

日本医療政策機構
細胞再生医療シンポジウム：臨床応用への道筋

産業界からみた再生医療 実用化の課題

2005年8月18日
(株)ビーシーエス
大野 邦夫

医療産業が求められていること

1. 国民あるいは人類の健康・福祉に有用な医療製品、医療技術を開発、実用化し、供給すること
2. 国策として生命科学、バイオテクノロジー、医療技術の研究に投じられた研究投資の成果を社会、国民に還元することに協力すること
3. 医療産業としての国際競争力、産業技術力を向上させること

再生医療の従来医療技術の 医薬品或いは医療機器と異なる点

1. ヒト細胞・組織を用いる
2. 生体が潜在的に持っている働きを引き出して利用
3. 従来 of 医薬、医療機器を超える可能性を持ち、作用と効果は総合的(臨床改善→QOL)
4. ヒト細胞とくにES細胞、胎児神経幹細胞等を用いる場合、倫理的なルール、配慮が必要

再生医療事業化環境とは

GMP・GTP
製造・品質
システム

薬事法規制
安全性、有効性
GCP、GVP

市場ニーズ
顧客・流通

原材料
エネルギー

**細胞組織医療
材料の製品化
を取り巻く環境**

社会制度
医療保険

技術シーズ
R&D
技術革新

**知的財産権
国際標準**

再生医療における基本ビジネス形態

1. 再生医療に用いる医療機器、医薬品を製造・販売するビジネス(従来からあるビジネスと同じ)
2. 再生医療に用いる自己・同種・異種の細胞、組織を、医師の委託のもとに、加工・処理を行なうサービス業としてのビジネス(自己細胞組織を用いていくつかのベンチャーが実施中)
3. 再生医療に用いるため、自己・同種・異種の細胞、組織を用いて製造した製品を医療機器、医薬品として製造・販売するビジネス(これが本命だが、未だ承認された製品はない)

実用化のプロセス（細胞組織を用いる場合）



確認申請に関する問題点

確認申請とは、細胞・組織を利用した製品の品質及び安全性を確保するため、治験の依頼をしようとする者が、治験計画届を行なう前に、厚生大臣に当該製品の安全性及び品質の確認をもとめること(医薬発第906号通知)

- 確認申請に必要な記載内容がまだ明確でなく、準備・審査に時間がかかる
 - 審査の進捗状況が掴めない
 - 審査体制・人員が未整備
 - 治験相談との関係が明確でなく、審査の過程で審査側と申請者側の専門家を含めた情報交換の場がない
 - 確認申請段階で必要な試験項目、試験方法等の標準化、基準化ができていない
 - FBS等動物由来製品の工程使用に関する考え方
- }ベンチャーの資金調達に影響

確認申請に関わる要望

1. 確認申請に関わる通知と書式、項目の整備
(医薬発第906号と第1314号)
2. 確認申請を含む事前相談制度の確立
3. 確認申請でのタイムクロックの設定
4. 申請者側の専門家を含めた協議の導入
5. 審査体制の強化・充実
(独立行政法人医薬品医療機器総合機構)



迅速化、透明性、双方向性

再生医療製品の原料となる 細胞・組織バンク整備の必要性

- 再生医療・細胞医療では、自家細胞では治療効果がない或いは緊急用に間に合わないケースがある。米国では同種(他家)細胞組織を企業が供給を受け利用できる体制が確立されており、多くの再生医療製品が開発、製品化されている。しかし我が国では未だその体制が整備されていない。
- 各種体性幹細胞等について、輸血医療に使われる血液細胞同様に、ドナーの自由意志による提供を受け、安全性、品質の確保と保存を行い、企業による再生医療製品の研究開発と事業化に利用できる細胞・組織バンクを早期に整備する必要がある。

細胞・組織バンクに関連する規制

臓器移植法

改正薬事法と法42条による「生物由来材料基準」

現在の各種バンクと企業の利用可能性

臍帯血バンク

理研・細胞バンク

HS振興財団研究資源バンク

文科省・幹細胞バンクプロジェクト

各地大学等の組織バンク

日本組織移植学会・組織バンク

東大医科研・CERESコンソーシアム

今のところ
商業利用の
可能性なし

可能性あり

再生医療で必要とされるヒト細胞・組織 供給源の確保に向けて

- 日本組織移植学会の組織バンク設置等関連する学会活動との連携を図る
- 文部科学省の「再生医療実現化プロジェクト」における「幹細胞バンク」に期待する
- 東大医科研「細胞プロセッシング・バンキング研究」支援コンソーシアムを通して産学連携によるセルバンク構築の研究を支援する

