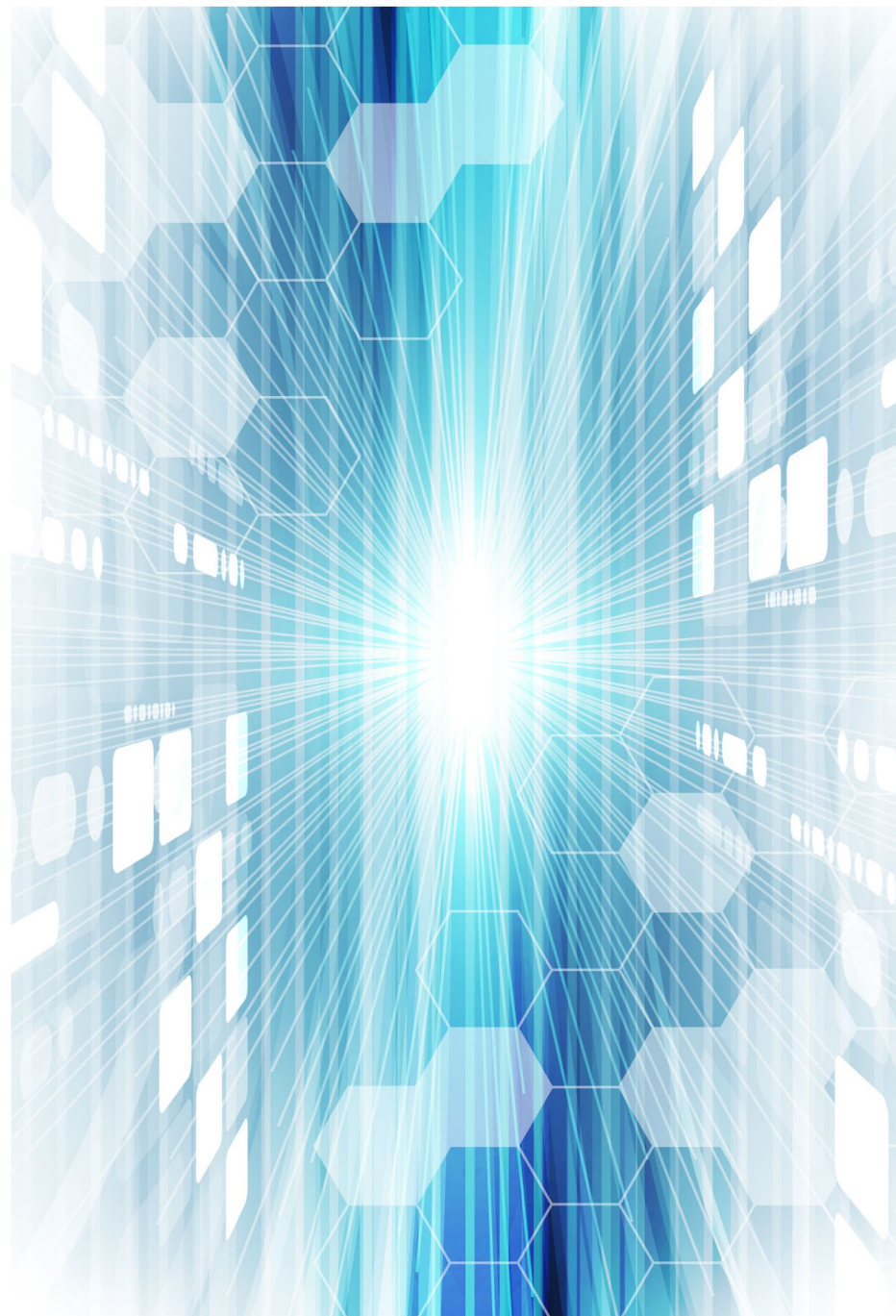


2018年10月12日

再生医療の実現に向けた 課題と提言



バリューチェーンごとの法規制、人材・システム・インフラ、推進・体制・財源

プレイヤー例

研究開発

細胞保存
採取・バンク

細胞加工
培養・組織形成・品質管理

細胞輸送
搬送

治療(治験を含む)
(自植・他家移植)

製造販売承認
/保険収載

製造販売後
調査

医薬品医療機器等法:再生医療等製品の特性に応じた早期、条件および期限付き承認制度、再生医療等製品の製造所の基準、製造販売承認、市販後の安全対策等

法規制
(指針)

