

The 23rd Congress of the Japanese Society for Regenerative Medicine

SY-25

3.22 15:40~17:40 Room 5

Activity to Promote the Industrialization of Regenerative Medicine - The role of the Forum for Innovative Regenerative Medicine (FIRM)

FIRM (Forum for Innovative Regenerative Medicine)
Representative Director, Vice Chairperson

Ken-ichiro Hata, D.D.S., Ph.D.

Japan Tissue Engineering Co., Ltd.
President and CEO

The 23rd Congress of the Japanese Society for Regenerative Medicine

Activity to Promote the Industrialization of Regenerative Medicine

- The role of the Forum for Innovative Regenerative Medicine (FIRM)

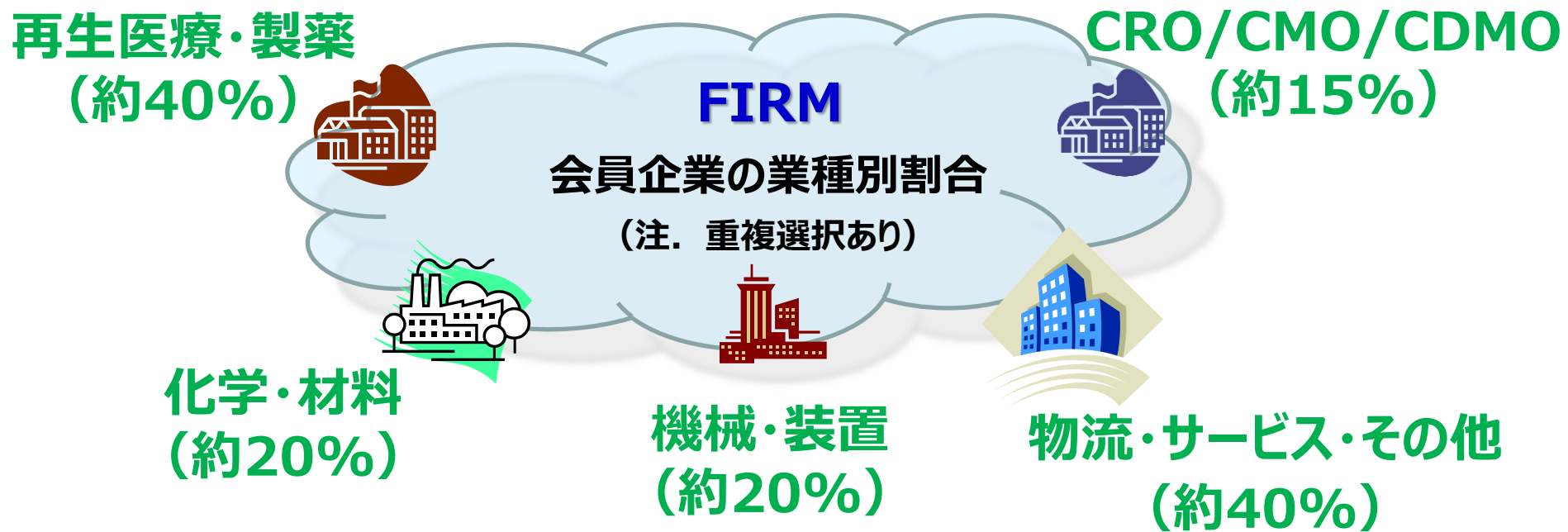
Disclosure Statement of COI

**The presenting author: Ken-ichiro Hata,
Japan Tissue Engineering Co., Ltd. [J-TEC]**

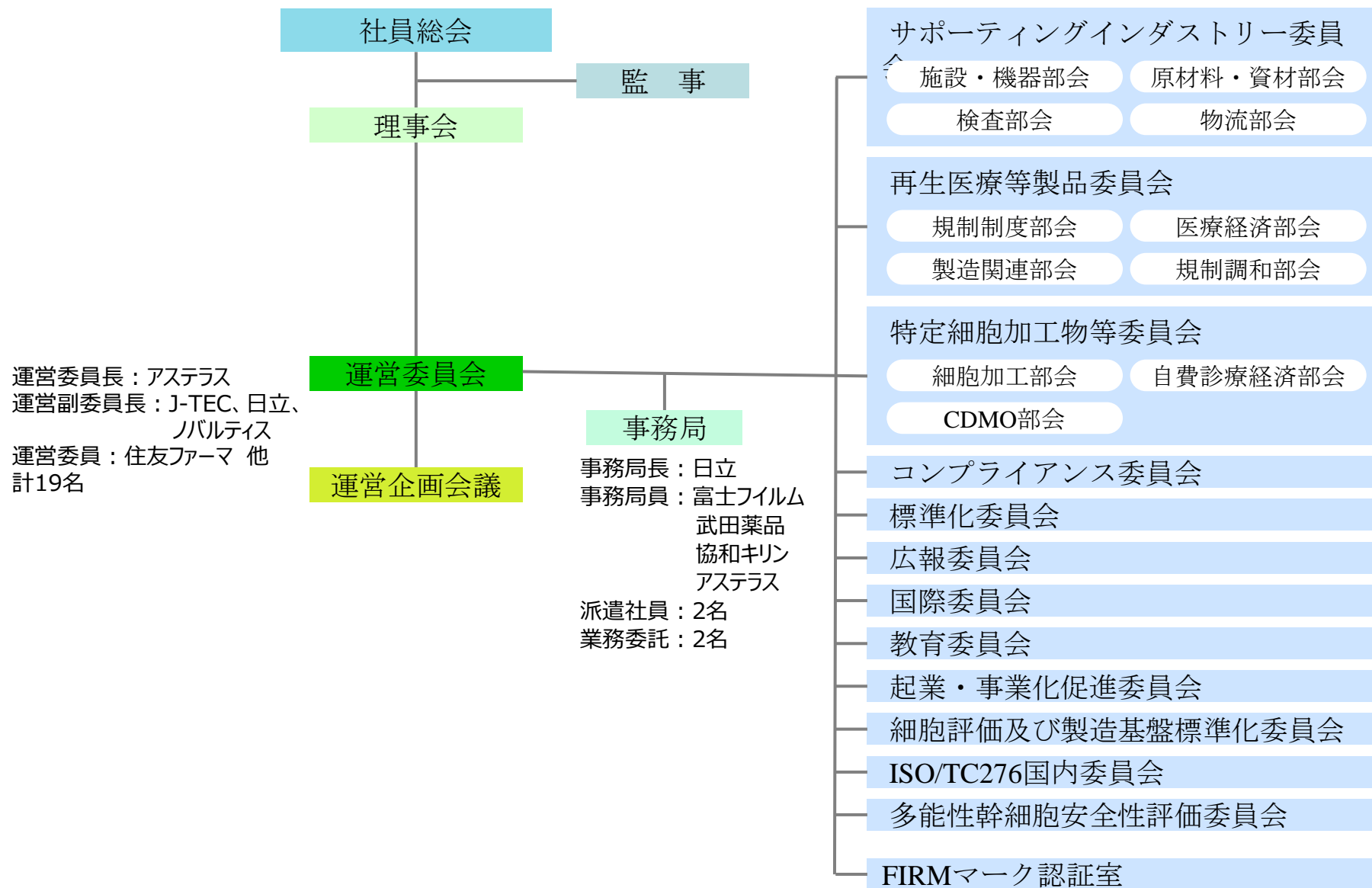
The presenting author has no financial conflicts of interest disclose concerning the presentation except the affiliated company in the past year (January to December).

(一社) 再生医療イノベーションフォーラム (FIRM)

- 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
