

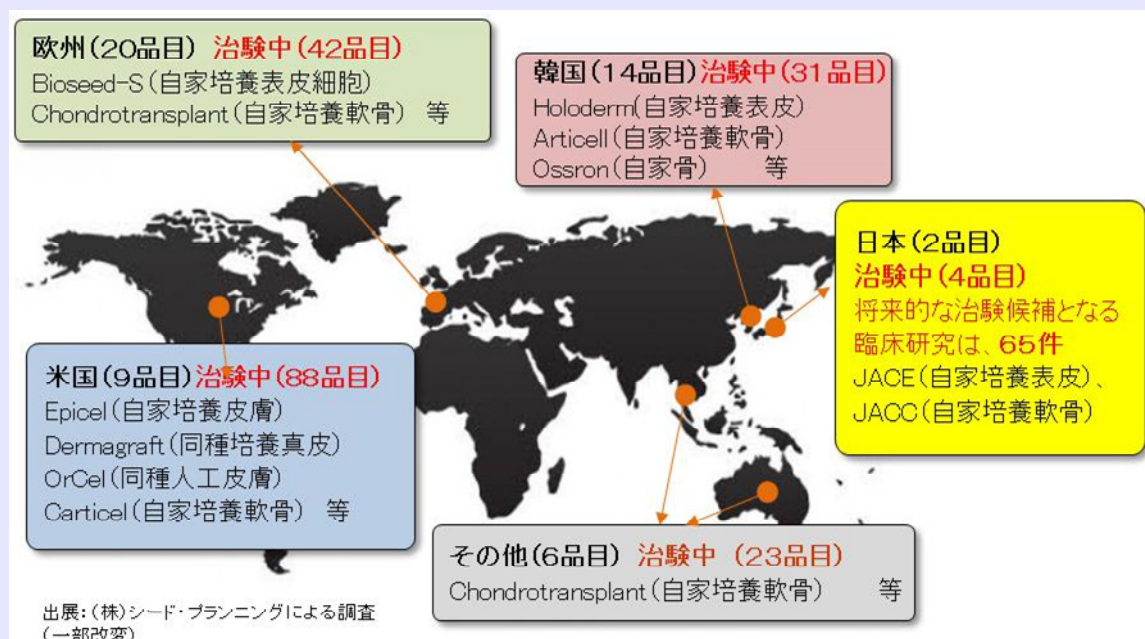
(3) 実用化を加速するための環境整備

① 環境整備における現在の取組

前述のように、我が国は、再生医療研究で世界トップレベルにあるが、その実用化において欧米諸国に比べて上市製品が少ないなど優位にあるとは言えず、激しい競争にさらされている。

現在、我が国では再生医療製品として、重症熱傷のための自家培養表皮¹、膝関節軟骨治療のための自家培養軟骨²の2品目が「薬事法」(昭和35年法律第145号)の製造販売承認を得て上市されている(平成25年4月末現在)。一方、欧米をはじめとする世界各国においても再生医療製品の研究開発が進められ、実用化に向けた競争が激化している(図14)。

図14/ 各国における再生医療製品の上市製品及び治験中の製品数 (2012年12月時点)



注: 再生医療製品の上市状況、開発動向の集計の考え方

① 本集計は、上市治験の実施国でカウント

② 上市製品とは、各国/地域の薬事承認を通過し製造販売承認を得た、細胞加工を伴う医薬品・医療機器を示す。細胞加工を伴わない同種/異種移植片や、細胞バンク(さい帯血・造血幹細胞等)は含まない。以下については上市製品としてカウントする。

