

※本参考和訳は、FIRMがAlliance for Regenerative Medicine (ARM) およびAlira Healthと実施した調査の英文レポート“Perspectives on Cell & Gene Therapy Development, Manufacturing, and Commercialization In Japan” Oct 7, 2024 (<https://alliancerm.org/cgt-development-japan/>) を、FIRM会員企業有志メンバーが和訳したものです。本参考和訳の作成においては、できる限り正確な訳となるよう努めていますが、利用に際しては原著を正としてご参照ください。

日本における細胞・遺伝子治療の 開発、製造、商業化に関する見解 (参考和訳)

2024年10月7日



調査協力者



再生医療イノベーションフォーラム（FIRM）は、日本における細胞治療、組織工学、遺伝子治療を含む再生医療の産業化を推進するための一般社団法人です。

2011年に設立されたFIRMは、製薬、バイオテクノロジー、製造、輸送、保険など多様な分野からなる約200の企業と個人で構成されています。FIRMは、日本政府および学術機関と緊密に連携し、再生医療製品の安全で一貫した供給を確保することを目的としています。



The Alliance for Regenerative Medicine（ARM）は、細胞工学治療や遺伝子治療が患者や医療システム、社会にもたらす利点を推進する、世界的にリーダーシップを発揮する支援組織です。ARMはこの分野を結集し、政策や実践に関する影響力のある交流を促し、データと分析を通じて対話を進めることで、医療の未来を築くコミュニティを形成しています。患者が持続的で治療可能な先進医療を受けられるよう、医療システムの現代化を図るため、主要なステークホルダーと積極的に連携しています。

この分野のグローバルな代表として、25ヶ国以上にわたる400名以上のメンバーを擁しています。そのメンバーには、新興および確立されたバイオテクノロジー企業、学術および医療研究機関、そして患者が含まれています。



Alira Healthは、患者と連携しながらヘルスケアとライフサイエンスを人間本位にすることを目指す、グローバルなヘルスケア企業です。製薬、バイオテクノロジー、メドテック、産業クライアントの専門知識を補完し、開発から医療分野まで、臨床運営、リアルワールドエビデンス、患者中心の技術提供を含むソリューションのライフサイクル全体にわたるサービスを提供します。

統合された多分野の専門チームは、80名以上の科学者、戦略家、経済学者、臨床医、バイオ統計学者で構成されており、北米や欧州のオフィスで連携しながら、世界のトップ50の製薬・バイオテクノロジー企業の75%、およびトップ50の医療技術企業の80%にアドバイスを提供しています。

調査内容と結果の概要

序文

細胞・遺伝子治療は、健康と医療への活用がようやく理解され始めた革新的な技術である。患者団体、医療機関、医師、その他多くの関係者においても、この技術が、アンメットニーズや負担が大きい疾患に対して利用されることが期待される。

利用可能な細胞・遺伝子治療の数は、市場によって大きく異なる。2024年6月時点で、米国では30種類を超える細胞・遺伝子治療が承認されており、EUでは20種類以上が承認されている。これに対し日本は、米国やEUに比べて遅れており、承認されている細胞・遺伝子治療はわずか19種類である。

The Alliance for Regenerative Medicine (ARM) と再生医療イノベーションフォーラム (FIRM) は、世界中の患者が細胞・遺伝子治療の恩恵を受けられるようにすることを目指している。両団体は、細胞・遺伝子治療が適切な患者に届くように支援するための政策提言を行っている。

調査内容¹

ARMとFIRMは、日本での細胞・遺伝子治療の普及が米国やEUに比べて差がある理由を明らかにするため、共同で調査を行った。この調査では、米国とEUの製薬会社、バイオテクノロジー企業、そして受託製造会社 (CDMO) の幹部を対象に、日本における細胞・遺伝子治療の開発、製造、商業化に対する課題について意見を聞いた。

第1段階

西洋(Western)の経営幹部25名を対象に、開発、製造、商業化に関する一連のテーマについてアンケート調査を実施した。

第2段階

さらに深い知見を得るために、西洋(Western)の幹部5名に対して、詳細なインタビューを実施

注：第2段階でインタビューを受けた経営幹部5名の洞察は、それぞれの企業での経験を反映したものであり、第1段階で幅広い回答者から得られた洞察とは異なる場合があります。

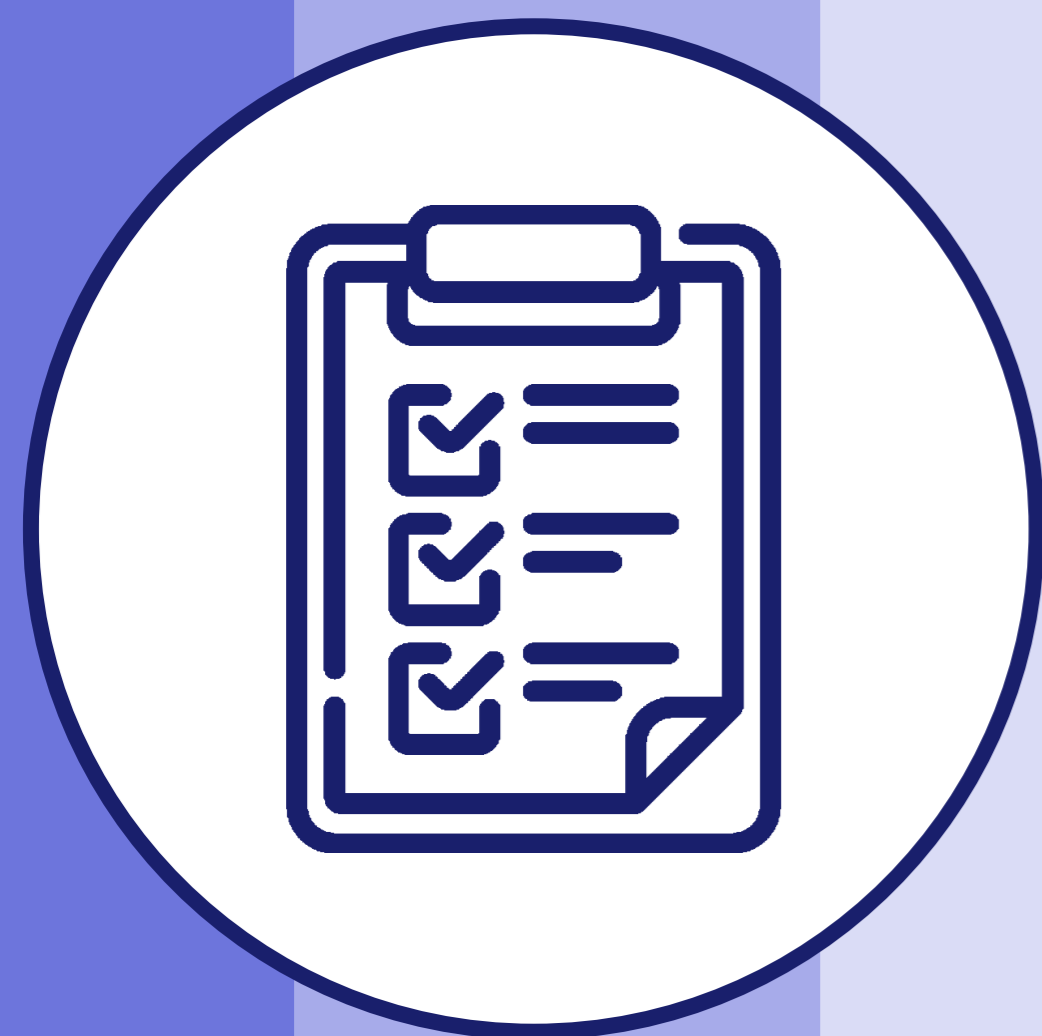
主な調査結果

今回の調査では、日本における細胞・遺伝子治療開発に関連する課題と機会に焦点を当てています。主な調査結果として、改善の余地があり、市場の潜在的なメリットも明確になりました。

1. **日本の薬事規制等の申請承認プロセスは複雑であり、多くの細胞・遺伝子治療の開発者は、日本市場への参入において、規制プロセスへの不慣れや要件の特殊性、全体的なタイムラインの長さが高い障壁であると感じています。²**
2. **細胞・遺伝子治療の開発と商業化を日本で成功させるためには、市場を攻略するための現地の専門知識が不可欠です。**海外の細胞・遺伝子治療開発者は通常、日本の製薬企業と提携するか、日本に関連企業または現地法人を設立して対応しています。
3. **細胞・遺伝子治療の迅速な市場参入を目指す小規模なバイオテクノロジー企業は、日本の規制上のハードルや物流面での課題に直面し、日本を第2または第3の市場と位置づける場合があります。**これに対し、大手製薬企業は豊富なリソースを活用し、日本の規制環境や開発プロセスを円滑に進めるための十分な準備が整っています。
4. **日本は潜在的に望ましい保険償還環境を提供しており、細胞・遺伝子治療開発者に利益をもたらす可能性があります。**しかし、市場参入において予想される課題に対処することは不可欠であり、過度な遅延は一部の開発企業が日本市場の優先順位を下げる要因となる可能性があります。余計な遅延をおこす懸念により一部の開発者が日本市場の優先順位を下げる可能性があるため、この点の対策が不可欠です（注：第1段階調査では、設問において日本の保険償還制度と薬価制度が明確に区別されていませんでした）。
5. **希少疾患をターゲットとする一部の細胞・遺伝子治療開発者については、製造プロセス上のリスク管理のために、集中管理されたCMCを好む傾向があり、日本での現地製造の必要性を感じていない場合があります。**しかし、日本のCDMOが信頼できるグローバルパートナーとして活躍する機会は依然としてあります。

1: 調査方法と目的の詳細についてはAppendixを参照

2: 2024年度にPMDAのワシントンD.C.事務所が開設されれば、米国での相談サービスへのアクセスが容易になると期待されます。



バイオ医薬品業界調査での 第1段階の結果

第1段階の研究 & 調査結果の紹介と概要

第1段階の概要

第1段階では、世界中の細胞・遺伝子治療の開発者やCMOを代表する25人の企業幹部が調査に回答した。この調査では、日本での細胞・遺伝子治療の普及が米国やEUに比べて差がある理由を明らかにするため、日本における細胞・遺伝子治療の開発、製造、商業化に関する障壁を探ることを目的とした。¹

回答者の人口統計

従業員が50人から5,000人の細胞・遺伝子治療の開発企業やCMOの中から25人の企業幹部が調査に回答している。回答者の56%は従業員が50～500人、28%は1,000人以上の企業に所属していた。約3分の1は5種類以上の細胞・遺伝子治療を開発中であり、約半数は2～5種類の細胞・遺伝子治療を開発中であった。

主な調査結果

日本には望ましい保険償還環境があり、新しい治療法の開発、製造、商業化をサポートする質の高い労働力が整っているなど、日本市場のさまざまな利点が挙げられた。一方で、回答者は日本で細胞・遺伝子治療を開発・商業化する際に直面する、または日本市場への参入を妨げるいくつかの重要な障壁も指摘した。第1段階の調査結果は以下を含む。

1. 日本の規制プロセスは複雑であり、海外の開発者にはあまり知られていない。さらに、日本の規制プロセスは有効性よりも安全性を重視する傾向があるため、日本での細胞・遺伝子治療開発にとって大きなハードルとなっている。²
2. 日本で製造販売承認を得るには日本人患者を対象とした臨床試験の実施が求められることが大きな障壁となっている。小規模バイオテクノロジー企業にとって、被験者の募集の難しさと限られた予算が相まって、日本での早期細胞・遺伝子治療開発への関心が失われている。³
3. 日本での細胞・遺伝子治療の開発と商業化を成功させるには、日本のパートナーの存在が不可欠であるが、規制プロセス、臨床開発、保険償還制度に精通したパートナー候補の認知度が低いことが現状である。

1: 調査方法と目的の詳細についてはAppendixを参照

5 2: 2024年度にPMDAのワシントンD.C.事務所が開設されれば、米国での相談サービスへのアクセスが容易になると期待されます。

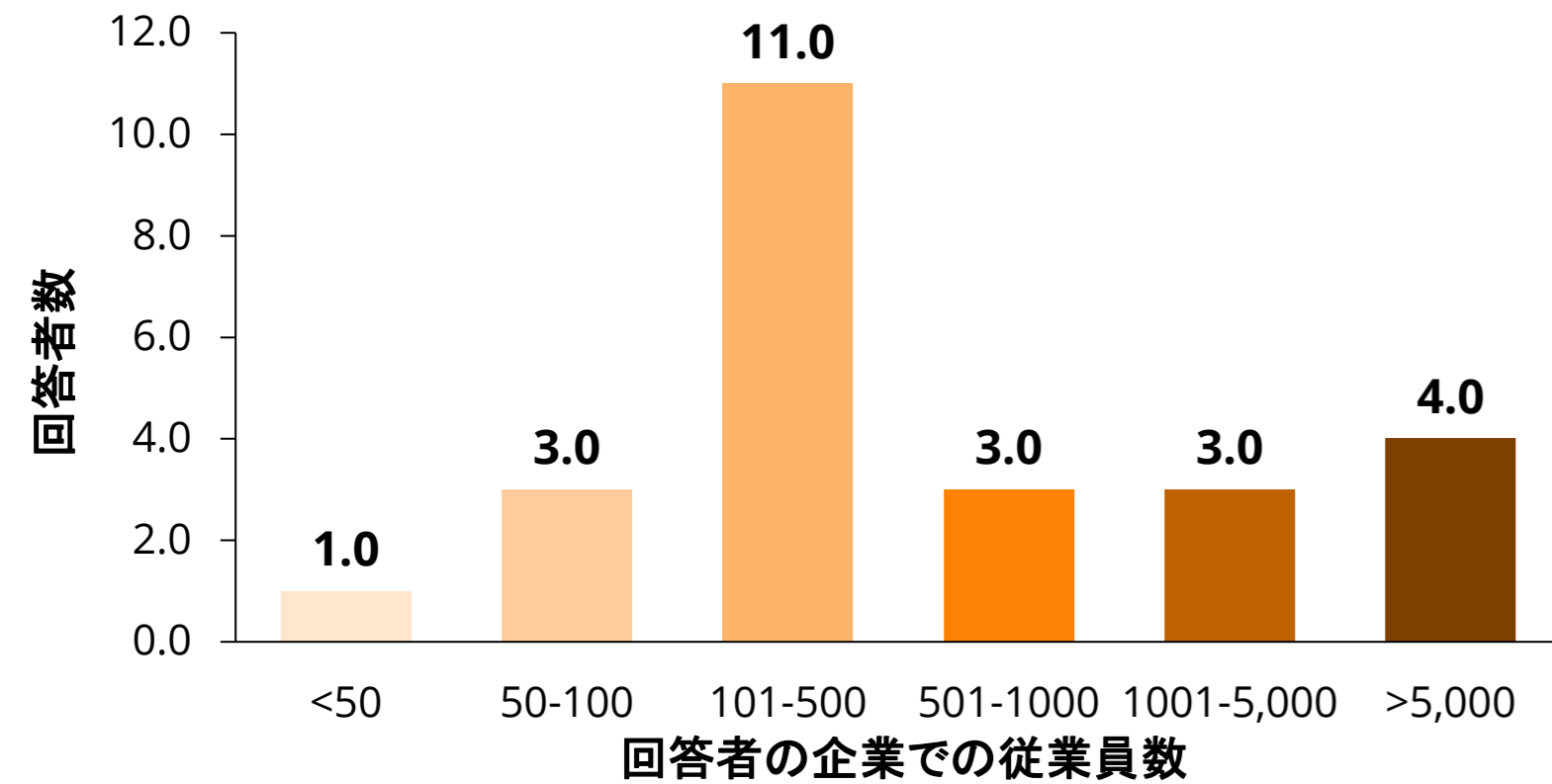
3: この要件は、PMDAにおける承認申請のためのピボタル試験のみに適応され、Phase 1試験には適用されません ([link](#))。

