

THE 9TH
INDUSTRY ACADEMIC GOVERNMENT SYMPOSIUM
ON REGENERATIVE MEDICINE

第9回 再生医療産学官連携 シンポジウム

講演録

2025.1.22 [WED] 13:00-18:00

[会場] 東京ミッドタウン八重洲カンファレンス 大会議室1+2(ハイブリッド開催)
東京都中央区八重洲二丁目2番1号 東京ミッドタウン八重洲4F

[主催] 一般社団法人日本再生医療学会(JSRM)
一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム(FIRM)
一般社団法人ライフサイエンス・イノベーション・ネットワーク・ジャパン(LINK-J)

[協賛] 国立研究開発法人 日本医療研究開発機構(AMED)

[後援] 公益財団法人 神戸医療産業都市推進機構
一般財団法人 バイオインダストリー協会(JBA)
一般社団法人 かながわ再生・細胞医療産業化ネットワーク(RINK)
バイオコミュニティ関西(Biock)
Greater Tokyo Biocommunity(GTB)

日本再生医療学会は、本シンポジウムの主催にあたって一部 AMED再生医療等基盤整備促進事業の支援を受けています。



第9回再生医療産学官連携シンポジウム講演録

THE 9TH INDUSTRY ACADEMIC GOVERNMENT SYMPOSIUM ON REGENERATIVE MEDICINE

開会挨拶

岡野 栄之 JSRM理事長/LINK-J理事長 3

来賓挨拶

古川 俊治 自由民主党参議員議員 4

基調講演

日本の再生医療のグローバルへの飛躍に向けて 4

座長 廣瀬 徹 FIRM 理事副会長 講演者 国光 あやの 自由民主党衆議院議員

第1部

技術やパイプラインについて 7

「子宮頸がんに対するiPSC由来次世代T細胞療法の医師主導治験」 7

講演者 安藤 美樹 順天堂大学大学院医学研究科 血液内科学 主任教授

「iPS由来の卵巣細胞の作製」 8

講演者 岸田 和真 株式会社Dioseve 代表取締役

「iPS細胞を用いたパーキンソン病治療」 9

講演者 高橋 淳 京都大学iPS細胞研究所 臨床応用研究部門 神経再生研究分野 教授

第2部

再生医療の実用化に向けた新規テクノロジー 10

「再生医療の実現に向けた文部科学省の取り組みについて」 10

講演者 釜井 宏行 文部科学省 研究振興局ライフサイエンス課 課長

「医学と医療へのAIの応用」 11

講演者 桜田 一洋 慶應義塾大学医学部 医学研究科 石井・石橋記念講座 拡張知能医学 教授

「AIロボット駆動科学と生命科学の将来」 12

講演者 高橋 恒一 理化学研究所 生命機能科学研究センター チームリーダー

「多発性嚢胞腎に対するiPS創薬」 13

講演者 長船 健二 リジェネフロ株式会社 取締役最高科学顧問

「再生医療等製品の産業化に向けた基盤技術」 14

講演者 鈴木 丈太郎 アステラス製薬株式会社 プライマリ・フォーカス・リード (Blindness & Beyond) 部門長

「再生医療等製品の品質管理及び製造自動化」 14

講演者 山口 秀人 アステラス製薬株式会社 CMC ディベロップメント 原薬研究所 所長

「革新的な中枢神経系の再生医療の開発」 15

座長・総括 岡野 栄之 JSRM理事長/LINK-J理事長

第3部

再生医療のアウトバウンドとインバウンド 16

「未来医療国際拠点Nakanoshima Grossにおける取り組み」 16

講演者 澤 芳樹 JSRM 顧問/LINK-J 副理事長

「再生医療のグローバル展開に関する話題提起」 17

講演者 畠 賢一郎 JSRM 理事/FIRM 代表理事副会長

「再生・細胞医療の産業化に向けた経産省の取り組み」 18

講演者 下田 裕和 経済産業省 商務情報政策局 商務・サービスグループ 生物化学産業課 課長

「藤田医科大学東京先端医療研究センターの試み」 19

講演者 榛村 重人 藤田医科大学 臨床再生医学 主任教授

「MEJの進める医療の国際展開戦略」 20

講演者 渋谷 健司 一般社団法人 Medical Excellence JAPAN 理事長

パネルディスカッション 21-23

閉会挨拶

畠 賢一郎 JSRM 理事/FIRM 代表理事副会長 23

OPENING REMARKS



岡野 栄之

JSRM 理事長 /
LINK-J 理事長

開会挨拶

2014年の再生医療等安全性確保法と薬機法の施行以来、再生医療が活性化されてきたのは間違いありません。しかしまだまだ真剣な議論が必要です。

日本は多能性幹細胞の臨床試験で健闘しており、論文も頑張っています。しかし今後は社会実装するための道筋を考える必要があります。そのためには再生医療自体の技術革新も必要ですが、再生医療を取り巻くハードコアの技術、ディープテックの発展が重要です。本日は、こうした総合知に関して多くの先生方にお話しいただく予定です。第3部では再生医療のアウトバウンドとインバウンドについての議論もしたいと思います。基調講演では自民党から国光あやの先生にご登壇いただき、古川俊治先生からもご挨拶をいただきます。

またLINK-Jの活動としては、連携している三井不動産ではイノベーション推進本部が発足しました。ライフサイエンス・宇宙・半導体を柱にして、イノベーションに関わるエコシステムをつくることを目指します。

このようなさまざまな角度からのインテグレーションが国力を高めます。そのなかで再生医療が重要な切り札となるためにはどうすれば良いか。本日はそれを皆さまと共に考える機会にしたいと考えています。



古川 俊治

自由民主党参議員議員

来賓挨拶

政府は2012年を再生医療元年と位置づけ、規制支援にコミットしてまいりました。それから13年経ち、iPS細胞を使った臨床試験が進んでおり、パイプラインも充実してきました。また近年では、さまざまなスタートアップ支援プロジェクトを立ち上げて、研究開発のインフラ整備を進めています。

アメリカではCAR-T療法やアデノ随伴ウイルスベクターを用いたin vivoの遺伝子治療などを世界に展開し、非常に高い有効性を示しています。日本に目を向けると、iPS細胞を使って世界にインパクトを与えるような再生医療はまだ出てきていません。課題を一つひとつ乗り切って、数年後には本当の事業あるいは大きなイノベーションとしての再生医療を実現したいと考えています。

私としては、再生医療における医療製品の輸入超過を少しでも改善をしていきたいという思いです。そのためには、ユニバーサルなiPS細胞を海外で開発していただきたいですし、myiPSをインバウンドで対応していく方法もあると考えています。国際化を頭に置きながら、ぜひ日本の再生医療を世界に向けて意義あるものにしていただきたいと思っています。皆さんの御尽力に深く感謝と敬意を表します。今年も頑張りましょう。



基調講演

日本の再生医療の グローバルへの飛躍に 向けて



廣瀬 徹

座長 FIRM 理事副会長

国光 あやの

演者 自由民主党衆議院議員



政策やビジョンを具体化する ために必要なこと

私は今でも診療をやっていますが、再生医療を希求していらっしゃる患者さまにたくさんお目にかかります。日本の基礎や臨床の研究論文は世界トップレベルですが、今後は実用化を徹底的に促進して市場獲得を加速化していくことが大事です。2014年の再生医療のスタートから約10年たったなかで、政策やビジョンをより具体化して進めていくということが必要な時期だと思っています。

今日、特にお話したいテーマは、「研究開発支援」「イノベーションの評価」「国際展開」の3点です。創薬はマルチイシューであり、さまざまなことが必要なのですが、特にピックアップしたいのは、お金をいかに再生医療に持ってくるかという点です。製薬企業、アカデミアとVCとのマッチング、新規モダリティのCDMOなどの支援、そしてブラッシング、また国際展開です。

要望をかなえるには なるべく具体的な提案を

まず、イノベーションの評価のここ

ろから話をしたいと思います。皆さまにとっては承認とプライシングが一番気になるところかと思います。この仕上がり具合でその前提条件が変わり、ビジョンも変わってしまいます。ここはやはり、皆さまにとって先見性がある形でしっかりと届けていくことが必要だと思います。

実は今がベリーベストタイミングです。なぜなら令和6年の薬価制度改革のなかで、新規モダリティのイノベーション評価が掲げられており、新規モダリティなどの類似薬がない革新的新薬における薬価上のイノベーション評価の在り方について、次期薬価改

定に向けて検討を進めるという内容が書かれているからです。

次期薬価改定は令和8年、来年です。薬価をどうするか、在り方をどうするかといった議論は大体春ごろからスタートしますから、今回の新規モダリティについての議論も、おそらく3~4月くらいにキックオフすることになります。皆さまのご要望をかなえるために、こちらにいかに打ち込むか。政策にどう落とし込むかということが大切だと考えています。

一方で、薬価や薬事の制度は非常にマニアックですので、皆さまから具体的なお提案をいただくことが、実

再生医療エコシステムへ —日本の強みを活かし、ゲームチェンジャーへ—

- 日本の再生医療等製品の**基礎・臨床研究は、世界トップレベル**
- **実用化を徹底的に促進し、市場を獲得。**
- 特に、
 - ①**研究開発支援**
→スタートアップ支援（投資促進と拠点化）、CDMO強化
 - ②**イノベーション評価（薬事・保険）**
→新たなモダリティに対応した薬価、条件・期限付き承認
 - ③**国際展開（インバウンド・アウトバウンド）**
→一貫で勝負の総力戦、国内&海外エコシステム拠点の連携