・ 米国におけるHumanitarian Device Exemption (HDE) programによる承認製品

・ 欧州における、中央審査方式以前に各国にて承認された製品

資料: 経済産業省 「再生医療の実用化・産業化に関する報告書」(平成25年2月)を基に文部科学省作成

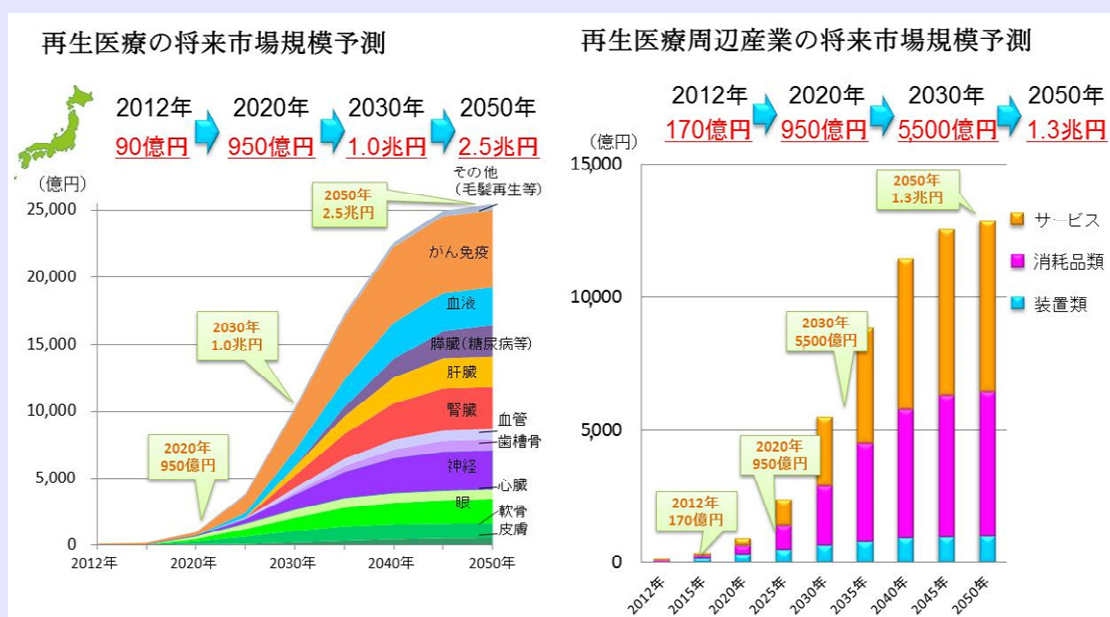
1 米国H.Green教授らの方法に準じて製造された自家培養表皮であり、株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリングの技術によって生産管理された製品

2 越智教授(広島大学 整形外科)らの方法に準じて製造された自家培養軟骨であり、株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリングの技術によって生産管理された製品

また、幹細胞関連の臨床研究は70件（平成25年4月末現在）行われている。医療行為としては、保険外診療として国内で実施されている美容整形やがん治療のためのリンパ球活性化療法・樹状細胞療法などがある。これらの治療法には、将来の保険適用を目指し、先進医療として限られた医療機関で実施されているものもある。現在、このように様々な目的・制度の下に再生医療が行われている実態を踏まえ、患者が迅速に、安全かつ合理的なコストの下に再生医療を受けられるような環境整備を図ることが求められている。こうした状況を背景に、経済産業省の再生医療の実用化・産業化に関する研究会では、再生医療の実用化を促進させるための制度的な課題を整理するとともに、実用化・産業化に必要な制度的枠組み及び事業環境整備について検討し、その結果を平成25年2月に「再生医療の実用化・産業化に関する報告書」¹に取りまとめた。

同報告書においては、iPS細胞などを用いる再生医療の実用化・普及により、再生医療製品の国内市場は、iPS細胞などを加工して作る再生医療・細胞治療製品だけで、2012年の90億円から2030年に1兆円、2050年には2兆5,000億円に拡大するとの試算がまとめられている（図15）。さらに、試薬・培地、自動培養装置等の周辺産業まで含めると、2012年の260億円から2030年に1兆5,500億円、2050年には3兆8,000億円まで広がると予測されている（図15）。また、現在、政府が進めている「再生医療等安全性確保法」の制定や、薬事法の改定による環境整備で、再生医療製品を作るコストを最大2割、治験に係るコストを最大6割削減できる可能性があると指摘している。

