

新規研究開発事業に係る事前評価書

1. 事業情報

事業名	遺伝子治療開発加速化研究事業（「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」に追加する新規テーマ）
担当部署	経済産業省商務・サービスグループ 生物化学産業課
事業期間	2024 年 ～ 2029 年（6 年間）
概算要求額	令和 6 年度 4,120 百万円の内数
会計区分	☒ 一般会計 / ☐ エネルギー対策特別会計
類型	☒ 研究開発プロジェクト / ☐ 研究資金制度
上位政策・施策の目標（KPI）	新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ（令和 4 年 6 月 7 日） （4）再生・細胞医療・遺伝子治療等 ①再生・細胞医療・遺伝子治療 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、治療に用いる細胞・ベクター（ウイルスなど細胞へ遺伝子を導入するための媒介）の製造基盤強化、人材育成等を進め、有効な技術を実用化につなげる。再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い、遺伝子治療におけるゲノム編集技術を再生・細胞医療に応用するなど一体的な研究開発や臨床研究拠点の整備を進める。 ゲノム編集技術に加え、分化効率が高い又は拒絶反応が低い次世代の i P S 細胞、それぞれの人の特性に合った薬効等を試験できるオルガノイド（試験管内で人工的に作られるミニ臓器）、細胞から分泌されるエクソソームの病気の診断や治療への活用に向けた研究開発等、革新的な研究開発を進める。
事業目的	遺伝子治療の技術は、一回から数回の治療で効果が継続し、また症状の大幅な改善や根本治療を可能としようという革新的な治療手段として大きな期待が寄せられており、年成長率 50%以上の急速な市場拡大も予想されている。 一方で、治験において重大な薬害事象が発生しているなどの安全性への懸念や、遺伝子治療薬が数千万～数億円と高額化しているというコスト面の課題は残存しており、遺伝子治療に用いるウイルスベクターを安全かつ効率的に生産する技術の開発が必要不可欠である。 本事業では、遺伝子治療の産業化に向けて、ウイルスベクター生産のコアとなる技術の開発と、それを用いた生産基盤の整備を目指す。
事業内容	治験届提出に向けた開発（製造工程の設計、非臨床 POC の開発、治験薬製造等）に必要なコア技術を開発しながら、治験届提出に向けて実用的な研究開発を進める。併せて、治験薬製造／商用生産向けのウイルスベクターの GMP での製造実証を行い、その中で明らかとなった課題や国内外技術動向を踏まえてコア技術の開発を進める。

アウトカム 指標		アウトカム目標
短期目標 (2030 年度)	製造工程内に本事業で開発したコア技術を組み込んだ上で提出された治験届の提出状況	2 件
長期目標① (2033 年度)	製造工程内に本事業で開発したコア技術を組み込んだ上で提出された治験届の提出状況	5 件（累計）
長期目標② (2033 年度)	製造工程内に本事業で開発したコア技術を組み込んだ上で治験薬を製造した開発品で治験 P1/2 が完了している件数と製造に起因する問題（開発中止等）がなかった件数の合計件数	1 件
アウトプット 指標		アウトプット目標
中間目標 (2027 年度)	本事業内で開発したコア技術を臨床研究・治験・商用生産で利用したパイプラインの件数（事業内での製造実証での利用を含む。また、複数のコア技術が 1 つのパイプラインで利用された場合はコア技術の数を計上する。）	10 件
最終目標 (2029 年度)	同上	20 件（累計）
マネジメント	・ 個々の採択課題は、3 年目に外部有識者による中間評価（ステージゲート審査）を行う。 ・ 年に数回開催する推進委員会で進捗状況を確認し、必要に応じて事業計画を見直す。 ・ 事業開始 3 年目と終了時に、研究評価委員会において中間評価、終了時評価を実施する。	
プロジェクトリーダー	事業実施においては、研究分野に関して優れた学識経験や研究開発の実績等を有し、研究開発課題の評価及び業務運営に関して見識を有する専門家を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）、プログラムオフィサー（PO）として配置する。PD、PS、PO は協力して、連携分野全体の課題を把握し、担当する連携分野の運営や分野間の協力の推進等の高度な専門的調整を行うことで、マネジメント体制を明確とした上で、実施者間での連携、成果のユーザーによる関与など、実用化・事業化を目指した実施体制や役割分担を実現する。 さらに、採択者の中から本事業におけるプロジェクトリーダーを配置予定である。	
実施体制	METI（定額補助） ⇒ AMED（委託） ⇒ 実施者	

