

2020年 7月8日 (水)

記者会見資料



再生医療の現状と課題およびFIRMの取り組み

～再生医療産業化の実現に向けて～

一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム
(Forum for Innovative Regenerative Medicine : FIRM)

代表理事会長 畠 賢一郎

新型コロナウイルスに罹患された方々、ならびにその関係者の方々に心よりお見舞い申し上げます。

全国の医療機関の皆様、新型コロナウイルス感染拡大防止に従事されている皆様に、深く御礼申し上げます。

1) FIRMおよび活動の紹介

2) FIRM VISION 2025の達成に向けた組織改定

3) 再生医療の課題とFIRMのなすべき役割

- 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
- 2020年6月末現在、企業・法人254社、個人14名

再生医療・製薬
(約20%)

化学・材料
(約25%)

機械・装置
(約15%)

物流・サービス・その他
(約40%)



「**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

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

再生医療実現のためのステップ

再生医療製品をつくる

再生医療等製品の数を増やす

再生医療等製品を開発した企業経験を増やす
再生医療等製品を審査した方々を増やす

再生医療産業をつくる

再生医療等製品を手がける企業を増やす

再生医療で利益をあげた企業を増やす
再生医療で利益をあげることができる職種を増やす

2025年までのメインフォーカス

再生医療文化をつくる

再生医療を受けた患者様を増やす

再生医療を提供する医療機関を増やす
再生医療を実施する先生方を増やす

FIRM が実現する姿

2025年までに実現する姿

再生医療に適した
制度の実現

製品数増大・
ビジネス化の実現

日本の
国際競争力
アップ

運営基盤の強化

2021年までに実現する姿

製品創出～上市までの課題を整理し、行政との話し合いを進めている

政策提言立案機能を新規構築すると共に、発信する情報の質を高めている

中医協に再生医療等製品部会が設置され、製品の特性を踏まえた価格が検討されている

再生医療等製品のコスト低減に向けた施策が実行されている

行政・メディア・議員等との関係を強化・拡大すると共に、発信する情報量を増やしている

アカデミア・産業界・行政・VC*との連携のモデルを構築し、必要な情報、ノウハウなど支援が行えている

各種ガイドの認知度が向上し、サポイン企業と製品創出企業との連携強化活動が活発化している

規制制度調和に向けてアジア各国・地域の規制当局へ課題解決策の提言を行っている

海外企業団体との連携を強化し、会員の国際展開や海外企業連携を支援している

日本の官民が協働し、日本の再生医療領域の世界でのプレゼンスを上げている

再生医療における国際標準の役割が、FIRM内外で実感されている

前臨床試験の国際標準化の実現のため欧米関係機関との協働が進み、評価実績を積み重ねている

※VC：ベンチャーキャピタル

本年の体制

*新任

※ 代表理事

株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	会長	富 賢一郎※
アステラス製薬株式会社	副会長	志鷹 義嗣※
株式会社日立製作所	副会長	長我部信行
株式会社メディネット	副会長	鈴木 邦彦
富士フイルム株式会社		岡田 淳二
株式会社エスアールエル		小見 和也
武田薬品工業株式会社		梶井 靖
大日本住友製薬株式会社		木村 徹
タカラバイオ株式会社		木村 正伸
オリンパス株式会社		齊藤 吉毅*
大日本印刷株式会社		杉本登志樹
JCRファーマ株式会社		鈴木 龍夫
テルモ株式会社		千秋 和久*
PHC株式会社		高橋 治
協和キリン株式会社		鳥居 義史*
株式会社セルシード		橋本せつ子
ノバルティスファーマ株式会社		廣瀬 徹
株式会社iPSポータル		村山 昇作
旭化成株式会社		安武 幹智*
第一三共株式会社		藪田 雅之