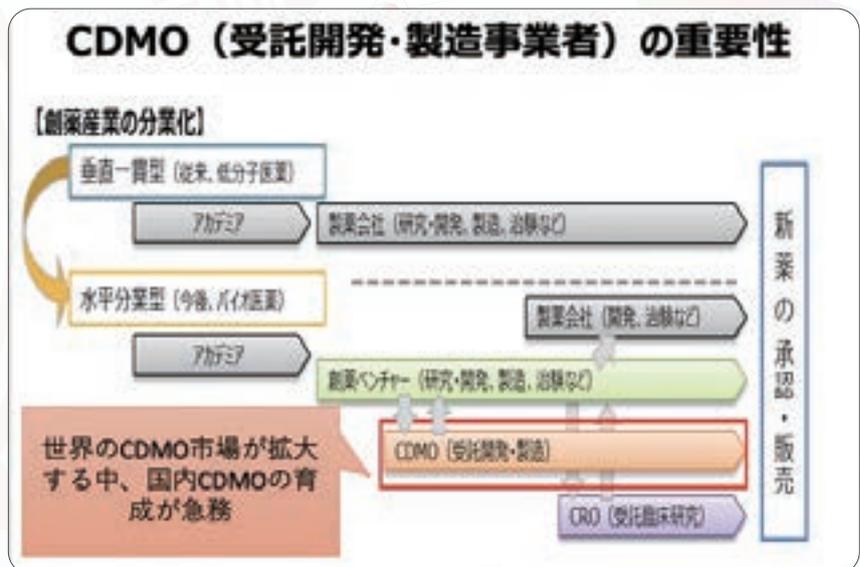
は律速段階だというお話しも申し上げたいと思います。業界やアカデミアから要望を厚労省や中医協に出す機会もありますし、官民の協議会もまた立ち上がります。私や古川先生のような政治側の人間を通していただいても構わないのですが、さまざまなレイヤーでいろいろなパスウェイがあるなかで、皆さまのご要望の実現確率を上げるためには、なるべく具体的にご要望を出していただきたいと思っています。

なぜかという、厚労省は忙し過ぎて検討する時間があまりありません。十分に詰め切れず時間切れになっているということが、実はたくさんあります。なるべく役所の担当者の検討時間を減らせるように、具体的な案をいただくことが一番ありがたいです。

たとえば、どんな制度のどの部分をどのように修正してほしいのか。またそれによってなにがどの程度改善するかというエビデンスを示し、それによる医療費の削減の効果、逆に追加財源はいくらくらいなのかといった具体的な提案が大事です。また、製品の単価ではなく財政影響として、その一剤を保険に入れたらどれくらいの財政影響が出るかということも大事です。再生医療等製品の強みは、単価は高額かもしれませんが、希少疾患等も多いですし、市場規模としてはほかの医薬品に比べてもそこまで大きくありません。つまり、医療保険財政上の影響は比較的小さく、そこをしっかりと訴えれば、非常にやりやすい分野だと思います。

タイミングや伝え方、ガイダンスに沿うことも重要

もうひとつ重要なのがタイミングで



す。薬価の検討が始まるのが3~4月くらいと申しましたが、政策においても骨太の方針が決まるのが6月ですから、打ち込んでいただくなら4月から5月くらいが一番良いですね。ここで大きな方針が決まって、各論は夏以降に行われます。特に改定などはだいたい12月に改定率や薬価の改革の骨子が決まりますから、10~11月くらいになるべく具体的にご提案を、個社あるいは業界、各大学研究室、学会でお持ちいただくことを強くお勧めしたいと思います。

どこに出して良いか分からないというときは私にお尋ねください。それから、なるべく紙で提出していただき、あとでそれを見て参考にできるようなものをお持ちになることを強くお勧めしたいと思います。

もうひとつのトピックとして、条件及び期限付承認があります。政治としては再生医療等製品分野での条件及び期限付承認はしっかり守っていきたいと考えており、基本的には、本制度はこのまま変わらずに進みますし、プライシングでいきなりひっくり返るといったことは無いと思います。条件及び

期限付承認のガイダンスが出ていますので、これをよく見ていただいて、なるべく早くPMDAと意識合わせをしていただくことをお勧めしています。関係者からは、審査するうえで大事にしているのは市場に出たあとの評価で、症例数や評価実施施設数、評価パラメータの客観性だと聞いています。申請者と規制当局とでここをしっかりとすり合わせていただければと思います。

拠点を つくって 支援策を 有効活用してほしい

続いて、研究開発支援のお話しをさせていただきます。まず、スタートアップやベンチャー支援で大事なのは、投資の促進と拠点化。この二点がよく議論に出てきます。

投資の促進の部分で申し上げると、経産省で創薬ベンチャーエコシステム強化事業というのをつくっています。これは国が認定した認定VCから出資された金額の2倍相当の治験費用を国からも支援するというスキームです。この3,500億の基金に

はまだ半分くらいゆとりがあるそうです。せっかくついた予算ですから、ベンチャー、スタートアップのご関係者の方、またVCの方にはぜひ積極的に手を挙げていただければと思います。

拠点化については、再生医療のみならずイノベーション全般として、各省庁の縦割りの打破が重要です。文科省、経産省、厚労省でそれぞれ似たような事業を実施するのではなく企業や大学も、拠点化を意識してエコシステムを形成していくということが必要だという話があります。

たとえば、大学発医療系スタートアップ支援プログラムでは、橋渡し拠点として採択された大学にエコシステムの拠点をつくり、そこへ集中的に投資をしていこうというものです。この事業と、さきほどの創薬ベンチャーエコシステム強化事業などを大学側できちんと連携していただけるようお願いをしたいと思います。

そしてもうひとつ重要なのがCDMOの強化です。世界に比べて遅れているCDMOを強化することで、今年の補正予算でも支援事業に積み増しをしています。もうすぐ民間企業等の公募が始まりますので、ぜひご関係者の方はご準備をいただければと思います。国としても、2033年度までに再生・細胞医療・遺伝子治療関係の受託製造市場におけるCDMOのグローバルシェア20%を目指して取り組んでいきたいと思っています。

産学官民共同で国際展開に向けたビジョンづくり

最後に、国際展開については、何を

国際展開（インバウンド、アウトバウンド）

「再生医療立国に向けた国際展開ビジョン」の具体化

<総論>

★あらゆる産官学ステークホルダーの総力戦（企業、学会、政府（MEJ、ジェトロ、大使館など））

★国内エコシステム拠点⇄海外エコシステム拠点の連携

★マーケット戦略の磨き上げ（マーケットニーズに対応した地域戦略、製品技術）

<各論>

・日本の強み「質」の“お墨付き”（製品技術・医療機関）

・展開時のインセンティブ ・規制緩和（輸出入、安売法など）

・設備整備、人材育成

・関係政策との連携 観光（ツーリズム）・投資（インパクト投資）

やっていくかを整理して、日本が再生医療の輸出大国になるために、再生医療立国に向けた国際展開ビジョンを産学官民でつくっていくくらいの具体化が必要だと思っています。

なかでも一番必要なのは、あらゆるステークホルダーの総力戦です。他国に比べて負けているのは、個社が一つの 이슈で終わってしまう点で、企業や学会や政府それぞれのステークホルダーが日本でコンソーシアムをつくり、相手国にもコンソーシアムをつくってもらって、そこでなるべく案件形成しやすいような形をつくっていただければと思います。

国内エコシステムと海外エコシステムの拠点の連携、それからマーケット戦略の磨き上げも重要です。相手国のマーケットニーズがどこにあるのかということをよく分析していただいて、どの製品をどの地域に打ち出したいのか、あるいはインバウンドでどこになにを持ってきたいんだということを明確化されることが大事だと思っています。

それから、日本の強みである「質」に関しては、日本の再生医療等製品の

ブランディングを活かし、国や学会などで認証制度をつくり、インバウンドやアウトバウンドでそれぞれお墨付きをもって展開していくようなことも必要だと思っています。

さらに、国際展開時のインセンティブに関しては、補助事業や予算化もあまりされておらず、輸出入の規制緩和、関係政策との連携、観光政策との連携、あるいは投資においても、今流行しているインパクト投資など、それらを活用しながら具体化をしていくことが必要だと思っています。

イメージとしては、日本のインバウンド拠点のエコシステムと海外拠点のエコシステムがつながって、患者さまのコーディネート、帰国後のフォローアップなど、アウトバウンドやインバウンドの産業化が健全に発展していくことを応援していきたいと思っています。

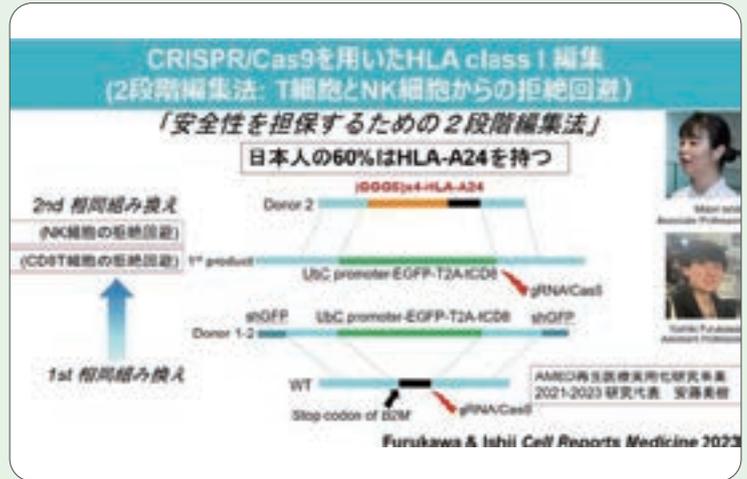
難しい課題もまだまだあると思いますが、私たちとしても、丁寧に皆さまへの伴走支援をさせていただいて、再生医療のグローバル展開や成長をお手伝いしていきたいと思っています。