先端医療開発特区:研究資金の特例や規制関連でのMHLW等との並行協議等を試行的に運用し、開発の促進を図る(行政区域単位ではなく、テーマごとに特区を指定)

再生医療等安全性確保法:

再生医療等の安全性確保を図るため、自由診療、臨床研究における補償義務、再生医療等の提供機関及び細胞培養加工施設基準や、細胞培養加工の外部企業(特定細胞加工物製造業者)への委託可否等を規定

「再生医療等治療賠償補償制度」:

日本再生医療学会は臨床研究、自由診療の「再生医療等治療賠償補償制度」を創設。三井住友海上を幹事社とする共同保険方式で運営

日本再生医療学会

三井住友海上火災保険等

国家戦略特区:
税制優遇、保険外併用療養に係る対象医療機関の早期拡大等

東京・大阪に加え、他地域にも貯蔵目的のバンクが存在

京都府(CiRA)
再生医療用iPS細胞ストックプロジェクトでは医療用iPS細胞作製を目的に種々のHLA型細胞を貯蔵

JCRB細胞バンク
セルテクノロジー
ファーマバイオ

東京都・神奈川県

「京浜臨海部ライフイノベーション:国家戦略総合特区」

ライフイノベーションセンター(LIC):再生・細胞医療の産業拠点

かながわ再生・細胞医療産業化ネットワーク(RINK):再生・細胞医療の実用化・産業化を促進するための情報収集・マッチングの場の提供、経営支援、研究開発支援(74社(2018年2月末時点))

LIC内に
新拠点
効パイオ
ファーマバイオ
VICXセラピューティクス
セルバンク
メディネット
日立化成
新横浜に
一部集約
三菱倉庫
セルラ・ダイナミクス・
インターナショナル
LIC内に
拠点設置

テルモ

京浜国家戦略特区に立地
(ハートシートが承認取得)

大阪府(京都・兵庫との連携を含む)

「関西イノベーション:国家戦略総合特区」

「中之島4丁目再生医療国際拠点」:再生医療関連製品のサービスの実用化

「京都府iPS細胞規制改革特別措置特区」:iPS細胞から製造する試験用細胞等への血液使用

大日本住友製薬
資生堂
ロート製薬
メディネット
三井倉庫

京都大学iPS細胞研究所からの依頼を受け、製品開発

JCRファーマ

関西国家戦略特区に立地
(テムセルHSが承認取得)

愛知県

「あいち医療イノベーション推進特区」

ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング(JTE)

JTE

あいち医療特区に立地
(ジェイスが承認取得)

人材・
システム
・インフラ

(医療機関と接点を持つ)
全国の研究機関・
大学で推進

推進・
体制・
財源

AMED 再生医療実用化研究事業等

多くの場合は企業主導での投資(公的な支援は土地の優遇等)

AMED 再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業等

多くの場合企業主導での実施

AMED 再生医療臨床研究促進基盤整備事業のもと、再生医療等データ登録システム(NRMD)を構築(臨床研究から製品市販後調査までの一連のデータ集約)

再生医療実用化に向けた主なギャップ

プレイヤー例

研究開発

細胞保存
(採取・ banking)

細胞加工
(培養・組織形成・品質管理)

細胞輸送
(搬送)

治療(治験を含む)
(自植・他家移植)

製造販売承認
/保険収載

製造販売後
調査

法規制
(指針)

1 再生医療に関わるすべてのプレイヤーにおいて、**実用化・産業化に向けたビジョンとロードマップが共有されていない** (いつ、どの規模の産業を創出するためにバリューチェーンをどう構築すべきかの明確な方向性の欠如)

2 再生医療臨床適用の前提となる**製品の安全性、有効性、再現性に関するルールやコンセンサスが存在せず**、海外に先駆け再生医療製品を展開する(および再生医療製品の「標準定義」を行う)ことが困難に

運用し、開発の促進を図る(行政区域単位ではなく、テーマごとに特区を指定)

