

開発品・上市品動向調査 市場規模予測 (2023年度：公開版)

最終報告書

2024.09.25

京都大学医学部附属病院

先端医療研究開発機構 (iACT) 御中

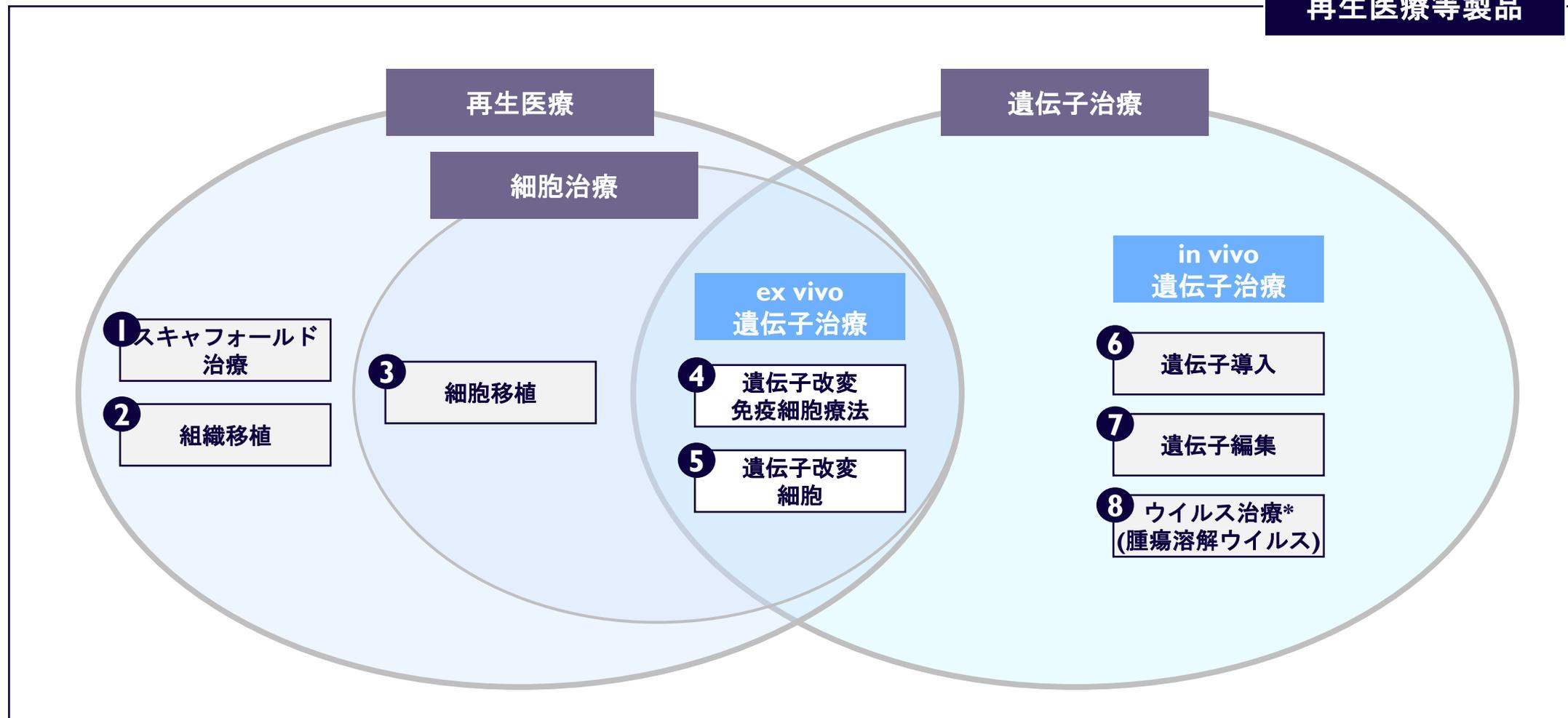
ARTHUR  LITTLE

CONTENTS

- 1 調査の全体像
- 2 開発品・上市品動向の調査結果
- 3 市場規模予測の方法
- 4 市場規模予測結果

本再生医療、細胞治療、遺伝子治療と呼ばれる医薬品はモダリティは8種類に細分化される。Ex vivo遺伝子治療は細胞治療と遺伝子治療の両面の特徴を有する。

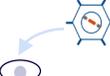
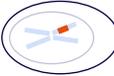
再生医療等製品



出所：各種公開情報からアーサー・ディ・リトル作成

*ウイルス治療のうち、遺伝子を導入しないものは再生医療等製品には含まれないことに留意が必要

各モダリティの概要は下記のとおり

モダリティ	定義	分類
① スキャフォールド治療	 <ul style="list-style-type: none"> ■ 人工材料を組織再生のスキャフォールドとして移植し、再生を促進する治療法 ■ スキャフォールドに生体内で細胞が集積することで組織再生が行われる 	再生医療・細胞治療
② 組織移植	 <ul style="list-style-type: none"> ■ 培養表皮、培養軟骨、培養心筋シートのように、細胞などを構造化あるいは積層化した組織を生体内に移植することで、組織再生を起こす治療法 	
③ 細胞移植	 <ul style="list-style-type: none"> ■ 細胞そのものを投与して治療効果を発揮させる治療法 ■ 投与した細胞が生着、またはパラクライン効果を示すことで、組織再生(誘導)を起こす 	
④ 遺伝子改変免疫細胞療法	 <ul style="list-style-type: none"> ■ 遺伝子改変免疫細胞を投与することで、免疫機能によりがん細胞やその他以上細胞を除去する治療法 <ul style="list-style-type: none"> - CAR-Tの場合、体外で遺伝子改変を行ったT細胞を投与する 	ex vivo
⑤ 遺伝子改変細胞	 <ul style="list-style-type: none"> ■ 遺伝子を導入・改変した細胞を生体に投与することで治療効果を発揮させる方法 <ul style="list-style-type: none"> - 正常遺伝子を含むように遺伝子編集した細胞を投与することで遺伝性疾患の治療を行う - 遺伝子編集により機能を強化した細胞を投与、生着させる 	
⑥ in vivo遺伝子編集	 <ul style="list-style-type: none"> ■ 生体内細胞のホストゲノムを直接編集する治療法。改変した遺伝子が発現することで治療効果を得る 	in vivo
⑦ in vivo遺伝子導入	 <ul style="list-style-type: none"> ■ ウイルスベクター等を用いて遺伝子を搭載したベクターを導入する治療法。遺伝子編集とは異なりホストゲノムには干渉しない。導入した遺伝子が発現することで治療応答化を得る。 	
⑧ ウイルス治療	 <ul style="list-style-type: none"> ■ 標的となる細胞でのみ特異的に増殖するウイルスを用い、標的細胞を細胞死させる治療法 <ul style="list-style-type: none"> - 主にがん領域において、腫瘍溶解性ウイルス療法の研究開発が進んでいる 	

以下の更新方法にて更新を実施。データベース情報から抽出した情報をベースに、企業ウェブページや論文等を使って不足情報の補足を実施

	更新方法	データソース
<p>既存掲載 パイプラインの 開発情報の更新</p>	<ol style="list-style-type: none"> 1. 明日の新薬データベースより対象パイプラインの臨床試験情報を抽出。地域・フェーズ、適応症等の更新を実施 2. 必要に応じ、企業ウェブページやClinicalTrials.govでその他の情報を確認して更新 	<ul style="list-style-type: none"> • 明日の新薬 • Evaluate Pharma • 企業ウェブページ • ClinicalTrials.gov • 論文 • 他、各種二次情報
<p>パイプライン ロングリストの 拡充</p>	<ol style="list-style-type: none"> 1. 明日の新薬データベースより、既存リスト未掲載企業を抽出 2. 未掲載+掲載済み企業に関し、データベース情報、あるいは企業ウェブページの情報より必要情報を取得 3. 不足する情報に関しては、その他各種データベース、ウェブサイト、論文等により情報を取得 	

CONTENTS

- 1 調査の全体像
- 2 開発品・上市品動向の調査結果
- 3 市場規模予測の方法
- 4 市場規模予測結果

本章で「再生医療・細胞治療」及び「遺伝子治療」とまとめて記載をされている場合、内包されるモダリティは以下の通り

本章における「再生医療・細胞治療」と「遺伝子治療」

再生医療・細胞治療

- 細胞移植
- 組織移植
- スキャフォールド治療
- 遺伝子改変免疫細胞療法
- 遺伝子改変細胞

※ただし自家/他家細胞や使用細胞種に関する分析に関しては、細胞を使用しないモダリティであるスキャフォールド治療のパイプラインは含まれない

遺伝子治療

- 遺伝子導入
- 遺伝子編集
- ウイルス治療

日欧米のいずれかの国/地域で承認されている遺伝子改変免疫細胞療法製品は計6品目

2024年2月時点

遺伝子改変免疫細胞療法の上市製品（日欧米いずれかで上市したもの）

製品名	開発企業	起源企業	細胞種	ベクター種	疾患分類	対象疾患	日欧米の承認国/ 承認年	薬価
Kymriah	Novartis	Novartis	自家T細胞	レンチウイルス	がん	急性リンパ芽球性白血病（ALL） （小児、若年成人）	米国/2017年 欧州/2018年 日本/2019年	米：47万5,000ドル/回 日：3411万円/回
Yescarta	Gilead Sciences	Kite Pharma	自家T細胞	レトロウイルス	がん	びまん性大細胞型B細胞性リンパ腫	米国/2017年 欧州/2018年 日本/2021年	米：37万3,000ドル/回 日：3264万円/回
Breyanzi	Bristol Myers Squibb	Juno Therapeutics	自家T細胞	レンチウイルス	がん	大細胞型B細胞リンパ腫/濾胞性リンパ腫	日・米/2021年 欧州/2022年	米：41万300ドル/回 日：3264万円/回
Abecma	bluebird Bio, Bristol-Myers Squibb	bluebird Bio	自家T細胞	レンチウイルス	がん	多発性骨髄腫	米・欧/2021年 日/2022年	米：41万9500ドル/回 日：3264万円/回

日欧米のいずれかの国/地域で承認されている遺伝子改変免疫細胞療法製品は計6品目

2024年2月時点

遺伝子改変免疫細胞療法の上市製品（日欧米いずれかで上市したもの）

製品名	開発企業	起源企業	細胞種	ベクター種	疾患分類	対象疾患	日欧米の承認国/ 承認年	薬価
Tecartus	Gilead Sciences	Kite Pharma	自家T細胞	レトロウイルス	がん	マンツル細胞 リンパ腫	米・欧/2020年	37万3,000ドル/回
Carvykti	Janssen Pharmaceutical	Nanjing Legend Biotech	自家T細胞	レンチウイルス	がん	多発性骨髄腫	米・欧・日/ 2022年	46万5,000ドル/回

日欧米のいずれかの国/地域で承認されている遺伝子改変細胞製品は計7品目（一部販売終了）

2024年2月時点

遺伝子改変細胞の上市製品（日欧米いずれかで上市したもの）

製品名	開発企業	起源企業	細胞種	ベクター種	疾患分類	対象疾患	日欧米の承認国/ 承認年	薬価
Strimvelis	GlaxoSmithKline	Ovarian cancer	自家骨髄細胞	レトロウイルス	免疫	ADA欠損症	欧州/2016年	59万4,000ポンド/人
Zalmoxis	MolMed	MolMed	他家T細胞	レトロウイルス	免疫	造血幹細胞 移植後の 免疫反応	欧州/2016年 →販売中止	14万9,000ユーロ/回 (最高4回まで投与可)
Skysona (Lenti-D)	bluebird Bio	bluebird Bio	自家造血幹細胞	レンチウイルス	中枢神経	副腎白質ジス トロフィー	欧州/2021年 →販売中止 米国/2022年	300万ドル
Zynteglo	bluebird Bio	bluebird Bio	自家造血幹細胞	レンチウイルス	血液	βサラセミア	欧州/2019年 →販売中止 米国/2022年	180万ドル/回

日欧米のいずれかの国/地域で承認されている遺伝子改変細胞製品は計7品目（一部販売終了）

2024年2月時点

遺伝子改変細胞の上市製品（日欧米いずれかで上市したもの）

製品名	開発企業	起源企業	細胞種	ベクター種	疾患分類	対象疾患	日欧米の承認国/承認年	薬価
Libmeldy	協和キリン, Orchard Therapeutics	GlaxoSmithKline	自家造血幹細胞/ 前駆体細胞	レンチウイルス	内分泌・代謝	異染性白質 ジストロ フィー	欧州/2020年	280万ポンド/回
Lyfgenia	bluebird Bio	bluebird Bio	自家造血幹細胞	レンチウイルス	血液	鎌状赤血球	米国/2023年	310万ドル
Casgevy	Vertex Pharmaceuticals, CRISPR Therapeutics	CRISPR Therapeutics	自家造血幹細胞	gRNA + Cas9 protein, エレクトロ ポレーション	血液	βサラセミア	英・米/2023年 欧州/2024年	220万ドル

CRISPR/Cas9による遺伝子編集

日欧米のいずれかで承認されている細胞移植製品は以下

細胞移植の上市製品（日欧米いずれかで上市したもの）*1

商品名・開発コード	開発企業	起源企業	使用細胞種	自家/他家細胞	疾患領域	国/地域名*2
Tab-cel	Atara Biotherapeutics	Atara Biotherapeutics	免疫細胞	他家細胞	がん	欧州
HPC, Cord Blood	Bloodworks	Bloodworks	幹細胞/前駆細胞	他家細胞	がん	米国
HPC, Cord Blood	Clinimmune Labs	Clinimmune Labs	幹細胞/前駆細胞	自家細胞	がん	米国
HPC, Cord Blood	LifeSouth Community Blood Centers	LifeSouth Community Blood Centers	幹細胞/前駆細胞	自家細胞	がん	米国
Hemacord	New York Blood Center	New York Blood Center	幹細胞/前駆細胞	他家細胞	がん	米国
Omisirge	Gamida Cell	Gamida Cell	幹細胞/前駆細胞	他家細胞	がん	米国
ALLOCORD	SSM Cardinal Glennon Children's Medical Center	SSM Cardinal Glennon Children's Medical Center	幹細胞/前駆細胞	他家細胞	血液	米国
Ducord	Duke Univ. School of Medicine	Duke Univ. School of Medicine	幹細胞/前駆細胞	他家細胞	血液	米国
Vyznova	Aurion Biotech	Aurion Biotech	最終分化細胞	他家細胞	眼	日本
Holoclar	Chiesi Farmaceutici	Chiesi Farmaceutici	幹細胞/前駆細胞	自家細胞	眼	欧州
Chondrotransplant	Co. don	Co. don	幹細胞/前駆細胞	自家細胞	筋骨格	欧州
Cartilink-3	Interface Biotech	Interface Biotech	最終分化細胞	自家細胞	筋骨格	欧州
Regenexx-SD	Regenexx	Regenexx	幹細胞/前駆細胞	自家細胞	筋骨格	欧州
Regenexx-C	Regenexx	Regenexx	幹細胞/前駆細胞	自家細胞	筋骨格	欧州
Novocart 3D	TETEC	TETEC	最終分化細胞	自家細胞	筋骨格	欧州
Alofisel	武田薬品工業	武田薬品工業	幹細胞/前駆細胞	他家細胞	消化器	日本、欧州
ステミラック	ニプロ	ニプロ	幹細胞/前駆細胞	自家細胞	中枢神経	日本
Mukocell	UroTiss Europe	UroTiss Europe	最終分化細胞	自家細胞	泌尿生殖器	欧州
LAVIV	Castle Creek Biosciences	Fibrocell Science	最終分化細胞	自家細胞	皮膚	米国
CellSpray	Avita Medical	Avita Medical	最終分化細胞	自家細胞	皮膚	米国、欧州
AMESANAR	Rheacell	Rheacell	幹細胞/前駆細胞	他家細胞	皮膚	欧州
テムセル	JCRファーマ, 持田製薬, Osiris Therapeutics	Osiris Therapeutics	幹細胞/前駆細胞	他家細胞	免疫	日本

*1：同じ疾患領域で複数の適応症にて承認されている場合は1行にまとめて記載、*2：欧州の特定の国で承認されている場合も欧州と記載
出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

日欧米のいずれかで承認されている組織移植製品は以下

組織移植の上市製品（日欧米いずれかで上市したもの）*1

商品名・開発コード	開発企業	起源企業	使用細胞種	自家/他家細胞	疾患領域	国/地域名*2
自家培養角膜上皮（ネピック）	帝人ファーマ、ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	幹細胞/前駆細胞	自家細胞	眼	日本
自家培養口腔粘膜上皮（オキュラル）	帝人ファーマ、ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	最終分化細胞	自家細胞	眼	日本
サクラシー	ひろさきLI	ひろさきLI	最終分化細胞	自家細胞	眼	日本
Gintuit	Organogenesis, Novartis	Organogenesis	最終分化細胞	他家細胞	筋骨格	米国
Bio4	Stryker, Osiris Therapeutics	Osiris Therapeutics	幹細胞/前駆細胞	他家細胞	筋骨格	米国
Cartiform	Smith & Nephew, Osiris Therapeutics	Osiris Therapeutics	最終分化細胞	他家細胞	筋骨格	米国
MACI	Vericel, Genzyme	Genzyme	最終分化細胞	自家細胞	筋骨格	米国
自家培養軟骨（ジャック）	帝人ファーマ、ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	最終分化細胞	自家細胞	筋骨格	日本
Hyalograft-C	Anika Therapeutics	Anika Therapeutics	最終分化細胞	自家細胞	筋骨格	欧州
Chondrosphere	Co. don	Co. don	最終分化細胞	自家細胞	筋骨格	欧州
Osteocele Plus	Nuvasive	Nuvasive	幹細胞/前駆細胞	他家細胞	筋骨格	米国
ハートシート	テルモ	テルモ	幹細胞/前駆細胞	自家細胞	心血管	日本
Donislecel	CellTrans	CellTrans	最終分化細胞	自家細胞	内分泌・代謝	米国
UroArt	Educell	Educell	最終分化細胞	自家細胞	泌尿生殖器	欧州
OrCel	Forticell Bioscience	Forticell Bioscience	最終分化細胞	他家細胞	皮膚	米国
Apligraf	Organogenesis, Novartis	Organogenesis	最終分化細胞	他家細胞	皮膚	米国、欧州
Dermagraft	Organogenesis, Shire, Smith & Nephew	Smith & Nephew Medical	最終分化細胞	他家細胞	皮膚	米国、欧州
Grafix	Smith & Nephew, Osiris Therapeutics	Osiris Therapeutics	最終分化細胞	他家細胞	皮膚	米国
Stravix	Smith & Nephew, Osiris Therapeutics	Osiris Therapeutics	幹細胞/前駆細胞	他家細胞	皮膚	米国
Epicel	Vericel, Genzyme	Genzyme	最終分化細胞	自家細胞	皮膚	米国
自家培養表皮（ジェイス）	帝人ファーマ、ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	最終分化細胞	自家細胞	皮膚	日本
メラノサイト含有自家培養表皮（ジャスミン）	帝人ファーマ、ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	最終分化細胞	自家細胞	皮膚	日本
EpiDex	Euroderm	Euroderm	最終分化細胞	自家細胞	皮膚	欧州
Laserskin	Fidia Advanced Biopolymers	Fidia Advanced Biopolymers	最終分化細胞	自家細胞	皮膚	欧州
StrataGraft	Mallinckrodt Company	Mallinckrodt Company	最終分化細胞	自家細胞	皮膚	米国
CryoSkin	Tissue & Cell Technologies (Regenerys)	Tissue & Cell Technologies (Regenerys)	最終分化細胞	他家細胞	皮膚	欧州
MySkin	Tissue & Cell Technologies (Regenerys)	Tissue & Cell Technologies (Regenerys)	最終分化細胞	自家細胞	皮膚	欧州
RETHYMIC	住友ファーマ	Enzyvant Therapeutics	最終分化細胞	自家細胞	免疫	米国

*1：同じ疾患領域で複数の適応症にて承認されている場合は1行にまとめて記載、*2：欧州の特定の国で承認されている場合も欧州と記載
出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