2. 評価

経済産業省研究開発評価指針（令和 5 年 1 月 1 日）に基づく標準的評価項目・評価基準を踏まえて事前評価を行い、適合性を確認した。以下に、外部評価者の評価及び問題点・改善点に対する対処方針・見解を示す。

(1) 外部評価者

三木 秀夫 田辺三菱製薬株式会社 創薬本部 創薬企画部 主席

八代 嘉美

藤田医科大学 橋渡し研究支援人材統合教育・育成センター 教授

慶應義塾大学医学部生理学教室 訪問教授 / 殿町先端研究教育連携スクエア 特任教授

国立医薬品食品衛生研究所 再生・細胞医療製品部 客員研究員

山口 照英 金沢工業大学 附置研究所 教授

日本薬科大学 薬学部 客員教授

国立医薬品食品衛生研究所 衛生微生物部 客員研究員

（五十音順）

※評価期間：4 月 3 日～4 月 7 日

(2) 評価

① 意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋

遺伝子治療の実用化により、先天性免疫不全症や ADCC 欠損症などこれまで治療不可能と言われた疾患の治療が可能になってきた。これは単に治療法ができたというだけでなく、生涯にわたって 24 時間の介護が必要とされる多くの先天性疾患を持つ患者・家族が社会に参加できる可能性が示唆されており、その開発は先天性疾患を持つ患者の社会参加を可能とする意味においても極めて重要である。他方、技術的には未熟であり、新しい技術を開発し、広く展開するには企業単独での取り組みでは限界があるため、それぞれの強みをもつ国内の研究機関が集まって事業化の基盤を構築することは、医療向上からも、産業振興からも意義が高い。上記を踏まえて、国が実施する意義は強く認められる。

事業の実施計画に関しても、前事業で形成されてきたネットワークや技術、蓄積された知見を活用して具体的かつ妥当なアウトカムが設定されており、それを実現するために、遺伝子治療を実際に研究開発する研究機関と製造技術の開発を担う研究機関の連携を強力に促し、さらには製造における要素技術開発と、それらを統合した製造プロセス開発から治験薬製造、商業製造へと展開する実践的なロードマップが作成されているため、妥当であると考えられる。

技術の標準化を目指す戦略に関しても、遺伝子治療の分野では、生体内分布、ウイルス安全性、挿入変異、体外排出などの評価についてガイドラインや ICH 見解などが出されている中、ISO に進むよりは規制当局との連携を主にして開発を進める方がよく、ロビイングの比重が大きいデジュリスタンダードではなくデファクトスタンダードを目指す方向性は効率的に成果を得るために適切な戦略である。

一方、採択する開発品の研究開発を迅速に進めることが重要ではあるものの、技術開発や製品開発を含めた治験届までの期間が事業を開始してから 5 年というのは短い。設定した期間内で実施することよりも、確実に課題を解決していく柔軟な計画立案と実行を求めたい。事業計画に関しては、A 製品と B 製品では重要品質特性(CQA)が異なりスケールアップファクター検証の計画も変わりうることや、複数の製品

に共通して使用できる重要な製法、工程管理手法、特性解析手法に絞ってやるべきであることを踏まえ、取り扱う品目や開発計画を踏まえて随時見直しを行うべき。精査に当たっては、以下の観点にも十分配慮すること。

- ・標準品は開発企業が目的製品（AAV ベクター）ごとに開発ステージで樹立し、様々な試験の評価において品質特性の評価スケールとして使用するものであり、ATCC と同様の標準品は粒子数の計測における試験法の妥当性確認程度にしか使えないこと。
- ・スケールアップファクターの確認については、重要品質特性(CQA)を把握し、スケールアップ時にその CQA が同等であることを確認するという考え方が重要であること。（アウトカム達成への道筋についても取り扱う品目や開発計画を踏まえて随時見直しを行うべき。）
- ・エンベロープウイルスでは糖鎖が活性や細胞指向性等に関与する可能性があるが、糖鎖の不均一性が活性に影響する場合、製品ごとに不均一性の恒常性を担保することが重要であること。その際、ウイルスベクターに適用できるような高感度の評価系があれば十分である。

