

再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト 事業概要

再生医療や遺伝子治療は、病気やけが等によって機能低下・不全になった組織や臓器を、遺伝子ベクター、体外で調製した細胞、組織等を用いて再生させることにより治療する医療です。これまで難しかった難治性疾患の根治が期待される革新的な医療技術として注目、期待されています。

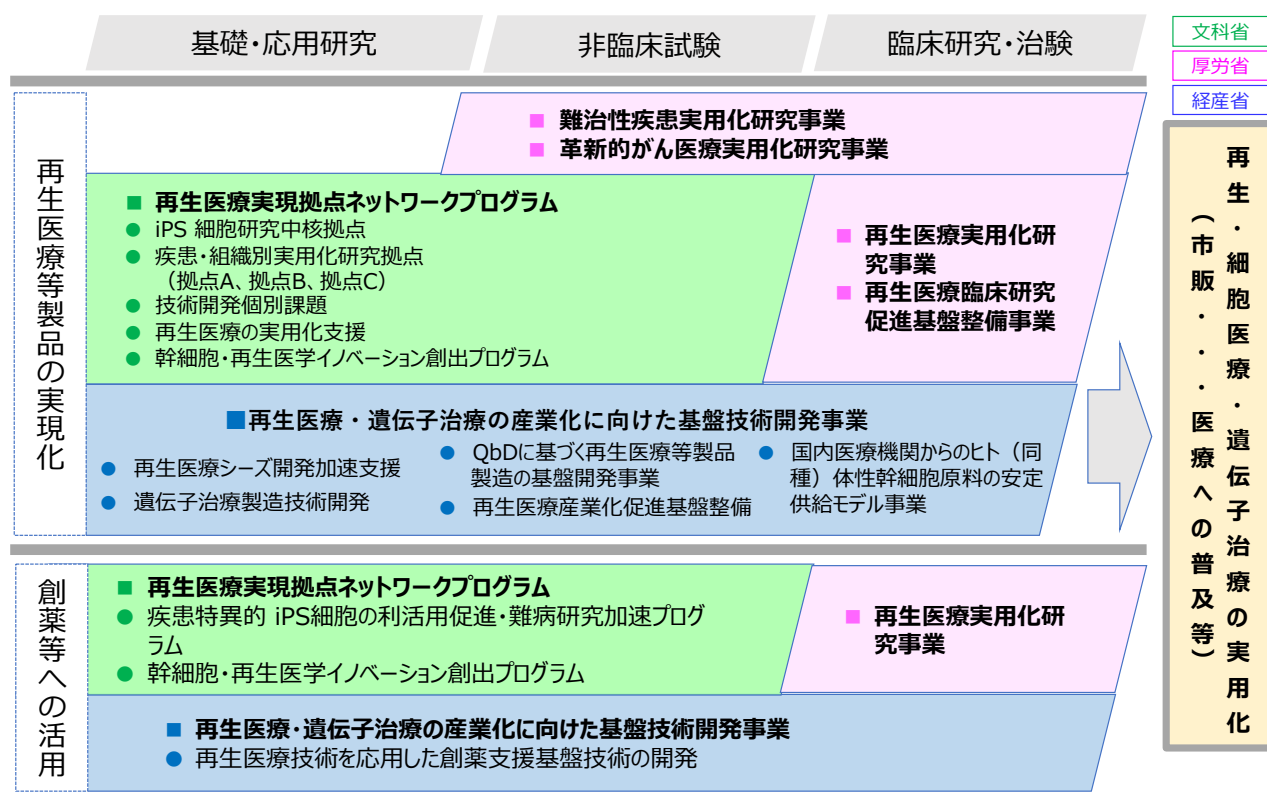
国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED、エーメド)は、健康・医療分野の研究開発を進める我が国の中核的な機関として、平成27年4月に設立されました。研究自体を直接は実施しないファンディングエージェンシーの形態です。文部科学省、厚生労働省、経済産業省や総務省、それぞれが所管する研究機関等によって、これまで実施してきた事業を一元的に進め、研究シーズをいち早く、効果的かつ効率的に実用化へつなげる役割を担っています。

AMEDでは、『3つのLIFE』(生命、生活、人生)を大切に、研究成果を一刻も早く実用化し、患者さんやご家族のもとに届けることを目標にしています。医療関連製品では安全性と効能を担保するため、基礎研究、応用研究、非臨床研究、臨床研究・治験、実用化・事業化とプロセスをおって進めることが重要です。これら一連の研究開発を進めるに当たっては、プログラム・ディレクター(PD)、プログラム・スーパーバイザー(PS)やプログラム・オフィサー(PO)等から専門的な知見や経験を得つつ進められています。

政府の健康・医療戦略や医療分野研究開発計画に基づく、令和2年度から5年間のAMED第2期中期長期目標・計画においては、開発目的である予防、診断、治療、予後・QOLごとの特性を活かしたモダリティ等に基づくプロジェクト(医薬品、医療機器・ヘルスケア、再生・細胞医療・遺伝子治療、ゲノム・データ基盤、生命・疾患基礎研究およびシーズ創出・研究基盤等)に再編されており、引き続き、再生医療や遺伝子治療の分野は主要な柱として進められることとなっています。

AMEDの再生医療および遺伝子治療の研究開発については、「再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト」として、基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援、再生医療関連事業のための基盤整備、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援による新薬開発の効率性の向上など、研究開発のステージごとに複数の事業を推進しています。

再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト



事業運営体制

プログラム・ディレクター(PD)は再生・細胞医療・遺伝子治療事業全体の運営方針を策定するとともに、事業間の調整等に当たります。プログラム・スーパーバイザー(PS)とプログラム・オフィサー(PO)は、各事業を運営の実務を担います。

再生医療実現プロジェクト



PD 齋藤 英彦

国立病院機構名古屋医療センター
名誉院長

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

iPS細胞研究中核拠点、疾患・組織別実用化研究拠点(拠点A・拠点B・拠点C)



