

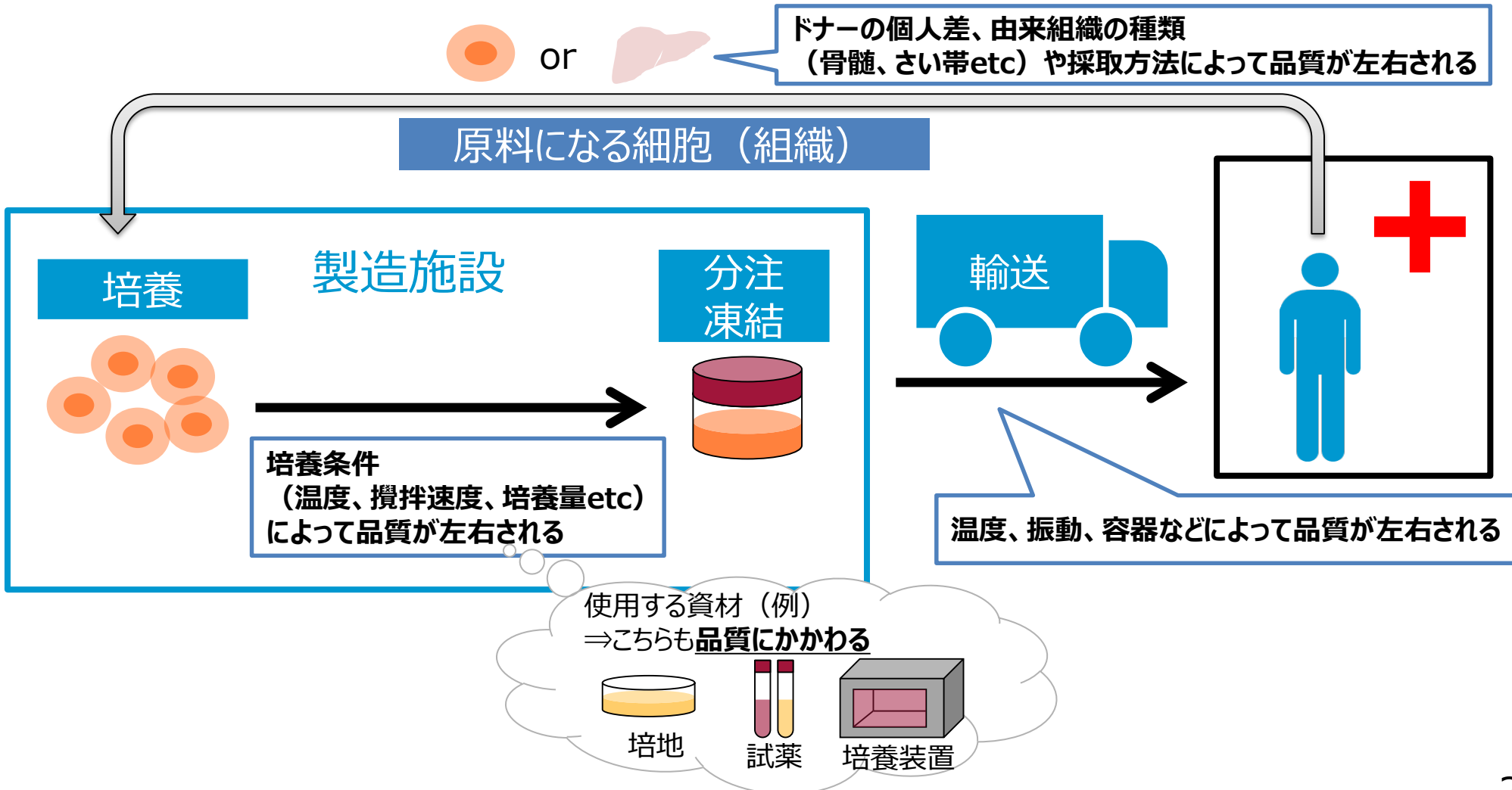
# 製造基盤の強化、新規市場開拓の 必要性について

2022年5月31日

経済産業省

# 産業化に向けた課題 ① 製造基盤の整備

- **細胞製造**では、①原料の種類、②加工の各段階、③培地成分といった様々なパラメータが品質にダイレクトに影響。**安定的な製造のためには、多要素のデータを取得し、多元的に分析・制御する必要あり。**
- **自家だと個人差があるため規格化が困難、他家だと原料細胞の供給源に乏しい等**の課題もある。



