

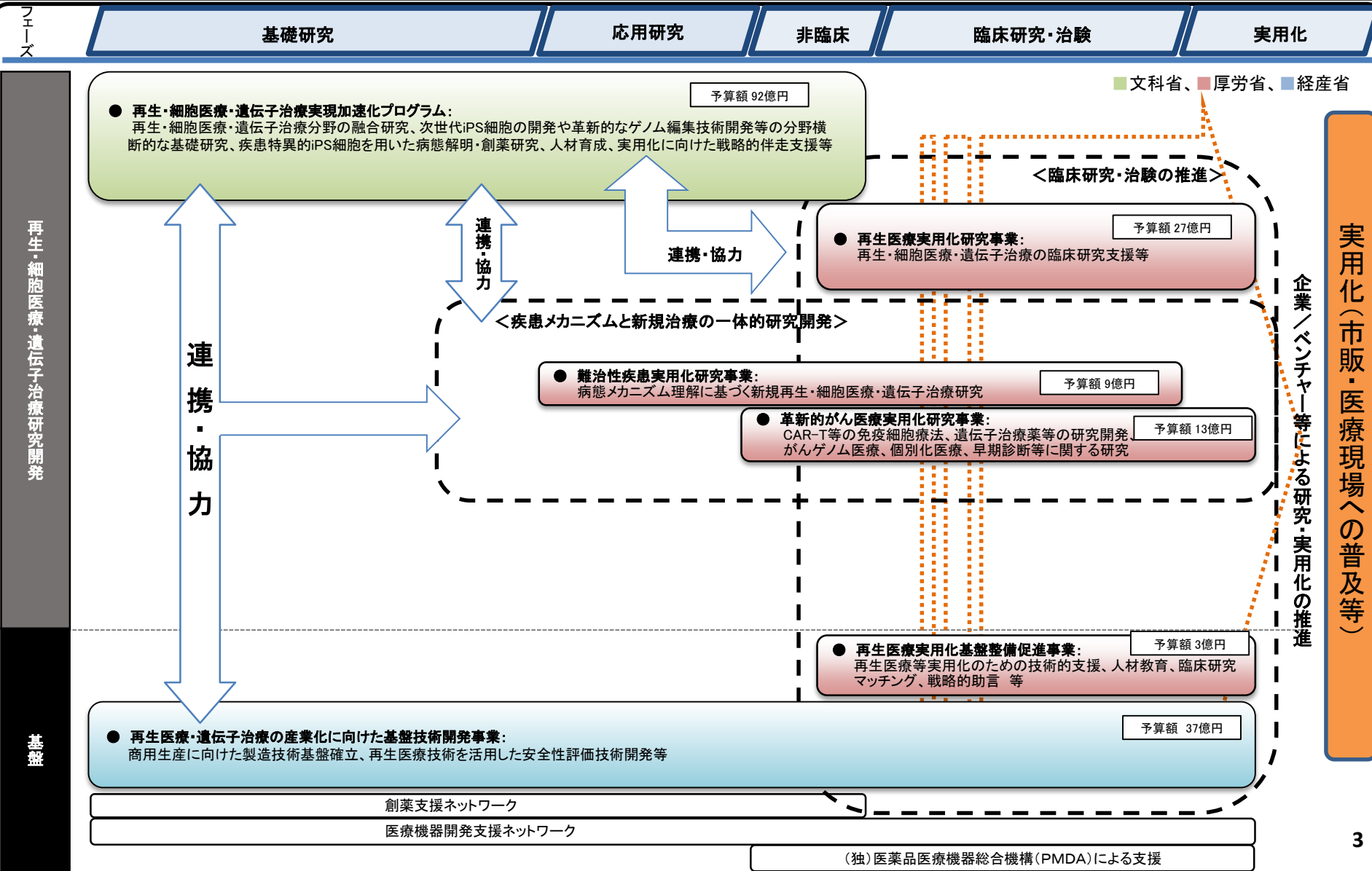
『再生・細胞医療・遺伝子治療分野の今後の取組について』 を踏まえた対応状況と今後の課題について

