

2024年4月4日（木）
内閣府 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会

企業視点からの再生医療の現状課題と 解決への道筋

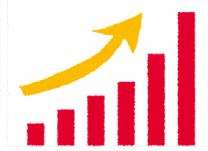
一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム（FIRM）
代表理事会長 志鷹 義嗣

Agenda

- ◆ はじめに
- ◆ 再生医療のあるべき姿と現状、解決への道筋
- ◆ 再生医療のあるべき姿に向けたルール・規制の整備
 - スタートアップ支援・人材育成
 - CDMO強化
 - 規制制度
 - 価格制度
 - グローバル展開
- ◆ まとめ

はじめに：再生医療はGame Changer

周辺産業も含めた
経済成長

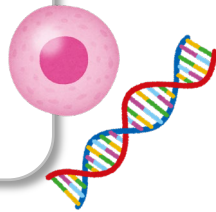


これまで治せなかった疾患に
対する治療法の提供



Game Changer

既存医薬品とは
大きく異なる
特徴・特長・多様性



基礎・臨床研究での
日本の強みを生かして
世界をリード

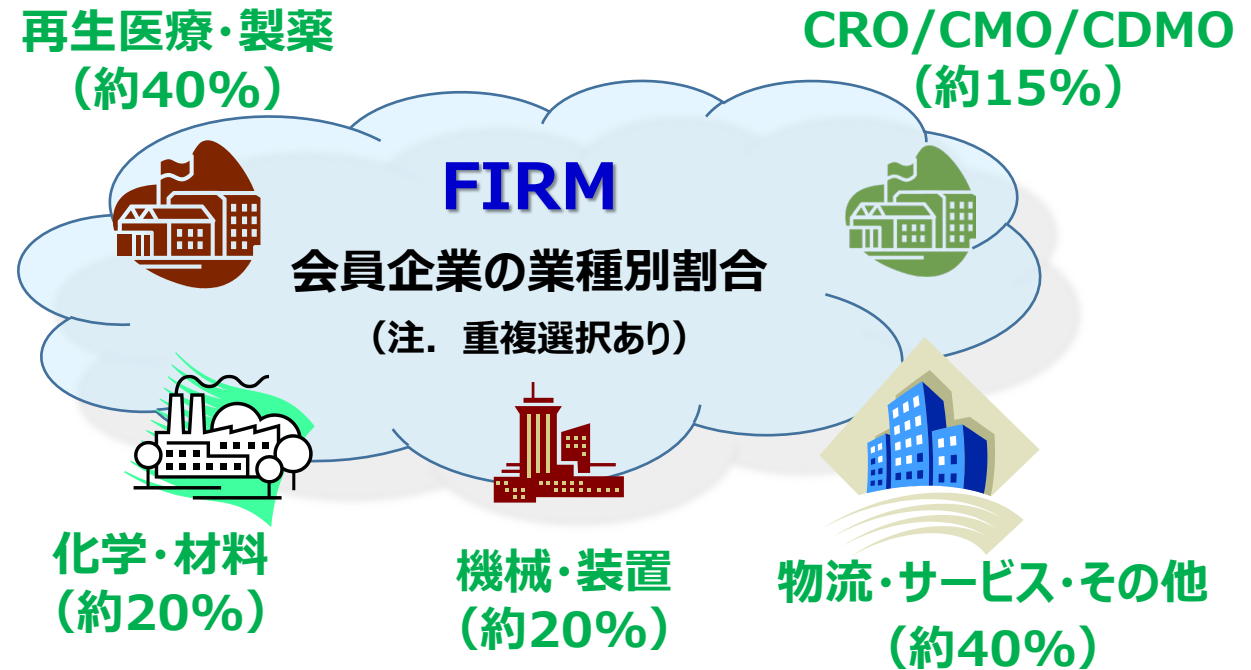


周辺産業も含めた経済成長

- 再生医療は、製品企業だけでなく、それらを支える多くの周辺産業から成る裾野の広い産業である
(FIRMの会員企業の業種も多岐にわたっている)
- 製品の市場の成長に伴って、多くの産業を巻き込んだ経済成長が可能になる

(一社) 再生医療イノベーションフォーラム (FIRM)

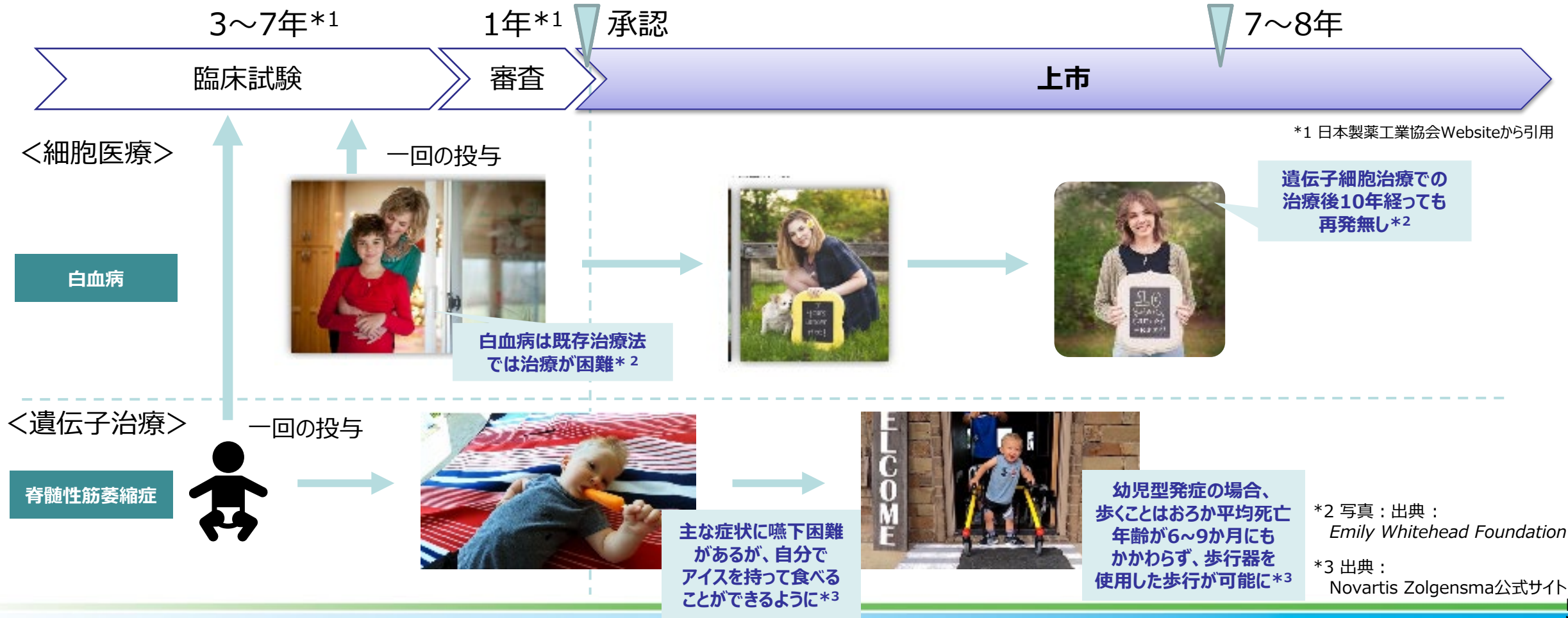
- 2011年6月17日に設立した一般社団法人
(設立時会員14社)
- 日本の再生医療に関係する企業団体
- 日本の再生医療領域の産業化促進のために活動
- 2024年3月1日現在、企業・法人196社、個人13名



