

検討状況説明資料

(再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会)

令和6年5月7日
内閣府 健康・医療戦略推進事務局

本日の御報告事項

1. 再生・細胞医療・遺伝子治療分野の研究開発状況について※
2. 再生・細胞医療・遺伝子治療分野の研究開発における今後の方向性について

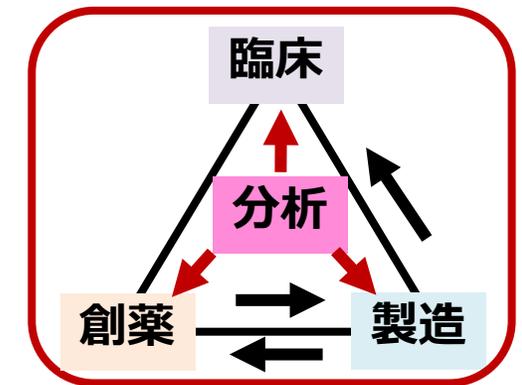
※ <発表者>

- ・大阪大学大学院工学研究科生物工学専攻 内山 進教授
- ・株式会社レストアビジョン 堅田 侑作代表取締役社長CEO
- ・慶應義塾大学医学部医化学教室 佐藤 俊朗教授
- ・慶應義塾大学再生医療リサーチセンター 森本 悟特任准教授
- ・志鷹構成員 再生医療イノベーションフォーラム代表理事会長

In vivo遺伝子治療用 アデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターの製造

大阪大学大学院工学研究科生物工学専攻
内山 進教授

遺伝子治療薬の開発の流れと課題（現状）



成功確率を高めるためには

(創薬)

- ・シーズの種類と数が多く、性質の良いベクターが含まれていること

(臨床)

- ・有効性と安全性が高いこと

(製造)

- ・製造・品質管理性が良いこと⇒手戻りしないために創薬からの製造性の把握

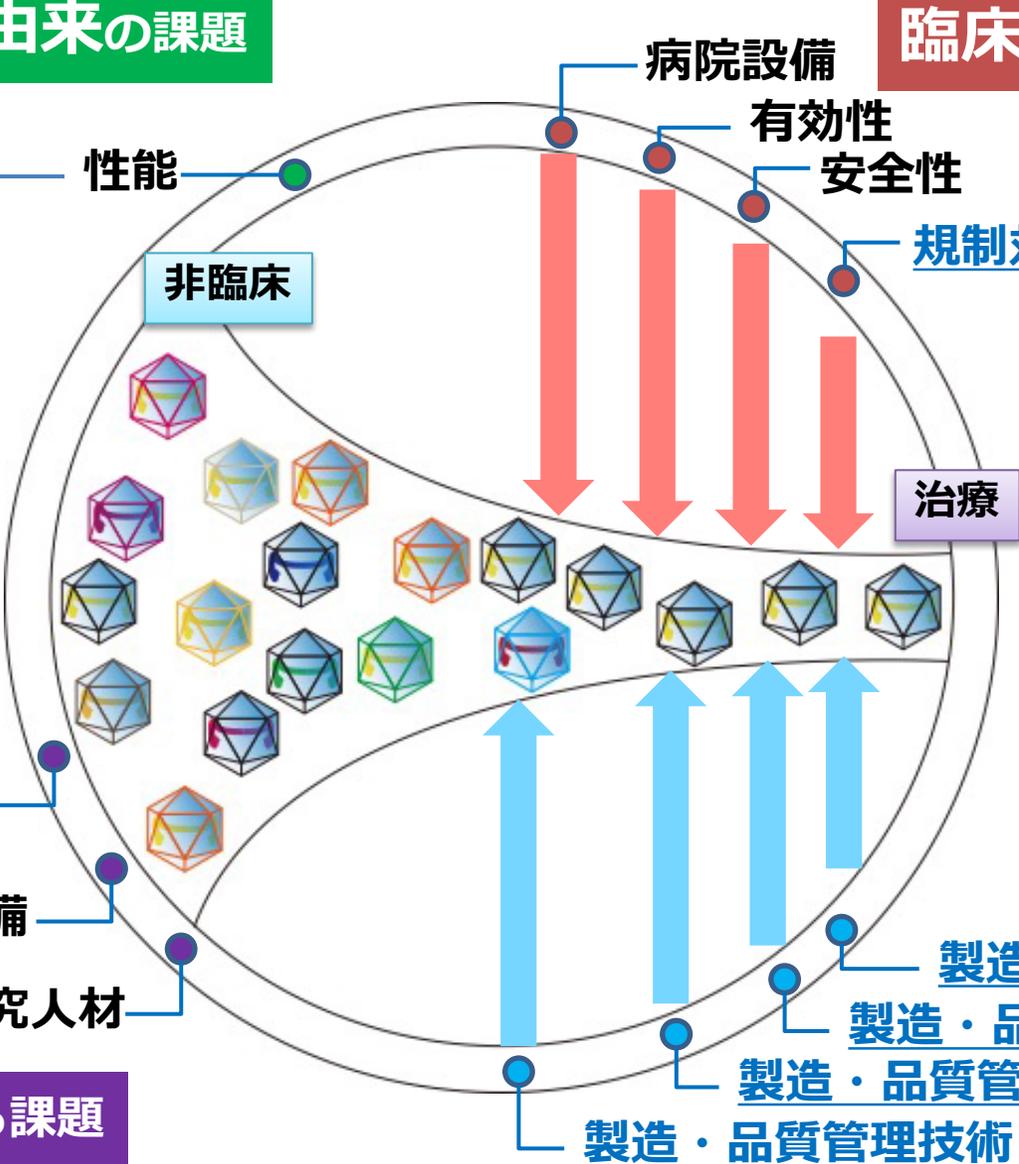
(共通)

- ・分析によるリスクベーストアプローチ

リスクベーストアプローチ
 リスク
 = 分析項目の安全性等への影響強度
 ×
 頻度

ベクター由来の課題

- 製造性**
- 品質管理性**
- ・製造量
 - ・精製容易性
 - ・製剤化容易性
 - ・安定性
- 活性**
- ・組織指向性
 - ・ゲノムサイズ
 - ・遺伝子発現力
 - ・免疫原性



