



THE 10TH  
INDUSTRY ACADEMIC GOVERNMENT SYMPOSIUM  
ON REGENERATIVE MEDICINE

# 第10回 再生医療産学官 連携シンポジウム

講演録

## 2026.2.9 [MON] 13:00-18:00

- [会場] 日本橋ライフサイエンスハブ  
東京都中央区日本橋室町1-5-5 室町ちばぎん三井ビル8階 (COREDO室町3)
- [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)
- [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RINK (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 (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 再生医療等実用化基盤整備促進事業の支援を受けています。

# 第10回再生医療産学官連携シンポジウム講演録

THE 10TH INDUSTRY ACADEMIC GOVERNMENT SYMPOSIUM ON REGENERATIVE MEDICINE

開会挨拶

岡野 栄之 LINK-J 理事長 / JSRM 前理事長 3

基調講演

未来医療の創成に向けて 3-5

座長 岡野 栄之 LINK-J 理事長 / JSRM 前理事長

講演者 西田 幸二 JSRM 理事長

第1部

再生医療等製品の国際戦略

座長 高橋 淳 JSRM 常務理事 / LINK-J 運営諮問委員

ファシリテーター 畠 賢一郎 FIRM 代表理事会長 / JSRM 理事 / LINK-J 運営諮問委員

パート1 アウトバウンドと国際展開

再生医療等製品の国際戦略ーグローバル動向の俯瞰と日本シーズの国際化に向けてー 6

講演者 花村 遼 アーサー・ディ・リトル・ジャパン株式会社 パートナー

再生医療の事業化における、アウトバウンド展開の必要性 7

講演者 木村 徹 住友ファーマ株式会社 代表取締役社長

シノビ・セラピューティクス米国進出の歩み 8

講演者 金子 新 京都大学iPS 細胞研究所 教授 /

筑波大学医学医療系 臨床医学域 がん免疫治療研究分野 教授

再生医療の製造革新への道筋 9

講演者 鈴木 丈太郎 アステラス製薬株式会社 再生医療領域 研究開発担当役員 /

プライマリ・フォーカス・リード (Blindness & Regeneration) 部門長

AMED第3期の挑戦ー世界とつながる創薬エコシステムに向けてー 10

講演者 下田 裕和 国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) 調整役

パネルディスカッション (パート1登壇者) 11-13

パート2 インバウンド

日本の再生医療を、どうすれば患者さまに届けられるのか 14

講演者 栄木 憲和 EIKI CONSULTING, LLC プレジデント

ブリストル・マイヤーズ スクイブの企業戦略と細胞療法への取り組み 15

講演者 秋本 美紀 ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社 執行役員 研究開発本部 薬事部門長

藤田医科大学羽田クリニックにおけるインバウンド診療 16

講演者 榛村 重人 藤田医科大学 臨床再生医学 主任教授

再生医療等製品の薬事規制のアップデート 17

講演者 高梨 文人 厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課 再生医療等製品審査管理室長

パネルディスカッション (パート2登壇者) 18-20

第2部

最新技術やパイプライン

幹細胞由来の神経オルガノイドができるまで 21

講演者 坂口 秀哉 国立研究開発法人 国立成育医療研究センター 精密創薬研究部 実験薬理研究室 室長

アセンブロイドで神経回路をモデルする 22

講演者 今泉 研人 スタンフォード大学 精神医学・行動科学科 博士研究員

大脳オルガノイドネットワーク組織構築 23

講演者 池内 与志穂 東京大学 生産技術研究所 教授

閉会挨拶

山口 秀人 FIRM 代表理事副会長 24

# OPENING REMARKS



**岡野 栄之**

LINK-J理事長/  
JSRM前理事長

## 開会挨拶

昨今、ようやく再生医療が実用化される段階に入ってきました。特に多能性幹細胞を用いた臨床試験が非常に進んでいます。日本でのiPS細胞を用いた臨床試験が順調であることから、中国やアメリカも急速に研究を推進し始め、iPS細胞を使った臨床試験の数がついにES細胞を使った臨床試験の数を超える状況になっています。

これまで1,222人の方に多能性幹細胞に由来した4,000億個の細胞が移植されていますが、今のところ健康被害は出ていません。治療効果の証明はこれからが勝負です。米国では現在、2件が臨床試験のフェーズ3まで進んでいます。具体的には、1型糖尿病患者に対するヒトES細胞由来β細胞の移植や、パーキンソン病患者に対するES細胞由来ドーパミンニューロン移植です。

日本における研究も非常に良い結果が出ています。我が国の伝家の宝刀とも言える条件期限付き承認を使えば、一気に他国を抜き、世界のトップに躍り出ることも可能でしょう。その後先手を打っていくことが大事で、それに相当する素晴らしい議論が本日聞けることを楽しみにしています。

## 基調講演

### 未来医療の 創成に向けて



**岡野 栄之**

座長 LINK-J理事長/JSRM前理事長

**西田 幸二**

演者 JSRM理事長

## KEYNOTE SPEECH



### 再生医療とAIが 未来医療の鍵となる

現在の医療とは、病気になって初めて病院を訪れた患者さまに対し、平均的な治療を行うというものです。しかしそれでは病気を克服するのは難しい。そのため、失った機能を回復させる再生医療とともに、病気になる前に体の異常を見つけ、パーソナライズされた医療を提供することが求められるようになりました。再生医療については幹細胞が、病気の予測についてはAI・人工知能がキーワードとなるでしょう。

### 基礎研究から 飛躍を遂げた再生医療

未来医療を実装するためには基礎研究が重要です。基礎研究の革新がなければ、新しい医療は生まれません。基礎研究の革新と言えば、やはりiPS細胞の誕生です。ES細胞の樹立や造血系幹細胞研究などの蓄積のもとに誕生したiPS細胞は、再生医療において歴史的なマイルストーンとなりました。

2006年にマウスの、2007年にはヒトのiPS細胞が山中伸弥先生によって樹立され、彼は2012年にノーベル生

理学・医学賞を受賞しました。ノーベル賞を受賞したということで、当時の安倍政権はiPS細胞の研究に対し、10年間で1,100億円の投入を決め、国の基幹プロジェクトが発足しました。その成果が現在に実を結んでいます。そして今、期待されているのが「AI for Science」です。国はAIに大きな投資をする方針ですから、そのAIを再生医療にも組み込んでいくことが必要であると考えています。

研究には多額の税金が使われていますから、必ず結果を出さねばなりません。私は日本における研究は大きな進歩を遂げていると思っています。

**iPSC再生医療の実装の正念場**

**iPSC細胞を使った主な臨床研究や治験**

対象	移植するもの	患者への移植例	最近の動き	進捗状況
パーキンソン病	神経前駆細胞	18歳	京都大	治験終了
			住友ファーマ	承認申請を準備中
網膜の病気	網膜色素上皮	14歳	住友ファーマ	治験中
角膜の病気	角膜上皮	19歳	大阪大	臨床研究終了
			レイメイ	治験準備中
虚血性心疾患	心筋シート	20歳	大阪大	治験終了
			クオリアス	承認申請
	心筋球	22歳	ハートシード	治験中
脊髄損傷	神経前駆細胞	21歳	慶応大	臨床研究中、4人に移植完了
血小板減少症	血小板	19歳	メダカリオン	治験終了

臨床研究データベース「JRCT」などから、1次試験前、2次試験前、3次試験前、治験がなんども取り消されていく

実際、多くの領域で臨床研究・治験として再生医療の基礎研究が応用段階に入っています。例えば、住友ファーマのパーキンソン病の治療、大阪大学の虚血性心疾患の治療、そして我々の研究である角膜上皮の再生医療などが挙げられます。我々はiPSC細胞から角膜のシートを作り、角膜の病気を抱える患者さまに移植する治療を開発しました。臨床研究はすでに終わり、治験の準備を行っているところです。

パーキンソン病の治療を研究されている高橋淳先生の研究室では、医師主導治験を行って承認申請をしています。我々も、いきなり治験をして、そこから承認申請をしてもよかったかもしれませんが、承認申請にはいろいろな経路がありますので、どのように進めるべきかよく考える必要があります。

### 眼の発生の再現に成功

ここからは、我々の行っている角膜上皮細胞の研究についてお話ししたいと思います。我々は、iPSC細胞を眼に分化させ、眼の発生をシャーレ上で再現することに成功し、眼のオルガノイドを新たに開発しました。

iPSC細胞をラミニン511で培養し、それから成長因子を含まない最小限

の培地に移して自律的分化を起こさせると、眼に分化するということを発見しました。iPSC細胞のコロニーは、広がりながら境界明瞭な4層構造をつくります。これを SEAM (Self-formed Ectodermal Autonomous Multi-zone) と名付けて発生を調べました。眼の発生について、少しだけ教科書的な内容を申し上げておきます。眼はまず、脳の前方向から眼胞ができ、次に水晶体胞ができ、そして眼杯ができます。その眼杯から網膜が分化し、水晶体胞が水晶体に分化したのち、角膜ができます。我々の開発したSEAMの系はこの流れを再現できています。

SEAMの系で出来上がった4層を見てもみると、1層目は眼に繋がっている中枢神経の部分ができていました。2層

目では後眼部の網膜の部分が誘導されています。そして2層目と3層目に水晶体ができる、3層目に角膜と結膜の表面が形成されていました。さらに4層目には皮膚上皮ができてきました。つまり、この系を使えば、眼の様々なパーツをつくり出すことが可能です。

### 角膜上皮細胞シートが臨床試験へ

iPSC細胞からつくった角膜上皮の細胞シートには、きわめて透明性が高く丈夫であるという特徴があります。我々は、細胞シートの安全性や有効性について非臨床試験を行い、その結果をふまえ、2019年から2022年にかけて、世界初のファースト・イン・ヒューマンの臨床試験を行いました。対象疾患となるのは、角膜上皮幹細胞疲弊症といわれるような難病です。この疾患の患者さまでは、角膜表面を分厚い組織が覆っており、眼が見えなくなっています。そのため、角膜を覆う組織を取り、そこに角膜上皮の細胞シートを移植するという研究を行いました。すると、細胞シートは生着し、視力の回復に成功しました。4例行い、4例とも視力が向上し、3例では角膜の透明性が著しく回復しています。

