

# 再生・細胞医療・遺伝子治療の産業化に向けた 経産省の取組について

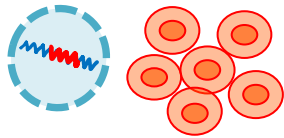
令和6年1月17日

経済産業省 商務・サービスグループ  
生物化学産業課 課長補佐

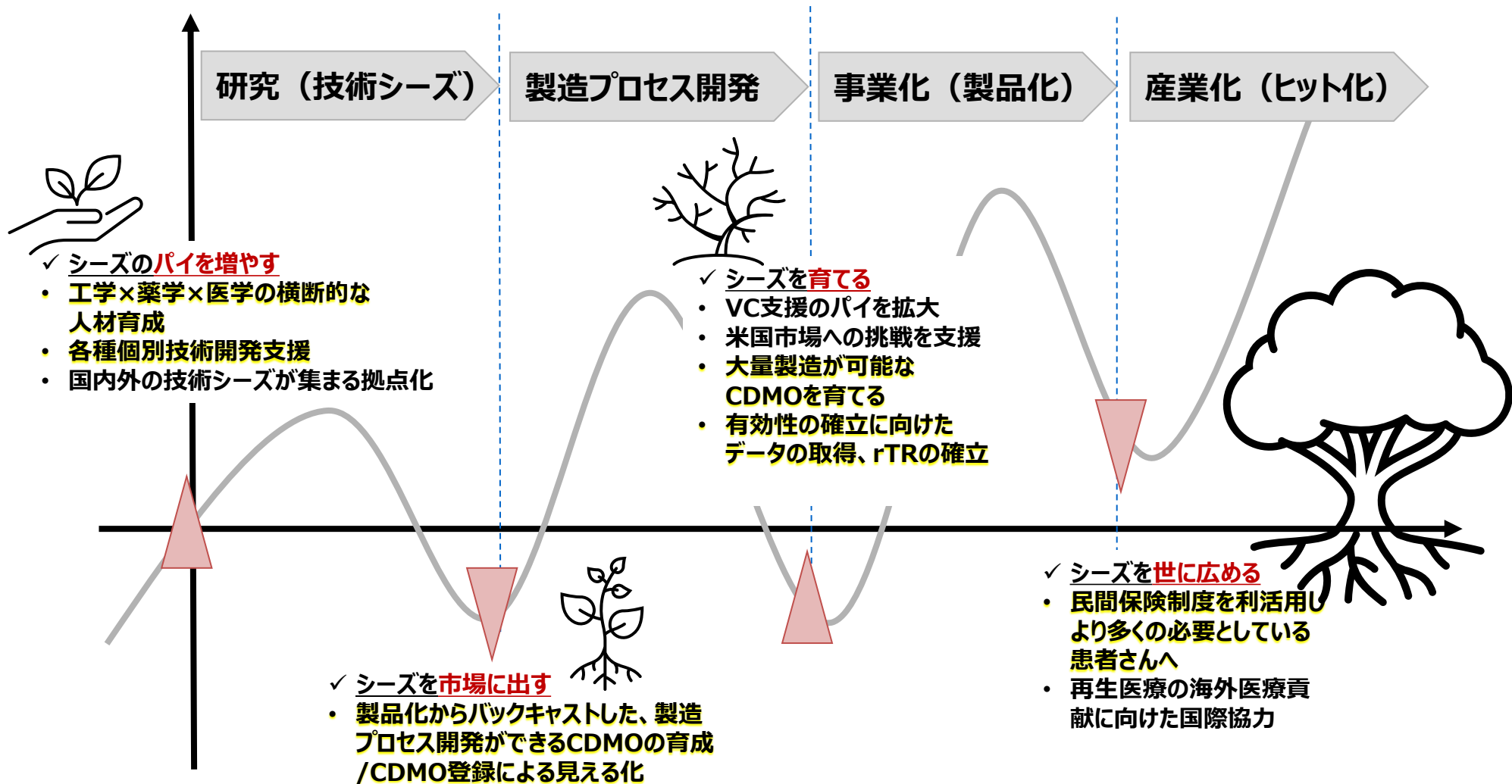
幸寺玲奈

# 幸寺玲奈 (Reina Koderu)

- ✓ 令和2年：  
入省、資源エネルギー庁 省エネルギー・新エネルギー部 政策課
- ✓ 令和3年～4年：  
資源エネルギー庁 省エネルギー・新エネルギー部  
新エネルギー課 風力政策室 係長（総括・企画調整）  
【主に人材育成政策、国際協力分野を担当】
- ✓ 令和5年～：  
商務・サービスグループ 生物化学産業課 課長補佐（再生医療・遺伝子治療担当）  
【再生医療、遺伝子治療政策を担当】



