

研究開発事業に係る技術評価書（事前評価）

（経済産業省）

事業名	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 （新規テーマ「再生医療製造基盤技術開発事業」）				
担当課室	商務・サービス G 生物化学産業課				
事業期間	令和2年度～令和6年度（5年間）				
概算要求額	令和2年度 5, 130（百万円）（うち新規テーマ分 900（百万円））				
会計区分	一般会計				
実施形態	国（委託）→ 日本医療研究開発機構 → 大学、事業者等				
PJ / 制度	研究開発課題（プロジェクト）				
事業目的	再生医療等製品のサイズは抗体、遺伝子治療薬と比較して、 $10^9 \sim 10^{21}$ 倍大きく、また構造も複雑であるため、再現性の高い製造は非常に困難である。したがって本事業では、新規参入企業等が有効性、安全性、再現性の高い再生医療等製品を効率的に開発できるよう、開発・規制の観点からコンサルティングを受けることができ、また、薬事規制に沿った製品開発ができるための技術基盤を確立する。				
事業概要 （アキティ）	新規参入企業等が有効性、安全性、再現性の高い再生医療等製品を効率的に開発できるよう、①原料調達から保管・輸送までの製造技術や品質管理等について、課題となる技術の開発、②有効性、安全性、再現性の高い再生医療等製品を効率的に製造するために必要な製造技術基盤（オープンラボにおける多段階プロセスのすり合わせ等）を確立し、製造の実証を行う。（別紙 PR 資料参照）				
アウトプット指標 研究開発に係る活動の成果物。目的達成に向けた活動の水準。		アウトプット目標			
(指標 1) 再生医療要素技術の開発件数		(令和4年度(中間評価時)) 3件(単体)			
(アウトプットの受け手) 再生医療等製品を開発するアカデミア、企業等		(令和6年度(終了時評価時)) 5件(単体)、3件(組合せ)			
アウトカム指標 研究開発に係る活動自体やそのアウトプットによって、その受け手に、研究開発を実施または推進する主体が意図する範囲でもたらされる効果・効用。		アウトカム目標			
(指標 1) 本事業で開発した要素技術を活用した臨床研究又は治験届出件数		(令和4年度(中間評価時)) 1件			
		(令和6年度(終了時評価時)) 3件(累計)			
外部有識者（産構審評価WG又はNEDO研究評価委員会）の所見【技術評価】					
<研究開発内容及び事業アウトプットの妥当性> <事業アウトカム達成に至るまでのロードマップの妥当性> アウトプット目標として「再生医療要素技術の開発件数 5件(単体)、3件(組合せ)」を設定されているが、大枠の課題は示されているものの具体的な検討課題の設定に至っていない。 そのため、検討課題をより明確にするとともに、「再生医療要素技術」に関して公募段階を含めて中間・事後評価で判定可能な具体的なアウトプット目標を設定し、成果がどのようにアウトカムに結びつくのかの道筋も示すこと。 [第49回産業構造審議会評価ワーキンググループ]					
上記所見を踏まえた対処方針					
● 現在、異分野の専門家を結集して全体感に立った具体的な課題の洗い出しを進めているところであり、中間・事後評価で判定可能な具体的なアウトプット目標を研究開発基本計画として整理し、AMEDによる実施の際にはそれらを前提とした公募を行う予定です。 ● また、中間評価においてステージゲートによる管理を行い、産業化を目指した開発技術の絞り込みや、体制の変更も想定した推進をすることで、開発成果をアウトカムに結びつける予定です。					

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2年度概算要求額 **51.3億円（35.8億円）**

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、創薬ツールとしての応用が期待されており、市場の急速な拡大が予想されます。
- また、遺伝子治療については、汎用性のある基盤技術開発などへの支援の必要性が医療分野の学会などにより求められています。
- 再生医療・遺伝子治療の産業化を促進するために、
 - 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応用技術の開発
 - 再生医療等製品の商用生産に向けた製造・評価技術の開発及びその運用のための研究開発
 - 有効性、安全性、再現性の高い再生医療等製品の効率的な開発に必要な技術基盤の確立
 - 高品質な遺伝子治療薬を製造するために必要な高度製造技術開発等を進めていきます。

成果目標

- 平成27年度から令和6年度までの10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6年度までに、再生医療等製品の薬事申請数8件
 - 令和6年度までに、本事業で開発した創薬支援ツールの製薬企業等の利用件数30件等を目指します。

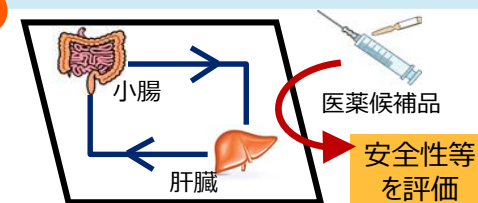
条件（対象者、対象行為、補助率等）



事業イメージ

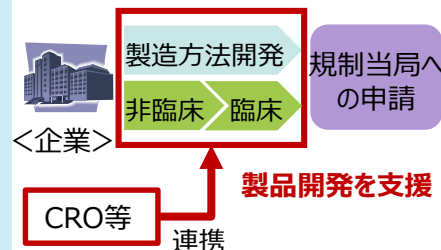
(1) 創薬支援基盤技術開発

- iPS細胞等から分化誘導される各種臓器の細胞等を用いたチップを開発する。



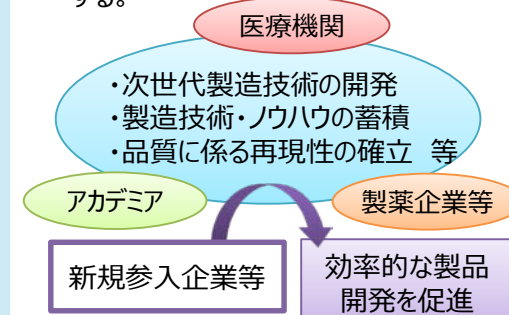
(2) 産業化促進研究開発

- 再生医療等製品の商用生産に向けた製造プロセス構築、評価手法開発及び製造関連技術とその運用のための研究開発を行う。



(3) 再生医療製造基盤技術開発

- 新規参入企業等が有効性、安全性、再現性の高い再生医療等製品を効率的に開発できるように、技術基盤を確立する。



(4) 遺伝子治療製造技術開発

- 遺伝子治療に関する高品質で安全性の高い治療用ベクターの培養・製造技術等を開発し、国際競争力のある大量製造技術を確立する。

