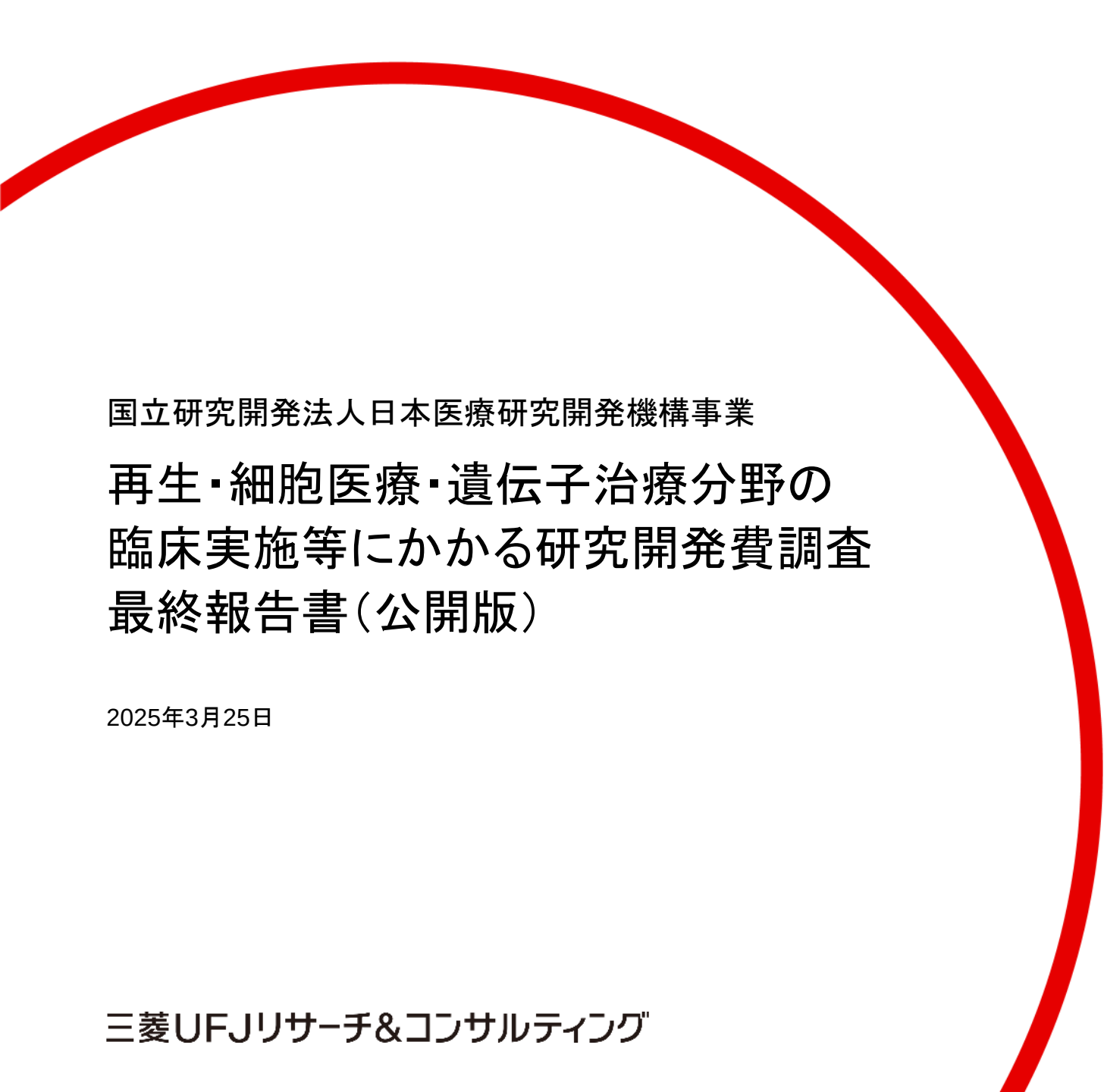




国立研究開発法人日本医療研究開発機構事業

再生・細胞医療・遺伝子治療分野の
臨床実施等にかかる研究開発費調査
最終報告書（公開版）

2025年3月25日

三菱UFJリサーチ&コンサルティング

世界が進むチカラになる。



本調査の概要(和文)

国立研究開発法人日本医療研究開発機構(以下、「AMED」)の支援事業の一つである「再生医療等実用化研究事業」にて、AMEDが支援すべき適正な研究開発費を設定できるようにすることを目的に、臨床研究・治験実施、あるいはその開始準備を行う研究開発課題が要する研究開発費を調査・算定した。なお、調査・算定の際は、モダリティの違いや、外注の有無等、各研究開発課題の特徴を考慮した。今後、日本において、再生医療等分野のより活発な市場導出につながる支援が望まれる。

