

再生医療産業の成長、スタートアップ育成、  
再生医療エコシステムの構築  
に向けて

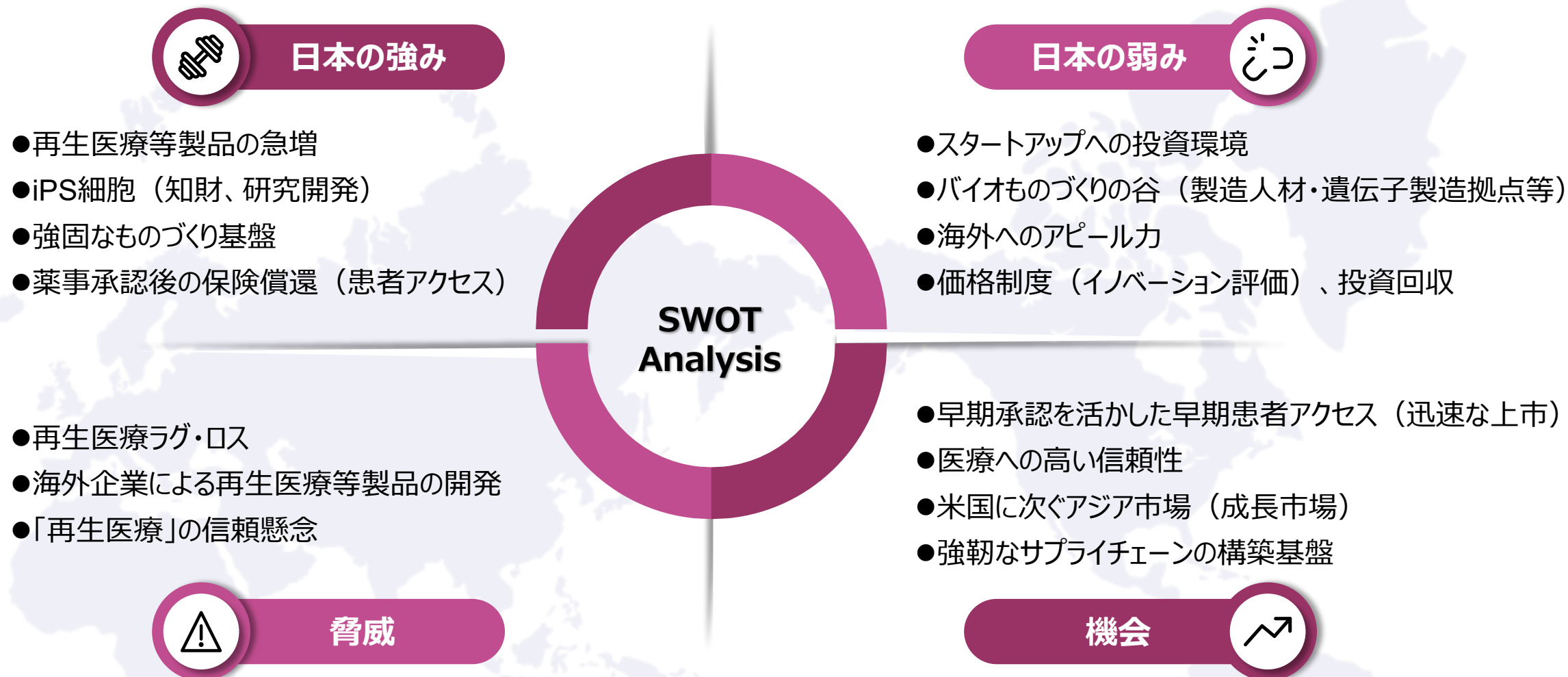
畠 賢一郎

株式会社 ジャパン・ティッシュエンジニアリング 相談役

- 既存の**治療概念を大きく変える**可能性がある。
- 製品に**多様性**があり、製造工程や品質管理が異なり、対象患者数が限られる場合が多い。
- 効果が**長期にわたり持続する**可能性がある。
- 携わる**医療従事者の能力に大きく影響を受ける**ことや、高度医療設備を有する医療機関に使用が限定される場合がある。
- 製品自体の**シェルフライフ(使用・有効期限)**が**極端に短く**、出荷から投与されるまでの時間的制約がある。
- 製造における**サプライチェーンが複雑**であり、そこには数多くの知財が含まれることが多い。



