

<b>事業名</b>	再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム（新規） 令和5年度要求額：12,096百万円 （研究事業総額：未定） 研究事業期間：令和5年度～令和9年度
------------	--

※研究開発事業に関する評価については、科学技術・学術審議会等において、「国の研究開発評価に関する大綱的指針」等を踏まえ、事前評価が行われているため、当該評価をもって政策評価の事前評価に代えることとする。

**【主管課（課長名）】**

研究振興局 ライフサイエンス課 （奥篤史）

**【関係局課（課長名）】**

**【審議会等名称】**

科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会 ライフサイエンス委員会

**【審議会等メンバー】**

別紙参照

**【目標・指標】**

○達成目標

再生・細胞医療・遺伝子治療分野の融合研究、次世代 iPS 細胞の開発、オルガノイドを活用した研究等の革新的な研究開発等を推進するとともに、これらの研究に必要な人材育成、基盤整備及び実用化に向けた規制面・倫理面・知的財産面等の支援を行う。

○成果指標（アウトカム）

企業へ導出される段階に至った研究課題数

○活動指標（アウトプット）

企業へ導出される段階を目指す研究課題数

**【費用対効果】**

投入する予定の国費に対して、上記アウトプット及びアウトカムの結果が見込まれることから、投入額よりも大きな成果が期待される。

なお、事業の実施に当たっては、事業の効率的・効果的な運営にも努めるものとする。

# ライフサイエンスに関する 研究開発課題の事前評価結果

令和4年8月

科学技術・学術審議会

研究計画・評価分科会

研究計画・評価分科会委員名簿

◎岸本	喜久雄	国立教育政策研究所フェロー、東京工業大学名誉教授
●高梨	弘毅	国立研究開発法人日本原子力研究開発機構先端基礎研究センター長、東北大学名誉教授
春日	文子	国立研究開発法人国立環境研究所特任フェロー
濱口	道成※	国立研究開発法人科学技術振興機構顧問、国立研究開発法人日本医療研究開発機構先進的研究開発戦略センター長
明和	政子	京都大学大学院教育学研究科教授
村山	裕三	同志社大学名誉教授
安浦	寛人	九州大学名誉教授、国立情報学研究所副所長学術基盤チームディレクター・特任教授
五十嵐	道子	フリージャーナリスト
出光	一哉	九州大学大学院工学研究院教授
上田	正仁	東京大学大学院理学系研究科教授
上田	良夫	大阪大学大学院工学研究科教授
上村	靖司	長岡技術科学大学工学研究院教授
佐々木	久美子	株式会社グルーヴノーツ代表取締役会長
高梨	千賀子※	東洋大学経営学部教授
田中	隆章	京セラコミュニケーションシステム株式会社コンサルティング事業本部・教育編集部・責任者
塚本	恵※	J, S. Held, LLC 上席顧問、一般社団法人デジタルソサエティフォーラム代表理事
長谷山	美紀※	北海道大学副学長、大学院情報科学研究院長
林	隆之	政策研究大学院大学教授
原澤	英夫	元国立研究開発法人国立環境研究所理事
水澤	英洋	国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター理事長特任補佐・名誉理事長
宮園	浩平	国立研究開発法人理化学研究所理事／東京大学大学院医学系研究科卓越教授
李家	賢一	東京大学大学院工学系研究科教授

◎：分科会長、●分科会長代理

※本評価には参加していない。

科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会  
ライフサイエンス委員会（第11期）委員名簿

（敬称略、50音順）

有田 正規	国立遺伝学研究所教授
岡田 随象	大阪大学大学院医学系研究科遺伝統計学教授
加藤 忠史	順天堂大学精神医学教授
金倉 譲	一般社団法人住友病院院長
金田 安史	大阪大学理事・副学長
鎌谷 洋一郎	東京大学大学院新領域創成科学研究科教授
上村 みどり	情報計算化学生物学会 CBI 研究機構 量子構造生命科学研究所 所長
木下 賢吾	東北大学大学院情報科学研究科教授 東北大学東北メディカル・メガバンク機構副機構長
熊ノ郷 淳	大阪大学大学院医学系研究科呼吸器・免疫アレルギー内科学教授
倉根 一郎	国立感染症研究所名誉所員
古関 明彦	理化学研究所 生命医科学研究センター副センター長
後藤 由季子	東京大学大学院薬学系研究科教授
鹿野 真弓	東京理科大学薬学部薬学科教授
鈴木 蘭美	モデルナジャパン株式会社代表取締役社長
武部 貴則	東京医科歯科大学医学部統合研究機構教授
谷岡 寛子	一般社団法人日本医療機器産業連合会臨床評価委員会委員長、 京セラ株式会社メディカル事業部薬事臨床開発部責任者
辻 篤子	中部大学特任教授
豊島 陽子	東京大学大学院総合文化研究科特任研究員
中釜 斉	国立がん研究センター理事長
中村 幸夫	理化学研究所バイオリソース研究センター細胞材料開発室室長
○ 西田 栄介	理化学研究所生命機能科学研究センター長
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
◎ 宮園 浩平	国立研究開発法人理化学研究所理事、 東京大学大学院医学系研究科卓越教授
宮田 敏男	東北大学大学院医学系研究科教授
山本 晴子	医薬品医療機器総合機構医務管理監 理事長特任補佐