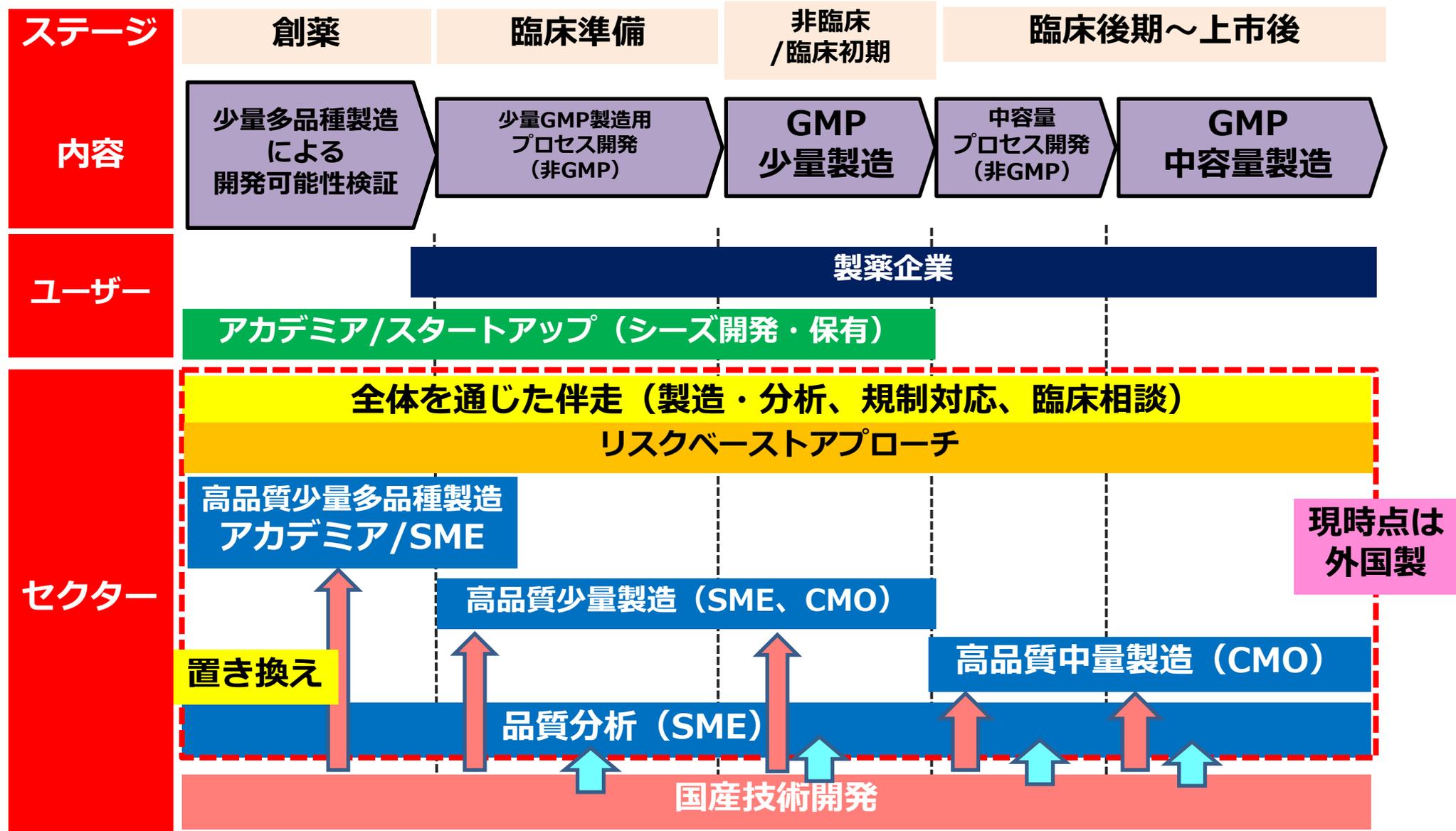
臨床における課題

創薬における課題

製造・品質管理における課題

- ・**製造コスト**
- ・**製造・品質管理設備、消耗品**
- ・**製造・品質管理人材**
- ・**製造・品質管理技術**

高品質、少量製造を安定に稼働させ、国産に置き換える



徹底したモジュラー型のベクター製造に切り替えることが重要

培養（アップストリーム）

分離・精製（ダウンストリーム）

充填・輸送・保存

インテグラル（摺り合わせ）型 専門性が高い「職人」が「経験」に基づき、微調整しながらつくる

製法A

製法B

工程モニタリング

品質分析
規格設定

モジュラー（組み合わせ）型 基礎知識を持つ「技術者」が「数値・規格」に基づき、組み合わせでつくる

製法C

製法C'

品質分析
規格設定

品質分析
規格設定

置き換え
国産

品質分析
規格設定

- ・ 徹底したモジュラー型で状況に応じた消耗品や装置の「置き換え」を容易に
- ・ 分析による規格設定により実現

眼科領域における 世界のイノベーションの潮流と課題

令和6年4月4日（木）15：30～17：30

第10回 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会資料

株式会社レストアビジョン

代表取締役CEO/CSO 堅田侑作



抗体医薬開発のヒトモノカネが遺伝子治療開発へ移行

網膜領域への投資状況

- この20年で投資数は3倍、投資総額は6倍(約14億ドル)へ
- VCからの平均資金調達ラウンドサイズは約6,000万ドル
- 弊社同ステージの競合企業は約150億円を調達

Summary of the 15 largest financings of retinal therapeutics companies since 2004

US and European private companies, with at least one retinal pipeline program, have been considered. The table has been sorted by round size.

Company	Year	Financing round	Round size in \$ million	Target/Pathway	Modality
Frontera	2022	Series B	160	undisclosed	AAV gene therapy
Unity	2017	Series B	151	Bcl-xL/Tie2/VEGF Inhibition	Antibody/Small molecule
Alkeus	2023	Series B	150	Visual cycle modulator	Small molecule
Gyroscope	2021	Series C	148	FI/complement	AAV gene therapy
Unity	2016	Series C	116	Bcl-xL/Tie2/VEGF Inhibition	Antibody/Small molecule
Ray Therapeutics	2023	Series A	100	Optogenetics	AAV gene therapy
Annexon	2020	Series C	100	C1q/complement	Antibody
4DMT	2018	Series B	90	Multiple	AAV gene therapy
Iveric	2013	Series C	83	C5/complement	Aptamer
Life	2022	Series C	82	Epigenetic reprogramming and autophagy	AAV gene therapy
Complement Tx	2023	Series A	79	CR1/complement	AAV gene therapy
Perceive	2023	Series B	78	Undisclosed/complement	AAV gene therapy
Vedere Bio II	2021	Series A	77	Optogenetics	AAV gene therapy
Sparing Vision	2022	Series B	76	Cone function and protection	AAV gene therapy/gene editing
Intergalactic	2021	Series A	75	Abca4 correction	Non-viral gene therapy

現状と課題

- **基礎・応用研究側の課題**
 - 創薬を見据えた知財創出の欠如
 - 国内に産業・就職先がなく、学生・研究者の減少
 - 応用・開発側との連携不足
 - 知財の収益化経験の不足
- **製造開発の課題**
 - グローバルで上市を目指せる国内CDMOの不在
 - 品質薬事専門家の不在
- **臨床側の課題**
 - 再生医療の有効性評価指標の未開発
 - 再生医療の治験実施施設・人材の不在
 - 患者会の力不足
- **資金側の課題**
 - 必要な開発費と投資額・補助金額の乖離
 - バイオ創薬分野でのグローバル創薬成功例の不在

課題への対応案

- **基礎研究・応用研究段階からの先を見据えた開発支援**
 - ディスカバリーフェーズから新薬開発のルートに乗せるシステム構築
- **製造開発支援**
 - 助成金・規制側と連携した先に繋がる臨床用ベクター製造パッケージ
- **遺伝子治療治験拠点病院**
 - 再生医療治験をシステムティックに実施可能な専門病院
- **バイオベンチャーの育成**
 - アカデミア知財をグローバルで収益化するバイオベンチャーの出現