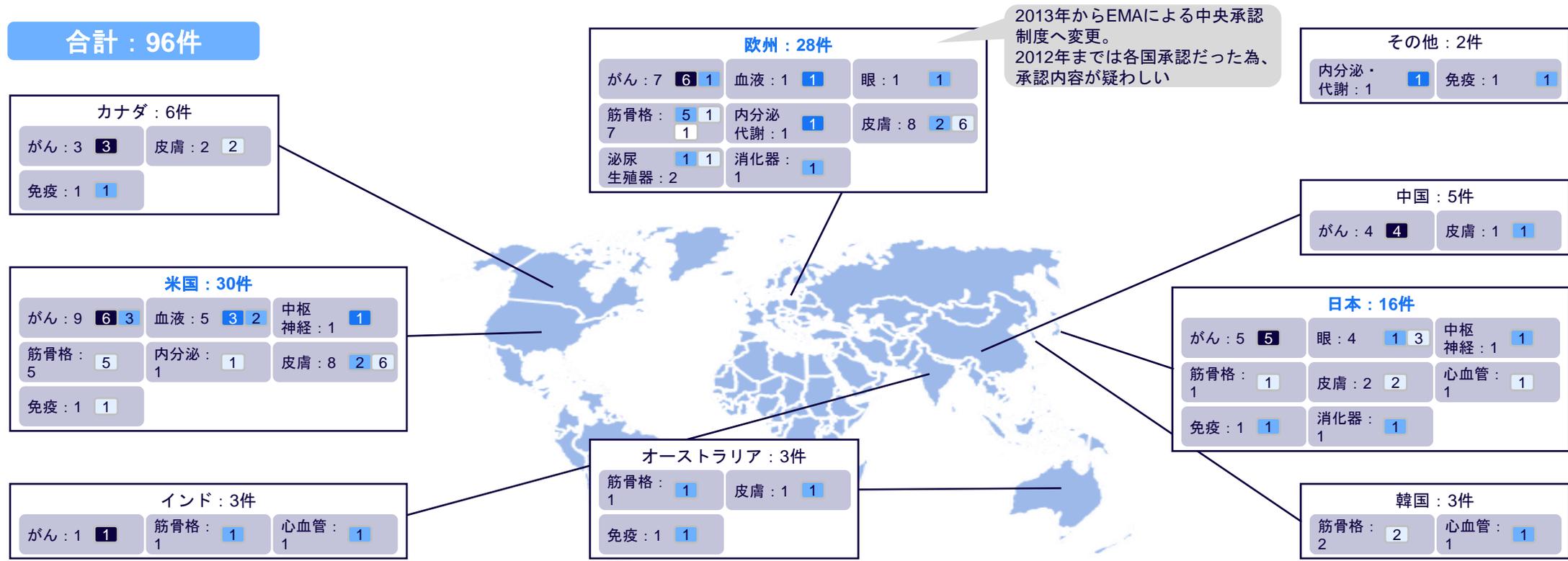
再生医療・細胞治療の上市品数は米国、欧州、日本の順が多い

2024年2月時点

地域別の再生医療・細胞治療*1上市品数*2

凡例

- 遺伝子改変免疫細胞療法開発製品数
- 遺伝子改変細胞開発製品数
- 細胞移植開発製品数
- 組織移植開発製品数
- スキャフォールド治療開発製品数



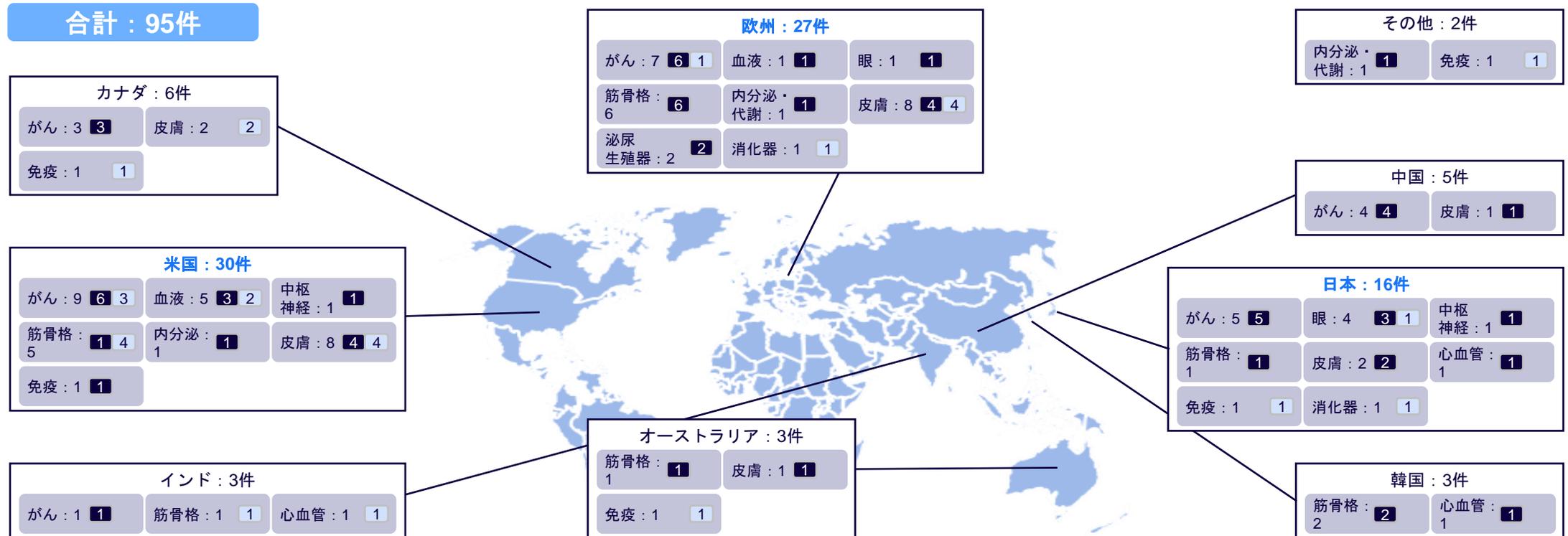
*1：スキャフォールド治療を含む。*2：製品数でカウント。複数の疾患領域、複数の地域で上市されている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。販売中止はカウントせず（リスト掲載対象外に譲渡されたものを含む）
 出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

再生医療・細胞治療の上市品数は米国、欧州、日本の順で多く、自家細胞が主流

2024年2月時点

疾患分類・自家/他家別の再生・細胞治療*1上市品数*2

使用細胞分類
 自家細胞使用製品数
 他家細胞使用製品数

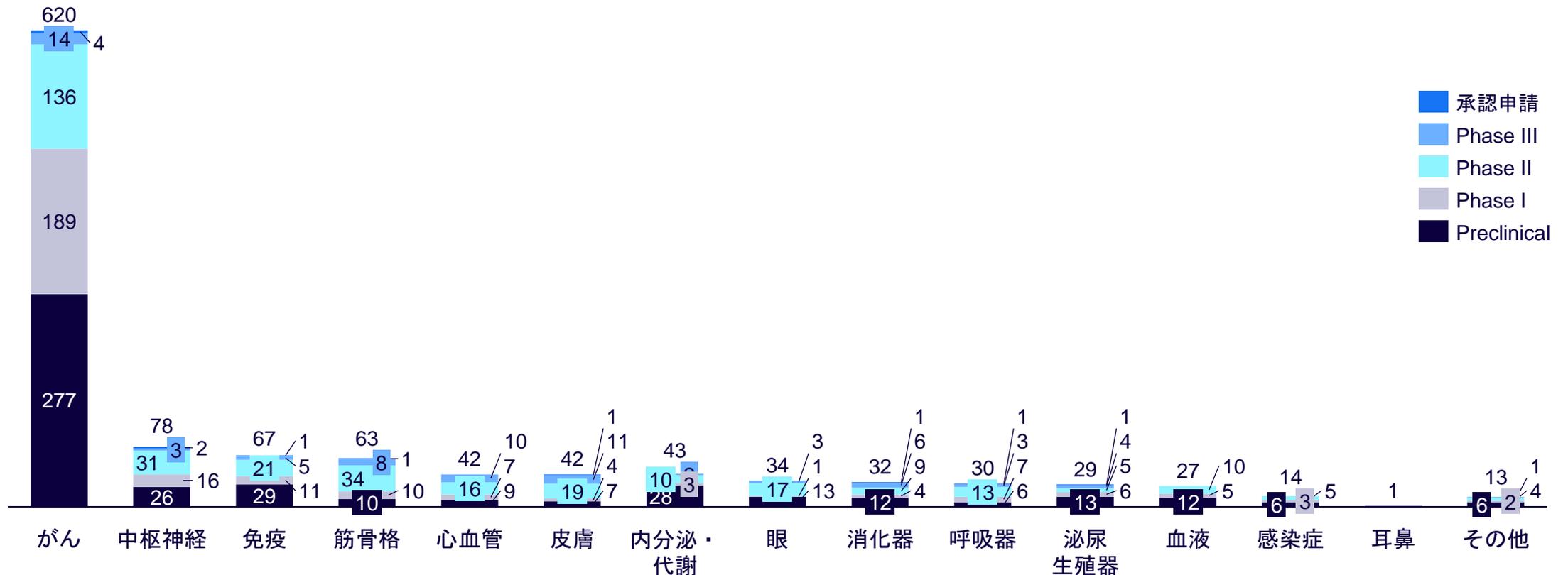


*1：細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2：製品数でカウント。複数の疾患領域、複数の地域で上市されている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類。
 出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成 © Arthur D. Little 16

再生・細胞治療の開発品はがん領域が過半を占める。加えて、中枢神経や免疫、筋骨格においても開発が活発

2024年2月時点

疾患分類別の各臨床フェーズにおける開発製品数（再生医療・細胞治療*1） *2

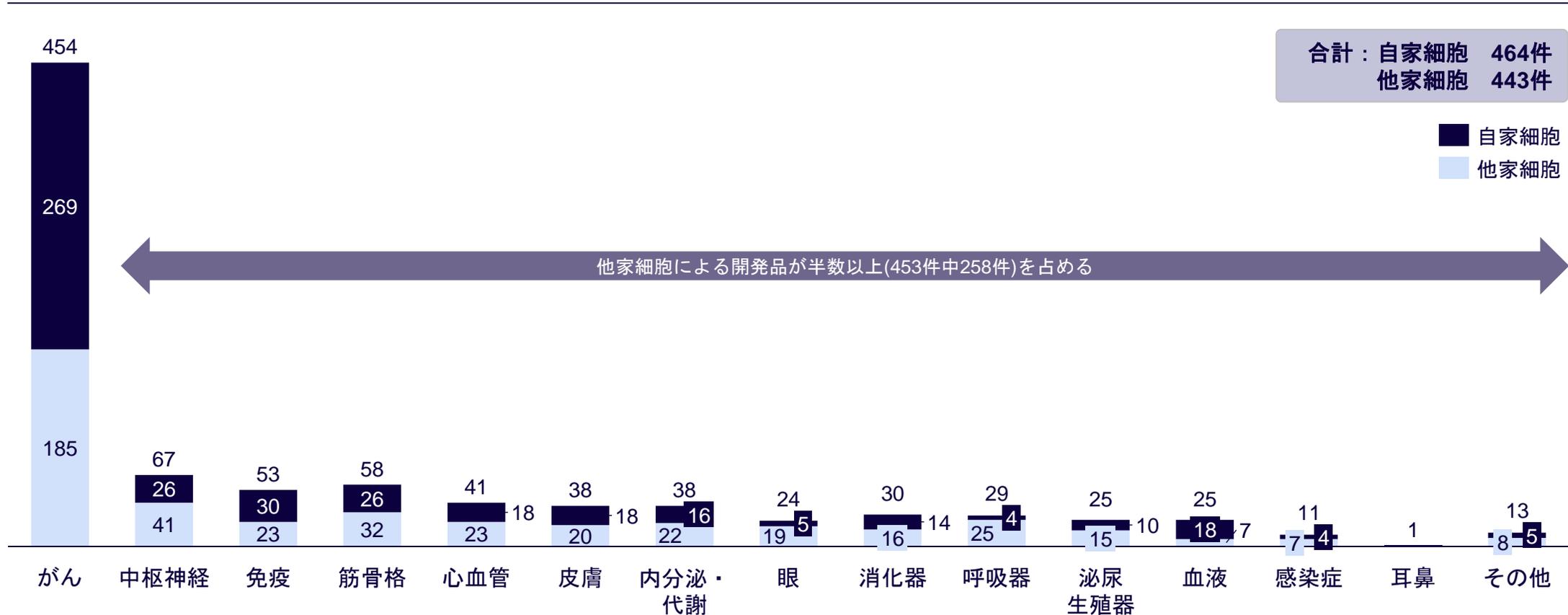


*1: スキャフォールド治療を含む。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。Phase I/IIはPhase II, Phase III/IVはPhase IIIとしてカウント
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

がんにおいては自家細胞が約6割と主流。一方がん以外の疾患では他家細胞のほうが6割弱とやや多い

2024年2月時点

疾患分類 x 自家/他家別の開発動向（再生医療・細胞治療*1） *2

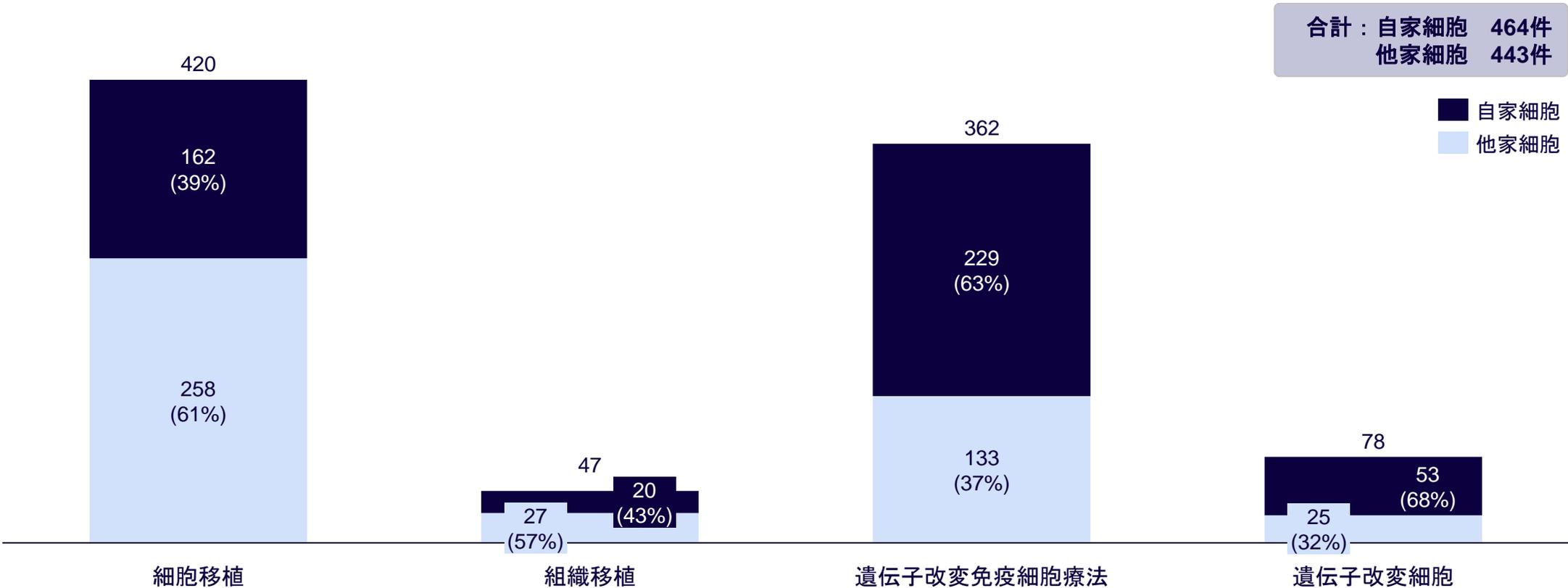


*1：細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2：同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類
 出所：ADLデータベースよりアサー・ディ・リトル作成

ex vivo遺伝子治療の遺伝子免疫改変細胞療法および遺伝子改変細胞においては自家が主流なのに対し、細胞移植や組織再生は他家が主流

2024年2月時点

モダリティ別 x 自家/他家別の開発動向（再生医療・細胞治療*1） *2

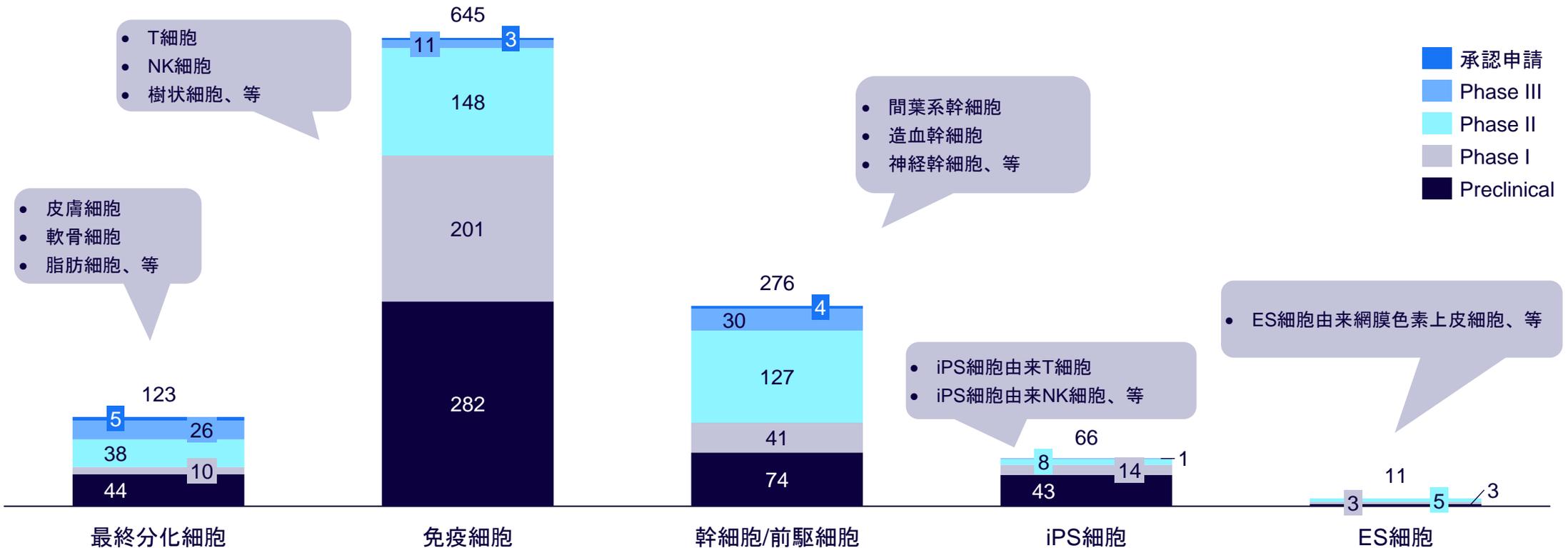


*1: 細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類
 出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

T細胞などの免疫細胞や、間葉系幹細胞などの幹細胞/前駆細胞を使用した開発品が先行。 iPS細胞やES細胞を使用した開発品は初期段階のものが多い

2024年2月時点

使用細胞種別の各臨床フェーズにおける開発製品数（再生医療・遺伝子治療*1） *2

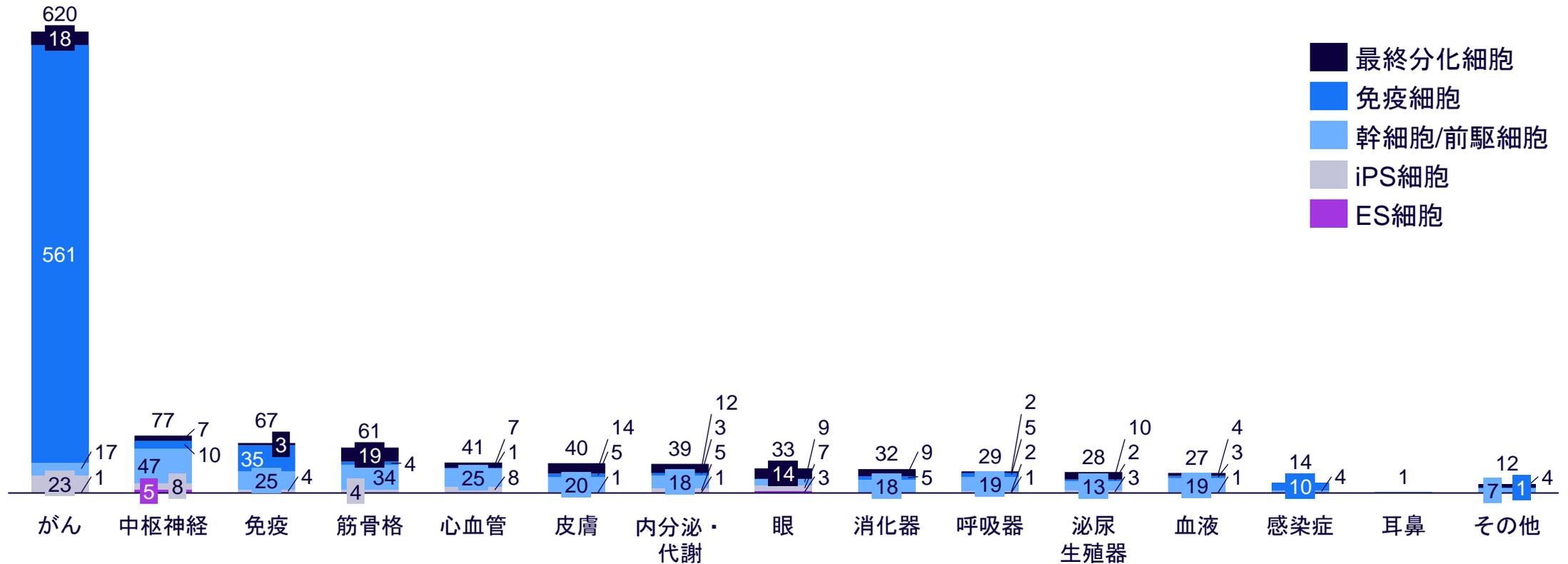


*1: 細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、細胞種、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。Phase I/IIはPhase II, Phase II/IIIはPhase IIIとしてカウント。
 出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

再生医療・細胞治療全体ではがんを対象とする免疫細胞の開発品が最も多い。次いで多い幹細胞/前駆細胞は中枢神経や筋骨格の他幅広い疾患で使用される

2024年2月時点

疾患分類 x 使用細胞種別の開発動向（再生医療・細胞治療*1） *2

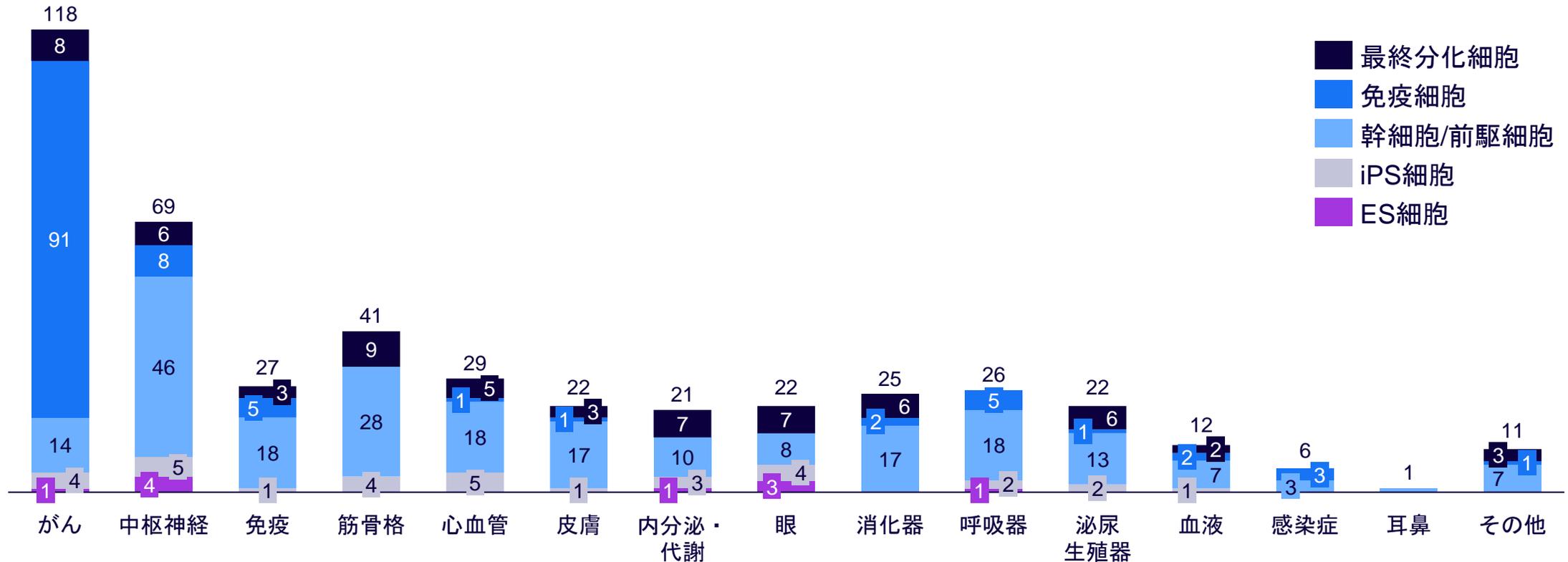


*1: 細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階、細胞種が不明な製品はカウントしない。

細胞移植ではがんを対象とする免疫細胞の開発品が最も多い。幹細胞/前駆細胞は中枢神経や筋骨格をはじめとしたさまざまな疾患に分布

2024年2月時点

疾患別 x 使用細胞種別の開発動向（細胞移植）*1

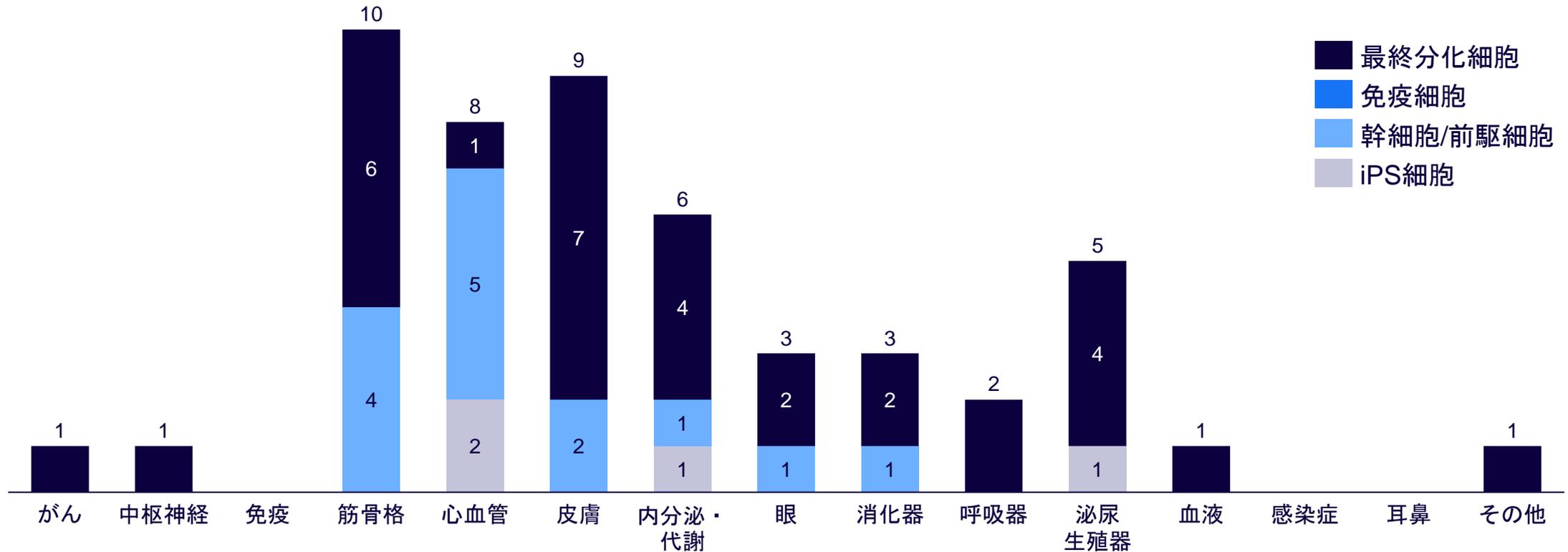


*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階、細胞種が不明な製品はカウントしない。
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

