

第1回「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」  
中間評価検討会

議 事 要 旨

1. 日 時 2022年1月17日（火） 17:05～19:58

2. 場 所 経済産業省別館2階232各省庁共用会議室  
Teams 会議併用

3. 出席者

（検討会委員）[敬称略・五十音順、※は座長]

安西 智宏 株式会社ファストトラックイニシアティブ 代表パートナー

内田 和久 一般社団法人バイオリジクス研究・トレーニングセンター  
(BCRET) 専務理事代行 企画担当理事

坂井 千秋 神戸市立医療センター中央市民病院 医長

※三木 秀夫 田辺三菱製薬株式会社 創薬本部 創薬企画部 主席

八代 嘉美 神奈川県立保健福祉大学 ヘルスイノベーション研究科 教授

（事務局）

商務・サービスグループ 生物化学産業課

課長補佐 毛利 涼楓

係員 堀井 悠大

産業分析研究官 新階 央

（評価推進部署）

産業技術環境局 研究開発課 評価班

技術評価係長 浅野 常一

技術評価専門職員 宝関 義隆

4. 配布資料

資料1 評価検討会委員名簿

資料2 研究開発評価に係る委員会等の公開について

資料3 経済産業省における研究開発評価について

資料4 評価方法（案）

資料5 評価コメント及び評点票

資料6 技術評価報告書の構成（案）

資料7 評価用資料

資料8 補足説明資料

## 質問票

### 5. 議事概要

#### (1) 開会

内田委員は COI の関係により、全体プログラムの評価とサブプロジェクト B「遺伝子治療製造技術開発」の評価には参加しないことを説明した。

委員の互選によって、三木委員が本検討会の座長に選出された。

#### (2) 研究開発評価に係る委員会等の公開について

事務局から、「資料2 研究開発評価に係る委員会等の公開について」により、評価検討会の公開について説明がなされた後、本評価検討会について、会議、配布資料、議事録及び議事要旨を公開とすることが了承された。

#### (3) 評価の方法等について

「資料3 経済産業省における研究開発評価について」、「資料5 評価コメント及び評点票」、「資料6 技術評価報告書の構成(案)」については、事前説明をさせていただいたため、当日の説明は省いた。

事務局から「資料4 評価方法(案)」について説明がなされ、了承された。

#### (4) 事業の概要について

事務局及び実施者から、「資料8 補足説明資料」、「資料7 評価用資料」により、複数課題プログラムと3つの事業の概要について説明がなされた。

主な質疑等は以下のとおり。

#### <複数課題プログラムについて>

- ・ 委員から、本分野は国際的に競争が激しく、海外での先端的な技術やパイプラインの開発や、規制当局の動向を注視する必要がある中、本事業では海外動向の調査やアウトプット・アウトカムの修正は行われてきているのか質問があった。事務局からは、事業内において高い頻度で研究開発の進捗報告をいただいていることや、該当分野の動向について定期的に調査を行っていること、それらを踏まえた予算配分の見直し、重点化、方向性を見直しを行っていることについて、遺伝子治療製造技術開発での少量多品種での製造や人材育成に関する課題の追加などを例に回答した。
- ・ 委員から、遺伝子治療分野を中心に開発品目がまだ少ない状況だと認識しているが、製造基盤技術開発と同時にシーズ開発が必要であるという理解でよいか質問があった。事務局からは、開発品の裾野を広げるという観点は非常に重要であり、遺伝子治療分野に関してはシーズの開発を支援する拠点整備も合わせて進めているほか、省内の他の事業において創薬ベンチャー支援を推進している旨回答した。

- ・ 委員から、世界各国でも間葉系幹細胞（MSC）の有効性を検証について苦戦している状況であり、社会需要の形成の観点から、有効性についてもしっかりと発信していくことが重要だというコメントがあった。
- ・ 委員から、文部科学省や厚生労働省が行う他の事業との連携や、各プログラム間での連携が行われているのかという質問があった。事務局からは、AMED が健康医療政策を一体的に進めており、情報のハブや連携促進の機能を果たしていただいている旨回答した。

#### <A：再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術開発 について>

- ・ 委員から、バイオ医薬品分野での毒性評価も課題であるが、こうしたニーズを抽出できる体制となっているかという質問があった。事務局からは、ヘッドクォーターとして国内外で新薬開発を積極的に行っている製薬企業4社に入っただき、バイオ医薬品分野を含めた医薬品の開発に係るニーズを事業に反映している旨回答した。
- ・ 委員から、マッチング研究についてはアカデミア側が募ったのか、もしくは経済産業省や AMED が募ったのか、どのような様式で行ったのかと質問があった。事務局からは、集中研究所が中心となって進めており、実際に製薬企業とデバイスメーカーが集中研究所に来てマッチング研究を行っていた旨回答した。
- ・ 委員から、生体模倣システム Microphysiological system (MPS) の社会実装において誰が事業主体を担うのかが重要である旨の指摘があった。事務局からは、現在実施している第2期事業では①個別デバイスの開発課題に関しては製薬企業との共同研究を必須として公募をかけたこと、②第2期でもマッチング研究を推進するための集中研究所を設置し、製薬企業経験者を運営メンバーに含めていることを説明した。
- ・ 委員から、独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）との連携体制は構築されていたか質問があった。事務局からは、事業開始当初は PMDA との連携が十分ではなかったが、レギュラトリーサイエンスとして厚労省と AMED が実施する医薬品等規制調和・評価研究事業において本事業課題3の石田先生が採択され、本事業と規制対応の橋渡しを担っている旨回答した。
- ・ 委員から、欧米の製薬企業にも日本の MPS を評価いただくことが大切とコメントがあった。