厚生労働省

1. 革新的がん医療実用化研究事業
2. 難治性疾患実用化研究事業
3. 再生医療等実用化研究事業
4. 再生医療等実用化基盤整備促進事業
5. 遺伝子治療実用化基盤整備促進事業

3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

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。



再生・細胞医療・遺伝子治療領域の今後の取組について

6. 今後の対応の方向性 7. 支援の具体的な内容 より厚生労働省事業の主な対応部分を抜粋

6. 今後の対応の方向性

(1) 基礎研究の成果をベースに「実用化」を推進

- ・アンメットメディカルニーズに応え、患者に新たな医療を届けることを目指す。
- ・再生医療については、10年間の研究支援により、世界初の臨床研究が複数進行し、論文、特許、人材ともに厚みを持ちつつある。今後は、これまでの取組により培われた強みを損なうことなく、有機化学等の工学分野、周辺産業、スタートアップ、知財などに係る様々なステークホルダーが参画して取組を進め、有効な技術を次世代医療として患者に届ける。
- ・そのためには、研究開発費の支援だけではなく、例えば、事業化に向けたハンズオン支援、有効性評価や臨床POC取得に向けた各研究開発段階における支援等の取組を含め、支援の質を高めていく。

(2) 再生・細胞医療と遺伝子治療の「融合」研究による新たな価値創出

第2期健康・医療戦略で再生・細胞医療と遺伝子治療が一体となった統合プロジェクトが位置づけられたことを踏まえ、再生・細胞医療・遺伝子治療の融合研究、本分野における強みを持った病院等の臨床研究拠点整備、細胞・ベクター等の製造のプラットフォーム化等の取組を通じ、両分野の融合による新たな価値の創出を促す。

(3) 次世代 iPS 細胞、オルガノイド、エクソソーム、ゲノム編集による新しい遺伝子治療などの「革新的な研究開発」

再生医療については細胞レベルからスケールアップし人工臓器にたどり着くまでにはなお基礎研究が必要。さらに、次世代 iPS 細胞、オルガノイド、細胞から分泌されるエクソソームや、ゲノム編集医療など、基礎研究領域には新規モダリティが存在。幅広く、革新的な研究開発を進め、萌芽期にある技術を今後の医薬品や医療につなげていく。

7. 支援の具体的な内容

- ・**革新的な研究開発や再生・細胞医療と遺伝子治療の融合研究への支援**はもちろんのこと、科学的裏付けの下で臨床応用を進めるためのrTRの推進、基礎研究段階からの規制対応や**知的財産支援等、実用化を見据えた伴走支援**を充実する。
- ・再生医療等安全性確保法の施行後5年見直しの方向性を踏まえ、これまで再生・細胞医療に支援を限定していた事業による**支援の対象をin vivo遺伝子治療まで拡大**する。さらに、**適切な治験参加患者ネットワークの構築**について検討を進めるほか、**遺伝子治療領域においても、製造開発・臨床開発等を支援するための枠組みを構築**する。
- ・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、厚生労働省が関係省庁と連携して役割分担を行い、**遺伝子治療分野の臨床研究拠点の整備**を推進する。
- ・関係省庁から措置された事業をAMEDが執行するにあたり、有効な技術を患者に届けるという観点から、非臨床を取得している、ないし非臨床・臨床POCの取得が見込まれる研究課題を優先的に採択し、本領域の医療の発展や再生医療等 製品の市場拡大に寄与させていくべきである。

再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト 革新がん医療実用化研究事業

「がん研究10か年戦略」に基づいたがん研究開発
(根治・予防・共生 ～患者・社会と協働するがん研究～)

