

開発品・上市品動向調査 市場規模予測 (2025年度版)

最終報告書

2026.4.20

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

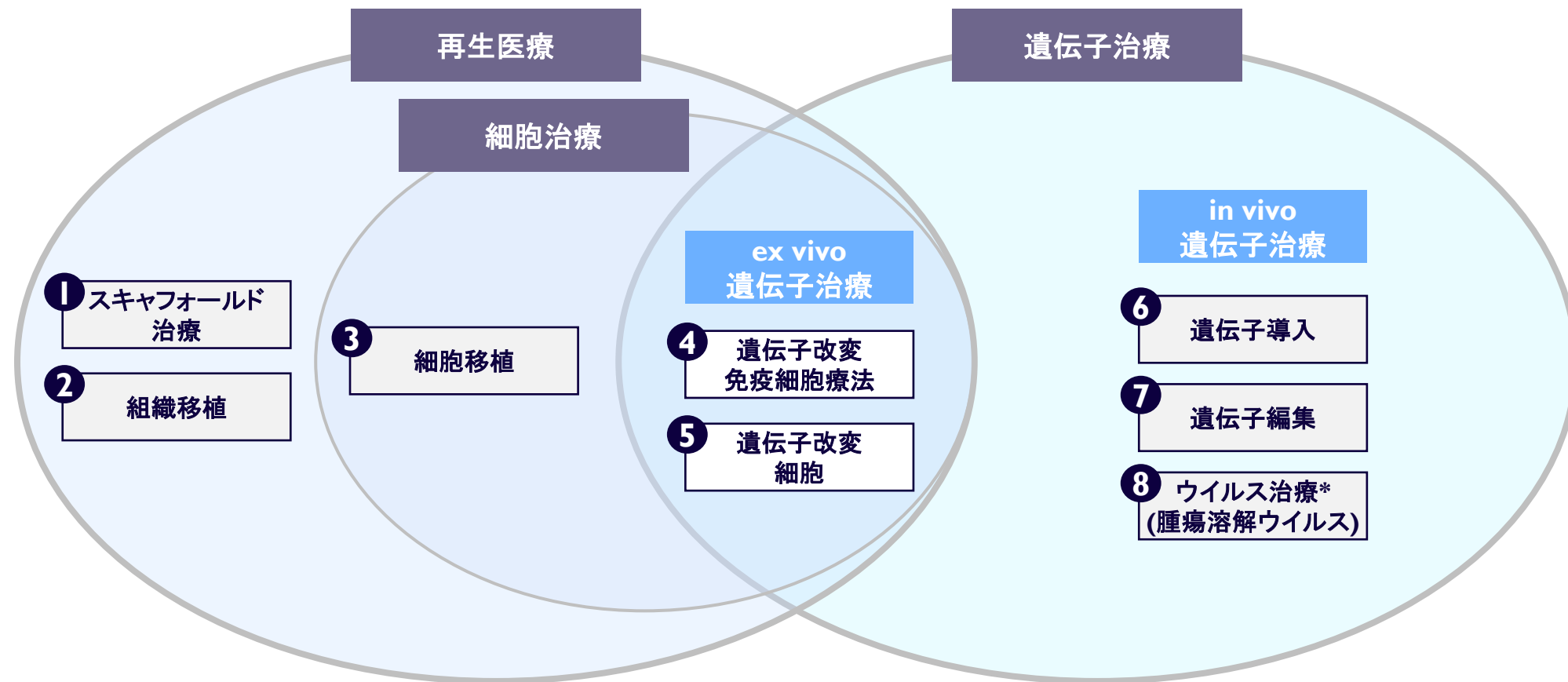
CONTENTS

1	調査の全体像	P3
2	開発品・上市品動向の調査結果	P12
3	市場規模予測の方法	P84
4	市場規模予測結果	P98

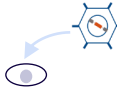
1. 調査の全体像

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



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	 ■ 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	 ■ 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	 ■ 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	 ■ 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 - 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	遺伝子治療
⑤ 遺伝子改変細胞	 ■ 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 - 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	 ■ 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	
⑦ in vivo遺伝子導入	 ■ 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	 ■ 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 - 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	
		ex vivo
		in vivo

今年度版のパイプラインリストを作成し、開発品・上市品動向及び市場規模予測を実施した。

インプット

パイプラインリストの更新

開発品・上市品動向	開発品・上市品動向	開発品・上市品動向	開発品・上市品動向	開発品・上市品動向	開発品・上市品動向
2021	2021	2021	2021	2021	2021
2022	2022	2022	2022	2022	2022
2023	2023	2023	2023	2023	2023
2024	2024	2024	2024	2024	2024
2025	2025	2025	2025	2025	2025
2026	2026	2026	2026	2026	2026
2027	2027	2027	2027	2027	2027
2028	2028	2028	2028	2028	2028
2029	2029	2029	2029	2029	2029
2030	2030	2030	2030	2030	2030
2031	2031	2031	2031	2031	2031
2032	2032	2032	2032	2032	2032
2033	2033	2033	2033	2033	2033
2034	2034	2034	2034	2034	2034
2035	2035	2035	2035	2035	2035
2036	2036	2036	2036	2036	2036
2037	2037	2037	2037	2037	2037
2038	2038	2038	2038	2038	2038
2039	2039	2039	2039	2039	2039
2040	2040	2040	2040	2040	2040
2041	2041	2041	2041	2041	2041
2042	2042	2042	2042	2042	2042
2043	2043	2043	2043	2043	2043
2044	2044	2044	2044	2044	2044
2045	2045	2045	2045	2045	2045
2046	2046	2046	2046	2046	2046
2047	2047	2047	2047	2047	2047
2048	2048	2048	2048	2048	2048
2049	2049	2049	2049	2049	2049
2050	2050	2050	2050	2050	2050
2051	2051	2051	2051	2051	2051
2052	2052	2052	2052	2052	2052
2053	2053	2053	2053	2053	2053
2054	2054	2054	2054	2054	2054
2055	2055	2055	2055	2055	2055
2056	2056	2056	2056	2056	2056
2057	2057	2057	2057	2057	2057
2058	2058	2058	2058	2058	2058
2059	2059	2059	2059	2059	2059
2060	2060	2060	2060	2060	2060
2061	2061	2061	2061	2061	2061
2062	2062	2062	2062	2062	2062
2063	2063	2063	2063	2063	2063
2064	2064	2064	2064	2064	2064
2065	2065	2065	2065	2065	2065
2066	2066	2066	2066	2066	2066
2067	2067	2067	2067	2067	2067
2068	2068	2068	2068	2068	2068
2069	2069	2069	2069	2069	2069
2070	2070	2070	2070	2070	2070
2071	2071	2071	2071	2071	2071
2072	2072	2072	2072	2072	2072
2073	2073	2073	2073	2073	2073
2074	2074	2074	2074	2074	2074
2075	2075	2075	2075	2075	2075
2076	2076	2076	2076	2076	2076
2077	2077	2077	2077	2077	2077
2078	2078	2078	2078	2078	2078
2079	2079	2079	2079	2079	2079
2080	2080	2080	2080	2080	2080
2081	2081	2081	2081	2081	2081
2082	2082	2082	2082	2082	2082
2083	2083	2083	2083	2083	2083
2084	2084	2084	2084	2084	2084
2085	2085	2085	2085	2085	2085
2086	2086	2086	2086	2086	2086
2087	2087	2087	2087	2087	2087
2088	2088	2088	2088	2088	2088
2089	2089	2089	2089	2089	2089
2090	2090	2090	2090	2090	2090
2091	2091	2091	2091	2091	2091
2092	2092	2092	2092	2092	2092
2093	2093	2093	2093	2093	2093
2094	2094	2094	2094	2094	2094
2095	2095	2095	2095	2095	2095
2096	2096	2096	2096	2096	2096
2097	2097	2097	2097	2097	2097
2098	2098	2098	2098	2098	2098
2099	2099	2099	2099	2099	2099
2100	2100	2100	2100	2100	2100

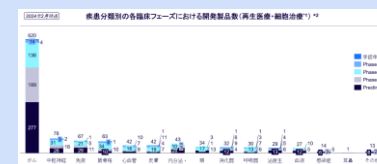
- 過去リストを更新
 - 既存情報の更新
 - 既存掲載企業・新規企業の新規パイプラインの追加

パイプライン数を
カウント

パイプライン数を
算出に使用

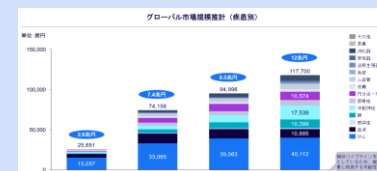
アウトプット

開発品・上市品動向



- 上市品の分析
- 開発品のモダリティ・疾患・細胞種/ベクター種・地域別分析

市場規模予測



- グローバル市場
- 日本市場

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
既存掲載 パイプラインの 開発情報の更新	1. 明日の新薬及びEvaluate Pharma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等でその他の情報を確認して更新	• 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
パイプライン ロングリストの 拡充	1. 明日の新薬及びEvaluate Pharma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やClinicalTrials.gov等の情報より必要情報を取得 3. 不足する情報に関しては、その他のウェブサイト、論文等により情報を取得	

以下の点に留意が必要。

本分析結果を活用するにあたっての留意点

- 本年度から追加された開発企業とその保有パイプラインが含まれるため、昨年度版と単純な数字の比較はできない
 - ロングリストの網羅性を高めるため、明日の新薬及びEvaluate Pharmaの最新データをもとに、新規企業追加を実施
 - 昨年度ロングリストには掲載されていなかった新規企業が保有する開発品が本年度ロングリストには含まれるため、昨年度版との単純な数字の比較はできない
- ロングリストの情報収集期間は2026年1月～2026年3月
 - 調査期間中にパイプライン状況のアップデートがあったものに関しては、一部反映ができていない可能性がある

上市品動向（再生医療・細胞治療）

- 日米欧のいずれかで上市されているex vivo遺伝子治療＋組織移植・細胞移植製品は計70品程度。
 - ex vivo遺伝子治療：19製品。組織移植・細胞移植：48製品。
- 再生医療・細胞治療の上市品は米国、欧州、日本の順で多く、自家細胞が主流。

開発品動向（再生医療・細胞治療）

- 再生医療・細胞治療の開発品はがん領域を対象としたものが過半。その他では中枢神経、免疫、筋骨格領域でも開発が活発。モダリティとしては、遺伝子改変免疫細胞療法に次いで細胞移植の開発品が多く、この二つで全体の大半を占める。
- がん領域においては自家細胞の方が開発品が多いが、その他の領域では他家細胞の方が開発品が多い。ex vivo遺伝子治療においては自家細胞が主流なのに対し、細胞移植・組織移植は他家が主流。
- 免疫細胞を用いた製品が最も多く、がんや免疫領域で主に使用される。その他の疾患領域においては幹細胞・前駆細胞や最終分化細胞が主流。
 - 細胞移植：がん及び感染症領域では免疫細胞が主流だが、その他の主な領域では幹細胞・前駆細胞が主流。
 - 組織移植：最終分化細胞が主流であることが特徴。
 - 遺伝子改変免疫細胞療法：殆どがん及び免疫領域の免疫細胞だが、一部iPS細胞も用いられる。
 - 遺伝子改変細胞：満遍なく用いられているが、血液領域の幹細胞・前駆細胞が最も多い。
- 再生医療・細胞治療の開発品数は米国、中国、欧州の順で多い。いずれのモダリティ・フェーズにおいても米国と欧州が多い傾向であるが、特徴的な国は以下。
 - 日本は細胞移植・組織移植共に後期臨床の製品数が他国・地域よりも多い傾向。特に、組織移植に関しては後期臨床の開発品が全地域の中でも最も多い。
 - 中国は遺伝子改変免疫細胞療法の開発品数が米国に次ぐ二位。その大部分が前期臨床であるものの、後期臨床の開発品も存在し、開発が進展している。

iPS細胞の開発品動向

- 中枢神経・心血管・眼領域等のアンメットメディカルニーズが大きな疾患や、非iPS細胞由来製品の上市品が存在する疾患にて開発が進んでいる。
- がん領域の開発品が全体の3割を占める。がん領域の中では他家細胞の開発品が大半。モダリティとしては細胞移植を対象としたものが多いが、次点として遺伝子改変免疫細胞療法も一定存在。
- iPS細胞由来の開発品は米国、中国、日本の順に多い。米国では遺伝子改変免疫細胞療法の開発品が主だが、日本においては細胞移植の開発品がメイン。

上市品動向 (in vivo遺伝子治療)

- 日米欧のいずれかで上市されているin vivo遺伝子治療製品は計16品。
 - 遺伝子導入：14製品。ウイルス治療：2製品。
- in vivo遺伝子治療の上市品数は米国、欧州、日本の順に多い。

開発品動向 (in vivo遺伝子治療)

- in vivo遺伝子治療においては、がんに加え、中枢神経や内分泌・代謝、眼科領域においても開発が活発
- アデノ随伴ウイルス (AAV) を用いた開発品が最も多い。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。
- 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。
 - 遺伝子導入：がんは様々なベクター、その他主要領域では主にAAVが用いられる。
 - 遺伝子編集：AAVに加え、RNAを用いた開発品が多いのが特徴。
 - ウイルス治療：開発品はがん領域に集中。ベクターはアデノウイルスや単純ヘルペスウイルスが中心。

開発品動向 (in vivo遺伝子治療) 続き

- in vivo遺伝子治療の開発品数は米国、欧州、中国の順で多い。いずれのモダリティ・フェーズにおいても米国、欧州、中国が多い傾向であるが、特徴的な国、モダリティは以下。
 - 日本は遺伝子導入の後期臨床開発品が多い。

市場規模の推計

- グローバル市場：がんだけでなく、中枢神経や内分泌・代謝、眼科、筋骨格領域が市場拡大を牽引し、2030年には約7.0兆円、2040年には約12.5兆円の市場規模に達すると推計。
- 日本市場：がんだけでなく、中枢神経や眼科領域、筋骨格領域が市場拡大を牽引し、2030年には約1,510億円、2040年には約4,400億円の市場規模に達すると推計。
- グローバル市場、日本市場いずれも、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。

昨年度とのデータ比較の留意点

- 2024年度と比較し、2025年度市場規模推計ではパイプラインリストの開発品数の大幅な増加に伴い、市場規模の値が上振れしている。開発品数増の背景として、Evaluate Pharmaデータベースに2025年度から中国、韓国、中東の開発品データが多数追加されており、データベースの調査範囲が拡大した可能性がある。

2. 開発品・上市品動向の調査結果

本章で「再生医療・細胞治療」及び「in vivo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「in vivo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

in vivo遺伝子治療

- 遺伝子導入
- 遺伝子編集
- ウイルス治療

CONTENTS

- 1 調査の全体像
- 2 開発品・上市品動向の調査結果
 - 再生医療・細胞治療の上市品動向
 - 再生医療・細胞治療の開発品動向
 - iPS細胞の開発品動向
 - in vivo遺伝子治療の上市品動向
 - in vivo遺伝子治療の開発動向
- 3 市場規模予測の方法
- 4 市場規模予測結果

日欧米のいずれかの国/地域で上市されている遺伝子改変免疫細胞療法製品は計9品目。

2026年3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（小児、若 年成人）、びまん 性大細胞型B細胞 性リンパ腫、濾胞 性リンパ腫	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、濾 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
Tecartus	Gilead Sciences	Kite Pharma	自家T細胞	レトロウイルス	がん	マントル細胞 リンパ腫、急 性リンパ性白 血病	米・欧/2020年	米：37万3,000ドル/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、マントル 細胞リンパ腫、慢 性リンパ性白血病	日・米/2021年 欧州/2022年	米：41万300ドル/回 日：3264万円/回

日欧米のいずれかの国/地域で上市されている遺伝子改変免疫細胞療法製品は計9品目。

2026年3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
Qartemi	Immuneel Therapeutics	Immuneel Therapeutics	自家T細胞	レンチウイルス	がん	急性リンパ性白血病	スペイン/2021年	不明
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 日本/2022年	米：41万9500ドル/回 日：3264万円/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	米：46万5,000ドル/回
Tecelra	Adaptimmune	Adaptimmune	自家T細胞	レンチウイルス	がん	滑膜肉腫	米国/2024年	米：72万7,000ドル/回

日欧米のいずれかの国/地域で上市されている遺伝子改変免疫細胞療法製品は計9品目。

2026年3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
Aucatzyl	Autolus	Aucatzyl	自家T細胞	レンチウイルス	がん	急性リンパ性 白血病	米国/2024年	米：52万5,000ドル/回

日欧米のいずれかの国/地域で上市されている遺伝子改変細胞製品は計10品目。

2026年3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
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
Libmeldy ^{*1}	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 米国/2024年	欧：280万ポンド/回 米：425万ドル/回

^{*1}：米国での商品名はLenmeldy
出所：日経バイオテク、国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子医薬部ホームページ、各社ウェブサイトを基にアーサー・ディ・リトル作成

日欧米のいずれかの国/地域で上市されている遺伝子改変細胞製品は計10品目。

2026年3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
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、鎌状赤血球症	英・米/2023年 欧州/2024年	220万ドル
Encelto	Neurotech Pharmaceuticals	Neurotech Pharmaceuticals	網膜色素上皮細胞	DNAプラスミド	眼	黄斑部毛細血管拡張症2型	米国/2024年	不明*1
Zevaskyn	Abeona Therapeutics	Abeona Therapeutics	角化細胞	レトロウイルス	皮膚	常染色体劣性栄養障害型表皮水疱症	米国/2025年	310万ドル

CRISPR/Cas9による遺伝子編集

*1：処方情報を扱うWebサイトにおいて、20～44万ドルとの記載あり
出所：日経バイオテック、国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子医薬部ホームページ、各社ウェブサイトを基にアーサー・ディ・リトル作成

日欧米のいずれかの国/地域で上市されている遺伝子改変細胞製品は計10品目。

2026年3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
Waskyra	Fondazione Telethon	Fondazione Telethon	自家造血幹細胞/ 前駆体細胞	レンチウイルス	免疫	Wiskott- Aldrich症候群	米国/2025年 欧州/2025年	不明
リハート	クオリプス	クオリプス	iPS細胞	エピソードベク ター	心血管	重症心不全	日本/2026年	未収載

日欧米のいずれかで上市された細胞移植製品は計22製品。

2026年3月時点

細胞移植の上市製品（日欧米いずれかで上市されたもの）*1

製品名・開発コード	開発企業	起源企業	使用細胞腫	自家/他家細胞	疾患領域	国/地域名*2
HPC, Cord Blood	Bloodworks	Bloodworks	幹細胞・前駆細胞	他家細胞	がん	米国
Tab-cel	Atara Biotherapeutics	Atara Biotherapeutics	免疫細胞	他家細胞	がん	欧州
Provenge	Dendreon	Dendreon	免疫細胞	自家細胞	がん	米国
Omisirge	Gamida Cell	Gamida Cell	幹細胞・前駆細胞	他家細胞	がん	米国
Amtagvi (Lifileucel)	Iovance Biotherapeutics	Iovance Biotherapeutics	免疫細胞	自家細胞	がん	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
Cartilink-3	Interface Biotech	Interface Biotech	最終分化細胞	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
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
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	欧州、日本
KYSLECEL	Orgenesis	Koligo Therapeutics	最終分化細胞	自家細胞	消化器	米国
アクーゴ (SB623)	サンバイオ	サンバイオ	幹細胞・前駆細胞	他家細胞	中枢神経	日本
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
ECCI-50	cytori	cytori	幹細胞・前駆細胞	自家細胞	泌尿生殖器	日本
Mukocell	UroTiss Europe	UroTiss Europe	最終分化細胞	自家細胞	泌尿生殖器	欧州
RECELL	Avita Medical	Avita Medical	最終分化細胞	自家細胞	皮膚	米国、欧州、日本、中国
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, Mesoblast	Osiris Therapeutics	幹細胞・前駆細胞	他家細胞	免疫	日本
LAVIV(azficel-T)	Castle Creek Biosciences	Fibrocell Science	最終分化細胞	自家細胞	皮膚	米国
アムシェプリ	住友ファーマ	住友ファーマ	iPS細胞	他家細胞	中枢神経	日本
Zemcelpro	ExCellThera	ExCellThera	最終分化細胞	他家細胞	がん	欧州

*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、条件付き承認を含む。*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上市された組織移植製品は計26製品。

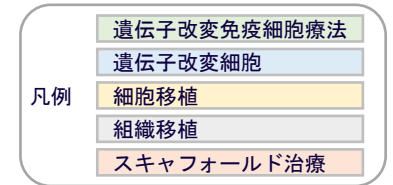
2026年3月時点

組織移植の上市製品（日欧米いずれか上市されたもの）*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）	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
自家培養口腔粘膜上皮（オキュラル）	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
Osteocel Plus	Nuvasive	Nuvasive	幹細胞・前駆細胞	他家細胞	筋骨格	米国
Osteocel Pro	Nuvasive	Nuvasive	幹細胞・前駆細胞	他家細胞	筋骨格	米国
Chondrosphere	co.don	co.don	最終分化細胞	自家細胞	筋骨格	欧州
Cartiform	Smith & Nephew, Osiris Therapeutics	Osiris Therapeutics	最終分化細胞	他家細胞	筋骨格	米国
CaReS	Arthro Kinetics	Arthro Kinetics	最終分化細胞	自家細胞	筋骨格	欧州
自家培養軟骨（ジャック）	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
Gintuit	Organogenesis	Organogenesis	最終分化細胞	他家細胞	消化器	米国
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
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
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	最終分化細胞	他家細胞	皮膚	米国
CryoSkin	Tissue & Cell Technologies	Tissue & Cell Technologies	最終分化細胞	他家細胞	皮膚	欧州
MySkin	Tissue & Cell Technologies	Tissue & Cell Technologies	最終分化細胞	自家細胞	皮膚	欧州
StrataGraft	Mallinckrodt	Mallinckrodt	最終分化細胞	自家細胞	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 Medical	最終分化細胞	他家細胞	皮膚	米国、欧州
Epicel	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）	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
RETHYMIC	住友ファーマ	Enzyvant Therapeutics	最終分化細胞	自家細胞	免疫	米国
MACI	Vericel	Genzyme	最終分化細胞	自家細胞	筋骨格	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、日本の順で多い。



2026年3月時点

地域別の再生医療・細胞治療*1上市品数*2

米国	51件	欧州	34件	日本	21件	中国	8件	台湾	1件	韓国	12件	東南アジア	1件
がん	8	4	8	2	5	6		がん		がん	1	1	がん
血液	3	1	血液	1	血液		血液	血液		血液		血液	血液
感染症			感染症		感染症		感染症	感染症		感染症		感染症	感染症
眼	1		眼	1	眼	1	3	眼		眼		眼	眼
中枢神経	1		中枢神経		中枢神経	3		中枢神経		中枢神経	1		中枢神経
筋骨格		1	筋骨格	2	筋骨格	1		筋骨格	1	筋骨格		1	筋骨格
内分泌・代謝	1	1	内分泌・代謝	1	内分泌・代謝			内分泌・代謝		内分泌・代謝			内分泌・代謝
皮膚	1	2	皮膚	2	皮膚	1	2	皮膚	1	皮膚	2	2	皮膚
心血管		1	心血管		心血管	1		心血管		心血管	2		心血管
免疫	1	1	免疫	2	免疫	1		免疫		免疫			免疫
泌尿生殖器			泌尿生殖器	1	泌尿生殖器	1		泌尿生殖器		泌尿生殖器			泌尿生殖器
呼吸器			呼吸器		呼吸器			呼吸器		呼吸器			呼吸器
消化器	1	1	消化器	1	消化器	1		消化器		消化器	2		消化器
耳鼻			耳鼻		耳鼻			耳鼻		耳鼻			耳鼻
その他			その他		その他			その他		その他			その他
インド	11件	カナダ	9件	中南米	0件	イスラエル	0件	オーストラリア	4件	アフリカ	0件	その他	2件
がん	2	1	がん	3	1	がん		がん		がん		がん	
血液			血液			血液		血液		血液		血液	
感染症			感染症			感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		2	眼			眼		眼		眼		眼	
中枢神経			中枢神経	1	1	中枢神経		中枢神経	1	中枢神経		中枢神経	1
筋骨格	4		筋骨格			筋骨格		筋骨格	1	筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚			皮膚	2		皮膚		皮膚	1	皮膚		皮膚	
心血管	1		心血管			心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫			免疫	1		免疫		免疫	1	免疫		免疫	1
泌尿生殖器	1		泌尿生殖器			泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器			呼吸器			呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器			消化器			消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻			耳鼻			耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他			その他			その他		その他		その他		その他	

