

再生医療等製品のデータ利活用推進のための
システム仕様検討に係る調査事業
最終報告書（公開版）

2026年3月27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。



目次

サマリ	2
事業概要	3
I. システム要求事項検討WGの設置・運営	6
II. ユーザーインセンティブ明確化のための ニーズおよびコスト構造調査	13
III. システムの利活用のあり方に関する調査	22
IV. システムへの要求仕様書の作成	42
V. 調査結果の取りまとめ	57
Appendix. 参考資料	60

本事業の目的と調査結果(サマリ)

本事業の目的

- 再生医療等製品開発・製造事業者や医療機関、ひいては患者に対して価値を創出すべく、再生医療等製品に関する製造データと臨床データを収集し、データ利活用が可能となるようなシステム構築を検討するとともに、システムへの要求事項についても検討を行うことを目的として調査を行う

今年度の成果

- 海外も含め、特に製造・品質データ収集は課題があり、データ提供のインセンティブ設計がデータ収集・システム運用を実現するため重要であることを確認
- バックキャスト型で議論し、データ利活用における「ありたい姿」を明確化
 - 再生医療等製品の有効性確認、最適化治療の実現とCQA理解度深化を実現し、再生医療産業の発展に寄与するような仕組み・体制づくりを目指す

調査結果

次年度以降の積み残し課題

- システム化対象となるデータ利活用モデルの明確化のため追加調査が必要
 - 今年度キーワードとしてあがった「規制当局との連携」も含め、データ収集のあり方や活用方法などモデルの明確化のための調査・検討
 - より専門的な内容は専門委員会(仮称)に諮り、検討結果を踏まえて議論
 - 装置メーカー等による製造・品質データの自動取得の検討
 - データ利活用の前提として、IC取得方法や個人情報保護・ELSIの検討
 - AI解析やシステム拡張も想定したデータの持ち方や間口の広げ方の検討
- モデル構築のために必要な研究開発は、公募事業での実施も要検討
 - CDMO事業者+データサイエンティスト+アカデミアによる実際のデータ解析テーマ提案等