CRO : 医薬品開発業務受託機関、CMO : 医薬品製造受託機関、CDMO : 医薬品受託製造開発機関

これまで治せなかった疾患に対する治療法を国民へ提供

- 有効な治療法が無い患者さんへの新たな治療法の提供
- 少ない投与回数で持続的な有効性を示し、患者さんの負担軽減
- 承認取得時には評価しきれない多様な価値（臨床的、経済的、倫理的、産業的等）



既存医薬品とは大きく異なる特徴・特長

- 再生医療等製品は、従来の医薬品とは、「ビジネスモデル」および「適応すべきルール」を変える必要がある

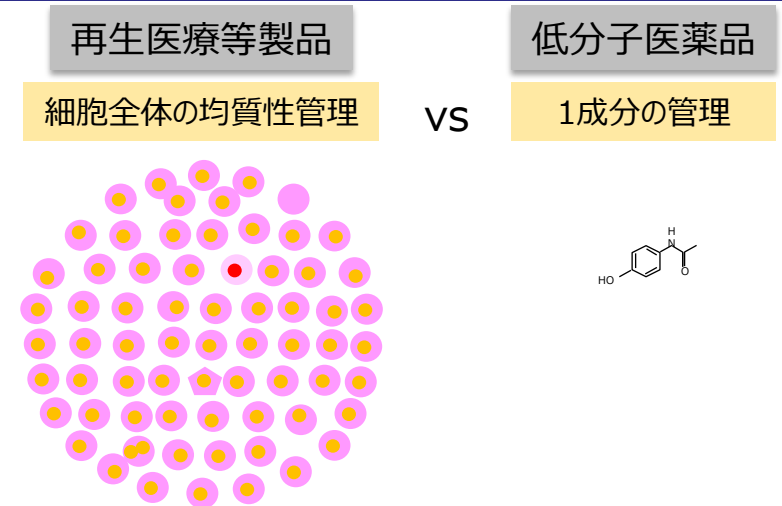
既存医薬品とは大きく異なる再生医療等製品の特徴・特長



大きさ



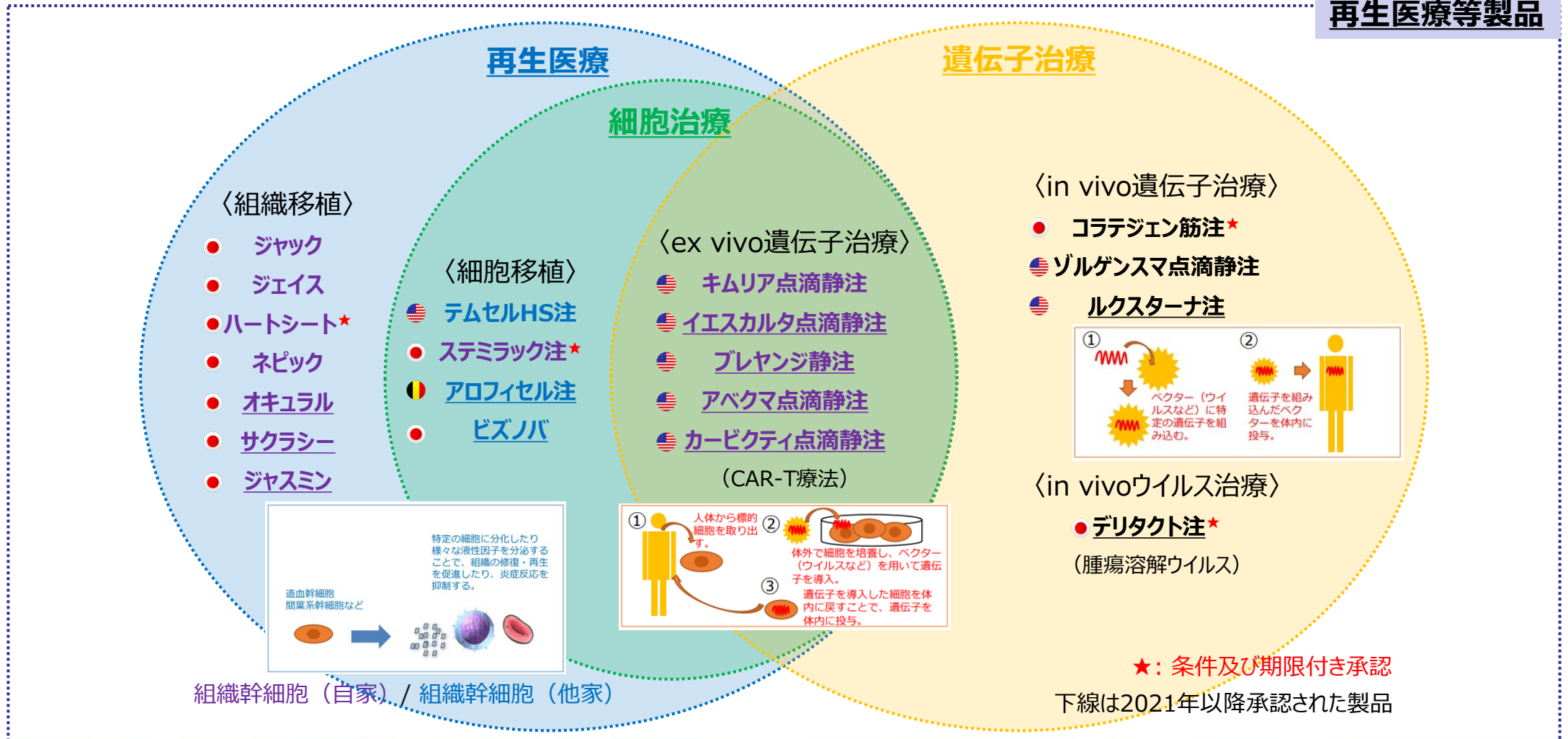
品質管理の難易度（イメージ）



多様なモダリティ（わが国で承認された再生医療等製品）

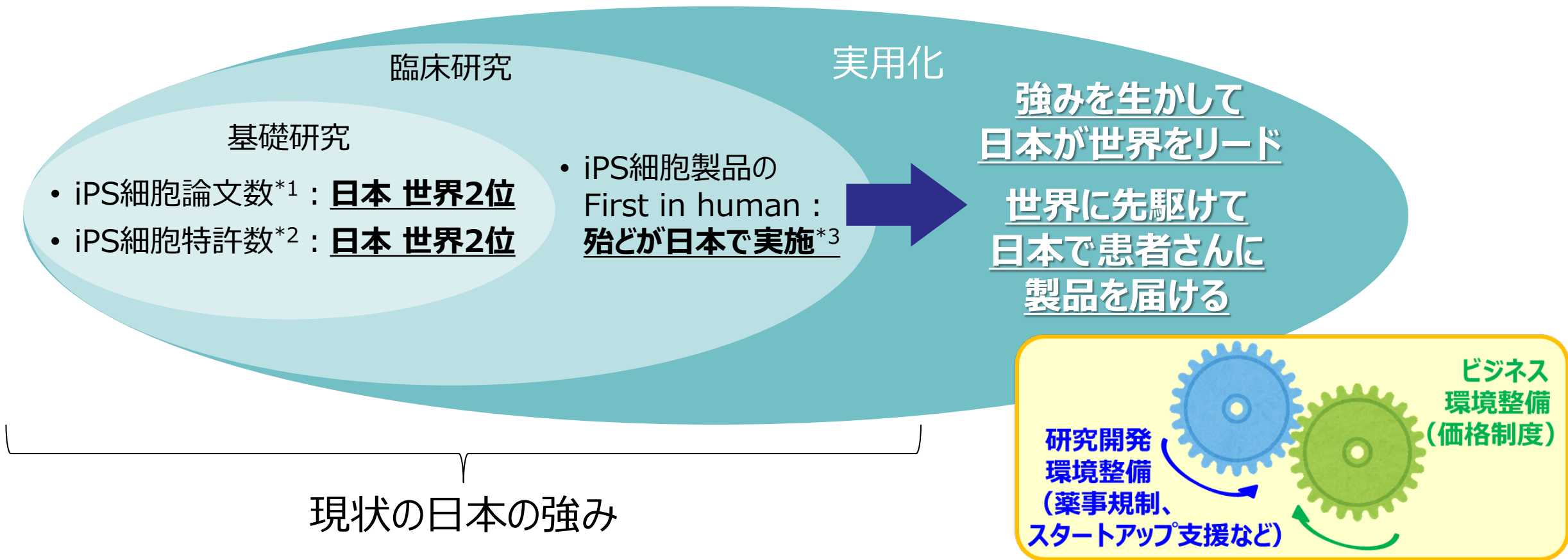
- 日本で承認された再生医療等製品は20品目（2021年以降で11品目）となり、そのモダリティも多様

再生医療等製品



基礎・臨床研究における日本の強み

- 日本の再生医療等製品の基礎～臨床研究における能力は、世界で見てもトップレベルであり、日本が世界をリードして、世界に先駆けて日本で患者さんに製品を届けることが可能
- 今後、実用化を促進し日本が世界をリードするためには、ビジネスおよび研究開発環境の整備が必要



*1,*2 出典：2021.3.5 第1回再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会資料3 (*1：幹細胞研究の高IFの論文数をカウント、*2：PCTに基づく特許出願をカウント)