回答者の属性

統計データ：調査回答者25名の企業情報と役職



企業規模



回答者の役職

回答者の役職・役割	回答者数 ¹
経営幹部（経営陣）	21
臨床開発	11
探索と前臨床開発	6
製造	6
営業	6
医療	5
資金調達およびIR（インバスター・リレーションズ）	3

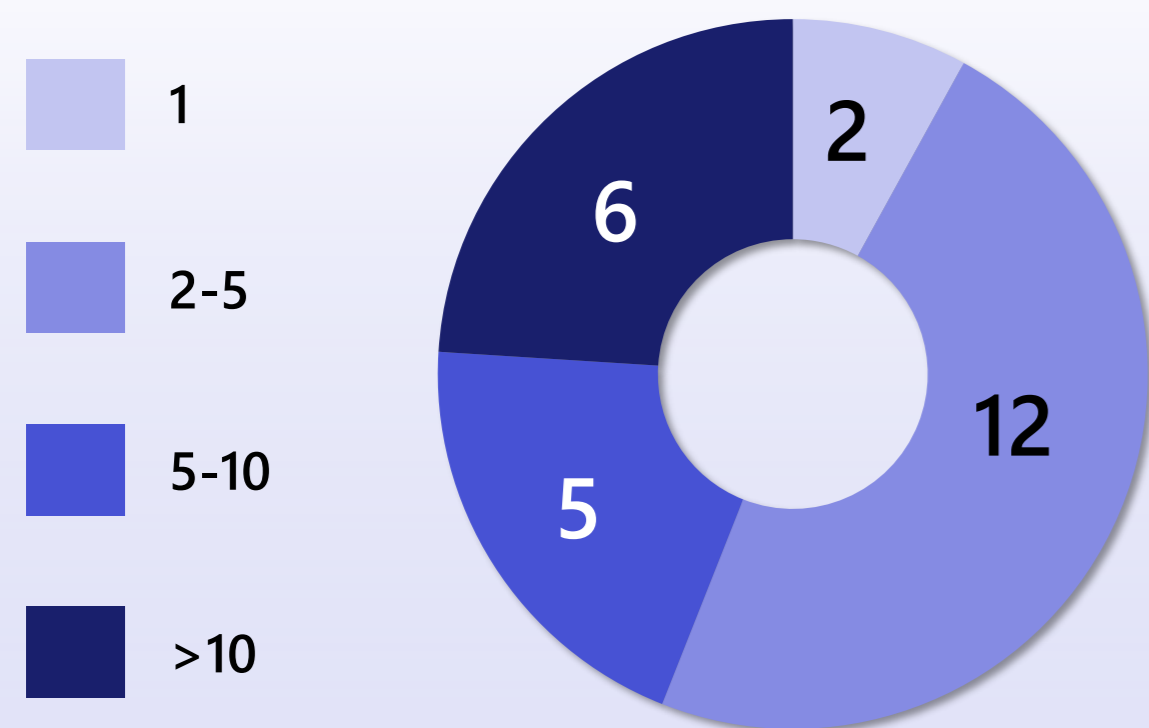


日本市場への関与

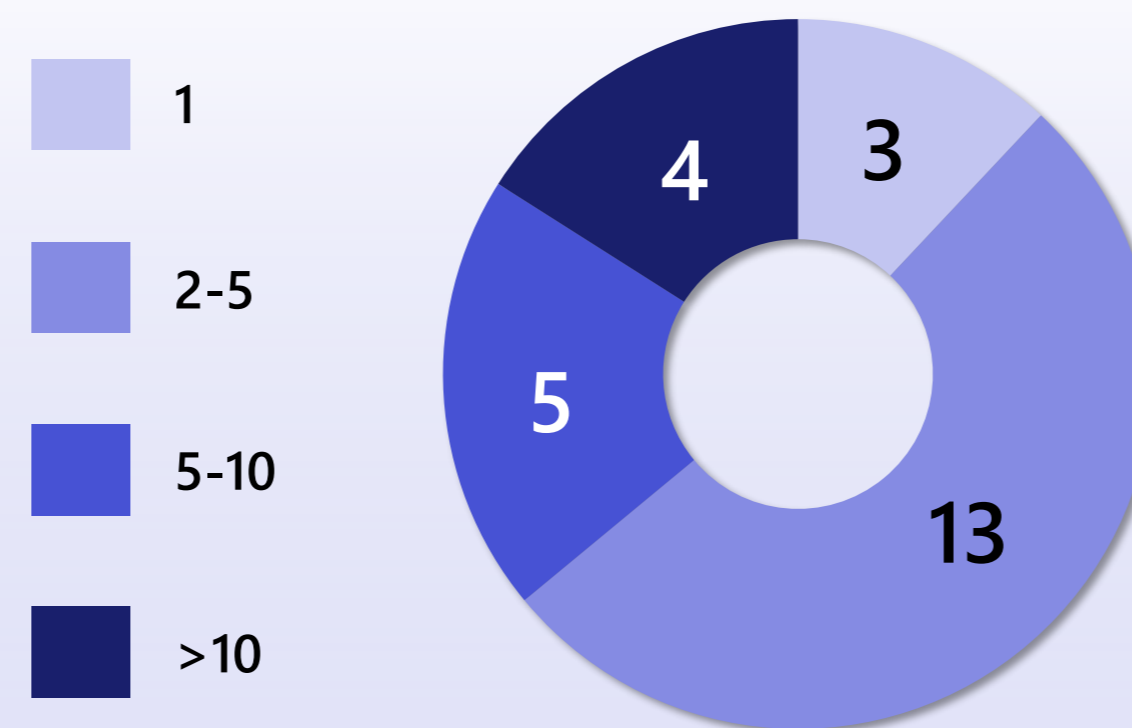
企業が日本市場にどのように関与していますか？	回答者数 ¹
日本での細胞・遺伝子治療上市を検討しているが、現在のところ具体的な計画や提携はない。	9
提携を通じた日本市場での上市を目指して細胞・遺伝子治療を開発中である。	7
細胞・遺伝子治療については、日本で自社にて上市することを目的に開発中である。	6
日本で承認された製品を自社販売している。	4
日本で承認された製品をパートナーリングを通じて販売している。	2
日本での細胞・遺伝子治療開発計画はない。	2

対象企業での臨床段階および商業段階の資産

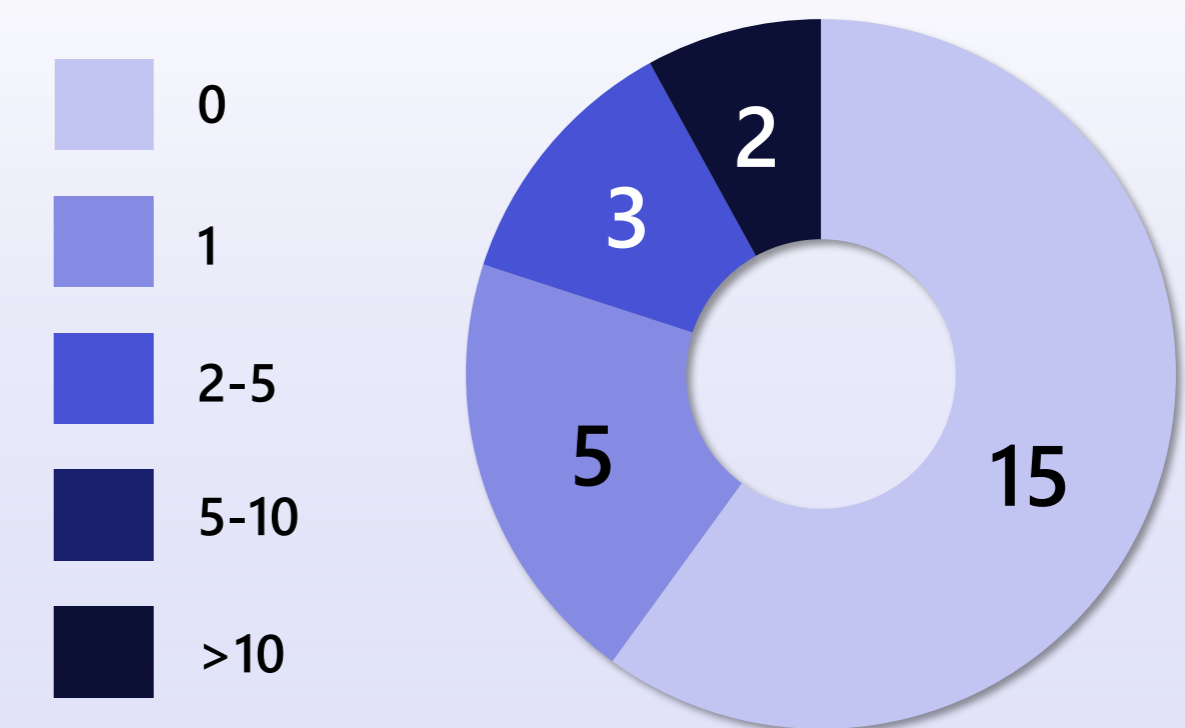
現在開発中のプログラムの数



現在開発中の細胞・遺伝子治療の数



承認済み治療法の数



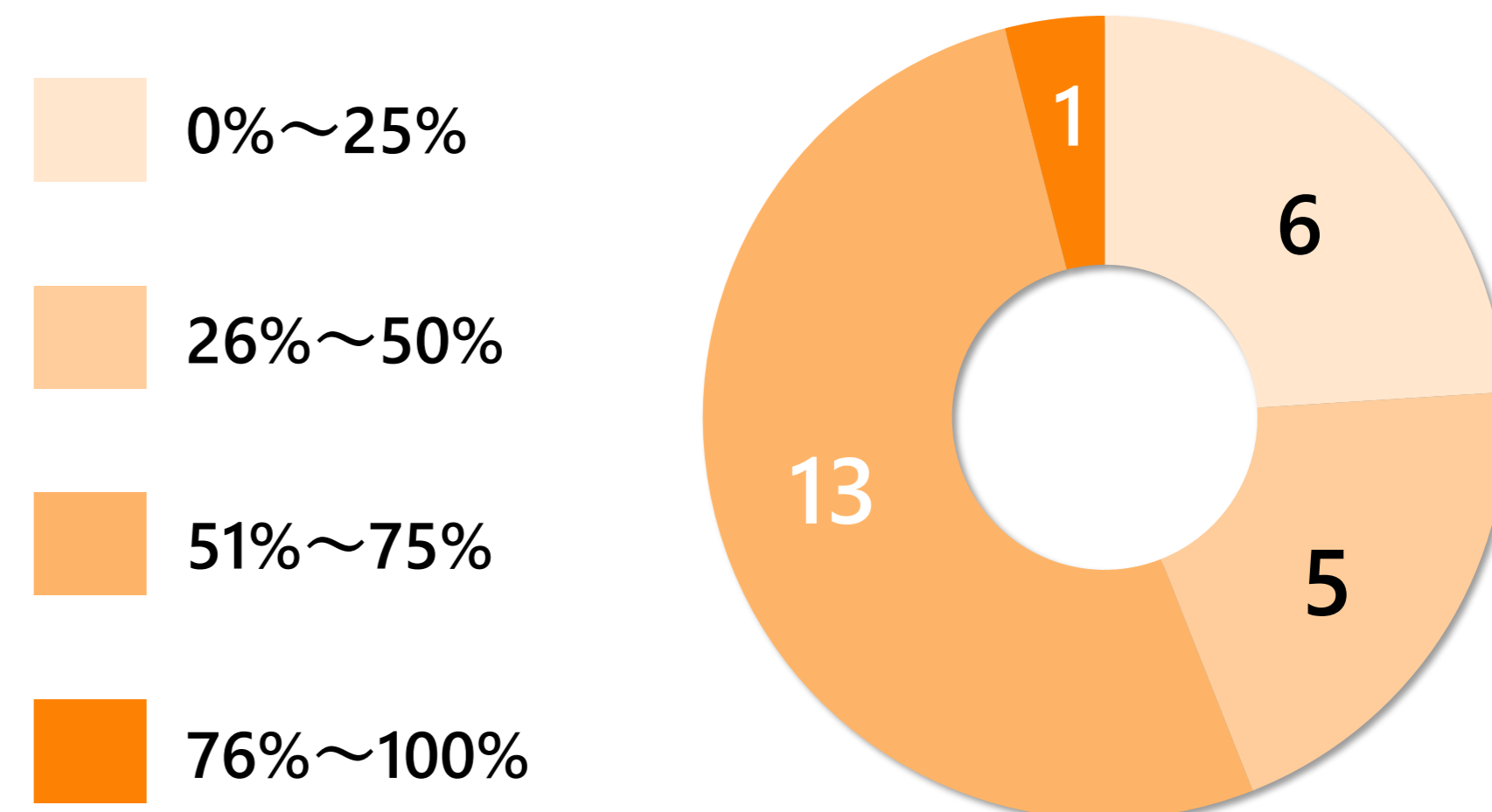
1:回答者は複数の選択肢を選択できる。

統計データ：25名の調査回答者からの研究開発予算情報

回答者の総研究開発予算



研究開発予算における臨床開発費 (%)