子宮頸がんに対する iPSC由来次世代T細胞 療法の医師主導治験



安藤 美樹

演者
順天堂大学大学院医学研究科
血液内科学 主任教授



子宮頸がん

キラーT細胞でアプローチ

私たちのチームでは、iPS細胞とゲノム編集を使った次世代T細胞療法の開発を行っています。日本では子宮頸がんワクチンの接種率が、非常に低下した結果、20代から30代の子宮頸がんの罹患人数が年々増加しています。若年層ほど進行が早く、幼い子供を残して亡くなるケースも多い子宮頸がんは、治療法の確立が喫緊の課題となっています。

子宮頸がんの原因であるヒトパピローマウイルス (HPV) のなかでもハイリスク型であるHPV16型とHPV18型には発がんに関与するE6、E7抗原がほぼ全例発現していることから、E6、E7抗原を標的とした治療が有効であることが分かっています。まずは非臨床試験として、患者さまの末梢血からHPV16のE6抗原特異的CTLを作製しようとしたのですが、作製出来ませんでした。そのため健常人の末梢血からHPV16のE6抗原特異的CTLの作製を試みたところ、成功しました。しかし、しばしば末梢血CTLは疲弊しているため持続寛解を得ることができません。

そこで、CTLを一度iPS細胞に変換し、再びCTLに誘導することで、抗原特異性はそのままに「若返り」できるT-iPS技術を使いました。

腫瘍に対して末梢血由来のCTLを同時に投与すると、腫瘍の勢いは衰えるものの、徐々に腫瘍が復活してきます。一方で、iPS細胞由来のCTLを投与すると、迅速かつ長時間にわたって腫瘍を抑え続けることができました。

2段階のゲノム編集によって 拒絶反応を回避

続いて臨床応用を目指し、山中4因子に2因子を追加した6因子ベクターを使ってiPS細胞を樹立しました。患者さま由来のiPS細胞由来T細胞は作製期間が長期にわたり、高額な作製コストがかかります。健常人由来のCTLは作製期間もコストも抑えられる反面、免疫拒絶の問題が起こります。そこで、HLA Class I抗原をCRISPR-Cas9でゲノム編集して免疫拒絶を克服することを考えました。

ゲノム編集には2段階編集法を採用しました。まずはCD8T細胞から拒絶されないよう、HLA Class I抗原の

根元を消失させて、さらにHLA Class I抗原の発現しない細胞がNK細胞に攻撃されるのを防ぐために、最低限のHLA Class I抗原を強制発現させました。ここで強制発現させたHLA-A24とHLA-Eは、両方ともNK細胞の攻撃を回避するのに有効であることが分かっています。

HLA編集を行わなかったT細胞はCD8T細胞から攻撃されますが、2段階編集法によりアロの免疫反応を抑制することができています。NK細胞からの攻撃に対しても、HL A-A 24もしくはHL A-E片方強制発現するよりも、両方を強制発現した方が効果的であることが確認できました。さらに、HLA編集の有無にかかわらず、腫瘍を排除したマウスに6ヶ月以上、腫瘍の再発が起こらないことも確認しています。iPS細胞からつくったCTLはTissue resident memory T cellsを多く含むことが、この強い抗腫瘍効果の要因であることがシングルセル解析により明らかになっています。

健常人のCTLから作ったマスターセルバンクiPSにバリデーションを行い、作製終了しました。引き続き安全性を確認しながら、医師主導治験を進めていく予定です。

iPS由来の 卵巣細胞の作製



岸田 和真

演者

株式会社Dioseve
代表取締役



iPS細胞から作成した卵巣細胞 によって成熟卵を増やす

近年、日本でもアメリカでも体外受精の実施回数は飛躍的に伸びていますが、その成功率は日本では14%弱、つまり、体外受精を行っても子供がでる確率は2割以下という現状です。女性の不妊のなかでも、卵管・子宮に起因するものには複数の治療法が存在しますが、卵子・排卵に原因がある場合、適用できるのはホルモン治療か体外受精となります。そしてこの体外受精による治療のうち75%は女性が35歳以上の夫婦を対象として実施されており、さらに40歳の女性の4割が体外受精に使える成熟卵を採取できないというデータがあります。

そこで弊社は、iPS細胞に転写因子を導入することで、卵子の成熟を促す顆粒膜細胞を作製する技術を開発しました。これを用いれば、未熟な卵子にDIOS-101という顆粒膜細胞製品を添加し共培養することで成熟させ、体外受精を行うことができます。つまり体外受精に使える成熟卵の数を増やすことで、不妊治療の成功確率を上げるといった仕組みです。

また、この技術は体外受精の身体

的な負担も軽減します。通常の体外受精では10日間以上ホルモン投与を行う必要があり、強い副作用や注射痛があるほか、経過観察や採卵のために頻繁に通院する必要があるため、仕事などとの両立が難しいという課題があります。私たちの技術を用いればホルモン投与を2~3日に削減でき、また体外で卵子を成熟させられるため、通院の回数やそれに伴う負担を大きく下げることができます。

安定製造が容易で低コスト 製造・運用もプロセスも簡便

この製品をどのように提供するか、三つのポイントがあると考えています。この技術は卵子を体外で成熟させるための培地のようなものなので、他家のiPS細胞を使って製品化できること。また体内への混入、移植等はないことから医薬品には分類されず、薬機法や再生医療安確法には該当しません。さらに1個の細胞に対して1個の顆粒膜細胞を使うため、治療に必要な細胞数が極めて少なく、安定した製造が可能です。実際の運用としては、iPS細胞バンクをつくり、そこから

作製した顆粒膜細胞を採卵した患者さまの卵子と共培養して、成熟したら体外受精を行うというプロセスを想定しています。

実は、卵子を体外培養する製品はすでに存在しています。ただ、卵巣内の微小環境を再現することが難しく、卵子の成熟率が上がらないのが現状です。しかし弊社では卵巣内の環境をin vitroで再現するため、比較的卵子の成熟率が高いこと、そしてコストに関しても優位性があることが強みです。

あわせて、卵巣の顆粒膜細胞だけでなく、卵子そのものをつくる技術も開発を進めています。マウスの実験ではiPS細胞に複数の転写因子を導入することで卵胞細胞に分化誘導させ、受精卵を作ることに成功しました。この技術を用いると、女性から採取した細胞で自家のiPS細胞をつくり、そこから卵子を作って体外受精を行うことが可能になります。非常にセンシティブな領域なので長期的な展望ではありますが、私たちは「すべての生命に新しい選択肢を」をビジョンに掲げ、体質や年齢に関わらず子供を授かることができる社会を理想として取り組んでまいります。

iPS細胞を用いた パーキンソン病治療



高橋 淳

演者

京大大学iPS細胞研究所
臨床応用研究部門
神経再生研究分野 教授



iPS細胞移植によって

パーキンソン病の症状が改善

近年の実績を見ると、iPS細胞治療やES細胞治療などの治療がもはや日本の専売特許ではなく、グローバルに展開していることがわかります。CDMOあるいは培養装置の開発もグローバルで活発に行われている。そのような状況にあることを、私たちは把握しておいたほうが良いと思っています。

そんななかで私たちが取り組んできたことについてお話しします。私たちはラットだけでなく猿のモデルも用いて、ES細胞あるいはiPS細胞からドパミン神経を誘導、移植するための研究を重ねてきました。実験の結果、一頭あたり平均して13万個、症状改善を期待するのに十分な量の細胞が生着することを確認しました。2年後に脳切片をつくって免疫染色をすると、周りの脳を覆い隠すように軸索が伸びていることも確認済みです。

この結果に基づいて治験を開始し、2018年から2021年にかけて7例の手術を行い、2023年に全員の経過観察を完了しています。この治験では、まず健常な方の血液からiPS細胞を作り、そこからドパミン神経を誘導して、

再度脳外科医が細胞を移植、その後神経内科医と放射線科医が有効性と安全性を評価するという手順で進めました。試験はすでに終了しており、2025年のなるべく早い時期に承認申請を行いたいと考えています。

実用化を進めるために、 序盤の基礎研究を重視

実用化へのプロセスとしては、まず基礎研究でプルーフ・オブ・コンセプトを築くことが重要です。臨床試験ではクリニカル・トライアル・プロトコルを立てて、効果を証明することが求められます。最終的にはより広い臨床での効果を確認しながら技術開発も進めていく流れになります。最初の基礎研究の部分をおろそかにすると、その上にいくら積み上げても不安定になるということを、アカデミアの見地から強調しておきます。

iPS細胞からドパミン神経をつくるにあたっては、多様なオミックス解析を行う、特に神経については、多様な電気生理科学的な解析、バイオアクティブな解析も重要です。そのほか、ラットを用いて作用機序を明確にして、それらが正しく働いていることを動物

モデルで確認する。神経であれば、シナプスがつながっているかどうか、あるいはオプトジェネティクスなどで、その細胞の機能を落とすときに行動に影響が出るかなどを解析する必要があります。猿のような中型動物を使ってより大量の細胞でより長期に見ることで得られた知識や技術は、ヒトに移したときに必ず生きてきます。こうした過程をしっかり押さえたうえで臨床に移ることが大切です。

臨床では、結果に基づいて患者さまの選択基準や術式、作用機序などの工程を考え直すフィードバックが重要です。また、想定していた作用機序が本当に患者さまに働いているのかを科学的に証明する「Efficacy」や、それがどの程度、どのような効果があるのかを試す「Effectiveness」も意識する必要があります。

実用化においては、民間企業で大量生産を行えばコストを下げられますが、確実な効果を得たうえで安全性を担保できるような適正価格が肝要です。単に開発主体をアカデミアから企業へとリレーするのではなく、早い段階から産と学官が手を携えることで、日本の再生医療が今後も発展すればと思っています。