# 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

## 令和4年度予算案額 39.2億円（40.0億円）

### 事業の内容

#### 事業目的・概要

- 再生医療は、臨床現場の新たな治療の選択肢となるとともに、動物実験の代替や新規モデルの評価等を可能とする創薬支援ツールとしての応用が期待されています。
- また遺伝子治療は、難治性疾患等の根本的な治療につながることから、急速な市場拡大が起こり、汎用性のあるプラットフォーム製造技術開発や国際競争力のある技術開発などへの支援が求められています。
- 再生医療・遺伝子治療の産業化を促進するために、
  - 有効性、安全性、再現性の高いヒト細胞加工製品の効率的な製造技術基盤の確立
  - 再生医療技術を応用し、様々な臓器の細胞を活用した、医薬品の安全性等を評価するための創薬支援ツールの開発
  - 高品質な遺伝子治療薬を製造するために必要な国際競争力のある大量製造技術の確立等を進めていきます。

#### 成果目標

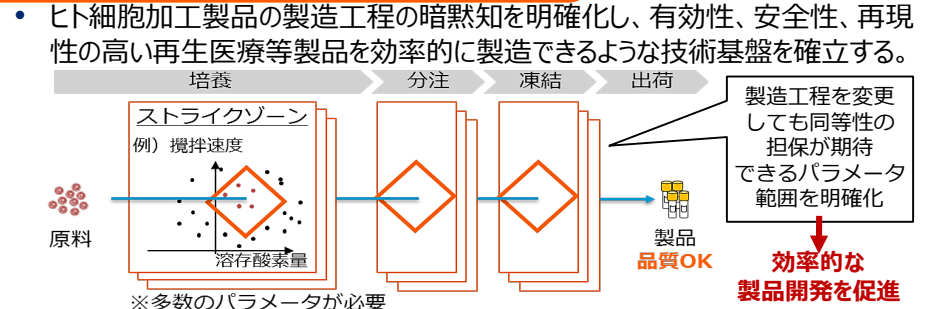
- 平成27年度から令和8年度までの12年間の事業であり、再生医療分野・遺伝子治療分野の産業化を目指します。具体的には、
- 令和10年度までに、再生医療等製品の薬事申請数12件
  - 令和10年度までに、本事業で開発した創薬支援ツールを利用した製薬企業等の数10社等を目指します。

