

第1章

再生医療は、細胞・組織培養、加工、細胞評価、運搬、治療、装置、消耗品、IT、保険、知財などアカデミアと企業の多様な技術と英知を集約しなければ実現できない。その産業化のためには、それぞれの分野で卓越した技術を持つ企業間の連携を加速し、戦略的に再生医療の成果をビジネスに結び付けることが重要である。再生医療イノベーションフォーラム(FIRM)は、産業界が主体となり、再生医療の研究成果を社会に安全かつ安定的に提供できる体制を構築し、多くの疾患の根治と国益の確保、国際貢献を実現すること、並びに社会の合意形成に向けて再生医療産業化の道筋を示すことを目的とし、2011年6月7日に設立され、我が国でも再生医療事業化のための産学官連携した体制がスタートした。

1-2 再生医療を取り巻く情勢、関連する行政の施策

民主党政権下の2010年6月18日に閣議決定された新成長戦略では、「ライフイノベーションによる健康大国戦略」を7つの戦略分野の一つと位置づけ、医療イノベーション(医薬品・医療機器や再生医療をはじめとする最先端の医療技術の実用化等)を促進し、国際競争力の高い関連産業を育成するとともに、その成果を国民の医療・健康水準の向上に反映させることを目指した。同時期に第4期科学技術基本計画の作成が行われ、再生医療が「ライフイノベーションの推進」の一つとして取り入れられた。自民党への政権交代後も日本再興戦略、健康・医療戦略などで再生医療が取り上げられ推進されている。

1-2-1 第4期科学技術基本計画

2011年8月19日に、「科学技術イノベーション政策」の一体的展開、「人材とそれを支える組織の役割」の一層の重視、「社会とともに創り進める政策の実現」を基本方針とする第4期科学技術基本計画が閣議決定された(科学技術基本計画2011)。

第4期科学技術基本計画の将来にわたる持続的な成長と社会の発展の実現において、「震災からの復興、再生の実現」、「グリーンイノベーションの推進」、「ライフイノベーションの推進」が主要な柱とされた。再生医療は、この中の「ライフイノベーションの推進」で取り上げられている。「ライフイノベーションの推進」においては、超高齢化社会における医療・介護問題の解決が喫緊の課題であり、これの解決に向けライフイノベーションを強力に推進するとしている。この重要課題達成のための施策の推進のひとつとして「安全で有効性の高い治療の実現」があり、再生医療に関して、「iPS細胞、ES細胞、体性幹細胞等の体内及び体外での細胞増殖・分化技術を開発するとともに、その標準化と利用技術の開発、安全性評価技術に関する研究開発を推進する」ことが盛り込まれた。

1-2-2 日本再興戦略

2013年6月14日、日本経済の再生に向けた「3本の矢」のうちの3本目の矢である成長戦略「日本再興戦略-JAPAN is BACK-」が閣議決定され、成長実現に向けた具体的な取組として、「日本産業再興プラン」、「戦略市場創造プラン」及び「国際展開戦略」の3つのアクションプランが掲げられた(日本再興戦略2013)。

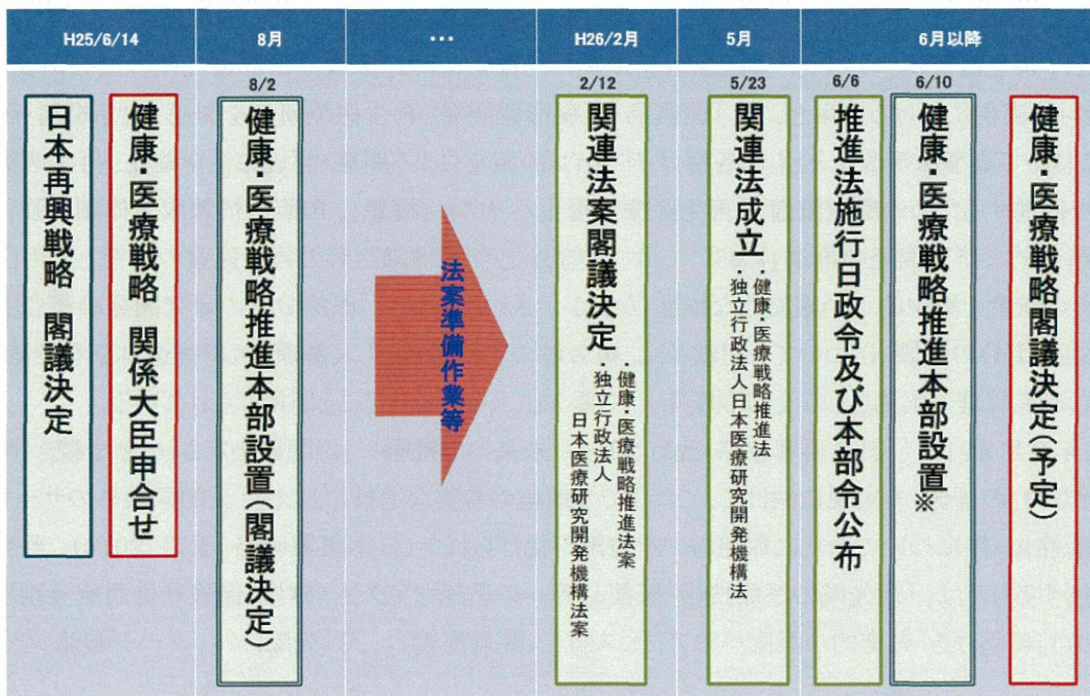
本戦略において、健康・医療分野は「戦略市場創造プラン」の「テーマ1:国民の「健康寿命」の延伸」に含まれ、「①効率的な予防サービスや健康管理の充実により、健やかに生活し、老いることができる社会」、「②医療関連産業の活性化により、必要な世界最先端の治療が受けられる社会」、「③病気やけが

をしても、良質な医療・介護へのアクセスにより、早く社会復帰できる社会」の実現を目指すとされた(図表1-2-1)。再生医療については「②医療関連産業の活性化により、必要な世界最先端の治療が受けられる社会」の実現における施策として、「医薬品・医療機器開発、再生医療研究を加速させる規制・制度改革」において薬事法等改正とともに各種ガイドラインの策定による開発・評価方法を確立、再生医療の実用化を促進するための環境整備、「再生医療実現化ハイウェイ構想」、市販後情報収集体制の強化などが、「革新的な研究開発の推進」においては、基盤強化や「iPS細胞等の再生医療の研究と実用化推進のための研究を集中的かつ継続的な推進」などが示された。また、「医療分野の研究開発の司令塔機能(日本版NIH)の創設」についても記載され、司令塔の本部機能として健康・医療推進本部を設置し、一元的な研究管理の実務を取り仕切る機関として独立法人を設立することが掲げられている。

2014年6月24日、「日本再興戦略」改訂2014—未来への挑戦—」が閣議決定され、引き続き「国民の「健康寿命」の延伸」の実現に向けて、これまでの取組の着実な進捗に加え、「公的保険外のサービス産業の活性化」等について新たに取組むべき施策が掲げられた(日本再興戦略 改定 2014)。再生医療に関連するものは、「最先端の医療技術・医薬品等への迅速なアクセス確保(保険外併用療養制度の大幅拡大)」における「先進的な医療へのアクセス向上(評価療養)」、や「先駆けパッケージ戦略」などである。

1-2-3 健康・医療戦略

2013年6月14日に、2012年6月に民主党政権下で取りまとめられた「医療イノベーション5か年戦略」を充実させた「健康・医療戦略 関係大臣申合せ」(健康・医療戦略関係大臣申合せ 2013)が改めて取りまとめられた。これに基づき、2013年8月2日に「健康・医療戦略推進本部」の設置が閣議決定され、「健康・医療戦略 関係大臣申合せ」の推進及び司令塔機能の本部の役割として、医療分野の研究開発関連予算の総合的な予算要求配分調整等を担うこととされた。本本部において、健康・医療戦略の策定、医療分野の研究開発の司令塔機能の創立などが検討され、2014年2月12日に「健康・医療戦略推進法案」及び「独立行政法人日本医療研究開発機構法案」が閣議決定され、第186回通常国会において2014年5月23日に成立した(平成26年法律第48号、平成26年法律第48号)。「健康・医療戦略推進法」に基づき、「健康・医療戦略」および「医療分野研究開発推進計画」が閣議決定された(図表1-2-1)。