*3 出典：再生医療の現状と展望～わが国の再生医療の国際的普遍化に向けて～

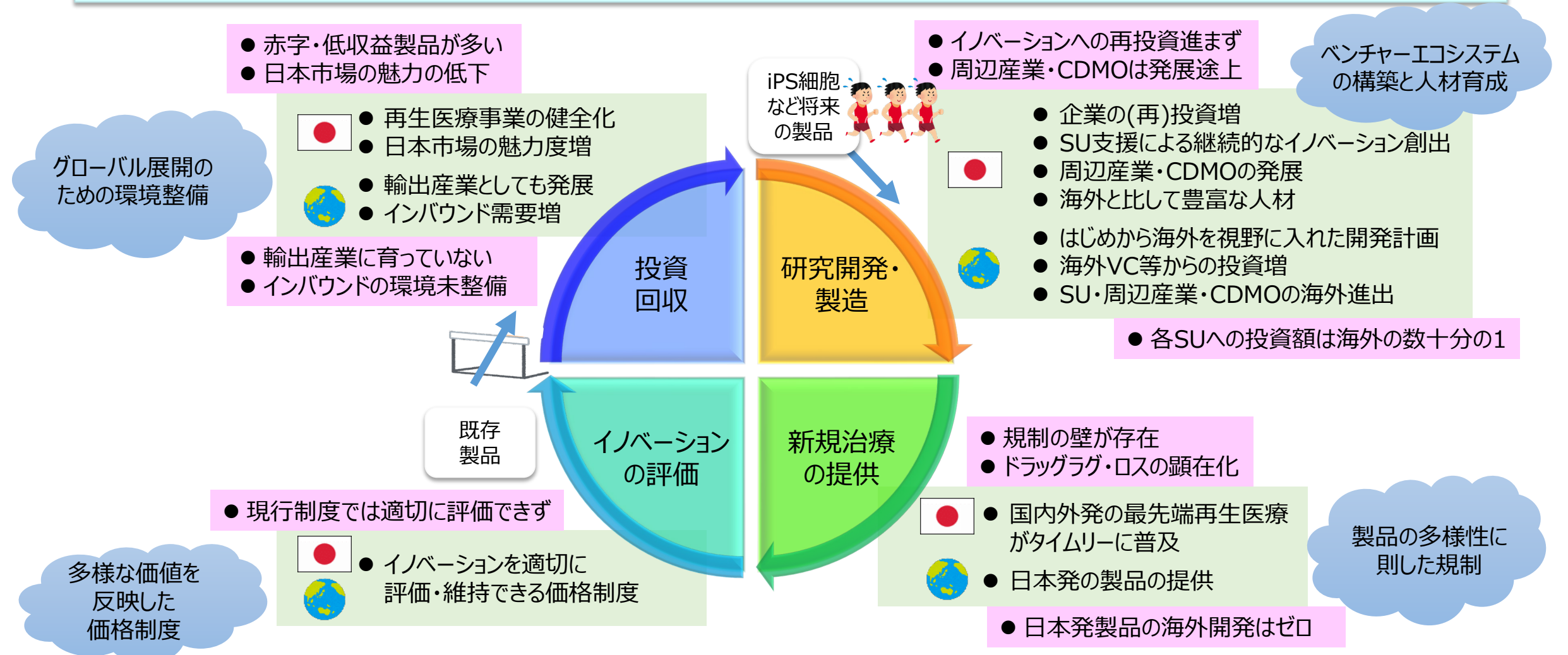
再生医療の現状とあるべき姿、解決への道筋

あるべき姿

現状

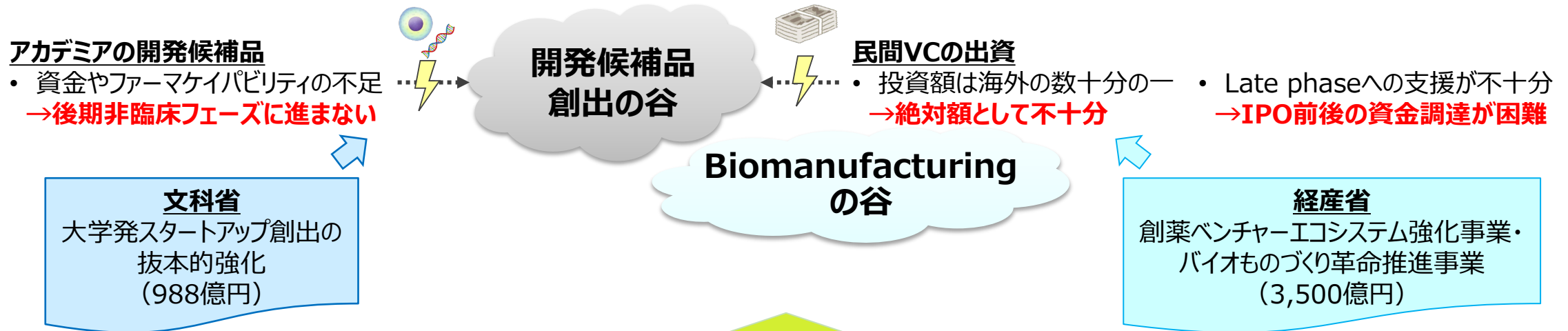
必要な
政策

- 再生医療のあるべき姿の実現に向けた政官学産の連携が必要



【ベンチャーエコシステム】 スタートアップ支援

- 基礎研究から商用化への橋渡しのためには、商用化に適した培養プロセスの開発が鍵となるが、現状では、**スタートアップだけではプロセス開発が困難**であり、**開発候補品創出の谷、Biomanufacturingの谷が存在する**
- スタートアップへの投資額は海外の数十分の一と言われ、earlyからlateまで**絶対額としてまだ不十分**である

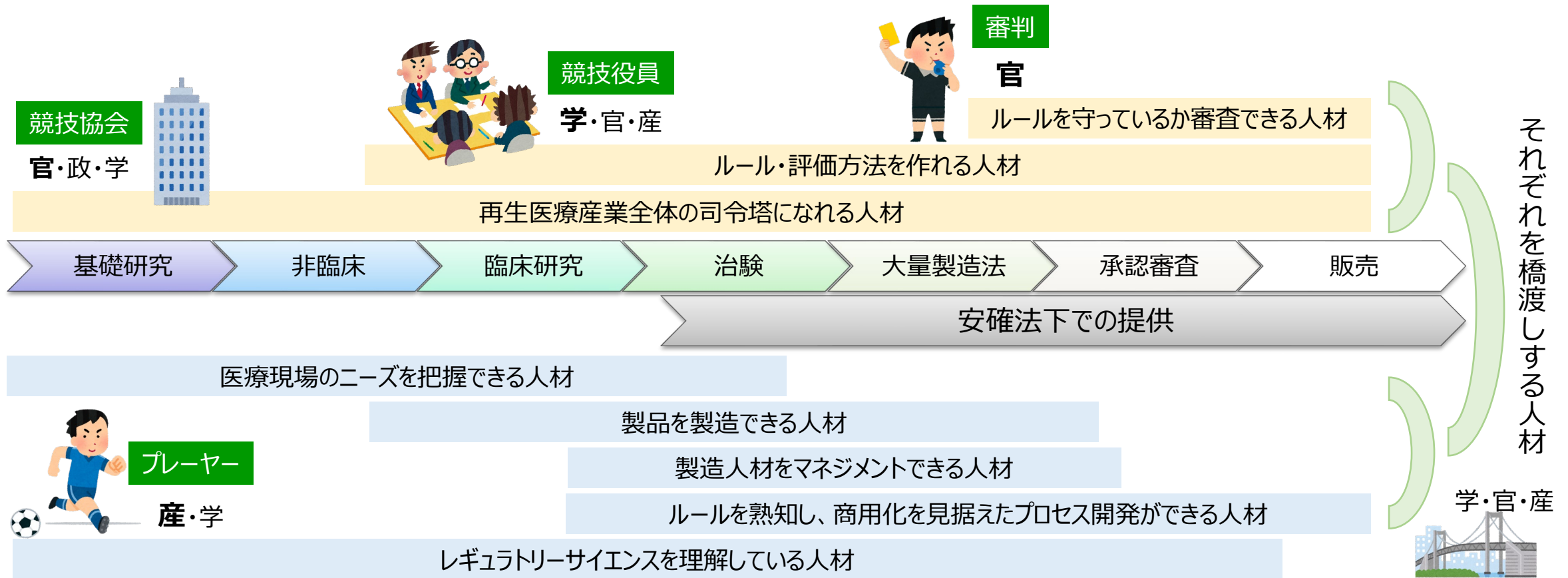


開発候補品創出の谷、Biomanufacturingの谷を越えるための戦略を立案・実行すべき

- 製造プロセス開発・最適化の段階から、スタートアップに対するメンタリング等の伴走支援制度を創設する
- レギュラトリーサイエンスの理解を促進する
- 豊富な資金を有する海外VCの投資を促進する など