従来の医薬品ビジネスモデルとは異なる点が多いが、  
**日本の強みを発揮できるイノベーションになる。**



**iPS細胞を中心とした日本の強みを活かし、強靱なサプライチェーンを構築し、再生医療を日本発の世界をリードする産業に育成する。**

## ■ 再生医療に必要な財源確保

「イノベーションの推進」と「持続的な国民皆保険制度」のバランス、特長や価値を踏まえた価格制度、実装に向けた診療報酬

## ■ 強靱な国内製造体制の構築と製造技術の発展支援

経済安全保障としての製造・サプライチェーン、CDMOの拠点整備(補正予算)、自動化等の技術支援、早期製品プロセス開発の投資促進

## ■ 多様性に即したルールの策定

多様なモダリティに応じた弾力的な制度運用(Rule of rulesの活用)、新技術評価の規制改革と国際調和

## ■ 再生医療のデータ利活用

臨床エビデンスのためのレジストリ整備と活用、製造・品質データのデジタル化や利活用、個別化医療の実現に向けた基盤整備

## ■ グローバル展開の推進

インバウンドやアウトバウンドの戦略的推進、市場構築に向けた規制調和の推進(アジア、欧米)、わが国の優位性の積極的アピール

## ■ 再生医療に関わる人材の育成

次世代リーダーの育成、医工連携・生命情報の融合人材、バイオものづくり人材、AI/DX・生物統計人材、人材流動性の活性化

## ■ 再生医療の信頼性確保

科学的エビデンスの蓄積と社会実装の両立、情報公開や透明性の向上、患者・市民参画、ヘルスリテラシーの向上

**再生医療で拓く、持続可能で信頼ある先端医療を**





# 再生医療を あたりまえの医療に

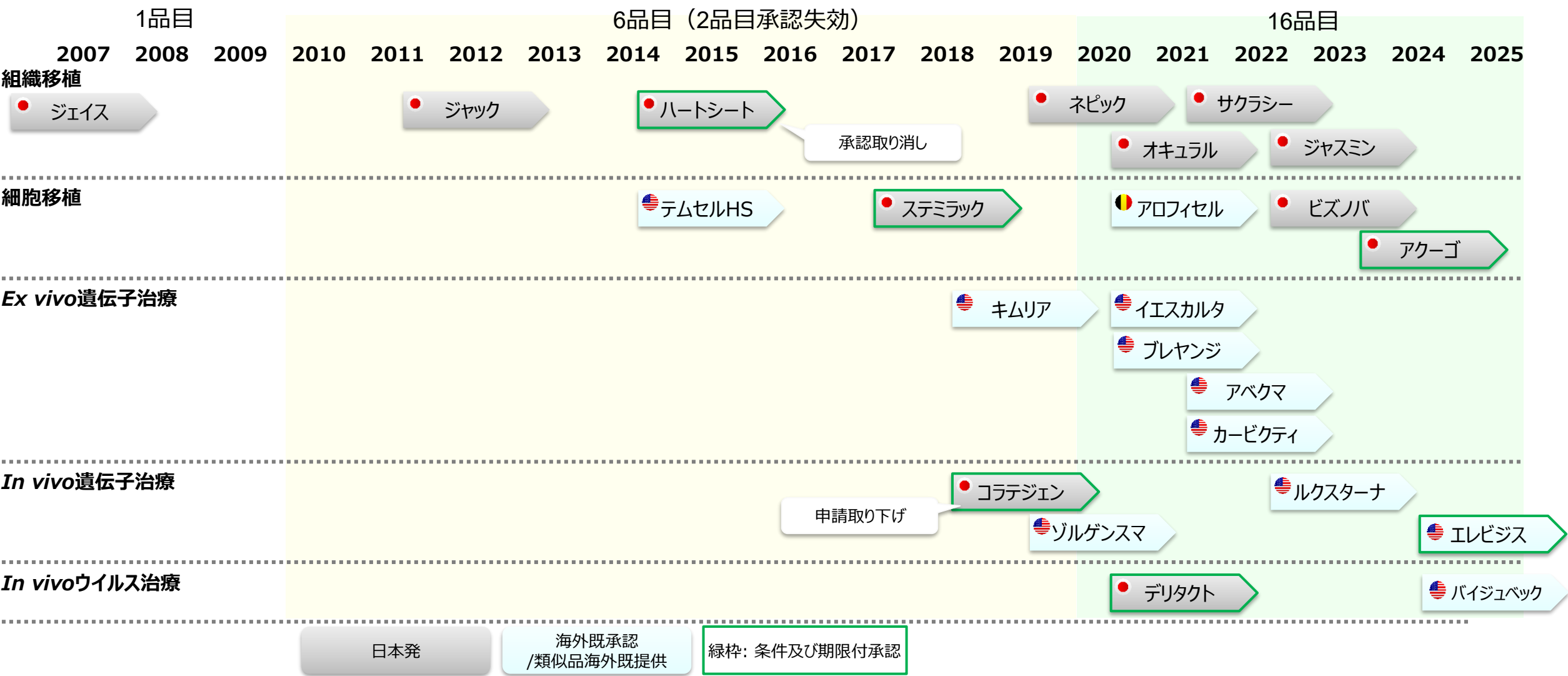
ありがとうございました



參考資料

# 本邦で承認された再生医療等製品

● 本邦で承認された再生医療等製品は21品目、近年はその品目数は加速度的に増加



# 再生医療等製品の特徴（既存医薬品との違い）

	再生医療等製品	低分子医薬品・ バイオ医薬品
研究開発	規制	<ul style="list-style-type: none"> <li>日本の規制（カルタヘナ等）が障壁</li> <li>ICH により国際的に調和</li> </ul>