※ 健康・医療戦略推進法に基づき設置。平成25年8月2日の閣議決定で設置した本部は平成26年6月10日の閣議決定で廃止。

図表1-2-1 健康・医療戦略推進本部設置および関連法成立の経緯
(出典:平成26年6月16日 第7回 健康・医療戦略参与会合資料)

厚生労働省では、これらの動きと軌を一にして、医薬品、医療機器、再生医療製品等の開発を促進するための施策を検討してきた。2013年6月26日には、医薬品・医療機器産業がイノベーションを担う、国際競争力のある産業となることを目指し、中長期的な将来像を示す「医薬品産業ビジョン 2013」と「医療機器産業ビジョン 2013」を策定した。2013年11月には、革新的な医薬品等の開発促進及び医薬品等の安全対策の強化のための改正薬事法及び再生医療の迅速かつ安全な提供を図るための「再生医療安全性確保法」(平成25年法律第85号)が国会において成立した。

1-2-3-1 「健康・医療戦略」(関係大臣申合せ)

医療分野の成長戦略については民主党政権下の2012年6月6日に医療イノベーション会議により「医療イノベーション5か年戦略」として取りまとめられていたが、「同戦略に掲げられている施策のうち、実行すべきものは速やかに実行し、新たに追加すべきものは、速やかにこれに盛り込むという方針で、同戦略の充実を図るべく見直しを行い、「健康・医療戦略」として取りまとめられた(健康・医療戦略関係大臣申合せ、2013)。

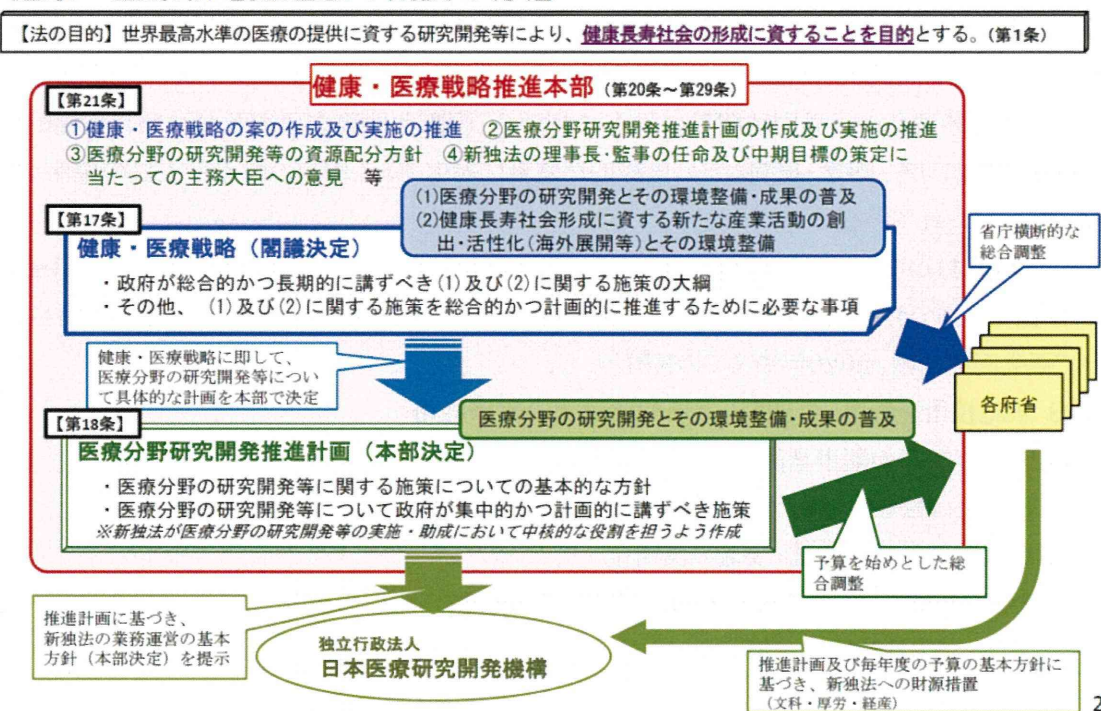
「健康・医療戦略」の基本的理念には、(1)健康長寿社会の実現、(2)経済成長への寄与、(3)世界への貢献、の3点が挙げられた。特に、医療分野の研究開発の司令塔機能(日本版NIH)の創設、医療の国際展開、健康寿命延伸サービスの創出、および健康・医療分野におけるICT(Information and Communication Technology: 情報通信技術)の利活用の推進の4点が、新たな取組として健康・医療戦略に盛り込まれている。

1-2-3-2 健康・医療戦略推進法

健康・医療戦略推進法(平成26年法律第48号)は2014年5月23日に成立し、6月10日より施行された。

本法律は、「世界最高水準の医療の提供に資する研究開発等により、健康長寿社会の形成に資することを目的とする」ものである。本法律において、世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発及び当該社会の形成に資する新たな産業活動の創出等を総合的かつ計画的に推進するための健康・医療戦略の策定、これを推進する健康・医療戦略推進本部の設置等の措置が定められている。本法律を根拠に、「健康・医療戦略」、「医療分野研究開発推進計画」が策定された。また、健康・医療戦略の推進を図るために内閣に「健康・医療戦略推進本部」が設置され、「医療分野研究開発推進計画」に基づいて医療分野の研究開発及びその環境整備の実施・助成について中核的な役割を担う機関として「独立行政法人日本医療研究開発機構」が位置付けられた(図表1-2-2)。

健康・医療戦略推進法の概要の骨格



図表1-2-2 健康・医療戦略推進法

(出典:平成26年6月16日 第7回 健康・医療戦略参与会合資料

<http://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/sanyokaigou/dai6/siryou6.pdf>)

1-2-3-3 健康・医療戦略

1) 健康・医療戦略

健康・医療戦略は、健康・医療戦略推進法(健康・医療戦略推進法 2014)に従い、2014年7月22日に閣議決定された(健康・医療戦略 2014)。本戦略は、健康・医療戦略推進法に定める基本的施策(研究開発の推進、研究開発の環境の整備、研究開発の公正かつ適正な実施の確保、研究開発成果の実用化のための審査体制の整備等、新産業の創出及び海外展開の促進、教育の振興等、人材の確保等)を踏まえ策定された。本戦略は、総論、各論及び施策の推進から構成される。

本戦略における基本理念は、健康・医療戦略推進法に定められた①世界最高水準の技術を用いた医

第1章

療の提供、②経済成長への寄与である。なお、本戦略の対象期間は、今後、10年程度を視野に入れた2014年度からの5年間とするとされている。

各論として、(1)世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発等に関する施策、(2)健康・医療に関する新産業創出及び国際展開の促進等に関する施策、(3)健康・医療に関する先端的研究開発及び新産業創出に関する教育の振興・人材の確保等に関する施策、および(4)世界最先端の医療の実現のための医療・介護・健康に関するデジタル化・ICT化に関する施策が挙げられている。

その中で、再生医療に関連する事項として、(1)世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発等に関する施策では、1)国が行う医療分野研究開発の推進において、世界最先端の医療の実現に向けた取組(再生医療、ゲノム医療の実現に向けた取組の推進)が、(3)健康・医療に関する先端的研究開発及び新産業創出に関する教育の振興・人材の確保等に関する施策では、1)健康・医療に関する先端的研究開発の推進のために必要な人材の育成・確保等において、革新的医薬品、医療機器及び再生医療等製品の実用化の促進のための、革新的技術や評価法に精通する人材の交流・育成、再生医療等製品等における特有の取扱いに係る専門的スキルを有する人材の育成、2)新産業の創出を推進するために必要な専門的人材の育成・確保等において、起業支援人材の育成(革新的医薬品、医療機器及び再生医療等製品の世界同時開発に対応できるよう、国際共同臨床研究及び治験に積極的に取り組む医療機関における、語学・規制などの国際的な差異に対応できる体制の強化や人材の確保・教育を推進)が取り上げられている。

なお、各論(1)から(4)までに示す施策ごとに達成すべき成果目標(Key Performance Indication: KPI)が設定されており、世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発等に関する施策において再生医療では、2020年頃までのKPIとして、

