

平成26年度実施方針

バイオテクノロジー・医療技術部

1. 件名

再生医療の産業化に向けた細胞製造・加工システムの開発

2. 根拠法

独立行政法人新エネルギー・産業技術総合開発機構法第15条第1項第2号

3. 背景及び目的・目標

① 政策的な重要性

再生医療は、手術・投薬などの従来の手法では治療困難とされる疾患の根本治療に道を拓くものであり、生物学的、医学的な研究が進むにつれ、再生医療により多様な治療が可能になることが期待されている。重度の障害をもたらす脊椎損傷やパーキンソン病はもとより、糖尿病や腎臓疾患などのように膨大な数の患者が存在し、かつ生涯に亘って治療が必要となっている状況を改善することができれば、社会的なメリットは極めて大きい。また、慢性疾患や高齢化に伴う疾患等の治療が可能となることにより、拡大の一途をたどる社会保障費の抑制にも貢献することが期待される。

本研究開発は、「健康・医療戦略」に再生医療の実用化のための戦略として謳われている「細胞培養装置等の周辺産業も含めた再生医療産業の競争力強化」のため、医工連携等による技術開発を推進することを目的として実施する。

② 我が国の状況

我が国の再生医療は、2012年に京都大学山中伸弥教授がノーベル生理学・医学賞を受賞した事例を筆頭に、ヒト幹細胞の研究では世界のトップレベルにあるものの、再生医療製品の实用化件数では、将来的な治験の候補となる臨床研究は90件以上を数えるものの、上市された再生医療製品は2品目、治験中のものは4品目にとどまっているなど、欧米諸国や韓国と比べ著しく少ないのが現状である。また、患者数が多く将来治療対象となることが見込まれる、神経系や心臓疾患等についての再生医療製品の開発においても大きく後れを取っている。

経済産業省が取りまとめた「再生医療の実用化・産業化に関する報告書 最終取りまとめ」（平成25年2月）では、今後幅広い疾患において再生医療が展開することにより、現行の製品開発パイプライン上にある開発品目の市場だけでなく、多能性幹細胞の活用を含めた将来的な再生医療の国内市場が、2030年には約1兆円、2050年には2.5兆円となると予測されている。また、再生医療を取り巻く周辺産業の市場規模については、基礎・臨床研究に対する国からの競争的資金の増加や多能性幹細胞による治療の普及等により大きく伸びると予測され、2030年に約5500億円、2050年には約1.3兆円と試算されている。

③ 世界の取組状況

世界では免疫系の細胞製剤や間葉系幹細胞を中心に臨床研究が進められている。欧米では30数品目、韓国では10数品目が再生医療製品として上市されており、更に欧米では150を超える品目が、韓国で

は 30 数品目が製品化を目指して治験中である。

「再生医療の実用化・産業化に関する報告書 最終取りまとめ」(平成 25 年 2 月)では、再生医療の世界市場が 2030 年には約 12 兆円、2050 年頃に約 38 兆円規模となることが予測されている。また、再生医療周辺産業の世界市場は 2030 年に 5.2 兆円、2050 年頃には約 15 兆円と試算されており、今後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周辺産業の海外市場獲得が期待されている。

④ 本事業のねらい

こうした状況を踏まえ、最新の再生医療に関する科学的な成果と、我が国の産業界がこれまでに培ってきた機械化・自動化技術や品質管理・工程管理技術を組み合わせて再生医療製品の製造プロセスをシステム化することは、我が国のみならず世界の人々の健康医療に資すると考えられる。

本研究開発では、医療の場に供される再生医療製品を安全かつ安価に製造・加工するための、各プロセスが連携した製造システムを構築する。ここでいう再生医療製品は他家由来であることを想定している。構築するシステムには再生医療製品の原料となる高品質のヒト多能性幹細胞等を安定的に大量供給する技術の確立を含む。

