髄損傷に対する細胞移植治療の開発	慶應義塾大学	中村 雅也
			CRISPR-Cas3 mRNA-LNPモダリティによる安全なin vivoゲノム編集治療基盤の構築	東京大学	真下 知士
			遺伝性免疫異常症に対する新規遺伝子修正治療の研究開発	東京医科歯科大学	森尾 友宏
			造血幹細胞増幅技術を基盤とした改変造血・免疫細胞の創出と応用	筑波大学	山崎 聡
チーム型 rTR	R5	R7-9	肝移植患者の免疫抑制剤を最低用量化する個別化医療の実現にむけた新規制御性T細胞製剤開発研究	順天堂大学	内田 浩一郎

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム R5採択課題一覧



文部科学省

再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（非臨床PoC取得課題）

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
個別型	R5	R7-9	SOD1変異ALSに対する遺伝子編集治療法の開発	京都大学	井上 治久
			iPS細胞由来髄核を用いた髄核replacementによる椎間板変性の再生治療開発	大阪大学	海渡 貴司
			バイオ3Dプリンターで作製した三次元移植組織を用いる革新的歯周再生療法の開発	広島大学	加治屋 幹人
			臨床試験を目指した福山型筋ジストロフィーの筋・脳病変を同時に治療するAAV遺伝子治療法の開発	東京大学	戸田 達史
			多発性硬化症治療を目指したmiRNA分泌型遺伝子細胞治療薬の開発	京都大学	朝長 啓造
			難治性がんに対する次世代ウイルス療法の研究開発	鳥取大学	中村 貴史
			先天性GPI欠損症の遺伝子治療に関する研究開発	大阪大学	村上 良子
個別型 rTR	R5	R7-9	エリスロポエチン誘導性選択的制御遺伝子(SRG)搭載CAR-T療法の非臨床開発	自治医科大学	大嶺 謙

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム R5採択課題一覧



文部科学省

疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
病態解明 ・ チーム型	R5	R7	筋萎縮性側索硬化症における病態回避機構の解明と治療に資する層別化技術開発	慶應義塾大学	岡野 栄之
			ロングリードシーケンスとiPS細胞技術で解き明かす、リピート構造異常に起因する骨格筋疾患の発症機構	京都大学	櫻井 英俊
病態解明 ・ 個別一般	R5	R7	運動ニューロン疾患におけるシナプスを介した神経変性機構の解明	愛知医科大学	岡田 洋平
			疾患特異的iPS細胞を用いた病態機序解析による特発性間質性肺炎の層別化と創薬システムの開発	京都大学	平井 豊博
			不死化リンパ球遺伝子変異バンクを用いた、two-hit theoryによる不整脈原性右室心筋症の発症、病態悪化の分子機序の解明	東京女子医科大学	松浦 勝久
病態解明 ・ 個別若手	R5	R7	ヌーナン症候群における心筋細胞周期脱制御機構の解明と治療候補薬の探索	東京大学	伊藤 正道
			患者iPS細胞由来視床下部一下垂体オルガノイドを用いたPrader-Will症候群の病態解明およびエピゲノム編集を用いた治療戦略の構築	慶應義塾大学 6月より 東京医科大学	奥野 博庸
			認知症, 脳卒中の病態解明にむけた遺伝性脳小血管病の血液脳関門破綻機序解明	山口大学	西原 秀昭
			ヒト特異的RNA-タンパク質結合異常から迫る筋萎縮性側索硬化症の病態解明、治療法研究	名古屋大学	横井 聡

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム R5採択課題一覧



文部科学省

疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
バンク利活用促進課題	R5	R9	疾患特異的iPS細胞バンク事業	理化学研究所	中村 幸夫
技術開発・一般	R5	R7	脳細胞ヒト化による神経病態と免疫応答解析の基盤技術開発	京都大学	井上 治久
			疾患特異的iPS細胞の樹立・特性解析・加工の高度化・効率化・情報公開	理化学研究所	林 洋平
			心臓の病理を統合的に再現する領域特異的心筋組織モデルの構築	京都大学	吉田 善紀
技術開発・若手	R5	R7	超高効率1細胞RNA-seq解析技術開発に基づくALS患者由来iPS細胞バンクの疾患関連1細胞データベースの構築	東京理科大学	七野 成之
創薬スクリーニング系確立	R5	R7	孤発性パーキンソン病iPS細胞ライブラリーを活用した治療薬探索	順天堂大学	赤松 和土
			機能性オルガノイドを用いた運動ニューロン疾患遺伝子治療薬スクリーニング系の確立	京都大学	井上 治久
			新・標的分子と新・神経機能解析法を用いた糖脂質代謝異常症の薬剤開発	熊本大学	江良 択実

