

2020年11月12日

第2回 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会

第2回再生・細胞医療・ 遺伝子治療開発協議会	資料2
令和2年11月12日	

# 産業界における再生・細胞医療・遺伝子治療分野の 取組状況と課題認識について

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 富 賢一郎

- 1) FIRMおよび活動の紹介**
- 2) 再生医療の多様性とその研究開発**
- 3) 研究開発ターゲットの検討にあたり考慮すべき点**
- 4) 今後制度面でさらなる改善が必要となる事項**

- 1) FIRMおよび活動の紹介**
- 2) 再生医療の多様性とその研究開発
- 3) 研究開発ターゲットの検討にあたり考慮すべき点
- 4) 今後制度面でさらなる改善が必要となる事項

# 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
- 2020年10月末現在、企業・法人258社、個人14名

再生医療・製薬  
(約20%)

化学・材料  
(約25%)

機械・装置  
(約15%)

物流・サービス・その他  
(約40%)



# FIRMの理念と VISION 2025

「**再生医療**」の普及を通じて、  
人々の**健やかな未来**に貢献します。

わたくしたちは「再生医療」の産業化のために、  
互いに協力して課題解決に努め、  
人々のQOLの向上に取り組んでまいります。



## FIRM VISION 2025

革新的な治療の普及のために  
再生医療の産業化を実現する

FIRMは  
信頼ある情報を発信し、  
変革につながる  
提言をします

FIRMは  
専門性の高い  
精鋭集団となって  
世界をリードします

FIRMは  
イノベーションの  
創出に向けて  
チャレンジし続けます



# 再生医療産業化にむけた課題



# 再生医療産業化に向けた直近の個別課題

- **製品価値を適切に価格へ反映する仕組みの検討**  
再生医療の実状に則った品質管理のあり方
- **患者・疾患データの包括的収集**  
患者登録システム（レジストリ）の構築と有効活用  
レジストリを治験の比較対照群として利活用
- **諸外国との規制調和の推進**  
わが国の規制制度の価値・意義を諸外国にアピール
- **商業利用を見据えた細胞調達システムの構築**  
提供者との合意形成のモデルケース



- 1) FIRMおよび活動の紹介
- 2) 再生医療の多様性とその研究開発**
- 3) 研究開発ターゲットの検討にあたり考慮すべき点
- 4) 今後制度面でさらなる改善が必要となる事項



# わが国の再生医療等製品

※表中のロゴは各社HPより転記

販売名		償還価格		
ジェイス	 J-TEC FUJIFILM Group	広範囲熱傷の治療	2007	一連につき50枚を限度として算定 (参考) 27枚 <b>8,457,000円</b>
ジャック	 J-TEC FUJIFILM Group	外傷性軟骨欠損症、離断性 骨軟骨炎の臨床症状緩和	2012	1 治療あたり <b>2,129,000円</b>
ハートシート	 TERUMO	重症心不全の治療	2015	標準的使用方法 (5枚) <b>14,760,000円</b>
テムセルHS注	 JCR Pharmaceuticals	急性移植片対宿主病 (急性GVHD) の治療	2015	標準的使用方法 (16バッグ) <b>13,898,880円</b>
ステミラック注	 NIPRO	脊髄損傷に伴う神経症候及 び機能障害の改善	2018	1 回分 <b>14,957,755円</b>
キムリア	 NOVARTIS	急性リンパ芽球性白血病等	2019	1 治療 <b>33,490,000円</b>
コラテジェン	 AnGes	慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善	2019	1 回分 <b>600,360円</b>
ゾルゲンスマ	 NOVARTIS	脊髄性筋萎縮症の治療	2020	1 患者あたり <b>167,077,222円</b>
ネピック	 J-TEC FUJIFILM Group	角膜上皮幹細胞疲弊症の治 療	2020	1 患者あたり <b>9,750,000円</b>

