

序章



再生医療等製品の実用化に向けて

再生医療は、機能不全となった細胞や組織を再生させ、これまで有効な治療法がなかった疾患が治療できるようになる等、医療の質を向上させるものと考えられており、患者・国民の皆様からの期待は非常に大きい。こうした中、我が国では「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)が議員立法により平成25年に成立、公布されている。本法律では、国の責務を明確にし、最先端の科学的知見を活かした再生医療を利用する機会を国民に提供すると明記しており、迅速かつ安全な研究開発等に関する政府の基本方針の策定や必要な法制上、財政上、税制上の措置等を義務付けている。

我が国ではこれまでに、薬事承認に向けた細胞・組織加工製品の開発の品質、安全性の確保については平成11年以降、確認申請制度(平成23年に廃止)に基づき、また、ヒト幹細胞を用いる臨床研究については平成18年に発出された行政指針に基づき実施されてきた。再生医療の安全性及び倫理性を確保しつつ、国内での実用化や研究開発を推進していくためには、承認品目数、制度の国内外差、医療ツーリズムでの外国人患者に対する事故等のこれまでの現状を踏まえ、薬事承認制度とは別に、細胞の培養加工の安全かつ効率的な実施を可能とする必要があった。また、患者にいち早く再生医療を届けるために、法律に基づく実効性のある仕組みを構築することが社会的な要請として認識されるようになった。そこで薬事法については、主として企業が開発する細胞・組織加工製品等の特徴や特性を踏まえた規制を構築すること等を目的として、平成25年に「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)に改正、臨床研究や自由診療として提供されていた再生医療等技術については、安全性等の確保を目的として「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」(再生医療等安全性確保法)が成立し、平成26年11月25日に同時施行された。本書は、これら2法のうち、医薬品医療機器法下における再生医療(再生医療等製品)の開発に際しての留意事項を中心に編纂されている。

再生医療等製品にかかる治験開始に向けて、確認申請制度の廃止以降、開発者には(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)が実施している薬事戦略相談制度を活用いただいている。平

第1章



再生医療等製品における
規制要件変更の留意事項

はじめに

平成25年11月、薬事法については、「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」(以下、「医薬品医療機器法」)に改正・公布され、医薬品や医療機器とは別に新たに再生医療等製品の項を設け、再生医療の研究開発及び実用化推進のため、再生医療等製品の特性を踏まえた規制の構築がなされた。本章では、再生医療等製品の規制要件変更の留意事項について概説する。なお、本稿は筆者の個人的見解に基づくものであり、(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)の公式見解を示すものではない。

1. 規制の動向

平成25年5月、「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」(法律第13号)が議員立法により施行された。本法律では、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施策に関する基本事項(国等の責務、基本方針、基本的政策、並びに安全面及び倫理面の配慮等)が明記された。同年、再生医療の研究開発から実用化までの施策の総合的な促進を図るため、薬事法については再生医療等製品の特性を踏まえた承認・許可制度を新設するための改正が行われた(平成26年11月25日施行「医薬品医療機器法」)。また、医師の責任の下で細胞が加工・提供される再生医療等技術については、再生医療等の安全性の確保等を図るため、再生医療等の提供機関及び細胞培養加工施設についての基準を新たに設けることを目的とし、「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」(以下、「再生医療等安全性確保法」)が設立された(平成26年11月25日施行)(図1)。

第2章

再生医療等製品の製法開発と品質特性解析
～品質評価と安全性～

はじめに

20世紀の終わり頃から生きた細胞を用いて様々な疾患の治療に用いる細胞治療の開発が進み、我が国では神経の再生や心筋細胞の再生といった面が強調され再生医療として多種多様な細胞を用いた治療法が開発されつつある。さらに、iPS細胞¹⁾の発見やES細胞^{2,3)}を用いてあらゆる臓器の細胞を*in vitro*で誘導できる可能性が示され、多くの国民がその実用化を期待している。我が国のみならず世界各国で再生医療等製品の実用化がスタートしており、また、多数の臨床開発中の製品があり、iPS細胞の発見国として世界的な再生医療等製品の開発をリードしていくべきとの期待から、再生医療の開発を促進する施策が求められていた。