	特許	<ul style="list-style-type: none"> <li>多くの特許が関連（ライセンス料増）</li> <li>物質特許で保護</li> </ul>
	人材	<ul style="list-style-type: none"> <li>高度技術を持つ人材が少なく、育成の必要性が高い</li> <li>豊富</li> </ul>
製造	医療機関	<ul style="list-style-type: none"> <li>製造の起点として細胞の採材等が必要</li> <li>－（医療機関で採材は不要）</li> </ul>
	製造	<ul style="list-style-type: none"> <li>GMPLレベルの高額なベクターが必要</li> <li>産業との連携が必要</li> <li>モダリティごとのGCTP省令に準拠した専用設備投資が必要</li> <li>大量生産できずスケールメリットが得難い</li> <li>設備を同じモダリティに流用可能</li> <li>関連産業は限られている</li> <li>大量生産可能で工業的</li> </ul>
	品質	<ul style="list-style-type: none"> <li>細胞や遺伝子の均質化が困難で多様かつ多段階の品質保証試験（マーカー発現、ウイルス検査）のコストが高額</li> <li>均質化が容易</li> <li>品質保証試験は一定程度</li> </ul>
流通	輸送	<ul style="list-style-type: none"> <li>専用の輸送インフラ（-150℃など）が必要</li> <li>通常設備で輸送可能</li> </ul>
投与	医療機関	<ul style="list-style-type: none"> <li>専門施設に限定され、医師の手技に依存（講習費用等）</li> <li>医療機器算定の販管費上限が課題</li> <li>広く使用</li> </ul>
	対象患者	<ul style="list-style-type: none"> <li>希少疾患のため少ない</li> <li>自家細胞は完全個別化医療</li> <li>生活習慣病を含め比較的多い</li> </ul>