*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サー・ディ・リトル作成

上市品は自家細胞が現状の主流であり、上市品数の多い米国、欧州、日本においてもその傾向は同様である。

2026年3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

細胞 分類	自家細胞使用製品数
	他家細胞使用製品数

米国	37件	欧州	30件	日本	20件	中国	8件	台湾	1件	韓国	12件	東南アジア	0件
がん	10	2	がん	8	2	がん	5	がん		がん	2	がん	
血液	3	1	血液	1		血液		血液		血液		血液	
感染症			感染症			感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		1	眼	1		眼	3	眼		眼		眼	
中枢神経	1		中枢神経		1	中枢神経	1	中枢神経		中枢神経	1	中枢神経	
筋骨格	1	3	筋骨格	4	2	筋骨格	1	筋骨格	1	筋骨格	1	筋骨格	
内分泌・代謝	2		内分泌・代謝	1		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚	5	4	皮膚	4	4	皮膚	3	皮膚	1	皮膚	3	皮膚	
心血管			心血管		1	心血管		心血管		心血管	2	心血管	
免疫	2		免疫	2	1	免疫		免疫	1	免疫		免疫	
泌尿生殖器			泌尿生殖器	2		泌尿生殖器	1	泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器			呼吸器			呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器	1	1	消化器		1	消化器		消化器		消化器	2	消化器	
耳鼻			耳鼻			耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他			その他			その他		その他		その他		その他	

インド	11件	カナダ	8件	中南米	0件	イスラエル	0件	オーストラリア	3件	アフリカ	0件	その他	1件
がん	3	4	がん		がん		がん	がん		がん		がん	
血液			血液		血液		血液	血液		血液		血液	
感染症			感染症		感染症		感染症	感染症		感染症		感染症	
眼	2		眼		眼		眼	眼		眼		眼	
中枢神経			中枢神経	1	中枢神経		中枢神経	中枢神経		中枢神経		中枢神経	
筋骨格	2	2	筋骨格		筋骨格		筋骨格	筋骨格	1	筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝			内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚			皮膚	2	皮膚		皮膚	皮膚	1	皮膚		皮膚	
心血管		1	心血管		心血管		心血管	心血管		心血管		心血管	
免疫			免疫	1	免疫		免疫	免疫	1	免疫		免疫	1
泌尿生殖器	1		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器			呼吸器		呼吸器		呼吸器	呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器			消化器		消化器		消化器	消化器		消化器		消化器	
耳鼻			耳鼻		耳鼻		耳鼻	耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他			その他		その他		その他	その他		その他		その他	

*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。

CONTENTS

1 調査の全体像

2 開発品・上市品動向の調査結果

再生医療・細胞治療の上市品動向

再生医療・細胞治療の開発品動向

全体像

自家・他家別分析

細胞種別分析

開発エリア別分析

iPS細胞の開発品動向

in vivo遺伝子治療の上市品動向

in vivo遺伝子治療の開発動向

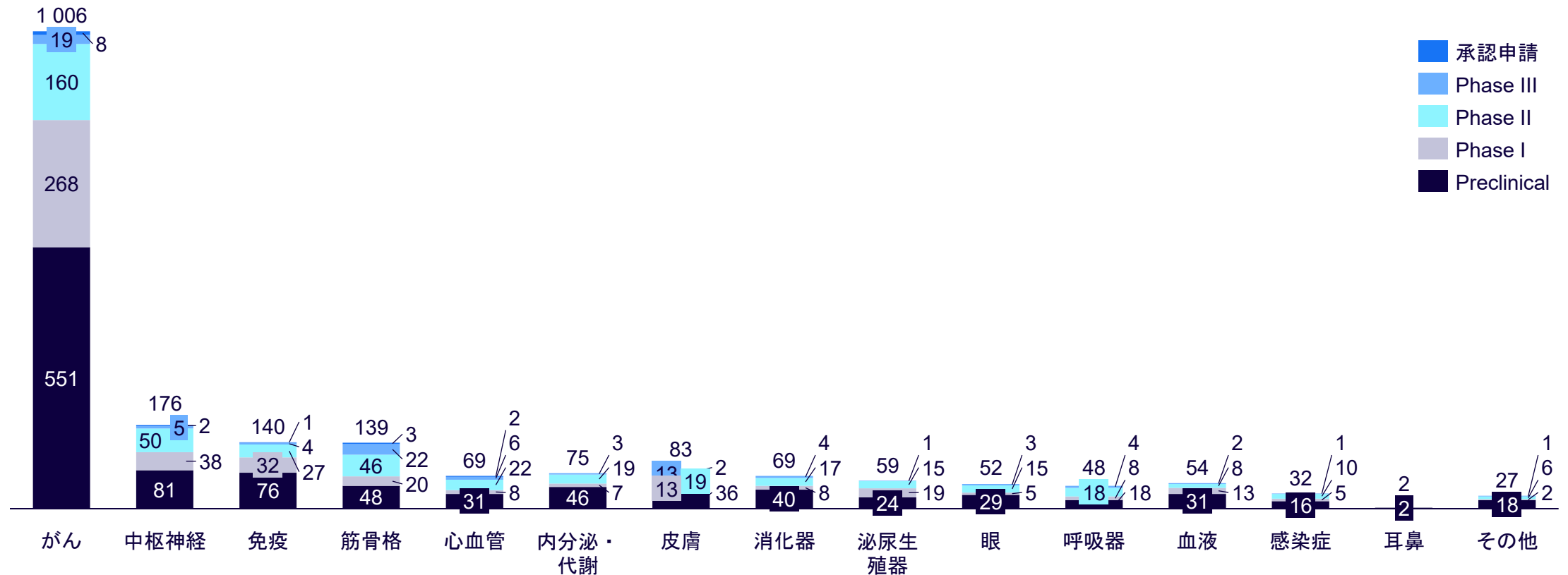
3 市場規模予測の方法

4 市場規模予測結果

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。

2026年1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

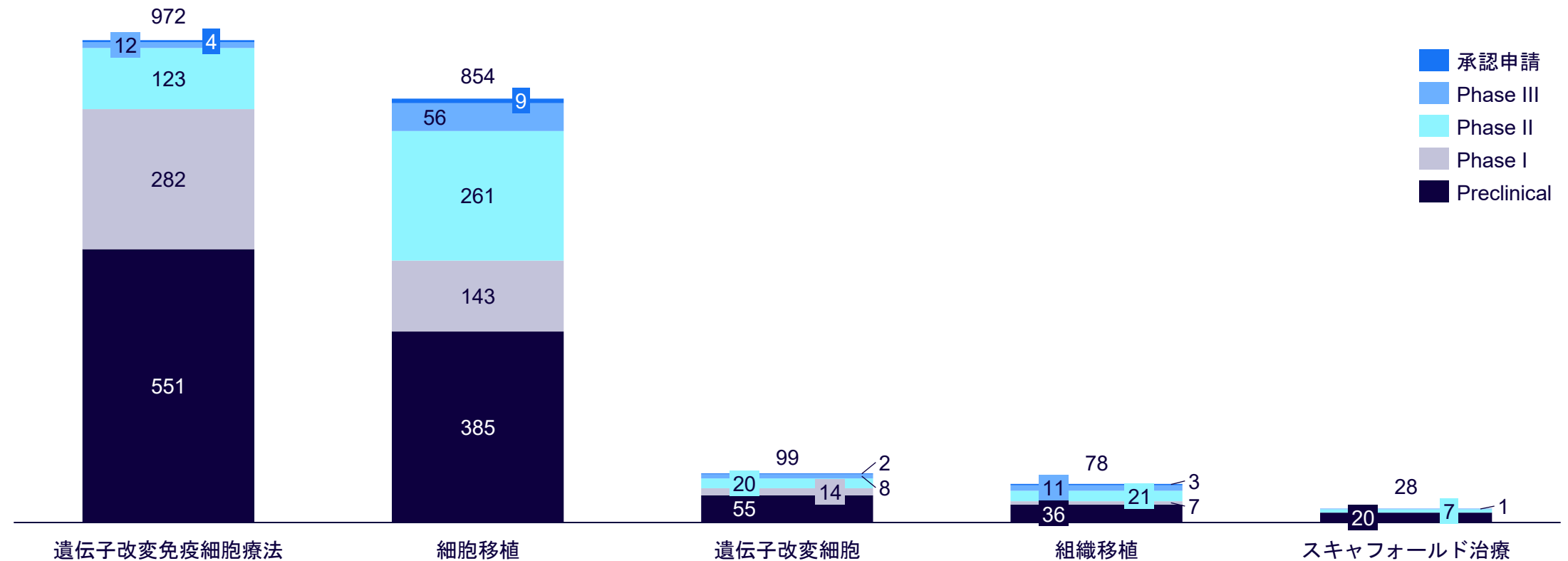


*1: スキャフォールド治療を含む。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。Phase I/IIはPhase II, Phase III/IIIはPhase IIIとしてカウント

モダリティ別では、遺伝子改変免疫細胞療法と細胞移植が過半を占める。

2026年1月時点

モダリティ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/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

CONTENTS

1 調査の全体像

2 開発品・上市品動向の調査結果

再生医療・細胞治療の上市品動向

再生医療・細胞治療の開発品動向

全体像

自家・他家別分析

細胞種別分析

開発エリア別分析

iPS細胞の開発品動向

in vivo遺伝子治療の上市品動向

in vivo遺伝子治療の開発動向

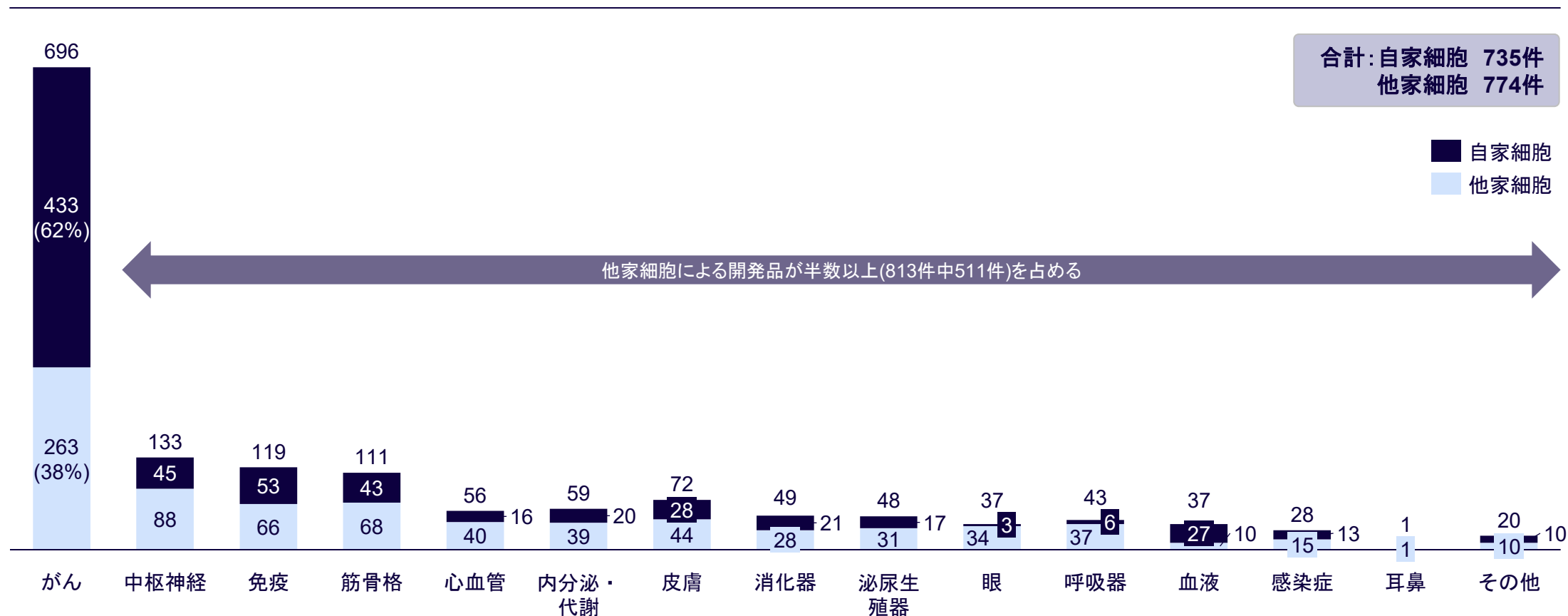
3 市場規模予測の方法

4 市場規模予測結果

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方が約6割で主流。

2026年1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

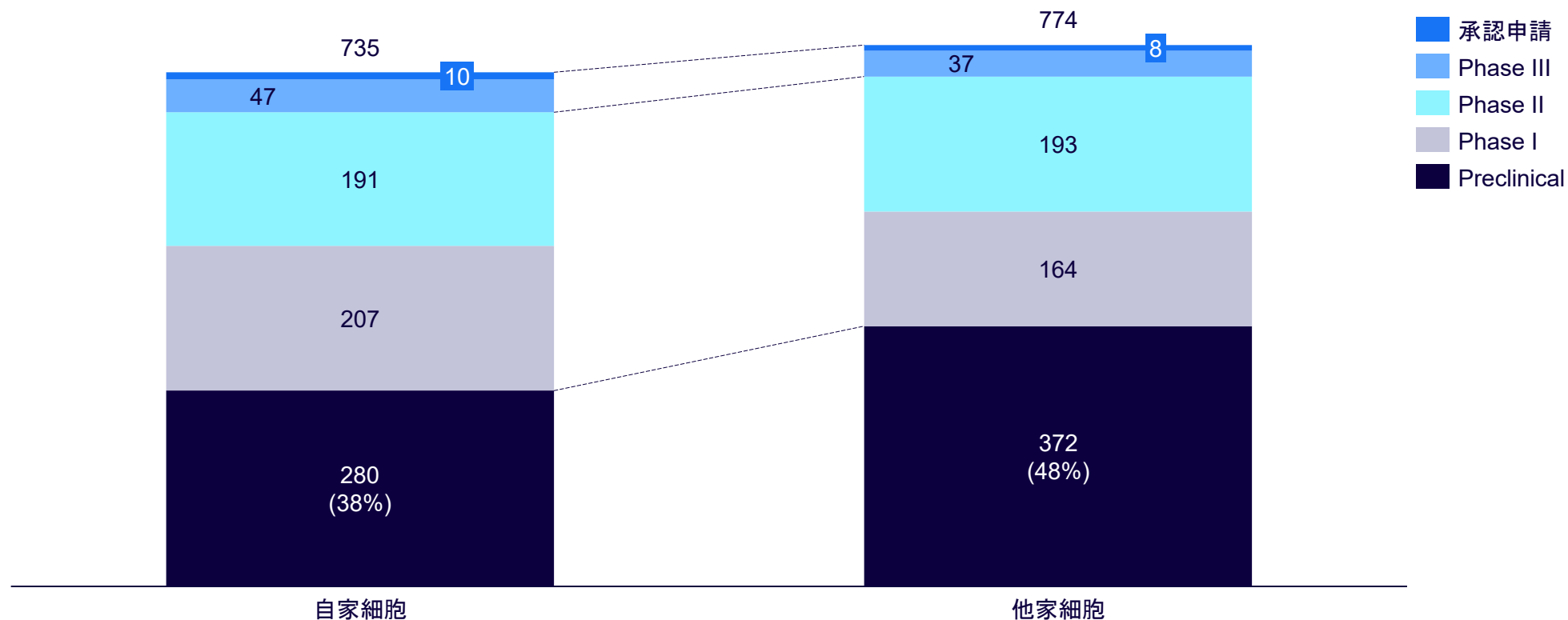


*1: 細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

自家・他家で後期臨床入りしているパイプラインの絶対数は大差ない。一方、前臨床の製品数は他家の方が多く、割合としても約半数を占める。

2026年1月時点

自家他家別 X 臨床フェーズ別の開発動向(再生医療・細胞治療*1) *2

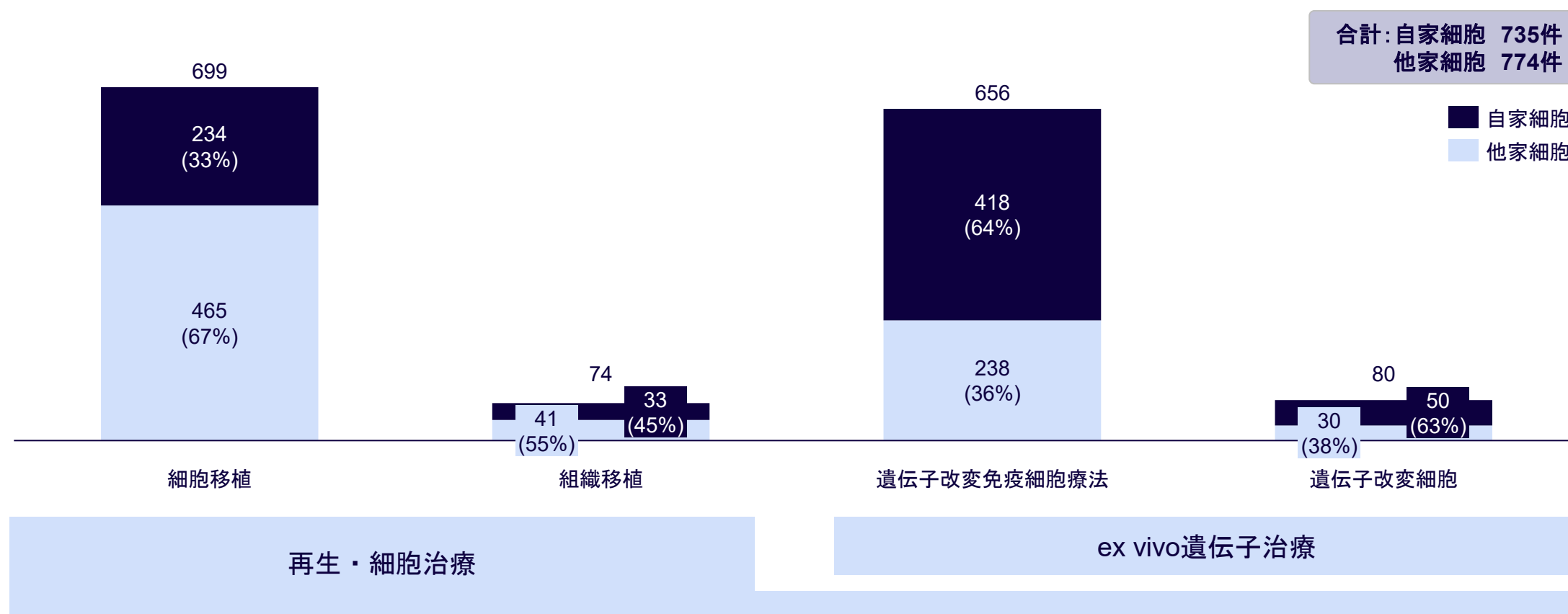


*1: 細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

ex vivo遺伝子治療の遺伝子免疫改変細胞療法及び遺伝子改変細胞においては自家が主流なのに対し、細胞移植や組織移植は他家が主流。

2026年1月時点

モダリティ x 自家/他家別の開発動向(再生医療・細胞治療*1) *2

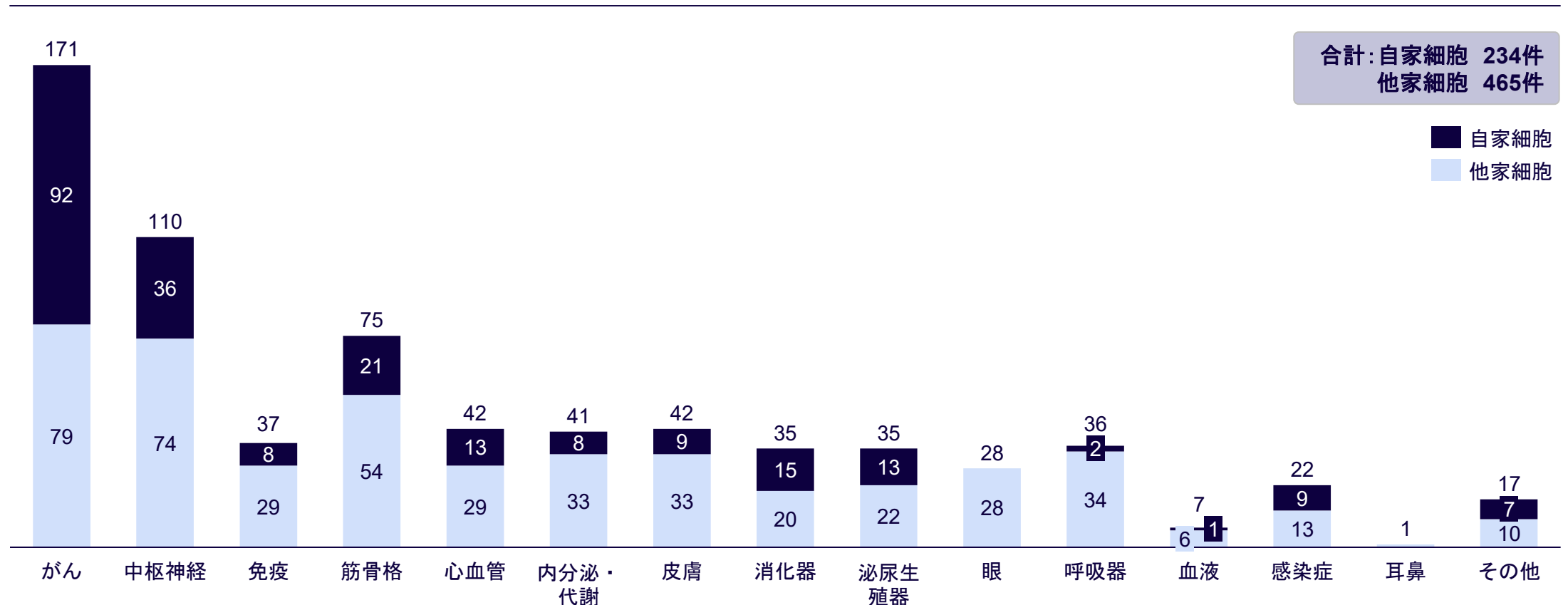


*1: 細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

細胞移植は、がん領域での開発品が最も多く、自家細胞のほうがやや多い。その他領域では他家細胞が主流。

2026年1月時点

疾患分類 x 自家/他家別の開発動向(細胞移植^{*1}) ^{*2}

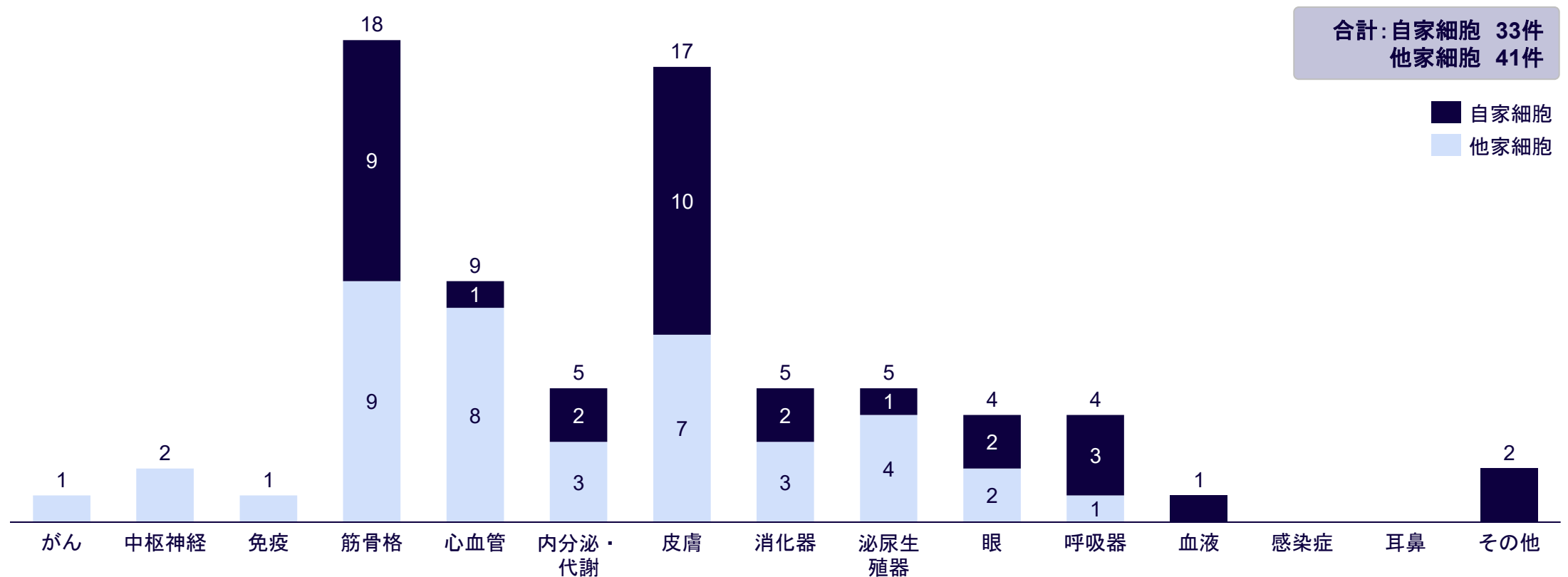


^{*1}: 細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。^{*2}: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