再生医療産業化にむけた課題



FIRMの実績・成果（1）

（1）行政との対話・連携強化

① 行政、国会議員主催会合における意見陳述

- 1) 健康・医療戦略参与会合
- 2) 革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品創出のための官民対話
- 3) 中医協 薬価専門部会
- 4) 自由民主党 厚生労働部会 薬事小委員会

② 国会議員、行政との意見交換

- 1) 行政：内閣官房、文科省、厚労省、経産省、PMDA、AMED
- 2) 国会議員：再生医療を推進する議員の会 等

③ 国への提言

- 1) 産業競争力懇談会（COCN）：iPS細胞の産業利用に向けたエコシステム構築
- 2) バイオ産業人会議（JABEX）：バイオ戦略2019の実装に向けたロードマップ

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・意義の啓発

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、治療患者の就労等による経済性、労働生産性）の反映

- 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）は市販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。

- 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。
- 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。

再生医療等製品に係るコストの特徴

- ロットを構成しない自己細胞由来製品や1ロットの製造量が限定される再生医療等製品では、技術的に**スケールメリットを得にくい**
- 製造施設・設備機器の**転用が極めて困難**である
- 生きた細胞や組織（凍結保存も含む）を製品として使用するため、製品の品質を保持するための**設備、製造過程・出荷時における多様な検査、保管や輸送に関するコスト**を要する
- 遺伝子組み換え製品については、製造過程および輸送過程において**ウイルス等の拡散防止対策も必要**となる
- 細胞培養等には、高度な技術を習得した**人材の育成・確保が必要**である
- 細胞の培養、分化誘導方法等も含めた複数の知財を利用するため、**技術ライセンス料が必要**な場合がある

再生医療等製品に係るコストの特徴

中医協陳述

低分子医薬品	再生医療等製品	再生医療等製品に係るコストの特徴			
		原材料	製造	品質検査	物流
1ロット数万～数十万錠。生活習慣病など患者数が多い疾患が対象。長期間投与	1ロットの製造量が限定される(1ロット:1～数百)。患者数が少ない疾患が対象。単回～少ない投与・移植回数	製造量が限定されるため原材料費が割高となる	自動化・大量生産が難しい。スケールメリットが得にくい。製造施設・設備機器の転用が極めて困難	ロット単位で実施する検査費(無菌性、安定性等)を少ない単位で負担	高額で特殊(拡散防止、温度管理)な物流コストを患者毎(1投与・移植毎)に負担
滅菌可能	滅菌不可能。混入・拡散防止の必要性	無菌性が担保された原材料のコスト高	清浄度の高い特別な施設を設置・維持管理するコスト。混入防止に配慮した専用スペースでの製造	無菌性を確認する試験コスト	拡散防止に配慮した特別な輸送に掛かるコスト
化学物質	生細胞・遺伝子	生物由来材料の高いコスト(自家以外)	生きたものを製造するため、24時間/週7日の管理が必要となりコスト増(人件費含め)	定期的に安全性等を確認する生物試験は概して高額。厳格な温度管理	凍結・低温下等、温度の維持・管理下での輸送に掛かるコスト
化合物特許	複数の知財・技術ライセンス料	iPS細胞、CAR等	分化方法 遺伝子編集(クリスパー等)、ベクター、凍結剤	—	—



再生医療等製品の価格算定について

- 再生医療等製品は厳重な製造工程管理・品質管理を要する等、生産の効率化が困難であり、従来の医薬品・医療機器とは製造や流通のコスト構造が大きく異なるため、**既存の算定方式の考え方では多様な再生医療等製品の特殊性を適切に反映できていない**
- 再生医療等製品は、従来の治療法と異なる革新的な治療アプローチにより、患者さんに貢献することが期待できる。今後、**再生医療等製品は別カテゴリーで、その革新性・画期性の価値を十分に反映し得る新たな価格算定方式を検討していただきたい**