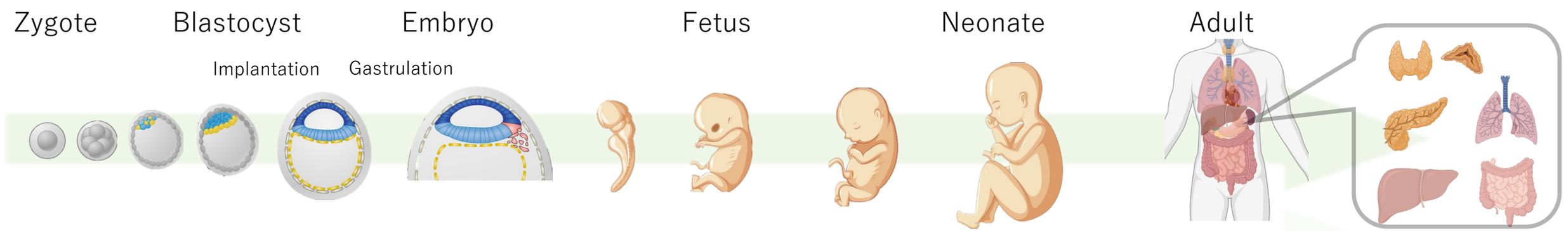
オルガノイド研究について



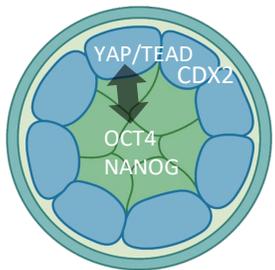
KEIO UNIVERSITY
Integrated Medicine
And Biochemistry