これらを達成することにより、ヒト幹細胞を応用した再生医療製品開発の促進や再生医療製品及び再生医療周辺製品の国際競争力強化を図る。

[委託事業]

再生医療製品及びその原料となるヒト幹細胞を製造・加工するための、各プロセスが連携した製造システムの開発を行う。

具体的には、対象となる疾患や適用する術式に対応した再生医療製品、及びその原料となるヒト幹細胞を製造・加工する上で必要となる、拡大培養、分化誘導(培養)、品質管理(評価)、加工、保存(凍結・解凍)等の各プロセス及びプロセスの正確性・確実性を担保するための工程管理技術について、個別要素技術の自動化装置や培地・基材等の周辺製品を開発する。更に、これらを最適に組み合わせ連携させた製造システムを構築した上で実際に製造を行い評価する。

【最終目標】

研究開発項目①「ヒト多能性幹細胞由来の再生医療製品製造システムの開発」(平成 30 年度)

複数種類の再生医療製品を複数種類のヒト多能性幹細胞^{※1}から、低コスト^{※2}で製造可能な製造システム^{※3}を構築する。また、各プロセスに最適な培地、装置等^{※3}を作製する。更に開発した技術を最適に組み合わせ連携させた製造システムを構築した上で実際に製造を行い評価する。なお、ヒト多能性幹細胞については、最大 10¹⁰ 個/バッチを製造可能な自動培養装置^{※3}を作製する。

研究開発項目②「ヒト間葉系幹細胞由来の再生医療製品製造システムの開発」(平成 28 年度)

骨髄由来及び臍帯/臍帯血由来を含む 3 種類以上のヒト間葉系幹細胞を原料として、複数種類の再生医療製品を低コスト^{※2}で製造するために、プロセスごとの作業・操作を個別要素技術として抽出・確立し、必要に応じて培地、装置等の試作品の作製を行い、開発した技術を最適に組み合わせ連携させた製造システム^{※3}を構築した上で実際に製造を行い評価する。

※1：iPS 細胞及び ES 細胞とする

※2：コスト目標を現状の 1/10 以下とする

※3：事業終了後 3 年程度で製品化可能なレベルのプロトタイプとする

【中間目標】

研究開発項目①「ヒト多能性幹細胞由来の再生医療製品製造システムの開発」（平成 28 年度）

ヒト多能性幹細胞を原料として、複数種類の再生医療製品を低コスト※2で製造するための、プロセスごとの作業・操作を個別要素技術として抽出・確立し、培地等の組成や自動化装置※3の仕様を決定する。必要に応じて培地、装置等の試作品の作製を行う。

4. 事業内容

以下の研究開発項目①及び②における公募、採択、実施体制の決定を平成25年度中に行い、平成26年度から研究開発を開始する。

(1) 平成26年度事業内容

- ①ヒト多能性幹細胞由来の再生医療製品製造システムの開発
- ②ヒト間葉系幹細胞由来の再生医療製品製造システムの開発

- ・各プロセスの個別要素技術を抽出し、対象となる操作・技術の自動化についての基本的な方針を検討する。
- ・各細胞製品製造に最適な培地・基材等の検討を行う。
- ・各細胞製品の仕様決定のための検討を行う。
- ・ヒト多能性幹細胞の大量培養（ 10^{10} 個）達成のための検討を行う。
- ・各プロセスの工程管理指標及び管理技術の検討を行う。

(2) 平成26年度事業規模

委託事業

一般勘定 1,985百万円（新規。うち調整費470百万円）

事業規模については、変動があり得る。

5. 事業の実施方式

5. 1 公募

(1) 掲載する媒体

「NEDOホームページ」及び「e-Radポータルサイト」で行う。

(2) 公募開始前の事前周知

公募開始の1ヶ月前にNEDOホームページで行う。本事業は、e-Rad対象事業であり、e-Rad参加の案内も併せて行う。

(3) 公募時期・公募回数

平成26年1月に1回行う。

(4) 公募期間

原則30日間とする。

(5) 公募説明会

関東で開催する。

5. 2 採択方法

(1) 審査方法

e-Radシステムへの応募基本情報の登録は必須とする。

事業者の審査は、公募要領に合致する応募を対象にNEDOが設置する外部有識者（学識経験者、産業界の経験者等）により構成された非公開の審査委員会で行う。審査委員会では、提案書の内容について技術評価及び事業化評価を行い、その結果を参考とし、本事業の目的の達成に有効と認められる事業者を選定した後、NEDOはその結果を踏まえて決定する。