#### 条件（対象者、対象行為、補助率等）

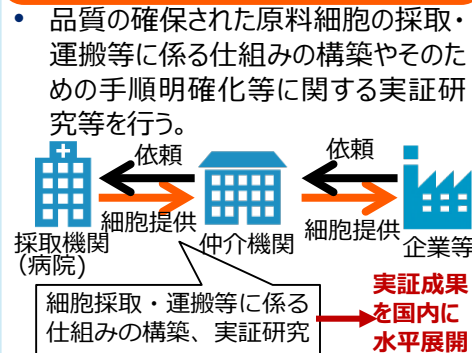


### 事業イメージ

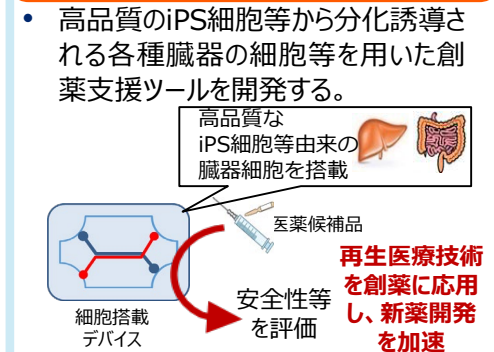
#### (1) ヒト細胞加工製品製造基盤技術開発



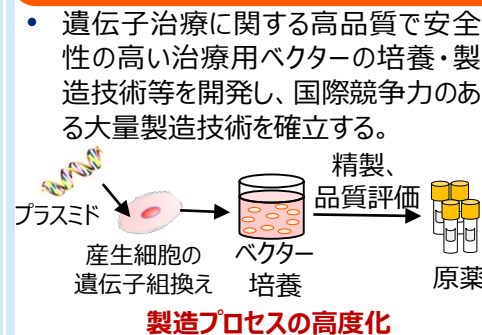
#### (2) 再生医療用原料細胞安定供給研究開発



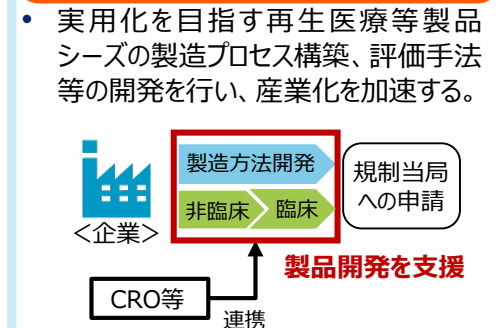
#### (3) 高度創薬支援ツール基盤技術開発



#### (4) 遺伝子治療製造技術開発



#### (5) 産業化促進研究開発



# 今後の取組 ①製造現場における人材の充足

- 産業界全体で不足している、製造プロセス開発・品質管理・薬事等を担う実務を担う人材について、充足を図る必要がある。

製薬企業への人材不足に関するアンケート

## 開発プロセス業務

0% 20% 40% 60% 80% 100%

探索研究、抗体デザイン、抗体特性解析

発現系・セルバンク構築

次世代抗体医薬品技術

培養プロセス研究、スケールアップ/製造

精製プロセス研究、精製スケールアップ/製造

製剤化研究/製造

プロセス評価、品質試験・特性解析

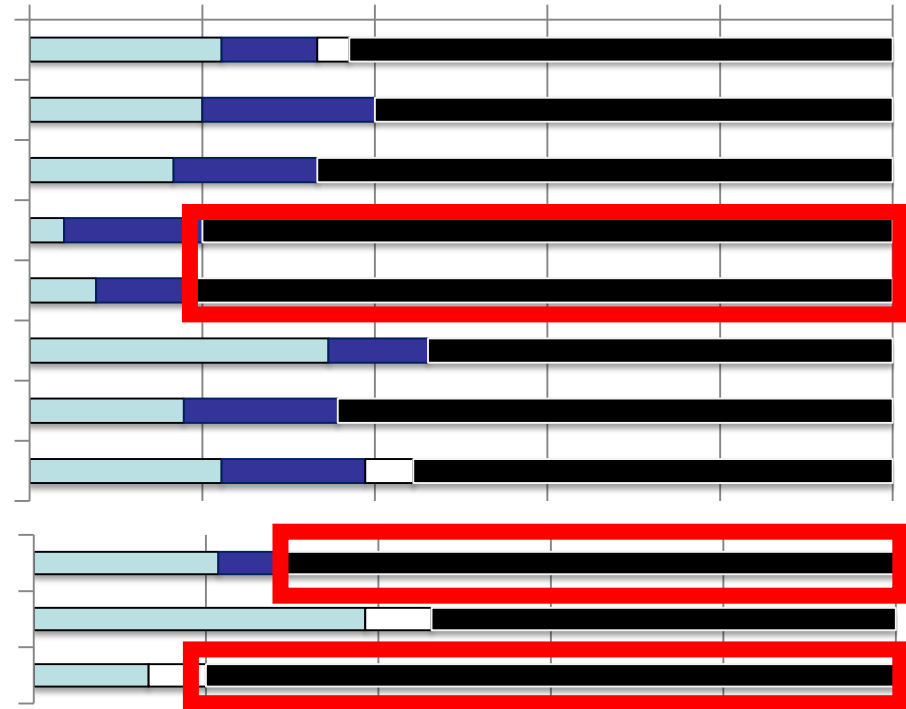
同等性/同質性研究

## 管理業務等

GMP管理、品質管理、品質保証

特許・知財

薬事（CMC薬事）



□ 自社での育成により充足している

■ 中途採用、他社提携、M&Aなどにより充足している

□ 人材派遣等でまかなっている（外部コンサル利用も含む） ■ 不足している

## 【参考】 抗体医薬品の製造人材育成にむけた取組（BCRET）

- **抗体医薬品**に関しては、過去のAMED事業の成果として形成された実習施設、教育プログラムを活用する形で、一般社団法人バイロジクス研究・トレーニングセンター（BCRET）が、**開発・製造・分析を担う産業人材の育成**を行っている。
- 現在は、正会員18社と準会員8社を擁し、会費、講習受講料、寄付などにより、自立的な運営がなされている。

### 一般社団法人バイロジクス研究・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) バイロ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、エーザイ、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、第一三共、大日本住友製薬、田辺三菱製薬、中外製薬、日本化薬、日本ベーリンガーインゲルハイム、ノバルティスファーマ