応用領域

臨床領域

革新的がん医療実用化研究事業

サポート機関 がんの本態解明から革新的な医療実用化に向けた一貫したマネジメントスキームの確立研究

(R5新規) 遺伝子改変免疫細胞 (CAR-T) による難治性がんを対象とした医師主導治験の更なる推進及び製薬企業とのマッチング支援等の強化

研究内容

領域1	がんの本態解明に関する研究
領域2	がんの予防法や早期発見手法に関する研究
領域3	アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究
領域4	患者に優しい新規医療技術開発に関する研究
領域5	新たな標準治療を創るための研究
領域6	ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域
全ゲノム	がん・難病全ゲノム解析等実行プログラム (がん領域)

PJ(モダリティ)

- ① 医薬品
- ② 医療機器・ヘルスケア
- ③ 再生/細胞医療・遺伝子治療
- ④ ゲノム・データ基盤
- ⑤ 疾患基礎研究

次世代がん医療加速化研究事業

導出

還元

連携・協力

医療機器等における先進的研究開発・開発体制強化事業

医療・介護・健康データ活用基盤高度化事業(高度遠隔医療ネットワーク実用化研究事業)

研究支援基盤： 創薬支援ネットワーク、PMDA、がん臨床試験ネットワーク

ゲノム医療の推進に伴い、個別化される治療方針の中で、未だに多くの遺伝子異常に対して適切な治療方法が確立されておらず、有望シーズを実際に発見・開発する必要がある。また、既に国内外において特定のがんに対して製造販売承認されているがん治療薬又はがん以外の疾患の治療薬に関して、適応拡大等による実用化が望まれる。ゲノム医療の実装に備え、新規薬剤開発において、日本発の個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発に関する課題や、適応拡大等による実用化をめざす課題を、引き続き支援する。

がん免疫(細胞)療法、遺伝子治療、ウイルス療法、ゲノム編集技術等の前臨床研究や医師主導治験等

具体的な研究成果等

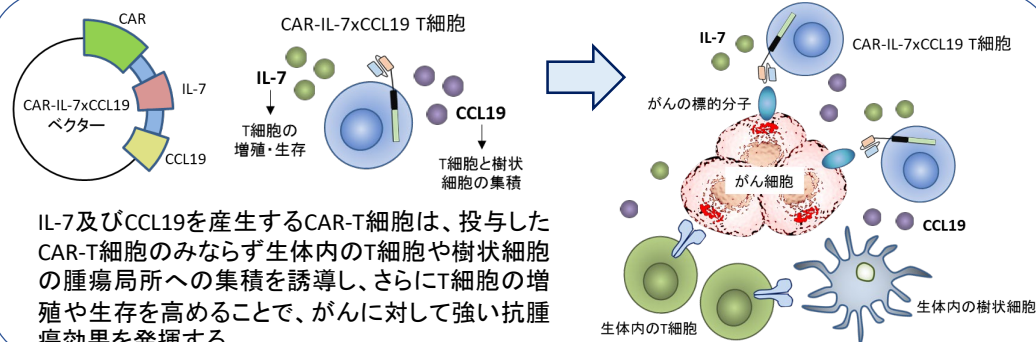
プロジェクト③(再生・細胞医療・遺伝子治療)

固形がんに対するIL-7/CCL19産生型CAR-T細胞療法の研究開発(R1~R3)

国立大学法人山口大学 玉田 耕治

研究内容

研究代表者らは、固形がんに対するCAR-T細胞療法の標的分子として、CAR発現効率及び腫瘍増殖抑制作用の高い分子を見出した。また、当該分子を認識するCARに加え、IL-7及びCCL19を組み込んだCARを発現するCAR-T細胞を開発し、非臨床試験及びGMP製造体制の構築を行った。本結果をもとに国内企業へ導出され、以後の臨床開発は企業のもとで行う予定である。