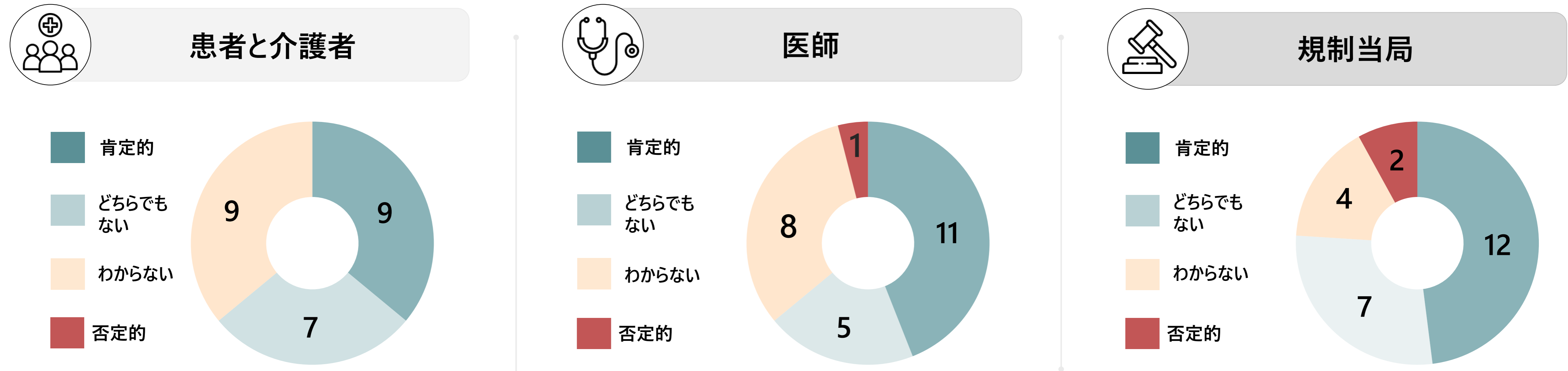
研究開発予算は今後3年間でどのように変化すると予想しますか	回答者数
予算総額が大幅に増加することが予想される。	4
予算総額が増加することが予想される。	9
予算総額は変わらないと予想される。	9
予算総額が減少することが予想される。	2
予算総額が大幅に減少することが予想される。	1

日本市場の動向とビジネスチャンスに対する認識

細胞・遺伝子治療に関する患者、介護者、医師、規制当局の認識が一般的に「肯定的」または「どちらでもない」として開発者は考えています

質問17、18、19：

貴方の経験から、日本の患者と介護者、医師、規制当局は細胞・遺伝子治療についてどのように認識していますか？



否定的な認識に関する回答者のコメントの概要

患者と介護者が細胞・遺伝子治療に対して否定的な認識を持っているとの見方は、どの回答者からありません。

- 日本の医師の間では、一般的に**薬効よりも安全性を重視する傾向**があります。このため、細胞・遺伝子治療のように高い効果が認められながらも安全性に課題がある治療法には障壁が存在します。

- アデノ随伴ウイルスおよび遺伝子編集に関する認識は、細胞治療と比較して低い。
- 日本における細胞・遺伝子治療の承認プロセスは、他の先進市場と比較して長い。
- 日本の規制タイムラインが長いことは、早期臨床データに対するリスク軽減の取り組みに逆行しています。

多くの回答者は臨床開発と保険償還について、他の先進市場と同様であると捉えていますが、一部の回答者は日本の開発における重要な課題を指摘しています

質問16b :

細胞・遺伝子治療の臨床開発に基づいて日本市場の魅力进行评估してください。

評価の選択肢	回答者数
他の先進市場よりもずっと優れている。	0
他の先進市場よりも優れている。	4
他の先進市場と同様である。	15
他の先進市場よりも劣っている。	6
他の先進市場よりもずっと劣っている。	0

課題と改善の提案

「日本には高度な治療を行うために必要な救急救命病床が限られています。これらの治療に関する日本の臨床経験も他の先進市場に比べて少ないため、日本で臨床試験を実施することに対する懸念につながっています」
- VP、細胞・遺伝子治療 & 生物製剤技術責任者 [CDMO]

「希少遺伝性疾患の患者を診断したり、希少疾患や細胞・遺伝子治療に関する臨床研究の基準を満たす被験者を見つけることは、米国を含むどの国や地域でもすでに困難です。しかし、私の認識では、日本ではさらに困難であると感じています」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「規制要件のグローバルな調和、または少なくとも日本の要件を米国や英国の要件と調和させることは有益です」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

質問16c :

細胞・遺伝子治療へのアクセス管理と適正な価格での保険償還に基づいて日本市場の魅力进行评估してください。

評価の選択肢	回答者数
他の先進市場よりもずっと優れている。	0
他の先進市場よりも優れている。	9
他の先進市場と同様である。	14
他の先進市場よりも劣っている。	2
他の先進市場よりもずっと劣っている。	0

日本のアクセスと保険償還が他の先進市場に比べて劣ると考える回答者2名が、自分たちの製品の償還額が、米国などの他の市場と比べて日本では低くなると予想していると述べています。

PMDAがリスクマネジメントと安全性に重きを置いていることによる日本での細胞・遺伝子治療開発における課題：カルタヘナ法は依然として障壁のひとつとなっています

質問 16a：

細胞・遺伝子治療関連の規制プロセスと負担（申請の容易さ、PMDAとの対話のしやすさなど）に基づいて日本市場の魅力の評価してください。

評価の選択肢	回答者数
他の先進市場よりもずっと優れている。	0
他の先進市場よりも優れている。	5
他の先進市場と同様である。	13
他の先進市場よりも劣っている。	7
他の先進市場よりもずっと劣っている。	0

課題と改善の提案

「PMDAはリスクに関して常にかなり保守的であり、リスクに対するアプローチを現代化することが望まれます。日本では先駆的治療分野の人材が不足しており、このことが当該分野の専門家を招き入れるPMDAの能力に影響を与えています。」
- VP、技術責任者 [CDMO]

「細胞治療の製造コストは高いです。スケールメリットを出すことが長期的にコストを現実的なものにする唯一の要素ですが、多くの細胞治療は、オーファンまたはウルトラオーファンの疾患を対象としています。」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「長期の安全性報告を求めることは非常に難しいかもしれません。また、安全性を最優先するという現在のアプローチは、細胞・遺伝子治療に期待される製品価値とは必ずしも一致しないかもしれません。」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

質問 25：

カルタヘナ法や生物由来原料基準などの規制の枠組みは、日本における細胞・遺伝子治療の開発の魅力に影響を及ぼしますか？



8



17

「これらの追加的な障壁は規制手続きの進行を遅らせるため、開発のタイムラインが延びることになります」

- CEO [バイオテクノロジー企業]

「採用される（すなわち、規制プロセスが簡素化される）場合、より魅力的です」

- COO & CTO [バイオテクノロジー企業]

「原材料およびCMCプロセスの適格性評価はさらに複雑です」

- 上級VP [大手製薬会社]

日本市場は大きなビジネスチャンスを有しているが、多くの解決すべき障壁があります。商業的に成功した細胞・遺伝子治療の事例が示されれば、日本での新薬の上市や市場投入への関心が高まります

質問 16d :

以下の観点で、日本市場の魅力度を評価してください:
細胞・遺伝子治療の市場投入のしやすさ

評価の選択肢	回答者数
他の先進市場よりもずっと優れている。	0
他の先進市場よりも優れている。	3
他の先進市場と同様である。	18
他の先進市場よりも劣っている。	4
他の先進市場よりもずっと劣っている。	0

課題と改善の提案

「言語の問題もあり、文化的な理由から、**現地の日本人の協力が不可欠です**」
- COO [バイオテクノロジー企業]

「日本は、理論的には大きく魅力的な市場ですが、実際には『日本 + 中国 + APACへのアクセスをどうするか』という広い視点で考えることが多いです。多くの小規模企業は、複数のグローバルなパートナーシップを見つけて管理することは望まないかもしれません。」

「細胞・遺伝子治療の商業的成功例は、全般的に少なく、日本においても同様であるため、インセンティブが低下しています。また、製品の開発と市場アクセスを加速するために制定された『先駆け審査制度』を活用した細胞・遺伝子治療の成功例も、私の知る限りそれほど多くはないか」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「細胞・遺伝子治療がどのように処方され、保険でカバーされ、**日本の患者にどのように受け止められているかをより理解できれば、もっと興味を持つでしょう**」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

質問 16f :

以下の観点で、日本市場の魅力度を評価してください:
細胞・遺伝子治療の市場機会

評価の選択肢	回答者数
他の先進市場よりもずっと優れている。	0
他の先進市場よりも優れている。	8
他の先進市場と同様である。	12
他の先進市場よりも劣っている。	5
他の先進市場よりもずっと劣っている。	0

課題と改善の提案

「日本での細胞・遺伝子治療の成長に関する具体的な実態やデータが示されれば、市場機会に対してもっと興味を持つでしょう。」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「日本は理論的には細胞・遺伝子治療にとって世界で最も魅力的な国の一つであるはずですが、実際にはその機会を実現するための障壁があるように感じます。以下のような大きな成功事例を日本で見てみたいと考えています。(1) 細胞・遺伝子治療企業や製品候補が米国や欧州よりも早く日本で治験申請が承認され、最初の患者への投与が行われること、(2) 細胞・遺伝子治療が米国や欧州と同時、もしくはそれより早く日本で承認を得ること、(3) 日本で細胞・遺伝子治療が商業的に成功すること、(4) 日本が早期に開発に関与し、細胞・遺伝子治療のイノベーター企業に対して重要で希釈されない資本を提供するパートナーシップが成立すること、など。」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

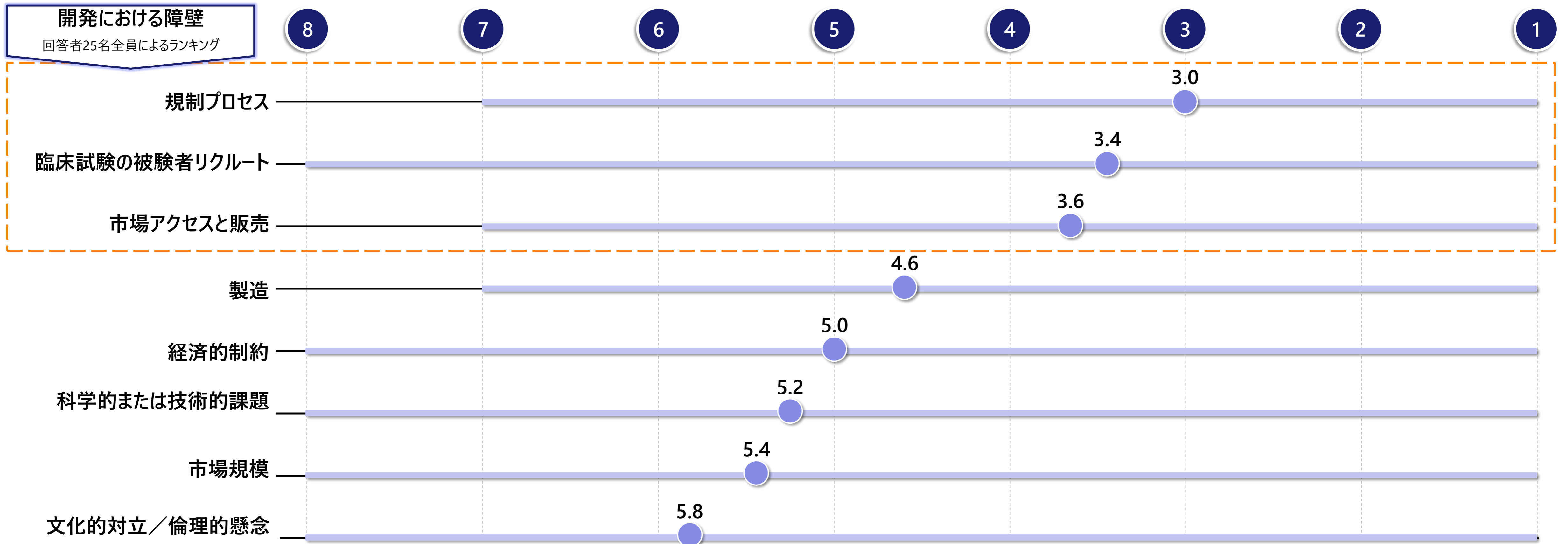
「日本は市場規模が小さく、製造オプションも限られていますが、高齢化が進んでいるため、治療の需要が増える点で魅力的だと考える人が多いです。」
- VP [CDMO]