FIRMの実績・成果（2）

（2）国家プロジェクトへの貢献

- ① 標準化の促進・貢献（ISO/TC 276）
 - 1) 日本発の国際標準（原材料標準）の発行
 - 2) ISO/TC 276 総会の東京開催の実施
- ② 幹細胞安全性評価への貢献（CoNCEPT）
 - 1) 腫瘍性評価に関する共同研究への参画
 - 2) 共同研究成果の国内外への公表（論文投稿、学会発表 等）

（3）FIRMガイド、事例集等の発行

- | | |
|-----------------|------------------------------------|
| ① 自動培養加工装置 ガイド | ⑥ ドライシッパーの使用に関するQ&A |
| ② CPC事例集 | ⑦ プラスチック製器材の留意すべき事項に関するガイド |
| ③ 培地製品サプライヤーガイド | ⑧ 再生医療等製品製造販売指針 |
| ④ 試験検査法/機器の事例集 | ⑨ 業許可申請の手引き |
| ⑤ 細胞加工物等の輸送ガイド | ⑩ 再生医療等製品 開発から承認までの対応事項
チェックリスト |

（4）国際連携

- ① 10ヶ国 12団体とのMOUの締結
- ② 日本橋パートナーリング窓口の開設
- ③ APACRM（アジア再生医療団体連携会議）の開催

FIRMの実績・成果 (3)

(5) 制度の構築

臨床培養技能者養成制度

(6) セミナー、講習会、イベントの開催

- ① 米国ARMとの定期意見交換
- ② 再生医療JAPAN* FIRM主催セミナー
- ③ 再生医療産官学連携シンポジウム**
- ④ 会員交流会
- ⑤ 会員企業とパイプライン保有企業とのマッチングイベント
 - ✓ クロスロード（パートナー支援）***
- ⑥ ベンチャー起業支援
 - ✓ ベンチャー創設支援フォーラム
 - ✓ FIRM's 起業塾