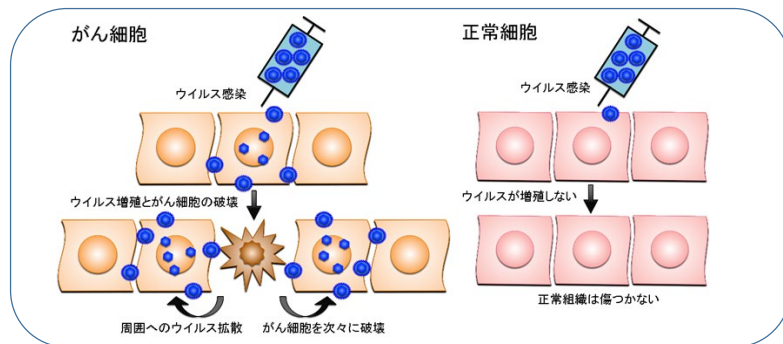


革新的抗がんウイルス療法の実用化臨床研究(H27~R2)

国立大学法人東京大学 藤堂 具紀

研究内容

第三世代のがん治療用ヘルペスウイルス G47Δを用いて、悪性脳腫瘍の一種である膠芽腫の医師主導治験を実施し、1年生存率84.2%と高い有効性を示した（標準治療の1年生存率は14%）。本結果をもとに国内導出先企業とともに、令和2年12月に製造販売承認申請を行い、令和3年6月に製造販売承認された。

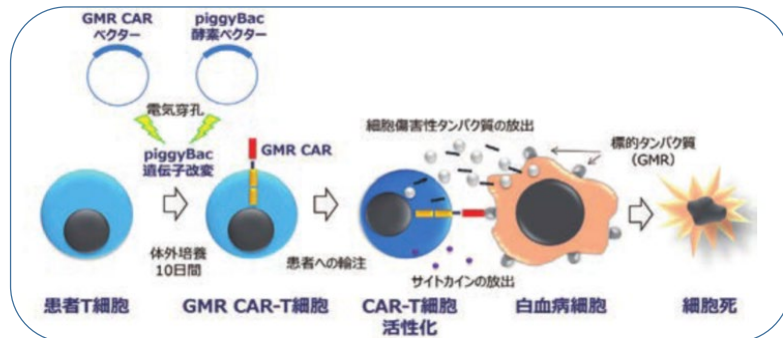


骨髄系腫瘍に対するGMR CAR-T細胞の医師主導治験(H29~)

国立大学法人信州大学 中沢 洋三

研究内容

いまだに有望なCAR-T細胞療法が開発されていない骨髄系腫瘍に対して、世界で初めて、GM-CSF受容体を標的とするCAR-T細胞による医師主導治験を実施。さらにウイルスフリーの独自の方法により、効率的、安価・安全にCAR-T細胞を作成できる革新的な手法を確率した。