PS 赤澤 智宏

順天堂大学
大学院医学研究科難治性疾患診断治療学
教授



PO 片倉 健男

国立医薬品食品衛生研究所
薬品科
客員研究員



PO 青井 貴之

神戸大学
大学院科学技術イノベーション研究科
教授

技術開発個別課題



PS 赤澤 智宏

順天堂大学
大学院医学研究科難治性疾患診断治療学
教授



PO 小澤 敬也

自治医科大学
名誉教授・客員教授



PO 久道 勝也

下北沢病院
理事長・先端医療センター長

幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム



PS 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
幹細胞分子医学
教授



PO 阿久津 英憲

国立成育医療研究センター
研究所 再生医療センター 生殖医療研究部
部長



PO 藤井 輝夫

東京大学
生産技術研究所
教授



PO 豊島 文子

京都大学
ウイルス・再生医科学研究所
教授

疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム



PS 高坂 新一

国立精神・神経医療研究センター
神経研究所
名誉所長



PO 吉松 賢太郎

日本薬学会
常任理事



PO 中村 昭則

国立病院機構まつもと医療センター
臨床研究部
部長

再生医療の実現化支援課題

PS 荒戸 照世

北海道大学
北海道大学病院 臨床研究開発センター
教授



PO 掛江 直子

国立成育医療研究センター
臨床研究センター 生命倫理研究室
生命倫理研究室長

再生医療実用化研究事業



PS 小澤 敬也
自治医科大学
名誉教授・客員教授



PO 片倉 健男
国立医薬品食品衛生研究所
薬品部
客員研究員



PO 畠 賢一郎
株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング
代表取締役 社長執行役員

再生医療臨床研究促進基盤整備事業



PS 小澤 敬也
自治医科大学
名誉教授・客員教授



PO 片倉 健男
国立医薬品食品衛生研究所
薬品部
客員研究員

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

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



PS 中畑 龍俊
京都大学
iPS細胞研究所
名誉教授



PO 中西 淳
株式会社ケイファーマ
サイエンティフィックアドバイザー

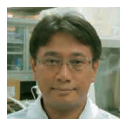


PO 白戸 崇
東北大学
東北大学病院 臨床研究監理センター
特任准教授

再生医療産業化促進基盤整備



PS 森尾 友宏
東京医科歯科大学
大学院医歯学総合研究科 発生発達病態学分野
教授



PO 伊藤 弓弦
筑波大学
生命環境系
教授

QbDに基づく再生医療等製品製造の基盤開発事業



PS 畠 賢一郎
株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング
代表取締役 社長執行役員



PO 中江 裕樹
特定非営利活動法人
バイオ計測技術コンソーシアム
事務局長 兼 研究部長

再生医療シーズ開発加速支援



PS 中畑 龍俊
京都大学
iPS細胞研究所
名誉教授



PO 中西 淳
株式会社ケイファーマ
サイエンティフィックアドバイザー



PO 白戸 崇
東北大学
東北大学病院 臨床研究監理センター
特任准教授

再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発



PS 梅澤 明弘
国立成育医療研究センター
研究所
副所長



PO 小島 肇
国立医薬品食品衛生研究所
安全性予測評価部 第二室
室長

遺伝子治療製造技術開発



PS 稲垣 治
日本製薬工業協会
医薬品評価委員会
運営委員会幹事



PO 五十嵐 隆
国立成育医療研究センター
理事長



PO 島田 隆
日本医科大学
名誉教授

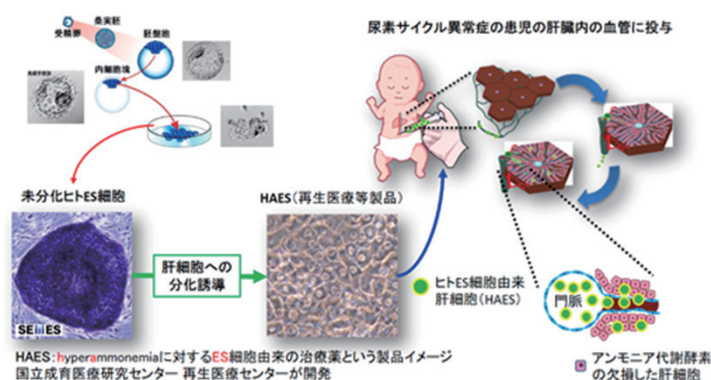
最新の研究成果

臨床研究・治験

●先天性尿素サイクル異常症でヒトES細胞を用いた治験を実施

～ヒトES細胞由来の肝細胞のヒトへの移植は、世界初！～

国立成育医療研究センター（所在地：東京都世田谷区大蔵、理事長：五十嵐隆）臓器移植センターの笠原群生センター長、福田晃也診療部長、阪本靖介副センター長、堀川玲子内分泌代謝科部長、研究所の再生医療センター梅澤明弘センター長らのグループは、2019年10月21日より「先天性尿素サイクル異常症に対するHAES移植治療の医師主導治験—新生児期発症型患者を対象とした探索的試験—」という医師主導治験を行いました。本医師主導治験の患者は、有毒なアンモニアを体内で分解できない尿素サイクル異常症を患った生後6日の新生児です。国立成育医療研究センターで作製したヒト胚性幹細胞（ヒトES細胞）由来の肝細胞（HAES）を使い、患者が根治療法として肝移植を行える生後3～5カ月（体重約6キログラム）に成長するまでの「橋渡しの治療」として、HAESを肝臓の血管内に注射する肝細胞移植（図1）を行いました。今回、HAES移植をヒトに対して行った臨床試験として世界で初めて成功し、次の治療である肝移植も無事に終えることができました。これは、HAESの移植により、患者の血中アンモニア濃度の上昇が抑えることができたためと考えます。



発表日：令和2年5月21日AMEDホームページプレスリリース

研究支援：再生医療実現拠点ネットワークプログラム、再生医療実用化研究事業

●「血小板減少症に対するiPS細胞由来血小板の自己輸血に関する臨床研究」の実施について

京都大学医学部附属病院は、京都大学iPS細胞研究所と連携し、血小板輸血不応症¹⁾を合併した再生不良性貧血²⁾の患者さんを対象とするiPS細胞由来血小板の自己輸血に関する臨床研究を実施しています。本研究において予定していた投与を終了したことを報告します。なお、被験者保護の観点から、経過中の詳細な情報は差し控させていただきます。

注1) 血小板輸血不応症

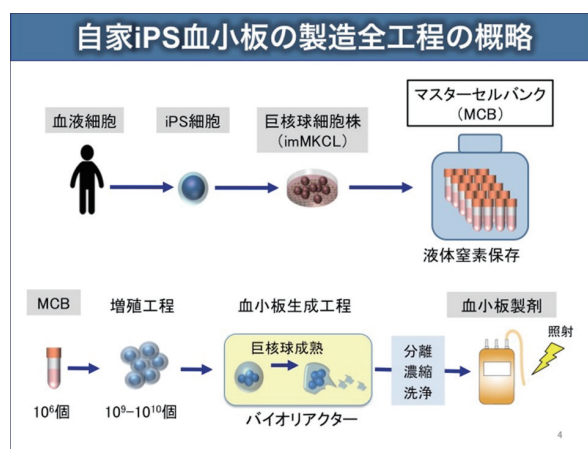
血小板を輸血しても、血小板数が想定よりも増えない状態。原因には非自己の血小板に対する免疫学的機序がある。

注2) 再生不良性貧血

何らかの原因で造血機能が傷害され、血液中の白血球、赤血球、血小板のすべてが減少する疾患。罹患率は8.2/(100万人年)。

発表日：令和2年3月25日AMEDホームページプレスリリース

研究支援：再生医療実現拠点ネットワークプログラム、再生医療実用化研究事業



●世界初、iPS-NKT細胞を血管内に直接投与

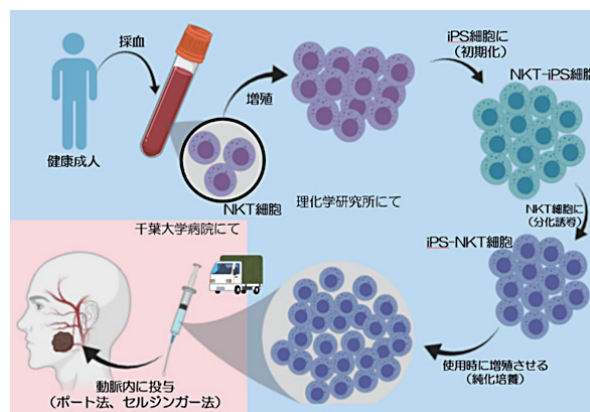
～免疫細胞療法で治験を開始～

2020年6月25日に医薬品医療機器総合機構（PMDA）の30日調査を終え、千葉大学病院（病院長 横手幸太郎）では、頭頸部がんの新たな治療法として、がんに対して強い攻撃力を持つ免疫細胞「NKT細胞」を用いた治療法の開発を進めてきましたが、このたび、さらなる生存率の改善に向けて、理化学研究所と連携し、iPS細胞からNKT細胞を作製した「iPS-NKT細胞」をヒトに投与する、世界初の治療法を医師主導治験として行うこととなりました。