戦略的パートナーシップ、文化的な違い、および日本における 細胞・遺伝子治療の開発に対する障壁

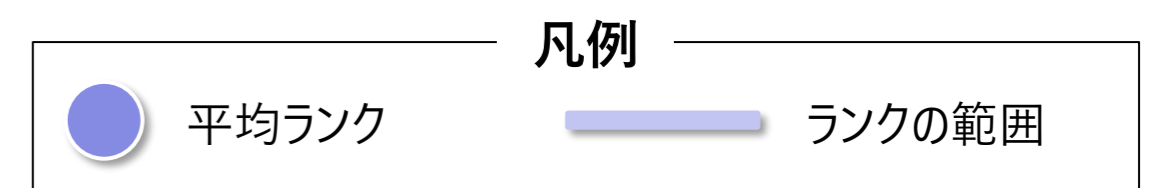
規制プロセス、臨床試験の被験者リクルート、市場アクセスと販売が日本における開発の最大の障壁です

質問 21：

日本における細胞・遺伝子治療開発における最大の障壁は何だと思いますか？



1 は最も悪い数値ランク（最高の障壁）であり、8 は最も良い数値ランク（最低の障壁）です。



リスク回避における文化的な違いと、言語の課題が、小規模バイオテクノロジー企業による細胞・遺伝子治療の開発において障壁となります

質問 26 :

日本で細胞・遺伝子治療を開発し、販売する上で、文化的または言語的な障壁があると感じますか？



14



11

認識される文化的および言語的障壁

「これらは大きな障壁であるとは思わないが、小規模な企業にとっては異なる文化的期待や規範が存在し、現時点での進出は困難です。市場に参入するためにはパートナーが必要です」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「すべてが非常に人間関係に依存しており、日本のパートナーとつながるのは難しい」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「我々は日本のパートナーとの提携交渉を進めており、その進展が遅れています（数ヶ月から数年かかっている）。また、全てのリスクを回避しようとするところがあり、これは細胞・遺伝子治療バイオテクノロジー企業とはうまく調和していません」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「日本の学術機関やバイオテクノロジー企業との協力は、西洋のパートナーとの協力とは大きく異なります。例えば、コラボレーションするには、著しく多くの時間と事前の準備が必要です」
- 上級VP [大手製薬会社]

「日本は文化的にやや保守的であり、安全性とリスク回避を重視する傾向があります」
- COO [バイオテクノロジー企業]

回答者は高い頻度で（8 個の意見）、日本における細胞・遺伝子治療の開発・販売の第一の障壁として、コミュニケーションや言語の違いを挙げました。

質問 20 :

日本における細胞・遺伝子治療の開発、製造、商業化において、特に障壁となるステークホルダーは存在すると思いますか？



7



3



15¹

障害を呈するステークホルダー

「規制のアプローチは現代的ですが、プロセスが遅い場合が多く、停滞しています」
- COO/CTO [バイオテクノロジー企業]

「一部の日本企業は規制当局や医師よりも保守的です。言語や文化的な理由から、日本でのパートナーシップが重要です」
- COO [バイオテクノロジー企業]

「米国、カナダ、欧州、オーストラリア／ニュージーランドには、細胞・遺伝子治療の要件に精通したバイオテクノロジー企業の専門家、コンサルタント、CROがより多く存在し、小規模なバイオテクノロジー企業をサポートすることができますが、日本にはあまり多くなく、これがさらなる障壁となります」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「遺伝性疾患に対する社会的偏見が根強く存在しており、その結果、患者が前向きに対処する意欲や遺伝子検査・遺伝カウンセリングを受ける意欲が損なわれています」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

回答者からは、日本政府、規制当局、患者がいずれも日本での開発の障壁となるステークホルダーとして挙げられました。

1:調査の回答選択肢は「わからない／知らない」でした。

海外の医薬品開発者が、日本の文化や医薬品開発の状況を不自由なく操るためには、日本の臨床および規制に関する専門知識を持つパートナーが必要です

質問 16g :

以下の観点で、日本市場の魅力度を評価してください:
細胞・遺伝子治療の開発、製造、商業化をサポートする強力なパートナーについて

評価の選択肢	回答者数
他の先進市場よりもずっと優れている。	0
他の先進市場よりも優れている。	4
他の先進市場と同様である。	15
他の先進市場よりも劣っている。	6
他の先進市場よりもずっと劣っている。	0

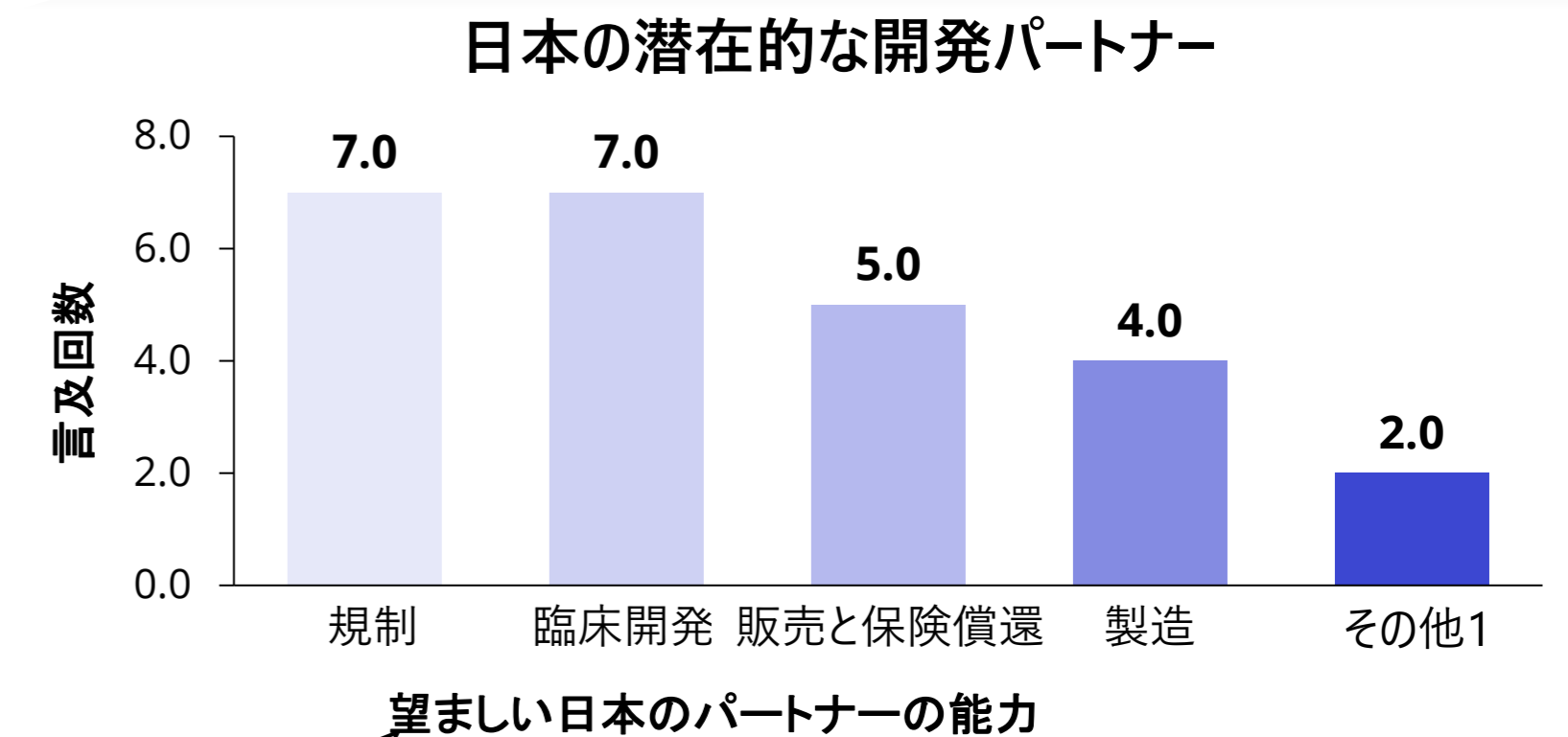
日本のパートナーにおける弱点と改善点

「臨床経験の深さや製造オプションの少なさについて懸念されています。製造オプションが限られているため、対応可能な人材に隔たりがあります」
- VP、細胞・遺伝子治療 & 生物製剤技術責任者 [CDMO]

「日本のパートナーの多くは、プログラムが承認申請試験に進むまでは関与したくないと考えています。しかし、それは小規模なバイオテックのロジック企業が、情報が限られた市場で初期段階の開発を自力で進め、資金を調達しなければならないことを意味します。特に、PMDA（医薬品医療機器総合機構）は、承認のために日本人患者を登録試験に組み入れることを要求しているためです」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

質問 22 :

日本で治療法を開発、製造、販売するためには、どのようなパートナーが必要ですか？ どのような能力を求めていますか？



「販売、臨床、そして規制に関する経験を持つパートナーが必要です」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「米国から日本に進出するためには、我々のためにこの市場を開拓しようとする事業開発パートナーが必要です」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「日本の医療慣習、規制、保険制度の複雑さやニュアンス、違いを理解し、対応できる現地のスタッフが必要です。」
- VP、規制および科学関連事項 [バイオテクノロジー企業]

日本の製造業の労働力に対する中立・肯定的な意見があるにもかかわらず、投資コストと潜在的な市場チャンスが釣り合わないため、日本での製造には慎重です

質問 16e :

細胞・遺伝子治療の製造能力に基づいて日本市場の魅力を評価してください。

評価の選択肢	回答者数
他の先進市場よりもずっと優れている。	0
他の先進市場よりも優れている。	3
他の先進市場と同様である。	16
他の先進市場よりも劣っている。	6
他の先進市場よりもずっと劣っている。	0

課題と改善の提案

“

「現在の中央拠点集約型の製造スキームは、自家療法において物流的な課題があります」
- VP、規制および科学関連事項 [バイオテクノロジー企業]

患者数が限られる疾患領域では、製造拠点を構築することが合理的でない場合もあります。日本には、他国からの出荷に例外が必要となる特定の仕様があり、疾患領域によっては、現地で製造することが最適とは限りません。
- CEO [バイオテクノロジー企業]

自社施設を建設する以外には現地製造の選択肢は限られているが、製造スタッフのラーニングカーブの立ち上がりは迅速である。
- VP、細胞・遺伝子治療 & 生物製剤技術責任者 [CDMO]

”

3名の回答者が、経験や専門知識を持つCMOの不足が日本での製造に対する障壁であると回答しています。

質問 23 :

細胞・遺伝子治療の開発、製造、商業化における日本の労働力の質をどのように認識していますか？

評価の選択肢	回答者数
他の先進市場を大きく上回る。	3
他の先進市場を上回る。	6
他の先進市場と同様である。	15
他の先進市場を下回る。	1
他の先進市場を大きく下回る。	0

全体として、回答者の大多数は、日本の労働力の質が、細胞・遺伝子治療の開発、製造、商業化に関して、他の先進市場と類似していると認識しています。9名の回答者が、日本の労働力が開発、製造、商業化において、より優れている、と考えています。

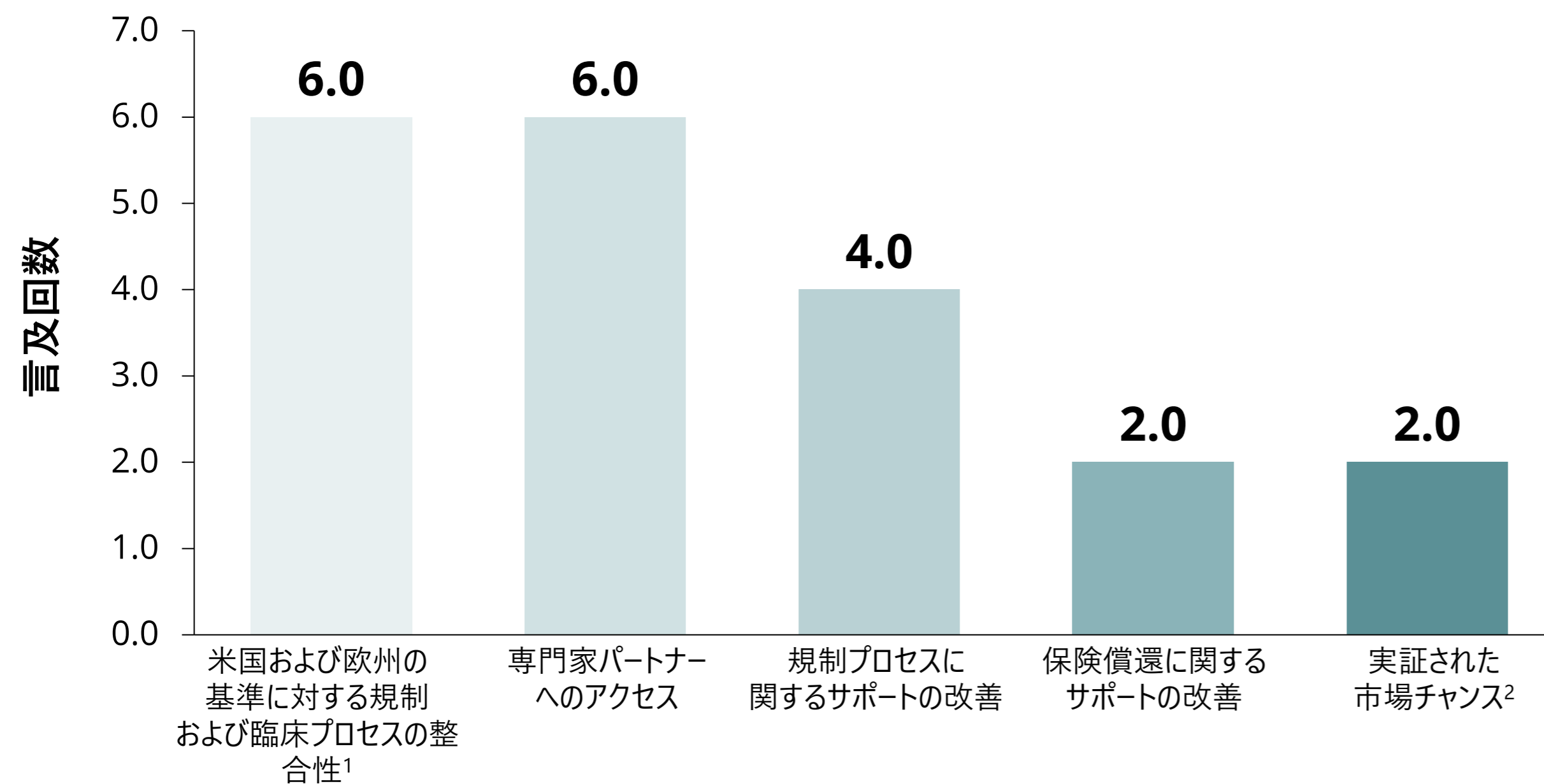
日本における細胞・遺伝子治療の開発を促進するために サポートが必要な領域

日本は細胞・遺伝子治療の開発において有望なチャンスを提供しているが、米国やEUの開発者は、日本での開発を進める前に規制及び臨床プロセスに適合し、専門的なパートナーへアクセスすることを望んでいます

