

(公財) ヒューマンサイエンス振興財団  
調査報告書 発刊のご案内

平成 27 年度日本医療研究開発機構研究費（創薬基盤推進研究事業）  
研究課題名：産学官連携研究の促進に向けた創薬ニーズ等調査研究

平成 27 年度規制動向調査報告書  
再生医療実用化のための周辺技術、基盤技術  
と法改正後の規制動向

平成 28 年 2 月 22 日(月)

公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団（HS財団）では、毎年、関連業界の動きに先駆けたテーマを選択し、関連する最先端の科学技術を精査すると共に、医療用の医薬品や機器等の開発技術の進展と合わせて、関わりの深い規制の動向について調査活動を行っています。また、この調査活動に基づいて、近い将来のあるべき姿へ到達するために解決すべき課題を洗い出し、それらの解決策を提言として取りまとめてきました。

平成26年度には、法整備された再生医療の実用化を促進する制度的枠組みの現状と再生医療の臨床研究および実用化研究について調査を行いました。平成27年度は、日本医療研究開発機構研究費（創薬基盤推進研究事業）「産学官連携研究の促進に向けた創薬ニーズ等調査研究」の分担課題「先端医療に係る規制動向調査研究」として、平成26年度に継続して再生医療の実用化をメインテーマに据え、特に再生医療実用化のための周辺技術、基盤技術に焦点を当てた調査および再生医療等製品の安全性評価や品質管理、法改正後初めて承認された再生医療等製品の申請・承認内容等についてHS財団賛助会員企業から「規制動向調査班」を組織し、行政、アカデミアや産業界の多くの専門家へのヒアリング、関連学会やシンポジウム等への参加や文献調査等を通じて展開し、その調査結果を平成27年度規制動向調査報告書にまとめました。

本報告書では、調査で得られた情報をもとに再生医療実用化における課題を洗い出すと同時に、それらの課題を速やかに解決するために、行政、アカデミア、産業界等が採るべき方策について私たち調査班内で議論し調査班として、以下の4項目について提言をしています。

【提言1】

**国は、再生医療等製品開発促進のために規制基準の更なる整備と国際化推進を**

再生医療等製品の開発は、培養材料、機器、培養施設、システム管理、情報処理、運搬保存、保険、金融など幅広い分野の活性化につながる。一方で、開発コストが膨大にもかかわらず当面の対象は希少疾患が多く、開発費用を我が国だけで回収することは困難と考えられる。したがって、「条件及び期限付き承認」制度などを整備した我が国に世界の再生医療等の開発プロジェクトを呼び込み、我が国で first-in-human 試験が実施される環境作り、かつ我が国で最初に審査・承認された再生医療等製品の有効性、安全性が広く認知され、世界各国の承認審査の参考となるような実績作りが重要となる。これにより我が国の再生医療関連産業全体が発展してそれぞれのビジネスモデルが確立されるとともに、我が国から世界市場にむけてグローバルスタンダードの再生医療等関連商品とサービスが供給されることを期待したい。そのための重要な基盤として国は、再生医療等製品に係る規制・基準の更なる整備を進めるとともに、これを国際学会や論文投稿を含む様々な機会を活用して継続して世界に発信し、グローバルスタンダード形成に向けた議論での積極的なイニシアティブをとっていくことを望む。規制・基準に加え、その適切で有効な運用もきわめて重要である。特に「薬事相談システム」の充実が急務であり、PMDA は、再生医療等製品関連の担当者の増員、育成に加え、海外の専門家を含む幅広い人的ネットワークを展開して、世界各国の企業・研究機関が、最も適切かつ効率的な臨床開発を我が国でできるようサポート体制を構築してもらいたい。

【提言2】

**国及びアカデミアは、疾患の historical control に関する疫学データ整備を**

現在までに我が国で承認された4品目の再生医療等製品の治験はいずれも非対照試験として実施された。これは、再生医療等製品の対象が難病・稀少疾患を対象とするケースが多く、患者数及び倫理的側面から比較試験を実施し難いためと考えられる。このような難病・稀少疾患ではモデル動物の構築も難しく、有効性を評価する指標が確立していない場合が多い。このような状況で、再生医療等製品の有効性・安全性を適切に臨床評価するためには、historical control データが重要になる。少数例の臨床試験でも再生医療等製品の有効性を historical control データと比較することにより、評価することが可能と考える。

国及びアカデミアは、再生医療等製品の開発促進のために、協働して対象とする疾患の historical control に関する疫学データの整備に努めて欲しい。

【提言3】

**国は、再生医療産業の基盤となる幹細胞ストック(バンク)の整備充実とその運用のための仲介機関の早急な設置を**

再生医療の本格的な実用化のためには、他家移植に用いることのできる高品質で汎用性が高く、付加価値(情報)が豊富な国産の「幹細胞ストック(バンク)」の構築と充実が不可欠である。多能性幹細胞については、CiRAにより他家移植用「HLA ホモドナー由来 iPS 細胞ストック」の構築が進めら

れているが、米国でも同じコンセプトの iPS 細胞ストックの構築が進んでいる。各種の体性幹細胞バンクについては既に欧米が先行しており、我が国には未だ他家移植用の本格的バンクがない。幹細胞ストック（バンク）事業は、我が国の再生医療産業を支える重要なインフラであるとの認識のもと、国は、関連する規制基準の整備とともに細胞入手の実務上の課題等に対応した専門の仲介機関設置や、民間活力の導入の具体的施策を早急に検討すべきである。また、このような幹細胞ストック（バンク）の充実をベースに、幹細胞に関する国際協調や標準化の活動に我が国がより積極的に貢献していくことを期待する。

**【提言4】**

**国は、業界団体とともに再生医療実用化を加速させるために、細胞加工関連産業の総合的な育成を**

再生医療等製品の製造工程の大部分を占める「細胞加工」は、高価な培養材料・機器を用い、かつ熟練した培養技術者の手作業に頼っていることから高コスト低効率であり、これが再生医療の産業化推進における一つのネックとなっている。その解決のためには、細胞加工の各要素をそれぞれ関連産業として育成し、総合的に発展させていくことが肝要である。培養材料・機器については、国は、再生医療等製品に対応した規制基準を明確にするとともに、国産品を開発するメーカーがグローバル市場で活躍できるよう支援・育成策を推進することを期待する。細胞加工工程の規格化や自動化については、国は、各種培養システム・機器の規格化、培養方法の標準化を進め、FIRM に代表される業界団体の活動を一層活発化し、より多くのメーカーが互換性のある装置を効率よく開発できるよう、企業の連携を図る体制の整備をしていく必要がある。これら培養材料・機器を用い、培養の規格化・自動化を進める現場となる細胞加工センター（CPC）は、「再生医療等安全性確保法」の施行にともない、それ自身アカデミアや企業からの細胞加工を受託する CPC ビジネスとして成り立つことが可能となった。国には、CPC ビジネスを我が国再生医療の基盤技術が集積する中核産業として支援・育成していくことを期待する。

本調査報告書が、再生医療に係る広範な基礎研究や実用化研究の推進、また、医療や科学技術の発展に寄与すると同時に、関連業界のみならず、広く国民の健康や生活の向上に結びつくことを祈念し、ここにご案内させていただきます。

【お問い合わせ先】  
（公益財団法人）ヒューマンサイエンス振興財団  
〒101-0032 東京都千代田区岩本町 2-11-1 ハーブ神田ビル4F  
TEL：03-5823-0361 FAX：03-5823-0363  
事務局担当：井口富夫  
E-メール：inokuchi@tyo.jhsf.or.jp