佐藤俊朗

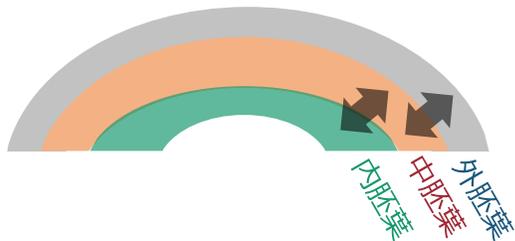
全ライフステージを跨ぐオルガノイド研究



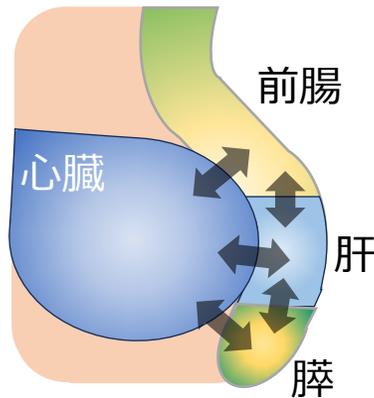
胚胎組織と
胚外組織の
相互作用



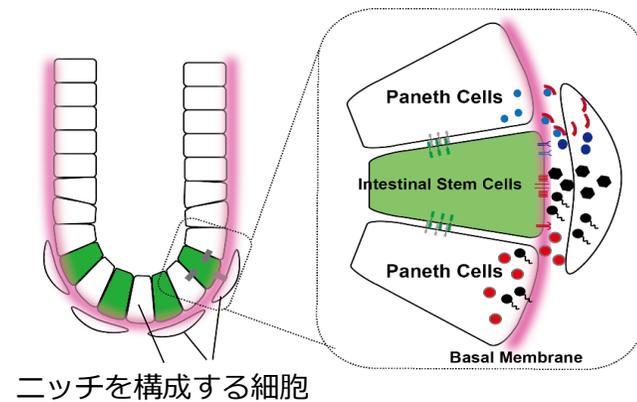
胚葉間の相互作用



臓器間の相互作用



幹細胞と微小環境 (ニッチ)
の相互作用



Embryogenesis

Organogenesis

Homeodynamics

再生医療

個別化医療

創薬研究

稀少疾患研究

基礎医学生物学研究

再生医療

多能性幹細胞 由来オルガノイド

理論上あらゆる組織
に応用可能

胎児レベルの成熟

滲出型加齢黄斑変性症（網膜）
角膜疾患（角膜）

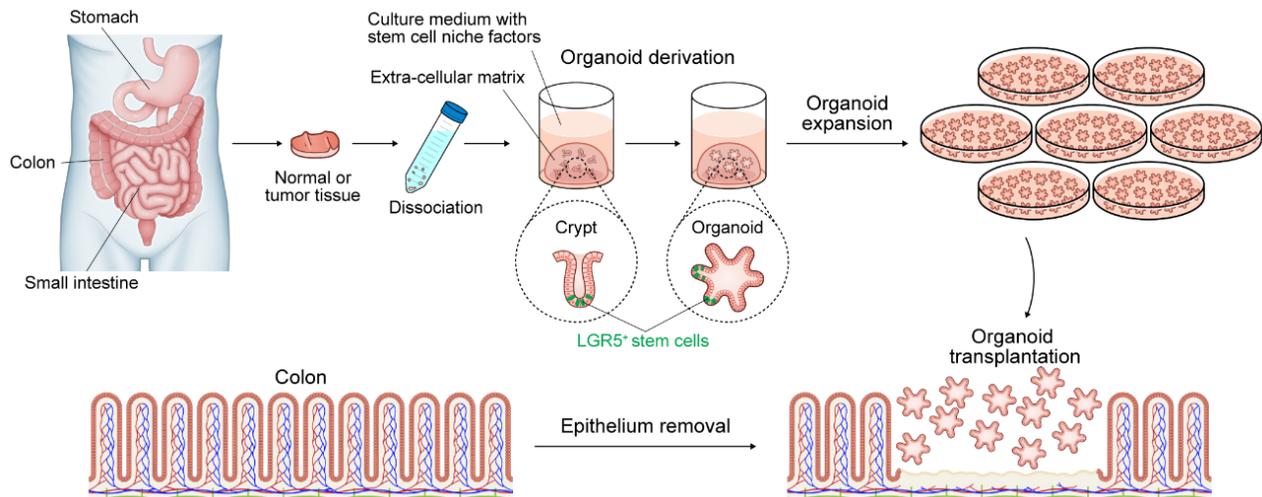
成体組織幹細胞 由来オルガノイド

樹立困難な組織がある

成体レベルの成熟

炎症性腸疾患（腸管上皮）
口腔乾燥症（唾液腺）

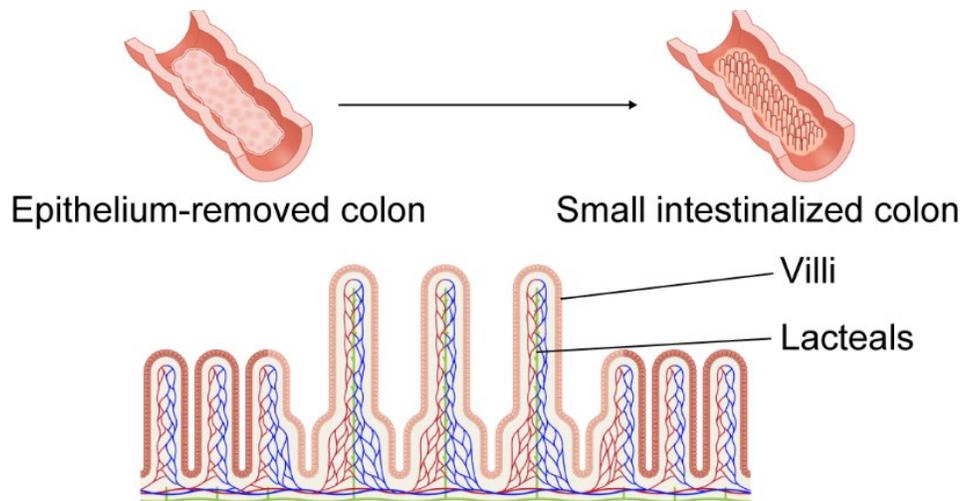
大腸の構造を利用し、上皮のみを置換するコンセプト



大腸に腫瘍オルガノイドを移植



大腸に正常小腸オルガノイドを移植



大腸に正常大腸オルガノイドを移植





RNA編集技術を用いた 難病治療法開発の世界的な現状



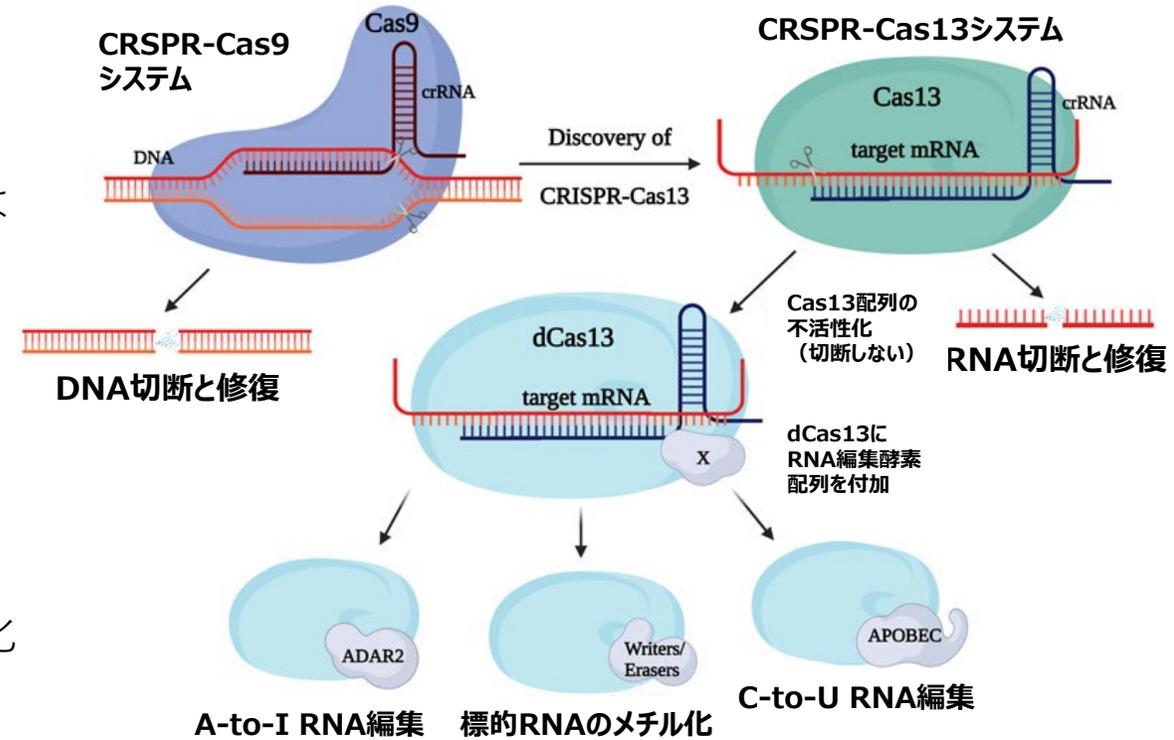
慶應義塾大学
再生医療リサーチセンター
特任准教授
森本 悟

RNA編集技術

- RNA編集には、(1) A-to-I編集、(2) C-to-U編集、(3) 挿入、(4) 削除(欠失)など複数のパターンがある
- ヒトの生体において、最も高頻度に行われているRNA編集は**A-to-I RNA編集**

A-to-I RNA編集とは、**内在性のRNA編集酵素**である2本鎖RNA特異的アデノシンデアミナーゼ(Adenosine Deaminase Acting on RNA: **ADAR**)という酵素によって、RNA上のアデノシン(A)を脱アミノ化して、イノシン(I)に置換する編集

タンパク質へ翻訳される際、mRNA上のイノシン(I)は化学構造が類似しているグアノシン(G)として認識されるため、A-to-I RNA編集はA-to-Gゲノム編集と同じ意味を持つ



出典 Front Genet. 13, 834413, 2022

CRISPR-Cas9を用いたゲノム編集が、**DNAの塩基配列を改変する機構**であるのに対し、CRISPR-Cas13を含むRNA編集は、ヒトに内在する酵素(ADAR等)で**RNAの塩基配列を改変する機構**。つまり、RNA編集はヒトに内在する酵素を使った**一過性のRNA改変**であり、創薬応用に際しては、**免疫原性やオフターゲットのリスクなどが比較的低い**とされている。特にCas13 system等はPAM配列不要のため、**標的を比較的自由に決められる**。

RNA編集治療開発の世界動向

- ・ 2019年10月 スイスAtlas Venture社は、RNA編集療法の開発を手掛ける米Korro Bio社を設立
- ・ 2020年7月 米Oregon Health & Science大学（OHSU）が、Rett症候群モデルマウスを用いて、変異修復目的に、RNA編集が有用であることを示す（Cell Reports誌）
- ・ 2021年8月 **スイスRoche社**が、RNA編集の創薬基盤技術やアデノ随伴ウイルス（AAV）ベクターの基盤技術を持つ米Shape Therapeutics社と提携（アルツハイマー病やパーキンソン病等の神経変性疾患を対象に治療法開発を目指す方針）
- ・ 2021年9月 **米Eli Lilly社**が、RNA編集の創薬基盤技術を有する米ProQR Therapeutics社と提携
- ・ 2022年10月 **米Ascidian Therapeutics社**が、ABCA4関連網膜症を対象とするリードプログラムの臨床試験実施申請（IND）を表明
- ・ 2023年8月 米Amber Bio社が、1回の治療でキロベース単位の多重RNA編集を実行するプラットフォームを開発用に2600万ドル（約37億円）を調達
- ・ **2023年9月** 米Wave Life Sciences社が、 α 1アンチトリプシン欠損症（AATD）の適応で開発中のRNA編集オリゴヌクレオチド医薬（WVE-006）について、**RNA編集治療として初めてとなる臨床試験実施申請（CTA）**を提出
- ・ **2024年1月** 米Ascidian Therapeutics社が、ABCA4関連網膜症のRNAエキソン編集療法（ACDN-01）について、臨床試験実施申請（IND）が米食品医薬品（FDA）に了承され（ファストトラックに指定）、**第1/2相臨床試験（STELLAR試験）を2024年上期に開始**する方針

世界的な競争は、DNA編集技術のみならず、すでにRNA編集領域でも苛烈を極める

本邦のRNA編集治療の現状と課題

【本邦の現状】

2022年3月より、自治医科大学附属病院と遺伝子治療研究所の共同により、ADAR2発現AAVベクター髄腔内投与による孤発性筋萎縮性側索硬化症遺伝子治療の第I/II相臨床試験が開始。2024年02月に終了予定。
⇒ようやく本邦でも、RNA編集治療の黎明期を迎えている。

【本邦の課題】

参考 第3回再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 資料1-2
東京大学医科研：藤堂具紀先生、杏林大学：福原浩先生