座学・実習  
(効率的な審査に向け)

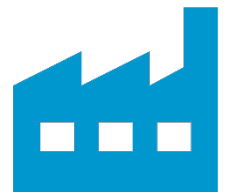
講習受講料



BCRET  
BIOLOGICS CENTER FOR  
RESEARCH AND TRAINING

座学・実習

会費、講習受講料、寄付



製造企業

# 【参考】諸外国のバイオ医薬品製造人材育成に係る取組①（欧米の例）

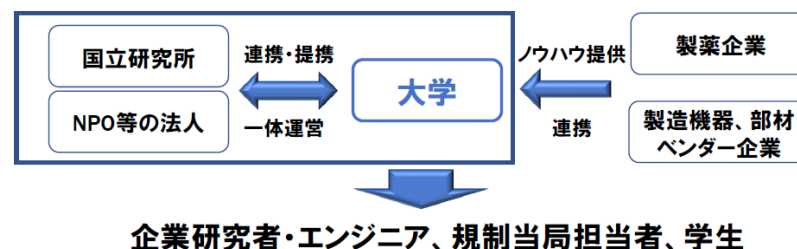
- バイオ医薬品産業で先行する米国やアイルランドでは、大学や国立研究所を中心にしたバイオ医薬品の教育システムの必要性が重要視され、プログラムが充実。
- 韓国では、アイルランドのNIBRTのトレーニングプログラムのライセンスを取得し、大規模なバイオ医薬品製造人材育成を始めている（次ページ参照）。

## BTEC （米国ノースカロライナ大学）

- 米国ノースカロライナ州では、2007年にNorth Carolina Universityの附属施設として、Bio manufacturing Training and Education Center(BTEC)を設置。
- バイオ医薬品の製造に関する人材育成を行い、ノースカロライナ州へのバイオ医薬品製造事業の誘致、拡大及び雇用創出に繋げることを目指す。2016年時点で400社以上のバイオ企業が集積し、1万人の雇用と1200億円の税収入増加という成果を得た。

## NIBRT （アイルランド国立バイオプロセス研究・研修所）

- 外国の製薬会社を集積させる国策として、高度なバイオ医薬品製造人材を育成し、産業界と連携して革新的な研究を行う国立研究所（NIBRT）を設立。当初10年間は100%国費で運営。
- バイオ医薬品製造のsimulated-GMP施設を設置。専用施設をフルに使ってバイオ人材教育(企業、行政、学生)を行っている。



# 【参考】諸外国のバイオ医薬品製造人材育成に係る取組②（韓国例）

## 【韓国】K-NIBRT（韓国版NIBRTプロジェクト）

- **韓国政府は**、先行するアイルランドのNIBRTのトレーニングプログラムのライセンスを取得して「**K-NIBRT**」と呼ばれる、**バイオ医薬品の製造人材育成プログラムを立ち上げることをアナウンス**。
- **2021年から2025年にかけて合計600億ウォン（約60億円）を投資して、大型の研修センターを整備**。
- プログラムは「**ワクチン専門コース**」と「**抗体医薬一般コース**」の2本柱で構成。  
**2021年9月からプログラムは開始されており、年内にmRNAワクチンプロセスの専門家120名の育成**。  
（講座は、理論（3週間）と実習（5週間）×4回の実施）
- 2022年には、ワクチンコース120名、一般コース180名、2コース合計で300名に拡充する予定。  
今後、更に施設の拡充や新設を進めるとの情報あり。
- ワクチン専門コースは、**韓国政府が、世界的なワクチン生産ハブを目指す一環で開設されたもの**。  
アジア太平洋地域で業界をリードするバイオ医薬品製造人材育成を実施することが意図されている。
- 2022年2月には、**世界保健機関（WHO）が韓国を「グローバルバイオ人材養成ハブ」に指定**。  
中・低所得国によるワクチン国産化に向けて、**ワクチン・バイオ医薬品の製造人材育成を行う中核機関**となる。  
既にバングラデシュ、インドネシア、パキスタン、セルビア、ベトナムの5カ国が支援を受ける予定となっており、  
韓国政府によれば、**2025年には年間2,000人規模で開発途上国の訓練生を招待する計画**。