【ベンチャーエコシステム】 多様な人材の育成

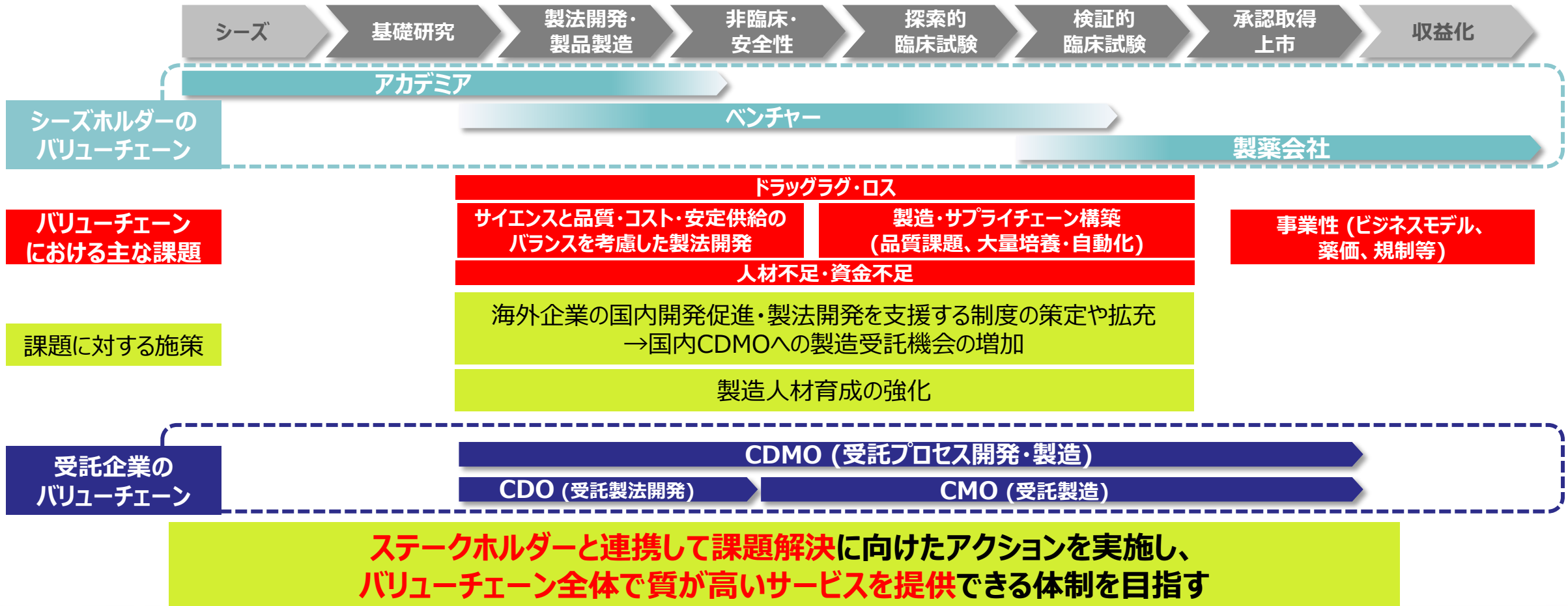
- 再生医療に関わる研究から商用化まで多くの分野で人材は不足しており、**人材育成/流動化**が必要



官学産それぞれに広範囲の知識・経験を有する人材を育成・確保するため、人材流動化を推進する施策を検討すべき
(キャリアパス構築施策、人材供給側への支援・インセンティブ施策等)

【ベンチャーエコシステム（製造）】 CDMO強化

- 日本に製造拠点がある再生医療等製品CDMOは、**細胞医薬**※¹ 23社、**ウイルスベクター** 4社、**プラスミドDNA** 5社、**mRNA** 6社※²
- ドラッグラグ・ロスや、製造・人材・資金などバリューチェーンにおける課題によって、商用生産に到達可能な**製造受託案件が少ない**。
このため、**国内のCDMOが十分な実績・技術・経験を蓄積できていない**



※¹ex vivo遺伝子治療製品を含む； ※²FIRM CDMO部会調べ

CDMO：医薬品製造受託機関、CDO：製法開発受託機関、CMO：医薬品製造受託機関

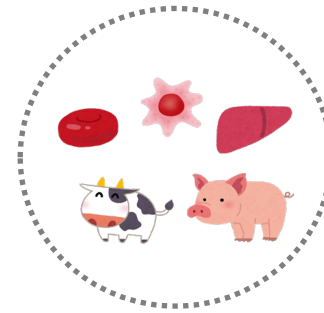
【製品の多様性に則した規制】 規制制度の見直し

カルタヘナ法



- 安全性のリスクの程度を問わない一律的な対応
- 安全性が確認されている低リスクベクターの日本での臨床試験開始前の評価免除

生物由来原料基準



- 欧米と異なる基準
- ほぼすべての工程での品質評価
- 海外との基準の調和
- 包括的リスクアセスメントの導入

規格外品 (Out of Specification)