## ● 長期間の効果が期待できる

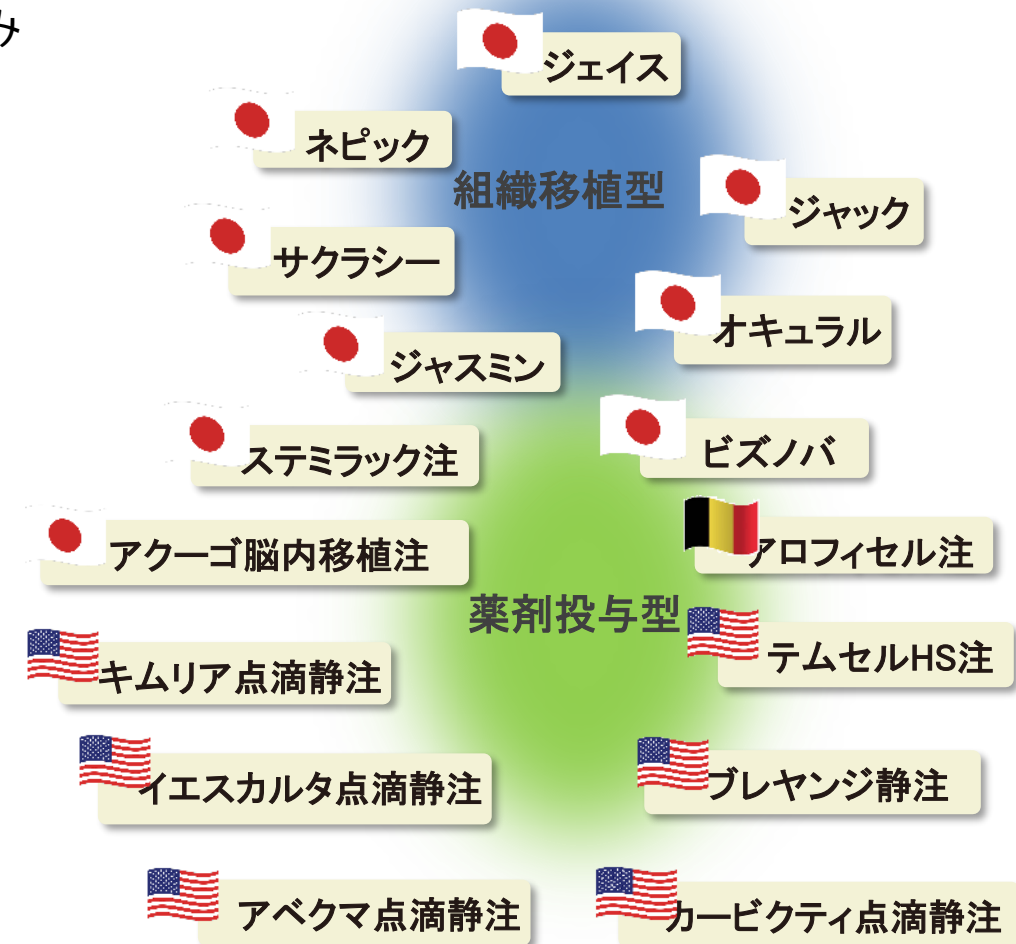
- ・ 治験等、期間限定評価の限界について
  - ➡ わが国の制度設計と規制関係者の理解による合理的対応済み
- ・ 当該医療の**価値評価**について
  - ➡ 限られた医療財源をふまえ、今後の検討課題である

## ● 安全性・有効性の発揮には特別な配慮が必要である

- ・ 医師の治療手技の周知と**均質化**について
  - ➡ 情報の蓄積と医師への十分な情報提供が必要である
  - ➡ 手技料など医師へのインセンティブ確保
- ・ 製造経験をもとにした**工程の合理化や大規模化**への配慮
  - ➡ 柔軟な対応を可能とすべく現状の制度変更を考慮すべき
- ・ 上記関連情報の適切な取得が必要である。
  - ➡ **レジストリ、市販後情報収集**等の合理的手法の検討

## ● 製品特性が多様である

- ・ **品質の作り込み**が重要（複雑な生産工程、特殊な輸送・搬送）
  - ➡ **サポーターイングインダストリー**に加え、**CDMO**の重要性が増している
- ・ 独自の生産方法、品質検査方法が必要になる場合が多い
  - ➡ **Rule of rules**が必要である



- 再生医療等製品は、今後の医療のあるべき姿を議論する最先端治療の一つ（今後、オルガノイドやバイオプリンティング組織など）
- 社会実装するために、医師や医療の寄与に関する配慮が必要（提供医療の均質化、医療情報の収集と解析、医療側のインセンティブ）
- 多様な再生医療等製品に適した保険制度の在りかた
- 再生医療等製品は高額だが、単回投与や適応が希少疾患などであり、適切なリターン（イノベーション推進）の在りかた