生きている細胞をその本質とする再生医療等製品の開発においては、通常の医薬品のような無菌工程やウイルスクリアランス工程を導入することは不可能であり、感染症に対する対策が安全性確保の重要な柱となっている。再生医療等製品の感染症対策としては出発材料である細胞・組織の検査、製造で用いる培地等を構成する生物由来原材料について汚染のないものを用いること、製造工程での適切な管理、最終製品での試験等が挙げられる。さらに同種由来で細胞バンクやセルストックを構成するような製品の場合には、細胞バンク等で広範なウイルス試験を実施する必要がある。

特にウイルス安全性に関して、試験において検出限界があること、さらにはいくつかのウイルスは潜在化する可能性があることから多面的な評価が重要となる。本章ではウイルス安全性を中心に再生医療等製品の品質や安全性確保のためにどのような点に注意すべきかを概説する。

また、ウイルス等の感染因子に対する安全性確保を含めて再生医療等製品については複数の指針が発出されているが、他章でこれらの指針について触れられていることからあえて引用はしていないが、是非指針について解説している章を参考にされたい。また、感染症のみならずエンドトキシンや細胞の純度、生細胞率等、安全性や品質特性に関する点についても簡単に触れてみる。

1. 製法開発と品質特性解析

再生医療等製品の開発では、目的とする細胞は例えば間葉系幹細胞、軟骨細胞、筋芽細胞等、それぞれ対象を明確にして開発が進められることが多い。しかし、自己・同種にかかわらず、採取、培養、加工等の操作を経て目的とした細胞であることを確認していくことになるが、

第3章



再生医療等製品における
非臨床試験時の試験デザイン設計

はじめに

再生医療等製品(ヒト細胞加工製品)の開発は、従来の医薬品と同様に、動物及びヒトから得られた安全性・有効性についての情報を評価しながら段階的に進められる。非臨床試験は、当該製品がヒトに投与される際の、安全性上の問題の有無についての情報や効力又は性能を裏付ける情報を把握するために行われる。適切に性能が検証された *in vitro* や *in vivo* 試験を実施することにより、これらの情報を収集する。しかしながら、ヒト細胞加工製品はその特性、態様、適用法、対象疾患などが多様であることから、非臨床試験において評価すべき内容は、製品ごとにケース・バイ・ケースで計画することが合理的と考えられる。

本章では、ヒト細胞加工製品の品質・安全性評価のために実施する非臨床試験を設定する際に留意すべき事項について、現時点での最新の科学的知見を踏まえて概説する。

1. 非臨床 POC 試験(効力又は性能を裏付ける試験)

非臨床 POC 試験は、開発されるヒト細胞加工製品の機能発現、作用持続性及び臨床効果の実現可能性(Proof of Concept, POC)を示す試験であり、製品開発の開始・継続の意思決定や製品の規格設定、臨床投与用量の設定などにおいて重要な役割を持つ。基本的には、個別製品に対するケース・バイ・ケースのアプローチになるが、一般的留意事項としては、①技術的に可能で、科学的に合理的な範囲で、実験動物や細胞などを用い、ヒト細胞加工製品の機能発現、作用持続性及び期待される臨床効果の POC を示すこと、②遺伝子導入細胞にあつては、導入遺伝子からの目的産物の発現効率及び発現の持続性、導入遺伝子の発現産物の生物活性並びに医薬品として期待される臨床効果の POC を示すこと、③適切な製品モデル/疾患モデル動物がある場合には、それを合理的に活用し治療効果を検討すること、④当該製品の効力又は性能による治療が、他の治療法と比較したとき、はるかに優れて期待できることが国内外の文献又は知見などにより合理的に明らかにされている場合には、治験開始段階における詳細な実験的検討は必ずしも必要とされないこと、などが挙げられる¹⁾。