本調査の概要(英文)

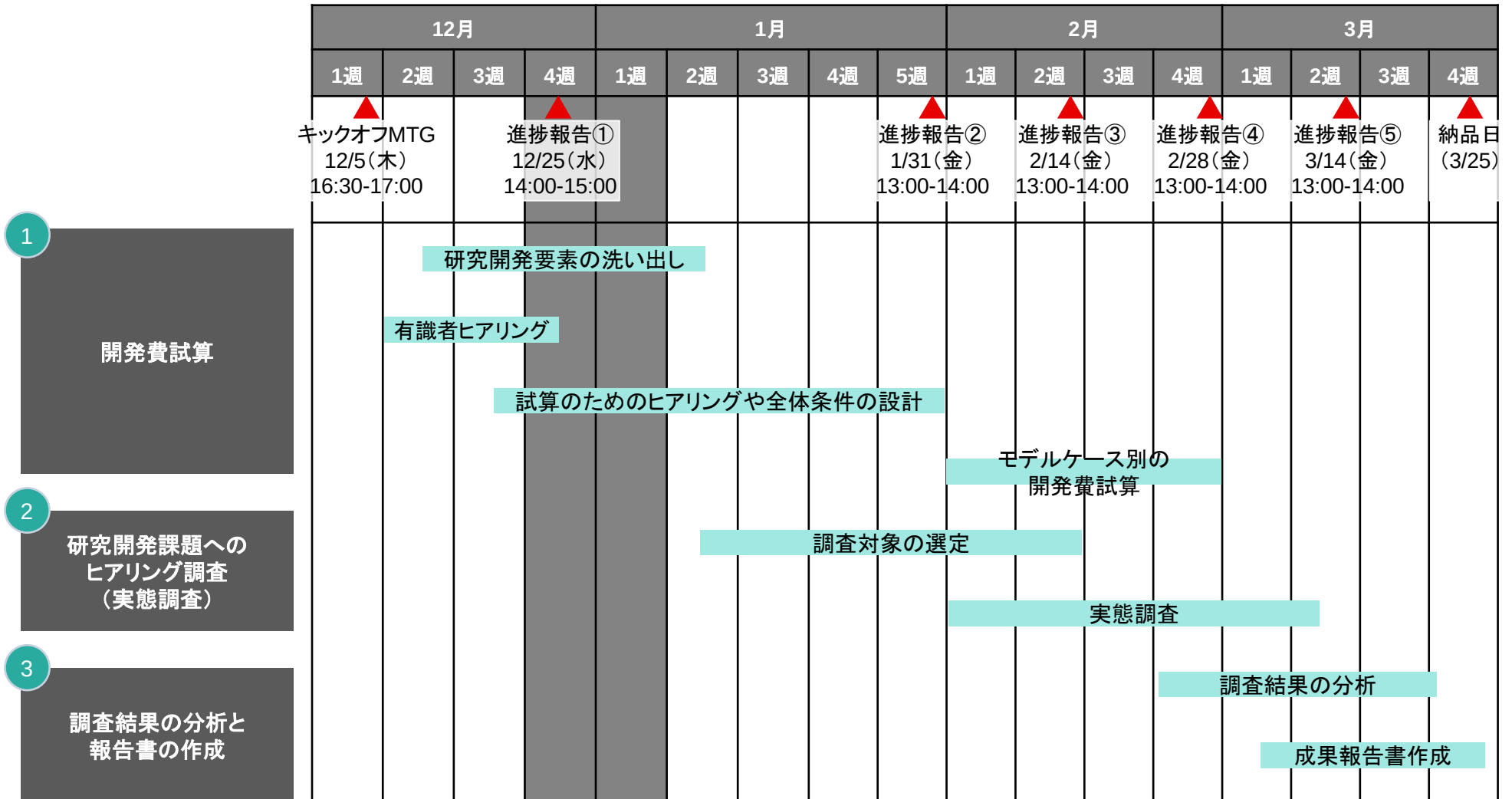
The purpose of this study was to investigate and calculate the R&D costs required by R&D projects that conduct clinical research and clinical trials or prepare to start them, in order to set appropriate R&D costs to support the “Research Project for Practical Application of Regenerative Medicine,” which is one of the projects supported by the Japan Agency for Medical Research and Development (hereinafter referred to as “AMED”). The survey and calculations took into account the characteristics of each project, such as differences in modality and the presence or absence of outsourcing. In the future, we hope that support will lead to more active market development of regenerative medicine and other fields in Japan.