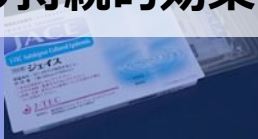
# 国内で承認された再生医療等製品の特徴と課題

**再生医療** 2007/10/29

自家細胞利用  
ヒト体細胞加工製品  
由来細胞シート

手術手技を要する  
生着により持続的効果を期待する

自家培養表皮



2012/7/27

ヒト細胞加工製品 01 ヒト体細胞加工製品  
ヒト（自己）軟骨由来組織

患者からの原料組織の採取が必須  
移植手技に術者の熟練が必要  
効果持続期間の評価が困難  
製品によっては医療機関で調整を要す

2015/9/18

ヒト細胞加工製品 2 ヒト体性幹細胞加工製品  
ヒト（自己）骨格筋由来細胞シート

**細胞治療** 2015/9/18

他家細胞利用  
ヒト体性幹細胞加工製品  
骨髄由来間葉系幹細胞

注射・点滴  
一過性の効果期待

原料の調達が必要

**細胞治療** 2018/12/28

自家細胞利用  
ヒト体性幹細胞加工製品  
間葉系幹細胞

注射・点滴  
効果の持続期間は異なる

原料細胞の医療機関での調整が必要

2019/3/26

ヒト細胞加工製品  
