

再生医療の開発を成功に導くための要素とは

～見えてきた課題に対して～

京都大学医学部附属病院先端医療研究開発機構（以下「iACT」）は、2025年2月26日、令和6年度iACT再生医療シンポジウム「再生医療の開発を成功に導くための要素とは～見えてきた課題に対して～」をオンライン開催しました。iACTは2023年9月、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムにおいて、「再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題（規制・社会実装支援課題）」に採択され、伴走支援拠点としての活動を続けています。本会では現状の報告と、見えてきた課題に関する意見交換が行われました。当日はアカデミア、企業研究者、研究支援者など多くの方々にご参加頂きました。本記事では概要をご紹介します。（所属、肩書きは開催当時のものです）

◆プログラム

総合司会：西野 良（iACT 医療開発部 医薬品・再生医療支援ユニット ユニット長）

開会の辞：波多野 悦朗（iACT 機構長）

第一部 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムの全体像と現状

- 1) 「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムとは」 都築 博彦（AMED 再生医療研究開発課 主幹）
- 2) 「規制・社会実装支援課題における再生医療の開発支援実績」 永井 純正（iACT 医療開発部 部長）
- 3) 「再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点の活動と人材育成について」 丹羽 良太（京都大学iPS細胞研究所（CiRA） 所長補佐）
- 4) 「再生医療におけるベンチャーキャピタルの取組み～事業化の観点から～」 上野 博之（京都イノベーションキャピタル株式会社（京都iCAP） 執行役員）
- 5) 「再生医療に関する動向とアカデミアシーズの事業化への期待」 神田 浩聡（アーサー・ディ・リトル・ジャパン株式会社 マネージャー）

第二部 「再生医療の開発を成功に導くための要素とは～見えてきた課題に対して～」

●ファシリテーター：波多野 悦朗（iACT）

●パネリスト：都築 博彦（AMED）、丹羽 良太（CiRA）、上野 博之（京都iCAP）、神田 浩聡（アーサー・ディ・リトル・ジャパン（株））、永井 純正（iACT）

閉会の辞：永井 純正（iACT 医療開発部 部長）

冒頭に、iACT 機構長の波多野悦朗より開会の挨拶として本会の趣旨が説明され、本議論が再生医療の発展に寄与することを期待することが述べられました。

第一部 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムの全体像と現状



開会挨拶
（波多野 悦朗）

講演 1）再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムとは 都築 博彦（AMED）

都築氏から、再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムの概要が紹介されました。AMEDは2015年、医療分野の研究開発およびその環境整備の中核的な役割を担う機関として発足しました（図1-1）。発足当時から再生医療の実現化に取り組み、第1期（2015年～2019年、対象：iPS細胞等の再生医療）、第2期（2020年～2024年、対象に遺伝子治療を追加）を経て、基礎研究から実用化までシームレスな支援を行うために複数の事業が進行中です。本会のテーマである「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム」は基礎・応用研究から非臨床試験までのフェーズの加速化を支援する文部科学省主導の事業です。同プログラムでは、「再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点」（全体的なハブ機能）、「再生・

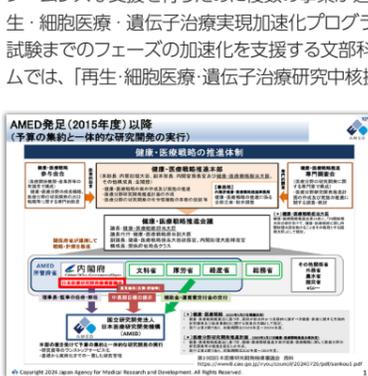


図 1-1



図 1-2

細胞医療・遺伝子治療研究開発課題」（実用化につながるシーズの育成支援）、「疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題」（疾患特異的にiPS細胞を用いた病態解明や創薬研究の推進を実施）、「再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題」（課題の実用化に向けた伴走支援）が設定されています。「再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題」の全体像（図1-2）と、そのうち「規制・社会実装支援課題」を担当するiACTの取組みが説明されました。

都築氏は本事業を設計した背景として、日本が欧米に比べて知的財産に対する対応が遅れていることを挙げ、「早期から将来的な実用化を見据えた研究開発ができるよう、戦略的な伴走支援体制を整えた」と述べました。

講演 2）規制・社会実装支援課題における再生医療の開発支援実績 永井 純正（iACT）

永井から、「規制・社会実装支援課題」への取組みが紹介されました。京都大学は図2に示す実施体制のもと、主に非臨床 POC フェーズの研究を対象に、社会実装に向けた規制や法令、知的財産に関する助言、PMDA（医薬品医療機器総合機構）への相談に向けた準備支援、プログラム全体の環境整備（全課題の進捗管理と支援課題内でのノウハウの蓄積）、俯瞰的な情報収集、他の支援課題との連携、人材育成などを行っています。



