

産業構造審議会 産業技術環境分科会 研究開発・イノベーション小委員会

評価ワーキンググループ（第66回）

議事録

日時：令和5年3月23日（木曜日）13時00分～16時00分

場所：Web会議（Teams）

議題：

1. 複数課題プログラムの評価について（審議）
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】
2. 経済産業省研究開発事業の令和4年度追跡調査及び追跡評価の結果について（報告）
3. プログラム評価方法について（報告）
4. その他

出席委員：鈴木座長、秋澤委員、浦野委員、亀井委員、竹山委員、西尾委員、浜田委員

議事内容：

○金地技術評価調整官

それでは、まだ一部の委員の方をお待ちしている状況ではございますけれども、定刻を過ぎておりますので、産業構造審議会第66回評価ワーキンググループを開催いたします。

皆様、御出席いただきまして、ありがとうございます。

本日は鈴木座長を含め、委員全員の方が御出席ということで予定をさせていただいております。オンラインでの御参加となっております。どうぞよろしくお願いいたします。

早速ではございますが、鈴木座長、議事進行をよろしくお願いいたします。

○鈴木座長

それでは、まず最初に、事務局から本会議の公開方法の御説明と資料の確認についてお願いします。

○金地技術評価調整官

本日はオンライン開催となっておりますので、傍聴についてはYouTube配信により行っております。

続きまして、配付資料の確認になります。本日の会議もペーパーレスで行わせていただきます。委員の皆様には、事前に電子ファイルを送付させていただいております。

本日の資料は、資料1から4、補足資料1となっております。御確認いただければと思います。

会議中、操作に関して不明な点や不具合等ございましたら、Teamsのメッセージにて事務局までお申しつけください。よろしくお願いいたします。

○鈴木座長

ありがとうございました。本日は複数課題プログラムの中間評価1件の審議と、今年度実施しました追跡調査・追跡評価の結果報告、それから次年度から開始するプログラム評価方法に関する報告を予定しております。

審議は全て公開とし、配付資料も公表いたします。

それでは、議題1の再生医療・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）について審議に入ります。

では、事務局より、複数課題プログラム審議の進め方について御説明をお願いします。

○金地技術評価調整官

それでは、複数課題プログラムの審議方法について御説明いたします。

まず、プログラムについて御説明し、プログラム全体を把握いただいた上で、プログラムを構成する3つのプロジェクトについて御説明し、個別に検討を行い、各プロジェクトの評価を決定します。そしてこれら3つのプロジェクトの評価を踏まえて、最後にプログラム全体の評価を決定するという手順にて審議を進めていただきます。

○鈴木座長

それでは、複数課題プログラム全体の概要の説明に入ります。

○金地技術評価調整官

説明者の持ち時間は15分とし、持ち時間終了5分前と終了時点でTeamsのチャットでお知らせしますので、説明を終了してください。よろしくお願いいたします。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

改めまして、私、商務・サービスグループ生物化学産業課で再生・細胞医療・遺伝子治療の分野を担当しております毛利と申します。本日貴重な機会をいただきまして、誠にありがとうございます。

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という複数課題プログラムの中間評価、終了時評価ということで御評価いただければと思いますので、よろしくお願いいたします。

では、まず複数課題プログラム全体について15分ほど御説明をさせていただければと思います。

まず本プログラムの目的というところで、先ほど申し上げましたようにこちらの事業、再生・細胞医療・遺伝子治療という分野についての技術開発でございます。

再生・細胞医療・遺伝子治療というのは、医薬品が今まで低分子から抗体医薬品、核酸医薬品に移行し、バイオ医薬品の世界になってきた、その次に来る医薬・医療技術だということで、非常に期待されている新しい医療の技術でございます。今後臨床現場において、今まで根本的に治療することが難しかったような難病、あるいは先天性の疾患を治すことができる技術としても期待されております。この技術でなければ治せないような疾患があるということで競争力も高、市場の急速な拡大も期待されている分野でございます。

経済産業省の事業では、再生・細胞医療・遺伝子治療が医療技術として実用化されることはもちろん、それが今後産業となっていくために必要な技術として、実際に製造するための技術、あるいはそれを生かした創薬支援の在り方を、研究開発としてやらせていただいています。

具体的な構成としては、資料下部nにA、B、C、D、Eという形で書かせていただいているとおり、5つのプロジェクトで構成されておりまして、そのうちA、B、Cの3つのプロジェクトが今回の評価の対象となっております。

全体の執行額も資料下部に記載しております。本事業はAMED（国立研究開発法人日本医療研究開発機構）の事業として実施しており、調整費という突発的な要因に対応する予算の追加により額が大きくなっている年もありますが、おおむね毎年40億円前後ぐらいで推移をしております。

次頁では、再生・細胞医療・遺伝子治療という部分について説明させていただいております。再生医療は10年ほど前に京都大学の山中伸弥先生がノーベル賞を取った際に一躍脚光を浴びたため、皆様名前としては恐らくよく聞かれているかと思います。法律用語で再生医療等製品とくくられた中には再生・細胞医療・遺伝子治療というのが全て含まれていますが、技術的には違うものでございます。いわゆる再生・細胞医療というのは体の機能を活性化させるような細胞をヒトの体内に移植することによって損なわれた機能の再生を図るような技術です。遺伝子治療という技術は、体が機能不全に陥る要因となっている遺伝子を正常な遺伝子に置き換えることによって根本的な治療を行おうという技術です。この遺伝子治療においても遺伝子を導入する方法によってex vivo遺伝子治療とin vivo遺伝子治療という技術に分かれてまいります。

この分野全体の市場規模について、次頁に書かせていただいております。表を見ていただくと分かるとおり、この分野の2028年度時点での市場規模は抗体医薬品等に比べてまだ小さいものの、今後の年成長率は年率50%前後という高い水準で推移することが予想されております。海外をはじめ研究機関も非常に注力をしている分野となっており、当省としても高い成長率を踏まえて、産業政策としてしっかりやっていくべき分野と認識し、本事業に取り組ませていただいております。

また、グローバル開発品数の多さというのも着目するべきところでして、核酸医薬やmRNAというような医薬品と比べても足下で非常に多い開発品がございますので、今後どんどん実用化が進んでいくことが期待されるということが、この数から分かります。

ただ、こういった分野としての期待度に対して、またノーベル賞を日本が取っているのでも日本がリードしている分野だろうというような一般的な理解に対して、実は開発品数で見ると日本が大きく進んでいるわけではなく、米国がトップというような現状でございます。要因は様々ございまして、ここにその課題分析と、それに対する各省庁の役割をまとめさせていただいております。実用化するに当たってはもちろん承認を得なければいけないということで、規制や制度の環境を整えることが重要になりますが、規制・制度という

面で見たととき、日本は他国に比べて承認が遅いケースがあったり、非常に細かなデータを求められたりすることがあるというような意見もあり、こうした規制や制度の環境を整える部分や、臨床の環境を整える部分は、所管である厚労省が取り組んでいます。また、基礎研究も非常に重要でして、医薬品は非常に成功率が低い分野なので、基礎研究の段階から最終的な実用化までたどり着くものは非常に少なくなっております。こういった基礎研究の段階からの研究費の支援は、文科省が行っています。

こうした中で、経産省は、医療・医薬品の技術を産業にするために必要な、基盤技術の開発を支援しています。ラボレベル、あるいは1人、2人に投与するようなレベルであればつくれるという医薬品でも、実際に大量生産して多くの患者さんに届けようとなると、大量に増やすための技術、あるいはきちんと品質評価するための技術というものが必要になってきます。それがない場合には製品としては提供できないことになってしまうので、オプジーボの例もありますが、元々のシーズがあった日本ではなく製造環境が整ったアメリカで作ろうという判断になってしまい、医薬品としては海外に流出してしまうことになってしまいます。こうした事態を阻止し、きちんと日本国内でシーズを実用化・産業化できるような技術を開発するのが経産省の役割だということで、製造や品質効果に係る基盤技術をこの事業で開発しております。

文科省の基礎研究支援で出てきた技術シーズを、厚労省がきちんと実用化まで持っていく、その技術がきちんと産業として成り立つように安定的かつ効率的な製造技術を確立しましょうという絵姿になります。それによって、世界にも日本の研究開発の成果が届き、日本の技術に注目が集まるようになり投資が集まる、最終的には産業競争力の源泉として再生・細胞医療・遺伝子治療という分野が経済を牽引していくような状況を理想の姿として目指してございます。

次頁は繰り返しになってございますけれども、基本方針としては、今申し上げたように安定的かつ効率的な製造技術の開発というところを目指しています。今回御評価いただくCのヒト細胞加工製品製造基盤技術開発、こちらは細胞製剤を対象とした事業であり、細胞を安定的かつ効率的に作れるような基盤を整えようという技術でございます。Bの遺伝子治療製造技術開発は、遺伝子治療に用いるウイルスベクターを安定的かつ効率的につくれるようにしようというプロジェクトでございます。もう一つ評価対象になっているAの事業は少し毛色が異なります。iPS細胞等の細胞作製技術については日本での研究開発が非常に進んでおりますが、ヒトに投与するものとして臨床で使うにはまだ多くの課題もある中で、臨床で使うだけではなくて、医薬品の評価に使っていくという事業です。つまり、再生医療の技術を用いて作製した細胞は、ヒトの細胞の機能を模倣したものになりますので、それによって創薬評価を行おうというのがAの事業でございます。本日はこちらの3つの事業を御評価いただければと思っております。

国が実施することの必要性に関連しまして、この分野についての政策、政府方針をこちらに書かせていただいております。今年度の春頃に出された新しい資本主義のグランドデ

ザイン及び実行計画、あるいは経済財政運営と改革の基本方針、いわゆる骨太の方針において、量子やA I という非常に基盤となる技術と並び、この再生・細胞医療・遺伝子治療が重要であろうと書かれております。すなわち、極めて重要な研究開発分野として政府が認識している分野でございます。岸田総理からも、再生・細胞医療・遺伝子治療について重点的に投資を行っていきたいという発言をいただいているところです。

こうした重要性に加え、実際の研究開発としても、実用化まで引っ張っていくような製薬企業や医療関係者だけでは成り立たないという側面があります。つくる段階では生物化学や医学、薬学、工学等、多岐にわたる分野の知識が必要になり、また、CMO、CDMOやCRO、規制当局といった多様なプレイヤーの協働・連携が必要になるということで、異分野連携、産学官連携が非常に重要な分野であるため、国が主導することの必要性が高い事業であると認識しております。

次頁は複数課題プログラムの内容として全体構成を書かせていただいておりますけれども、5つのプロジェクトによって成っております。このうち評価いただくのが、ここでA、B、Cと書かせていただいている3つの事業でございます。先ほど申し上げたAの事業は、今回終了時評価をいただきます。なお、こちらに関しては既に令和4年度から2期事業がスタートしておりますので、いただいた御評価を2期事業のほうにしっかり生かしていければと思っているところです。

BとCの事業に関しては実施中でございますので、中間評価という位置づけになってございます。このうちBに関しては2期事業の実施も検討しておりますので、今回いただいた御評価を2期事業の政策立案にきちんと生かしていければと思っているところです。

改めまして複数課題プログラム、中身を御説明させていただきます。Cの細胞加工製品製造基盤技術開発に関しては、先ほど申し上げたとおり細胞をきちんと効率的かつ安定的につくれるようにしましょうという事業です。具体的には、再生・細胞医療ではヒトの細胞が原料になりますので、原料の時点で品質がばらばらであり、同じものは一つもないところからつくっていきます。当然、最終的な品質が完全に同じものであるわけではなく、どうしてもばらつきがあることになります。それでも機能としては同等性であり、再生医療等製品として扱っていいですというように証明するには、製造工程においてパラメーター管理をすることにより製品のコントロールをする必要がございます。Cの事業では、こうしたQuality by Design (QbD) という考え方に基づく品質のコントロール方法と製造方法を開発しております。

それに伴いましてDのほうの事業を御説明しますと、こちらは細胞の製造に関わるものでございます。今回は評価の対象外となっております。原料となるヒトの細胞はドナーから提供を受けなければいけないのですが、ドナーから手術のときにどのように採取して、保管するという細かな作業の差異でも最終的な品質のばらつきが生じます。また、ドナーさんにどのように同意をいただいて、ヒトに投与する製品の原料として使うかというような社会的・倫理的な課題もございます。こうした、ヒトの細胞を提供としてもらうことに

関して基盤を整えるのがDの事業となっております。

続きまして、Bの遺伝子治療技術開発です。こちら先ほど申し上げたとおり、ウイルスベクターを安定的かつ効率的につくっていくという事業でございます。現在上市している遺伝子治療薬は数少なく、また、全て数千万から数億円と非常に高額化しております。要因として、ウイルスベクターをつくるのが非常に難しいので、なかなか効率的につくることができず高額化するという要素があります。また、品質にも懸念があり、実際に薬害事象として人が亡くなってしまうような事も発生しております。こうした現状を踏まえ、ウイルスベクターをきちんと高品質かつ安価につくることを目指して必要な培養技術、精製技術、分析技術等を開発しているのがこちらの事業です。

次に、Aの事業に関して、こちら繰り返しかつ後ほど細かく申し上げますが、iPS細胞等から分化させる臓器細胞を用いて、創薬支援に用いるという事業です。

最後に、Eの事業です。こちらは今回の評価の対象外となっておりますが、再生・細胞医療・遺伝子治療のモダリティ全体に対する補助事業でございます。非臨床の段階で製法開発や評価法開発を行うベンチャー等の企業に対する補助を行っております。

全体として、全てAMED事業として実施させていただいております。AMEDにおいては、この分野に非常に詳しい有識者をプロジェクトのディレクター、スーパーバイザー、プログラムオフィサーを配置して、プロジェクトを牽引していただく、という仕組みが長らく用いられており、専門的な事業を円滑に推進しております。この事業においても、医療の世界において見識のある永井先生がプロジェクトディレクターとしてとりまとめ、A、B、Cの各分野の見識者の方にPS、POを担っていただくという形で、事業の方向性をリードさせていただいております。AMEDにおいて中間評価と事後評価というのも行っております。