1. 基盤研究とTR（トランスレーショナル・リサーチ） 専門家育成の重要性

2. DNA/RNA治療開発・TR拠点病院の必要性

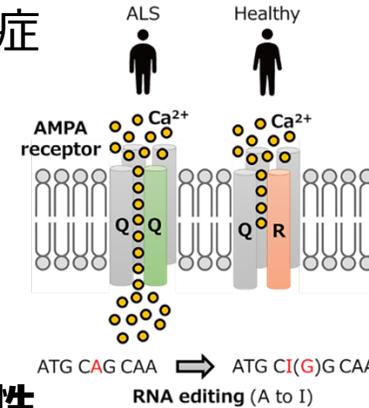
・ DNA/RNA治療と再生医療を実践する病院、遺伝子治療の治験製品製造施設、研究倫理そしてTRに精通した専門家チームが揃うことが重要

3. 規制と制度のハードル

・ 薬機法の再生医療等製品に対応して、「再生医療等製品」の臨床研究は、in vivo DNA/RNA治療も含めて再生医療等安全確保法に一本が望ましい
・ 国際競争で不利にならない制度環境

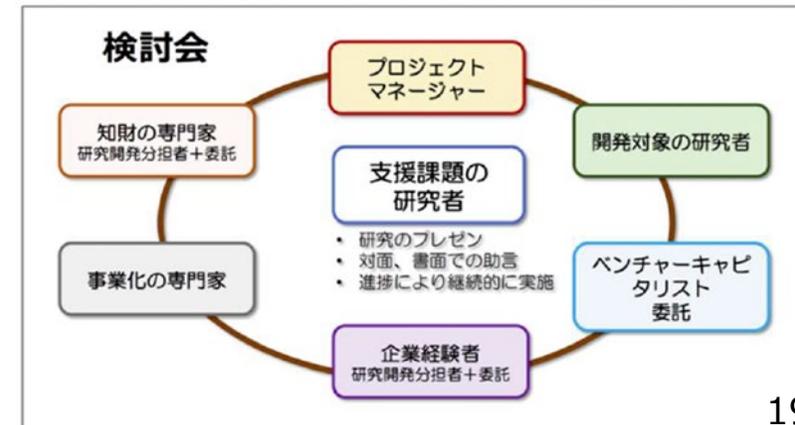
4. 研究開発の初期段階からの知財戦略とパートナー企業探索

* AMEDが再生・細胞医療・遺伝子治療開発における知財と事業化の支援課題を設定。知財や事業化計画に関して、メール相談窓口、継続的支援、教育機会の提供。



ALS 遺伝子治療の治験始まる 患者への投与は国内初

2023年4月26日 20時35分



2024年4月4日（木）

内閣府 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会

企業視点からの再生医療の現状課題と 解決への道筋

一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム（FIRM）

代表理事会長 志鷹 義嗣

はじめに：再生医療はGame Changer

周辺産業も含めた
経済成長

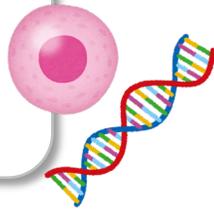


これまで治せなかった疾患に
対する治療法の提供



Game Changer

既存医薬品とは
大きく異なる
特徴・特長・多様性



基礎・臨床研究での
日本の強みを生かして
世界をリード



既存医薬品とは大きく異なる特徴・特長

- 再生医療等製品は、従来の医薬品とは、「ビジネスモデル」および「適応すべきルール」を変える必要がある

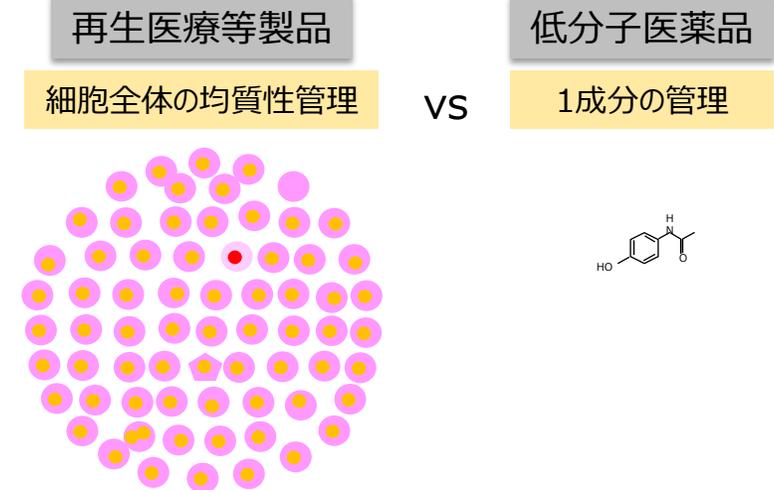
既存医薬品とは大きく異なる再生医療等製品の特徴・特長



大きさ



品質管理の難易度（イメージ）



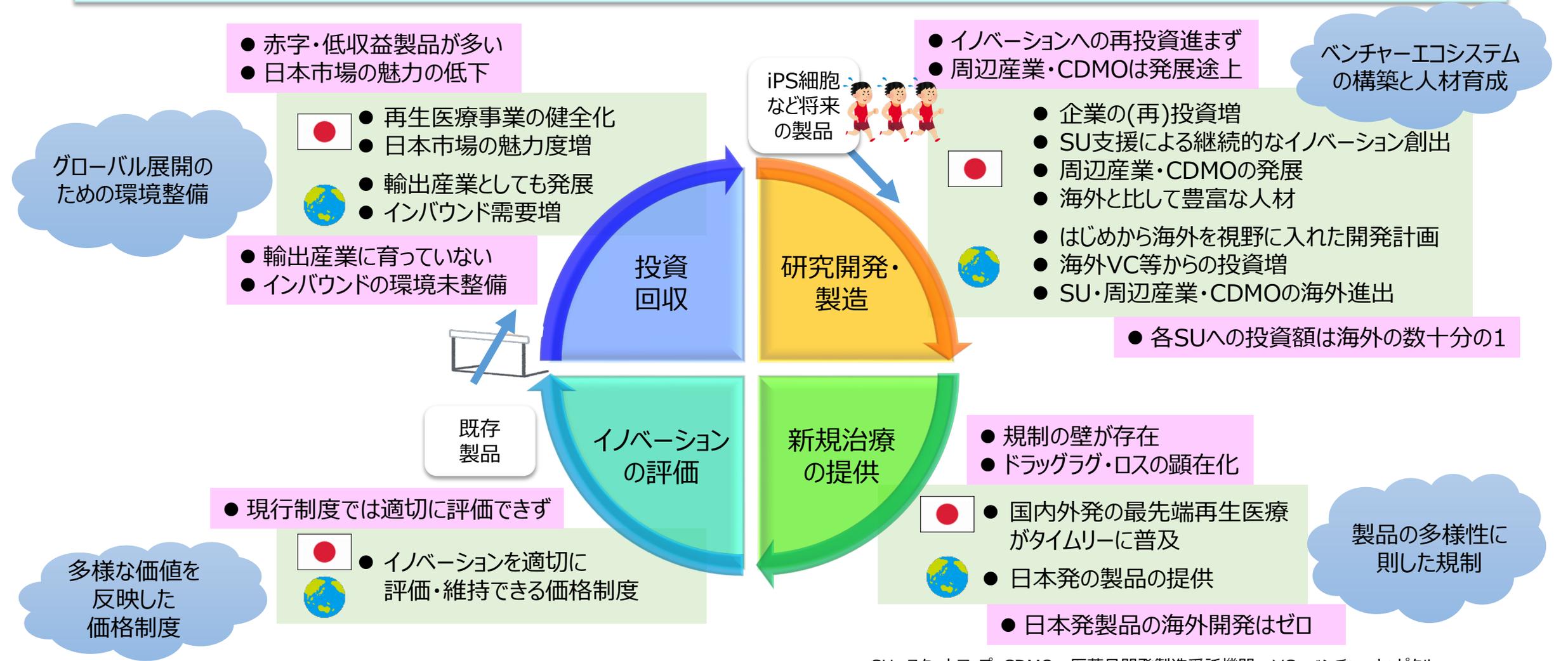
再生医療の現状とあるべき姿、解決への道筋

あるべき姿

現状

必要な
政策

- 再生医療のあるべき姿の実現に向けた政官学産の連携が必要

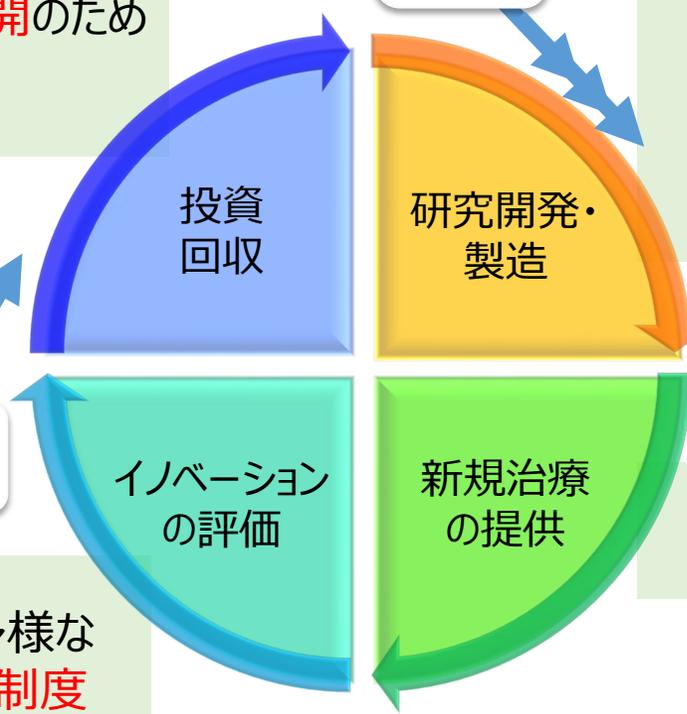


まとめ：再生医療等製品の創出力強化に向けた施策

- 上市品のグローバル展開のための環境整備



既存
製品



- 開発候補品創出/Biomanufacturingの谷を越えるための支援、および企業のグローバル展開への支援
 - ✓ 製薬企業のCapability活用促進支援
 - ✓ 周辺産業・CDMOの強化
 - ✓ 海外VC等からの投資誘因
- 人材育成と人材流動化の促進支援

- 再生医療等製品に則した規制の整備及び見直し

- 再生医療等製品の多様な価値を反映する価格制度

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・遺伝子治療分野の
研究開発における論点と対応案について

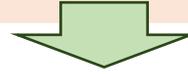
再生・細胞医療・遺伝子治療分野の現状・特殊性

- 再生・細胞医療・遺伝子治療は、アンメットメディカルニーズに応え得るモダリティ
- 細胞培養や分化誘導、遺伝子改変技術等、他の分野にはない固有の特長・特徴
- 我が国発の技術であるiPS細胞は世界トップレベルの研究開発を推進
- 遺伝子治療の分野は世界と比べて遅れており、かつ遺伝子治療の分野は世界的に市場拡大の動き
- 我が国発のシーズから生まれた再生医療等製品数は12品目を数えるなど実用化も進展
- 他方、高い製造コストや各製品の市場規模、海外との技術開発競争などのビジネスリスクが存在
- 新たな製品を生み出し本分野をさらに成長させるには、用途の幅を広げ、売上と投資のサイクルを回す観点も必要
- 今後飛躍できるか否かは第3期これからの5年にかかっている



今後の方向性