(7) パンフレット類の発行

- ① 年次報告書
- ② 法人パンフ（日本語・英語）
- ③ 会員企業紹介パンフ（日本語・英語）
- ④ 日本の規制制度紹介 小冊子

(8) 規定類等の作成・整備

- ① FIRM VISION2025および中長期計画
- ② コンプライアンスポリシー 等

* : JBAと共催、 ** : JSRM、LINK-Jと共催、 *** : LINK-Jと共催

1) FIRMおよび活動の紹介

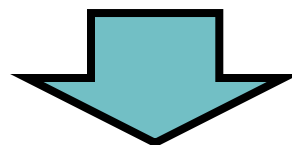
2) FIRM VISION 2025の達成に向けた組織改定

3) 再生医療の課題とFIRMのなすべき役割

FIRM組織改定の目的

FIRM VISION 2025、中長期計画の実行に適した組織体制に改編する。

- ✓ 組織運営上の重点課題に迅速な対応が行える組織
- ✓ 専門家集団として、継続できる組織

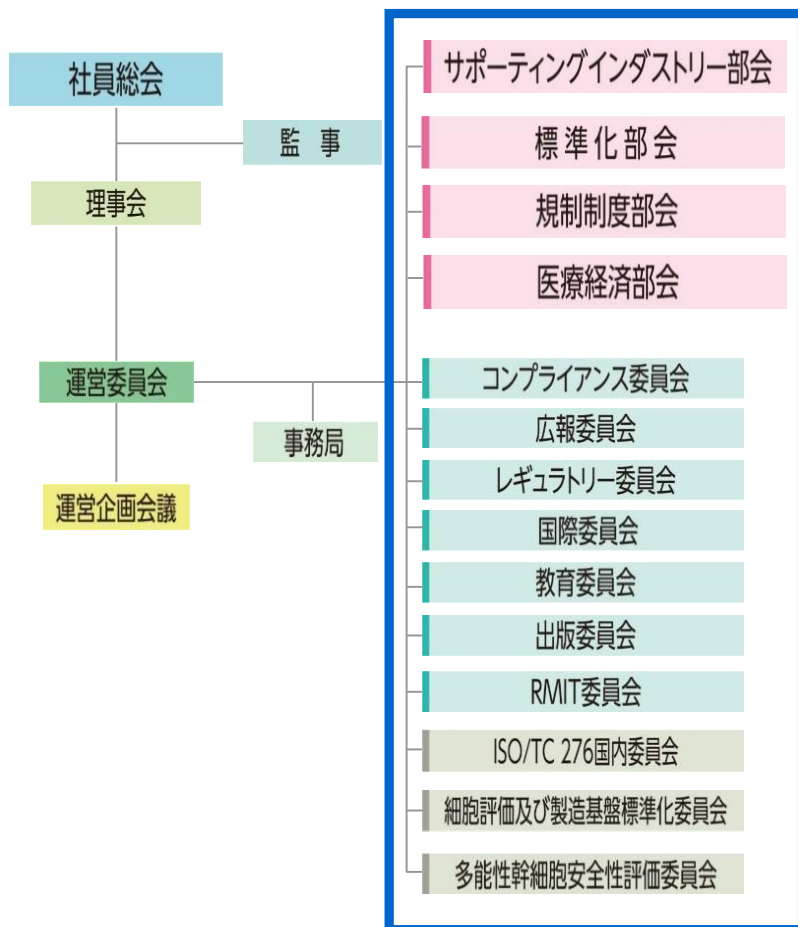


部会・委員会の位置づけ/機能の見直しを行い、必要な組織を新設すると共に、大きく3つの体系に括り、委員会に統一した。

- a) 業界の課題を検討する2つの委員会
- b) 主に組織運営などに関わる7つの委員会
- c) 受託事業を遂行する3つの委員会

FIRMの組織体制変更図

2019年度組織体制



新組織体制 (2020年4月～)



具体的な改定内容

「再生医療等製品委員会」の新設

① 目的

- 1) 製品開発に係る課題を討議する
- 2) サポートイングインダストリー委員会と業界課題等を討議する

② 主な活動内容、検討課題

- 1) 現状の薬機法上の課題 (規制制度部会)
- 2) 薬価の課題 (医療経済部会)
- 3) 国際規制調和の課題 (規制調和部会)
- 4) 製造に関わる課題 周辺産業と討議 (製造関連部会)
- 5) その他 (レジストリー、品質管理等の課題、PMDAとの対話、再生医療施設への支援など)

再生医療等製品委員会：部会の編成と活動

再生医療製品等委員会

- FIRM VISION 2025を達成するために、再生医療等製品の開発・製造・販売等に係る規制等の課題を整理し、優先課題を明確にし、活動を行う。
- 情報共有・意見交換の場として、全メンバーを対象とした全体会を実施する（年2回程度）。

コアメンバー会

コアメンバー及び各部長から構成される。再生医療等製品企業が抱える課題を具体的な提案・提言にまとめ、規制当局と折衝を行い、新設・改善等に繋げる。課題の検討、提案・提言の原案等の作成に関しては、必要に応じて各部会に依頼する。

1. 規格外品（OOS）提供の仕組みの提言
2. 患者アクセスの確保をふまえた医療技術・技術料に関する提案
3. 各部会の活動成果の最終調整・対応等
4. 規制当局等からの意見交換・意見募集への迅速な対応

規制制度部会

規制制度に係る課題検討、提案・提言の原案作成。規制当局等からの意見募集対応。

1. 薬事申請のチェックリスト作成（薬事申請の手引き検討WG）
2. 不具合等報告の手引き作成（不具合等報告の手引き作成WG）
3. 再生医療レジストリの運用改善の提言

医療経済部会

医療経済に係る課題検討、提案・提言の原案作成。規制当局等からの意見募集対応。

1. 製品価値を適正に反映する算定方式の原案検討
2. 2022年改定に向けた中医協（薬専・保材専）課題・意見陳述対応（再生医療等製品専門部会の設置、高コストのエビデンス構築、など）
3. 費用対効果評価（HTA）の取扱い（局長通知）に関するFIRM見解の検討