図15／再生医療及び再生医療周辺産業の将来市場予測（国内）



<国内市場規模の算出方法>

「再生医療の市場規模」＝「患者数※1」×「患者1人当たりに係る費用※2」

※1「患者数」＝「国内の潜在患者数」×「再生医療の適用率」

※2「患者1人当たりに係る費用」

＝「再生医療製品・加工品の単価」＋「再生医療に係る医療費（手技料等）」

<周辺産業市場規模の算出方法>

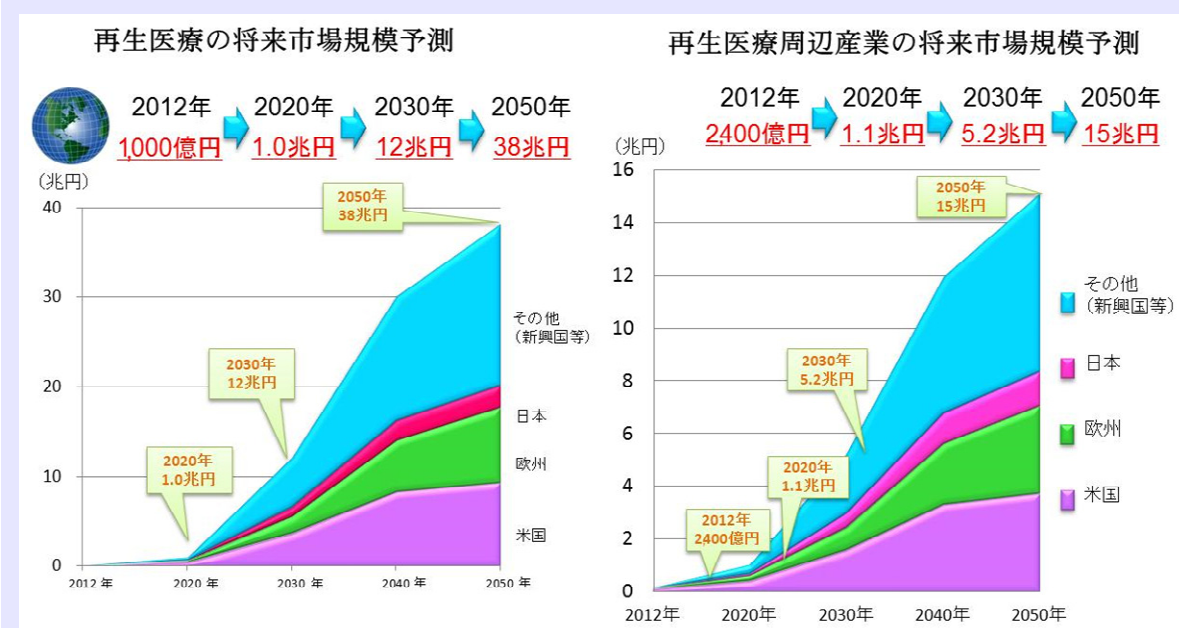
・「市場規模」＝「装置類の市場規模」＋「消耗品類の市場規模」＋「サービスの市場規模」

資料：経済産業省 「再生医療の実用化・産業化に関する報告書」（平成25年2月）

¹ 「再生医療の実用化・産業化に関する報告書」 <http://www.meti.go.jp/press/2012/02/20130222004/20130222004-2.pdf>

世界における再生医療の将来市場については、現在、既に実用化されている再生医療製品のほとんどは米国で上市され、市場全体の77%を占めているが、将来的には中国・インド等の新興国においても、人口や国民所得の増加に伴い再生医療製品・加工品が普及し、2020年には約1.0兆円、2030年には約12兆円、長期的には2050年頃に約38兆円規模の市場を見込んでいる（図16）。また、世界の再生医療の周辺産業を含めた市場規模は、2020年には約2.0兆円、2030年には17.2兆円、2050年には約53兆円にまで拡大すると試算している（図16）。周辺産業については、現在、米国が半分強の市場を占めているが、再生医療の市場規模と同様、将来的には中国・インド等の新興国においても、再生医療製品・加工品の普及に伴い、周辺産業の市場が拡大すると見込んでいる。

図16 再生医療及び再生医療周辺産業の将来市場予測（世界）



<世界市場規模の算出方法>

「各国の市場規模」＝「現在の当該国の再生医療市場※1」×「再生医療の普及度※2」

※1 「患者数」×「患者1人当たりに係る費用」（国内市場の算出と同様）

※2 人口、所得（物価）、開発品目・既存市場、研究開発予算等から推定

<周辺産業市場規模の算出方法>

・「市場規模」＝「装置類の市場規模」＋「消耗品類の市場規模」＋「サービスの市場規模」

資料：経済産業省「再生医療の実用化・産業化に関する報告書」（平成25年2月）

また、再生医療に関する規制の在り方については、厚生労働省において検討が進められ、薬事法改正法案及び再生医療等安全性確保法案が、平成25年5月24日に国会に提出された。