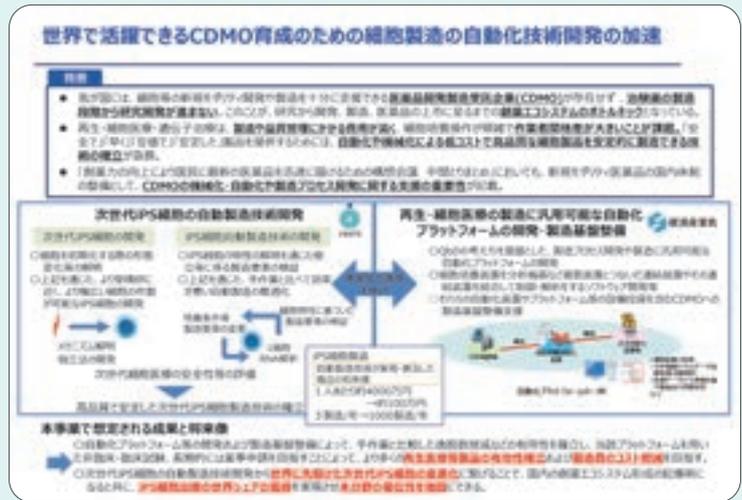
再生医療の実現に向けた 文部科学省の 取り組みについて



釜井 宏行

演者

文部科学省 研究振興局
ライフサイエンス課 課長



「実用化やコストを見据えた 環境整備を積極的に推進

再生医療研究に対する支援は、これまで文科省、厚労省、経産省、内閣府がシームレスに行ってきました。そのなかで文科省は、基礎研究から開発研究まで幅広いフェーズで支援を行っています。本日の安藤先生の講演内容である子宮頸がんに関する課題も、当初は文科省で支援してきたものが、厚労省の事業の中で花開いている代表的な一例です。

再生医療分野は、世界的にも競争が激しくなっていますが、我が国は引き続き優位性を有しています。我が国の予算は、米国国立衛生研究所（NIH）の再生医療のファンドの約10分の1ですが、PubMedに掲載された論文において、日本の論文の国際シェア率は14%で、被引用回数の上位10%の論文に絞ると国際シェア率は18%と、非常に健闘しています。

実用化の視点と合わせて優位性のあるシーズを掘り起こしていくこと、そのための環境整備を進めることがより重要です。文科省としては、iPS細胞が樹立される前から「再生医療の実現化プロジェクト」を実施しています。「再

生医療実現拠点ネットワークプログラム」については、平成25年度からの10年間で1,100億円を支援してきました。そして令和5年度からCAR-Tを含む遺伝子治療を対象として加え、「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム」を進めているところです。

「スタートアップや医学系研究の 支援プログラムも政府一体で

世界で活躍できるCDMO育成のための予算として、文科省と経産省の連携で令和6年度の補正予算に21億円を計上しました。文科省は次世代iPS細胞の自動製造技術開発の支援を行っています。一方、経産省ではクオリティ・バイ・デザインの考え方に基づいて、汎用可能な自動化プラットフォームの開発・製造基盤整備の支援を行っています。省庁の垣根を越えて事業間で連携することで、より多くの再生医療等製品の有効性を確立するだけでなく、将来的なコストを下げ、製造効率も大幅に向上できることが期待されます。さらに、世界に先がけた次世代iPS細胞の産業化を加速させていく見込みです。

一方で裾野を広げるという視点

で、文科省では新たに挑戦型の研究課題を設けています。単価は比較的小ぶりでも独創的なシーズを生かせるような、次世代の技術・シーズの発掘・育成を今後も継続的に推進する予定です。現段階では15課題ほどAMEDで採用できるのではないかと考えています。

また、医学系の研究力の維持向上を図るため、医学系研究支援プログラムも実施します。国家戦略上重要な医学に取り組み研究者の活動と研究環境改善を一体的に強化することが目的で、これから研究領域を設定するところです。事業スキームとしてはトータルに研究力の向上を目指す総合型と、複数の研究主体が強みのある分野でネットワークを構築し、データを共有しながら成果の創出を目指す特色型に分けて募集・採択を行います。

スタートアップの支援では、令和5年度の補正予算で、大学発の医療系スタートアップを支援する機関として4拠点を並び、経産省と連携して制度設計を行っています。その他にも厚労省と文科省で連携している部分があり、今後も政府全体で推進していく予定です。

医学と医療へのAIの応用



桜田 一洋

演者
慶應義塾大学医学部
医学研究科 石井・石橋記念講座
拡張知能医学 教授



再生医療の課題である細胞の層別化をAIで実現

私は現在、慶應義塾大学の拡張知能医学講座と理化学研究所の開放系情報科学チームで、予測に基づく精密医療と病気の根本原因に基づく予防医療を実現するために、AIを利用した疾患モデルを開発しています。

ほとんどの慢性疾患は対症療法では治らず、一方、加齢とともに発症率は高まります。その結果、寝たきりの高齢者が増えて医療費も増大します。そのため再生医療は非常に重要なアプローチだと考え、私は認知症、慢性の腎臓病、虚血性心疾患、更年期障害の四つの領域にフォーカスしました。具体的には、細胞の動的平衡のなかで再生誘導薬を見つけられないかと考えて因子の探索を行いました。ただし、いくら因子を入れても、幹細胞そのものが老化して機能を失ってしまえば再生できません。そのため、再生誘導と組織幹細胞の初期化をベースに研究を行いました。

その後、心筋細胞あるいは、卵巣のステロイド産生細胞の再生を転写因子で行いました。ここで、細胞のへ

テロジェナイティーという問題に直面しました。均一だと思っているもののなかに実は多様性があるということは、細胞治療の大きな障壁になります。裏を返すと、この問題を解消できれば、臨床試験の再現性や信頼性は大きく高まるということです。ただし、伝統的な生物学、分子生物学ではメカニズムが分からないことには理論的に層別化ができません。そこでAI機械学習を使って特徴量からパターン識別する必要性を感じ、多数の臨床課題から機械学習を使った識別の標準的な手法を確立しました。

プロセスに対する推論を予測医学に役立てる

現実の臨床試験はより複雑です。あるパーキンソン病患者がオープンラベルの治験でスフェラミンの治療を受けたところ、移植直後はほとんど効果が見られなかったものの、6カ月から8カ月後に体調が回復し、手術から9カ月目に劇的なバランス感覚の改善が見られたという事例があります。パーキンソン病という病態やそれが細胞治療で治るプロセスは、単に黒質ドーパミンの量だ

けでは説明できません。非常に複雑なプロセスを正しく理解しなければ、どう治療したら良いかは明らかにならないので、アカデミアの人間がパーキンソン病を再定義することで、より良い臨床試験の方法が見えてくるはずですよ。

生物学においては、例えば血圧の反応のようなレスポンスは「イベント」と呼ばれ、メカニズムでの説明が可能です。一方、イベントが複雑に組み合わせられた全体が「プロセス」と呼ばれ、病気とはイベントやプロセスを包含した全体を指すものです。メカニズムで説明できないプロセスをどう解いていくのかも、私のAI研究の目標であり、私が提唱する桜田ライフコースモデルを活用すると、最先端のトランスフォーマーや自己教師あり学習などのAIによる、予測に基づく精密医療が実現します。

最終的には、プロセスとイベントが合体した大規模疾患モデルの構築を考えています。ドメインの知識や生物力学から検証し、健康から病気へのプロセスを推論するライフコースモデリングを合わせていくことで、伝統的な生物学や医学とは異なる次世代の医療を今後、目指していきます。

AIロボット駆動科学と生命科学の将来



高橋 恒一

演者

理化学研究所
生命機能科学研究センター
チームリーダー



AIロボットが生命科学に寄与する役割

私は2014年頃から、AIロボットを科学に役立てるべきだと提唱してきました。2024年のノーベル化学賞を受賞したデミス・ハサビス氏も、今までの科学は、非常に複雑なものを数式などにして単純化してきたが、複雑なものを複雑なまま捉える方法論が必要であると述べ、生命科学を根本的に推進していく存在としてAIの必要性を捉えています。

たとえば病気を一例にとると、物理化学的な基盤など個別の専門領域だけではなく、社会科学や社会システムまで考慮して、専門性を超えた総合的なアプローチを行うことが、これからの生命科学の姿だというのが私の考えでもあります。統合したデータベースを基に、AI自身に仮説を立てさせ、生成したデータと予測の誤差から精度を高めるサイクルを持続可能な形で繰り返し、より賢い科学AIを作っていくのが、私たちが打ち出しているAIロボット駆動科学のコンセプトです。

また、10年ほど前からロボットを用いた実験の自動化にも取り組んでい

ます。2019年から2020年にかけて行った研究では、ロボットにAIを組み合わせて、次にどんな操作を行う必要があるかを推論させ、ロボットが実行するクローズドループのシステムを構築、人の介入なしにロボット自身で二つのセルラインを同時に世話できるようにになりました。

この成功はiPS細胞から網膜色素上皮細胞の分化誘導に係るプロトコルをロボットに実行させることにも発展しました。ペイズ最適化という手法を実装したAIを用いて、人が製造する場合のクオリティを超える細胞を、人が製造に要する時間の約1/10で培養できる結果となっています。

AI技術を用いて研究コミュニティ全体の自動化を目指す

ChatGPTのAIが出した研究アイデアと人が出したアイデアを混在させてスコアをつけさせると、新規性とエキサイトメントにおいては、AIが生成したアイデアのほうがスコアが高いという研究結果があります。また別の論文では、ある材料系の研究所でAIを導入すると、新材料の発見が44%向上し、特許出願の総数も

39%向上したことが明らかにされています。

アメリカでは汎用人工知能と呼ばれる人の能力を超えるようなAIを開発する計画が進行中で、この分野には約70兆円の投資が予定されています。日本でも、AIが出した研究アイデアに基づいたプログラムを自動生成させ、データの解析から論文やレビュー、アイデアの改善まで研究サイクル全体を完全自動化する技術が開発されました。私たち理研のAGISプログラムでは、コンピューターサイエンスだけで完結するのではなく、実験科学分野まで含めた研究コミュニティ全体での自動化を実現させる予定です。蓄積した基盤モデルをつかって、ロボットで実行し、それを使って学習するサイクルを回すことを目指しています。