➤ 安全性の確認できている製品の治験での提供



➤ 安全性の確認できている製品の治験外での提供

使用数に制限



➤ 上限を超えると企業の負担



➤ 使用上限の見直し・撤廃

使用できる施設に制限



➤ 施設に紐づく使用許可



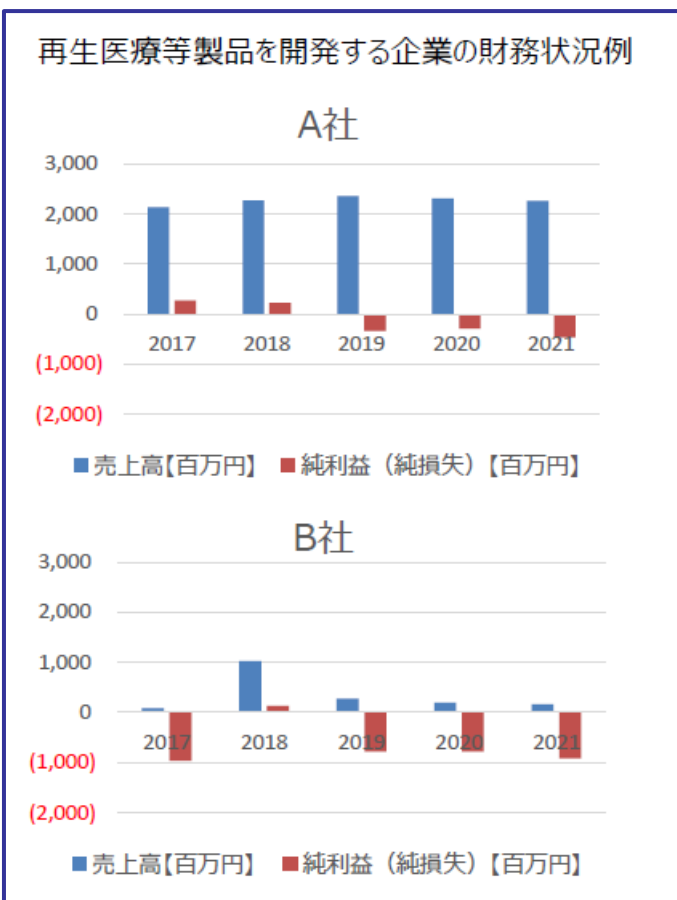
➤ 人に紐づく使用許可



- ✓ 国際的に調和のとれた規制・基準が必要
- ✓ 使用事例・経験の蓄積を踏まえ、製品やモダリティの特徴に応じ、当初設定されたルールの変更が必要

【価格制度】 再生医療等製品の価格制度の課題

- 日本国内で再生医療等製品を上市しても、企業が次の研究開発投資をすると赤字
- 医薬品とコスト構造が異なる再生医療等製品に、医薬品と同様にコストを積み上げて価格を算定する問題が顕在化



出典：第8回 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 資料3

令和6年度薬価制度改革の骨子 (該当箇所抜粋)

第2 具体的内容

(6) 新規モダリティのイノベーション評価

②新規モダリティのイノベーション評価

○医薬品の例により対応する再生医療等製品も含め、新規モダリティ等の類似薬がない革新的新薬における薬価上の適切なイノベーション評価の在り方等について、次期薬価改定に向けて検討を進めることとする。

出典：中央社会保険医療協議会 総会 (第579回) 総-2参考1 (令和6年1月17日)

再生医療等製品を含む新規モダリティのイノベーション評価については、令和8年度制度改革に向けて引き続き検討が進められることとなった。

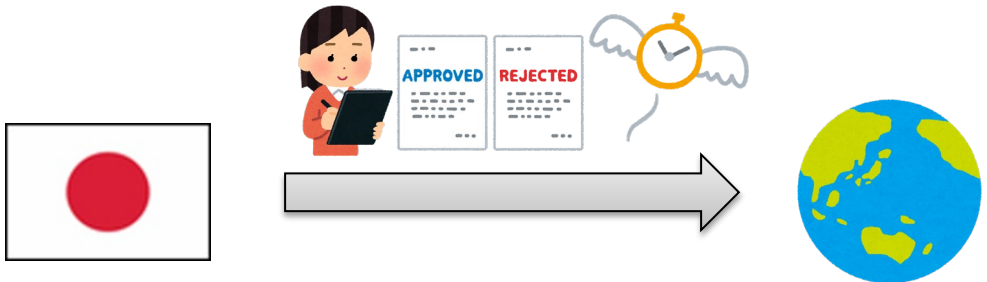
- 製品やモダリティの特長を踏まえ、多様な価値を反映した価格制度が必要
- 令和8年度制度改革に向け、産官学で議論を深化させるべき

【グローバル展開】 製品の輸出入時の環境整備

- 製品の海外への輸出/国内への輸入には、現状以下に示すような課題があり、患者の製品へのアクセスにも影響しかねず、**輸出入時の環境整備**が必要

海外への輸出時


- 米国へ輸出する際、ランダムな追加書類検査が求められることがあり、時間を要する。
- 凍結できない細胞製品の場合、有効期間内に配送できず、患者が製品を使用できない可能性。



- 事前申請により、追加検査の対象外とするよう諸外国と交渉する**

国内への輸入時

- 外国製造所での出荷試験に加え、輸入後、再度国内で出荷試験が必要。
- 製造量が少ないため高コストの一因となり、時間がかかれば、患者の治療機会喪失の恐れも。



- 外国製造所の認定取得とGCTP調査の実施により、外国製造所における出荷試験成績をもって、国内での試験の繰り返しは不要とする**

経団連 BX戦略および意見書（概要）

経団連 バイオトランスフォーメーション（BX）戦略

レッドバイオ（医療・健康）の必要な施策

1. 再生医療等製品等における法規制の国際調和
2. 創薬ベンチャー支援事業の機動性強化
3. バイオ医療を促進するための支援技術の強化と産業活動への包括的支援
4. 再生医療等製品の価値や特徴を評価する新たな価格算定方式の導入
5. 全ゲノム解析等実行計画の加速推進
6. 治験実施環境の整備