チサンレクルユーセル  
再生医療等製品 キムリア®点滴静注



**遺伝子治療** 2019/3/26

細胞使用せず  
ウイルスベクター  
オナセムノゲン

注射・点滴  
長期間の持続的効果を期待する

医療機関内でのカルタヘナ法対応が必要

2020/3/19

再生医療等製品  
ウイルスベクター  
オナセムノゲン  
ゾルゲンスマ



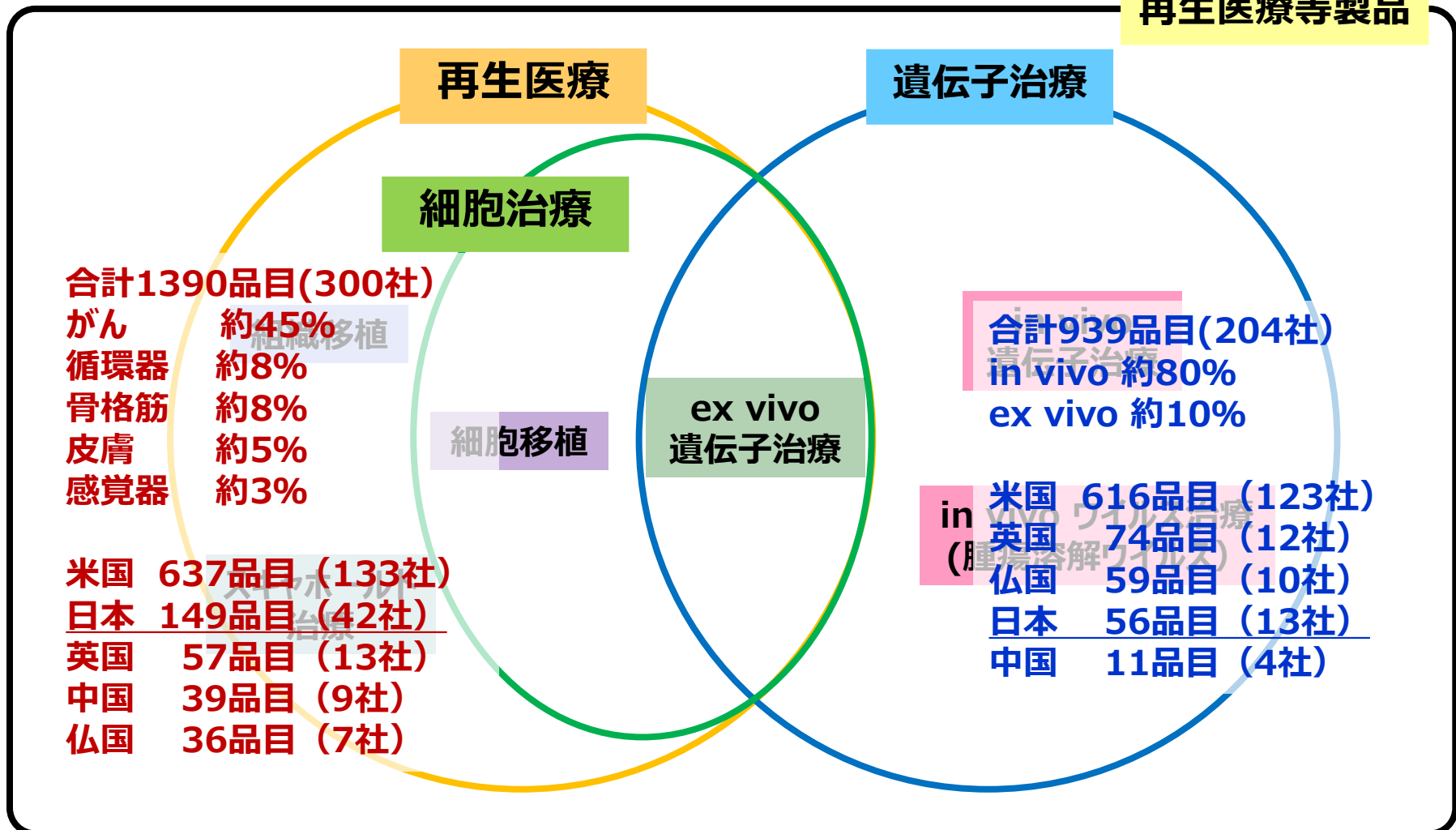
2020/3/19

ヒト細胞加工製品 02 ヒト体性幹細胞加工製品  
ヒト（自己）角膜輪部由来角膜上皮細胞シート  
指定再生医療等製品 ネピック®



# 再生医療・細胞治療・遺伝子治療の定義と開発状況

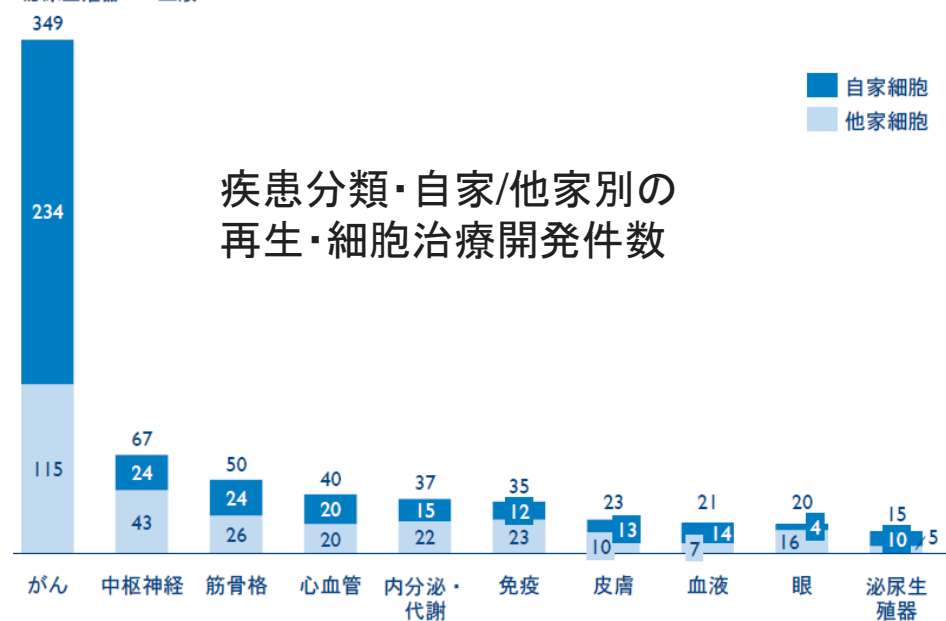
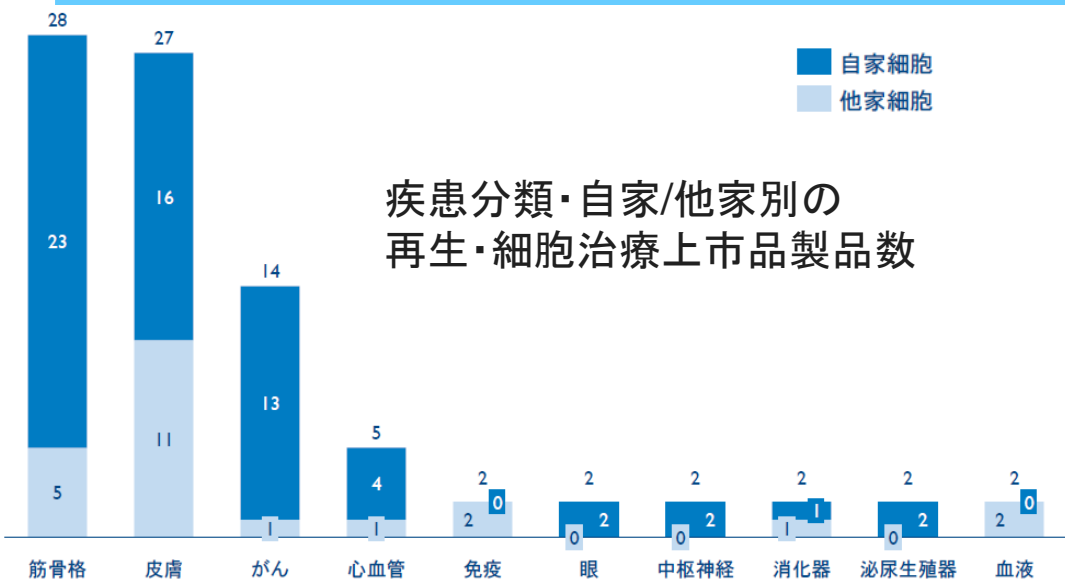
再生医療等製品



出典：第1回再生医療・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 資料4 Arthur D Little 発表資料

