

新規研究開発事業に係る事前評価書

1. 事業情報

事業名	再生・細胞治療次世代製造技術開発 (上位事業：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)
担当部署	経済産業省 商務・サービスグループ 生物化学産業課
事業期間	2025年度～2030年度(6年間)
概算要求額	2025年度 580百万円
会計区分	<input checked="" type="checkbox"/> 一般会計 / <input type="checkbox"/> エネルギー対策特別会計
類型	<input checked="" type="checkbox"/> 研究開発プロジェクト / <input type="checkbox"/> 研究資金制度
上位政策・施策の目標(KPI)	新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画(令和6年6月21日閣議決定)において、「ゲノム創薬を始めとする次世代創薬、iPS細胞等の再生医療・創薬、細胞医療、遺伝子治療の取組を推進する。」とされ、経済財政運営と改革の基本方針2024(令和6年6月21日閣議決定)において、「iPS細胞を活用した創薬や再生医療等の研究開発の推進及び同分野に係る産業振興拠点の整備・・・を推進する」とされたことを受け、実用化の促進に向けた取組みの強化として、これらモダリティに関する製造基盤技術の開発を実施することとしている。
事業目的	再生医療・遺伝子治療は、従来の医療技術では治療不可能だった疾患の改善が可能である。しかし、従来の医薬品より、作業者間の手技差が大きいため品質が安定しない、製造費が高額といった課題が再生医療・遺伝子治療の産業化で障壁となり、多くの患者さんに治療を届けるのが不十分な状況である。 再生医療・遺伝子治療の製造プロセス開発や製造に汎用可能な細胞培養自動化装置を中心とした自動化プラットフォームを開発し、上記の産業化の課題を解決することで、再生医療・遺伝子治療の開発が推進され、多くの患者さんに再生医療・遺伝子治療を届けることを目指す。
事業内容	本事業では再生医療・遺伝子治療の製造プロセス開発や製造に汎用可能な自動化プラットフォームを開発し、品質が安定しない、製造費が高額といった産業化の課題を解決することで、再生医療・遺伝子治療の開発が推進され、多くの患者さんに再生医療・遺伝子治療を届けることを達成するため、以下の研究開発項目を実施する。 (研究開発項目①) 製造プロセス開発や製造に汎用可能な自動化プラットフォームの開発 <ul style="list-style-type: none"> ・ 事業期間内に再生医療・遺伝子治療の細胞培養自動化装置を中心とした製造プロセス開発や製造に汎用できる自動化プラットフォームの開発を目指す。 ・ 自動化プラットフォームの中心となる細胞培養自動化装置の開発メーカー、自動化プラットフォームの開発や評価に使用する創薬シーズを提供する創薬シーズ提供者、自動化プラットフォームを用いた製造プロセス開発や製造を実証するCDMOの3機関の参画を必須とし、汎用可能な自動化プラットフォームに必要な機能

	<p>を開発するソフトウェアメーカーや分析機器メーカーが必要に応じて参画したコンソーシアムで課題に取り組む。</p> <ul style="list-style-type: none"> 自動化プラットフォームの規制対応、汎用化、マネタイズなどについて適切な専門家を交えて議論する委員会を設置し、議論結果を開発に反映させる。 	
アウトカム 指標		アウトカム目標
短期目標 2031 年度	事業成果である自動化プラットフォームを活用し、逸脱数削減等の有用性が見られた再生医療・遺伝子治療の非臨床・臨床試験入りの数	2 件
長期目標 2036 年度	事業成果である自動化プラットフォームを活用し、逸脱数削減等の有用性が見られた再生医療・遺伝子治療の薬事申請件数	1 件
アウトプット 指標		アウトプット目標
中間目標 2028 年度	手作業の時と比較し、自動化プラットフォームの有用性を示す性能数	3 件 (逸脱数削減、製造費削減、生産性向上など)
最終目標 2030 年度	逸脱数削減など自動化プラットフォームの有用性が見られた創薬シーズ数	5 件 (事業開始からの累計)
マネジメント	<ul style="list-style-type: none"> 個々の採択課題は、3 年目に AMED にて外部有識者によるステージゲート審査を行う。 月に 1 回程度、AMED にて開催される PSPO 会議で進捗状況を確認し、必要に応じて事業計画を見直す。 事業開始 4 年目と終了時に、中間評価、終了時評価を実施する。 	
プロジェクトリーダー等	<ul style="list-style-type: none"> 採択者の代表として、テーマ毎の研究開発目的と達成度、実用化・事業化の見込みを確認し、目標達成に向けた指導を行う。 PSPO からの依頼に応じて速やかに各テーマへの指導等を行う。 	
実施体制	経産省（定額補助） → AMED（補助） → 大学、民間企業等	
	研究開発項目①：細胞培養自動化装置メーカー、創薬シーズ提供者、CDMO、ソフトウェアメーカーなど	