- 2024年1月1日現在、企業・法人196社、個人13名



FIRMの組織体制 (2023年9月~)



FIRM VISION 2025

革新的な治療の普及のために 再生医療の産業化を実現する

FIRMは
信頼ある情報を発信し、
変革につながる
提言をします

FIRMは
専門性の高い
精鋭集団となって
世界をリードします

FIRMは
イノベーションの
創出に向けて
チャレンジし続けます

わが国で承認された再生医療等製品

- 日本で承認された再生医療等製品は20品目（2021年以降で11品目）となり、そのモダリティも多様

組織移植



ジェイス

重症熱傷（2007）
先天性巨大色素性母斑（2016）
表皮水疱症（2018）



ジャック

膝関節の外傷性軟骨欠損症
/離断性骨軟骨炎（2012）



ハートシート★

虚血性心疾患による重症心不全（2015）



ネピック

角膜上皮幹細胞疲弊症（2020）



オキュラル

角膜上皮幹細胞疲弊症（2021）



サクラシー

角膜上皮幹細胞疲弊症（2022）



ジャスミン

白斑（2023）

細胞移植



テムセルHS注

造血幹細胞移植後の急性GvHD（2015）



ステミラック注★

脊髄損傷に伴う神経症候/機能障害（2018）



アロフィセル注

非活動期又は軽症の活動期クローン病
患者における複雑痔瘻（2021）



ビズノバ

水疱性角膜症（2023）

ex vivo遺伝子治療



キムリア点滴静注

再発又は難治性B細胞急性リンパ芽球性白血病
/びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（2019）
再発又は難治性濾胞性リンパ腫（2022）



イエスカルタ点滴静注

自家造血幹細胞移植に適応のある場合は
2レジメン以上の治療歴、適応のない場合には
1レジメン以上の治療歴のある
再発又は難治性大細胞型B細胞リンパ腫（2021）
自家造血幹細胞移植に適応のある
1レジメンの治療歴のある再発又は難治性
大細胞型B細胞リンパ腫（2022）



ブレヤンジ静注

2レジメン以上の治療歴のある再発又は難治性
大細胞型B細胞リンパ腫/濾胞性リンパ腫（2021）
1レジメンの治療歴のある再発又は難治性
大細胞型B細胞リンパ腫/濾胞性リンパ腫（2022）



