



製薬協

第4回再生・細胞医療・
遺伝子治療開発協議会

令和3年3月15日

資料1-1

第4回 再生・細胞医療・遺伝子 治療開発協議会

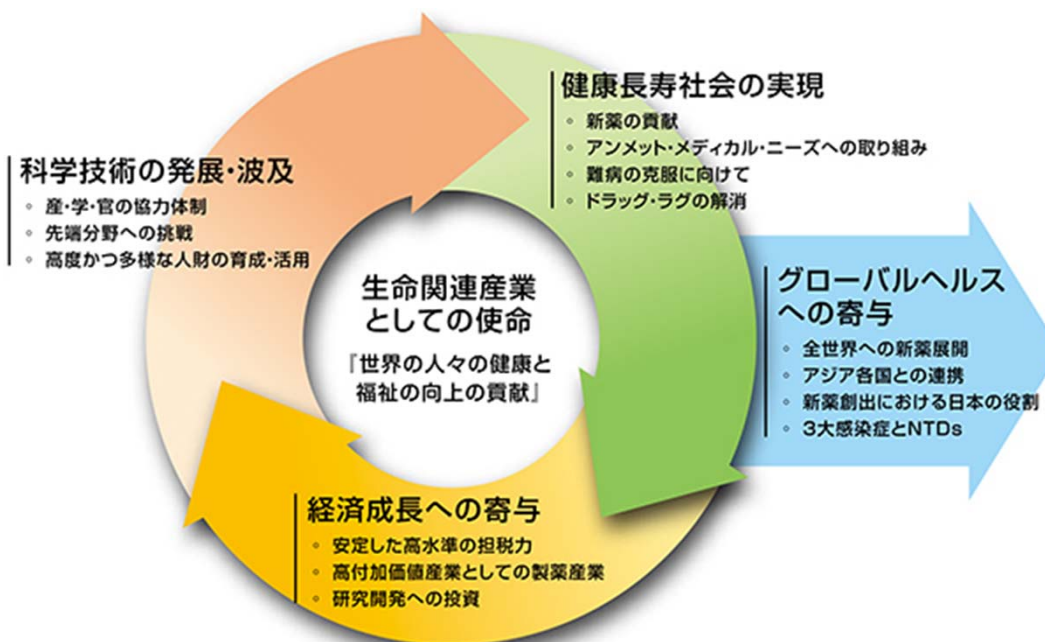
2021/3/15

日本製薬工業協会

会長 中山 讓治

- 日本製薬工業協会（製薬協）とは
- 製薬産業の構造変化
- 開発における、産学官の現状
- 製造プロセスに関わるステークホルダー
- 製造分析開発における産学官取組み
- 産業・実用化への課題
- 産業エコシステム実現に向けて

- 設立：1968年設立、会員数：73社（2021年1月31日現在）
- **研究開発志向型製薬企業**が加盟する任意団体
- 製薬産業に共通の諸問題の解決のための提言活動の強化、国際化対応、広報体制の強化を通じ、製薬産業の健全な発展に取り組んでいる



ミッション

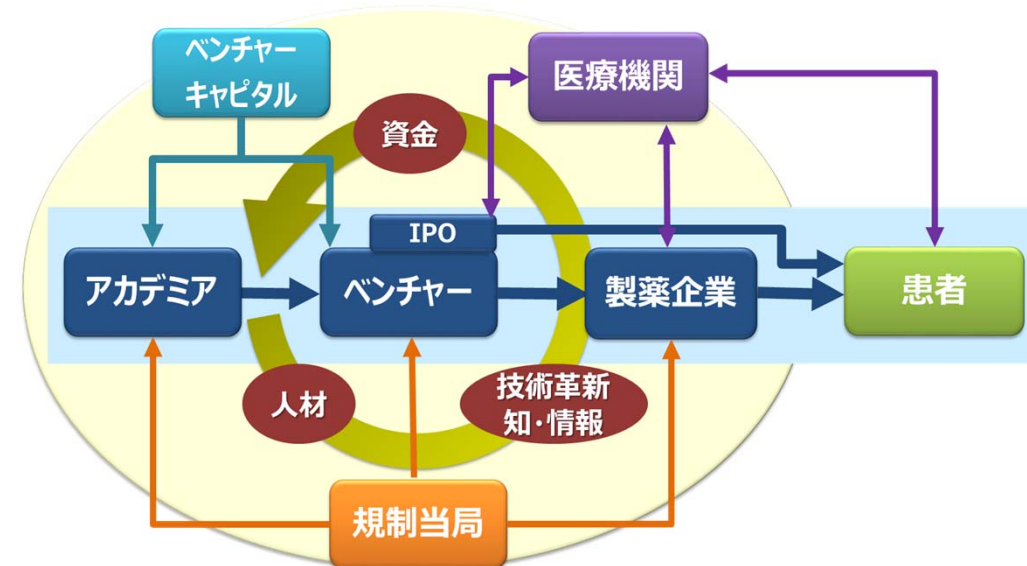
- 最先端の良い医療を提供し国民生活を支える
- 国際競争力強化による日本経済への貢献