研究組織

東京大学医科学研究所

研究部門の学識と臨床部門の先端的治療
DNA解析の力を再生医療に生かす

CERES

細胞プロセッシング研究 + ヒト幹細胞バンキング機能

コンソーシアム
(企業 9社)

トランスレーショナル
・リサーチ

産業界

ヒト由来細胞の研究推進が可能
実用化と産業化の具現化

新しい治療法、再生医療、治療薬の提供

再生医療、細胞医療、遺伝子治療における 治療の基本プロセス

1. 細胞を採取、分離する
 2. 細胞を処理(精製、増幅、分化、抗原提示、活性化、
遺伝子導入等)する
 3. 処理された細胞を患者に導入する
- 細胞は患者自身の細胞(Auto)、又はドナーからの細胞(Allo)のどちらもある
 - 再生医療では、使用される細胞、成長因子、足場材料等個々の技術要素は公知のものが多く、方法特許、プロセス特許での記述に適した発明が多い

「産業上利用することができる発明」の審査の運用指針 (平成15年8月、17年4月改定部分)

2. 1「産業上利用することができる発明」に該当しないものの類型

- ・「人間を手術、治療又は診断する方法」は「産業上利用できる発明」とみなさない
- ・但し、次の発明は「産業上利用できる発明」とみなされるようになった

医療機器の作動方法は、医療機器自体に備わる機能を方法として表現したものであり、「人間を手術、治療又は診断する方法」に該当しない。ここでいう医療機器の作動方法には、医療機器内部の制御方法に限らず、医療機器自体に備わる機能的・システムの作動、例えば、操作信号に従った切開手段の移動や開閉作動あるいは放射線、電磁波、音波等の発信や受信が含まれる。医師の行為(例:医師が症状に応じて処置するために機器を操作する行為)や機器による人体に対する作用(例:機器による患者の特定部位の切開・切除)を含む方法は、ここでいう医療機器の作動方法には該当しない。

人間から採取したものを原料として医薬品(例:血液製剤、ワクチン、遺伝子組換え製剤)又は医療機器(例えば人工骨、培養皮膚シートなどの、身体の各部分のための人工的代用品または代替物)を**製造するための方法**は、人間から採取したものを採取した者と同一人に治療のために戻すことを前提にして処理する方法であっても、「人間を手術、治療又は診断する方法」に該当しない。

再生医療関連企業にとって

医療方法特許の意義

1. 再生医療では、新規の概念・方法の発明が重要
モノ特許よりも方法特許になじむ
2. 現状では、方法に特徴がある発明であっても、モノ特許の出願しかできず、発明の本旨を生かせない
3. 方法特許は、方法でしか表現し得ない発明の権利化を可能にする
4. 新たな特許の可能性は、ベンチャー企業の知財戦略戦略に幅と厚みを与え、ベンチャーへの資金投入を促進する
5. 方法特許が可能になれば、そこから更に関連する新しい医療技術、医薬品、医療機器等が生まれる

医療方法特許に関する「専門調査会」の結論(2004年11月22日)
に基づき審査基準を改定した ⇒ 医療機器の作動方法は認める
が、医薬品の投与方法は認めない ⇒ 課題積み残し

先端技術が医療技術の進歩・革新をもたらす

20世紀

材料技術 エレクトロニクス

- ・各種ディスプレイ
- ・膜型血液浄化器
- ・内視鏡
- ・超音波診断装置
- ・X線CT
- ・MRI
- ・PET

21世紀

BT IT NT

- ・再生医療
- ・遺伝子診断
- ・遺伝子治療
- ・テーラーメイド医療
- ・DDS
- ・低侵襲ロボット手術
- ・遠隔／在宅医療
- ・健康管理チップ

ハードの時代
(モノ特許)

ソフトの時代
(方法特許)

再生医療の実用化・産業化で期待される国の政策



1. 早期の保険適用 and/or 混合診療の導入
2. 初期需要の刺激 (cf. マイケル ポーター、竹内弘高;「日本の競争戦略」)
3. Push型支援 → Pull型支援へ