質問 27：

日本における細胞・遺伝子治療の開発、製造、販売を貴社にとってより魅力的なものにするために、変更すべき重要な点は何でしょうか？

日本市場の魅力をも高めるための主な変更点とサポートが必要な領域



主な変更点およびサポート分野

「細胞・遺伝子治療に対して活発な市場が存在し、強い成長が期待されています。また、細胞・遺伝子治療にとって規制およびアクセス環境が有利であると考えする必要があります」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「外国での製造と、日本人以外の臨床データの利用を許容すること」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「現地パートナーの存在が重要になります」
- 上級VP [大手製薬会社]

「パートナーへのアクセス、経営陣に対する規制プロセスの明確さ、米国／欧州の臨床データを活用する能力・・・です」
- CEO [バイオテクノロジー企業]

「米国向けの承認申請資料を追加の作業や時間を要さず日本向けに利用できるようにすること」
- COO/CTO [バイオテクノロジー企業]

1: 例えば、米国の治験データを用いて日本での申請をサポートすることを許可することです。
2: 例えば、日本で成功している他の細胞・遺伝子治療の事例を参照することです。



バイオ医薬品企業に対する 深掘インタビューによる 第2段階の結果

第2段階の研究 & 調査結果の紹介と概要

第2段階の概要

第2段階の調査では、第1段階の調査結果をより深く理解し、日本における細胞・遺伝子治療の開発、製造、及び商業化について認識されている障壁をさらに調査するために、5名の回答者にインタビューしました。

回答者の人口統計

米国、EU、オーストラリアに拠点を置く製薬企業およびバイオテクノロジー企業の幹部5名にオンラインでインタビューしました。回答者のうち、3名は従業員101～500名の企業に、1名は従業員501～5,000名の企業に、1名は従業員5,000名以上の企業に勤務しています。1社は日本で承認済みの製品を持っており、3社は提携を通じて日本での発売を予定し、1社は将来的に日本での発売を検討しています。

主な調査結果

1. 日本の規制プロセスは複雑で、タイムラインも長いため、特にリソースが限られ、迅速な市場投入を優先するバイオテクノロジー企業にとって、日本は細胞・遺伝子治療開発の第2または第3の市場になることがあります。大手製薬企業は豊富な経験とリソースを備えており、規制上の課題を乗り越える体制が整っています。このことから、大手製薬企業とバイオテクノロジー企業の市場アプローチの主な違いが浮き彫りになっています。
2. 日本に拠点を置く、関連する治療分野と日本の規制プロセスに精通した企業や提携先との包括的なパートナーシップは、日本での開発に非常に有利です。大手製薬企業は日本で既に事業を展開しており、パートナーシップを確立することは小規模なバイオテクノロジー企業よりも障壁が低いと感じるかもしれません。
3. 一部の細胞・遺伝子治療開発者にとっては、需要が限られており、集中製造管理に重点を置いているため、日本での製造をあまり必要としない可能性があります。ただし、限られたモダリティと希少疾患集団に焦点を当てた5件のインタビューから得られた知見は、日本での細胞・遺伝子治療開発に関する幅広い意見を十分に反映していない可能性があります。日本のCDMOが信頼できるローカルおよびグローバルパートナーになる機会は依然として存在します。
4. 米国以外の地域と同様に、1回限りの治療法の価格設定や為替変動が課題となる可能性があります。価格設定と市場アクセスに関連するいくつかの課題を回答者は予測しており、合理的な商業化を促進するためにこれらに対処する必要があります。日本は新しい治療法に関して、世界市場での価格設定の傾向に沿っていると認識されていますが、米国以外の地域と同様に、1回限りの治療法の価格設定や為替変動が課題となる可能性があります。

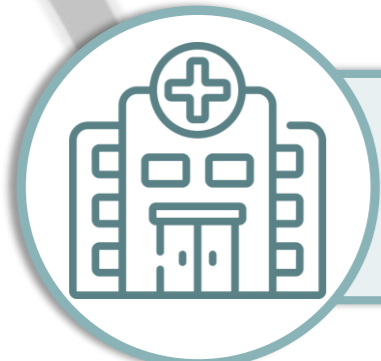
日本は世界的にもアジア太平洋地域においても非常に魅力的な市場ですが、大きな参入障壁が存在します



価格設定 & アクセス

日本は他のアジア太平洋諸国に比べて償還率が比較的高いため、経済的に魅力的です。

規制環境は厳しいものの、市場へのアクセスの明確な道筋を提供しています。



医療体制

日本では、高度に発達した医療体制と革新的な治療法の開発・導入を支えるインフラが確立されています。



市場機会

日本では人口の高齢化が進んでおり、希少疾患や遺伝性疾患の発症率も高くなっています。このため、特殊な細胞・遺伝子治療の一大市場が形成されています。



知的財産

日本は、強力な知的財産の枠組みと高い信頼性で知られており、知的財産問題がより深刻化している他の世界市場とは一線を画しています。



大手製薬企業 vs. バイオテクノロジー企業

- 日本は、細胞・遺伝子治療の開発者にとって、全体的に魅力的である市場機会を提供しています。
- 大手製薬企業は、日本のシステムの複雑さを克服するための体制を整え、開発をサポートする現地の専門家と提携したり、パートナーネットワークを構築したりしています。
- 初期段階のバイオテクノロジー企業は、ビジネスモデルにおいて迅速な市場投入を優先していますが、日本は魅力的な市場である一方で、規制プロセスの長さが障壁となっています。

日本の規制プロセスは長い時間と手間がかかるため、特に時間とリソースが限られている初期段階のバイオテクノロジー企業にとって負担が大きいです

規制タイムラインの課題



日本人患者のリクルートと治療は可能ですが、特に患者由来の細胞を必要とする細胞・遺伝子治療においては、関連するコストや複雑さが大きな課題となり、より長い時間がかかります。



GMO承認プロセス、特にAAVベクターの承認プロセスは、体内に最終的なAAVがほとんど存在しないことが実証されている場合でも、長期化する傾向があります。



遺伝子編集やin vivo治療に対する厳格な要件と高いエビデンス基準は、承認までの期間を延長させる一因となっています。



日本の厳格な安全性およびリスク管理基準は、否定的に捉えられているわけではありませんが、承認プロセスの全体的な複雑さと時間に影響を及ぼします。

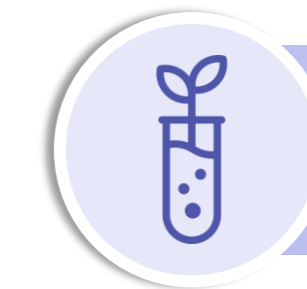
日本の細胞・遺伝子治療開発への影響

日本での開発期間の延長が、細胞・遺伝子治療開発者にとって日本市場を第2または第3の市場と位置づけさせ、世界的な開発の優先順位に影響を及ぼし、市場参入を遅らせている



大手製薬企業

- 大手製薬企業は、確立されたインフラと豊富な資金力を活かし、日本での長期的な開発スケジュールをより効果的に管理できます。
- 複雑な規制やその他の課題は、依然としてグローバルな開発戦略や市場の優先順位付けに影響を及ぼす障壁となっています。



バイオテクノロジー企業

- 日本の規制タイムラインは、迅速で反復的な開発サイクルに依存するため、限られた時間とリソースで運営されることが多いバイオテクノロジー企業にとって大きな障害となります。
- 承認プロセスの遅延は、バイオテクノロジー企業が細胞・遺伝子治療を迅速に市場に投入する能力を低下させ、競争力や財務安定性が損なわれる可能性があります。

これまで細胞・遺伝子治療開発を牽引してきたバイオテクノロジー企業は、日本での開発に対して高い障壁に直面しており、その結果、日本での細胞・遺伝子治療に関する「ラグ」が生じています。一方で、大手製薬企業は、ますます細胞・遺伝子治療開発に参入しており、その豊富なリソースを活用して革新的な細胞・遺伝子治療の日本市場への導入を加速させる可能性があります。

日本で細胞・遺伝子治療を開発し、商業化するためには、日本に拠点を持つ専門パートナーや提携先が不可欠です

パートナーシップに関する重要な考慮事項



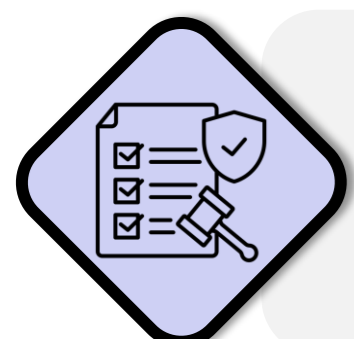
専門知識

日本のパートナーは、対象となる治療分野や細胞・遺伝子治療、さらに日本での現地事業に関する専門知識を有している必要があります。初期段階のバイオテクノロジー企業の場合、現地のパートナーのほうが、日本で事業を展開している米国企業よりも好まれます。



言語と文化の適合性

言語の壁を取り除き、企業文化の適合性を確保することが重要です。開発者とパートナーの間で、効果的かつ効率的なコミュニケーションと双方向の信頼を築く必要があります。



規制ナビゲーション

パートナーは、米国やEUでの申請書類を日本の規制枠組みに適合させて提出できる能力が求められます。また、臨床開発や商業化に関するサポートも提供できることが望まれます。



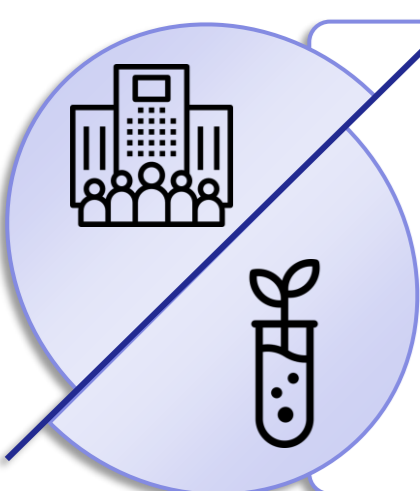
日本以外へのサポート

中国、韓国、シンガポールなどを含むAPAC地域全体での開発と商業化の拡大をサポートできるパートナーは非常に有利です。

ビジネス会議での通訳がコミュニケーションの時間を大幅に延ばし、プロセスと効率を大きく阻害する可能性がありますと指摘しています。

日本の細胞・遺伝子治療に関する規制プロセスには独自の基準と安全要件があるため、特別なアプローチが必要であると強調しています。他国の申請資料を日本の規制に適合させる専門知識を持つパートナーが強く求められています。

大手製薬企業 vs. バイオテクノロジー企業



- 資金や資金繰りに余裕のない小規模なバイオテクノロジー企業にとって、パートナーシップは、財務および事業実施における追加負担となることがあります。一方で、大手製薬企業は、日本で提携するためのパートナーや資本を既に有しているケースが多いです。
- 現地でのパートナーシップの必要性は、パートナーシップが不要な米国以外の地域とは異なり、日本特有の機能上の課題を招きます。このハードルは、日本市場に参入するバイオテクノロジー企業にとって、最も大きな障壁の一つです。

細胞・遺伝子治療の開発者にとって、リスクを軽減するために製造を管理することは非常に重要です。成功するパートナーとは、問題や遅延なくCMCサービスを提供してきた実績のある企業です。

低い製品需要やリスク軽減に伴う適切な製造管理することを引き合いに出して、日本への製造能力拡大に対して限定的な価値しか見出していないと回答者は指摘しました。これらの見解は、5件のインタビューに基づいており、特定のモダリティや疾患群に限られたものです。そのため、日本における細胞・遺伝子治療開発に関する幅広い意見を反映しているとは限りません。



主な制限事項

- 希少疾患をターゲットとする細胞・遺伝子治療製品の需要は限られていると考えられています。そのため、集中的な製造能力は比較的少ないニーズを満たすのに十分です。世界的な流通は大きな障害とは見なされていません。
- 細胞・遺伝子治療製品の製造は非常に複雑であり、商業化を成功させる上で最大のリスクの一つとなっています。製造をCDMOにアウトソーシングすることによるプロセスの失敗リスクを懸念し、自社内でCMC機能を維持することを好む傾向があります。
- 大手製薬企業は日本における製造能力やパートナーシップへの投資に積極的である場合がありますが、初期段階のバイオテクノロジー企業の中には、海外の製造施設へのアクセスや運営にリソースを割かないことを選択する企業も存在します。



日本におけるCMCの機会

- 癌などの細胞・遺伝子治療製品に対して大量需要が見込まれる大規模な適応症をターゲットとする開発者にとって、生産スピードがより重要になる場合、日本で現地製造を確立することが有利になるかもしれません。
- 希少疾患をターゲットとする開発者にとっては、日本での充填・仕上げ業務がパートナーシップの機会を提供します。
- 知的財産（IP）の機密性やCMC管理のリスクにより、米国以外でのCDMO利用が制限される可能性があります。日本の強力なIP保護体制によって、**現地のCDMOは、APAC地域に進出するグローバル細胞・遺伝子治療開発者にとって信頼できるパートナーとなる可能性があります。**
- 日本のCDMOが日本国内および世界でCGT開発の価値あるパートナーとしての地位を確立するためには、**頑強な能力を示すことが不可欠です。**