加えて、開発成果の展開に向け、開発チーム内における成果帰属の明確化、成果を創出した研究機関への適切なリターン、国内外企業への広い展開のためには、知財の保護と成果へのアクセス促進を適切に進めてもらいたい。また、ARM が NIIMBL と共同で発出している“A-Cell”などの諸外国の動向を適切に把握し、どう対応すべきかの方針を定めて対応する必要がある。

② 目標

水平展開が可能なモデル化を重視した、単一のプロダクトより産業構造全体へのインパクトを重視した内容であることから、開発されたコア技術が臨床研究、治験、商用生産に利用された数をアウトプットとして評価することは、コア技術の技術レベルの妥当性、競争優位性を評価するために適切である。また、開発した技術を治験薬製造あるいは商業製造に活用して実績を上げていくことが、技術を広く活用されるようにするためには必要であり、治験届をアウトカムとすることは適切である。先天性疾患に関する画期的な遺伝子治療製品の開発を日本から生み出していくことには大きなインパクトがあり、少なくとも研究開発期間内に複数の品目が治験に至れば世界的にも重要な意味をもつ他、その開発で用いられた技術、生産細胞などがゴールドスタンダードになりえると想定されるため、戦略的にも非常に有意義である。

一方、短期アウトカムとしては、単一遺伝子疾患に対する遺伝子治療を想定するならば、適切な事業期間の設定の上で、一つの疾患に対する治験届件数を 1 件ではなく複数として設定することを期待したい。長期アウトカムとしては、技術活用の展開を評価することでは大事だが、技術レベルを評価するために、技術を活用した開発品の治験で P1/2 が完了している、あるいは製造に起因する問題（中止）がなかったことを指標にしてはどうか。アウトプットとしては、ひとつのコア技術が広く活用されることも重要であるが、本事業のなかで開発されたコア技術の種類の多さも重要なので、この観点からも指標を設定してはどうか。

また、デファクト・スタンダードを狙うという事業の意義を踏まえると、将来的には諸外国の薬事当局や製薬メーカーなどとの連携やホワイトペーパーなど柔軟な指標も検討する必要があるのではないかと。

加えて、遺伝子治療の対象疾患は先天性遺伝子疾患がほとんどであり、非臨床 PoC を取得するためのインビトロ、インビボ評価系の確立が個別製品ごとに非常に重要であるため、こうした創薬開発部分に関してはシーズ開発支援を行う文科省や厚労省の事業と連携して進めるべき。

③ マネジメント

実施体制として、健康・医療分野の研究開発を一元管理している AMED において執行することは適切である。評価者等の考え方についても、わが国で最も初期から開発に携わった遺伝子治療の専門家、またその規制に精通している専門家が参画しており妥当。

受益者負担の考え方についても、遺伝子治療の主な対象は希少疾患のため企業がその研究開発に積極的に取り組めない現状に鑑み、その研究開発を国が委託し、技術レベルを向上させることで、市場性の高い疾患の研究開発を企業独自に取り組める環境を整備するという考え方は妥当である。遺伝子治療の製造に関する効率的な製造プロセスの構築は、将来的には国民の健康や長期的な保険財政への貢献のみならず、構築されたモデルの利活用（国内での技術移転や海外への移植）による産業育成につながることから、公益性が高い事業であるため、経済産業省が担当することが妥当な事業であると考ええる。開発された製品が高額であっても一回の遺伝子治療により従来の酵素補充療法のように継続した高額医療から脱却できれば医療経済的な貢献も期待できることを考えれば、国として実施するべき意義は更に大きいと考えられる。

一方、開発チームの連携が開発の成否に関わることから、3年後のステージゲートとは別に個別事業（開発品の研究開発）の定期的な進捗管理と短期間（例えば1年毎）であっても継続又は中止の判断が必要と考える。競争が激しい領域であるために技術の更新が頻繁に発生する可能性があるため、当初の計画に拘泥することなく、目標の適切な変更や参加者内の連携などをリードする柔軟なアドバイザリーボードの設置を含み、仕組みの構築を工夫すべき。その際、これまでの実績に囚われず、総合的な視点を持った人材や建設的な視点を持つ人材を抜擢して運用にあたらせることが望ましい。