製薬産業の構造変化

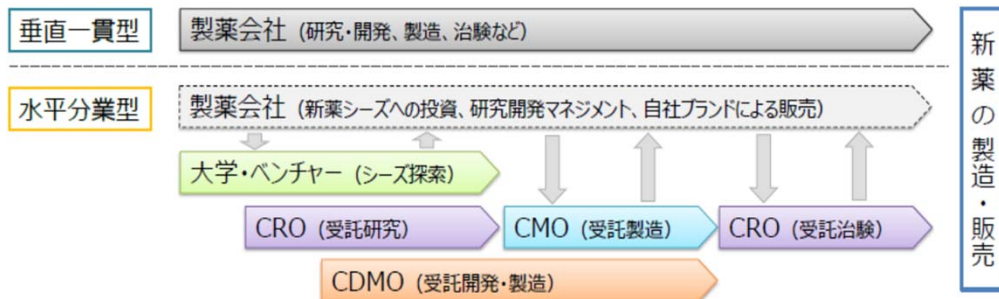
- バイオ医薬品の製造では、**膨大な初期投資が必要**となる。バイオ医薬品の製造や臨床研究には、**開発段階で必要な技術や、従来の化学合成での製造等とは異なる技術・ノウハウが必要**。
- バイオ医薬品の開発ではベンチャー企業の果たす役割は大きいですが、**資金力のないベンチャーが自費で大規模設備を保有することは難しく、外部事業者との連携が必要**。
- 医薬品の開発期間の長期化、開発成功率の低下により、開発費は年々増大、製薬会社の中には競争力の源泉となる新薬創出に資源を集中したり、開発をより加速させるため、**CMO（医薬品受託製造企業）、CDMO（医薬品受託開発製造企業）等の外部リソースを積極的に活用しようとする動きがある**。