◎：主査      ○：主査代理

令和4年8月現在

# 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムの概要

## 1. 課題実施期間及び評価時期

令和5年度～令和9年度

中間評価 令和7年度、事後評価 令和9年度（予定）

## 2. 研究開発目的・概要

### ・目的

再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に向けて、本分野の研究開発及び基盤整備を行い、次世代医療につながる画期的なシーズの創出や臨床応用・企業への導出を促進し、アンメットメディカルニーズへの対応及び我が国の本分野における国際競争力の維持・向上を目指す。

### ・概要

再生・細胞医療・遺伝子治療分野の融合研究、次世代 iPS 細胞の開発、オルガノイドを活用した研究等の革新的な研究開発等を推進するとともに、これらの研究に必要な人材育成、基盤整備及び実用化に向けた規制面・倫理面・知的財産面等の支援を行う。

## 3. 予算（概算要求予定額）の総額

年度	R5（初年度）
概算要求 予定額	調整中

## 4. その他

本事業は日本医療研究開発機構（AMED）の再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトの中で、再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に向けて、厚生労働省及び経済産業省と連携して切れ目のない支援を実施する。

# 事前評価票

(令和4年8月現在)

1. 課題名 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム	
2. 開発・事業期間 令和5年度～令和9年度	
3. 課題概要	
(1) 関係する分野別研究開発プラン名と上位施策との関係 (案)	
プラン名	ライフサイエンス分野研究開発プラン
プランを推進するにあたっての大目標	健康・医療・ライフサイエンスに関する課題への対応（施策目標9-3） 概要：「生命現象の統合的理解」を目指した研究を推進するとともに、「先端的医療の実現のための研究」等の推進を重視し、国民への成果還元を抜本的に強化する。
プログラム名	再生・細胞医療・遺伝子治療プログラム 概要：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・組織別の非臨床研究、疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病の病態解明・創薬研究及び必要な基盤構築等を行う。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。
上位施策	<ul style="list-style-type: none"> <li>・第6期科学技術・イノベーション基本計画（令和3年3月26日閣議決定）</li> <li>・統合イノベーション戦略2021（令和3年6月18日閣議決定）</li> <li>・健康・医療戦略（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）</li> <li>・医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日健康・医療戦略推進本部決定、令和3年4月6日一部変更）</li> <li>・バイオ戦略フォローアップ（令和3年6月11日統合イノベーション戦略推進会議決定）</li> </ul>
(2) 目的	
再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に向けて、本分野の研究開発及び基盤整備を行い、次世代医療につながる画期的なシーズの創出や臨床応用・企業への導出を促進し、アンメットメディカルニーズへの対応及び我が国の本分野における国際競争力の維持・向上を目指す。	
(3) 概要	
再生・細胞医療・遺伝子治療分野は、世界的に開発が活発化しており、今後の市場規模	

拡大が見込まれている。我が国においても「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」にて「再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト」として位置づけられ、オールジャパン体制でその実現化に向けた研究開発が進められており、平成 25 年度より開始した「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（以下「再生 NW プログラム」という。）により科学的・社会的意義の高い成果が数多く創出されるとともに、世界に先駆けて、複数の疾患について再生医療や iPS 創薬の臨床段階への移行を進めてきている。

一方で、各患者が診療で再生・細胞医療・遺伝子治療の恩恵にあずかることができるまでには、まだいくつかのステップが残されており、引き続き切れ目のない研究支援が重要である。

本事業は、「再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方について（令和 4 年 5 月 27 日再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会決定）」、「再生・細胞医療・遺伝子治療分野の今後の取組について（令和 4 年 5 月 31 日再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会決定）」等を踏まえ、以下の 4 つの取組により、研究、人材育成及び基盤整備の推進並びに実用化に向けた支援を行う。