- 世界最高水準の医療を国民に提供するという目標のもと、本分野の研究開発を基礎から実用化まで官民あわせて推進し、新しい治療法を開発して製品化につなげる。
- 再生医療等製品に限らず、例えば動物実験代替等の潮流の変化も踏まえつつ、本分野の技術の実用化・製品化の用途を創薬支援等に広げ、産業応用を進める。



目指すべき姿

★2040年

- 難病、高齢者疾患、慢性疾患に対する特効薬/治療法が日本で開発され、根治可能・治療可能な疾患が増加している
- グローバル展開に資する研究開発の推進により、日本発シーズが世界に展開されている

★2030年

- 上記2040年の姿の実現に向け、再生・細胞・遺伝子治療分野の研究開発による次世代医療の提供が促進されている
- 強い知財に基づいたシーズ等がアカデミアから創出されている
- 技術や知識を持った再生医療を支える人材が充実し始めている

(資料：花村遼,実験医学: Vol.41,No.3;2023、再生医療で描く日本の未来研究会 2024年2月14日 事業構想大学院大学「ロードマップ」)

項目1：再生・細胞医療領域の課題と対応の方向性

大論点

これまでの再生・細胞医療領域への投資により成果が創出されつつあり、第3期では「実用化」を加速化させる必要がある。iPS細胞等を用いた実用化に向け、再生医療等製品の創出に加え、MPSや疾患特異的iPSを用いた創薬等の他の技術への活用も加速させていく必要があるのではないか。

小論点	対応案
<p>1. iPS細胞がより適した疾患、臓器はあるか。これまでに実用化されているもの以外でも実用化を進めるべき疾患、臓器を特定する必要がある。</p>	<p>研究成果の実用化に向けて、再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い多様な研究開発を推進する。 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で実施しているMPS※技術の研究開発による作用機序や毒性評価解析の成果を踏まえつつ、iPS細胞で再現をすることが適した臓器を引き続き検討する。（文、経） ※MPS= Microphysiological system ヒト生体模倣システム</p>
<p>2. オルガノイド、ミニ臓器は更なる発展が期待できる。エクソソームなど細胞を用いない新規技術についても注目すべき。</p>	<p>オルガノイド（ミニ臓器含む）、エクソソーム等を含め、新しい治療手法となりうる新規技術について、革新的な研究開発を推進する。（文）</p>
<p>3. 製剤化、実用化の推進や企業参入の障壁として、環境・人材・製造整備の問題や、輸送面、制度上の課題が存在するのではないか。</p>	<p>令和4年度第二次補正予算「再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けた環境整備事業費補助金」を通じて、研究開発～製造～治験までを途中の輸送も含めて一貫して実施出来る拠点を整備したところ。拠点の整備と運用を通じて課題の洗い出しと対応を進め、普及の足掛かりとする。同時に製造拠点の強化や人材育成については、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等で継続的に取り組んでいく。（経）</p>
<p>4. iPS細胞を用いた再生医療は、疾患・対象患者が限定され、高コストになる特徴がある。iPS細胞技術等の利用法を医療の他（疾患モデル、創薬標的の探索、毒性試験等）にも追求することが必要。</p>	<p>患者由来のiPS細胞等から疾患モデルを構築し、そのモデルを活用することで疾患の治療薬候補の同定が行われる等の進展が見られる。患者由来のiPS細胞から疾患と関連する細胞やオルガノイドを分化培養させ疾患モデルを構築し、そのモデルを活用することで難病の病態解明や創薬標的を探索する研究開発を再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム等で強化する。 近年開発が加速化している新たな創薬分野（抗体医薬、核酸医薬、遺伝子治療薬）については、構造が複雑で従来の低分子医薬品の動物実験データからは予測できない副作用があることから、iPS細胞の技術を用いてチップ上に生体を模倣し、毒性や作用機序を精緻に予測する生体模倣システムの開発が有用であり、これを再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業等を通じて加速する。（文、経）</p>