機関及び細胞培養加工施設基準や、細胞培養加工の外部企業(特定細胞加工物製造業者)への委託可否等を規定

補償制度」を創設。幹事社とする共同保険

7 **高額な再生医療に対応するための公的・私的な保険制度が不十分であり、重篤性の高い疾患以外への再生医療へのアクセスを阻害する**

日本再生医療学会
三井住友海上火災

人材・
システム
・インフラ

3 アカデミアと実業界、投資家とのコネクションが弱く、**アカデミアで生まれるシーズをスケールするためのインフラが未整備**。結果、有望なシーズが海外に流出するリスクがある

4 **iPS細胞以外にも幅広くカバーするかつ実用化に向け適切に分類されたセルバンクが不足**しており(ES細胞、前駆細胞レベルでの分類等)、グローバルのトレンドに乗った短期的な臨床適用とデータの蓄積が進まない

5 **臨床品質の細胞をタイムリーかつ柔軟に提供できる大規模細胞製造施設が存在せず**、細胞製造におけるスケールメリットの獲得が進まない(=結果としてグローバル競争に耐え得る価格設定ができない)

6 治験から市販後までカバーするデータベースが確立していない。治験においては対照群の確保が難しい再生医療領域において、効率的に試験とその結果の評価を進めるための**コホートデータ等の集積・評価の仕組みが存在せず**、開発の遅れとコスト増につながる。特に市販後においては、Real World Evidence / Dataを利用した効果安全性の検証を行うための評価指標・手法とデータの蓄積が進んでいない

推進・
体制・
財源

8 **官民が連携・協力して、再生医療の研究から事業化開発及び投資などを行うためのスキームが存在せず**、各支援方策が分散かつ個別最適化しがち

多くの場合は企業主導での投資(公的な支援は土地の優遇等)

AMED 再生医療の産業化に向けた創薬基盤整備事業等

多くの場合企業主導での実施

再生細胞医療の社会実装の実現に向けた提言(1/8)

- 1** 再生医療に関わるすべてのプレーヤーにおいて、実用化・産業化へ向けたビジョンとロードマップが共有されていない
(いつ、どの規模の産業を創出するためにバリューチェーンをどう構築すべきかの明確な方向性の欠如)

海外の取り組み

- UKにおけるHouse of Commons, Science and Technology Committeeの提言「**Regenerative medicine Fifteenth Report of Session 2016–17**」
- USにおけるNational Cell Manufacturing Consortiumの提言 "Achieving Large-Scale, Cost-Effective, Reproducible Manufacturing of High-Quality Cells A Technology Roadmap to 2025"

提言①

再生医療に関わるすべてのプレーヤーが問題意識を共有し、共同で再生医療の産業化プロセスを設計していく。その際に、再生医療の生きた細胞を扱う特性を考慮して、生産⇒治療⇒治療後フォローのプロセスをワンストップに供給できるエコシステムを構築する。

- 本Mapの作成、利用を通じて問題意識を共有する
- 地域拠点連携において上記をコーディネートして地域推進体の形成を目指す
- インキュベーションプログラムの展開とVCの参画を通じて、スケールアップと商用化のスピードを加速
- 最終的には国としての再生医療ロードマップの再定義に繋げるべく、関連省庁(厚労省、経産省、文科省)を巻き込んだ議論と関連法規・ルールの整備に繋げる

再生細胞医療の社会実装の実現に向けた提言(2/8)

- 2 再生医療臨床適用の前提となる製品の安全性、有効性、再現性に関するルールやコンセンサスが存在せず、海外に先駆け再生医療製品を展開する(および再生医療製品の「標準定義」を行う)ことが困難に

海外の取り組み

- ・(イギリス) Catapultでは、サイエンスの確立は待たずに安全性の基準を関係者間のコンセンサスとして決定
- ・(アメリカ) 安全性・有効性・再現性の基準が関係者のコンセンサスとして形成されておらず、実用化に向けた取組の足かせになっている

提言②

「生モノ」である再生医療について、研究～実用化までの関連プレイヤー(アカデミア、産業界、行政)を包括的に巻き込んだ再生医療の「ものづくり」のルールやコンセンサスの形成

- －従来の「モノ」である薬剤とは異なる「生モノ」の特徴を考慮し、疾患ごとに安全性、有効性、再現性の柔軟な設定・再定義を行う体制の構築
- －再生医療品のデータを蓄積した後に、ICHへの適合性を評価して提言
- －細胞輸送において、出荷側・時と納入側・時の両者において品質を担保するルールやコンセンサスの形成
- －国が中心となり関連プレイヤーへ働きかけ、ルールやコンセンサスを形成

