革新的再生医療等製品の創出に向けて

2019年11月18日

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　畠 賢一郎

革新的再生医療等製品の創出を加速する要素

Key Word
『定義と対話』

定義：再生医療のモダリティ* は複雑・多様であり、各々について定義が必要
対話：産学官間のみならず、産学官内の対話および患者を巻き込んだ内容も必要

イノベーション創出に向けた環境整備

- **ステークホルダー毎の課題整理と解決**
  - ✓ 企業：研究開発サイクル促進に向けた更なる支援
  - ✓ 行政＆企業：製品毎の実状に則った適切な品質管理
  - ✓ 医療機関：治療、細胞調達の動機付け
- **リアルワールドデータの臨床試験への利活用**
  - ✓ レジストリを治験対照群として活用しうる制度整備
- **国内外での商業利用を見据えた細胞調達システム構築**
  - ✓ 国内におけるヒト細胞原料の安定供給の早期実現
- **再生医療に係る規制調和の推進**
  - ✓ わが国の先駆的な規制制度の価値・意義の啓蒙

イノベーションの適正な評価

- **製品価値を適切に価格へ反映する仕組みの検討**
  - ✓ 社会的価値（医療従事者等の負担軽減、治癒患者の就労等による経済性、労働生産性 ）の反映

*:細胞治療、遺伝子治療等の治療手段

革新的製品の創出に向け期待される取組み

- 現状における再生医療等製品は、多くの会社において事業化を目指す動機付けとなるものである。再生医療を通じた医療革新、産業振興に資する持続可能な研究開発のため、**再生医療に係るすべてのステークホルダーの課題について、継続的な議論**が必要である。また、**再生医療の実状に則った品質管理のあり方**、並びに**製品価値を適切に価格へ反映する仕組みの検討**の進展を期待する。

- 現在の患者登録システム（レジストリ）は製造販売後臨床調査や安全性対策等の限定的な利用に主眼をおいている。これらを有効活用すべく、**レジストリを治験の比較対照群として利活用する等、**次のあらたな展開について検討して頂きたい。

革新的製品の創出に向け期待される取組み

- 既存の細胞調達の仕組みは、商業利用を前提として構築されておらず、使用時に改めて全ての細胞提供者から同意を取り直す必要がある。提供者からの包括同意取得を含め**商業利用を見据えた細胞調達システム**を構築し、提供者との合意形成のモデルケースを構築して頂きたい。

- 現在、厚労省、PMDAが中心となり、アジア各国との規制調和を推進していただいている。本邦発の再生医療等製品の価値を最大化できるよう、引き続き**欧米を含めた規制調和を推進いただく**とともに、**わが国の規制制度の価値・意義を諸外国にアピール**して頂きたい。

参考資料

研究開発～上市後までの環境整備（１）

- 再生医療を通じた医療革新、産業振興に資する持続可能な研究開発のため、**再生医療に係るすべてのステークホルダーの課題について、継続的な議論**が必要である。また、**再生医療の実状に則った品質管理のあり方**、並びに**製品価値を適切に価格へ反映する仕組みの検討**の進展を期待する。

  - ✓ 現在の再生医療等製品は先行する類似製品がないため、製品価格は原価の積み上げで算定されている。その際に一定の営業利益分を加味して頂いているものの、**実際の各製品の営業利益は、算定時のそれを下回る**ものである。

  - ✓ 再生医療等製品の原料の供給、治験の実施のみならず、上市後に処方についても、**病院および医師を含めた医療従事者のインセンティブが働かないため、再生医療等製品の実用化、事業化推進力が不足**していると認識している。

  - ✓ 再生医療等製品の**品質管理は、製造コストにおいて一定のウエイトを占めている。これら適切な品質管理のあり方とそのコスト負担**については、当局との広範にわたる議論が必要である。

研究開発～上市後までの環境整備（２）

- 現在の患者登録システム（レジストリ）は製造販売後臨床調査や安全性対策等の限定的な利用に主眼をおいている。これらを有効活用すべく、**レジストリを治験の比較対照群として利活用する等、**次のあらたな展開について検討して頂きたい。

  - ✓ 疾患毎のレジストリを**治験の比較対照群に使用できれば、治験実施期間の短縮や総開発費の低減等が期待**できる。

  - ✓ 再生医療等製品の研究開発を支援するデータベース（以下DBとする）であるNRMD （National Regenerative Medicine Database）は、臨床研究から市販後調査までをカバーするものであり、その有用性は理解できる。一方、本邦で現在利活用可能な大規模な医療DBはMID-NETであるが、これも現在は安全性対策に主眼をおいており、再生医療等製品への活用が可能かは不明である。上述の目的を達するべく**レジストリ利活用に向けた実証試験が必要**と考える。