アベクマ点滴静注

3つ以上の治療歴を有する再発又は難治性
多発性骨髄腫（2022）
2つ以上の治療歴を有する再発又は難治性
多発性骨髄腫（2023）



カービクティ点滴静注

再発又は難治性多発性骨髄腫（2022）

in vivo遺伝子治療



コラテジェン筋注用4mg★

慢性動脈閉塞症における潰瘍（2019）



ゾルゲンスマ点滴静注

脊髄性筋萎縮症（2020）



ルクスターナ注

遺伝性網膜ジストロフィー（2023）

in vivoウイルス治療



デリタクト注★

悪性神経膠腫（2021）

日本発

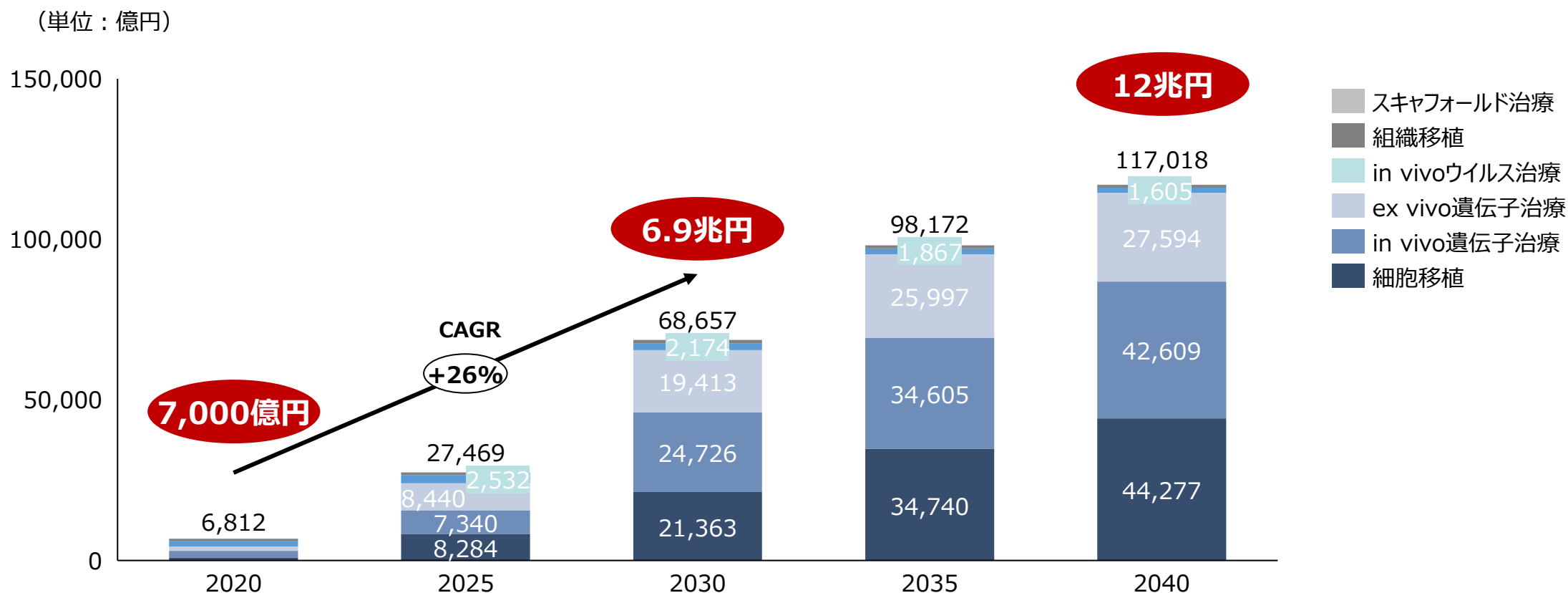
海外既承認
/類似品海外既提供

★：条件及び期限付き承認

再生医療等製品の市場規模（グローバル）

- グローバルでは今後20年で10兆円を超える規模まで成長する**成長産業**

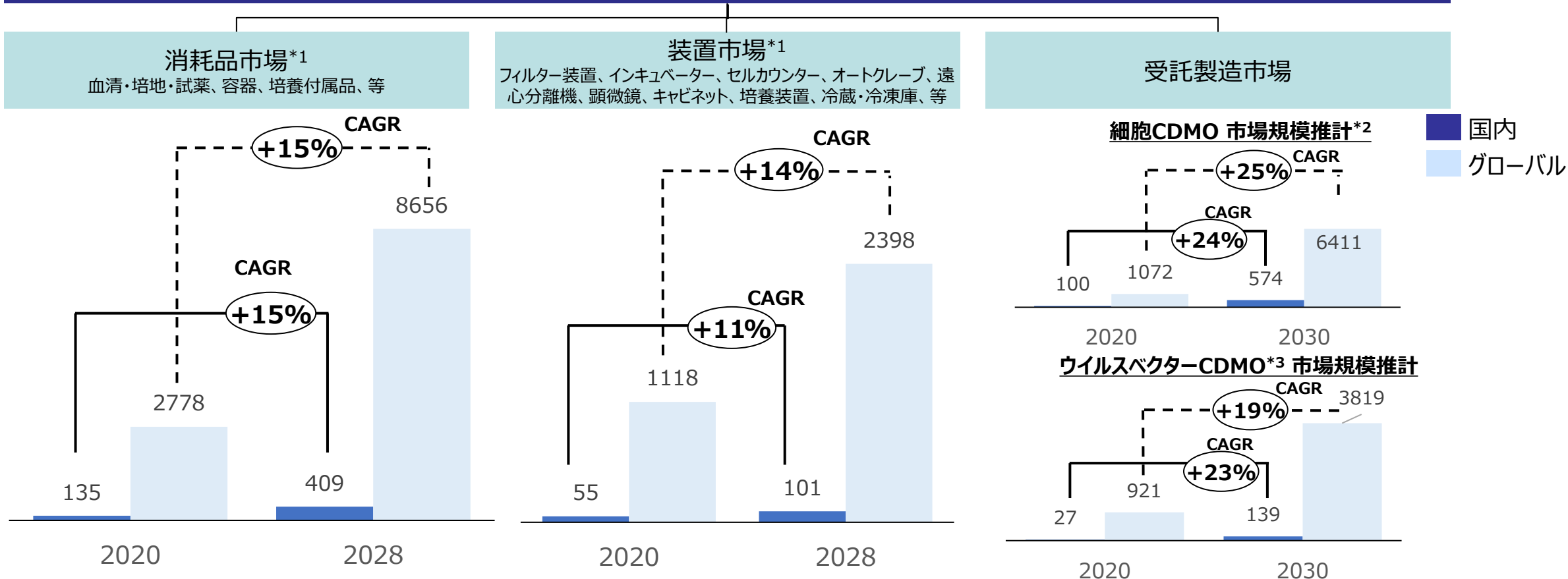
グローバル市場規模推計（モダリティ別） ※2021年10月時点のパイプラインベースでの試算