マネジメント体制に関しては、バイ・ドール契約をはじめとした委託事業による成果をどう扱うかということに関する取扱いや、研究成果の権利化、活用状況のフォローアップなど、研究開発成果をきちんと実用化し社会還元していくための仕組みの整備もしっかり行われております。

事業のアウトプットに関しましては、また各プロジェクトの説明のときに具体的に御説明をさせていただければと思いますが、いずれも達成のめどが立っているという状況です。アウトカムに関しても、同様に個別のプロジェクトの際に御説明をさせていただければと思いますが、いずれも達成のめどが立っている状況です。

事業アウトカム達成に至るまでのロードマップに関しましては、Aによって医薬品開発の加速化を実現し、BとCによって細胞製剤、遺伝子治療製剤の開発という基盤をつくることで、再生・細胞医療・遺伝子治療という分野をはじめとする革新的な医薬品がきちんと今後社会に届いていく、産業になっていくような状況をつくり、医薬品、医療産業の振興と、国民の健康長寿社会の実現を成し遂げられればと思っております。

費用対効果につきまして、先ほど申し上げたとおり、この分野、高い市場成長性が期待

されている分野でございます。2040年には11.6兆円まで伸びると予測されている分野ですが、今の日本の論文数シェアが約9%ということで、例えばそのうち9%が日本の市場に還元されるとすると1.0兆円という規模であり、今回の事業の総額248億円に対して非常に大きな費用対効果だと考えております。Aの事業をはじめ、再生・細胞医療・遺伝子治療だけではなくほかの医薬品分野にも生きる事業ですので、これ以上の効果があるというように見込んでおります。

前回評価の指摘はこちらの資料にまとめております。今回の評価検討会で委員をお願いしました有識者は20ページに書かせていただいている方々で、産業界の方、ベンチャー支援等行っている方、この分野で人材育成等に取り組んでいる方、規制に近い方、あるいは基礎研究者に近い方という構成でやらせていただいております。総合評価としては、評価検討会においては国として推進すべき意義がある分野であって、こういった支援は非常に重要であり、今後も強力に支援していくべきであるという評価をいただいております。留意すべき事項としては、欧米企業等も非常に力を入れている分野ですので、国際的な状況をきちんと捉まえて随時の見直しを行っていくことや、海外製品を追従するのではなく、日本が強みとなる分野をきちんと進めていってほしいというコメントがございました。

一旦、以上となりますので、また全体の評価の中でコメントをいただければと思います。

○鈴木座長

ありがとうございました。複数課題プログラム全体の質疑応答と評価については最後に行うことにします。

それでは、次にプログラムを構成する1つ目のプロジェクト、Aのプロジェクトです。再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術開発の審議に入りたいと思います。

○金地技術評価調整官

それでは、説明者の持ち時間は10分とし、持ち時間終了5分前と終了時点でTeamsのチャットでお知らせしますので、説明を終えてください。

それでは、説明をよろしくお願いいたします。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

それでは、Aのプロジェクトから御説明をさせていただければと思います。再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術開発という事業でございます、こちらは終了時評価でございます。

改めまして、本事業は、我が国の強みである微細加工技術や、再生医療の細胞作製・加工技術を生かして、創薬支援ツールという形で再生医療の技術を活用していこうという事業でございます。事業としては2017年度から始まり、2021年度で終了しておりますので、今回終了時評価をいただければと思います。

プロジェクトの体制としては、実際にこの技術を活用していただくのは製薬企業等になりますので、日本で積極的に新薬開発を行っていただいている製薬企業4社の薬物動態の研究関係者にプロジェクトのヘッドクォーターとして事業を牽引していただきました。

技術としてこういったものをつくろうとしていたのかを27ページに書かせていただいております。医薬品候補化合物、医薬品のシーズの安全性や有効性、薬物動態等を評価するような生体模倣システムは、英語ではMicrophysiological System、略称としてMP Sと呼ばれております。私もこれからMP Sと呼ばせていただければと思います。生体模倣システムという名のとおり、生体を模倣した細胞と流路に医薬品を流し込むことによって反応を見ることができるという技術でございます。日本においてはi P S細胞等の細胞作製・加工の研究が進んでおりますので、生体模倣性の追求が必要な本分野には強みがあるだろうということで取り組んでおります。世界中の製薬企業に使っていただけるようなものを作製し、それをどんどん広げていけば、医薬品開発の加速化にもつながりますし、もちろんMP Sの製造販売自体が非常に大きな産業になり得るだろうと考えています。

MP Sはかなり様々な技術が総合的に構成された技術で、デバイスとしての工学的な技術、すなわちデバイスの中で医薬品がきちんと灌流して、体内と同じように流れていくような灌流培養の技術、マイクロ流路の設計、素材の技術、接合技術が必要であれば、動態解析や毒性評価をするためのセンシング技術、画像解析技術も必要です。そして、いかにヒトの組織の機能を再現できているかが重要ですので、細胞を培養する技術、分化誘導の技術、臓器らしさをいかに追求するかという、細胞の模倣性を高める技術が必要です。

MP Sの開発によって実現したいことについては先ほど少し申し上げましたが、まずは高い臨床予測性を実現することで医薬品の開発中止のリスクを低減させ、医薬品開発を加速化させようというのが非常に大きな目的です。新しい創薬分野として、低分子ではなく抗体医薬や核酸医薬、遺伝子治療薬といった医薬品がどんどん出てきておりますけれども、低分子と違ってマウス等では観測できないような安全性、有効性もあり、治験を行ってみたら重篤な副作用が出てしまったり、開発中止になったりするようなケースも実際に発生しています。マウス等に比べて臨床予測性が高いような創薬支援ツールが出れば、医薬品の開発にとって非常によい効果があると期待されています。

また、前臨床の試験は非常にコストがかかるものでございます。動物実験を行うには数百万、数千万という費用が発生しますので、創薬支援ツールによって簡易に必要なデータが取れることになれば、医薬品開発のコストも下がってくることが期待されます。

更に、動物実験廃止の流れというものも留意すべきです。欧州を中心に、動物愛護の観点等から、化粧品や医薬品分野において動物実験を行うことを廃止しようという流れができております。動物実験が禁止された中でも医薬品をきちんと届けるために、こういった技術は必要不可欠なものとなってございます。

国が実施することの必要性は時間の都合上説明を割愛させていただきますが、先ほど申し上げたとおり、様々な総合技術であり、いろいろなプレーヤーが連携して実施する必要がある、産学官連携、分野連携の必要性の高い分野であることが理由となっております。

国内外の類似する技術や研究開発の状況についてはこれ以降の資料でまとめさせていただいておりますので、資料を詳しく見ていただければと思うのですが、先ほど申し上げた

とおり、n 欧州、アメリカ等において動物実験廃に関する動きが加速化していることであつたり、あるいはFDAにおいてMPSのような新しい医薬品の評価技術が重要ですよという文書が出ていたり、という注目すべき動向がございます。また、海外で同じくMPSと呼ばれるようなものを開発している企業としては、資料にあるとおりMimetas、Emulate、C N Bio Innovationsといった先行企業がございます。国内では富士フィルム和光純薬、ウシオ電機、ニコン等の企業も、こういった分野に取り組んでいるところです。

加えて、米国における活用状況として、実際に医薬品の開発で使われているような状況や、IQコンソーシアムという標準化の議論で取り上げられているということ、非常に注目度が高い状況になっている証左として書かせていただいております。

こうした状況ではありますが、Readoutがまだまだ充実していないことや、規制当局に認められる、国際標準を獲得していくところに至るまでのものは出てきていないこと、あるいはコストや汎用性、カスタマーサポートという観点での改善すべき点により広く使われるようなサービスにはなっていないということなど、現状のMPSには課題がございます。

これらの課題も踏まえた研究開発の全体構成を資料に書かせていただいております。項目1として、デバイスを工学的につくることに取り組み、項目2としてそこに搭載する細胞の質を高めていくことに取り組みました。項目3として、それをきちんと規制当局等に受容されることを目指して、規制対応、標準化対応に取り組み、項目4として、できた細胞で実際の幹細胞等と同様の評価ができていのかを比べてみるような取組をしております。全体として、この4つの項目で構成されていまして。それぞれ採択されていた事業者は、35ページにまとめております。

具体的な内容を36ページに書かせていただいております。時間もないので割愛させていただきますけれども、全体としては先ほど申し上げたとおりでございます。

研究開発の計画は37ページにまとめております。2期事業との接続を重点的に書かせていただいておりますが、1期事業においては、後ほど申し上げますとおり、実際に使われることが非常に強く期待されるような有望な製品が4製品創出されました。今後の課題では、この4製品についてどんどん市場の獲得を目指していくほか、1期事業での開発品は消化器系が多かったため、呼吸器系や免疫系等の評価もできるよう拡大します。また、実際に規制当局で認められることと国際標準を獲得していくことが国内外の企業に活用されていくのに非常に重要であるため、規制対応や国際標準化に力を入れてまいります。

資金全体の配分は、38ページのとおりとなっております。

研究開発の実施・マネジメント体制としては、先ほど申し上げたように製薬企業の有識者がヘッドクォーターとして事業全体を牽引し、その下に研究開発項目の1から4があったという体制になっております。全体事業を取りまとめとしては、技術研究組合の幹細胞組合というところが、全体の知財管理や課題間の技術連携、あるいは集中研究所の管理を行い、いろいろな研究者を集め、そこでマッチングを行うような取組もしていただいております。

知財や研究開発データの取扱いに関しては、知財財産マネジメント基本方針というのを定めて、出てきた研究成果の取扱いや帰属について規定した上で、積極的に参画者内での連携を図り、アカデミアからの知財相談にも集中研究所が積極的に対応する体制を取っておりました。

研究開発の目標と成果の達成状況を41ページに書かせていただいております。創薬支援ツールの開発に係る要素技術が幾つ確立できたかをアウトプット指標として設定させていただいております、いずれも達成ができています状況でございます。具体的な要素技術の内容を補足のところで書かせていただいております。論文や特許出願等、付随する研究成果というのも非常に多く出ています。

アウトカムについて、42ページに書かせていただいております。実際に事業内でつくられたデバイス、技術が製薬企業等で使われることが非常に大事ですので、それを用いた研究が製薬企業等で幾つ行われたかというマッチング研究の実施件数をアウトカムとしておりました。2019年の時点では、目標5件に対してデバイスの開発が少々遅延していたこともあって0件であったところ、その後集中研究所を主体にマッチング研究を牽引していくような体制を取ったことによって件数が伸びまして、現在2022年末で20件となっております。1年間で非常に伸びており、この調子で進めれば、2023年度終了時点で30というのも達成できる見込みとなっております。

費用対効果につきましては、本事業に要する国費の総額見込みは約50億円に対して、毒性試験の世界市場が約2兆円と言われており、それも13.5%で推移するとされている中で、費用対効果としても非常に大きな分野であるというように認識をしております。

前回評価の指摘事項と対応状況につきましては、ちょっと割愛させていただきますが、45ページにまとめさせていただいております。

評価検討会での総合評価につきましては、最後に書かせていただいております。世界的な流れとして動物実験に代わる技術というのは非常に重要になっており、諸外国でも活発な研究開発投資が行われている中で、国内技術に強みがあるiPS細胞を用いてこうした事業をやる意義を強く認めていただいたというように認識しております。体制としても、製薬企業の方が牽引する体制ということで出口を見据えているところを評価していただきました。一方で、今後多くのニーズを把握することが重要ということで、薬物動態だけではなくて安全性や薬理を見ることや、あるいは評価系の拡大をしっかりと行っていただきたいという意見、国際標準化や規制対応を進めてほしいという意見をいただいております。具体的な提言は47ページに書かせていただいております、対処方針もまとめております。

一旦、以上でございます。

○鈴木座長

ありがとうございました。

それでは、今御説明いただきましたAのプロジェクトについて御質問、御意見がありましたらお願いします。竹山先生、お願いします。

○竹山委員

御丁寧な説明ありがとうございます。先に1つお伺いしたいと思います。費用対効果の計算のベースに、論文が9%出ていることを念頭に置いているとのことでした。論文数と市場での日本が占める規模が同じという考え方は当てはまるのでしょうか。技術があっても現場で使われるようになるには、様々な規制をクリアーしてからであり、国間での違いが市場規模へ影響するように思います。

Aのプロジェクトにおいて、デバイスのシステム作りは重要だと思います。一方、日本の強みと言及されていましたが、他の国々も相当強いのでその中での日本の位置づけをお考えいただければと思います。

今回、最終的な成果品で企業が実際利用しているもの、そうでないものをご説明いただければと思います。いろいろな病態、細胞種で進められているかと思いますが、その進捗状況、とくに利活用が進んでいるケースとそうでないケースについてよろしく願いいたします。

以上です。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

貴重な御意見、誠にありがとうございます。

まず1点目、全体プロジェクトの費用対効果につき、ありがとうございます。コメントとしていただいたのかもしれませんが、少しでも回答させていただきます。算出方法が難しいのは御指摘のとおりでございますが、国内の規制の状況を踏まえて9%という研究開発シーズのシェアの割合に対し市場の獲得割合ががっと下がるかという、必ずしも直結しないのではないかと考えております。例えば日本に法人格のあるベンチャーが、まず日本の規制をスキップして、FDAで承認を取り、あちらで売り上げを立てた場合にも、もちろん知財の状況にもよりますが、日本の法人の収益には繋がります。したがって、海外で先に承認を取ったからといってその企業あるいは技術成果が日本の市場に全く寄与しないというわけではなく、日本の法人が開発した医薬品が海外で承認を受けたとしても産業としては寄与があると思っております。