日本には製造機会が不足しているわけではないと、回答者は強調しました。希少疾患向けの細胞・遺伝子治療開発における製品需要が低いこととそのリスク管理が、一部の回答者が日本で製造拠点を急いで設立しない主要な要因となっています。

日本での開発を検討している企業にとって、 保険償還価格と市場アクセスは対応可能な障壁と見なされています

日本は新規治療法の保険償還価格が世界市場の動向に近いとされていますが、米国以外の他の地域と同様に、1回で完結する治療法については、保険償還価格設定や為替の変動が課題となる可能性があります。

+ 価格設定の強み

- ✓ 日本が効果的な治療法に対する支払いの意思を示していることは、日本での開発への関心を高めるものであり、制限や障害となるものではありません。
- ✓ 日本の先進的な科学コミュニティと医療インフラは新規治療薬の導入を支援しており、望ましい保険償還価格設定につながる可能性があります。

- 価格設定の課題

- X 承認、保険償還を得るためのプロセスは長く、手間がかかる場合があり、市場参入全体のタイムラインや適切な価格設定に影響を及ぼす可能性があります。
- X 日本での市販後の価格調整のための交渉は困難です。特に為替が変動する状況において、最適な新規保険償還価格を設定することは重要です。回答者は、円安の影響で日本でより高い価格を設定する必要があると述べました。
- X 細胞・遺伝子治療開発者は、1回で完結する治療法についての価格交渉が困難になることを「予想」しており、米国以外の地域でも同様の障害を経験しています。



保険償還価格交渉は日本市場参入での最大の障害ではありませんが、過度の遅延は市場における優先順位の低下につながるため、課題に対処することは、スムーズな市販に向けた上で不可欠です。

Appendix

日本の細胞・遺伝子治療開発に関する調査：目的と方法

目的



- 日本と米国・EU間の細胞・遺伝子治療製品（細胞治療、組織工学、ex vivo遺伝子治療、in vivo遺伝子治療など）に関連するドラッグラグの原因を調査します
- 日本で細胞・遺伝子治療製品開発があまり進んでいない理由を明らかにします
- APAC地域、特に日本における細胞・遺伝子治療製品の製造に関心を引きつけるために必要な条件を理解します

方法

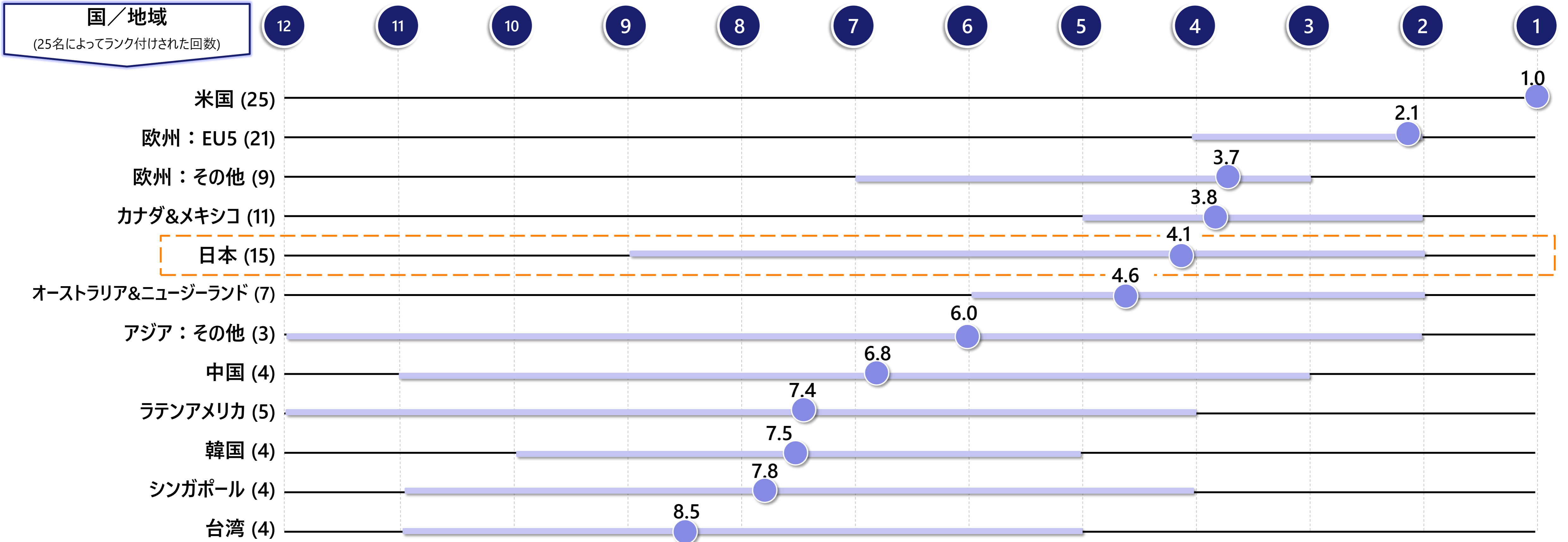


- Alira HealthはFIRMと連携し、日本における細胞・遺伝子治療の開発に関する立場や意見を把握するための包括的なアンケートを作成しました
- Alira HealthはARMと連携し、細胞・遺伝子治療を開発している製薬およびバイオテクノロジー企業の主要な意思決定者にアンケートを配布しました
- Alira Healthは25名の調査回答者からの結果を集計し、定量的および定性的な質問に関するすべての結果を本報告書にまとめました