**世界初のヒト臨床試験  
2019~2022**

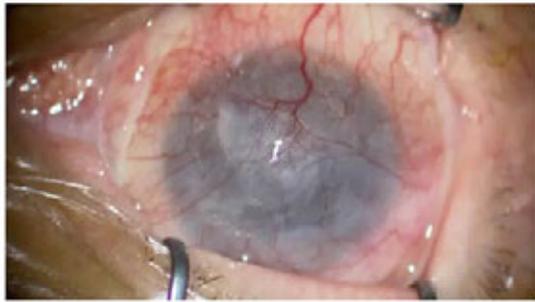


角膜上皮幹細胞疲弊症 4例  
Limbic Stem Cell Deficiency LSCD

経過観察期間：1年

主要評価硬膜：安全性  
副次評価硬膜：有効性

**July 25, 2019**  
Transplant in first case



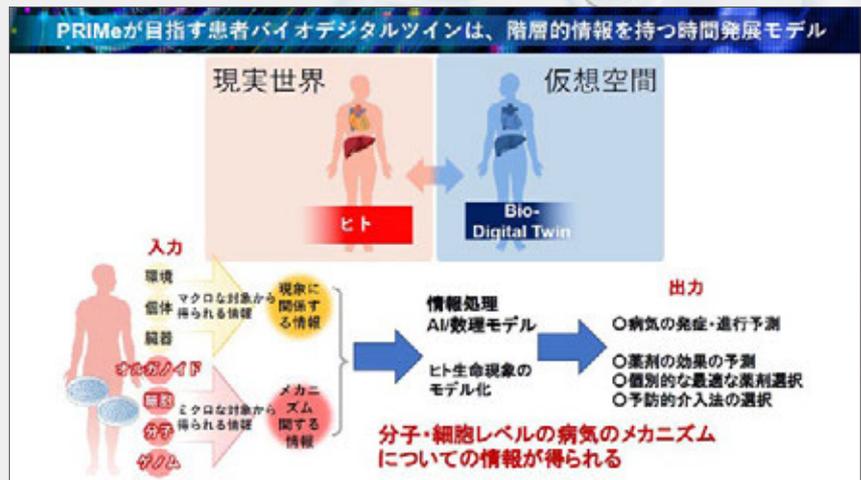
この臨床試験の結果は、『The Lancet』に掲載され、『Nature』にも取り上げられました。患者さまは効果を自覚できますし、試験の有効性は視力の数値としてしっかりと示すことができるため、とても意義のある試験であったと思います。

現在、IRB（治験審査委員会）の審査を受けており、2026年4月から治験を開始する予定です。PMDAと相談し、2年間かけて承認に向けた最終段階の検証的治験を行う予定です、それが終わり次第、本承認を申請するつもりです。また、国際展開としては、どこか海外の会社と提携し、角膜上皮幹細胞の凍結ストックをそこに送り、現地でそのストックから細胞シートをつくって供給するというようなことができると考えています。

## デジタルツイン技術で 医療は変わる

ここからはAIによる医療変革について考えていきたいです。AIには第1次から第4次までブームがありました。今は一過性のブームではないと言われていますが、フィジカルAIというものが大変に注目されています。これは、エージェンティックAIとロボット技術を組み合わせて、AIに身体性を持たせるというものです。エージェンティックAIを搭載したロボットは、これからさまざまな分野で導入されていくだろうと予想されています。AIは単なるツールにとどまらず、プラットフォームシフトを引き起こし、多くの分野において技術的基盤になるだろうと言われています。もちろん、医療もAIによって変革されるでしょう。

では、AIに関する私たちの取り組みについてお話しします。2022年、我々大阪大学のヒューマンメタバース疾



患研究拠点が、WPI (World Premier International Research Center Initiative) という文科省の世界トップレベル研究拠点プログラムに採択されました。このプログラムでは、オルガノイドのバイオロジーとコンピューターサイエンスを融合し、ヒトのデジタルツインをつくるという研究を行っています。

デジタルツイン技術というのは、デジタル技術を用いて、仮想空間内に現実の状態を再現する、つまり「現実の双子」をつくるということです。そうすると、コンピューター内で将来の状態変化を予測することができるようになります。その予測を現実空間にフィードバックして、現実におけるさまざまなタスクを決定していこうというわけです。デジタルツイン技術のベースとなる発想が初めて実用化されたのは、実は宇宙船アポロ13号を地球に帰還させたときだと言われています。事故を起こしたアポロ13号を帰還させるため、宇宙空間とそっくりの条件を地上につくってシミュレーションして、その結果を現実にフィードバックしたのです。

このデジタルツイン技術は人間に対しても可能でしょう。つまり、コンピューターサイエンスを用いてヒトの生命現象を再現し、将来のシミュレートを行い、どのように介入していくかを決めるということです。

## オルガノイド技術を デジタルツイン技術へ

健康医療の領域で、このような新しい技術が使われれば、現在とは医療の姿がまったく違ったものになるかもしれません。現在、臨床検査や日常生活でIoTなどを用いて得られたデジタル情報を集めてビッグデータにし、将来を予測できるモデルをつくる試みが世界中で進められています。しかしこのようなデータ駆動型のモデルでは、マクロな情報は得られても、分子細胞レベルの病気のメカニズムに関する情報が欠如します。細胞レベルで何が起きているかを把握できなければ、個人に最適化された介入は不可能です。そこで我々は、オルガノイド技術をデジタルツインに応用し、マクロの情報と各個人のオルガノイドから得られるミクロの情報を統合したデジタルツイン技術をつくる研究を行っています。この研究により、患者さまの病気が進行する前に将来の経過を予測し、正常に戻すようなパーソナルな介入を可能にすることが期待されます。

また、このような医療革新により、糖尿病、高血圧、心不全、慢性の呼吸器不全といった多因子疾患を克服できる医療、「ヒューマンメタバース医療」を創生できればと思っています。

# 再生医療等製品の国際戦略

## — グローバル動向の俯瞰と 日本シーズの国際化に向けて —



**花村 遼**

演者

アーサー・ディ・リトル・ジャパン株式会社  
パートナー



### 研究は順調だが国際展開が課題

現在、日本では20の再生医療等製品が承認されています。しかし、海外で承認を取った国内起源の製品はまだありません。再生医療関連のグローバルな開発製品は、米国のものが圧倒的に多いのですが、最近では中国発のものが増え、特にCAR-Tに関して力をつけてきているのを感じます。

日本の20件の承認製品の多くは海外企業を起源とするものです。しかし、iPS細胞関連は順調に臨床開発が進展しております。特に中枢神経、心血管のシーズについては、すでに承認申請中で、今年には承認されることが期待されています。

遺伝子治療のマーケットは2040年には11兆円規模になると予想され、特に細胞免疫治療、細胞移植の市場規模が大きくなっていくと試算されます。このような中、日本の研究開発はグローバルにおいてかなり厳しい状況にあります。今は2021年に比べると、細胞治療・遺伝子治療への投資が半分に減ってしまっているのです。それは、金利の上昇でリスクマネーが流れにくくなっていることや、トランプ政権のために米国に対する不確実性が上がっていることなどが要因

でしょう。

このような状況の中、事業化が見えてきているような、比較的リスクの低いものに投資が集中しがちであることは問題です。短期的にはそれで良いかもしれませんが、5年後、10年後には飽和してしまうでしょう。一方、アジア全体の躍進は目覚ましく、アジアにおける開発治験数は米国を超えました。これは中国が規制を緩めて開発を誘致していることが大きいでしょう。韓国やオーストラリアも力を入れてきていますし、アジア内での競争は厳しくなっています。では今後、日本はどのように国際展開をすべきでしょうか。

### デュアルトラックが国際展開のモデル

国際展開については、米国の存在を無視することはできません。市場規模、リスクマネーの大きさに加え、やはり世界基準であるFDAの規制というものを念頭に置くことは必須でしょう。しかし、米国では現状、AIを使った医療などに投資が流れてしまっていますから、資金調達環境は悪化しています。また、患者数に対して開発品が多く、患者さまの取り合いになっているものもあります。そのため、自国の市場と海外の市場それぞれの強

みを組み合わせていくことが、これからの再生医療産業のモデルになっていくのではないかと思います。つまり、日本と海外で同時進行の展開をする「デュアルトラック」でいくことが求められるのではないのでしょうか。これにはいろいろなパターンがありますが、例えば国内で研究しつつ海外に事業展開する、完全に国内外で同時並行して開発を進めるといったことが考えられます。

このデュアルトラックモデルには4つのポイントがあります。1つ目は資金調達を目的に応じてフェーズごとに行っていくこと。2つ目はFDAのCMCガイダンスを下限水準として設定すること。仮に日本向けに簡略化する場合も、あとでFDA水準に戻せるような設計を考えておくべきです。3つ目は日米でブリッジ可能なデータを取っておくこと。4つ目は米国での想定価格を前提に、日本の当局と薬価の決め方の交渉をすることです。日本の薬価を参照して米国の薬価が決まってしまうと苦しいので、日本と米国のどちらを先にどう展開すると良いのか、資本政策や成長戦略と合わせて考えていく必要があるでしょう。こういった一連の流れがデュアルトラックモデルには必要です。

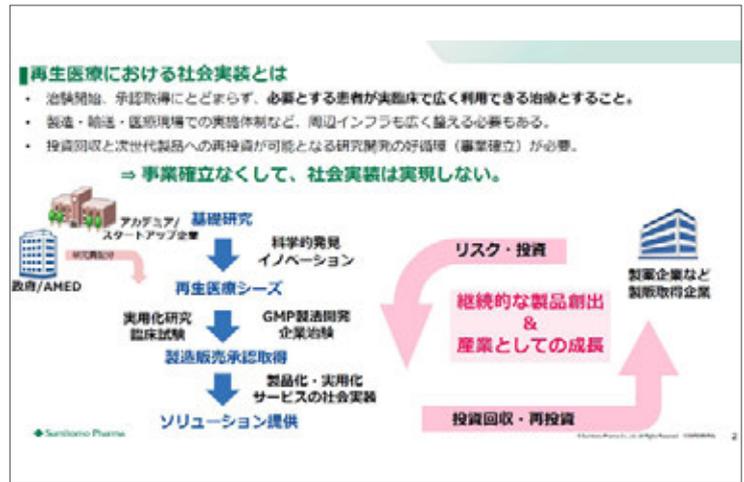
## 再生医療の事業化における、アウトバウンド展開の必要性



木村 徹

演者

住友ファーマ株式会社  
代表取締役社長



### 米国へのアウトバウンドとその課題

再生医療を実臨床で広く利用いただくためには、製造、輸送、あるいは医療現場における実施体制といった周辺環境を整えることが必須です。そのためには当然ながら先行投資が必要となります。その投資をいかに回収し、次世代の製品に再投資していくかが課題です。しかし、日本の人口は世界の70分の1で、医薬品の市場としては全体の4%前後しかありません。そのため、日本国内だけでは事業確立が難しく、世界の医薬品市場の50%を占めている米国へのアウトバウンドが必要となります。米国では薬価を製品の特性や有効性に応じて決めることができますし、FDAで承認された製品は他の多くの国や地域で承認申請をしやすいというメリットがあることも、米国へのアウトバウンドの利点でしょう。