AIの頭脳の部分にはトランスフォーマー技術をベースにしたディープラーニングAIを活用し、現在は身体となる自律ロボットラボを理研の事業所で構築しているところです。その他にもAIロボット駆動科学を議論する団体を立ち上げ、オープンなネットワーク形成の活動にも尽力している最中です。

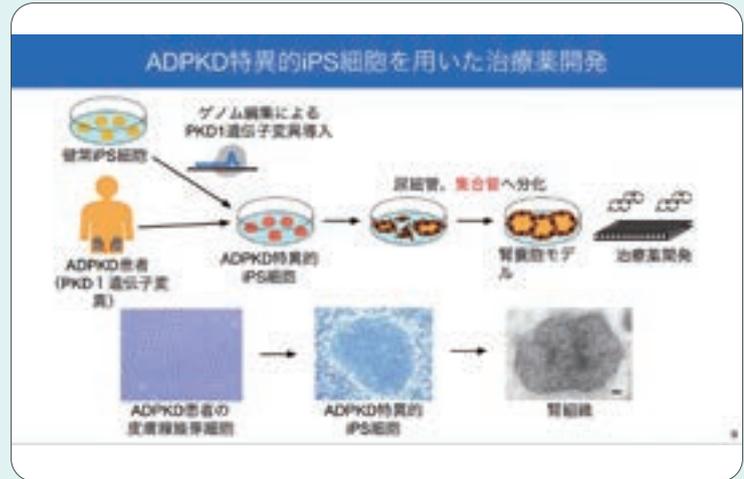
多発性嚢胞腎に対する iPS創薬



長船 健二

演者

リジェネフロ株式会社
取締役最高科学顧問



ADPKDの疾患モデルを作製、 治験を実施

リジェネフロ株式会社は、京都大学iPS細胞研究所「CiRA」の研究成果を社会実装実用化するため設立されたベンチャー企業で、iPS創薬の基礎研究から実用化に向けた取り組みを進めています。

iPS細胞の臨床応用の大きなカテゴリーには、治療薬の開発に資する病態モデルの作製があります。患者さまの体細胞から、病気の発症に関わる素因を有する疾患特異的iPS細胞を樹立する、あるいは健康者のiPS細胞に、CRISPR-Cas9システムなどのゲノム編集を行えば、その遺伝的素因を導入した疾患特異的iPS細胞をつくることもできます。この疾患特異的なiPS細胞を培養皿上で罹患細胞へ分化させることによって、病気を再現するモデルをつくれます。iPS細胞は無限に増殖するため、このシステムを一度つくれば、無限に病気の細胞が手に入ります。患者さまの体から病気の細胞をとってくるのは難しいですし、発生期を過ぎた細胞はなかなか増えませんから、この方法によって病気の細胞をたくさん手に入れることで、詳

しい病態の解析や治療薬の開発ができるようになるのです。

私たちは、常染色体顕性（優性）多発性嚢胞腎（ADPKD）の疾患モデルを作製し、日本で白血病の治療薬の一種として使われているタミバロテンに治療効果が期待できることを見出して、今年の1月から治験に取り組んでいます。

タミバロテンのさらなる 臨床開発を目指して

ADPKDは、単一遺伝子の異常で生じる遺伝病としては最多の患者が存在する病気です。唯一の承認薬であるトルバプタンは利尿作用が強く、服用を断念してしまう患者さまも多いために第2、第3の薬が必要とされています。そんななか私たちはADPKDのトルバプタンのターゲットとなるAVPR2を発現する集合管嚢胞モデルを初めて報告しています。

この集合管細胞では、細胞を凍結保存もできるので、4万ほどのiPS細胞から無数の罹患細胞を供給できるようになりました。私たちはこの腎嚢胞モデルを用い、イメージアナライザーで嚢胞の面積を測定して平均す

ることで、嚢胞の増大を抑える薬を見つけるハイスループットスクリーニング系をつくりました。

私たちの研究室で小規模なスクリーニングを実施したところ、ATRA、TTNPBなどのレチノイン酸受容体作動薬がヒットして、嚢胞の増大が抑えられました。また、TTNPBに関しては、トルバプタンと同等の効果があることも判明しています。in vitroのiPS細胞のモデルに加えてマウスのモデルで評価したところ、一回のATRA投与で嚢胞自体やそれによる腎臓全体の腫大も抑えられるという結果を得られました。

今後私たちは、タミバロテンの前期第二相試験を進めていきます。1年ほどで結果が出るはずですので、その後世界展開して2030年くらいの承認を目指しています。国外で一緒に取り組んでいただける製薬企業を探しています。また、私たちのスクリーニング系を用いた創薬の共同研究も複数社と進めていますし、薬を当社でスクリーニングをする受託事業やスクリーニング用嚢胞モデルの販売も展開していますので、協働してくださる企業やアカデミアを随時募集しております。

再生医療等製品の産業化に向けた基盤技術



鈴木 丈太郎

演者
 アステラス製薬株式会社
 プライマリ・フォーカス・リード
 (Blindness & Beyond) 部門長

眼科領域における細胞・遺伝子治療の科学のおよび技術的課題

単一製薬企業では解決が難しく、「産・官・学・医のグローバルかつ中長期的な共創」が必要な挑戦

Challenge	Our answer
商業的な成功の実現	希少疾患からコモン疾患へのシフト
侵襲的な投与経路	改良型アデノ随伴ウイルス
免疫拒絶反応の回避	ユニバーサルドナー技術
製造技術移転の難しさと高額な製造費用	マホロ+AIによる製造の自動化・デジタル化 (山口の講演)



製薬企業から見た、眼科領域における細胞・遺伝子治療の課題

アステラス製薬は、眼科領域において「再生と視力の維持・回復」にフォーカスして戦略的に研究開発を進めています。現在臨床ステージにあるのは、網膜色素上皮細胞移植による細胞医療のアプローチです。2012

年には、投与した患者さまで視力の回復傾向が見られ、安全性にも問題がないというデータが得られました。その後さまざまなハードルの解決に取り組み、現在本格的な臨床試験を行っているところです。

眼科領域における細胞・遺伝子治療の課題について私たちは、「商業的な成功の実現」「侵襲的な投与経路

「免疫拒絶反応の回避」「製造技術移転の難しさ／高額な製造費用」の四つのチャレンジを通して取り組んでいます。「商業的な成功の実現」は非常に大きな課題です。眼科の場合は細胞の減るスピードを遅らせるか新しい細胞を補充すれば、いくつかの疾患を治療することができます。より多くの患者さまを治療でき、商業的な成功

再生医療等製品の品質管理及び製造自動化



山口 秀人

演者
 アステラス製薬株式会社
 CMC ディベロップメント
 原薬研究所 所長

課題の解決策 Maholo(まほろ)



①職人技	<ul style="list-style-type: none"> 熟練した作業員と同等以上の精度 高い再現性
②複雑な生産プロセス	<ul style="list-style-type: none"> 一律のMaholoで複数の工程を実施可能
③高度な品質管理	<ul style="list-style-type: none"> 人が介在しない、コンパクトなスペース【汚染リスク、設備コスト減少等】 繊細な作業で、目的外細胞の発生を最小限に デジタルによる最適化(増殖期→形式知)

再現性の高い作業による「安定した品質」「高い安全性」の製品が製造可能に



製品製造過程をロボットで自動化

一般的な細胞医療製品の製造における課題として「職人技」「複雑な生産プロセス」「高度な品質管理」が挙げられます。私たちはこれらの課題を解決するために、双腕ロボット「Maholo」を活用した製造自動化に

取り組んでいます。Maholoは一台で複数のモーションが使えるため、すべてのプロセスに対応ができます。またモーションをデジタル化できるため、効率的に技術移転ができるようになります。さらにAIとの親和性がありますから、ほかの実験装置と組み合わせて、AIを使ってプロセスを最適化できます。

私たちは実際に、ある細胞の分化プロセスにおいて90%以上の工程をMaholoで置き換えることに成功しています。

細胞医薬品の品質管理においてはゲノムの安定性が求められます。我々は技術的なチャレンジを続けており、ひとつの例としてGMPの環境下でゲノムの品質を管理できるシステム

につながるということで、私たちはそのような治療手段を選んでいきます。

「投与経路」に関して、改変形アデノ随伴ウイルスは、簡単かつ安全な投与経路が実現できれば多くの患者さまに受け入れてもらえると考えています。そこで私たちは、硝子体内投与が可能なウイルスキャップシドを選択しようとしています。高効率かつ低侵襲のウイルスが最近徐々に開発されており、現在、次世代の遺伝子治療の開発を行っているところです。

「免疫拒絶反応の回避」に関して、iPS細胞由来の細胞医療であっても拒絶反応の問題は残ります。私たちは人間の免疫システムを回避する仕組みを入れた細胞の移植医療「ユニバーサルドナー技術」に取り組んでおり、臨床試験を開始する準備をしています。

を立ち上げました。また、AIによる画像解析にも力を入れており、人力では大きな手間がかかるところを自動かつ高速な解析を実現しています。画像解析システムとMaholoを組み合わせたプロセス開発の自動化も進めています。

製造のなかに自動化を取り込めば、薬事的なインセンティブも得られます。FDAのAdvanced Manufacturing Technology指定プログラムはそのひとつで、FDAのとの議論を行い、Maholoへの関心の高さを実感しているところです。EMAからも好意的なサジェスチョンをいただいています。

また私たちは安川電機さまと覚書を締結し、Maholoを自社だけでなくアカデミアの先生やベンチャーの方々にも使っていただけるような仕組みを考えていこうとしています。

