



ひと、暮らし、みらいのために
Ministry of Health, Labour and Welfare

特定医療技術等開発推進検討会 再生・細胞医療・ 遺伝子治療検討ワーキンググループの設置について

厚生労働省医政局研究開発政策課
再生医療等研究推進室

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

1. 特定医療技術等開発推進検討会について

ひと、くらし、みらいのために



厚生労働省
Ministry of Health, Labour and Welfare

我が国における医薬品・医療技術開発の現状と課題

患者数が特に少ない超希少疾病等に対しては、市場性等の課題から、企業による医薬品や医療技術の開発が進まない現状がある。他方、海外においては、超希少疾病に対しても、新規的な治療薬の開発が認められる。

医薬品・医療技術の開発における市場性等の課題の例

・ ドラッグ・ロス

海外承認済だが、国内開発未着手・未承認の医薬品（ドラッグ・ロス）については、政府が情報収集し、企業への開発要請等を行っている。2016年から2020年に欧米で承認された品目のうち、ドラッグ・ロス品目は86品目あり、医療上の必要性を確認すべきと判断された品目が55品目、その中から開発要請・開発公募に繋がった品目が23品目であり、開発公募品目のうち2品目について企業から開発の意思の申し出があった。

ドラッグ・ロス86品目の中にはベンチャー企業が開発したものが56%、希少疾病用医薬品が47%、小児用医薬品が37%あり、日本の医療環境の周知、市場規模の小さい医薬品の導入が課題となっている。

・ 感染症に対する危機対応医薬品（MCM）

有事に備えMCMの開発は重要であるが、平時に患者数が少ないため企業が開発が進みにくい現状があり、政府の「感染症協議会」において、プッシュ・プル型研究開発支援を通じたMCMエコシステムの構築が求められている。

・ 再生医療等技術

超希少疾病に対する細胞医療や遺伝子治療については、国内で有望なシーズが出てきているが、高額な製造費用に加え、対象疾患の患者数が限定的であること、有限の治療で完治に至るものもあることから、開発企業にとっては継続的な収益が見込みづらい事例などもあり、開発が進みづらい。

海外で、開発・承認された、革新的な医薬品・医療技術の例

・ 低分子治療薬

対象疾患：嚢胞性線維症（先天性肺疾患）

海外承認状況：米国等で承認済み

国内想定患者数：50人程度

・ アデノ随伴ウイルスベクター(AAV)を用いた*in vivo*遺伝子治療

対象疾患：芳香族L-アミノ酸脱炭酸酵素欠損症（先天性神経疾患）

海外承認状況：米国で承認済み

国内想定患者数：10人程度

市場性の乏しい医療技術等の開発支援について

<論点と課題>

- ・ 超希少疾病や感染症に対する医薬品や医療技術の開発は、国民の公衆衛生・医療の質の向上につながる。
 - ・ 海外においては、超希少疾病等に対する医薬品や医療技術の治験が存在している。
 - ・ 一方で、市場性の乏しい超希少疾病等に対する医薬品や医療技術について、従前からの研究開発支援だけでは国内開発が進まない現状がある。
- ○市場性の乏しい医療技術等の開発について、支援の対象や支援のあり方についての検討が必要ではないか。
- 市場性の乏しい医療技術等の開発を、先端医療研究開発の底上げにどのようにむすびつけるかの検討が必要ではないか。

「特定医療技術等」について

本検討会において、超希少疾病等に対する医療技術の中でも、特に国内患者数が少ない疾患や平時には発生のない感染症等の患者を対象とした医薬品・再生医療等製品や再生医療等技術のうち、市場性が乏しく、開発が進みにくい一方で、それらの導入が国民に対する質の高い医療の提供及び研究開発イノベーションに寄与するものを「特定医療技術等」と呼称する。

「特定医療技術等」の開発支援の必要性

特定医療技術等はその特性から、従来の基盤整備施策及び単なる開発公募のみでは企業による開発着手・技術蓄積には至らず、日本における技術開発や導入の機会を逃す状況にある。このため、新たな支援に係る取組（特定医療技術等の導入に向けた未承認薬等アクセス確保事業）により、その研究開発を個別的・積極的に支援することを検討したい。

特定医療技術等の社会実装に向けたプロセスのイメージ

R8年度

R9年度～

特定医療技術等開発推進検討会

社会実装に向けた課題抽出・対応策の検討

- 対象とする技術等の要件等の設定
- 事業における調査方針の決定

- 支援方針の決定
- 支援候補の同定

支援対象の選定

支援対象のフォローアップ

事業実施方針
への意見

調査結果報告

- 候補技術等の国内外調査
- 臨床試験の実実施スキームの検討と課題抽出
- プロトコール素案の検討

治験・臨床研究の実施

有効性・安全性等に係る知見の収集

社会実装

特定医療技術等の導入に向けた未承認薬等アクセス確保事業

2. 特定医療技術等開発推進検討会 再生・細胞医療・遺伝子治療検討ワーキンググループについて

ひと、くらし、みらいのために



厚生労働省
Ministry of Health, Labour and Welfare

国内開発中の再生・細胞医療・遺伝子治療技術の検討方法について

- 国内で開発中である再生・細胞医療、遺伝子治療技術（以下「再生医療等技術」という。）については、国内における研究開発や製造の論点について、海外承認済み・国内未承認の医薬品又は再生医療等製品とは異なる観点からの議論が必要。
- このため、特定医療技術等に該当する国内開発中の再生医療等技術（以下「**特定医療技術等（国内開発CGT）**」という。）に対する取り組みの検討については、**本検討会の下にワーキンググループ（WG）を別途設置**し、検討する。

再生・細胞医療・遺伝子治療検討ワーキンググループ（WG）について

検討事項：

- 特定医療技術等（国内開発CGT）について、以下の事項について検討する。
 - 国内シーズの実用化に向けた課題と対応策の検討
 - 臨床研究段階に入りうる個別シーズの分析
 - 国内での研究段階、臨床研究体制・製造体制の状況
 - 臨床研究実施に必要な要件（タイムライン、費用見込み等を含む。）等

WGでの検討結果については、本検討会へ報告

再生・細胞医療・遺伝子治療検討ワーキンググループの役割について