2点目、事業の成果や企業での利用状況について、ありがとうございます。今回説明の時間が少なかったため、パワーポイントのほうの資料ではまとめておりませんが、評価報告書の36ページから38ページで具体的なアウトプット、アウトカム例を書かせていただいております。こういった形で製薬企業において利用の検討がされているかということに記載しております。公表資料ということで各製薬企業の開発パイプラインに関する機微なことはどうしても書けないのですが、実際小腸の吸収や肝臓の代謝のモデルというところに、このデバイスがどのように活用され得るかについて記載しておりますので、ご覧いただけますと幸いです。また、こちらも今回の資料に入れられていなくて恐縮ではあるのですが、今回開発した、肝臓と小腸、そして腎臓に関するデバイスについて、各製薬企業で薬物動態の評価において御利用を検討いただいております。今回十分に進め切れ

なかったB B B（血液脳関門）や、あるいは肺、呼吸系に関するような評価系というのも第二期事業で拡大していくところを目指してございます。

○竹山委員

ありがとうございました。

○鈴木座長

竹山先生の御質問は、実際に企業に持ち込んだものが使われているのかということだったかと思うのですが、その辺、いかがですか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。例えばM P Sで取れたデータが治験届で使われているか、というレベルでは、まだそこまでいっているものはないという認識です。そもそもそれを必要とする革新的なパイプラインというのが日本国内でそこまで多くないという現状もございます。薬事での利用はまだこれからではございますが、少なくとも非臨床レベルでのデータ取りというところでは使われている例は複数ございまして、評価報告書のほうで書かせていただいている事例がその一例となっております。

○鈴木座長

分かりました。

ほかに御質問、御意見のある方、いらっしゃいませんか。では、西尾委員、お願いします。

○西尾委員

西尾です。2点ほど御質問があります。

1つは、スライドの33枚目になりますが、M P Sの課題ということで2番目のところの最後に、M P Sのサプライヤーやエンドユーザーは、要するに規制等について十分認識をしていないということが書かれていて、これはどういうことなのかなど。そのとおり、そのまま読み取っていいのか。もう少し説明をしていただければというのが1つです。

あともう一つ、集中研でやられていたというのが39枚目ですか。5－3.研究開発の実施・マネジメント体制というところがあって、今回Aの最後のほうに2期目は筑波大学で集中研と書かれていたのですけれども、今事後評価の対象となっているところでは、集中研はどういう形で回していたのかということと、あと特に39枚目ですと黄色の枠に書いてある会社が集中研、あるいは大学の集中研に参加していて、その中のどこが集中研の拠点になっていたのかということです。

あとマッチングを後半していたということなのですが、マッチングといった場合に集中研の中でということではないと思うのですが、どのような仕組みでマッチングをしていたのかということ。集中研については2つ、お聞きできればと思います。

以上です。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

こちらの説明が不足しているところについて御指摘いただき、大変ありがとうございます。

す。

まず、33ページ目ですが、御説明が不足しており、大変申しわけございませんでした。ISOでは各TCに分かれて非常に多くの技術に関して標準化の議論がされている中で、どこでMPSに関連する議論がなされているか把握しきれていなかった部分がございます。灌流培養に関連し、どういう素材であれば吸着を防げるかや、どういう部品で接続を行って漏れを防ぐか、というような、各部素材や攻勢技術に関して細かな議論をしているケースがある場合、MPSという総合技術の製造販売を行っている各企業がこうした全ての議論に参加しているかという点必ずしもそうではないと認識をしております。もちろん接続技術とか、素材技術のそれぞれに関連する業界団体やメーカーは参加していることが多いと思いますが、日本のMPSの開発を総合的に進めているような企業が議論に参加できていないケースがあるとすると、実はこの部分が標準化されていたということが後から分かり、個別の要素技術の部分で見直しが必要になってしまうことも懸念されます。こうした反省を生かして、国としても規制のみならず標準化の動きを追っていかねばいけないということを書かせていただいております。

次に、集中研究所についても説明が不足しており申し訳ございません。1期事業では、筑波にあるアステラス製薬の研究所の中のオープンラボのワンフロアを集中研究所として運用し、運用の主体が幹細胞組合という技術研究組合となっておりました。幹細胞組合を構成しているのが、先ほど御説明したオレンジ色で塗られている島津製作所、東京応化、住友ベークライトというような10社余りの企業でして、つまりサプライヤー側によって構成される技術研究組合でございました。集中研究所では、アステラス製薬、エーザイ、武田というような大手製薬企業から研究者を受け入れて、その場で実際にMPSを使ってもらって、使い方が分からないときはレクチャーをしたり、手順書をつくったりなどしてサポートしながら、使用感であったり、こういうものが評価できればいいというニーズの共有をいただいたりして、デバイスを改善していました。マッチングというのは実際に集中研究所で行っていたこうした活動を指しております。事業後半はコロナウイルス感染拡大の関係もあって実際に来ていただくのではなく各研究所のほうに持ち帰っていただくケースもございました。

実用化を目指す2期事業では、アステラス製薬の研究所の中でやると他の企業がなかなか心理的に入りづらいところもあったり、アステラス製薬の事業だという認識になってしまうことを防ぐために、フラットなアカデミアの方に今回集中研究所を運営していただいております。公募によって一番優れた提案をしていただいた筑波大学にこういった取組を進めていただいているところです。

○鈴木座長

よろしいですかね。

○西尾委員

あと、マッチングのやり方というところですけれども。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

説明が分かりづらくて申し訳ないです。先ほど申し上げたとおり、集中研究所においてアステラス製薬や武田薬品等、様々な研究者……

○西尾委員

それとのマッチングということなのですね。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

はい。

○西尾委員

サプライヤー間のマッチングというのものもあるのかなと思ったものですから。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

サプライヤー間の協働ももちろん行われているのですが、そこまで国が主導するというよりは、サプライヤーとして物をつくる部分は企業としてきちんと組んでいただくのが適切であろうと考えております。そのため、そこに関しては、公募の時点で物をつくるのに必要なメンバーでチーム形成した状態で手を挙げていただいております。そのため、ここでのマッチングのメインは、医薬の世界とサプライヤーの世界のマッチングです。

○西尾委員

分かりました。ありがとうございます。

○鈴木座長

時間がかかり押していますので、御質問のお答えは簡潔にお願いします。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

失礼いたしました。

○鈴木座長

浜田委員、お願いします。

○浜田委員

37ページに2期事業についても計画が出ているのですが、それと先ほどの33ページに出てきた現状のMP Sの課題がどうつながっているのかがいま一つ分からなくて、37ページだけ見ていると今までの延長で進めていくようにしか見えないのですが、そこで何か変わってくることはあるのでしょうか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。つながりが分かりづらく申し訳ないですが、課題と計画を対応させて御説明させていただきます。Readoutの充実の部分に関しては、この観点を意識して、それぞれのデバイスでの個別の評価系の研究開発を進めております。表でいうと課題2の部分で新規性のある革新的MP Sのコア技術を6課題採択しているのですが、その6課題の実施に当たって、意識して進めていただいております。

2つ目のレギュラトリーサイエンスや国際標準に関する検討の部分に関しては、現行の課題3で基準作成、国際標準化、規制対応に取り組むということを線表で書いております

が、こういった形でしっかり取り組んでいただいているという状況でございます。

3つ目のコスト・汎用性・カスタマーサポートの部分に関しては、課題1において、先行的に開発された4つのデバイスに関して、標準作業手順書を作成したり、ユーザートレーニングをしたり、評価データを蓄積したりとやることによって、カスタマーにとって使いやすいような形になるようにするという研究開発を進めていただいております。

○浜田委員

ありがとうございます。含まれているということは理解しました。できればステップアップしていくような記述を工夫していただけるといいなと思いましたので、質問しました。

○鈴木座長

ほかに御質問のある方、いらっしゃいますでしょうか。——ちょっと私からも質問したいのですが、アウトプットのところで国際標準が何も寄与できなかったということで、これは先ほど御説明があった2期のほうで、ちゃんと取り組んでいきますということでしょうか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。御指摘のとおりです。今年のうちに国際標準の状況調査と、今後の戦略策定に係る委託調査を1,500万円程度でやらせていただいております。それを踏まえた全体方針の取りまとめも公表させていただく予定です。調査の結果を踏まえてしっかり取り組ませていただきます。

○鈴木座長

それとアウトカムの目標をちょっと変更されたということで、開発したものを導入した企業数という表現から、企業に持ち込んだ件数というように変えられた。具体的にその背景とか、もうちょっと御説明いただけますか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

こちら、開発成果による製品を導入した企業数がもともとのアウトカムとなっておりますが、導入という言葉には範囲がある中で、どういう形で導入されれば成功と言えるのかという議論を中間評価時に行ったと聞いています。その中で、欧米における事例も調査しました。先ほど先行企業としてEmulate、Mimetasというような企業名を出ささせていただきましたが、これらの企業のデバイスは製薬企業でも既に使われているものでございます。その導入でどういうプロセスを踏んでいるのかを調査したときに、彼らはメガファーマの研究所に自分たちのデバイスを持ち込んで、具体的な使い方や評価ニーズというところを聞きながらやった、まさに現在集中研究所がやっているようなことをやり、導入が進んだ、ということが分かりました。それを踏まえ、成果指標について、単純にデバイス製品を開発した、企業に使ってもらったという曖昧な目標ではなくて、製薬企業に持ち込んでマッチング研究を行ったという具体化な目標を評価することにさせていただいたという背景でございます。

○鈴木座長

では、亀井委員、お願いします。

○亀井委員

ありがとうございます。非常に重要な技術だというように理解しています。それでプログラム全体は、日本の製薬企業の競争力をつけようということにあるかと思うのですが、先ほどの国際標準化のことで若干かぶるのですが、基盤技術に関しては、ユーザーは何も日本の製薬企業だけではなくて、非常に競争が厳しいというのは十分理解はしておりますけれども、グローバルマーケットのほうはるかに大きいわけですし、そういう意味でマッチング等、先ほどメガファーマは海外は持ち込んでいるというのがあったのですが、海外の市場に取り組むところに関しては、どういう取組を考えているのでしょうか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

本当に非常に重要な御指摘ありがとうございます。まさにそのとおりでして、米国をはじめとする海外では医薬品の研究開発がより盛んに行われているのは事実であり、それらの市場を取っていくのは必須であるというように、我々としても思っております。

2期事業においては、課題1が全体を取りまとめる立場として機能しているのですが、課題1の代表研究者をはじめとしまして、事業参画者には海外で行われるMP S関連の学会やシンポジウムに非常に積極的に参加をしていただいております。そこで、私たちの技術でこういうことが評価できますよということを情報発信しているほか、それぞれの学会やシンポジウムのコアメンバーである運営メンバーにアプローチをしていただいて、どういうことを海外の規制当局が意識しているのか等についての意見交換を、既に3回ほど行っていただいております。こうした形で海外の規制当局が課題として見ている部分にうまくはまるような技術を開発できるようにすること、また、こんなことができますよという技術成果を見せていくことを、今後もしっかりやらせていただければと思っております。

○亀井委員

どうもありがとうございます。非常に期待しております。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。

○鈴木座長

それでは、浦野委員、お願いします。

○浦野委員

ありがとうございます。重複にはなるのですが、今亀井委員のおっしゃったお話や国際標準化について言われてきたことを踏まえ、ぜひ2期目ではアウトプット目標とアウトカム目標に高い目標を設定していただきたいなと思ったのが1点。

あともう一つ、細かい質問なのですが、先ほど国際標準と規制等について余り動きがないとあった話と、30ページ目のスライドの欧州の動向でのEC P S I Sの標準化ワ

ークショップの話、ここの部分、関連があるのであれば何か説明を付記してほしいなと思いました。

時間が限られているようですので、コメントは以上です。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。ちょっと私の説明が不十分で申し訳ないです。国際標準の動きが活性化されていないという趣旨で申し上げたというよりは、ISOにおける個別の要素技術に関する議論に、必ずしもMPSを開発しているメンバーが入っていないことがあるような状況を申し上げておまして、MPS全体の標準化の議論はおっしゃるとおり様々進められておりますので、我々もきちんとフォローアップしていきたいと思っております。

○浦野委員

ありがとうございました。

○鈴木座長

ありがとうございました。もう一つ、ちょっとだけ最後にお聞きしたいのですけれども、iPSの特許については、特に分化誘導に関する特許が日本は弱いというのを前から言われていると思うのですけれども、このプロジェクトを通じて幾らか解決されたのか。あるいは、その辺はもう海外の特許を使わざるを得ないのか。どちらなのでしょう。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。この事業自体は分化誘導に関する技術開発や知財化に特化したものではありませんが、新しいiPS細胞の技術として開発した成果というのがございます。発表に用いたパワーポイントではなくて報告書のほうに書いている話で恐縮ですが、例えばわずか数μLの血液からiPS細胞が作製可能な技術などを開発しております。御指摘のような分化誘導の知財に関する課題というのはあるのですけれども、そちらに関しては、この事業というより厚労省や文科省の別の事業のほうで対応しているような状況と認識しております。

○鈴木座長

分かりました。ありがとうございます。

それでは、そろそろAのプロジェクトの評価を決定したいと思います。幾つか御意見をいただきましたけれども、特に国際標準化について遅れているのであれば2期事業で積極的に取り組んでほしいと、そのようなことをちょっとコメントとして付け加えさせていただきたいと思います。ほかは余りネガティブな意見はなかったと思いますので、そういう評価でよろしいでしょうか。——特に御異議ないようですので、そのように決定させていただきたいと思います。ありがとうございます。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。

○鈴木座長

以上でAのプロジェクトの審議を終了しまして、次にBの遺伝子治療製造技術開発の審

議に入ります。

では、説明をお願いします。

○金地技術評価調整官

説明者の持ち時間は10分とし、持ち時間終了5分前と終了時点でTeamsのチャットでお知らせしますので、説明を終えてください。

それでは、説明をよろしく願いいたします。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

2つ目として、Bの遺伝子治療の事業について、御説明をさせていただければと思います。こちらは冒頭で申し上げたとおり、遺伝子治療という今後非常に高い成長率を期待されている分野について、革新的な遺伝子治療薬が実際につくれるよう、ウイルスベクターの製造・評価技術を開発するものでございます。