組織移植は最終分化細胞を用いた開発品が多いのが特徴。皮膚や筋骨格をはじめとし、幅広い疾患で展開

2024年2月時点

疾患別 x 使用細胞種別の開発動向（組織移植）*1

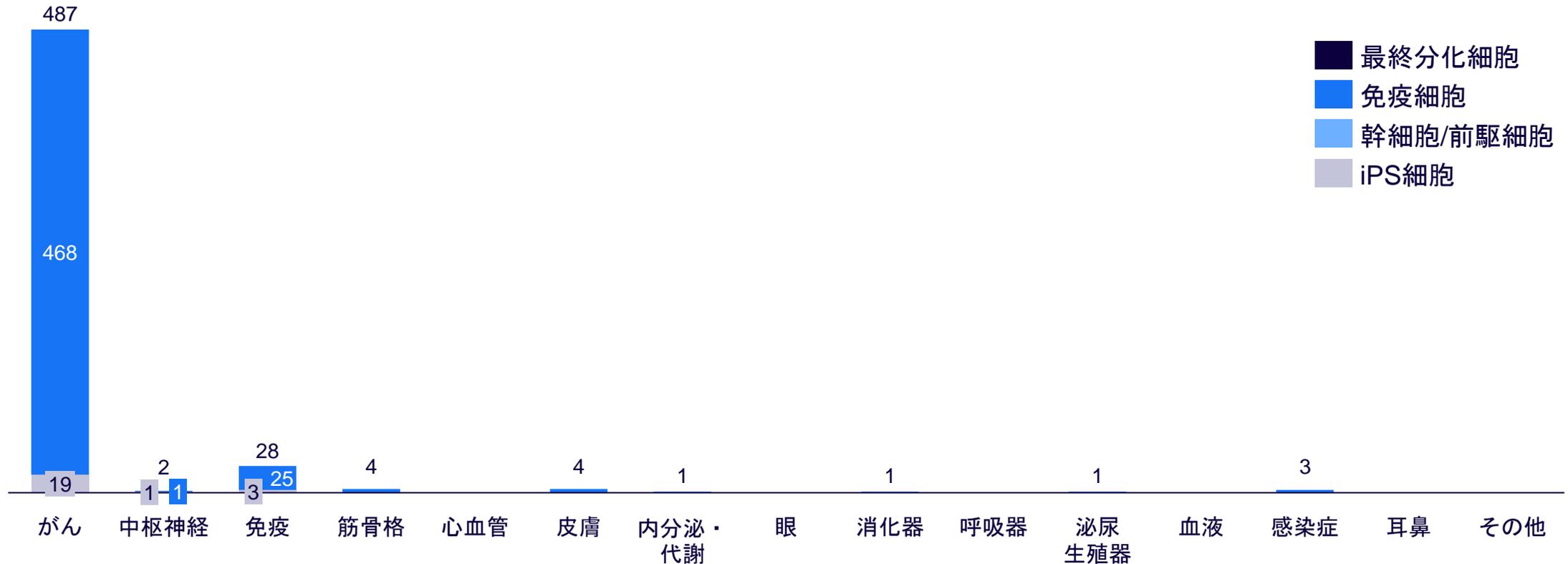


*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階、細胞種が不明な製品はカウントしない。
 出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

遺伝子改変免疫細胞療法ではがんを対象とする遺伝子改変免疫細胞を用いた開発品が圧倒的に多い。一方で近年、免疫系疾患に遺伝子改変免疫細胞を活用する開発品が増加

2024年2月時点

疾患別 x 使用細胞種別の開発動向（遺伝子改変免疫細胞療法）*1

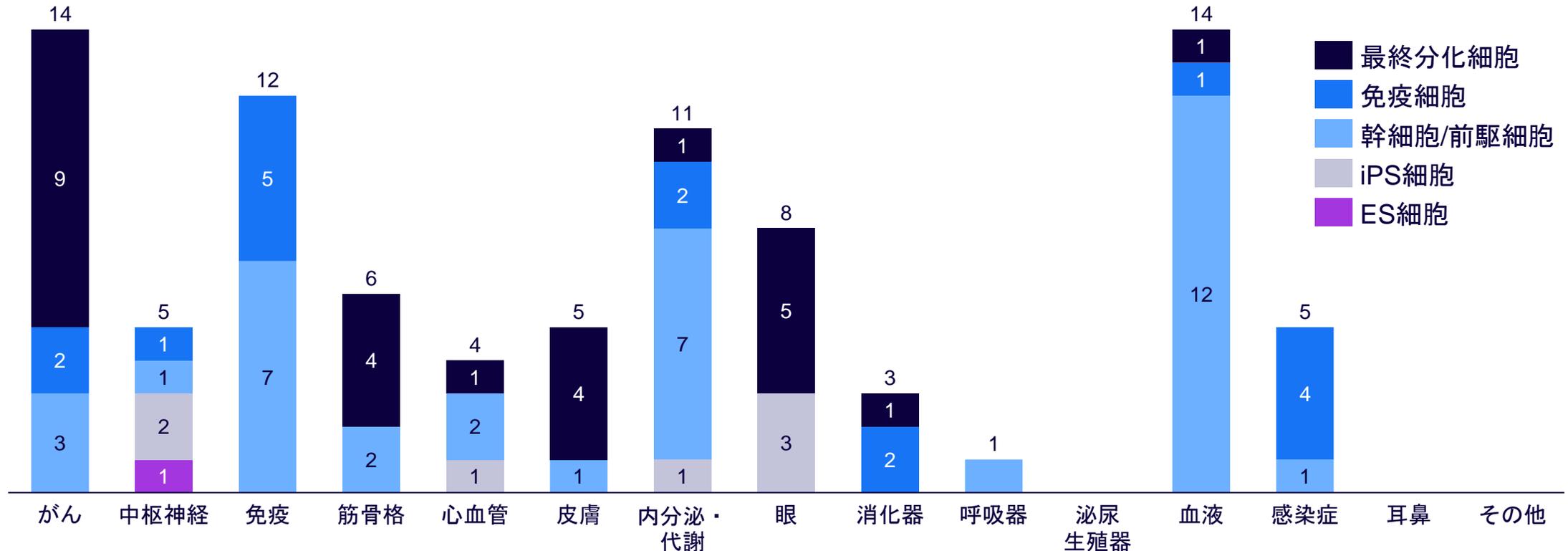


*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階、細胞種が不明な製品はカウントしない。
 出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

遺伝子改変細胞では様々な細胞を用いた開発品が満遍なく存在するが、造血幹細胞等の幹細胞/前駆細胞を用いた血液疾患に対する開発品が多い

2024年2月時点

疾患別 x 使用細胞種別の開発動向（遺伝子改変細胞）*1



*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階、細胞種が不明な製品はカウントしない。
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

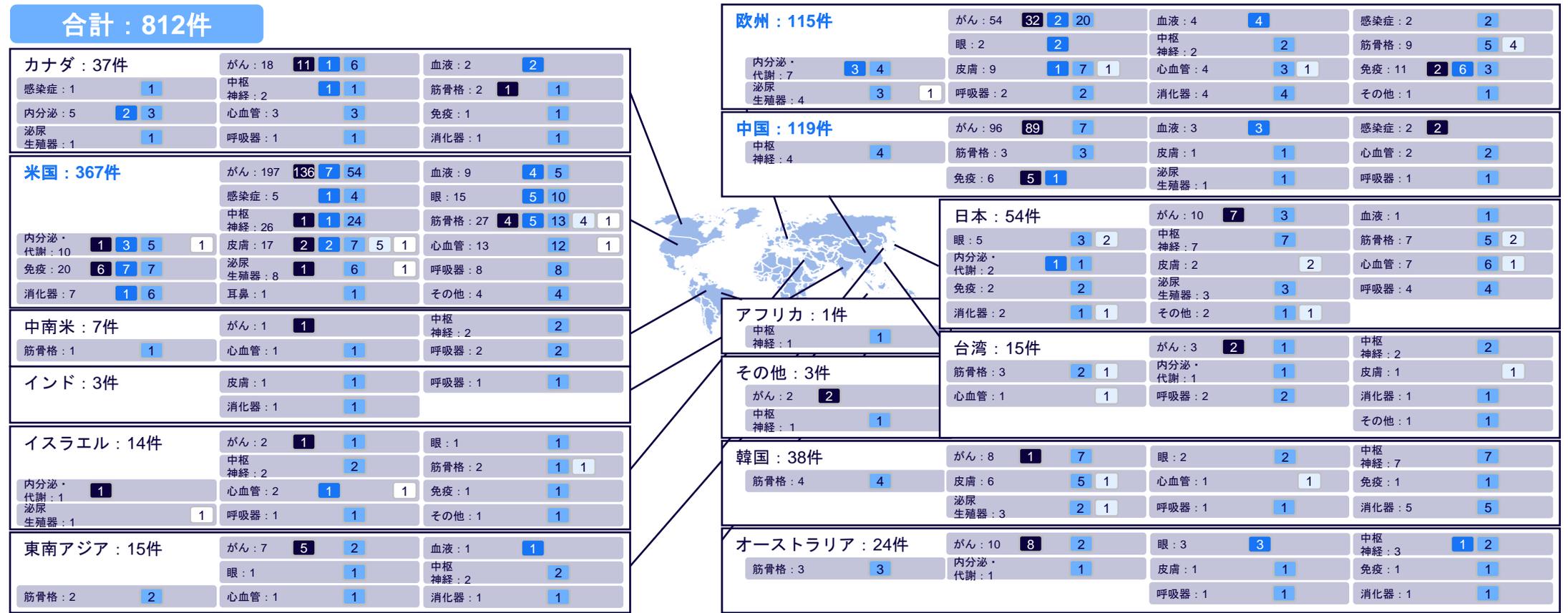
再生医療・細胞治療の開発品数は米国、中国、欧州の順が多い

2024年2月時点

地域別の再生医療・細胞治療品*1開発製品数*2

凡例

- 遺伝子改変免疫細胞療法開発製品数
- 遺伝子改変細胞開発製品数
- 細胞移植開発製品数
- 組織移植開発製品数
- スキャフォールド治療開発製品数



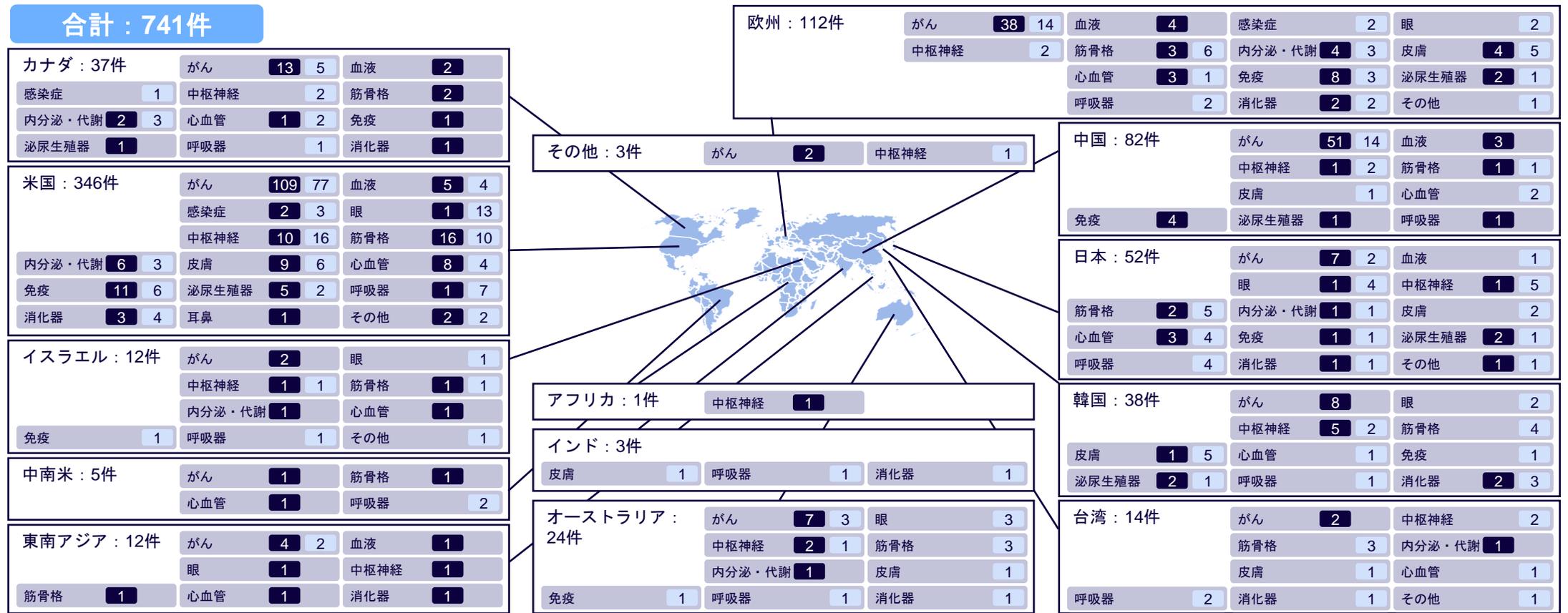
*1：スキャフォールド治療を含む。*2：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、そのうちの最も研究段階が進んでいる開発品1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
 出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成 © Arthur D. Little 26

それぞれの地域における、自家細胞・他家細胞の開発品分布は以下の通り

2024年2月時点

地域別の再生医療・細胞治療品*1開発製品数*2

使用細胞分類
 自家細胞使用製品数
 他家細胞使用製品数



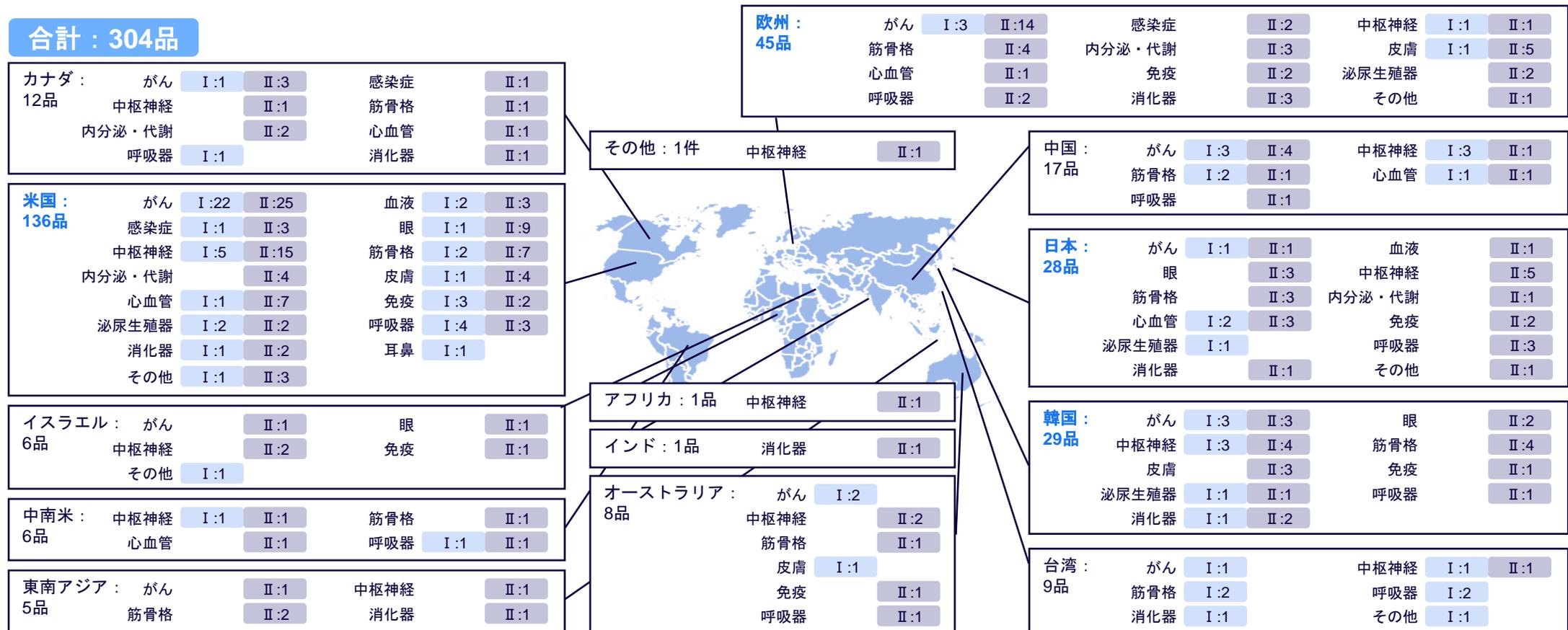
*1：細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類。出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成 © Arthur D. Little 27

細胞移植の臨床前期段階の開発品数は、米国、欧州、韓国、日本の順が多い

2024年2月時点

地域別の細胞移植開発製品数*1

Phase I
Phase II



*1: 製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。

細胞移植の臨床後期段階の開発品数は、米国、欧州、日本の順が多い

2024年2月時点

地域別の細胞移植開発製品数*1

Phase III
承認申請中

合計：77品

カナダ： 7品

がん	Ⅲ:2	内分泌・代謝	Ⅲ:1
心血管	Ⅲ:2	免疫	Ⅲ:1
泌尿生殖器	Ⅲ:1		

米国： 30品

がん	Ⅲ:6	中枢神経	Ⅲ:4
筋骨格	Ⅲ:4	内分泌・代謝	Ⅲ:1
皮膚	Ⅲ:2	心血管	Ⅲ:4
免疫	Ⅲ:2	泌尿生殖器	Ⅲ:2
呼吸器	Ⅲ:1	消化器	Ⅲ:3