周辺産業の成長性（グローバル・国内）

- 再生医療等製品の市場成長を受け、今後主要な周辺産業の市場も大きく成長する見込み
- 国内市場はグローバルの10分の1程度ではあるが、同様に主要な周辺産業の市場が大きく成長する見込み

再生医療等製品の周辺産業の市場性（推計値、単位：億円）

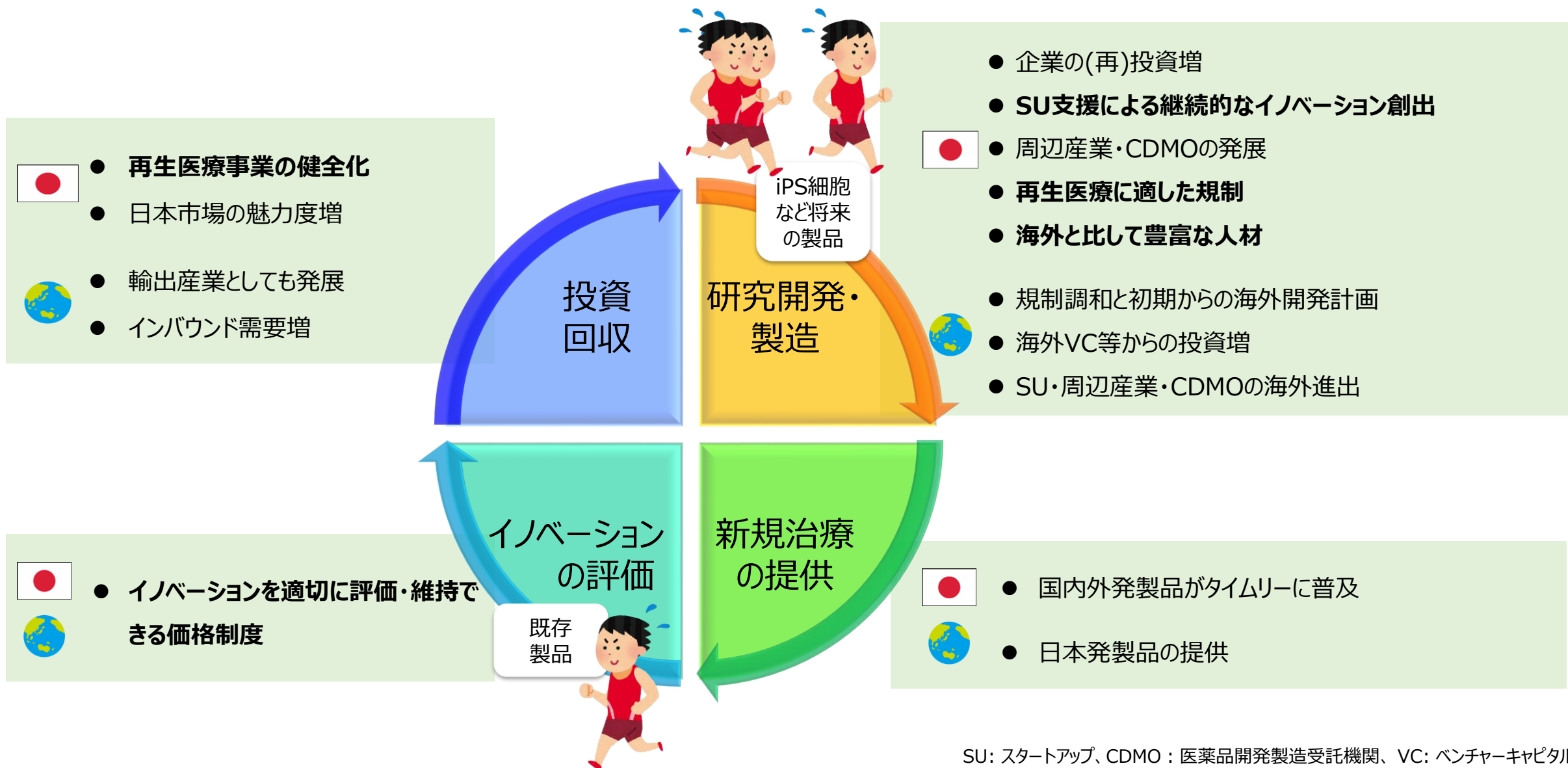


出所：MarketsandMarkets “Cell Culture Market Global Forecast to 2028”、ADLデータベースより推計

*1 レポートより引用。*2 グローバル市場はADLデータベースより算出した細胞・組織移植、ex vivo遺伝子治療のエンド市場の市場規模をもとに概算。2022年の国内市場は現プレイヤーの売上高よりADL概算。2030年の国内市場はパイプライン数比率によりグローバル市場から概算。

