

再生・細胞医療・遺伝子治療分野における 経済産業省の取組について

令和5年6月2日

経済産業省 商務・サービスグループ

生物化学産業課

1. 基盤技術開発支援

- 再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤整備事業

2. 拠点・環境整備

- 再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けた環境整備

3. ベンチャー企業支援

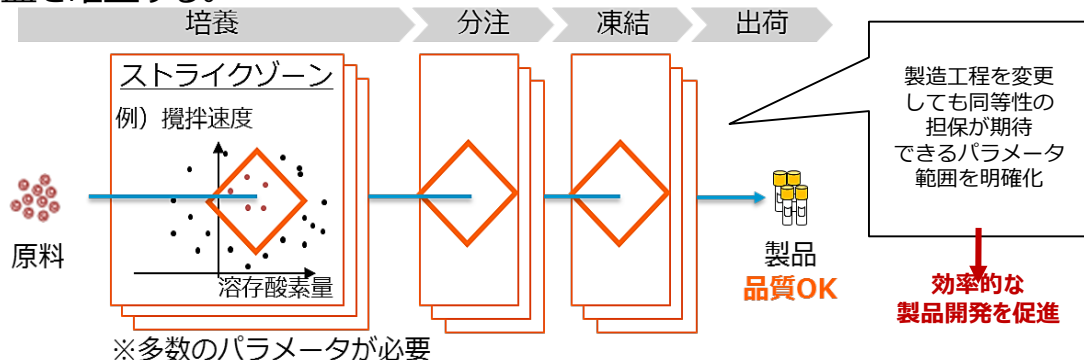
- 創薬ベンチャーエコシステム強化事業

再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤整備事業 【令和5年度当初予算：37億円】

- 再生・細胞医療・遺伝子治療の原料であるヒトの細胞やウイルスは元々均質ではない上に、**製造（培養・精製・加工）も極めて難しく、従来の医薬品のように一定の品質の製品を大量に製造することには大きなハードルがある。**
こうした生産の難しさにより、**価格も高額化。**
- 革新的な研究開発シーズを多くの患者に届け、産業としても成立させるためには、**製造や品質評価の技術の開発が必要不可欠**となっており、本事業ではこうした基盤技術の開発を後押ししている。

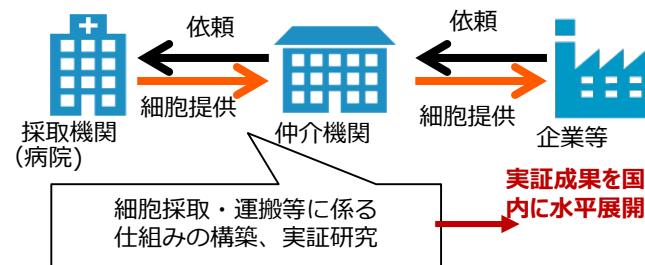
(1) ヒト細胞加工製品製造基盤技術開発

高品質・高均質のヒト細胞加工製品を効率的に製造できるような技術基盤を確立する。



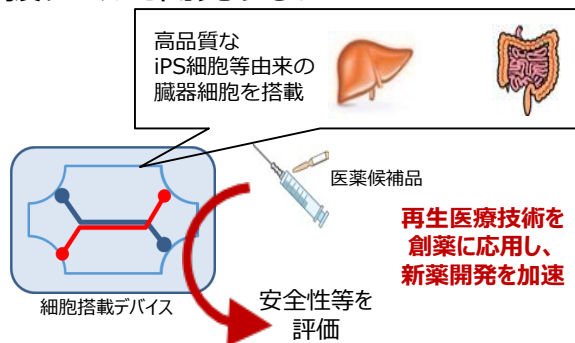
(2) 再生医療用原料細胞安定供給研究開発

品質の確保された細胞原料の採取・運搬等に係る仕組みの構築やそのための手順明確化等に関する実証研究等を行う。



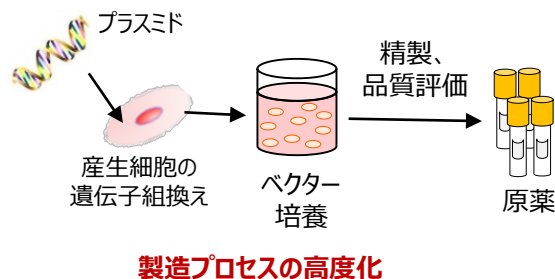
(3) 高度創薬支援ツール基盤技術開発

高品質のiPS細胞等から分化誘導される各種臓器の細胞等を用いた創薬支援ツールを開発する。



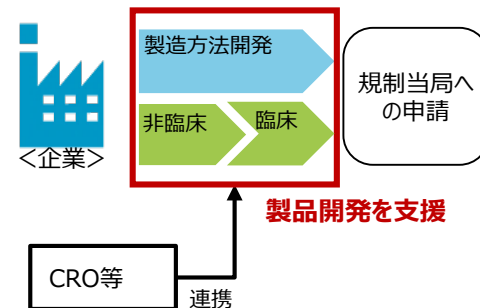
(4) 遺伝子治療製造技術開発

遺伝子治療に関する高品質で安全性の高い治療用ベクターの製造技術等を開発。



(5) 産業化促進研究開発

有望な再生医療シーズの迅速な産業化に向けた製品開発（製造プロセス構築、**新市場開拓**等）を補助。

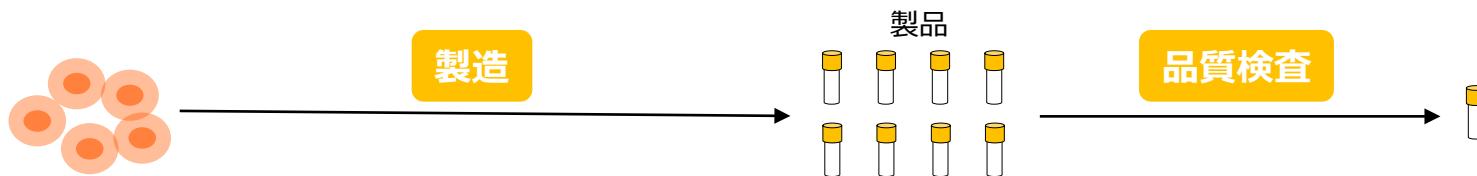


(1) ヒト細胞加工製品製造基盤技術開発【令和2年度-令和6年度】

- 再生医療等製品は、一定の品質を得るために必要な製造工程中及び最終製品の品質特性のパラメーターが十分に分からないため、製品間のばらつきが大きい。そのため、**高品質・高均質の再生医療等製品を効率的に製造できる技術基盤**を確立する。