製造関連部会

製造に係る課題検討、提案・提言の原案作成。周辺産業に係る課題についてのサポーターリングインダストリー委員会との連携。規制当局等からの意見募集対応。

1. 製造方法の変更に伴う一変申請範囲の明確化
2. GCTP省令改定に伴う課題の洗い出し・対応
3. その他製造関連の課題の洗い出し
4. サポーターリングインダストリー委員会との連携による課題の洗い出し・情報交換等

規制調和部会

国際委員会と連携し、APACRMの対応を行うことを当面の活動とする。

1. APACRMへの対応・準備

サポーターディングインダストリー委員会：部会の編成と活動

サポーターディング インダストリー委員会

- FIRM VISION 2025を達成するために、再生医療周辺産業バリューチェーンの整備と活性化のに向けた様々な取り組みを推進する。
- 4つの専門部会と、専門部会にわたる共通課題に取り組む3つの横断WGを活動の柱とする。

コアメンバー会

委員長、副委員長、各部会長・副部会長、横断WGリーダーから構成される。
再生医療周辺製品・サービスを提供する企業が抱える課題を取りまとめ、解決に向けた施策を推進する。

1. コアメンバー会議（月1回）および、全メンバーを対象とする全体会議を開催する。
2. 委員会の窓口として、FIRM内外との交渉、調整等を担当する。今年度は特に、再生医療等製品委員会 製造関連部会との連携を重点課題とする。
3. 委員会の活動全体の取りまとめと、委員会メンバーへの共有
 - 各専門部会の進捗管理と活動支援
 - 部会横断の課題につき、適宜横断WGを設置して対策する。今年度は、イベント企画WG、市場調査企画WG、規格化検討WGの3つの横断WGを置く。

施設・機器部会

再生医療のための施設、機器の諸課題を取り扱う。

1. 既存施設の課題抽出
2. 第三種施設のあるべき姿の検討
3. 規制当局との情報、意見交換
4. 機器勉強会の企画と実施

原材料・資材部会

培地、試薬、器材等、細胞加工における消耗品の諸課題を取り扱う。

1. 原材料・資材の課題抽出
2. 関連する勉強会の開催
3. 培地・試薬ユーザーガイドの取りまとめ
4. 器材ユーザーガイドQA集の作成

物流部会

再生医療に関わる物流、保管の諸課題を取り扱う。

1. 物流の課題抽出
2. 海外の規制情報収集と整理
3. 各種（バンク等含む）施設見学
4. ISO 21973の和訳検討

検査部会

再生医療に用いる検査機器、試薬の諸課題を取り扱う。

1. 検査の課題抽出
2. 関連する勉強会の開催
3. 検査機器事例集のフォローアップ（第3種再生医療等提供施設へのアプローチ）

- 1) FIRMおよび活動の紹介
- 2) FIRM VISION 2025の達成に向けた組織改定
- 3) 再生医療の課題とFIRMのなすべき役割**

わが国の再生医療等製品

※表中のロゴは各社HPより転記

販売名		償還価格		
ジェイス	 J-TEC FUJIFILM Group	広範囲熱傷の治療	2007	一連につき50枚を限度として算定 (参考) 27枚 8,457,000円
ジャック	 J-TEC FUJIFILM Group	外傷性軟骨欠損症、離断性 骨軟骨炎の臨床症状緩和	2012	1 治療あたり 2,129,000円
ハートシート	 TERUMO	重症心不全の治療	2015	標準的使用方法 (5 枚) 14,760,000円
テムセルHS注	 JCR Pharmaceuticals	急性移植片対宿主病 (急性GVHD) の治療	2015	標準的使用方法 (16バッグ) 13,898,880円
ステミラック注	 NIPRO	脊髄損傷に伴う神経症候及 び機能障害の改善	2018	1 回分 14,957,755円
キムリア	 NOVARTIS	急性リンパ芽球性白血病等	2019	1 治療 33,490,000円
コラテジェン	 AnGes	慢性動脈閉塞症における潰 瘍の改善	2019	1 回分 600,360円
ゾルゲンスマ	 NOVARTIS	脊髄性筋萎縮症の治療	2020	1 患者あたり 167,077,222円
ネピック	 J-TEC FUJIFILM Group	角膜上皮幹細胞疲弊症の治 療	2020	1 患者あたり 9,750,000円