### 米国展開における主な課題

米国での展開を考える際の課題には、大きく分けると4つのタイプがあります。1つ目は、薬事規制です。米国の治験では偽手術群が要求される点は日本との大きな違いです。また、細胞ドナーのスクリーニングの基準が日米で異なることも難しい課題です。2つ目は、実際に細胞製品をどのように

米国に輸送するのか、という物理的な課題です。海外輸送での関門は通関と検疫です。米国ではFDAの検疫と農務省の2つの検疫があります。商用の段階になったら、スムーズにこれら3関門をクリアできるようにしなくてはなりません。3つ目は臨床オペレーションです。細胞医療は移植医療のひとつと言えるため、臨床のオペレーションも考慮する必要があります。日米では医療現場で細胞を扱う人の職種も異なりますし、使用する医療機器や免疫抑制剤についての考えも違います。そして4つ目は社会的受容性です。日本ではiPS細胞に対する期待が大きいのですが、米国ではあくまでも多様な治療法の1つという認識でしかありません。そのため、医療機関や患者さまの協力体制にも差が出るでしょう。こういった日米の差を考慮した対策が必要です。

### 日本先行開発の長所・短所と新たな課題

日本での先行開発においては、どんなメリットやデメリットがあるのでしょうか。メリットは、まず、日本では比較的小規模の投資で臨床的な有効性の確認ができるということです。そして、条件及び期限付承認制度があるため、CMC

の不確実性が解消され、本承認への道筋も当局としっかり話ができて自信が持てるということ。もう一つは、実臨床を経験することで、治療法の完成度を高められることです。

デメリットは、小規模単群試験は米国でエビデンスが弱く、参考データ扱いになってしまうこと。本承認に至るまでの時間が最初から世界同時開発する方法に比べると2~3年遅れてしまうこと。医療環境が異なるため、日本での規格や臨床手技の最適化が海外で必ずしも有利にならないこと。それから、条件・期限付き承認も承認には違いがないので、商用製造販売体制を早期に確立することを求められることなどです。

昨今、新たな課題も生じています。米国側の政策リスクです。米国に生産拠点を誘導するという政策がありますが、製造移管は慎重に進めるべきですし、人件費の高さも問題です。加えて薬価政策（最恵国待遇/MFN）の問題があります。日本で低い薬価がつくと、米国で適正な薬価がつかず、事業が破綻しかねません。日本先行開発が足かせになるリスクがあるのです。アウトバウンド展開は必須ですが、こういった課題を分析してひとつひとつ解決しながら進めることが求められるでしょう。

## シノビ・セラピューティクスの 米国進出の歩み



**金子 新**

演者

京都大学iPS細胞研究所 教授/  
筑波大学医学医療系 臨床医学域  
がん免疫治療研究分野 教授



### 資金調達に苦勞し 海外展開を目指す

私たちは2013年に、iPS細胞を使って抗原特異的なキラーT細胞を再生することに成功しました。T細胞からつくったiPS細胞には、標的(的)を見分ける受容体遺伝子構造がゲノム上に残っています。そのため、そのような特徴を持つiPS細胞から再びT細胞をつくれれば、しっかりと敵だけを狙ってくれる若返ったT細胞になるのではないかと期待がありました。研究を進めた結果、実際にその通りでした。例えばエイズウイルスに感染した患者さまのリンパ球は、体外で培養すると、1万倍ほどで増殖しなくなります。一方、いったんリンパ球をiPS細胞にして、それを材料にTリンパ球をつくと、元気な方から採ってきたナイーブTリンパ球と同じようにどんどん増殖してくれます。それに、標的を次々に攻撃できるのです。

このような発見をしたため、同年、同様の研究を行う京都大学の研究室と共同でスタートアップを起業しました。経営上の理由で2015年に分社化し、私たちはサイアス株式会社として研究を継続しました。2017年には京都大学のイノベーションキャピタルの投資を受け、海外スタートアップでの経験が豊富な経営陣を迎えて再出発をしました。

再出発したものの、国内での資金調達には苦勞しました。資金調達の際に必要なデータを取るためにも、たくさんのお金がかかるからです。そこで海外にも目を向けることになりました。海外では、どのような論文を出しているのか、あるいは特許を取得しているのか、といった点が重要視されます。論文はありましたが、京大の研究所では特許の戦略もサポートしてくれていました。おかげで2023年には米国の投資会社から資金を得ることができました。

### シノビ・セラピューティクスの 米国進出

米国での展開を考えた際、個別化治療だけでは難しいと思い、誰にでも適用可能なユニバーサル治療についても検討を始めました。HLAホモ(免疫の型を揃えた)のiPS細胞のみならず、ゲノム編集によって遺伝子改変をしたものも使う必要があるだろうと考えました。そこで、HLAを含むゲノム編集によってiPS細胞をユニバーサル化する研究をしていたUCSFのスタートアップと合併することになりました。これにより、私たちは米国企業となるという転機を迎えました。

さらに、メガファーマ出身で事業開発部門を歴任していたDaniel Kemp氏

が社長に就任したことも大きな変化でした。このおかげで米国に向けて強いメッセージを放つことができるようになったからです。そして彼の発案で社名をシノビ・セラピューティクス株式会社に改称して本格的な米国進出を果たしました。シノビという名は、同種のiPS細胞で他の免疫細胞に攻撃されないようにしている姿が忍者を彷彿とさせることに由来します。

実際に米国で事業を進めてみたところ、日米のアカデミア、日米のバイオベンチャーやベンチャーキャピタルとネットワークが構築され、多国籍の人材の確保が上手くいくというメリットがありました。2024年には、米国法人は欧米での大型調達に成功し、日本法人はAMEDの創薬ベンチャーエコシステム事業に採択してもらうことができました。

これらの研究開発と同時に、私たちがやりたいと考えているのが、がん患者さまお一人おひとりが持つ固有のがん標的を狙う個別化がん医療です。一人分のT細胞だけを個別につくれるような機械を開発できないかと考えており、新たな取り組みを始めています。このように私たちは、ユニバーサルがん医療と個別がん医療の両方で、社会に貢献していきたいと思っています。

## 再生医療の 製造革新への道筋



鈴木 丈太郎

演者

アステラス製薬株式会社  
再生医療領域 研究開発担当役員/  
プライマリ・フォーカス・リード  
(Blindness & Regeneration) 部門長

### 細胞医療産業のボトルネックは製造

再生医療のアドボカシー団体である ARM (The Alliance for Regenerative Medicine) の CEO である Tim Hunt 氏は、今年の1月に「再生医療は現在、地に足の着いた持続的成長フェーズに入った」との宣言をしました。さまざまなトライ&エラーを経て、本当に勝ち筋のあるところに投資は移行し、そのサイズも上昇傾向です。再生医療は実用化に向けて、本格的な成長サイクルに入ったと考えられます。現に、バイオ医薬品企業時価総額上位30社のうち20社が細胞・遺伝子治療の開発などに持続して投資しており、有望で革新的な治療薬や手術が臨床での検証段階に入っています。

細胞医療産業のボトルネックは製造です。適切な価格の治療薬を大規模に生産できる製造アプローチがとても重要です。低分子医薬品や抗体は最終製品の特性で製品を規定しますが、細胞の場合は製造プロセスそのものが製品を規定します。なぜなら、細胞のような不均一な集団を医薬品として規定するにはそれしか方法がないからです。細胞医療における商業製造はスケールアップやスケールアウトが必要ですが、GMP/商業生産の変換には高いハードルがあり、工場の設立など高いコスト

構造が存在しています。また、上市した場合には医薬品を何十年も安定供給しなくてはなりません。そのため、堅牢で安定的な製造プロセスをしっかりと構築する必要があります。

### 米国AMT認定は積極的に利用すべき

こういった理由から、製造プロセスにイノベーションをもたらそう、先進的製造アプローチを導入しよう、という動きが世界中で起きています。デジタル化、自動化、ロボティクスの活用、フィジカルAIを製造に取り入れようというわけです。その結果、標準化、品質の向上、予測可能性の向上がもたらされ、再生医療産業全体の成長が加速すると期待されます。製造プロセスの迅速な最適化による研究開発期間の短縮は、たとえ1年、2年でも、細胞医療製品の価値を大幅に高めるので、とても大きな意味があります。

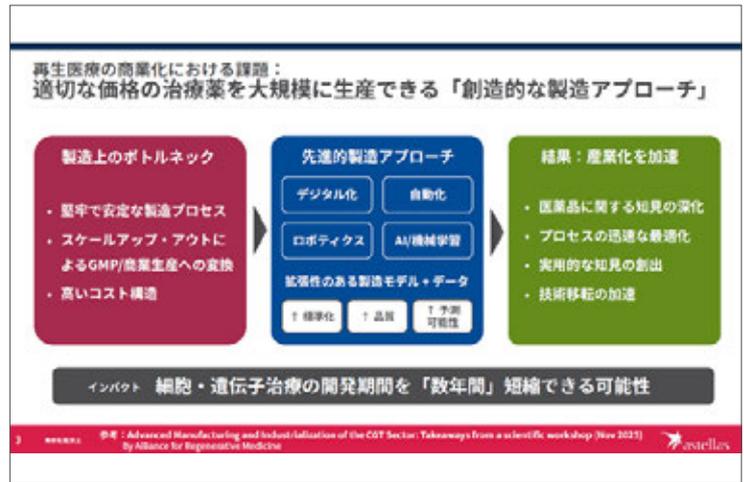
米国ではいち早く Advanced Manufacturing Technologies Designation (AMT 認定) という仕組みが導入されました。これは製造プロセスの信頼性・堅牢性の向上、品質向上、開発期間の短縮、安定供給といったことを促進するためのもので、この仕組みのベネフィットは、CMC (Chemistry, Manufacturing and Control) に関して、FDAと早期か