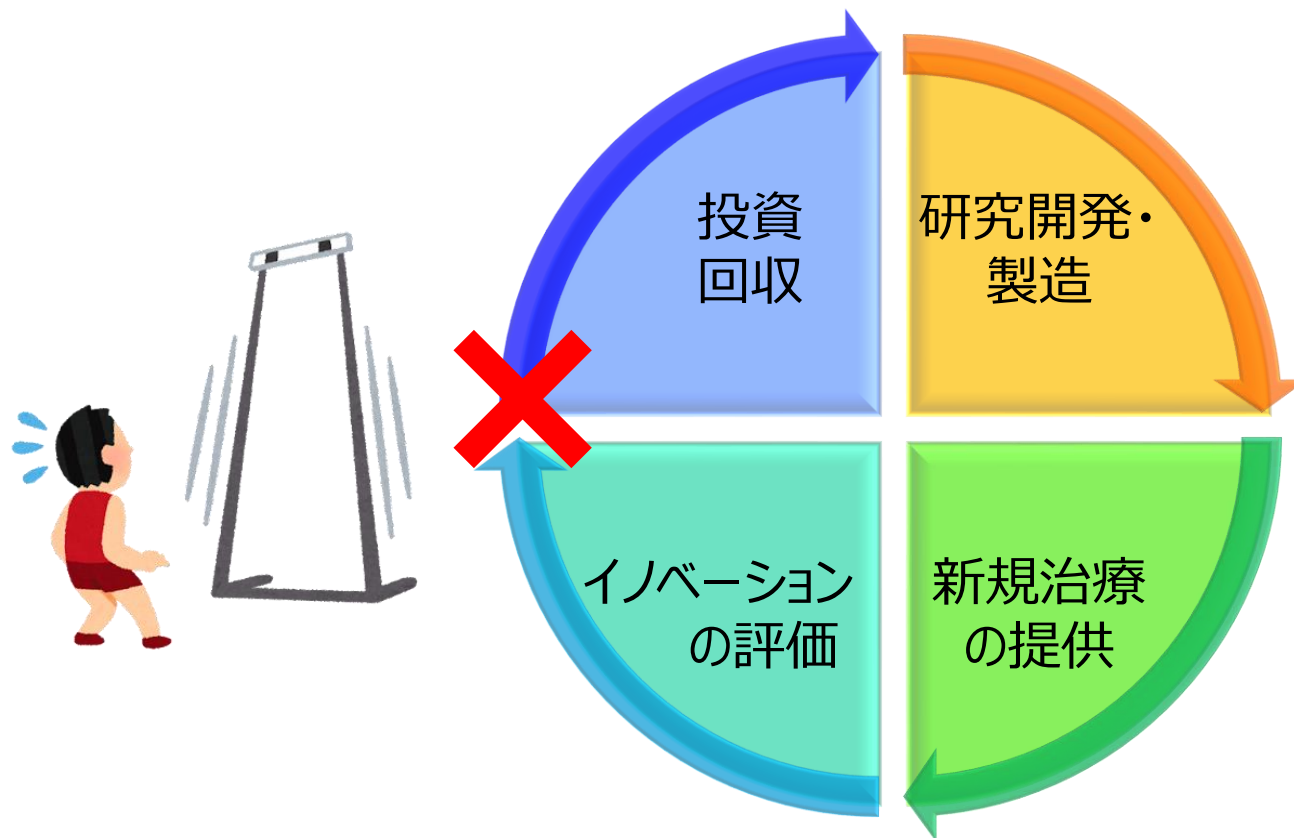
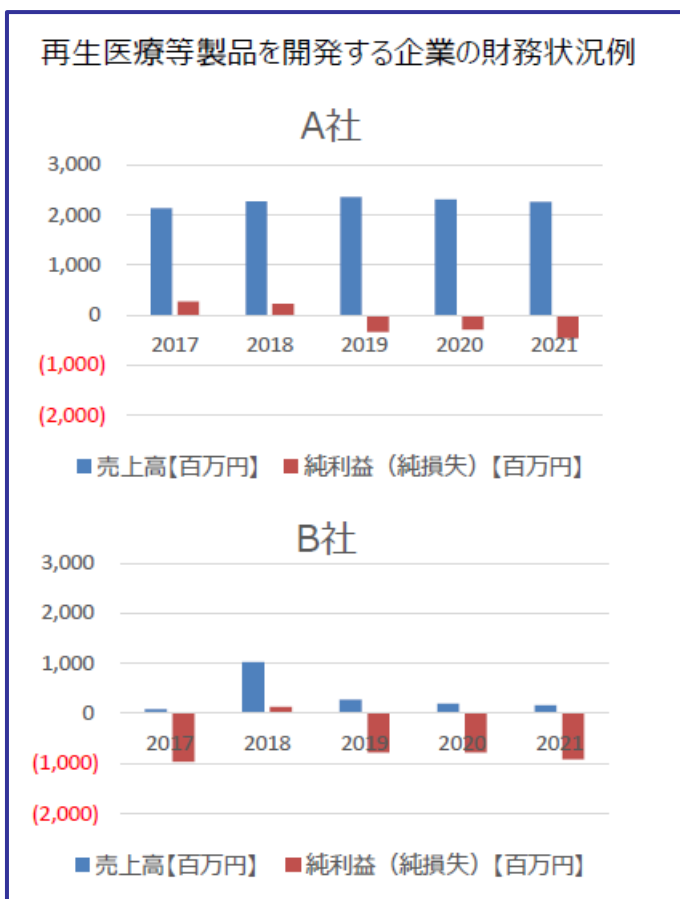
*3 グローバル市場はADLデータベースより算出したin vivo遺伝子治療・ex vivo遺伝子治療のエンド市場の市場規模をもとに概算。国内市場はグローバル市場をもとに有識者インタビューを踏まえて概算。