また、開発当初から特定の候補製品のみを開発するのではなく、特定の疾患に対して設計の異なるウイルスベクターを候補とし、開発の進展に沿って絞り込むような戦略も必要である。特に治験第1相までに複数の候補製品の開発を行って、最も効果が期待できる製品の臨床開発を進めるという戦略もあり得る。

(3) 問題点・改善点・今後への提言に対する対処方針

① 意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋

問題点・改善点・今後への提言	対処方針・見解
採択する開発品の研究開発を迅速に進めることが重要ではあるものの、技術開発や製品開発を含めた治験届までの期間が事業を開始してから5年というのは短い。設定した期間内で実施することよりも、確実に課題を解決していく柔軟な計画立案と実行を求めたい。 事業計画に関しては、A製品とB製品では重要品質特性(CQA)が異なりスケールアップファクター検証の計画も変わりうることや、複数の製品に共通して使用できる重要な製法、工程管理手法、特性解析手法に絞ってやるべきであることを踏まえ、取り扱う品目や開発計画を踏まえて随時見直しを行うべき。	ご指摘を踏まえ、治験届出の時期（アウトカム短期目標）は事業開始から7年後の2030年へ延長したい。 開発すべき製法・工程管理手法・特性解析手法に関しては、事業開始1年目に行う有識者会議において、採択者の選択した製品の特性を踏まえて選定することとする。2年目以降も有識者会議（AMEDが実施するPSPO会議等）での議論と、GMP製造実証で得られた知見を踏まえ、随時見直しを行っていく。事業後半の治験開始に向けた準備期間においては、3年目終了時のステージゲートとなるAMEDによる中間評価において適切な計画立案を行った上で、創薬開発の進捗も踏まえて随時見直しを行うこととする。

開発成果の展開に向け、開発チーム内における成果帰属の明確化、成果を創出した研究機関への適切なリターン、国内外企業への広い展開のためには、知財の保護と成果へのアクセス促進を適切に進めてもらいたい。 また、ARM が NIIMBL と共同で発出している“A-Cell”などの諸外国の動向を適切に把握し、どう対応すべきかの方針を定めて対応する必要がある。	開発成果の展開のうち、知財の取扱いに関しては、AMED における取扱いの規程を遵守した上で、参画者間で知財の保護や成果の取扱いに関する協定を締結いただくこととし、適切に管理していきたい。 また、産業界でのスタンダードを獲得するためには規制当局との議論のみならず、ARM 等の海外業界団体や規制当局の議論を不断に把握することが重要であることを踏まえ、上記の事業 1 年目での有識者会議では、A-CELL や A-GENE のような海外の動きへの対応についても議論し、方針を定めることとする。
--	--

② 目標

問題点・改善点・今後への提言	対処方針・見解
短期アウトカムとしては、単一遺伝子疾患に対する遺伝子治療を想定するならば、適切な事業期間の設定の上で、治験届件数を 1 件ではなく複数として設定することを期待したい。 長期アウトカムとしては、技術活用の展開を評価することでは大事だが、技術レベルを評価するために、技術を活用した開発品の治験で P1/2 が完了している、あるいは製造に起因する問題（中止）がなかったことを指標にしてはどうか。 アウトプットとしては、ひとつのコア技術が広く活用されることも重要であるが、本事業のなかで開発されたコア技術の種類の多さも重要なので、この観点からも指標を設定してはどうか。また、デファクト・スタンダードを狙うという事業の意義を踏まえると、将来的には諸外国の薬事当局や製薬メーカーなどとの連携やホワイトペーパーなど柔軟な指標も検討する必要があるのではないかな。	ご指摘を踏まえ、治験届出件数を 1 件から 2 件へ増やすとともに、成功確率との兼ね合いから事業期間を 5 年から 6 年へ延長したい。 長期アウトカムとしては、現在のアウトカムと併せて、「技術を活用した開発品の治験で P1/2 が完了している件数と製造に起因する問題（開発中止等）がなかった件数の合計件数について、2033 年までに 1 件」を追加したい。 アウトプットとしては、本事業は第一期事業に比して真に必要なコア技術に絞り重点的に支援することを想定しているため、それをより評価できるコア技術のパイプラインでの活用数を設定しているが、コア技術の種類や諸外国の薬事当局や製薬メーカーなどとの連携やホワイトペーパーの件数についても、中間・事後評価で評価することとしたい。なお、これらの企業に導出された技術の件数や論文数等の指標に関しては、AMED の PJ3「再生・細胞医療・遺伝子治療開発」の評価指標となっているため、AMED の事業評価の一環として捕捉・評価されている。
創薬開発部分に関してはシーズ開発支援を行う文科省や厚労省の事業と連携して進めるべき。	文科省や厚労省とは、令和 6 年度概算要求に向けた各省の要求方針のすりあわせの場や、各シーズの橋渡しや製造・評価条件の統一に係る事業の具体的な企画・条件に関する議論の場を既に設定している。引き続き更なる連携に向けて対話を進め、公募や事