2. 評価

経済産業省研究開発評価指針（令和4年10月）に基づく標準的評価項目・評価基準を踏まえて事前評価を行い、適合性を確認した。以下に、外部評価者の評価及び問題点・改善点に対する対処方針・見解を示す。

(1) 外部評価者

河内 幾生 富士フィルムホールディングス（株） 国際標準化推進室 シニアエキスパート

櫻井 信豪 日本PDA製薬学会 学会理事、東京理科大学 薬学部 薬学科 教授

三木 秀夫 田辺三菱創薬（株） R&D マネジメント本部研究開発企画部企画 G 主席

（五十音順）

※評価期間：令和6年4月22日～令和6年4月25日

(2) 評価

① 意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋

品質の恒常性が求められるが開発が難しい再生医療、遺伝子治療の領域で、本事業で開発を目指す汎用性の高い自動化プラットフォームは本領域の産業化促進に有効であり、課題である品質安定性の担保及びコストダウンに対し、開発戦略を明確にして、既存の自動化装置との差別化がなされた自動化プラットフォームを開発できれば、国内CDMOの国際競争力を強化することが期待できる。特にポテンシーのモニターなど分析機器まで含めた自動化は、データの完全性・信頼性の観点からも実証出来れば産業としての価値は高い。このような先進的な技術・設備のニーズを開発に活かせる体制で取組む本事業は意義が高い。

国際的に市場を獲得するためには、適切な知財戦略、知財マネジメントが不可欠であることから技術に精通する知財専門家の関与、また異業種連携体制となることから、適切かつ迅速な知財管理を目的とする委員会の設置は不可欠である。本事業では、この点を意識したオープン・クローズ戦略となっている。

他方、製品・サービスの国際市場におけるシェア獲得を目指すのであれば、アウトカムの短期目標までのスケジュールが遅いのではないかと感じる。分担機関ごと具体的に細分化した計画の明示を提案者に求め、進捗管理を行い、可能であればこの時点で臨床入り、さらには臨床POCが望める案件が採択できることを期待する。

事業の中で、（事業開始までに発行見込みである）細胞製造マネジメント標準（JIS Q 2101）を理解（好ましくは適合）すること、開発する自動化装置の特長を要求事項とする国際標準開発を検討すること、などが議論されるとさらに良い。

自動化を実施した場合も一定数の人材が必要とされることを念頭に置き、作業者育成も並行して考える必要がある。

良い創薬シーズの早期の承認に向けて、自動化がネックにならないような配慮も必要である。

② 目標

アウトプット目標に自動化プラットフォームの有用性、汎用性を設定していることは本事業の目的に叶っている。有用性の詳細内容、及びその評価基準を今後の議論で柔軟に決めることが良い。さらに複数の創薬シーズでの応用を目指してほしい。また、国費投入総額が大きいので、費用対効果として世界市場の10%を狙うことは妥当である。

他方、記載されているアウトカムの達成時期では遅く感じる。目標を達成したものの結果的には国際競争力に劣るというようなことにはならないように、研究開発スピードと達成目標のバランスを十分に考慮して実行すべきである。

アウトプット目標に様々な治療製品の製造プロセスに応じて自動化装置を設計可能な状態にすることや競合製品（ベンチマーク）に対する優位性も想定するべきであり、ベンチマークに対して競争力が劣るようであれば中止判断も必要である。また、人手と自動化の逸脱数の単純比較は困難と思われるので、リスク評価による改善総数のほうが目標値として分かり易いのではないか。

③ マネジメント

AMED にて横並びの評価を受けることで、適切な研究開発支援が遂行できることから、実施体制は妥当である。また、適切に Go/No go を判断するためにステージゲートで事業評価することは妥当であり、高い評価を得られた場合に投資額が増額できることは魅力的である。

他方、マスタースケジュールに基づき、分担機関ごとの具体的なスケジュール案を明確にした上で、定例会議での進捗管理（ビハインドの場合は修正スケジュール案に対する議論）が必要である。

