



厚生労働省

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

特定医療技術等（国内開発CGT）の実用化に向けた 各課題の検討について

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

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。

国内開発中の再生・細胞医療・遺伝子治療技術の検討について

- 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である。
- このため、特定医療技術等に該当しう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

R8年度

R9年度～

特定医療技術等開発推進検討会

特定医療技術等(国内開発CGT)
支援候補の報告

特定医療技術等(国内開発CGT)の
実用化に向けた課題・対応策提示

再生・細胞医療・遺伝子治療検討ワーキンググループ（WG）

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

国内開発CGTの支援
候補の選定に係る考
え方整理、候補選定

調査報告の確認、
支援候補の決定

国内開発CGT支援対象のフォローアップ
支援候補の再検討（再選定を含む）等

国内開発CGTの
支援候補に係る
情報提供

国内開発CGTの
支援候補に係る
調査報告

国内開発CGTの
開発実施状況報告

追加調査の実施

国内開発CGTの支援候補に関する追加調査

治験・臨床研究の実施

有効性・安全性等に係る知見の収集

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

社会実装

【参考：第1回本WG資料】

特定医療技術等（国内開発CGT）の実用化に向けた課題と対応策等について

- ✓ 特定医療技術等（国内開発CGT）の実用化を推進する上で、現在、どのような課題が挙げられるか。また、それらの課題を解決するためには、今後、どのような支援や対応策等が有用であると考えられるか、ご意見をいただきたい。

特定医療技術等（国内開発CGT）実用化における、課題の論点（例）

1. 規制のパスウェイ／実用化の出口

- ・ 医薬品医療機器等法、再生医療等安全性確保法の下での開発
- ・ 有効性、安全性評価の考え方
- ・ 実用化後のシーズ技術の横展開、プラットフォーム技術としての整備

2. 開発コスト

- ・ 個別シーズに対する臨床グレードでの製造費用
- ・ 製造技術の効率化
- ・ 臨床試験の実施費用
- ・ 開発資源の共用のための基盤整備

3. 臨床試験／治験の手法・実施体制

- ・ 限られた患者数でのアウトカム評価手法
- ・ 限られた被験者のリクルート体制
- ・ 開発を担う専門人材の確保

海外における新規ゲノム編集技術を用いた臨床試験での死亡事例

【学術雑誌・報道等に基づく事例の概要】

- 2025年3月に中国の大学病院で、研究者主導臨床試験（Investigator-Initiated Trial, IIT）として、世界初となる中枢神経系を標的とするゲノム編集治療が実施。
- 本臨床試験の被験者は、Snijders Blok-Campeau症候群の6歳女児。
- CHD3遺伝子の一塩基変異による、知的障害・運動発達遅滞などを呈する超希少疾患。
- 塩基編集酵素（TeABE）等を搭載するアデノ随伴ウイルスベクターを髄腔内へ投与。
- 投与後に発熱・乏尿等を認め、7日後に死亡。死因は血栓性微小血管症（TMA）とされる。
- 2026年2月、同大学の研究チームが、当該治療に関連する前臨床データをNature誌に発表。
- なお、Nature誌の論文内では、女児へのゲノム編集治療の実施や死亡等について言及されず。

【学術雑誌・報道等で論じられた懸念点等】

- 霊長類を用いた毒性試験において肝障害・腎障害が観察された後の対応。
- ベクター送達効率やゲノム編集効率の評価等、非臨床試験のデータ解釈に関する疑義。
- 非臨床試験の結果等から想定される、リスク・ベネフィットのバランス判断の適切性。
- First-in-Human（FIH）試験のリスクに関して十分に説明がなされていなかった可能性。
- 被験者から研究に関連する費用を徴収していた疑惑。

参考：Nature誌 [In vivo base editing of Chd3 rescues behavioural abnormalities in mice](#) | Nature
Science誌 [Death of girl in Chinese gene-editing trial was never made public](#) | Science | AAAS

生物学新技術の臨床研究及び臨床応用の管理に関する条例（中華人民共和國國務院令第818号）
[生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例](#) 卫生 中国政府网

(参考) FDA : ドラフトガイダンスの発出 (令和 8 年 6 月)

ゲノム編集を含むヒト遺伝子治療製品の開発における既存知見の活用

□ 既存知見 (Prior Knowledge) の活用による製品開発の迅速化

- **既存知見 (Prior Knowledge)** とは、一般に受け入れられた科学知識である公知知見 (Public Knowledge) 及び類似製品の開発・製造等を通じて得られたプラットフォーム知見 (Platform Knowledge) 等が該当。
- プラットフォームとは、複数製品に共通する開発・製造プロセス、作用機序 (ゲノム編集方法等)、送達方法等に関する、十分に理解され再現性のある技術である。

□ 既存知見の活用によるデータ取得の合理化

- 既存知見を下記の各段階で活用することで、データ取得の必要性等を軽減できる可能性。
- **CMC** : 類似製品開発における知見を活用し、分析法、規格判定、同等性/同質性評価等の製造工程を合理化。
- **非臨床試験** : 類似製品の体内分布試験等のデータや、in vitro/ in silicoデータ等を活用し、追加的な動物実験の必要性・範囲を合理化。Off-target評価では、先行製品で確立した評価手法の活用可能性。
- **臨床試験** : 既存の臨床情報、自然歴、RWE等の活用、初回投与用量設定、用量漸増計画の策定、安全性評価方法、長期フォローアップ手法等における合理化への活用可能性。

□ 既存知見の活用可能性を前提とする根拠説明の重要性

- 開発製品へ既存知見を一律に適用するのではなく、適用する妥当性に関する科学的な評価・合理的な説明が前提。
- 製品特性、製造工程、ゲノム編集方法を含む作用機序、送達手法、投与方法等の類似性・相違点の詳細な検討によって、それらが安全性及び有効性に与える影響を踏まえて、既存知見の適用範囲と限界を判断。
- 分析法など製品への依存性が比較的小さい知見は活用しやすい一方、製品の固有性が高い項目は個別評価が必要。

特定医療技術等（国内開発CGT）の実用化に向けた各課題の検討

- ✓ 特定医療技術等（国内開発CGT）の実用化を推進するにあたり、下記の論点に関して検討を行い、課題を整理いただきたい。また、これら課題への対応案についてもご意見をいただきたい。

1. 国内開発CGTのFIH試験実施に係る安全性の考え方

- ・ 非臨床試験の頑健性及びデータ解釈
- ・ 対象疾患等を踏まえたリスクベネフィットの評価
- ・ FIH試験の実施にあたっての倫理的な配慮
- ・ 臨床研究の透明性・安全性確保のための管理体制

2. CGT開発におけるプラットフォームとしての汎用可能性

- ・ 開発技術：共通する送達技術、技術の作用点、配列設計の手法
- ・ 非臨床試験：共通する毒性試験、生体内分布、当該薬理作用の確認方法
- ・ 対象疾患：共通する遺伝的バリエーション、病態分子機序、臨床表現型
- ・ 製造・品質管理：共通する製造プロセス、重要品質特性（CQA）アプローチ

3. CGT製造に伴う開発コストの削減に向けた基盤整備

- ・ 開発資源の共用化又は標準化
- ・ 製造・品質管理の合理化