# 再生・細胞治療等の創薬産業化に向けた道筋



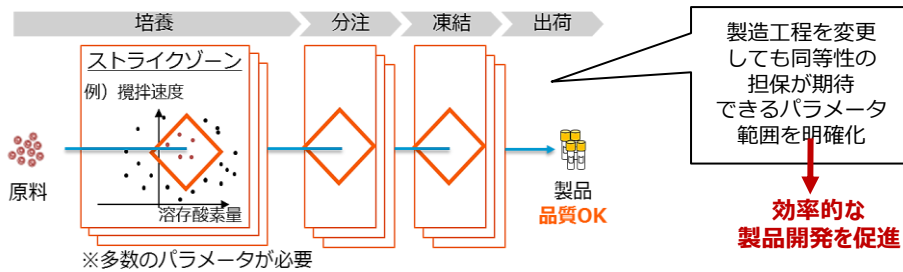
# 再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤整備事業 【令和5年度当初予算案額：38億円】

- 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

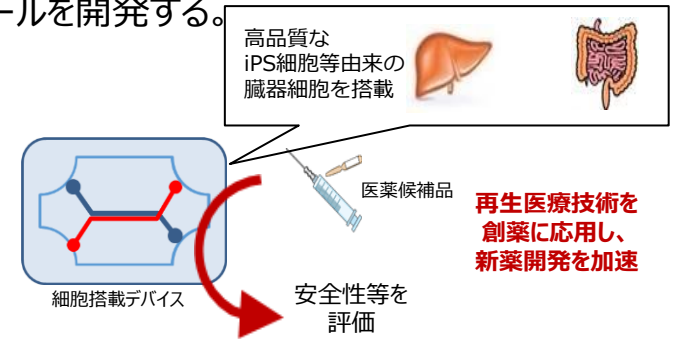
ヒト細胞加工製品を効率的かつ安定的に製造できるような技術基盤を確立。具体的には、製造工程における重要なパラメーター（CPP）と品質特性（CQA）を特定し、工程のモニタリングにより品質管理する手法を開発。

【例】CPP：培養温度、攪拌速度、培地交換頻度 CQA：DNA発現、酵素・溶存酸素量



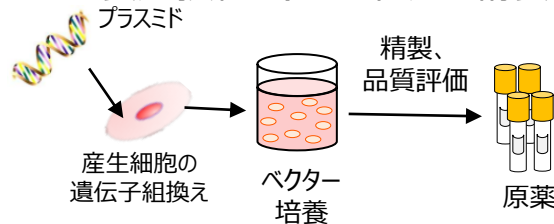
## ② 高度創薬支援ツール基盤技術開発

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て、薬物代謝や安全性を評価し、動物実験や臨床試験の一部を代替できる創薬支援ツールを開発する。



## ③ 遺伝子治療開発加速化

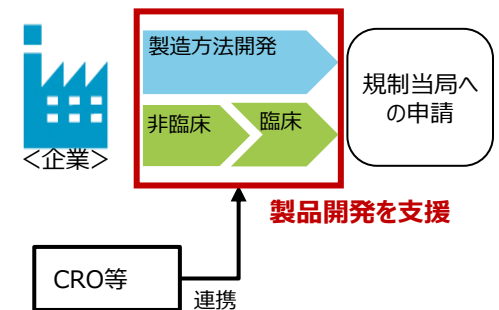
遺伝子治療で用いられるウイルスベクターにつき、製造費用が非常に高いため遺伝子治療薬の価格が数千万～数億円と高額化しているほか、品質にも懸念があり、薬害事象も発生している高品質で安全性が高く安価な国産ウイルスベクターの製造技術（産生細胞、精製法、品質評価法等）を確立する。