再生医療等製品の特徴

- 既存の**治療概念を大きく変える**可能性がある。
- 効果が**長期にわたり持続する**可能性がある。
- 製品に**多様性**があり、各々製造工程・品質管理が異なる上、対象患者数が限られる場合が多い。
- 製品自体の**シェルフライフ（使用・有効期限）が極端に短く**、出荷から投与されるまでの時間的制約がある。
- 携わる**医療従事者の能力に大きく影響を受ける**ことや、高度な医療設備を有する医療機関に使用が限定される場合がある。
- 製造における**サプライチェーンが複雑**であり、そこには数多くの知財が含まれることが多い。

**再生医療は単に製品を提供するのみでなく、
医療自体を提供することから始まる。**

**FIRMは再生医療等製品を提供する企業の
集まりのみではなく、
再生医療産業・文化を創り
上げる企業の集まりである。**

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

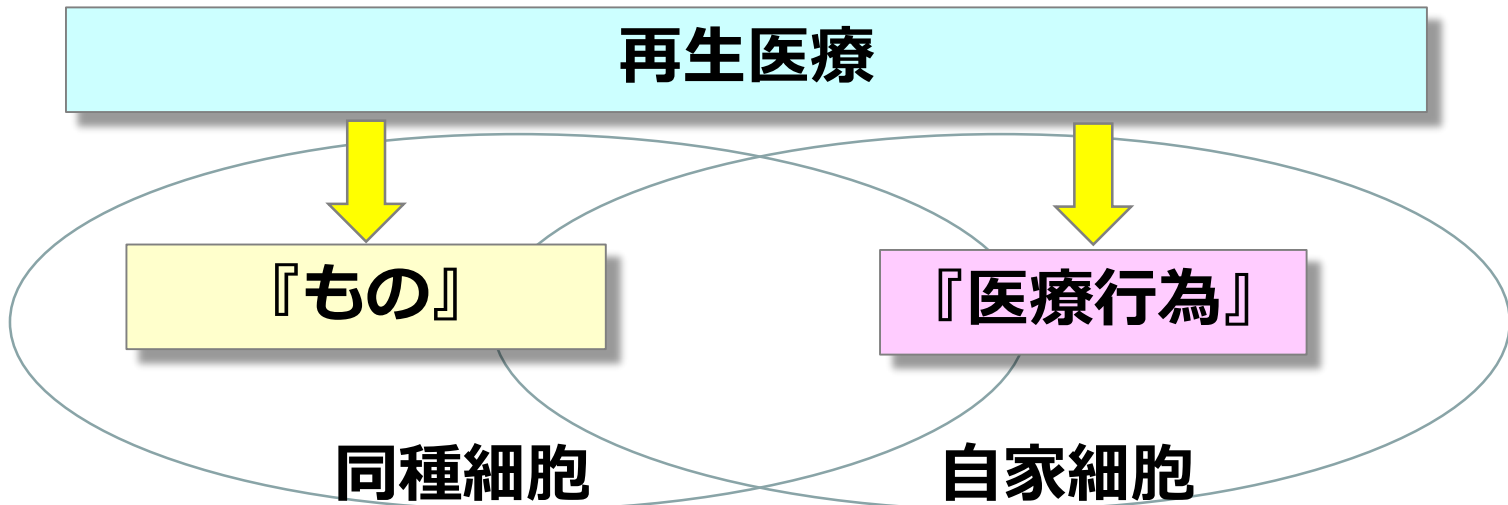
FIRMは
イノベーションの
創出に向けて
チャレンジし続けます

再生医療の多様性

自家細胞	⇔	同種細胞（他家細胞）
多能性期待	⇔	単能性期待
3次元組織	⇔	細胞懸濁液
細胞自体による組織再生	⇔	生理活性物質による効果発揮
持続性・永続性効果	⇔	一過性効果
手術（移植）による投与	⇔	注射（点滴）投与

細胞治療として欧米を中心に開発が進みつつある

再生医療のふたつの顔

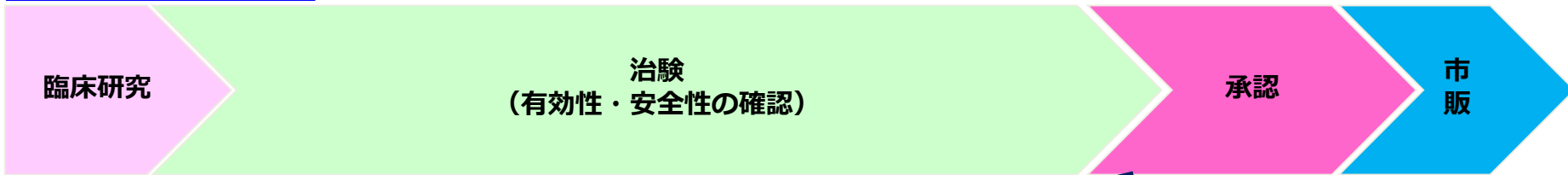


医薬品医療機器等法と早期承認制度

医薬品医療機器等法

再生医療製品の実用化に対応した承認制度

従来の承認までの道筋



再生医療製品の早期の実用化に対応した承認制度等



患者のアクセスをより早く！

- ① 医療行為としての評価
- ② 早期上市後の客観的第三者による評価

レジストリの活用

再生医療産業化に向けた直近の個別課題