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム R5採択課題一覧



文部科学省

疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
疾患特異的iPS細胞利活用促進のための共同研究支援課題	R5	R9	iPS細胞を用いた疾患研究推進のための共同研究支援事業	京都大学	齋藤 潤
疾患特異的iPS細胞利活用促進のための共同研究課題	R5	R7	疾患特異的iPS細胞を用いた中枢神経におけるSENDA/BPANの病態解明と治療法開発	京都大学	栗屋 智就
			核酸医薬を用いた、心筋症の予後を改善する新規抗不整脈治療法の開発	東京大学	稲住 英明
			新規自己炎症症候群PSMB9異常症の病態解析	京都大学	齋藤 潤
			疾患特異的iPS細胞を用いた周期性四肢麻痺の病態解明と創薬基盤確立に関する研究開発	京都大学	櫻井 英俊
			多系統蛋白質症に伴う封入体ミオパチーの病態解明と治療法の開発	京都大学	櫻井 英俊
			非翻訳領域リピート病のiPS細胞を用いた病態解明研究	横浜市立大学	土井 宏
			神経線維腫症1型患者のNF1遺伝子変異に基づく病態解明と個別化医療を目的とした疾患特異的iPS細胞の樹立	岡山大学	中田 英二
			特殊な変異を持つ多発性嚢胞腎患者由来の腎臓オルガノイドを用いた早期発症嚢胞の再現	熊本大学	西中村 隆一
			患者由来iPS細胞を用いた胆道異常の病態モデリングと治療法開発	理化学研究所	林 洋平

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム R5採択課題一覧



文部科学省

ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題

開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
R5	R9	アカデミア用GMP準拠ウイルスベクター製造・提供体制の基盤整備と人材育成	東京大学	岡田 尚巳

參考資料

再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会について

開催趣旨

文部科学省事業の再生NWP（平成25年度～令和4年度）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有識者会議を設置。

委員一覧

（敬称略・五十音順）

青井 貴之	神戸大学教授
荒戸 照世	北海道大学教授
岩間 厚志	東京大学教授
岡田 潔	大阪大学特任准教授
小澤 敬也	自治医科大学名誉教授
木村 徹	住友ファーマ株式会社 代表取締役 専務執行役員
後藤 由季子	東京大学教授
佐々木 えりか	実験動物中央研究所 マーモセット 医学生物学研究部長
島田 隆	日本医科大学名誉教授
高橋 政代	神戸市立神戸アイセンター病院 研究センター顧問
◎高橋 良輔	京都大学教授
武田 志津	株式会社日立製作所 専門理事
妻木 範行	大阪大学教授/京都大学教授
中沢 洋三	信州大学教授
中村 雅也	慶應義塾大学教授
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
松尾 真紀子	東京大学特任准教授
○宮園 浩平	国立研究開発法人理化学研究所理事/ 東京大学卓越教授

◎主査 ○副主査

開催実績

【第1回】（令和3年3月5日）

- ・ 現状報告（事務局）
- ・ 本分野に関する研究開発動向

【第2回】（同 4月20日）

- ・ これまでの成果と今後について
- ・ 遺伝子治療研究の在り方について

【第3回】（同 5月11日）

- ・ 疾患iPS細胞バンクとその利活用の在り方について
- ・ 中核拠点の在り方について

【第4回】（同 6月10日）

- ・ 産業界から見た開発推進策、産学官連携策について
- ・ 遺伝子治療研究の在り方について
- ・ 中間とりまとめ（案）について

【第5回】（同 7月14日）

- ・ 中間とりまとめ（案）について

【第6回】（同 12月7日）

- ・ 支援課題の在り方について
- ・ 疾患iPS細胞研究の在り方について

【第7回】（令和4年3月8日）

- ・ 再生医療実現拠点ネットワークプログラムの令和4年度予算案について
- ・ 再生医療実現拠点ネットワークプログラム事後評価結果（案）について

【第8回】（令和4年5月27日）

- ・ 新しい資本主義実現会議及び再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会における検討状況
- ・ 再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方について（案）

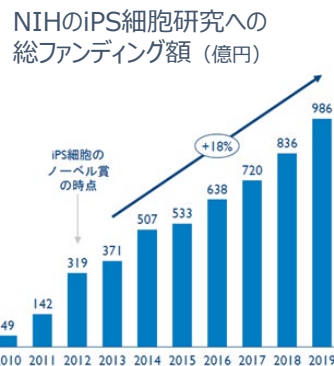
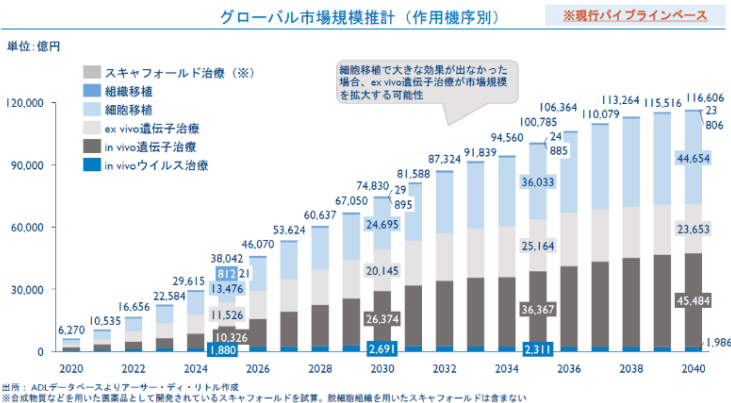
再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方についての概要