これまで「iPS-NKT細胞」が人の血管内に直接投与されたことはなく、本治験で忍容性（副作用などの発現状況を評価して適切な投与量を検討）、安全性、有効性が確認されれば、頭頸部がん（鼻、口、喉、上顎、下顎、耳などにできるがん）と闘っている患者さんにとって大きな希望となります。

発表日：令和2年6月29日AMEDホームページプレスリリース

研究支援：再生医療実現拠点ネットワークプログラム、再生医療実用化研究事業



●免疫抑制剤の要らない肝移植を普及させるための医師主導治験を開始

～世界に先駆けた本邦発の画期的な再生医療「誘導型抑制性T細胞」を用いた新たな治療法の実現へ～

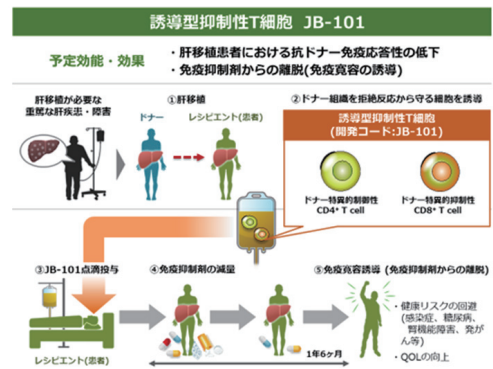
順天堂大学奥村康特任教授・内田浩一郎准教授を中心とした研究グループは、日本移植学会の後援のもと、大学発ベンチャーの株式会社JUNTEN BIOと産学連携し、国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) の支援を受け、「生体肝移植における誘導型抑制性T細胞 (JB-101) による免疫寛容誘導能及び安全性を評価するI/II相臨床試験」の治験届*1を独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA) に提出し、医師主導治験を開始することとなりました。

誘導型抑制性T細胞 (以下、JB-101) は、移植された肝臓への免疫拒絶反応を完全に抑え、移植患者さんが生涯継続して内服する必要がある免疫抑制剤からの離脱 (免疫寛容誘導) をサポートする画期的な再生医療等製品の候補として、令和2年度の厚生労働省の先駆け審査指定制度*2対象品目に指定されました。

本治験は、肝移植において免疫抑制剤からの離脱 (免疫寛容誘導) を実現する可能性を持ったJB-101の有効性と安全性の評価を目的とし、順天堂大学主管のもと、肝移植の実績が豊富で、免疫寛容研究に詳しい広島大学、長崎大学、東京女子医科大学にて実施されます。

発表日：令和2年9月4日AMEDホームページプレスリリース

研究支援：再生医療実用化研究事業



基礎研究・応用研究

●iPS細胞を用いた新たな免疫制御法を提案

～iPS細胞を活用した移植医療への貢献に期待～

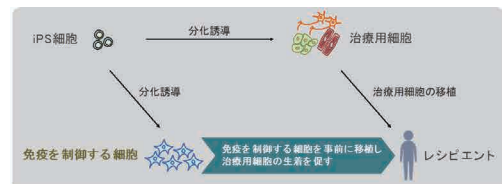
北海道大学遺伝子病制御研究所の清野研一郎教授らの研究グループは、マウスiPS細胞から作製した胸腺上皮様細胞を用いて、免疫系が正常なマウスに移植することで、皮膚移植片の生着期間 (移植片が拒絶されずに体内に留まる期間) を延長し、移植免疫応答を制御することに初めて成功しました。

ES細胞やiPS細胞等の多能性幹細胞は、さまざまな種類の細胞に分化することができる細胞であり、再生医療への応用が期待されています。他人の臓器や細胞を移植すると、免疫系の動きにより拒絶反応が起こり体内から排除されてしまうため、免疫系の制御が非常に重要です。同じことが多能性幹細胞から作り出した細胞や組織を移植する場合にも当てはまります。本研究グループは、多能性幹細胞から作り出した細胞や組織を移植医療に用いる等、これからの再生医療時代に必要とされる免疫制御法を新たに考案し、その有効性を検証しました。同研究グループは、マウスiPS細胞から「免疫系を制御する細胞」を作り、他者間移植における拒絶反応を抑制する方法を考案しました (参考図)。その「免疫系を制御する細胞」として胸腺上皮細胞に着目しました。胸腺上皮細胞とは、拒絶反応の主体となるT細胞が作られる「胸腺」という臓器に存在する細胞であり、自分の免疫細胞であるT細胞が自分の体を攻撃しない仕組み (免疫寛容) に大きく関わっています。しかし、過去の研究からiPS細胞から胸腺上皮細胞を作り出すことは難しく、作製の効率が低いことが問題になっていました。

清野教授らの研究グループは、体の中で胸腺が作られるときに重要な遺伝子であるFoxn1に着目し、この遺伝子をマウスiPS細胞に導入することで、従来よりも効率よくマウスiPS細胞から胸腺上皮様の細胞を作ることができることを発見しました。また、他者の関係にあたるマウスの皮膚移植に際してこの胸腺上皮様細胞を事前に移植しておくことで、マウスiPS細胞と同じドナーに由来する皮膚の生着期間を延長することに成功しました。

発表日：令和2年1月14日AMEDホームページプレスリリース

研究支援：再生医療実現拠点ネットワークプログラム



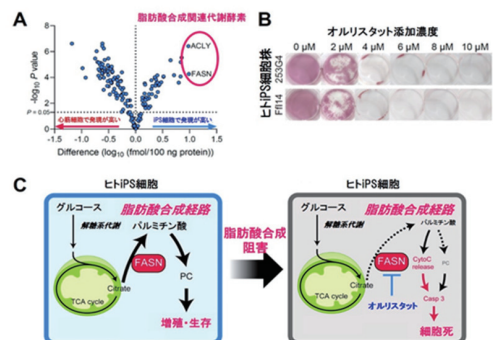
●肥満治療薬を用いて未分化iPS細胞を選択的に除去する手法を開発

～再生医療で腫瘍が発生するリスクを低減し実現化を加速～

慶應義塾大学医学部循環器内科学教室の遠山周吾特任講師、同救急医学教室の田野崎翔助教らの研究グループは、同医化学教室の末松誠教授らの研究グループ、同システム医学講座の洪実教授らの研究グループ、株式会社リビドームラボとの共同研究により、ヒトiPS細胞由来の分化細胞集団から、臨床応用の課題であった腫瘍化の原因となる未分化iPS細胞を高効率に除去し、より安全性を高めた移植用細胞を作製することに成功しました。