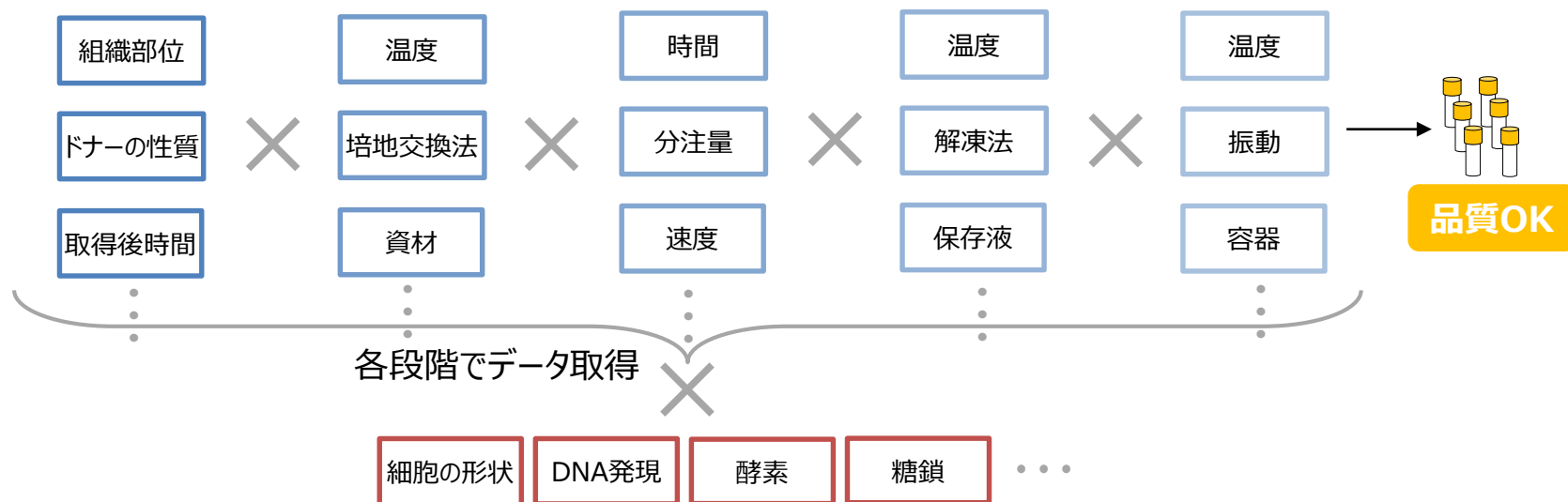
従来法 : QbT (Quality by Testing)

単品生産・単品検査の方式。製造効率・歩留まりが低く、一定品質の製品を一定量入手することが難しい。



新たな製造・評価法 : QbD (Quality by Design)

各製造工程における重要なパラメーター (CPP) と品質特性 (CQA) を特定し、工程をモニタリングして品質をコントロール。

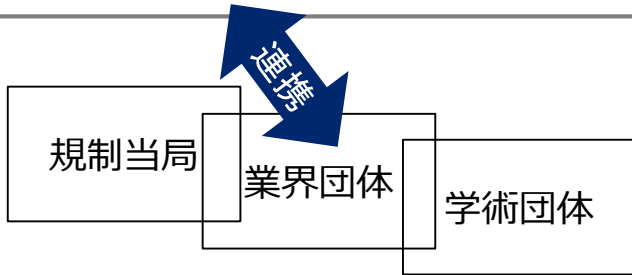


【参考】ヒト細胞加工製品製造基盤技術開発 体制図



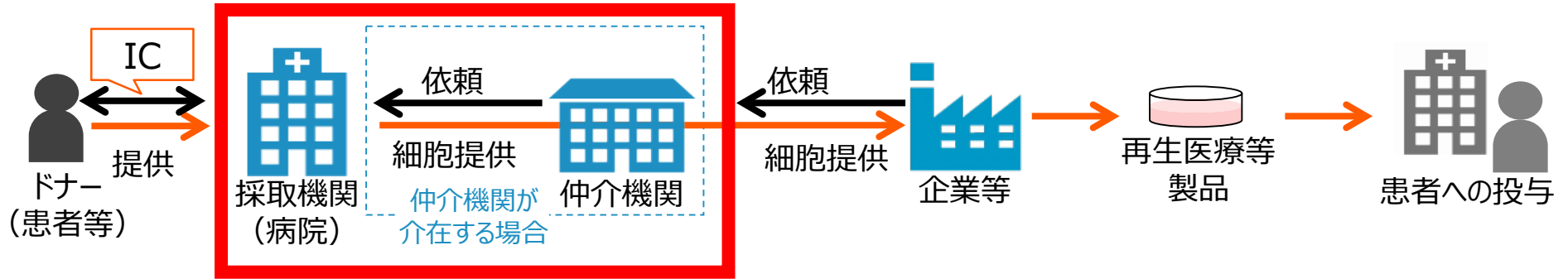
ヘッドクォーター
 紀ノ岡 正博 代表（大阪大学）、佐藤 陽治（国衛研）、各WGリーダー

⇕ **垂直指示と報告**



(2) 再生医療用原料細胞安定供給研究開発【令和3年度-令和5年度】

- 品質の確保された細胞原料の採取・運搬等に係る仕組みの構築やそのための手順の明確化等に向け、細胞原料を提供する医療機関またはそのような医療機関を支援する仲介機関を核とする実証研究を行う。



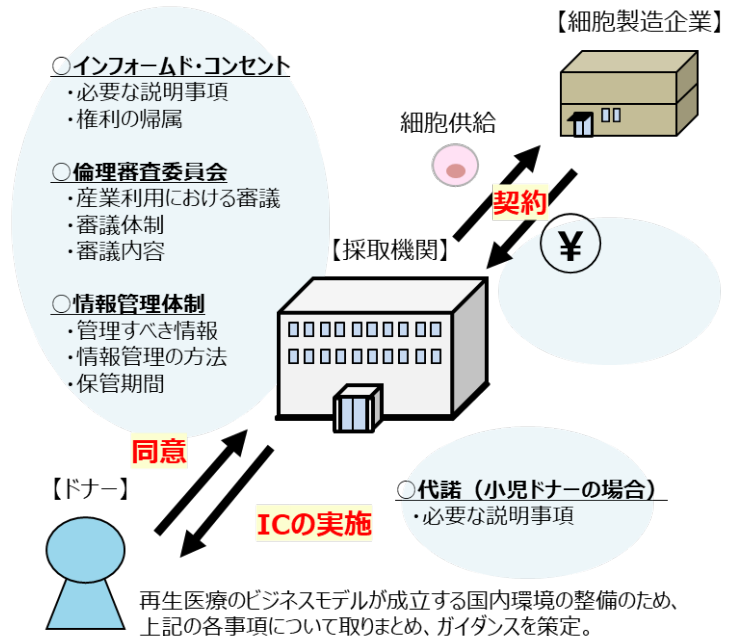
第一期事業の成果【平成30年度-令和2年度】

- 実証事業で明らかになった課題や成果を取り込みながら、商用利用可能なインフォームドコンセント (IC) の整備等を含めた、細胞原料の供給に係る法的、倫理的、社会的な課題に対する考え方をまとめた『ヒト (同種) 細胞原料供給に係るガイドンス』を2020年3月に策定・公表。2021年3月に改定・第2版公表。
- また、一般向けの動画の作成等により、細胞の商用利用に関する社会的な理解度の向上を図った。