出典：経団連 バイオトランスフォーメーション（BX）戦略
～BX for Sustainable Future～（2023年3月14日）

バイオ医薬品の産業強化に向けてー再生医療等製品の普及と産業化ー

“ドラッグラグ・ロス”の問題の解消や再生医療等製品の普及と産業化を図るため、
産業界や政府が検討すべき課題

1. 法規制等の環境整備

(1)カルタヘナ法、生物由来原料基準および
その他関連法規制

▶規制改革やより柔軟な運用、関連規制の順次見直し

(2)先端技術開発の加速とその利用の促進

▶臓器チップなどの先端技術を
製品開発時の評価等へ利用
・ガイダンス作成
・開発支援

(3)施設認定制度の導入

▶原材料の品質確保のため
国際的に通用する第三者評価による
医療機関の施設認定制度導入

(4)規格外品提供の仕組みづくり

▶代替療法がない唯一の治療選択肢の場合に
提供できる持続可能な枠組みを整備

(5)輸出入時の手続き短縮

▶事前申請により追加書類検査や貨物検査を対
象外に

(6)国民への理解深化と適切な情報発信

2. イノベーションの評価

▶新たな価格算定方式の導入

3. 製造設備・人材育成の強化

▶国際競争力のある国内CDMO育成
▶サポーティングインダストリー強化
▶大学・高専・企業での人材育成

4. スタートアップ支援の強化

▶企業によるメンタリング等の伴
走支援等
▶生産施設の共有等によるコスト
負担軽減策の導入



Keidanren
Policy & Action

一般社団法人日本経済団体連合会
バイオエコノミー委員会
企画部会

具体化

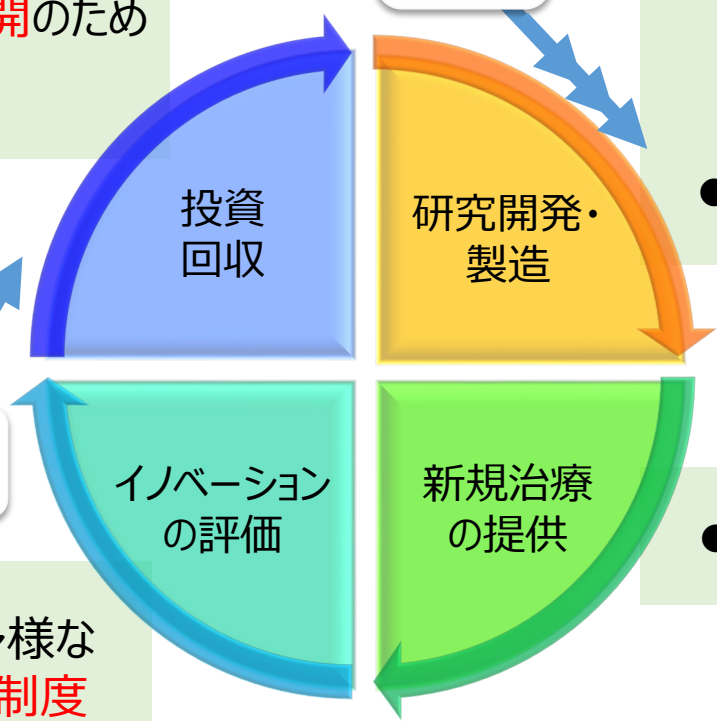
出典：経団連 バイオ医薬品の産業強化に向けて
ー再生医療等製品の普及と産業化ー（2023年11月7日）

まとめ：再生医療等製品の創出力強化に向けた施策

- 上市品のグローバル展開のための環境整備



既存
製品



- 開発候補品創出/Biomanufacturingの谷を越えるための支援、および企業のグローバル展開への支援
 - ✓ 製薬企業のCapability活用促進支援
 - ✓ 周辺産業・CDMOの強化
 - ✓ 海外VC等からの投資誘因
- 人材育成と人材流動化の促進支援