本調査の背景・目的

- 治療法の実用化までには、規制当局が求める製造法や品質規格の設定、非臨床試験や治験の実施等に多くの研究開発費が必要とされる中で、ファンディングエージェンシーであるAMEDからの支援は、わが国における再生医療等の実用化に向けて重要な役割を持っている
- 一方、昨今は、為替等の影響や、米国等で他家細胞原料(骨髄やアフェレーシス血液等)を取り扱う企業や機関がM&A等により集約され、かなり価格が高騰している海外からの輸入品に頼った開発が必須となっている状況もあり、開発費用が従来と比べ高額になっている背景があるものと認識している
- また、原材料だけではなく、消耗品(細胞を入れるバッグ等)や、輸送費等も含め、昨今の値上がりにより現場からはAMEDからの支援額だけでは不十分との声も聞かれている
- さらに、再生医療等分野の技術進歩に伴い、治療に要する工程が複雑化したことも、開発費用の高騰の一因と考えられる
- そこで、本調査では、今後の「再生医療等実用化研究事業」の臨床研究支援について、予算規模をどのような金額に設定するのが適正か、ということ把握し、今後の予算策定に役立てるため、再生医療等分野の研究開発費調査を行うことを目的とする

調査スケジュール

■ 調査は以下のスケジュールで実施した



開発費試算

開発費試算の進め方

モダリティごとの製品種類、製造場所の傾向について

- AMEDが従前進めてきた再生医療等実用化研究事業で過去5年間に支援した研究課題の内訳をみると、モダリティごとに代表的な製品、製造場所の傾向が見られており、その傾向、分類を元にコスト項目の精緻化を進めた
- 以下の6分類での開発費を試算する(開発費の試算対象は、非臨床・臨床(治験)のフェーズ)

	モダリティ	製品種類		製造場所
ア	体性幹細胞	間葉系幹細胞	自家同種	アカデミアCPC
イ			自家同種	CDMO
ウ	多能性幹細胞	iPS細胞	同種	アカデミアCPC
エ	Ex vivo 遺伝子治療	CAR-T細胞 (レトロVベクター)	自家	アカデミアCPC
オ		CAR-NK細胞 (レンチVベクター)	同種	アカデミアCPC
カ	In vivo 遺伝子治療	AAVベクター	—	アカデミアCPC (CDMO)

非臨床試験での研究開発要素

■ 非臨床試験では主に以下のステップ、費用が必要であることを整理した

	業務フロー	必要な費用(例)
1-① 試験計画・準備	■ 試験デザイン作成 ■ 規制当局への相談 ■ 動物実験の倫理委員会	■ 文書作成に関わる人件費 or 外注費 ■ PMDA相談費 ■ 委員会開催費、委員の人件費、文書作成に関わる人件費
1-② モデル動物 作製・管理	■ 疾患モデル動物作製 ■ 動物購入 ■ 飼育	■ 疾患モデル作製のための人件費 ■ 動物の購入費 ■ 飼育環境の維持費、飼育者の人件費
1-③ 投与品作製	■ 細胞原料調達 ■ 投与品作製 ■ 投与品の品質検査	■ ヒト細胞原料の入手のために必要な経費 ■ 細胞培養加工費、機器・備品購入費、人件費 ■ 品質検査試験費、人件費
1-④ 非臨床試験 実施	■ 体内動態 ■ 一般毒性試験 ■ 造腫瘍性試験 ■ 製造工程不純物評価 ■ ウイルス否定試験	■ 試験委託先への外注費 ■ 試験委託先への外注費 ■ 試験委託先への外注費 ■ 試験委託先への外注費 ■ 試験委託先への外注費(他家細胞で実施)
1-⑤ データ解析	■ データ管理システム ■ データ解析 ■ 報告書作成	■ データ解析ツール導入費 ■ 人件費 or 外注費 ■ 文書作成に関わる人件費