「再生医療実現拠点ネットワークプログラム（再生NWP）」（H25年度～R4年度）以降の再生・細胞医療・遺伝子治療研究の推進の在り方について検討する有識者会議（検討会）を開催。再生NWPの取組状況や国内外の動向等を整理し、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を策定。

近年の論文動向・特許出願動向・研究進捗状況

（国際動向）

- 世界における本分野の研究開発は活発化。**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**。米国、欧州、中国にて多くの開発品が生み出されている。
- 米国では、**NIHによるiPS細胞関連研究への支援が継続的に増加**（R1年：986億円）。また、NIHの本分野の支援の7割以上がex vivo遺伝子治療研究。



（我が国の研究開発の成果）

- 論文について、**iPS細胞研究は世界第2位**、**ES細胞研究は、米中英に次いで4位**。遺伝子治療研究のシェアはごく僅か。
- iPS細胞研究の国際的な**特許出願動向**は、近年も増加傾向にあり、**世界第2位**。
- 再生NWPにより、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**。また、再生NWPの「再生医療実現化ハイウェイ」等により数多くの研究を実施、本分野の**研究者の裾野の拡大に寄与**。
- 我が国で**73件が臨床段階**に移行（再生医療分野・AMED事業H25-R2年度累計）。
- 再生NWPによる研究を通じて、12疾患のiPS細胞を用いた臨床研究・治験、疾患iPS細胞を用いた研究により3疾患4薬剤の開発候補品の治験が開始。

再生NWPに対する事後評価結果

- 科学的・技術的意義及び社会的・経済的**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、まだいくつかのステップがあり、切れ目ない研究支援が重要**。
- 異分野の研究者や産業界の参入が十分とはいえない**。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。
- 基礎的理解を深め、科学的な裏付けの下での臨床応用が重要**。
- 若手研究者の育成支援の継続、異分野の研究者の積極的な参入や確固とした産業界との連携、関係省庁間の更なる連携により、基礎研究から社会実装への切れ目ない支援が必要**。
- 基礎研究の更なる推進、分野内外や企業との連携、若手研究者の育成、社会への成果発信等の中心的な役割を担う**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。
- 疾患iPS細胞を用いた病態解析・創薬研究は、低分子化合物に限らず**モダリティの多様性を志向した事業の展開が必要**。
- ヒトiPS細胞バンクは、十分な臨床データ等を備えた**バンキング事業**とすべく、一層の充実・強化がなされるべき。
- 出願後の知的財産の確保・権利化に関するサポート、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。

（参考：再生NWPを通じて臨床研究・治験に進展したもの）

- | | |
|-----------------|------------------|
| ・ 加齢黄斑変性（自家・他家） | ・ 虚血性心筋症（他家） |
| ・ パーキンソン病（他家） | ・ 血小板減少症（自家） |
| ・ 亜急性期脊髄損傷（他家） | ・ 角膜上皮幹細胞疲弊症（他家） |
| ・ 膝関節軟骨損傷（他家） | ・ 網膜色素変性（他家） |
| ・ 頭頸部がん（他家） | ・ 重症心不全（他家） |
| ・ 網膜色素上皮不全症（他家） | ・ 水疱性角膜症（他家） |

(1) 再生・細胞医療・遺伝子治療の融合と分野全体の発展

- 我が国の再生医療分野は、国際的に見ても強みを有するが、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、上記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・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**を図りつつ、裾野の拡大を進める。
- 細胞やベクター等の技術開発や共通の製造・品質評価基盤について、関係省庁において連携し、整備・充実化を図るべき。

(2) 幅広い異分野との分野横断研究の実施

- 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。
- アカデミアと産業界双方のギャップ解消に向け、研究の初期段階からの産業界の参画推進、知的財産・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（rTR）の推進をする。

(3) 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）

- 研究者を糾合し、有機的に連携させる**チーム型研究体制（バーチャルラボ）**を構築することにより、総合力の発揮、人材育成を推進。

(4) 中核拠点をハブとした相乗効果の創出

- 次世代iPS細胞製法の開発や組織・臓器の再生研究、自己修復研究など、本分野の**最先端の基礎研究を総合的に実施しうる中核的な拠点機能が必要**。同拠点が異分野も含めた国内外の研究者、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**も担うべき。

(5) 疾患 iPS細胞を用いた研究の更なる推進

- 疾患iPS細胞を用いた病態・創薬研究の加速のため、優位性が高い疾患領域から付随情報とともに症例数の充実を図るべき。

おわりに

- 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。
- 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・知的財産面の支援、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、それぞれの取組の更なる強化**が重要。