ヒト人工多能性幹細胞 (ヒトiPS細胞) は、理論的に体を構成するすべての細胞種へと分化できる多能性を持つことから、体外で作製した治療細胞を体内に移入することによる「再生医療」の実現が期待されています。しかし、すべてのヒトiPS細胞を目的とする細胞へ分化誘導することは困難であり、分化できなかった細胞の中に腫瘍形成の原因となる細胞が残存してしまうことがさまざまな領域における再生医療実現化の大きな課題になっていました。

今回、共同研究グループは、ヒトiPS細胞において脂肪酸の合成が活発に行われていることを見出し、ヒトiPS細胞の増殖および生存に重要な役割を担っていることを明らかにしました。その性質を利用し、肥満治療薬としてFDA (米国食品医薬品局) に認可されているオルリスタットという薬を用いて脂肪酸合成を阻害することにより、腫瘍形成の原因となる未分化iPS細胞だけを選択的に死滅させ、ヒトiPS細胞から分化した心筋細胞や神経細胞等の分化した細胞だけを生きたまま選別する手法を確立することに成功しました。これによって、極めて単純な工程によって、臨床応用を視野に入れた高純度の心筋細胞を作製することが可能となりました。この研究成果は、安全性の高い移植用細胞を作製するという大きな課題を解決し、さまざまな領域の再生医療の実現化を大きく加速するものと考えます。



発表日：令和2年9月8日AMEDホームページプレスリリース

研究支援：再生医療実現拠点ネットワークプログラム

●ヒトiPS細胞から別個に分化させた複数の腎前駆細胞から腎組織を再生する

腎臓の主な働きは、血液をろ過し尿を作ることですが、その機能を担うのは腎臓の中のネフロンと呼ばれる組織です。ネフロンは、糸球体という毛細血管の塊から血液をろ過する構造とそこに繋がる尿細管で構成され、集合管と連結します(図1)。これまでの研究で、腎臓は主に2種類の腎前駆細胞である後腎ネフロン前駆細胞(NP)と尿管芽(UB)の相互作用により形成されることが分かっていますが、ヒトiPS細胞から別個に分化誘導されたそれぞれの腎前駆細胞から腎組織を作製することは難しく、分化培養システムを構築する必要がありました。

今回、辻本 啓 大学院生(CiRA増殖分化機構研究部門 別ウィンドウで開きます)、笠原 朋子元大学院生(元CiRA同部門)、末田 伸一元大学院生(元CiRA同部門)、および長船 健二教授(CiRA同部門) 別ウィンドウで開きますらの研究グループは、ヒトiPS細胞から後腎ネフロン前駆細胞(NP)と尿管芽(UB)それぞれに分化する培養システムを構築することに成功しました。その後、培養皿上で糸球体、尿細管などのネフロンの特徴を持った組織と集合管を連結させたヒトの腎組織を作製することに初めて成功しました。更に、生体内において移植した腎組織が血管と繋がることを確認しました。ヒトiPS細胞から選択的に分化させた複数の腎前駆細胞から腎組織を作製することに成功した本成果は、ヒト腎臓の発生生物学の新たな知見と腎臓疾患の仕組みの解明に繋がり、今後、腎臓の再生医療に向けた研究に大きく貢献できることが期待されます。



発表日：令和2年4月8日AMEDホームページプレスリリース

研究支援：再生医療実現拠点ネットワークプログラム、難治性疾患実用化研究事業

基盤研究

●再生医療等製品の原料となるヒト細胞の供給に係るガイダンスをとりまとめました

わが国では近年、再生医療等製品の開発及びその周辺産業が活発化していますが、さらなる発展のためには、国内におけるヒト細胞原料の安定的な供給の促進が必要となっています。しかし、産業利用目的でドナーから企業がヒト細胞原料の寄託を受けるためには、採取の場となる医療機関や採取した細胞を仲介する仲介機関との連携体制の他、ヒト細胞の所有権、無償提供の考え方、連携機関における役割の整理など、法的・倫理的・社会的な課題整理が必要であることが明らかとなっています。

経済産業省及び国立研究開発法人 日本医療研究開発機構(AMED)では、平成30年度から「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」および「ヒト(同種)体性幹細胞原料の安定供給実現に向けた検討委員会」を実施しています。

今年度までのモデル事業での知見等に基づいて委員会において検討した結果を広く周知し、ヒト細胞原料の供給を目指す医療機関等及び、これを利用して再生医療等製品の製造を目指す企業等に広く活用されるよう、「ヒト(同種)細胞原料供給に係るガイダンス(初版)」をとりまとめました。さらに、ドナーに対する説明文書及び同意文書(IC)の参考例文と解説を附属資料として策定しました。

発表日：令和2年3月3日経済産業省ニュースリリース

研究支援：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

●2019年度再生医療・遺伝子治療の市場調査報告書

再生医療・遺伝子治療の産業化発展に向けた我が国の必要な施策・支援のあり方について、国内外の開発動向、産業化の時間軸・市場規模予測、産業化の将来予測と我が国の市場獲得シナリオなどを検討した「再生医療・遺伝子治療の市場調査」を実施し、報告書をAMEDホームページで公開しました。