プログラム全体の環境整備においては、2024年度はミーティング等の情報を一元管理して AMED と支援組織、研究者間で共有するための進捗管理システムを構築したほか、実用化までのモデルスケジュールを示した「開発フェーズ表」（https://www.saisei-support.site/outcome/64）の提供や、研究開発担当者であるアーサー・ディ・リトル・ジャパン社による規制動向調査結果（https://www.saisei-support.site/outcome/78）の紹介など、開発と実用化を進めるうえで有用なコンテンツの提供を進めています。

伴走支援を行うには、再生医療に関する知識だけでなく臨床やビジネスについての理解も必要となります。現在 iACT では、PMDA 出身者、製薬企業で製造経験のある人、再生医療の基礎研究経験がある人などを採用し、即戦力となる人材の確保はできていますが、若手を育成する体制については十分とはいえません。永井は「人材発掘と育成の方策をパネルディスカッションで探していきたい」と第二部への期待を述べました。

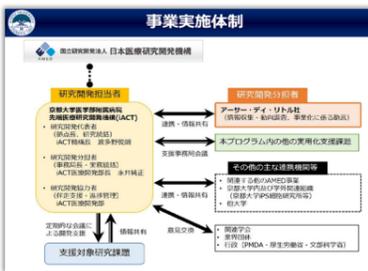


図 2

講演 3）再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点の活動と人材育成について 丹羽 良太（CiRA）

丹羽氏から、CiRA の活動が紹介されました。

CiRA は 2023 年、「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム」の中核拠点に採択されました。将来的な次世代医療としての再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装を見据えて4つの機関（自治医科大学、国立成育医療研究センター、京都大学 iPS 細胞研究財団、CiRA）が連携し、それぞれの強みを生かして研究成果の融合・発展や共通基盤技術の開発に取り組んでいます。また、再生細胞医療と遺伝子治療の分野を牽引し、研究の融合を促進するハブとして、拠点内外との連携や若手研究者の育成を推進しています（図3）。

従来より CiRA では、武田薬品工業株式会社と10年間にわたる共同研究プロジェクト（T-CiRA）を実施するなど、研究結果を臨床応用につなげる取り組みを行ってきました。また、再生医療用 iPS 細胞ストックプロジェクトの下で臨床用細胞製

造の人材育成にも取り組み、京都大学 iPS 細胞研究財団に業務移管後は安定的な雇用環境で細胞の製造・提供が続けられています。

さらに広報活動や人材育成にも力を入れており、2024年度には中核拠点としての活動の一環として、博士研究生員をはじめとした若手研究者を対象としたインターンシップ（CiRA 中核拠点インターンシップ）を開始しました（https://www.cira.kyoto-u.ac.jp/j/pressrelease/newsletter/250108-000001.html）（https://www.cira.kyoto-u.ac.jp/j/pressrelease/newsletter/241128-000001.html）。2025年度以降も募集を予定しています。

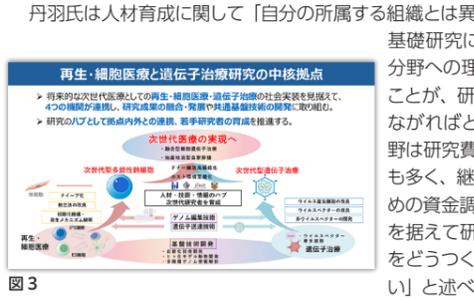


図 3

講演 4）「再生医療におけるベンチャーキャピタルの取組み～事業化の観点から～」 上野 博之（京都iCAP）

上野氏より、再生医療におけるベンチャーキャピタル（VC）の取組みが紹介されました。京都iCAPは京都大学の100%出資で2014年に設立され、京都大学発の技術を活用したスタートアップ企業への投資を行っています。上野氏は、「大学発のシーズが製薬企業にライセンスされるまでには、開発リスクや長期投資負担といった大きな壁がある。このギャップを埋めるのがバイオテック企業とそれを支援する VC の役割である。バイオテックがシーズの臨床開発を進め、VC の資金と経営支援によって事業化が加速し、いわゆる「死の谷」を克服することが可能になる」と、VC の役割を説明しました（図4）。

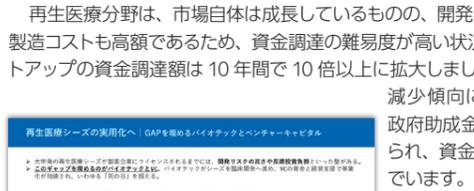


図 4

再生医療分野は、市場自体は成長しているものの、開発期間が長期にわたり、製造コストも高額であるため、資金調達難の状況にあります。スタートアップの資金調達額は10年間で10倍以上に拡大しましたが、直近3年間は減少傾向にあります。一方で、政府助成金を活用する動きも見られ、資金調達の多様化が進んでいます。