ら緊密な対話機会が得られ、開発者はタイムリーな助言を受けることができます。また、同じ技術の横展開に関して、当局と効率的にコミュニケーションできるというメリットもあります。

先進技術を活用した製品が米国当局に認められれば、グローバルにパートナーリングの機会を高めるような信用・信頼の獲得に繋がります。ですから、再生関連企業はAMTの認定を受けることを考えたほうが良いでしょう。

そのAMTを我々も取得しました。取得したのは、安川電機と組んだ「ヒューマノイドロボットを用いたシステム」の技術です。これは日本のアウトバウンドの勝ち筋だと言えるのではないのでしょうか。日本の得意分野である産業ロボットと再生医療が組み、新たな製造技術の開発を行うのは良い取り組みだと思います。

初めにも言いましたが、細胞医療産業のボトルネックは製造プロセスにあります。そして、「先進的製造基盤の確立」こそが、日本初の再生医療シーズのグローバルな社会実装を加速するのが私の考えです。日本は国からのサポートが手厚いというアドバンテージがありますので、さまざまな支援を十分に活用しながら競争力を高めていくことが大切です。



## AMED第3期の挑戦

### — 世界とつながる 創薬エコシステムに向けて—



下田 裕和

演者  
国立研究開発法人日本医療研究開発機構  
(AMED) 調整役

#### 創薬エコシステムの確立が進む

高市政権の発足により、戦略投資の対象となる17の分野が選定されました。その中には我々AMEDが進める創薬・先端医療が含まれています。官民投資というキーワードのもと、創薬分野でしっかりと勝ち筋をつくることが期待されています。特に再生医療・iPS細胞関連は最有力視されている分野の1つなので、日本の強みとして打ち出すためにも、しっかりと投資を促進していきたいと思っています。

創薬ベンチャーエコシステムの目指すべき姿は、①ベンチャーの立ち上げ（起業化）、②早期の海外市場進出、③高い市場価値の投資回収、④国内への還元という循環です。それを実現するための支援を我々は行っています。また、認定ベンチャーキャピタルの数も増やしています。米国の投資がどんどん呼び込めるようになっており、日本も勢いづいてきていますので、ベンチャーエコシステムを世界のマーケットで回していけるようにと意識しています。

現在、たくさんの海外ベンチャーキャピタルが新たなシーズを求めて日本にやってきました。一方で日本のベンチャーキャピタルも着実に育ってきた印象です。これまではベンチャー企業に対して「こういう人材が必要だ」というアドバイス程度しかできなかったところが、今では適切な海外人材を直接連れて来られるベンチャーキャピ

タルが増えてきました。また、グローバルなインナーサークルに入り「うちが投資するからあなたも一緒に投資しよう」という話ができる人材も出てきました。つまり、世界とつながっている日本人が増えたのです。

ただ、まだ課題もあります。素晴らしい研究成果や企業が出てきている中で、周辺技術を持った研究者となかなか横のつながりがつづられていないのです。製造プロセスや品質評価など、さまざまな研究者が各々進めていることをつないで、何とか個々のシーズをゴールまで持っていかなければなりません。そのために我々は事業間連携の強化を後押ししています。

ほかにもAMEDの運営方針として、研究の初期からの産学共創、社会実装に向けた基礎研究の充実、国際展開の推進、医療分野の研究開発のDXをかかげています。

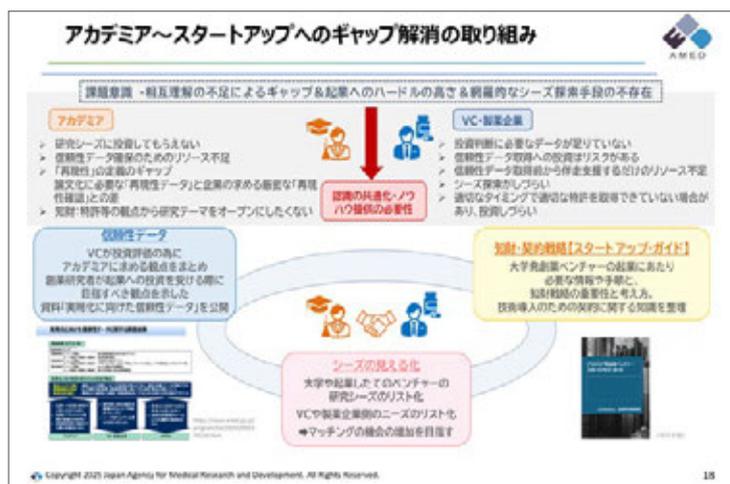
#### 創薬では実用化視点が大事

ここでひとつ大事なことは、基礎研究を進めつつ実用化視点で戦略を考えなくてはいけないということです。基礎研究をマウスからヒトの臨床へとステップを進めれば創薬開発につながるわけではありません。なぜなら創薬開発に関して言えば、論文ベースのデータだけでは新薬候補としての投資対象にはならないからです。研究者の先生が好奇心の追及を起点として

画期的な発見につなげるプロセスと、実用化・出口を見据えた薬事承認のプロセスとは、データの取り方も変わってきます。そういった中で我々AMEDが担うべきなのは、先生の提案を尊重して研究を前に進めることに加えて、薬事承認に向けた確かなアドバイスができる経験者となついで平行して創薬研究を進めることです。

そこで手始めに、AMEDのシーズをまずは製薬企業の一線級の開発経験者にすべて見てもらうという取り組みを行います。製薬業界の御眼鏡に合う創薬開発のイメージができるかどうかを判断してもらったうえで、グローバルなエコシステムとどうつないでいくのか、出口からの戦略を練るつもりです。さらに、スタートアップ起業を見据えた、特許取得のタイミングや信頼性のあるデータの取り方などを示したガイドブックを作成するなど、さまざまな研究者や産学連携に向けた多様なバックアップ体制を整えています。

そのほか、令和7年度の補正予算では、難病・希少疾病グローバル研究開発支援という新規事業も開始します。もともとはフェーズ2までのベンチャー支援中心でしたが、希少疾病についてはグローバル治験のためフェーズ3も含めて補助金を出せるようになります。これから公募もありますのでみなさんにも活用していただければと思います。





# PANEL DISCUSSION

座長・ファシリテーター

高橋 淳  
島 賢一郎

パネリスト

花村 遼  
木村 徹  
金子 新  
鈴木 丈太郎  
下田 裕和

## 再生・細胞医薬と従来の医薬品との違い

**島** 第一部のパネルディスカッションは、再生医療のアウトバウンドにフォーカスしたいと思います。では、そもそも再生・細胞医薬は、従来の医薬品や医療機器とどう違うのでしょうか。

**木村** まだ成功モデルがない、ということに尽きます。薬事規制やデリバリーの問題などいろいろありますから。

**島** では、医療機関における再生医療の実施体制について、日米での違いを具体的に教えてください。

**木村** 至近なところでは、オペの時に細胞のウォッシュを誰がやるのか、という点です。日本では医師が担当しますが、アメリカではコ・メディカルが担当することもあります。

**島** 再生・細胞医薬を海外に持っていくときに顕著になりそうな違いは何だと思いますか。

**鈴木** 例えば低分子医薬品や抗体であれば、CDMOでも容易につくれます。しかし、再生医療等製品では、製造プロセスが製品を規定するので、その製造プロセスをアセットとして取引することが難しい。ここが違う点だと思います。再生医療等製品の製造には、特許に書かれている以

外に膨大なトレードシークレットやノウハウがふくまれているので、最適化に時間がかかるのです。

**島** 人材の違いについてはどうですか。

**鈴木** 日米では細胞を製造する人の背景が違いますね。日本ではPh.D.を持つ方が製造する場合もありますが、米国のCDMOではオペレーターが行います。この点では日本にアドバンテージがあるでしょう。

**島** アカデミアの立場からはどう見えるでしょうか。

**金子** 再生医療等製品は従来の医薬品とは違い、不均一な材料から生き物である細胞をつくっています。ですから成果物やプロトコルを渡して終了、というわけにはいきません。アカデミアが途中まで伴走する必要がありますが、どこまでやるべきか判断が難しい。また、CDMOもたくさんありますが、どこと組むべきなのか悩みます。

**島** 花村さんはどのようなご意見がありますか。

**花村** これまでの医薬品産業は水平分業型で、CDMOに頼めばそれで良かったかもしれません。しかし、こと再生医療等製品に関しては、各地域の実態に合わせたコーディネーションが大事だと思います。製薬企業や開発者がいろいろなパートナーと一緒に治療をつくり上げていく「地域



特化型のエコシステム型垂直統合」が必要です。

### 再生医療の勝ち筋とは何か

**畠** 再生医療等製品をアウトバウンドしたとして、何がどうなれば勝ちといえるのでしょうか。

**木村** 投資して承認を取って患者さまに届けるということだけでなく、十分な利益が出て次の新しいものに投資する意欲が湧いてくれば勝ちではないでしょうか。

**鈴木** 木村さんと同じですが、多くの患者さまに再生医療等製品のベネフィットを届けた上で、しっかりと次の投資ができるような利潤を得ることです。

**畠** 「まほろ」のような機械は、どうなることを目指しているのですか。

**鈴木** ロボットを介することで細胞製造のプロセスをデジタルスペースに移すこと、そしてプロセスを企業間で取り引き可能なものにすることを目指しています。最終的には世界のどの場所でも高品質の細胞を安定してつくれるようになることです。

**畠** 再生医療、細胞治療などのデータというものについて、AMEDではどんなふうにお考えでしょうか。

**下田** 企業や研究者が持つデータだけでなく、ゲノムデータや病院の治験データも繋げる必要があります。ですから個人情報保護法の適用除外も含めて制度的にも環境を整備していく必要があるでしょう。

**畠** 日本の場合は均質な医療が安定的に提供されているうえ、国民皆保険制度によってデータを取りやすい可能性がありますね。だからここは勝ち筋かもしれません。

**金子** 世界中に医療を普及させようと思うと、製造の部分がやはり問題で、インフラがないとだめです。その点、日本の「ものづくり」は確実に強い。日本のテクノロジーを使いながら、世界の隅々まで医療を届けられるような戦略を描きたいですね。

**花村** 患者さまの人生を変えてしまうようなことを、ビジ

ネスとして成立させようと貪欲に取り組んでいるのが米国のモデルなんです。それを産学官一体となって進めているところがすごいところです。我が国でもそうしたことをやっていかなくてはならないと思います。

