

地域イノベーション・エコシステム形成プログラム 革新的コア医療技術に基づく潜在的アンメット・ メディカル・ニーズ市場の開拓および創造 中間評価結果

(1) 地域イノベーション・エコシステム形成プログラムの概要

○ 提案機関：

国立大学法人山口大学
山口県

○ 事業プロデューサー：

片岡 良友

○ 拠点計画の概要：

研究開発が活発化し市場拡大が予測されるアンメットメディカルニーズ市場に対し、山口大学の有する革新的医療シーズを基に、山口地域に集積する医療関連の企業群と連携し、CAR-T 細胞療法等の革新的な治療法の事業化を目指し、既存医薬品では満たされない医療ニーズの解消に向けた取組を推進する。

○ 事業化プロジェクトの概要：

(PJ1)「細胞製剤を goal とした医療産業実現のためのプロセス構築およびサプライチェーンの事業化」

- ・自家細胞を用いた治療法を先行実施
- ・CAR-T 細胞を利用した固形がんに対する免疫細胞療法の医療産業を実現
- ・事業化を見据え他家細胞を用いた治療法の実現を目指す
- ・他家細胞の場合は免疫拒絶への対応のため遺伝子改変が必要だが、新しく技術開発はせず既存技術を導入することで事業化スピードをアップする
- ・医療産業を実施する上で必要な、細胞の保存、運搬技術の確立、細胞の大量培養生産は様々な企業とタイアップし解決する

(2) 総評（総合評価：B）

難しいテーマではあり、研究開発については一定の進捗が認められゲノム編集技術に関する特許問題も解消しつつあることは望ましい成果である。

しかしながら本プロジェクトを期限内に導出できるかどうかはまだ見通せず、今後プロジェクトとしてどの目標を優先的に達成したいと考えているのか、焦点を明確にする必要がある。また、事業プロデューサー自身が本プロジェクトに対してオーナーシップをもって、プロジェクト全体を把握しながら、チームの統括に努めるとともに、高い専門性とリーダーシップを発揮する必要がある。

【事業化（出口）目標】

・目標設定の妥当性

固形がんに対する他家 CAR-T 細胞開発の導出先であるベンチャー企業若しくは大手製薬企業との共同開発契約による臨床試験開始を出口目標としている点は妥当と評価できるが、目標が高く、残された事業期間内で到達できるのかどうか懸念される。

今後は、定量的かつ具体的な目標設定を行い、出口をさらに明確化する必要がある。

・実現した場合の社会的インパクト

固形がんに対する CAR-T 細胞療法は未だ確立しておらず、固形がんにも有効な次世代型 CAR-T 細胞の開発は、標準治療の効果が無い難治性固形がん患者にとって重要な治療選択肢となる。さらに、適応疾患の拡大・コストの低減・品質の安定化の視点から、他家由来の CAR-T 細胞の開発と自動培養化の持つ社会的インパクトは大きいと評価できる。

【研究開発・事業化計画】

・研究開発の進捗状況

目標とする他家 CAR-T に対するリスク予測が甘く、事業期間内での目標の未達が懸念される。今後は目標とする他家 CAR-T に対するリスク予測の精度を高めて、より具体的な目標設定を持って臨むことを期待する。

・事業化計画・戦略の妥当性

ゲノム編集技術に関する特許問題を解消しつつあることは望ましい成果である。しかしながら、導出先であるベンチャー企業での研究開発がプロジェクト全体の主軸になっている印象で、双方合意された出口目標に向けてロードマップを作成しているのか不明瞭であった。

今後は当該ベンチャー企業との緊密な連携によるロードマップの明確化に加え、対象市場、競合となり得る技術の開発動向についても十分な調査を行い、事業化計画のさらなる具体化を行うことを期待する。

【事業プロデュース体制】

・事業プロデューサーのリーダーシップ

本課題において目標とする細胞製剤の臨床試験の開始には、医薬品開発、薬事、製造実務など幅広い知識が必要である。

事業プロデューサー自身が本プロジェクトに対してオーナーシップをもって、プロジェクト全体を把握しながら、チームの統括に努めるとともに、高い専門性とリーダーシップを発揮する必要がある。

・事業プロデュース体制の構築

事業プロデュースチームは、研究開発の推進、事業パートナーであるベンチャー企業との折衝などにおいて十分に機能している。

但し、出口目標に向けての当該プロジェクトにおけるベンチャー企業と山口大学とのそれぞれの役割分担を明確化する必要がある。

【地域イノベーション・エコシステムの形成に向けて】

地域イノベーション・エコシステム形成という観点から、高度医療専門職業人養成の取り組みは評価に値する。

しかしながら、最終的に地域イノベーション・エコシステムとしてどのような姿を目指しており、それをどのように育成し発展させていこうと想定しているのかまでについては、不明瞭である。

山口大学は多くの部署から人材が関与し組織的な取り組みとなっているが、各部署の役割分担について具体性に欠けている。一方、山口県については今後のエコシステム形成を目指すためには資金援助を含め一定の役割を果たすことが期待できるが、現状では積極的に参画しているとは判断できない。

【コア技術・知的財産】

固形がんにも有効な CAR-T 細胞は未だ上市されていない。本コア技術である CAR-T 細胞は、免疫細胞をがん組織内に誘引し、増殖させることでがん細胞を攻撃し、悪性腫瘍の再発を長期に抑制する機能を有しており、競争的優位性は確保されている。

また、コア技術の特許化は進んでおり、適切な権利確保が図られている。