組織移植は、筋骨格領域での開発品が最も多く、本領域では自家細胞と他家細胞が同等。
皮膚領域では自家細胞が主流となっている。

2026年1月時点

疾患分類 x 自家/他家別の開発動向(組織移植*1) *2

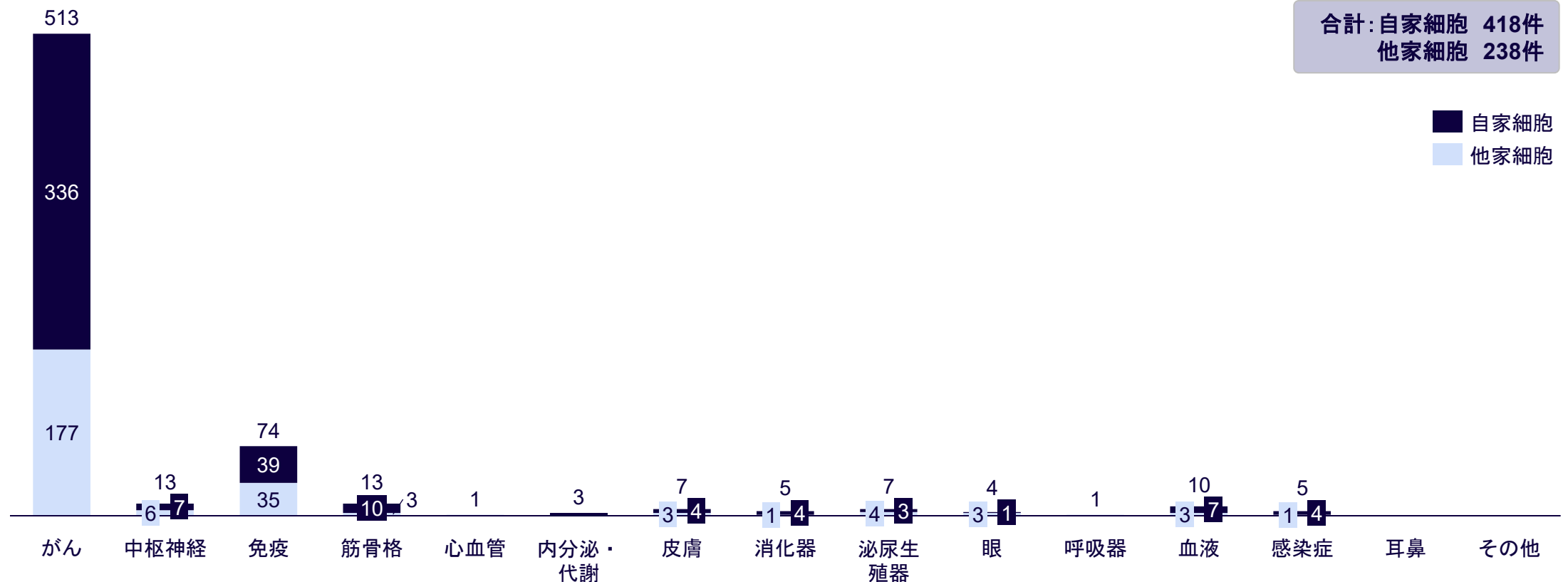


*1: 細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

遺伝子改変免疫細胞療法は、がん領域での開発品が圧倒的に多く、現在は自家細胞が主流。免疫系疾患での開発品も一定存在し、自家細胞と他家細胞がほとんど同等。

2026年1月時点

疾患分類 x 自家/他家別の開発動向(遺伝子改変免疫細胞療法*1) *2

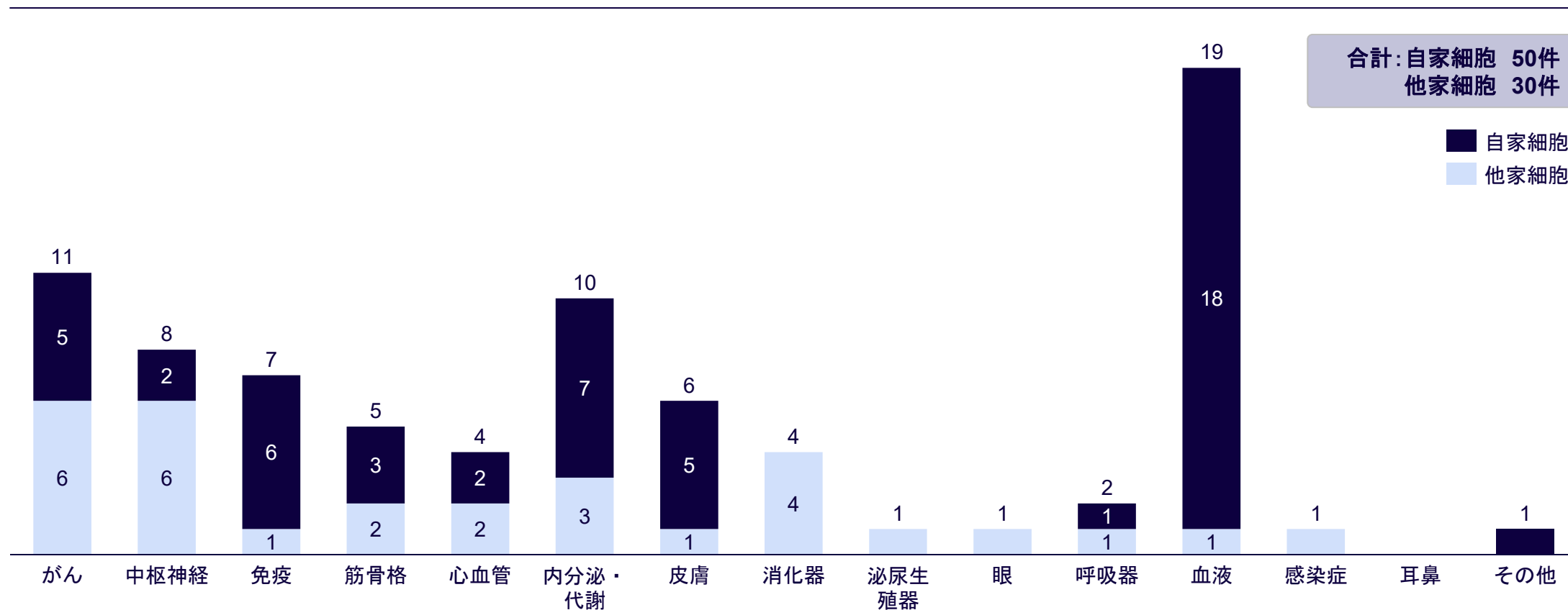


*1: 細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

遺伝子改変細胞は、自家細胞が過半を占め、血液領域での開発品が最も多い。がん領域では自家細胞と他家細胞がほとんど同等。

2026年1月時点

疾患分類 x 自家/他家別の開発動向(遺伝子改変細胞^{*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

ex vivo遺伝子治療の開発品は米国、中国、欧州の順に多く、がん×自家が主流。3地域とも二番手はがん×他家であるが、免疫領域の開発品も一定数存在。

2026年1月時点			地域別のex vivo遺伝子治療*1開発製品数*2										細胞分類																												
													自家細胞使用製品数																												
													他家細胞使用細胞種																												
米国			202件			欧州			67件			日本			22件			中国			109件			台湾			3件			韓国			10件			東南アジア			6件		
がん	92	38	がん	32	9	がん	15	1	がん	59	23	がん	1	1	がん	6	3	がん	3																						
血液	4		血液	1	1	血液			血液	13		血液			血液			血液	1																						
感染症	1	1	感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症																							
眼		2	眼		1	眼			眼			眼			眼			眼																							
中枢神経	5	5	中枢神経	2		中枢神経		1	中枢神経	1	2	中枢神経		1	中枢神経			中枢神経																							
筋骨格	9	3	筋骨格	2		筋骨格	1		筋骨格	1	1	筋骨格			筋骨格			筋骨格	1																						
内分泌・代謝	4		内分泌・代謝	1		内分泌・代謝	1		内分泌・代謝	1		内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝																							
皮膚	5	2	皮膚	5		皮膚	1		皮膚			皮膚			皮膚			皮膚	1																						
心血管		1	心血管			心血管		1	心血管			心血管			心血管			心血管																							
免疫	15	7	免疫	8	3	免疫	1		免疫	4	2	免疫			免疫	1		免疫																							
泌尿生殖器	2	4	泌尿生殖器	1		泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器																							
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器																							
消化器		2	消化器	1		消化器			消化器	2		消化器			消化器			消化器																							
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻																							
その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他																							
インド			1件			カナダ			22件			中南米			0件			イスラエル			2件			オーストラリア			23件			アフリカ			0件			その他			1件		
がん	1		がん	12	2	がん			がん	1		がん	15	5	がん			がん	1																						
血液			血液			血液			血液			血液			血液			血液																							
感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症																							
眼			眼			眼			眼			眼		1	眼			眼																							
中枢神経			中枢神経	2	1	中枢神経			中枢神経			中枢神経	1		中枢神経			中枢神経																							
筋骨格			筋骨格	2		筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格																							
内分泌・代謝			内分泌・代謝		1	内分泌・代謝			内分泌・代謝	1		内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝																							
皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚																							
心血管			心血管			心血管			心血管			心血管			心血管			心血管																							
免疫			免疫	2		免疫			免疫			免疫	1		免疫			免疫																							
泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器																							
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器																							
消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器																							
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻																							
その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他																							

*1：遺伝子変異免疫細胞療法と遺伝子変異細胞。*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 36

CONTENTS

1 調査の全体像

2 開発品・上市品動向の調査結果

再生医療・細胞治療の上市品動向

再生医療・細胞治療の開発品動向

全体像

自家・他家別分析

細胞種別分析

開発エリア別分析

iPS細胞の開発品動向

in vivo遺伝子治療の上市品動向

in vivo遺伝子治療の開発動向

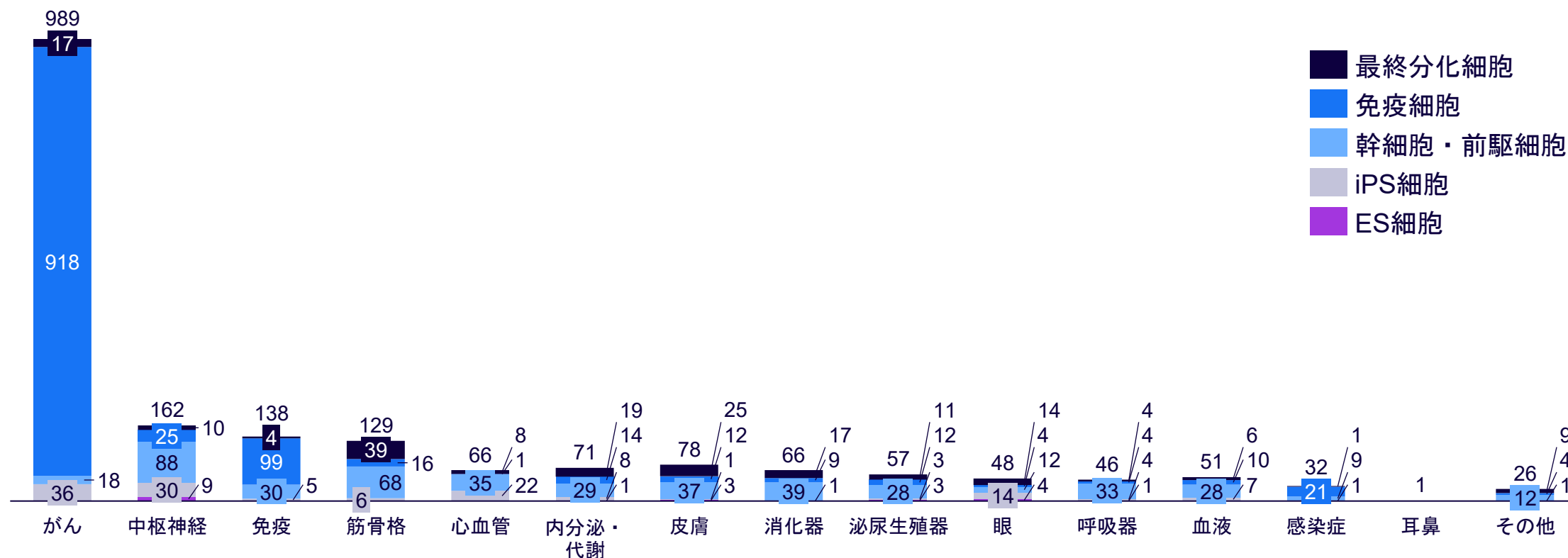
3 市場規模予測の方法

4 市場規模予測結果

免疫細胞を用いた製品が最も多く、がんや免疫領域で主に使用される。その他の疾患領域においては幹細胞・前駆細胞や最終分化細胞が主流。

2026年1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

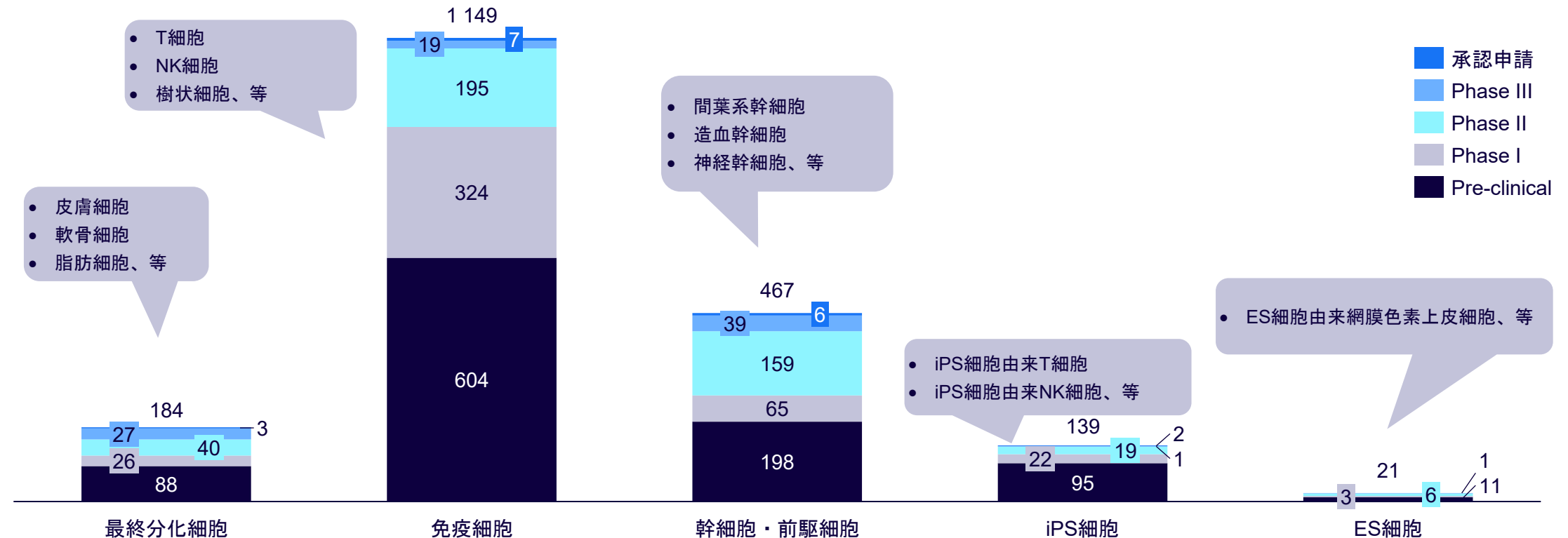


*1: 細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階、細胞種が不明な製品はカウントしない。

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多い。iPS細胞を使用した開発品は開発初期段階のものが多い。

2026年1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・細胞治療*1) *2

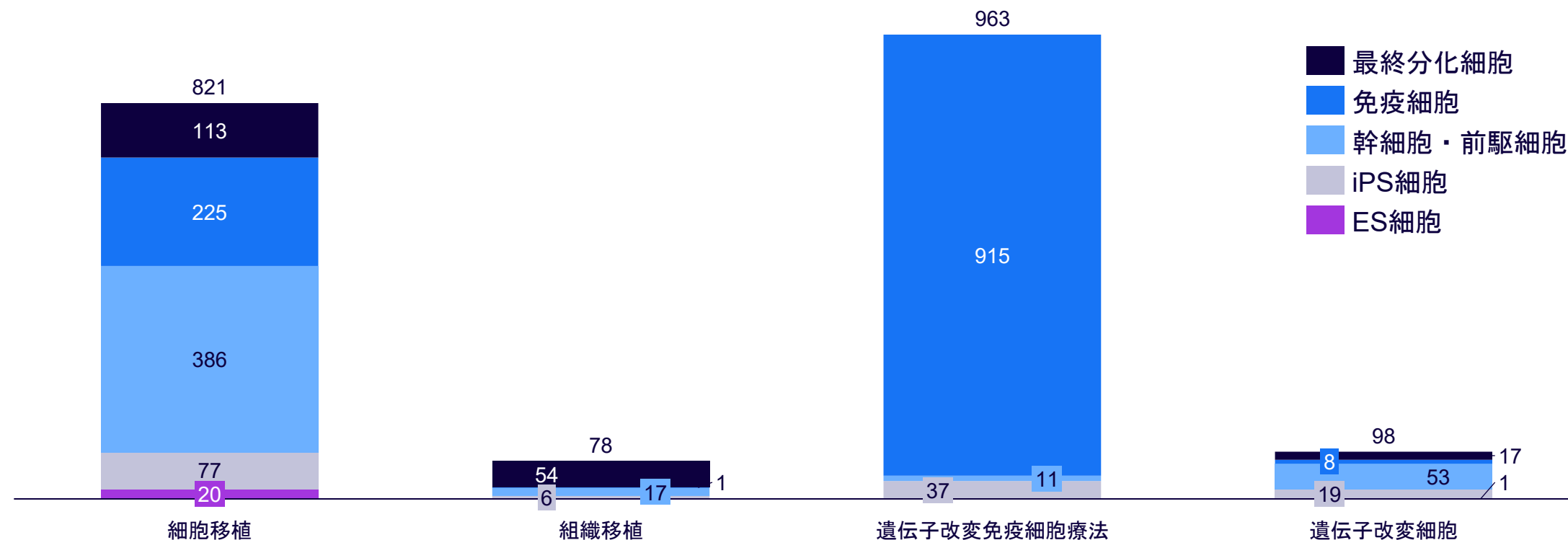


*1: 細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、細胞種、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。Phase I/IIはPhase II, Phase II/IIIはPhase IIIとしてカウント。
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

遺伝子改変免疫細胞療法では大半が免疫細胞で一部iPS細胞と使用細胞種が限られているが、他のモダリティは細胞種がまちまちである。

2026年1月時点

モダリティ x 使用細胞腫の開発動向(再生医療・細胞治療^{*1}) *2



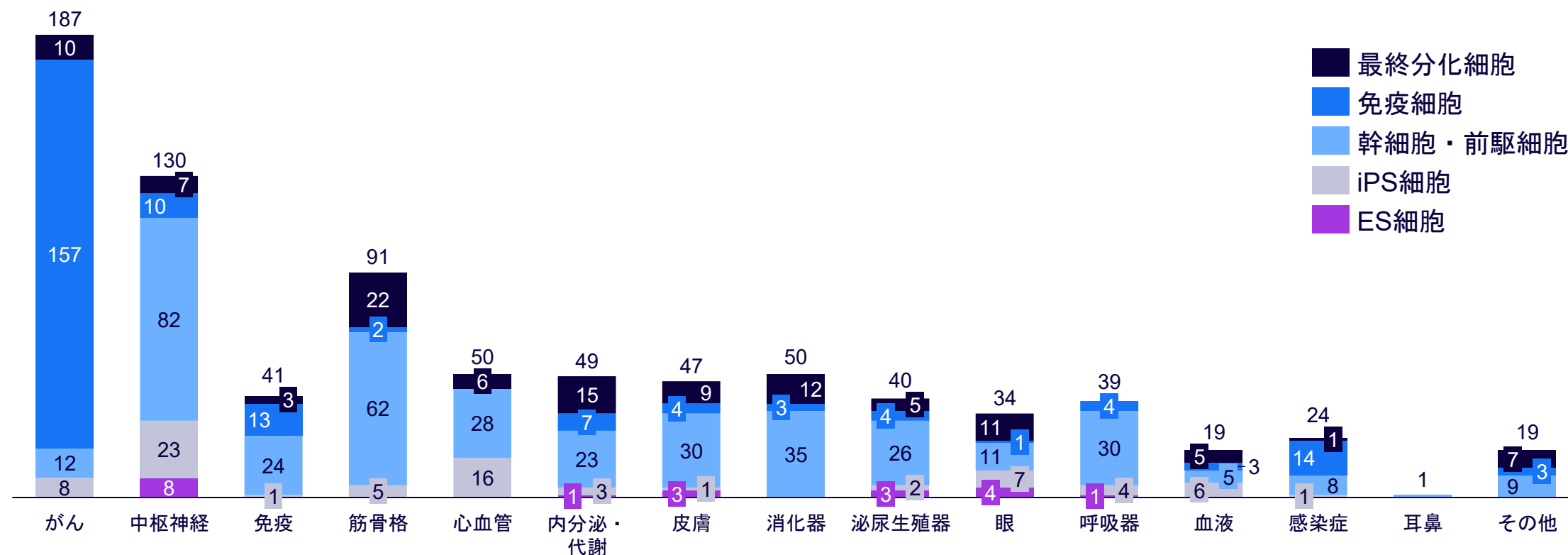
*1: 細胞を使用しないため、スキャフォールド治療は含まない。*2: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階、細胞種が不明な製品はカウントしない。

出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

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。

2026年1月時点

疾患別 x 使用細胞種別の開発動向(細胞移植)*1

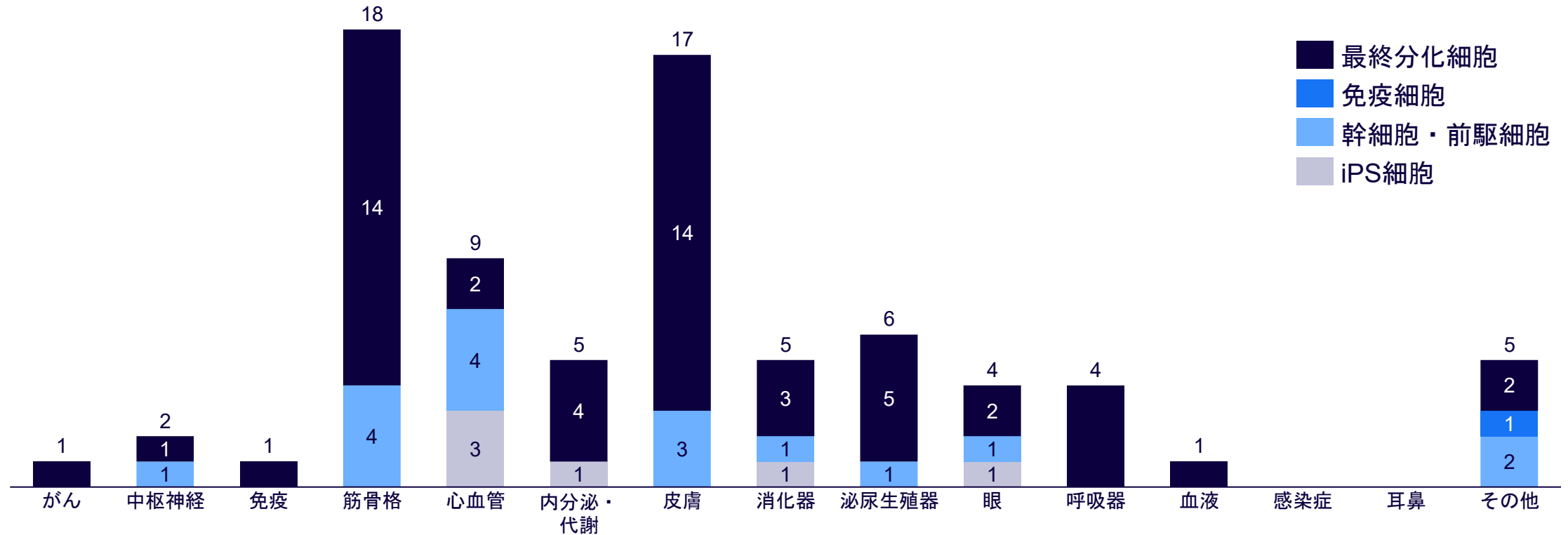


*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階、細胞種が不明な製品はカウントしない。
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