#### <B：遺伝子治療製造技術開発>

- ・ 委員から、本事業で開発している製造技術において、要素技術について成果は上がっているが、一気通貫での製造実証ができてきているのかとの質問があった。事務局からは、事業前半では要素技術開発に注力していたが、4年目以降（令和4年度以降）は対象疾患を定めて非臨床試験、臨床試験のためのサンプル製造を行うことで実証を進めている旨、また、本事業で開発された要素技術は次世代バイオ医薬品製造技

術研究組合の会員企業である CMO/CDMO で活用いただく体制となっている旨、商用での大量生産だけでなく少量多品種で提供するプレイヤーも重要であるため令和4年度から新たに少量多品種で AAV を製造・品質評価する事業者への支援をしている旨を回答した。

- ・ 委員からは、ユーザーである医薬品受託製造開発機関（CDMO）を巻き込んだ上で、開発した技術を最終的に誰が使うのか、出口を見据えて開発することが重要であることが強調された。
- ・ 委員から、遺伝子治療分野において一貫通貫の技術として確立し、ガラパゴス化にならないよう定期的に海外動向をモニタリングしていくことが重要というコメントがあった。
- ・ 委員から、作ったものやノウハウをユーザーに提供して、パイプラインを育てていく機能を次世代バイオ医薬品製造技術研究組合（MAB 組合）に担ってほしい。国内外の臨床研究に使ってもらうべく、アカデミアや産業界への広報や、課題2にメンバーとして入っている機関との連携が重要であるというコメントがあった。事務局からは、今年度から BioJAPAN 等のイベントでの業界への周知を強化しているほか、今後は国内外のベンチャーへの支援等も強化していきたい旨と、来年度から課題2の参画事業者と連携したマウスモデルでの検証等を教戒していく旨を説明した。
- ・ 委員から、ウイルスベクターの安全性の評価にも力を入れていただきたく、例えば新モダリティとしての評価として MPS を使うことはできないかというコメントがあった。

#### <C：ヒト細胞加工製品製造基盤技術開発>

- ・ 委員から、事業アウトカムとして件数としては5件達成しているが、成果が一部のアウトプットに紐づくものに偏っていると指摘があった。事務局からは、他のアウトプットに関しても活用を推進するほか、導出の目処が立たない課題については資金配分の見直しを含め適切に対応していく旨回答した。
- ・ 委員から、目標設定が臨床研究等で活用された数になっており、一定の成果が出ていることは確かだが、MSC の有効性、安全性、同等性をしっかり担保するための技術開発であることを踏まえると、目標として「Phase3 まで進んだ数」も考慮すべきではないかというコメントがあった。
- ・ 委員から、本事業の目的として、MSC の開発に活用出来る重要な技術開発の積み上げという現実的な話にするのか、Quality by Design (QbD) の概念構築とその実証というのを目指していくのかという質問があった。事務局からは、要素技術が活用されて MSC の開発に使われていくことは有意義であり付随的な事業効果として重要であるが、本事業の主たる目的は后者であり、非常に高度な目標ではあるものの、考え方として一定の理解を得られる部分から積極的に言語化し、業界での意見交換の土台を作ることで、丁寧にコンセンサスを形成していきたい旨回答した。
- ・ 委員から、米国で「A-CELL」が開発されるなど細胞の製造法や同一性の考え方に関

する研究や議論が進む中、QbD に基づく製造方法の検討は非常に重要であり、国として支援する意義があるとのコメントと、いずれは医薬品規制調和国際会議（ICH）への提案を期待しているという意見があった。事務局からは、国際的なスタンダードとしていくためには国内に閉じた取り組みをしているだけでは不十分であり、昨年度に ISO TC273 での日本の細胞製造に係る提案が英米からの反対によって通らなかったような事例も存在しているため、今後はアジアでの味方作りを含めて戦略的に進めていきたいと回答した。

#### （５）閉会

「資料５ 評価コメント票」の提出期限を 2022 年 1 月 24 日とすることを確認した。また、第 2 回評価検討会の開催方法について説明した。

以上

お問合せ先

商務・サービスグループ 生物化学産業課 毛利、堀井

電話：03-3501-8625