① 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題

再生・細胞医療・遺伝子治療分野において次世代の医療の実用化につながる革新的なシーズを創出するため、オルガノイド、エクソソーム、遺伝子導入技術等を含む最先端の基礎・応用研究、非臨床 PoC 取得研究を目指す研究、分野内の融合研究、異分野研究者・企業等との総合力を活かしたチーム型研究、臨床段階の研究で新たに見出された知見や課題に対するリバーストランスレショナルリサーチ等を推進するとともに、若手枠の充実やチーム型研究を通じた若手研究者の育成促進と裾野の拡大を図る。

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、リプログラミング機構の解明、革新的なゲノム編集技術開発等の本分野全体を先導する基盤的・横断的な基礎研究を総合的に推進するとともに、若手研究者の人材育成のプラットフォーム的な役割と分野内外の研究者や産業界等と幅広く連携した本分野の研究開発ネットワークのハブ機能を構築・実践する。

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 細胞等を用いた疾患発症機構の解明、病態解析技術の高度化、創薬研究を推進する。また、ゲノム医療研究への活用も念頭に置きつつ、疾患付随情報やゲノム情報等が充実した疾患特異的 iPS 細胞バンクの整備とその利活用を促進する。

④ 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

規制面・倫理面・知的財産面からの伴走支援、研究早期からの事業化戦略作成支援、細胞・ベクターの製造整備及びアカデミアと製造機関とのマッチング支援を実施し、実用化を見据えた切れ目のない支援を行う。

プログラム全体に関連する アウトプット指標	過去 3 年程度の状況		
	H31/R1 年度	R2 年度	R3 年度
企業へ導出される段階を目指す研究課題数	—	9	9

※健康・医療戦略（第2期）が開始した令和2年度からの累積。（令和元年度は、健康・医療戦略（第1期）の期間中であったため、本指標の集計データは無い。）

プログラム全体に関連する アウトカム指標	過去3年程度の状況		
	H31/R1年度	R2年度	R3年度
企業へ導出される段階に至った研究課題数	—	3	3

※健康・医療戦略（第2期）が開始した令和2年度からの累積。（令和元年度は、健康・医療戦略（第1期）の期間中であったため、本指標の集計データは無い。）

#### 4. 各観点からの評価

##### （1）必要性

評価項目	評価基準	
科学的・技術的意義	定性的	革新性、発展性のある研究成果が創出されているか
社会的・経済的意義	定性的	国際競争力の向上に貢献しているか、適切な知的財産権の取得を実施しているか

世界における再生・細胞医療・遺伝子治療分野の研究開発は活発化しており、本分野の市場規模は2040年には2020年における市場規模の約20倍になると推計されている。

そのような中で、我が国の再生・細胞医療研究は、被引用数が上位10%以上の水準に相当する学術誌に掲載されたiPS細胞に関する論文数が米国に次いで世界第2位であるなど、世界をリードしており、引き続き実用化を目指した基礎的研究の推進を継続することが必要である。

また、遺伝子治療は、世界における再生・細胞医療・遺伝子治療分野の市場拡大を牽引しておりその発展性が期待できるため、遺伝子治療分野の研究推進が重要である。さらに、ゲノム編集技術の飛躍的な進歩が再生・細胞医療・遺伝子治療分野に与える影響は大きく、再生・細胞医療研究とゲノム編集技術研究を含む遺伝子治療研究との垣根を越えた融合研究による相乗効果を生み出すことは重要である。

また、疾患特異的iPS細胞については、細胞樹立からオルガノイドや臓器研究へと発展させることで、創薬開発で活用できる重要なツールとなる可能性があり、革新性及び発展性が大いに期待できる。そのため、疾患特異的iPS細胞を用いた研究を行い、疾患の病態解明、各組織への分化技術の確立等を進めるとともに、そのための付随臨床情報等が充実した疾患特異的iPS細胞バンクの整備が重要である。

世界に先駆けてiPS細胞を用いた再生医療研究に着手したことで、我が国において承認された再生医療等製品は年々増加しているものの、再生・細胞医療・遺伝子治療分野における研究開発品は現時点では臨床段階での明確な有効性を示すことができていないものも多く、アンメットメディカルニーズを満たしている状況ではない。そのため、再生・細胞医療・遺伝子治療分野の基礎・応用・非臨床研究やリバーストランスレーショナルリサーチ、人材育成及び基盤整備の推進並びに実用化に向けた支援が必要である。さらに、研究成果を実用化につなげるためには、適切な知的財産権の取得が必要であり、研究早期から