	業実施の条件として各事業との連携を組み込むことなどにより、有機的な連携を図っていきたい。
--	--

③ マネジメント

問題点・改善点・今後への提言	対処方針・見解
開発チームの連携が開発の成否に関わることから、3年後のステージゲートとは別に個別事業（開発品の研究開発）の定期的な進捗管理と短期間（例えば1年毎）であっても継続又は中止の判断が必要と考える。競争が激しい領域であるために技術の更新が頻繁に発生する可能性があるため、当初の計画に拘泥することなく、目標の適切な変更や参加者内の連携などをリードする柔軟なアドバイザリーボードの設置を含み、仕組みの構築を工夫すべき。 その際、これまでの実績に囚われず、総合的な視点を持った人材や建設的な視点を持つ人材を抜擢して運用にあたらせることが望ましい。	本事業では、1ヶ月に1回程度、有識者を交えて事業実施方針の議論や修正を行う進捗会議（PSPO会議）や、事業者間でコア技術の接続や臨床開発に向けた議論を行う戦略会議を行っていただくことを想定している。前身事業でもこうした場を活用し、毎年度末、進捗が遅れた課題や必要性が劣化する課題の予算額を減額し、重点化すべき課題や新たに明らかになった問題への対応に追加配分するなどの柔軟な運用を行っていたため、本事業でもしっかり見直しをしながら進めてまいりたい。 当該有識者会議においては、海外の関連機関での研究・勤務経験を持つ若手研究者や、海外での事業経験のある企業関係者などを含め、国際感覚と俯瞰的視点を持つ有識者の意見を取り入れられる仕組みとする。
開発当初から特定の候補製品のみを開発するのではなく、特定の疾患に対して設計の異なるベクターを候補とし、開発の進展に沿って絞り込むような戦略も必要である。特に治験第1相までに数製品の開発を行って、最も効果が期待できる製品の臨床開発を進めるという戦略もあり得る。	公募時に、特定の疾患に対して設計の異なるベクターを複数種類製造しようとする計画も歓迎することとする。その上で、採択された課題が選定した疾患やベクターの特性を踏まえ、①記載の事業1年目の有識者会議において、臨床開発の計画や、中間評価（ステージゲート時）の評価基準について議論をした上で、事業を進めることとする。