- 新治療手段の早期提供
- ハイリスク領域の推進  
（適切なリターン）

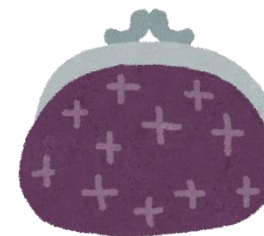
患者アクセスの向上

イノベーションの推進

国民皆保険制度

医療保険制度  
保険償還

- 持続可能な制度
- 何を保険償還すべき？



## • CDMOの重要性（再生医療の社会実装にまつわる総合的支援体制の構築）

- CDMOの業務明確化
  - ➡ 医薬品、バイオ医薬、再生・細胞医療・遺伝子治療関連等、各CDMO事業の範囲や内容、ビジネスモデルは想定以上に異なるため、これらの業務の明確化が必要である
- 生産の特殊性
  - ➡ 上市後対応のための柔軟性をふまえた製品の作り込みが必要である
  - ➡ 原料の安定的調達、機械化・自動化への移行可能性
- シーズ保有者、ベンチャー企業等への支援に必要な仕組み
  - ➡ 生産・品質試験に必要なハードウェア等の準備・提供
  - ➡ 知財戦略、開発計画立案、資金調達、事業運営、薬事対応、人材確保等

### ベンチャー・SU支援は直接支援で十分なのか？

#### Answer 1

ベンチャー起業者は技術シーズを保有しているものの、これを製品化する環境・ノウハウが十分でない。そのため、製品の作り込み・生産プロセス構築技術を有しているものとの連携が重要である。CDMOなどを通じた各種支援環境を提供する必要がある。

#### Answer 2

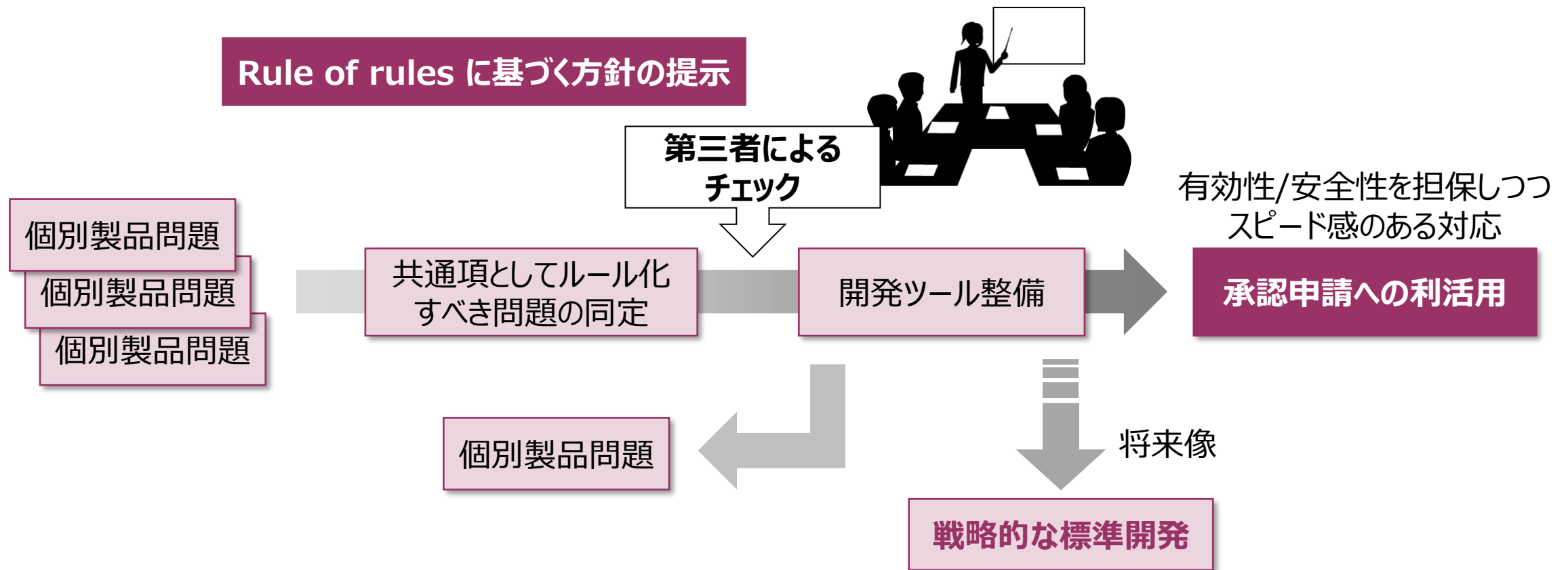
欧米などの創薬ベンチャーは、大手製薬企業からのM&Aという出口戦略が想定できる。一方で、現在の再生医療では、事業モデルが医薬等と異なるために大手製薬企業が買収しにくくIPOが出口戦略となり、研究開発以外の業務に苦慮している。出口戦略をふまえたベンチャー支援が必要である。