事業後半に検討する新たな創薬シーズに対する製造プロセス検討が前半の期間に行われて CPP の特定がなされたほうが良い。

本事業の成功には、バイオロジーとエンジニアリングの相互理解など異なる業種間の連携を強化して、円滑にプロジェクトを進める必要があり、そのためには委員会の設置に加えて能力の高いプロジェクトリーダーやプロジェクト全体の進捗を適切かつ柔軟に管理する体制（製造プロセスを開発しながら、適切かつ堅牢な力価試験を設定するなど）が必要である。

キックオフから中間評価までの間、月1回程度の進捗会議は多すぎるような気がする。計画からの逸脱、変更が生じる等のイベント時に開催するよう、柔軟な対応としたほうが良いのではないか。

創薬シーズによっては事業リスクが大きく、補助率の低減も視野に入れて支援することが望ましい。

(3) 問題点・改善点・今後への提言に対する対処方針

① 意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋

問題点・改善点・今後への提言	対処方針・見解
<p>製品・サービスの国際市場におけるシェア獲得を目指すのであれば、アウトカムの短期目標までのスケジュールが遅いのではないかと感じる。分担機関ごと具体的に細分化した計画の明示を提案者に求め、進捗管理を行い、可能であればこの時点で臨床入り、さらには臨床 POC が望める案件が採択できることを期待する。</p>	<p>品質同等性/同質性を考慮すると、創薬シーズの開発途中に手技から自動装置への変更は困難と考えている。よって、自動化を検討するのが、非臨床前の創薬シーズであることを考慮すると、アウトカム短期目標で臨床 POC を望むのは厳しい。ただし、委員の提言のとおり国際市場のシェア獲得を目指すならば、自動化プラットフォームの研究開発スケジュールの速さは重要である。そこで、審査時に研究開発スケジュールが重要視されるように公募要領の記載を工夫する。また、成果達成に向けた進捗が著しい場合、研究費の追加配賦などで研究開発の加速を</p>

	図る。
事業の中で、(事業開始までに発行見込みである)細胞製造マネジメント標準 (JIS Q 2101) を理解 (好ましくは適合) すること、開発する自動化装置の特長を要求事項とする国際標準開発を検討すること、などが議論されるとさらに良い。	公募までのヒアリングなどにより、国際標準開発のニーズを把握し、必要であれば公募要領に反映させる。
自動化を実施した場合も一定数の人材が必要とされることを念頭に置き、作業者育成も並行して考える必要がある。	一定数の人材が必要とされることを踏まえ、自動化すべきプロセスの精査および同時並行での作業者育成も検討する。
良い創薬シーズの早期の承認に向けて、自動化がネックにならないような配慮も必要である。	採択審査の際、および事業執行後の定期的な進捗会議においても、創薬シーズの開発進捗と自動化の進捗に齟齬が無いかよく確認を行うこととする。

② 目標

問題点・改善点・今後への提言	対処方針・見解
記載されているアウトカムの達成時期では遅く感じる。目標を達成したものの結果的には国際競争力に劣るといふようなことにはならないように、研究開発スピードと達成目標のバランスを十分に考慮して実行すべきである。	品質同等性/同質性を考慮すると、創薬シーズの開発途中に手技から自動装置への変更は困難と考えている。よって、自動化を検討するのが、非臨床前の創薬シーズであることを考慮すると、アウトカム短期目標で臨床 POC を望むのは厳しい。ただし、委員の提言のとおり国際市場のシェア獲得を目指すならば、自動化プラットフォームの研究開発スケジュールの速さは重要である。そこで、審査時に研究開発スケジュールが重要視されるように公募要領の記載を工夫する。また、成果達成に向けた進捗が著しい場合、研究費の追加配賦などで研究開発の加速を図る。
アウトプット目標に様々な治療製品の製造プロセスに応じて自動化装置を設計可能な状態にすることや競合製品 (ベンチマーク) に対する優位性も想定すべきであり、ベンチマークに対して競争力が劣るようであれば中止判断も必要である。また、人手と自動化の逸脱数の単純比較は困難と思われるので、リスク評価による改善総数のほうが目標値として分かり易いのではないか。	現時点でアウトプット目標は、自動化装置を開発している海外メーカーを参考に逸脱数削減、製造費削減、生産性向上を例示したが、限定していない。提案者が公募時に作成する研究開発提案書に海外シェアを取るための有用性とその評価方法を記載する旨を公募要領に記載する。