第4章



再生医療等製品における臨床試験時の留意事項

はじめに

再生医療は、細胞を用いて、疾病や外傷等によって失われた臓器や機能の再建を目的とする医療であり、これまで治療困難であった疾病や外傷を治療できる可能性を持つことから、国民の期待も高い分野である。平成26年11月に改正薬事法である「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；薬機法)が施行され、再生医療に用いられる細胞・組織加工製品の特徴を踏まえて、新たに再生医療等製品というカテゴリーが設けられた。これまでの医薬品、医療機器とは異なる概念として、その開発に関しても新たな考え方が必要となってきた¹⁾。特に、再生医療等製品には条件及び期限付承認制度が導入され、承認に必要な臨床試験のデータのあり方についても、再生医療等製品の特徴を踏まえた考え方が求められるようになった。また、再生医療等製品には細胞・組織加工製品に加え、遺伝子治療用製品も含まれており、製品の特徴が異なることから、その特徴を踏まえた臨床試験を構築する必要もある。本章では、これまでの開発の経験も踏まえて、新しい概念である再生医療等製品の臨床試験のあり方について、検討、解説を行うこととする。

1. 細胞・組織加工製品の特徴と臨床試験での注意事項

細胞・組織加工製品の特徴の一つとして、その原料として用いられる細胞が自己由来であるか、同種由来であるかによってその特徴が異なることが挙げられる。自己由来の細胞であれば、その工程に他の生物由来原料が用いられない限り、未知の感染症のリスクは存在しないこととなり、免疫原性も大きな問題にはなりにくい。しかし、自己由来の細胞であるからこそ、細胞の造腫瘍性は、同種の細胞を用いるよりも生着率が高いことが予想されるため、注意を払う必要がある。逆に同種由来の細胞を用いる場合は、ドナーに由来する感染症の伝播のリスクや、免疫原性の問題が生じるため、臨床試験における安全性の評価の際にも特に注意して行う必要がある。また、治験製品の製造に係る期間の考え方も医薬品とは異なる特徴を有している。医薬品ではあらかじめ治験薬は製造されていることから、通常同意取得から適格性評価を行い、エントリーされた被験者に対して治験薬等を投与することになる。しかし、特に自己由来細胞を用いる場合は、自己組織採取の前から治験が開始されることから、

第5章



GCTP 省令下における構造設備・製造管理
～従来無菌管理との相違点～

はじめに

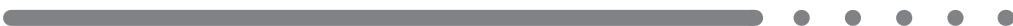
再生医療は、極めて新しい治療技術であり、その分類についての考え方はさまざまである。その中で、近年の法令¹⁻⁵⁾では、身体機能の回復あるいは治療を目的とし、患部に注入・移植することにより失われた機能を回復させる、治療用の細胞・組織等について、再生医療等製品（あるいは、特定細胞加工物）と定義している。このとき、機能化された目的細胞を大量に確保するためには、生体外での培養あるいは遺伝子導入等、「加工」⁶⁻⁸⁾と定義される特性改変を施すことが不可欠となる。生きた細胞を取り扱い製品とする、多くの再生医療等製品の製造に共通する特徴として、最終製品にて滅菌処理を施すことができないことが挙げられる。そのため、全工程を通しての無菌操作手順及び出荷時の適切な無菌保証体制の構築が課題となる。加えて、内在性汚染の可能性が否定できない原料を用いた小ロットあるいはロットを構成しない製品では、複数のバッチ製造が並行して実施されることが想定されるため、交差汚染リスクの排除を含む、封じ込めの対策が不可欠とされている。