製造プロセスの高度化

## ④ 産業化促進研究開発

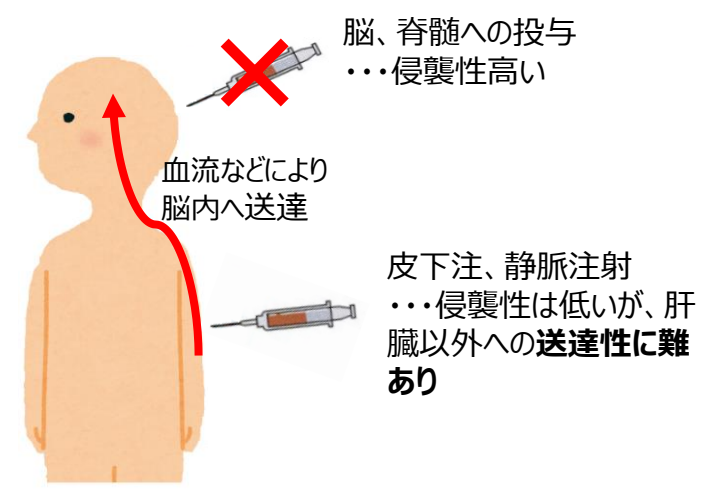
有望な再生医療等製品シーズの製法・評価法開発を支援し、薬事承認及び産業化を加速する。



# 次世代送達技術開発 (R6-R11)

- 核酸医薬は薬剤を効率的に送達する技術が未成熟であり、**薬剤送達技術 (DDS: Drug Delivery System) として確立している組織は肝臓に限られている**ため、他の組織に関する疾患の治療薬開発は効率的に行われていない。特に**中枢系の臨床試験は軒並み失敗**している。
- 核酸医薬の市場規模は今後成長していくことが予測されているが、この市場を取れるかどうかは**肝臓以外のDDSの開発が鍵**となっている。
- 本事業では、DDSに課題のある核酸医薬等の新規モダリティの医薬品を実用化できる環境を構築することを目指し、**国内の有望なDDSシーズの磨上げから有効成分・DDS製剤複合体のGMP準拠での製造技術開発を一気通貫で実施**し、社会実装レベルまで磨き上げる。

薬剤名	対象疾患	標的部位	臨床開発段階
ヌシネルセン (スピナラザ)	脊髄性筋萎縮症	脊髄	承認
Tominersen (RG6042)	ハンチントン病	脳	第3相
Tofersen	筋萎縮性側索硬化症	脳・脊髄	第3相
ION363 (Jacifusen)	家族性筋萎縮性側索硬化症	脳・脊髄	第3相
WVE-120101	ハンチントン舞蹈病	脳	第1b/2a相
WVE-120102	ハンチントン舞蹈病	脳	第1b/2a相
IONIS-MAPT <sub>Rx</sub> (BIII080)	アルツハイマー病 前頭側頭型認知症	脳	第2相
IONIS-C9 <sub>Rx</sub> (BIII078)	家族性筋萎縮性側索硬化症	脳・脊髄	第2相
ION859	パーキンソン病	脳	第2相
ION464	多系統萎縮症・パーキンソン病	脳	第2相
ION541	筋萎縮性側索硬化症	脳・脊髄	第2相
ION373	アレクサンダー病	脳	第2相
RG6091	アンジェルマン症候群	脳	第1相



薬剤送達技術を保有しない医薬品の臨床試験は軒並み失敗している (⇒標的部位 (脳など) への薬剤送達技術が確立していないため)