<https://www.amed.go.jp/content/000066035.pdf>

研究支援：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

●遺伝子治療用ウイルスベクターの共同利用施設が稼働

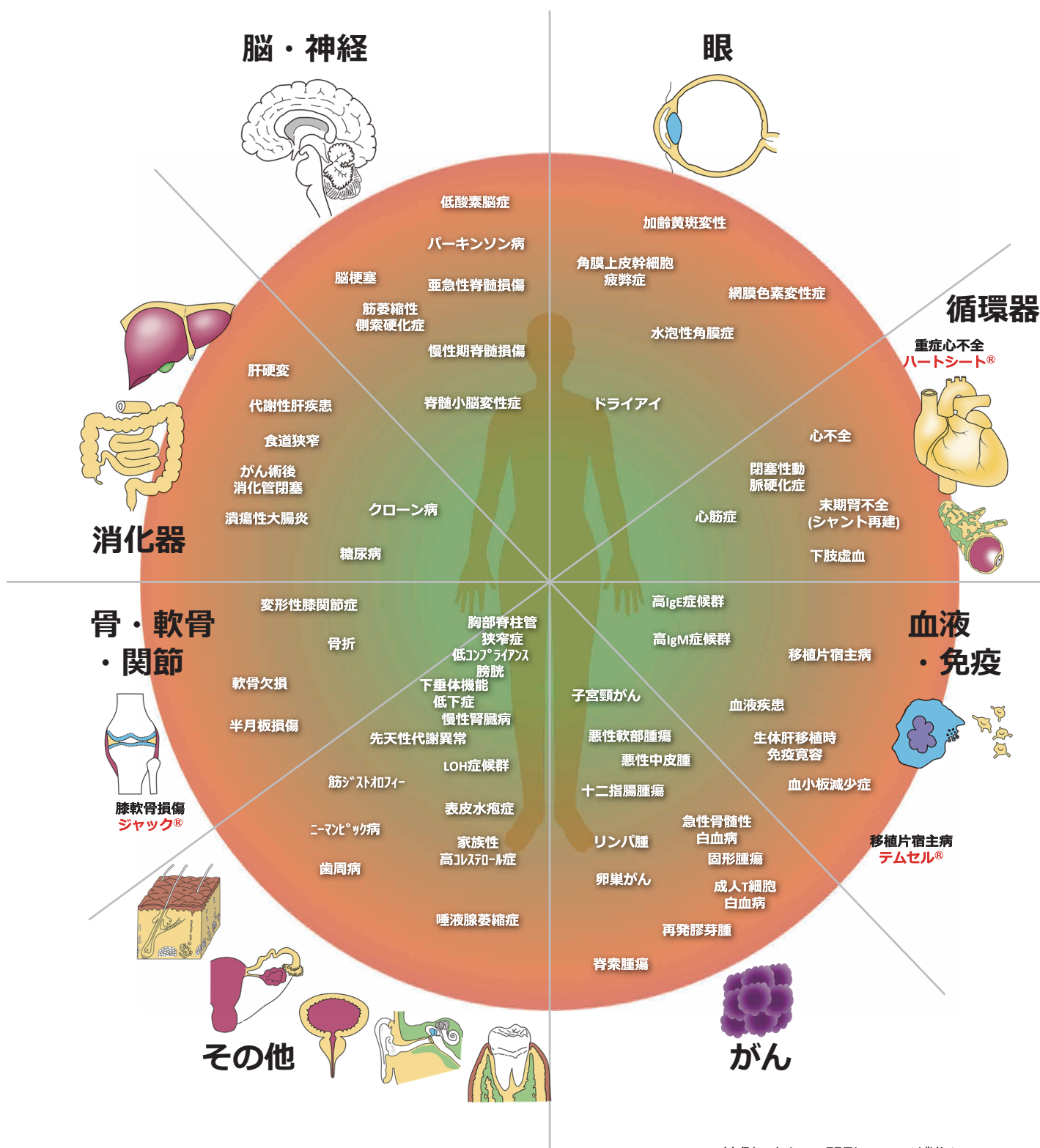
次世代バイオ医薬品製造技術研究組合は草津集中研に共同利用施設を設置しました。本施設は、遺伝子治療用ウイルスベクターについて、複数のベクターの製造法を並列で開発可能な大量製造技術開発拠点として整備しています。本組合が研究開発事業を推進する集中研拠点としての機能に加え、組合外のアカデミア/製薬企業等が製造法を検証するための共同利用施設としての機能を有しています。本組合は、本施設を利用した共同研究を推進することで、国内の遺伝子・細胞治療研究を支援します。なお、次世代バイオ医薬品製造技術研究組合の組合員、賛助会員、本組合と共同研究契約を締結した機関が対象です。

研究支援：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



適応部位からみた再生医療等製品の研究開発の状況

再生・細胞医療・遺伝子治療事業のもとで研究開発支援中の課題、令和2年10月現在



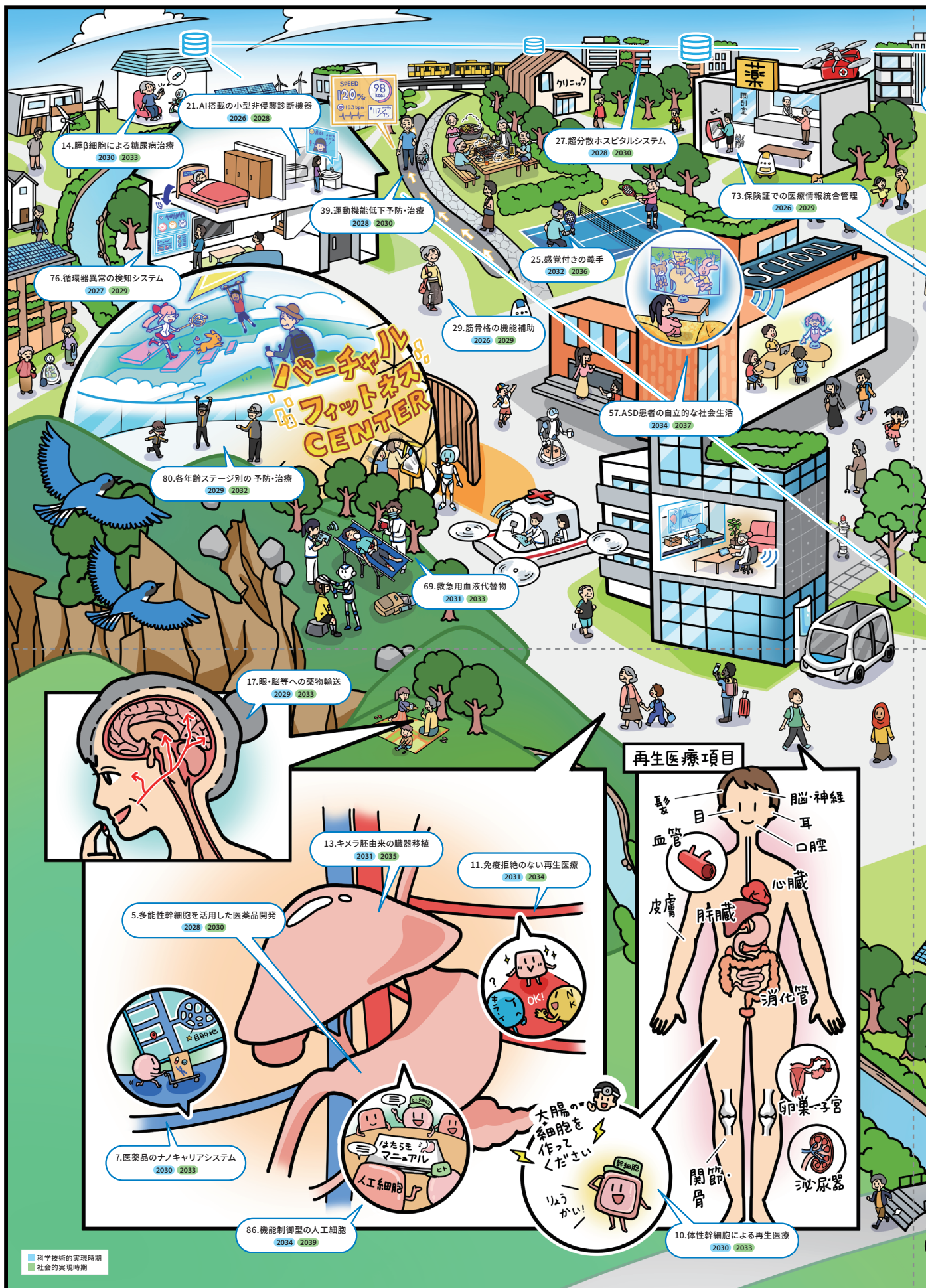
外側に向かって開発ステージが進んでいる。
円の外は研究開発を支援し、実用化された製品

