

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	再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業 (新規テーマ「再生医療技術に応用した創薬支援基盤技術開発」)		推進課室名	商務情報政策局	
事業開始年度	平成29年度	事業終了 (予定) 年度	平成33年度	主管課室名	生物化学産業課
事業の目的	<p>iPS細胞等の幹細胞を用いた再生医療は、臨床現場の新たな治療の選択肢となり、国民の健康増進に大きく寄与することから、市場の急速な拡大が予想され、国際競争も激化している。</p> <p>このため、現在未確立であるiPS細胞等を高品質かつ大量に培養する技術を開発し、これら技術の標準化を推進することにより、iPS細胞等の再生医療への産業応用の促進及び培養装置等の再生医療を支える周辺製品市場での我が国企業の国際競争力を高める。</p> <p>一方、我が国の再生医療製品の開発主体は、再生医療についての規制当局の審査手法が確立していないこと、前例がなく規制当局の審査への対応に多大なコスト・時間がかかること等から、ハイリスクかつ高コストの中でビジネス化を強いられているのが現状である。本事業では、個々の再生医療製品に特有となる安全性、有効性に関する試験項目を明確にし、必要な評価手法を開発することで後続の再生医療製品の実用化を促進する(平成26~30年度)。</p> <p>さらに、新規テーマである「再生医療技術に応用した創薬支援基盤技術開発」では、我が国の強みである微細加工技術等を活用し、これまでに本事業で開発した分化誘導技術や細胞加工技術を融合させ、再生医療の出口産業の一つとして認識されている創薬支援の基盤技術を開発するものであり、再生医療の実用化を促進し、さらに、製薬企業各社の課題である、臨床段階での開発中止のリスクを低減し、新薬開発を促進するものである(新規:平成26~33年度)。</p> <p>本事業目的の達成は、健康長寿社会を実現し、医療関連産業を活性化することにより我が国経済の成長に寄与し、超高齢化社会を乗り越えるモデルを世界に広げる点において、大きな意義を有するものである。</p>				
事業概要	別紙記載のとおり。				
平成29年度概算要求額	3,482 (百万円)(うち新規分は977(百万円))				
成果目標 (アウトカム)	成果指標		単位	中間目標年度 0 年度	目標最終年度 35 年度
	開発成果による製品を導入した企業数	目標値	件	-	30
横断的な施策に係る成果目標及び成果実績 (アウトカム)	成果指標		単位	中間目標年度 0 年度	目標最終年度 0 年度
	0	目標値	0	0	0
地球温暖化対策	算出方法	0			
成果目標及び成果実績(アウトカム)欄についてさらに記載が必要な場合はチェックの上【別紙1】に記載					<input type="checkbox"/> チェック
活動指標 (アウトプット)	活動指標		単位	29年度活動見込	
	創薬支援ツール開発に係る要素技術の確立数、及び、各要素技術の組み合わせの確立数	当初見込み	件	1	
事業所管部局(推進課、主管課)による自己点検・改善状況					
国費投入の必要性	項目	評価	評価に関する説明		
	事業の目的は国民や社会のニーズを的確に反映しているか。	○	再生医療は、手術・投薬など従来の手法では治療困難とされる疾患の根本治療として臨床現場における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、国民の健康増進に寄与し、国民や社会のニーズを反映させている。		
	地方自治体、民間等に委ねることができない事業なのか。	○	再生医療製品の製造に必要な細胞の大量培養装置や自動製造システム、それらの技術を活用した創薬支援システム等を世界に先駆けて開発するため、国内の大学・研究機関・企業等の技術を集約し、オールジャパン体制で開発する必要があることから、国による支援が必要である。また、再生医療製品の治験の方法及び評価手法が確立されておらず、開発の見通しが非常に立てづらい状況であるため、再生医療製品の上市には国による支援が必要である。		
政策目的の達成手段として必要かつ適切な事業か。政策体系の中で優先度の高い事業か。	○	健康・医療戦略(平成26年7月22日閣議決定)において、世界最先端の医療の実現に向けた取り組みに、再生医療の実現が位置付けられている。 また、「今後の幹細胞・再生医学研究の在り方について 改訂版」(平成27年11月11日一部改正)において、創薬ツールとしてiPS細胞の利活用促進に向けた取り組みの強化が求められている。 本事業では、再生医療の実現に向けて課題となっているコストダウンや再生医療製品の早期の上市に対応しており、さらに、創薬ツールとしてiPS細胞等を利用するために課題となっている細胞培養技術や評価技術の確立を目指しているため、政策目的の達成手段として適切である。 また、本事業の再生医療製品の製造にかかる自動大量培養装置等の周辺産業の開発や規制に対応した評価手法の開発、再生医療技術に応用した創薬支援ツールの開発は、再生医療の産業化には必要不可欠な項目であり、優先度の高い事業と言える。			