第2部総括 再生医療の実用化に向けた新規テクノロジー

革新的な中枢神経系の再生医療の開発

今回は新しい話をお伺いしようということで、普段あまり再生医療学会に来られない先生方を意図的に選ばせていただきました。

釜井さまには、文科省としての取り組みについてお話しいただきました。どれだけ経産省との取り組みとカップルしているかということ、第3部で下田課長がお話しになるので、皆さんにもお分かりいただけると思います。

桜田先生と高橋先生には、いかにAI技術がこの領域で活用され、AI技術そのものの研究がどのように進んでいるかといったことについてお話しいただきました。私ももっとAIの活用を加速しなければいけないと感じました。

長船先生には、今日は社会実装についてお話しいただきました。今の薬の大体20%くらいは核内受容体を標的としていますが、それにもうひとつ加わりそうな勢いで、すごいと思いました。

そしてアステラス製薬の鈴木先生と山口先生。さりげなくお話しされていましたが、AAVを使ったゲノム編集ということで、日本の研究



岡野 栄之

座長・総括

JSRM理事長 / LINK-J理事長

者が頭を悩ませているCRISPR-Cas9のライセンス問題の解決という意味でも、使わせていただきたいと思いました。それから「Maholo」を使った再生医療についても、実態をもったお話しを聞くことができました。

日本発の技術やアイデアが、iPS細胞に引き続いてシームレスにつながることで、我が国が強みを発揮する大きな原動力になると思っています。そこに政府からのサポートを得て、さらに産業が盛り上がると、VC等々による投資額も増えて、ベンチャーも大きくなっていくということになるのではないかと思います。以上、第2部の総括とさせていただきます。

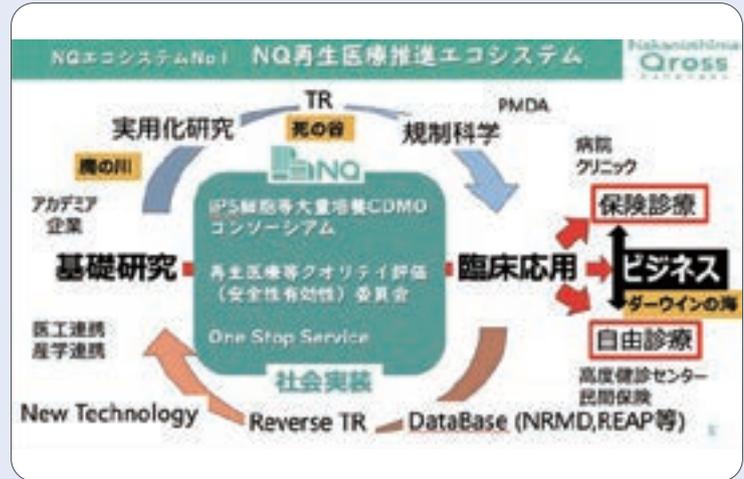


未来医療国際拠点 Nakanoshima Cross における取り組み



澤 芳樹

演者
JSRM 顧問 /
LINK-J 副理事長



ヘルスケア・ディープテックに 特化した国際拠点

2024年7月、大阪中之島に未来医療国際拠点「Nakanoshima Cross」が完成しました。医療の歴史的にも重要な土地で、さまざまな活動を進めていく予定です。今日はそのなかでも、インバウンド・アウトバウンドへの取り組みを中心に紹介します。

Nakanoshima Crossは「一つ屋根の下」をテーマに設定しています。産学官の知が集積するヘルスケアのディープテックに特化した国際拠点として、社会実装を目指してさまざまな研究開発が行われています。すでに50社近い企業が入居しており、企業からの期待の高さも感じています。ここからどのようにビジネスを成功させるか、さまざまな議論を進めているところです。

Nakanoshima Crossの特徴のひとつとして、メディカル棟とR&D棟がひとつの建屋に集積している点が挙げられます。メディカル棟は循環器の病院を中心に、クリニックとしては整形外科、歯科、美容、脳神経、眼科などが入っています。それぞれ保険診療だけでなく自由診療も展開し

ており、データエビデンスを蓄積してアカデミアと連携しながら、信頼性の置ける自由診療の提供を目指して積極的に取り組まれています。独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）の関西支部であるPMDA WESTが入居していることもポイントです。レギュレーションも含め、研究開発や保険診療と自由診療のあり方などについて、さまざまな議論を深めています。

社会実装を通して 再生医療の普遍化を目指す

Nakanoshima Crossが目指す再生医療のエコシステムについてお話ししたいと思います。日本は世界でもトップ5に入るような基礎研究ができて、なかで社会実装、臨床応用を経て、なにより最後にビジネスに繋げることが非常に重要です。

弱肉強食のビジネスの世界を渡るうえでは、保険診療はもちろん、自由診療の信頼性を高めることが重要なポイントとなります。そのために私たちは、再生医療等データ登録システム「REAP」との連携を推進しようとしています。まずiPS細胞の大量培養の

CDMOのコンソーシアムを形成すること。そして安全性と有効性を検証する再生医療等クオリティ評価委員会を立ち上げようとしています。

このような形で再生医療を社会実装していくためには「普遍化」、すなわち一般の医療に応用されること、つまり保険診療でつながるようなビジネスライクな観点も重要だと考えています。そういった意味で、山中先生が「my iPSプロジェクト」を私たちとともに取り組んでいただくことは、非常に重要なポイントだと思っています。スタートアップエコシステムについても、海外からの支援や、アメリカで成功しているベンチャーのメンタリングの仕組みを導入しようと検討しています。また、リスクマネー等を含めた、海外からのファンディングが中心となって起業するような仕組みをつくろうとしているところです。

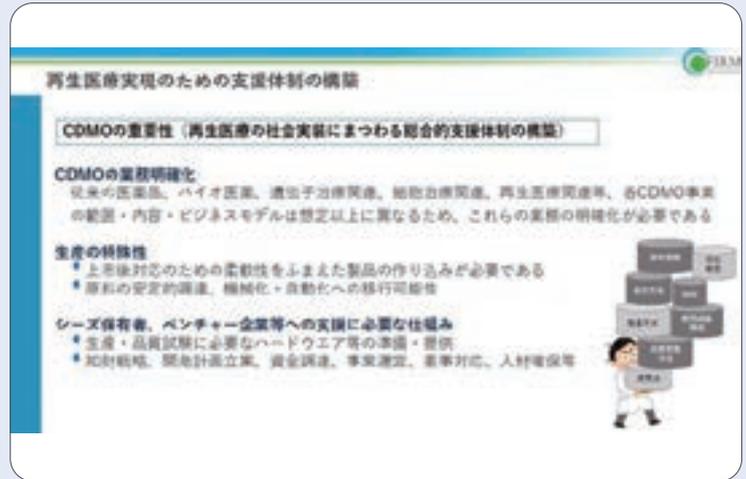
今後は、Nakanoshima Crossが有する広大なスタートアップ向けのスペースを活用して海外のベンチャーインキュベーターとつながり、それをアウトバウンドにつなげること、また国際医療貢献のゲートウェイ機能を設置してインバウンドを受け入れる事業にも取り組んでいく予定です。

再生医療の グローバル展開に 関する話題提起



畠 賢一郎

演者
JSRM 理事 /
FIRM 代表理事副会長



再生医療の有効性、 CDMO事業の今後

再生医療は2014年以降、制度改革によりさまざまな製品が生み出されました。それぞれの有効性や安全性に関して、これから評価が出てくる時期に入りますが、長期間の効果が期待できるということは、治験の制度、評価、価格への反映なども、今後の議論が必要となります。

安全性や有効性の発揮には特別な配慮が必要で、先生方の治療手技、先生方へのインセンティブをどう考えるかも、国内外で考え方はさまざまです。製品特性も多様なため、社会実装に向けた造り込みが重要であり、医薬品開発製造受託機関（CDMO）は重要な存在になります。

CDMOについては業務の明確化が必要で、医薬品のCDMOと抗体薬等のCDMO、さらには細胞等のCDMOのあり方が考えられますが、これらをどう定義するのか、今後のCDMO事業をどう広げていくのかの議論も大変重要です。

再生医療等製品は製造自体が非常に特殊なため、柔軟性を持った製造が必要で、機械化・自動化への移行も

考えながら、たとえば海外でも再現性ある製造ができるようにする検討なども考慮した製品の造り込みが求められます。

さらに、シーズの保有者、特にベンチャー企業等への支援も非常に重要です。製造・品質管理に必要なハードウェアの支援から、知財戦略・開発計画の立案・資金調達・事業運営・薬事対応・人材育成も含めた支援についても考える必要があります。

CDMO事業等を通じた製品の造り込みができれば、それを利用して海外の技術指導を持ち込める可能性もあります。海外のステークホルダーに日本への興味をヒアリングすると、問題は日本で製品価格が低いことよりも、言語の課題や薬事規制の複雑さという意見も散見されました。この点に関しては、PMDAの藤原理事長をはじめとする皆さまのご尽力により近いうちに解決できると考えています。

医療の財源構築から還元まで

患者さまや医療関係者からの「この医療を受けたい」「この医療を患者さまに提供したい」などの問い合わせ

をいただく機会も多く、再生医療に医療ニーズがあることを普段から感じています。治療を求める患者さまが必ずしも富裕層であるとは限りません。再生医療を社会実装し、国内の医療キャッシュフローや病院内のキャッシュフローをつくり上げ、国内の再生医療市場をつくり上げることが重要です。これらの市場が形成されることで、一般の医療への還元も考えられるかもしれません。

再生医療のような高付加価値型の医療は、第一に患者さまのQOLの向上を目的としたものですが、これを手段とした医療全体のキャッシュフロー創出も重要です。医療財源の問題は再生医療の問題ではなく、医療全体の問題です。再生医療の問題の多くは、皆さまの深い議論により解決しはじめていますが、トータルで捉えると医療財源の問題として顕在化しています。FIRMでは、一般の医療を守るための財源をつくり出せないかという点まで議論を行い、医療全体の課題に展開できればと考えています。