再生・細胞医療・遺伝子治療に関する開発フェーズに沿ったAMEDの支援

フェーズ毎の留意点		遺伝子治療		再生医療		創薬支援	
		(ex vivo)遺伝子治療は遺伝子治療と再生医療の両方に含まれる					
基礎研究	対象疾患の想定、対象患者数、既存治療に対する位置づけ・優位性等の整理がなされていますか。	基礎研究	再生医療実現拠点ネットワークプログラム 幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム ※若手枠あり	再生医療実現拠点ネットワークプログラム iPS細胞研究中核拠点	再生医療実現拠点ネットワークプログラム 疾患特異的iPS細胞の活用促進・難病研究加速プログラム	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 ※企業に対する補助事業 補助対象経費の3分の2の額を補助金として交付、3分の1は研究開発代表機関(企業)が負担	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 ※企業に対する補助事業 補助対象経費の3分の2の額を補助金として交付、3分の1は研究開発代表機関(企業)が負担
	想定する作用機序を説明できるデータが得られますか。						
非臨床POC	モデル動物における結果等から、ヒトでの対象疾患に対する効果が、エビデンスに基づいて説明できますか。	非臨床POC	再生医療実現拠点ネットワークプログラム 技術開発個別課題	再生医療実現拠点ネットワークプログラム iPS細胞研究中核拠点	再生医療実現拠点ネットワークプログラム 疾患特異的iPS細胞の活用促進・難病研究加速プログラム	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 ※企業に対する補助事業 補助対象経費の3分の2の額を補助金として交付、3分の1は研究開発代表機関(企業)が負担	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 ※企業に対する補助事業 補助対象経費の3分の2の額を補助金として交付、3分の1は研究開発代表機関(企業)が負担
	非臨床安全性試験を開始するための準備が整っていますか。 ・非臨床安全性試験に用いる細胞加工物の確定 ・細胞加工物の品質評価 ・臨床に使用する細胞加工物との同等性の説明方法						
非臨床安全性	臨床での投与、使用するデバイスなどを想定した非臨床安全性試験のプロトコルとなっていますか。	非臨床安全性	再生医療実用化研究事業 産学が連携して再生医療等型の開発を目指す研究 ※開発戦略コンサルタントの参画が必須	再生医療実用化研究事業 再生医療等型製品製造の基礎開発事業 QbDに基づく再生医療等型製品の安定供給モデル事業 国内医療機関からのヒト(同種)体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・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業 ※企業に対する補助事業 補助対象経費の3分の2の額を補助金として交付、3分の1は研究開発代表機関(企業)が負担	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 ※企業に対する補助事業 補助対象経費の3分の2の額を補助金として交付、3分の1は研究開発代表機関(企業)が負担	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 ※企業に対する補助事業 補助対象経費の3分の2の額を補助金として交付、3分の1は研究開発代表機関(企業)が負担
	臨床に移行するための準備が整っていますか。 ・非臨床安全性試験での安全性確認 ・臨床に用いる細胞加工物の品質評価、品質管理 ・必要なデバイスの安全性評価						
臨床研究	臨床研究又は治験経験者のサポートを受けられる体制が構築されていますか。	臨床研究	再生医療実用化研究事業 企業の協力を得ながらプロトコルを組む医師主導治験 ※研究期間3年以上に臨床研究を実施する想定	再生医療実用化研究事業 再生医療等型製品製造の基礎開発事業 QbDに基づく再生医療等型製品の安定供給モデル事業 国内医療機関からのヒト(同種)体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・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業 ※企業に対する補助事業 補助対象経費の3分の2の額を補助金として交付、3分の1は研究開発代表機関(企業)が負担	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 ※企業に対する補助事業 補助対象経費の3分の2の額を補助金として交付、3分の1は研究開発代表機関(企業)が負担	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 ※企業に対する補助事業 補助対象経費の3分の2の額を補助金として交付、3分の1は研究開発代表機関(企業)が負担
	治験実施の場合、細胞の品質・非臨床安全性・臨床プロトコルについてPMDAと協議していますか。 実用化戦略に応じた次のステップが検討されていますか。 (企業との協力体制の構築、企業治験の実施など)						
産業化		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					
基盤研究		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					