講演 5）再生医療に関する動向とアカデミアシーズの事業化への期待 神田 浩聡（アーサー・ディ・リトル・ジャパン株式会社）

最後に、神田氏から、再生医療の動向と将来推計についての報告がありました。現状パイプラインをベースにした自社独自の市場規模推計によれば、グローバル市場は今後大幅に拡大し、2030年には7.4兆円、2040年には11.8兆円規模となり（図5-1）、そのうち日本企業が起源のシーズは、2030年には5,200億円、2040年には1.1兆円と、世界市場の約10%を占める規模に達すると見込まれています（図5-2）。グローバル市場はがん領域が牽引するのに対し、日本企業シーズは、がんよりも中枢神経や心血管領域の占める割合が高くなると予測されています。がん領域でいかにプレゼンスを上げていくかが、日本の今後の課題のひとつとなりそうです。

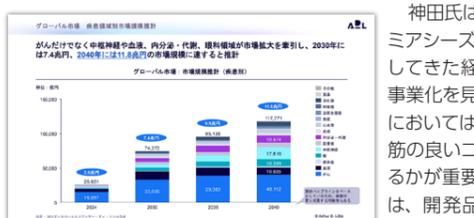


図 5-1

患者のニーズや市場規模、間接的な競合まで含めた競争環境まで幅広く検討する必要がありますが、アカデミアの研究者だけではカバーしきれない部分も多いので、さまざまな業種と連携する必要性を感じている」と指摘し、「コンサルティング会社として微力ながら協力していきたい」と述べて講演を締めくくりました。

図 5-2

第二部 パネルディスカッション 「再生医療の開発を成功に導くための要素とは～見えてきた課題に対して～」

パネルディスカッションでは、波多野をファシリテーターとし、第一部の講演で取り上げられたテーマについて意見を交換しました。

【iACT が提供する研究開発フェーズ表について】

- 永井から紹介された研究開発フェーズ表は、どのタイミングで何をすればいいのかが一目でわかり、とても有用であると思う。
- 研究者が思っているより早く製造にとりかからないと、実用化が進まないことがある。スケジュールの感覚をもっておくことは重要だ。

【スタートアップの資金調達が低下している要因とその対策】

- スタートアップの資金調達が低下している要因としては、金利の上昇や投資家が安定性を求める傾向といった社会的背景のほか、CAR-T療法のような波を起こせるイノベーションの不足が考えられる。
- 実用化を進めていくうえで、各ステークホルダーが連携していく必要がある。異業種間を「糊付け」する役割を担う京都iCAPのようなVCの役割は大きい（図6）。

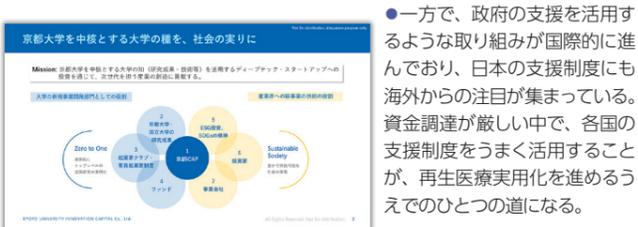


図 6

【再生医療の市場動向予測について】

- 日本は、がん領域においてはグローバル市場におけるプレゼンスは高くはないものの、中枢神経、心血管、眼科領域についてはオリジナルのシーズがあり、しっかりしたプレゼンスを確立している。
- 今後、がん領域でプレゼンスをあげていくためには、アカデミアと製薬企業が連携し、シーズ創出と開発の加速化が求められる。

【人材育成について】

- 再生医療分野は、高度で、かつ多岐にわたる知識や技術が求められる。即戦力となる人材を確保しようとする、現場で相当の経験を積んだ人を中心に採用せざるをえなくなり、若手の雇用や次世代の育成がなかなか進まない。そうしたなかで、第一部の講演でCiRAの丹羽氏が紹介されていたインターンシップ等の取り組みは大変参考になった。
- 日本の再生医療の研究開発を活性化させるためには、若手人材が任期に縛られず、じっくりと研究に従事できる環境を作っていくなくてはならない。長期的なキャリアパスをどのように構築していくかは、政府も含めて全体で考えていくなくてはならない課題である。
- 裾野をひろげるという意味では、学部生や大学院生の段階から再生医療やスタートアップに興味をもってもらうことが重要である。
- 再生医療分野は研究側とともに製造側の人材も大きな役割を担うので、機械工学や化学工学などの分野とも親和性がある分野である。医学だけでなく多岐にわたる分野に働きかけていくことが研究開発人材及び支援人材双方の発掘につながるのではないかと、といった意見が提示されました。

シンポジウムの最後に、永井が閉会の辞を述べました。永井は「再生医療の実用化には研究者だけでなく、行政、アカデミアにおける支援部門、VC、コンサルティング会社など多くのステークホルダーの協力が不可欠だが、人材は不足している。興味のある方は、ぜひ一歩踏み出して、実用化に貢献していただければと思う」と総括しました。