（参考）外部評価者の評価コメント

以下、外部評価者から入手した意見を記載する。

① 意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋

【肯定的意見】

- ・ 遺伝子治療は画期的な治療法である一方で技術的には未熟であり、新しい技術を開発し、広く展開するには企業単独での取り組みでは限界がある。それぞれの強みをもつ国内の研究機関が集まって事業化の基盤を構築することは、医療向上からも、産業振興からも意義が高い。
- ・ 遺伝子治療を実際に研究開発する研究機関と製造技術の開発を担う研究機関の連携を強力に促し、さらには製造における要素技術開発と、それらを統合した製造プロセス開発から治験薬製造、商業製造へと展開するロードマップは実践的である。
- ・ 前事業で形成されてきたネットワークや技術、蓄積された知見を活用して具体的かつ妥当なアウトカムが設定されているほか、ロビイングの比重が大きいデジュリスタンダードではなくデファクトスタンダードを目指す方向性は効率的に成果を得るために適切な戦略である。よって十分に国が実施する意義を持つものと考ええる。
- ・ 遺伝子治療の実用化により、先天性免疫不全症や ADCC 欠損症などこれまで治療不可能と言われた疾患の治療が可能になってきた。これは単に治療法ができたというだけでなく、生涯にわたって 24 時間の介護が必要とされる多くの先天性疾患を持つ患者・患者児童が社会に参加できる可能性を示しており、この点からも重要な事業である。
- ・ (3) 標準化に関しては、生体内分布、ウイルス安全性、挿入変異、体外排出などの評価についてガイドラインや参考ガイドライン、ICH 見解などが出されており、むしろ ISO はなじまないと思いますので、提案の内容は妥当であり、規制当局との連携を主に開発を進める方がよい。

【問題点・改善点・今後への提言】

- ・ 採択する開発品の研究開発を迅速に進めることが重要ではあるものの、技術開発や製品開発を含めた治験届までの期間が事業を開始してから 5 年というのは短く感じる。特に後半の期間は治験を開始するまでの準備期間であり、定まった期間内で実施することよりも、確実に課題を解決していく柔軟な計画立案と実行を求めたい。
- ・ 開発チーム内における成果帰属を明確にするとともに、成果を創出した研究機関が適切な利益が得られるように、また国内外の企業に広く活用してもらえるようするためには、知財の保護と成果へのアクセス促進および国際的な標準化を適切に進めてもらいたい。
- ・ 文中にも登場する ARM などはずでに NIIMBL と共同し“A-Cell”ガイダンスを発出しており、これらをどう超えるか、もしくは合従連衡を目指すかなどの方針を定める必要がある。
- ・ 参考資料として、これまで開発に取り組まれてきたコア技術が例示されているが、複数の製品に共通して使用できる、重要な製法、工程管理手法、特性解析手法に絞ってやるべきであり、その精査が重要。精査に当たっては、以下の観点にも十分配慮すること。
 - ・ 標準品は開発企業が目的製品（AAV ベクター）ごとに開発ステージで樹立し、様々な試験の評価において品質特性の製品評価スケールとして使用するものであり、ATCC と同様の標準品は粒子数の計測における試験法の妥当性確認程度にしか使えないこと。

・スケールアップファクターの確認については、重要品質特性(CQA)を把握し、スケールアップ時にその CQA が同等であることを確認するという考え方が重要であること。

・エンベロープウイルスでは糖鎖が活性や細胞指向性等に関与する可能性があるが、糖鎖の不均一性が活性に影響する場合、製品ごとに不均一性の恒常性を担保することが重要であること。その際、ウイルスベクターに適用できるような高感度の評価系があれば十分である。

・アウトカム達成までの道筋に関しては、A 製品と B 製品では重要品質特性(CQA)が異なりスケールアップファクター検証の計画も変わりうることから、取り扱う品目や開発計画を踏まえて随時見直しを行うべき。

② 目標

【肯定的意見】

・開発した技術を治験薬製造あるいは商業製造に活用して実績を上げていくことが、技術を広く活用されるようにするためには必要なので、治験届をアウトカムとすることは適切である。

・開発されたコア技術が臨床研究、治験、商用生産に利用された数をアウトプットとして評価することは、コア技術の技術レベルの妥当性、競争優位性を評価するために適切である。

・アウトカムとしてありきではなく、水平展開が可能なモデル化を重視した、単一のプロダクトより産業構造全体へのインパクトを重視した内容であることから、達成時期や目標値は妥当に設定されているものと考ええる。

・先天性疾患に関する画期的な遺伝子治療製品の開発を日本から生み出していくことが重要であり、少なくとも研究開発期間内に複数の品目が治験に至れば世界的にも重要な意味をもつ。その開発で用いられた技術、生産細胞などがゴールデンスタンダードになりえる。

【問題点・改善点・今後への提言】

・開発品の採択数に依存するが、単一遺伝子疾患に対する遺伝子治療を想定するならば、短期アウトカムとして治験届が 1 件と言うのは少なくないか。複数のアウトカムを期待したい。