ヒト (同種) 細胞原料供給に係るガイドンス (初版) 項目

- 経費の考え方
 - 小児ドナー代諾の扱い
 - 情報管理体制
 - 社会的受容性の確保
 - 審議体制・審議内容
 - ICの取得体制・文例
 - ICの用途記載方法
- 等

(例) 医療機関が企業へ細胞原料を供給する場合



【参考】再生医療用原料細胞安定供給研究開発 体制図

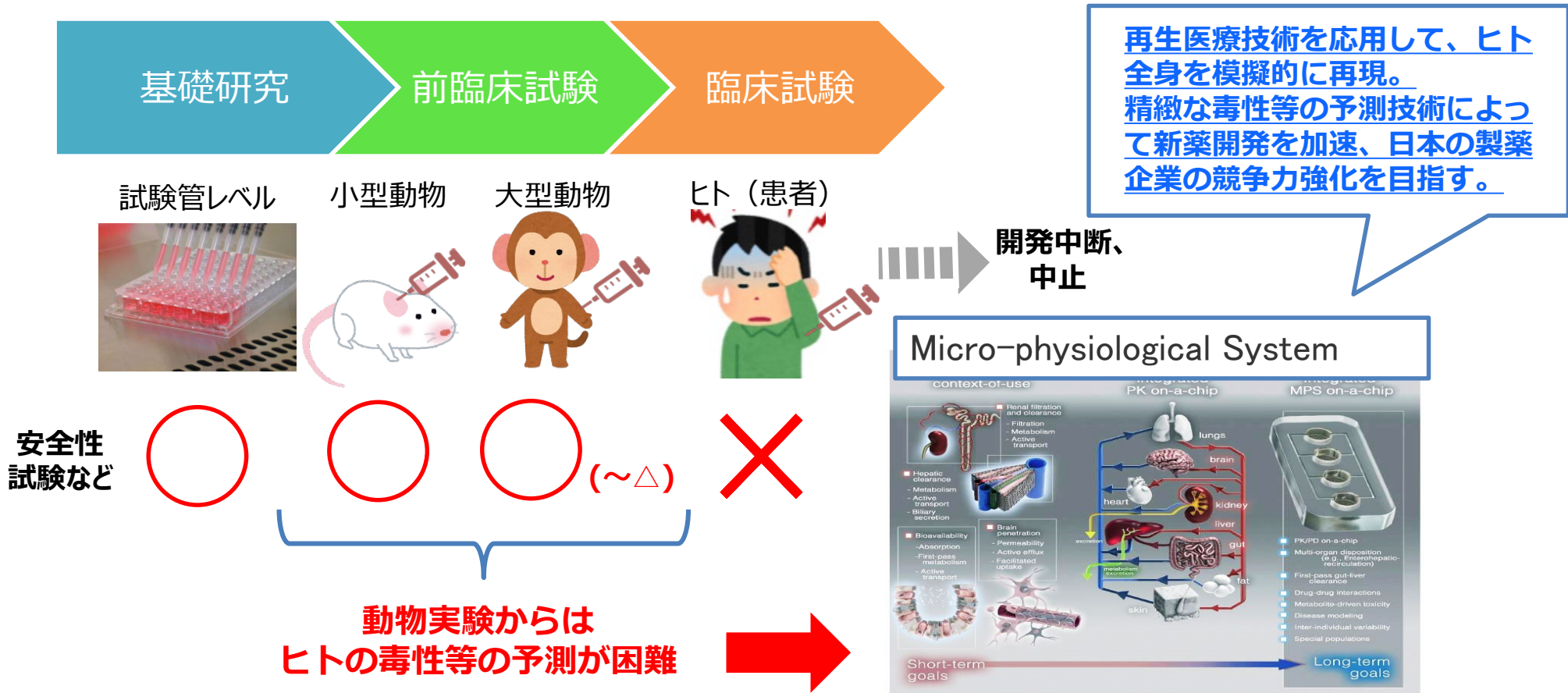
採択課題一覧（約 50,000千円/件） ※敬称略		
国立成育医療研究センター	梅澤 明弘	産業界からのニーズに応じた供給体制の高機能化（迅速化・多種類化）、提供医療機関の拡充と仲介機関ネットワークの構築による堅牢な安定供給体制の確立を図る。
東京大学	長村 登紀子	臍帯血・臍帯由来細胞について、東大医科研の臍帯血・臍帯バンクと連携し、安定供給体制を確立。
株式会社ジャパン・ティッシュエンジニアリング	井家 益和	骨髄・脂肪・胎児不随物・歯・皮膚・口腔粘膜等由来細胞について、SOP等の作成、品質管理戦略の策定、国内外のガイドラインとの適合を図る。
琉球大学	清水 雄介	脂肪・臍帯・臍帯血・抜歯体由来細胞について、琉球大学病院みらいバンクを起点に企業提供までのフローの最適化や社会受容性の向上を図る。
慶應義塾大学	中村 雅也	手術余剰物（骨髄・脂肪）由来細胞について、一連のプロセスに係るSOP等を作成するほか、様々な原料を一カ所に集約する仲介施設を整備。

AMED

PS・PO

(3) 高度創薬支援ツール基盤技術開発【令和4年度～令和8年度】

- 近年、新たな創薬分野の開発（抗体医薬、核酸医薬、遺伝子治療薬など）では、開発データの蓄積が乏しいため、動物実験では問題がなかったにもかかわらず、治験で突然重篤な副作用が出て治験者が死亡、重篤化し、開発中止になるケースが頻発。
- 従来の低分子医薬品の動物実験データからは予測できないため、毒性等の精緻な予測技術の開発が創薬開発における国際競争力のカギ。そのため、ヒト細胞を用いた生体模倣システム（MPS: Micro-physiological System）に対する期待が高まっている。



【参考】 高度創薬支援ツール基盤技術開発 体制図

AMED

PSPO / ヘッドクォーター
大手製薬企業4社の開発担当者

※敬称略

課題1：再生医療技術を応用した 創薬支援ツールの実証・評価基盤確立 伊藤 弓弦（筑波大学）

- ✓ 先行デバイスの実証／Application noteの作成
- ✓ 実証研究司令塔・情報ハブ
- ✓ トレーニング
- ✓ 分析センター
- ✓ リファレンス臓器細胞
- ✓ 製造・供給体制検討