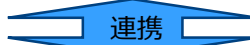
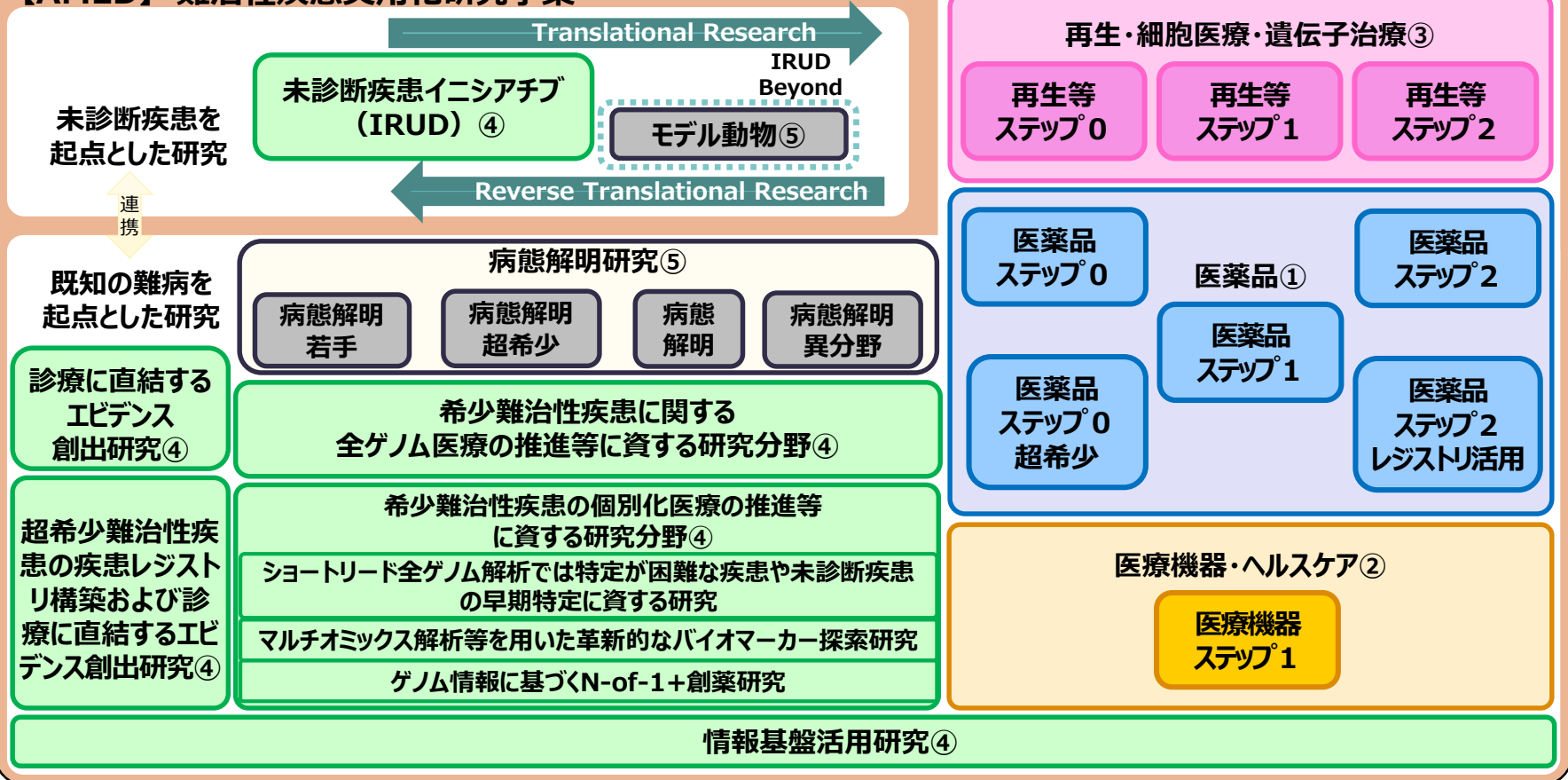


再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト 難治性疾患実用化研究事業

- ①医薬品プロジェクト ②医療機器・ヘルスケアプロジェクト ③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
④ゲノム・データ基盤プロジェクト ⑤疾患基礎研究プロジェクト



【AMED】 難治性疾患実用化研究事業



難病には遺伝性疾患が多く含まれ、原因遺伝子が解明されている単一遺伝子疾患に対しては遺伝子治療が根本治療になりえ、世界的に遺伝子治療の研究が加速している。また、iPS細胞や骨髄由来幹細胞等を用いた再生医療等製品に関する治験も増加している。