### アウトバウンドでのボトルネックとは

**畠** アウトバウンドにおけるボトルネックについてお聞かせください。

**鈴木** 初期投資が大きいことがボトルネックです。例えば我々は細胞製造の自動化に取り組んでいますが、個社のパイプラインを製造するだけでは投資に見合いません。プラットフォームを広く公開してたくさん使ってもらいなどし、投資回収効率をあげることが必要となるでしょう。

**木村** 私は成功モデルがないことがボトルネックだと考えています。iPS細胞を用いた再生医療をまずは日本で実装して見せることが必要でしょう。

**金子** 製造がボトルネックになりやすいと感じています。日本国内と海外の両方で展開しているCDMOもありますので、ソフトとハードを絡めて上手く問題点を解決できれば良いと思います。

**畠** ボトルネックの解決に向けたAMEDの方策はなんでしょうか。

**下田** AMEDのやるべきことは、産学官をしっかり繋げていくことです。また、米国のFDAにこちらから情報提供をするなど、グローバルに日本のプレゼンスを高めていくことも意識しています。それが日本のビジネスの成功をもたらすと思っています。

**畠** 海外から見ると、日本の制度はよくわからないと思われているようです。このあたりのことも踏まえて、ボトルネックの解決策はありますか。

**花村** 日本の条件及び期限付き承認制度は有効な仕組みだと思っています。一度実用化してみると、さまざまな

課題が見えてきますから。しかし、条件及び期限付き承認を取ってからあれこれ考えているようでは遅い。開発、製造の段階からFDA基準でつくっておく、データを取っておくことなども必要です。また、こういった分野は人と人との繋がりも大事です。ある程度形になってから海外に持っていくのではなく、生煮えの段階でも良いので、どんどん海外の投資家などに意見をもらったほうが良いです。

### 産学官の連携に期待することは

**畠** では、最後にみなさんのそれぞれの立場から、産学官連携に期待することなどをお話してください。金子さん、「学」の立場から産官へ期待することは何ですか。

**金子** 研究とビジネスを繋ぐ人材の育成が非常に重要だと思います。AMEDには引き続き積極的なプランを組んで、スタートアップを応援していただきたいです。

**畠** ファシリテーターの高橋さんはどうですか。パネリストではありませんが、重要なポジションに就いておられるので、「学」の立場からのご意見をお願いします。

**高橋** 早い段階から海外展開を目指すことが大事、というコンセンサスを得られたことが、このシンポジウムの収穫の一つになりそうですね。「学」の立場も最初から海外展開を見据えて研究をするというマインドが必要でしょう。例えば、PMDAと相談して日本できちり治験をやっておいたので、我々はFDAを通すときにスムーズに事が運びました。日本のアカデミアも海外展開を考えながら開発をすべきですね。あとは産学官で人と人との繋がりを深めていくことを期待したいです。

**畠** 「産」の立場からはどうですか。

**木村** 細胞医療はある種ソリューション提供なので、移植医療にあたります。「産」に医師はいませんので、医師とアカデミアの協力体制が「産」には必要です。「官」の方には「産」と「学」の協力関係を促進する仕組みをぜひ



とも考えていただければと思います。

**鈴木** 「産」である私の側からアカデミアに望むことは、サイエンスに集中してどんどんイノベーションを生み出していただきたいということです。先ほど高橋先生がFDAとの交渉が上手くいったとおっしゃいましたが、それは圧倒的なサイエンスの強さがあったからだと思います。また、サイエンスに対する継続的な投資が「官」からもあってほしいです。

**下田** あちこちでお金が足りないという声を聞きますが、今はもう稼ぐ段階にきたところもあると思います。アカデミアもベンチャーも稼いでそのリターンで次の研究ができるようにするにはいけません。ただ、稼げるようになるまで支援していくということは、政府としてもしっかりやっていきたいと思っています。

**花村** 今、アメリカでは短期的な視野の投資が増えてしまっています。そのような中、再生医療を技術として実装し、中長期で稼いでいけるようなモデルを日本ができれば、と思います。

**畠** どうもありがとうございました。早期からの産学官連携がキーワードですね。海外にもっていく場合も早期のビジョンメイキングが必要であると思います。聴衆のみなさん、本日はご参加有難うございました。引き続き産学官の連携を進めてまいりたいと思います。よろしく申し上げます。



## 日本の再生医療を、 どうすれば患者さまに 届けられるのか



栄木 憲和

演者

EIKI CONSULTING, LLC  
プレジデント

### 好調な米国の再生医療等製品

2025年にFDAが新薬として承認した46品目のうち、半分が希少疾患薬でした。アメリカは新興バイオ企業が活況で、約1,500社もあります。それに対して日本は約150社と言われており、上場しているのは十数社ですので、かなり規模感が違います。米国の再生医療等製品にどのようなものがあるかといいますと、主なものは、CAR-TのKymriahとYescarta、遺伝子治療のZorgensmaとHemgenixなどが挙げられます。Zorgensmaの日本での薬価は約1億7,000万円、Hemgenixは日本では未承認ですが、米国での薬価は約5億円ということで、話題になりました。

2015年～2025年にかけての再生医療等製品の承認品目数は、日本オリジンのもので4つだけなのに対し、米国のものは30に上ります。このような差ができてしまったのは、なぜでしょうか。

### 日米で大差がついた原因とは

日米で差がついた理由には主に3つあると思います。一つ目は、アカデミアや創薬ベンチャーに対する投資規模に圧倒的な差があるということです。AMEDの予算は約1,500億円なのに対し、NIHの予算は5兆円です。ファンディングの差が非常に大きいのです。二つ

目は、産業エコシステムが未成熟であることです。CDMOの製造プロセスはとても大事ですが、海外企業が日本に進出しようとしても、情報が少ないのが現状です。どこと組んで製造したら良いのか、海外のバイオファーマにはまるで伝わっていません。また、日本は再生医療の製造プロセスが弱く、治験サンプルをつくらうにもつくれなかった、というようなこともありました。基礎研究から新薬上市までの道のりには、投資規模を国際水準にし、CDMO能力を強化することが不可欠です。

また、三つ目は、出口戦略の不確実性で、とにかく薬価の問題が大きいことも、日米で差がついた原因だと思います。これはアウトバウンドでの課題となります。

昨今、日本の創薬力が低下したと言われています。これを薬価の問題のせいにする人もいますが、それは一義的なものにすぎません。むしろ過去の低分子医薬品の成功体験に安住してしまったことが原因ではないでしょうか。そして世界的な高分子医薬品への潮流に対応できなかった。さらに産学官連携が弱く、ベンチャーエコシステムが欠如してしまったことも理由の一つだと思います。米国では、投資家と科学者が手を組むというモデルが1980年代からありますが、日本

ではあまり見られなかったことです。つまり、日本は優れた創薬力を持ちながらもエコシステムに乗り遅れてしまったことで、創薬力が低下してしまったのです。

### 日本の市場は魅力がある

私は日本のマーケットは非常に魅力的だと思っています。例えば、ヨーロッパでは新薬が承認されて保険償還されるまでに2年前後かかります。一方、日本では通常2-3か月以内です。抗がん剤などの年間売上は1,000億や2,000億円というものがあります。それを上市后10年間のネットプレゼントバリューを計算してみると日本の利益率は非常に高くなります。薬価というものを10年単位で見てもらいたいと考えています。

2024年の外資系製薬企業の売り上げを見てみると、20社のうち11社はプラスになっています。ということは、日本の薬価制度で新薬を上市するとにプラス成長ができることとなります。

米国のバイオベンチャー企業は、あまり日本市場の知見がありません。AMEDなどには米国のプレゼンスをもっと高めてもらい、日本の市場は魅力的だとPRしてほしいと思います。そういった積み重ねが、最終的には日本発の新薬を世界に届けることに繋がると信じています。



## ブリistol・マイヤーズ スクイブの企業戦略と 細胞療法への取り組み



**秋本 美紀**

演者

ブリistol・マイヤーズ スクイブ株式会社  
執行役員 研究開発本部 薬事部門長



### BMSの戦略と取り組み

私どもブリistol・マイヤーズ スクイブ (BMS) は、がん、血液、免疫、心疾患、神経領域を中心とした開発・供給体制を構築し、革新的な医薬品を世界中に届けることを使命としています。特徴的なのは、低分子医薬品やバイオ医薬品に加え、細胞療法を中核プラットフォームの一つとして位置付けている点です。また、細胞療法に関しては、開発・提供だけでなく、人材育成も企業戦略のうちであると考えています。

BMSは、これまでに世界で1万5千人以上の患者さまに細胞療法を届けています。そして、2030年までに治療対象者は10万人規模になると考えています。一方、日本での患者さまはこのうち数%です。これからはもっと日本の患者さまにも細胞療法を届けたいと考えています。

BMSは20年以上に渡り、血液領域を中心に製品を届けてきました。また、細胞療法に関しては、2つのCAR-T製品を市場に出しています。多発性骨髄腫やリンパ腫では、日本も開発段階から参画し、実際の治療現場までお届けしています。さらに次世代のCAR-Tや自己免疫疾患の治療についても、イノベーションを加速さ

せ続けています。ここで重要となるのが、細胞療法は企業での開発が成功しただけでは成立しえないという点です。細胞療法の持つ複雑性を再現させるためには、製造プロセス、品質管理、人材確保のサポートが必要です。また、当局の皆様との連携や医療機関の先生方との協力体制も不可欠です。

細胞療法は高度な治療で複雑なオペレーションを必要とするため、すべての国で提供できるわけではないと認識しています。今後は国や地域の連携により、新しい医療の発展に繋がっていきたくと考えています。

### 日本は細胞療法の戦略に重要な国

日本はBMSの細胞療法戦略で重要な役割を担っています。日本での臨床試験の実績には確かなものがあり、日本に特化したプログラムや取り組みもあります。日本は医療水準が高く、信頼性の高い薬事規制があること、医療制度が整っているといった強みがあり、革新的な治療を行うのにふさわしいと言えます。そのため、我々は開発・製造・ナレッジが集積する場として日本を位置づけています。