- ・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用
- ・再生医療等製品の薬事承認数の増加
- ・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 約15件
- ・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化
- ・iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言

が挙げられている(図表1-2-3)。

達成すべき成果目標【KPI】	
※特記する場合を除き2020年頃までの達成目標	
1) 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発等に関する施策	
医薬品創出 <ul style="list-style-type: none"> 相談・シーズ評価 1500件 有望シーズへの創薬支援 200件 企業への導出(ライセンスアウト) 5件 創薬ターゲットの同定 10件 	オーダーメイド・ゲノム医療 <ul style="list-style-type: none"> 生活習慣病(糖尿病や脳卒中、心筋梗塞など)の劇的な改善 発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断の確立 認知症等のゲノム医療に係る臨床研究の開始 神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発 <p style="text-align: right;">※ 2020-30年頃までの達成目標</p>
医療機器開発 <ul style="list-style-type: none"> 医療機器の輸出額を倍増(平成23年約5千億円→約1兆円) 5種類以上の革新的医療機器の実用化 国内医療機器市場規模の拡大 3.2兆円 	疾患に対応した研究<がん> <ul style="list-style-type: none"> 5年以内に日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出 小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた6種類以上の治験への導出 小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加 いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消 小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立(3件以上のガイドラインを作成)
革新的な医療技術創出拠点 <ul style="list-style-type: none"> 医師主導治験届出数 年間40件 First in Human (FIH) 試験(企業治験含む) 年間40件 	疾患に対応した研究<精神・神経疾患> <ul style="list-style-type: none"> 日本発の認知症、うつ病等の精神疾患の根本治療薬候補の治験開始 精神疾患の客観的診断法の確立 精神疾患の適正な薬物治療法の確立 脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成
再生医療 <ul style="list-style-type: none"> iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用 再生医療等製品の薬事承認数の増加 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 約15件 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化 iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言 	

図表1-2-3 健康・医療戦略における施策ごとに達成すべき成果目標

(出典:平成26年7月10日第8回 健康・医療戦略参与会合資料3(抜粋))

<http://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/sanyokaigou/dai8/siryou3.pdf>

施策の推進では、(1)健康・医療戦略の推進体制、(2)関係者の役割及び相互の連携・協力、及び(3)健康・医療戦略に基づく施策の推進について記載されている。(1)健康・医療戦略の推進体制において、健康・医療戦略推進本部と日本医療研究開発機構が一体となって推進すること、施策の推進に当たっての5つの視点(政策の重点化、効果的・効率的な政策手段の採用、PDCA(Plan-do-check-act)の徹底、民間の活力、実行力)に基づくこと、及び、健康・医療戦略推進本部と日本医療研究開発機構の設置と役割について述べている。(2)関係者の役割及び相互の連携・協力においては、国、地方公共団体、大学等研究機関、事業者が相互に連携することの重要性を述べている。(3)健康・医療戦略に基づく施策の推進においては、諸施策を総合的かつ計画的に推進するための方策が述べられている。

2) 医療分野研究開発推進計画

医療分野研究開発推進計画は、医療分野研究開発等施策の集中的かつ計画的な推進を図るため、健康・医療戦略推進本部が、健康・医療戦略に即して策定するものである(医療分野研究開発推進計画2014)。また、健康・医療戦略推進法に基づき独立行政法人日本医療研究開発機構が、研究機関の能力を活用して行う医療分野の研究開発及びその環境の整備並びに研究機関における医療分野の研究開発及びその環境の整備の助成において中核的な役割を担うよう作成されている。なお、本計画は、今後、10年程度を視野に置いた2014年度からの5年間を対象としている。

本基本計画は、I. 医療分野研究開発等施策についての基本的な方針、II. 集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策、及びIII. 医療分野研究開発等施策を集中的かつ計画的に推進するために必要な事項から構成されている。

健康・医療に関する先端的研究開発に係る基本理念は、基礎的な研究開発から実用化のための研究

第1章

開発までの一貫した研究開発を推進すること、そして、その成果を円滑に実用化することにより、世界最高水準の医療の提供に資することである。これを踏まえ、医療分野研究開発推進計画における基本的な方針は以下のとおりとされた。

- (1) 基礎研究成果を実用化につなぐ体制の構築
- (2) 医薬品、医療機器開発の新たな仕組みの構築
- (3) エビデンスに基づく医療の実現に向けた取組
- (4) 健康医療情報の情報通信技術(ICT)の活用とその促進
- (5) 世界最先端の医療の実現に向けた取組
- (6) 国際的視点に基づく取組
- (7) 人材の育成
- (8) 公正な研究を行う仕組み及び倫理・法令・指針遵守のための環境整備
- (9) 研究基盤の整備
- (10) 知的財産のマネジメントへの取組

また、新たな医療分野の研究開発体制で行う取組として、日本医療研究開発機構に期待される機能(①医療に関する研究開発のマネジメント、②臨床研究及び治験データマネジメント、③実用化へ向けた支援、④研究開発の基盤整備に対する支援、及び⑤国際戦略の推進)、基礎研究から実用化へ一貫してつなぎ具体的な成果を目指す9つの連携プロジェクト(医薬品創出、医療機器開発、革新的な医療技術創出拠点、再生医療、オーダーメイド・ゲノム医療、がん、精神・神経疾患、新興・再興感染症、難病)の実施、共通基盤の整備・利活用、及び、質の高い臨床研究や治験を実施するために臨床研究中核病院の医療法上の位置付けを行うことが掲げられた。

再生医療で取り組むべき課題として、(1) 基礎研究成果を実用化につなぐ体制の構築(PMDAや国立医薬品食品衛生研究所と大学、研究機関等との連携強化、相談・承認審査・市販後安全対策等による創薬、医療機器開発の支援)、(5) 世界最先端の医療の実現に向けた取組(再生医療の実現)、(6) 国際的視点に基づく取組(規制等の国際整合：国際的な規制業務に係る人材の育成・体制の強化や国際標準提案)が挙げられている。特に、再生医療の実現に向けて、幹細胞を用いた再生医療や創薬研究における我が国の優位性を維持するための課題とこれを解決する施策について詳細に述べられている。課題として、世界に先駆けての自動大量培養装置など周辺装置等の開発、国際的な基準での製造・品質管理体制の構築などの産学連携、非臨床試験から製造販売承認までの切れ目ない長期支援と一貫したサポート、再生医療等製品の原料等の基準、iPS細胞由来分化細胞を用いた医薬品評価法並びに臨床研究及び治験の基準の策定と国際標準化、倫理的、法的及び社会的課題、iPS細胞を活用した創薬研究の強化とその基礎研究から実用化への産官学の連携による一貫性を持った推進などが挙げられている。

そのための施策は以下のとおりである。

「各省連携プロジェクト」

- ・再生医療の実現化ハイウェイ構想
- ・産学連携による世界に先駆けて自動大量培養装置や周辺装置等の開発、国際的な整合性がとれた基準での製造・品質管理体制を構築する事業の推進

- ・他家細胞移植治療の基礎研究、応用研究、臨床研究及び治験の加速
- ・高い品質を確保するための試験検査実施体制を構築
- ・iPS細胞由来分化細胞を用いた医薬品評価法の策定及び国際標準化
- ・iPS細胞を活用した創薬研究の強化に資する、産学連携による疾患特異的iPS細胞の樹立とストック、解析方法等の技術開発、疾患研究及び創薬研究の推進

「各省連携プロジェクト」以外の施策

- ・再生医療等製品の市販後の有効性及び安全性に係る情報収集基盤の構築
- ・再生医療等製品の原料等の基準並びに臨床研究及び治験の基準の策定

また、実現のために日本医療研究開発機構は、基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備ならびに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図っている。

1-2-3-4 健康・医療戦略推進本部の変遷

1)健康・医療戦略室の設置

2012年12月に民主党から自民党へ政権が交代した。自民党政権においても、政府は成長戦略の実現に向けて、一体となって取り組むに当たって、我が国が世界最先端の医療技術・サービスを実現し、健康寿命延伸を達成すると同時に、それにより医療、医薬品、医療機器を戦略産業として育成し、日本経済再生の柱とすることを旨とするため、2013年2月22日に「健康・医療戦略室」を内閣官房に設置した。なお、「医療イノベーション推進室」はこの設置に伴い廃止された。