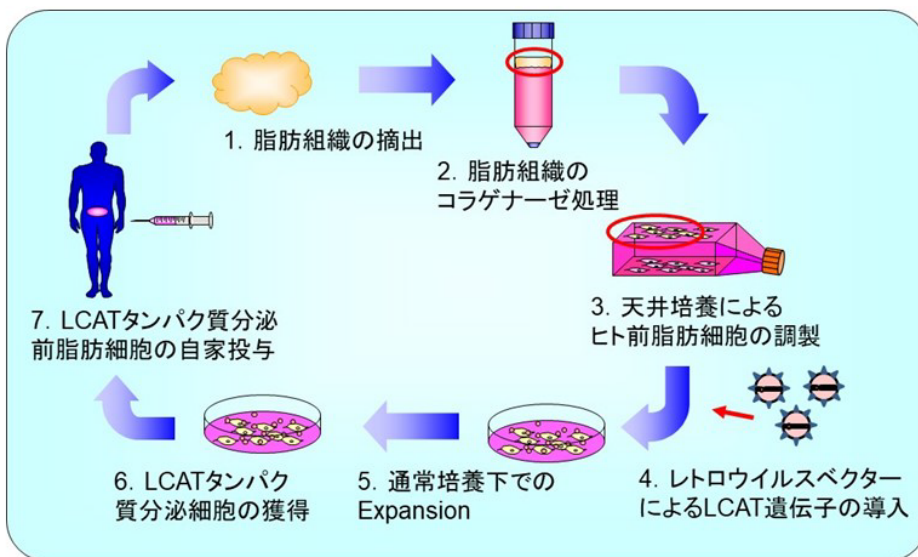
具体的な研究成果等

プロジェクト③(再生・細胞医療・遺伝子治療)

家族性LCAT欠損症を対象としたLCAT-GMAC治療実用化に向けた医師主導治験 (R2-5)
国立大学法人千葉大学 横手幸太郎

研究内容

脂肪細胞より得られた前脂肪細胞にLCAT遺伝子を導入し、拡大培養工程を経て製造された細胞は、高い脂肪分化能とLCAT分泌機能を有し、長期にわたるLCATの安定的分泌と機能補填が可能である。そのため、本製品の一回投与によりFLDに伴う低HDL-コレステロール血症、角膜混濁、溶血性貧血、腎機能障害の改善が、生涯にわたり期待でき、FLDに伴う生命予後を改善しうる、従来の遺伝子治療とは明確に原理の異なる、画期性の高い遺伝子細胞治療となる。現在医師主導治験を実施している。



LCAT : レシチンコレステロールアシルトランスフェラーゼ
(lecithin cholesterol acyltransferase)
LCAT-GMAC : LCAT遺伝子導入ヒト前脂肪細胞
(LCAT-Genetically Modified Adipocyte)
FLD : 家族性LCAT欠損症 (familial LCAT deficiency)

再生医療等実用化研究事業

- 再生医療等の実用化に向け、細胞移植時のヒト幹細胞の腫瘍化や微生物汚染等のリスクに対する安全性確保のための研究、機能不全となった組織や臓器の治療方法探索のための臨床研究、臨床開発の早い段階から出口を見据え、企業の協力を得ながら品質・非臨床データの取得や医師主導治験の実施を進める研究、再生医療等の品質及び安全性を担保する評価基準策定に向けた研究等を支援し、再生医療等製品・先進医療へ着実に繋げることを目的とする。また、日本国内だけでなく海外にも展開可能な再生医療等技術の確立を目指す研究を重視する。
- 令和5年度は、研究開発の進んでいないin vivo 遺伝子治療の実用化に向け、遺伝子導入、改変等が有効と考えられる疾患の治療方法探索のための臨床開発の早い段階から出口を見据え、企業の協力を得ながら品質・非臨床データの取得や臨床研究・医師主導治験の実施を進める研究を支援し、遺伝子治療製品・先進医療へ着実に繋げることを目的とする。特に、in vivo遺伝子治療の臨床研究・医師主導治験の支援及び、その準備段階の支援については、重点的な支援を行い、着実な実用化を目指す。