GCTP省令(再生医療等製品の製造管理及び品質管理の基準に関する省令)³⁾における再生医療等製品の製造では、一般的に、細胞培養加工施設(Cell Processing Facility：CPF)と呼ばれる特殊な製造所の準備と、その適切な運用が要求されている。CPFの要件としては、無菌操作環境維持による雑菌等(外因性)汚染の防止、必要最小限の封じ込めによる(内在性)汚染拡散の防止、並びに工程作業後のチェンジオーバー時における適切な運用による交差汚染の防止が挙げられ、構造(ハードウェア)と管理(ソフトウェア)の両立によってのみ安全な運用が成立する。

CPFは、製造管理のための区域のほか、衛生管理や品質管理を行うための区域等も備えており、医師法/医療法下で施行される再生医療等安全性確保法²⁾では「細胞培養加工施設」の表現であるが、医薬品医療機器等法¹⁾では薬局等構造設備規則⁹⁾にて「製造所」と表現されている。いずれも無菌医薬品製造のクリーンルーム¹⁰⁾と近似の外因性の汚染を排除可能な基本構造を示しており、一般的な要求性能において両者に差異はない。

本章では、再生医療等製品の製造において求められるCPFの要件と、その具体例及び管理手順の構築について概説する。また、現行で主流となっている、無菌操作等区域に安全キャビネットを採用するCPFにおける課題を理解する目的で、アイソレータ技術及び工程の自動化を利用する可能性についても紹介する。

第6章



再生医療等の現場における
原材料及び細胞加工物等の輸送上の留意点

はじめに

2016年4月14日及び16日に発生した熊本地震, 2011年3月11日の東日本大震災のように, 日本経済にも大きなダメージを与えたこれらの大災害で, 改めて注目されたのが物流の存在だった。救援物資の調達網もそうであったが, 製造業にあってはサプライチェーンが混乱し, 部品調達が滞り, 結果大きな損害を被った大企業があったのは周知の事実である。物流は, 経済活動のバックヤードとして普段あまり目立たない存在ではあるが, これが機能不全状態に陥ると, せっかく生産された素晴らしい製品も我々の手に届かなくなる。人間の身体でいえば, 血液を循環させるために重要な血管の役割を担っているのが物流といえる。

物流は, 「物的流通」の略語である。その機能には輸送の他に, 保管・荷役・包装・在庫管理・受発注処理・流通加工がある¹⁾。そしてこの物流を含め, 顧客の需要に応じて調達, 生産, 販売, 回収, 廃棄等の活動を同期化するためのマネジメントを「ロジスティクス」と定義²⁾している。元々ロジスティクスは, 戦時下において物資拠点から最前線の部隊に, 武器・弾薬や食料等を供給する「兵站」を語源としている。従って, 最も効果的なロジスティクスとは, 必要なものを, 必要なときに, 必要なところへ, 必要なだけ, 必要な状態で, できるだけ効率的に供給するマネジメントということになる。この概念は, 再生医療等の現場においても, 関わっている様々な物流事業者や各関係部署の果たすべき役割を象徴していると考えられる。特に再生医療等の現場における輸送では, 「必要な状態で」という要素が最も重要になる。

製造業では, 一般的に生産段階における原料調達を担う物流を「調達物流」という。また, 工場で製造された製品が一旦保管される倉庫までの物流を「社内物流」, 更に, そこからユーザーに届くまでの物流を「販売物流」として領域別に物流を定義しており, その他「回収(返品)物流」や「廃棄物流」等を加えた物流活動全般を「ビジネス・ロジスティクス」(図1)と呼ぶ。それぞれの領域で輸送手段や管理ポイントも異なるが, 先に述べたとおり, あるべきロジスティクスは, 更に調達先の企業まで含めたサプライチェーン全体を最適化することを目指している。しかし, 実際これを実現するのは至難の業であり, 企業は必死の努力を続けている。再生医療等の現場における物流を考える上でも, 原材料となる組織や細胞等を医療機関からCPC等の培養加工施設まで運ぶ調達, 培養加工後の細胞加工物が一旦保管される場所までの移動, 更に保管場所からクライアントへ届くまでの物流等を, それぞれ個別の管理ではなく全体最適を実現することが望ましいと考えるが, まだまだ未成熟な市場でもあり, 現段階では, まず部