課題3： 創薬支援ツールの標準化・規制対応 石田 誠一（崇城大）

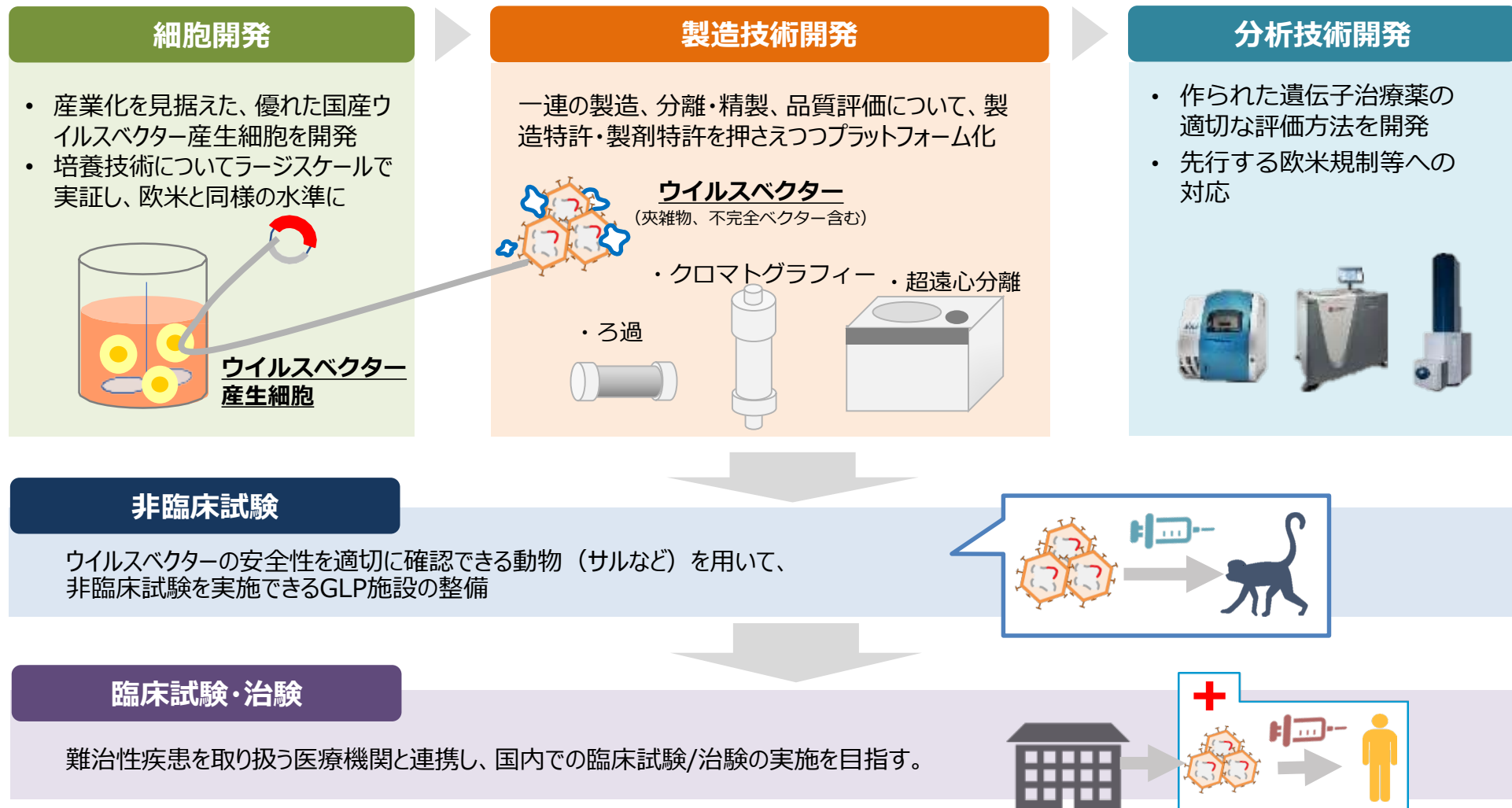
- ✓ MPSの標準化・基準作成
- ✓ 規制当局受入に向けた橋渡し
(日米欧規制当局)
- ✓ ベンチマークデータ取得
(市販MPSとの機能評価比較)

課題2：再生医療技術を応用した革新的創薬支援ツールの開発 6機関

- | | |
|---------------|-------------------------|
| 伊野 浩介（東北大） | バイオセンサ搭載多孔膜デバイスの医薬品評価応用 |
| 酒井 康行（東京大） | 肝を中心とした薬物動態・毒性予測 |
| 杉浦 慎治（産総研） | 血液脳関門培養モデルと中枢移行性評価 |
| 鈴木 郁郎（東北工大） | 神経・心臓での機能評価 |
| 山本 佑樹（HiLung） | 肺三次元構造の再現デバイス |
| 横川 隆司（京都大） | 腎臓モデルの高機能化 |

(4) 遺伝子治療製造技術開発【平成30年度～令和5年度】

- 遺伝子治療は年成長率50%以上の急速な市場拡大が予想されているが、治験において重大な薬害事象が発生しているなどの安全性への懸念や、遺伝子治療薬が数千万～数億円と高額化しているというコスト面の課題は残存している。
- 本事業では、遺伝子治療に用いるウイルスベクターを安全かつ効率的に製造・評価する技術を開発する。



【参考】 遺伝子治療製造技術開発 体制図

AMED

PS・PO

PL : 大政 健史 (技術研究組合/大阪大)
 統括SPL : 岡田 尚巳 (技術研究組合/東京大)
 統括SPL : 峰野 純一 (技術研究組合/タカラバイオ)