  - ✓ CINの活動を通じ**DB形式の統一、特にデータ形式の統一が進めば、複数のレジストリの活用により、**上記目的を達するに相応しい登録症例数の確保が可能となる。

研究開発～上市後までの環境整備（３）

- 提供者からの包括同意取得を含め**商業利用を見据えた細胞調達システム**を構築し、提供者との合意形成のモデルケースを構築して頂きたい。

  - ✓ 調達システムの構築に当たり、**モデルバンクを作製・運用し実装に向けた課題の洗い出し**も必要と考える。その際は、バンクの運営をアカデミアに一任するのではなく、産学官が連携して実証してゆく必要がある。

  - ✓ **多能性幹細胞バンク**の構築では、当該細胞から目的の組織や細胞を効率よく生産するには、細胞株自体の充実が必要である。また遺伝子改変株も必要性が増すものと考える。**公的機関がバンクの整備を進め、廉価に細胞を提供すれば、アカデミア、ベンチャーのみならず製薬企業にも研究開発用に利活用が見込まれる**事から、今後も整備が必要と考える。

研究開発～上市後までの環境整備（３）

➢ 提供者からの包括同意取得も含め**商業利用を見据えた細胞調達システム**を構築し、提供者との合意形成のモデルケースを構築して頂きたい。

細胞製品の原材料となるヒト組織の調達システム

＜国主導で実施＞
- 商業利用を前提とした包括同意の取得
- グローバル基準を満たすドナー適格性の設定
- 組織採取する病院・リソースの確保　等

当該ヒト組織調達システムの利活用推進体制の整備

＜アカデミア、企業が実施＞
- 簡便な手続き、適時性　等

私的に細胞株を用意したい企業はこれを利用

当該ヒト組織調達システムを活用の上で構築した公的な細胞バンク

＜国（公益法人）主導で実施＞
- iPS細胞株バンク
- ES細胞株バンク等

当該細胞バンクの利活用推進体制の整備

＜アカデミア、企業が実施＞
- 細胞製品の出発材料としての利活用
- 比較対照としての利活用　等

FIRMについて

- 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係する企業団体
- 日本の再生医療領域の産業化促進のために活動
- 2019年10月末現在、企業・法人259社、個人12名

FIRMの理念

「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

再生医療産業化にむけた課題

■ヒト細胞を利用した研究
～産業活用を視野に入れた制度設計

■非臨床研究
～治験の課題

基礎研究

非臨床研究

臨床研究

再生医療等製品
（医療品、医療機器の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律）

薬事戦略相談→ 治験

医師法下での実施
(再生医療等の安全性の確保等に関する法律)

■細胞培養加工施設の要件

承認申請

承認
(条件及び期限付き承認を含む)

製造

■ 製造
■ 再生医療等製品/IP・ノウハウ
■ 上市後の評価

■標準化・規格化

上市・市販

■ 治療普及
■人材/教育認定制度

■ 社会受容性

FIRMの
再生医療実現化活動

FIRMの主な活動（１）

再生医療普及のための課題解決策検討

- 再生医療産業化への経済的側面の課題解決策の検討
  - 現状把握および中長期的な市場予測のための市場調査を実施
  - 再生医療等製品の適切な対価のあり方を提言
  - 再生医療ベンチャー創設支援フォーラム、FIRM's 起業塾を開催

- 多能性幹細胞の造腫瘍性・細胞内動態に関する多施設共同研究の実施

- 再生医療の産業化を円滑に行うため、現場に即した規制制度のあり方を検討

ステークホルダーへの情報発信

- 国会議員及び関係省庁への業界意見・提言の発信、再生医療関連展示会への参画、メディアとの交流

FIRMの主な活動（２）

海外の企業や業界団体との連携促進

- 国内外のシーズを有するアカデミアやベンチャー企業とFIRM企業とのビジネスマッチングの推進
  - ビジネスマッチングイベント RM Crossroad ® in Tokyo を開催

- 海外団体とMoU締結し関係を強化。関係省庁と共に海外イベントに参画し日本のプレゼンス向上に寄与

- APACRMを主催し、アジアにおける規制ハーモナイズ実現を支援

再生医療周辺産業の整備と基準作り

- FIRMガイド及び事例集の作成と公開推進