

第2回 特定医療技術等開発推進検討会

令和8年9月30日

資料 1

支援を行う特定医療技術等の選定基準及び 社会実装に係る課題整理

第2回 特定医療技術等開発推進検討会

厚生労働省 研究開発政策課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

- 支援対象とする特定医療技術等の要件について
- 特定医療技術等の社会実装に向けた一般的な課題について

- 支援対象とする特定医療技術等の要件について
- 特定医療技術等の社会実装に向けた一般的な課題について

対象とする技術等の要件について

超希少疾病に対する医薬品・医療技術の開発の現状と課題とともに、医療の質の向上と医療研究開発のイノベーションへの寄与という本事業の主旨をふまえ、対象領域として、がん、精神神経疾患、小児疾患、感染症、再生・細胞医療、遺伝治療を想定している。

1. 特定医療技術等について、対象とする候補技術等の要件についてはどのように考えるべきか。ご意見をいただきたい。

対象とする技術等の要件（案）

1. 医療上・公衆衛生上の必要性

対象疾患の重篤性、医療上の有用性、公衆衛生対策上の必要性

2. 市場性

患者数希少、平時の疾病発生なしor極稀、高額製造費用、コスト妥当性

3. 医療上・公衆衛生上の位置づけ

倫理的妥当性、医療経済性

4. 革新的な技術の日本への導入に対する寄与

本邦への技術的寄与、技術の革新性

5. 国内研究実施体制・製造体制（国内の再生医療等技術シーズ）

国内発シーズ、国内での研究実施体制・製造体制の確保、技術の応用の可能性

支援対象となる特定医療技術等の抽出

特定医療技術等に関する調査の中間報告においてリストアップされた候補技術等のうち、どのような要件を満たすものを支援対象とするべきか、より具体的な内容について議論をお願いしたい。

対象とする技術等の具体的要件

○ 前提

支援対象の特定医療技術等は疾患やモダリティの観点を踏まえて一定程度分散させる。

○ 全体的な要件

- ・ 治療しなければ致死である疾患、重篤な後遺症が発生する疾患
- ・ 既存治療の存在しない疾患
- ・ 患者数が概ね100人程度までの疾患、患者数が大きく変動する疾患
- ・ 費用面において投与期間が決まっているなど、価格が高額であっても上限が決まっている技術等
- ・ 革新的な技術が用いられている等、本邦への技術的寄与が高い技術等
- ・ 海外で承認されていたり、治験・臨床試験の第1相以降に進んでいるなど、実用化に向けて一定の進捗が得られやすいと考えられる技術等

○ 再生医療技術に特有の要件

- ・ 国内での製造プロセスが確立しているか、その目処が一定程度立っている技術等
- ・ 研究実施体制が維持できる技術等
- ・ 既に取得されている非臨床試験データでのPOCの頑健性が高い技術等