イスラエル： 2品

筋骨格	Ⅲ:1	呼吸器	Ⅲ:1
-----	-----	-----	-----

インド： 2品

皮膚	Ⅲ:1	呼吸器	Ⅲ:1
----	-----	-----	-----

オーストラリア： 4品

内分泌・代謝	Ⅲ:1	筋骨格	Ⅲ:2
		消化器	Ⅲ:1



欧州： 11品

がん	Ⅲ:2	承中:1	筋骨格	Ⅲ:1
内分泌・代謝	Ⅲ:1		皮膚	Ⅲ:1
心血管	Ⅲ:2		免疫	Ⅲ:1
泌尿生殖器	Ⅲ:1		消化器	Ⅲ:1

中国： 2品

皮膚	Ⅲ:1	泌尿生殖器	Ⅲ:1
----	-----	-------	-----

日本： 9品

がん	Ⅲ:1	中枢神経	承中:2	
筋骨格	Ⅲ:2	心血管	Ⅲ:1	
泌尿生殖器	Ⅲ:1	承中:1	呼吸器	承中:1

韓国： 5品

がん	Ⅲ:1	皮膚	Ⅲ:2
消化器	Ⅲ:2		

台湾： 1品

内分泌・代謝	Ⅲ:1
--------	-----

東南アジア： 4品

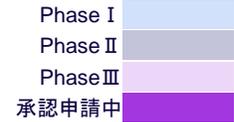
がん	Ⅲ:1	眼	Ⅲ:1
中枢神経	Ⅲ:1	心血管	Ⅲ:1

*1：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

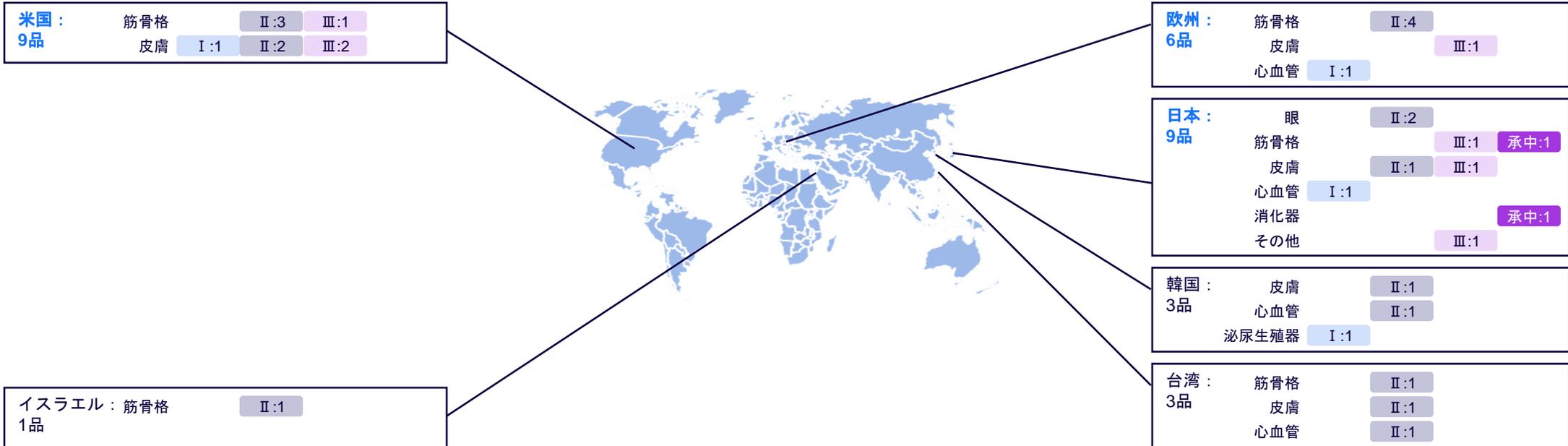
組織移植の開発品数は、日本と米国が最も多く、欧州が続く

2024年2月時点

地域別の組織移植開発製品数*1



合計：31品



*1：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

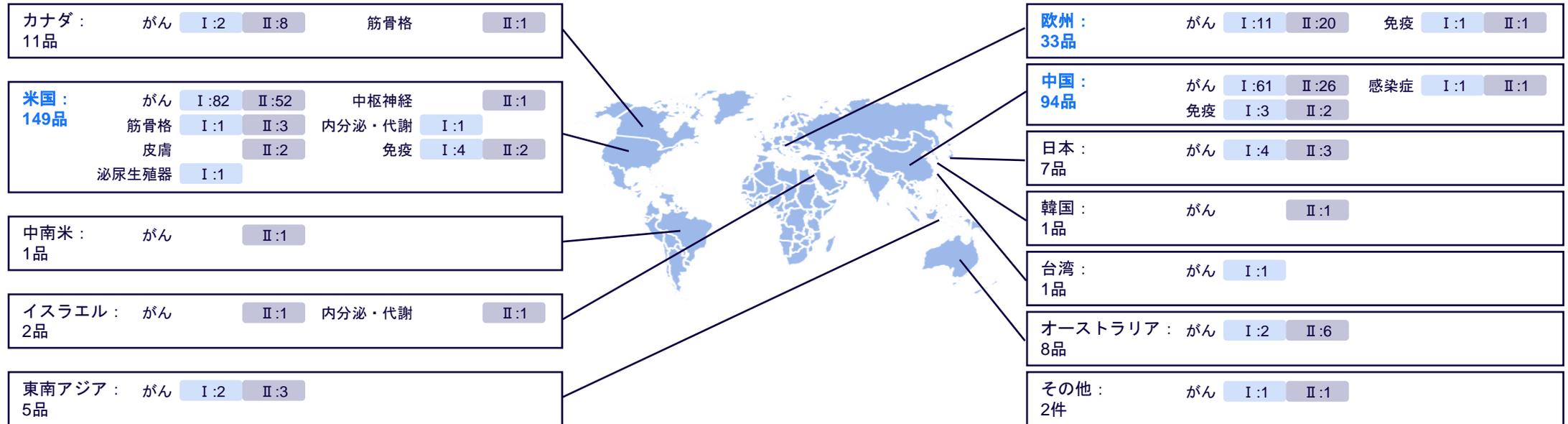
遺伝子改変免疫細胞療法においては、米国、欧州に加え中国における開発が活発化。臨床初期段階の開発品数は、米国と中国が特に多い

2024年2月時点

地域別の遺伝子改変免疫細胞療法開発製品数*1

Phase I
Phase II

合計：314品



*1: 製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
 出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

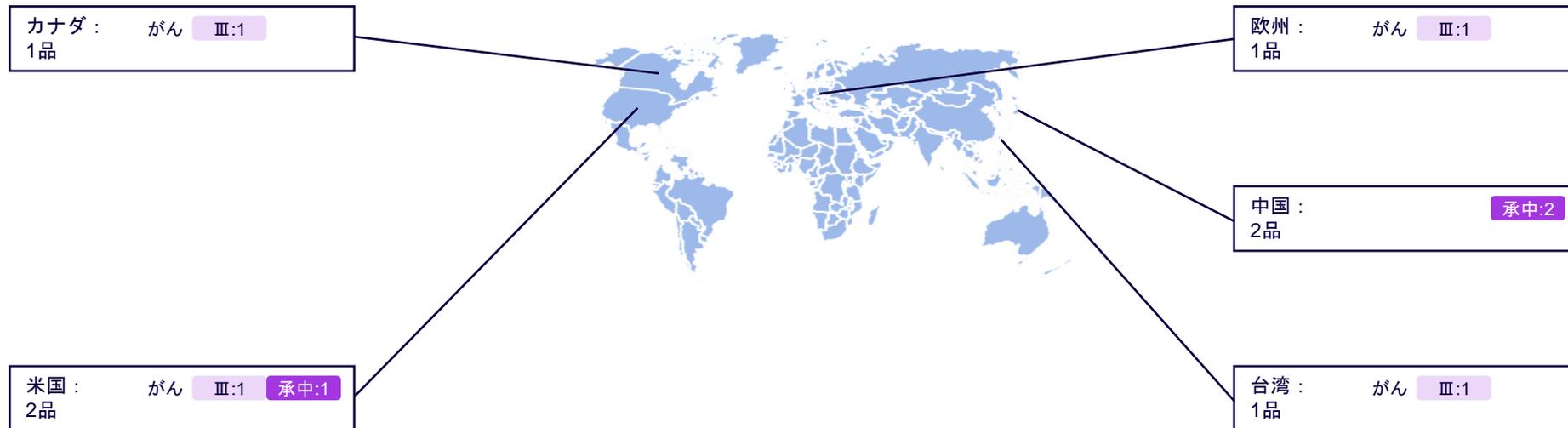
遺伝子改変免疫細胞療法における臨床後期段階の開発品は、米国、欧州、カナダに加え、中国や台湾にも存在する

2024年2月時点

地域別の遺伝子改変免疫細胞療法開発製品数*1

Phase III
承認申請中

合計：7品



*1: 製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

遺伝子改変細胞の臨床初期段階の開発は米国・欧州が中心

2024年2月時点

地域別の遺伝子改変細胞開発製品数*1

Phase I
Phase II

合計：49品

カナダ： 5品

がん	II:1	血液	II:1
中枢神経	I:1	内分泌・代謝	I:1 II:1

米国： 26品

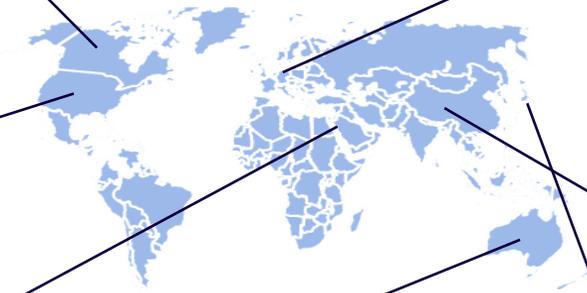
がん	I:1 II:4	血液	I:1 II:3
感染症	I:1	眼	II:3
中枢神経	I:1	筋骨格	I:3 II:1
内分泌・代謝	I:2	免疫	II:5
消化器	I:1		

イスラエル： 1品

心血管	II:1
-----	------

オーストラリア： 1品

眼	II:1
---	------



欧州： 11品

がん	II:2	血液	II:3
内分泌・代謝	I:1 II:1	免疫	II:4

中国： 4品

血液	I:1 II:2	免疫	I:1
----	----------	----	-----

日本： 1品

内分泌・代謝	II:1
--------	------

*1：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
 出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

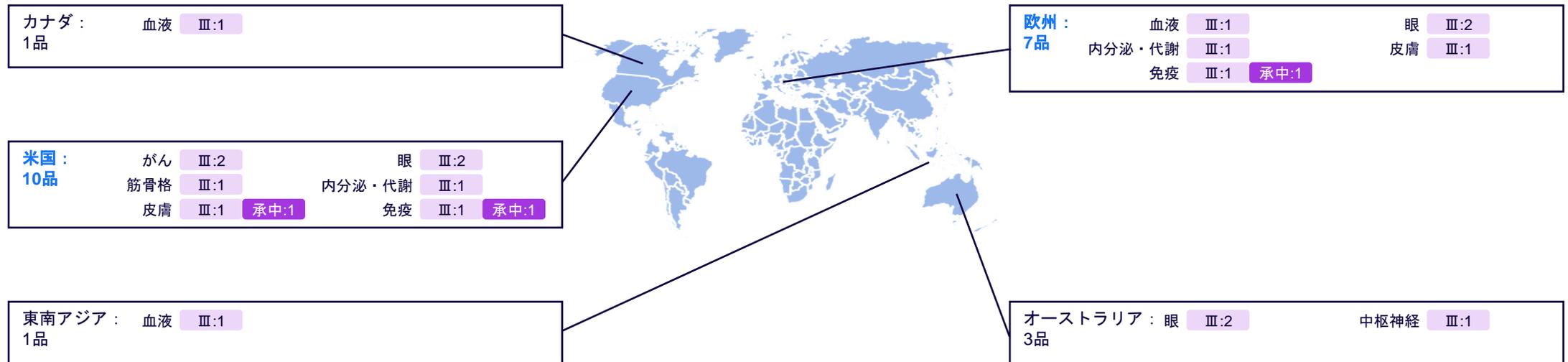
遺伝子改変細胞の臨床後期段階の開発は米国・欧州が中心

2024年2月時点

地域別の遺伝子改変細胞開発製品数*1

Phase III
承認申請中

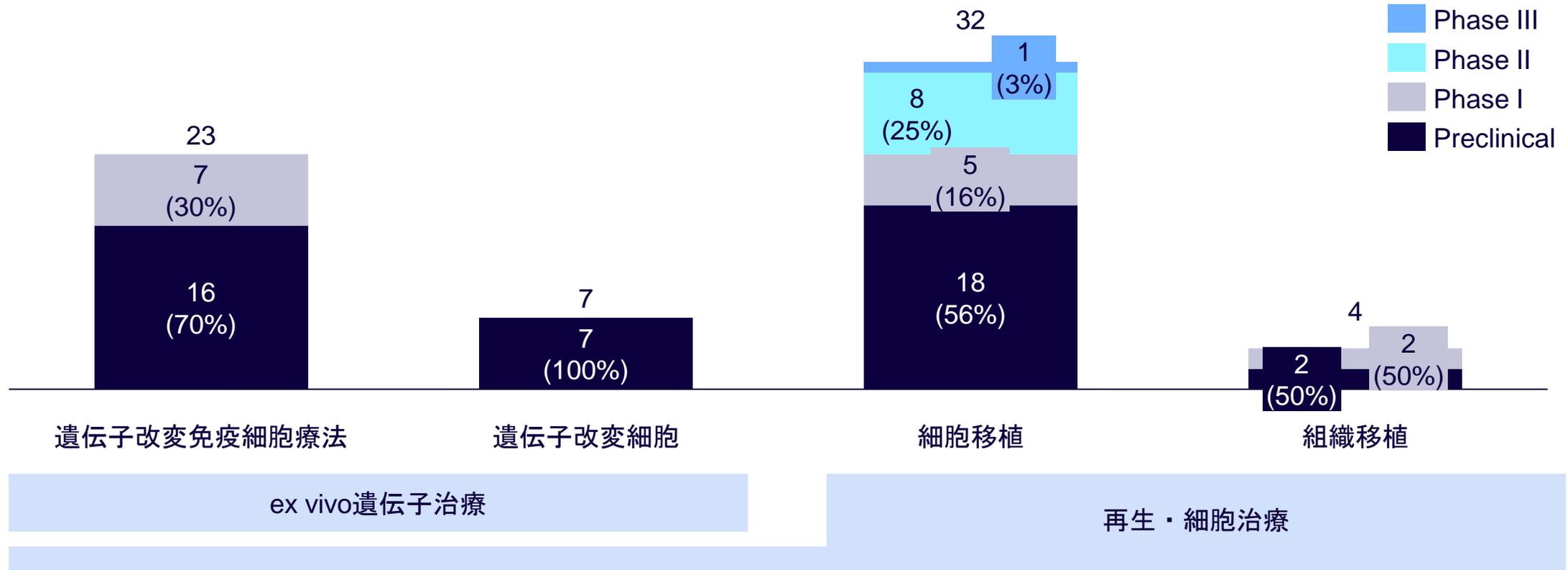
合計：22品



*1：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
 出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

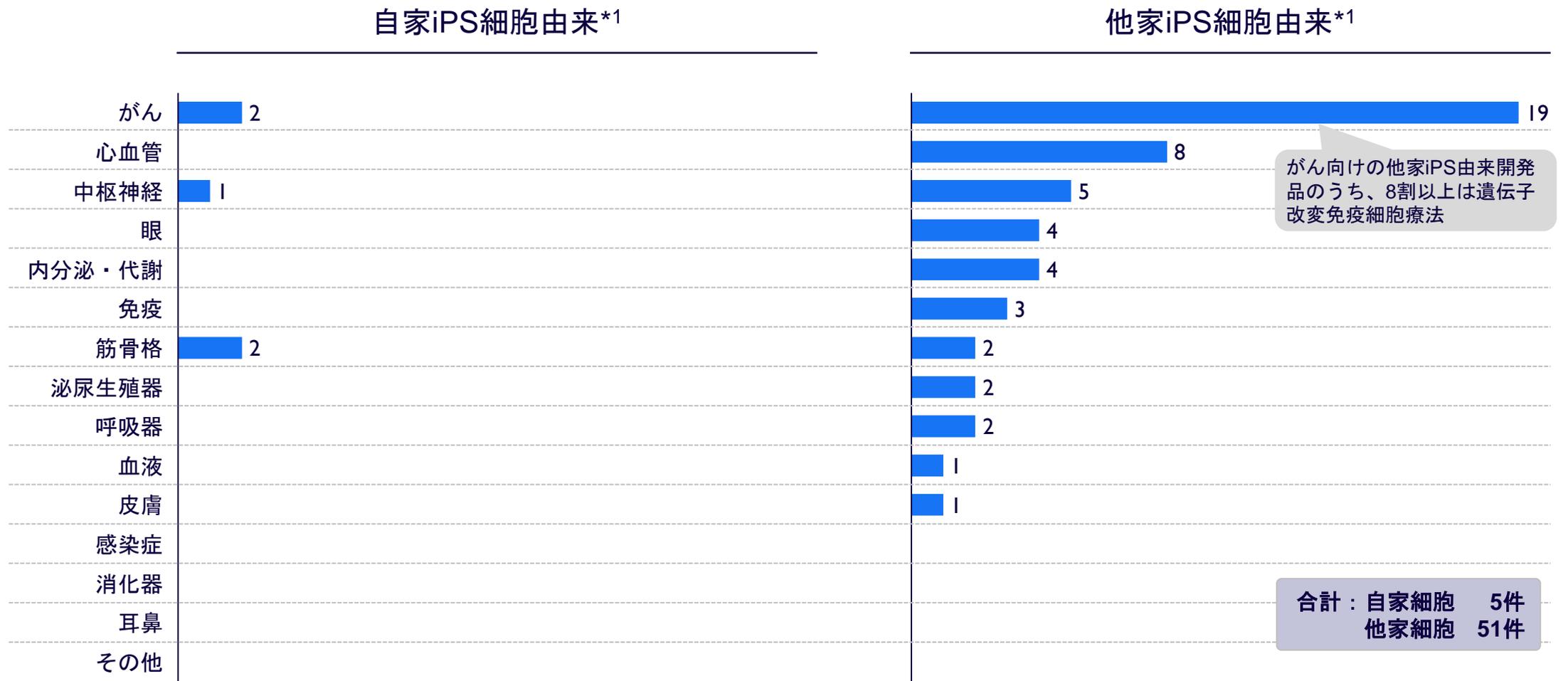
iPS細胞由来の開発品の中では遺伝子改変免疫細胞療法と細胞移植に対する開発品が多い。 ex vivo遺伝子治療と比較して細胞移植・組織移植のほうが開発が進んでいる

モダリティ別の各臨床フェーズにおける開発製品数（iPS細胞由来） *1



*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。Phase I/IIはPhase II, Phase II/IIIはPhase IIIとしてカウント。また、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
 出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

IPS細胞由来のパイプラインは他家細胞が中心。がんを対象としたものが全体の3割を超え、最も多い



*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。Phase I/IIはPhase II, Phase II/IIIはPhase IIIとしてカウント。又、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類。
 出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

© Arthur D. Little 36

中枢神経・心血管・眼等のUMNが大きな疾患や、非iPS細胞由来製品の上市品が存在する疾患にて臨床段階が進む傾向

IPS細胞由来開発品の疾患別開発段階*1 ※開発品のある疾患のみ

	前臨床	P1	P2	P3	承認申請	ご参考：再生医療・細胞治療の上市品（抜粋）
がん	17	6	0	0	0	Kymriah, Yescarta, Breyanzi, Abecma, Tecartus, Carvykti
中枢神経	6	1	1	0	0	Skysona, ステミラック
心血管	4	3	1	0	0	ハートシート
眼	4	0	3	0	0	ネピック, オキュラル, サクラシー
筋骨格	3	0	0	1	0	ジャック, MACI, 他
免疫	1	2	1	0	0	テムセル, RETHYMIC, 他
呼吸器	1	0	1	0	0	-
血液	0	0	1	0	0	Lyfgenia, Casgevy, 他
内分泌・代謝	5	0	0	0	0	Libmeldy, Donislecel
泌尿生殖器	2	1	0	0	0	Mukocell, UroArt
皮膚	0	1	0	0	0	ジェイス, ジャスミン, 他

*1：同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。Phase I/IIはPhase II, Phase II/IIIはPhase IIIとしてカウント。また、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。

出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

iPS細胞由来の開発品は日本、米国の順に多い

2024年2月時点

地域別のiPS細胞由来の開発製品数*1

使用細胞
分類

自家細胞使用製品数

他家細胞使用製品数

合計：24件



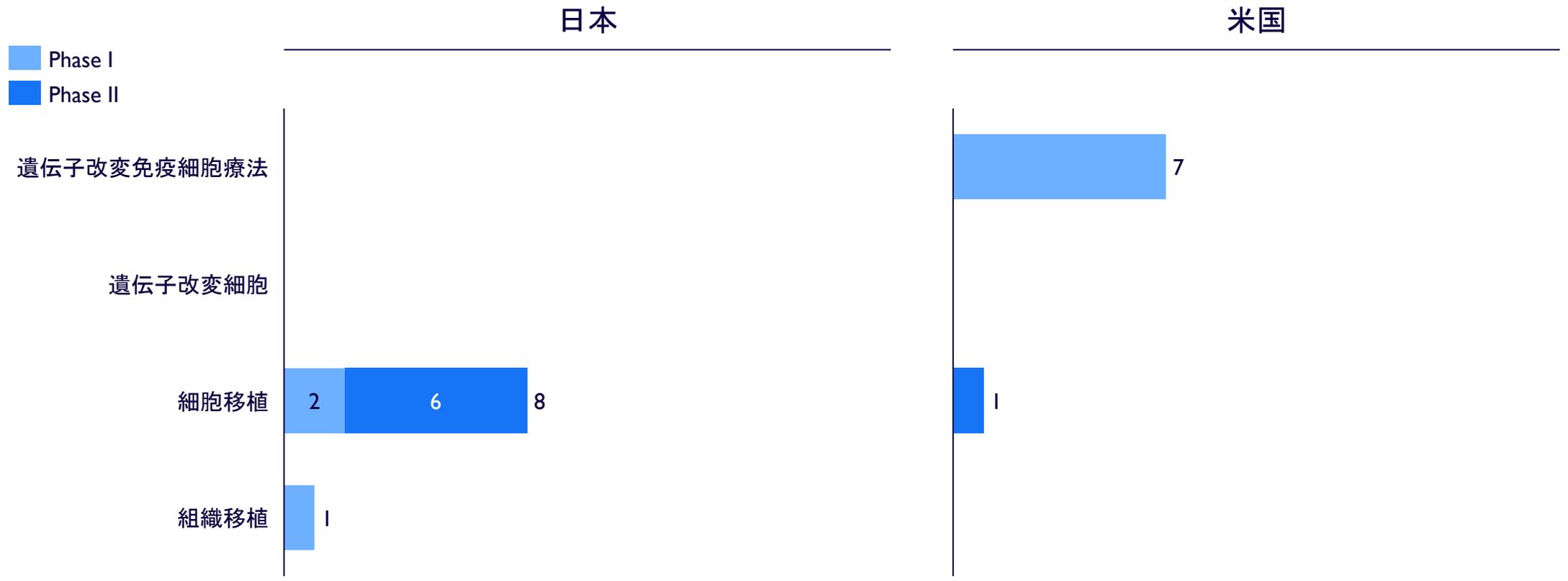
*1: 製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。

また、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類。

出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

現状日本で開発されているiPS細胞由来製品は細胞移植が多く、米国では遺伝子改変免疫細胞療法が多い

地域別のiPS細胞由来の開発製品数*1



*1: 製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。また、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

日欧米のいずれかの国/地域で承認されている遺伝子導入製品は計10品目

2024年2月時点

遺伝子導入の上市製品 (日欧米いずれかで上市したもの)

製品名	開発企業	起源企業	キャリア	疾患分類	対象疾患	日欧米の承認国/承認年	薬価
Glybera	uniQure	uniQure	アデノ随伴ウイルス	内分泌・代謝	リポタンパクリパーゼ欠損症	欧州/2012年 →販売中止	100万ドル/人
Luxturna	Spark Therapeutics	Spark Therapeutics	アデノ随伴ウイルス	眼	レーバー先天性黒内障	米国/2017年 欧州/2018年 日本/2023年	42万5000ドル/片目
コラテジェン	アンジェス	アンジェス	プラスミド	心血管	上昇虚血肢	日本/2019年	600,360円/1バイアル
Zolgensma	Noovartis	Noovartis	アデノ随伴ウイルス	中枢神経	脊髄性筋萎縮症	米国/2019年 日・欧/2020年	212万5000ドル/人
Upstaza	PTC therapeutics	PTC therapeutics	アデノ随伴ウイルス	内分泌・代謝	芳香族アミノ酸脱炭酸酵素欠損症	欧州/2022年	300万ポンド/人