すべてのアンケート結果を確認した後、さらにこの調査を進めるために、5名の専門家への電話によるインタビューが実施されました

ランキング結果（質問 9a）

質問 9a：
臨床試験を実施するために最も投資することを見込んでいる地域はどこですか？



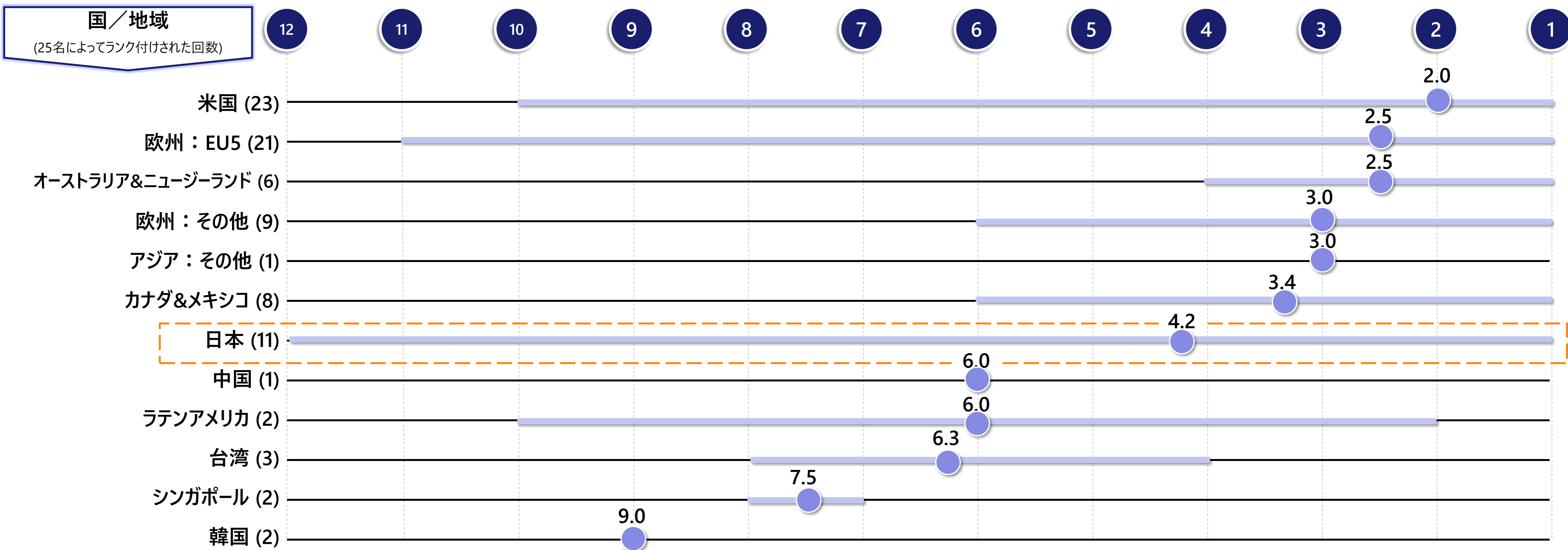
1が最も良い数値ランクであり、12が最も悪い数値ランクです。

凡例

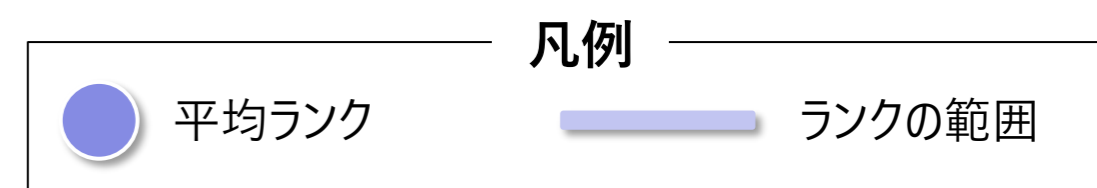
- 平均ランク
- ランクの範囲

ランキング結果（質問 11）

質問 11：
細胞・遺伝子治療の臨床開発の容易さに応じて、以下の地域をランク付けしてください。



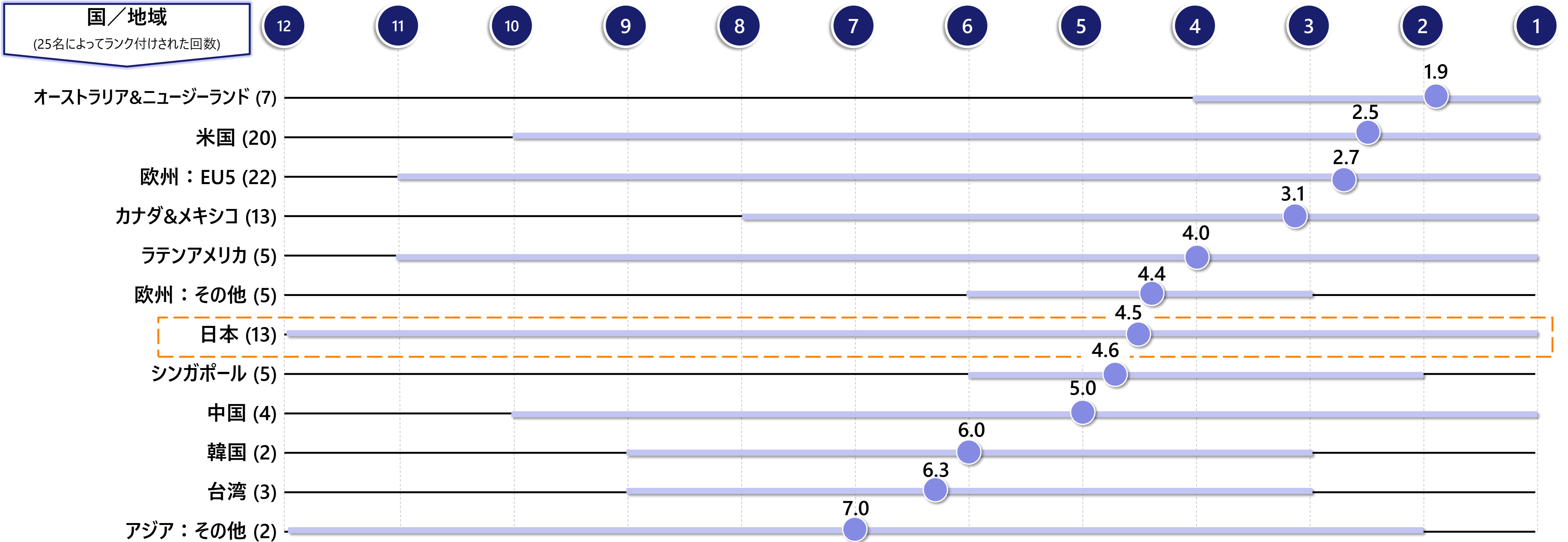
1が最も良い数値ランクであり、12が最も悪い数値ランクです。



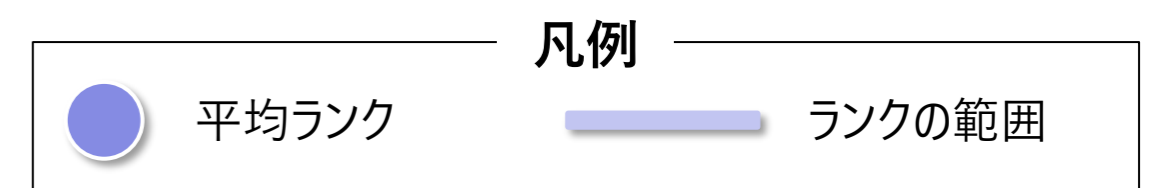
ランキング結果（質問 10）

質問 10：

細胞・遺伝子治療に関連する規制プロセスと負担に応じて、以下の地域をランク付けしてください。

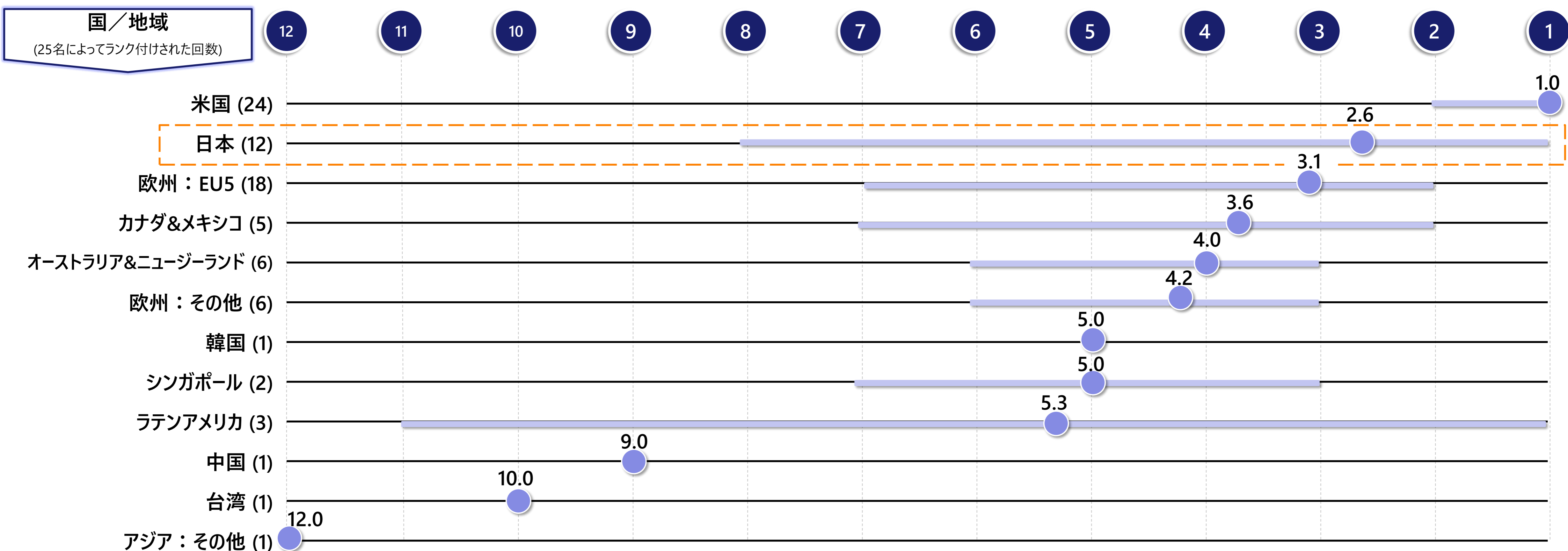


1が最も良い数値ランクであり、12が最も悪い数値ランクです。



ランキング結果（質問 12）

質問 12：
細胞・遺伝子治療へのアクセスの容易さと適正な価格での保険償還の容易さに応じて、以下の地域をランク付けしてください。



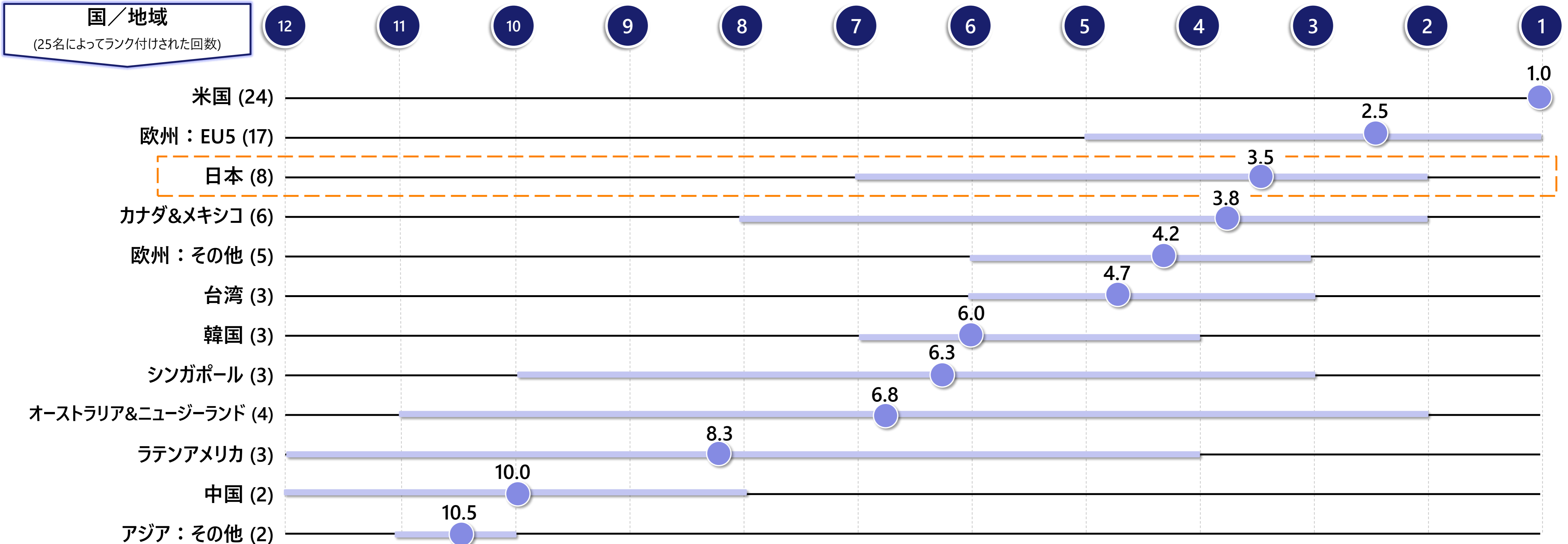
1が最も良い数値ランクであり、12が最も悪い数値ランクです。

凡例

- 平均ランク
- ランクの範囲

ランキング結果（質問 13）

質問 13：
細胞・遺伝子治療の販売の容易さに応じて、以下の地域をランク付けしてください。



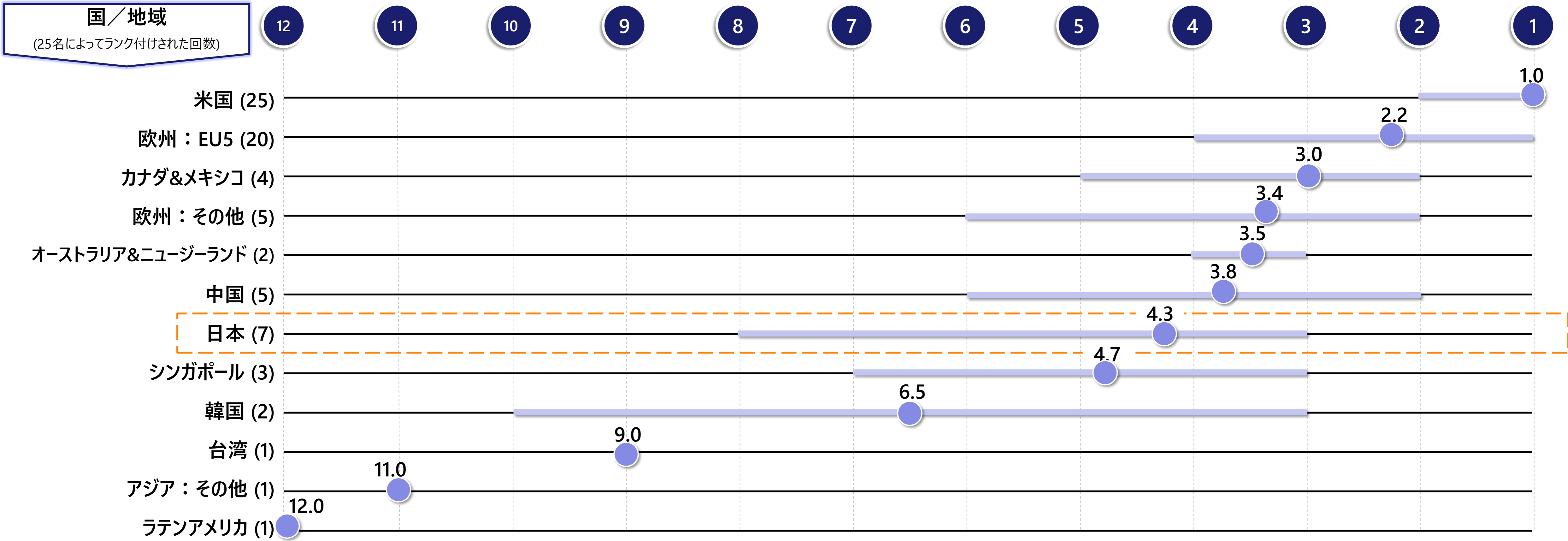
1が最も良い数値ランクであり、12が最も悪い数値ランクです。

凡例

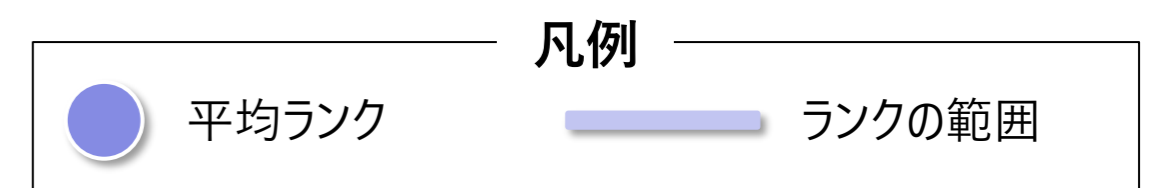
- 平均ランク
- ランクの範囲

ランキング結果（質問 14）

質問 14：
細胞・遺伝子治療の製造能力に応じて、以下の地域をランク付けしてください。

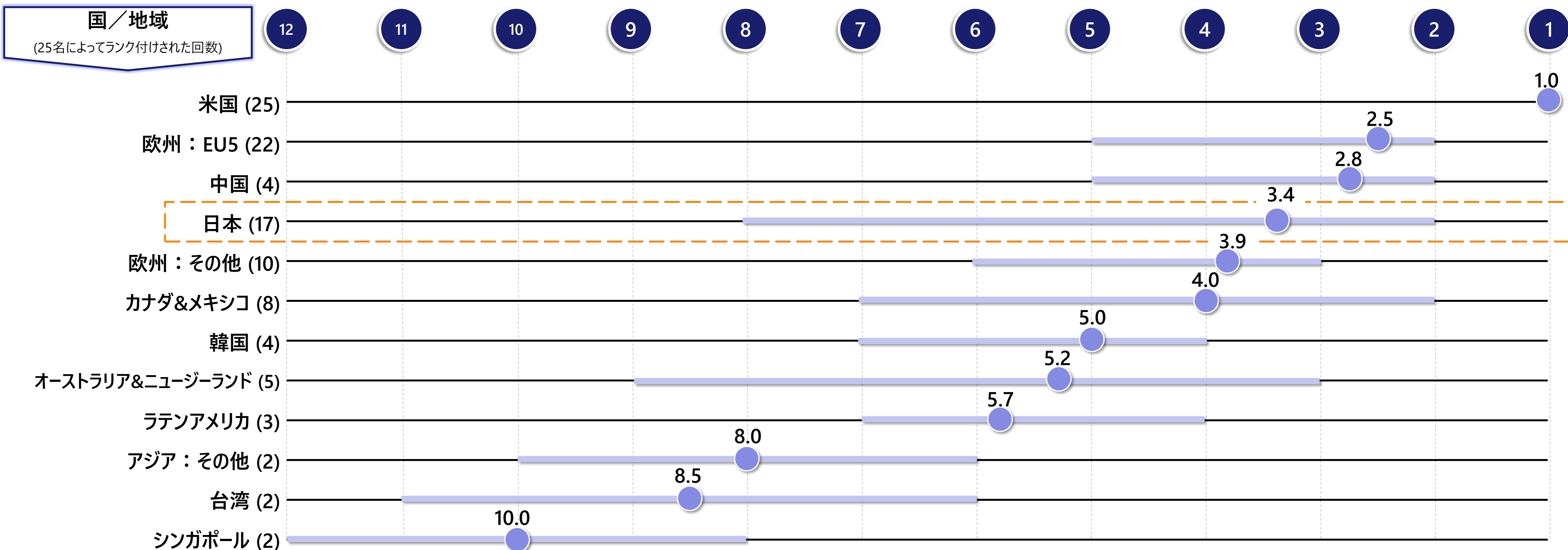


1が最も良い数値ランクであり、12が最も悪い数値ランクです。

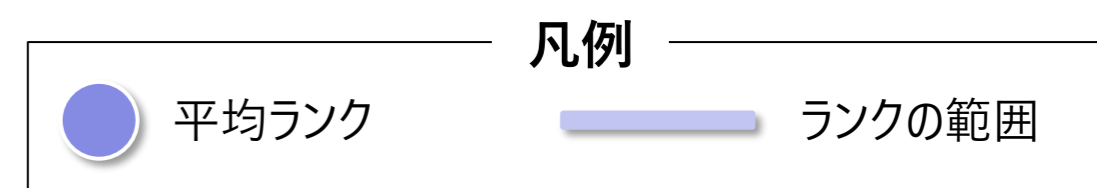


ランキング結果（質問 15）

質問 15：
細胞・遺伝子治療の市場規模の魅力度に応じて、以下の地域をランク付けしてください。



1が最も良い数値ランクであり、12が最も悪い数値ランクです。



アンケート調査票：回答者のプロフィール

1. 貴社の規模（従業員数）を教えてください。

- 50人未満
- 50～100人
- 101～500人
- 501～1000人
- 1001～5,000人
- 5,000人超

2. 担当業務は何ですか？ [該当するものすべてにチェックを入れてください]

- 探索および前臨床開発
- 臨床開発
- 製造
- 営業
- 医療
- 資金調達およびIR（インベスター・リレーションズ）
- エグゼクティブリーダーシップ（経営陣）

3. 現在、貴社が開発中のプログラムはいくつありますか？

- 1
- 2～5
- 5～10
- >10

4. 現在、貴社が開発中の細胞・遺伝子治療はいくつありますか？

- 1
- 2～5
- 5～10
- >10

5. 貴社が保有している承認済み治療法の総数はいくつですか？

- 1
- 2～5
- 5～10
- >10

6. 現在、貴社は日本市場にどのように関与していますか？ [該当するものすべてを選択してください]

- 日本で商業的に入手可能な承認済み製品を自社販売している。
- 提携を通じた日本市場での上市を目指して細胞・遺伝子治療を開発中である。
- 日本で承認された製品を自社販売している。
- 日本で承認された製品をパートナーリングを通じて販売している。
- 日本での細胞・遺伝子治療上市を検討しているが、現在のところ具体的な計画や提携はない。
- 日本での細胞・遺伝子治療開発計画はない。