1) 再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に向けた研究の支援

ア. 安全性の確保のための研究

安全性を確保するため、実用化の課題となっている分野（がん化等）に対する研究を支援。



造腫瘍性、免疫拒絶



体内動態把握

イ. 治療方法探索のための研究

再生・細胞医療を用いた、実用化に近い治療方法に係る臨床研究を支援。



ウ. 多能性幹細胞の臨床応用に向けた細胞特性解析のための研究

臨床に用いる多能性幹細胞が持つ株ごとの細胞特性を解析し、臨床応用の加速化、コスト削減に繋がる研究を支援。



細胞ごとの分化特性解析



神経細胞
肝細胞

エ. 産学連携による研究

アカデミア発のシーズを、速やかに実用化につなげていくためアカデミアと企業が協力して行う、再生・細胞医療・遺伝子治療に関する研究に対して支援。



アカデミア



協力

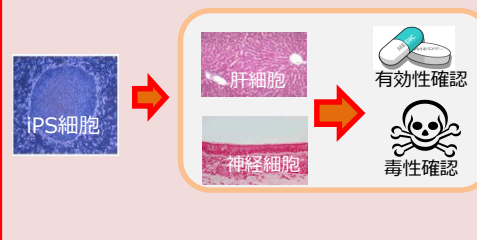


企業

2) 創薬応用に向けた研究の支援

カ. 多能性幹細胞・体性幹細胞等を利用した創薬応用のための研究

臨床研究・治験の移行段階にある医薬品の候補化合物等について、効果的・効率的な研究の実施に向けた安全性評価法等に関する研究開発を支援。



オ. 臨床研究等における課題解決・新たな治療法の開発に係る研究

臨床研究や治験における有効性及び安全性の評価に必要な臨床情報のデータ収集等により、再生医療等の臨床開発における課題を解決し、新たな治療法の確立に繋がる研究を支援。