開発状況はCJ PARTNERS (株) の資料をベースに作成

# 再生医療の現状

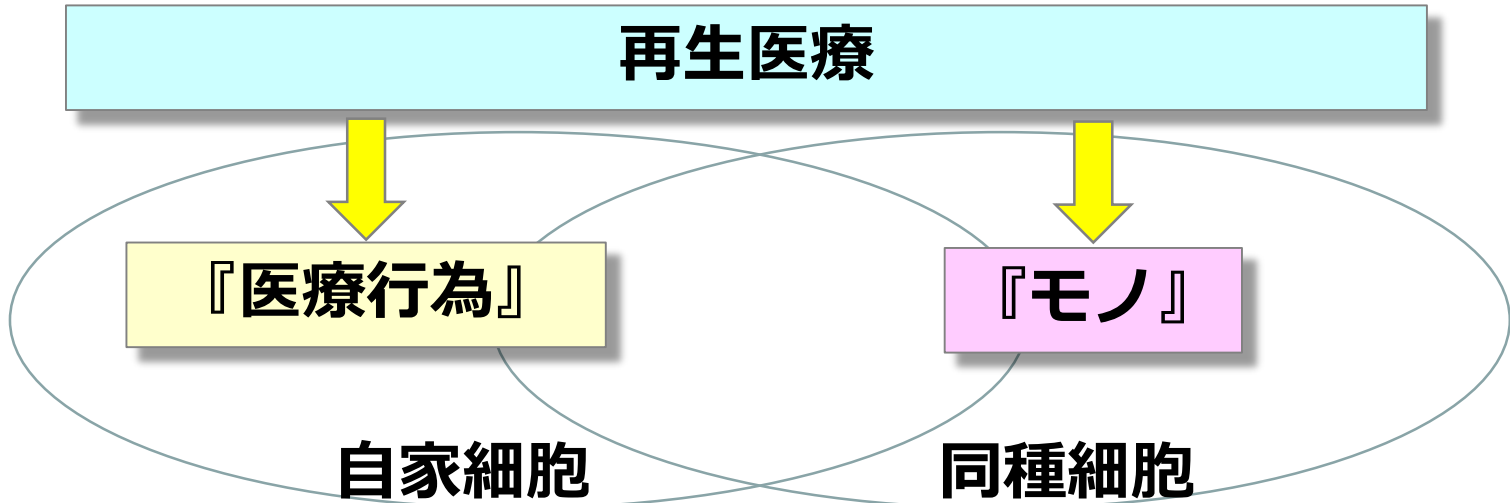


(出所) 国立研究開発法人 日本医療研究開発機構委託調査  
「2019年度 再生医療・遺伝子治療の市場調査業務 最終報告書」から抜粋して作成

# 再生医療等製品の多様性

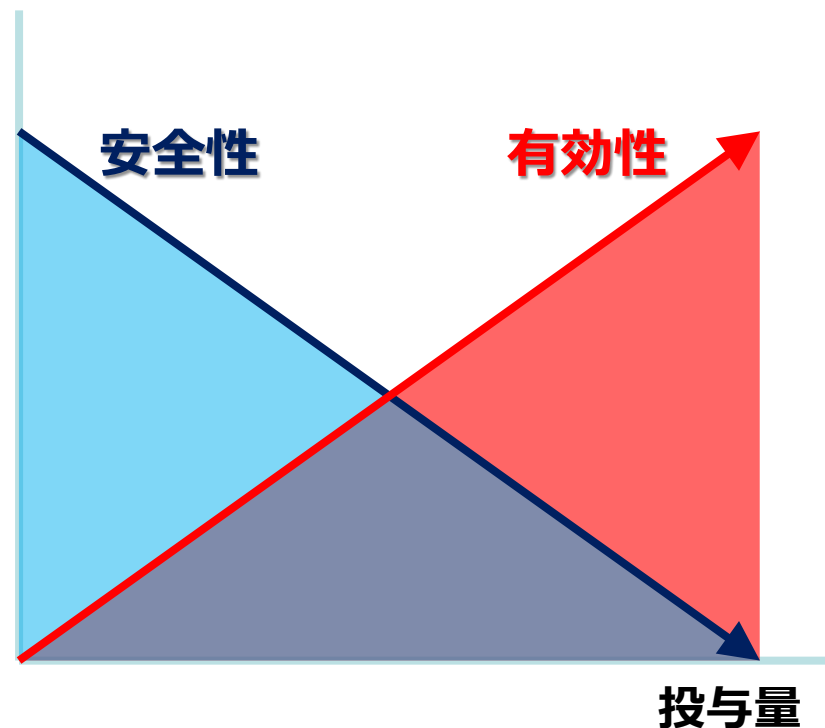
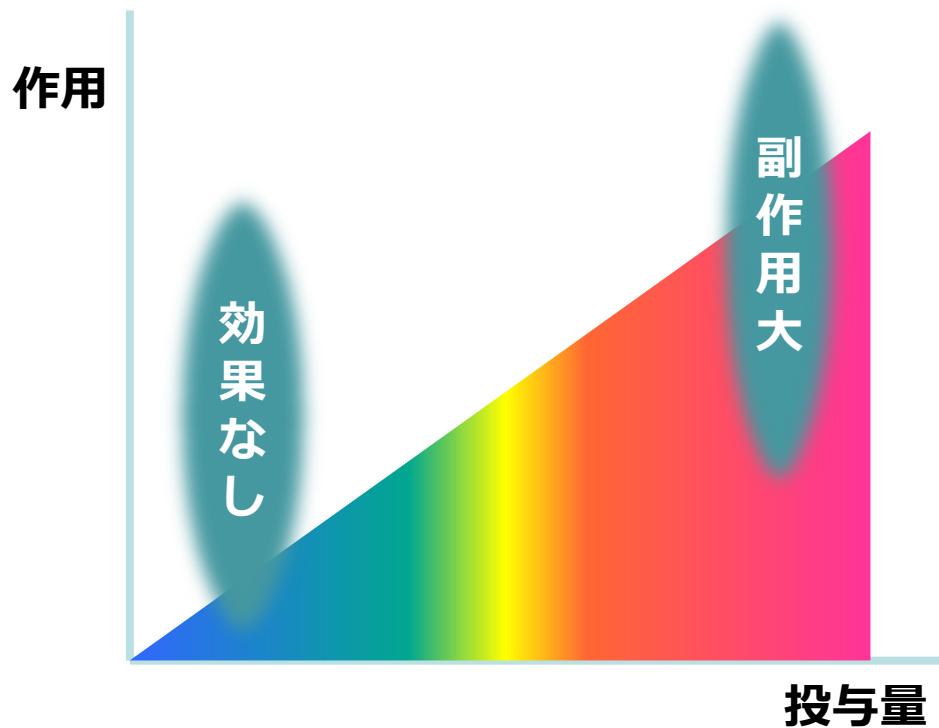
自家細胞	⇔	同種細胞（他家細胞）	メガファーマのこれまでの ビジネスモデルに近く、 細胞治療として欧米を中 心に開発が進みつつある
多能性期待	⇔	単能性期待	
3次元組織	⇔	細胞懸濁液	
細胞自体による組織再生	⇔	生理活性物質による効果発揮	
持続性・永続性効果	⇔	一過性効果	
手術（移植）	⇔	注射（点滴）	