日欧米のいずれかの国/地域で承認されている遺伝子導入製品は計10品目

2024年2月時点

遺伝子導入の上市製品 (日欧米いずれかで上市したもの)

製品名	開発企業	起源企業	キャリア	疾患分類	対象疾患	日欧米の承認国/承認年	薬価
HEMGENIX	CSL Behring, uniQure	uniQure	アデノ随伴ウイルス	血液	血友病B	米国/2022年 欧州/2023年	350万ドル/人
Adstiladrin	Ferring, FKD Therapies	FKD Therapies	アデノ随伴ウイルス	がん	膀胱癌	米国/2022年	24万ドル/人 (6万ドル/回、 1人あたり4回用想定)
ELEVIDYS	Roche, Sarepta Therapeutics	Sarepta Therapeutics	アデノ随伴ウイルス	筋骨格	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	米国/2023年	320万ドル/人
ROCTAVIAN	BioMarin	BioMarin	アデノ随伴ウイルス	血液	血友病A	欧州/2022年 米国/2023年	290万ドル/人
Vyjuvek	Krystal Biotech	Krystal Biotech	単純ヘルペスウイルス	皮膚	栄養障害型表皮水疱症	米国/2023年	-

日欧米のいずれかの国/地域で承認されているウイルス治療製品は計2品目

2024年2月時点

ウイルス治療の上市製品（日欧米いずれかで上市したもの）

製品名	開発企業	起源企業	使用ウイルス	疾患分類	対象疾患	日欧米の承認国/承認年	薬価
IMLYGIC (T-VEC)	Amgen	Amgen	ヘルペスウイルス	がん	メラノーマ	米国/2015年 欧州/2015年	65,000ドル/人
DELYTACT (DS-1647,G47Δ, Tesperaturev)	第一三共	第一三共	ヘルペスウイルス	がん	悪性神経膠腫	日本/2021年	1,431,918円

遺伝子治療の上市品数は米国・欧州が多い。近年日本でも上市が活発化

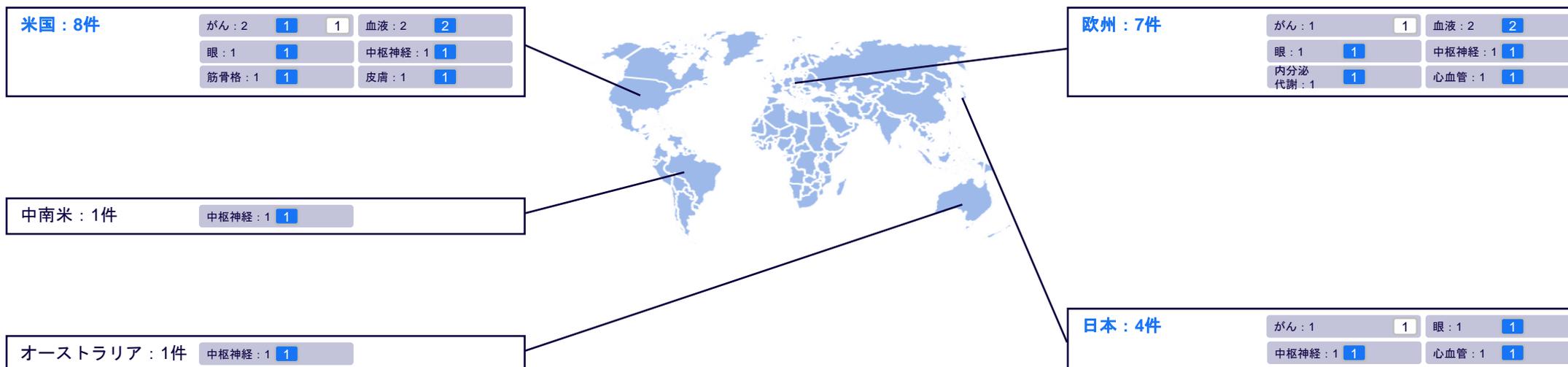
2024年2月時点

地域別の遺伝子治療上市品製品数*1

凡例

遺伝子導入
遺伝子編集
ウイルス治療

合計：21品

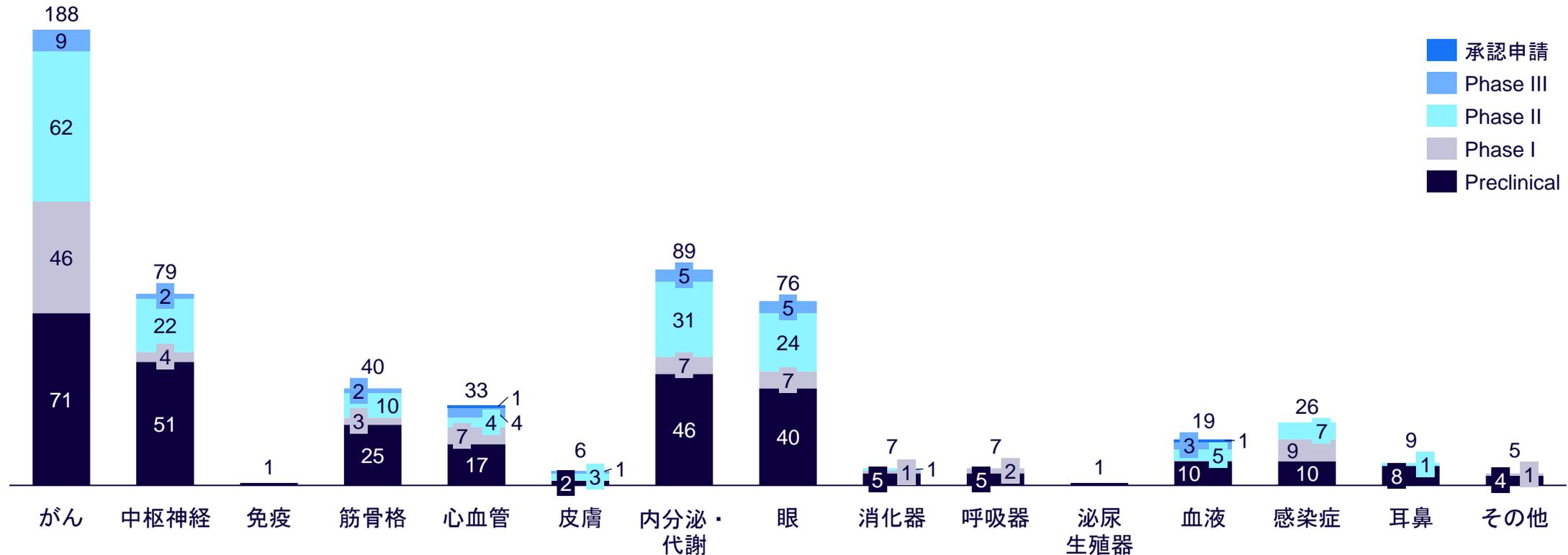


*1：製品数でカウント。複数の疾患領域、複数の地域で上市されている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。販売中止はカウントせず
出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

遺伝子治療においては、がんに加え、内分泌・代謝や中枢神経、眼科領域においても開発が活発

2024年2月時点

疾患分類別の各臨床フェーズにおける開発製品数（遺伝子治療） *1

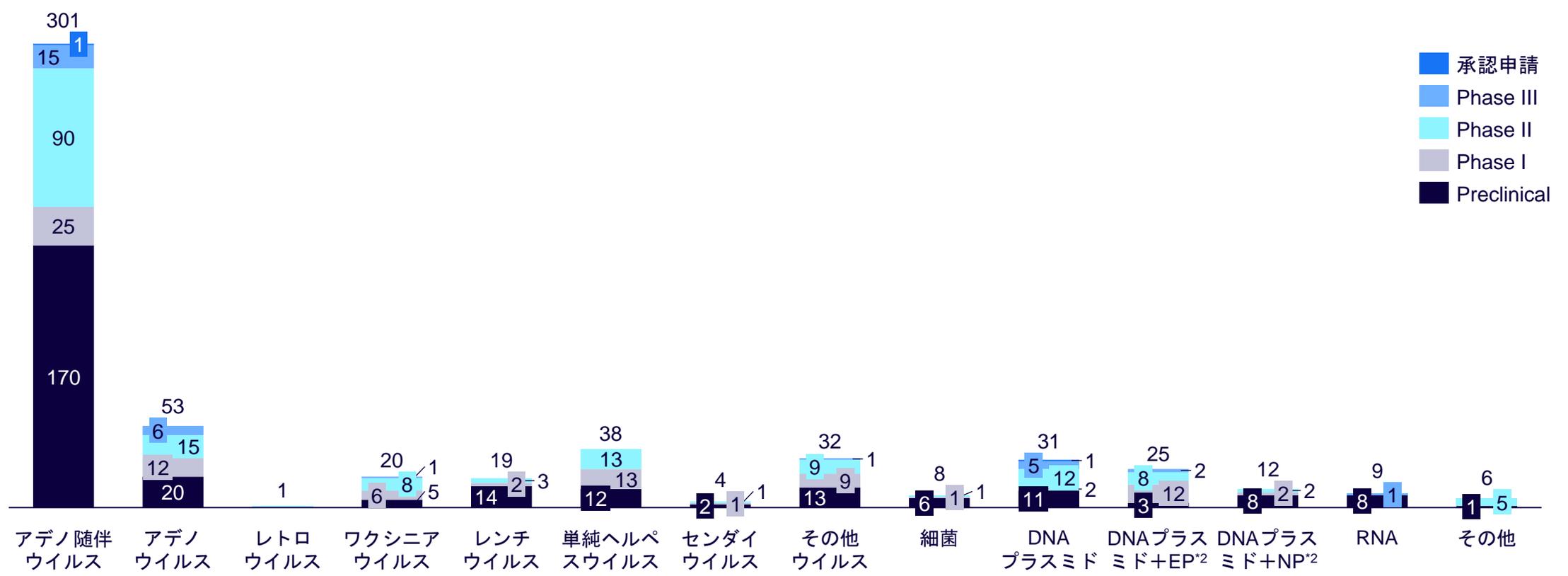


*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階が不明な製品はカウントしない。Phase I/IIはPhase II, Phase II/IIIはPhase IIIとしてカウント。

アデノ随伴ウイルス（AAV）を用いた開発品が目立つ。アデノウイルスや、単純ヘルペスウイルスの他、プラスミドを用いた開発も行われている

2024年2月時点

使用ベクター種別の各臨床フェーズにおける開発製品数（遺伝子治療）*1

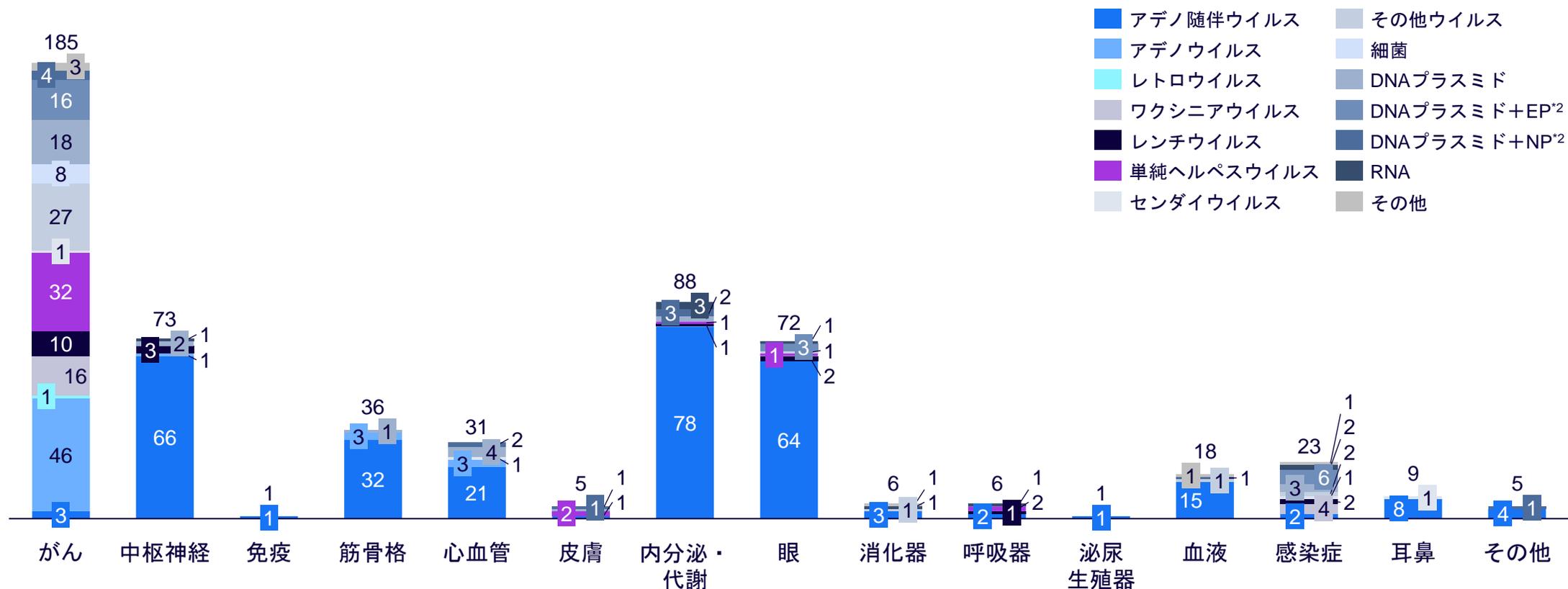


*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、ベクター種、開発段階が不明な製品はカウントしない。Phase I/IIはPhase II, Phase II/IIIはPhase IIIとしてカウント。*2: NP: ナノ粒子、EP: エレクトロポレーション
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成 © Arthur D. Little 45

がんでは様々なベクターが、内分泌・代謝や中枢神経、眼科領域においては主にAAVが用いられている

2024年2月時点

疾患別 x 使用ベクター種別の開発動向（遺伝子治療）*1



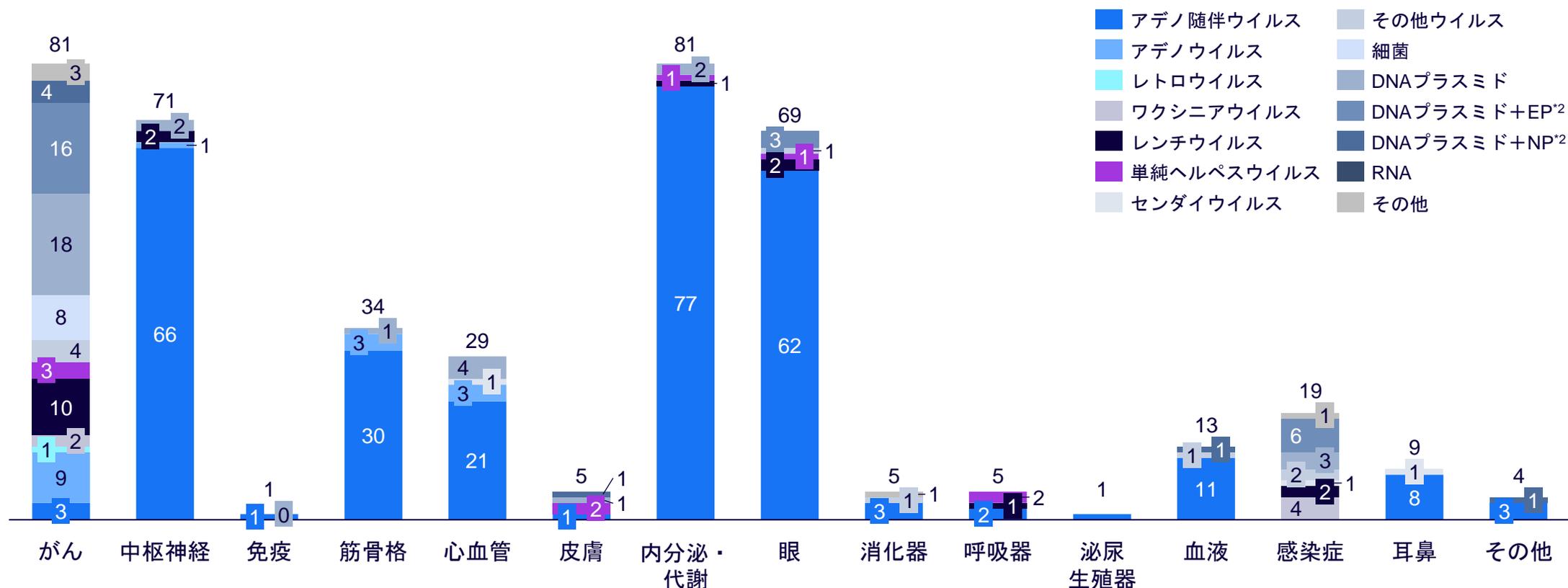
*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、ベクター種が不明な製品はカウントしない。

*2: NP: ナノ粒子 EP: エレクトロポレーション
出所: ADLデータベースよりアサー・ディ・リトル作成

遺伝子導入では内分泌・代謝の遺伝性疾患や中枢神経、眼科領域を中心としたAAVによる開発品が多い。がんではAAV以外にも様々なベクターが使用されている

2024年2月時点

疾患別 x 使用ベクター種別の開発動向（遺伝子導入）*1



*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、ベクター種が不明な製品はカウントしない。

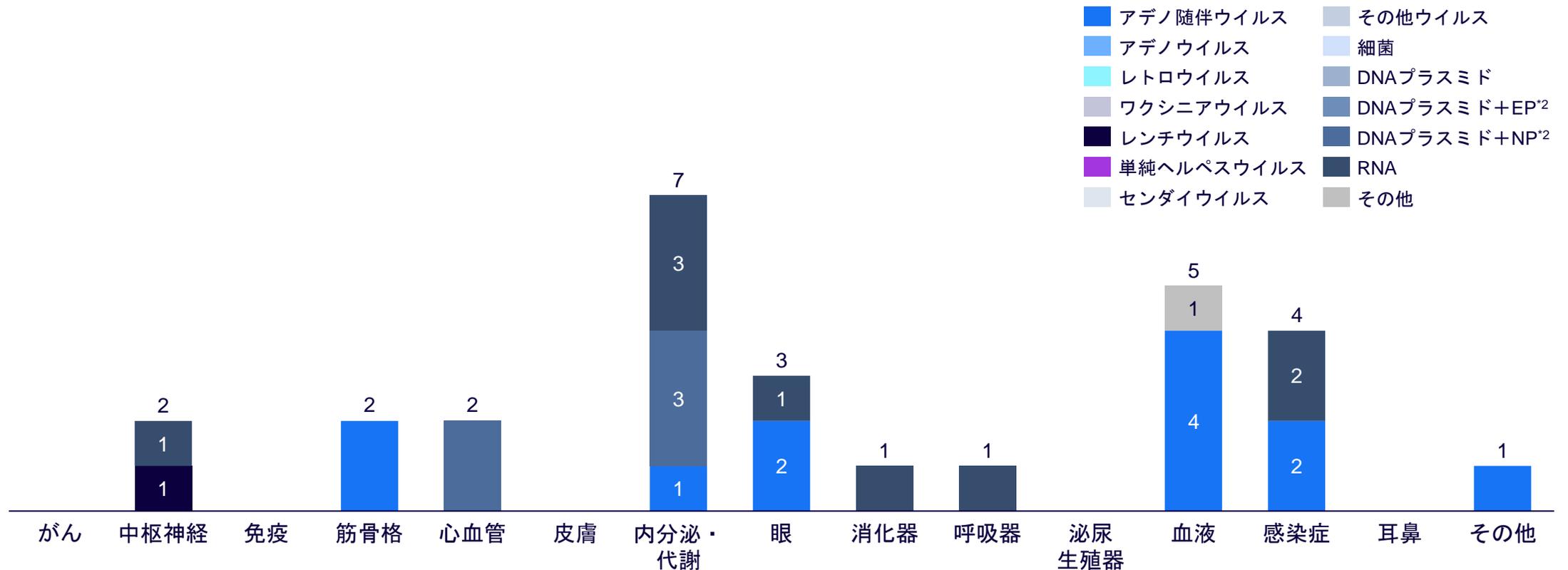
*2: NP: ナノ粒子 EP: エレクトロポレーション

出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

遺伝子編集のうちの使用ベクターが判明しているものに関し、他の遺伝子治療と比較してRNAを用いた開発品が多いのが特徴

2024年2月時点

疾患別 x 使用ベクター種別の開発動向（遺伝子編集）*1



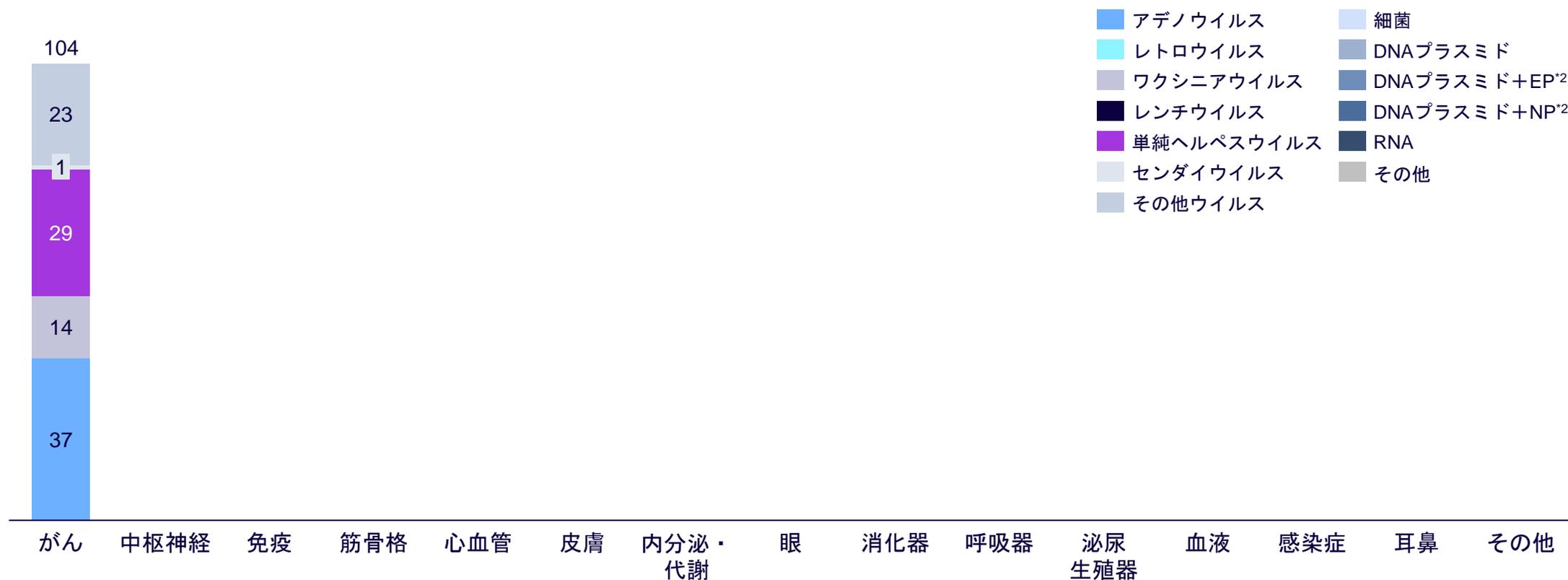
*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、ベクター種が不明な製品はカウントしない。