創薬エコシステム

ヒト、カネ、技術革新・知・情報の循環



<水平分業のイメージ>

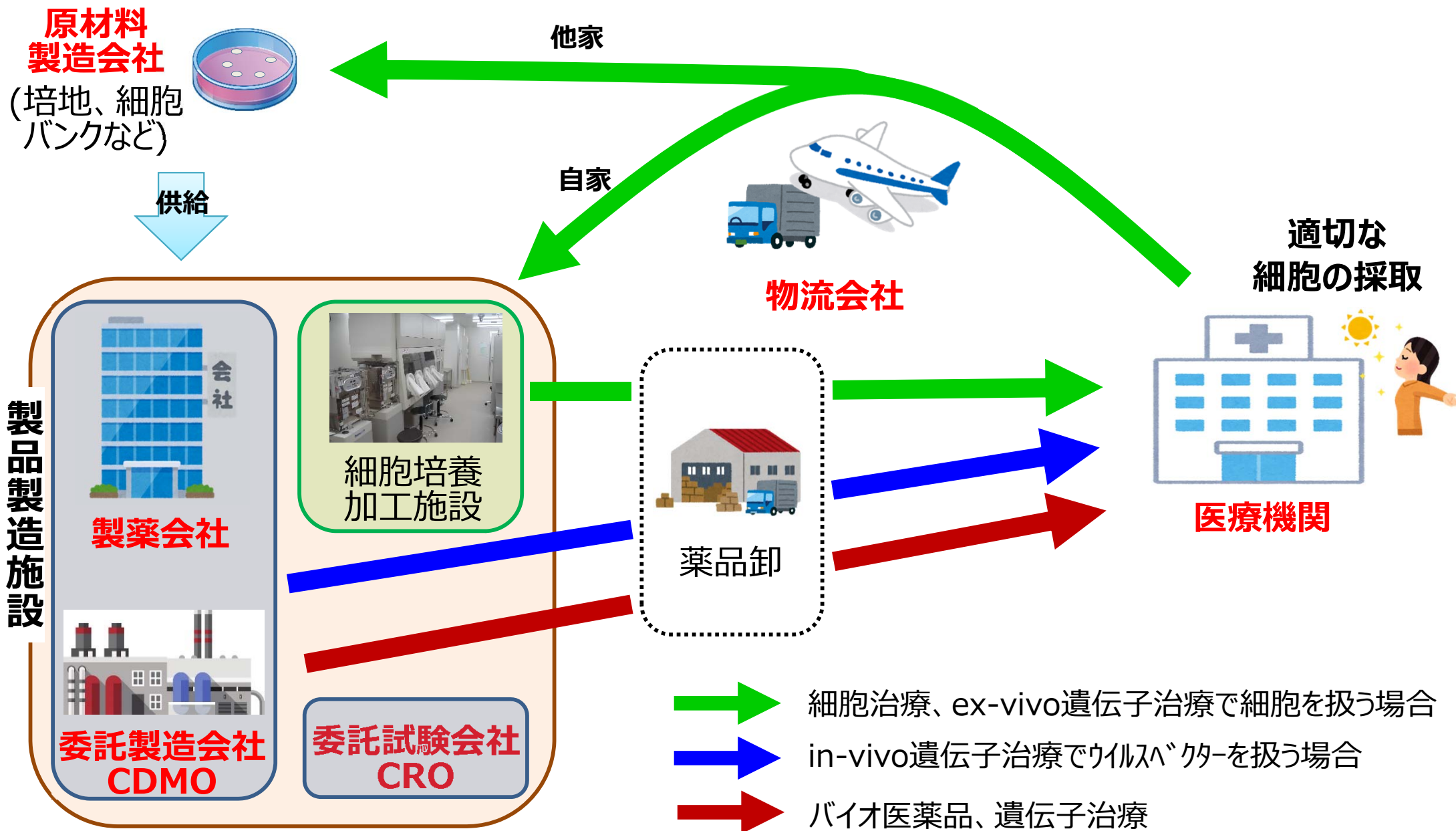


再生医療等製品の開発における、産学官の現状



- 再生医療が得意とする領域の一つとして、Precision medicine（個別化医療）領域であり、ラボスケール規模の施設にて、小規模のモノ造りで対応可能であるため、再生医療領域は、アカデミア・ベンチャー企業の参入が比較的容易である
- 一方、商用製品を高品質かつ安定的に供給するには、製造経験を繰り返しながら、頑健性ある製造プロセス開発が必須であることから、アカデミア・ベンチャー企業単独で実施するのは容易ではなく、製薬企業の参画が必要で、望ましくは臨床研究の時期から参入することが望まれる
- さらに、規制当局も新しいモダリティーに関する審査経験が多くはなく、製品毎の特性を理解しながらの評価となるため、迅速且つ効率的に審査・調査するには一定の実務経験が求められる

再生・遺伝子・細胞治療の製造プロセスに関わるステークホルダー



■ 遺伝子・細胞治療開発製造の人材育成

バイオ医薬品産業強化総合戦略の一つでもある2017年に設立されたBCRET（一社バイオロジクス研究・トレーニングセンター）では、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）より採択した2018年度開始の研究課題名「次世代バイオ医薬品の高度な生産技術に関する人材育成に資する教育プログラムの作成」において、遺伝子治療用ウイルスの開発・製造に関する人材育成用の教材開発を行い、研修を開始した。