## ● 再生医療等製品におけるRule of rulesの必要性

- 再生医療等製品は、医薬品などと比較すると多種多様であり、柔軟な対応が求められる。
- 再生医療等製品の開発にあたり、開発、製造、品質管理方法などについて、品目ごとに異なる対応が必要となる。
- 再生医療等製品の開発には、医薬品や医療機器と比較して多様なルールが必要である。

➡ 既存ルールだけではコスト増や期間の延長になりやすく、「Rule of rules」が望まれる。





日本の技術を海外に展開する

論点：製品が動くか患者が動くか

## ■製品が動く

例：In vivo 遺伝子治療製剤など再生医療等製品の特性をもとに

- ✓ 十分な保存安定性・輸送適性を有している場合、従来の医薬品と同等の提供モデルを構築できる、類似のグローバル展開が想定できる  
➡ より多くの国に提供（輸出）すべく、影響力の大きい米国FDAを念頭に置いた承認戦略が重要になる。一方で、わが国のアジア規制への影響力増加も必要である。

## ■患者が動く

例：細胞利用型再生医療等製品の特性をもとに

- ✓ 製造施設が特殊（作業者の技能が重要）であるとともに輸送に困難を要する
- ✓ 医師の技術レベルが治療の成果に影響をもたらす
- ✓ 治療を求める患者は必ずしも富裕層のみでない  
➡ 当該治療をいかに醸成し国内への医療キャッシュフローをもたらすか



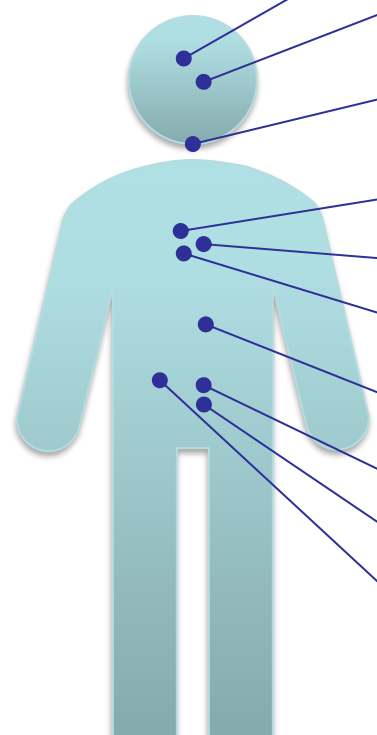
海外の技術を国内に持ち込む

論点：わが国の市場価値向上にむけて

- ✓ 海外技術におけるわが国への事業展開のハードルは、必ずしも低価格ではなく、言語の課題と薬事規制の複雑さによるものである（FIRM調査報告より）
- ✓ わが国の臨床応用までのプロセスは決して複雑ではなく、規制当局、医療機関などの努力によって明確化されている
- ✓ First in Humanおよび治験等の実施コストは諸外国と比べて低いことが想定される
- ✓ 海外からの技術シーズの受け皿として、わが国の医療機関、ならびに再生医療関連CDMO事業の役割は大きい  
➡ 海外への情報提供、わが国の受け入れ体制構築がきわめて重要である



# 今後上市が想定されるiPS細胞由来の再生医療等製品



開発者等	移植細胞	対象疾患	開発状況
住友ファーマ/京都大学	ドパミン神経前駆細胞	パーキンソン病	承認申請
住友ファーマ/ヘリオス	網膜色素上皮細胞	網膜色素上皮裂孔	Phase 1/2
ブライトパス・バイオ/ 千葉大学・理化学研究所	NKT細胞	再発・進行頭頸部がん	Phase 1
ハートシード/ 慶応義塾大学	心筋細胞	虚血性心疾患に伴う 重症心不全	Phase 1/2
クオリプス/大阪大学	心筋細胞	虚血性心筋症による 重症心不全	承認申請
iHeart Japan	心血管系細胞多層体	拡張型心筋症	Phase 1/2
メガカリオン/京都大学 /CiRA-F	血小板	血小板減少症	Phase 1/2
順天堂大学	細胞障害性T細胞	HPV16型陽性子宮頸がん	Phase 1
国立がん研究センター/ 京都大学	NK細胞	卵巣がん	Phase 1
オリヅルセラピューティクス/ 京都大学	膵島細胞	重症I型糖尿病	Phase 1/1b