臨床試験での研究開発要素

■ 臨床試験においては主に以下のステップ、費用が必要であることを整理した

	業務フロー	必要な費用(例)
2-① 試験計画・準備	■ 試験デザイン作成 ■ 規制当局への相談 ■ 倫理審査等各種委員会	■ 文書作成に関わる人件費 or 外注費(CRO等) ■ PMDA相談費 ■ 委員会開催費、委員の人件費、文書作成に関わる人件費
2-② 被験者募集	■ 被験者募集広告 ■ 被験者対応 ■ 被験者管理	■ 臨床試験・治験の広告費、説明会費 ■ 人件費、被験者への治験参加費、交通費等 ■ 人件費
2-③ 治験薬製造	■ 治験薬製造 ■ 治験薬輸送	■ GMP施設での治験薬製造費(CDMO等への委託費) ■ 治験薬の輸送費
2-④ 臨床試験実施	■ 医療機関業務委託 ■ 臨床データ収集・管理 ■ 患者モニタリング	■ 臨床試験実施に関する医療機関への業務委託費 ■ データ管理費(CRO等への外注費) ■ モニタリング人件費 or 外注費(CRA等)
2-⑤ データ解析	■ データ管理システム ■ データ解析 ■ 報告書作成	■ データ解析ツール導入費 ■ 人件費 or 外注費 ■ 文書作成に関わる人件費
2-⑥ 承認申請	■ 承認申請資料作成 ■ 承認プロセス対応	■ 文書作成に関わる人件費 ■ 規制当局への相談費、対応に関わる人件費

モデルケース別の開発費試算の目的と限界

- 本調査では、再生医療等製品のモダリティ別の開発費の状況を踏まえ、AMEDが再生医療等実用化研究事業において、適切な支援を行うため、必要な範囲において、開発費試算を実施した
- そのため、あくまで大まかな費用感や、モダリティ間での開発費用の差を把握するための試算であり、実際に個々の研究において必要な費用の見積もりはできていない、という限界があることに留意されたい

概要

本調査の 目的

- AMEDが、モダリティ別の開発の状況を踏まえ、必要な費用を踏まえて適切な支援を行うための基礎資料の収集

試算の考え方

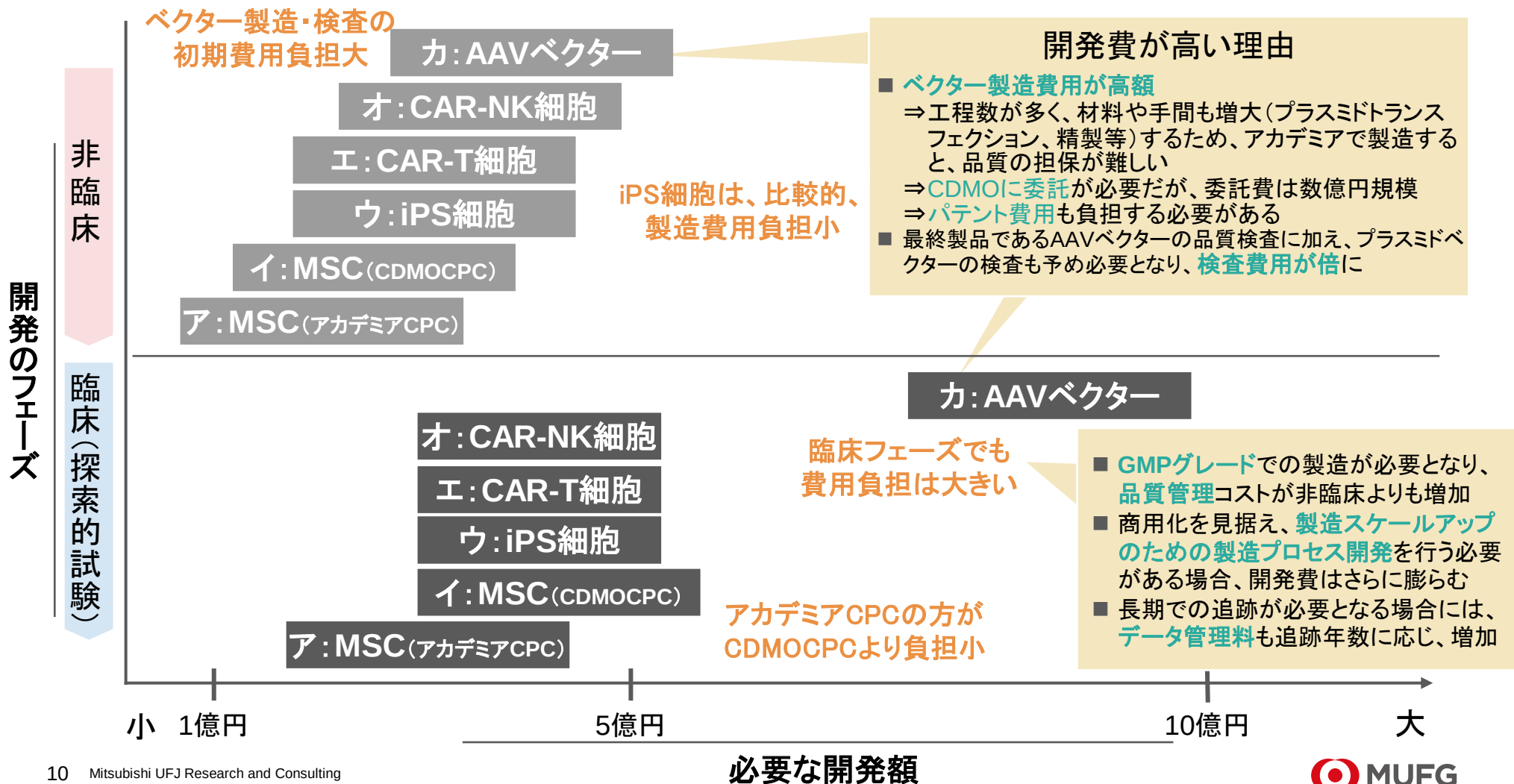
- 細かな設定は難しいことから、大まかに費用発生項目について仮置きをし、**開発費の全体像を把握することを重視**
- モダリティによる開発の特徴を捉え、モダリティ間の費用感の違いをできる限り把握