2)健康・医療戦略推進本部の設置

2013年6月14日に取りまとめられた「健康・医療戦略(大臣申合せ)」に基づき、2013年8月2日に健康・医療戦略推進本部の設置が閣議決定され、健康・医療戦略(大臣申合せ)の推進及び司令塔機能の本部の役割として、医療分野の研究開発関連予算の総合的な予算要求配分調整等を担うこととされた(内閣 健康・医療戦略関係大臣申合せ 2013)。2014年5月23日に健康・医療戦略推進法の成立に伴い、平成26年6月10日からは法律に基づく本部として引き続き司令塔機能を担っている。

1-2-3-5 独立行政法人日本医療研究開発機構(Japan Agency for Medical Research and Development: AMED)の創設

「健康・医療戦略」において「健康長寿社会の実現」を理念の一つとしているが、そのためには革新的な医療技術の加速が必要である。しかし医療分野の研究開発には以下のような課題がある。

- ・ 文部科学省、厚生労働省、経済産業省がバラバラに研究開発を支援しているため、実用化のための研究を基礎段階から切れ目なく支援する体制の構築が十分でない。
- ・ 臨床研究・治験の実施に当たり、臨床データの収集や治験を進めるための体制が十分でないため、基礎研究の成果が新薬等につながるまで、時間がかかる。
- ・ 医薬品・医療機器関連分野の市場は、国内外ともに成長しているが、我が国の医薬品・医療機器の貿易赤字額は拡大傾向にある。

これらの課題を解決し、実用化に向けた研究開発を効果的・効率的に実施するためには医療分野の

研究開発を総合的に推進する司令塔機能が必要となり、基礎から実用化まで切れ目ない支援を実施する新たな独立行政法人として、平成27年4月1日付けで独立行政法人日本医療研究開発機構(Japan Agency for Medical Research and Development: AMED)が創設されることとなった。

1) 独立行政法人日本医療研究開発機構法

独立行政法人日本医療研究開発機構法(平成26年法律第49号)は、2014年5月23日に成立し、5月30日より施行された(図表1-2-4)(日本医療研究開発機構法 2014)。この法律は、独立行政法人日本医療研究開発機構の名称、目的、業務の範囲等に関する事項を定めることを目的とするものである。AMEDは、医療分野の研究開発における基礎的な研究開発から実用化のための研究開発までの一貫した研究開発の推進及び実用化並びに環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、医療分野研究開発推進計画に基づき、大学、研究機関などの能力を活用して行う医療分野の研究開発及びその環境の整備、研究機関における医療分野の研究開発及びその環境の整備の助成等の業務を行うことを目的としている。

独立行政法人日本医療研究開発機構法*

医療分野の研究開発及びその環境の整備の実施・助成等の業務を行うことを目的とする独立行政法人日本医療研究開発機構を設立することとし、その名称、目的、業務の範囲等について定める。

法律の概要

1. (独)日本医療研究開発機構の設立(第1条～第3条)

○ 医療分野の研究開発における基礎から実用化までの一貫した研究開発の推進・成果の円滑な実用化及び医療分野の研究開発のための環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、健康・医療戦略推進本部が作成する医療分野研究開発推進計画に基づき、医療分野の研究開発及びその環境の整備の実施、助成等の業務を行うことを目的とする。独立行政法人日本医療研究開発機構を設立し、その名称、目的、業務の範囲等に関する事項について定める。

2. (独)日本医療研究開発機構の業務(第16条)

① 医療分野の研究開発及びその環境の整備を行うこと
(例: 委託事業として、京都大学におけるiPS細胞を使った再生医療の研究及びその研究に必要な研究機器の整備を行うなど)

② ①の業務に係る成果を普及し、及びその活用を促進すること
(例: 医薬品開発における基礎的な研究の成果を製薬企業等に紹介し、実用化開発を促進するなど)

③ 医療分野の研究開発及びその環境の整備に対する助成を行うこと
(例: バイオ医薬品の製造技術の開発に対する補助、臨床研究を実施する上での体制の整備のための補助を行うなど)

④ ①～③の業務に附帯する業務を行うこと
(例: 国内外における研究開発・技術開発の動向調査、研究成果の広報、研究を通じた国際協力など)

3. 健康・医療戦略推進本部の関与(第8条・第20条)

○ 理事長及び監事の任命並びに中期目標の策定等に当たって、健康・医療戦略推進本部の意見を聴くこととする。

施行期日

○ 一部の規定を除き、公布日(平成26年5月30日)(附則第1条)(法人の設立は平成27年4月1日を予定)

* 「独立行政法人通則法の一部を改正する法律の施行に伴う関係法律の整備に関する法律」(平成26年法律第67号)により、平成27年4月1日施行で、法人の名称が「独立行政法人日本医療研究開発機構」から「国立研究開発法人日本医療研究開発機構」と変更になるほか、所要の改正がなされる。

図表1-2-4 独立行政法人日本医療研究開発機構法
(出典:平成26年12月8日 第9回健康・医療戦略参与会合資料)

なお、AMEDは、「独立行政法人通則法の一部を改正する法律の施行に伴う関係法律の整備に関する法律」(平成26年法律第67号)の規定により、2015年4月1日に「国立研究開発法人日本医療研究開発機構」に名称が変更される予定である。

2) AMEDの業務

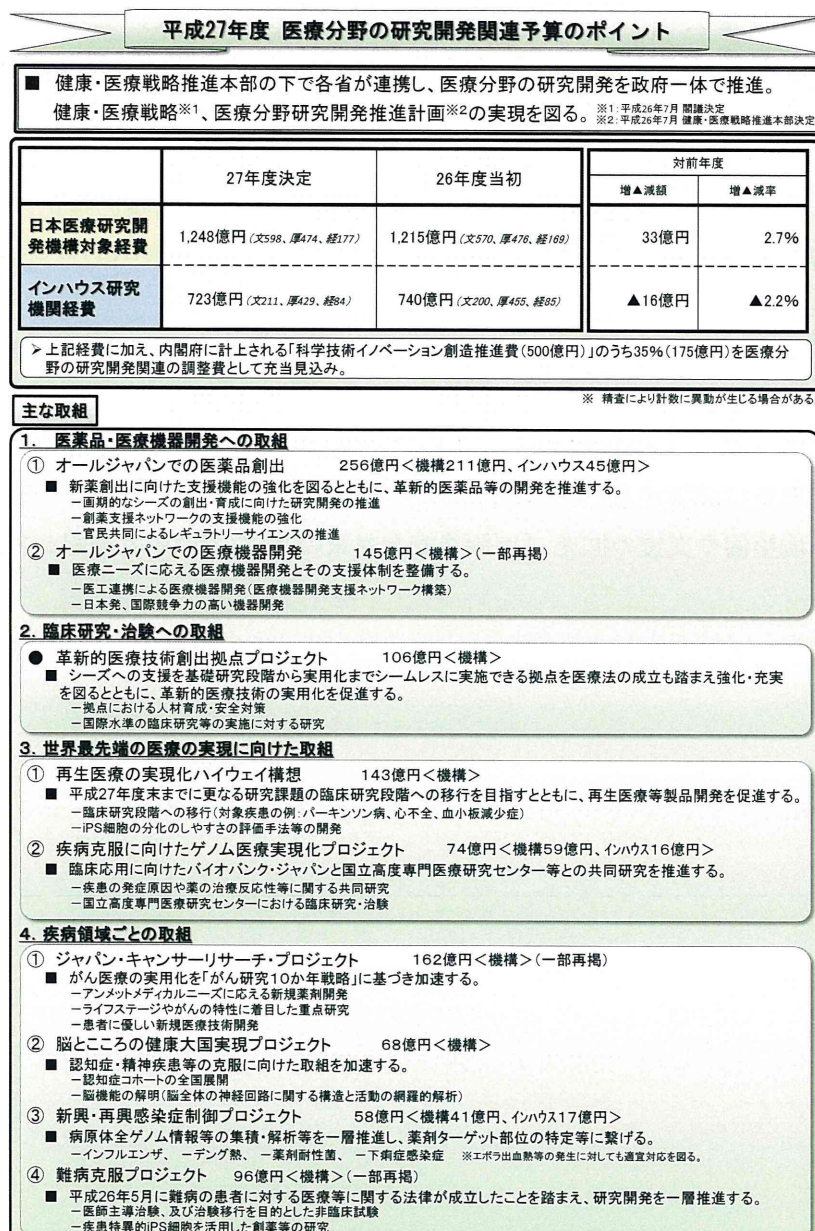
AMEDは、医療分野の研究開発及びその環境の整備の実施・助成等の業務を行うことを目的として設立される。AMEDに求められる機能としては、医療分野研究開発推進計画に基づくトップダウンの研究として医療に関する研究開発の実施および臨床研究等の基盤整備の推進と、産業化へ向けた支援、国際戦略の推進である。ミッションは、一貫した研究支援体制、3つの“Life(生命、生活、人生)”を包含した研究テーマの選定と育成、研究費の配分、超高齢社会における予防医療研究のモデルの発信である。