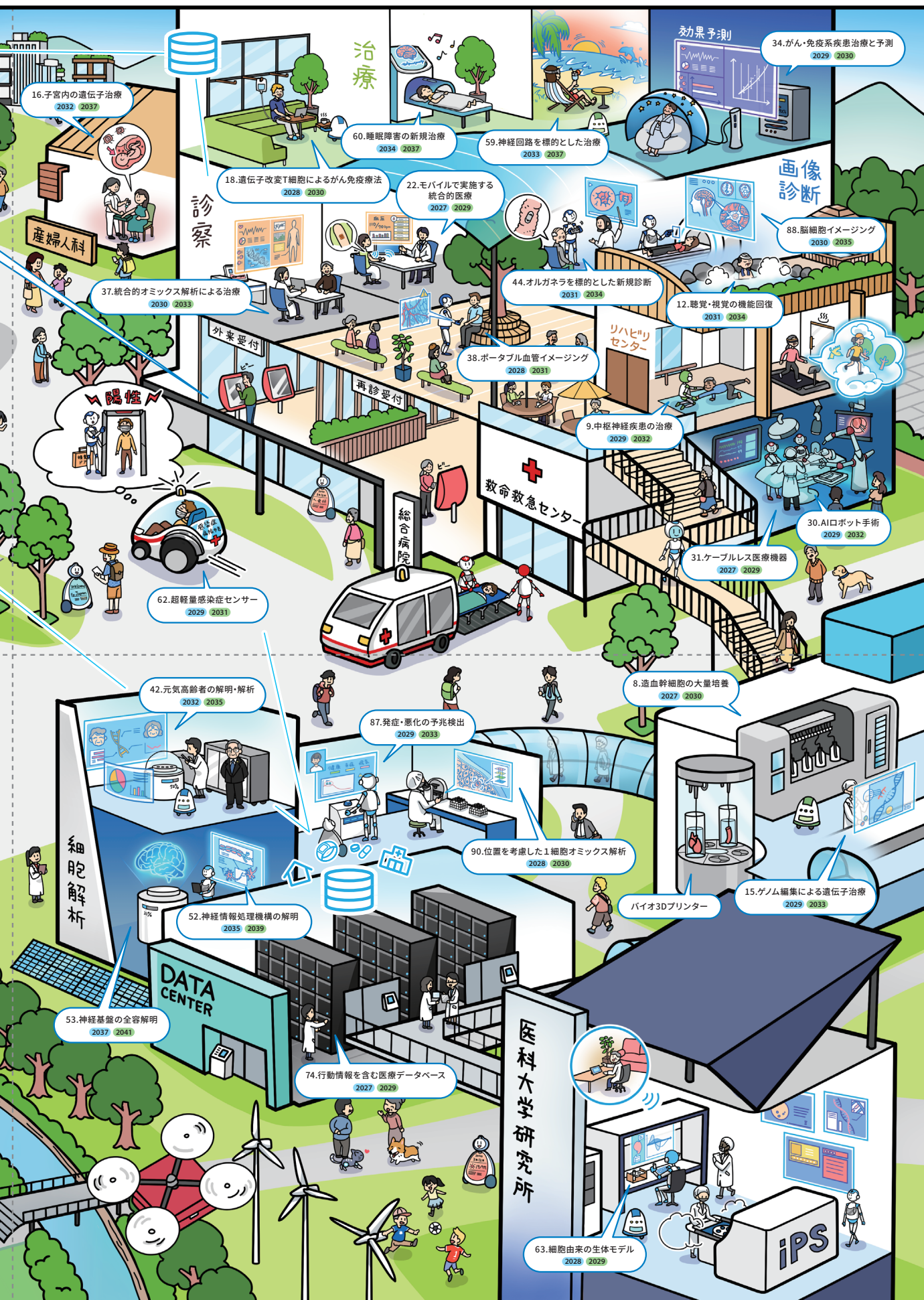
2040年の社会のイメージ（健康・医療編）

暮らし



病院

研究所



143

ID	図中の簡易名称	科学技術トピック	科学技術的 実現時期	社会的 実現時期
1	—	慢性疾患の病態のシステムの把握(遺伝子ネットワーク把握)に基づく薬物療法	2028	2032
2	—	細胞内標的に作用するペプチド・抗体医薬の新規技術	2027	2029
3	—	低分子化合物・ペプチド・抗体・核酸に次ぐ新規機能分子の医薬	2029	2032
4	—	タンパク質高次構造解析に基づき、タンパク質間相互作用(Protein-Protein Interaction: PPI)を阻害する化合物を設計する技術	2029	2031
5	多能性幹細胞を活用した医薬品開発	生体中での機能を再現可能な多能性幹細胞由来の人工臓器やオルガノイドを使った、薬効・安全性評価技術	2028	2030
6	—	目的とする組織・器官への送達と細胞内ドラッグデリバリーシステム(DDS)技術を実現させる核酸医薬品	2028	2030
7	医薬品のナノキャリアシステム	(核酸以外の)薬や遺伝子を標的細胞内部の特定部位に運ぶナノキャリアシステム	2030	2033
8	造血幹細胞の大量培養	造血幹細胞移植のドナー不足を解決する造血系幹細胞の大量培養技術	2027	2030
9	中枢神経疾患の治療	細胞移植や遺伝子治療による、中枢神経回路網の機能不全[パーキンソン病、筋萎縮性側索硬化症(ALS)、脊髄損傷等]に対する治療法	2029	2032
10	体性幹細胞による再生医療	生体内に内在する幹細胞、あるいは移植された幹細胞の機能を制御することによる再生医療技術	2030	2033
11	免疫拒絶のない再生医療	免疫拒絶回避を完全にできる同種由来再生医療技術・製品	2031	2034
12	聴覚・視覚の機能回復	細胞医療・遺伝子治療などによる、聴覚や視覚の機能を再生させる医療技術	2031	2034
13	キメラ胚由来の臓器移植	動物の胚とヒト幹細胞由来細胞のキメラ胚(動物性集合胚)から作出されるヒト移植用臓器	2031	2035
14	膵β細胞による糖尿病治療	膵β細胞を再生・増加させる技術に基づく、糖尿病を治癒させる薬剤	2030	2033
15	ゲノム編集による遺伝子治療	次世代ゲノム編集技術による、遺伝子修復治療や単一遺伝病の治療を広くに実現する遺伝子治療法	2029	2033
16	子宮内の遺伝子治療	先天性遺伝子疾患を対象とした安全性の高い子宮内遺伝子治療法	2032	2037
17	眼・脳等への薬物輸送	眼、脳等(到達困難な組織)への薬剤輸送を可能とする技術	2029	2033
18	遺伝子改変T細胞によるがん免疫療法	固形がんを標的とする遺伝子改変T細胞を用いた、細胞性免疫を制御することによる免疫療法	2028	2030
19	—	食べるワクチン等、経口投与を可能とする次世代ワクチン技術	2029	2032
20	—	医薬品開発の成功確率を現在比で2倍にする、化合物生成・最適化(有効性・安全性・動態予測を含む)のための人工知能・シミュレーション技術	2028	2031
21	AI搭載の小型非侵襲診断機器	病変部位の迅速識別能力の向上と早期発見が可能となる、非侵襲診断機器(画像など)のコンパクト化とAI導入	2026	2028
22	モバイルで実施する統合的医療	ノートPCレベルで、体内の脳動脈瘤など疾患シミュレーション、インプラント機器による治療効果、有効性の予測、術前シミュレーションが可能になるような統合的医療ソフトウェア	2027	2029
23	—	患者への負担や医療費を軽減できる簡便なウェアラブル透析装置	2028	2030
24	—	がん細胞を包み込んだり、がん細胞特異的に吸収したりする材料(ポリマーなど)により、がん細胞を物理的に孤立させて死滅させる治療法	2031	2034
25	感覚付きの義手	全ての皮膚感覚の脳へのフィードバック機能を備えた義手	2032	2036
26	—	筋萎縮性側索硬化症(ALS)患者等の重度な運動機能障害者の日常生活動作を支援するための、脳活動を直接反映させるニューロリハビリ機器	2032	2036
27	超分散ホスピタルシステム	遠隔で、認知症などの治療や介護が可能になる超分散ホスピタルシステム(自宅、クリニック、拠点病院との地域ネットワーク)	2028	2030
28	—	がん末期での腸瘻や介護現場において利用可能な、人手が不要の排泄補助機器	2028	2030
29	筋骨格の機能補助	疾患や加齢により衰えた筋骨格系の簡便で安価な機能補助技術	2026	2029
30	AIロボット手術	次世代手術ロボットとAIによる、外科医の熟練によらない標準化された手技	2029	2032
31	ケーブルレス医療機器	手術室やベッドサイドの全てのケーブルが消失可能となる、次世代半導体によるモニター機器のミニチュア化と無線化	2027	2029
32	—	ナノテクノロジーによる生体人工物界面制御の精密化に基づく、高機能インプラント機器やドラッグデリバリーシステム(DDS)技術を可能とする高度な生体適合性材料	2029	2032
33	—	血液による、がんや認知症の早期診断・病態モニタリング	2027	2029
34	がん・免疫系疾患治療と予測	がん、自己免疫疾患、アレルギー疾患に対する免疫系を基盤とした治療およびその効果予測	2029	2030