試算結果はあくまで参考値

試算結果の全体像

- 大まかな費用感やモダリティ間での非臨床フェーズ・臨床フェーズ別の費用負担の大小についてプロットすると、以下のようなイメージ*

*あくまで大まかな費用感や、モダリティ間での開発費用の差を把握するための試算(参考値)

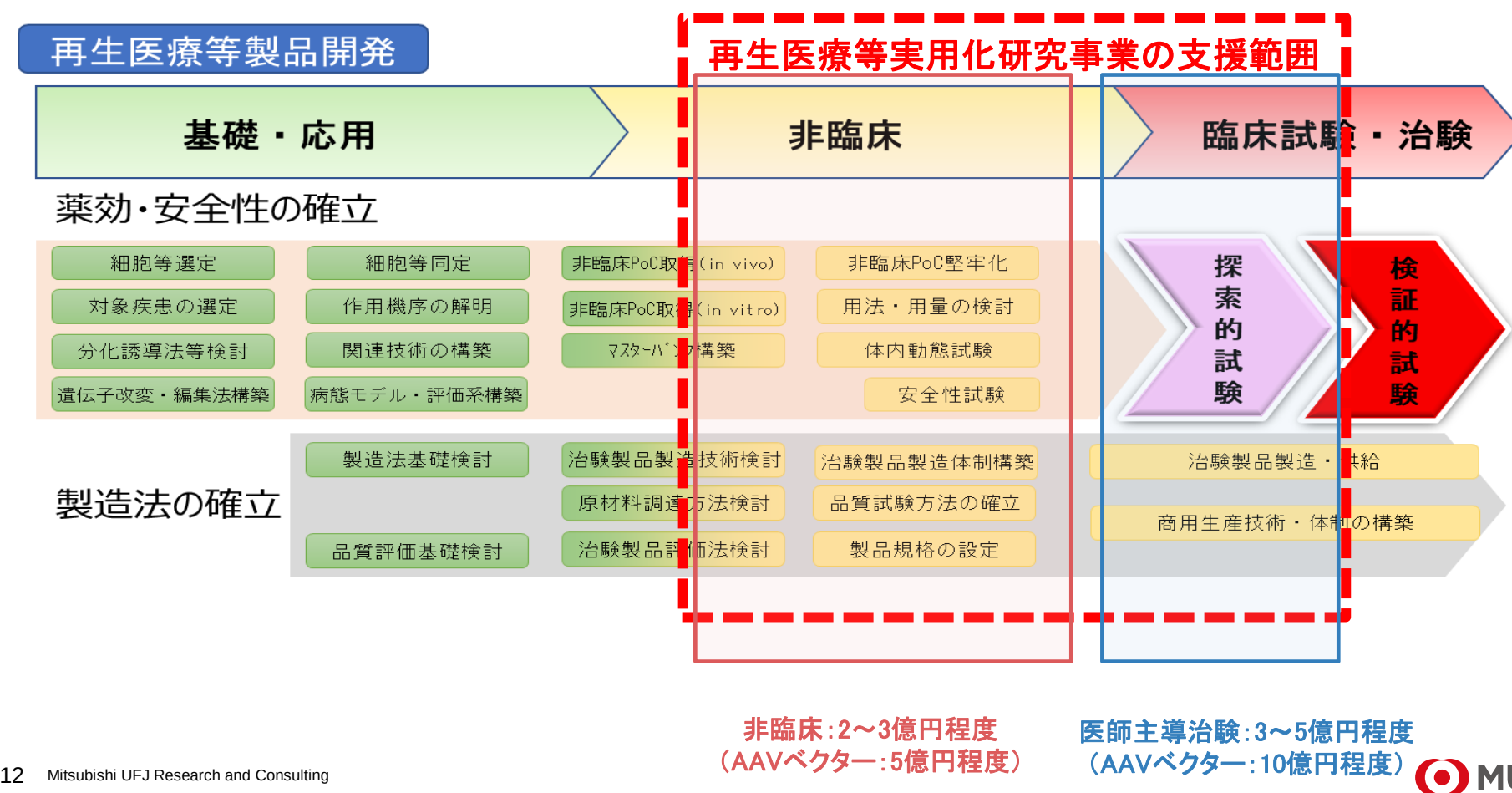


研究開発課題へのヒアリング調査 (実態調査)

実態調査結果：まとめ

AMED再生医療等実用化研究事業の支援の意義