執行額として、2019年が非常に大きくなっておりますけれどもこちらは調整費の分ですので、これを除くと大体毎年15億円弱という規模で推移しておりました。

プロジェクトリーダーとしては、製薬企業の経験者及び遺伝子治療について臨床現場で携わられてこられた先生方をPS、POとしており、工学的にバイオ医薬品をつくるという分野で非常に御見識のある、大阪大学の大政先生がプロジェクトのリーダーを務めておりました。

この事業の目的というのはもちろん遺伝子治療の推進でございますが、推進に向けては様々な課題がある中で、これも文科省、厚労省、経産省で連携して進めております。この事業でアプローチしているのは、資料中の事業目的のうち赤字で書かせていただいているポイントであり、まずは製造技術を開発することです。創薬技術や個別シーズの開発は文科省が行い、臨床環境の整備は厚労省がしっかりやっていると承知しています。

具体的な事業内容を改めて御説明させていただきます。遺伝子治療について、今最も開発品が多く、またよく使われている技術は、AAV（アデノ随伴ウイルス）と言われるウイルスベクターを用いて体の中に遺伝子を送り込んで治療を行う方法です。この事業は全体的にはAAVを中心に製造技術開発を進めつつ、関連するレンチウイルス、あるいは腫瘍溶解性ウイルスに関連する技術も、一部支援しています。

このウイルスベクターをつくるに当たっては、まずはウイルスを増やすための産生細胞というものが必要で、その後、増えたウイルスベクターにおいて不純物を分離させたり生成したりという技術があり、最終的に出来上がってきたウイルスベクターがきちんとした品質になっているかどうかの構造解析を行ったり、機能を調べたりという分析技術も必要となります。この事業では、それぞれについての要素技術開発を行っておりました。これらによって、高品質で安全性の高い遺伝子治療のウイルスベクターをつくることを目指しております。

事業の中で実際に開発していた個別の要素技術の具体的内容は、53ページで書かせていただいております。産生細胞や、拡大培養技術、プラスミド導入技術、精製技術としてク

ロマトや超遠心の技術等を開発させていただいております。

国が実施することの必要性として、繰り返して恐縮ですが、遺伝子治療の非常に高い年率の成長率や、世界的な開発品数というのがADC（抗体薬物複合体）や核酸医薬と比べても非常に多い現状に鑑みて、今後非常に実用化が増えてくるであろうという中で、実際にそれをつくれる製造機能が日本にあれば、国内外のシーズを受注するパートで非常に大きな産業となり得ます。また、もちろん遺伝子治療薬が今後患者さんに届いていくところの社会的意義もございます。こうした背景によって本事業をやらせていただいております。一方でこの分野、54ページの右側の表に書かせていただいておりますけれども、1990年代から2000年代にかけて、薬害事象が発生したことによって、一時的に国内における開発が停滞してしまっておりました。その後様々な研究によって、当時使われていたレトロウイルス等ではなくてAAV等を使うことにより、ある程度解決できるような道筋が見え、現在開発が非常に加速化しているという状況でございます。こういった技術的なリスクや、まだまだ開発すべき課題が多いところに鑑みて、なかなか民間のみでは実施できないという点も、国の事業としてやらせていただいている理由となっております。

国内外の類似・競合する研究開発等の状況ということで、海外がウイルスベクターをつくるプレイヤーの形成についてどのようにアプローチしているかを書かせていただいております。例えば、バイオ医薬品の製造を手がける非常に高名な企業としてはThermoFisher、Sartorius、Danaher、Merckといった企業がございしますが、これらの企業は今まで15年以上かけて、製造に関わる様々な技術を持つ企業を買収しながら、一貫としたプロセスを手がける企業として成長し、現在はかなり大きな企業になっております。

この事業においては、海外企業がやってきたようなM&Aで巨大化していくという戦略をそもそも日本が得意としていないことや、こうした戦略は長期的な期間を要することを踏まえ、技術研究組合という形の主体が主導しています。それぞれの要素技術を担う企業が結集した組合が事業をになっておりまして、得意とする分野の技術を結集させることによって、一連のプロセスを構築しているという状況でございます。

全体構成としましては、先ほど申し上げたPO、PSの下に、プロジェクトリーダーや事務局がございまして、彼らのリードの下で課題1、課題2、課題3という3つの課題に取り組んでおりました。このうち課題3は3年間の事業でしたので既に終了しておりますが、課題1と課題2は現在実施中でございます。

課題1がこの事業の一番のコアでございまして、実際のベクターをつくるための製造・評価技術の各要素となるコア技術を開発しています。それらが規制当局からしても受け入れられるものになっているかどうかをきちんと担保していくために、国衛研のメンバーも入っております。課題2に関しては、遺伝子治療薬を今後つくるような場所をきちんと整備していこうということで、遺伝子治療薬の開発に強みのある東大や自治医科大学、信州大学といった期間に、遺伝子治療薬の研究開発を推進するための拠点というのが整備されております。課題3は、先端的な遺伝子・細胞治療のコア技術を開発している若手研究

者の支援となっていました。

それぞれ採択していた研究者の一覧が57ページでございます。具体的な研究開発項目の内容はこちらに書かせていただいているとおりで、説明が重複しますが、研究課題1は先ほど申し上げたベクターの一連のプロセスに関する各技術を開発しております。それぞれをきちんとつなげるために、草津のタカラバイオという国内で随一のウイルスベクターをつくる技術を持つC DMOの敷地内に製造に係る集中研究所を整備し、また、分析技術に非常に強みのある大阪大学の中にも評価に係る集中研究所を整備しています。これらに各企業が要素技術を持ち寄って、具体的に接続しながら検証する環境を整えてございます。

研究課題2、3については先ほど申し上げたとおりです。

59ページに2期事業との関連を書かせていただいておりますが、今回御評価いただく1期事業の前半では、先ほど申し上げたようなコアとなる要素技術の開発を進めさせていただいておりました。今後、1期事業の後半2年間において開発成果を集約・統合して、実際に製造実証してまいります。具体的には今回開発した技術を用いて、50Lというスケールでウイルスベクターを実際につくり、非臨床の試験を行うところまでをやらせていただく想定です。

2期事業においては、開発技術の実用化をさらに加速化させるために、規模を200Lまで拡大していくことや、非臨床ではなく臨床研究にも使っていただけるレベルの技術を確立できるように治験薬の製造を目指して進めていく予定でございます。治験届提出に向けた開発の中で規制当局の意見や産業界のニーズというのがより分かってまいりますので、そういったものを踏まえて個別要素技術も磨き上げていくことを想定しております。

資金配分については60ページのとおりです。

マネジメント体制も先ほど申し上げたとおりですので割愛させていただきますが、全体として、課題1で要素技術を開発するほか、シーズ開発を促進するための課題2、課題3があるという関係でございました。

知財や研究開発データの説明はAのプロジェクトと重複しますが、AMEDにおいて知財のプロジェクトリーダーを派遣すると同時に、知的財産の取扱規約により、共同開発で出た成果についての取扱いや、最終的な研究成果の帰属というについて実施許諾に関する手続等を定めた上で事業を実施しておりました。

各研究開発目標と成果につきましては、63ページに書かせていただいております。

アウトプットとしては、ベクター製造に必要となるようなコアの要素技術が何件開発できたかに目標を据えておりまして、この目標は既に達成しています。

アウトカムに関しては、本事業で開発した技術を生かして実際に遺伝子治療の臨床研究はどれぐらい行われたのかを評価しており、2015年度までに5件という目標を据えていたのですけれども、実際に自治医科大学や信州大学等の課題2の機関の臨床研究で使われている例があり、利用も進んでいるところでございます。

アウトカム達成に至るまでのロードマップも書かせていただいておりますが、既にアウ

トカムを達成しているため、検討している２期事業との関係も併せて書かせていただきました。きちんと治験で用いられて、その製品が商用生産、上市までいくのが技術開発・規制受容のゴールだと思いますので、それをきちんと進めていくのが２期事業では非常に重要だと認識しております。

費用対効果としまして、国費の総額見込みが約80億円に対しまして、こちらに書かせていただいているとおり非常に大きな10兆円市場ということで、国として取り組む意義がある分野だと考えております。評価検討会においては、むしろ額を拡大していくべきではないかという御指摘もございましたが、予算要求の折衝の中でなかなか難しさもありますけれども、適切な額の設定と要求にきちんと取り組ませていただきたいと思います。と思っております。

前回評価の指摘事項を67ページにまとめさせていただいております。先ほど申し上げたように、非常に重要な分野でありむしろ今後大きく事業をやっていくべきだというコメントや、成果創出がきちんとできていることを評価するコメントがあった一方で、今後取り組むべき点としては、課題１と課題２の連携をきちんと進めていくべきだというコメントがございましたので、課題２で行われているシーズ開発において課題１の要素技術の活用を進めるため、既にAMED、P S、P Oと相談しながら、自治医科大学と阪大の共同研究等を進めているところでございます。それ以外の信州大学、東大等と課題１の連携というのもどんどん加速化させていきたいと思っております。

一旦、以上でございます。

○鈴木座長

ありがとうございました。

それでは、質問、コメントのある方がいらっしゃいましたら、どうぞお願いします。――最初に私のほうからお聞きしておきますけれども、こちらも後継プロジェクトを一応検討されているということですね。それで先ほどの問いと同じでアウトプットのところで国際標準、何にも寄与がないということなのですかけれども、やはり製造技術なのですから国際標準への取組というのが当然あってしかるべきだと思うのですけれども、その辺はいかがでしょうか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。国際標準の部分の取組が不十分なのはおっしゃるとおりでございまして、背景としては、遺伝子治療薬の開発は冒頭でも申し上げたとおりこれまで諸外国に比して遅れていた側面があり、民間で国際標準を牽引するべき企業が少なかった部分がございました。

ただ、今回の事業で日本でもウイルスベクターをつくれる基盤ができてきたことによって、少しずつアカデミアだけではなく産業界が遺伝子治療の開発の主体となりつつありますし、F I R M（再生医療イノベーションフォーラム）等の業界団体でも遺伝子治療の関心が高まってきておりますので、今後そういった標準化を牽引するべき民間企業のメンバーが生まれてきたこれからは、国際標準にもしっかりと取り組ませていただければと思っております。

おります。

○鈴木座長

ありがとうございます。

それでは、秋澤委員、お願いします。

○秋澤委員

秋澤です。御説明ありがとうございました。アウトカムのところでもう既に目標を達成しているということで、成果が上げられているように理解いたしましたが、この5件、もう臨床に使われて、そのフィードバックみたいなものがあるのではないかと思いますのですね。でも、もしその辺りを評価されていれば伺いたいというのが1点と。

あと課題の3がもう既に終了しているということで、そちらの成果は具体的にどんなものが上がっているのか、御説明いただけたらと思います。お願いいたします。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

御指摘、誠にありがとうございます。まずアウトカムのフィードバックについて、治験等が行われたのはいずれも今年度中でございまして、遺伝子治療薬の重要なポイントである長期的に効果が持続しているかという点の評価はまだ固まっていない状況です。終了時評価のときにはきちんと御報告をさせていただければと思います。

2点目の課題3へのご指摘につき、説明が不足しておりまして恐縮ですが、こういった研究が行われていたかに関しては、57ページに書かせていただいております。例えば遺伝子の修復方法や、ヘルペスウイルスのベクターについての研究などが行われて、事業終了後も引き続き研究が進んでいるものもございます。AMEDにおける中間評価ではこの内容に関しても御評価をいただいております。

○秋澤委員

分かりました。ぜひ結果を次にうまく生かしていただければと思います。ありがとうございました。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。

○鈴木座長

それでは、竹山委員、お願いします。

○竹山委員

ありがとうございます。スライドの55枚目の国内外の類似・競合する研究開発等の状況というところで質問です。欧米企業では、部分的に足りないところはあるとしても、1つの企業内で全体を俯瞰して開発を行っているように見えます。一方、今回のプロジェクト体制は、それぞれのパートを個々の企業が受け持っていますが、将来的な社会実装を考えたときにどのような実装形態が可能なのでしょうか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

非常に重要な御指摘、誠にありがとうございます。おっしゃるとおり最終的に技術を社

会実装していくためには牽引役が必要だというように認識しておりまして、今回の事業に関しては、タカラバイオがCDMOとして参画しております。今後、国内外からのシーズの受注実績が豊富であり国内で随一のウイルスベクター分野におけるCDMOであるタカラバイオが中心となり進めることを想定しており、実際に各技術を結集する場所として機能している草津の集中研究所もタカラバイオの敷地内にございまして、各技術をタカラバイオがきちんとフォローアップをしながら結集していくような体制になってございます。ですので、技術がきちんと確立されて一連の工程としてつながってくる、あるいは各技術として取り入れて商用生産等に用いていけるようなレベルになりましたら、タカラバイオのようなCDMOがそれを取り入れる形で、全体を牽引していただくことを想定しております。

○竹山委員

多くの税金を使って、成果を1企業に集約するということは、今後の社会還元としてどのように理解したらよいですか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

まず、本事業はAMEDの研究開発費ですので、事業内で買った設備や施設がそのまま一事業者のビジネスに使えるわけではなく、特定事業者のために物を買ったり、技術開発したりという形にはならない前提でして、その上で、例えばタカラバイオが本事業の成果を活用して遺伝子治療の製品を安定的に作れるようになった場合、遺伝子治療薬が今後どんどん市場に出ていくことになり、今までなかなか根治ができない病気を抱えて病院でずっと過ごしていたような方が社会に復帰していくことに繋がりますので、これは国が行うべき健康医療政策と言えると思っております。加えて、今後アメリカ等を初めとした諸外国でどんどん遺伝子治療薬が実用化されると想定される中、ウイルスベクターを日本が一番うまく、かつ早くつくれるとなり、世界中の研究者や製薬企業等がタカラバイオをはじめとした国内のCDMOに製造をお願いしてくることになりれば、その利益というのは国費に還元されてくるものになります。こうした形で、国内外のシーズをきちんと社会に届けていくための製造拠点を作ることで、この事業の成果はきちんと社会に還元されるものと思っております。