第7章

再生医療等製品の条件及び期限付承認制度と
製造販売後承認条件評価について

はじめに

我が国では、最先端の科学的知見を活かした再生医療を利用する機会を国民に提供することを目的に、迅速かつ安全な研究開発等に関する政府の基本方針の策定や必要な法制上、財政上、税制上の措置等を義務付けた「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」(再生医療推進法)が議員立法により平成25年に成立、公布された。それを受けて平成25年に薬事法は、主として企業が開発する細胞・組織加工製品等の特徴や特性を踏まえた規制を構築すること等を目的として、医薬品・医療機器とは異なる「再生医療等製品」を新たに定義付けした「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保に関する法律」(医薬品医療機器法)に改正され、平成26年11月25日に施行された。

再生医療等製品の定義は、「1) ヒト・動物の細胞に培養等の加工を施したものであって、① 身体の構造・機能の再建・修復・形成や、② 疾病の治療・予防を目的として使用するもの、又は、2) 遺伝子治療を目的として、ヒト・動物の細胞に導入して使用するもの」とされている。再生医療等製品において新たに導入された規制の枠組みとして最も特徴的な「条件及び期限付承認制度」の他にも、製造販売後の安全対策等として次のような整備が行われた。

- ① 条件及び期限付承認後に改めて行う承認申請に向けて、実臨床における患者での安全性及び有効性情報の収集・評価を行うこと(製造販売承認条件評価¹⁾)
- ② 製品の使用に際しての条件として、医師及び医療機関に限定すること
- ③ 医師等は、製品の使用にあたって患者に対して適切な説明を行い、使用の「同意」を得るよう努めること
- ④ 厚生労働大臣が指定した再生医療等製品(指定再生医療等製品)については、製造販売業者は長期に記録を保存するとともに、医療機関も使用の対象者等について記録・保存しなければならないこと(記録の保存については、従来、医薬品、医療機器において設けられていた「特定生物由来製品」に相当するもの)
- ⑤ 再生医療等製品の特性に合わせた製造管理又は品質管理の基準(Good Gene, Cellular and Tissue-based Products Manufacturing Practice : GCTP)等の制定
- ⑥ 再生医療等製品による健康被害について、副作用被害救済制度及び感染等被害救済制度の対象とした(同時に改正された「独立行政法人医薬品医療機器総合機構法」による)

以上の法律改正の施行に合わせて、再生医療等製品のみならず医薬品・医療機器にも関係す

第8章



再生医療等製品における
企業の取り組み事例

はじめに

iPS細胞、間葉系幹細胞等を用いた再生医療は、機能不全となった組織や臓器を補充・再生させる革新的な医療として期待が高い一方、その実用化にあたって安全性をいかに担保するか等の課題が存在した。そのため、それら再生医療・細胞医薬製品については、安全性を確保しつつ迅速な実用化が図れるよう、その特性を踏まえた制度を設けることが必要であった。そうした背景を踏まえ、2014年11月に薬事法が改正され、再生医療関連の二つの法律、①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)、②再生医療等の安全性の確保等に関する法律(再生医療等安全性確保法)が施行された。医薬品医療機器法は、従来の医薬品、医療機器とは別に、「再生医療等製品」という新たなカテゴリーを設けた点と、条件及び期限付きで特別に早期承認する仕組みを導入するという点において、世界に類のない画期的な制度である。この制度改革以降、日本は再生医療等製品の開発を指向する世界の製薬会社・バイオベンチャーの注目を集めており、各社の再生医療等製品に対する取り組みも活発化している。そうした中、本章においては、当社・大日本住友製薬(株)が再生医療・細胞医薬事業において進めている具体的な取り組み事例について紹介する。