ID	図中の簡易名称	科学技術トピック	科学技術的 実現時期	社会的 実現時期
35	—	自律神経系・精神的ストレス・うつ病と生活習慣病の相互作用の解明による、悪循環をたちきする方法	2030	2034
36	—	胎生期から乳幼児期の環境因子に起因する生活習慣病の予防・治療薬	2032	2036
37	統合的オミックス解析による治療	非感染性疾患に対する、統合的オミックス解析による病因・病態分類に基づく治療法	2030	2033
38	ポータブル血管イメージング	非侵襲性ポータブル血管イメージングによる定量的血管障害の診断	2028	2031
39	運動機能低下予防・治療	老化に伴う運動機能低下の予防・治療法	2028	2030
40	—	疼痛、疲労の定量的診断法と新規治療法	2029	2031
41	—	メタゲノム解析・制御による生体恒常性の維持	2030	2034
42	元気高齢者の解明・解析	元気高齢者の遺伝子解析と環境要因の分析による、疾患抑制機構・老化機構の解明	2032	2035
43	—	生殖細胞劣化予防による不妊回避	2032	2035
44	オルガネラを標的とした新規診断	ライブイメージングと生化学的解析等の融合による、オルガネラを標的とした非感染性疾患の新規診断法4	2031	2034
45	—	発症頻度に性差のある疾患の病因解明	2032	2035
46	—	退行性骨粗しょう症の骨折リスクのメカニズム解明による集学的予防法	2030	2032
47	—	代謝臓器連関を標的とした、生活習慣病、神経変性疾患の予防・治療法	2031	2035
48	—	生体のエネルギー収支を非侵襲的に定量化する技術に基づく、生活習慣病の治療法	2030	2033
49	—	薬理遺伝学的検査による薬剤投与の最適化	2029	2030
50	—	非感染性疾患(NCD)に対する、運動の効用の科学的裏付けによる新規治療法	2029	2032
51	—	ゲノム医療に対する保健医療政策の立案に向けた医療経済学的評価法	2027	2030
52	神経情報処理機構の解明	ニューロン・グリア回路網の発達・維持・老化機構および情報処理機構の全容解明	2035	2039
53	神経基盤の全容解明	記憶・学習、認知・情動等の脳機能および意識、社会性、創造性等の高次精神機能における神経基盤の全容解明	2037	2041
54	—	統合失調症の脳病態解明に基づく、社会復帰を可能にする新規治療薬	2035	2039
55	—	うつ病・双極性障害の細胞レベルの脳病態分類に基づく、即効性で再発のない新規治療法	2036	2039
56	—	依存症(薬物、アルコール等)に共通な脳病態の解明に基づく、予防法・再発防止法	2034	2037
57	ASD患者の自立的な社会生活	自閉スペクトラム症の脳病態に基づく、自律的な社会生活を可能とする治療・介入法	2034	2037
58	—	アルツハイマー病等の神経変性疾患の発症前バイオマーカーに基づく、発症予防および治療に有効な疾患修飾療法	2032	2035
59	神経回路を標的とした治療	精神・神経疾患に対する深部脳刺激療法、ニューロフィードバック、ウイルスベクター等を用いた神経回路を標的とした治療法	2033	2037
60	睡眠障害の新規治療	神経疾患患者にみられる精神症状や睡眠障害の発症機構の解明による、新規治療法	2034	2037
61	—	情動等の脳機能解明に基づく、いじめや不登校への対処法	2034	2038
62	超軽量感染症センサー	特定の感染症への感染の有無や感染者の他者への感染性、未感染者の感受性を迅速に検知・判定する、汚染区域や航空機内等でも使用可能な超軽量センサー	2029	2031
63	細胞由来の生体モデル	iPS細胞等の幹細胞から樹立された細胞等を活用した、動物モデルに代替する、感染症治療薬を開発するための効果・副作用試験法	2028	2029
64	—	電子カルテシステム、検査・処方等医療データや様々なウェブデータを活用した網羅的感染症サーベイランスシステムによる感染症流行予測・警報発出システム	2027	2029
65	—	病原体データベースを用いた未知の病原体の分離・同定技術 ※病原体データベース：ヒトおよびヒト以外の動物等の病原体の網羅的な遺伝子・タンパク情報データベース	2028	2030
66	—	新興感染症が及ぼすヒトへの影響(世界的流行を引き起こす可能性、病原性)について、環境・病原体・宿主等因子を総合的に勘案し定量的に予測・評価するシステム	2030	2031
67	—	薬剤耐性感染症の発生・まん延を制御するシステム[科学(医薬品等)・社会技術(感染対策の新規アプローチ等)]	2029	2032

ID	図中の簡易名称	科学技術トピック	科学技術的 実現時期	社会的 実現時期
68	—	植物により病原体に対して迅速かつ安価に中和抗体を大量生産する技術	2029	2033
69	救急用血液代替物	緊急時(多臓器不全)及び大量出血時に対応可能な血液代替物	2031	2033
70	—	細胞内オルガネラ間移動を標的とした新規感染制御技術	2032	2035
71	—	マスギャザリング災害における、人工知能による重傷者搬送調整システム	2029	2031
72	—	日常生活(購買・飲食等)から集積されるライフスタイルビッグデータ(匿名加工情報)活用による健康政策	2025	2028
73	保険証での医療情報統合管理	プレジジョン医療の実現や医療の質向上に資する、ICチップが組み込まれた保険証等による病歴、薬歴、個人ゲノム情報の管理システム	2026	2029
74	—	ゲノム・診療情報、およびウェアラブルセンサーやスマートデバイスにより得られる生体・行動情報を継続的に収集した健康医療 データベース(大規模コホート研究の推進に資する)	2027	2029
75	—	医療・介護施設及び在宅における安全を保障する行動識別センサーを活用したモニタリングシステム	2025	2028
76	循環器異常の検知システム	生活環境のセンシングやライフログセンシングによる、脳血管障害・心筋梗塞・致死的不整脈などの血管イベントの検知に基づいた救急医療情報システム	2027	2029
77	—	医療機器・システムの誤操作や患者状態に合わない設定などに起因する医療過誤の解消に向けた、知的アラート・意思決定支援の人工知能を搭載した医療情報システム	2026	2029
78	—	分子薬理知識や生体分子相互作用および患者ゲノムに関する情報に基づく、医薬品の個人別副作用リスクの知的推論アルゴリズムを実装した情報システム	2029	2031
79	—	ゲノムに加え、オミックスデータ(エピゲノム・プロテオーム・メタボローム)を数時間以内に1万円以下で体液サンプルからモニタリングする検査技術	2028	2031
80	各年齢ステージ別の予防・治療	Developmental Origins of Health and Disease(DOHaD)の解明などに基づく、ライフコース・ヘルスケアの視点からの各年齢ステージでの適切な予防・治療	2029	2032
81	—	ライフコース・ヘルスケアのための大規模コホート	2027	2029
82	—	生命科学・社会学を融合した包括的な要因分析に基づく、健康格差を是正する方法	2028	2031
83	—	気候変動に起因する感染症、熱中症など健康課題に資する情報システム	2028	2030
84	—	新生児期からのゲノム情報の活用のためのELSI(倫理的・法的・社会的課題)の解決策	2028	2032
85	—	多種多体分子システムとしての生体機能を記述する定量的関係式の構築	2031	2035
86	機能制御型の人工細胞	多数で多種類の生体分子が協調して生命システムを作り上げる作動原理を理解した上での人工細胞	2034	2039
87	発症・悪化の予兆検出	予防医療・先制医療に資する、動的ネットワークバイオマーカーを用いた疾病発症・病態悪化の予兆検出技術 ※動的ネットワークバイオマーカー：個々の単一のバイオマーカーとしての性能は高くなくても、それらのネットワークとしては極めて高機能な、複雑系数理モデル学に基づく新しい概念のバイオマーカー	2029	2033
88	脳細胞イメージング	脳機能を細胞レベルで非侵襲的に測定できるイメージング技術	2030	2035
89	—	循環体液中の生体高分子や低分子の低侵襲リアルタイムモニタリングシステム	2030	2033
90	位置を考慮した1細胞オミックス解析	細胞の位置情報を保持した上での1細胞オミックス解析技術	2028	2030
91	—	ヒトが接することのできる全生物のゲノム情報の取得(植物・単細胞真核生物・原核生物も含む)・データベース化	2029	2030
92	—	タンパク質の一次配列情報およびそのタンパク質に作用する物質の立体構造情報から、活性状態のタンパク質の動的立体構造を推定する技術	2029	2033
93	—	ゲノムの非コード領域の50%以上の領域の機能解明	2029	2033
94	—	研究成果の真正を証明するための、研究により生じた全計測データ・全画像データを記録・保存し、原データとして認証・保証するシステム	2027	2029
95	—	多くの一般的な実験室で利用可能なラボトリーオートメーション・実験ロボット	2028	2031
96	—	タンパク質の機能において、量子(力学)レベルでの作動メカニズムを理解する上で必要なパラメータを得るための量子計測技術	2032	2035

科学技術・学術政策研究所(NISTEP)第11回科学技術予測調査 S&Tデルファイ調査結果速報<健康・医療・生命科学分野> より