■ 遺伝子・細胞治療製造技術の構築

次世代バイオ医薬品製造技術研究組合（MAB）では、AMEDより採択した2018年度開始の「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業（遺伝子治療製造技術開発）」における研究開発課題「遺伝子・細胞治療用ベクター新規大量製造技術開発」に際し、遺伝子・細胞治療用ベクター等の大量製造に対応するため、国内の関連技術を保有する産官学が結集し、治験等の実施に向けての規制への対応まで想定した要素技術の開発及び製造技術プラットフォームの構築への取り組みを実施している。

出典：次世代バイオ医薬品製造技術研究組合 抗体に関する研究開発事業 HP <http://cho-mab.or.jp/business/>



■ 共有製造プラットフォームの構築

- ✓ 培養/精製技術（大量培養、高効率化精製、自動化など）
- ✓ プロセス検証/品質に関わる分析技術（ベクター、細胞評価法など）
- ✓ 保存・流通に関する技術

■ 商業生産を目指した開発・製造体制の強化

- ✓ 開発・製造設備の整備（CMO/CDMO、CROの強化）
- ✓ 開発製造に関わる周辺産業の強化（細胞原料、培地、容器などの資材のサプライヤー）
- ✓ 付随する医療機器等の同時開発・承認取得

■ デリバリーの構築・整備

- ✓ 原材料調達から製造、輸送、治療までのトレーサビリティ
- ✓ 原材料（細胞・組織等）の調製から中間/最終産物（細胞等）調製施設、治験薬・商用製造、投与までのスキーム・ネットワーク構築