③ マネジメント

問題点・改善点・今後への提言	対処方針・見解
<p>マスタースケジュールに基づき、分担機関ごとの具体的なスケジュール案を明確にした上で、定例会議での進捗管理（ビハインドの場合は修正スケジュール案に対する議論）が必要である。</p>	<p>採択審査後の研究計画策定段階にて、AMED とも連携しつつ具体的なスケジュール案を明確にする。また、月に1回程度実施する PSPO 会議を中心として、進捗管理を実施する。</p>
<p>事業後半に検討する新たな創薬シーズに対する製造プロセス検討が前半の期間に行われて CPP の特定がなされたほうが良い。</p>	<p>自動化装置の開発と CPP の特定は事業者の提案によって前後することが考えられるため、現時点で CPP の特定時期については事業計画に明言していない。従って、提案者が公募時に作成する研究開発提案書に明確な研究計画を記載する旨を公募要領に記載する。</p>
<p>本事業の成功には、バイオロジーとエンジニアリングの相互理解など異なる業種間の連携を強化して、円滑にプロジェクトを進める必要があり、そのためには委員会の設置に加えて能力の高いプロジェクトリーダーやプロジェクト全体の進捗を適切かつ柔軟に管理する体制（製造プロセスを開発しながら、適切かつ堅牢な力価試験を設定するなど）が必要である。</p>	<p>審査時に採択者の代表となるプロジェクトリーダーに異なる業種間の連携を円滑に進める能力が十分にあるか、提案者が進捗を適切に管理できる体制となっているか評価する旨を公募要領に記載する。</p>
<p>キックオフから中間評価までの間、月1回程度の進捗会議は多すぎるような気がする。計画からの逸脱、変更が生じる等のイベント時に開催するよう、柔軟な対応としたほうは良いのではないか。</p>	<p>現時点では進捗会議の頻度を月1回程度とし、キックオフ会議で PSPO 及び採択者の協議にて、その頻度を決定する。</p>
<p>創薬シーズによっては事業リスクが大きく、補助率の低減も視野に入れて支援することが望ましい。</p>	<p>ご指摘の通り、創薬シーズを保持している者の中には、アカデミアやベンチャー企業等、資金力の無い者も十分に想定されることから、それらを考慮した補助率になるよう、検討する。</p>

(参考) 外部評価者の評価コメント

以下、外部評価者から入手した意見を記載する。

① 意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋

【肯定的意見】

- 培養自動化装置は、再生医療の産業化促進に有効であり重要なテーマではある。特に、課題である品質安定性の担保及びコストダウンに対し、原因分析、対応方針、既存の自動化装置の状況分析に基づき開発戦略を明確にすることで、差別的な装置の提供が期待される。なお、自動化の際には、クリティカルプロセスパラメーター（CPP）の特定及びその制御が重要になると思われる。
- 日本のバイオ医薬品産業を活性化、国際競争力を強化するためには、国内 CDMO の製造機能強化および能力拡大、それを支える先進的な技術・設備の獲得は不可欠であることから、装置メーカー、CDMO、創薬シーズ提供者の 3 者で取組む本事業は意義が高い。
- 国際的に市場を獲得するためには、適切な知財戦略、知財マネジメントが不可欠であることから技術に精通する知財専門家の関与、また異業種連携体制となることから、適切かつ迅速な知財管理を目的とする委員会の設置は不可欠である。
- 品質の恒常性が求められるが開発が難しい本領域で、汎用性の高い自動化プラットフォームを目指す意義は高い。
- 品質、特にポテンシーのモニターが製造と連続的に連携するが実証出来れば産業としての価値は高い。さらに細胞治療製品の連続生産の規制上の標準化も視野に入る。
- 分析機器まで含めた自動化は、データの完全性・信頼性の観点から優れた完成すると考えられる。

