

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「遺伝子治療製造技術開発事業」)		推進課室名	生物化学産業課	
事業開始年度	平成31年度	事業終了 (予定)年度	平成35年度	主管課室名	同上
事業の目的	再生医療や遺伝子治療は臨床現場において新たな治療の選択肢となりつつあり、またiPS細胞等の幹細胞を用いた再生医療技術は新たな創薬ツールとして期待され、市場の急速な拡大が予想されている。本事業では、再生医療等製品の産業化を促進し、遺伝子治療に関する治療用ベクターの培養・製造技術等を開発するとともに、再生医療技術に応用した新薬創出を加速する。これらにより、我が国発の革新的医療の社会実装を図り、健康長寿社会を実現する。				
事業概要	別紙記載のとおり。				
平成31年度概算要求額	4050 (百万円)(うち新規分は1300(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
	本事業で開発した技術を活用した遺伝子治療の臨床研究件数	目標値	件	-	1
根拠として用いた統計・データ名(出典)	-				
活動指標 (アウトプット)	活動指標		単位	31年度活動見込	
	遺伝子ベクターの開発数	当初見込み	件	0	
活動指標 (アウトプット)	活動指標		単位	31年度活動見込	
	うち国際競争力を有する汎用性ベクターの開発数	当初見込み	件	0	
<b>事業所管部局による点検・改善</b>					
	項目	評価	評価に関する説明		
国費投入の必要性	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・遺伝子治療は、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。	○	再生医療技術を活用した創薬支援システムや遺伝子治療のための技術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・遺伝子治療の産業化に向けて課題となっているコストダウンや再生医療等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、本事業での規制に対応した再生医療等製品の評価手法の開発や製造開発体制の構築、再生医療技術に応用した創薬支援ツールの開発、遺伝子治療のための技術開発は再生医療・遺伝子治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貫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。		
	一般競争契約、指名競争契約又は随意契約(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)	-	-	
	繰越額が大きい場合、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。	-	-	
	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。	-	-	
	活動実績は見込みに見合ったものであるか。	-	-	
	整備された施設や成果物は十分に活用されているか。	-	-	
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)	○	「ゲノム医療実現推進に関するアドバイザリーボード」により、遺伝子治療の研究開発の推進について議論し、関係省庁と協力して国内外の動向などの現状認識及び日本における今後の課題と方針を「ゲノム医療実現推進に関するアドバイザリーボード平成29年度報告」として、平成30年4月にとりまとめたところであり、引き続き関係省庁及びAMEDと連携しながら、研究開発を進める。	
	所管府省名	事業番号		事業名
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等での議論を聴取することにより、適性かつ効果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等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又はNEDO研究評価委員会)の所見【技術評価】</b>				
<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>・予算の戦略的な有効活用を含め、全体のマネジメントに留意をすること。</li> </ul> <p>&lt;研究開発内容及び事業アウトプットの妥当性&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・関係省庁、PMDAとの連携を確実に実施し、将来の戦略につながるよう推進すること。</li> <li>・人材育成も大きな目標の一つとして実施すること。</li> </ul> <p>[産業構造審議会評価WG]</p>				
<b>上記の所見を踏まえた対処方針</b>				
<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>・遺伝子治療薬の製造に熟知している指揮官を確保することでマネジメント体制を強化し、出口に向けて着実にプロジェクトを進めていく予定です。また、事業を進める中で生じる課題を研究実施者等と整理し、プライオリティの高い課題から取り組むことにより予算の戦略的な有効活用にも努めてまいります。</li> </ul> <p>&lt;研究開発内容及び事業アウトプットの妥当性&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・遺伝子治療薬を上市するためには、規制当局である厚労省、PMDAとの連携は必須であり、事業途中においても必要に応じて助言等をいただく機会を設ける予定です。また文科省事業で開発した新たなシーズを産業化の観点から本事業で引き続き開発するためにも、これら関係者が密に意見交換を行い、研究開発の方向性を検討する委員会を設置して、シームレスな連携を目指して実施してまいります。</li> <li>・産業人材育成のための専門家向けの教材の作成を進めるとともに、集中研究等の施設を活用して実務人材の育成にも努めてまいります。</li> </ul>				

# 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

## 平成31年度概算要求額 46.0億円（32.0億円）

### 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、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、アカデミアによる研究成果を実用化に進めるための支援体制が脆弱であることが、「ゲノム医療実現推進に関するアドバイザリーボード」で指摘されており、汎用性のある基盤技術開発などへの支援の検討など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、
  - 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
  - 再生医療等製品の安全性、有効性等の評価手法の開発や、開発業務受託機関（CRO）等と連携した製品開発の体制整備等の支援
  - 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年度から平成35年度までの9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、
- 平成35年度までに、再生医療等製品の薬事申請数5件
  - 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。

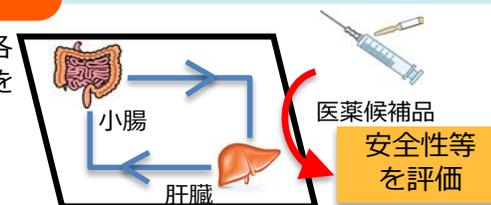
#### 条件（対象者、対象行為、補助率等）



### 事業イメージ

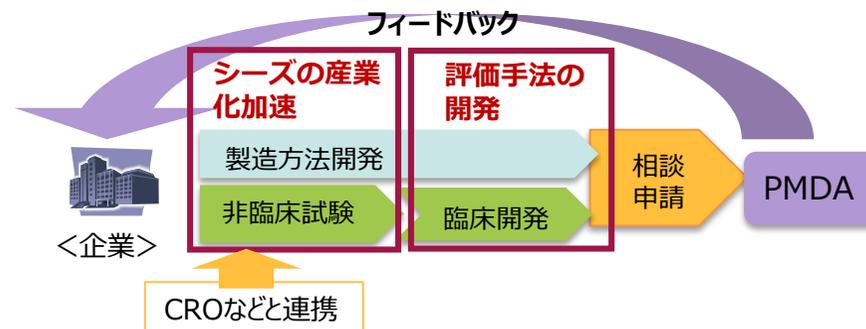
#### (1) 創薬支援基盤技術開発

- 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

- 安全性、有効性等の評価手法を開発する。
- 企業がCROなどと連携し、薬機法に基づく製品開発体制の構築等を支援する。



#### (3) 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。