申請者に対して、必要に応じてヒアリング等を実施する。

審査委員会は非公開のため、審査経過に関する問合せには応じない。

(2) 公募締切から採択決定までの審査等の期間

原則45日間とする。

(3) 採択結果の通知

採択結果については、NEDOから申請者に通知する。なお不採択の場合は、その明確な理由を添えて通知する。

(4) 採択結果の公表

採択案件については、申請者の名称、技術開発テーマの名称・概要を公表する。

6. その他重要事項

(1) 評価

NEDOは、(1) 事業の位置付け・必要性、(2) 研究開発マネジメント、(3) 研究開発成果、(4) 実用化・事業化に向けての見通し及び取組の4つの評価項目について、外部有識者による技術開発の中間評価を平成28年度、事後評価を平成31年度に実施する。また、中間評価結果を踏まえ、必要に応じてプロジェクトの加速・縮小・中止等、見直しを迅速に行う。なお、評価の時期については、当該技術開発に係る技術動向、政策動向や当該技術開発の進捗状況等に応じて、前倒しする等、適宜見直すものとする。

(2) 運営・管理

技術開発全体の管理・執行に責任を有するNEDOは、経済産業省及び技術開発実施者と密接な関係を維持しつつ、本事業の目的及び目標に照らして適切な運営管理を実施する。具体的には、必要に応じて設置されるプロジェクト推進委員会等における外部有識者の意見を運営管理に反映させるほか、四半期に一回程度プロジェクトの進捗について報告を受けること等により進捗の確認及び管理を行うものとする。また、成果の早期達成が可能と認められた技術開発については、期間内であっても開発を完了させ、

実用化へ向けた実質的な開発成果の確保と普及に努める。最終年度若しくは終了翌年度中に、本研究開発の成果を成果報告会等で公開する。

(3) 知財マネジメントにかかる運用

「NEDOプロジェクトにおける知財マネジメント基本方針」に従ってプロジェクトを実施する。

(4) 関連指針の遵守

本事業の実施にあたっては、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」、「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」、「ヒトに関するクローン技術等の規制に関する法律」、「特定胚の取扱いに関する指針」、「ヒトES細胞の樹立及び使用に関する指針」等、関連指針を厳守する。また、本研究開発成果の事業化においては、「経済産業分野のうち個人情報を用いた事業分野における個人情報保護ガイドライン」を厳守する。なお、関連指針等が改正されたときは、改正後の指針を適用するものとする。

7. スケジュール

平成26年1月下旬・・・公募開始
2月上旬・・・公募説明会
2月下旬・・・公募締切
3月中旬・・・審査期間
3月下旬・・・採択決定

8. 実施方針の改定履歴

- (1) 平成 26 年 1 月 制定
- (2) 平成 26 年 9 月 実施体制の決定に伴う実施体制の追加、及び内閣府に計上された「科学技術イノベーション創造推進費」を活用した「医療分野の研究開発関連の調整費」の配分に伴う事業規模の変更。
- (3) 平成 26 年 11 月 内閣府に計上された「科学技術イノベーション創造推進費」を活用した「医療分野の研究開発関連の調整費」の配分に伴う事業規模の変更。
- (4) 平成 26 年 12 月 開発成果創出促進制度の対象事業として決定されたことに伴う事業規模の変更。

(別紙) 事業実施体制の全体図

「再生医療の産業化に向けた細胞製造・加工システムの開発」実施体制