1. 再生医療分野における大日本住友製薬の取り組み

1.1 再生医療分野に取り組む背景

当社では、2013年に策定した第三期中期経営計画の中で、従来から注力してきた精神神経領域、がん領域を研究重点領域とすることに加えて、再生・細胞医薬分野において、難治性疾患での臨床応用を見据えた研究・開発を行い、世界初の治療薬の創出を目指すことを掲げた(図1)。この戦略を打ち出した背景として、2007年の京都大学・山中伸弥教授らによるヒトiPS細胞の作製¹⁾やヒトES細胞を用いた様々な細胞への分化誘導技術の確立といったサイエンスの大きな進展があったことに加え、当社の中でも再生医療分野、特に神経再生を中心とした長年にわたる研究開発の取り組みを続けてきたことがある(図2)。

再生医療分野における社会的状況として、1980～1990年代には胎児由来細胞によるパーキンソン病患者への細胞移植治療²⁻⁴⁾が行われ、さらに米国ウィスコンシン大・トムソン教授らによるヒトES細胞の樹立⁵⁾という多能性幹細胞研究における大きな進展があった。一方当社

第9章

再生医療等製品における承認取得事例
～ヒト間葉系幹細胞製剤
「テムセル[®]HS注」の開発と承認～

1. 会社沿革と概要

JCR ファーマ(株) (JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.: 以下、JCRと略す)¹⁾は、精製ウロキナーゼ等生理活性タンパク質性医薬品の原体製造販売を目的とする研究開発型の製薬企業として1975年に設立され、その後1993年より遺伝子組換えヒト成長ホルモン製剤の製造販売を開始した。

一方1980年代以降、CJDやAIDS、BSE等の重大な事例が発生し、ヒトないし動物の生体由来病原体の医薬品や食品への混入あるいはそのリスクが顕在化し、生体由来の原材料を使用する医薬品開発を続けることが困難となった。このような背景から、より安全なバイオ医薬品開発を目的として完全無血清培養法による遺伝子組換えタンパク質性医薬品製造を目指して研究開発を進めてきた。

その成果の一つとして、2010年1月に国産初のバイオ後続品として遺伝子組換えErythropoietin(EPO)製剤の製造承認を取得し、同年5月キッセイ薬品工業(株)より販売を開始した。

JCRは、2014年1月に旧日本ケミカルリサーチ(株)より現社名に変更し、前述のバイオ医薬品を主力製品として、平成28年3月度連結決算での売上高は174億円、東証一部に上場している。本社は芦屋市にあり、研究所と4工場を神戸市西区に有している。

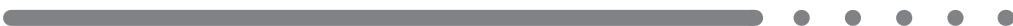
2. 細胞医療製品開発

JCRは、2003年に米国Osiris Therapeutics社²⁾と、間葉系幹細胞(MSC: Prochymal[®])を用いた細胞医療製品開発に係るライセンス契約を締結した(2013年10月Mesoblast社³⁾に権利移行)。対象疾患は骨髄移植等の造血幹細胞移植時の急性移植片対宿主病(Graft-versus-Host-disease: 以下、GVHDと略す)である。

GVHDは移植患者の約半数に発症し、標準的一次治療としてステロイド療法が行われるが、その約半数が治らずに、重篤なステロイド標準治療抵抗性GVHDとなり、非再発死亡率は70%にも至る。種々の二次治療が行われているが、十分に有効性を示す既承認治療薬はないとされている。

MSCは、骨髄細胞中の有核細胞の約0.01%~0.001%を占めるが、多能性分化能を有する未

第10章



再生医療産業における事業化と知的財産対策

第1節 再生医療等製品における知的財産戦略と特有の問題

武田薬品工業(株) 奥村 浩也 増岡 国久

はじめに

再生医療は、iPS細胞、体性幹細胞などの細胞を利用し、病気、怪我などで機能不全に陥った組織、臓器を再生させる医療であり、これまで治療が困難とされてきた数々の疾患への応用が期待されている。特に日本では京都大学の山中伸弥教授による世界初のヒトiPS細胞の樹立により再生医療が大きな関心を呼んだこともあって、臨床への適用としても、また、将来の一つの産業分野としても期待を集めている。