調査質問：企業の投資計画

7. 貴社の総研究開発予算はいくらですか？

- 0ドル～1億ドル
- 1億ドル超～5億ドル
- 5億ドル超～10億ドル
- 10億ドル超

8. 今後3年間で貴社の研究開発予算はどのように変化すると考えていますか？

- 全体の予算が大幅に増加すると予想しています。
- 全体の予算が増加すると予想しています。
- 全体の予算が同じままだと予想しています。
- 全体の予算が減少すると予想しています。
- 全体の予算が大幅に減少すると予想しています。

9. 貴社の研究開発予算のうち、臨床開発に費やしている割合はどれくらいですか？

- 0～25%
- 26～50%
- 51～75%
- 76～100%

9. (a) 臨床試験の実施に最も投資を見込む地域はどこですか？ [計画投資額の高い地域から低い地域まで順位付けしてください]

- 北米：米国
- 北米：カナダ&メキシコ
- 欧州：EU5（フランス、ドイツ、スペイン、イタリア、英国）
- 欧州：その他のEU諸国
- アジア：日本
- アジア：中国
- アジア：韓国
- アジア：台湾
- アジア：シンガポール
- アジア：その他のアジア諸国
- オセアニア：オーストラリア&ニュージーランド
- ラテンアメリカ

調査質問：細胞・遺伝子治療の開発、製造、商業化における市場選定を左右する要因

どの質問に対しても、選択できる地域として、以下の選択肢を参照ください：*North America: US; North America: CA & MX; Europe: EU5; Europe: Other; Asia: Japan; Asia: South Korea; Asia: China; Asia: Taiwan; Asia: Singapore; Asia: Other; Oceania: AU & NZ; LATAM*

10. 細胞・遺伝子治療に関連する規制プロセスと負担に応じて、以下の地域をランク付けしてください（高→低）。[ランク順]
11. 細胞・遺伝子治療の臨床開発の難易度に応じて、以下の地域をランク付けしてください（困難→容易）。[ランク順]
12. 細胞・遺伝子治療へのアクセスの容易さと適正な価格での保険償還の容易さに応じて、以下の地域をランク付けしてください。（困難→容易）。[ランク順]
13. 細胞・遺伝子治療の導入の容易さに応じて、以下の地域をランク付けしてください（困難→容易）。[ランク順]
14. 細胞・遺伝子治療の製造能力に応じて、以下の地域をランク付けしてください（高→低）。[ランク順]
15. 細胞・遺伝子治療の市場規模の魅力度に応じて、以下の地域をランク付けしてください（高→低）。[ランク順]

調査質問：日本市場における開発に関する認識（1/2）

16. 以下の要因に基づいて、日本市場の魅力の評価してください:

a) 細胞・遺伝子治療に関連する規制プロセスと負担（申請の容易さ、PMDAとの対話のしやすさなど）：

- 他の先進市場よりもずっと優れている。
- 他の先進市場よりも優れている。
- 他の先進市場と同様である。
- 他の先進市場よりも劣っている。
- 他の先進市場よりもずっと劣っている。

[回答分岐] もし回答者が「劣っている」または「ずっと劣っている」と選択した場合、日本の規制プロセスに関してどのような点が課題だと感じますか？ また、日本市場への関心を高めるためにどのような改善が必要だと思いますか？ [自由回答]

b) 細胞・遺伝子治療の臨床開発：

- 他の先進市場よりもずっと優れている。
- 他の先進市場よりも優れている。
- 他の先進市場と同様である。
- 他の先進市場よりも劣っている。
- 他の先進市場よりもずっと劣っている。

[回答分岐] もし回答者が「劣っている」または「ずっと劣っている」を選んだ場合、日本の臨床開発に関してどのような点が課題だと感じますか？ また、日本市場への関心を高めるためにどのような改善が必要だと思いますか？ [自由回答]

c) 細胞・遺伝子治療へのアクセス管理と適正な価格での保険償還：

- 他の先進市場よりもずっと優れている。
- 他の先進市場よりも優れている。
- 他の先進市場と同様である。
- 他の先進市場よりも劣っている。
- 他の先進市場よりもずっと劣っている。

[回答分岐] もし回答者が「劣っている」または「ずっと劣っている」と選択した場合、日本における細胞・遺伝子治療へのアクセス管理と保険償還に関してどのような点が課題だと感じますか？ また、日本市場への関心を高めるためにどのような改善が必要だと思いますか？ [自由回答]

d) 細胞・遺伝子治療の市場投入のしやすさ：

- 他の先進市場よりもずっと優れている。
- 他の先進市場よりも優れている。
- 他の先進市場と同様である。
- 他の先進市場よりも劣っている。
- 他の先進市場よりもずっと劣っている。

[回答分岐] もし回答者が「劣っている」または「ずっと劣っている」と選択した場合：日本における細胞・遺伝子治療の促進とマーケティングに関してどのような点が課題だと感じますか？ また、日本市場への関心を高めるためにどのような改善が必要だと思いますか？ [自由回答]

e) 細胞・遺伝子治療の製造能力：

- 他の先進市場よりもずっと優れている。
- 他の先進市場よりも優れている。
- 他の先進市場と同様である。
- 他の先進市場よりも劣っている。
- 他の先進市場よりもずっと劣っている。

[回答分岐] もし回答者が「劣っている」または「ずっと劣っている」と選択した場合、日本での製造に関してどのような点が課題だと感じますか？ 日本市場に対する関心を高めるためにはどのような改善が必要だと思いますか？ [自由回答]

f) 細胞・遺伝子治療の市場チャンス：

- 他の先進市場よりもずっと優れている。
- 他の先進市場よりも優れている。
- 他の先進市場と同様である。
- 他の先進市場よりも劣っている。
- 他の先進市場よりもずっと劣っている。

[回答分岐] もし回答者が「劣っている」または「ずっと劣っている」と選択した場合、日本における細胞・遺伝子治療の市場チャンスで魅力がない点は何ですか？ また、日本市場への関心を高めるためにどのような改善が必要だと思いますか？ [自由回答]

g) 細胞・遺伝子治療の開発、製造、商業化をサポートする強力なパートナーの利用可能性：

- 他の先進市場よりもずっと優れている。
- 他の先進市場よりも優れている。
- 他の先進市場と同様である。
- 他の先進市場よりも劣っている。
- 他の先進市場よりもずっと劣っている。

[回答分岐] もし回答者が「劣っている」または「ずっと劣っている」と選択した場合、日本のパートナーに関して不足している点は何ですか？ また、日本のパートナーをより強化するためには、どのような点を改善すればよいですか？ [自由回答]

アンケート調査票：日本市場における開発に関する認識（2/2）

17. 貴方の経験から、日本の患者と介護者は細胞・遺伝子治療についてどのように認識していますか？

- 肯定的
- どちらでもない
- 否定的
- わからない／知らない

[回答分岐] 選択肢が否定的な場合: 日本の患者が細胞・遺伝子治療を否定的に捉える理由について詳しく説明してください。[自由回答]

18. 貴方の経験から、日本の医師は細胞・遺伝子治療についてどのように認識していますか？

- 肯定的
- どちらでもない
- 否定的
- わからない／知らない

[回答分岐] 選択肢が否定的な場合: 日本の医師が細胞・遺伝子治療を否定的に捉える理由について詳しく説明してください。[自由回答]

19. 貴方の経験から、日本の規制当局は細胞・遺伝子治療についてどのように認識していますか？

- 肯定的
- どちらでもない
- 否定的
- わからない／知らない

[回答分岐] 選択肢が否定的な場合: 日本の規制当局が細胞・遺伝子治療を否定的に捉える理由について詳しく説明してください。[自由回答]

20. 日本における細胞・遺伝子治療の開発、製造、商業化において、特に障壁となるステークホルダーは存在すると思いますか？

- はい
- いいえ
- わからない／知らない

[回答分岐] 回答者が「はい」を選択した場合: どのステークホルダーが障壁となっているのか、その理由も指定してください。[自由回答]

[回答分岐] 回答者が「いいえ」または「わからない」を選択した場合、細胞・遺伝子治療の支持者だと考えられるステークホルダーはありますか？ [自由回答]

21. 日本における細胞・遺伝子治療の開発に対する最大の障壁を、1～7までランク付けしてください。1は最大の障壁、7は最小の障壁です。

[ランク順]

- 科学的または技術的課題
- 規制プロセス
- 臨床試験の被験者リクルート
- 市場アクセスおよび販売
- 製造
- 文化的対立／倫理的懸念
- 経済的制約
- 市場規模

調査質問：日本市場における開発に関する重要な知見

22. 貴社の治療法を日本で開発、製造、商業化するためには、どのようなパートナーが必要ですか？どのような能力を求めていますか？

[自由回答]

23. 細胞・遺伝子治療の開発、製造、商業化における日本の労働力の質をどのように評価していますか？

- 他の先進市場を大きく上回っている。
- 他の先進市場を上回っている。
- 他の先進市場と同様である。
- 他の先進市場を下回っている。
- 他の先進市場を大きく下回っている。

[回答分岐] 回答者が「下回っている」または「大きく下回っている」と回答した場合: 日本の労働力の質についてどのような懸念をお持ちですか？日本を発展のための魅力的な市場とするために、労働力のどの部分を改善すべきだと思いますか？ [自由回答]

24. カルタヘナ法（遺伝子組換え生物等の使用に係る環境影響評価）と生物由来原料基準について知っていますか？

- よく知っていて、精通している。
- 知っていて、詳しい。
- 知っていて、ある程度詳しい。
- 知っているが、詳しくない。
- 知らない。

25. カルタヘナ法や生物由来原料基準などの規制の枠組みは、日本における細胞・遺伝子治療の開発の魅力を影響を及ぼしますか？

- はい
- いいえ

[回答分岐] 回答者が「はい」と回答した場合：これらの規制枠組みが開発の見通しにどのような影響を及ぼすかを説明してください。 [自由回答]

26. 日本で細胞・遺伝子治療を開発・販売する上で、文化的または言語的な障壁があると感じますか？

- はい
- いいえ

[回答分岐] 「はい」と回答した場合：日本で細胞・遺伝子治療の開発と販売を妨げる文化的障壁について説明してください。 [自由回答]

27. 日本における細胞・遺伝子治療の開発、製造、販売を貴社にとってより魅力的なものにするために、変更すべき重要な点は何でしょうか？

[自由回答]

[調査完了後の追加情報]

日本の再生医療分野のCDMOおよび関連企業についてもっと知りたい方は、以下のリンクをご利用ください。 [Japanese-CDMO-and-related-information-materials.pdf](https://www.firmforum.com/japanese-cdmo-and-related-information-materials.pdf)

テレデプスインタビューにおける検討指針

パートナーシップ、製造、価格設定に重点を置いた第1段階調査からの追加質問

日本における細胞・遺伝子治療開発に関する検討指針

[注: 「[]」内のテキストはすべてインタビューを対象としたメモであり、回答者を対象としていません。]

I. 主な質問 (20~25分、インタビュー開始時と終了時に約5分)

[目的: 回答者とその組織の日本市場に対する見方を理解する。また、アジア太平洋地域や世界市場との比較、日本における細胞・遺伝子治療の開発・商業化におけるパートナーシップの理想的な役割、日本市場での細胞・遺伝子治療の価格設定および保険償還に関する見解を把握する。]

1. これまで、製品の発売、臨床開発、提携、日本市場参入のための戦略調査などを通じ、御社は日本市場にどのように対応してきましたか？ また、今後の計画はどのようなものですか？
2. 日本市場向けの細胞・遺伝子治療薬の開発において、どのような課題が予想されますか？
 - [インタビューを対象とした、検討に関する注意事項]:
 - i. 現在、日本に拠点を持たない場合、その理由は何ですか？
 - ii. 日本に拠点がある場合、それを実現可能にした要因は何ですか？
3. 調査結果によれば、日本での開発には現地パートナーが重要とされています。日本ではどのようなパートナーシップが存在し、または望ましいと考えられますか？
 - [インタビューを対象とした、検討に関する注意事項]:
 - i. 関与レベル: 開発全般 vs. 特定のコンポーネント
 - ii. 他のアジア太平洋市場で開発するためのグローバルパートナー
 - iii. 臨床開発と試験の実施
 - iv. 商業パートナーシップ – 商業化
 - v. 規制
 - vi. 保険償還
 - vii. 製造
 - viii. 文化と言語
 - ix. CDMO

4. 日本の薬価制度についてどの程度ご存知ですか？
 - a. 日本の薬価制度は製品の商業的成功において十分であるとお考えですか？
[インタビューを対象とした、検討に関する注意事項]:
 - i. 回答者の知識に応じて、日本の薬価制度の理解度を確認してください。
5. 日本市場への参入にあたり、日本国内での医薬品製造をご検討されていますか？
 - a. 日本国内での製造を選んだ理由は何ですか？
[インタビューを対象とした、検討に関する注意事項]:
 - i. 日本には経験や専門知識が豊富なCDMOが存在 (経験や専門知識とは具体的には?)
 - ii. 対象疾患領域における投資コストに対する市場規模
 - iii. 他のAPAC諸国への提供を検討
 - b. 日本国内での製造を検討していない場合、その理由は何ですか？
[インタビューを対象とした、検討に関する注意事項]:
 - i. 集中型か分散型か: 製品のモダリティによって異なります。
 - ii. 日本には優れた経験や専門知識を持つCDMOは存在しません (具体的にどのような経験や専門知識が欠けているのでしょうか?)
 - iii. 対象疾患領域における投資コストに対する市場規模 (日本での製造を検討する条件は?)
6. 日本の市場機会は、韓国や中国など他のAPAC諸国と比べてどうですか？ その理由は何でしょうか？
 - [インタビューを対象とした、検討に関する注意事項]:
 - i. 臨床開発
 - ii. 市場規模
 - iii. 価格設定と保険償還
 - iv. 製造
 - v. 規制
7. 日本市場を特に魅力的または困難なものとしている要因はありますか？