AMEDは、7プロジェクト(医薬品、再生医療、がん、脳と心、難病、感染症、研究企画)を包含する戦略推進部が他の5事業部(産学連携部、国際事業部、バイオバンク事業部、臨床研究・治験基盤事業部、創薬支援戦略部)との「縦横連携」によって医療の研究開発の全体最適化を目指すとしている。

AMEDは、文部科学省や厚生労働省が所管する独立行政法人の職員のほか、大学や企業の出身者が加わり、約300人体制であり、各部署に20～30人が配置される。

3) 平成27年度AMED関連予算

健康・医療戦略推進本部の下での平成27年度医療分野の研究開発関連予算要求は、日本医療研究開発機構対象経費に1,248億円、インハウス研究機関経費に723億円である。再生医療実現化ハイウェイ構想には医療研究開発機構対象経費より143億円が当てられる(図表1-2-5)。



図表1-2-5 平成27年度医療分野の研究開発関連予算のポイント

(出典:健康・医療戦略推進本部資料(平成27年1月14日))

(http://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/siryou/pdf/h27_yosan.pdf)

1-2-4 先駆けパッケージ戦略

厚生労働省ではこれらの法案整備を踏まえ、2013年12月に省内において厚生労働審議官を主査とする世界に先駆けて革新的医薬品等を実用化するためのプロジェクトチーム(先駆けPT)を立ち上げ、基礎研究から臨床研究・治験、承認審査・安全対策、保険適用、企業活動の基盤・環境整備、国際展開までをパッケージ化した戦略を策定した(厚労省 2014a)。

先駆けPTでは、手始めとして、医薬品分野を中心に省内関係部局で議論を行うとともに、業界及び有識者にヒアリングを行い、関係施策の検討を行ってきた。ここで取りまとめられた戦略は、医薬品産業ビジョンの具体化であるとともに、健康・医療戦略を厚生労働省の立場から実行するためのアクションプランという性格を持つものであり、

- ・ 世界に先駆けて日本で開発され、早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる革新的な医薬品について、優先審査し、早期の承認を目指す:「先駆け審査指定制度」
- ・ これまで「未承認薬・適応外薬検討会議」で、ドラッグ・ラグ解消のため、欧米で既承認の薬を国内企業に開発要請してきたが、既承認薬だけでなく、欧米で未承認の薬まで拡大するとともに企業が開発に着手しやすい環境を整える:「未承認薬迅速実用化スキーム」

などの施策を盛り込んでいる。また、研究開発の推進、審査体制・安全対策の強化、薬価制度、企業活動の基盤・環境整備及び国際展開の項目ごとに、厚生労働省として今後取り組むべき具体的な施策を記述されている。

なお、医薬品に限らず医療機器や再生医療等製品にも適用される取組については、その旨明記するとともに、先駆けPTで個別に検討した医療機器や再生医療等製品に関する施策についても戦略に盛り込まれている。再生医療に関するものでは、「最先端技術の実用化の筋道を示すレギュラトリーサイエンスの推進」では開発及び評価するためのガイドライン等の作成、「オーファンドラッグ等の開発支援のパッケージ化」では環境整備や支援の拡充、「市販後安全対策の強化」では患者登録システムの構築等がある。

1-3 再生医療三法の成立

再生医療三法とは、「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」(再生医療推進法、平成25年法律第13号)、「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」(医薬品医療機器法(改正薬事法)、昭和35年法律第145号、平成25年法律第84号により改正)および「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」(再生医療安全性確保法、平成25年法律第85号)であり、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に制定された(図表1-2-6)。

- | |
|---|
| <p>1. 再生医療推進法(H25.5)</p> <ul style="list-style-type: none"> ➢ <u>再生医療の実用化に向けて、研究開発や普及を促進する際の国の責務を明記した議員立法</u> <p>2. 医薬品医療機器等法(改正薬事法)(H25.11)</p> <ul style="list-style-type: none"> ➢ 新カテゴリー「<u>再生医療等製品</u>」の創設 ➢ 再生医療等製品の<u>条件及び期限付製造販売承認制度</u>導入 <p>3. 再生医療等安全性確保法(H25.11)</p> <ul style="list-style-type: none"> ➢ 医師・歯科医師、細胞加工を「<u>特定細胞加工物製造業者</u>」に委託可能に ➢ 再生医療等提供計画を厚生労働大臣等に提出=<u>国による監視</u> <p>4. 健康・医療戦略推進法(H26.5)</p> <ul style="list-style-type: none"> ➢ 「国は、医療分野の研究開発の成果の実用化に際し、その品質、有効性及び安全性を科学的知見に基づき適正かつ迅速に予測、評価及び判断することに関する科学の振興に必要な体制の整備、人材の確保、養成及び資質の向上その他の施策を講ずるものとする」 <p>5. 日本医療研究開発機構法(H26.5)</p> <ul style="list-style-type: none"> ➢ 医療分野の研究開発・環境整備の助成等の業務の一本化 |
|---|

図表1-2-6 再生医療に関連する法律 (佐藤陽治氏提供)

最近の再生医療分野の研究の発展は目覚しく、新たな医療としての国民の期待が大きい。しかしながら、再生医療は新たな技術であることによる安全性、ES細胞を用いた場合の倫理性、また、実用化がなかなか進まないなどの制度上の課題、および基礎研究から実用化研究へ進むための研究費あるいは創薬等の研究費の充実などの課題がある。これらを克服するために、再生医療に関する基礎研究から臨床段階までの切れ目ない一貫した支援・実用化の推進と基盤整備が求められている。「再生医療推進法」は、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に、その研究開発及び提供並びに普及の促進に関する基本理念、基本方針および基本施策などを定めたものであり、法的に再生医療の推進を後押ししている。

一方、薬事法においては、国民が受ける医療の質を向上させるため革新的医薬品・医療機器および再生医療の研究開発および実用化の促進は喫緊の課題であり、また、医薬品等による健康被害の再発防止のための安全対策の強化も併せて求められていた。さらに、2013年4月2日の日本経済再生本部において、薬事法改正法案と再生医療安全性確保法案の国会提出の総理指示を厚生労働大臣が受けた。これらを受け、医薬品、医療機器等の安全かつ迅速な提供の確保を図るため、①添付文書の届出義務の創設、②医療機器の登録認証機関による認証範囲の拡大、③再生医療等製品の条件及び期限付承認制度の創設等を内容とする薬事法の改正が行われた。

第 1 章

また、医師法の下での再生医療の実施は、臨床研究については大臣告知(ヒト幹細胞指針)で手続きが定められていたが、自由診療では国への手続きが無くどのような治療が行われているかの実態が不明であった。また、幹細胞投与後の死亡事例や無規制の日本へ海外から幹細胞を持ち込んで多数投与などの事例が認められていた。これに対応するために、「再生医療安全性確保法」において、再生医療等の迅速かつ安全な提供等を図るため、再生医療等を提供しようとする者が講ずべき措置および特定細胞加工物の製造の許可等の制度等が定められた。