脳や脾臓など肝臓以外の臓器へ薬剤を送達する技術の確立が社会的課題である

# 人材育成に関する取組

- 経産省でも、デュアルユース補助金やバイオものづくり補助金等、**様々な支援を行い、生産体制の拡充に取り組んでおり、今後更なる雇用の拡大が見込まれる**ところ。一方で、新しい技術分野における細胞・遺伝子治療分野では生産（製造・品質評価、CMC開発・薬事等）を担う人材が圧倒的に不足している現状。
- そこで、**一般社団法人バイオリジクス研究・トレーニングセンターが研修を行うための人材拠点設立を東京に整備。再生医療関連技術（CMCの考え方、細胞培養等）について、実際に装置や機器を扱いながら、現場で生産を担っている人材から数日～数週間でノウハウを学ぶことのできる研修プログラムを提供**している。加えて、AMED経産省事業「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）」にて、**今後拡大が見込まれる遺伝子治療分野においても、ベクター製造技術等を学ぶことができる装置や機器等を当該拠点に整備し、カリキュラムを設計**しているところ。今後、こうした既存の取組だけでなく、不足している人材について、**高専や大学等の教育機関及び民間企業と連携した人材育成や、低分子医薬品製造からのリスクリングを含めて検討**を行っていく必要。

## 一般社団法人バイオリジクス研究・トレーニングセンター (Biologics Center for Research and Training: BCRET)



- 協力機関：神戸市、AMED、PMDA、神戸大学、製薬協、MAB組合
- 事業内容
  - (1) 産学官連携による開発、製造、分析を担う人材の育成
  - (2) バイオリジクス分野に関する先端的な研究・調査
  - (3) シーズ開発の支援・産業界への橋渡し
- 年間に座学で約300名、実習で約50名の参加者(2019年度)

- 正会員（18社）：旭化成ファーマ、アステラス製薬、イーザイ、AGC、大塚製薬、小野薬品工業、癸巳化成、キッセイ薬品工業、協和キリン、サノフィ、塩野義製薬、住友ファーマ、第一三共、タカラバイオ、田辺三菱製薬、中外製薬、日本化薬、バルティスファーマ（2022年）