## 再生医療に関わる人材育成

- 自動化・ロボット技術を含む医工連携等を担う学際的な再生医療人材を育成する
- 日本と海外、官民間、アカデミアと企業間の人材交流を活性化させる

## 信頼性の高い情報発信

- アジア・海外に向けて日本の薬事制度や日本のシーズの魅力を産官学で発信する
- 分かりやすく信頼できる再生医療情報を官公庁・アカデミア・産業界から提供する

## 新たな医療保険制度

- 健全な医療保険財政を実現するための財源に関する政策について政産官学で議論する
- 再生医療等製品の特長・価値を踏まえた保険償還価格制度や価値評価方法について、政産官学での議論を継続する
- 再生医療を提供する医師の手技料等を診療報酬として反映する
- 再生医療に関する公的医療保険の適応範囲を整理し、民間保険の活用や新たな保険外併用療養費制度を検討する



## アカデミアの充実と知財戦略

- 異分野連携や学際的な視点での共創を促進し、魅力的なアカデミア環境を整備する
- 製品価値向上につながる重要品質特性を特定するアカデミア研究を支援する

## 投資環境の整備

- バイオベンチャーへの投資を充実し、製薬企業の持つ能力を活用しながら臨床開発や海外展開を推進する
- ベンチャーキャピタルを育成し、海外からの投資を促進する

## 製造技術

- 製造プロセスの作り込みに向けた専門家の伴走支援により製造ケイパビリティを補う体制を整える
- 研究開発の加速や製造効率化、品質担保のために、自動化技術やロボティクス等の日本の強みを活かす

## 新しいルール作り

- 産官学で新しい技術を評価する方法を明確化し、規制改革と国際調和に向けた検討を推進する

## エビデンスの活用

- 再生医療の臨床データの収集方法や妥当性のある評価方法について具体的に議論する公的な場の設置を検討する

## グローバル展開

- 国際的に魅力ある臨床開発環境や市場を日本で構築し、アジアとの連携や規制調和を推進する
- インバウンド/アウトバウンドにより日本の医療産業を発展・強化する

## 成長戦略としての再生医療産業支援

世界的に見て**日本が強みを有する再生医療**は、従前の治療概念を覆すゲームチェンジャーとなり得るモダリティとして健康寿命の延伸など国民の健康増進に貢献をするとともに、**関連企業の裾野も広く日本経済の成長エンジン**として期待される分野の1つである。それらの実現に向け、ヒト・モノ・カネが有機的に結びついた再生医療エコシステムを構築するとともに、研究開発投資を回収し次のイノベーションへ再投資ができる環境を速やかに整備する必要がある。

### 産業化支援

日本発の革新的治療の上市・普及に向け、バリューチェーンを通した再生医療エコシステムを構築する。

- アカデミア、スタートアップがバイオものづくりの谷を越えうる、細胞・ベクターの**国内製造に係る自動化等の技術支援体制**の構築
- 日本発の成功事例を生み出す、**初期から後期まで切れ目ない投資・伴走支援環境**の整備
- 再生医療の**多様性を踏まえたルールや評価方法**の策定、並びに、**国際的な標準化や規制調和**の推進

### 医療保険制度改革

持続可能な医療保険制度を整備しながらも、従前の治療概念を覆す再生医療等製品は、大きなリスクに備える互助システムである国民皆保険制度で担い、革新的な治療へのアクセスおよび医療の質の維持向上を実現する。

- 再生医療等製品のイノベーションを適切に評価しうる**新たな価格算定の仕組み**の導入
- 再生医療等製品の提供体制を構築する**医療機関への適切な対価・支援**の提供
- **早期患者アクセス**のために、条件及び期限付承認された再生医療等製品の公的医療保険適用の継続