○竹山委員

分かりました。

○鈴木座長

ありがとうございました。ちょっと確認ですけれども、先ほどのテーマ3でAAV以外の新しいベクターが開発されたというようにおっしゃったかと思うのですが、それは間違いないですか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

不適切な説明をしていたようで恐縮ですが、新しいベクターを開発したという訳ではなく例えばヘルペスウイルスは既に事業前からあったものですが、その特異変異体を

開発したことなどを、テーマ3のところで説明させていただいておりました。

○鈴木座長

ということは、将来的にはAAVではなくて、ほかのもので代替できる可能性もあるということですかね。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

AAV以外が遺伝子治療の主流となる可能性も意識はしておりますが、現在の時点では、論文やAAVの開発品数がダントツで多い現状を見ても、プラットフォーム技術としてのAAVの優位性というのは明らかであると考えております。競合としてはmRNA（メッセンジャーRNA）関連のモダリティのような送達技術もありますし、技術開発の状況によっては他のウイルスベクター、あるいはウイルスベクター以外の送達技術が重要となってくることももちろんあり得ると思いますので、技術開発動向の把握・フォローアップを不断に行っており、また、ポートフォリオが広がること自体はいいことだという前提で、項目2、項目3ではAAV以外の技術も取り扱っていたところでございます。

○鈴木座長

ありがとうございました。

それでは、ほかに御質問はないようでしたら、そろそろBのプロジェクトの評価を決定したいと思います。特にアウトプット、アウトカムも問題なく進んでいるようで、ぜひ完成を目指して頑張ってくださいということですね。後継事業についても今検討されているということで、期待しておりますということで、Bについてはそのように評価を決定したいと思います。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。

○鈴木座長

何か御異議がある方、いらっしゃいますか。大丈夫ですか。——それでは、そのようにBの評価を決定したいと思います。

それでは、次にCのプロジェクト、ヒト細胞加工製品製造基盤技術開発の審議に入ります。説明をお願いします。

○金地技術評価調整官

説明者の持ち時間は10分とし、持ち時間終了5分前と終了時点でTeamsのチャットでお知らせしますので、説明を終えてください。

それでは、説明をよろしくお願いいたします。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

Cの事業について御説明をさせていただければと思います。

事業の目的を改めて御説明しますと、Bの事業がウイルスベクターの製造技術関連だったのに対して、こちらは細胞のほうの製造技術開発でございます。ウイルスベクターを用いた遺伝子治療等製品は従来のバイオ医薬品寄りの作用機序や製造方法である一方で、細

胞製剤というのは原料がヒトの細胞であるため、極めてばらつきが大きく、どのように同等性を証明できるかというところが製造の肝となっております。こうした中、QbT (Quality by Testing) という最終品質の評価ではなく、製造工程のコントロールによって同じ機能を持つようなものをきちんとつくり、評価していきましょうという考え方、いわゆるQbD (Quality by Design) の考え方の導入というのを念頭に、製造技術の開発に取り組ませていただいている事業でございます。

執行額を資料に書かせていただいております。例年大体6～7億円での推移となっております。まだ2022年分は確定していないので入れておりませんが、6.5億円程度となる予定でございます。

事業の目的を再度御説明させていただきます。再生医療等製品というのは医薬品とは全く別のものであり、平成25年度の薬事法改正で「再生医療等製品」の定義が設けられましたが、やはり原料の性質から異なっており、それをどのように薬と同様に機能評価し扱うべきかという考え方の確立が非常に難しい、という前提から始まっております。実際にどういう難しさがあるかを73ページの表で書かせていただいておりますけれども、低分子の医薬品では最終的に出てきた化学合成を見れば同等性が証明できたのに対して、バイオ医薬品や細胞加工製品は、どんどん同等性の考え方が難しくなりますし、製造の際のちょっとした差異が最終的なものの品質に直結してきますので、どう製品をつくり、どう同等性を担保し、それを示すかという部分の検討が初期から必要になってきます。取り扱いに関しても、分子量が多ければ多いほど製造そのものが難しくなってきますので、ラボレベルではつくれたけれども、スケールアップしていくとなったときに全然上手く作れないというような事象も実際に発生しています。それに対応するために、スケールアップに当たって工程の一部を少し変えました、例えば部素材を変えたり精製の手順を変えたりしたときには、先ほどの同等性の観点が出てきて、もともと小スケールで作っていたものと同じものだと言えるのかというのも、証明が大変難しいです。こうした課題の中、同等性の証明や、製造変更を柔軟に行えるようにしたり、スケールアップを円滑に進められるようにしたりというところを目指しているのが、この事業です。

達成したいことは申し上げたとおりで、細胞製造を安定的に行い、製造に柔軟性を持たせ、最終的に開発・製造コストの削減を実現することを目指してございます。

国が実施することの必要性は、これも前の事業と似たような話で恐縮ですが、細胞をつくる場所に関しては様々な要素技術が必要であり、培地、試薬、培養容器という培養関係の各技術、それを組織として形成していく技術、画像解析等で評価分析する技術など、工学的、生物学的、薬学的、様々な技術が必要である上、最終的に製品を扱うのはお医者さんであり、医療機関におけるオペレーションの検討や管理を含めて考えなければいけないと、非常に多様な関係者がいるため、異分野、産学官連携の必要な分野ということで、国が主導してやる必要のある分野と認識しております。

次に、国内外の類似・競合する研究開発の状況を書かせていただいております。すごく

小さな字で申し訳ありませんが、実用化や開発の状況を下の図で描かせていただいております。まして、例えばiPS細胞関連の臨床研究の数はアメリカ等に比べても優位性を持っていることや、組織幹細胞に関する細胞の製品に関しても、グローバルに市場を獲得しているような製品を見ていくと、ニプロやJCRファーマ、ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング、テルモといった日本の企業が開発しているものの占める割合が高いことが分かります。この分野ではこのようにシーズとして非常に有望なものが国内に多くありますので、実際に物にする、産業にしていくところをこの事業でしっかり下支えできればと思っています。

研究開発の全体構成として、先ほど申し上げたとおりですが、きちんと同等性を証明するアプローチに必要なのが、製造工程をモニタリングし品質を管理する技術ということで、QTTP (Quality Target Product Profile) を保証するCQA (Critical Quality Attribute) を検証するプロセスの確立、また、それを反映させて一連の製造ができる製造システムの確立が必要となります。また、その工程データを、堅牢性をもって規制当局に見せられるデータとして蓄積するデータシステムも必要だということを書かせていただいております。その上で、実際にその概念が活用されていくためには、これらの各要素をもって細胞製剤に関する1つのプロトコルを確立し規制当局に認め、諸外国にも展開していく必要がありますので、規制対応や国際標準化もやっていく必要があります。

その4つのそれぞれの課題に対応する形で開発項目1、2、3、4というのを設定しております。各開発項目で採択をしている企業、実施者を78ページに書かせていただいております。開発項目1は規制側の知見を持つ国立医薬品食品衛生研究所のメンバーが担当しており、実際に考え方を準用した製造システムを構築するのを大阪大学とロート製薬を中心に開発項目2としてやっていただいております。そこで出てくるデータを適切に管理できるマネジメントシステムの構築を、開発項目3の日立製作所・澁谷工業を中心にやっていただいております。それらをもって規制当局と議論をするのを開発項目4の先生が担っております。それぞれの細かな開発項目を79ページに書かせていただいております。説明は割愛させていただきます。

研究開発計画として、2021年から2022年にかけてはベースとなる技術開発を行い、後半年度となる来年度からはそれらを用いた一連の工程において実際に物をつくりながら技術を確立させていくことを目指しております。

研究開発の実施・マネジメント体制については、こちらも重複するので割愛させていただきます。

知財や研究開発データの取扱いについては、A、Bと同様の説明になりますけれども、多くの参画者がいる事業ですので、知財のプロジェクトディレクターからの助言を受けながら知財合意書というものを策定しており、複数の研究開発者の間で出た成果の取扱いや、事務局への届出、特許出願、第三者への実施許諾等に関して、適切に管理をさせていただいております。また、知財戦略に関する調査にも力を入れておりまして、欧米を初めとす

る様々な国のこの分野での取組について、対応策、侵害予防調査を行った上で、知財に抵触しないような形でやらせていただいております。

研究開発目標と成果としては、まずはQ b Dによる再生医療等製品製造工程の確立数をアウトプットとして設定しております。先ほど申し上げた途中工程をコントロールして、重要となるパラメータが何かを見定めながら細胞をつくれるようにするような工程をきちんと確立できているかどうかということを中間目標として設定しており、こちらの工程についてはロート製薬と大阪大学の2つで確立できておりますので、2件の達成ということで書かせていただいております。

国際標準に関しては、この事業では結構力を入れてやらせていただいておりますので、細胞関係では最重要であるTC276での提案を見据えて、業界団体のFIRMと連携をしながらJIS（日本産業規格）化に向けた議論をしたりしています。

アウトカム達成に至るまでのロードマップについて、コア技術が多く字が小さくなってしまって申し訳ございませんが、主に2022年までに開発してきた製造要素技術をいかに導出していくかというスケジュールを書かせていただいております。

アウトカムの指標としては、2024年度までに5件、2026年度までに10件、こちらで開発した要素技術を用いて臨床研究や治験を行ったり、あるいは製品開発に貢献したりということを目指しております。先ほどの図の黄色の線とピンク色の線がアウトカムに資する取組ですので、黄色とピンクの線の数が出カム数になりますけれども、足し上げると分かるように、現状達成できる見込みでございます。

費用対効果についても、こちらも国費総額30億円というめどに対して細胞製剤の市場規模の拡大を見ていけば非常に大きな成果が期待できるということで、適切な規模であると認識をしております。

前回評価の指摘事項については88ページのとおりです。評価検討会の際の総合評価を89ページに書かせていただいております。細胞加工製品については新たな評価の考え方が必要な難しい分野である中で、この事業の目標は非常に高いものであり、かつ必要なものであるということ、また、最終的な目標が非常に高いので、実施できるかどうか不透明性があるからこそ、国として実施するべきだという意見をいただいております。JIS文書等の標準化に向けた取組が進められていることも評価をいただいております。一方で、現状の達成目標を実現するには、丁寧なマネジメントが重要ではないかという御指摘を、懸念事項としていただいております。また、出口戦略を明確にして細胞をつくることの方針が確立された際、ユーザーとなる業界団体のFIRM等ときちんと議論を行うようにというコメントがございましたので、まずはFIRMとの議論の場を定期的に設けられるような体制整備を進めております。この事業のPSとして事業を牽引していただいているのがFIRMの畠会長となっておりますので、そういった繋がりを生かしながらユーザーである産業界との対話をきちんと進めていくとともに、個別の要素技術もきちんと業界に導出していければと思っているところです。

以上でございます。

○鈴木座長

ありがとうございました。

それでは、御質問、御意見のある方がいらしたら、どうぞ。——これはあと3年残っているの、後継事業についてはまだまだこれから、もしやるのだったら考えるということですかね。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。後継事業でやるべきことが出てきたときに考えたいと思っております。

○鈴木座長

先ほど出てきた費用対効果のところ、バリューチェーンを概算すると2030年に5.2兆円、世界市場があるとか書いていましたけれども、アウトカム目標に世界シェア幾らとか、そういうものって考えられないのですかね。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

私のほうで理解が追いついていなくて非常に申し訳ないのですけれども、アウトカム目標において、海外を意識した目標を設定できるかどうかということでしょうか。

○鈴木座長

費用対効果のところ、87枚目のスライドでグローバル市場は2030年に5.2兆円と書かれていますよね。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

はい。

○鈴木座長

だから日本は、このうちの幾らかでも取れば非常に大きい経済効果になると書いているのだったら、もうちょっと長期のアウトカム目標で、世界の市場で2030年にこのぐらいというのがあってもいいのかなと思ったのですけれども。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

既に設定されている目標は2026年度時点ということで、比較的短期的な目標として設定されているのですけれども、その先の目標として、2030年に海外での事業成果の利用状況を評価するようなアウトカムに変更したほうがよいのではないかと御提言でしょうか。

○鈴木座長

変更というか、付け加えたほうがいいのかということですか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

既に最終目標として設定している成果目標に加えてより長期的な目標を設定するというのがあり得るのか、その場合どういった目標になるのかというのは、技術評価室と相談しながら、検討させていただければと思います。

○鈴木座長

はい。

それでは、西尾委員、お願いします。

○西尾委員

西尾です。Cの事業ですが、まずバリューチェーンというお話がありましたけれども、サプライチェーンというか、エコシステムをつくっていくところがもう一つ大きいところかなと思うのですが、次期、2期目をやるかどうかが未定であるかもしれないですが、ここに参加していない業界といいますか、それこそ輸送みたいなところも含めて、何かもう少しこの成果、あるいは取組を普及というか、認知度を高めていくような取組を、今やっているものの終わりに向けて広報というか、そういった取組をするような予定はあるのでしょうか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