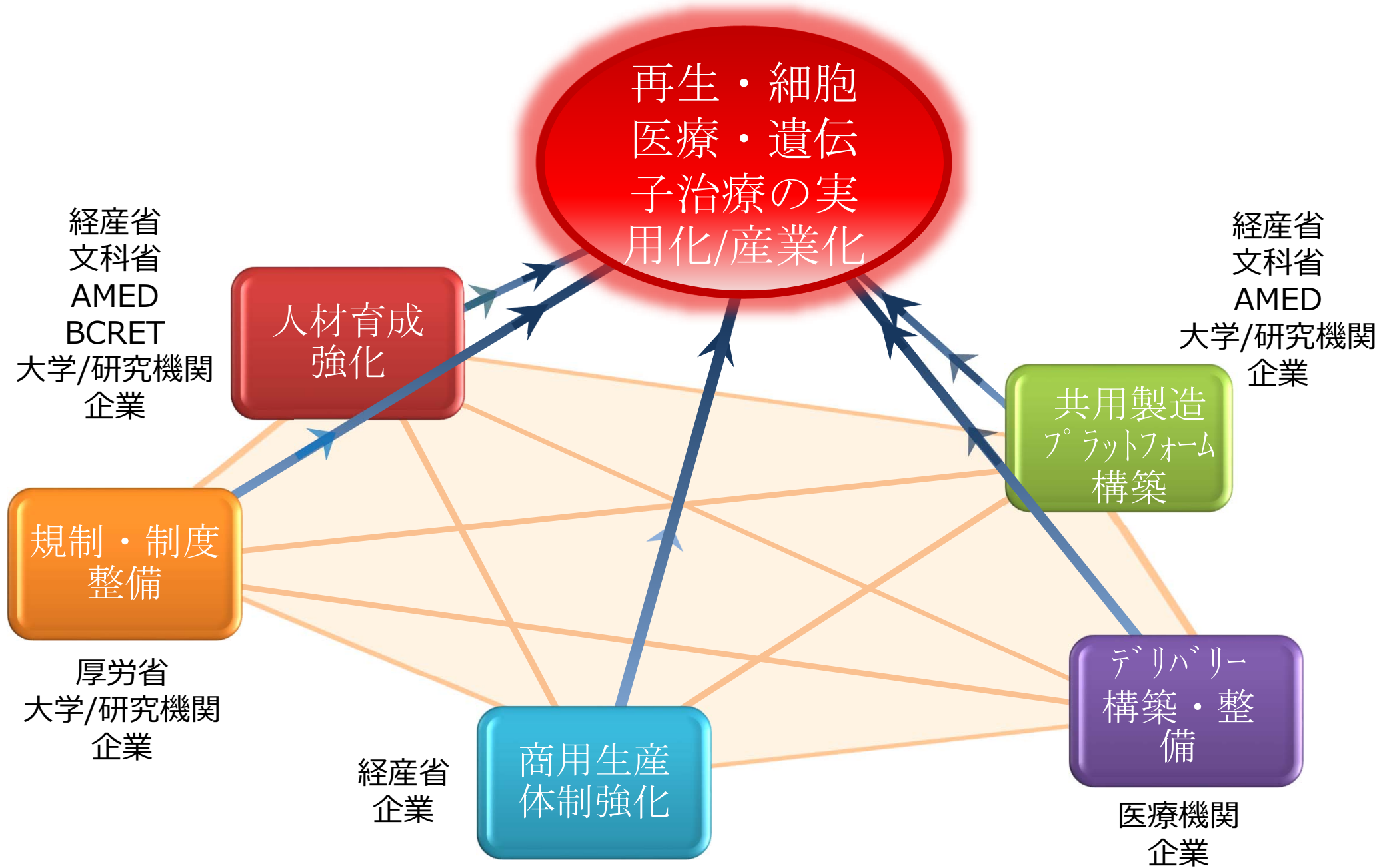
■ 規制・制度の整備

- ✓ カルタヘナ法対応の規制整備
- ✓ 再生医療等製品の開発等に関わる規制整備と国際ハーモナイゼーション
- ✓ 再生医療等製品の価格制度、保険償還の取扱い検討

■ 人材育成の強化

- ✓ 製薬企業、CDMO、CRO、規制当局：培養・精製プロセス開発/製造、CMC薬事、品質管理/保証、GMP/GCTP
- ✓ 医療機関：原材料（細胞・組織等）の採取及び品質管理/保証、GMP/GCTP
- ✓ 高専、大学など：次世代のバイオ人材育成

再生・細胞医療・遺伝子治療の産業エコシステム実現に向けて



■ アカデミア、ベンチャー、ファンド、行政、医療機関等を含む

広範なエコシステムの構築により、医薬・医療イノベーションを創出

- ✓ 様々なステークホルダーの有機的な連携による基礎研究と実用化・産業化研究開発の推進
- ✓ アカデミアとの連携、企業間連携の強化、医療系ベンチャーの創出・育成
- ✓ 製造プロセス開発、製造基盤や製造施設の整備、人材育成、レギュトリーサイエンスの発展

■ 日本国内に限定しない世界とつながるエコシステムの構築

強化が必要なポイント：人材、投資、技術革新・知・情報の循環

■ 医薬品研究開発環境

バイオ医薬品が世界の医薬品売上の1/3を占めるようになってきているが、特に抗体医薬では国内製薬企業の多くは完全に出遅れた。研究開発競争の遅れを埋めるためには、改変抗体、細胞、核酸、遺伝子、中分子等の新しいモダリティに対して、基礎・応用研究、知財環境の整備と併せて、早期実用化を実現するためにも、製造プロセス開発、製造基盤や製造施設の整備、人材育成、レギュトリーサイエンスの発展、ベンチャー活性化など、創薬エコシステムを強化して産学官連携事業として推進していく必要がある。

■ コスト構造の最適化：

自身の収益性改善とより低コストでの医薬品・ソリューション提供を目指し、各企業がコスト構造の最適化を図ることも重要である。

国・政府・規制当局

患者さんのために

医療分野の研究成果
を革新的医薬品に変え、
医療の質と世界中の患
者さんの生活の向上に
貢献する

アカデミア

産業

あらゆるステークホルダーの連携のもと
再生・細胞医療・遺伝子治療の産業エコシステムを実現し、

- 最先端の良い医療を提供し国民生活を支える
- 国際競争力強化によって日本経済への貢献する

2020年9月
内閣府
資料より

バイオ戦略2020

グローバルバイオコミュニティ・地域バイオコミュニティの2030年理想像