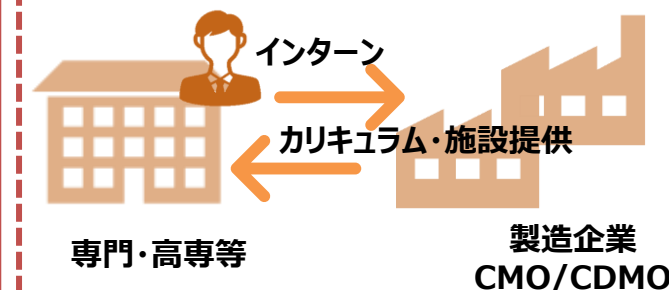
## ① CMCマネジメント職等育成



## ② 専門製造人材育成

不足人材の整理  
カリキュラム策定・インターンの実施

### 協議会の発足



## ③ 長期的な シーズ開発人材育成

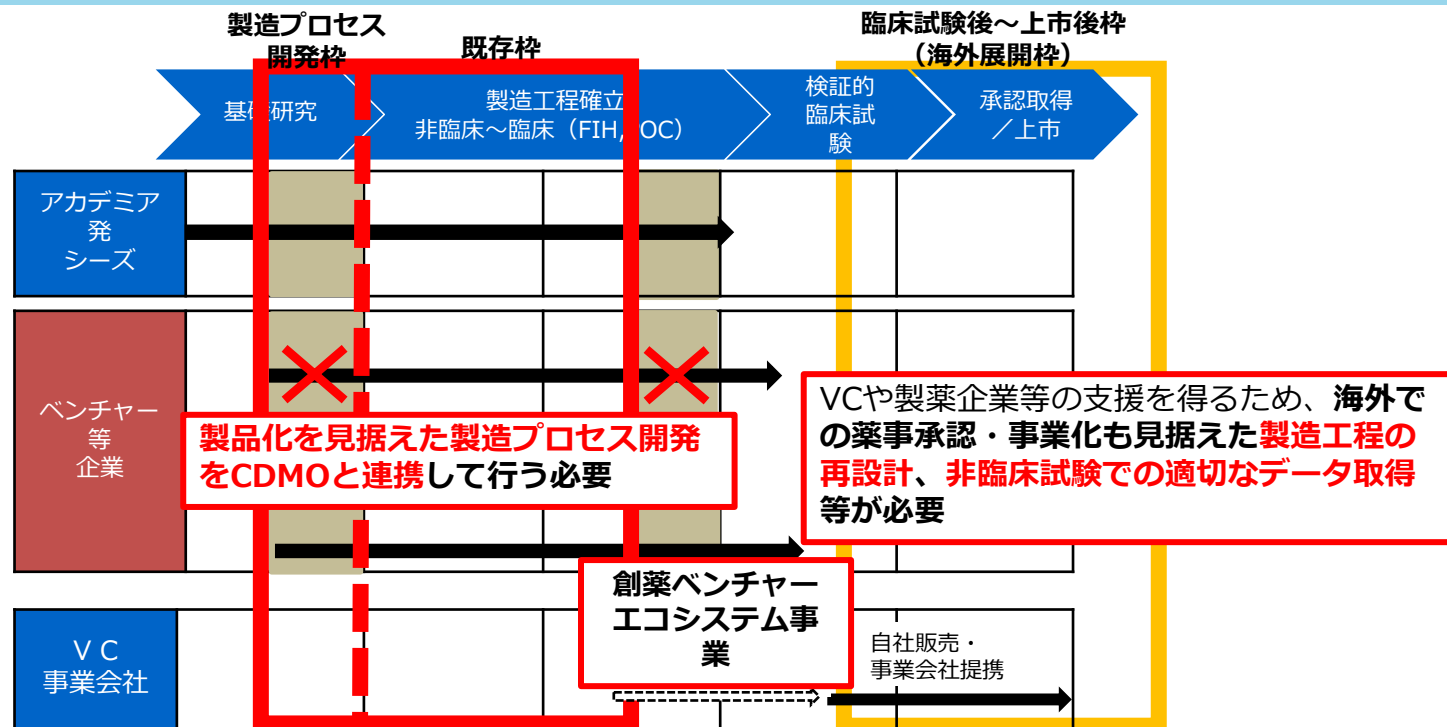


大学等  
薬学部等への  
GMP製造カリキュラム  
の組み込み検討

今後の取組み

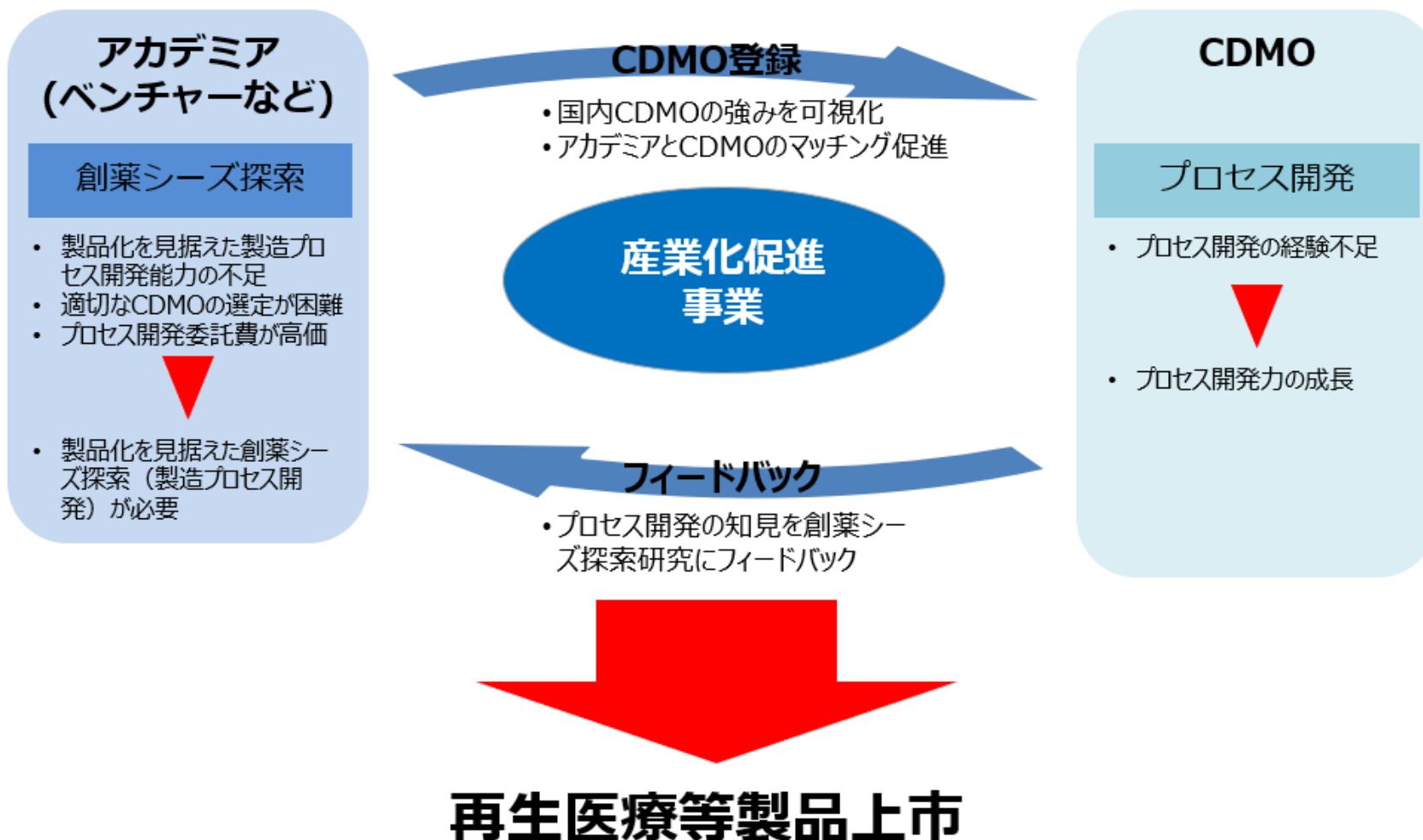
# 再生・細胞医療・遺伝子治療産業化促進事業（案）

- 現状、初期の製造プロセス開発を行えるCDMOが少ない、かつ、そのプロセスが軽視されているがために、**有望な技術シーズが製造手法を確立できず市場に出でこない、あるいは、製品化の段階でスケールアップが上手いかない**というような課題が顕在化している。そこで、初期のシーズの段階で、製造プロセス開発が出来るCDMOが伴走することによって、製品化を見据えた製造プロセスを確立し、より多くの技術シーズを市場に出していくことが重要。そのためには、初期のシーズについて**AMEDによって製造プロセス開発能力を認められたCDMOを「登録CDMO」として発表し、それらとコンソーシアムを組む形での支援が出来ないか。**
- 加えて、臨床試験後～上市段階にある製品についても、VCや製薬企業等の支援を得るため、**海外での薬事承認も見据えた、事業化に向けた製造工程の再設計、非臨床試験での適切なデータ取得が必要**であるが、当該段階に得られる支援はほとんど無いのが現状。そこで、「臨床試験後～上市后枠」として、それらの段階についても支援が出来ないか。