当日の協議会で挙げた主なご意見（項目1：再生・細胞医療領域の課題と対応の方向性）

- ✓ 臨床試験でRCTを実施し、再生医療の有効性を科学的に示す必要がある。（小論点1他）
- ✓ iPS細胞に対する敷居がまだ高い気がする。孤発性疾患の創薬ができるツールとして、もっと研究者が敷居を低く、臨床情報やゲノム情報も付随したかたちで使えるような体制を国内で整備されれば（小論点1）
- ✓ シーズを絶え間なく発掘するため、出口だけでなく基礎研究の充実が必要（小論点2）
- ✓ 新しい治療法となりうる新規技術について、オルガノイドやミニ臓器の発展は確かにそうであるが、加えて、オルガノイドで作ったものに人格があるかどうかの議論もあるので、ELSIについても必ず触れておく必要がある。（小論点2）
- ✓ 若手の人材育成について、5年、10年間隔ではなく、毎年継続的に公募を行いチャレンジング・革新的な研究に携わる人を安定的にリクルートする仕組みが必要。
- ✓ 新しく伴走支援事業が始まったことは評価できる。まだ手探りだが、産業界にも入っていただけており、安定的に運用されれば人も集まる。
- ✓ 開発に時間をかけていると特許がきれてしまい、興味をもたれなくなる。特許戦略が必要。
- ✓ 培養のやり方そのもの。バイオリジカルな観点から自動化あるいは簡素化するための基礎開発、イノベーションが必要。
- ✓ バイオマニュファクチャリングの壁が、細胞の場合特に大きい。スケールアップ等が未着手で上市に向けてプロセスを検討しなければならないと、大きなリスクになる。それには、オペレーターの熟練度によらないプロセスにしておく必要がある。ロボティクスは日本の強味なので、ロボットを駆使して、細胞のプロセスをつくれるような人材等を考えるのがよいのではないか。

項目 2 : 遺伝子治療領域の課題と対応の方向性

大論点

世界的な市場拡大、開発進展に対し、日本は大きく遅れており、第3期では参入形態についての戦略が必要ではないか。どこに注力し、何を優先して取り組むべきか、何が隘路か海外動向も勘案しつつ戦略を持って取り組む必要がある。

小論点	対応案
<p>1. 遺伝子治療を日本が取り組むうえで、血液がん以外の疾患領域（固形がん、難病等）の研究開発推進が必要。</p>	<p>in vivo遺伝子治療を研究対象とすることに加え、再生・細胞医療と遺伝子治療を一体的に取り組む融合研究を推進する。さらに、様々な疾患を対象に遺伝子治療技術を含む新たな治療技術開発を再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムで推進する。また、研究開発段階が変わる際の壁を低くすると共に、令和6年度から開始されるがん10か年戦略（第5次）に従った支援を革新的がん医療実用化研究事業等で推進する。（文、厚）</p>
<p>2. ベクターやAAV、ゲノム編集技術(CRISPR-Cas9など)の利用料が高額であるため、国産のベクターやゲノム編集技術の開発が必要。ウイルスベクター細胞や非ウイルスベクターの開発も重要。</p>	<p>基礎研究段階から知的財産支援などの実用化を見据えた伴走支援を行いながら、我が国発のゲノム編集技術を活用した新規治療法の開発等を実施する。また、中核拠点も活用して、新たなゲノム編集技術や遺伝子送達技術開発など本分野の基盤的な研究開発に取り組む。GMP準拠非臨床用ウイルスベクター製造基盤整備を実施し、既存技術に基づいたベクター製造開発に取り組む。また、既にGMP準拠ベクター製造体制を有する機関に対して、臨床試験に使用する高品質ベクターの製造基盤整備の支援を行う。</p> <p>さらに、国産のウイルスベクター産生細胞の技術開発からそれらを用いた商用でのベクター製造技術開発、およびゲノム編集技術を用いた遺伝子改変細胞の製造技術開発にも、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等で取り組む。（内、文、厚、経）</p>
<p>3. 医薬品GMPレベルでのベクター製造拠点が必要。サプライチェーンの観点から国内整備が重要。</p>	<p>GMP準拠非臨床用ウイルスベクター製造基盤整備を実施し、国内でのアカデミア向けの少量多品種なニーズに対応できるウイルスベクター製造基盤の構築を進める。GMPレベルでのベクター製造が可能なCDMOを育成すべく再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業等により支援を実施する。（文、経）</p>
<p>4. 今後遺伝子治療の分野を活性化させるには研究開発の強化や若手育成研究拠点が重要。また、若手の海外研究経験、海外研究者とのネットワーク形成も重要。</p>	<p>再生・細胞医療・遺伝子治療加速化プログラムにおいて、再生・細胞医療と遺伝子治療が一体となった研究を実施できるよう京都大学iPS細胞研究所（CiRA）、自治医科大学、国立成育医療研究センター、CiRA財団が中核拠点となり、遺伝子治療分野も含む研究開発を引き続き強化するとともに、遺伝子治療分野も含む幅広い専門技術を有する若手研究者の育成を進める。（文）</p>

当日の協議会で挙げた主なご意見（項目2：遺伝子治療領域の課題と対応の方向性）

- ✓ 遺伝子治療は、作るものがないからおそらく日本のCDMOも少ないという状況。そこでウルトラレアディーズ向けの遺伝子治療など国のお金もいれて小規模に始めて。何かしら手を動かしていく必要がある。（小論点1）
- ✓ 国産の遺伝子治療製品を早く作るための前提として、特許の縛りのない（特許の切れた）ウイルスベクターを選ぶ、国産のベクター産生細胞の開発の2点が必要。そのうえで、1種類のベクターを用いて、5か10の疾患遺伝子を選んで、第2、第3の遺伝子については製造承認を効率化する体制をPMDAと連携して構築していくのが重要ではないか。（小論点2）
- ✓ CDMOのうちの細胞医療以外の所について自立できるよう国が継続的・長期的な支援を行うか、ビジネスとして成り立つような支援を行わないと10年後ぐらいに潰れてしまう可能性がある。（小論点3）
- ✓ 日本の今の定義ではなく、RNAやmRNAも遺伝子治療の定義に入れて、活性のために研究者のポピュレーションを増やしていく必要がある。またmRNAでは、デリバリーとしてLipid nano particleが主体となるが、日本の強い分野である本技術を高めることで日本の優位性を出せるのではないか。またメジャーには使われていないウイルスを改変したワクチン開発の研究があり、これらは日本独自のベクターとして使える。（小論点4）