## 再生医療のふたつの顔

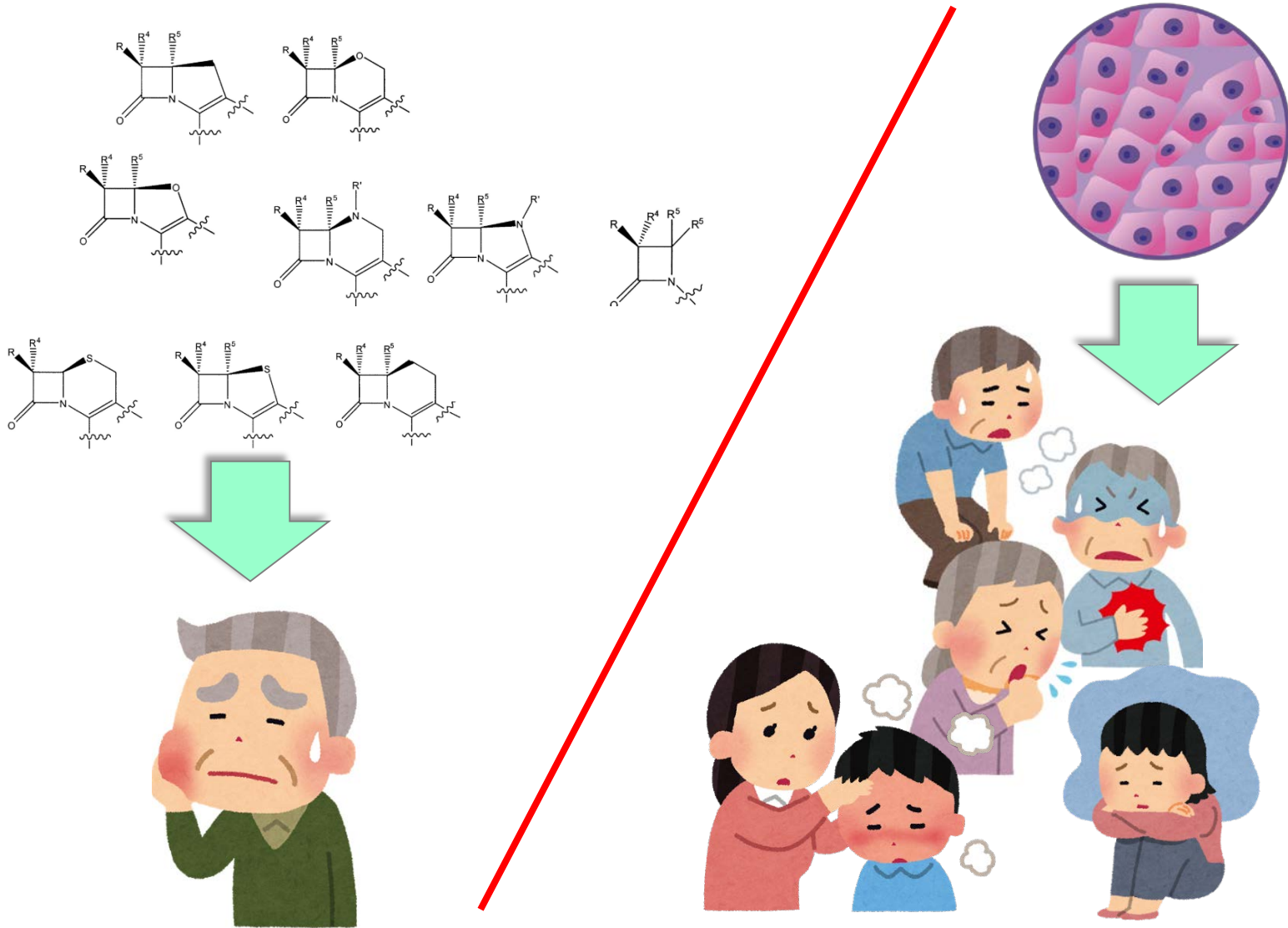


# 医薬品の安全性と有効性

従来の医薬品における有効性と安全性の関係は、再生医療等製品についても同様か？



# 医薬品と細胞製品の適応症



# 再生医療等製品の特徴

- 既存の**治療概念を大きく変える**可能性がある。
- 効果が**長期にわたり持続する**可能性がある。
- 製品に**多様性**があり、各々製造工程・品質管理が異なる上、対象患者数が限られる場合が多い。
- 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。
- 携わる**医療従事者の能力に大きく影響を受ける**ことや、高度な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。

従来の医薬品におけるビジネスモデルとは異なる点も多い。



乗り越えるべき課題は多いが、言い換えれば欧米メガファーマとの競争力を発揮できるイノベーションになりうる。



# 小括 1

## 再生医療等製品の開発について

### 1) モダリティが複雑

- ・ 現状の製品群の有する課題
- ・ 小カテゴリーに分類して考える必要がある
- ・ 海外の開発品目から見えること

### 2) 医薬品・医療器との違い

- ・ 安全性と有効性のトレードオフ（用量依存性について）
- ・ 医師の熟練を要するものであること
- ・ 長期間の効能効果が期待できること  
（評価に長期間がかかること）
- ・ モダリティと適応症の関係が逆になる可能性がある