*2: NP: ナノ粒子 EP: エレクトロポレーション
出所: ADLデータベースよりアサー・ディ・リトル作成

ウイルス治療はがんのみで開発。アデノウイルスや単純ヘルペスウイルスを中心とした開発が進む

2024年2月時点

疾患別 x 使用ベクター種別の開発動向（ウイルス治療）*1



*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、ベクター種が不明な製品はカウントしない。

*2: NP: ナノ粒子 EP: エレクトロポレーション
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

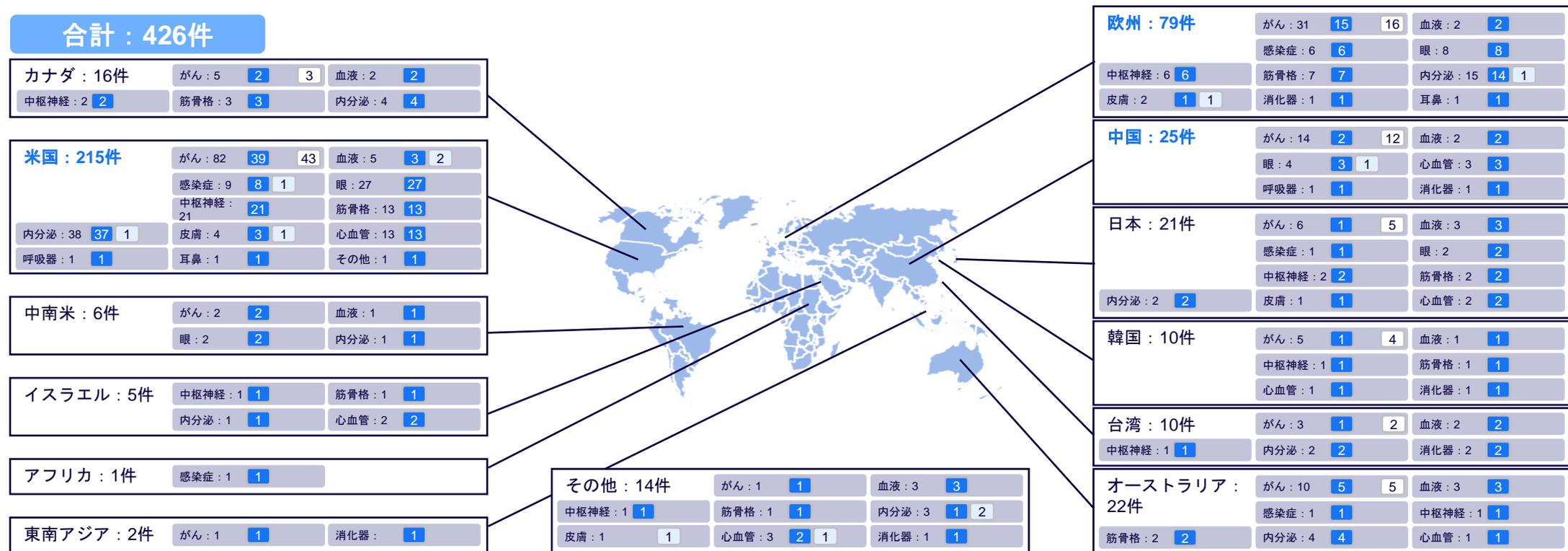
遺伝子治療の開発品数は米国、欧州、中国の順が多い

2024年2月時点

地域別の遺伝子治療品開発製品数*1

凡例

- 遺伝子導入
- 遺伝子編集
- ウイルス治療



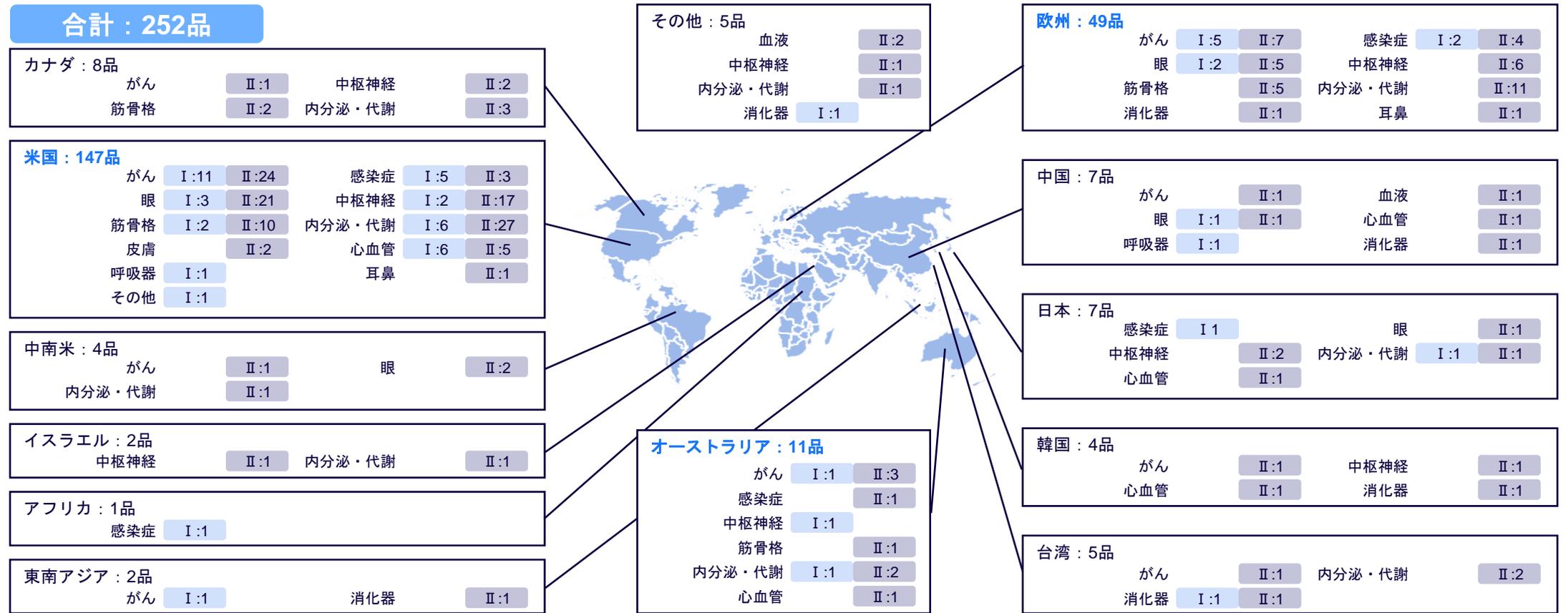
*1：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、そのうちの最も研究段階が進んでいる開発品1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
出所：ADLデータベースよりアサー・ディ・リトル作成

遺伝子導入における臨床初期段階の開発品数は、米国、欧州、オーストラリアの順が多い

2024年2月時点

地域別の遺伝子導入開発製品数*1

Phase I
Phase II



*1：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、そのうちの最も研究段階が進んでいる開発品1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

遺伝子導入における臨床後期段階の開発品数は、米国、日本、欧州の順で多い

2024年2月時点

地域別の遺伝子導入開発製品数*1

Phase III
承認申請中

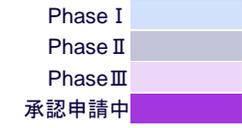


*1：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、そのうちの最も研究段階が進んでいる開発品1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

遺伝子編集を利用した開発品で臨床ステージに至っているものは合計10品程度。米国やニュージーランドなどで開発が進む

2024年2月時点

地域別の遺伝子編集開発製品数*1



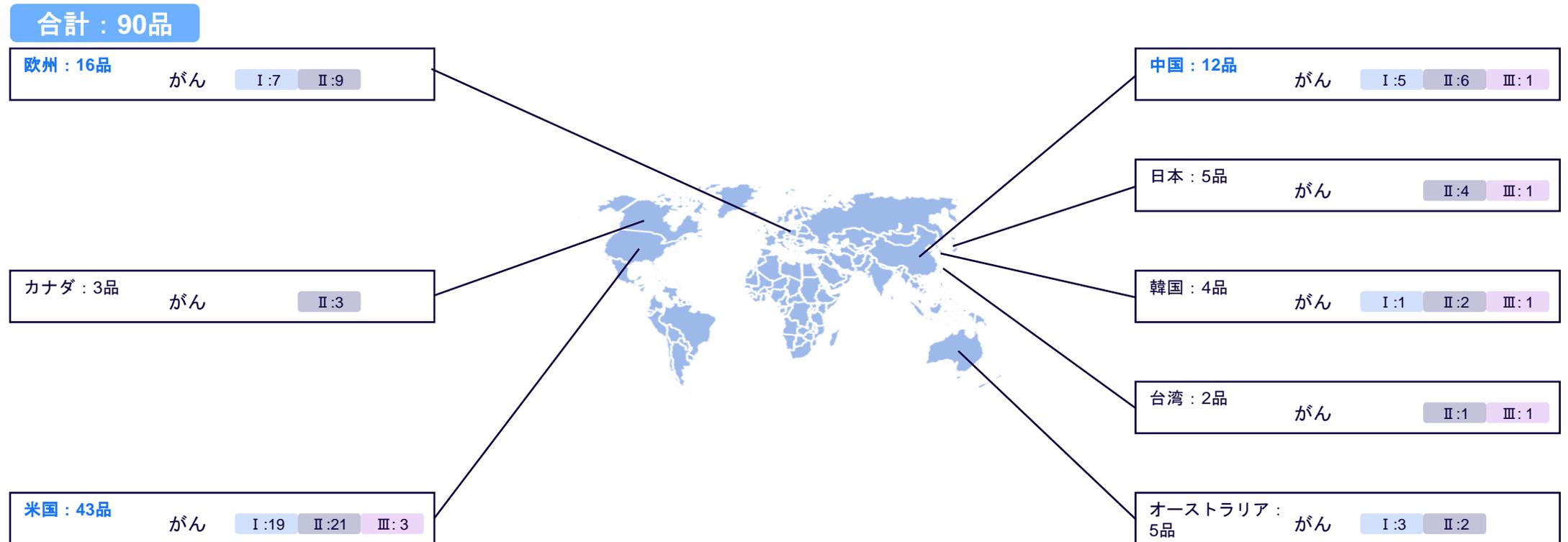
*1：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、そのうちの最も研究段階が進んでいる開発品1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

© Arthur D. Little 53

ウイルス治療の開発品数は、米国、欧州、中国の順が多い

2024年2月時点

地域別のウイルス治療開発製品数*1



*1: 製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、そのうちの最も研究段階が進んでいる開発品1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

既存のモダリティ区分に属さない技術を用いた開発品も存在していた。今後、技術動向に注視する必要がある

	in vivo CAR-T	srRNAを用いたCAR-T等	RNA編集
技術内容	<ul style="list-style-type: none"> CAR遺伝子配列を担持したAAVベクターを用いることで、ヒト体内でT細胞の遺伝子改変を行いCAR-T細胞を作製する技術 	<ul style="list-style-type: none"> 細胞内で自己増殖するsrRNAを導入することで細胞に対する機能付与を実施 	<ul style="list-style-type: none"> 転写中・転写済みのRNAに対して、塩基置換・挿入・欠失といった編集を行う技術 対象パイプラインではRNA-guided RNAエンドヌクレアーゼCRISPR-cas13が利用
今回の分類	遺伝子改変免疫細胞療法	細胞移植	遺伝子編集
既存技術との差分	<ul style="list-style-type: none"> ex vivoで遺伝子改変を行う遺伝子改変免疫細胞療法とは、遺伝子改変の場所が異なる 一方、CAR-Tと同様の機能を保有するため、遺伝子改変免疫細胞療法に分類 	<ul style="list-style-type: none"> ベクター導入による遺伝子改変ではなく、mRNAの一時的な発現での機能付与のため、従来のex vivo遺伝子治療とは異なる そのため、遺伝子改変を含まない治療法である細胞移植に分類 	<ul style="list-style-type: none"> 編集対象がDNAではなくRNAな点で遺伝子編集と異なるが、RNAの単なる翻訳抑制ではなく、正しい翻訳に向け編集する点で従来の核酸医薬と異なるため、今回は遺伝子編集に分類
保有企業例	Umoja Biopharma	Elixirgen Therapeutics	HuidaGene

CONTENTS

- 1 調査の全体像
- 2 開発品・上市品動向の調査結果
- 3 市場規模予測の方法
- 4 市場規模予測結果

「投与人数×薬剤単価」により各疾患で再生医療・遺伝子治療法の市場規模を積み上げることで年間市場規模を算出

市場規模算出ロジック

概要

投与人数 (1年間)	1 対象疾患罹患者数	<ul style="list-style-type: none"> 対象患者数、年間の対象疾患罹患者数を公開情報より引用* <ul style="list-style-type: none"> 年間罹患者数が取得可能な場合は潜在対象患者数/年間罹患者数で有病期間を算出 有病期間が取得可能な場合は潜在対象患者数/有病期間で年間罹患者数を算出 適用患者は重症患者に限定されると仮定し公開情報より引用* 根本治療や自然減による患者減少、新規患者数を勘案して患者人数推移を推計 	
	×	2 再生医療・遺伝子治療選択率	<ul style="list-style-type: none"> 疾患別に再生医療・遺伝子治療の選択率を設定** <ul style="list-style-type: none"> 年間使用者数 / 治療対象患者数を再生医療・遺伝子治療と定義 開発品の効果や他の治療法の有効性を鑑みて再生医療・遺伝子治療選択率を設定**
	×	3 作用機序別使用割合	<ul style="list-style-type: none"> パイプラインの合計成功確率は有望度と相関があると想定し、再生医療・遺伝子治療選択率を作用機序ごとの合計成功確率で按分することで、モダリティ別使用率を算出
	×	4 ピークセールスに対する割合	<ul style="list-style-type: none"> 上市時期は合計成功確率を基に推計 <ul style="list-style-type: none"> 合計成功確率が10-50%のものは2035年に上市、100%未満のものは2030年に上市、100%以上のものはパイプラインで最も開発が進んでいるものが滞りなく上市すると仮定 ピークセールスに達するまで数年かかると仮定し、各作用機序に対して上市后X年目の割合を算出
5 薬剤単価	×	<ul style="list-style-type: none"> 「疾患×作用機序」のマトリクスに対して、価格を仮定 <ul style="list-style-type: none"> 疾患:患者数を基にUltra-rare disease、Rare disease、Common diseaseの3種に分類 作用機序:スキャフォールド治療、組織移植、細胞移植、Ex vivo遺伝子治療、In vivo遺伝子治療、In vivoウイルス治療の6種に分類 上市後は1年毎に3%ずつ薬価が下落すると仮定 	

*:各疾患における文献、政府統計等から引用
 **:Calculation logic of market size estimation in the CGT area参照

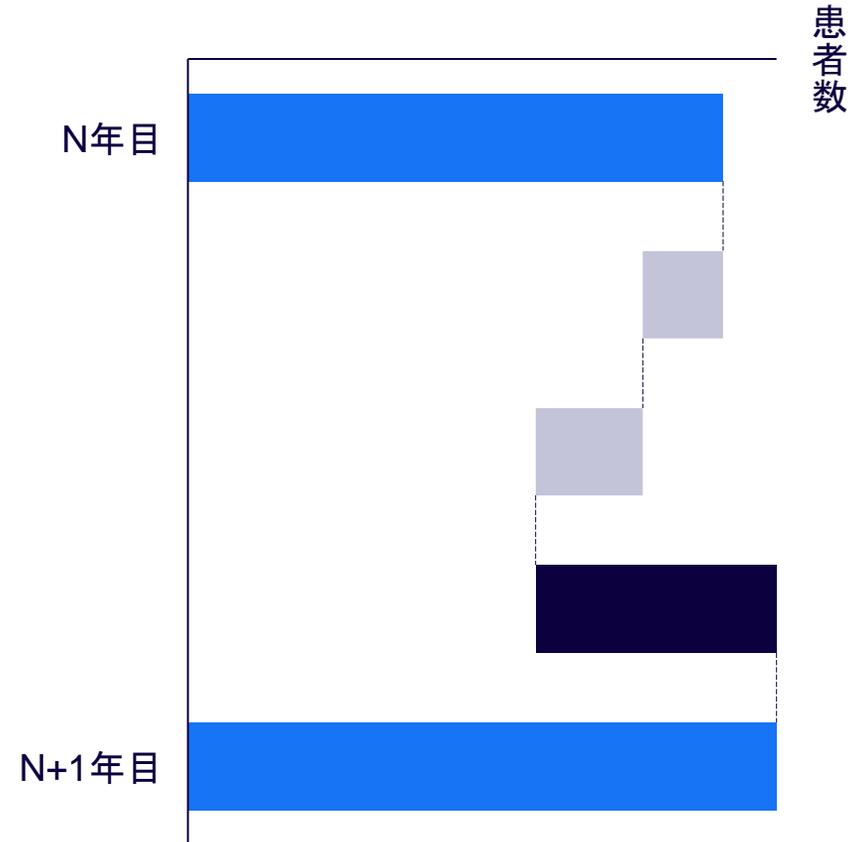
希少難病・既存治療がない疾患では再生医療・遺伝子治療が一定割合以上の患者に適用されると想定。ほかの疾患では重症患者に使用されると想定し対象患者の割合を設定

疾患区分	疾患例	再生医療・遺伝子治療の対象割合	考え方
<p>既存治療がない疾患</p>	<ul style="list-style-type: none"> 筋萎縮性側索硬化症 肺動脈性肺高血圧症 など 	<ul style="list-style-type: none"> ベースラインを以下とし、個別疾患の状況に応じて調整 <ul style="list-style-type: none"> - 致死性・重篤性の高いもの：80% - 致死性でないもの：20% 	<ul style="list-style-type: none"> 致死性・重篤性の高い疾患に対しては、生命予後やQOLの劇的改善が期待され、多くの患者に対する使用が認められると思料 致死性でないものに関しては、治療法が無いことから一定の患者への使用が認められるものと理解
<p>その他の疾患</p>	<ul style="list-style-type: none"> 糖尿病 パーキンソン病 加齢黄斑変性 など 	<ul style="list-style-type: none"> 各疾患で個別に設定 	<ul style="list-style-type: none"> 患者数が多い疾患では重症患者のみ治療対象となると想定し、各疾患で割合を設定 <ul style="list-style-type: none"> - 重症患者の数が推計可能な場合は、重症患者割合を設定 - 重症患者の数が不明な場合は、総患者数等を基に推計

患者数推移は、再生医療・遺伝子治療使用による患者数減少、自然減、新規患者数より算出

患者数推移の考え方

項目	計算方法
再生医療・遺伝子治療による患者数減少	N 年目の患者人口 × 再生医療・遺伝子治療選択率*1
自然減(死亡等)	N 年目の患者人口 × (1-再生医療・遺伝子治療選択率) ÷ 有病期間*2
新規患者数	年間罹患数



*1 再生医療・遺伝子治療の対象患者のうち、再生医療・遺伝子治療を1年間のうちに選択する割合
 *2 症状が進行せず平均寿命が健常人と同等の場合は80歳と仮定
 出所：アーサー・ディ・リトル作成

売上予測、臨床試験の結果をもとに再生医療・遺伝子治療の選択率を設定

検討疾患 か否か	売上予測	臨床試験の結果	再生医療・遺伝子治療 選択率	考え方
検討疾患*1	あり	—	<ul style="list-style-type: none"> 売上予測より選択率を計算 	<ul style="list-style-type: none"> 上市品、承認申請中の品目の売上予測に応じた選択率を逆算 がんなど適用拡大を前提とした疾患は個別に算出
	なし	あり	<ul style="list-style-type: none"> 他治療法の効果や市場規模を考慮して個別で選択率を設定 	<ul style="list-style-type: none"> 効果や副作用、競合状況が選択率に影響すると想定 <ul style="list-style-type: none"> 他治療法の効果が高い場合は選択率が低くなると思料
		なし	<ul style="list-style-type: none"> 基本5%で設定 ただし一部疾患においては市場規模等を考慮して個別で設定 	<ul style="list-style-type: none"> ピークにおいて全対象患者の5%程度が使用すると仮定
検討疾患 以外	—	—	<ul style="list-style-type: none"> 基本2%で設定 ただし一部疾患においては個別で設定 	<ul style="list-style-type: none"> アンメットニーズ等が少ないと判断し2%と設定

*1：開発品数、希少疾患か否か、アンメットニーズの大きさなどから選定
出所：アーサー・ディ・リトル作成

各疾患・各フェーズからの上市確率は文献を参照し以下のように設定した

疾患領域	各フェーズからの上市確率							
	不明	基礎研究	Preclinical	Phase I	Phase II	Phase III	承認申請	上市
血液	7%	7%	13%	26%	36%	63%	84%	100%
免疫	7%	7%	13%	26%	36%	63%	84%	100%
感染症	5%	5%	10%	19%	28%	65%	89%	100%
眼	4%	4%	9%	17%	20%	45%	78%	100%
筋骨格	4%	4%	8%	16%	24%	62%	88%	100%
耳鼻	4%	4%	8%	16%	24%	62%	88%	100%
消化器	4%	4%	8%	15%	20%	56%	92%	100%
内分泌・代謝 ^{*1}	4%	4%	7%	14%	24%	56%	82%	100%
呼吸器	3%	3%	6%	13%	20%	67%	95%	100%
泌尿生殖器	3%	3%	6%	11%	20%	61%	86%	100%
皮膚	2%	2%	5%	10%	15%	50%	85%	100%
中枢神経 ^{*2}	2%	2%	4%	7%	13%	48%	86%	100%
心血管	2%	2%	3%	7%	11%	47%	84%	100%
がん	1%	1%	3%	5%	8%	33%	82%	100%
その他	4%	4%	8%	16%	24%	62%	88%	100%

*1 内分泌と代謝における成功率の平均値を採用。*2 中枢神経と精神科における成功率の平均値を採用
臨床試験前のデータはないため、基礎研究のうち50%の確率でPreclinicalに進み、Preclinicalのうち50%の確率でPhase IIに進むと仮定
出所: Clinical Development Success Rates 2006-2015 (Biotechnology Innovation Organization)よりADL作成