分科会A

製造工程を確立する
段階に関わる研究開発

分科会長: 堀内川崎集中研長

細胞開発

川崎集中研

分科会B

実製造工程で繰り返し行われる
過程に関わる研究開発

分科会長: 岡田SPL、峰野SPL

製造技術開発

草津集中研

分科会C

製造されたウイルスベクターの
品質評価・分析に関わる研究開発

分科会長: 内山SPL

分析技術開発

大阪集中研

<研究協力機関>

分科会D

知財調査
知財戦略

要素技術開発

実証研究



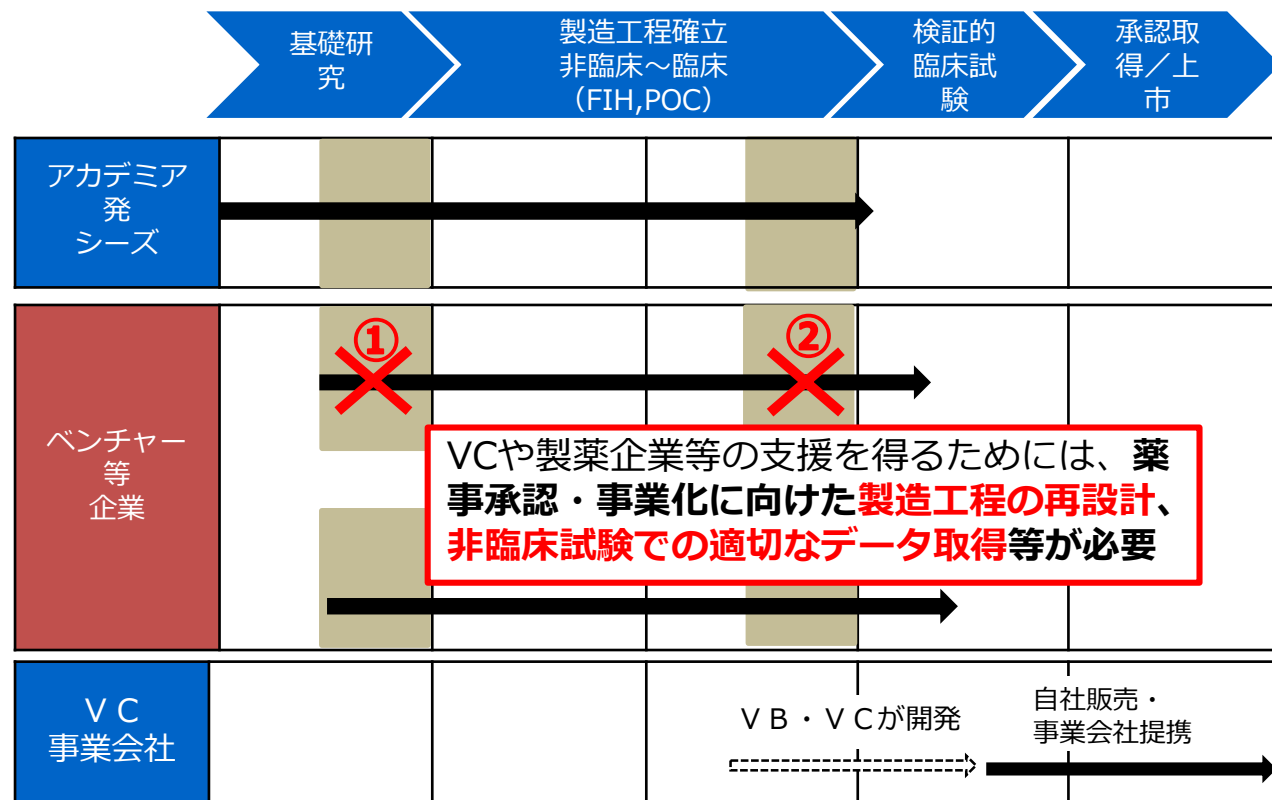
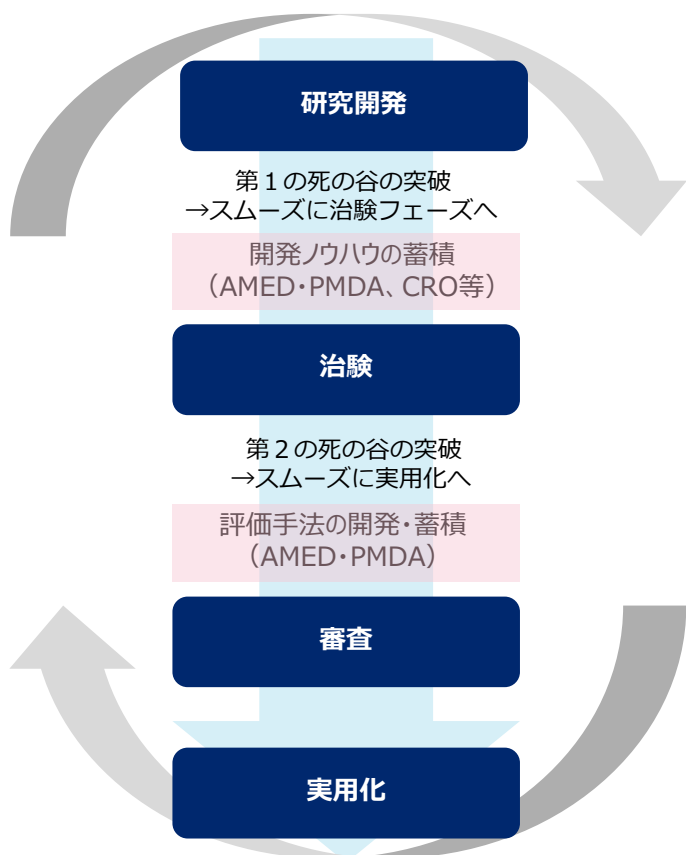
川崎集中研
草津集中研
大阪集中研



製造技術プラットフォーム構築

(5) 再生医療等製品の産業化促進研究開発

- 再生医療等製品の開発はアカデミア発シーズが主であるが、開発者に事業化開発に慣れていないため、薬事規制に対応する製造工程の設計等を行っておらず、**工程見直し等の手戻りが発生したり、金融機関等からの資金調達に失敗したり**といった課題がある。
- **本事業では、主に臨床試験に入る前のシーズを対象に、規制に沿った製造方法の確立・品質管理等の開発に早期から取り組み、産業化を加速する。**



【参考】 産業化促進研究開発 採択事業者

令和3年度採択案件		事業期間	R3-R5
(株)遺伝子治療研究所	パーキンソン病の新たな遺伝子治療に関する研究開発		
(株)A-SEEDS	非ウイルス遺伝子改変CAR-T細胞の薬事承認の実現に向けた産学連携製造拠点の整備と企業治験体制の構築		
Adipo Medical Technology(株)	活性化MSCの歯周病適応再生医療等製品へのrepositioningに関する開発		
(株)レストアビジョン	遺伝性網膜疾患に対する遺伝子治療薬の製造方法と臨床エンドポイントの研究開発		
(株)セルシード	同種軟骨細胞シート(CLS2901C)の製品化に向けたセルバンク構築を含む企業治験開始のための研究開発		

令和4年度採択案件		事業期間	R4-R6
セルジェンテック(株)	血液凝固第VIII因子遺伝子導入前脂肪細胞 (FVIII-GMAC) を用いた血友病A治療の治験に向けた非臨床試験		
PuREC(株)	幹細胞治療のための高純度間葉系幹細胞 (REC) 製造工程のGCTP化及びGMP化並びに細胞供給拠点化による産業基盤構築に関する研究		
(株)リプロセル	筋萎縮性側索硬化症(ALS)に対するヒトiPS細胞由来グリア前駆細胞(iGRP)の細胞移植による細胞治療の企業治験開始のための研究開発		

※令和5年度については、現在公募を締め切り、審査中。

1. 基盤技術開発支援

- 再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤整備事業

2. 拠点・環境整備

- 再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けた環境整備

3. ベンチャー企業支援

- 創薬ベンチャーエコシステム強化事業

再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けた環境整備事業【令和4年度補正予算：50億円】

- 再生・細胞医療・遺伝子治療（以下「再生医療」）は、これまで根治が難しかった疾患を治療する技術として、世界的に大きな期待が寄せられており、市場も急速に拡大している分野。一方、優れた製品であるにも関わらず適応症や患者数が限定的となり収益が得られない、自由診療下で治療効果の検証が不十分なまま提供されているといった、社会実装に向けた課題も存在。
- 本事業では、治療効果を科学的・客観的データによって確立し、優れた再生医療を国内外に適切に展開していくための拠点を整備するため、必要な経費を補助する。
- 医療機関や製薬企業、研究機関等が組んだチーム型で応募いただき、最大交付額は15億円／件。