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。

2026年1月時点

疾患別 x 使用細胞種別の開発動向(組織移植)*1

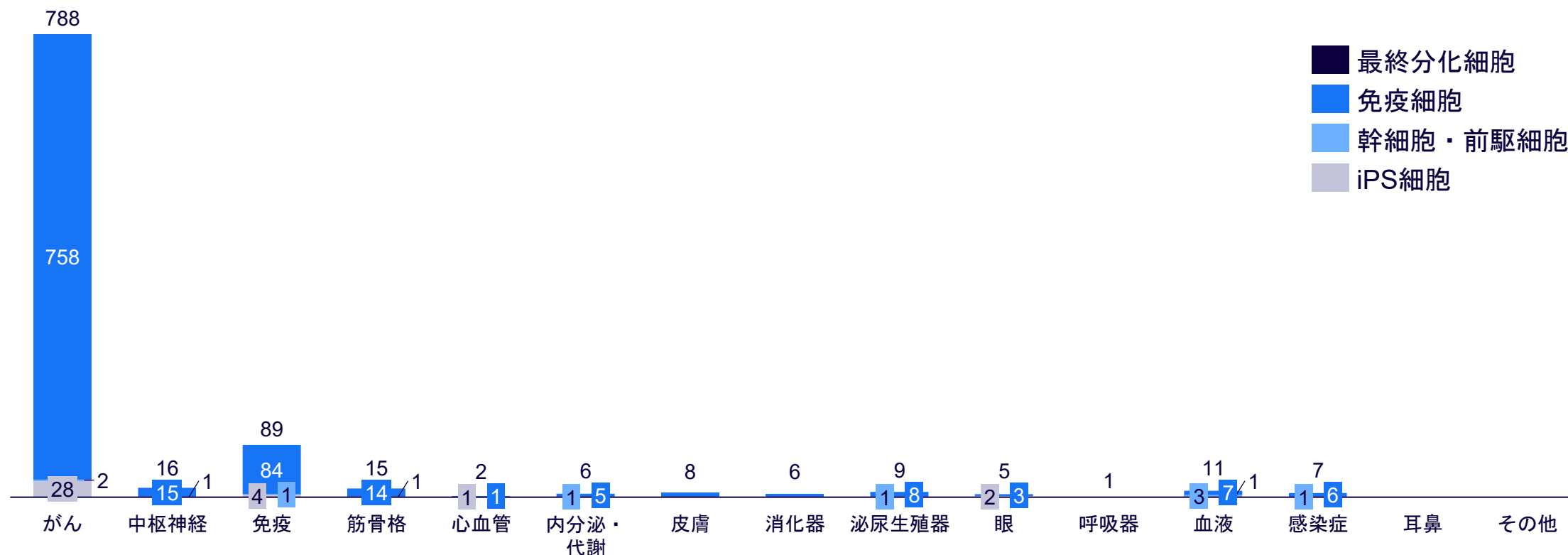


*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階、細胞種が不明な製品はカウントしない。
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

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、免疫系疾患における免疫細胞を用いた開発品も増えてきている。

2026年1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

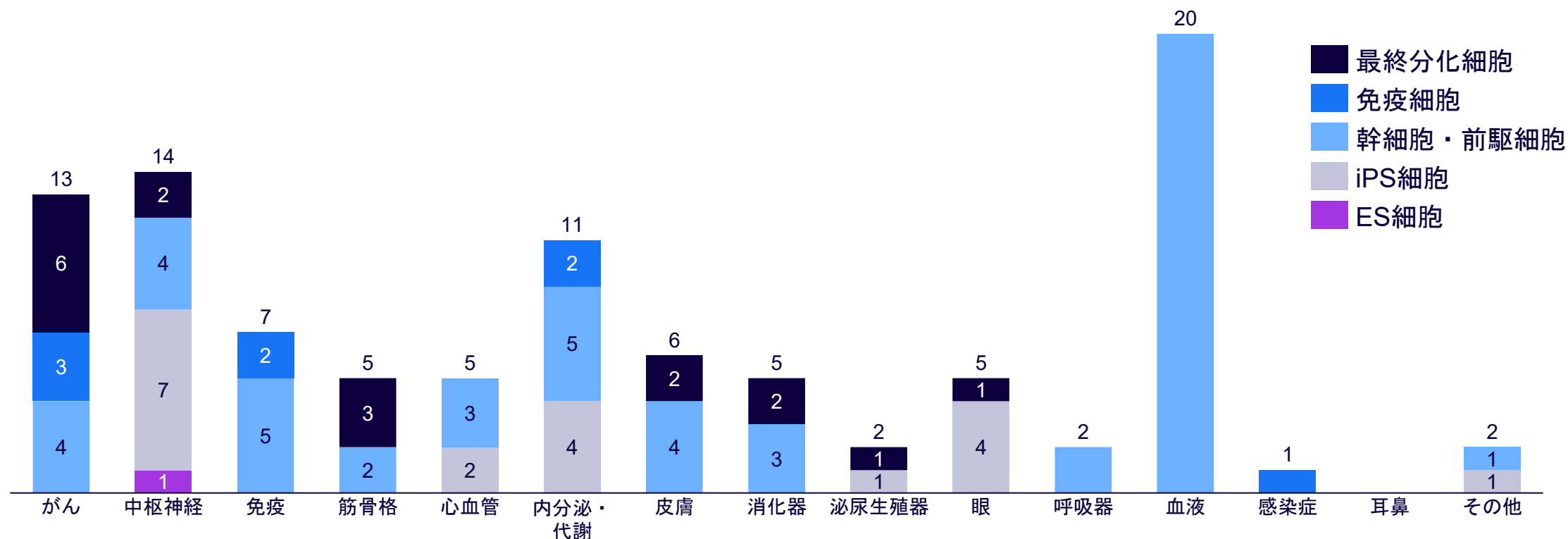


*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、開発段階、細胞種が不明な製品はカウントしない。
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

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。

2026年1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

CONTENTS

1 調査の全体像

2 開発品・上市品動向の調査結果

再生医療・細胞治療の上市品動向

再生医療・細胞治療の開発品動向

全体像

自家・他家別分析

細胞種別分析

開発エリア別分析

iPS細胞の開発品動向

in vivo遺伝子治療の上市品動向

in vivo遺伝子治療の開発動向

3 市場規模予測の方法

4 市場規模予測結果

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。

2026年1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
遺伝子改変細胞
細胞移植
組織移植
スキャフォールド治療

米国	412件				欧州	144件				日本	73件				中国	199件				台湾	32件				韓国	70件				東南アジア	17件					
がん	140	4	44		がん	40	2	19		がん	16		4		がん	115		22		がん		4		8		がん		11		15		がん		4		
血液	1	3	1		血液	1	1			血液	1				血液	4	9			血液						血液						血液			1	
感染症	1	1	6		感染症			2		感染症					感染症					感染症			1			感染症				1		感染症				
眼	1	2	9		眼		1			眼			3	2	眼					眼						眼			2		眼			1		
中枢神経	9	1	31		中枢神経	2		4		中枢神経		1	6		中枢神経	2	1	13		中枢神経		1		4		中枢神経			10		中枢神経			4		
筋骨格	10	2	24	6	2	筋骨格	2		7	4	1				筋骨格	3		4		筋骨格			3	1	1	筋骨格			6		筋骨格		1		2	
内分泌・代謝	2	2	5	1	1	内分泌・代謝		1	10				1		内分泌・代謝	1		2		内分泌・代謝			1			内分泌・代謝					内分泌・代謝					
皮膚	6	1	8		5	皮膚	2	3	8		1		2	3	皮膚	1				皮膚					1	皮膚			6		1		皮膚		1	
心血管	1		12			心血管			2		1		7		心血管			2		心血管			1	1		心血管			1		1		心血管			1
免疫	18	4	9			免疫	8	3	5				2		免疫		9	1		免疫						免疫		1		2		免疫				
泌尿生殖器	6				2	泌尿生殖器	1		7				1		泌尿生殖器			2		泌尿生殖器						泌尿生殖器				7		泌尿生殖器			1	
呼吸器			9			呼吸器			3				3		呼吸器			4		呼吸器						呼吸器			1		呼吸器					
消化器	1	1	6		3	消化器	1		2				3		消化器			1		消化器						消化器				5		消化器			1	
耳鼻						耳鼻									耳鼻					耳鼻						耳鼻					耳鼻					
その他			5			その他							1	1	その他			1		その他				1		その他					その他					

インド	5件				カナダ	33件				中南米	5件				イスラエル	22件				オーストラリア	39件				アフリカ	0件				その他	4件						
がん	1				がん	13	1	4		がん					がん	1		1		がん		20		3		がん			1		1		がん		1		1
血液					血液					血液					血液					血液						血液						血液					
感染症			1		感染症			1		感染症			1		感染症			1		感染症						感染症					1		感染症			1	
眼					眼					眼					眼					眼			1		1		眼						眼				
中枢神経					中枢神経	2	1	1		中枢神経			2		中枢神経			6		中枢神経		1		1		中枢神経						中枢神経			1		
筋骨格			1		筋骨格	2		1		筋骨格			1		筋骨格			5	1	筋骨格				6		筋骨格						筋骨格					
内分泌・代謝					内分泌・代謝		1			内分泌・代謝					内分泌・代謝	1		1		内分泌・代謝						内分泌・代謝						内分泌・代謝					
皮膚			1		皮膚					皮膚					皮膚			1		皮膚				2		皮膚						皮膚					
心血管					心血管			2		心血管					心血管					心血管						心血管						心血管					
免疫					免疫	2		1		免疫			1		免疫			1		免疫		1		1		免疫						免疫					
泌尿生殖器					泌尿生殖器					泌尿生殖器					泌尿生殖器					泌尿生殖器						泌尿生殖器						泌尿生殖器					
呼吸器					呼吸器					呼吸器					呼吸器					呼吸器				2		呼吸器						呼吸器					
消化器			1		消化器					消化器					消化器					消化器				1		消化器						消化器					
耳鼻					耳鼻					耳鼻					耳鼻					耳鼻						耳鼻						耳鼻					
その他					その他					その他					その他			1		その他						その他						その他					

*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

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。

2026年1月時点

地域別の再生医療・細胞治療品*1開発製品数*2

細胞分類
自家細胞使用製品数
他家細胞使用細胞種

米国	382件		欧州	139件		日本	67件		中国	158件		台湾	28件		韓国	61件		東南アジア	15件	
がん	114	60	がん	42	17	がん	16	4	がん	73	30	がん	5	4	がん	16	7	がん	3	
血液	4	1	血液	1	1	血液			血液	13		血液			血液			血液	1	
感染症	3	5	感染症		2	感染症			感染症			感染症	1		感染症			感染症		
眼		9	眼		1	眼	1	3	眼			眼			眼	2		眼		1
中枢神経	18	20	中枢神経	3	3	中枢神経	3	3	中枢神経	3	13	中枢神経	1	4	中枢神経	3	4	中枢神経		3
筋骨格	26	14	筋骨格	5	8	筋骨格	4	6	筋骨格	2	3	筋骨格	4		筋骨格		6	筋骨格	1	2
内分泌・代謝	9	1	内分泌・代謝	2	7	内分泌・代謝	1		内分泌・代謝	2		内分泌・代謝	1		内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚	8	11	皮膚	9	5	皮膚	1	5	皮膚	1		皮膚	1		皮膚	3	3	皮膚	1	
心血管	7	6	心血管	1	2	心血管	3	5	心血管		2	心血管	2		心血管	1	1	心血管		1
免疫	18	13	免疫	8	8	免疫	2	1	免疫	4	3	免疫			免疫	1	1	免疫		
泌尿生殖器	5	7	泌尿生殖器	5	3	泌尿生殖器		1	泌尿生殖器		2	泌尿生殖器	1		泌尿生殖器	4	3	泌尿生殖器		1
呼吸器	1	8	呼吸器		3	呼吸器		3	呼吸器	1	3	呼吸器	2		呼吸器		1	呼吸器		
消化器	5	4	消化器	2	1	消化器	2	1	消化器	2		消化器	1		消化器	2	3	消化器		1
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻		
その他	3	2	その他			その他	1	1	その他	1		その他		1	その他			その他		

インド	5件		カナダ	33件		中南米	4件		イスラエル	22件		オーストラリア	38件		アフリカ	0件		その他	2件	
がん	1		がん	14	4	がん			がん	2		がん	17	6	がん			がん	1	
血液			血液			血液			血液			血液			血液			血液		
感染症			感染症		1	感染症			感染症	1		感染症			感染症			感染症		
眼		1	眼		1	眼			眼	1		眼	1		眼			眼		
中枢神経			中枢神経	3	1	中枢神経	1	1	中枢神経	3	3	中枢神経	1	1	中枢神経			中枢神経		1
筋骨格		1	筋骨格	3		筋骨格	1		筋骨格	1	5	筋骨格	1	5	筋骨格			筋骨格		
内分泌・代謝			内分泌・代謝		1	内分泌・代謝			内分泌・代謝	2		内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚		1	皮膚			皮膚			皮膚		1	皮膚		1	皮膚			皮膚		
心血管			心血管	1	1	心血管			心血管			心血管			心血管			心血管		
免疫			免疫	3		免疫		1	免疫		1	免疫	1	1	免疫			免疫		
泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器		
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器		1	呼吸器		2	呼吸器			呼吸器		
消化器		1	消化器			消化器			消化器			消化器		1	消化器			消化器		
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻		
その他			その他			その他			その他		1	その他			その他			その他		

*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 47

細胞移植の臨床前期段階の開発品数は、米国、欧州及び韓国の順で多い。

2026年1月時点

地域別の細胞移植開発製品数*1

Phase I

Phase II

米国	143件		欧州	58件		日本	33件		中国	52件		台湾	22件		韓国	51件		東南アジア	7件	
	P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2
がん	13	26	がん	4	12	がん	1	3	がん	11	11	がん	3	5	がん	4	10	がん		
血液	1		血液			血液			血液			血液			血液			血液		
感染症		6	感染症	1	1	感染症			感染症			感染症		1	感染症		1	感染症		
眼	2	6	眼			眼	1	2	眼			眼			眼	1	1	眼		
中枢神経	9	19	中枢神経	2	1	中枢神経		5	中枢神経	7	6	中枢神経	1	3	中枢神経	5	5	中枢神経		3
筋骨格	3	12	筋骨格	1	5	筋骨格		5	筋骨格	1	2	筋骨格	1	1	筋骨格	2	4	筋骨格		2
内分泌・代謝		3	内分泌・代謝	2	7	内分泌・代謝			内分泌・代謝	1	1	内分泌・代謝	1		内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚		5	皮膚	3	3	皮膚		1	皮膚	1		皮膚			皮膚	1	3	皮膚		
心血管	2	6	心血管		2	心血管	2	4	心血管	1	1	心血管		1	心血管		1	心血管		
免疫	5	2	免疫	1	3	免疫		2	免疫	1		免疫			免疫	1	1	免疫		
泌尿生殖器	4	1	泌尿生殖器	1	5	泌尿生殖器	1		泌尿生殖器	1	1	泌尿生殖器		1	泌尿生殖器	5	2	泌尿生殖器		1
呼吸器	2	6	呼吸器		3	呼吸器		3	呼吸器	1	3	呼吸器	2		呼吸器		1	呼吸器		
消化器	3	2	消化器		1	消化器		2	消化器		1	消化器		1	消化器	1	2	消化器		1
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻		
その他	2	3	その他			その他		1	その他		1	その他		1	その他			その他		

インド	3件		カナダ	7件		中南米	5件		イスラエル	18件		オーストラリア	12件		アフリカ	0件		その他	3件	
	P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2
がん			がん		3	がん			がん	1		がん	2	1	がん			がん		1
血液			血液			血液			血液			血液			血液			血液		
感染症			感染症		1	感染症			感染症		1	感染症			感染症			感染症		1
眼		1	眼		1	眼	1		眼		1	眼			眼			眼		
中枢神経			中枢神経			中枢神経	1	1	中枢神経	1	5	中枢神経	1		中枢神経			中枢神経		1
筋骨格		1	筋骨格		1	筋骨格		1	筋骨格	3	1	筋骨格		3	筋骨格			筋骨格		
内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		1	内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚			皮膚			皮膚			皮膚	1		皮膚	2		皮膚			皮膚		
心血管			心血管		1	心血管			心血管			心血管			心血管			心血管		
免疫			免疫			免疫	1		免疫		1	免疫		1	免疫			免疫		
泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器		
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器		1	呼吸器	1	1	呼吸器			呼吸器		
消化器		1	消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器		
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻		
その他			その他			その他			その他	1		その他			その他			その他		

*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

© Arthur D. Little 48



細胞移植の臨床後期段階の開発品数は、米国、欧州、日本の順で多い。

2026年1月時点

地域別の細胞移植開発製品数*1

Phase III
承認申請中

米国	32件		欧州	11件		日本	6件		中国	1件		台湾	1件		韓国	5件		東南アジア	3件	
	P3	承認申請		P3	承認申請		P3	承認申請		P3	承認申請		P3	承認申請		P3	承認申請		P3	承認申請
がん	3	2	がん	2	1	がん			がん			がん			がん	1		がん		
血液			血液			血液			血液			血液			血液			血液		
感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症		
眼	1		眼			眼			眼			眼			眼			眼	1	
中枢神経	2	1	中枢神経	1		中枢神経		1	中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経	1	
筋骨格	8	1	筋骨格	1		筋骨格	1	1	筋骨格	1		筋骨格	1		筋骨格			筋骨格		
内分泌・代謝	2		内分泌・代謝	1		内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚	2		皮膚	2		皮膚	1		皮膚			皮膚			皮膚	2		皮膚		
心血管	3	1	心血管			心血管	1		心血管			心血管			心血管			心血管	1	
免疫	2		免疫	1		免疫			免疫			免疫			免疫			免疫		
泌尿生殖器	1		泌尿生殖器	1		泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器		
呼吸器	1		呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器		
消化器	1		消化器	1		消化器	1		消化器			消化器			消化器	2		消化器		
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻		
その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他		

インド	1件		カナダ	4件		中南米	0件		イスラエル	1件		オーストラリア	4件		アフリカ	0件		その他	0件	
	P3	承認申請		P3	承認申請		P3	承認申請		P3	承認申請		P3	承認申請		P3	承認申請		P3	承認申請
がん			がん	1		がん			がん			がん			がん			がん		
血液			血液			血液			血液			血液			血液			血液		
感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症		
眼			眼			眼			眼			眼			眼			眼		
中枢神経			中枢神経	1		中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経		
筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格	1		筋骨格	3		筋骨格			筋骨格		
内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚	1		皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚		
心血管			心血管		1	心血管			心血管			心血管			心血管			心血管		
免疫			免疫	1		免疫			免疫			免疫			免疫			免疫		
泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器		
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器		
消化器			消化器			消化器			消化器			消化器	1		消化器			消化器		
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻		
その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他		

*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

© Arthur D. Little 49

組織移植の臨床前期段階の開発品数は、米国、欧州、日本及び台湾の順で多い。

2026年1月時点

地域別の組織移植開発製品数*1

Phase I

Phase II

米国		12件		欧州		4件		日本		3件		中国		0件		台湾		3件		韓国		2件		東南アジア		0件	
		P1	P2			P1	P2			P1	P2			P1	P2			P1	P2			P1	P2			P1	P2
がん				がん				がん				がん				がん				がん				がん			
血液				血液				血液				血液				血液				血液				血液			
感染症				感染症				感染症				感染症				感染症				感染症				感染症			
眼				眼				眼			2	眼				眼				眼				眼			
中枢神経				中枢神経				中枢神経				中枢神経				中枢神経				中枢神経				中枢神経			
筋骨格			5	筋骨格		1	2	筋骨格				筋骨格				筋骨格		1		筋骨格				筋骨格			
内分泌・代謝			1	内分泌・代謝				内分泌・代謝				内分泌・代謝				内分泌・代謝				内分泌・代謝				内分泌・代謝			
皮膚		1	2	皮膚				皮膚			1	皮膚				皮膚		1		皮膚			1	皮膚			
心血管				心血管			1	心血管				心血管				心血管		1		心血管			1	心血管			
免疫				免疫				免疫				免疫				免疫				免疫				免疫			
泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器			
呼吸器				呼吸器				呼吸器				呼吸器				呼吸器				呼吸器				呼吸器			
消化器		2	1	消化器				消化器				消化器				消化器				消化器				消化器			
耳鼻				耳鼻				耳鼻				耳鼻				耳鼻				耳鼻				耳鼻			
その他				その他				その他				その他				その他				その他				その他			
インド		0件		カナダ		0件		中南米		0件		イスラエル		1件		オーストラリア		0件		アフリカ		0件		その他		0件	
		P1	P2			P1	P2			P1	P2			P1	P2			P1	P2			P1	P2			P1	P2
がん				がん				がん				がん				がん				がん				がん			
血液				血液				血液				血液				血液				血液				血液			
感染症				感染症				感染症				感染症				感染症				感染症				感染症			
眼				眼				眼				眼				眼				眼				眼			
中枢神経				中枢神経				中枢神経				中枢神経				中枢神経				中枢神経				中枢神経			
筋骨格				筋骨格				筋骨格				筋骨格			1	筋骨格				筋骨格				筋骨格			
内分泌・代謝				内分泌・代謝				内分泌・代謝				内分泌・代謝				内分泌・代謝				内分泌・代謝				内分泌・代謝			
皮膚				皮膚				皮膚				皮膚				皮膚				皮膚				皮膚			
心血管				心血管				心血管				心血管				心血管				心血管				心血管			
免疫				免疫				免疫				免疫				免疫				免疫				免疫			
泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器			
呼吸器				呼吸器				呼吸器				呼吸器				呼吸器				呼吸器				呼吸器			
消化器				消化器				消化器				消化器				消化器				消化器				消化器			
耳鼻				耳鼻				耳鼻				耳鼻				耳鼻				耳鼻				耳鼻			
その他				その他				その他				その他				その他				その他				その他			

*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。

組織移植の臨床後期段階の開発品数は、日本、米国、欧州の順で多く、その他地域では開発品がない。

2026年1月時点

地域別の組織移植開発製品数*1

Phase III
承認申請中

米国	3件	欧州	2件	日本	6件	中国	0件	台湾	0件	韓国	0件	東南アジア	0件
がん	P3 承認申請	がん	P3 承認申請	がん	P3 承認申請	がん	P3 承認申請	がん	P3 承認申請	がん	P3 承認申請	がん	P3 承認申請
血液		血液		血液		血液		血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		眼		眼		眼		眼		眼		眼	
中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経	
筋骨格	1	筋骨格	1	筋骨格	2 1	筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚	2	皮膚	1	皮膚	2	皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他	1	その他		その他		その他		その他	
インド	0件	カナダ	0件	中南米	0件	イスラエル	0件	オーストラリア	0件	アフリカ	0件	その他	0件
がん	P3 承認申請	がん	P3 承認申請	がん	P3 承認申請	がん	P3 承認申請	がん	P3 承認申請	がん	P3 承認申請	がん	P3 承認申請
血液		血液		血液		血液		血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		眼		眼		眼		眼		眼		眼	
中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	

*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

© Arthur D. Little 51

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。

2026年1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

米国	189件		欧州	51件		日本	16件		中国	133件		台湾	4件		韓国	11件		東南アジア	5件	
	P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2
がん	92	43	がん	15	19	がん	7	5	がん	81	31	がん	1	2	がん	5	5	がん	1	2
血液		1	血液	1		血液		1	血液	3	1	血液			血液			血液		
感染症	1		感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症		
眼	1		眼			眼			眼			眼			眼			眼		
中枢神経	5	4	中枢神経	1	1	中枢神経			中枢神経	2		中枢神経		1	中枢神経			中枢神経		
筋骨格	6	2	筋骨格	1	1	筋骨格		1	筋骨格	3		筋骨格			筋骨格			筋骨格		1
内分泌・代謝		2	内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝	1		内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚	3	3	皮膚	1	1	皮膚		1	皮膚			皮膚			皮膚			皮膚		1
心血管	1		心血管			心血管			心血管			心血管			心血管			心血管		
免疫	13	5	免疫	3	5	免疫		1	免疫	5	4	免疫			免疫	1		免疫		
泌尿生殖器	5	1	泌尿生殖器		1	泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器		
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器		
消化器		1	消化器		1	消化器			消化器	1	1	消化器			消化器			消化器		
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻		
その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他		

インド	1件		カナダ	17件		中南米	0件		イスラエル	2件		オーストラリア	20件		アフリカ	0件		その他	1件	
	P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2
がん		1	がん	3	8	がん			がん		1	がん	10	8	がん			がん	1	
血液			血液			血液			血液			感染症			血液			血液		
感染症			感染症			感染症			感染症			筋骨格			感染症			感染症		
眼			眼			眼			眼			血液			眼			眼		
中枢神経			中枢神経	1	1	中枢神経			中枢神経			呼吸器		1	中枢神経			中枢神経		
筋骨格			筋骨格	1	1	筋骨格			筋骨格			心血管			筋骨格			筋骨格		
内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		1	耳鼻			内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			消化器			皮膚			皮膚		
心血管			心血管			心血管			心血管			その他			心血管			心血管		
免疫			免疫		2	免疫			免疫			中枢神経	1		免疫			免疫		
泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			内分泌・代謝			泌尿生殖器			泌尿生殖器		
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			泌尿生殖器			呼吸器			呼吸器		
消化器			消化器			消化器			消化器			皮膚			消化器			消化器		
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			眼			耳鼻			耳鼻		
その他			その他			その他			その他			免疫			その他			その他		

*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。



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・欧州に加え、日本・中国を始めとするアジアやカナダ、オーストラリアにも存在。

2026年1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

米国	7件	欧州	6件	日本	4件	中国	3件	台湾	1件	韓国	1件	東南アジア	1件
P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請
がん	5	がん	5 1	がん	4	がん	1 2	がん	1	がん	1	がん	1
血液		血液		血液		血液		血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		眼		眼		眼		眼		眼		眼	
中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経	
筋骨格	2	筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	
インド	0件	カナダ	2件	中南米	0件	イスラエル	0件	オーストラリア	2件	アフリカ	0件	その他	0件
P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請
がん		がん	2	がん		がん		がん	2	がん		がん	
血液		血液		血液		血液		血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		眼		眼		眼		眼		眼		眼	
中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	