# 「創薬シーズ探索」と「製造プロセス開発」の好循環

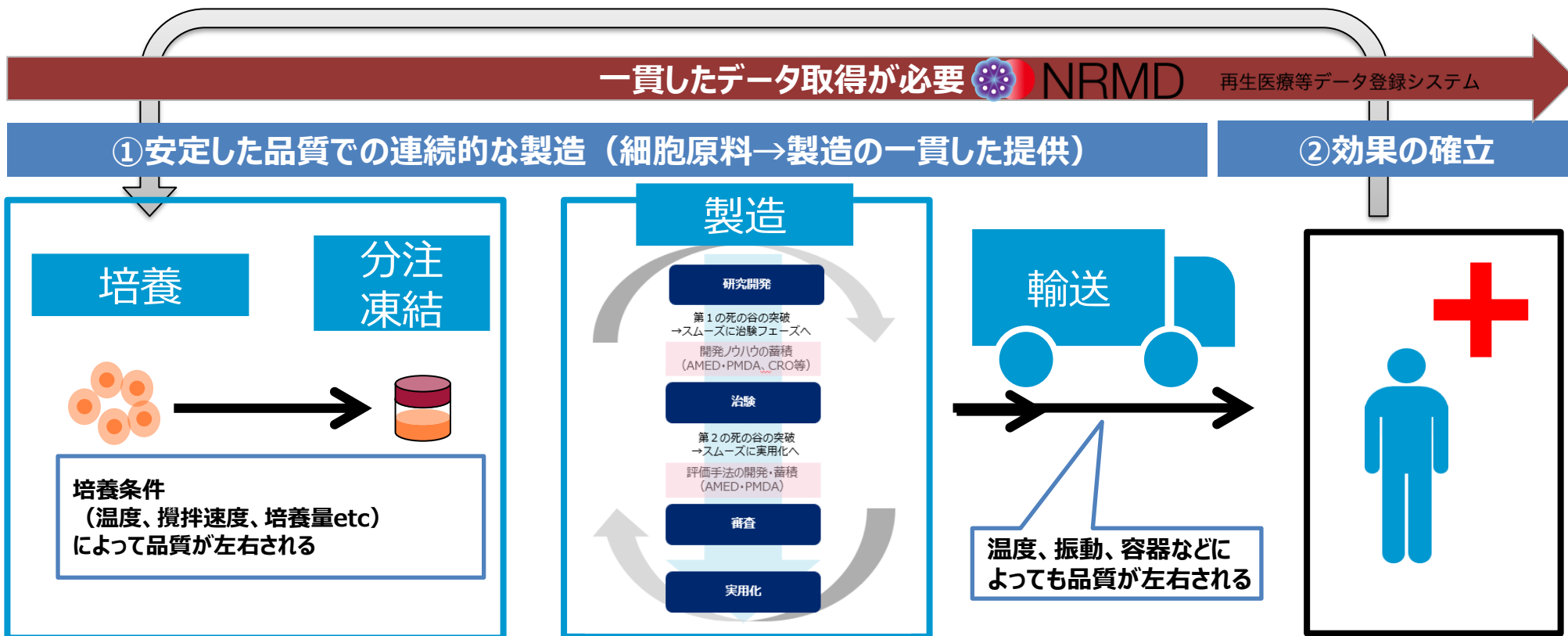
- 「CDMO登録」を行うことによって、**製造プロセス開発が出来るCDMOを可視化**することで、日本のアカデミアにおいても、**製品化を見据えた上で製造プロセス開発をするサイクル**が作り出され、市場に多くの国内シーズが出ていくだけでなく、CDMO育成にもつながり、好循環が生まれることを目指す。





# 再生医療における製造の困難性と効果確立に向けたデータ取得の重要性

- 再生医療の産業化に向けては、①安定した品質での連続的な製造②効果の確立が必要。一方で、細胞の製造においては、様々なパラメータが品質に影響。
- ①安定的な連続製造のためには、各製造段階のデータを取得し、多元的に分析・制御した上で、共通する製造パラメータを確立・自動化し、商用化に向けたテックトランスファーを適切に行う必要。
- また、②効果の確立のためには、治療後も含めたデータ取得により効果を立証するだけでなく、それらのデータからrTRを行い、適切な患者群を特定していく必要。



**【参考】再生・細胞医療・遺伝子治療環境整備事業（令和4年度2次補正：50億） 採択事業者（5/31採択結果公表）**

主な参画機関 （太字下線：申請代表者）	エリア	取り扱う再生医療技術	取組内容
<b>（一財）未来医療推進機構</b> 、 大阪大学（澤芳樹特任教授等） ロート製薬等	・大阪市 （中之島）	・iPS細胞由来角膜上皮細胞シート ・重症下肢虚血、重要心不全向けの細胞治療等	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 製品生産のための施設整備・機器購入</li> <li>● 製造・品質情報や臨床情報を一体管理するデータシステムの構築</li> <li>● 交流や共創を促進する施設の整備</li> </ul>
<b>（株）ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング</b> 、 蒲郡市民病院、 国立がん研究センター等	・愛知県蒲郡市 ・千葉県柏市 （柏の葉）	・皮膚や膝軟骨、角膜について、機能再生を促す細胞シート等	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 各製品について、用途拡大（使用施設拡大や複数回使用等）に向けたデータ取りと、生産コスト削減のための施設整備</li> <li>● インバウンド受入体制の整備</li> </ul>
<b>藤田医科大学</b> 、 慶應大学（岡野栄之先生等）、 サイフェーズ等	・東京都 （羽田） ・川崎市 （殿町）	・特発性内側顆骨壊死等の整形外科疾患に対する細胞治療 ・非感染性角膜腫瘍向けの細胞治療等	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 製品生産のための施設整備・機器購入</li> <li>● 細胞特性解析に用いる機器の購入</li> <li>● 製造・品質情報や臨床情報を一体管理するデータシステムの構築</li> </ul>
<b>（株）ビジョンケア</b> 、 神戸アイセンター病院等	・神戸市（ポートアイランド） ・川崎市 （殿町）	・網膜色素上皮不全症等の網膜疾患に対する、iPS細胞を用いた治療	<ul style="list-style-type: none"> <li>● グローバル治験のための検査機器の購入</li> <li>● 学会のレジストリと連携した臨床データシステムの構築</li> <li>● 治療を提供する手術室の整備</li> </ul>
<b>東京医科歯科大学</b> 、 神戸大学、 富士フィルム、セルソース等	・東京都 ・神戸市 等	・変形性膝関節を対象とした細胞治療	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 製品生産のための施設整備・機器購入</li> <li>● 効果検証のための画像診断・超音波診断機器の購入や、臨床データシステムの構築</li> <li>● 治療を提供する手術室の整備</li> </ul>