支援候補技術の調査方法

国内外の情報を基に、支援候補技術の調査を行い、593技術（※）が候補として抽出された。

1. 国内学会調査

アンケート調査を実施し、臨床現場におけるニーズ及びシーズ情報の把握

2. 国立医薬品食品衛生研究所の情報

国立医薬品食品衛生研究所遺伝子医薬部が公開する「開発動向」に関する情報を収集

3. 開発パイプライン情報

ベンチャーキャピタルの投資先企業情報より調査

4. AMEDからの情報収集

AMED（国立研究開発法人日本医療研究開発機構）から情報収集

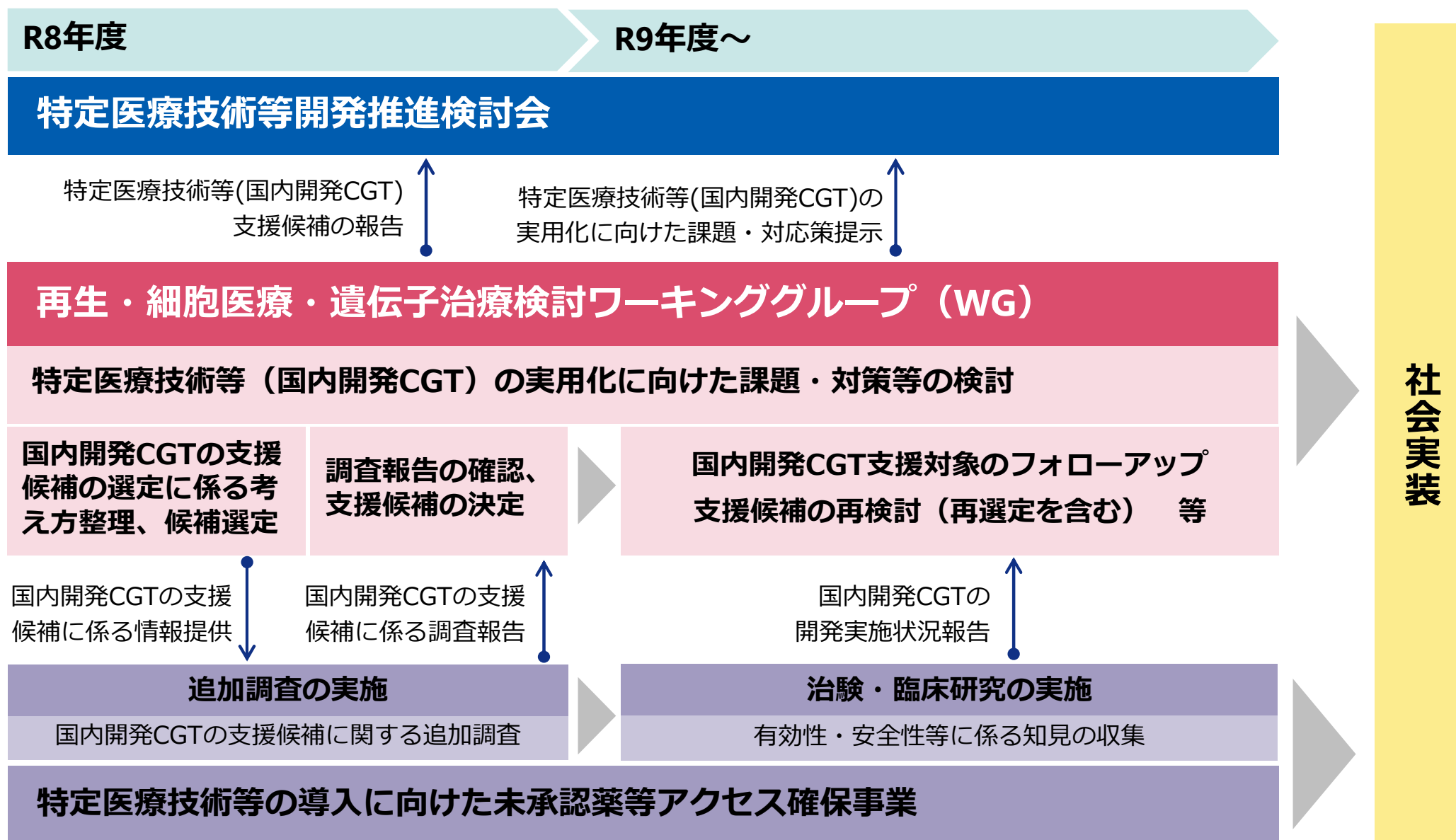


対象領域について、**593技術**を候補として抽出（※）

※中間報告時点。調査中のため、今後増減の可能性あり。

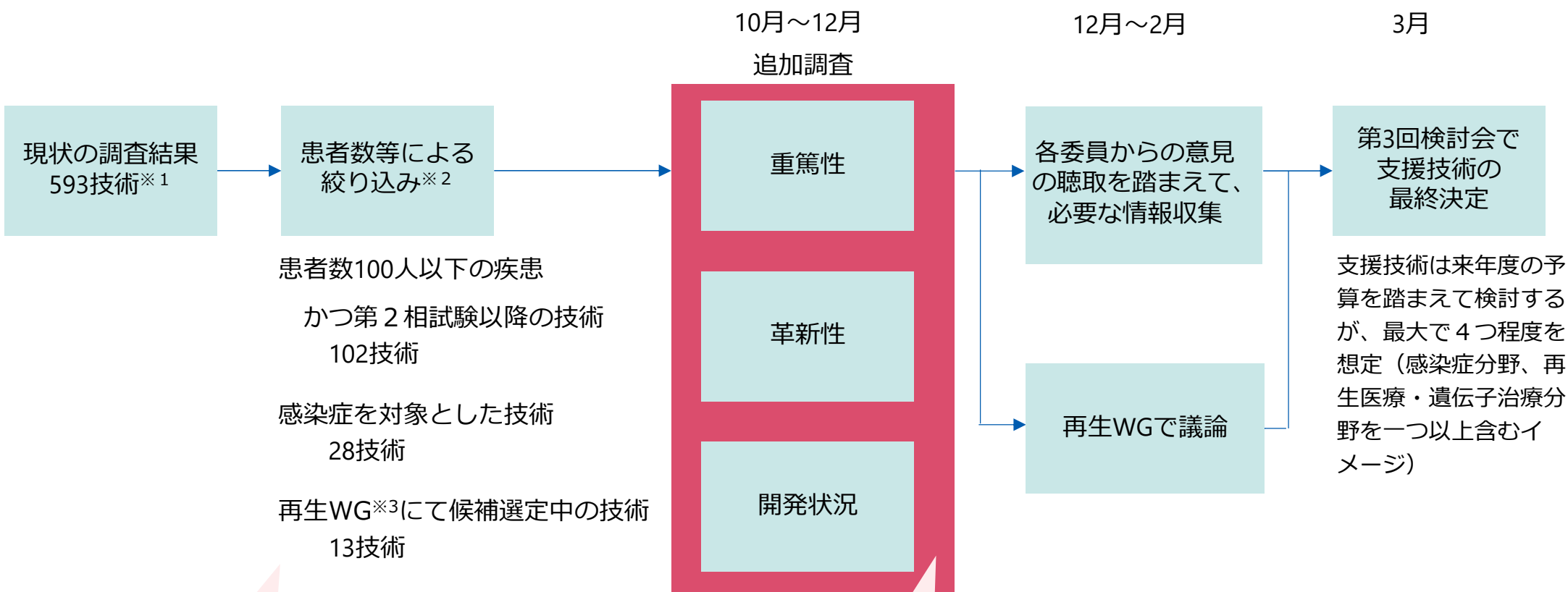
再生・細胞医療・遺伝子治療検討ワーキンググループの開催状況について

令和8年6月29日に、第1回WGを開催、特定医療技術等（国内開発CGT）の実用化に向けた課題・対策等の検討及び特定医療技術等（国内開発CGT）の個別支援シーズ候補の調査に関する報告等を行った。



今後の支援技術選定の進め方について

現在進めている調査事業の中間報告を踏まえ、以下のような形で追加調査を実施し、その結果を各委員に共有した上で最終的な支援技術の選定に向けて意見をいただきたい。



現時点のリストは「参考資料1-1～1-3」のとおり

No.	疾患名 (和名)	疾患名 (英語名)	疾患分類	モダリティ
-----	-------------	--------------	------	-------