*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

© Arthur D. Little 53

遺伝子改変細胞の臨床初期段階の開発は米国・欧州・中国が中心となっている。

2026年1月時点

地域別の遺伝子改変細胞開発製品数*1

Phase I

Phase II

米国	15件		欧州	8件		日本	2件		中国	10件		台湾	0件		韓国	0件		東南アジア	0件	
	P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2
がん	1	2	がん		2	がん			がん			がん			がん			がん		
血液	1	1	血液			血液			血液	5	4	血液			血液			血液		
感染症	1		感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症		
眼		2	眼			眼			眼			眼			眼			眼		
中枢神経			中枢神経			中枢神経	1		中枢神経	1		中枢神経			中枢神経			中枢神経		
筋骨格	1		筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格		
内分泌・代謝	1	1	内分泌・代謝	1		内分泌・代謝		1	内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚			皮膚		2	皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚		
心血管			心血管			心血管			心血管			心血管			心血管			心血管		
免疫		3	免疫		3	免疫			免疫			免疫			免疫			免疫		
泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器		
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器		
消化器	1		消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器		
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻		
その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他		
インド	0件		カナダ	3件		中南米	0件		イスラエル	0件		オーストラリア	0件		アフリカ	0件		その他	0件	
	P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2		P1	P2
がん			がん		1	がん			がん			がん			がん			がん		
血液			血液			血液			血液			感染症			血液			血液		
感染症			感染症			感染症			感染症			筋骨格			感染症			感染症		
眼			眼			眼			眼			血液			眼			眼		
中枢神経			中枢神経	1		中枢神経			中枢神経			呼吸器			中枢神経			中枢神経		
筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			心血管			筋骨格			筋骨格		
内分泌・代謝			内分泌・代謝		1	内分泌・代謝			内分泌・代謝			耳鼻			内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			消化器			皮膚			皮膚		
心血管			心血管			心血管			心血管			その他			心血管			心血管		
免疫			免疫			免疫			免疫			中枢神経			免疫			免疫		
泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			内分泌・代謝			泌尿生殖器			泌尿生殖器		
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			泌尿生殖器			呼吸器			呼吸器		
消化器			消化器			消化器			消化器			皮膚			消化器			消化器		
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			眼			耳鼻			耳鼻		
その他			その他			その他			その他			免疫			その他			その他		

*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

© Arthur D. Little 54

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。

2026年1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

米国	6件	欧州	3件	日本	1件	中国	0件	台湾	0件	韓国	0件	東南アジア	1件
P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請
がん	1	がん		がん		がん		がん		がん		がん	
血液		血液	1	血液		血液		血液		血液		血液	1
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		眼	1	眼		眼		眼		眼		眼	
中枢神経	1	中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経	
筋骨格	1	筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚	1	皮膚	1	皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管	1	心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫		免疫	1	免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	
インド	0件	カナダ	0件	中南米	0件	イスラエル	0件	オーストラリア	1件	アフリカ	0件	その他	0件
P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請	P3	承認申請
がん		がん		がん		がん		がん		がん		がん	
血液		血液		血液		血液		血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		眼		眼		眼		眼	1	眼		眼	
中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	

*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

© Arthur D. Little 55

CONTENTS

1 調査の全体像

2 開発品・上市品動向の調査結果

再生医療・細胞治療の上市品動向

再生医療・細胞治療の開発品動向

iPS細胞の開発品動向

in vivo遺伝子治療の上市品動向

in vivo遺伝子治療の開発動向

3 市場規模予測の方法

4 市場規模予測結果

中枢神経・心血管・眼等のアンメットメディカルニーズが大きな疾患や、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。

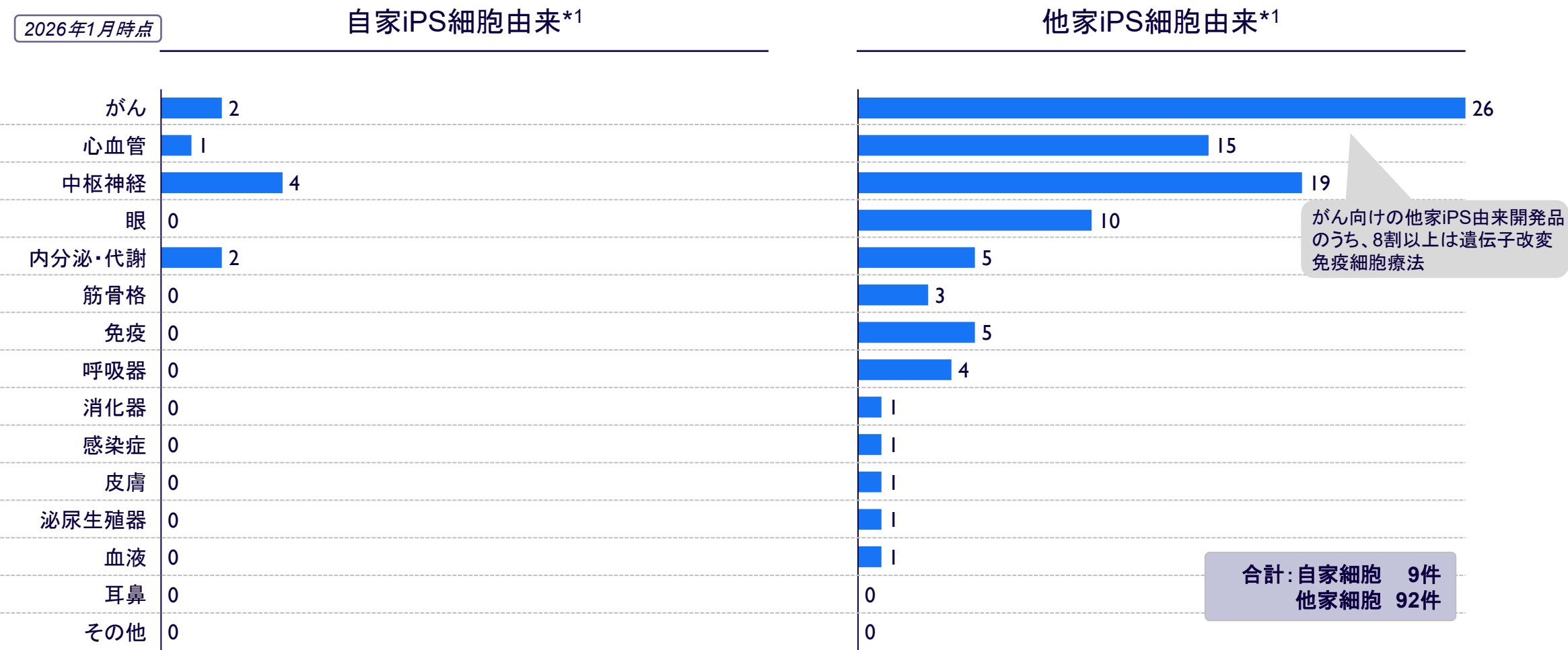
2026年1月時点

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	28	7	1	0	0	Kymriah, Yescarta, Breyanzi, Abecma, Tecartus, Carvykti
中枢神経	17	8	4	0	1*2	Skysona, ステミラック
心血管	13	3	5	0	1*3	-
眼	10	0	4	0	0	ネピック, オキュラル, サクラシー
筋骨格	4	0	1	1	0	ジャック
免疫	1	2	2	0	0	テムセル, RETHYMIC
呼吸器	3	0	1	0	0	-
血液	7	0	0	0	0	Lyfgenia, Casgevy
内分泌・代謝	7	1	0	0	0	Libmeldy, Donislecel
泌尿生殖器	3	0	0	0	0	Mukocell, UroArt
皮膚	0	1	0	0	0	ジェイス, Apligraf
感染症	1	0	0	0	0	-
消化器	1	0	0	0	0	Alofisel, Gintuit

*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 II/III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。*2：調査時点では承認申請であったが、2026年3月にアムシェプリとして承認された。*3：調査時点では承認申請であったが、2026年3月にリハートとして承認された。
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 57

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約3割を占め、最も多い。



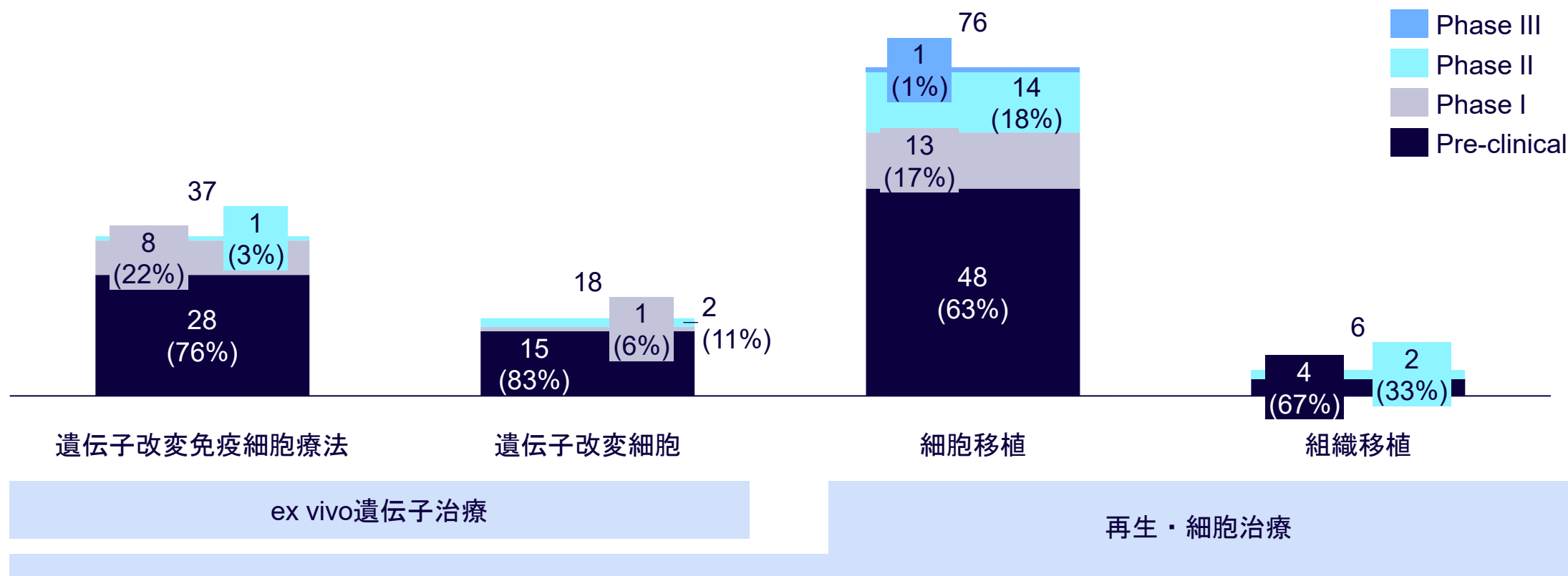
*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。Phase I/IIはPhase II, Phase II/IIIはPhase IIIとしてカウント。又、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類。
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

© Arthur D. Little 58

iPS細胞由来の開発品の中では細胞移植に対する開発品が最も多く、次いで遺伝子改変免疫細胞療法も多い。全体的に開発初期のことが多い。

2026年1月時点

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 II/III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細胞由来の開発品は米国、中国及び日本の順に多い。

2026年1月時点

地域別のiPS細胞由来の開発製品数*1

細胞分類
自家細胞使用製品数
他家細胞使用細胞種

米国	11件	欧州	5件	日本	7件	中国	10件	台湾	0件	韓国	0件	東南アジア	0件
がん	3	がん		がん	1	がん	1	がん		がん		がん	
血液		血液		血液		血液		血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		眼		眼	1	眼		眼		眼		眼	
中枢神経	1 3	中枢神経		中枢神経	1	中枢神経	1 6	中枢神経		中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管	2	心血管	4	心血管	2	心血管		心血管		心血管	
免疫	4	免疫	3	免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	
インド	1件	カナダ	0件	中南米	0件	イスラエル	0件	オーストラリア	4件	アフリカ	0件	その他	0件
がん		がん		がん		がん		がん		がん		がん	
血液		血液		血液		血液		血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼	1	眼		眼		眼		眼		眼		眼	
中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	1	筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	1	皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	1	免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	1	呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	

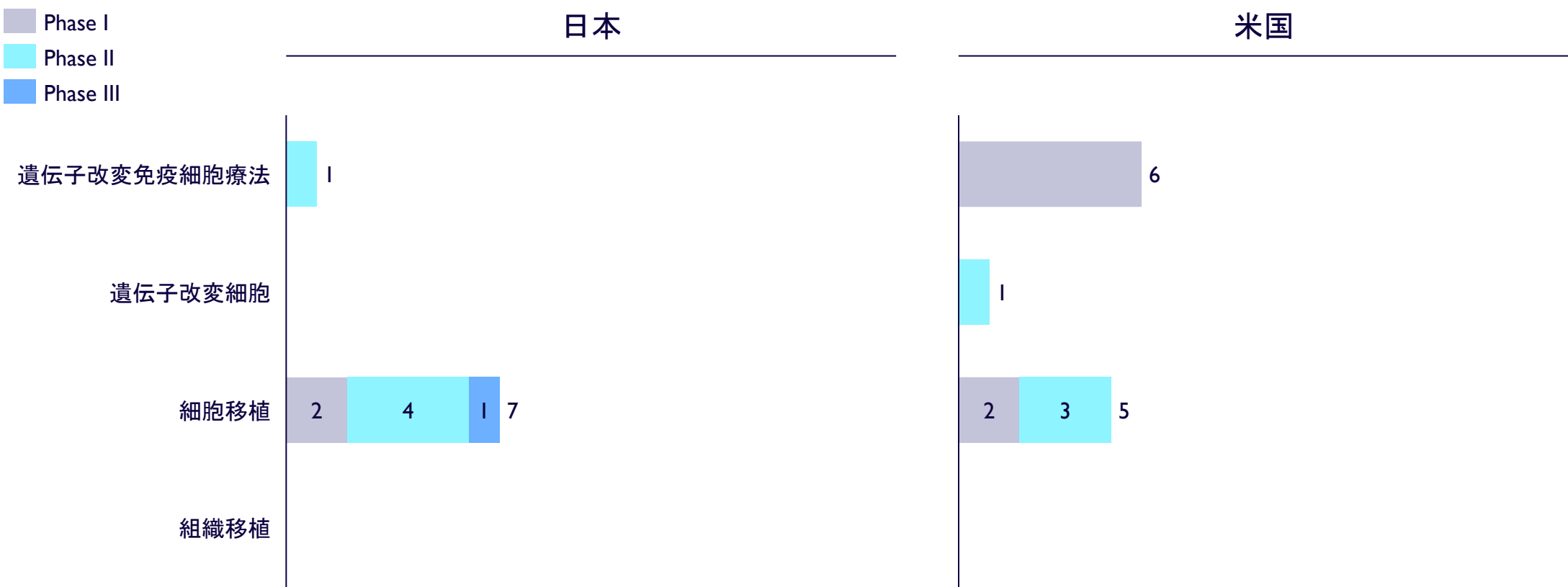
*1：製品数でカウント。同じ疾患領域内の複数の疾患に対して開発が進められている場合は、1製品のみカウント。複数の疾患領域、複数の地域で開発が進められている場合は、疾患領域・地域別に1製品とカウント。
また、疾患分類、自家/他家、開発段階の詳細が不明な製品はカウントしない。自家細胞、他家細胞を混合して使用する製品は自家細胞に分類。
出所：ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

© Arthur D. Little 60

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。

2026年1月時点

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

© Arthur D. Little 61

CONTENTS

1 調査の全体像

2 開発品・上市品動向の調査結果

再生医療・細胞治療の上市品動向

再生医療・細胞治療の開発品動向

iPS細胞の開発品動向

in vivo遺伝子治療の上市品動向

in vivo遺伝子治療の開発動向

3 市場規模予測の方法

4 市場規模予測結果

日欧米のいずれかの国/地域で上市されている遺伝子導入製品は計14品目。

2026年3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、網膜色素変性症	米国/2017年 欧州/2018年 日本/2023年	米：42万5,000ドル/片目 日本：4,960万円/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 →販売中止	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 米国/2024年	300万ポンド/人

日欧米のいずれかの国/地域で上市されている遺伝子導入製品は計14品目。

2026年3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	年間 631,000ドル/年

日欧米のいずれかの国/地域で上市されている遺伝子導入製品は計14品目。

2026年3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
Beqvez*	Pfizer, Spark Therapeutics	Spark Therapeutics	アデノ随伴ウイルス	血液	血友病B	米・欧/2024年	米国：350万ドル/人
Papzimeos	Precigen	Precigen	アデノウイルス	呼吸器	再発性呼吸器 乳頭腫症	米国/2025年	不明
Lumevoq	Genethon, GenSight Biologics	GenSight Biologics	アデノ随伴ウイルス	眼	レーバー遺伝性視 神経萎縮症	欧州/2025年	不明
Itvisma	Novartis	Novartis	アデノ随伴ウイルス	中枢神経	脊髄性筋萎縮症	米国/2025年	不明

* 欧州での商品名はDurveqtix
出所：国立医薬品食品衛生研究所「遺伝子治療製品の過去・現在・未来」、Genes (Basel). 2017 Feb 17;8(2) “Early Insights from Commercialization of Gene Therapies in Europe”、日経バイオテックよりアーサー・D・リトル作成
Seeking Alpha、PMLiVE

日欧米のいずれかの国/地域で上市されているウイルス治療製品は計2品目。

2026年3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, Taserpaturev)	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

in vivo遺伝子治療の上市品数は米国、欧州、日本の順に多い。

2026年3月時点

地域別のin vivo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

米国	12件	欧州	9件	日本	5件	中国	1件	台湾	0件	韓国	1件	東南アジア	0件
がん	1	がん	1	がん	1	がん		がん		がん		がん	
血液	3	血液	3	血液		血液	1	血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼	1	眼	2	眼	1	眼		眼		眼		眼	
中枢神経	2	中枢神経	1	中枢神経	1	中枢神経		中枢神経		中枢神経	1	中枢神経	
筋骨格	1	筋骨格		筋骨格	1	筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝	1	内分泌・代謝	1	内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚	1	皮膚	1	皮膚	1	皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器	1	呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	
インド	0件	カナダ	1件	中南米	1件	イスラエル	0件	オーストラリア	1件	アフリカ	0件	その他	1件
がん		がん		がん		がん		がん		がん		がん	
血液		血液	1	血液		血液		血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		眼		眼		眼		眼		眼		眼	
中枢神経		中枢神経		中枢神経	1	中枢神経		中枢神経	1	中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管	1
免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	

CONTENTS

1 調査の全体像

2 開発品・上市品動向の調査結果

再生医療・細胞治療の上市品動向

再生医療・細胞治療の開発品動向

iPS細胞の開発品動向

in vivo遺伝子治療の上市品動向

in vivo遺伝子治療の開発動向

全体像

ベクター種別分析

開発エリア別分析

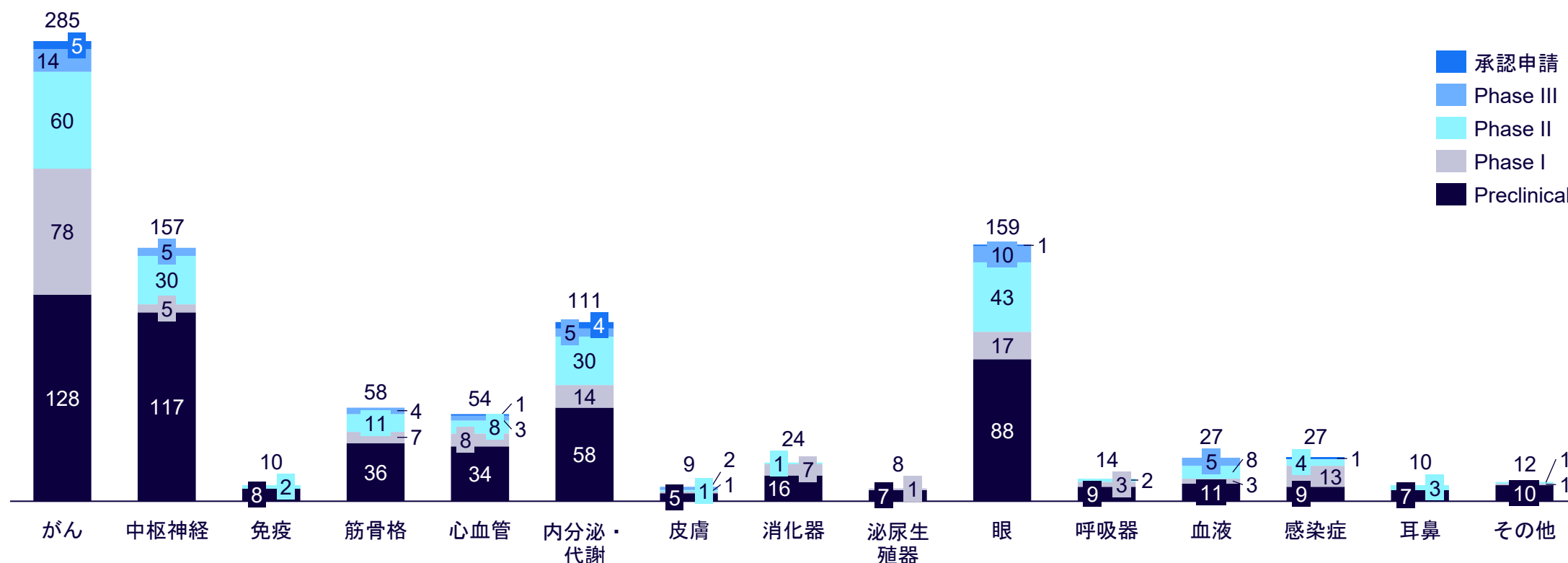
3 市場規模予測の方法

4 市場規模予測結果

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

2026年1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(in vivo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。