再生医療の分野が中長期的に大きな市場となることは広く受け入れられている予測ではあるが¹⁾、現状でのグローバルでの市場は800億円程度、日本に限ってみれば10億円で満たないとされており、まだまだ今後の発展に依存している領域である。本節では今後大きな成長が期待される再生医療に関し、知的財産の面から考察すべき事項について、過去の医薬品産業での経験を踏まえた上で概観してみたい。

1. 医薬品産業の発展と再生医療分野の位置づけ

前述したように再生医療の分野は未だ黎明期にあるといっても過言ではなく、研究、技術開発のみならず、あらゆる側面で今後の発展が待たれる分野である。後述するが、市場の形成に大きな影響力を持つ関連法や規制の整備も未だ十分ではなく、今後早急にビジネス環境の整備が進められることが期待されている。

知的財産の分野においても状況はほぼ同様で、従来医薬品業界でモデル的に確立されてきた知的財産戦略といったものは再生医療の分野では現状では未だ存在しないといって良く、関連する分野での研究、技術開発の状況や、ビジネス環境の整備の進展を注意深く見守りつつ、手探りの状態で将来のビジネスを見据えた知的財産戦略の検討を進めている状況といえるだろう。

このような状況を踏まえ、本項ではまず医薬品産業の発展の歴史を振り返り、その過程で知的財産の面から課題となった事項について検討してみることとする。その検討を踏まえた上で、今後考えうる再生医療分野での知的財産戦略に話を繋げてみたい。

第2節 再生医療を事業化につなげるための ビジネスモデルの設定方法

アクウェスト(株) 高崎 宏之 猪野 美里

はじめに

再生医療は、幹細胞を使って人の組織を作り、これまで人類が治療できなかった病気を治す可能性を秘めた夢の医療である。2006年に京都大学の山中伸弥教授がiPS細胞の作製に成功し、また、2013年に政府が成長戦略における戦略市場創造プランとして位置付けたこともあり、近年、再生医療への期待が一気に高まっている。iPS細胞の作製から10年が経ち、今ここで改めて冷静に再生医療ビジネスの現状について目を向けてみたい。

再生医療ビジネスは、医薬品開発と同様に“許容を超えた副作用が出た”、“既存の治療法に比べ期待したほどの効果が出なかった”といった開発リスクや“規制環境(法制度)が大きく変更された”など、経営者や事業責任者がコントロール不可能な要素を含む博打的要素の大きなビジネスである。しかも、副作用や効果などは実際にヒトで治験をしてみないとわからず、結論が出るまでに数億～数十億円の投資が必要となる。

つまり再生医療ビジネスとは、有望な再生医療シーズを獲得・開発する、自社に最適なビジネスモデルを選択する、知財戦略や人員計画を立案する、といった事業計画を完璧に舵取りした上で、コントロール不可能な開発リスクを取りにいくという“リスクマネジメントの側面の大きなビジネス”である。また、少しでも事業性に難ありと判断される場合は、早々に事業を清算し、残った資金や人材、ノウハウなどを次の企業へと活用するという生態系の下に成り立っており、経営者もしくは事業責任者は、高度な意思決定をする能力が要求されるビジネスともいえよう。

以下、1項では再生医療を取り巻く市場環境を俯瞰し、2項では具体的な事例を基に再生医療ビジネスで黒字化/事業化の道筋をつけるために何が必要か、3項では自社の現状を踏まえ、どのようにビジネスモデルを設定したらよいか、について考えていきたい。

1. この10年で再生医療の産業化を取り巻く環境はどのように変わったのか

1.1 我が国の産業化の流れ

我が国の再生医療の産業化を語る上で、(株) ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング(以下、J-TEC)の存在を欠かすことはできない。自家培養表皮「ジェイス[®]」は開発開始から販売まで