貴重な御指摘、ありがとうございます。説明ができておらず申し訳ございませんでしたが、おっしゃるとおり事業外のユーザーをきちんと巻き込んでいくこと、理解を広げていくことは非常に大事だと思っております。82ページの下図で「連携」という矢印の先に業界団体、学術団体等、を記載させていただいております。この中身として、事業内ではワーキングというのを実施しております。まさにおっしゃっていただいた輸送であったり、培養であったり、規制であったり、いろいろなテーマに関する10以上のワーキングを設定し、事業に参加していないけれども各分野を牽引する業界の企業がワーキングメンバーとなって、事業内メンバーと定期的に意見交換をする体制となっております。こういった形で事業外のプレイヤーときちんとつながり、ニーズや課題を把握すると同時に技術の展開先をつくっております。また、先ほど申し上げたように、FIRMとの連携を強めようとしているところですが、FIRMには細胞製剤を開発する企業が多く入っておりますので、そこでの進捗報告や意見交換を定期的開催することによって、成果の展開を図っていきたいと思っております。

○西尾委員

分かりました。ありがとうございます。

○鈴木座長

それでは、他に質問のある方、いらっしゃいますか。浦野様、お願いします。

○浦野委員

ありがとうございます。今回、これまで余り聞き慣れない言葉として「導出」というのがありまして、確認したら、これは製薬業界において供与とか、譲渡のときに使われる言葉と理解しました。企業導出、技術導出についてアウトカムの目標設定をされていらっしゃるところで、なるほどと思いましたが、ちょっとうがった見方をすると企業には渡ったけれども、それが実際に実装化されているのか。事業に貢献しているのか。素朴な疑問として、導出するだけではなくて、そこまで追って目標を確認できないのかという質問です。よろしくお願いします。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。導出というのは、確かにAMEDの研究開発事業以外で余り聞かない言葉かもしれませんが、説明が不足しており恐縮でございました。どうしても言葉上はただただ企業に引き渡したというイメージになってしまうかもしれないのですが、実際にはAMEDにおいて研究開発成果の利用状況を毎年フォローアップしております。ですので、事後評価等で御報告させていただく際には、導出として実際にどう使われましたかというところも含めて御報告ができればと思います。

○浦野委員

ありがとうございます。時間差があるのでまた難しいと思いますが、そういったところも意識して報告書に書いていただけるといいなと思いました。ありがとうございます。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

貴重な御指摘ありがとうございます。

○鈴木座長

それでは、竹山委員、お願いします。

○竹山委員

スライドの76にあります国内外の類似・競合する研究開発等の状況について質問です。実用化では、iPSや幹細胞移植分野で日本が先頭を切っているというお話ですが、その理由に関して教えてください。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。全てを網羅している答えではないかもしれませんが、まず、iPS細胞分野に関しては、日本がiPS細胞に関して投入してきた官民の投資というのは非常に大きなものでして、諸外国に比べてもiPS細胞に対して非常に強く後押しをしてきたというのが、こうした臨床研究の数に寄与しているのではないかと思います。

2つ目の組織幹細胞移植分野に関しては、細胞を思った形に形成し製品としていくところには工学的な技術が必要であり、具体的には、例えばこちらで書いてあるジェイスであったり、ハートシートであったり、ジャックであったりというのは、増やした細胞をシートの形に形成して、患部の部分を切り取って、そこになじませるような手術を行うというような技術であることもあって、ものづくりが強い日本の企業には先行的にやれるような土台があったのではないかと思量します。

○竹山委員

ベンチャーにまで拡大して考えると事例がもっと出てくる気がします。実用化に至っていないが、試験的にすでに病院で進められている事例もあるかと思います。iPSに関しては、ライセンスの問題で国内が優先しているなどの実情があれば教えていただければと思います。以上です。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。本データのうち右側の図は首相官邸のHPにも出ている調査報告

書の中にあった表をそのまま貼り付けておりますので、経済産業省のほうでバイアスをかけているわけではありません。もちろん今おっしゃっていただいたとおり、細胞の製剤自体は他にも様々ございますが、なかなか実際の臨床現場の状況になじまないものというのは使われずに市場形成できなかつたりしますので、一部の品目に関しては載っていないものもあると思います。

○竹山委員

できれば、独自の動向調査をしていただければと思います。よろしくお願いします。

○鈴木座長

ありがとうございました。ほかのユーザーを巻き込むとか、動向調査をもうちょっとやってほしいという話ですね。

私からの質問ですけれども、細胞治療に関しては基本的にテーラーメイド医療で一番の課題は、やはりコストだと思うのですけれども、何かコストに関するアウトカム目標みたいなものってないですか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。この事業によってどれぐらい、ある1つの製品のコストを下げられるか。目標を設定すべきという御指摘という理解で合っていますでしょうか。

○鈴木座長

そうですね。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

コスト低減にも寄与する見込みでして、74ページにおいて、本事業の考え方が導入されることによって一部製造変更したときの追加試験を削ることによってどの程度費用の低減が見込まれるかというところをまとめさせていただいております。もちろん製品によって異なりますので一例ですが、コスト低減効果はあると考えております。

ただ、今上市している製品の中でも、1製品当たりの提供価格が10万円単位のものもあれば、1,000万円単位のものもございまして、国の事業全体としてこれぐらい削るのを目標とするには、各製品の価格のばらつきが大きく、アウトカム目標としてこれぐらいと数字で設定するのはなかなか難しいところもございます。

○鈴木座長

分かりました。

ほかに、竹山委員、どうぞ。

○竹山委員

プロセス評価は、プロダクトの同等性とか同質性を担保できるかどうか、によってなされるかと思います。同質性とか同等性というものに対する考え方が、いわゆる標準化につながると思います。Q b Dの評価について、その同等性とか同質性は、誰がどこでどのように決めているのかを教えていただければと思います。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。事業の核となる非常に重要な御指摘だと思います。同等性や同質性の決め方がまだまだ未確立であるからこそ、この事業をやっている状況であります。まず誰がというところに関しては、大前提として製品の妥当性は規制当局が判断するものです。アメリカだったらFDA（Food and Drug Administration）ですし、日本だったらPMDAですし、欧州だったらEMA（European Medicines Agency）です。規制当局が科学的な見地に基づいて、こういう考え方によって同等だと思っていますという各パイプラインの開発者の説明を妥当と考えるかではないでしょうか。その考え方が妥当かどうかを判断する基準が未確立であるということで、この事業をやらせていただいています。どのようにという点については、最終的なアウトプットが一緒であれば機能の同等性についてある程度説明できますので、実際にin vivo試験を行ったときに出てくる反応が均一になっているのかをもって判断するとすれば、臨床結果のフィードバックと製造工程の改善というところをサイクルで回しながら、デザインスペースを決めていくということになるのではないかと思います。そのため、この事業においても、ロート製薬と大阪大学で確立している製造工程をもってモックアップをつくりましてin vivo試験を行う予定です。その臨床結果のフィードバックをしながら、製造工程としてそれぞれのパラメータのデザインスペースが妥当だと判断できるデータを出していきたいと思っております。

○竹山委員

例えば移植のために作成した細胞シートに同様の効果があるかどうかを検証するためには、まずはそれらのシートが均一であることの保証必要であり、すべての細胞シートを非侵襲的に評価、ID化等がなされて初めて臨床成果との紐づけが可能になるのではないかと思います。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ご指摘のとおりです。そのため細胞としての品質として、原料の時点での細胞の状態や、培養の時点での酵素やpHの数字、温度管理など、無数にあるパラメータのデータを取得・保管しまして、各製品について「各パラメータがこういう状態でした」というデータ取りをしていくプロセスを今やっているところでございます。

○竹山委員

過程だけでなく最終産物の細胞自身の情報もきちんと評価しその情報を保存することが重要と考えます。最終産物の質の担保ですね。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

先ほどの回答でご質問の趣旨を誤認しておりました。例えば今上市しているジャックやジェイス、ハットシートといった製品でも当然一番最後にやっているような品質試験のプロセスはやらせていただいた上で、この検証も進めさせていただきます。最終的にテストのコストをいかに下げられるかということが目的意識でもございますので、ご指摘のとおり研究開発段階で最終的な製品のチェックをやらせていただきつつ、いかにモニタリングのところでコントロールできるかの手法を、事業内で開発していきます。

○竹山委員

ありがとうございました。

○鈴木座長

ありがとうございます。基本的に今臨床研究しかやられていないわけですがけれども、例えば厚労省が最終的に安全審査なり、製造承認なりをするために、これが本当に使えるのか。Q b Dが使えるのかという結論は、大体いつ頃出せると思うのですか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。厚労省との対話の状況としては、医薬局の医療機器審査課にはこの事業の進捗について先月にも御報告し、今後も随時共有させていただきます。厚労省からもQ b Dという考え方の導入に向けた論点について前向きに御意見をいただいているところでございます。最終的に認められるかどうかに関しては、厚労省、あるいはPMD Aも、一般論として適切ですよとは言えないと思いますので、まずは1つの先行的なパイプラインに関して、こうした考え方に基づくプロトコルで治験が認められた、承認をされた、というような、実績を作るのが重要と考えております。そのため、まずは先行的なモックアップとして、筋萎縮症を対象とした製品を、この事業内で生産しようとしているところです。スケジュールでいきますと、80ページのところに研究開発計画を書かせていただいておりますけれども、2025年までに治験計画を完成させて、それを厚労省に2025年度中に持っていければと思っております。

○鈴木座長

分かりました。すみません、かなり時間が押してしまいましたので、そろそろCのプロジェクトの評価を決したいと思います。御意見いただいた中で特に否定的な意見というのはなくて、竹山先生から記載方法をもう少し丁寧にしたほうがいいのかというお話があったと思いますので、その辺を御意見として付け加えさせていただきたいと思います。Cのプロジェクトの評価については、それでよろしいでしょうか。それでは、Cのほうはそうのようにさせていただきたいと思います。

それでプログラム全体の評価をまた併せてやりたいと思うのですけれども、今日御説明いただいた3つのプロジェクトを含むプログラム全体について、何か御質問、御意見がある方、いらっしゃいますでしょうか。いずれも非常に重要なプロジェクトで、しかも日本がある意味進んでいるところもあるのでしっかりとやっていただきたいというのが感想ですが、特に全体で御意見がないようでしたら、では、このまま進めてくださいということで、全体プログラムの評価としたいと思います。——竹山先生、どうぞ。

○竹山委員

この分野の研究開発では、最終的には規制当局との対話が重要ではないでしょうか。このプログラムだけではなくてベンチャー等の方からも規制でなかなか先に進まないというお話を伺うことがあります。初めての事例では、規制当局の判断も容易ではないかと思われるので、突破のための努力を是非お願いいたします。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。御指摘もとてもだと思います。Cの事業に関しては、ヘルス分野の他の事業と比べても規制当局との対話が比較的進んでいる事業だと認識しておりますけれども、医療機器審査課を初めとした厚労省の方々との対話し、この事業の考え方を規制当局に取り入れていくための議論が進んでおり、厚労省も事業の進捗を見つつ連携したいと考えてくれている状況になっています。

Aの事業に関しても、課題3として採択をされていた国立衛生研究所の石田先生は、厚労省のほうで行っている令和4年度「医薬品等規制調和・評価研究事業」でも採択をされていて、MPSで取得したデータがどうやったら規制当局に積極的に活用されるかの検討を厚労省の予算で採択をされて進めているところでございます。こうした形で厚労省の課題としても考えていただくようになれば、うまく連携が続けられると思います。御指摘は本当にもっともだと思いますので、厚労省とのコミュニケーションをしっかりと続けさせていただければと思います。

○竹山委員

先ほどの費用対効果のお話では、海外で進めて最終的に国内での利益につなげるお話がありました。日本初の技術は日本で真っ先に実用化につなげたいという強い思いのあるベンチャーもあります。是非国内で育った技術の実用化に日本が先んじるような環境をお作りいただければと思います。

○鈴木座長

ありがとうございます。全体プログラムに関しては先ほどちょっと申しましたけれども、Cのプロジェクトは究極的には治験を必要としないで保険なりに収載されるというのが、多分最終目標だと思うのですけれども、そのための同等性を証明するための治験を2025年にやるということですね。

それで全体のプログラムを見渡すと、私は新しいモダリティとか、細胞治療とかの最大の課題はコストだと思っていて、1人数百万かかるような臨床研究レベルでやっている限りは、とてもじゃないけれども広がらない。保険に収載も多分できないだろうということを思っているのです。やはり全体プログラムの中でも、こういう新しい医療技術に関するコストの目標が何かあってもいいのではないかなと思っているわけですが、その辺、何か原課としてお考えはありますでしょうか。

○説明者（生物化学産業課 毛利課長補佐）

ありがとうございます。コストの部分、もちろん非常に重要な観点ですし、それぞれのプロジェクト内においてはこういったコストへの寄与があるかも、報告書内で書かせていただいているところでございます。

その上で、コストの話で、現在高くなっている理由として、結局は対象となる症例が限定的になっているところに帰結すると思います。遺伝子治療薬に関しては希少疾患を対象としているものが多いので、例えば全世界で50人しか対象がいまませんという話になったと

きに、50人のために製造工程を一回一回つくって、プロトコルを確立して、治験届を出してということをやっていたら、1件あたりが非常に大きな費用になります。細胞製剤に関しても、例えばJ-T E C（株式会社ジャパン・ティッシュエンジニアリング）がやっているジェイスであれば様々な皮膚の疾患に効くことが技術的には期待できると思いますけれども、実際に保険収載で認められているのは全身の3分の1の大やけどであったり、難病として指定されているような疾患だけです。そうすると年間提供できる数は十数件で、しかもいきなり急患で大やけどの患者が来ましたというときに一々つくるような形でやっていたらコストは当安くなりません。したがって、提供する数をいかに増やすかが重要であり、適用症例を広げていくことに関しては、この事業とまた別の再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けた環境整備事業という事業で、適用症例を広げるためのデータ取り等を支援させていただいております。

○鈴木座長

分かりました。すみません、大幅に時間を超過してしまいましたので、このプログラムの全体の評価を決したいと思います。特にネガティブな御意見はないと思うのですが、当然規制当局との連携をどうするかとか、日本としてこの産業が世界に出ていくためにはどうしたらいいか。そういうことについて、もう少し将来像として何かレポートに書いていただけたらなと思っております。