事業の効率性	競争性が確保されているなど支出先の選定は妥当か。	○	補助先については、医療分野研究開発推進計画(健康・医療戦略推進法にて規定)に基づき医療分野の研究開発を行うために設立された「国立研究開発法人日本医療研究開発機構」において、各省における医療分野の研究開発予算の一元化、基礎研究から実用化までの一気通貫の支援を実現することとされているため、妥当である。
	一般競争入札、総合評価入札又は随意契約(企画競争)による支出のうち、一者応札又は一者応募となったものはないか。	無	本事業は外部の有識者による企画競争審査委員会にて再委託先も含めた実施体制や適切な積算が行われていることなどを提案書を基に審査した上で採択されていることから、支出先の選定は妥当である。
	競争性のない随意契約となったものはないか。	無	
	受益者との負担関係は妥当であるか。	○	海外に先駆けた装置を開発するため、国内の技術を結集させたオールジャパン体制で開発を推進する必要があることから、国の事業として実施する必要があることに加え、本事業で得られた成果を広く活用するために、委託事業で実施することは妥当である。
	単位当たりコスト等の水準は妥当か。	○	契約時や中間段階において各支出先に対する予算使用等を確認する予定であるため、単位当たりコストの水準は妥当となる見込み。
	資金の流れの中間段階での支出は合理的なものとなっているか。	○	契約時や確定検査等で支出の妥当性をチェックする予定であるため、中間段階での支出は合理的なものとなる見込み。
	費目・使途が事業目的に即し真に必要なものに限定されているか。	○	採択審査時や契約時に事業の研究開発に必要な費目・使途であるか精査、確認し、事業目的を達成するために必要な費目・使途に限定されており、さらに、確定検査等で妥当性をチェックする。
不用率が大きい場合、その理由は妥当か。(理由を右に記載)	○	-	
その他コスト削減や効率化に向けた工夫は行われているか	○	相見積り等によるコスト削減に向けた調達や、事業内で定期的に進捗状況報告を行う等、効果的な事業実施に努める予定。	
事業の有効性	成果実績は成果目標に見合ったものとなっているか	-	0
	事業実施に当たって他の手段・方法等が考えられる場合、それと比較してより効果的あるいは低コストで実施できているか。	-	0
	活動実績は見込みに見合ったものであるか。	-	0
	整備された施設や成果物は十分に活用されているか。	-	0
関連事業	関連する事業がある場合、他部局・他府省等と適切な役割分担を行っているか。(役割分担の具体的な内容を各事業の右に記載)	○	
	所管府省・部局名	事業番号	事業名
	文部科学省	0	再生医療実現拠点ネットワークプログラム
文部科学省・厚生労働省	0	疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究	文部科学省事業の「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」等と連携し、相互に必要な技術について情報共有を図っており、円滑な事業推進を支援する。 また評価手法の開発については、厚生労働省と連携し再生医療製品の特性に対する課題の共有等を行う。
点検・改善結果	点検結果	契約時や確定検査時に点検を行うとともに、事業者へのヒアリングや研究開発に係る有識者委員会での議論を聴取することにより、適性かつ効率的な予算使用に努める。	
	改善の方向性	事業者へのヒアリングや研究開発に係る有識者委員会を開催して指摘事項を反映していくとともに、予算の適正な執行および目標達成に努める。	
<b>外部有識者(産業構造審議会評価WG等)の所見【技術評価】</b>			
<p>&lt;当省(国)が実施することの必要性&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>我が国の今後の競争力強化の観点から、このプロジェクトの意義は非常に高い。</li> </ul> <p>&lt;事業アウトカム達成に至までのロードマップの妥当性&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>R&amp;Dに関しては、研究開発項目一つ一つの目標を明確にするとともに、ロードマップを明確にして進めること。</li> </ul> <p>&lt;研究開発の実施・マネジメント体制等の妥当性&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>実施体制がプラットフォームを目指していることは重要であり、プロジェクト管理や知財管理も含めて、AMEDと一体となって進めること。</li> </ul>			
<b>外部有識者(産業構造審議会評価WG等)の所見を踏まえた改善点等</b>			
<ul style="list-style-type: none"> <li>一企業で取り組むことが困難な課題であり、国際的な競争が激化している分野でもあることから、国で実施すべきことが強く期待されている事業であり、速やかに事業を開始できるよう強力で推進していく。</li> <li>研究開発項目の目標設定については、ユーザーフォーラム等も活用し、より明確化していく。ロードマップについては、AMEDと一緒に事業実施者にヒアリングを行うなどAMEDと共同で調査を行い、明確化していく予定である。</li> <li>本事業では各要素技術を結集させ、同じ目的に向かって研究開発を推進するため、技術研究組合やコンソーシアム体制を構築する予定である。今後、公募要領の作成等に当たってもMETIからAMEDへ実施体制や知財管理の方針等を提示し、AMEDと共同で管理体制を構築する。</li> </ul>			