### K-NIBRT CDA & MOU Signing Ceremony

March 10, 2021

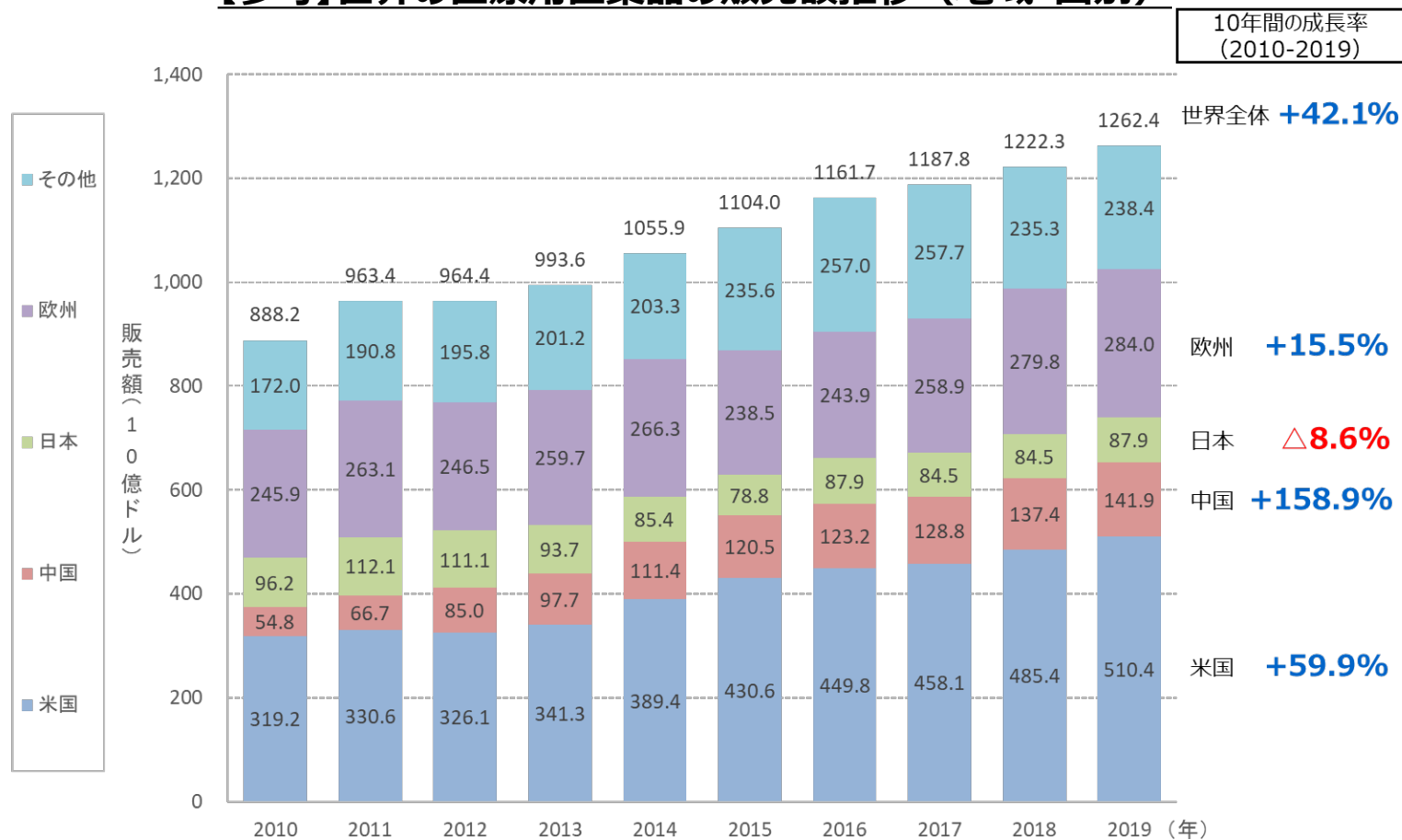
KHIDI & NIBRT & Yonsei University



# 産業化に向けた課題 ②収益確保と再投資の困難性

- 主要先進国の医薬品市場が大きく成長する一方で、日本は唯一市場が縮小。
- 投資先としての市場の魅力が低下するとともに、国内の患者だけでは収益が確保しづらい場合も増えている。

【参考】世界の医療用医薬品の販売額推移（地域・国別）



注：その他は、ブラジル、北米（除く米）、AAA（アジア・アフリカ・オーストラレーシアの略）（除く日中）、中南米（除くブラジル）が該当  
 データ出所：厚生労働省 医薬品産業ビジョン2021 資料編