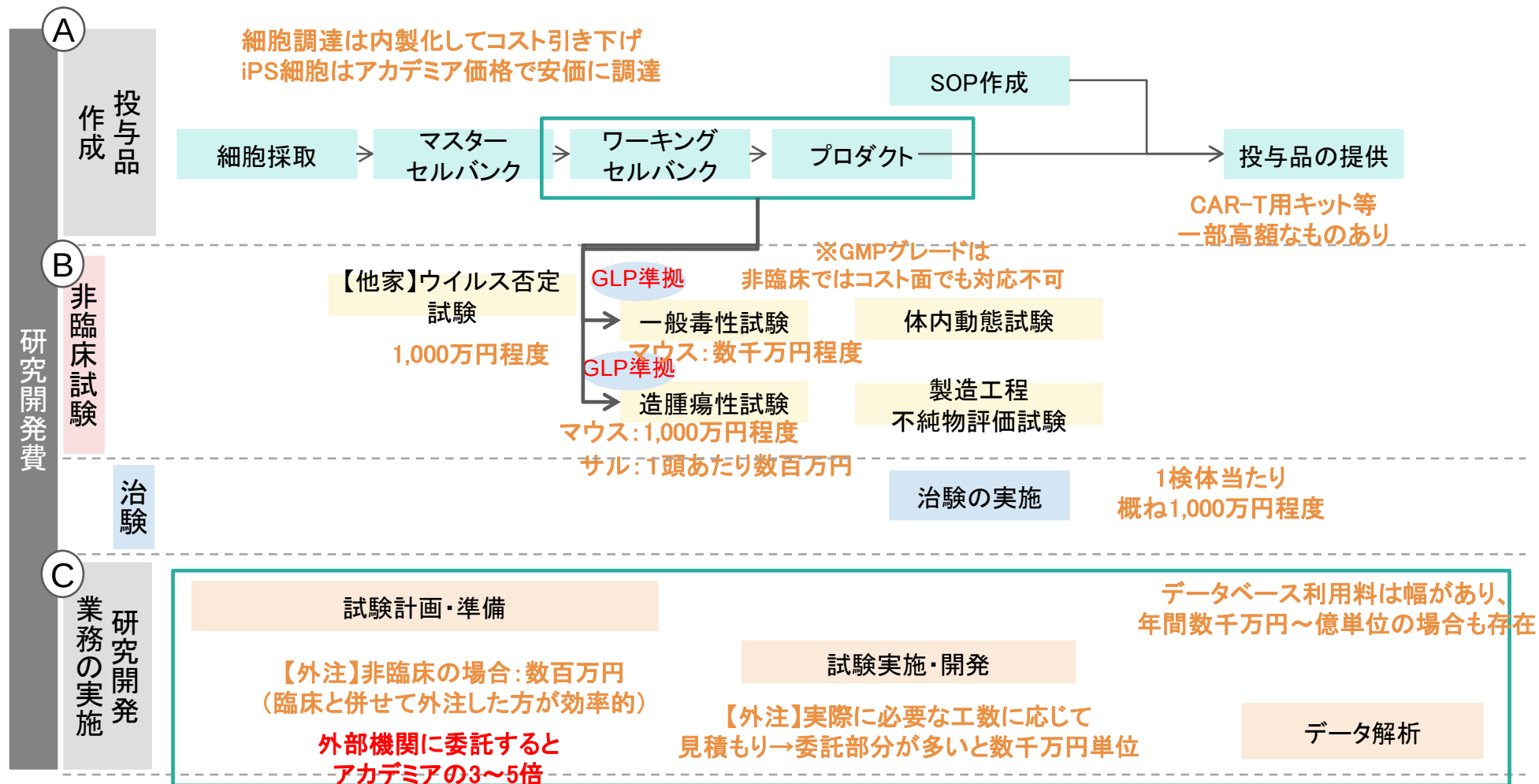
- 再生医療等の研究開発費については、モダリティ別に差があるが、**非臨床試験で2～5億円程度、臨床試験では、さらに費用が掛かる（ファーストインヒューマンで3～5億円程度）**
 - AAVベクターを用いると、さらに、費用負担は大きい
- AMEDによる研究開発費の支援は、開発を開始するための支援として非常に意義がある一方、市場導出までを3年間という短い時間の中で完遂するのは非常に困難