再生細胞医療の社会実装の実現に向けた提言(3/8)

- 3** アカデミアと実業界、投資家とのコネクションが弱く、アカデミアで生まれるシーズをスケールするためのインフラが未整備。結果、有望なシーズが海外に流出するリスクあり

海外の取り組み

- ・(イギリス)BBSRC, EPSRC, MRCの3つ組織が協働してUK Regenerative Medicine Platformを形成。当Platform内で個々のプレイヤーが持つ知見やノウハウを集積・共有することで、再生医療のシーズが探索フェーズから臨床及び商業応用までシームレスに移行できるよう支援
- ・(カナダ)The Centre for Drug Research and Development (CDRD) は50を超える大学や研究機関と連携し、KOLの意見等を基に(再生医療を含む)シーズを積極的に発掘・見極め、有望なシーズについてはその商用化まで支援

提言③

大学等の研究成果の事業化促進のため、研究・事業化計画立案、ライフサイエンスパーク同士での連携を通じたインキュベーション、アクセラレーションプログラムのネットワーク化(「日本版BioHub」)

- －大学における研究の事業化計画に、出口を見据え、再生医療に関わるすべてのプレイヤー(規制、産業界など)の視点をいれて、最良のFast-in-Marketを立案する場作り
(外部目線での研究計画レビュー、ビジネスコンテスト等のイベントを通常の研究開発プロセスに統合)
- －官公庁、地方行政のみならず、ライフサイエンスパークが主催するピッチコンテスト等との連携
- －海外の有力ヘルスケアVCによるメンタリングサポートの提供
- －ヘルスパークにおける臨床・商用化観点からのアドバイス及びPoCまで対応可能なスペースの提供

再生細胞医療の社会実装の実現に向けた提言(4/8)

- 4** iPS細胞以外も幅広くカバーするかつ実用化に向け適切に分類されたセルバンクが不足しており(ES細胞、前駆細胞レベルでの分類等)、グローバルのトレンドに乗った短期的な臨床適用とデータの蓄積が進まない

海外の取り組み

- (EU)EBiSCはイギリス、ドイツ等複数拠点において臨床グレードのセルバンクと付随サービスを展開。製薬会社のリードの元、セルバンクのみならず、ゲノム編集を活用した疾患モデルの作成や分化系の提供等、細胞医療の創薬利用を促進するコンソーシアムが欧州の細胞医療商用化を強力にサポート
- (イギリス)UK Stem Cell Bankは種々のヒトES細胞の細胞株を保有し、管理
- (アメリカ)WiCellは、National Stem Cell Bank等のヒトES細胞の細胞株を保有し、昨今iPS細胞の細胞株も拡充。また、California Institute of Regenerative Medicine (CIRM)は6疾患領域(アルツハイマー病等)に渡る研究目的iPS細胞バンクを保持
- (オーストラリア)Genea BiocellsはヒトES細胞の150以上の細胞株を保有

提言④

国主導での、iPS, ES, MSC細胞を網羅する大規模かつ実業界での利用を見据えたセルバンクネットワークの設立

- 共通の品質・安全性基準に基づくセルバンクを国内の複数拠点に設立
- セルバンク内の細胞は分化の方向性や用途別に分類
- 周辺臨床施設へのスムーズな細胞供給を実現するための物流・保管インフラの確立
- 疾患モデルの作成等、関連サービスの提供による細胞医療の創薬利用と商用化の促進

再生細胞医療の社会実装の実現に向けた提言(5/8)

- 5** 臨床品質の細胞をタイムリーかつ柔軟に提供できる大規模細胞製造施設が存在せず、細胞製造におけるスケールメリットの獲得が進まない(＝結果としてグローバル競争に耐え得る価格設定ができない)

海外の取り組み

- (イギリス) Catapultは、多くの製品に対応可能な細胞製造設備をロンドン、ケンブリッジ、オックスフォードの各都市の中心地に設置
- (カナダ) CCRMでは、Centre for Cell and Vector Production (CCVP)というGMP施設を公的な支援も受けながら建設(2018年10月より稼働予定)。先進的な医療施設や研究施設とも近接しており、様々な細胞製品の開発初期の製造を担う
- (オーストラリア) CTM CRCでは、様々な細胞種について試験的な製造(Pilot Manufacturing)を行っている
- (アメリカ) CMaTではMSC、T細胞、iPS細胞の細胞製品の安定的製造・供給を目指すロードマップを作成