・治験届の増加を指標としている長期アウトカムは、技術活用の展開を評価することでは大事だが、技術レベルを評価するために、技術を活用した開発品の治験で P1/2 が完了している、あるいは製造に起因する問題（中止）がなかったことを指標にしてはどうか。

・アウトプットとしては、ひとつのコア技術が広く活用されることも重要であるが、本事業のなかで開発されたコア技術の種類の多さも重要なので、この観点からも指標を設定してはどうか。

・国費を投じるプロジェクトという関係上、パイプラインの件数という可視化・指標化しやすいものをアウトプットとして取り扱うことは致し方ないが、デファクト・スタンダードを狙うという事業の意義を踏まえると、将来的には諸外国の薬事当局や製薬メーカーなどとの連携やホワイトペーパーなど柔軟な指標も検討する必要があるのではないか。

・遺伝子治療の対象疾患は先天性遺伝子疾患がほとんどで、欠損あるいは異常な遺伝子の働きなどどのように対象疾患に介入するかが最も重要。特に非臨床 PoC を取得するには疾患モデルの確立が非常に重要で、かつその適用によってどの程度症状や生命維持に対応できるかを示す必要がある。非臨床 PoC を取得するためのインビトロ、インビボ評価系の確立が個別製品ごとに非常に重要であるため、こうした創薬開発部分に関してはシーズ開発支援を行う文科省や厚労省の事業と連携して進めるべき。

③ マネジメント

【肯定的意見】

- ・本事業は遺伝子治療の開発であることから、健康・医療分野の研究開発を一元管理している AMED において執行することは効果的かつ効率的であることから適切である。
- ・現状では遺伝子治療の対象は単一遺伝子疾患であり、これらは希少疾患のため国内の企業が遺伝子治療に積極的に取組まない一因である。その研究開発を国が委託し、技術レベルを向上させることで、市場性の高い疾患の研究開発を企業独自に取組める環境になることが期待される。
- ・遺伝子治療の製造に関する効率的な製造プロセスの構築という国民の健康や長期的な保険財政への貢献のみならず、構築されたモデルの利活用（国内での技術移転や海外への移植）による産業育成という公益性が高い事業目標であるため、経済産業省が担当することが妥当な事業であると考ええる。
- ・実施体制のうち評価者等の考え方について、わが国で最も初期から開発に携わった遺伝子治療の専門家、またその規制に精通している専門家が参画しており妥当。
- ・受益者負担の考え方につき、科学技術としての重要性もその通りではあるが、遺伝子治療の対象疾患は先天性遺伝子疾患が多く、患者のみならず患者家族も含めて多くの社会負担が大きく、画期的な治療法の開発により患者のみならず患者家族も社会参加の機会ができ新たな tax-payer となりうる。また酵素補充療法では年間数千万もの治療費がかかり、これが生涯続く。高額であっても一回の遺伝子治療により従来の高額医療から脱却できれば医療経済的な貢献も期待できることを考えれば、国として実施するべき意義は更に大きいと考えられる。

【問題点・改善点・今後への提言】

- ・個別事業の公募においては、遺伝子治療の開発を担う研究機関と製造技術を開発する研究機関、あるいは製造する企業の連携が重要であり、事業を成功させるためには、これらの開発チームを過不足なく、円滑に形成させるための仕組みが必要である。
- ・開発チームの連携が開発の成否に関わることから、3年後のステージゲートとは別に個別事業（開発品の研究開発）の定期的な進捗管理と短期間（例えば1年毎）であっても継続又は中止の判断が必要と考える。
- ・競争が激しい領域であるために技術の更新が頻繁に行われる状況にある。そのため、マネジメントにおいては当初の計画に拘泥することなく、目標の適切な変更など柔軟なアドバイザリーボードを設置するべきであるし、これまでの実績のみならず、総合的な視点を持った人材や建設的な視点を持つ人材を抜擢して運営の管理・評価に当たらせるのがよいのではないか。
- ・進捗管理につき、確かに成果の出ている開発と成果が不十分な開発を選択していくことは重要だが、開発当初から特定の候補製品（ベクターのデザインを含む）のみを開発するのではなく、特定の疾患に対して設計の異なるベクターを候補とし、開発の進展に沿って絞り込むような戦略も必要。特に治験第1相までに数製品の開発を行って、最も効果が期待できる製品の臨床開発を進めるという戦略もあり得る。