- 1) FIRMおよび活動の紹介
- 2) 再生医療の多様性とその研究開発
- 3) 研究開発ターゲットの検討にあたり考慮すべき点**
- 4) 今後制度面でさらなる改善が必要となる事項

# 研究開発ターゲットの検討



大学・医療機関



企業

- 開発に対する適切な時間軸の設定・考慮
  - ✓ タイムリーなターゲットの更新
  - ✓ 技術シーズの迅速な応用（早期の見極め）

## ② 応用研究（製品開発型研究）

- ・ 早期から出口戦略を見据えた研究開発
- ・ 知財戦略（競争領域、非競争領域の見定め）
- ・ リバーストランスレーショナルリサーチ

## ③ 環境整備のための研究

- ・ 再生医療等のエコシステム関連研究推進
- ・ 生産/品質管理に関するAI・IoT等の導入
- ・ 新規モダリティ関連評価手法の開発とその公定化
- ・ 遺伝子治療 (*in vivo*、*ex vivo*) 研究への注力

# 再生医療を適切なコストで提供する



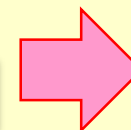
- 品質の担保
  - 安全の保証（無菌性／不純物）
  - 味の保証（・・・）
- 保存安定性の確保
- 輸送・搬送方法 条件
- 最終調理の要不要
- スケールメリット
- 在庫管理／顧客待機

## 製品コストと3つのトレードオフ

品質とのトレードオフ

完成度とのトレードオフ

開発経費とのトレードオフ



環境整備となる  
サイエンスの必要性

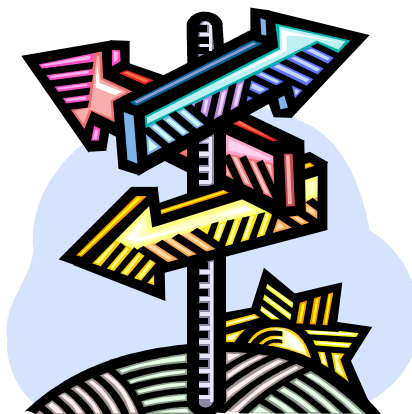
# 再生医療等製品の開発というゲームに必要な要素

協会のようなもの

?



審判  
審査官



プレーヤー  
企業



競技役員  
?



トランスレーショナル  
リサーチ



リバーstrans  
レーショナル  
リサーチ



## 小括 2

# 研究開発ターゲットの検討に当り考慮すべき点

### 1) 3つのカテゴリー

- ・ 探索的基礎研究
- ・ 応用研究（製品化研究）
- ・ 環境整備のための研究
  - ※誰がゲームのルールを決めるのか

### 2) リバーストランスレーショナルリサーチ

- ・ Bench to Bedside から Bedside to Benchへ
- ・ 臨床情報の共有
  - （リアルワールドデータの構築→Open戦略へ）
- ・ 産学連携（医療機関－企業連携の推進）
- ・ リバーストランスレーショナルリサーチに供する人材育成

- 1) FIRMおよび活動の紹介
- 2) 再生医療の多様性とその研究開発
- 3) 研究開発ターゲットの検討に当り考慮すべき点
- 4) **今後制度面でさらなる改善が必要となる事項**

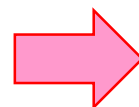


# 再生医療等製品を開発するための制度的課題

## ◇諸外国で実施するもわが国で実施しにくい内容

### Randomized Control Trial (RCT)

- 国民皆保険に起因する一般的事項
- 再生医療等に特有の事項
  - ・ 組織採取/細胞調整等のプロセス実施
  - ・ 他に治療法がない医療という意味
  - ・ 評価手法が定まっていない