【問題点・改善点・今後への提言】

- ロードマップ（P10）の概略は妥当と考える。製造実績のない創薬シーズに対する検討プロセス（真ん中の矢印）を実施するためには、創薬シーズの提供に基づき CPP 特定を含めた製造プロセス検討が前半の期間に実施され、そこで特定された CPP を自動化装置により制御可能か判断することが後半の期間に行う検証のポイントである。これを踏まえ、分担機関 A, B, C, D ごと具体的に細分化した計画の明示を提案者に求め、進捗管理を行うことが事業成功の鍵と考えられる。
- 本事業に関してオープンにすべきことは、安定製造に関わる考え方を示した JIS Q 2101 以外に明確に想定されているのか、評価者には不明確である。無理にオープン領域の設定を行うことなく、公開によるオープンリスクを踏まえた特許出願計画ができれば十分ではないか。
- 標準に関して「標準化戦略の検討を促す」との記載は良い。事業の中で、（事業開始までに発行見込みである）細胞製造マネジメント標準（JIS Q 2101）を理解（好ましくは適合）すること、開発する自動化装置の特長を要求事項とする国際標準開発を検討すること、などが議論されるとさらに良い。
- 製品・サービスの国際市場におけるシェア獲得を目指すのであれば、アウトカムの短期目標を非臨床、臨床入りとしている点については遅いのではないかと感じる。可能であればこの時点では臨床入りしていること、さらには臨床 POC が望める案件が採択できることを期待する。
- 本事業の目標は高いが、良い創薬シーズの早期の承認に向けて、自動化がネックにならないような配慮も必要。
- 自動化を実施した場合も一定数の人材が必要とされることを念頭に置き、作業者育成も並行して考える必要がある。

② 目標

【肯定的意見】

- アウトカム目標は妥当と考えられる。性能の詳細内容、及びその評価基準を今後の議論で決めると柔軟であることが良い。
- アウトプット目標に自動化プラットフォームの有用性、汎用性を設定していることは本事業の目的に叶っており、手作業に対して逸脱数を 75%、製造費を 65%抑制とする目標値の達成、さらに複数の創薬シーズでの応用を目指してほしい。
- 国費投入総額が大きいので、費用対効果として世界市場の 10%を狙うことは妥当である。

【問題点・改善点・今後への提言】

- アウトプット目標は、汎用性を前提とした目標設定でなくて良いのではないかと？コスト最適化を踏まえ、様々な治療製品の製造プロセスに応じて自動化装置を設計可能な状態にすることも目標を達成する姿として想定するべきである。
- 2028年の市場予測をもとに経済効果を期待していることから、本課題に設定したアウトカムの達成時期では遅く感じる。目標を達成したものの結果的には国際競争力に劣るといふようなことにはならないように、研究開発スピードと達成目標のバランスを十分に考慮して実行すべきである。
- アウトプット目標を手作業との比較における有用性としているが、これに加えて競合製品（ベンチマーク）に対する優位性も評価すべきではないか。ベンチマークに対して競争力が劣るようであれば中止判断も必要である。
- 開発段階は逸脱とそれに伴う変更の繰り返しであり、人手と自動化の逸脱数の単純比較は困難と思われる。逸脱に対するリスク評価による改善総数のほうが目標値として分かり易いのではないかとと思われる。

③ マネジメント

【肯定的意見】

- 実施体制は妥当である。事前準備期間を短縮している点も良い。短縮可能とした理由を明記するとより良い。
- 受益者負担の考え方は妥当と考える。装置メーカーだけでなく CDMO も本事業により製造プロセス構築の実績を示すことが可能となるため、記述を追加しても良いと考えられる。
- 高額な開発費とリスクの高さが参入障壁となるから補助事業であること、一方で適切に Go/No go を判断するためにステージゲートで事業評価することは妥当である。また、高い評価を得られた場合に投資額が増額できることは魅力的である。
- 他のモダリティとの一部競争関係あるとの理解は正しく、AMED にて横並びの評価を受けることで、適切な研究開発支援が遂行できる。

【問題点・改善点・今後への提言】

- ステージゲートを設ける施策は、事業管理、実施者に対するモチベーションの点でも良いと考える。なお、後半に検討する新たな創薬シーズに対する製造プロセス検討が前半の期間に行われて CPP の特定がなされることも追記したほうが良い。
- 1 - 2 項同様、マスタースケジュールに基づき、分担機関ごとの具体的なスケジュール案を明確にした上で、定例会議での進捗管理（ビハインドの場合は修正スケジュール案に対する議論）が必要である。この旨を明記することが望ましい。
- 本事業には、バイオロジーとエンジニアリングの相互理解が重要であり、開発品の品質特性を十分に理解して自動化された製造プロセスを開発するために、プロジェクト全体の進