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

商務・サービスグループ
生物化学産業課

令和6年度概算要求額 **41億円（37億円）**

事業の内容

事業目的

再生医療や遺伝子治療の技術は、臨床現場における新たな治療の選択肢や創薬ツールとして期待され、市場の急速な拡大が予想されている。本事業では、再生・細胞医療・遺伝子治療の産業化の促進に向け、ヒト細胞加工製品や遺伝子治療に用いる治療用ベクターの安定的かつ効率的な製造技術等を開発するとともに、再生医療技術を応用した新薬創出を加速する。これらにより、我が国発の革新的医療の社会実装を図り、拡大する世界の医療・医薬品市場の取込みによる経済成長への貢献と、国民が健康な生活及び長寿を享受することの出来る社会（健康長寿社会）の実現を目指す。

事業概要

再生医療・遺伝子治療分野の産業化を促進するため、国立研究開発法人日本医療研究開発機構における以下の取組みを支援する。

①有効性、安全性、再現性の高いヒト細胞加工製品の安定的かつ効率的な製造技術基盤を確立する。

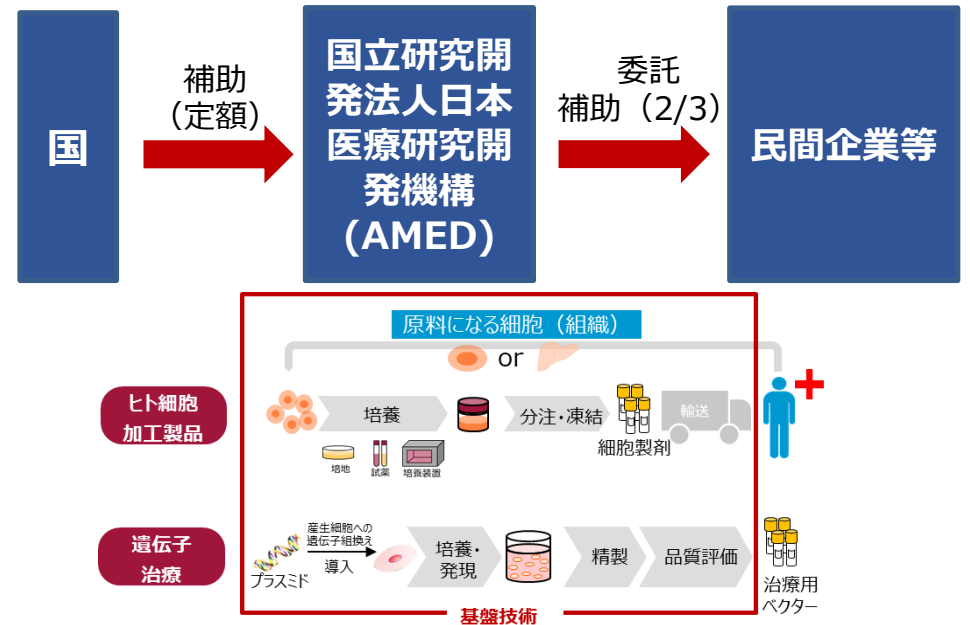
②遺伝子治療に用いる安定的かつ効率的なウイルスベクターの製造・評価技術を開発する。

③再生医療技術を応用し、様々な臓器の細胞を活用した、医薬品の安全性等を評価するための創薬支援ツールを開発する。

④再生・細胞医療・遺伝子治療の製品開発を目指す企業等の製造プロセス構築や評価手法の開発を支援する。

※委託事業として実施するが、一部（④の民間事業者等による製法・評価方法開発）は補助事業として実施。

事業スキーム（対象者、対象行為、補助率等）



成果目標

①令和8年度までに、本事業で開発した要素技術を活用した再生医療等製品に関する臨床研究件数、治験届出件数、製品数及び技術導出総数20件

②令和15年度までに、製造工程内に本事業で開発したコア技術を組み込んだ上で提出された治験届件数5件等をを目指す。