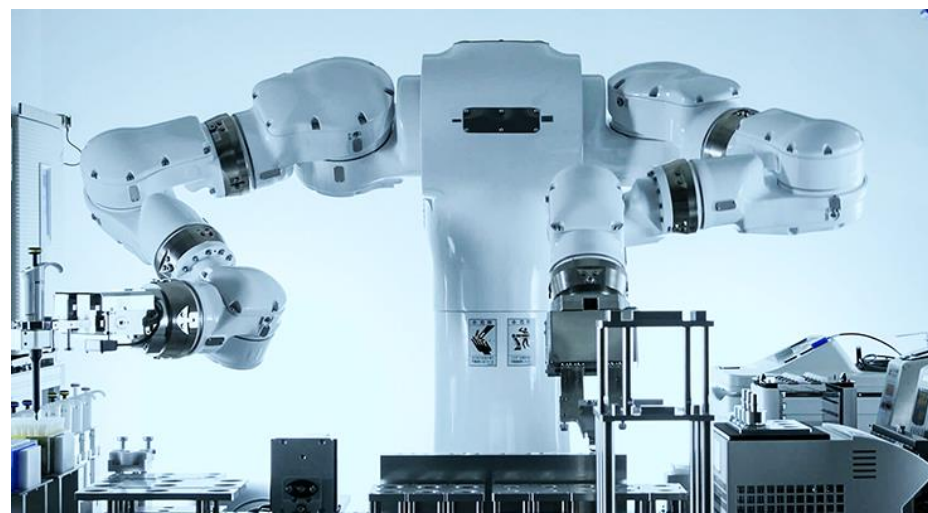
# 品質パラメータの取得と製造の自動化に向けた具体的な取組

- 補正事業では、課題3において、製品の製造と並行して、細胞の培養における各種品質パラメータの取得、それをもとにした自動化に取り組んでいる。
- 具体的には、藤田医科大学によるコンソーシアムにおいては、サイトファクト社が開発を行った自動培養装置Cell Qualia(Intelligent Cell Processing)Systemを導入し、iPS細胞、MSCなどのプロセス開発、治験製造を実施する。また、ビジョンケアのコンソーシアムにおいては、ヒューマノイドロボット「まほろ」を用いた自動培養を導入し、データを蓄積するとともに、当該データをもとにシスメックス社らと共同で、さらなる大量培養装置の開発を行う。

<自動培養装置「Cell Qualia」>



<ヒューマノイドロボット「まほろ」>



# 「提供される側」への民間保険制度の導入に関する検討

- ①高額となる治療をより利活用しやすくする②再生医療という選択肢をより広範囲に広める、ために、民間保険制度の活用は選択肢として重要。すでに個社の治療を、保険会社と連携して提供している国内事例や、海外でも、中国では民間保険制度の利活用を推進されている。
- 各保険会社共同での少額短期保険や再生医療特約の創設を検討することが一案。
- 一方で、保険会社が有効性や安全性の承認を行うハードルはかなり高いため、現在補正事業で行っているデータ取得と有効性の検証等に保険会社を巻き込んでいく取組や、こうした取組を通じて、産業界と連携して考え方の枠組みを作っていくこと等が必要になってくるのではないかと。

<学会ですでに実施されている提供する側向けの保険制度の事例>