※採択目安：3～5件、補助対象経費：4,993百万円（うち事業費4,800百万円、事務局経費193百万円）



「再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けた環境整備事業」採択者

参画機関 (太字下線：申請代表者)	事業名	エリア
株式会社ジャパン・ティッシュエンジニアリング 国立研究開発法人 国立がん研究センター、 帝人株式会社、三井不動産株式会社	再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けた既承認品の市場拡大および新規製品の臨床使用の推進を目指す環境整備	愛知県蒲郡市 千葉県柏市
国立大学法人 東京医科歯科大学 国立大学法人 神戸大学医学部附属病院、医療法人同信会 福岡整形外科病院、医療法人桂名会 重工記念病院、学校法人獨協学園 獨協医科大学埼玉医療センター、富士フィルム株式会社、セルソース株式会社	再生医療等安全性確保法下での変形性膝関節症に対する自家滑膜幹細胞治療の実装と科学的効果検証のための環境整備	東京都 神戸市 等
株式会社ビジョンケア 地方独立行政法人神戸市民病院機構 神戸市立神戸アイセンター病院、神戸iクリニック、株式会社VC Cell Therapy、シスメックス株式会社、株式会社サイト-ファクト	網膜再生医療の国内外の普及に向けたセラピーチェーン及び医療プラットフォーム構築事業	神戸市 川崎市（殿町）
学校法人藤田学園 藤田医科大学 学校法人慶應義塾 慶應義塾大学、ロート製薬株式会社、株式会社サイフーズ、株式会社サイト-ファクト、地方独立行政法人神奈川県立産業技術総合研究所、公益財団法人実験動物中央研究所、一般社団法人RINK	東日本における再生・遺伝子細胞治療の社会実装基盤の構築	東京都（羽田） 川崎市（殿町）
一般財団法人 未来医療推進機構 一般社団法人中之島アイセンター推進協議会、株式会社レイメイ、医療法人渡辺医学会 桜橋渡辺病院、ロート製薬株式会社、医療法人社団彦星会 岩橋クリニック、株式会社コングレ	未来医療国際拠点の中核とした、再生・細胞医療・遺伝子治療の基盤整備	大阪市（中之島）