調査結果より

研究開発費の要素の整理

- 研究開発費の構成要素は、大まかにいうと、A:投与品を製造する工程でかかる費用、B:非臨床試験や、治験を行うためにかかる費用と、C:研究開発を進めるために必要な業務に関してかかる要素に分けられる



研究開発費を押し上げる要素

- 要素別にみると、以下のような点において、研究開発費が増額している状況があることが確認できた
 - 海外からの調達コストや動物試験については、特にコロナ禍以降、急速に費用負担が増大

研究開発費	A	投与品 作成	【海外からの調達コスト】 ■ 特に、コロナ禍後、海外も含めて細胞原料、消耗品費を含む、物価が高騰。従前より大きく価格上昇 ■ 製造装置の高度化などにより、海外製の高額な消耗品を使わなくてはならないケースもあり 【知的財産への対応】 ■ AAVベクターについては、製造ライセンスを海外企業が保有しており、その支払いが必須
	B	非臨床試験	【GLP/GMP準拠試験の実施費用】 ■ 試験を実施できる外部機関への委託が必須。工数がかかるため、試験費用も高額化 【動物試験】 ■ 免疫ノックアウトマウスによる安全性評価、サルによる有効性データ取得のため、モデル動物作製費用も、動物福祉に関するAAALAC対応等も含め、高騰している
		治験	■ 症例数により、費用が増加（医薬品並みの症例数を求められると開発費負担も増加） ■ カルタヘナ対応が必要な遺伝子治療の場合には、治験医療機関内対応の整備が必要な場合も存在
	C	研究開発業務 の実施	【試験デザインに関する文書作成業務】 ■ 試験デザインやプロトコルについては、研究開発費の全体像を決定する重要な要素だが、CROに外注することが難しく、学内AROの活用や、研究者本人が対応することを選択している例も多い ■ そのため、市場導出を見越したデータを取得することを目的とした開発計画とまではできていない恐れ

研究開発費の負担のあり方について

- 公的資金だけでは研究開発費を全額まかなうことは難しく、不足分をどのように資金調達するか、検討すべき
- 市場導出を前提とするとならば、**基礎研究から臨床試験・市場導出までのどの段階で再生医療等企業（製薬企業等）や、CDMOの支援を受けることができるか、**という視点は非常に重要
 - アカデミア主導で進めた場合と、再生医療等企業/CDMOの支援を受ける場合との特徴や、メリット・デメリットを踏まえ、検討すべき