1-4 「再生医療等製品原料基準」のあり方に関する検討 WG

改正薬事法案(平成 25 年 11 月 27 日公布)を受けて、「再生医療等製品」が第 3 のカテゴリーに位置づけられた。しかし、ヒトや動物に由来する成分を含む原材料等を使用した再生医療製品を製造・販売する場合、薬事法下ではヒトや動物に由来する成分は生物由来原料基準(平成 15 年厚生労働省告示第 210 号)を満たすことが必要とされる。再生医療等製品(特に細胞・組織加工製品)の実用化において「生物由来原料基準」を再生医療等製品に文字通りに適用した場合の運用上の問題点について、平成 25 年度厚生労働省「革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業(医薬品等審査迅速化事業補助金)の採択課題である『再生医療製品の臨床応用に向けた評価方法』に関する指針作成を目指した研究」(総括研究代表者 大阪大学大学院医学系研究科 澤芳樹教授)／分担研究班(再生医療等製品原料基準検討 WG)代表 国衛研 遺伝子細胞医薬部 佐藤陽治部長)で分析し、課題とその合理的対応策を提言として報告書にまとめている(厚労省 2014b)。これを受けて、2014 年 10 月 2 日付け薬食発 1002 第 27 号で「生物由来原料基準の一部を改正する件について」が発出された(厚労省 2014c)。

1-5 再生医療実用化・事業化の取組み

再生医療の実用化に向けて文部科学省、厚生労働省及び経済産業省の各省庁が単独あるいは連携してプログラムを推進している。

1-5-1 文部科学省／科学技術振興機構による再生医療実現拠点ネットワークプログラム

再生医療実現拠点ネットワークプログラムは、国際競争が激化しているiPS細胞等を使った再生医療について、我が国のアドバンテージを活かし、世界に先駆けて臨床応用をするべく研究開発を加速させることを目的として、平成25年度(2013年度)より(独)科学技術振興機構(JST)により推進されているプログラムである。iPS細胞等による再生医療を世界に先駆けて実現化するために、平成20年度より文部科学省が開始していた「再生医療の実現化プロジェクト(第2期)」を引き継いだものである。

プログラム構成を図表1-2-7に示す。疾患・組織別実用化研究拠点では、「iPS細胞中核研究拠点」で作製される再生医療用iPS細胞等を用いて、臨床研究を実施するために必要な研究開発と臨床応用を行う拠点を構築することを目的とする。既に基本的な技術開発が完了しており5年以内の臨床応用を目指す拠点(拠点A)と臨床応用までに技術的ブレークスルーが必要な拠点(拠点B)の2種類があり、図表1-2-8に示す施設で推進されている。

① iPS細胞研究中核拠点

- ・臨床応用を見据えた安全性・標準化に関する研究等
- ・再生医療用iPS細胞ストックを構築

② 疾患・組織別実用化研究拠点(技術開発個別課題)

- ・再生医療の実現を目指す研究体制を構築

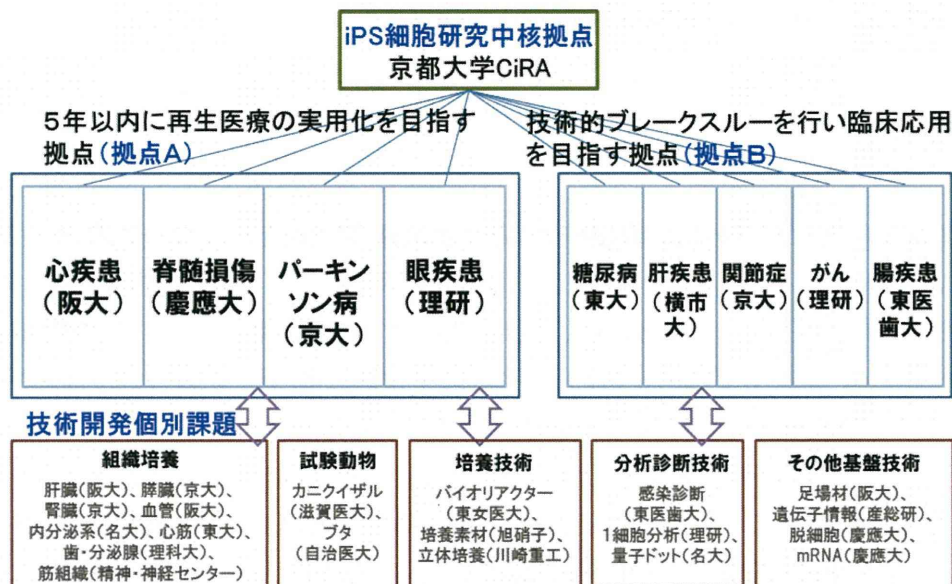
③ 再生医療の実現化ハイウェイ

- ・関係省庁が連続的に再生医療研究を支援(平成23年度から実施)

④ 疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究

- ・患者由来のiPS細胞を用いて疾患発症機構の解明、創薬研究等を実施(平成24年度から実施)

図表1-2-7 再生医療実現拠点ネットワークプログラムの構成(片倉健男氏提供)



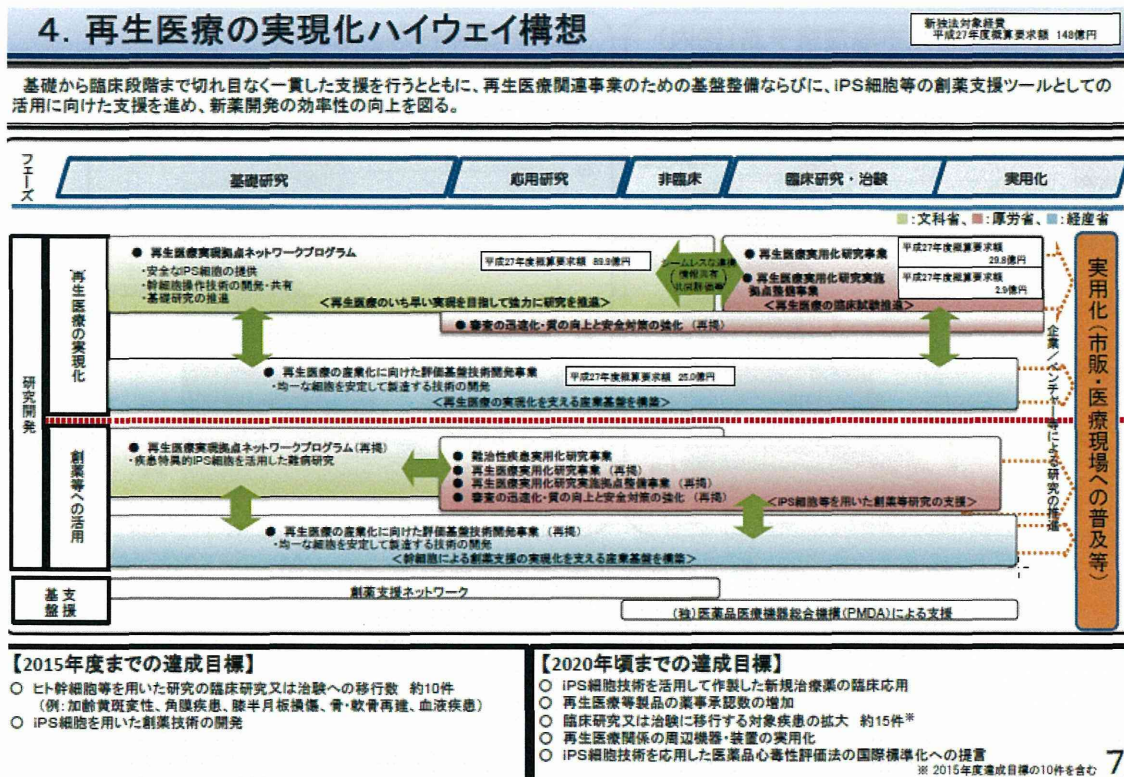
図表1-2-8 疾患・組織別実用化研究拠点(片倉健男氏提供)

また、再生医療の実現化ハイウェイおよび疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究については、平成25年度より文科省に代わりJSTが支援・推進している。

1-5-2 文部科学省、厚生労働省および経済産業省の連携による「再生医療の実現化ハイウェイ」構想

「新成長戦略」が平成22年6月に閣議決定され、その中で再生医療の研究開発および実用化を促進することによるライフイノベーション創出の重要性が示されている。それを受けて、文部科学省、厚生労働省および経済産業省は協働してiPS細胞等の研究を中心とした再生医療の基礎から臨床開発まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに再生医療関連事業のための基礎整備ならびに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図ることを目的に「再生医療の実現化ハイウェイ」構想を平成23年度から開始している。