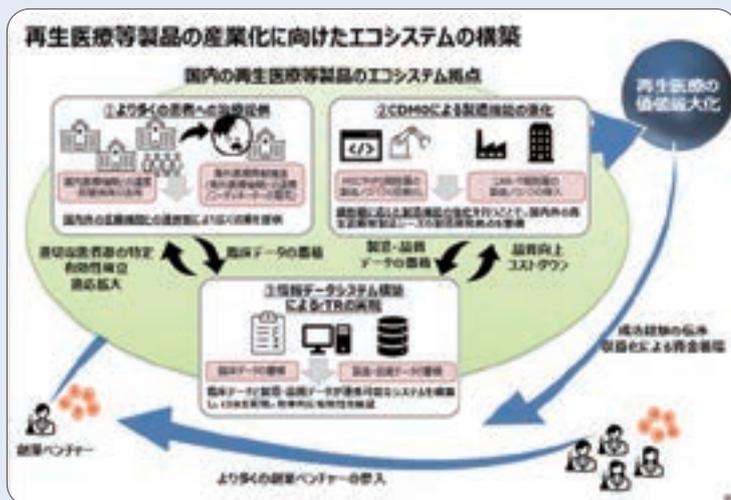
再生・細胞医療の産業化に向けた経産省の取り組み



下田 裕和

演者

経済産業省 商務情報政策局
 商務・サービスグループ
 生物化学産業課 課長



研究者主導で発展する日本の再生医療

再生医療分野は、過去10年で実用化への期待が大きく高まっています。特に注目すべきは、この発展が製薬企業主導ではなく、大学研究者や医療関係者が切り開いてきた点です。ほかの医療技術分野が主にアメリカ主導で発展しているのに対し、再生医療では日本独自の強みを築いています。これをグローバルにどのように展開し、どのように患者さまを呼び寄せられるのかを考えていきたいと思っています。

再生医療の発展を支えているのが、関係省庁の連携です。文科省は近年、研究成果の実用化を重視する方向へと転換しています。この方針に沿い、これまで基礎研究を重視してきた大学の研究者も実用化を見据えて研究に取り組むようになりました。従来は重視されなかったデータも積極的に収集し、ベンチャーキャピタルからの資金調達が可能で水準まで研究の完成度を高めているところでは、

また、厚労省は医師主導治験を中心に支援を行い、継続的に協力しています。医薬品医療機器総合機構

(PMDA)においても、再生医療分野の審査プロセスの効率化を実現しました。こういった協力がすべてつながった結果、iPS細胞を使った治療承認に向けた準備も進んでいます。

再生医療産業化への投資と戦略

経産省も、再生医療の産業化に向けて医薬品開発製造施設(CDMO)の整備を進めています。国内では日々新しい治療法の開発が進んでいますが、確実に実用化につなげるには産業界のCDMO体制強化が不可欠です。この実現に向けて、まず4年間で383億円の予算を確保しました。初年度となる2024年度には約100億円を投じ、再生医療・細胞医療・遺伝子治療に対応した製造施設の整備を始めています。特に治験薬の製造工程の開発に力を入れ、国内での開発基盤の確立を目指す計画です。

こうした基盤整備と並行して、国際展開を視野に入れた取り組みも進めています。世界で実用化が進んでいるCAR-T細胞治療などの分野は、海外の技術を積極的に見習っていきたいです。その一方で、日本が強みを

持つ組織再生などの分野では、海外展開を目指します。実現に向けては、まずは消耗品類が日本の製造基準(GMP)のレベルにあることを実績としてつくること。そのうえで、GMPをFDAに認めてもらえるよう、取り組みを進めていきます。

再生医療を産業として発展させるには、ロボット技術を使った大量培養システムの確立と、治療効果の検証が必要です。現在、中之島未来国際拠点や藤田医科大学などの医療機関で、患者さまの治療データと製造過程のデータを合わせて分析できる体制をつくっています。さらに、個別化医療という特性上、国内の患者数だけでは限界があるため、海外からの患者受け入れも進めているところでは、これらのデータの蓄積は、次世代の治療法開発における資産となるでしょう。

将来的には、どの患者さまにどのような治療が効果的だったのか、また製品の品質が治療効果にどう影響したのか分析できるエコシステムを整えたいと考えています。治療効果のエビデンスを積み重ね、「日本にはこんな素晴らしい治療がある」と世界に向けて発信できる拠点づくりを進めていきます。

藤田医科大学 東京先端医療研究 センターの試み



榛村 重人

演者
藤田医科大学
臨床再生医学
主任教授

藤田医科大羽田クリニックの試み



持続可能な形で再生医療を国内外の患者に提供

自由診療による最先端の医療を提供

・再生医療以外にも収益性の高い医療を提供（精密健診を含む）

再生医療技術の展開

・整形外科、不妊治療、眼科、形成外科

エビデンス構築のためにしっかりとしたデータ収集体制

・専属の生体統計学者、倫理・規制担当者、プロジェクトマネージャー（PM）

・臨床データ収集チーム

・学術文献サーチ、メタ分析

インバウンドに取り組むなかで 見えてきた課題

藤田医科大学東京先端医療研究センターは、再生医療を中心とした先端医療の提供と、会員制健診を実施しています。また、企業と合同で共同研究開発講座なども設置しており、出口を見据えた基礎研究に取り組んでいます。また治療の効果を科学的に証明するため、生物統計学者、倫理・規制担当者、プロジェクトマネージャーを配置している点も特徴的です。

私たちは持続可能なかたちで再生医療を国内外の患者さまに提供することを目指していますが、再生医療だけでは収益を上げるのが難しい現状もあり、再生医療以外の精密健診や近視矯正手術といった自由診療も積極的に提供しています。

現在、当センターの患者さまの約7割がインバウンドです。しかしインバウンド医療にはいくつかの課題があります。まず予約の問題です。ビザが取れない、仕事の予定が変わるなどの理由で治療日の変更が多く発生します。再生医療の製品には使用期限が短いものも多く、前払いにしないと損

失を防ぐのは難しい状況です。

次に、通院の回数的问题があります。たとえば自家細胞を使う場合、細胞を採取する日と治療を行う日で最低2回の来院が必要です。しかし、インバウンドの患者さまにとっては複数回の来院は大きな負担となります。また、治療内容の説明も通訳を通すため、インフォームド・コンセントを得るのが難しい点も課題です。

三つ目が、医療の仲介を行う会社との関係です。仲介会社は患者紹介の手数料収入で成り立っています。そのため手数料の高い医療機関を優先したり、エビデンスが十分でない治療を勧めたりすることもあるようです。そうなるとアカデミアとしては提供できる医療を制限せざるをえない場合も出てきてしまいます。適切な患者紹介につなげる関係づくりが求められます。

課題はありつつも、医療サービスを患者さまに届けなければならない立場として、インバウンド対応としてのPRP(Platelet-Rich Plasma:多血小板血漿)やMSC(Mesenchymal stem cell:間葉系幹細胞)の治療を整形外科、不妊治療、眼科、形成外科の分野で提供しているほか、海外では手に入ら

ない薬の提供にも取り組んでいます。

持続可能な再生医療体制の 確立を目指す

基礎研究・治験についてもご紹介します。最新の成果のひとつに「iPS細胞由来の角膜内皮代替細胞移植の臨床研究」があります。こちらは1年間の観察期間中に細胞の遺伝子変異が見つかった事例です。事前に対応プロトコルを決めていたおかげで、適切な対応ができました。眼球は透明なので、細胞の状態を詳しく観察できたことも強みになったと思います。この成果は、国際的な医学誌「Cell Reports Medicine」にも掲載されました。

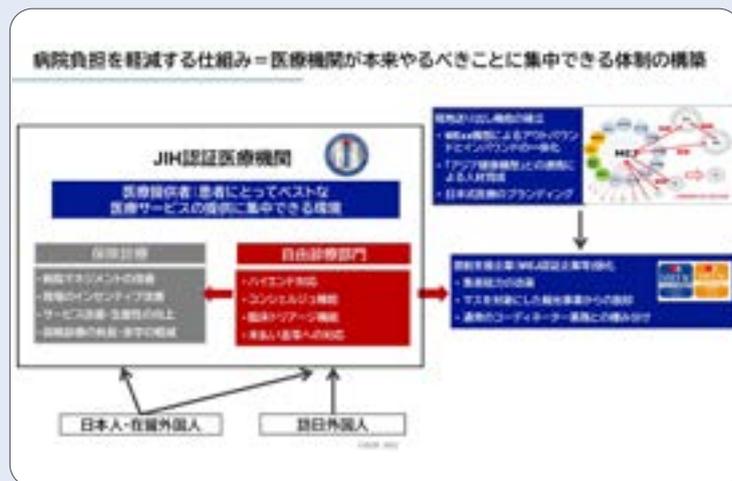
またサイフューズ社との共同研究として、MSCによる膝関節治療の治験も開始する予定です。高橋政代先生(株式会社ビジョンケア)との協力のもと、iPS由来の網膜色素上皮移植の患者リクルートも進めています。今後は経産省の支援を受けながら、関西の中之島拠点と並ぶ東の拠点を目指します。インバウンドの患者さまの受け入れから見えてきた課題を解決しつつ、持続可能な再生医療体制の確立に取り組んでいく方針です。

MEJの進める医療の国際展開戦略



渋谷 健司

演者
一般社団法人
Medical Excellence JAPAN
理事長



「日本に「医療産業」を取り戻すために

MEJの今年のスローガンは「医療産業を取り戻す」です。日本の医療産業は、80～90年代に比べると国際的な存在感が低下しています。しかし実際に各国を訪問するなかで、日本の医療、特に再生医療への信頼は依然として強いことを感じます。