日本の強みを生かした例としては、日本への設備投資の集約が挙げられ

ます。2019年からニコン・セル・イノベーションとの連携を通じ、CAR-T製造の技術移管と規模の拡大を進めてきました。この取り組みは、技術と知識を日本で蓄積し、APEC諸国が臨床試験に参画できるように製造基盤を整えていくこと、高度な専門職人材を育成するといったことまでを含めた投資です。これは日本がアジアのハブを担う事例になると考えています。

細胞療法は単独の製品では成り立ちません。研究、開発、製造・供給、医療保険制度、そして治療体制、これらすべてが連携することで初めて医療として成立するものです。日本の強みを世界に発信していく、あるいは世界から日本が選ばれるようになるためにはどうすれば良いか。そのためには、国際臨床試験の開発と一緒に参画すること、CDMOやインフラを強化すること、さらにイノベーションを正しく評価する保険制度にすることなどが大切です。こうしたことをエコシステム全体の設計に繋げることが鍵になると思います。

日本が再生医療等製品において、受け入れる国から世界に提供する国へなろうとしていることを、企業としてもしっかり発信し続けたいと考えています。

## 藤田医科大学 羽田クリニックにおける インバウンド診療



**榎村 重人**

演者

藤田医科大学  
臨床再生医学 主任教授

### 当院の方針と取り組み

羽田空港近くにある我々のクリニックは海外から患者さまをお呼びする「インバウンド診療」に力を入れています。もちろん、健診のために国内の方や著名人がいらっしゃることもあります。そのため、クリニック内で患者さま同士が顔を合わせないで済むような設計をしています。また、中には研究施設があり、医師主導治験用の製品製造なども行っています。

我々は持続可能な形で、再生医療を含む治療を国内外の患者さまに提供したいと思っています。しかしながら、再生医療だけでは収益が上がらないため、原則的にすべての治療を自由診療とし、収益を上げやすいような治療も行っています。また、情報提供を極めて重要なサービスであると考え、治療の相談も有料にしています。その代わりに、エビデンスに基づいた信頼できる情報を提供し、場合によっては大学病院などとも速やかに連携して治療を行います。

### インバウンド治療の問題点

マーケットを考えると、日本人の患者さまだけではクリニック経営は厳しい。一方で、インバウンドの患者さまを呼ぶことにもリスクがあります。実際、政治

的な問題によって中国からの患者さまは減りましたし、医療ビザのタイミングに合わせる必要があるといった問題もあります。また、さまざまな再生医療等製品や特定細胞加工物による治療には、2回の受診が必要になります。1回目に細胞を採取してそれを培養し、2回目に提供するというわけです。2回も日本に来るのはハードルが高いため、そのあたりの戦略も必要です。

しかし、一番の問題は、エビデンスの少ない治療を求める方が多いことです。皮肉なことに、エビデンスのない自由診療を行っているクリニックがあることで、インバウンドによる需要が増し、当院にも患者さまがいらっしゃるのです。患者さまを連れてくる仲介業者の中には、効く・効かないは二の次で、ビジネスライクに動くところも見受けられます。ただ、アカデミアとしてはそれでは困るので、我々は正しい情報に基づきエビデンスのあるものだけを提供しています。さらに、仲介業者への正確な知識の普及も一生懸命に進めているところです。

### 提供している自由診療と 臨床研究について

我々は現在、第二種再生医療を自由診療で提供しており、間葉系幹細胞

### 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

・専属の生物統計学者、倫理・規制担当者、プロジェクトマネージャー（PM）

・最新データ収集チーム

・学術文献サーチ、メタ解析

胞を使った整形外科治療や不妊治療を実施しています。また、インバウンド患者さまには、培養角膜内皮細胞の注射製剤を用いた治療を行っています。この治療は1回の来日で済むため患者さまにも我々にもメリットがあります。日本で厚労省が承認しているという点がエビデンスとして強く、インバウンドからの関心の高い治療です。こうして治療が普及して使用する細胞の数が増えれば価格も下がってくると期待されます。このような点もインバウンド治療のメリットのひとつかもしれません。

また、治療のほか、臨床研究・治験も進めています。例えば、3Dプリンターを使った間葉系幹細胞を含む生体組織の製造や、iPS細胞由来角膜内皮代替細胞移植などです。

最後になりますが、インバウンド診療についての課題を3つ挙げたいと思います。1つ目は言語の問題。通訳を誰が用意するのかなどがあります。2つ目は費用の問題。未払いの場合の対処法や適正価格の付け方などがあります。3つ目は仲介業者との付き合い方です。開業して2年半経過し、かなりノウハウが蓄積してきました。今後も、日本の医療・再生医療を我々なりの方法で盛り上げていきたいと思っています。

## 再生医療等製品の 薬事規制のアップデート



高梨 文人

演者

厚生労働省 医薬局 医療機器審査管理課  
再生医療等製品審査管理室長

### 条件・期限付き承認制度の変更

再生医療等製品の薬事規制について、自分が以前に担当した2020年からこの5年ほどの間に、どのようなアップデートがされたのかをお話したいと思います。

まず1つ目、条件・期限付き承認制度の運用についてです。条件・期限付き承認では、探索的な治験でも有効性が推定され安全性が確認できれば、市販後に引き続き検証すること等を条件に期限付き承認を付すことができます。2020年当時、この制度を今後どのように運用すべきか、内々に議論を重ねました。例えば、「有効性が推定される」の「推定」とは何を意味するのか、あるいは、市販後の検証計画はどのような内容を盛り込んだものを立てることを求めるか、といったことが当時の課題となりました。そこで行政の中に研究班をつくり、アカデミアの先生とも議論を交わし、令和6年3月に「条件及び期限付き承認並びにその後の有効性評価計画策定に関するガイダンス」を出しました。このガイダンスでは、議論となった「推定」という言葉について詳しく記述されています。加えて、市販後の計画については、どのような評価指標を検証するか、比較対象をどう設けるか、検証の計画が立てられた上で条件・期限付き承認の対象になりうる、という観

点が盛り込まれました。

また、令和7年10月には、承認審査などの行政手続きの内容を明らかにするため通知を発出しました。これには、例えば、申請後に製販業者が自主的に取り下げなどをした場合であっても、製販業者が収集した試験成績を審査・公開するという仕組みが含まれています。このように制度の透明性を高めることが運用において重要だと考えています。

これまで条件・期限付き承認制度は国際的にも議論的となってきました。しかし、承認を取り消す規定がきちんと機能していることが、昨今では評価されるようになってきました。

### 再生医療等製品の制度の改善

2つ目は、再生医療等製品の制度関係についてです。令和7年の薬機法改正で、自家細胞製品を用いた再生医療等製品の規格外品については、例外的に販売・提供が可能となる規定が設けられました。自家の再生医療等製品では、患者から採取した細胞の状態や、その後の製造工程により、予め設定した規格に満たないことがあります。しかし、製品の作り直しをすると、患者の状態によっては治療の機会を逸する場合もあります。こういった懸念を考慮し、安全性の確保を大前提として、一定の要件を満

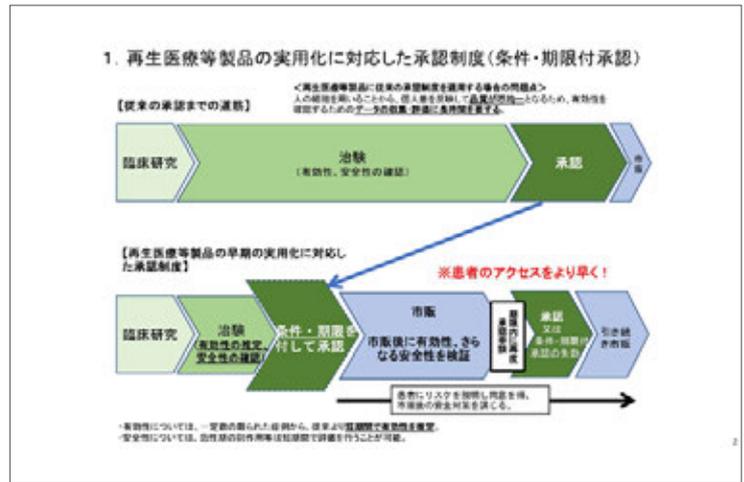
たす場合は規格外品の販売・授与を認めることになりました。令和9年5月頃の法施行に向けて準備を進めています。

### カルタヘナ法の運用・手続きの改善

3つ目は、カルタヘナ法の運用・手続きについてです。薬機法とは別に、カルタヘナ条約に基づくカルタヘナ法によって、遺伝子組み換え生物やウイルス・プラスミドなどの人への投与には事前審査が求められます。これには手続きに時間がかかるため、以前から改善要望が出されていました。そのため2019年以降、運用の改善がなされ、カルタヘナ第一種承認申請の事務処理期間の見直しが図られました。その結果、行政側の処理期間については一か月程度短縮することができました。

以上、条件・期限付き承認制度の運用に関する通知とガイダンスの発出、規格外品の例外的提供、カルタヘナ法の運用・手続きの改善が主なアップデートです。

最後にもう1つだけ加えますと、再生医療等製品に関する規制の国際的な調和を目指す動きが出てきています。医薬品規制調和国際会議 (ICH) での議論が開始され、これから日本でも海外でも規制の調和が図られることが期待されます。





第1部 再生医療等製品の国際戦略

# PANEL DISCUSSION

座長・ファシリテーター

高橋 淳  
高 賢一郎

パネリスト

柴木 憲和  
秋本 美紀  
榎村 重人  
高梨 文人

### 日本市場の魅力と情報発信

**高橋** 日本の市場についてどう思いますか。

**柴木** 日本はノーベル賞受賞者を輩出していて、基礎的な科学レベルが高い国だという印象を持つ人は多いです。日本についてよく知る一部の人は、日本の市場を高く評価していますが、米国のバイオフーマは、日本市場のことを良く知りません。私自身は、日本では薬事承認された製品は通常2-3か月以内に薬価償還されますから、ネットプレゼントバリューを計算すれば他の国の市場よりもはるかに魅力的だと思っています。