出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

CONTENTS

1 調査の全体像

2 開発品・上市品動向の調査結果

再生医療・細胞治療の上市品動向

再生医療・細胞治療の開発品動向

iPS細胞の開発品動向

in vivo遺伝子治療の上市品動向

in vivo遺伝子治療の開発動向

全体像

ベクター種別分析

開発エリア別分析

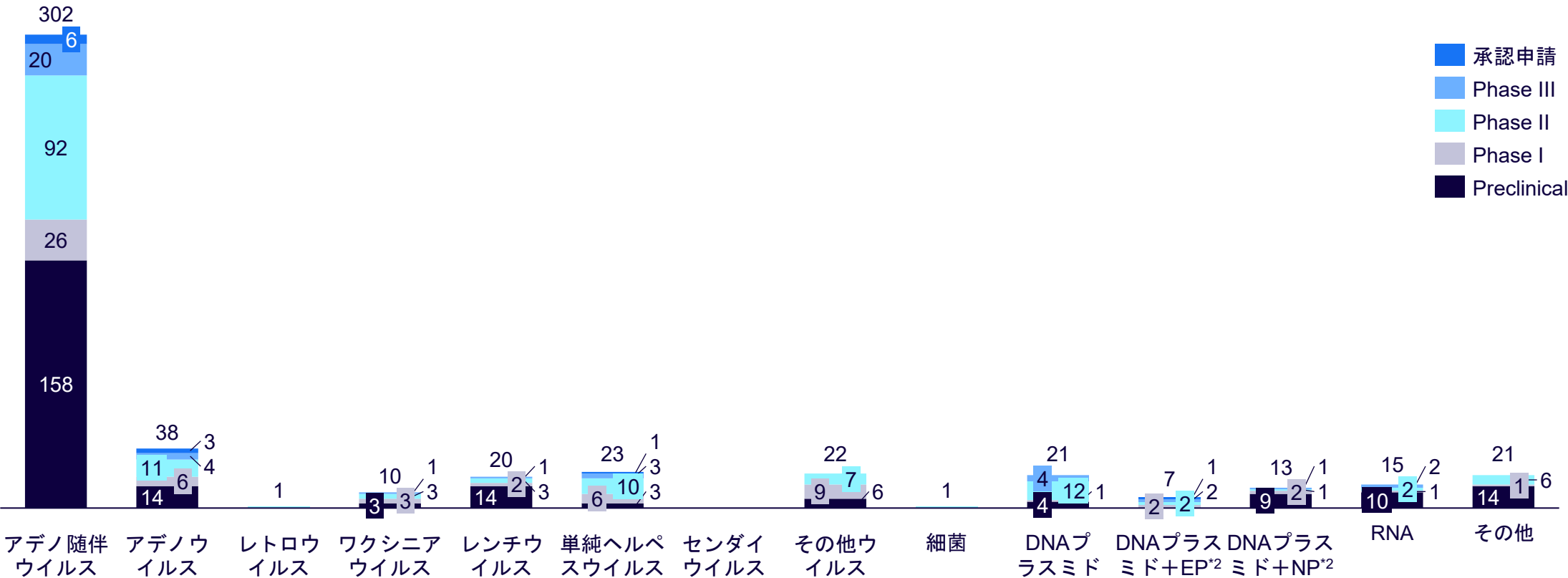
3 市場規模予測の方法

4 市場規模予測結果

in vivo遺伝子治療においては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。

2026年1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(in vivo遺伝子治療)*1



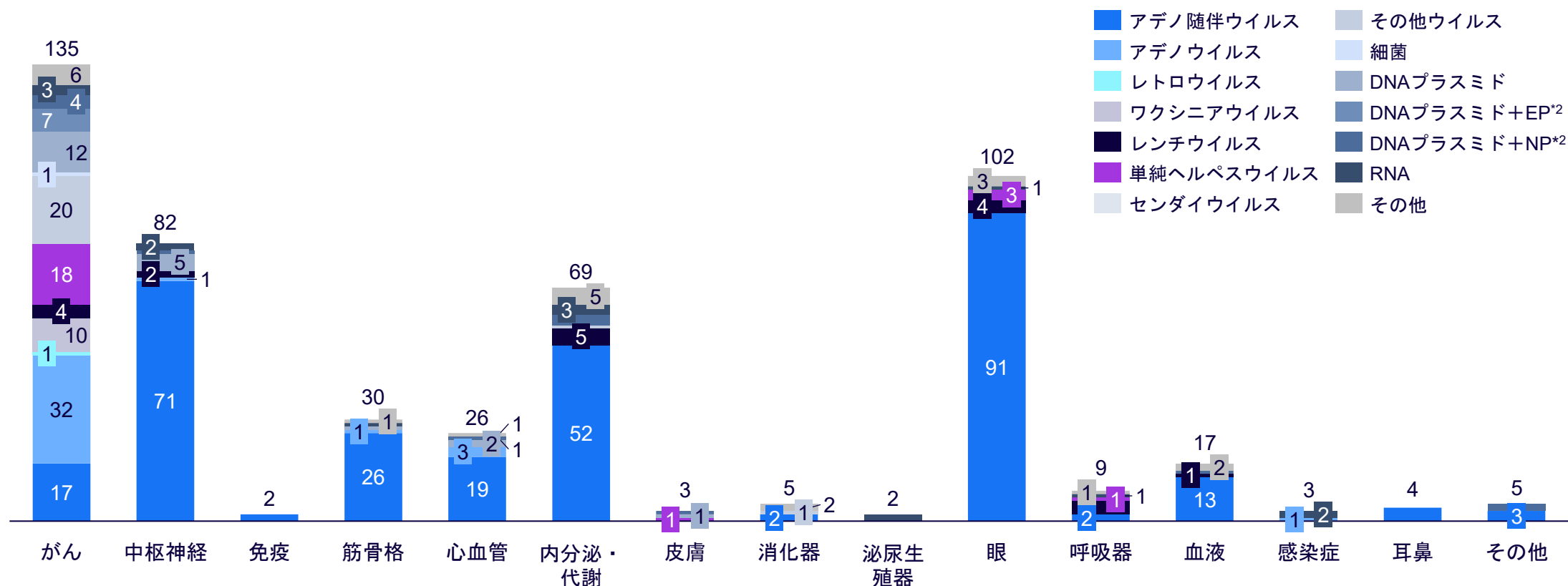
*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、ベクター種、開発段階が不明な製品はカウントしない。Phase I/IIはPhase II, Phase II/IIIはPhase IIIとしてカウント。*2: NP: ナノ粒子、EP: エレクトロポレーション
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

© Arthur D. Little 71

in vivo遺伝子治療において、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。

2026年1月時点

疾患別 x 使用ベクター種別の開発動向(in vivo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。

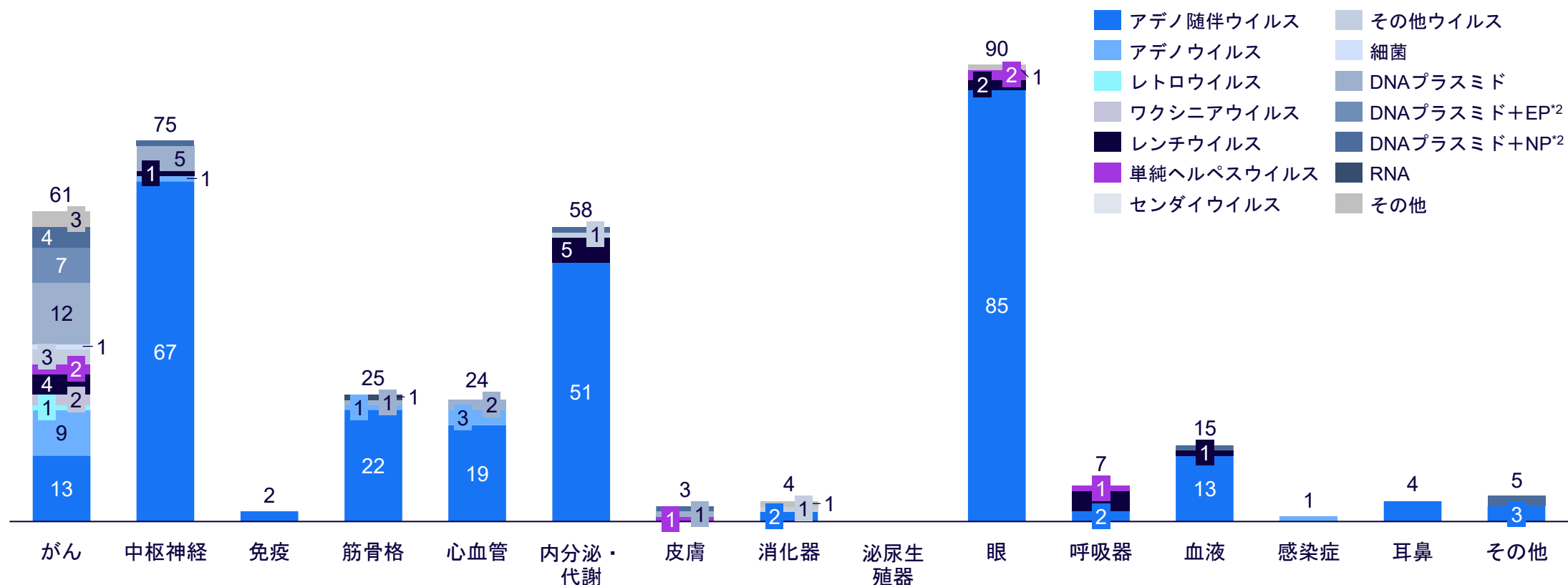
*2: NP: ナノ粒子 EP: エレクトロポレーション

出所: ADLデータベースよりアーサー・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。

2026年1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。

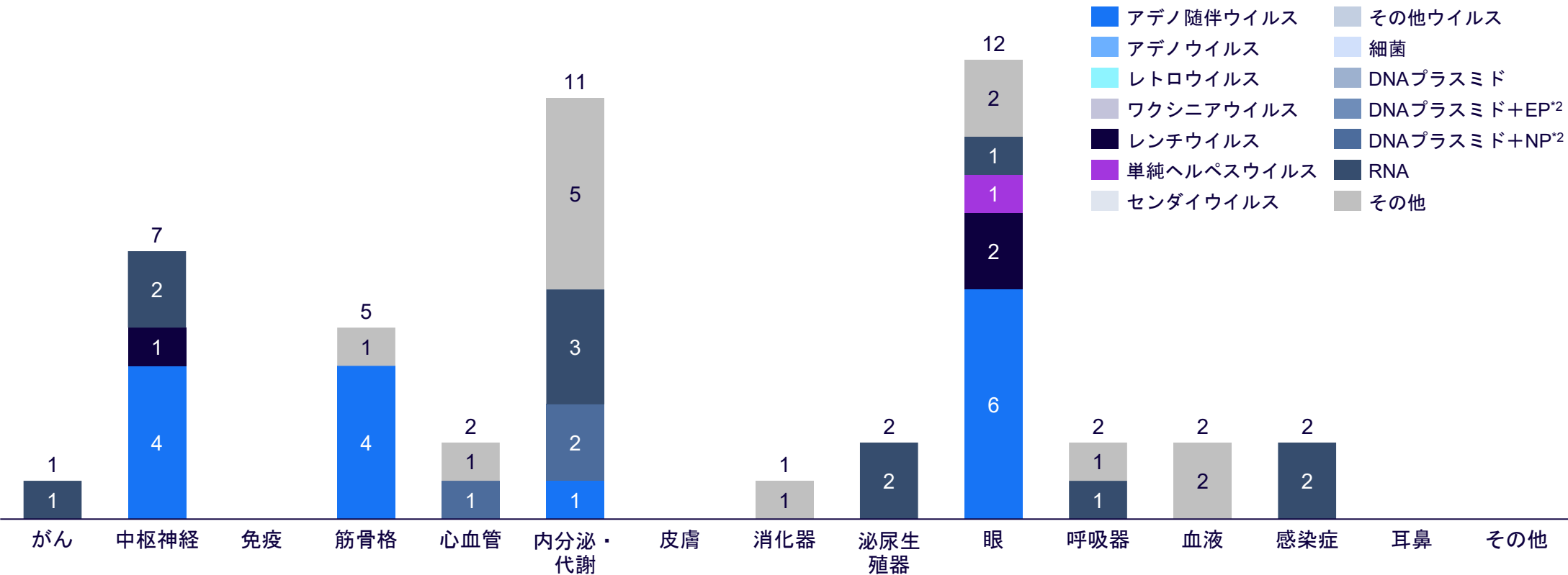
*2: NP: ナノ粒子 EP: エレクトロポレーション

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in vivo遺伝子治療モダリティと比較してRNAを用いた開発品が多いのが特徴。

2026年1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

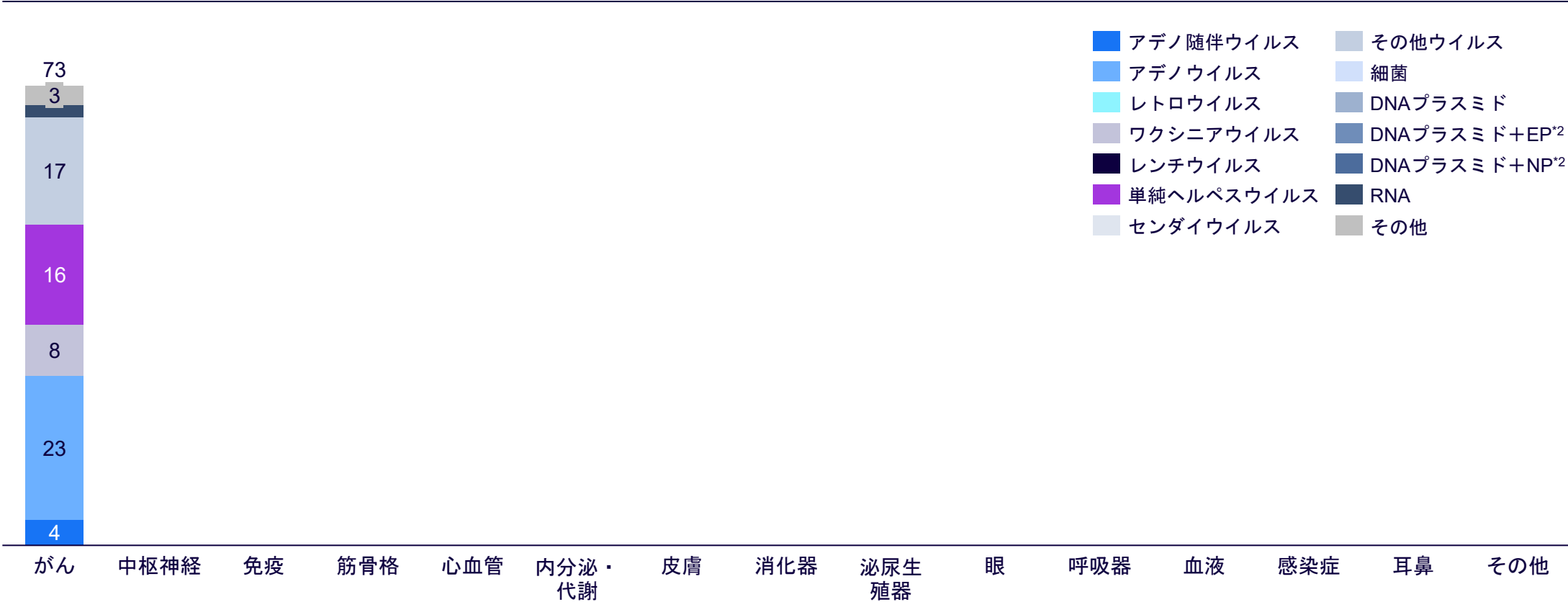


*1: 同じ疾患領域内で複数の対象疾患がある場合は1製品とカウント。疾患領域が複数ある場合は、夫々の疾患領域で1製品とカウント。又、疾患分類、ベクター種が不明な製品はカウントしない。
*2: NP: ナノ粒子 EP: エレクトロポレーション
出所: ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

ウイルス治療はがん領域で開発されている。アデノウイルスや単純ヘルペスウイルスを中心として開発されている。

2026年1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

CONTENTS

1 調査の全体像

2 開発品・上市品動向の調査結果

再生医療・細胞治療の上市品動向

再生医療・細胞治療の開発品動向

iPS細胞の開発品動向

in vivo遺伝子治療の上市品動向

in vivo遺伝子治療の開発動向

全体像

ベクター種別分析

開発エリア別分析

3 市場規模予測の方法

4 市場規模予測結果

in vivo遺伝子治療の開発品数は米国、欧州、中国の順で多い。

2026年1月時点

地域別のin vivo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

米国	246件			欧州	111件			日本	20件			中国	80件			台湾	12件			韓国	18件			東南アジア	4件		
がん	47		43	がん	16		23	がん	1		5	がん	9		18	がん	2		3	がん	5		7	がん			2
血液	2	1		血液	2	2		血液	3			血液	5	1		血液	1			血液	1			血液			
感染症	5	1		感染症	5			感染症				感染症				感染症				感染症				感染症			
眼	44	4		眼	12			眼	4			眼	15	5		眼				眼				眼			
中枢神経	26	1		中枢神経	8	2		中枢神経	1			中枢神経	6			中枢神経				中枢神経	2			中枢神経			
筋骨格	13	1		筋骨格	5			筋骨格	1			筋骨格	2	1		筋骨格				筋骨格				筋骨格			
内分泌・代謝	26	6		内分泌・代謝	17	6		内分泌・代謝	2	2		内分泌・代謝	8	4		内分泌・代謝	1	1		内分泌・代謝				内分泌・代謝		1	
皮膚	2	1		皮膚				皮膚				皮膚	1			皮膚				皮膚				皮膚			
心血管	14			心血管	3	1		心血管	1			心血管	2			心血管				心血管	2			心血管			
免疫	1			免疫	1			免疫				免疫				免疫				免疫				免疫			
泌尿生殖器	1			泌尿生殖器	1			泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器			
呼吸器	2			呼吸器	1	1		呼吸器				呼吸器				呼吸器				呼吸器				呼吸器			
消化器				消化器	3	1		消化器				消化器	2	1		消化器	4			消化器	1			消化器	1		
耳鼻	3			耳鼻	1			耳鼻				耳鼻				耳鼻				耳鼻				耳鼻			
その他	2			その他				その他				その他				その他				その他				その他			

インド	1件			カナダ	18件			中南米	4件			イスラエル	2件			オーストラリア	35件			アフリカ	1件			その他	24件			
がん			1	がん	2		1	がん	1			がん			1	がん	5		10	がん				がん	1			1
血液				血液	1			血液	1			血液				血液	1			血液				血液	3	1		
感染症				感染症				感染症				感染症				感染症				感染症				感染症				
眼				眼	4			眼				眼				眼	2			眼				眼				
中枢神経				中枢神経	2			中枢神経				中枢神経	1			中枢神経	1			中枢神経				中枢神経	1	2		
筋骨格				筋骨格	1			筋骨格				筋骨格				筋骨格	3	1		筋骨格				筋骨格	1	1		
内分泌・代謝				内分泌・代謝	3	3		内分泌・代謝	1	1		内分泌・代謝				内分泌・代謝	3	3		内分泌・代謝		1		内分泌・代謝	2	2		
皮膚				皮膚				皮膚				皮膚				皮膚		1		皮膚				皮膚		1		
心血管				心血管	1			心血管				心血管				心血管	1	1		心血管				心血管	1			
免疫				免疫				免疫				免疫				免疫				免疫				免疫				
泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				泌尿生殖器				
呼吸器				呼吸器				呼吸器				呼吸器				呼吸器	1	1		呼吸器				呼吸器	1	1		
消化器				消化器				消化器				消化器				消化器				消化器				消化器	4	1		
耳鼻				耳鼻				耳鼻				耳鼻				耳鼻	1			耳鼻				耳鼻				
その他				その他				その他				その他				その他				その他				その他				

*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 77

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、中国の順が多い。

2026年1月時点												地域別の遺伝子導入開発製品数*1										Phase I		Phase II																	
米国			155件			欧州			60件			日本			5件			中国			42件			台湾			7件			韓国			10件			東南アジア			1件		
がん	13	28	がん	2	11	がん			がん			がん	5	1	がん			がん		2	がん	3	2	がん			がん			がん											
血液			血液		1	血液			血液			血液	2	3	血液			血液			血液			血液			血液			血液											
感染症	4	1	感染症	3	1	感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症											
眼	6	28	眼	2	8	眼		1	眼			眼	3	10	眼			眼			眼			眼			眼			眼											
中枢神経	2	23	中枢神経		7	中枢神経		1	中枢神経			中枢神経	4	1	中枢神経			中枢神経			中枢神経		2	中枢神経			中枢神経			中枢神経											
筋骨格	3	8	筋骨格		3	筋骨格		1	筋骨格			筋骨格	1	1	筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格											
内分泌・代謝	3	16	内分泌・代謝		13	内分泌・代謝	1		内分泌・代謝			内分泌・代謝	3	5	内分泌・代謝			内分泌・代謝		1	内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝											
皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚	1		皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚											
心血管	5	7	心血管	1	1	心血管		1	心血管			心血管			心血管			心血管			心血管		2	心血管			心血管			心血管											
免疫		1	免疫		1	免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫											
泌尿生殖器	1		泌尿生殖器	1		泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器											
呼吸器	2		呼吸器	1		呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器											
消化器			消化器	2	1	消化器			消化器			消化器	1	1	消化器			消化器		3	1	消化器		1	消化器			消化器			消化器		1								
耳鼻		2	耳鼻		1	耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻											
その他	1	1	その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他											
インド			0件			カナダ			8件			中南米			1件			イスラエル			1件			オーストラリア			13件			アフリカ			0件			その他			10件		
がん			がん		1	がん			がん			がん			がん			がん	4	1	がん			がん			がん			がん											
血液			血液			血液			血液			血液			血液			血液			血液			血液			血液			血液		1									
感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症											
眼			眼		2	眼			眼			眼			眼			眼	1		眼			眼			眼			眼											
中枢神経			中枢神経		2	中枢神経			中枢神経			中枢神経		1	中枢神経			中枢神経		1	中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経		1									
筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格		2	筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格		1									
内分泌・代謝			内分泌・代謝		2	内分泌・代謝		1	内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		1	内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		2									
皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚											
心血管			心血管		1	心血管			心血管			心血管			心血管			心血管		1	心血管			心血管			心血管			心血管											
免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫											
泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器											
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器	1		呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器	1										
消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器	4										
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻		1	耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻											
その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他											

*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. Little78

遺伝子導入における臨床後期段階の開発品数は、米国、欧州、日本・中国の順が多い。

2026年1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

米国	33件		欧州	15件		日本	8件		中国	8件		台湾	1件		韓国	1件		東南アジア	0件	
がん	5	1	がん	2	1	がん		1	がん		3	がん			がん			がん		
血液	2		血液	1		血液		3	血液			血液		1	血液		1	血液		
感染症			感染症		1	感染症			感染症			感染症			感染症			感染症		
眼	9	1	眼	2		眼		3	眼		2	眼			眼			眼		
中枢神経	1		中枢神経	1		中枢神経			中枢神経		1	中枢神経			中枢神経			中枢神経		
筋骨格	2		筋骨格	2		筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格		
内分泌・代謝	3	4	内分泌・代謝	4		内分泌・代謝		1	内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚	2		皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚		
心血管	2		心血管	1		心血管			心血管		1	心血管			心血管			心血管		
免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫		
泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器		
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器		
消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器		
耳鼻		1	耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻		
その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他		
インド	0件		カナダ	6件		中南米	2件		イスラエル	0件		オーストラリア	5件		アフリカ	0件		その他	4件	
がん			がん	1		がん		1	がん			がん			がん			がん		1
血液			血液	1		血液		1	血液			血液		1	血液			血液		2
感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症		
眼			眼		2	眼			眼			眼		1	眼			眼		
中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経		
筋骨格			筋骨格		1	筋骨格			筋骨格			筋骨格		1	筋骨格			筋骨格		
内分泌・代謝			内分泌・代謝		1	内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		2	内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚		
心血管			心血管			心血管			心血管			心血管			心血管			心血管		1
免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫		
泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器		
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器		
消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器		
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻		
その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他		

*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

遺伝子編集における臨床初期段階の開発品数は、米国、中国、欧州の順が多い。

2026年1月時点

地域別の遺伝子編集開発製品数*1

Phase I		Phase II	
米国	12件	欧州	11件
がん		がん	
血液	1	血液	2
感染症	1	感染症	
眼	1	眼	
中枢神経		中枢神経	2
筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝	1	内分泌・代謝	2
皮膚		皮膚	
心血管		心血管	1
免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器	1
消化器		消化器	1
耳鼻		耳鼻	
その他		その他	
日本	0件	中国	12件
がん		がん	
血液		血液	1
感染症		感染症	
眼		眼	3
中枢神経		中枢神経	2
筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝	1
皮膚		皮膚	3
心血管		心血管	
免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器	1
耳鼻		耳鼻	
その他		その他	
台湾	0件	韓国	0件
がん		がん	
血液		血液	
感染症		感染症	
眼		眼	
中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚	
心血管		心血管	
免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻	
その他		その他	
東南アジア	0件	インド	0件
がん		がん	
血液		血液	
感染症		感染症	
眼		眼	
中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚	
心血管		心血管	
免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻	
その他		その他	
カナダ	2件	イスラエル	0件
がん		がん	
血液		血液	
感染症		感染症	
眼		眼	
中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝	2	内分泌・代謝	
皮膚		皮膚	
心血管		心血管	
免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻	
その他		その他	
中南米	0件	オーストラリア	6件
がん		がん	
血液		血液	
感染症		感染症	
眼		眼	
中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚	
心血管		心血管	
免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻	
その他		その他	
イスラエル	0件	アフリカ	1件
がん		がん	
血液		血液	
感染症		感染症	
眼		眼	
中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚	
心血管		心血管	
免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻	
その他		その他	
オーストラリア	6件	その他	5件
がん		がん	
血液		血液	1
感染症		感染症	
眼		眼	
中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚	
心血管		心血管	
免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻	
その他		その他	
アフリカ	1件		
がん		がん	
血液		血液	
感染症		感染症	
眼		眼	
中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝	1	内分泌・代謝	
皮膚		皮膚	
心血管		心血管	
免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻	
その他		その他	

*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 80

遺伝子編集における臨床後期段階の開発品は、米国、欧州、日本に複数存在する他、アジア、カナダ、中南米、オーストラリアにも1品目存在。

2026年1月時点

地域別の遺伝子編集開発製品数*1

Phase III

承認申請中

米国	3件	欧州	2件	日本	2件	中国	0件	台湾	1件	韓国	0件	東南アジア	1件
がん		がん		がん		がん		がん		がん		がん	
血液		血液		血液		血液		血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		眼		眼		眼		眼		眼		眼	
中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝	2	内分泌・代謝	2	内分泌・代謝	2	内分泌・代謝		内分泌・代謝	1	内分泌・代謝		内分泌・代謝	1
皮膚	1	皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	
インド	0件	カナダ	1件	中南米	1件	イスラエル	0件	オーストラリア	1件	アフリカ	0件	その他	4件
がん		がん		がん		がん		がん		がん		がん	
血液		血液		血液		血液		血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		眼		眼		眼		眼		眼		眼	
中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経	2
筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝	1	内分泌・代謝	1	内分泌・代謝		内分泌・代謝	1	内分泌・代謝		内分泌・代謝	2
皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	