再生医療のあるべき姿



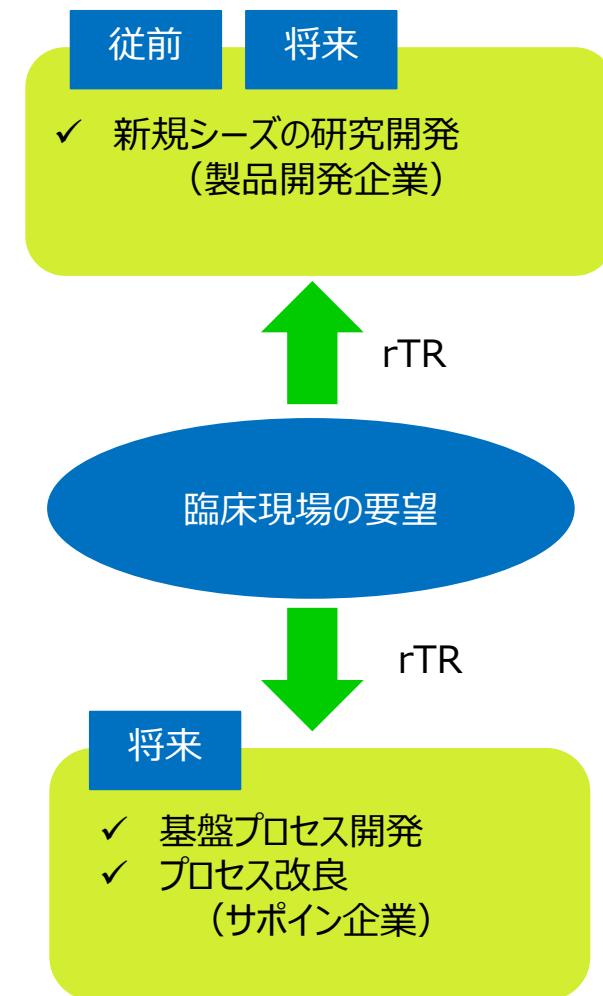
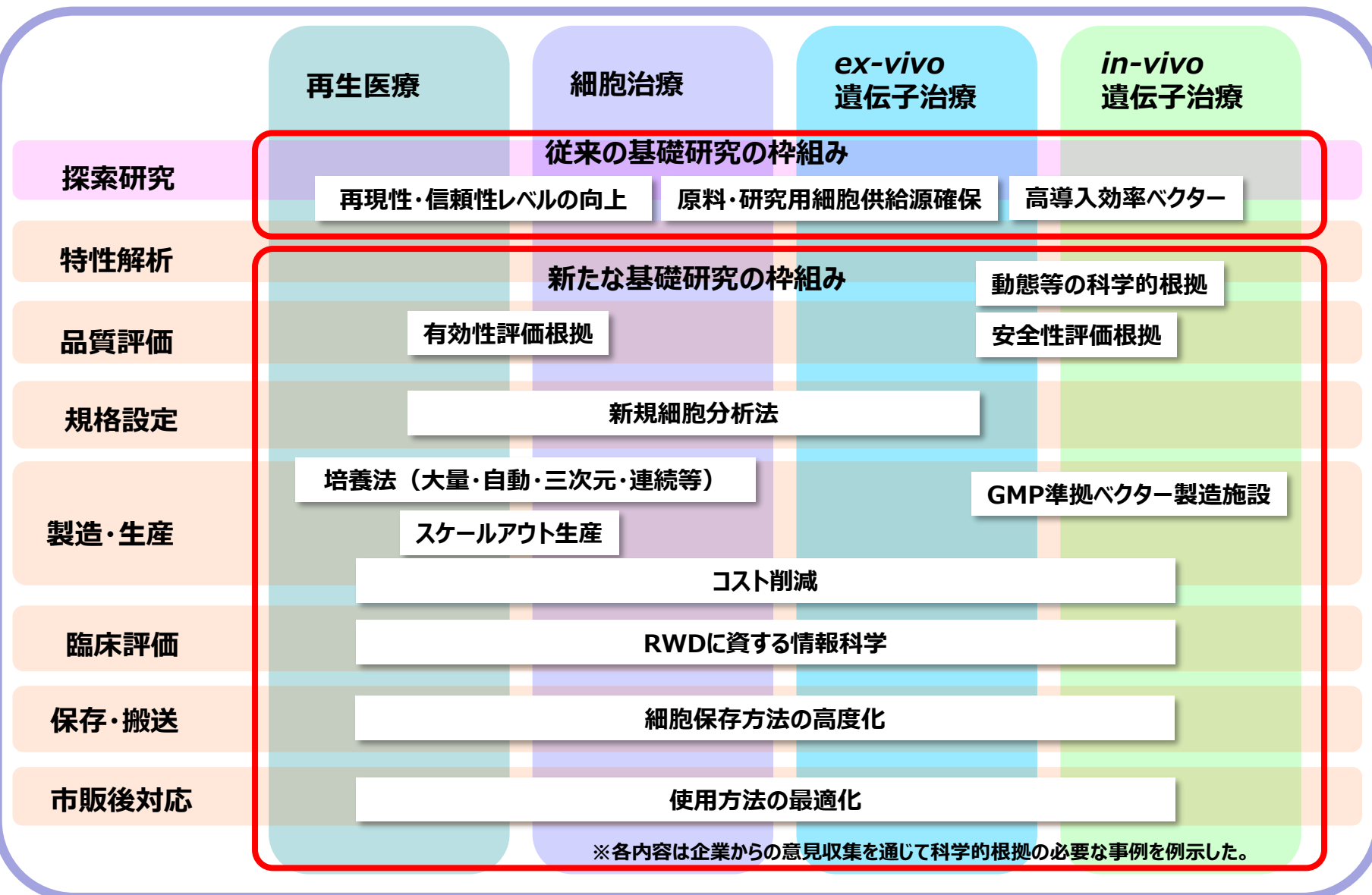
【価格制度】 再生医療等製品の価格制度の課題