技術別の開発状況に応じて、成功確率に対する補正值を設定した

技術別の成功確率補正值の設定

モダリティ	細胞種	成功確率に対する補正值	理由
細胞移植・組織移植	幹細胞/前駆細胞	成功確率に50%をかける補正を実施	<ul style="list-style-type: none"> 近年の幹細胞治療（主にMSC）における承認取得の遅れ、相次ぐPh3での開発失敗状況を踏まえ設定
	幹細胞/前駆細胞以外	補正無し	<ul style="list-style-type: none"> 開発が進んでいる/上市品が出ている あるいは、現状まだ開発途上であり、成功確率を判断できる段階に無い
細胞移植・組織移植以外	-	補正無し	<ul style="list-style-type: none"> 開発が進んでいる/上市品が出ている あるいは、現状まだ開発途上であり、成功確率を判断できる段階に無い

各疾患・モダリティにおける各フェーズからの上市確率をもとに、疾患・作用機序ごとにパイプラインの合計成功確率を計算

成功確率の計算方法(加齢黄斑変性、遺伝子導入の例)

	不明/ 基礎研究	Preclinical	臨床試験/ Phase I	Phase II	Phase III	承認申請	上市
パイプライン数 ^{*1}	2	11	5	5	1	0	0
× 上市確率	4%	9%	17%	20%	45%	78%	100%
 成功確率	9%	+ 94%	+ 85%	+ 101%	+ 45%	+ 0%	+ 0%
	334%						

*1: パイプライン数はロングリストよりカウント。ただし、適応症が幅広く、まだ定まっていない状況のパイプラインはカウント対象から除外（例えば、対象が「皮膚疾患」のように特定の疾患や疾患群を指していないもの）
出所：アーサー・ディ・リトル作成

各疾患を分析し再生医療・遺伝子治療治療の選択率を設定。各作用機序の成功率は有望度と相関すると想定し、成功率で按分することで各技術の選択率を推計

作用機序別の根本治療選択率(表皮水疱症の例)

	合計	スキャフォールド治療	組織移植	細胞移植	遺伝子改変免疫細胞療法	遺伝子改変細胞	遺伝子導入	遺伝子編集	ウイルス治療
成功率	221%	0%	225%	31%	0%	215%	240%	0%	0%
使用率	20%	0%	6.3%	0.9%	0%	6.1%	6.8%	0%	0%

各疾患で再生医療・遺伝子治療の選択率を想定

成功率をもとに按分

各疾患・作用機序の成功確率に応じて上市時期を設定

上市時期の設定方法

考え方

疾患・作用機序ごとの成功確率 (P)			
	100% ≤ P	遅延なく上市 (最も進んでいる開発品のフェーズに依存)	<ul style="list-style-type: none"> 臨床後期の開発品が多い、もしくは上市品が存在している場合を想定 製品の上市時期が予測可能
	50 ≤ P < 100%	2030年に上市	<ul style="list-style-type: none"> 臨床後期に少数の開発品が存在している場合を想定した際、臨床試験の結果により上市時期が遅れる可能性 臨床早期に開発品が多数存在している場合を想定した際、上市まで時間がかかる可能性
	10% ≤ P < 50%	2035年に上市	<ul style="list-style-type: none"> 臨床早期に開発品が少数存在している場合を想定 臨床試験中の開発品数が少なく、上市までさらに時間がかかると思料
	P < 10%	上市しない	<ul style="list-style-type: none"> 臨床試験中の開発品がなく、Preclinicalに1-2品目のみ存在している場合を想定 人への投与実績がなく、今後成功するかは未詳なため上市しないと想定

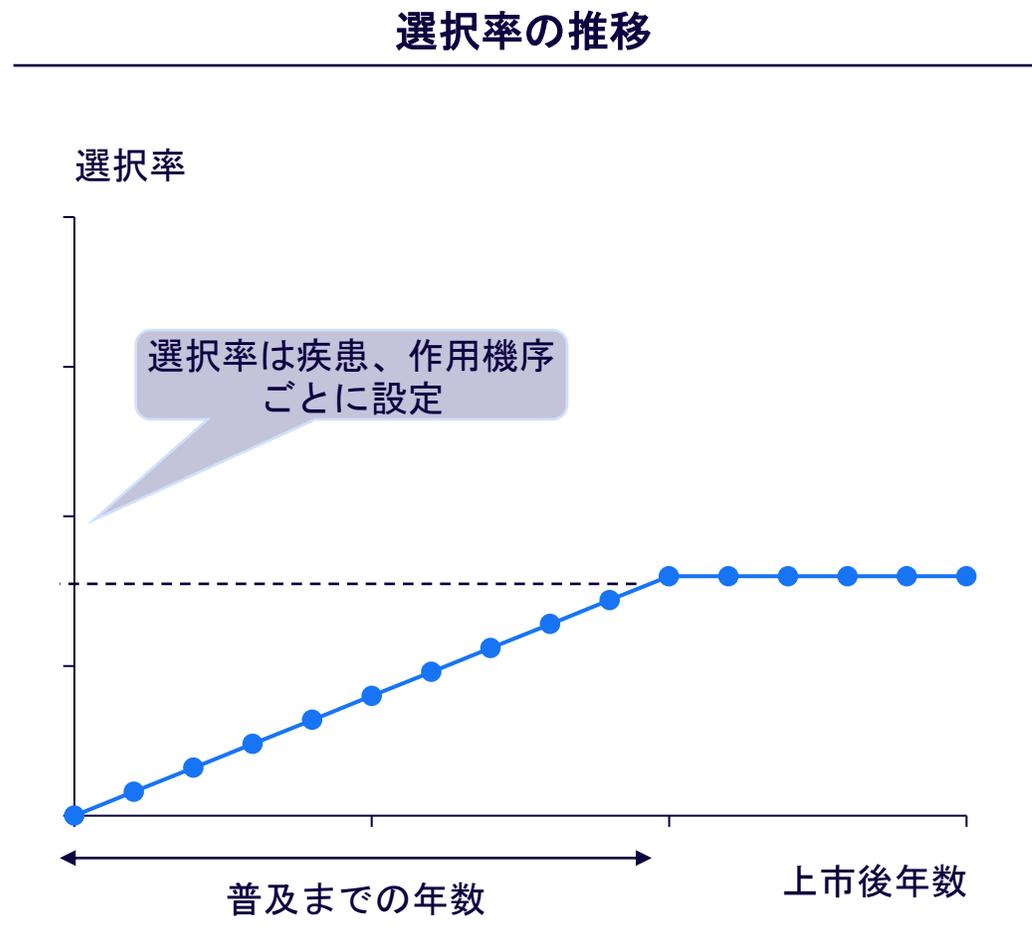
遅延なく上市した場合、現時点での臨床フェーズと上市までの年数は以下のように設定

上市までの年数と臨床フェーズ

不明/基礎研究	Preclinical	臨床試験 /Phase I	Phase II	Phase III	承認申請	上市
10年	7年	6年	4年	2年	1年	0年

普及までの年数は細胞使用の有無でそれぞれ15年、10年とし、選択率は上市後に線形増加すると想定。

	細胞使用あり	細胞使用なし
作用機序	<ul style="list-style-type: none"> 細胞移植 組織移植 遺伝子改変免疫細胞療法 遺伝子改変細胞 	<ul style="list-style-type: none"> スキャフォールド治療 遺伝子導入 遺伝子編集 ウイルス治療
普及までの年数	<ul style="list-style-type: none"> 15年 	<ul style="list-style-type: none"> 10年
備考	<ul style="list-style-type: none"> 細胞の安定供給に時間を要すると思料 	<ul style="list-style-type: none"> 通常の医薬品のピークセールスと同等と想定



根本治療が上市している疾患では上市品の価格を参考に薬剤単価を設定。根本治療が上市していない疾患に関しては、作用機序・患者数ごとに薬剤単価を設定

薬剤単価(根本治療にかかる患者一人当たり費用)(百万円)

作用機序		Ultra-rare disease (<1/50,000)	Rare disease (1/50,000-1/2,000)	Common disease (>1/2,000)	備考
再生医療	組織移植	15	10	2.5	<ul style="list-style-type: none"> ハートシート（14.7百万円）、ジェイス（10百万円）、ジャック（0.2百万円）などから推計
	スキャフォールド治療	0.25	0.25	0.25	<ul style="list-style-type: none"> 生体吸収性ステントの価格(0.244百万円)より推計 患者数に依存しないと想定
	細胞移植	15	15	15	<ul style="list-style-type: none"> ステミラック（15百万円）より推計 患者数に依存しないと想定
	遺伝子改変免疫細胞療法	60	60	60	<ul style="list-style-type: none"> 上市品6品目からの推計 患者数に依存しないと想定
	遺伝子改変細胞	300	300	100	<ul style="list-style-type: none"> 上市品7品目からの推計 患者数に依存しないと想定
	遺伝子導入	400	250	100	<ul style="list-style-type: none"> 上市品10品目からの推計
遺伝子治療	遺伝子編集	400	250	100	<ul style="list-style-type: none"> 現状上市品は存在しないが、遺伝子導入と同等程度の単価となる想定
	ウイルス治療	5	5	5	<ul style="list-style-type: none"> IMLYGIC、DELYTACTの価格（それぞれ約9百万円、約1.5百万円）より推計 患者数に依存しないと想定

現状のパイプライン動向をもとに将来の市場規模を予測する本モデルには、一定の限界が存在し、個別疾患・モダリティ毎の予測の正確性を担保するためにはより深い分析が必要

本市場規模試算モデル活用における留意点

- 将来的に新たに生まれるパイプラインの予測は含まれず、パイプラインの「量」の寄与度が大きいモデルとなる

 - 本モデルは既存のパイプライン数をベースにした市場規模試算だが、予測時点から年数が経った時点ではその間に発生するパイプラインの影響が反映できない。また、現時点でのパイプライン数に依存するモデル構築となる。
 - そのため、将来的に生まれるであろうパイプラインをベースにした予測が反映できず、10-20年先の値はあくまで参考値となる。
- 薬価に関する正確性は、上市品が無いもの/僅少なもののほど低い可能性がある

 - 現状の上市品をベースに、「モダリティの種類」と「対象患者数」で実績から推計して薬価を設定。一方、使用細胞種や個別適応症、承認時のエビデンスデータ等に応じて薬価が変動することが想定されるが、個別反映はしていない。
- 成功確率は一般的な疾患領域別の成功率を外挿。再生医療・細胞治療・遺伝子治療の特殊性はデータ不足のため考慮していない

 - ただし、近年の実績として明確に成功率が低いモダリティについてのみ、一部補正を実施している。
- 対象患者層や選択率は現状の動向からの推測値であり、将来動向の詳細な反映はしていない

 - 再生医療・細胞治療、遺伝子治療を享受できるのは先進国と想定し、対象患者を先進国想定で固定して推計している。一方、将来的な開発動向によっては拡大の可能性もあるが、予測が不可能であるため本影響は反映できていない。
 - また、選択率も現状推測値となる。将来の開発品の有効性や他モダリティへの競争優位性、市場浸透度に左右されうるが、本影響は予測不可能であり反映できない。

CONTENTS

- 1 調査の全体像
- 2 開発品・上市品動向の調査結果
- 3 市場規模予測の方法
- 4 市場規模予測結果

本章で「グローバル市場」、「日本企業が開発企業の市場」、「日本企業が起源企業の市場」と記載がある場合、以下により推計を実施している

本章における市場の定義

グローバル市場

3章の算出モデルに対し、
ロングリスト中すべてのパイプライン
を適応して算出

日本企業が開発企業の市場

3章の算出モデルに対し、
ロングリスト中の日本企業が開発企業
にあたる場合のパイプラインを適応し
て算出

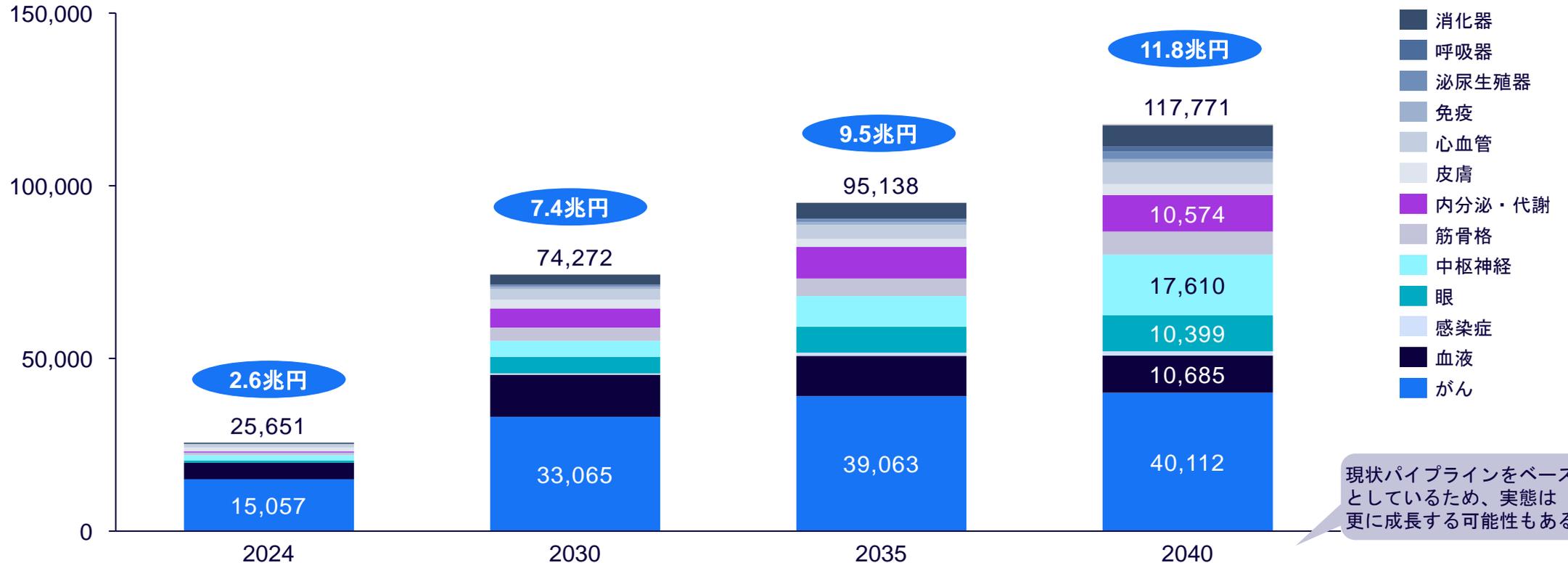
日本企業が起源企業の市場

3章の算出モデルに対し、
ロングリスト中の日本企業が起源企業
にあたる場合のパイプラインを適応し
て算出

がんだけでなく中枢神経や血液、内分泌・代謝、眼科領域が市場拡大を牽引し、2030年には7.4兆円、2040年には11.8兆円の市場規模に達すると推計

グローバル市場：市場規模推計（疾患別）

単位：億円

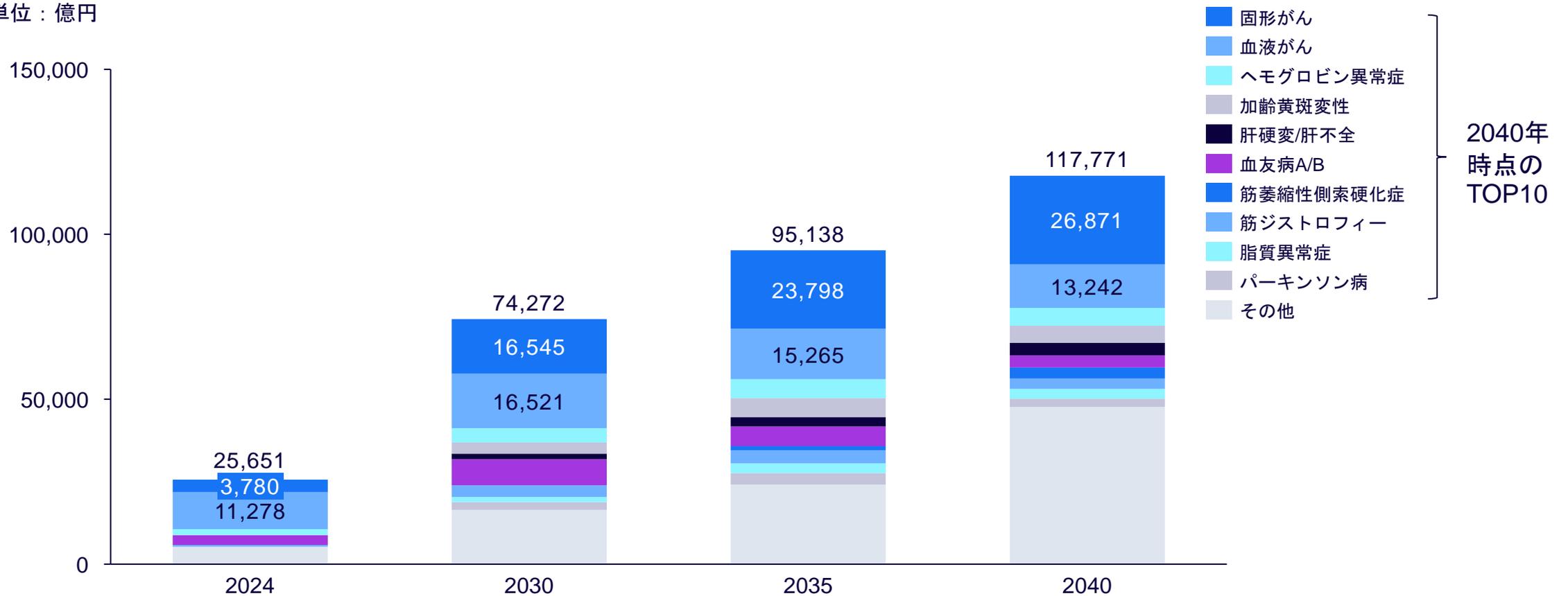


現状パイプラインをベースとしているため、実態は更に成長する可能性もある

疾患詳細別にみると、がんの他、ヘモグロビン異常症、加齢黄斑変性等が市場として大きい

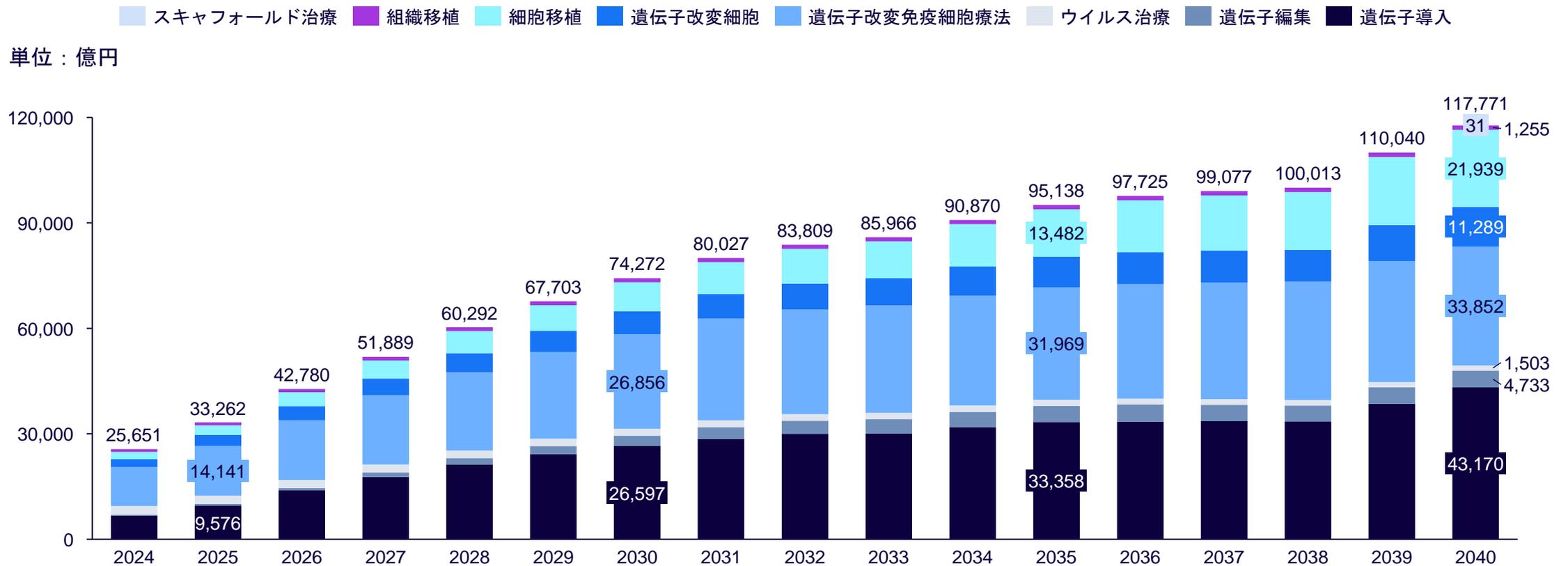
グローバル市場：市場規模推計（疾患別）

単位：億円



遺伝子導入や遺伝子改変免疫細胞療法、細胞移植が市場拡大を大きく牽引。スキャフォールド治療、組織移植、ウイルス治療の拡大余地は限定的な見込み

グローバル市場：市場規模推計（作用機序別）



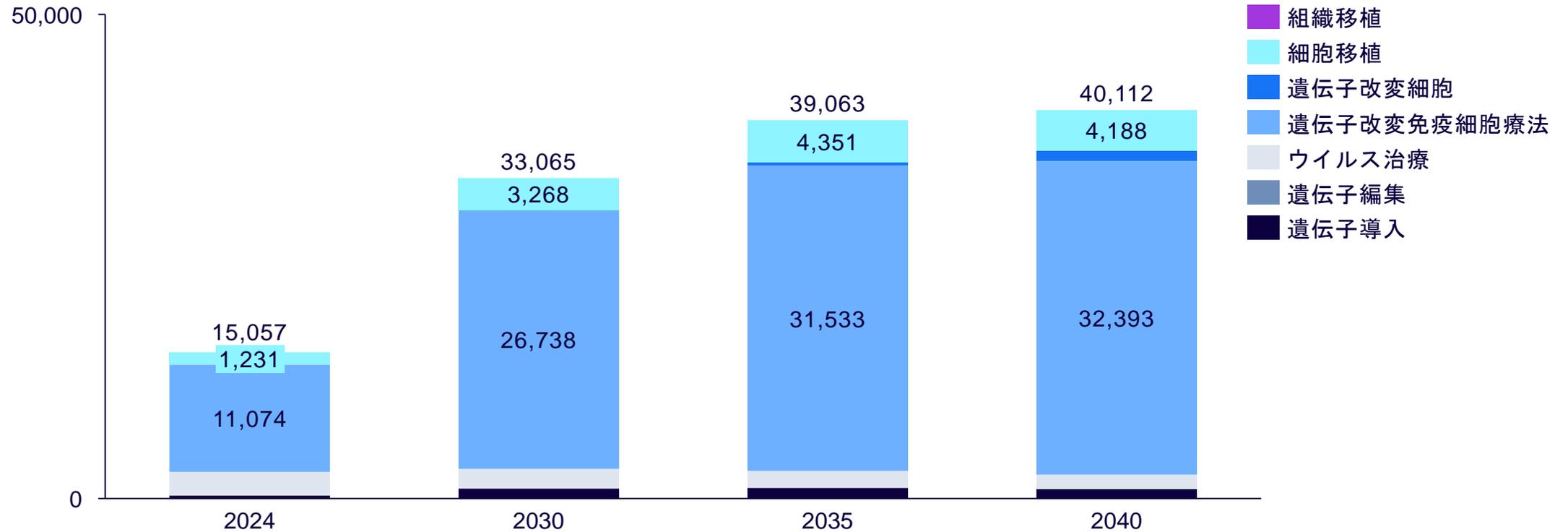
2021年度に推計した市場規模とは以下のような差分が発生。差分発生の背景として、直近の開発状況や薬価の状況を反映した影響があげられる