の実用化戦略作成支援や知的財産面からの伴走支援が重要である。

以上により、本事業の必要性は高いと評価できる。

### (2) 有効性

評価項目	評価基準	
新しい知の創出への貢献	定性的	難病等の病態解明や創薬につながる成果が創出されているか
実用化や社会実装に至る全段階を通じた取組	定量的	企業へ導出される段階を目指す研究課題数 企業へ導出される段階に至った研究課題数
	定性的	研究成果の実用化に貢献しているか

本分野の様々な研究チームのハブ機能と若手人材育成機能を有した再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点を置き、その中で革新的な基盤的研究に加えゲノム編集技術を含む遺伝子治療研究を融合した研究を展開することで、新しい知の創出への貢献や再生・細胞医療・遺伝子治療分野全体の更なる発展が十分に期待できる。また、中核拠点だけではなく、再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題による研究分野や臓器ごとのチーム型研究においても、異分野研究者・企業等との連携、その相乗効果から今までにない新たな切り口からの研究成果の創出や実用化への導出促進が期待できる。

疾患特異的 iPS 細胞バンクにおいては、付随する臨床情報と疾患の種類（株数）を増やし、より幅広い分野の研究者に本技術の利用を促す支援を強化することで、研究者の裾野を広げ難病等の病態解明研究や創薬につながる研究開発の加速化が期待できる。

実用化を意識した研究早期からの事業化戦略作成支援、産業界との連携、規制面・倫理面・知的財産面の伴走支援、厚生労働省とも連携した基礎研究から臨床研究への切れ目ない支援により、研究成果の実用化促進が期待できる。

以上により、本事業の有効性は高いと評価できる。

### (3) 効率性

評価項目	評価基準	
計画・実施体制の妥当性	定性的	目的の達成に向けて、効率的な研究を推進するための適切な体制が形成されているか

本事業において、実用化を見据えた規制面・倫理面・知的財産面からの伴走支援、研究早期に実用化を意識した事業化戦略作成支援ができる体制を構築し、充実した実用化支援を推進することにより、研究成果の臨床応用・企業へのより効率的な導出が期待できる。

また、アカデミアと細胞・ベクター製造機関とのマッチング支援により、製造に向けた技術的課題や必要な研究開発要素に関する両者間の相違の解消や、研究開発内容に最適な技術及び能力を有する製造施設の提案支援を実施する体制を準備することで、よりニーズに合った効率的・効果的な実用化に向けた支援が可能となる。

人材育成の点では、中核拠点において、他の研究機関から流動的な若手研究者の受入れと研究指導を実施するスキームを充実化させることで、若手人材の中核拠点と各研究室との行き来が活発になり、両者間の連携強化にもつながり、中核拠点のハブ機能構築にも効果的に役立つことが期待できる。

本事業においてチーム型研究や融合研究を推進しており、単に各研究グループが各施設で並行して研究を実施するのではなく、有機的に連携したバーチャルラボを形成することにより、研究成果の相乗効果や実験プロセスにおける効率化が期待できる。

また、プログラムディレクター（PD）やAMED事務局が、厚生労働省及び経済産業省が所管する実用化・産業化に関する事業も併せて統括・事業管理することにより、実用化に向けた効率的・効果的な事業遂行が可能である。

以上により、本事業の効率性は高いと評価できる。

## 5. 総合評価

### （1）評価概要

以上の点を考慮すると、本事業は社会的なニーズが高く、政策的にも将来の国益につながる重要項目の位置づけにあり、科学的・技術的意義の高い研究成果の創出や研究成果に基づく実用化の観点からも世界をリードできることが期待できることから、積極的に推進すべき課題と判断する。なお、中間評価は3年目、事後評価は事業終了年度を目途に実施することとする。

### （2）科学技術・イノベーション基本計画等の上位施策への貢献見込み

「科学技術・イノベーション基本計画」では、疾患メカニズムの解明や新たな診断・治療方法の開発等が進展していくことが見込まれており、「健康・医療戦略」等に基づき、医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進することが求められている。本事業は、「健康・医療戦略」における「細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床研究、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、遺伝子導入技術や遺伝子編集技術に関する研究開発やこれらの分野融合的な研究開発を推進」等に貢献するものである。

### （3）本課題の改善に向けた指摘事項

特になし

### （4）その他

本分野の研究を推進し実用化を進める上で、厚生労働省や経済産業省との連携が必須であるとともに、課題概要にも記載されている規制面・倫理面・知的財産面からの伴走支援が重要である。