○リアルワールドデータの利活用  
○レギュラトリーサイエンスの発展

**再生医療等開発のための環境整備**

## ◇諸外国とわが国で運用が異なるとされている内容

### 生物由来原料基準などの材料規格等

厚生労働省「革新的医療機器等国際標準獲得推進事業（2017-19年度）」の検討結果も踏まえ、速やかな運用改善が必要。

### カルタヘナ対応

日本では治験開始前に詳細情報を要求されるため、グローバル試験に日本が参画する際の障壁となりかねない。

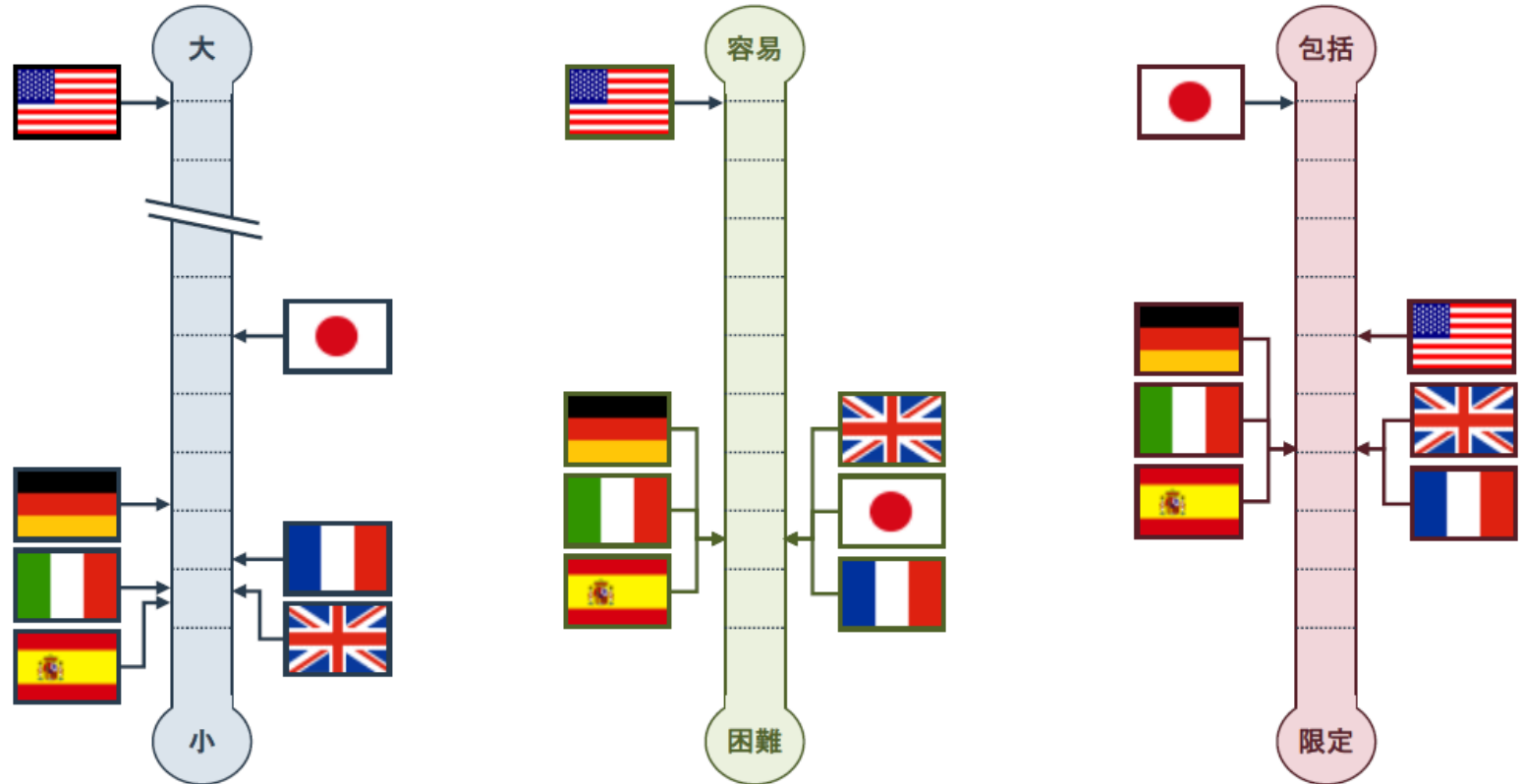
# 国外再生医療ベンチャーから見た日本

日本の再生医療法体系は他国に抜きん出ており、注目を浴びている

市場規模\*

資金調達容易性

法体系



14

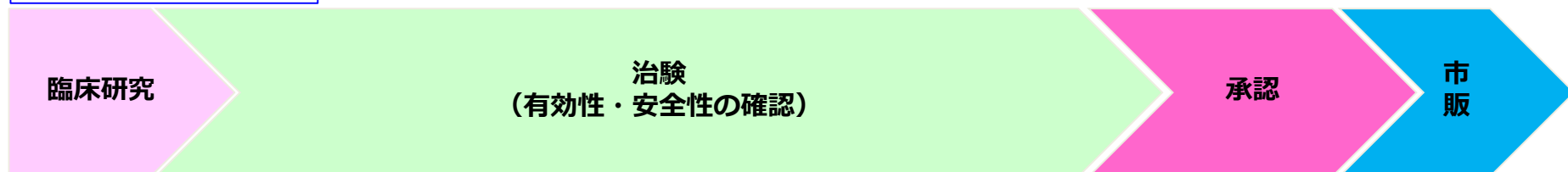
出典: Outlook for Global Medicines through 2021 (QuintilesIMS Institute)  
※: 2016年時点の米国市場は、日本のものと比較して約5倍の大きさ