モダリティ	2019年度版の 市場規模 (40 ‘)	2021年度版の 市場規模 (40 ‘)	2023年度版の 市場規模 (40 ‘)	差分発生の背景
細胞移植	4.5兆円	4.4兆円	2.2兆円	<ul style="list-style-type: none"> 近年のMSCにおける相次ぐ承認遅延、開発失敗状況を鑑み、成功確率に補正をかけて試算
組織移植	0.1兆円	0.1兆円	0.1兆円	(19年度以降、予測規模上の目立った差分無し)
スキャフォールド 治療	20億円	20億円	30億円	(19年度以降、予測規模上の目立った差分無し)
遺伝子改変 免疫細胞療法	2.4兆円	2.1兆円	3.4兆円	<ul style="list-style-type: none"> 血液がんのCAR-Tで想定以上のスピードで市場浸透がなされており、次世代型の開発品も多数。(治療選択率に反映) 新興国市場に対しても開発が広がっており、使用者の範囲を拡大
遺伝子改変細胞		0.7兆円	1.1兆円	<ul style="list-style-type: none"> ここ数年で上市品が増加。上市した製品に対して高額な薬価がついており、2019年度時に設定した薬価テーブルを更新
遺伝子導入	4.5兆円	3.9兆円	4.3兆円	<ul style="list-style-type: none"> 上市した製品に対して高額な薬価がついており、2019年度時に設定した薬価テーブルを一部更新した
遺伝子編集		0.4兆円	0.5兆円	(21年度以降、予測規模上の目立った差分無し)
ウイルス治療	0.2兆円	0.2兆円	0.2兆円	(19年度以降、予測規模上の目立った差分無し)

がんにおいては遺伝子改変免疫細胞が市場をけん引。次いで細胞移植の規模が大きい

グローバル市場：市場規模推計（がん, モダリティ別）

単位：億円

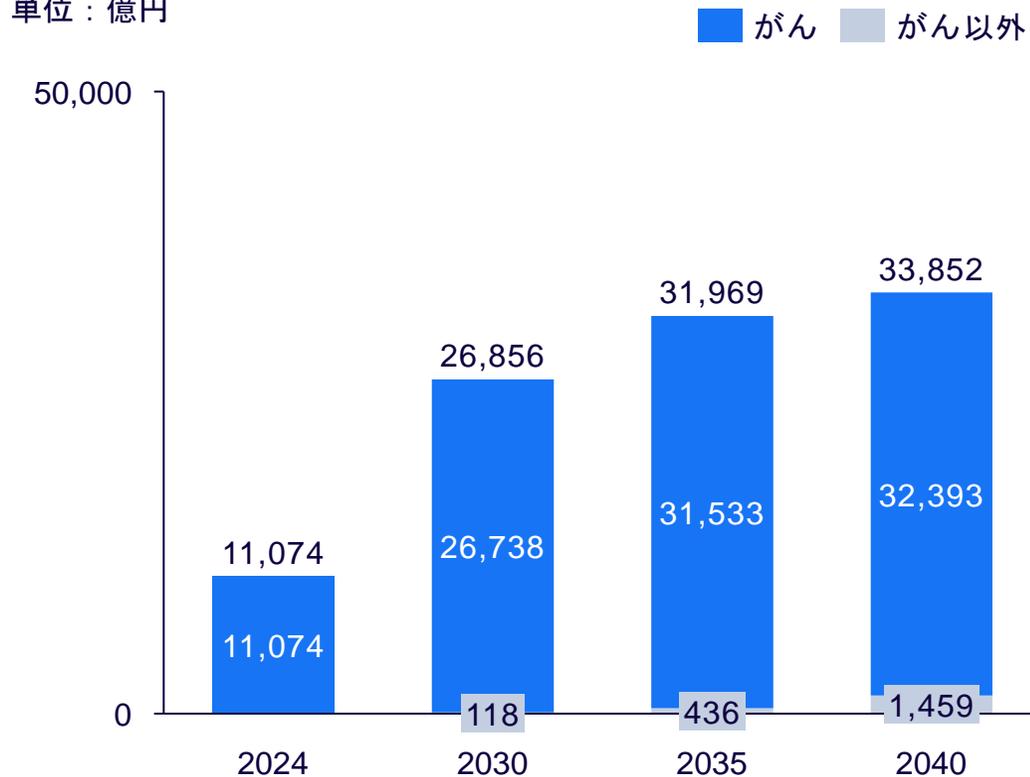


遺伝子改変免疫細胞療法においてはがんがほとんどを占めるが、細胞移植はがん以外のほうが大きい

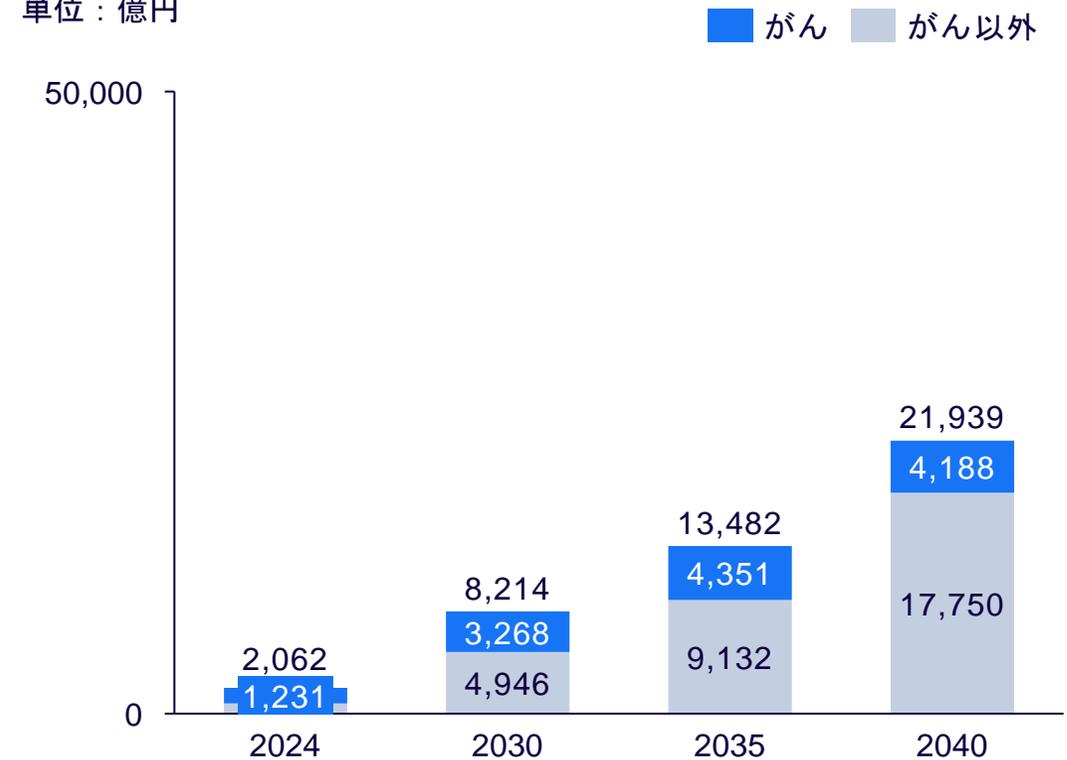
グローバル市場：市場規模推計（遺伝子改変免疫細胞療法）

グローバル市場：市場規模推計（細胞移植）

単位：億円



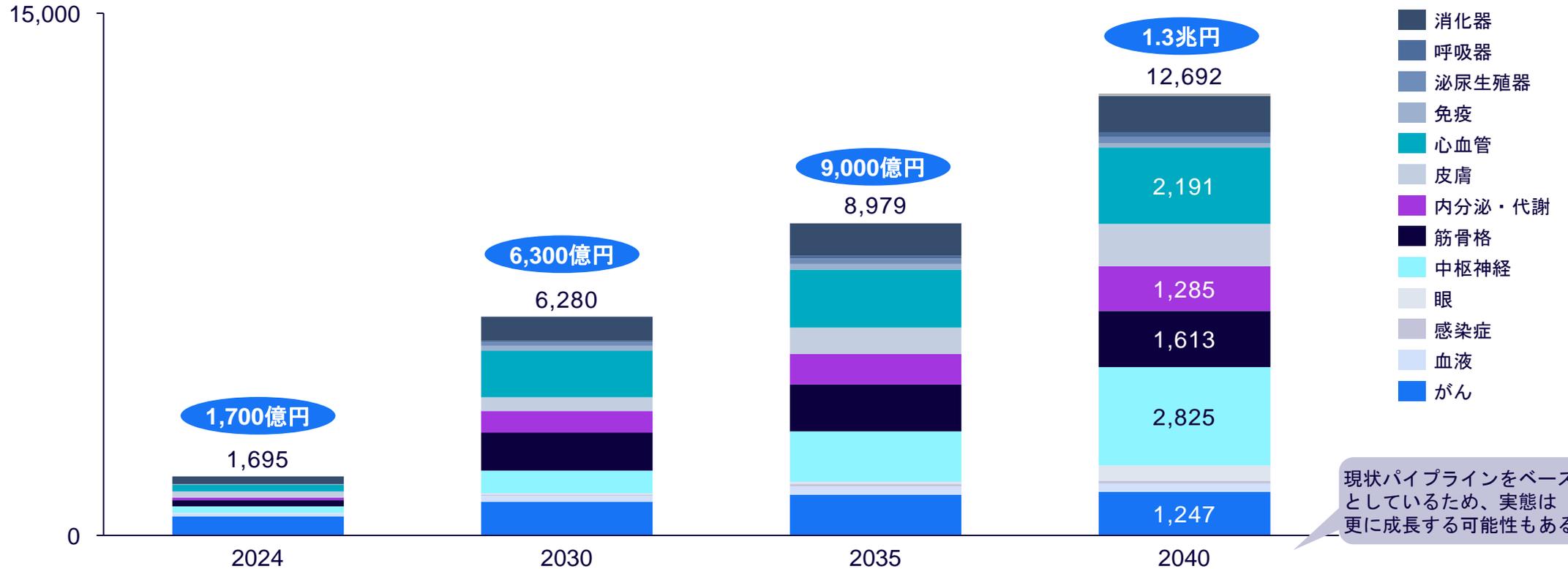
単位：億円



中枢神経や心血管の他、筋骨格、内分泌・代謝、がん領域が市場拡大を牽引し、2030年には6,300億円、2040年には1.3兆円の市場規模に達すると推計

日本企業が開発企業の市場：市場規模推計（疾患別）

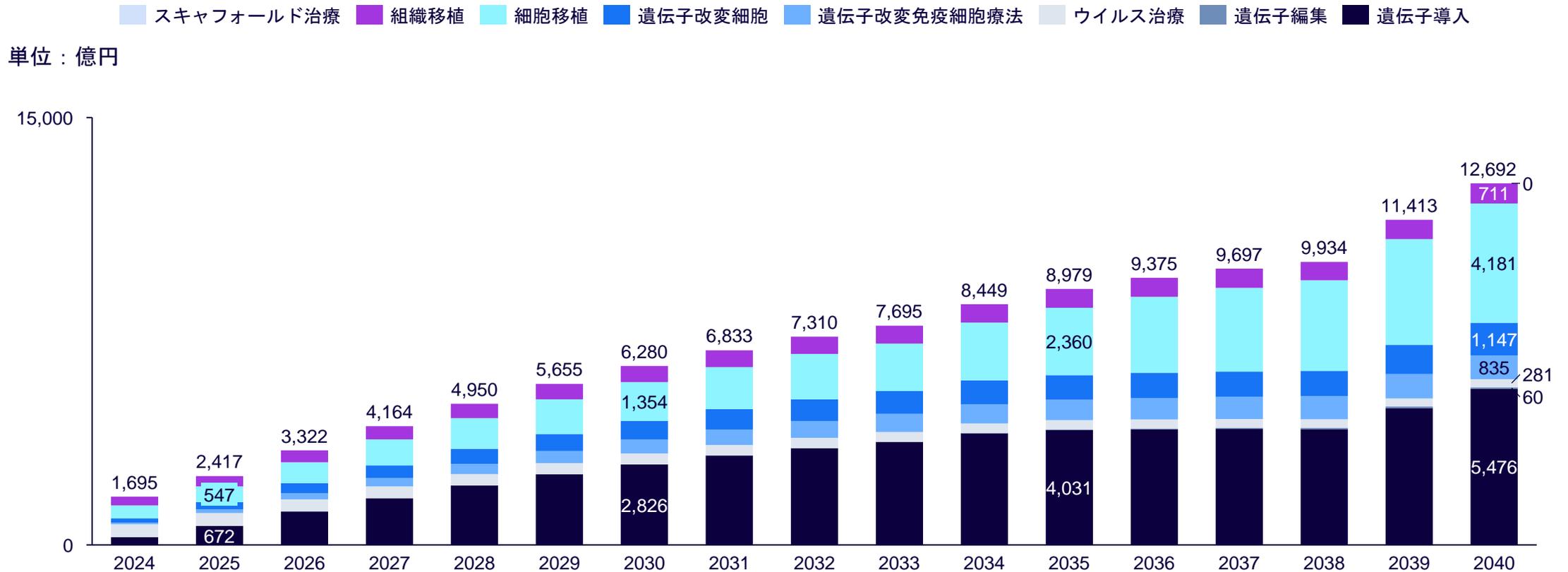
単位：億円



現状パイプラインをベースとしているため、実態は更に成長する可能性もある

遺伝子導入や細胞移植が市場拡大を大きく牽引。スキャフォールド治療、遺伝子編集の拡大余地は限定的な見込み

日本企業が開発企業の市場：市場規模推計（作用機序別）

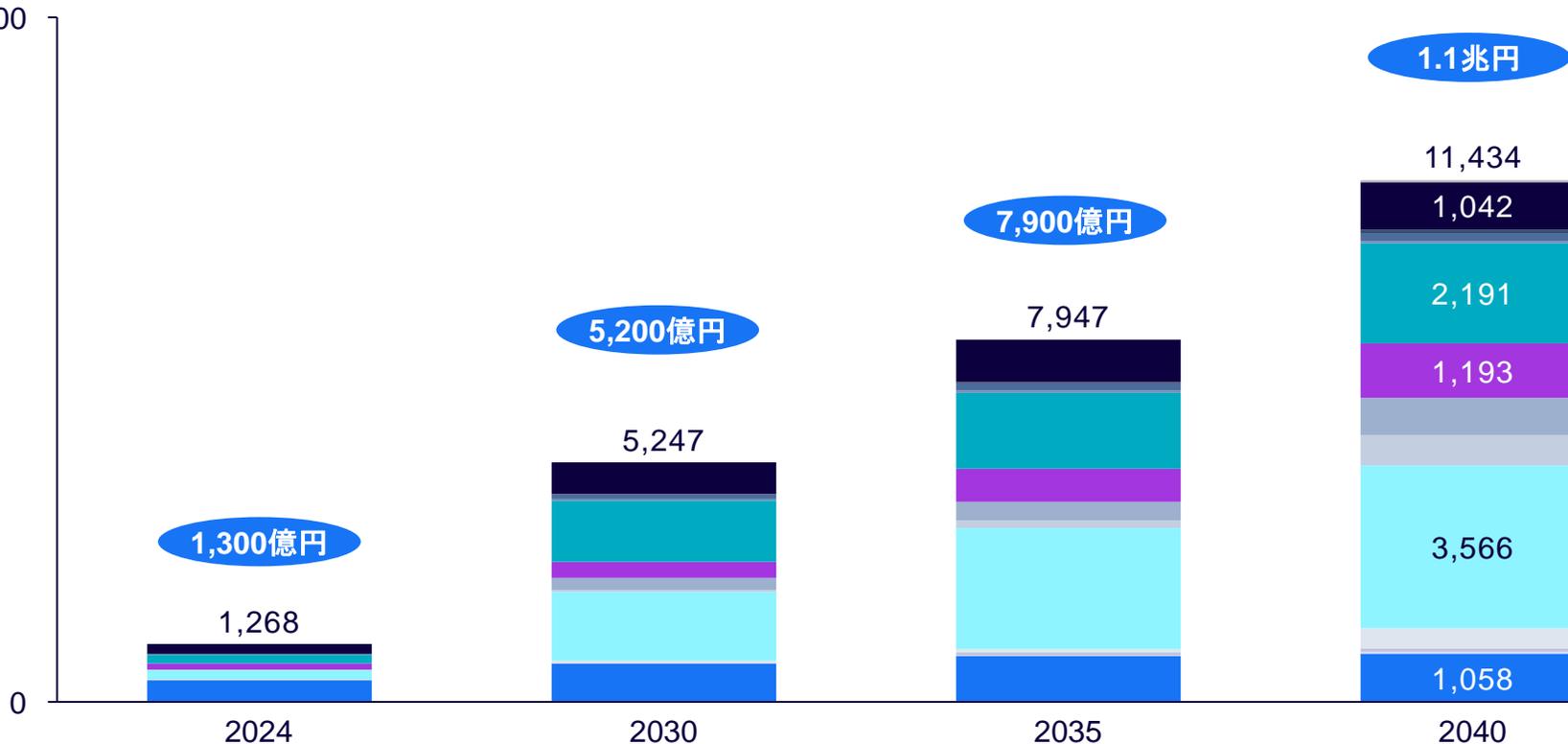


中枢神経や心血管の他、皮膚、がん、消化器領域が市場拡大を牽引し、 2030年には5,200億円、2040年には1.1兆円の市場規模に達すると推計

日本企業が起源企業の市場：市場規模推計（疾患別）

単位：億円

15,000

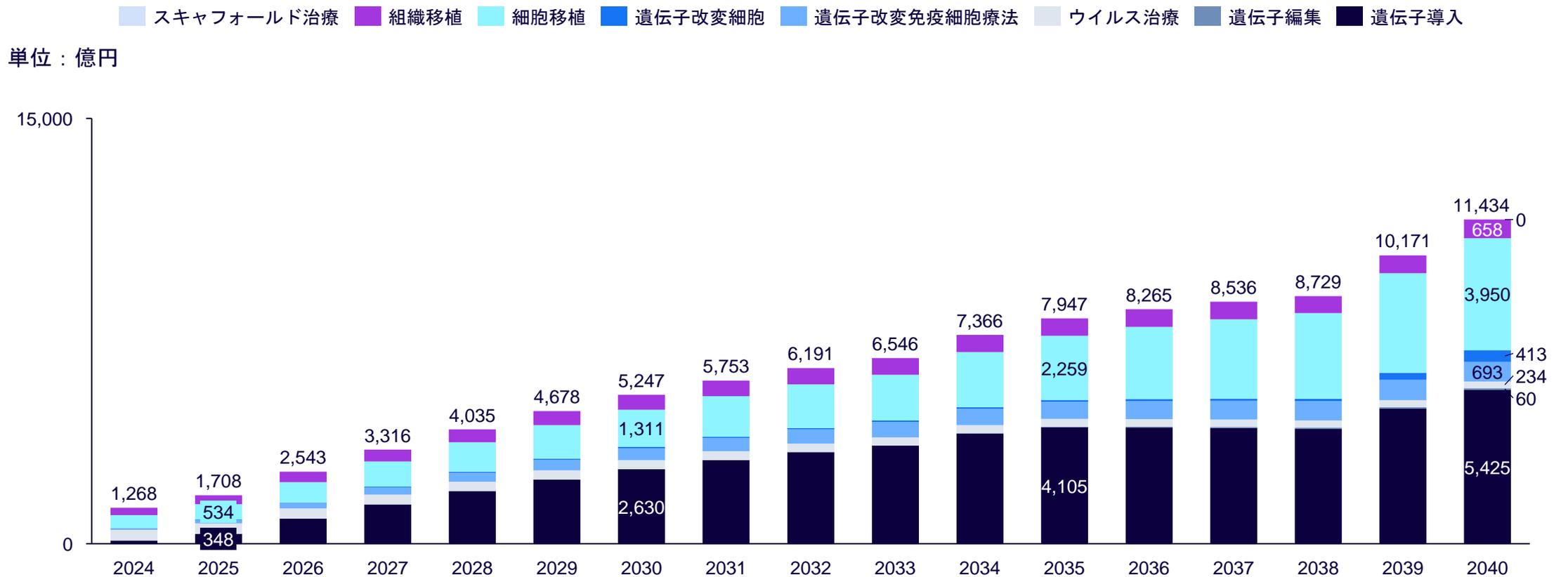


- その他
- 耳鼻
- 消化器
- 呼吸器
- 泌尿生殖器
- 免疫
- 心血管
- 皮膚
- 内分泌・代謝
- 筋骨格
- 中枢神経
- 眼
- 感染症
- 血液
- がん

現状パイプラインをベースとしているため、実態は更に成長する可能性もある

遺伝子導入や細胞移植が市場拡大を大きく牽引。スキャフォールド治療、遺伝子編集の拡大余地は限定的な見込み

日本企業が起源企業の市場：市場規模推計（作用機序別）



Arthur D. Little has been at the forefront of innovation since 1886. We are an acknowledged thought leader in linking strategy, innovation and transformation in technology-intensive and converging industries. We navigate our clients through changing business ecosystems to uncover new growth opportunities. We enable our clients to build innovation capabilities and transform their organizations.

Our consultants have strong practical industry experience combined with excellent knowledge of key trends and dynamics. ADL is present in the most important business centers around the world. We are proud to serve most of the Fortune 1000 companies, in addition to other leading firms and public sector organizations.

For further information please visit www.adlittle.com or www.adl.com.

Copyright © Arthur D. Little Luxembourg S.A. 2024.
All rights reserved.

Contact:

花村 遼 (Partner)
hanamura.ryo@adlittle.com

神田 浩聡 (Manager)
koda.hiroaki@adlittle.com

Arthur D. Little Japan – Tokyo

Shiodome City Center 36F
1-5-2 Higashi Shimbashi, Minato-ku
105-7136 Tokyo
T: +81 3 4550-0201 (Reception)
www.adlittle.com

ARTHUR  LITTLE

THE DIFFERENCE