- 再生医療等製品に則した規制の整備及び見直し

- 再生医療等製品の多様な価値を反映する価格制度

ご清聴ありがとうございました



<https://firm.or.jp/>

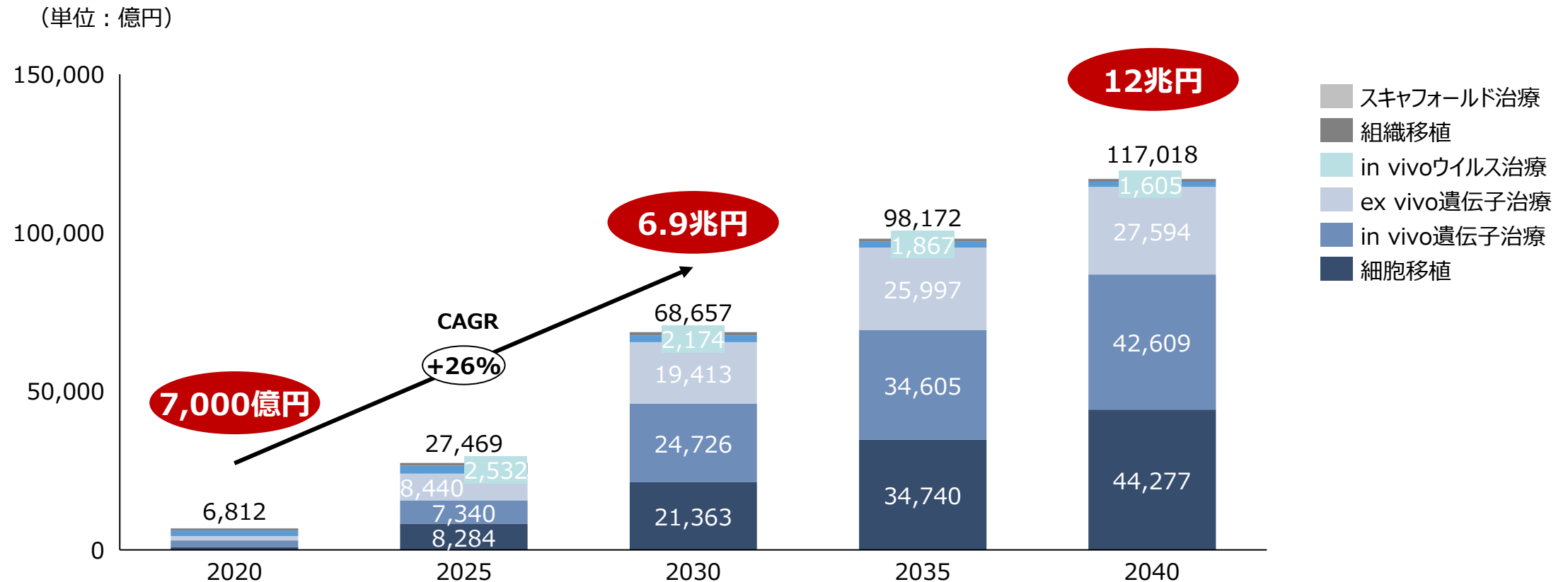


Appendix

再生医療等製品の市場規模（グローバル）

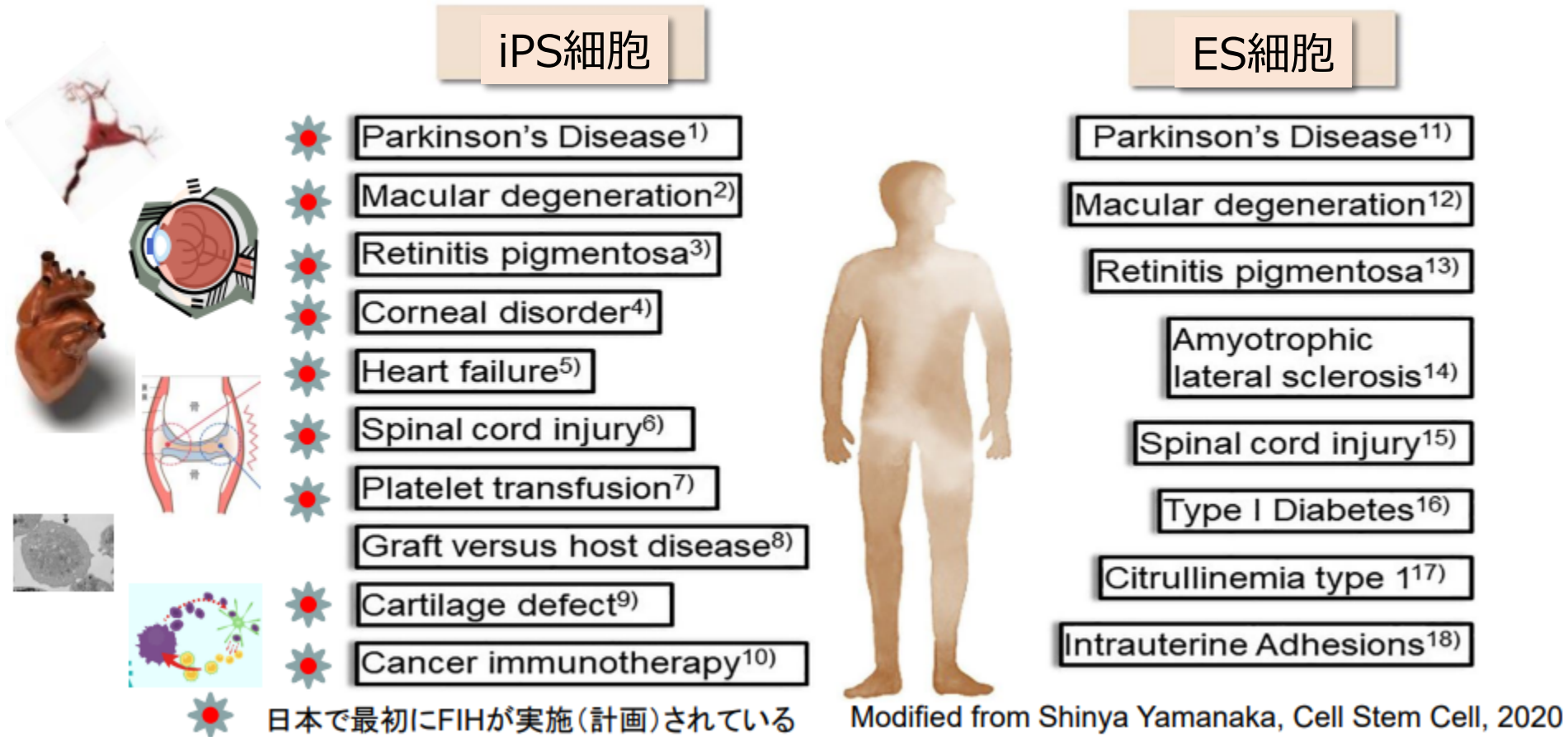
- グローバルでは今後20年で10兆円を超える規模まで成長する**成長産業**

グローバル市場規模推計（モダリティ別） ※2021年10月時点のパイプラインベースでの試算



iPS細胞研究での強み

- iPS細胞由来の再生医療等製品に関し、多くは日本でFirst in Humanを実施/計画