薬事法改正法案は、再生医療等製品については、安全性を確保しつつ、迅速な実用化が図られるよう、その特性を踏まえた制度を設けるため、薬事法も改正しようとするものである。具体的には、均質でない再生医療等製品については、有効性が推定され、安全性が確認されれば、条件及び期限付で特別に早期に承認できる仕組みを導入する。その場合、承認後に有効性・安全性を改めて検証する。また、医師等は、製品の使用に当たって患者に対して適切な説明を行い、使用の同意を得るよう努めるものとする。加えて、使用成績に関する調査、感染症定期報告や使用の対象者等に係る記録と保存など、市販後の安全対策を講じる。

再生医療等安全性確保法案は、再生医療等を提供する医療機関及び細胞培養加工施設についての基準を設け、再生医療の安全性の確保等を図ろうとするものである。具体的には、再生医療のリスクに応じた三段階の計画の提出等の手続、細胞培養加工施設の基準と許可等の手続等を定めることで安全性を確保する。また、細胞培養加工について、医療機関から企業への外部委託を可能にすることで再生医療の迅速化やコスト減を図る。

今後、我が国では、文部科学省、厚生労働省、経済産業省が連携して制度整備を進め、実用化が進んでいる自家細胞を用いた再生医療製品や、比較的大量生産が可能なiPS細胞をはじめとする多能性幹細胞を用いた再生医療製品の普及に取り組み、再生医療の特性を踏まえた周辺機器の技術開発や標準化等を進めることにより、我が国発の再生医療製品及び周辺産業の海外市場獲得を目指す。

② 環境整備における課題

これまで見てきたように、本分野では基礎研究を充実し、実用化に向けた研究開発まで一貫して推進することが重要である。研究環境整備に関して、「今後の幹細胞・再生医学研究の在り方について」（文部科学省 科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会 ライフサイエンス委員会 幹細胞・再生医学戦略作業部会）（平成24年5月）において、戦略的な取り組みを加速するための具体的な推進方策として、研究体制の構築及びレギュラトリーサイエンス¹の推進・制度改善等に加え、研究支援、人材育成、知財などの充実の必要性が指摘されている。また、研究環境整備における課題解決を進める方針を示している。

また、平成25年2月に公表された経済産業省の「再生医療の実用化・産業化に関する報告書」では、再生医療に付随する諸課題として、制度、コスト及び国民理解などを挙げ、これを解決し、再生医療の実用化・産業化を促進する環境整備を図ることが必要としている。

現在、政府は、制度面における取組（課題解決）を進めるとともに、上記報告書で指摘された以下に挙げる環境整備に関する諸課題についても解決策を検討している。

（i）コストの合理化における課題

「再生医療の実用化・産業化に関する報告書」は、再生医療・創薬の実用化を普及させるためには、十分な安全性を確保した上でコストの合理化を図る必要性を指摘した。重ねて、再生医療の特性を踏まえた安全基準を整備して、再生医療製品を製造する際に必要となる施設・設備や作業工程に過剰な要求とならないように配慮する必要性を報告した。また、再生医療を円滑かつ効率的に実施していくために、細胞の加工に必要な培地、試薬、培養機器等を合理的な費用で安定的に提供する必要性を指摘した。その上で、現状では、国内製品の供給が少ない状況を報告し、このため、高価格の海外製品に頼らざるを得ず、常に供給途絶のリスクに晒^{さら}されていることを指摘している。安定的な再生医療製品の供給体制を確保するためには、当該培地、試薬、培養機器等の供給体制を早急に改善する必要があると報告している。

（ii）国民理解における課題

再生医療・創薬の実用化に対する社会的期待は高い一方で、再生医療に関する効果とリスクに関する国民理解は十分とはいえず、理解を求める努力が必要である。特に、再生医療関係者間の責任関係（リスク分担）が不明確である。例えば、期待する効果が得られなかった場合に、患者自身の体調の問題か、採取した細胞が原因か、医師の手技が原因か、再生医療製品・加工品が

¹ 「科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づいた確かな予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学」（第4期科学技術基本計画 平成23年8月19日閣議決定）

原因かを判断する手法が明確でない。また、再生医療に係る被験者保護の観点から、補償・賠償リスクをカバーする臨床研究保険が必要であり、ヒト幹細胞を使った臨床研究保険は大手4社が引き受けてはいるものの、商業保険になじまないことから、その商品化は一部にとどまっている。