3) 基盤的支援

研究成果をイ、エの個別事業にフィードバック

キ. 再生医療等技術の効率化のための研究

再生医療の効率化につながる技術の開発・向上や研究プロセスの刷新を図るための研究を支援。



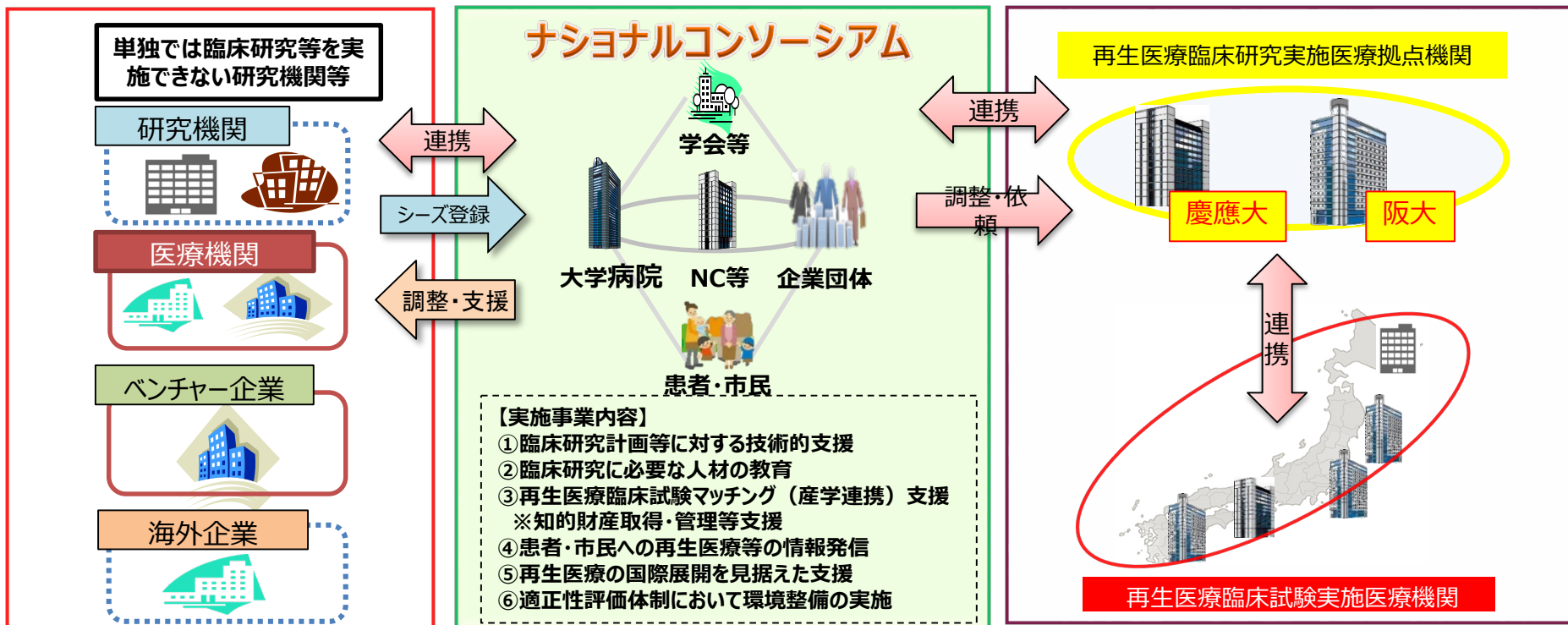
ク. 再生医療等技術の国際展開のための研究

国内での早期実用化を目指して臨床での検証を実施しているところであり、世界的な市場展開も視野に入ってきている段階であるため、製造方法(培養添加物等)や品質管理方法、移送方法(凍結保存液等)の研究を支援。



再生医療等実用化基盤整備促進事業

- 日本再生医療学会を中心とした大学病院や企業団体が参画する連合体（ナショナルコンソーシアム）において、①研究計画等に対する技術的支援を行うとともに、研究基盤の更なる底上げを図るため、②臨床研究に必要な人材の教育の体制を強化し、再生医療の実用化を推進する。また、再生医療の知識・経験を有する再生医療臨床試験実施拠点機関といった医療機関等と連携し、③単独での臨床研究が実施困難な国内外の研究機関・ベンチャー企業等と国内の医療機関とのマッチングの支援を行うことや、知的財産取得・管理等に関する戦略的助言、④再生医療等の適切な情報提供をするための患者・市民参画型イベントの開催、⑤再生医療の国際展開を見据えた支援を実施する。なお、令和3年度から構築している⑥再生医療等の安全性・科学的妥当性を科学的に議論・評価する体制において適切な医療を国民が受けられる環境整備を図る。



再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト 遺伝子治療実用化基盤整備促進事業

1 事業の目的

- 「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画（令和4年6月7日閣議決定）」において、「再生・細胞医療・遺伝子治療については、新たな医療技術の臨床研究・治験の推進、これらの医療技術の製品化に向けた研究開発」を進めることとされている。
- in vivo 遺伝子治療は、希少疾患に対する根治治療となりうるためグローバルには多くの製品開発が行われている一方で、我が国では有望なシーズがあるものの、研究開発が進んでおらず、「実用化」を推進するための基盤強化のための取組が急務である。
- 特に、シーズ探索の段階から「実用化」を見据えたベクター開発の必要性が指摘されており、研究開発の初期から製造開発・臨床開発等を支援し、より効率的に「実用化」を推進する枠組みの構築が望まれている。
- 本事業では、その枠組を構築し、製造開発や臨床研究を支援する中で、遺伝子治療の臨床研究に強みを持った病院を増やし、臨床研究に必要な人材への教育支援も行い、オールジャパンで遺伝子治療の研究開発を推進する。
- 具体的には、大学病院や企業団体等の有識者で構成される、遺伝子治療を支援するコンソーシアムを組織する。本コンソーシアムがシーズ開発から研究者の支援を行い、より実用化に向けて効率的なプロセス開発を行えるように支援する。また、知財取得や規制対策支援、治験参加患者ネットワーク支援等、開発から臨床試験まで円滑に進むような支援も行う。

2 事業の概要・スキーム・実施主体等

民間事業者等に対し、事業に要した経費を支出