**高橋** BMSの秋本さんは、日本の魅力はどんなところにあると思いますか。

**秋本** やはり、医療水準が高いという点がポイントです。医療技術のレベルが高くないと細胞療法を届けられません。また、薬事など医療制度が安定していることも魅力です。もっと日本の良さを発信する必要があると思います。

**高橋** 日本の魅力をどのように海外に伝えれば良いのでしょうか。

**柴木** PMDAがワシントンD.C.にオフィスを開設したことは、日本のことをより知ってもらう第一歩になったと思います。実際、相談件数はかなり増加していると聞いております。

**高橋** 高梨さん、PMDAの広報活動の内容について教えてください。

**高梨** ワシントンD.C.オフィスの活動に加えて、再生医療等製品を担当する職員を派遣してアウトリーチを実施しています。そして、日本の規制制度の説明を現地の企業向けに行うなどしています。

**高橋** 『Nature』が条件及び期限付き承認制度に対してネガティブな意見を載せたことがありますね。それに対して何か言いたいことはありますか。

**高梨** 議論を通じて、日本の柔軟な制度が国際的に認知されることにつながったと評価します。

**高橋** 条件及び期限付き承認制度は、世界に先駆けた優れた制度だと思います。あとは運用をどうするかでしょう。今は、産学官で連携して日本のレピュテーションを上げて

いく段階ですから、PMDAが海外に拠点を作ったことはありがたいことだと思います。

### 日本の技術力は高く評価されている

**高橋** 秋本さん、BMSには海外拠点がたくさんありますが、日本にも拠点をつくりましたね。これにはどういった意味があるのでしょうか。

**秋本** 私どもの製造拠点はまだアメリカがメインです。そのような中で、日本への大きな投資が得られたことはとても大きなことです。背景にあるのは、やはり日本の技術力が評価され、APAC諸国を支えるにふさわしい国だと判断されたからだと思います。

**高橋** 日本では高度なトレーニングを受けた人材が製造に携わっています。その分、属人的なテクニックに走りがちだという側面もあります。でも技術をアメリカに持っていくときは、誰でもできるようにしなくてははいけない。そのあたりを上手くやっていく必要がありますね。

### 民間医療保険への期待

**高橋** 榛村先生、羽田クリニックの自費診療について教えてください。みなさん民間保険も使わず、ポケットマネーで治療に来るのでしょうか。

**榛村** まだ保険が使えるものはあまりありませんからね。将来的には学会と保険会社が連携して、自由診療特約のようなものができれば良いと思います。民間の保険によるサポート体制がもっとあれば、治療する人も増えるでしょう。

**高橋** 細胞治療に日本の民間保険は対応してくれるようになるでしょうか。世界レベルで見えた場合、対応可能な保険はありますか。

**榛村** MSC (Mesenchymal Stem Cell) で膝関節の治療をしたドイツの患者さまのケースで、民間保険から治療費

が一部出たという話は聞いています。

**高橋** ビズノバ（ドナー角膜組織由来の培養ヒト角膜内皮細胞を含む再生医療等製品）はどういうお金で治療されているのですか。

**榛村** 日本人で、なおかつ対象疾患の患者さまでしたら、保険診療でやっています。一方、海外の方は完全に自費です。ただ、仲介手数料の支払いなどもありますので、収益についてきちんと考えてやらないといけません。

### 日本のソフトパワーを世界が求めている

**高橋** 同じ治療でも、海外から日本に患者さまを呼ぶ場合と、日本から海外に製品を出す場合があります。榛村先生は前者ですが、何か理由がありますか。

**榛村** 日本に資金が集まってくることも、日本の技術を海外に持って行ってライセンスを取ることも、どちらもお金の流れとしてはインバウンドに当たると思います。我々が海外から患者さまを呼んでいるのは、日本人の真面目さやおもてなし精神を求めている方が大勢いるからなんですね。例えば、とある国の看護師さんはあまり優しくないようで、富裕層の患者さまにも冷たかったりします。一方、日本の看護師さんは優しく接してくれる。これはソフトパワーとして大きな価値があると思います。ですから、我々のような、ちょっと高いけどおもてなしをしてくれる病院というものには、高いニーズがあるのです。

**高橋** 日本のホテルや旅館のサービスは、世界中で売れるテクニックですよ。

**榛村** 私が気になっているのは、日本人の真面目さと器用さで成り立っているノウハウを、はたして海外に持っていきけるのかということなんです。仮にノウハウを伝えられたとして、習得した瞬間、盗まれてしまうのではないのでしょうか。





ですから、そこにはリスクもあると思っています。

**高橋** 再生医療は単なる製品ではないんですよね。細胞製造、手術、看護師さんの対応などすべてを含めてパッケージ化された技術なんです。そこが難しいところだと思います。

**榛村** いわゆるカスタマージャーニーだと私は思っています。パッケージを売る、真似はできない、だからうちに来てくださいということです。

### 高額医療と医療財源の問題

**高橋** 1つ質問させてください。高額医療に対して、海外ではどのような問題がありますか。日本では医療財源が厳しいことが課題になっていますが。

**柴木** ゴルゲンスマなどの高い薬剤の問題があります。米国では、主に民間保険を中心に「治療効果が出なければ返金する契約（アウトカム連動型リスクシェアリング契約）」が適用されています。

**秋本** 医療財源については、日本だけではなく、米国もヨーロッパもそれなりに苦しい状況だと思います。どのように国民に説明するのか、どういう財源でサポートすべきか、どこの国も悩んでいるところではないでしょうか。

**高橋** 条件及び期限付き承認というのは、要するに企業がお金をかけて治験をするべきところを、国が税金でカバーするという制度だと思います。そうすると、そこに海外の企業が乗っかってくることもあるのではないのでしょうか。高梨さん、海外からのアプローチはありますか。あるとすれば、それに対する政府の対応はどうなっていますでしょうか。

**高梨** 日本で開発するというのであれば、海外企業でも制度の適用可能性は国内企業と同様にあります。令和7年の通知の中では、日本人の患者が治験に含まれることを基本とした上で、例外的な場合を整理しています。



ただ、この制度はあくまでも最終的に本承認を取得することを目指すものですから、条件・期限付き承認を受けることをゴールだと思って海外から来られるのは困ります。

### 自費治療は社会貢献に近い

**高橋** 榛村先生は医療費についてコメントはありますか。

**榛村** 自費診療、自由診療は高額ですが、これは教育にも似たところがあると思っています。公立の中学校なら誰でも行けるのに、学費の高い私立の中学校に行く子もいますよね。もしも私立を廃止したら、公立に人があふれてしまう。今の日本の公的資金による医療はそこに近いと思います。2階建ての2階部分に当たる、自費によるプライベートな診療があっても良い。これは社会貢献に近いんです。公的資金を使わずに医療を受ける人が増えれば、国の負担は減りますから。無理矢理すべてを公的な保険でカバーしようとするよりも、2階建てにした方が、いろいろな意味での自由度が増します。再生医療を含む付加価値の高い医療を受ける人が増えれば、それは全体として社会貢献になって、日本の医療の柔軟性が増すと思います。

**高橋** 日本の再生医療は質も高いですし、手術技術も患者さまのおもてなしについても高い水準にあります。だから患者さまを日本に呼び込むことができます。外に出すときはパッケージ化して持っていけると良いですよね。ビジネスとして再生医療を成立させることができるよう、産学官で連携して進めていければと思います。

**畠** やはり情報発信の必要性を改めて感じました。アカデミアの先生方のハイレベルな研究は、日本の屋台骨であることは間違いありませんが、規制の合理性や市場の魅力についてはまだまだアピール不足です。産学官で連携して、戦略的に情報発信していくことが重要だと思いました。

## 幹細胞由来の 神経オルガノイドができるまで



### 坂口 秀哉

演者

国立研究開発法人  
国立成育医療研究センター  
精密創薬研究部  
実験薬理研究室 室長

### 神経オルガノイド研究の歩み

先日、恩師である笹井芳樹先生のメモリアルシンポジウムがありまして、そこでオルガノイド研究の歴史を詳しくお話したところ好評を博しましたので、今回の発表でも改めて日本語でご紹介したいと思います。

オルガノイド研究とは、多能性幹細胞や組織幹細胞を用いて、三次元で臓器のような組織をつくらうという研究です。中でも三次元で作られた神経組織を神経オルガノイドといい、昨今ではどんどん研究技術が進歩しています。

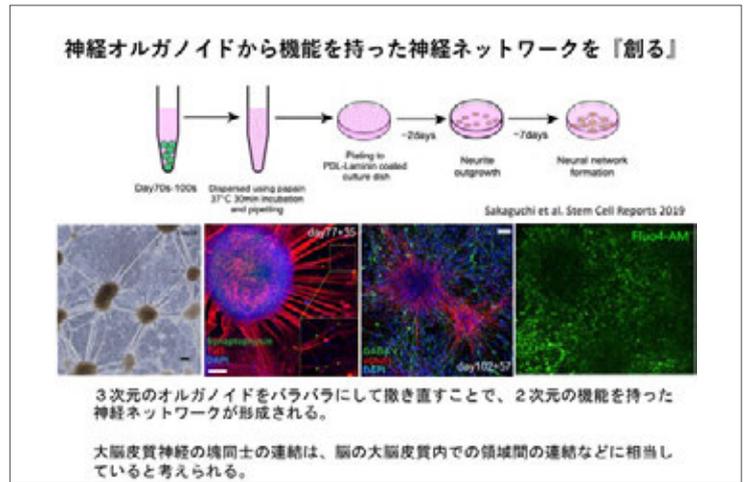
神経というのは、神経管が頭からお尻の方まで長く繋がってできています。そして、各部分によって多様な因子が作用し、その濃度もさまざまです。発生学のこのような知識をもとに、「この因子をここで幹細胞に与えたら脳ができるかも」といったアイデアで発生学の延長としての研究が行われ、様々な試行錯誤が行われました。ここでマウスES細胞を血清なしの培地で浮遊培養したところ細胞が勝手に凝集塊をつくり、その中に大脳皮質に相当する構造ができることがわかりました。そして分化誘導効率を改良した分化誘導法が開発され、効率的に大脳皮質組織がつくれるようになると、組織をマウスの脳に移植したり機能評価をするなどの応用研究も可能となりました。

時を同じくして、笹井研究室ではヒトES細胞を分散した際におこるアポトーシスを

ROCK阻害剤が抑えることを報告していました、マウスの分化誘導法にROCK阻害剤を加えることでヒトES細胞からの神経組織分化誘導が可能となり、ヒトES細胞由来の三次元大脳皮質組織をつくることに成功しました。ヒト大脳皮質の層構造がきれいに再現できており、この成果が現在の神経オルガノイド研究の扉を開けたと言われています。