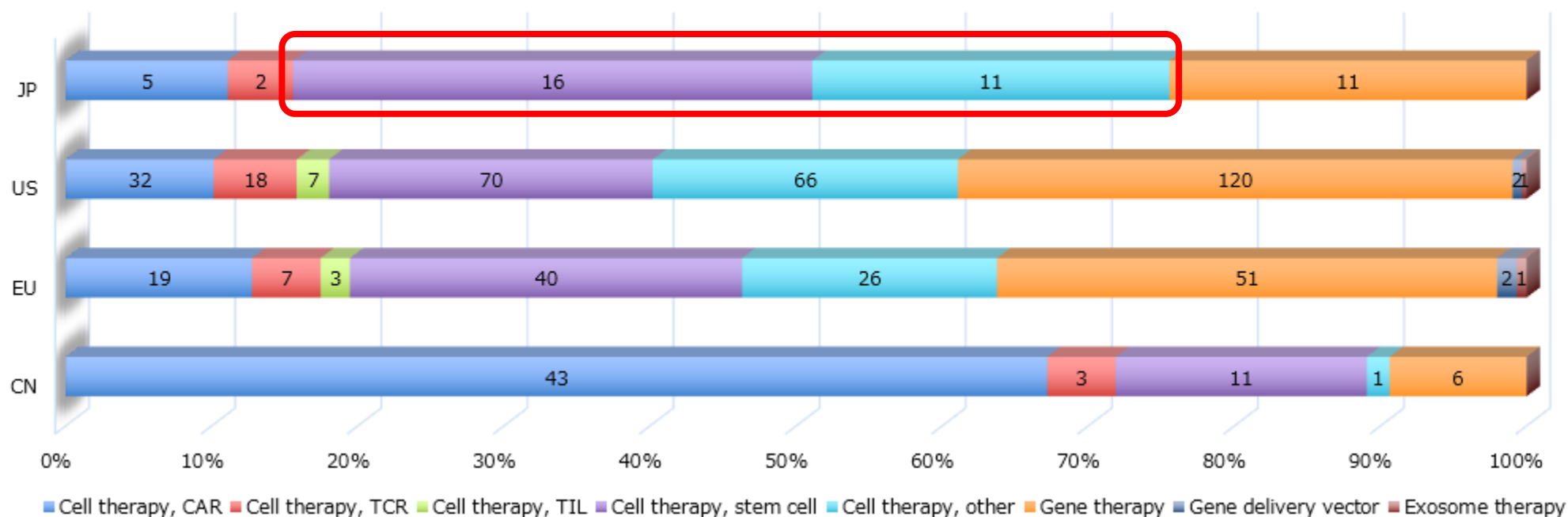


出典：再生医療の現状と展望～わが国の再生医療の国際的普遍化に向けて～

日米欧中の開発品目の状況（P2以降、モダリティ別）

- モダリティ別に見た場合、日本では**幹細胞の細胞治療の割合が多く**（16品目；36%）、米欧では遺伝子治療（米国 120品目；38%、欧州 51品目；32%）であった
- 下図赤枠内の27品目のうち、日本オリジンは13品目（48%）であった

モダリティ別



※CAR：キメラ抗原受容体（chimaeric antigen receptor）、TCR：T細胞受容体（T cell receptor）、TIL：腫瘍浸潤リンパ球（tumor infiltrating lymphocyte）

出所：PharmaProjects 2023/02調査時点