- **製品価値を適切に価格へ反映する仕組みの検討**
再生医療の実状に則った品質管理のあり方
- **患者・疾患データの包括的収集**
患者登録システム（レジストリ）の構築と有効活用
レジストリを治験の比較対照群として利活用
- **諸外国との規制調和の推進**
わが国の規制制度の価値・意義を諸外国にアピール
- **商業利用を見据えた細胞調達システムの構築**
提供者との合意形成のモデルケース



FIRMとして取り組むべき課題

FIRM会員からFIRMに向けた期待

- **再生医療等製品数の増加と技術プラットフォーム構築に対する支援**
 - ・ 承認品目/流通品目の増加による経験知の深化
(再生医療等製品委員会)
 - ・ 適切な再生医療サプライチェーンの構築
(サポーティングインダストリー委員会)
- **再生医療を創造できる専門人材の育成**

専門性の高い精鋭集団となって世界をリードする (FV2025)

 - ・ 研究開発、ビジネス構築、規制制度等に寄与するリーダーシップ
 - ・ 培養操作、品質試験操作、その他関連作業のエキスパート
- **一般市民の皆さまへの適切な情報発信**

再生医療への適切な理解と協力
わが国の新しい医療と産業にむけた展望共有

再生医療実現のためのステップ

再生医療製品をつくる

再生医療等製品の数を増やす

再生医療等製品を開発した企業経験を増やす
再生医療等製品を審査した方々を増やす

再生医療産業をつくる

再生医療等製品を手がける企業を増やす

再生医療で利益をあげた企業を増やす
再生医療で利益をあげることができる職種を増やす

再生医療文化をつくる

再生医療を受けた患者様を増やす

再生医療を提供する医療機関を増やす
再生医療を実施する先生方を増やす

「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。



ご清聴ありがとうございました



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