- 日本国内で再生医療等製品を上市しても、企業が次の研究開発投資をすると赤字
- 医薬品とコスト構造が異なる再生医療等製品に、医薬品と同様にコストを積み上げて価格を算定する問題が顕在化



製品やモダリティの特長を踏まえ、多様な価値を反映した価格制度が必要

rTRの受け手としてのサポーターイングインダストリーの重要性

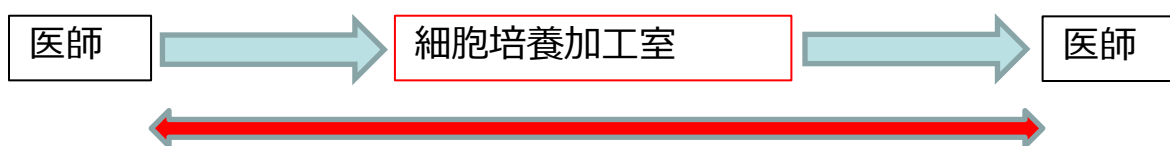


安全性確保法下における再生医療等の提供

細胞加工部会

Cell Processing Sub-Committee

部会における
議論範囲



- 患者の組織が医師から離れて、特定細胞加工物として医師に届けるまでが議論範囲。安全性確保法下における細胞加工の「質」を維持し、患者さんに適切な細胞加工物を届けるため、再生医療学会、行政関係者と連携し活動

患者さんの経済的負担を軽減することにより、安全性確保法下における再生医療等の迅速かつ安全な提供及び普及を目指す

- 保険外併用療養費制度および、民間保険の利活用、科学的根拠に基づく有効性、安全性の確保に向けたレジストリの利活用などを検討中

日本の再生医療製造の特長を強化し、課題の抽出・解決への活動を実施することを通じ、国内CDMO事業者の競争力強化と再生医療の産業化に貢献

- 国内CDMO事業者の競争力強化、製造プロセス開発の必要性・重要性に対するアカデミアの理解促進等の観点から、FIRM内外の専門家との意見交換を通じて論点を整理し、提言を策定するため活動中

自費診療経済部会

Medical Care Economics Sub-Committee

CDMO部会

Contract Development and Manufacturing Organization
Sub-Committee

アジア再生医療団体連携会議



Asia Partnership Conference of Regenerative Medicine

Mission 「革新的な治療方法である再生医療をできるだけ早くアジアの患者さんに届ける」

Purpose アジア各国・地域間の再生医療製品の規制の共通化と最適化を促進する
アジア市場の価値を最大限に拡大し、北米および欧州に匹敵する市場を創出する

第6回 APACRM: 2023.4.20 (木) 4年ぶりのリアル開催

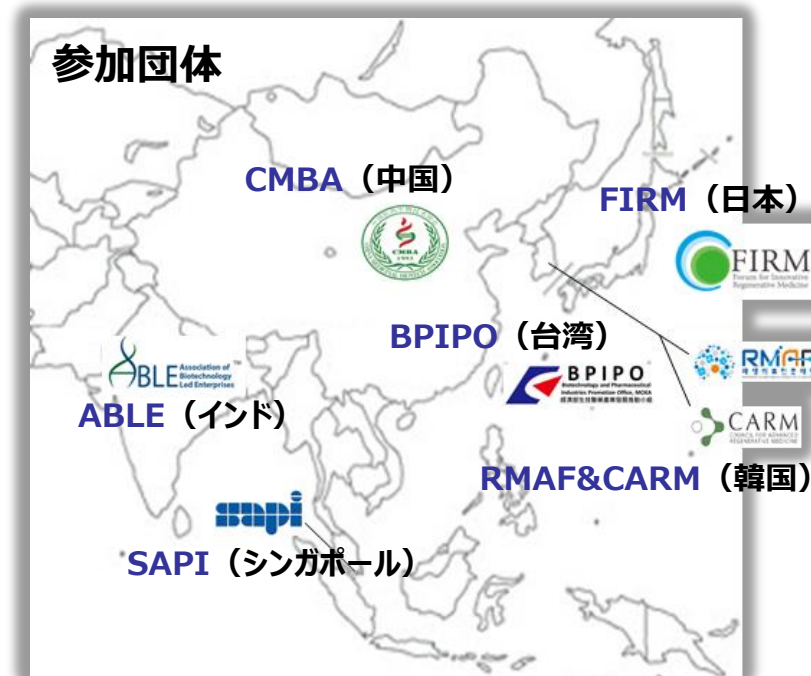
第7回 APACRM: 2024.4.25 (木) に開催日決定!