# 再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業

## 平成29年度概算要求額 34.8億円（25.0億円）

### 事業の内容

#### 事業目的・概要

- iPS細胞等の幹細胞を用いた再生医療は、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。本事業では、再生医療を支える周辺製品市場での我が国企業の国際競争力を高めるとともに、再生医療等製品の実用化を促進します。また、再生医療技術を応用した新薬創出を加速します。
- 具体的には、再生医療の産業化のために、
  - ① 現在未確立であるiPS細胞等を高品質かつ大量に培養する技術の開発、及び、これらの技術の標準化の推進
  - ② 個々の再生医療等製品に特有となる安全性、有効性に関する試験項目の明確化、及び、必要な評価手法の開発
  - ③ 再生医療技術を応用し構築した様々な臓器の細胞を利用した、医薬品の安全性等を評価するための基盤技術の開発等を進めていきます。

#### 成果目標

平成26年度から平成30年度までの5年間の事業であり、

- ① 平成31年度までに当事業で開発した再生医療等製品の製造機器等の論文等への引用20件、
- ② 平成30年度までに再生医療等製品の評価手法の対象品目の薬事申請3件、
- ③ 平成35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

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 製造技術開発

- 高品質の幹細胞を安定的に大量供給することにより、幹細胞の再生医療への産業応用の促進及び関連製品の国際競争力強化を図る。

#### 再生医療に必要な製造技術の確立



自動培養装置



培地等

応用・展開

支援・情報共有

応用・展開

再生医療等製品開発主体  
(研究機関・メーカー)

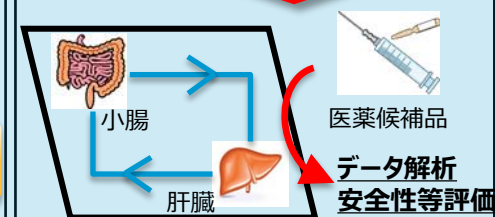
再生医療等製品の  
評価手法開発

情報共有

規制当局 (PMDA)

- 再生医療等製品の開発成功事例を創出しつつ、その開発、実証を通じて規制をクリアするために必要な評価手法を確立

#### ② 評価手法開発



#### チップ等を活用した医薬品の 安全性等評価系の開発

- iPS細胞等から分化誘導される各種臓器の細胞等を応用し、医薬候補品の安全性等を評価する基盤技術を開発することにより、幹細胞の創薬への活用を加速

#### ③ 創薬応用 促進技術開発 (新規)