項目3：再生・細胞医療・遺伝子治療領域の課題と対応の方向性

大論点 再生・細胞医療・遺伝子治療の分野で固有の課題（研究、規制、環境等）があり、それが分野全体の発展を阻害しているのではないか。

小論点	対応案
<p>1. 医療分野と工学系アカデミアとの分野融合や、再生・細胞医療分野と遺伝子治療分野の研究者同士の連携による革新的研究開発の推進が重要。また、異分野連携で研究開発に自動化やロボティクス導入を進めることで、実験の均質化や開発加速が期待される。</p>	<p>再生・細胞医療と遺伝子治療分野との融合研究を引き続き推進する。また、工学分野と医療分野を含めた異分野融合によるチーム型研究を推進し、異分野融合型の研究開発を進展させる。また、再生・細胞医療領域の研究開発と遺伝子治療領域の研究開発の交流及び連携を誘発する機会を設けるなどにより、新しい発想や研究領域を横断する共同研究を促す。（内、文）</p>
<p>2. 研究開発初期から海外の規制や標準も念頭に置くことが重要である。</p>	<p>研究成果の海外展開も見すえて、海外の規制や標準等についても調査を行い、その結果に基づいた研究早期からの知財戦略や事業化戦略についての伴走支援強化の取組みを引き続き実施する。併せて、優れた伴走支援者の育成・確保に向け、研究開発現場の人材流動を促す。また、国内で開発中の再生医療等製品を早期に国際展開するための取組みを引き続き実施する。さらに、海外の規制も参考にしつつ、再生医療の研究開発初期から原料として必要となるヒト細胞の供給に係る品質管理の手法等を定めた留意点文書の策定を実施。（内、文、厚、経）</p>
<p>3. 高額な機器は、使用料だけで若手やベンチャーも利用できる環境整備（共用化）を進めることが重要。</p>	<p>PJ1の生命科学・創薬研究支援基盤事業において、先端研究基盤に基づく生命科学・創薬研究の研究支援を強化するため、最先端機器の更なる整備や、技術の高度化、横断的な連携を引き続き進める。（文）</p>
<p>4. 条件及び期限付き承認における「有効性の推定」にあたりガイドライン等があることが、国際的透明性、市場確保に重要。</p>	<p>条件及び期限付き承認制度の適用範囲などを明確化したガイダンスを取りまとめ、令和6年3月29日に通知発出したところ。引き続き、条件及び期限付き承認制度の適正な運用を図っていく。（厚）</p>

項目3：再生・細胞医療・遺伝子治療領域の課題と対応の方向性

大論点 再生・細胞医療・遺伝子治療の分野で固有の課題（研究、規制、環境等）があり、それが分野全体の発展を阻害しているのではないか。

小論点	対応案
5. カルタヘナ法は手続き簡素化が図られたが、引き続き規制・制度の運用の更なる効率的運用が要望されている。	これまでカルタヘナ法に基づき通知により手続きの運用改善を図ってきたところ、今後も再生医療等製品に係る業界団体との定期的な会合を開催し、効率的な運用について検討していく予定。（厚）
6. 生物由来原料基準について、規制要件を時代に即した内容に適宜更新、国際的整合性を図る必要性があるのではないか。	令和6年度までのAMED研究班で検討を行っており、その検討結果を踏まえて対応を行うことを予定している。（厚）
7. ゴールからの逆算で知財戦略を作り、それに基づいてどのように研究を進めるかが重要。知財戦略支援、リテラシーの向上が重要。	支援課題において、基礎研究段階からシーズの将来性を予測しバックキャスト的な視点で知財戦略や事業化戦略などの実用化を見据えた伴走支援を引き続き行う。AMEDの創薬コーディネーターのような伴走支援、知財獲得のサポートを含む実用化支援、PJ6の橋渡し拠点の積極的な活用等様々な方策を講じ、研究の早期段階から知財戦略の策定や企業へのライセンス等の支援を充実する。（内、文）
8. 実用化の推進に向けては、アカデミアから企業へ橋渡しを担うベンチャーの活躍が重要。	多様な研究財源の獲得を目指して、創薬ベンチャーエコシステム強化事業によるベンチャーへの直接支援とVCによる支援の継続、海外VCの日本への呼び込みに取り組む。（厚、経）スタートアップの立ち上げ時及び立ち上げ初期からの継続的なハンズオン支援を推進する。（内・文・厚・経）

当日の協議会で挙げた主なご意見（項目3：再生・細胞医療・遺伝子治療領域の課題と対応の方向性）

- ✓ ロボット化については、培養細胞を扱う分野であることを加味した自動化や、ラボレベルでの活用、簡素化を踏まえた開発を。（小論点1）
- ✓ 医工学連携に加え、情報科学分野や人文科学分野との融合が必要。倫理面など様々な課題が出てくるため多分野の融合が大事である。（小論点1）
- ✓ 研究開発現場の人材流動に加え、臨床現場や企業とのレギュラトリーサイエンスでの連携も必要である。（小論点2）
- ✓ 伴走支援は安定的に運用することで人が集まり、アカデミアと産業界との連携も深まる。伴走支援のシステムができたことは非常に評価すべき。（小論点7）
- ✓ シーズからシステムチックに治験や知財を含めて進める体制があるとよい。パッケージングとして整った体制を整備してほしい。
- ✓ 個々の機関や疾患分野がばらばらに実施するのではなく、国内全体でシステムチックに整備する必要がある。
- ✓ 再生分野においてサイエンスのレベルを比較的保つには、若手のうちには基礎的な研究を重視する体制に変えるべき。
- ✓ 基礎と臨床、製品化をバランスよく進めることが大事。
- ✓ レギュラトリーサイエンスの人材を別枠で育成し、基礎のシーズを出す研究者とは役割分担をすべき。
- ✓ 研究現場だけでなく、臨床現場、企業からもPMDAには来ない。企業との連携などにより、レギュラトリーサイエンスが充実し、研究現場をサポートする体制になることを目指してほしい。
- ✓ 若手の人材育成について、5年、10年間隔ではなく、毎年継続的に公募を行いチャレンジング・革新的な研究に携わる人を安定的にリクルートする仕組みが必要。
- ✓ 新しく伴走支援事業が始まったことは評価できる。まだ手探りだが、産業界にも入っていただけており、安定的に運用されれば人も集まる。
- ✓ コストを下げるイノベーションも必要。現在の治療は第一世代と言えるものであり、発展していくと考えられる。
- ✓ 拙速に固定した手法で自動化するのではなく、バイオロジーにのっとった柔軟な調整・改良が可能な状態で自動化を検討すべき。
- ✓ 基礎の先生方のシーズはよいが、ご自身で臨床試験をやれる方が極めてすくないのがシーズが育たない大きな要因。
- ✓ 品質分析は非常に多くの基礎研究から成り立っている技術。エンジニアリングは基礎力があっての応用のため、ご理解いただくとともにサポートを。
- ✓ 基礎段階からシーズ開発に携わった者として感じるのは、システム化されていないがゆえに、ライトパーソン、ライトプレースにたどり着くのに時間がかかるところ。一方、成功事例が出れば、若手を含めて人が集まってきて、システムも構築・是正されていくのではないか。
- ✓ Research and Innovationを社会全体として捉えていく必要がある。再生・細胞医療・遺伝子治療の分野はまだ国民全体の問題として捉えられていない。