さらに、iPS細胞研究が臨床応用に移行する際には、臨床研究で効果が得られるかが重要で、米国FDA¹では、臨床研究を見据えて前臨床研究段階から相談を受け付けている。同様に、日本においても医薬品医療機器総合機構²（PMDA）等を積極的に活用し、迅速な臨床応用につなげることが必要であるとの認識から、現在、再生医療用iPS細胞ストックの構築準備を進めているCIRAは、平成23年9月にPMDAとの薬事戦略相談を開始した。iPS細胞ストックの構築までには、技術的課題に加え、種々の法規制や関連する様々な指針等の遵守が必要である。しかし、iPS細胞はこれまでになかった新しい技術であるため、iPS細胞ストックの作製に適した規制制度がいまだ全て整っていないという課題がある。この規制的課題を克服するため、PMDAとの薬事戦略相談における対面助言を開始し、一日でも早いiPS細胞ストックの構築に向けて第1歩を踏み出した。

（iii）研究環境における課題

平成25年2月、国会において山中教授により日本の科学技術の研究環境における課題が指摘された。山中教授は、「およそ200人の私の研究所は、経営の訓練を受けていない私が運営しているが、アメリカの研究所は経営のプロを採用している。プロ野球の現役バッテリーが球団経営まで行って、うまくいったら奇跡だ」と述べた。山中教授は、平成24年11月に行われた第105回総合科学技術会議においても、科学技術イノベーションを巡る課題として、研究開発には研究者以外に知財の専門家、規制の専門家、広報の専門家、海外の研究機関等と連絡を取り合えるようなレベルの高い研究秘書、高い技術を持つ技術員など多種多様な研究支援人材が必要だが、現在の大学では、このような研究支援人材がほとんどおらず、科学者が研究に専念できるよう環境整備が必要だという考えを示していた。今後、我が国が再生医療・創薬研究における国際競争の場で存在感を発揮するためには、研究支援のみならず、継続的な人材育成が必須である。また、若手研究者に対する知見やノウハウの共有、高い専門性を伴う技術員や知財・契約関連事務職員等の研究支援人材が長期にわたって着実に業務を行えるよう措置することが必要である。

（iv）知財戦略における課題

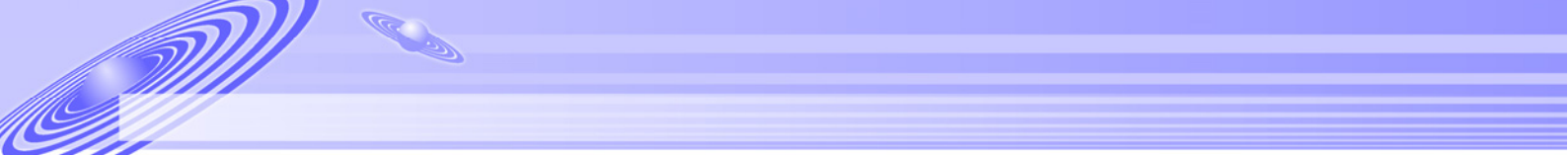
我が国発の画期的成果であるiPS細胞については、京都大学が我が国及び欧州、米国において基本特許を取得しており、出願数でも欧米諸国と拮抗しているなど優位な状態にある。しかし、基本特許については複数が競合しており、予断を許さない状況にあることから、今後、iPS細胞の実用化・産業化を進めるためには、戦略的に知財の獲得を行う必要がある。

（おわりに）

iPS細胞等の幹細胞を用いた研究は、健康長寿社会の実現のみならず、富と雇用を生み出すなど、経済再生の原動力にもなると期待される。実現に向けては、安全面、倫理面の課題に留意しつつ、迅速な実用化を進めることが必要である。このため、第183回国会においては、再生医療の研究開発から実用化までの施策の総合的な推進を図ることを目的とした「再生医療を国民が迅速かつ安全に受けられるようにするための施策の総合的な推進に関する法律案」が議員立法によ

1 米国食品医薬品局、食品や医薬品、更に化粧品、医療機器、動物薬、玩具など、消費者が通常の生活を行うに当たって接する機会のある製品について、その許可や違反品の取締りなどの行政を専門的に行う米国の政府機関

2 Pharmaceuticals and Medical Devices Agency、医薬品の副作用などによる健康被害救済業務、薬事法に基づく医薬品・医療機器などの審査関連業務、医薬品や医療機器などの品質・安全性を確保する安全対策業務を行っている。



り成立し、平成25年5月10日に公布された。本法律でも示されているように、国は、施策の総合的な策定・実施、国民に対する啓発、関係省庁の協力体制の確立を着実に遂行し、iPS細胞等の幹細胞を用いた研究成果をいち早く国民に還元することが求められている。