提言⑤

iPS, ES, MSC細胞を製造かつ近隣の施設へと配送可能な大規模細胞製造施設の設立

- － 半官半民の「日本版カタパルト」スキームを活用した将来の産業立ち上がりに向けた初期投資
- － 入居するテナントのニーズに応じて設備内装をカスタマイズ可能なセル・モジュール、プレファブ型の設備
- － 各ヘルスパークの研究施設の活用を検討

再生細胞医療の社会実装の実現に向けた提言(6/8)

- 6** 治験から市販後までカバーするデータベースが確立していない。治験においては対照群の確保が難しい再生医療領域において、効率的に試験とその結果の評価を進めるための**コホートデータ等の集積・評価の仕組みが存在せず**、開発の遅れとコスト増につながる。特に市販後においては、Real World Evidence / Data を利用した効果安全性の検証を行うための評価指標・手法とデータの蓄積が進んでいない

海外の取り組み

- ・コホートデータの統合・解析はアカデミアにて部分的に行われているが、疾患種や対象エンドポイントが限定的に見えている
 - －例:ステージ4のメラノーマや進行膵癌の患者に対して、全生存期間(overall survival)や無増悪生存期間(progression-free survival)のデータを収集し解析

提言⑥

医療データ(健診、電カル、その他出生時～の個人データ)、ライフログ、ゲノムデータを包括した大規模コホートデータ集約化

- －ウェブサービスやウェアラブル等から収集可能なデータも統合した「インターネットコホート」概念の確立
- －これらデータを活用した(再生医療以外の領域での)リモート、バーチャル治験等のPoC推進(特区を活用した患者データの利用促進を含む)
- －リアルワールドデータを利用した市販後における効果安全性の検証体制の確立
- －再生医療に特化した医療経済観点からのアウトカム及び費用対効果の測定指標・手法のアップデート(通常使われるQALY指標等を代替・補完するアプローチの策定)

再生細胞医療の社会実装の実現に向けた提言(7/8)

- 7 高額な再生医療に対応するための公的・私的な保険制度が不十分であり、重篤性の高い疾患以外への再生医療へのアクセスを阻害する

海外の取り組み

- 特別な薬価償還が適用されている事例は見当たらないが、今後、高額医療をカバーするRisk-sharing agreements等の仕組み導入が検討されている

提言⑦

再生医療特化型ヘルスパークにおける再生医療プレイヤー、保険会社、政府関係機関による共同事業を通じた「2階建て」「3階建て」の保険スキームの確立

- － 再生医療の費用対効果算定に必要なエンドポイント、データの定義と収集
- － 特定の患者コホートに対するパイロットの実施と効果測定

再生細胞医療の社会実装の実現に向けた提言(8/8)

- 8** 官民が連携・協力して、再生医療の研究から事業化開発及び投資などをシームレスに行うためのスキームが存在せず、各支援方策が分散かつ個別最適化しがち

海外の取り組み

(イギリス) Catapultは官民双方からの協調投資により施設を運営し実用化を支援。更に、UK preclinical research databaseを構築・管理し、細胞・遺伝子関連の前臨床段階パイプラインの全体像を可視化。この可視化した情報を公開することで、民間の投資家も含めて研究の多様性(研究対象の細胞種等)を担保するような行動を啓発している

提言⑧

公民融合型のイノベーション実現体制とシームレスな資金提供

- － 公的機関のコーディネート機能を基盤として、民間の多様かつ専門的な活動を活かした地域でのイノベーション実現体制の構築・運営
- － 公的研究から途切れることなく、シームレスな資金提供を可能とするため、複数の資金源を組合せた再生医療「官民ファンド」の設立
- － バリューチェーン上の重要拠点(セルバンク、製造等)での「日本版カタパルト」を活用した半官半民の事業投資と運営

協力



A.T. カーニー



神奈川県

神奈川県



湘南ヘルスイノベーションパーク

【免責事項】

本資料に含まれる情報は2018年10月12日現在のものであり、将来における完全性、網羅性、信頼性および正確性を保証するものではありません。
また、今後、各方面からの意見聴取・議論・検討などを踏まえ、必要に応じて随時修正を行っていきます。