## 【参考】 薬価の国際比較

- 再生医療等製品の薬価を国際比較すると、日本では諸外国よりも低い。
- 薬価の低さは、国内における新製品の開発意欲の阻害要因となるとともに、収益性の確保にも影響を及ぼしている。

### 主な再生医療等製品の欧米との価格比較

(単位：百万円)

	ゾルゲンスマ (遺伝子治療) ※2020年3月時点	キムリア (CAR-T) ※2019年3月時点	イエスカルタ (CAR-T) ※2021年1月時点
米国 (AWP)	234	63	48
独国	—	41	34
英国	269	41	39
日本	167	33	34

## 【参考】 資金調達状況

- 特に再生医療や遺伝子治療といった革新的な医薬品では、開発の初期段階でも数十億円～数百億円規模の資金が必要。米国では、初期段階から数百億円規模のまとまった金額の資金調達が可能であるため、ベンチャーでの研究開発を一気に加速できる。
- 一方、日本でVC等から調達できる資金の規模は米国より1～2桁小さい。また、小口の資金調達を何度も繰り返すため、経営者の時間が資金調達に割かれ、研究開発に専念出来ない。  
→シーズが豊富で多額の資金調達も容易な、米国にシーズが流出。

iPS細胞開発企業の資金調達状況						\$100M以上の資金調達
国	企業*1	ラウンドごとの調達金額				時価総額*2
		Series A	Series B	Series C	IPO	
米国	Fate (2007)	\$15M (2008)	\$33M (2009)	\$9M (2012)	\$40M (2013)	\$3.4B
	Bluerock (2015)	\$225M (2016)	-	-	-	\$1B (2019, M&A)
	Sana (2018)	\$219M (2019)	-	-	\$588M (2021)	\$1.1B
	Century (2018)	\$250M (2019)	Undisclosed	\$160M (2021)	\$211M (2021)	\$864M
日本	Thyas (2015)	\$2M (2019)	\$2M (2019)	\$17M (2022)	-	N/A
	Megakaryon (2011)	\$10M (2013)	\$21M (2015)	\$33M (2017)	-	N/A

資金調達や臨床試験がしやすい米国での展開を目的に資金調達

\*1 カッコ内は創業年 \*2 2022年3月3日時点の時価総額。被買収企業は買収金額  
出所: CBInsights、日本経済新聞「再生医療の京大発新興サイアス、20億円調達 米国進出へ」(2022年2月24日)、有識者インタビューよりアサー・ディリトル作成

# 【参考】再生医療等製品のグローバル承認状況

- 日本発のシーズの大半は、国内でのみ承認されており、海外展開出来ていない。
- 海外発のシーズは、複数の国・地域で承認されている。日本での承認時期は他国よりも遅い。

灰色：海外発のシーズ  
白地：国内発のシーズ

モダリティ	品目(適応症)	開発企業	起源	承認状況(カッコ内は承認年月)			
				日本	米国	欧州	その他
組織移植	ジェイス (皮膚潰瘍/創傷/熱傷等)	J-TEC	ハーバード大学	✓ (2007.10)	✓*2 (1987)	—	—
	ジャック (軟骨損傷)	J-TEC	島根医科大学	✓ (2012.7)	—	—	—
	ハートシート (心不全)	テルモ	大阪大学	✓ (2015.9)*1	—	—	—
	ネビック (角膜上皮幹細胞疲弊症)	J-TEC	伊・IDI	✓ (2020.3)	—	✓*3 (2014.12)	—
	オキュラル (角膜上皮幹細胞疲弊症)	J-TEC	大阪大学	✓ (2021.6)	—	—	—
	サクラシー (角膜上皮幹細胞疲弊症)	ひろさきLI	京都府立医大	✓ (2022.1)	—	—	—
細胞移植	テムセル (移植片対宿主病)	JCRファーマ	米・Osiris	✓ (2015.9)	—	—	✓*4 (2012)
	ステミラック (脊髄損傷)	ニプロ	札幌医科大学	✓ (2018.12)*1	—	—	—
がん免疫療法	キムリア (急性リンパ芽球性白血病)	Novartis	ペンシルベニア大学	✓ (2019.3)	✓ (2017.8)	✓ (2018.8)	✓*5 (2018-)
	イエスカルタ (びまん性大細胞型B細胞性リンパ腫)	Gilead	米・Kite	✓ (2021.2)	✓ (2017.10)	✓ (2018.8)	✓*6 (2019-)
	プレヤンジ (大細胞型B細胞リンパ腫/濾胞性リンパ腫)	BMS	米・Juno	✓ (2021.3)	✓ (2021.2)	✓ (2022.1)*7	—
	アベクマ (多発性骨髄腫)	BMS	米・bluebird	✓ (2022.1)	✓ (2021.3)	✓ (2021.8)	✓*8 (2021)
In vivo遺伝子治療	コラテジェン (重症下肢虚血)	アンジェス	大阪大学	✓ (2019.2)*1	—	—	—
	ソルゲンスマ (脊髄性筋萎縮症)	Novartis	米・AveXis	✓ (2020.2)	✓ (2019.5)	✓ (2020.5)	✓*5 (2020-)
ウイルス治療	デリタクト (悪性膠芽腫)	第一三共	東京大学	✓ (2021.7)*1	—	—	—