何かほかに御意見がある方、いらっしゃいますか。大丈夫ですか。——それでは、どうもありがとうございました。

以上をもちまして、プログラムの評価を終了したいと思います。

次、議題2の令和4年度追跡調査及び追跡評価の結果についてということで、事務局から御報告をお願いします。

○説明者（リベルタス・コンサルティング岩渕）

それでは、追跡評価・追跡調査の説明をさせていただきます。資料は「経済産業省研究開発事業の令和4年度追跡調査及び追跡評価の結果について」です。

まずは、「1. 追跡調査の結果について」ですが、今年度は、平成28年度、平成30年度、それから令和2年度に終了時評価を実施いたしました15の事業につきまして追跡調査を実施いたしました。

追跡調査では、これらの15事業に関わっている各機関に対しましてアンケートを実施しております。アンケートは今回、回答依頼者113機関で実施いたしまして、eメールに依頼状を送付し、Webページより回答、回収をいたしました。104機関から回答をいただきまして、9割を超える回収率でございました。

今回の追跡アンケート調査は、いつもどおり単純集計から始まりまして諸々の分析等を行っているのですが、特に今回はロジスティック回帰分析を実施いたしました。これまでの追跡アンケート調査結果には、クロス分析やフィッシャーの正確確率検定を用いてきましたが、研究開発の成否は1つの要因のみで決まるものではないことから、過去の追跡調

査・追跡評価委員会におきまして多変量解析の実施が指摘されていまして。

この多変量解析の中で、特にロジスティック回帰分析につきまして各説明変数の係数を算出することで、目的変数に対する各説明変数の影響度の大きさと、その確かさを統計的に確認することができる。要は各種取組のうち、どの取組が事業成否にとりわけ大きな影響を与えているかという点を統計的に分析することができることから、上記委員会におきまして有力な候補として提案されておりました。

そこで今回はロジスティック回帰分析を用いまして、追跡調査アンケート結果から事業化、また中止・中断に対する各取組の影響の大小等についての分析を実施いたしました。

まず分析で使用するデータですが、追跡調査アンケート結果で研究開発事業を実施した目的という質問がございまして、こちらで事業化を目的とした機関、ここでは4割強でございまして、こちらに対しまして現時点の研究開発フェーズが、例えば事業化とか、中止・中断等を使用しまして、各種取組の影響の大きさ等をロジスティック回帰分析を用いて確認いたしました。

まず、目的変数でございます。同じくアンケート結果の現時点の研究開発フェーズにおきまして事業化、今回は製品化段階及び事業化段階としておりますが、それと、中止・中断と回答した機関のデータを活用しました。実際の活用につきましては、事業化が5割、中止・中断が15%強、それ以外は34%ですが、事業化と回答しているものと、それ以外を見ることによって、明らかな成功に関連する要因の分析を行いました。逆に中止・中断とそれ以外に分けることによって、今度は逆に明らかな失敗に関する要因の分析を行おうということで、グループ化を行いまして、成功または失敗に関する要因の分析を行いました。

先ほどの結果に対し、今度は原因の方の説明変数でございますが、こちらは以下の9項目を説明変数といたしまして、ロジスティック回帰分析を実施いたしました。

まず、回答機関の種類。民間企業と、それ以外で、民間企業は6割ぐらいでございました。

それから直接・間接契約者。直接契約者は、経済産業省から直接委託ないし補助を受けていた事業者で、こちらも6割ぐらいです。

それから知財・データ・マテリアルの取扱いルールのうち、事業開始前に各機関が所有していた特許等知的財産の取扱いルールを定めていたと、それ以外。これも定めていた機関は6割ございました。

それから事業開始前に策定したプロジェクト計画の状況が十分だったと回答した機関です。こちらは8割でございました。

同じく、事業開始前に策定した実施体制の状況が十分だった機関。こちらは4分の3強です。

それから事業全体のオープン&クローズ戦略の決定方法といたしまして、プロジェクトリーダーや実施機関が集い意思決定する場等と、それ以外、つまり全体戦略はなく、各実施機関に委ねていた等です。こちらが6割強ございました。

それから想定ユーザーがプロジェクト参画に最初から入っていたが64%でした。

それから想定ユーザーまたは事業部門・技術移転先企業との意見交換を行った。こちらが8割強でした。

それからステージゲート管理の実施。実施しているのが6割ぐらいでございまして、この9項目につきまして説明変数として、原因と考え、ロジスティック回帰分析を行いました。

先ほどの9項目の変数ですが、基本的には回答機関の半分以上が各種取組等を実施したという結果が出ております。特に想定ユーザーまたは事業部門・技術移転先企業との意見交換を行った8番ですが、こちらに関しては8割以上が実施したと回答を行っております。

これらの変数を用いましてロジスティック回帰分析を行った結果ですが、まず明らかな成功に関連する要因については、いろいろと数値が出てございますが、判別の中率、計算を求めた推計式がどれだけ使えるかという目安となる数値でございまして、こちらが56%で余り高くない結果でございましたので、明らかな成功に関連する要因についてはいろいろ検討してみましたが、この式は使えないだろうと。次に明らかな失敗に関連する要因を分析しましたところ、判別の中率が8割を超えてございました。使える式として見ましたところ、事業開始前（開始時）に策定したプロジェクト計画が十分であった、こちらのP値が5%未満でございまして、有意性があるのではないかと。同じく、事業全体のオープン&クローズ戦略をPLもしくは実施者が協議して策定した、こちらはP値が5%を超えてしまっていますが、1割を切っておりますので、それなりに関連性がある結果になっているのではないかとということが分かりました。

分析結果といたしましては、明らかな成功に関連する要因につきましては、判別の中率の値が大きいほど分析精度が高く、75%を上回れば関係式は予測に使えると判断いたしますと、今回の説明変数では判別の中率が56.10%と低く、予測に適用できない結果となりました。

逆に明らかな失敗に関連する要因につきましては、判別の中率が84.76%であることから、この関係式を予測に適用できると考えました。事業開始前（開始時）に策定したプロジェクト計画が十分であったにつきましては、P値が0.0212で5%より小さいことから有意であると考えております。特に事業開始前（開始時）に策定したプロジェクト計画が十分であったに関しましてはオッズ比、どれだけ関連しているかの比から、こちらは回帰率がマイナスでしたので逆数になるのですが、要は失敗に対して寄与するというのではなく、事業の失敗を防ぐことに最も関連が深いと考えられます。同じく事業全体のオープン&クローズ戦略につきましても回帰係数はマイナスでございましたので、事業の失敗に負の関連する可能性があるという結果を確認することができました。

続きまして、「2. 追跡評価結果について」です。例年追跡評価は1事業しかやっていないのですが、今年度につきましては、ある程度予定どおりにいっている事業と、何らかの事由で現在のところ、予定どおりに余りいっていなかった事業の2事業を対象として、事

業実施期間中の取組や国側のマネジメントなどでどのような相違があったかの把握をすることを目的に実施いたしました。

そのため、委託先の外部有識者委員会、経済産業省の追跡調査・追跡評価委員会におきまして、上記を実施するため、①国際基準に適合した次世代抗体医薬品等の製造技術開発、②密閉型植物工場を活用した遺伝子組換え植物ものづくり実証研究開発、この2事業を選定いただき、追跡調査アンケート結果や、当該2事業の実施者に対するヒアリング結果等を基に評価いただきました。各事業の概要や現在の状況、評価コメント及び評価結果を踏まえた提言は、次ページ以降のとおりでございます。

まずは……（PCトラブル）。

○金地技術評価調整官

ちょっと今資料がうまく表示できないみたいで、申し訳ございません。少々お待ちください。

（会議中断）

○説明者（リベルタス・コンサルティング岩渕）

では、引き続き説明をさせていただきます。まず「国際基準に適合した次世代抗体医薬品等の製造技術開発」の概要ということで、実施期間が2013年から2017年、研究開発総予算が138億2,400万円、総執行額が137億3,400万円となっております。

本事業の目的としましては、本技術開発では抗体医薬品製造に関連する技術を有する国内企業・大学・公的研究機関を結集させ、複雑で多機能な抗体医薬品の製造技術を国際基準に適合したレベルで確立するため、細胞培養により抗体を生産する上流プロセス、生産された抗体を精製し原薬とする下流プロセス、それらを統括する品質評価技術、ウイルス等安全管理技術のそれぞれにつきまして技術開発を行うとともに、それらの要素技術を有機的に結合させ、プロセス全体として最適化することにより、国産技術に基づく革新的な抗体医薬品製造のプラットフォームを構築することが目的として実施されました。

実施体制につきましては、次世代バイオ医薬品製造技術研究組合、MAB組合を中心といたしまして、このような構成となっております。

こちらの現状につきましては、バイオ医薬品の製造プロセスにおける培養工程や精製工程、製剤工程等におきまして多くのシングルユース製品が使用されておりますが、我が国の製造基盤は脆弱であり、海外のCMO（医薬品製造受託機関）に依存しておりました。そのような状況を打破するために、本事業におきましてシングルユース製品の製造設備の国産化に取り組み、また海外に膨大なライセンス料を支払っていた生産細胞についても国内でオリジナル細胞（CHO-MK細胞）の開発に取り組み、現状一定の成果を生み出しております。

具体的な成果といたしましては、株式会社chromocenter様の人工染色体ベクターを用い

た細胞作製や、核型解析（再生医療等製品の細胞評価）。それから株式会社ちとせ研究所様のCHO-MK細胞を用いた組換えタンパク発現細胞株の受託開発サービス、医療用途や試薬用途。それから日立製作所、藤森工業様のシングルユース細胞培養装置及び培養バッグなどがございます。

なお、オリジナル細胞により生産された医療用抗体の臨床応用につきましては、数年内に行われる見通しとの話をいただきました。

それからオリジナル細胞の成果は後継事業に引き継がれておりまして、海外の従来の細胞とは異なり、高速増殖・抗体産生という新しい機能を持っております。海外との競争にも優位であることから、優れた技術、市場アクセスを持つ海外企業との相互補完による連携で海外進出を目指しております。

本事業におきまして成果を上げるために様々な取組が行われておりました。具体的には、本事業の実施主体である次世代バイオ医薬品製造技術研究組合、MAB組合ですが、こちらにおける知財ルールを策定する際、参画予定の約30社の知財部門担当者が集まり、どのようなルールとするのか議論して合意を得る仕組みとしておりました。その後も知財の専門家、知財アドバイザーや特許事務所を配置し、適宜見直しを行う体制としており、参画機関が以前から有する知財及びプロジェクト期間中に得られた知財の適切な管理ができる仕組みとしておりました。またオリジナル細胞の成果に対しまして関係者で1年近く議論をした上で、最終的に特許の共同保有の場合に貢献度合いに応じてライセンス料を配分する仕組みとしておりました。

MAB組合を設立する際は設立準備委員会を発足させまして、本事業の始動に要する活動、特に研究開発課題の抽出、実施企業等との調整を行っており、また事業開始の初期からPMDAや製薬メーカーとの連携を適宜図りながら、本事業の実施者間協議を複数主催し、その後も必要に応じて新たな実施者間協議の場を設け、合意形成を行う体制としておりました。

続きまして、「密閉型植物工場を活用した遺伝子組換え植物ものづくり実証研究開発」の概要で、こちらは実施期間が2011年から2015年度、研究開発総額が4億9,700万円、総執行額が4億8,900万円で、基本的にこちらの方が小規模になります。

本事業では密閉型遺伝子組換え植物工場を拠点とし、医薬品原材料、ワクチン、機能性食品等の高付加価値物質を高効率に生産するための基盤技術開発及び実証事業を行う。これによって植物機能を活用した安全で生産効率の高い物質生産技術を迅速に実用化するとともに、物質生産プロセスにおける二酸化炭素排出削減に貢献することを目的としております。

実施体制はこちらのような形になっておりまして、大学や産総研を中心とした委託の課題と、あとは各会社様の補助事業で構成されております。

本事業は委託と補助で構成されており、終了時評価の事業アウトカム達成に至るまでのロードマップは、こちらのとおりになっております。

委託の成果につきましては知財として権利化しており、一部の機関はベンチャー企業を立ち上げております。ライセンス供与などを通じて社会への成果普及を図っております。また、成果の一部はNEDO事業で活用されております。現在は2020から2026の一番最後の段階になります。

ただ、委託事業を実施した一部の機関からは、本事業の実施期間中に知財の専門家が配置されておらず、知財戦略もなかったとの指摘がございました。

一方、補助事業につきましては事業化を目指していたものの、一部を除き事業化の目途は立っていない状況でございます。

事業化がうまくいかなかった要因を探るため、本事業実施期間中の体制や経済産業省側のマネジメントについて確認を行いましたところ、遺伝子組換え植物を使用した医薬品の承認事例はなく、どのようなことをすれば承認が得られるのかが不透明な状況でございました。また医薬品の承認実績がない企業が当該補助事業に取り組んでいたことから、事前評価や中間評価におきまして厚生労働省との協議による新規なガイドラインの設定等の制度面での支援も考慮すべき、早期にPMDAや厚生労働省と検討を始めるべきと指摘されていましたが、本事業においては最後まで十分な取組がなされませんでした。委託と補助の間の連携がうまくいかず、本事業において開催された関係者が集う成果報告会につきましても、関係者間の連携強化や事業全体の戦略を見直す場として十分に機能していなかったなどの指摘がございました。

また、補助事業者からはソリューション（課題をノウハウ・人材などの様々な方法で解決、もしくは課題を解決するためのシステム）が必要との声がございました。主な要望は以下のとおりでございました。

本事業に限らず、植物の遺伝子組換え医薬品の開発は多くの企業や大学でシーズを持っている状況でございますが、実用化例が出てこない状況でもございます。厚生労働省など……

○鈴木座長

すみません、ポイントだけで結構です。

○説明者（リベルタス・コンサルティング岩渕）

どの省庁にアダプトしてよいのか分からず、またそれぞれのシステムごとにどのような法規制が対応するかも分からず、皆、手探り状況である。薬機・薬事に対する橋渡し機能は非常に大きく寄与するため、経済産業省による何らかのアシストが期待されております。