*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。

ウイルス治療における臨床初期段階の開発品数は、米国、欧州、中国の順で多い。

2026年1月時点

地域別のウイルス治療開発製品数*1

Phase I

Phase II

米国	37件		欧州	21件		日本	2件		中国	17件		台湾	1件		韓国	5件		東南アジア	0件	
がん	23	14	がん	8	13	がん	2		がん	9	8	がん	1		がん	3	2	がん		
血液			血液			血液			血液			血液			血液			血液		
感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症			感染症		
眼			眼			眼			眼			眼			眼			眼		
中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経		
筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格		
内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			皮膚		
心血管			心血管			心血管			心血管			心血管			心血管			心血管		
免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫			免疫		
泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器		
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器		
消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器			消化器		
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻		
その他			その他			その他			その他			その他			その他			その他		
インド	1件		カナダ	1件		中南米	0件		イスラエル	0件		オーストラリア	8件		アフリカ	0件		その他	0件	
がん		1	がん		1	がん			がん			がん	7	1	がん			がん		
血液			血液			血液			血液			感染症			血液			血液		
感染症			感染症			感染症			感染症			筋骨格			感染症			感染症		
眼			眼			眼			眼			血液			眼			眼		
中枢神経			中枢神経			中枢神経			中枢神経			呼吸器			中枢神経			中枢神経		
筋骨格			筋骨格			筋骨格			筋骨格			心血管			筋骨格			筋骨格		
内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			内分泌・代謝			耳鼻			内分泌・代謝			内分泌・代謝		
皮膚			皮膚			皮膚			皮膚			消化器			皮膚			皮膚		
心血管			心血管			心血管			心血管			その他			心血管			心血管		
免疫			免疫			免疫			免疫			中枢神経			免疫			免疫		
泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			泌尿生殖器			内分泌・代謝			泌尿生殖器			泌尿生殖器		
呼吸器			呼吸器			呼吸器			呼吸器			泌尿生殖器			呼吸器			呼吸器		
消化器			消化器			消化器			消化器			皮膚			消化器			消化器		
耳鼻			耳鼻			耳鼻			耳鼻			眼			耳鼻			耳鼻		
その他			その他			その他			その他			免疫			その他			その他		

*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



ウイルス治療における臨床後期段階の開発は米国に次いで日本が多い。

2026年1月時点

地域別のウイルス治療開発製品数*1

Phase III
承認申請中

米国	6件	欧州	2件	日本	3件	中国	1件	台湾	2件	韓国	2件	東南アジア	2件
がん	4	がん	2	がん	2	がん	1	がん	2	がん	2	がん	2
血液		血液		血液		血液		血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		眼		眼		眼		眼		眼		眼	
中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	
インド	0件	カナダ	0件	中南米	0件	イスラエル	1件	オーストラリア	2件	アフリカ	0件	その他	1件
がん		がん		がん		がん	1	がん	2	がん		がん	1
血液		血液		血液		血液		血液		血液		血液	
感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症		感染症	
眼		眼		眼		眼		眼		眼		眼	
中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経		中枢神経	
筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格		筋骨格	
内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝		内分泌・代謝	
皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚		皮膚	
心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管		心血管	
免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫		免疫	
泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器		泌尿生殖器	
呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器		呼吸器	
消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器		消化器	
耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻		耳鼻	
その他		その他		その他		その他		その他		その他		その他	

*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

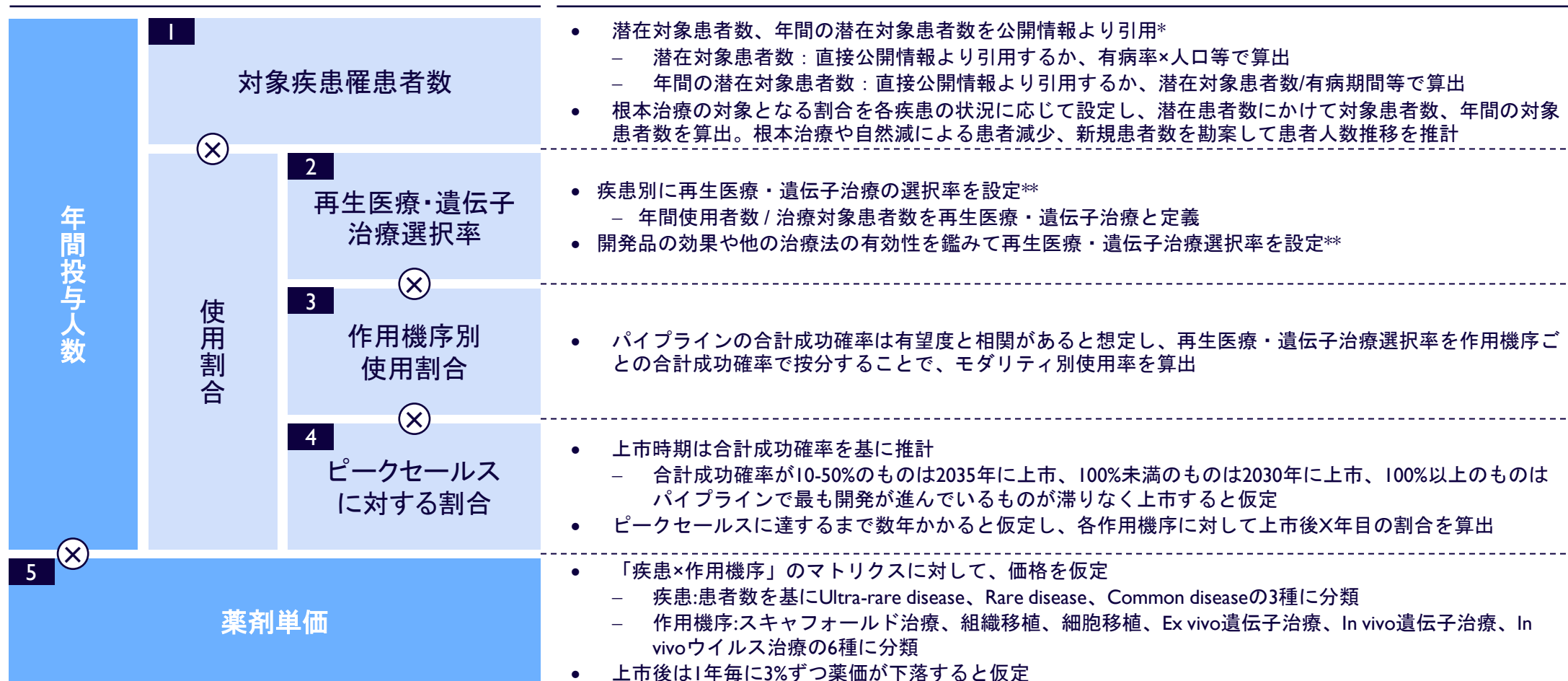
© Arthur D. Little 83

3.市場規模予測の方法

「投与人数×薬剤単価」により各疾患で再生医療・遺伝子治療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



*: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

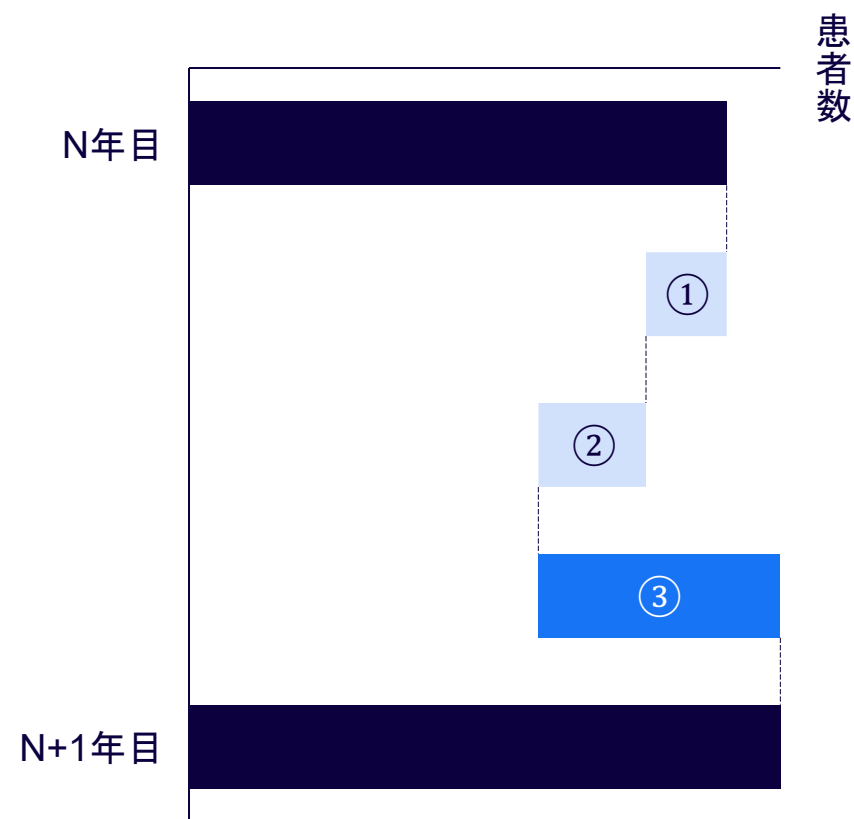
アンメットニーズの強い疾患では再生医療・遺伝子治療が一定割合以上の患者に適用されると想定。ほかの疾患では重症患者に使用されると想定し対象患者の割合を設定。

疾患区分	疾患例	CGT ^{*1} の対象割合	設定の背景
アンメット ニーズの強い 疾患	- 筋萎縮性側索硬化症 - 肺動脈性肺高血圧、等	- CGT治療の享受率をグローバル20%、日本80%で設定 - ベースラインを以下とし、個別疾患の状況に応じて調整 - 致死性・重篤性の高いもの：50～75% - 致死性でないもの：10～20%	- 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
その他の 疾患	- 糖尿病 - パーキンソン病 - 加齢黄斑変性、等	- CGT治療の享受率をグローバル20%、日本80%で設定 - 各疾患の重症患者の割合や、患者数・重篤度等に応じて疾患個別に設定	- 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 - 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、新規患者数を考慮して算出。

患者数推移の考え方

項目	計算方法
① 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
② 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
③ 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康人と同等の場合は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。

疾患区分		CGT ^{*2} の選択率	設定の背景
重要検討疾患 ^{*1} に該当する	売上や売上予測データあり	実際の売上や売上予測より選択率を計算	- 上市品、承認申請中の品目の実態に即した選択率を逆算 - がんなど適用拡大を前提とした疾患は個別に算出
	売上や売上予測データなし 臨床試験結果あり	他治療法の効果や市場環境、市場規模を考慮して個別で選択率を設定	- 効果や副作用、競合状況が選択率に影響すると想定 - 他治療法の効果が高い場合は選択率が低くなると思料
	臨床試験結果なし	ベースを5%とし、市場環境や市場規模等を考慮して個別で設定	ピークにおいて全対象患者の5%程度が使用すると仮定
重要検討疾患 ^{*1} に該当しない		ベースを2%とし、市場環境や市場規模等を考慮して個別で設定	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。^{*2}: Cell and Gene Therapyの略で再生医療・遺伝子治療の意味
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	設定の背景
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	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	- 開発が進んでいる、または上市品が出ている - 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	- 開発が進んでいる、または上市品が出ている - 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

	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%						
II 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）。
また、同一のパイプラインで同一の疾患に対して開発が行われている場合（同一パイプラインで開発・上市地域だけが違う場合など）は重複を削除
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

	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
成功確率	221%	0%	225%	31%	0%	215%	240%	0%	0%
各作用機序の選択率	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。

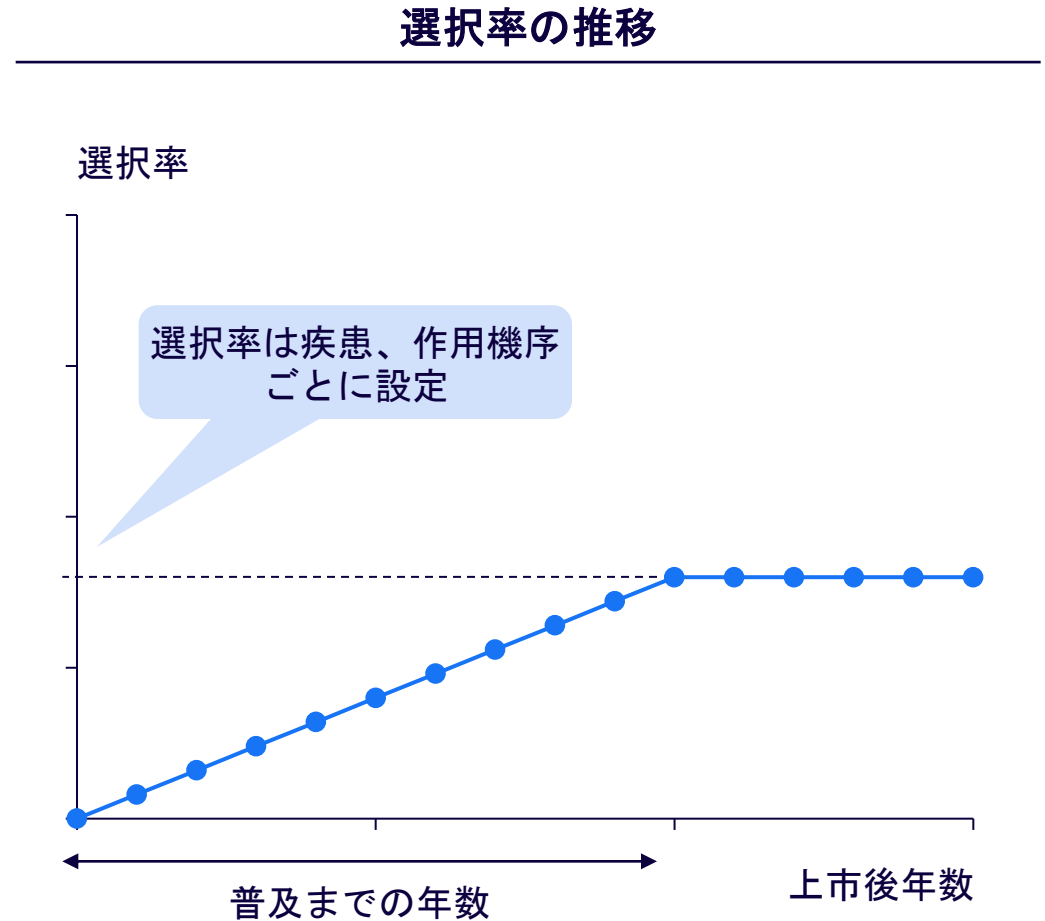
上市時期の設定方法			設定の背景
疾患・作用機序ごとの成功確率 (P)	$100\% \leq P$	遅延なく上市 (最も進んでいる開発品のフェーズに依存)	- 臨床後期の開発品が多い、もしくは上市品が存在している場合を想定 - 製品の上市時期が予測可能
	$50\% \leq P < 100\%$	2030年に上市	- 臨床後期に少数の開発品が存在している場合を想定した際、臨床試験の結果により上市時期が遅れる可能性 - 臨床早期に開発品が多数存在している場合を想定した際、上市まで時間がかかる可能性
	$10\% \leq P < 50\%$	2035年に上市	- 臨床早期に開発品が少数存在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	- 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

上市までの年数と臨床フェーズ

© Arthur D. Little 94

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	- 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	- 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	15年	10年
備考	細胞の安定供給に時間を要すると思料	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)			備考
作用機序		Ultra-rare disease (<1/50,000)	Rare disease (1/50,000-1/2,000)	Common disease (>1/2,000)	
再生医療	組織移植	15	10	2.5	・ 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	・ 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	・ 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
遺伝子治療	遺伝子改変免疫細胞療法	60	60	60	・ 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	・ 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	60	・ 上市品10品目からの推計
	遺伝子編集	400	250	60	・ 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	・ 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

- 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。
- 日本における上市に関し、ドラッグロスの影響については反映していない

4.市場規模予測の方法

CONTENTS

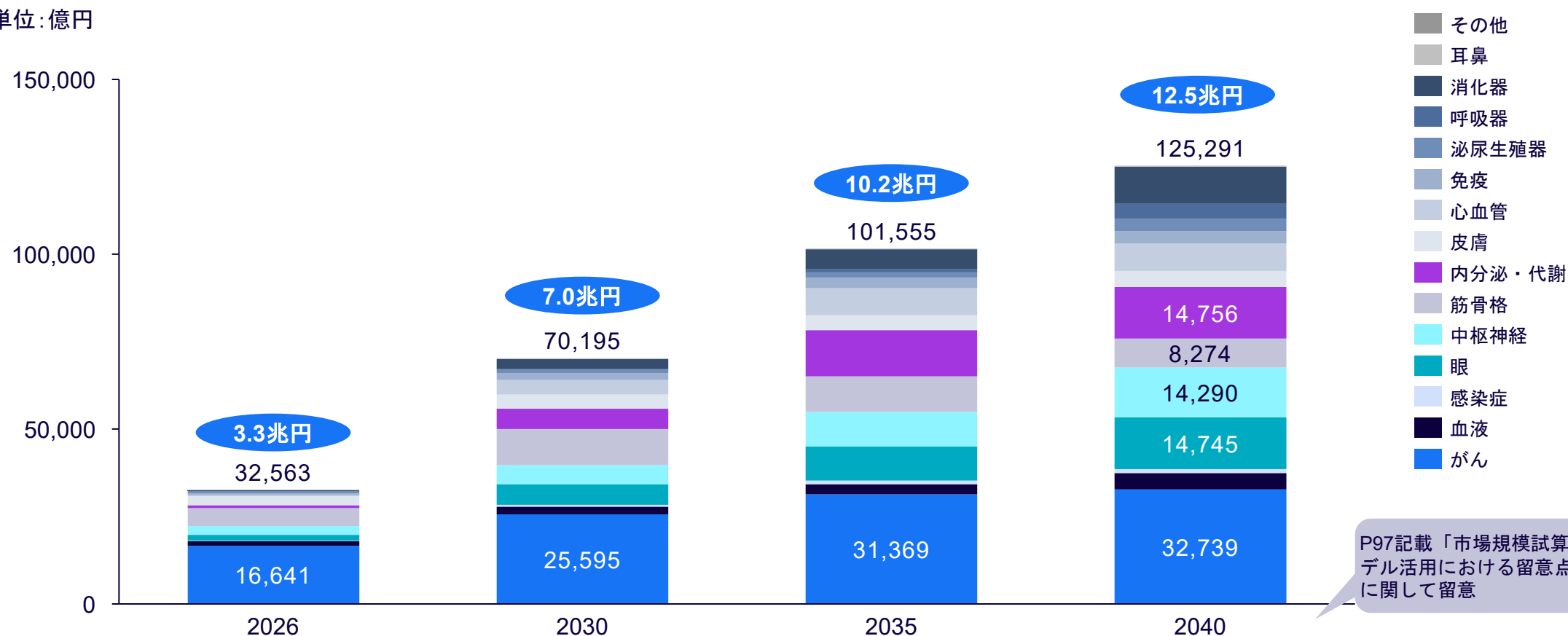
- 1 調査の全体像
- 2 開発品・上市品動向の調査結果
- 3 市場規模予測の方法
- 4 市場規模予測結果
 - グローバル市場
 - 国内市場

がんだけでなく中枢神経や内分泌・代謝、眼科、筋骨格領域が市場拡大を牽引し、2030年には約7兆円、2040年には約12.5兆円の市場規模に達すると推計。

25年度版

グローバル市場：市場規模推計（疾患別）

単位：億円

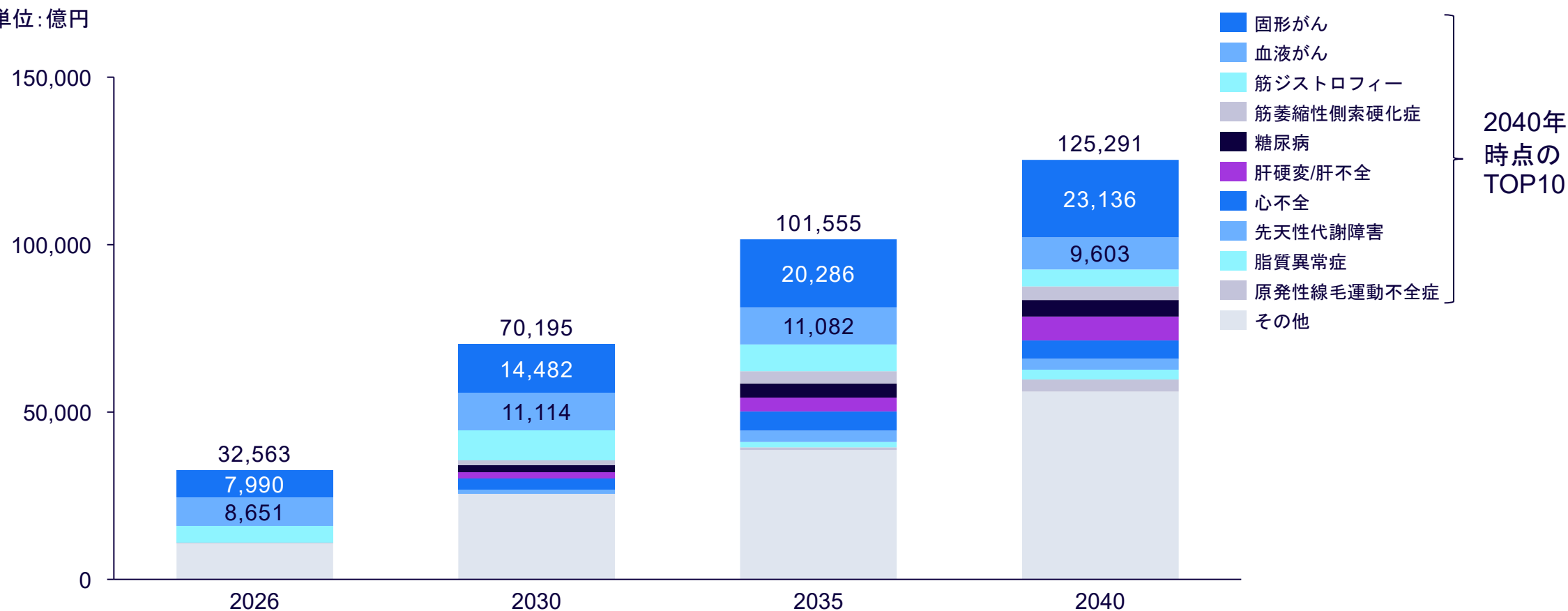


血液がんが足元最も大きいセグメントだが、次第に固形がんの方が大きくなる。その他、遺伝性の疾患や臓器不全が規模として大きい。

25年度版

グローバル市場：市場規模推計（疾患別）

単位：億円



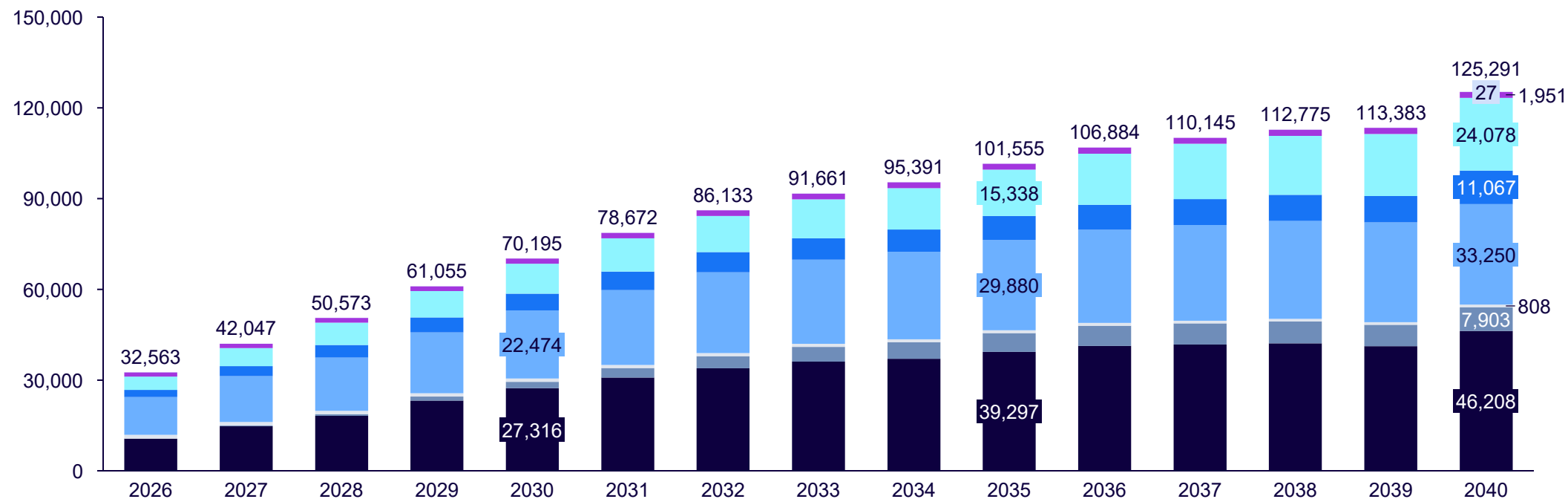
遺伝子導入や遺伝子改変免疫細胞療法、細胞移植が市場拡大を大きく牽引。スキャフォールド治療、組織移植、ウイルス治療の拡大余地は限定的な見込み。