Lecture : 細胞治療製品の承認申請に向けたCMC関連の留意事項

WG1 : AAV遺伝子治療開発における非臨床データパッケージ

WG3 : AAV遺伝子治療開発の承認申請で考慮すべき点

Topic for Future Activity : 臨床試験を実施する際に考慮すべき点



- ✓ WGのテーマについて、日本及びアジア各国の規制・運用の異同を産学官で共有
- ✓ 会議結果を踏まえて各国の産業界が規制当局と議論し、規制の見直し・運用改善等が図られ、結果として各国の規制が徐々に調和する事を期待

市民への再生医療の啓発活動

FIRMのマスコットキャラクターを制作し、親しみやすさとわかりやすさを追求したFIRMオリジナル動画シリーズ。一般層に見てもらいやすいアニメとインタビュー動画を合わせたコンテンツを制作（2022年度2本制作・配信済）



※動画公開時

第1弾：「どんな病気が治せるの？ 再生医療とは？」

第2弾：「白血球でがんを撃退！？新しい治療法って？」

- ターゲット層（20代～50代）に興味・関心を持ってもらえそうなテーマを選択
- 第1弾を3月、第2弾を5月にFIRM公式YouTubeチャンネルで配信
- 2023年度は3本配信予定（うち2本配信済）

第3弾：「研究所に潜入！万能細胞とは？」

第4弾：「万能細胞を使った治療法とは？」

第5弾：「立体的な組織・臓器を製造？
バイオ3Dプリンターとは（仮）」
1月に収録済、年度内公開予定



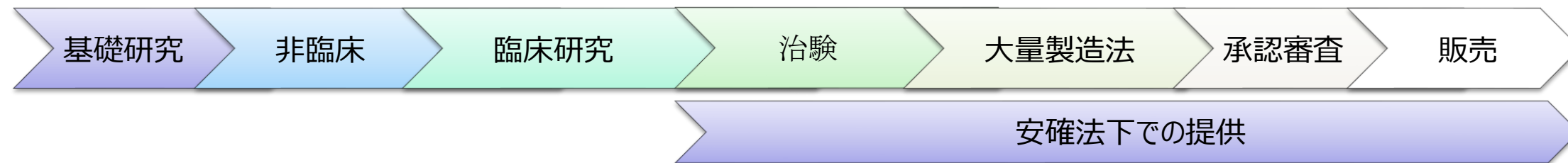
2023年度の活動

- 日本発イノベーションの推進や再生医療産業化の課題等をテーマに、ビジネスパーソンをターゲットにしたデジタルメディア（PIVOT）制作を企画（「再生医療テクノロジー最前線（仮）」）。1月に収録済、年度内に公開予定。
- 事業構想大学院大学「再生医療で描く日本の未来研究会」への参画
- 再生医療学会 広報委員会と連携し、2024年度の企画を検討中



産業化促進につながる人材の育成

再生・細胞医療・遺伝子治療に関わる研究から商用化まで多くの分野で人材が不足している



医療現場のニーズを把握できる人材

製品を製造できる人材

サイエンスと規制を理解できる人材

製造人材をマネジメントできる人材

ルールを熟知し、商用化を見据えたプロセス開発ができる人材

規制当局・各種委員会とサイエンスに基づく交渉ができる人材

2023年度の取り組み

- ✓ 日本再生医療学会と連携し人材育成ニーズの可視化に取り組む
- ✓ 臨床培養技能者制度の普及活動

再生・細胞医療・遺伝子治療の産業化促進につながる人材育成を目指す

第52回再生医療を推進する議員の会 総会

- 「日本における再生医療の現状と、将来の勝ち筋」を議論した前回の議連を受けて、今回は産学の各々の視点から、「再生医療の現状課題」に焦点を当てた講演を行い、課題解決の道筋を議論することとした
- 加藤勝信会長以下、国会議員、行政担当者、再生医療学会の先生方（高橋政代先生、岡田先生、澤先生）、FIRM会員企業など、前回と同様250人以上が参加 <予算審議の為、多くの参議院議員は欠席>

日時 2023年11月28日 16時～17時

場所 衆議院第一議員会館 地下1階大会議室

講演 『再生医療の現状課題と解決への道筋』

登壇者

座長 岡野 栄之 理事長、 畠 賢一郎 副会長

JSRM 金子 新 先生

FIRM 志鷹 義嗣 会長



今回の発表を踏まえ、来年の骨太の方針に向け、再生医療議連の提言を取りまとめて頂く方向で検討中

FIRM活動の方向性

- 製品の多様性に即した規制環境の提案
 - 製品の適切なカテゴライズ
 - ルールオブールの活用
 - 海外との規制調和・わが国の規制の海外への紹介
- 生産関連に関する事項
 - 細胞加工、ベクター製造など生産体制の構築支援
 - サポートインダストリーの事業支援
- 再生医療へのアクセス向上と保険制度
 - 再生医療の普及に向けた課題解決
 - 製品価値・医療価値の適切な評価
- 人材育成
 - 各段階における専門人材の育成
 - 人材の流動化による多様性人材の確保
- スタートアップ支援

For the future development of regenerative medicine



Thank you for your attention



<https://firm.or.jp/>