# 医薬品医療機器等法と早期承認制度

## 医薬品医療機器等法

## 再生医療製品の実用化に対応した承認制度

### 従来の承認までの道筋



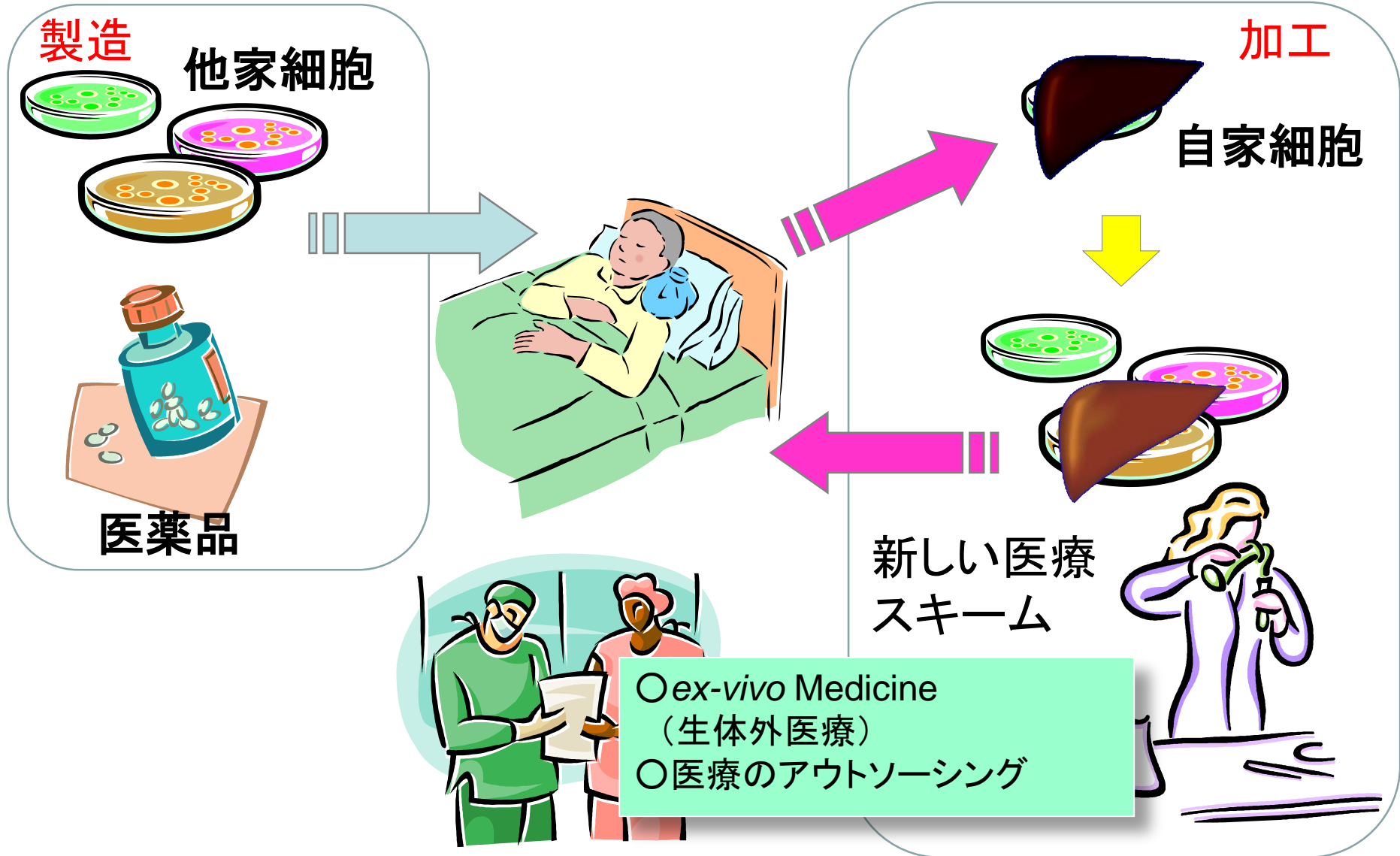
### 再生医療製品の早期の実用化に対応した承認制度等



**患者のアクセスをより早く！**

- **条件期限付き承認に対する合意形成**
  - どのような製品で活用できるのか
  - 医療行為の要素をどう考えるのか
  - 市販後の在り方の整理
- **生産の観点から**
  - 製造工程変更などの活用の仕方
- **使用成績調査の在り方について**
  - 制度の明確化（医療機関対応を含む）
    - ✓ 医療機関における役割やインセンティブなど
  - レジストリの活用
  - 協力体制の構築

# 自家細胞・他家細胞：それぞれの目指すもの



## 小括 3

# 今後制度面でさらなる改善が必要となる事項

### 1) 臨床試験・臨床研究・承認制度の在り方

- ・ RCTの是非
- ・ 各種制度の合理的見直し（実施する仕組みづくり）

### 2) 海外との協調・競争

- ・ 条件及び期限付き承認制度の運用見直しと海外への訴求
- ・ アジア諸国との連携強化

### 3) ベンチャー支援制度の充実

- ・ アカデミアシーズの実用化支援

# 再生医療実現のためのステップ

再生医療製品をつくる

再生医療等製品の数を増やす

再生医療等製品を開発した企業経験を増やす  
再生医療等製品を審査した方々を増やす

再生医療産業をつくる

再生医療等製品を手がける企業を増やす

再生医療で利益をあげた企業を増やす  
再生医療で利益をあげることができる職種を増やす

再生医療文化をつくる

再生医療を受けた患者様を増やす

再生医療を提供する医療機関を増やす  
再生医療を実施する先生方を増やす

「再生医療」の普及を通じて、

人々の健康や未来に貢献します。  
ご清聴ありがとうございました。

わたくしらは「再生医療」の産業化のために、  
互いに協力して課題解決に努め、  
人々のQOLの向上に取り組んでまいります。

Thank you for your attention.