アカデミア主導の場合

特徴

シーズの有用性を確認し、
早期の企業導出を目指す

+

- 大学職員やAROを活用することで、人件費を抑えたり、学内CPCによる投与品作製により開発費を抑えたり、**費用をかけずに研究開発を進める工夫が可能**

-

- 予算内で実施可能な研究開発では、**十分な基礎データを取得できず、市場導出に向けてアピール力が小さくなる恐れ**

市場導出を見据え
慎重な検討が必要

必要な開発費：小、想定される市場規模：小～中

例

製造プロセスが比較的簡素（アカデミアCPCで作製可）
小規模な治験でも有効性示せる

再生医療等企業*/CDMOの支援を受ける場合

特徴

承認申請を見据えた試験計画
スケールアップも視野に入れる

+

- **研究費を適切に準備し、承認申請を見据えたデータ取得計画に基づき、データを取得することで、試験プロセス全体を短縮可能**

-

- 市場がある程度大きい見込みがある場合には、積極的に投資できるが、希少疾患等、**市場規模が小さい場合には、投資回収の算段が付かず、二の足を踏む恐れ**

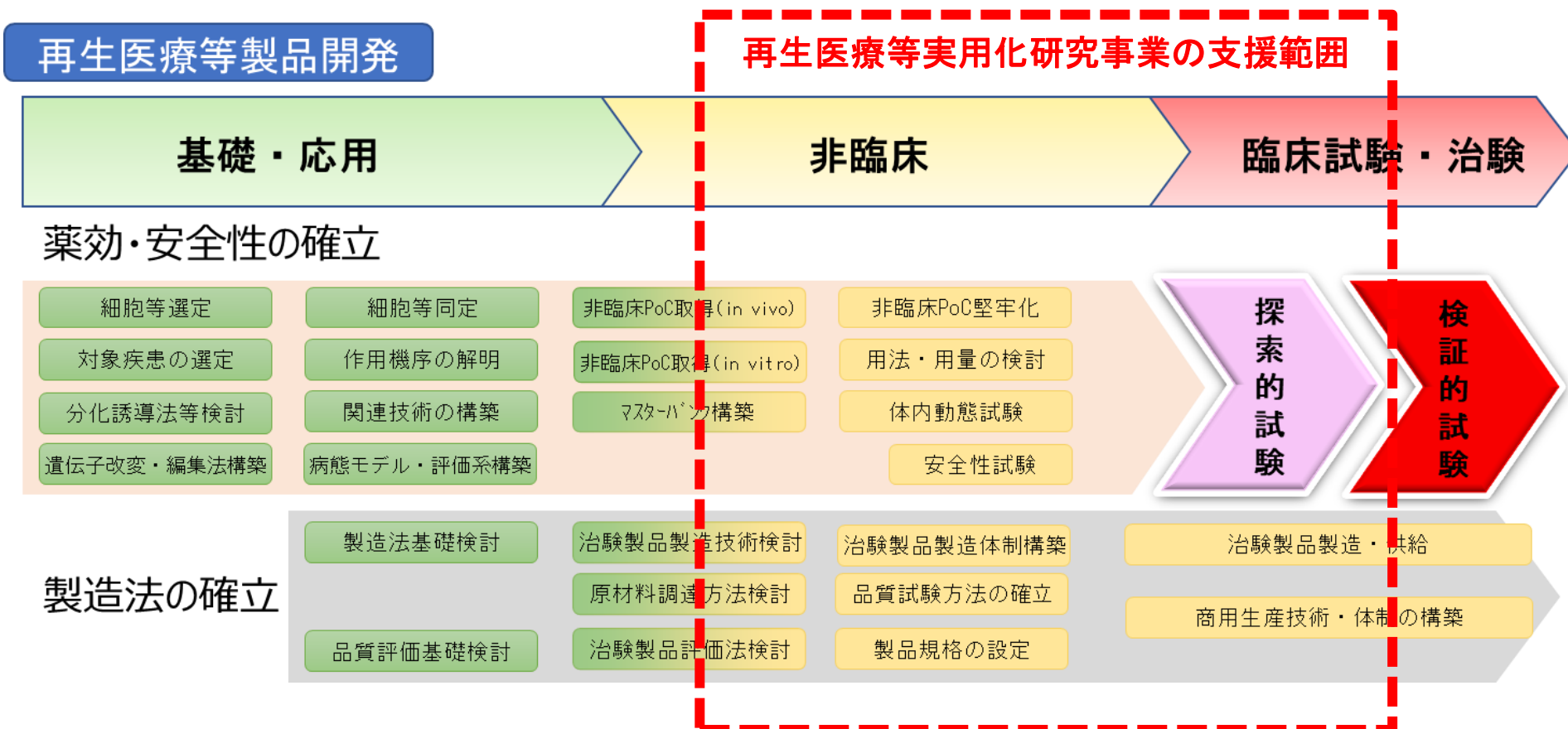
必要な開発費：大、想定される市場規模：中～大

例

製造プロセスが複雑・品質担保が学内では困難
市場での投資回収可能な程度の有効性データ要

AMED再生医療等実用化研究事業の支援の意義

- AMEDによる研究開発費の支援は、開発を開始するための支援として非常に意義がある一方、市場導出までを3年間という短い時間の中で完遂するのは非常に困難
- ⇒ AMEDからの支援のほか、シーズの導出先となりうるベンチャーやその他の機関(国立研究開発法人科学技術振興機構(JST)等)の支援を組み合わせ、研究開発を進めていくような工夫が必要





三菱UFJリサーチ&コンサルティング株式会社

www.murc.jp/