本構想では、2015年度までの達成目標として、ヒト幹細胞等を用いた研究の臨床研究または治験への移行数、約10件(例:加齢黄斑変性、角膜疾患など)およびiPS細胞を用いた創薬技術の開発、を挙げている(図表1-2-9)。



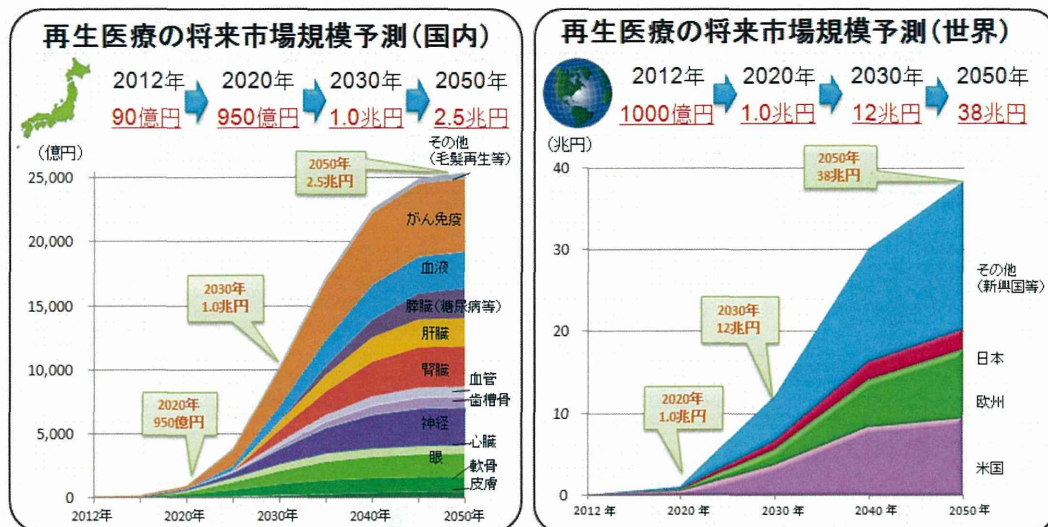
図表1-2-9 再生医療の実現化ハイウェイ構想

(出典:平成26年12月8日 第9回健康・医療戦略参与会合資料
<http://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/sanyokaigou/dai9/siryou2.pdf>)

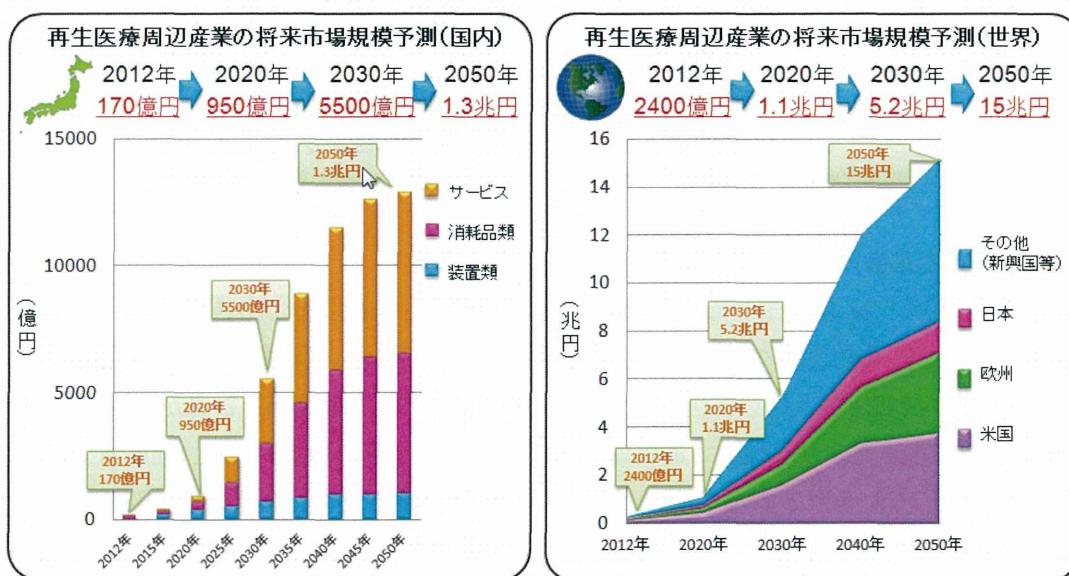
1-5-3 経済産業省による再生医療実用化・産業化の取組み

再生医療は、様々な関連産業が支えており、我が国が強みとするものづくり技術を活かすことが期待される。経済産業省は、再生医療の実用化・産業化を促進するとともに、これを支える各種関連技術分野の充実を図るための制度及び支援のあり方について検討を行うため、2012年7月から「再生医療の実用化・産業化に関する研究会」を開催し、最終報告書を2013年2月に取りまとめた(経産省2013)。

報告書によると、再生医療の市場予測は、2050年には国内2.5兆円、世界38兆円(図表1-2-10)、再生医療関連装置類や消耗品、サービス類等の周辺産業は国内1.3兆円、世界15兆円市場となり、いずれも非常に大きな経済効果が期待されるとある(図表1-2-11)。

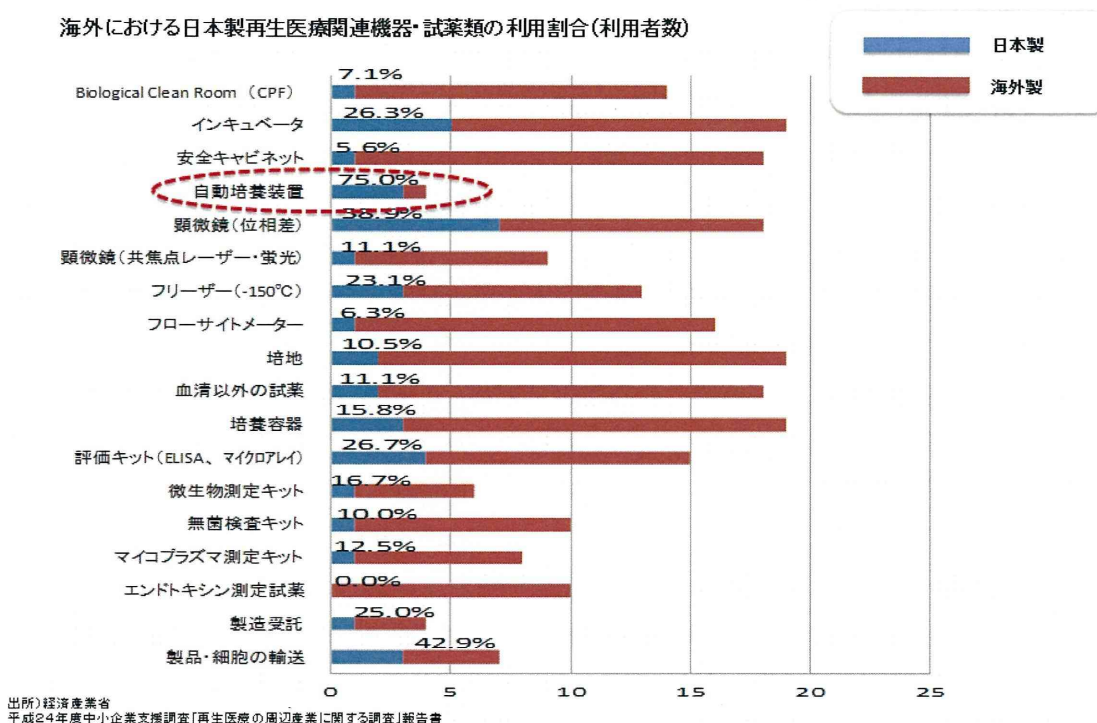


図表 1-2-10 国内外の再生医療の将来市場規模予測
(出典:再生医療の実用化・産業化に関する研究会報告書最終とりまとめ
<http://www.meti.go.jp/press/2012/02/20130222004/20130222004-2.pdf>)



図表 1-2-11 再生医療の周辺産業の将来市場規模予測
(出典:再生医療の実用化・産業化に関する研究会報告書最終とりまとめ
<http://www.meti.go.jp/press/2012/02/20130222004/20130222004-2.pdf>)