1. 基盤技術開発支援

- 再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤整備事業

2. 拠点・環境整備

- 再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けた環境整備

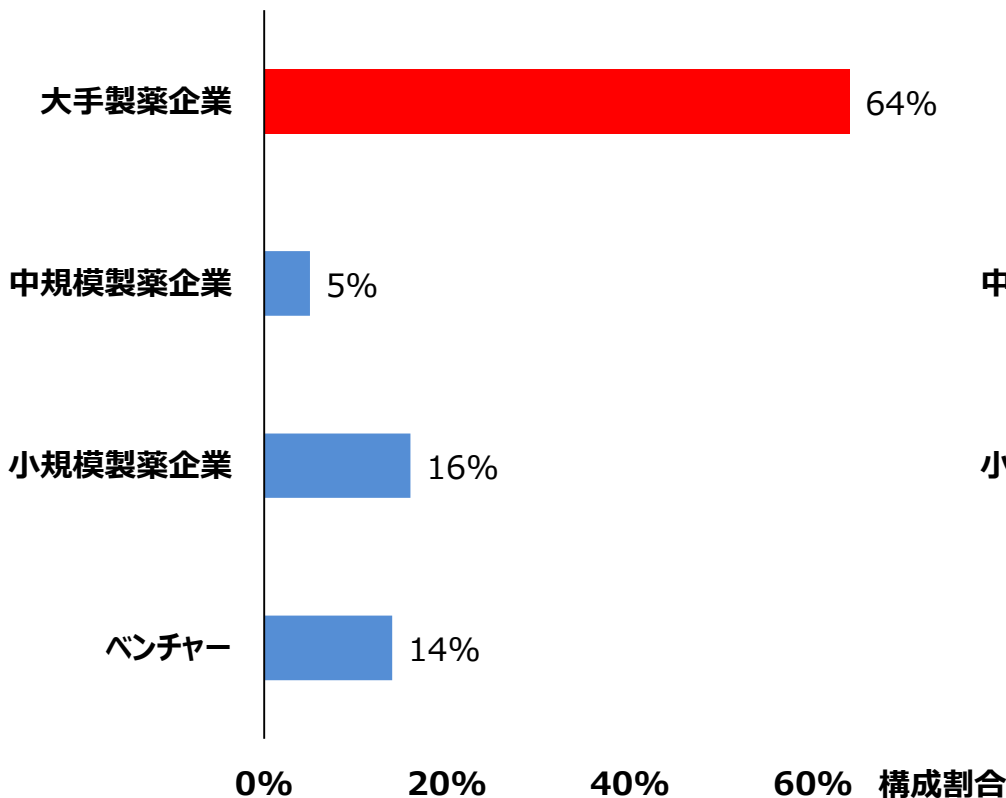
3. ベンチャー企業支援

- 創薬ベンチャーエコシステム強化事業

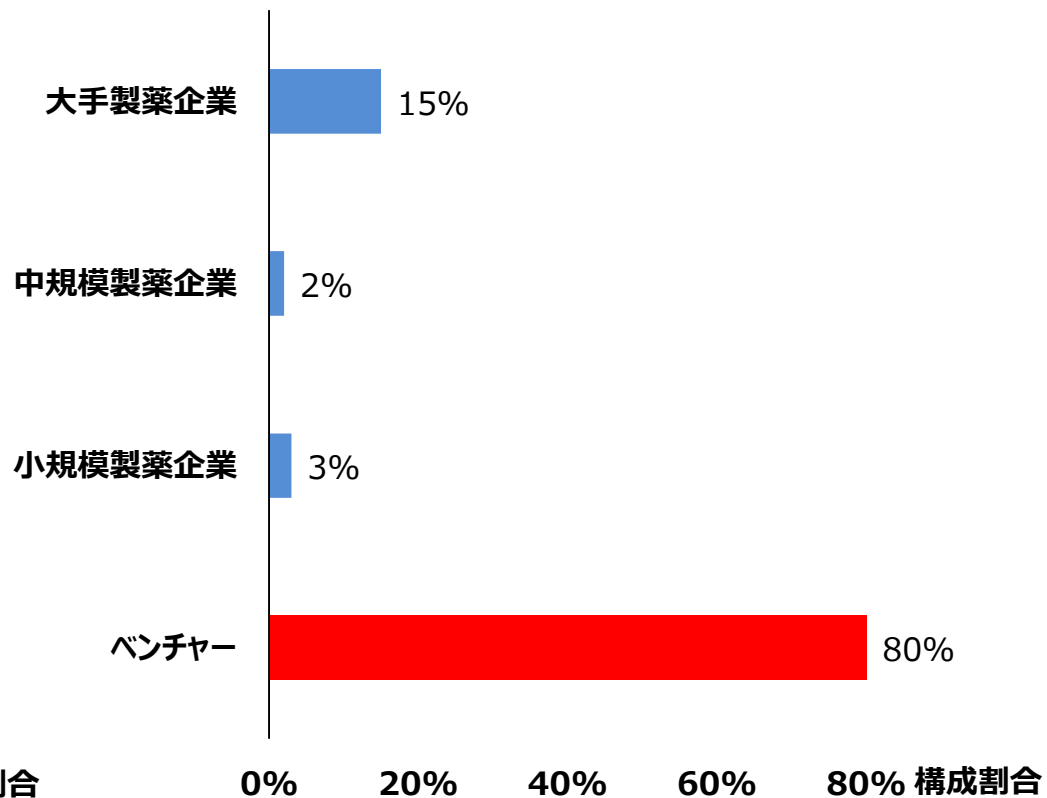
創薬ベンチャーの重要性（産業構造の変革）

- 一般の医薬品市場でも、売上高では大手製薬が64%を占める一方、創薬開発品目数ではベンチャーが80%を占めており、世界的にベンチャーが創薬開発の担い手。

世界の医薬品売上高シェア （企業規模別）



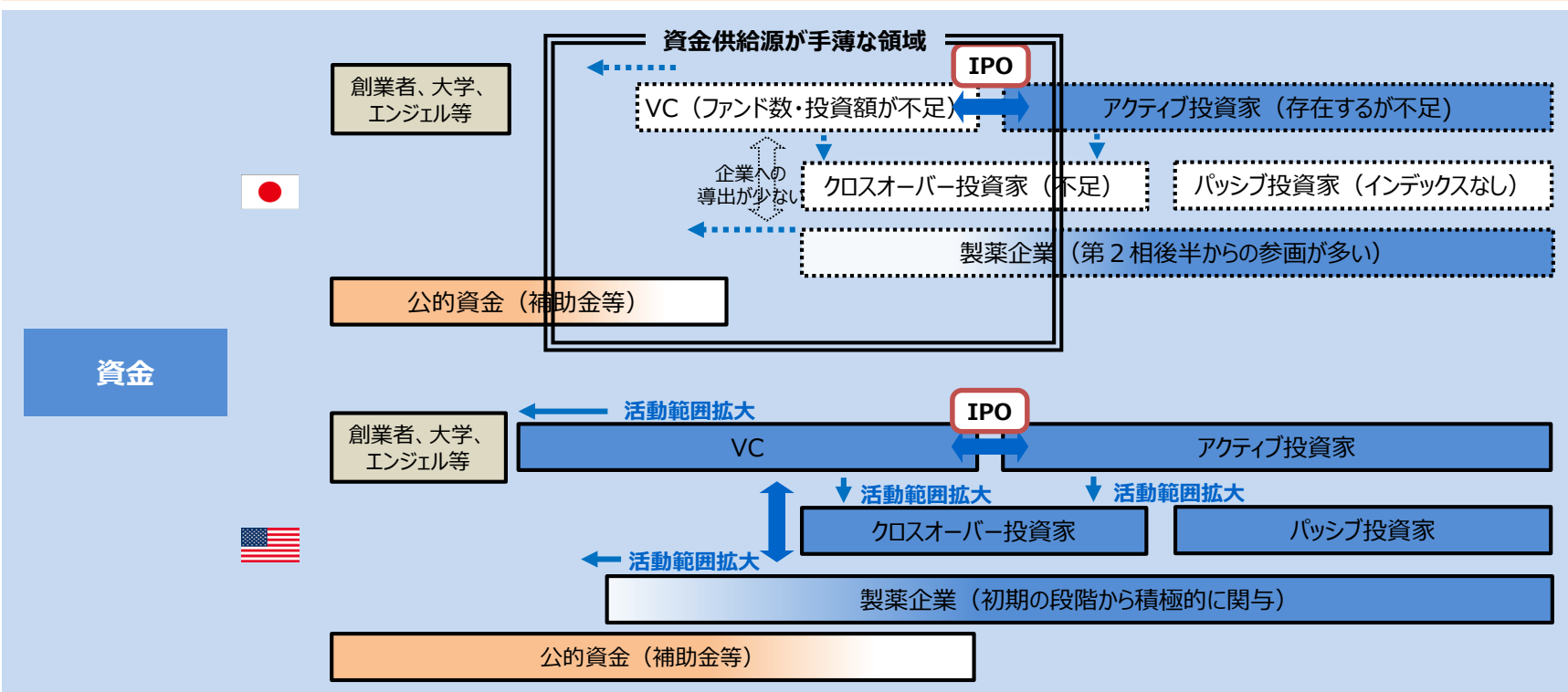
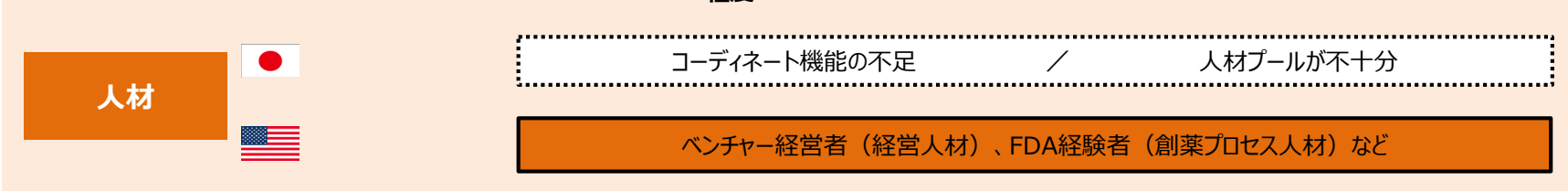
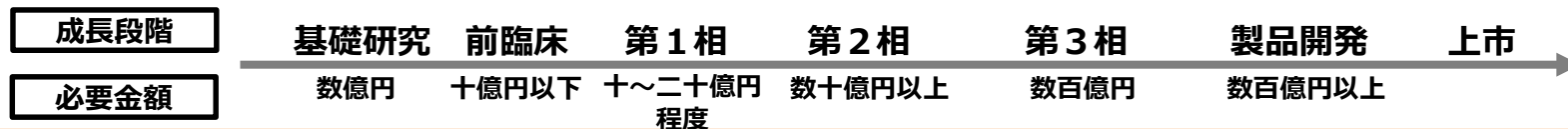
世界の医薬品創薬開発品目数シェア （企業規模別）