その後、細胞外基質を使えば、連続した大きな上皮を作れるのでは、というアイデアのもとに洗練された大脳皮質構造を作ろうとしたところ、期待に反し連続した構造ができず、上皮が飛び出したような構造が形成されました。これを見た研究者はその構造から、「もしかしたら眼杯ができたのでは」と考えました。確かにその通りでした。予測しない結果でありながらも、形態的な側面から眼杯だと見抜いたというのはセレンディピティと言えると思います。

また同時に、そもそもなぜ神経分化誘導すると大脳や網膜ができるのか。発生の一丁目一番地を特定しようという研究も行われました。これに向けて栄養因子をできるだけ抑えた培地を使うとマウスES細胞から視床下部ができることがわかりました。つまり神経分化誘導のデフォルトは視床下部にあり、培地の組成に応じて分化誘導領域を調整するということが可能となりました。加えて視床下部誘導をLarge cell aggregationというより多くの細胞数を播種する条件で培養すると、BMPシグ



ナルが内因性に上がって下垂体の分化誘導が起こることも突き止められました。このように様々な領域を分化誘導で作分けられることを示した「無血清凝集浮遊培養法」は、神経オルガノイド研究のパイオニアとして知られるようになったわけです。

### オルガノイド研究への期待

オルガノイドは、基礎研究として魅力があるだけでなく、自己組織化過程の描出ができるという点で大変に画期的です。また、勝手に形ができていくのを見ることができる面白さがあります。動的な過程を保持したまま、いかにして解析するか、ということが今後の課題となるでしょう。同時に、ヒトの神経オルガノイドは生きた三次元の神経組織ですから、疾患モデリングや再生医療への応用が期待され、ますます注目されていくでしょう。

日本発祥の神経オルガノイド研究は現在世界的にもいろいろな形で進められ、一見すると世界の方が進んでいると見えるかもしれませんが。しかしフィロソフィや技術というものは、いくらパッケージしてもなかなか真似るのは難しいものです。まさにこのオルガノイドは、フィロソフィと技術の継承があって成り立っています。この技術は日本が推進してきたものであり、今もまだ日本にアドバンテージが残っていると思います。今後とも研究を続け、より一層発展させて行きたいと思っています。

## アセンブロイドで 神経回路をモデルする



今泉 研人

演者

スタンフォード大学  
精神医学・行動科学科 博士研究員

### 感覚神経アセンブロイドの開発

脳オルガノイド技術の発展により、ヒトの細胞から様々な脳部位のオルガノイドが作られるようになりました。ただ、ヒトの脳はそれぞれの部位が繋がり、神経回路を構成することで高次の神経機能を発揮します。そこで我々のグループは、複数の脳オルガノイド同士を融合させ、神経回路や細胞間相互作用の研究を可能にするモデルを開発しました。そして、「オルガノイドをアセンブルする」との意味から、これをアセンブロイドと命名しました。

さまざまな脳部位の組み合わせのアセンブロイドが開発されていますが、私がメインで研究しているのは感覚神経回路のアセンブロイドです。痛みや熱さなどの外部刺激が末梢組織に加わると、まず末梢の感覚神経から脊髄に情報が送られ、脊髄から視床、視床から大脳皮質へと伝わります。大脳皮質で情報が処理されると、痛みや熱さといった感覚が生じます。そこで、ヒトiPS細胞から末梢感覚神経、脊髄、視床、大脳皮質の特性を持つオルガノイドをつくり、これらを適切な順番で融合させた感覚神経回路のアセンブロイドを開発

しました。

カルシウムイメージングを用いて神経活動を観測したところ、4領域は同期した神経活動を示していることが確認できました。また、感覚神経特異的なATP刺激を行うと、融合させていない場合は感覚神経のみが応答しますが、アセンブロイドでは他の3領域でも神経活動が見られました。

また、細胞外記録においても、4領域が同期した神経活動を行うことが確認できました。これらの実験から、アセンブロイド内で機能的な神経回路が形成されていることが示唆されました。

### 疾患研究への応用も可能

我々は、このアセンブロイドモデルを、疾患研究へ応用する試みを行いました。電位依存性ナトリウムチャンネルNav1.7の遺伝子変異により、痛みを感じなくなる無痛症に着目し、この遺伝子変異をヒトiPS細胞に導入しました。このiPS細胞からアセンブロイドを作ると、4領域間の神経活動の同期性が低下し、表現型の一部をアセンブロイド内で再現できる可能性が示唆されました。

### さまざまな研究への発展

昨今、アセンブロイド研究の発展は著しく、血管やミクログリアのような非神経系細胞と神経系細胞との相互作用を調べる研究なども進んでいます。また、脳だけでなく、心臓や肝胆膵、腎臓など他臓器のアセンブロイドを使ったアプローチも発展してきています。

現在、ヒト細胞を用いた実験系の需要は大きくなっており、アセンブロイドを用いた研究モデルの重要性は今後も大きくなっていくことが期待され、特に創薬研究や神経の基礎研究において、我々のモデルの重要性を高めていきたいと考えています。

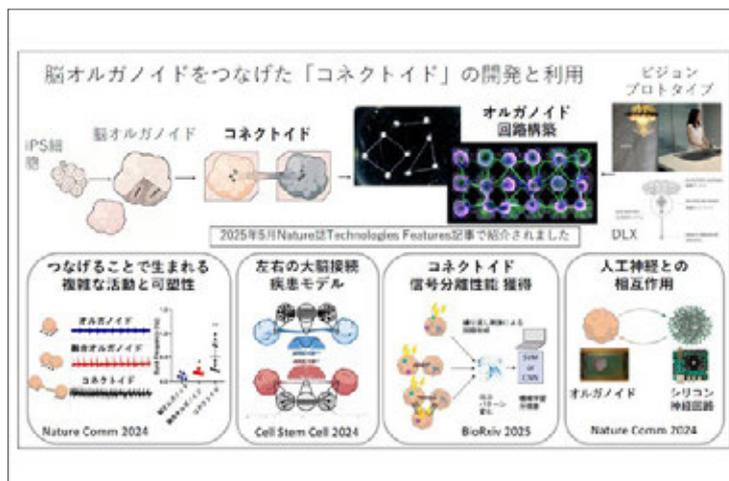


# 大脳オルガノイドネットワーク 組織構築



**池内 与志穂**

演者  
東京大学  
生産技術研究所 教授



## 軸索でオルガノイドをつなぐ

私たちはもともとは運動のシステムに興味を持っており、運動神経を真似た組織をつくりたいと考えました。小さな溝のある特殊な容器を作成し、そこで運動神経の塊を入れて培養すると、塊から伸びた多数の軸索が溝の中に入り、溝の先に向かって伸びていきます。溝の中では軸索同士が自発的に結合し、軸索の束ができます。こういった方法で、生体内の運動神経を模倣した運動神経オルガノイドの開発に成功しました。運動神経の軸索の主な役割は、筋肉に信号を伝えることです。一方で、脳の中は複雑であり、特化した機能を持つ各部分が軸索によってつながり、高次の機能を生み出します。そこで私たちは、軸索を使ってオルガノイドをつないでみることにしました。最近ではこのようなものはコネクトイドと呼ばれるようになり、注目され始めています。

脳オルガノイドをたくさんつなげると、活動はどんどん複雑になり、可塑性も生じます。

コネクトイドは入力信号を分離する機能を獲得でき、電子デバイスの人工神経とクロズループで相互作用させることも可能だとわかりました。また、ウィーンの研究グループによれば、左右の大脳

が接続しなくなる（脳梁欠損）疾患のモデルとしても使えるということです。

## 機能の獲得に必要な条件は

オルガノイド自体に細胞がたくさん含まれていて、その中で細胞がシナプスによって活動を伝え合い、複雑なやり取りをしている。そしてそのオルガノイド同士が軸索でどんどんつながってネットワークが大きくなるということは、脳機能の基盤として期待できるのだと思います。ただ、機能の獲得はまだまだこれからです。

例えば、オルガノイドを12時間くらい刺激していると、刺激をやめた後も刺激に従った活動をしやすいという現象が見られます。しかしはたしてこれを学習と言えるような現象に近づけることはできるのでしょうか。このような疑問に答えるべく、私たちは機能の獲得にはどんな条件が必要なのか、試行錯誤を続けています。これまでに、オルガノイドのネットワークの数を変えたらどうなるか、刺激を与える期間はどのくらい必要なのか、といったことを検証しました。その結果、ネットワークの数は1つや2つよりも3つの方が性能が良いとはっきりしました。また、刺激は毎日与えないと機能は向上しないということもわかりました。

さらに興味深いことに、刺激によってネットワークの特性が変化することがわかりました。刺激された方から刺激されていない方に活動が広がるというような、ネットワークの方向性が獲得される様子も見られました。こうして神経に機能を獲得させるためには、しっかりしたネットワーク構造を作ること、かなりの入力が必要だという結果が得られました。ちなみに、現在はオルガノイドを18個までつなげることができるようになり、複雑な活動を持続的に作り出せるようになってきています。

## コネクトイドの将来性

将来的には、神経回路が入力依存的、機能依存的、あるいはタスク依存的に自己組織化していく様子を理解するツールとしてコネクトイドが使えるようになればよいと思っています。また、さらに遠い将来には、計算資源として使えるかもしれないという議論もされ始めています。ただ、私たちが面白いと思っているのは、やはり細胞ごとに特性が異なるという点です。特性の違いを個別化の評価に利用する、あるいは精神疾患のモデルとして使えるようなものに押し上げていくなどといったことを目指していければと考えています。

# CLOSING REMARKS



**山口 秀人**

FIRM 代表理事副会長

## 閉会挨拶

今回のシンポジウムは第10回目という節目を迎えました。参加されている皆様の熱意と議論の深さを拝見し、この10年で再生医療がいかに強固なエコシステムを築いたかを改めて実感しております。日本の再生医療をいかに世界の中で展開し、持続可能な産業として確立していくか。私たちは今、その決定的なフェーズに立っております。

本日は非常に示唆に富む発表や意見交換が続きました。そして、破壊的な技術革新こそ日本の国際競争力の源泉であると確信をもった次第です。

再生医療の産業化は容易な道ではございません。科学的妥当性や規制の合理性、そして何より事業としての持続可能性が大事で、これらの歯車をかみ合わせていくことが不可欠です。本日の議論がこの場限りの対応にとどまることなく、明日から皆様それぞれの現場において、具体的な行動に繋がっていくことを切に願っております。本日は誠にありがとうございました。