私たちMEJは、医療のアウトバウンドとインバウンドを一体化して推進していきます。まずアウトバウンドについては、「MExx構想」を推進します。MEJは、政府と民間企業と医療機関が参画する世界的に見てもユニークな枠組みで成り立っています。MExx構想とは、各国に医療の発展、産業の育成・成長を支援するMEJのような産官学医のハブ組織を作り、相互連携させていく構想のことで、xxには国名や地域名が入ります。これらのプラットフォームを各国に設立することで、国ごとの事情に合わせた医療の国際展開を考えています。すでにベトナムやタイなどでプロジェクトが進行しており、台湾のように政府間連携が難しい地域では、第三国での協力を通じた連携を模索している状況です。

ただし、アウトバウンドには相手国側の薬事規制・保険制度や技術移転などのハードルが高いという課題があります。そこで私たちは、まずインバウンドを推進して日本の再生医療のブランディングや信頼関係を確立したうえで、アウトバウンドにつなげることを考えています。

「インバウンドとアウトバウンドの一体的な推進

医療インバウンドには大きな可能性がありますが、日本の現状は残念ながら状況というほかありません。海外から見ると、再生医療のような最先端医療だけでなく標準医療も含めて、日本の医療サービスは圧倒的に優れていると言えます。しかし、医療現場の負担が重くなってしまいう現状では、多くの医療機関は受け入れに積極的になれません。これを改善するのが私たちの役割だと考えています。まず民間事業者が関与して外国人の自由診療を受け入れやすい体制をつくること、そして負担が医療提供者側に偏っている現状を打破し、負担の軽減とインセンティブを確保すること、さらに、日本が医療インバ

ウンドの対象として認知されていない状況を改善することが大切です。

これから私たちは、患者さまが日本人だろうが外国人だろうが、日本の先生方が持つ技術を最大限使える環境づくりに取り組んでいきます。第一に、国内外の民間事業者と手を組んで医療機関の負担を減らす体制を整えます。第二に、MExxの仕組みを活用した効率的な患者紹介の流れを構築していきます。ここでは渡航支援会社の高額な手数料を見直し、医療機関が安定した収入を得られる仕組みを目指します。そして第三に、厚労省とも協力し、継続可能な報酬体系や事業のかたちをつくっていきます。医療滞在ビザや広告規制の問題についても取り組んでいきます。

日本のインバウンドに対する必要条件是揃っていますから、できないことはないと思っています。医療は社会的共通資本ですし、再生医療分野は日本の宝です。これを官僚的基準に従って管理されてはなりませんし、単なる利益追求を基準にしてもいけません。皆さんのような専門家集団が持つ知見と倫理観に基づいて管理・運営された医療を届けることが重要です。腹を括って自由診療に取り組んでいきましょう。



PANEL DISCUSSION

日本の再生医療の質を高めるためにやるべきこと

畠 まず、日本の再生医療をいかに良質なものにするか、信頼性を増すかという議論をしていきたいと思います。

下田 再生医療の分野は、企業側が良いものを提供して用法、用量を守れば一定の患者さまに効くというのではなく、医師の手技やフォローアップを含めて、総合的に治療していくものです。学会の先生方に有効性を学術的に分析してもらい、さらにPMDAがそれを判断するといった、治療の効果をしっかりとうたえる環境をつくるのが大事だと思っています。

榛村 臨床の現場で感じるのは、再生医療等のモノの質は担保されてきている一方で、患者さまのインクルージョンクライテリアがまちまち過ぎるということです。効果がある患者さまの病気、ステージを理解したうえで、そういった方たちを治療対象にしていくことと同時に、ドクターの啓発も必要だと思います。

渋谷 いま我々の頭を悩ませているのは、民間クリニックの自由診療の質です。認証など、なんらかの形で質の担保をするのもひとつの手かなと思っています。ただ、やり過ぎると自由診療の芽も潰れてしまうので、学会からなんらかの方針を出さないといけないと思っていますところ。

澤 追加してお話しさせていただくとしたら、治験などでデータを集めるのに人手とお金がかかり過ぎる。ここを解決するのはITしかないのですが、まだその仕組みづくりが進んでいない。しかしChatGPTを見ていると、最近はとんでもないフェーズに入っています。これらをうまく使ったIT化が鍵ではないかと私は思っています。

世界に打って出るために必要なマインドとは

畠 それではアウトバウンド、つまり日本の技術を海外に出していくためのキーワードをお伺いできればと思います。

モデレーター

澤 芳樹

JSRM 顧問 / LINK-J 副理事長

畠 賢一郎

JSRM 理事 / FIRM 代表理事副会長

パネリスト

下田 裕和

榛村 重人

渋谷 健司

下田 出し方はいろいろありますが、日本の医師と組むといろいろなことが実現できるという吸引力を持つことが大事ですね。ボストンが有名になって強くなってきたのは、この10年ベンチャー企業がたくさん出て、そこに大手製薬が集まって、という流れができたからなんです。日本もそういう場所になるために、世界のマーケット、世界の患者さまという視点も入れて、関係省庁が一体になって取り組むことが重要だと思います。

榛村 研究者からの意見としては、アカデミアとしてできることは限られていると思っています。海外にノウハウを取られるだけでチャンスを逃してしまうケースもあるので、気をつけなければいけません。

畠 アカデミアの先生が中心になってやってきたとしても、企業がある程度担い手にならないと外に持っていけないということもあるかもしれないですね。

渋谷 海外へ出る、出ないというのは、まずは腹をくくれるかどうかなんです。「困った、この条件がないと出られない」と話していても前には進めません。私は、もはや今はエビデンス・ベースト・ポリシーではなくポリシー・ベースト・エビデンスの時代だと思っています。まずポリシーや事業があって、トライ・アンド・エラーしながらそれらを回していく時代なんです。人口減少が続き、診療報酬も増えることもなく、公的保険が持たないという今の状況は、逆にチャンスだと思っています。

澤 アウトバウンドに関しては、日本企業の方々のリスクに対するヘジテーションはどうしてもあるのかなと。それ

と、特に再生医療の業界はアカデミア中心なんですね。基礎研究、特にiPSはトップレベルなのに、応用化、実用化、社会実装は今の日本の体制では無理だと思います。

ですから、スタートアップベンチャーを成功させる仕組みをつくって日本企業も応援する、海外の企業も応援する、そのエコシステムをつくらないといけないというのが、私が一番強く思っていることです。

畠 技術シーズを最初につくるのはアカデミアの先生方ですから、どのタイミングで企業と一緒にやっていくのか、さらにグローバル戦略にどう乗せていくのかというのは本当に重要なキーワードだと思います。

失敗を恐れず、逆境をチャンスと捉えて挑戦するべき

畠 それでは続いて、インバウンドのキーワードについて語っていただければと思います。

榛村 インバウンドは絶対やるべきです。そのためにはグローバルでうまくやるノウハウを持つことが大切です。しかし日本には失敗を許さない文化があるので、教育制度や評価する制度を違う方向に持っていけないと難しいかもしれませんね。

渋谷 私は究極的には日本国民に選択肢を増やしたいんです。それに向けたプロセスのひとつが自由診療による医療インバウンドであって、ここ1~2年で、全ての負担が現場でがんばっている先生方にかかっている今の状況の一つひとつ紐解く取り組みを始めるつもりです。

下田 今日ここに覚悟を決めて飛び込んできてくれてい



る先生方がいらっやって、シーズが、技術が、そしてベンチャーが出てきている。政府はこれを大きな成功モデルにしていかなければいけないと思っています。そのためには、チャレンジが失敗したとしても次につなげてもらえるように、役所側もひるまずに「これは立派な失敗だ」と言うようにしなければいけません。今は、再生医療の有効性を安全な環境で導き出す仕組みを、日本で作り出せるかどうかの大事な時期だと思います。ここにいらっやる皆さんと一緒に、大きな成功に導いていければと思います。

澤 去年、私の病院は過去最高の売上げでしたが、入ってくる新しい医療が高額で、ほとんどの売り上げは海外へ渡ってしまいました。国民皆保険で支払われたお金が海

外へ流出してしまうところに、私は根本的な課題があると思っています。

医療が本当に究極な状況でなにか行動を起こせば、日本の新しいテクノロジーが、日本の医療の今の状況を救うかもしれません。そのために産業化をどう進めるか。キーワードは「信頼性」です。そしてどのように「普遍化」していくか。今日は、その普遍化のなかには自由診療もあって良いという考え方が、これからの日本の医療全体にとって重要なのではないかと、皆さんに議論していただけたと思っています。

この観点から積極的に攻めていけば、きっと変わっていくと私は信じています。皆さんぜひ一緒に、よろしく願います。



CLOSING REMARKS

閉会挨拶



畠 賢一郎

JSRM 理事 /
FIRM 代表理事副会長

本日は会場、ウェブ合わせて650名の方にご参加いただきました。日本再生医療学会は、岡野先生のリーダーシップのもとで素晴らしい研究を世に出し続けています。FIRMも、研究を社会実装するための重要な局面を迎えています。再生医療の課題は解決し始めていますが、一方で医療全体の課題は歴然と残っています。医療財源の問題、医療の信頼性の問題、グローバルにどう向かっていくのか。皆さんが日々議論したことが、きっと医療全体にも水平展開できるきっかけになるはずです。

キーワードは「連携」です。産業界、アカデミア、行政の連携が極めて重要です。今日ご参加いただいた方々にはぜひとも議論を深め、この領域をさらに発展いただけますよう、よろしくお願い申し上げます。

本会を開催するにあたり、協賛いただいた日本医療研究開発機構（AMED）の皆さま、そして後援いただいた神戸医療産業都市推進機構、バイオインダストリー協会、かながわ再生・細胞医療産業化ネットワーク、バイオコミュニティ関西、Greater Tokyo Biocommunityの皆さま、本当にありがとうございました。また第10回でお目にかかれるのを楽しみにしております。