25年度版

グローバル市場：市場規模推計（作用機序別）

スキャフォールド治療 組織移植 細胞移植 遺伝子改変細胞 遺伝子改変免疫細胞療法 ウイルス治療 遺伝子編集 遺伝子導入

単位：億円

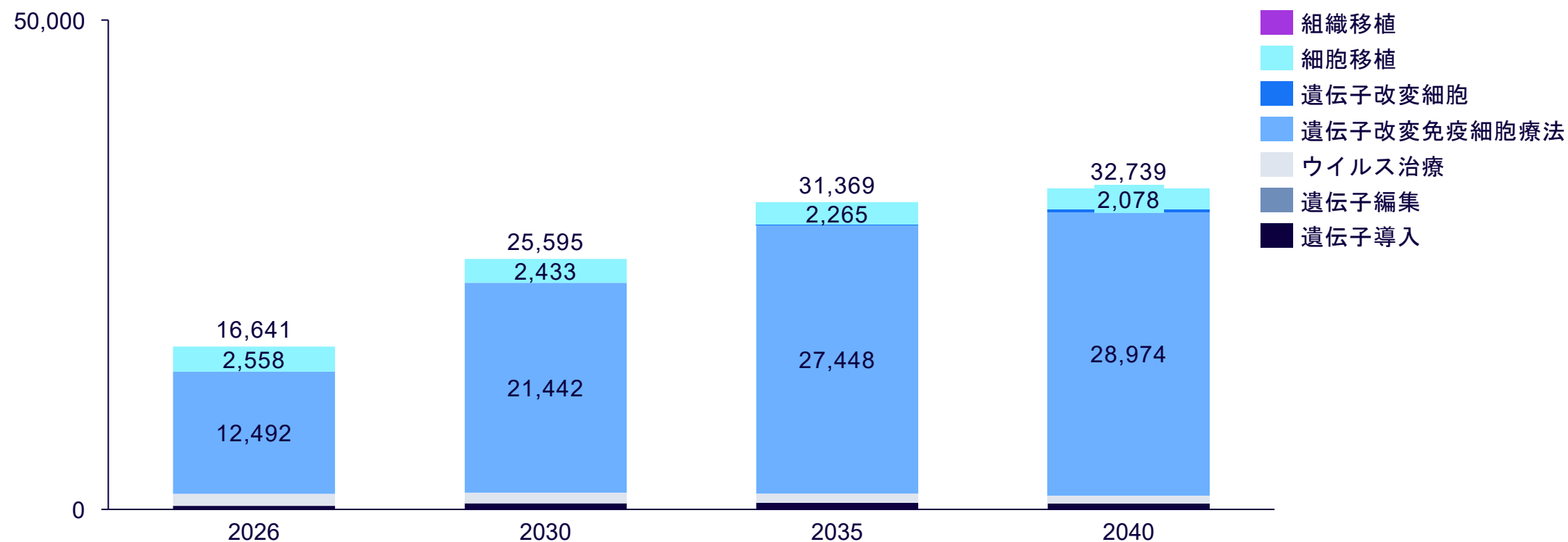


がん領域においては遺伝子改変免疫細胞療法がほとんどを占める。

25年度版

グローバル市場：市場規模推計（がん, モダリティ別）

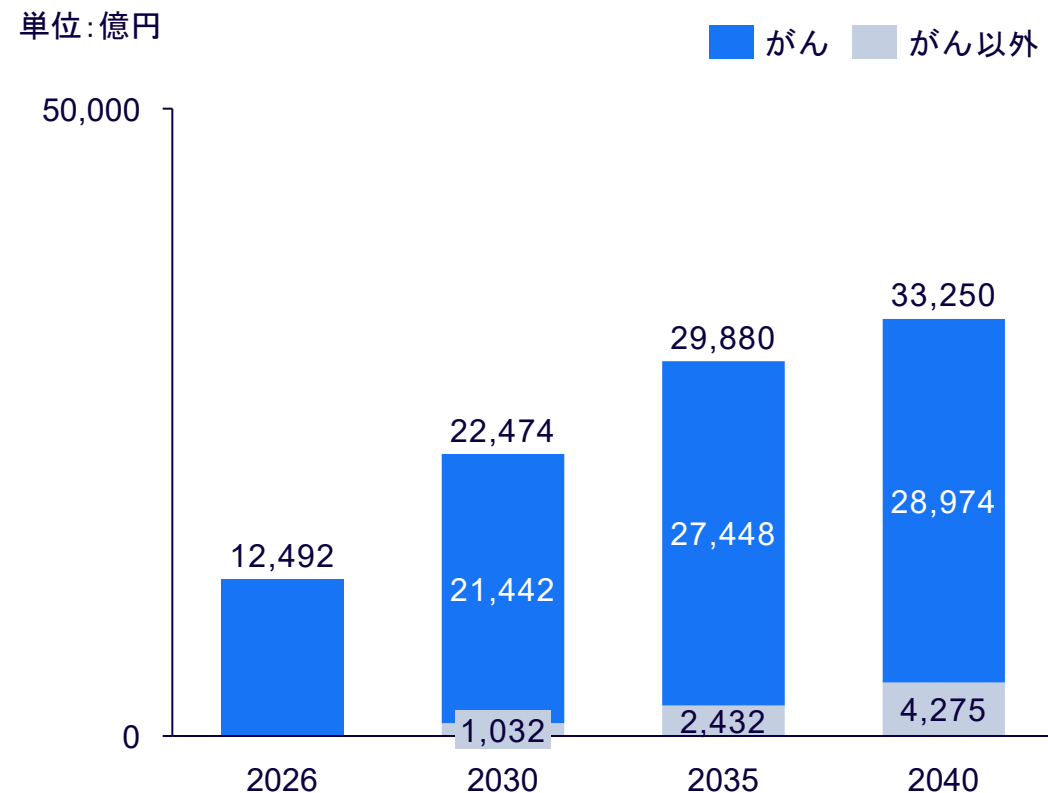
単位: 億円



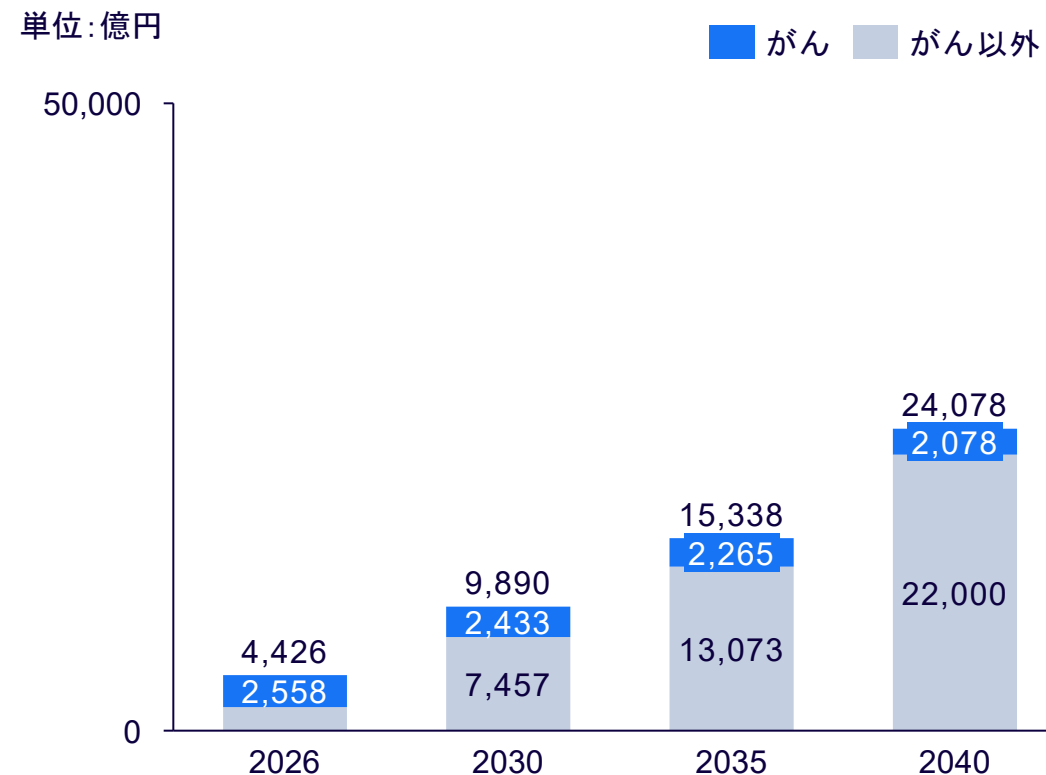
遺伝子改変免疫細胞療法においてはがんがほとんどを占めるが、細胞移植はがん以外の方が大きい。

25年度版

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）



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

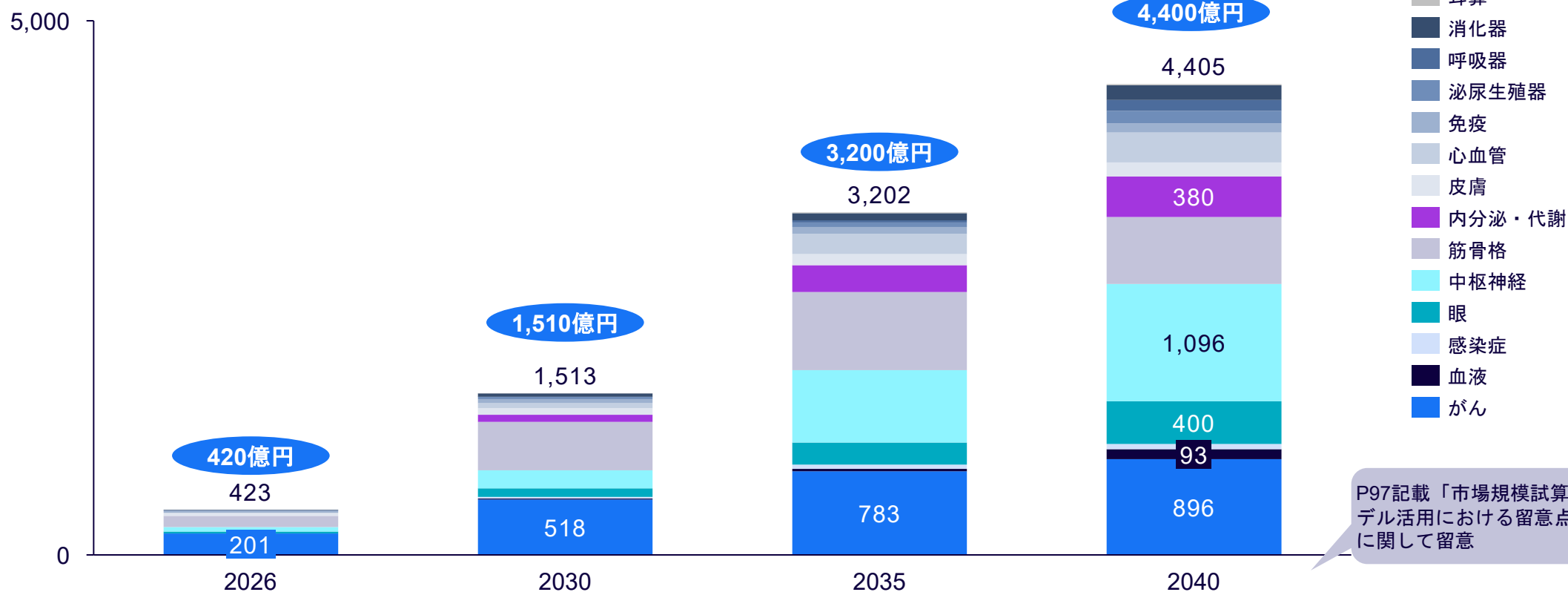
4 市場規模予測結果

グローバル市場

国内市場

国内市場：市場規模推計（疾患別）

單位: 億円



P97記載「市場規模試算モデル活用における留意点」
に関して留意

固形がんや血液がん、遺伝性の希少疾患が中心の市場となる。

25年度版

国内市場：市場規模推計（疾患別）

単位：億円

5,000

0

2026

2030

2035

2040

- 固形がん
- 筋ジストロフィー
- 筋萎縮性側索硬化症
- 血液がん
- アルツハイマー病
- 糖尿病
- 心筋症
- 脂質異常症
- 心不全
- 緑内障
- その他

2040年
時点の
TOP10

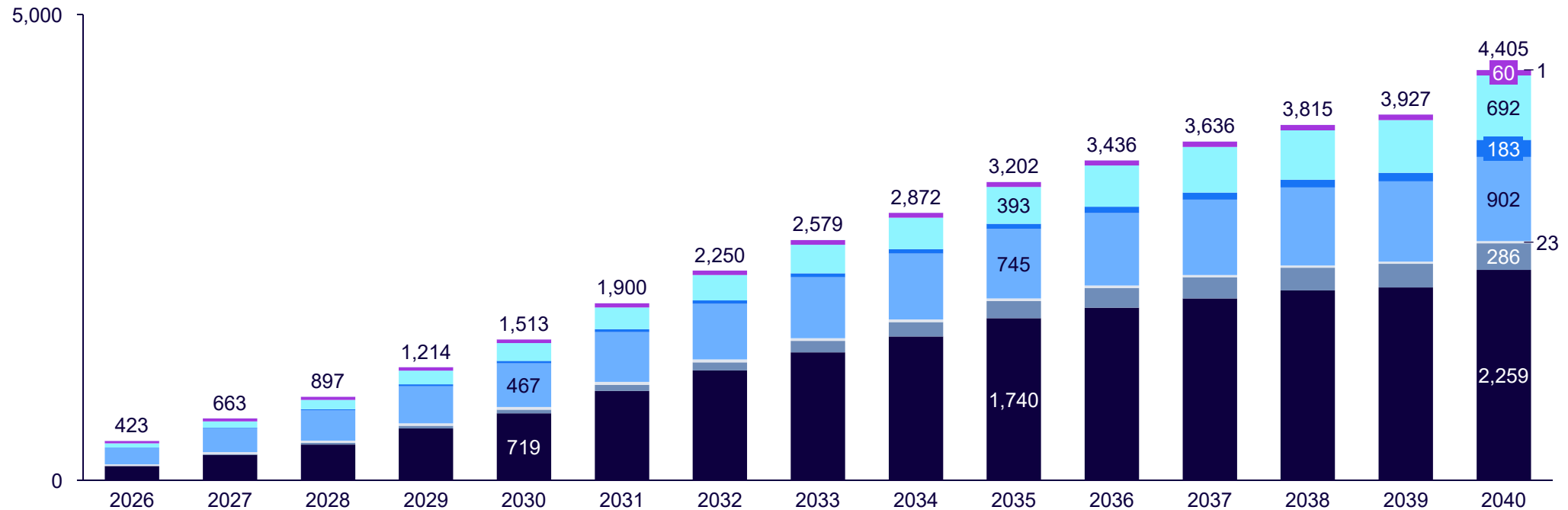
遺伝子導入や遺伝子改変免疫細胞療法、細胞移植が市場拡大を大きく牽引。スキャフォールド治療、組織移植、ウイルス治療の拡大余地は限定的な見込み。

25年度版

国内市場：市場規模推計（作用機序別）

スキャフォールド治療 組織移植 細胞移植 遺伝子改変細胞 遺伝子改変免疫細胞療法 ウイルス治療 遺伝子編集 遺伝子導入

単位：億円

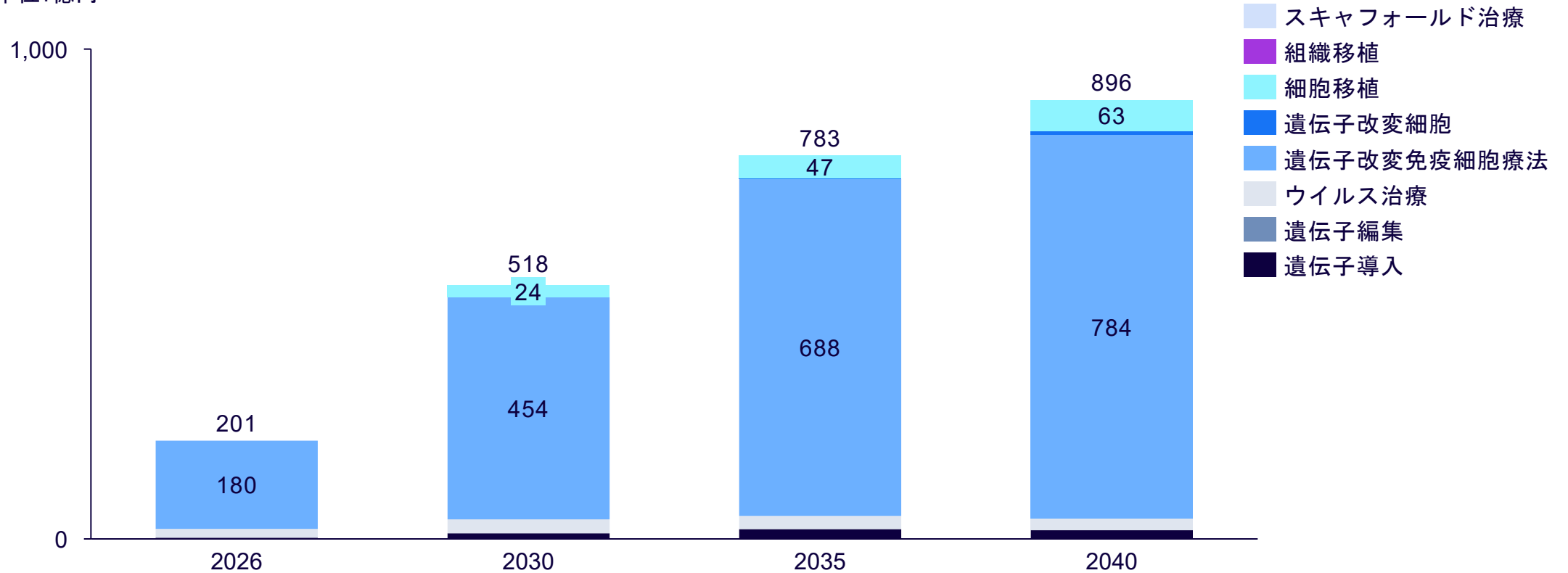


がん領域においてはグローバル同様、遺伝子改変免疫細胞療法がほとんどを占める。

25年度版

国内市場：市場規模推計（がん, モダリティ別）

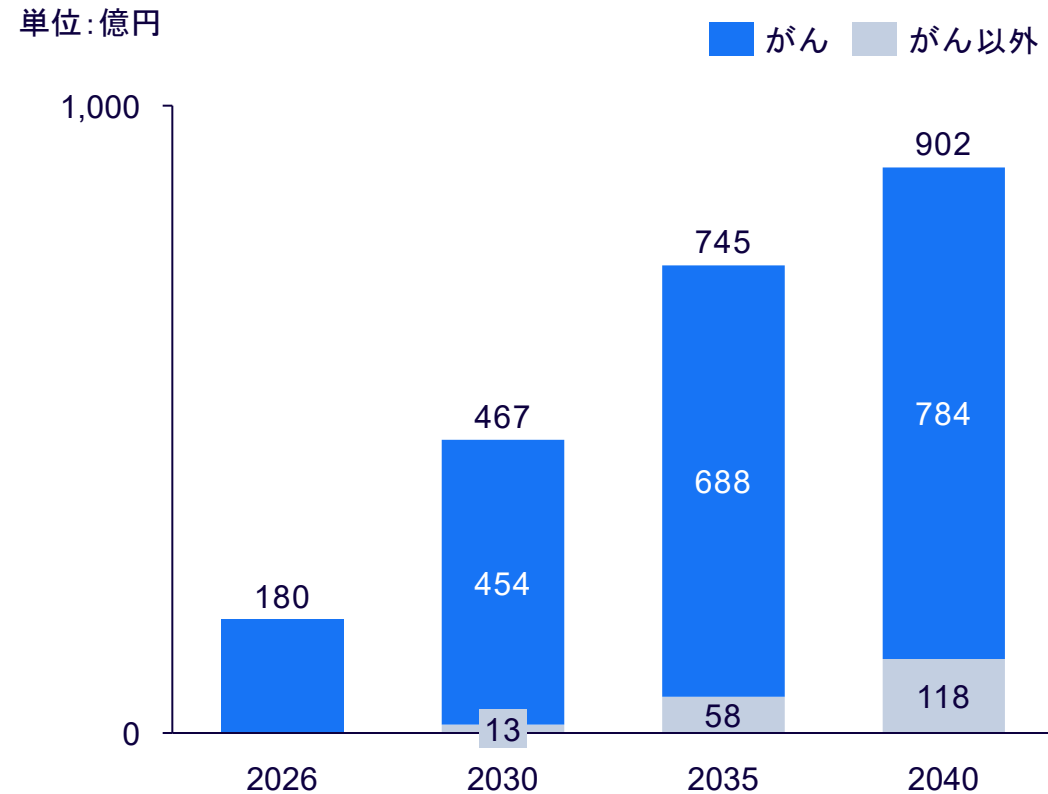
単位: 億円



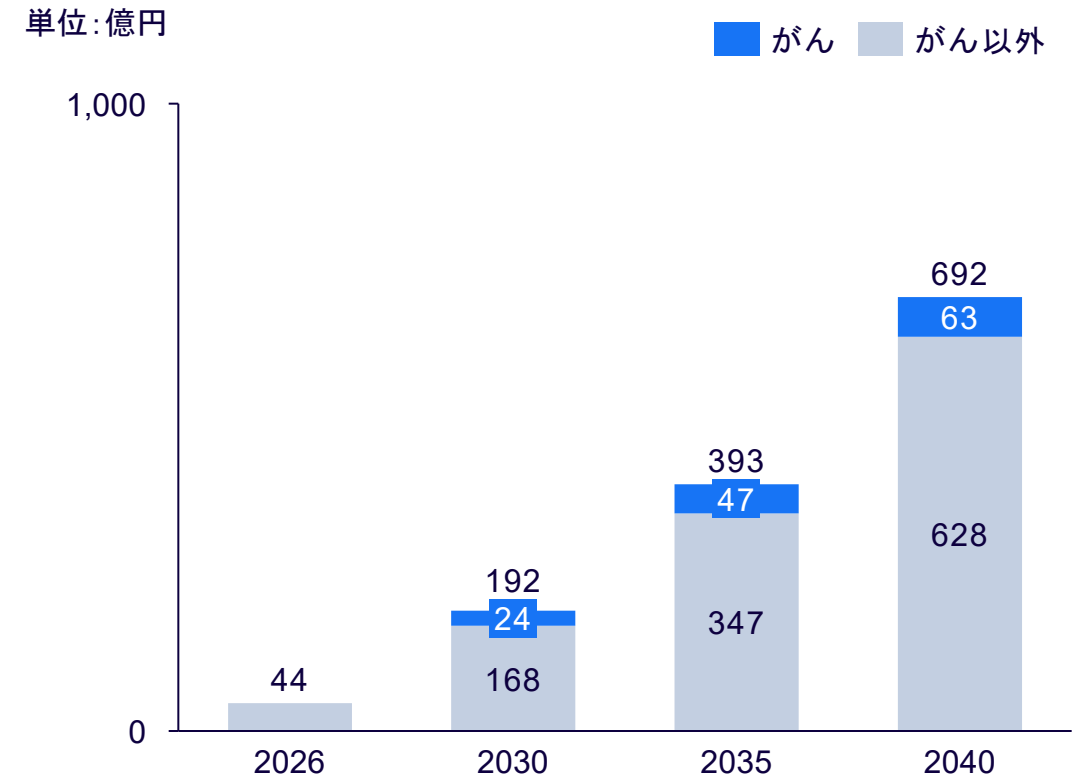
遺伝子改変免疫細胞療法においてはがんがほとんどを占めるが、細胞移植はがん以外がほとんどを占めており、グローバルと同様の傾向である。

25年度版

国内市場：市場規模推計（遺伝子改変免疫細胞療法）



国内市場：市場規模推計（細胞移植）



アーサー・ディ・リトル（ADL）は、1886年の創業以来、イノベーションの最前線で企業を支援し続けています。テクノロジー産業をはじめ、技術・業界が融合した新しい産業において、戦略とイノベーション、トランスフォーメーションを結びつけるソートリーダーとして認知されています。ADLは、ビジネスエコシステムの変化を的確に捉え、クライアントが新たな成長機会を見出すことを支援し、さらに組織を変革し、クライアントのイノベーション能力を高めることに注力します。

ADLのコンサルタントは、様々な業界における豊富な実務経験と、重要なトレンドとダイナミクスに関する優れた知識を兼ね備え、クライアントの価値創造に貢献します。また当社のオフィスは、世界中の主要なビジネス拠点に存在し、フォーチュン1000社の大半に加え、その他の大手企業や公的機関に一貫したサービスを提供しています。

詳細については、www.adlittle.com/jp-ja をご覧ください。

著作権©:Arthur D. Little Luxembourg S.A. 2026.

All rights reserved.

アーサー・ディ・リトル・ジャパン

問い合わせ先：

花村 遼(Partner)

hanamura.ryo@adlittle.com

神田 浩聡 (Principal)

koda.hiroaki@adlittle.com

小林 美保 (Principal)

kobayashi.miho@adlittle.com

105-7136

東京都港区東新橋1-5-2

汐留シティセンター36階

電話：03-4550-0201（代表）

www.adlittle.com/jp-ja

ARTHUR  LITTLE

THE DIFFERENCE