（注）大手製薬企業：売上高100億ドル以上の25社、中規模製薬企業：売上高50～100億ドルの9社、小規模製薬企業：売上高5～50億ドルの74社、ベンチャー：売上高5億ドル未満の3,212社

（出所）IQVIA社資料を基に作成。

日本の創薬ベンチャーをめぐる課題



投資リターン（薬価収入）

創薬ベンチャーエコシステム強化事業

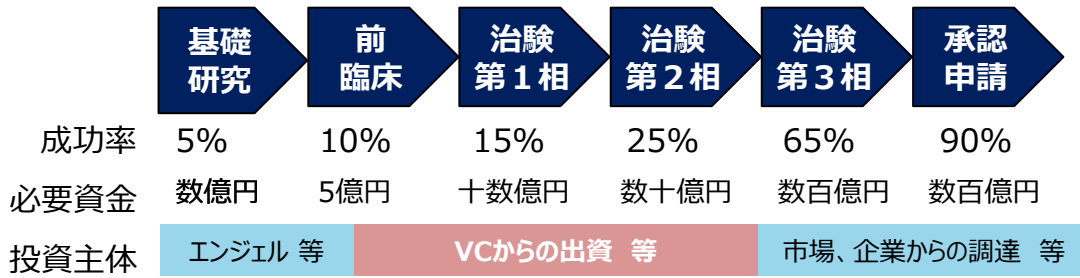
【令和4年度補正予算:3,000億円】

【令和3年度補正予算:500億円】

- **創薬ベンチャーは**、①開発期間が長い、②開発資金が多額、③成功率が低い、④薬事承認されないと売上げがないなど、ビジネスモデルが特殊で**事業化の難易度が高い**。特に**治験第1相、第2相は、リスクは依然大きい**にもかかわらず、**開発資金が50～100億円**といった規模に跳ね上がる。
- 世界的に新たな医薬品の開発は創薬ベンチャーにシフト。米国に比べて脆弱な**日本の創薬・ベンチャーエコシステムでは、創薬ベンチャーが必要な資金を円滑に調達するのは困難**。

→ 創薬ベンチャーエコシステムを真に強化するため、VCと連携して実用化開発を支援する事業の対象を感染症関連以外にも拡充する。

創薬開発のリスクと資金のイメージ

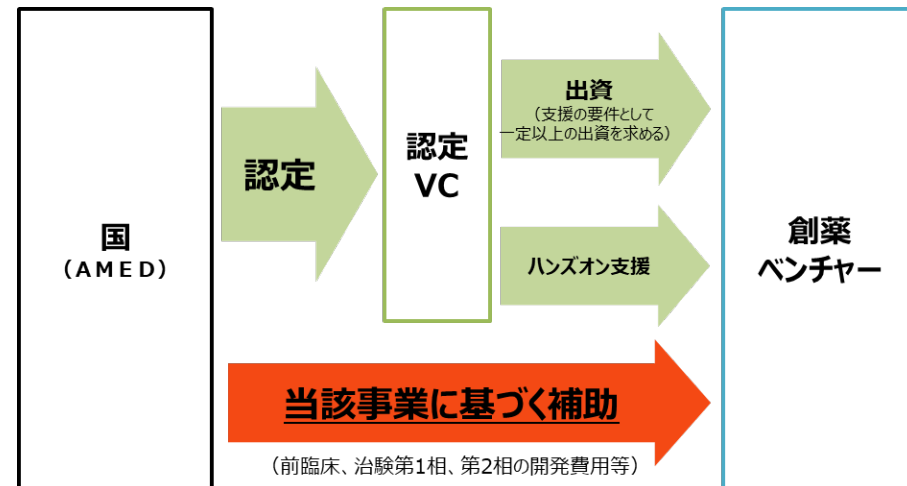
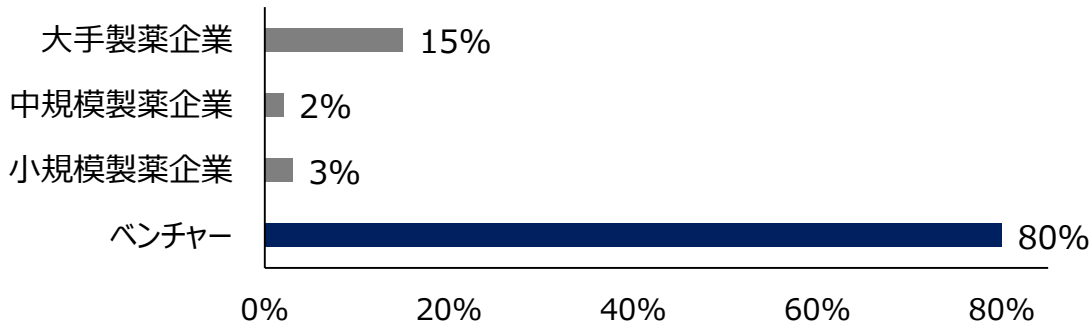


事業のイメージ

VCの出資を条件に、民間出資1に対して2倍までの範囲で補助

⇒ 治験費確保の円滑化 + 更なる民間資金の呼び水に

世界の医薬品創薬開発品目数シェア



【参考】創薬ベンチャー・認定VCについて

創薬ベンチャー（補助事業者）

採択ベンチャー

<第1回採択ベンチャー>

- **エディットフォース株式会社**
筋強直性ジストロフィー1型に対する革新的治療薬の開発
- **株式会社 Immunohelix**
新規高活性アジュバントと新規抗原を用いたRSウイルスワクチンの開発

公募スケジュール

第1回公募：令和4年8月5日（金）
～令和4年9月15日（木）

採択公表：令和4年12月23日（金）

第2回公募：令和5年3月24日（金）
～令和5年5月16日（木）

採択公表：令和5年7月下旬以降

認定VC

採択ベンチャー

<第1回認定VC> 8社

- 株式会社ファストラックイニシアティブ
- Remiges Ventures, Inc.
- 三菱UFJキャピタル株式会社
- Catalys Pacific LLC
- 東京大学協創プラットフォーム開発株式会社
- DCIパートナーズ株式会社
- NEWTON BIOCAPITAL PARTNERS
- 京都大学イノベーションキャピタル株式会社

<第2回認定VC> 9社

- D3合同会社
- Eight Roads Capital Advisors Hong Kong Limited
- Impresa Management LLC
- JICベンチャー・グロース・インベストメンツ株式会社
- MP Healthcare Venture Management, Inc.
- Saisei Ventures LLC
- 大阪大学ベンチャーキャピタル株式会社
- ジャフコグループ株式会社
- 株式会社東京大学エッジキャピタルパートナーズ

公募スケジュール

第1回公募：令和4年3月17日（木）
～令和4年4月19日（火）

採択公表：令和4年6月30日（木）

第2回公募：令和5年3月24日（金）
～令和5年5月16日（木）

採択公表：令和5年5月12日（金）