捗を適切かつ柔軟に管理する体制（製造プロセスを開発しながら、適切かつ堅牢な力価試験を設定するなど）が必要である。

- 本事業の成功には、異なる業種間の連携を強化して、円滑にプロジェクトを進める必要があり、そのためには委員会の設置に加えて能力の高いプロジェクトマネージャーが不可欠な存在になるのではないかと考える（適切なプロジェクトマネージャーの採用が課題になるかもしれません）。
- 創薬シーズによっては事業リスクが大きく、補助率の低減も視野に入れて支援することが望ましい。
- 中間評価時期を遅らせたことは評価できるが、キックオフから中間評価までの間、月1回程度の進捗会議は多すぎるような気がする。計画からの逸脱、変更が生じる等のイベント時に開催するよう、柔軟な対応としたほうは良いのではないか。

医療・健康推進事業のうち、

(7) 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7年度概算要求額 **39億円 (38億円)**

商務・サービスグループ

生物化学産業課

手続課	生物化学産業課
保存期間	令和17年3月31日まで保存 (セット後保存期間10年)
性質/日付	機密性2、令和6年8月30日
備考	予算要求資料

事業の内容

事業目的

再生医療や遺伝子治療の技術は、臨床現場における新たな治療の選択肢や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・細胞医療・遺伝子治療の産業化の促進に向け、ヒト細胞加工製品や、遺伝子治療に用いる治療用ベクターおよび遺伝子改変細胞等の安定的かつ効率的な製造技術等を開発するとともに、再生医療技術を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、拡大する世界の医療・医薬品市場の取込みによる経済成長への貢献と、国民が健康な生活及び長寿を享受することの出来る社会（健康長寿社会）の実現を目指す。

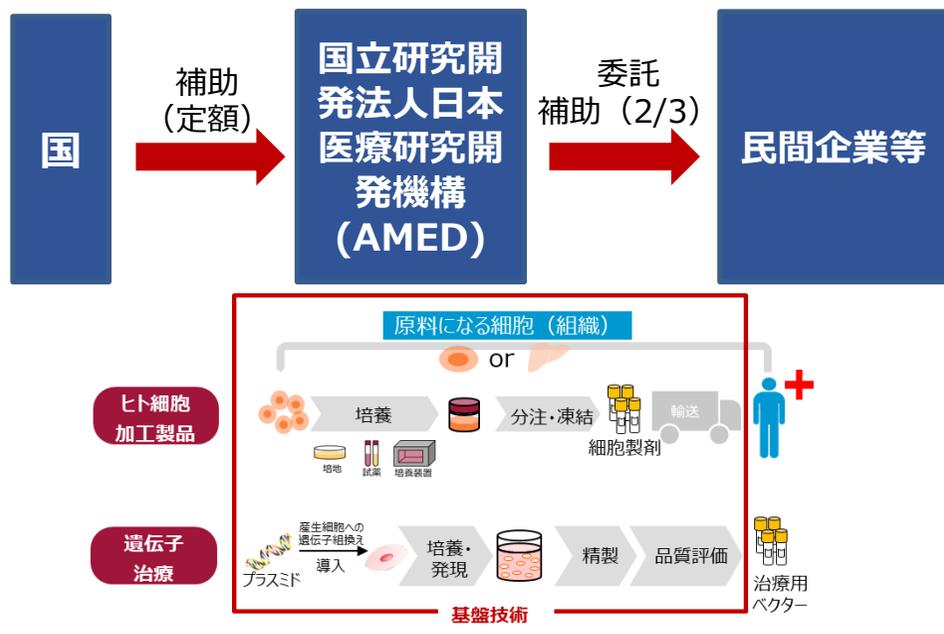
事業概要

再生医療・遺伝子治療分野の産業化を促進するため、以下の取組みを支援する。

- ① 遺伝子治療に用いる安定的かつ効率的なウイルスベクターおよび遺伝子改変細胞の製造・評価技術を開発する。
- ② 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創薬支援ツールを開発する。
- ③ 再生医療・遺伝子治療の製品開発を目指す企業等の製造プロセス構築や評価手法の開発を支援する。
- ④ 再生医療・遺伝子治療製品の安定的かつ効率的な商用製造に向け、製造プロセス開発や製造に汎用可能な自動化プラットフォームを開発する。

※委託事業として実施するが、一部（③④の民間事業者等による開発）は補助事業として実施。

事業スキーム（対象者、対象行為、補助率等）



成果目標

- ① 令和10年度までに、本事業で支援した再生医療・遺伝子治療の開発品のうち治験終了件数12件
- ② 令和15年度までに、製造工程内に本事業で開発したコア技術を組み込んだ上で提出された治験届件数3件等を目指す。