また、日本の再生医療周辺産業は、自動培養装置等の技術、製品の強み、再生医療新法による細胞加工委託等の機会がある一方、培地や試薬等の消耗品のシェアが低い弱みがあり、国際標準化の動きも欧米先行の恐れが指摘されている(図表 1-2-12)(経産省 2012)。



図表1-2-12 日本製の再生医療関連機器・試薬類の使用状況(江崎禎英氏提供)
(出典:経済産業省 平成24年度中小企業支援調査「再生医療の周辺産業に関する調査」報告書)

さらに、本報告書では、我が国の再生医療への取り組みは、研究活動はトップレベルにあるものの、実用化においては欧米等の格差が懸念される状況にあり、再生医療の特性を踏まえた安全性等の基準の整備や、細胞加工や品質管理を効率的に行うための制度的枠組みの構築、ビジネスモデルが描ける事業環境整備が急務との観点から、①医師法・医療法の下での再生医療に必要となる細胞・組織の加工業務についての医師・医療機関から外部の細胞加工業者に委託できる制度の整備および細胞加工業者の適性確保のための第三者認証等の適正を担保する仕組みの整備、②薬事法の下での、再生医療製品の安全性の確認・有効性の推定を前提とする早期承認制度の導入や、再生医療の特性を踏まえた安全性等の基準の整備が提言され、この提言を下に厚生労働省と共同で、「再生医療安全性確保法」の制定および「医薬品医療機器法」の改正に取り組んだ省連携の経緯も述べられている。また、今後の課題として、

- ・再生医療の治療の特性に対する理解の促進
- ・細胞加工機関に求められる基準と担保措置の整備
- ・再生医療の審査手続きの合理化・透明化
- ・再生医療の実用化のための技術開発
- ・市場拡大に向けた業界団体(FIRM: 再生医療イノベーションフォーラム)における取組の活性化
- ・再生医療の特性に適したリスク・費用負担の検討

を挙げている(経産省 2013)。

また、経済産業省は2014年5月15日、日本企業が国際標準化を主導していくため、官民が連携して取り組むべき具体策を「標準化官民戦略」としてまとめた。医療分野では、再生医療産業を重要分野と位置づけ、世界に通用する再生医療の認証基盤を整備すること、等を盛り込んでいる。

1-5-4 地方公共団体の取組み

健康・医療戦略にて、施策の推進における地方公共団体の役割及び連携・協力について述べられている。地方公共団体においては、地域独自の実情に合わせた先駆的な取組が行われてきている。

1) 神奈川県: 神奈川県では、以下のような先駆的な取組がなされている。

個別化医療・予防医療・再生医療等次世代医療に向けた最先端研究や次世代レギュラトリーサイエンス研究の推進や臨床研究及び治験の質の向上

- (1) 今後、大きな成長が見込まれる再生・細胞医療分野の研究から事業化までを一貫して支援するライフイノベーションセンター(仮称)の整備
- (2) 最先端技術を活用した医療機器の早期市場展開と評価基準の構築を図るため、新たなレギュラトリーサイエンスの構築に向けた研究、実証実験を行うメディカルデバイス・レギュラトリーサイエンス・センター(仮称)の整備

2) 関西圏: 関西圏では、以下のような先駆的な取組がなされている。

- (1) 関西の臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点にて、先進医療の評価迅速化等を具体化し、がん・循環器病の治療、iPS細胞等を用いた再生医療などの分野において、我が国発の革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品の研究開発を推進する取組み
- (2) 世界初のiPS細胞から作製した網膜色素上皮細胞を用いた加齢黄斑変性症の網膜再生治療をはじめとする最先端の医療技術の実用化促進等を図る医療拠点を整備し、革新的な臨床研究を推進する取組み

【参考資料】

- ・ (Nature 2010) Nature 2010 年 11 月 25 日号
<http://www.nature.com/news/2010/101123/full/468485a.html>
- ・ (Takahashi & Yamanaka 2006) Takahashi K, Yamanaka S. Induction of pluripotent stem cells from mouse embryonic and adult fibroblast cultures by defined factors. Cell, 126:663-676 (2006).
- ・ (Takahashi 2007) Takahashi K, Tanabe K, Ohnuki M, Narita M, Ichisaka T, Tomoda K, Yamanaka S. Induction of pluripotent stem cells from adult human fibroblasts by defined factors. Cell. 131(5):861-872 (2007)
- ・ (医薬品医療機器法) 厚生労働省 HP
- ・ (医療研究分野研究開発推進計画 2014) 首相官邸 HP 健康・医療戦略推進本部(第二回)資料 2
http://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryousuisin/suisin_dai2/siryousuisin2.pdf
- ・ (科学技術基本計画 2011) 内閣府 HP 科学技術基本計画
<http://www8.cao.go.jp/cstp/kihonkeikaku/index4.html>
- ・ (経産省 2012) 平成 24 年度中小企業支援調査「再生医療の周辺産業に関する調査」報告書
http://www.meti.go.jp/meti_lib/report/2013fy/E002735.pdf
- ・ (経産省 2013) 再生医療の実用化・産業化に関する報告書 最終とりまとめ

- <http://www.meti.go.jp/press/2012/02/20130222004/20130222004-2.pdf>
- (健康・医療戦略 2014) 首相官邸 HP 健康・医療戦略推進本部 健康・医療戦略
<http://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryousuisin/ketteisiryou/dai2/siryou1.pdf>
 - (健康・医療戦略関係大臣申合せ 2013) 首相官邸 HP 健康・医療戦略推進本部 健康・医療戦略
<http://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryousenryaku/senryaku.pdf>
 - (健康・医療戦略推進法 2014) 国立印刷局 HP 官報 平成 26 年 5 月 30 日付(号外第 119 号)
http://kanpou.npb.go.jp/20140530_old/20140530g00119/20140530g001190048f.html
 - (厚労省 2014a) 先駆けパッケージ戦略 世界に先駆けて革新的医薬品等の実用化を促進するための省内 PT 平成 26 年 6 月 17 日
http://www.mhlw.go.jp/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryoyiyakuhin/topics/dl/tp140729-01-02.pdf
 - (厚労省 2014b) 「再生医療等製品原料基準」のあり方に関する検討 WG 報告書
<http://www.nihs.go.jp/cgtp/cgtp/sec2/sispsc/html/index.html>
 - (厚労省 2014c) 薬食発 1002 第 27 号で「生物由来原料基準の一部を改正する件について」
http://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-11120000-Iyakushokuhinkyoku/seigenki_unyotuchi.pdf
 - (再生医療推進法) 厚生労働省 HP
 - (再生医療安全性確保法) 厚生労働省 HP
 - (総合科学技術会議 2008) 総合科学技術会議基本政策推進専門調査会 社会還元加速プロジェクト 「1. 失われた人体機能を再生する医療の実現」 (平成 20 年 5 月 15 日)
<http://www8.cao.go.jp/cstp/tyousakai/suisin/haihu09/haihu-si09.html>
 - (日本医療研究開発機構法 2014) 国立印刷局 HP 官報 平成 26 年 5 月 30 日付(号外 第 119 号)
http://kanpou.npb.go.jp/20140530_old/20140530g00119/20140530g001190051f.html
 - (内閣 日本再興戦略 改定 2014、2014) 首相官邸 HP
<http://www.kantei.go.jp/jp/singi/keizaisaisei/pdf/honbun2JP.pdf>
 - (日本再興戦略 2013) 首相官邸 HP
http://www.kantei.go.jp/jp/kakugikettei/2013/_icsFiles/fieldfile/2013/06/20/20130614-04.pdf
 - (日本再生医療学会 2011a) 日本再生医療学会 平成 23 年 1 月 26 日 提言・声明
<http://www.asas.or.jp/jsrm/announcements/110201.html>
 - (日本再生医療学会 2012a) 日本再生医療学会 2012 年 6 月 13 日 提言・声明
<http://www.asas.or.jp/jsrm/announcements/120613.html>
 - (日本再生医療学会 2014a) 2014 年 3 月 4 日 日本再生医療学会 提言・声明
<http://www.asas.or.jp/jsrm/announcements/140311.html>
 - (理研 2014) 理研 HP <http://www.riken-ibri.jp/AMD/>
 - (薬事法の一部改正) 厚生労働省 HP