それから本事業の成果を実用化するため、提携先の紹介やマッチングシステムがあればよいという意見がございました。

それから本年度の追加評価対象2事業、国際基準に適合した次世代抗体医薬品等の製造技術開発、以下、国際基準と、もう一つの植物工場ですが、こちらにつきまして、目的や実施体制などが異なっていましたため、単純に比較できるわけではございませんが、現状把握を行った結果、以下の1から3について差が見られました。

まず、1つ目が知財の専門家配置や知財戦略（ルール）策定の相違です。植物工場につきましては成果を知財として権利化し、ライセンス供与等を通じて社会への成果普及を図っているところですが、こちらは知財の専門家が配置されておりました。

一方、国際基準につきましては関係約30社の知財部門の担当者が集まり、どのようなルールとするかの議論をして合意を得ており、またその後も知財の専門家を配置しておりました。

それから関係省庁等との連携等の相違についてですが、植物工場につきましては厚労省や農水省、PMDAとの連携が不十分でした。また、医薬品の承認に精通した専門家も配置されてございませんでした。

一方、国際基準に対しては、事業開始の初期からPMDAや製薬メーカーとの連携を適宜図りながら進めていたため、予定どおり実用化に至っております。

最後に、実施体制の相違について、植物工場は委託と補助で構成されておりましたが、委託の事業内容が既に決まった後に補助事業をどうするかという進め方をしていたため、委託と補助が当初から連携した体制となっていなかったとの指摘がございました。また成果報告会がありましたものの、こちらの戦略策定やその見直し、連携を図るという点では不十分でございました。

一方、国際基準につきましては組合を発足させまして、本事業の始動に要する活動、特に研究開発課題の抽出や実施企業との調整を行っており、実施期間中も関係者協議を複数主催して合意形成を行う体制となっておりました。

それからいただいた評価コメントは以下のとおりでございまして、こちらはこういう形で、今お伝えしたことをコメントいただいた形になっております。

あと最後に、今回の追跡評価を踏まえた委員からの提言ということで、まずマネジメント、ソリューション、そしてアウトカムのシームレスなシステムを俯瞰する機能等の構築が必要である。それから評価の場における改善案の提示などの取組、時間軸上の複数プロジェクトをプログラムとみなした評価項目・評価基準の見直しといった提案をいただきました。あと他国・他企業とのアライアンス等を念頭に置いた評価項目・評価基準の見直し、それから国際ルールを活用した事業（市場）形成に精通する専門家などの評価や選考への関与等といった、今年度の追跡評価を通じまして御意見をいただくことができました。

以上で簡単ではございますが、追跡調査・追跡評価の御報告とさせていただきます。

○鈴木座長

ありがとうございました。

それでは、今御説明いただきました追跡調査・追跡評価の結果について御質問、御意見のある方。浦野委員、お願いします。

○浦野委員

ありがとうございます。簡潔にいきたいと思うのですが、専門家がいる、いないの話が何か所か出てきまして、知財の専門家の話がまず出てきていたと思います。知財人

材データベースというのがこれまであって、さっき確認したらもう終わってしまっていたのですけれども、専門家不在の課題に対して、そのようなフォローするシステム、仕組みについて考えていかなければいけない話と思いました。

あともう一つ、経営について分かっている知財の専門家が最後の最後に出てきていて、これができる人って本当に限られている話かと思うので、そういう方にはスーパーバイザーのようにいろいろなプロジェクトに入ってもらいたいな、そういった支える仕組みを本気で考えなければいけないと強く思ったので、今後どのようにされるかぜひ伺いたいなと思っています。よろしくお願いします。

○説明者（研究開発課 木村技術評価専門職）

実はこちらは委託調査でございまして、我々は担当課ではないので直接の回答は差し控えてさせていただきたいと思うのですけれども、今、知財の話を先生はされましたが国際標準のほうで、要は市場のルール形成、研究開発後の市場環境を整えるためのルール形成をちゃんとつくれるような人を配置すべきであるという、先ほどの単に特許を取るだけではなくて、ビジネスに知財をちゃんとどう生かすかみたいな話をされていましたが、国際標準についても同じように単に規格をつくるという専門家ではなくて、それをちゃんとビジネスに結びつける人を配置すべきという御指摘をいただいておりますので、今後プロジェクトにそういった専門家を配置させることが重要ではないかと、そのように思っております。すみません、回答になっているかどうか分かりませんが。

○浦野委員

私、10年ぐらい前にNEDOさんの仕事をしたときに、本当にそこができる人はその当時で10人、数えられる数の人しかなくて、一生懸命インタビューに行った記憶があります。多分今はもっと増えていると思うのですけれども、戦略までできる人は本当に限られているすごい人で、いろいろな分野で活躍されていたりするのです。そういう人って本当に国の宝ではないのですけれども、活用する仕組みとか、フィードバックできるような仕組みをぜひつくっていただきたいなと強く思ったのでよろしくお願いします。

○説明者（研究開発課 木村技術評価専門職）

はい、ありがとうございます。

○鈴木座長

ありがとうございました。ほかに御意見、御質問のある方、いらっしゃいますか。――追跡評価・調査、私自身も関与していたのですけれども、追跡評価の対象に2つプロジェクトを選んで、1つは余りうまくいかなかったものと、もう一つが割とうまくいっているものということなのですね。やはりうまくいかなかったほうのプロジェクト。植物工場の話なのですけれども、感想としては、ちょっと先を見過ぎたプロジェクトだったかなと。具体的に植物でヒト用の医薬品をつくるのにどれだけ規制上の障害があるかとか、そういうものもなかなかよく分かっていない状況で始めて、途中で頓挫した状況だったかなというような気がします。

ほかに何か御質問とか、御意見がないようでしたら……。ありがとうございました。

それでは、以上で議題2は終了しまして、最後、議題3のプログラム評価方法ですね。

これについて事務局から御報告をお願いします。

○金地技術評価調整官

それでは、プログラム評価方法について、資料4で御説明をさせていただきます。

3ページ目でございますけれども、昨年、研究開発改革ワーキンググループの最終取りまとめの概要ということで出させていただいておりますとおり、研究開発事業の在り方を見直すということで提言がまとめられております。研究開発事業の在り方を変えるという中の一部として評価の在り方も当然変えていかなければいけないということで、ここに赤枠で囲ませていただいているような形で提言が出されたところでございます。

これを受けましてプログラム、プロジェクトの評価、どのような形で直していくのかですが、現在の評価体制というものはどうしても重複の部分がある。個別事業評価、プロジェクト評価、プログラム評価に重複があるということで、重複を排除していきながらあるべき形を模索していくということで検討を進めてまいりました。

それと併せて評価の結果と予算要求がきちんとリンクをする必要があるだろうということで、実際の評価時期に関しましても見直すという形で、ここに書かせていただいているような形で今検討を進めているところでございます。

この評価ワーキングにつきましては、ここに書かせていただいているプログラム評価を行っていただくということで、位置づけをさせていただいております。時期といたしましては大体8月中旬から下旬にかけて、その辺りに評価をしていただいて、その結果を財務省との議論に反映させていく。あるいは次のプロジェクト計画の策定とかの変更反映させていくような形で、検討を進めているところでございます。

プログラム評価はどのような形になるのかということなのですが、プログラムの構成についてということで整理をさせていただいております。プログラムにつきましては政府全体の政策・施策の方針との整合が必要という形で考えておりますので、その観点でプログラムとして、当省が政策評価基本計画に基づいて定める政策評価の枠組みを活用する。

政策評価の枠組みというのは、ここに書かせていただいております1番から7番。これが令和5年から7年度の政策評価体系になります。それぞれの政策の中にプログラムが入ってくる。それぞれの技術開発がどのような政策にひもづいているのか。それをまとめるような形でプログラムが構成される。ですから、政策によっては技術開発と直接関係しないような案件。経済構造改革の推進とか、このようなところには紐づかない。恐らく紐づいてくるのは3番とか4番、6番、7番の政策に技術開発が紐づいてくるだろうなという形で、それぞれの政策を実現するために技術開発がきちんと役割を果たしているのかどうかというのを、評価をしていただく形になってまいります。

プログラム評価のポイントとしては、評価項目・評価基準に基づいて、プログラム構成

の妥当性や、プログラム配下のプロジェクトの評価がきちんと実施されているのかどうか。あるいは政府全体の政策・施策方針との整合がきちんと取れているのかどうかということ、政策を実現していくためにこの技術開発はもっと推進すべきとか、時代背景の中からこの技術開発はもう終了してもよいのではないかとか、そのような政策との関係の中で技術開発をどう位置づけていくのかということで、評価をしていただく形になってまいります。

そういう評価をしていただくためにプログラム評価のインプット情報ということで、今イメージいたしておりますのが、ここに書かせていただいているようなことで今検討を進めておりまして、このプログラムの中にはこのような事業、技術開発が入っていますよと。事前評価であるとか、中間評価であるとか、そのような評価結果をお示ししながら、プログラムに対するワーキングの所見ということで取りまとめをしていただくような形になってくるのかなというようにイメージしております。

それぞれのプログラムにどのプロジェクトが入ってくるのかにつきましては、現在整理する作業を行っているところでございますので、ある程度整理ができた段階でまた御相談しながら、今後8月のワーキングに向けて準備をさせていただければと考えているところでございますので、よろしくお願いをいたします。

以上でございます。

○鈴木座長

ありがとうございました。

それでは、今後の評価の進め方です。御意見、御質問のある方、いらっしゃいましたらどうぞ。浜田委員、お願いします。

○浜田委員

最後のページなのですけれども、評点のところが意義、目標、マネジメントというようになっているのですが、以前からアウトカム・アウトプットの話もありましたし、目標として適切かどうかという話と、実際に目標の達成度がどうかとか、この部分は何を評価するか想定できることに幅があるのですけれども、ここでイメージしているのはどういう内容でしょうか。

○金地技術評価調整官

ここでイメージしているのは個別のプロジェクトというよりも、むしろ政策との関係で、政策を実現していくためにどうすべきかというところを見ていただく話になりますので、言ってみれば個別のプロジェクトの進捗状況とか、評価の状況というのは、ある意味、評価をしていただくための材料というように考えていただければ良いのではないかと思います。

○浜田委員

そうすると適切な目標設定であるとか、そんな感じなのですか。主として見るべきところは。

○金地技術評価調整官

主として見ていただくのは、プログラムとしてのK P Iを示させていただきますので、これとの関係の中でどう位置づいてくるのか、関係づけられるのかというのを評価していただく、より適切に構成されているのかどうなのかというのを見ていただく、というようになります。

○浜田委員

ということは、どちらかといえば設定のほうですね。分かりました。ありがとうございます。

○金地技術評価調整官

よろしくお願いします。

○鈴木座長

こういう形でやるのは初めてなので、やりながら改良していこうということだと思います。ちょっと実施体制というか、お伺いしたいのですけれども、8月のお盆過ぎということで今やっているようなオンライン開催とか、そういうものは可能なのですかね。どうしますか。

○金地技術評価調整官

オンラインでも大丈夫なのではないかと思っているのですが、対面でやらないと効率が悪い等の御意見があれば、対面開催も検討させていただきます。基本はオンラインではないかと思っています。

○鈴木座長

そのほうが多分出席の調整なんかもしやすいし、それは御検討いただければと思います。

○金地技術評価調整官

皆様方の御都合を伺いながら対応させていただければと思っております。

○鈴木座長

西尾委員、何かありますか。

○西尾委員

プログラム評価のポイントのところ、私が多分理解できていないかと思うのですけれども、プログラム評価ではプログラム構成の妥当性。何かの評価を実施するところで、その次のところでプログラム構成の考え方などについてはM E T I の政策評価体系を利用するので、重ねて評価は行わないというのは、プログラム構成の考え方自体は、このプログラム評価の中では行わないというように解釈すべきなのでしょうか。

○金地技術評価調整官

ちょっと説明が適切ではないかもしれませんが、実際に政策を実現していくためには技術開発も入ってくるのですけれども、ほかに税制とかいろいろな支援制度等、技術開発以外の制度も入ってきます。ワーキングで評価をいただくのは技術開発のところ、プログラムのところを評価していただく。政策実現のためにいろいろ入っているメニューに関し

て全体を見るのは、別途政策評価で全体を評価する形になってまいりますので、重複は行わないというイメージでございます。

○西尾委員

そうすると、プログラム間でどうこうという話はしないということですか。2つ目のポツのプログラム構成の考え方がどういうものかということだけ、ちょっと御説明いただけると。

○金地技術評価調整官

政策間での評価はしないです。

○西尾委員

はい、分かりました。

○金地技術評価調整官

ただ、技術開発案件によっては複数の政策にまたがるような案件も出てくるかと思うのですが、それに関しては、それぞれの政策実現のところで評価をしていただく形になります。

○西尾委員

はい。

○鈴木座長

ちょうど16時になってしまいましたので、ほかに御質問、御意見がないようでしたら、これをもちまして本日の審議を終了させていただきたいと思います。すみません、司会の不手際でかなり時間を超過してしまいましたけれども、有意義な御審議どうもありがとうございました。

それでは、最後、事務局から御連絡がありますか。お願いします。

○金地技術評価調整官

本日は委員各位から大変貴重な御意見を賜り、誠にありがとうございました。本年度の技術評価は本日で終了となります。改めてお礼を申し上げます。

なお、次回の評価ワーキングは8月中旬頃の開催を予定いたしております。後日メールにて御都合をお伺いいたしますので、よろしくお願いいたします。

事務局からは以上でございます。ありがとうございました。

○鈴木座長

それでは、これで散会とさせていただきます。皆様どうもありがとうございました。

——了——

お問合せ先

産業技術環境局 研究開発課 技術評価室

電話：03-3501-0681

FAX：03-3501-7920