各委員から**5つ**の候補技術を選定

いただき、ご意見を踏まえ、第3回検討会で支援技術を決定

※1 調査中のため、今後増減の可能性あり ※2 今後、重複含めて精査予定

※3 再生・細胞医療・遺伝子治療検討ワーキンググループ

- 支援対象とする特定医療技術等の要件について
- 特定医療技術等の社会実装に向けた一般的な課題について

特定医療技術等の実用化に向けた課題

特定医療技術等に関して、現時点で事務局が認識している実用化に向けた以下の課題についてご意見をいただきたい。

臨床開発の開始及び薬事における課題

○ 薬機法に係る課題

- ・ 個別化医療や遺伝子治療において、現行の基準では有効性や安全性を示すことができない。併せて、新技術を用いた有効性・安全性評価の妥当性を相談することが難しい。
- ・ 超希少疾病などの場合、患者数や倫理の問題から治験を行うことが困難。
- ・ 従来のGMPの考え方では、生産数の問題から適合性を示すことができない医療技術等が存在する。

○ 感染症に係る課題

- ・ 感染症法における病原体管理が厳格・柔軟性に欠けるため、開発できない医薬品等が存在する。
- ・ 感染症によってはワクチンの有効性・安全性評価の指標が確立していないものが存在する。
- ・ 日本におけるアニマルチャレンジの環境を整備する必要がある。

経済性に関する課題

○ 患者数に係る課題

- ・ 特に感染症において、承認後に患者がいらないため収益性がなく、そのままでは開発が難しい。
- ・ 超希少疾病や遺伝子治療において、事業戦略を立てることが難しい。

○ 保険収載に係る課題

- ・ 再生医療等製品の保険収載の際、医薬品と医療機器のどちらのルールが適用されるかが事業戦略に影響する。