IDI: Istituto Dermopatico dell'Immacolata BMS: Bristol Myers Squibb

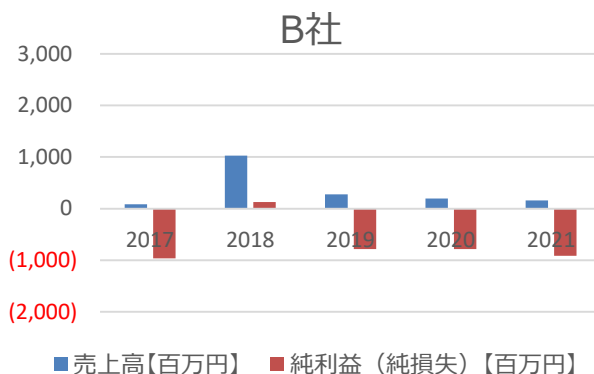
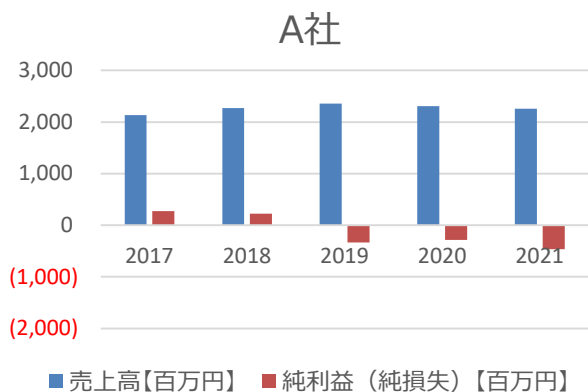
\*1 条件・期限付き承認 \*2 Genzyme (現Vericel) よりEpicelとして承認取得 \*3 ChiesiよりHoloclarとして承認取得 \*4 OsirisよりProcymalとして2012年5月にカナダで、2012年6月にニュージーランドで承認取得 \*5 カナダ、スイス、韓国、オーストラリアで承認 \*6 カナダ、スイス、オーストラリアで承認 \*7 CHMPより肯定的な見解を受領 \*8 カナダとスイスで承認

出所: 各種審査報告書、ADLデータベースよりアーサー・ディ・リトル作成

# 今後の取組 ②新たな市場の開拓

- 日本の再生医療等製品を開発する企業は、優れた技術を持つにもかかわらず、国内に限られた市場だけを対象とした結果、十分な収益を得られずに経営状況が悪化することも多い。
- 収益性が見通しが立たないと、新たなイノベーションに向けた投資に踏み切ることができないことから、これまでにない新たな市場の開拓とそれを通じた十分な収益の確保に取り組むことが重要。

再生医療等製品を開発する企業の財務状況例



## 考えられる新しい市場

### ① 海外市場

海外での承認・販売に向けては、海外VC等からの出資を受けるなど、海外企業との連携が重要。  
海外VC等から出資を受けるための助言やマッチングの取組を支援することで、海外市場の開拓を後押しする。

### ② 国内の新たな市場

医療ツーリズムのようなインバウンド市場や、医療機関と連携して行う新たな医療サービスの開発等に向け、患者へのメリットや信頼性の担保、医療機関や民間保険会社との連携等の取組を支援することで、国内の新たな市場の開拓を後押しする。