事業概要

- 本事業では以下を実施した

(1) システム要求事項 検討WGの運営支援

(2) ユーザーインセンティブ明確化のための ニーズおよびコスト構造調査

(3) 検討システムの要件 妥当性検証への支援

(4) システムへの 要求仕様書の作成

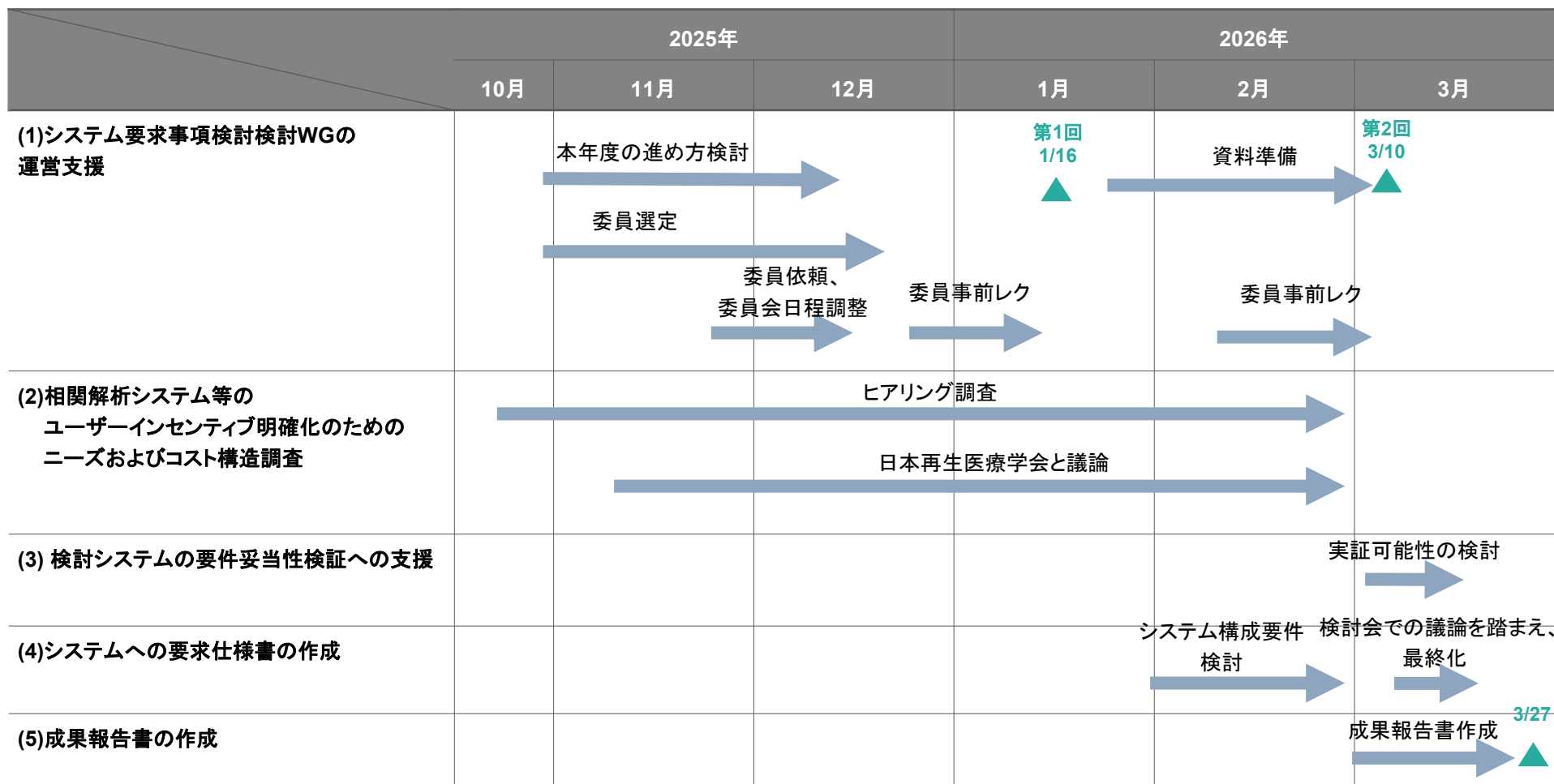
(5) 成果報告書作成

実施内容

- 再生医療のデータ利活用による「**ありたい姿**」についてディスカッション
- 「**ありたい姿**」と現時点でのギャップを踏まえ、**本年度事業ゴール**を検討
- 特に製造サイド(CDMO事業者を含む)に対し、ヒアリング調査を実施、ステークホルダーにとっての**インセンティブを明確化**
- コスト構造も含め、日本再生医療学会からNRMD/REAPの現状や課題について共有
- システムの利活用に向けた調査を実施
 - 諸外国のデータ利活用システムの状況を調査し、どのようなシステムを検討すべきかを確認
- 「**ありたい姿**」までのロードマップを踏まえ、**システム要求仕様書作成に向けた検討**
 - 製造・品質データのデータ項目について、ISOの検討状況も踏まえ整理
- 今後の方向性の示唆
- 残された課題の整理

事業実施スケジュール

事業実施スケジュール



I. システム要求事項検討WGの 設置・運営

システム要求事項検討WGの運営支援_概要

システム要求事項検討WGの概要

目的

- 昨年度の取り組みをベースに、臨床/製造データ収集・利活用におけるインセンティブを明らかにしていくため、「ありたい姿」についての意見をもとにバックキャスト型で議論

議題

- 臨床/製造データ収集・利活用における「ありたい姿」の共有
- 「ありたい姿」を実現するための、システムの確立方法、運用主体、運用コスト、事業の継続性、システム要求仕様等の観点
- ユーザーインセンティブ明確化のためのニーズおよびコスト構造調査で調査した内容の共有

回数

- 2回

構成員

- 株式会社ジャパン・ティッシュエンジニアリング(J-TEC)相談役 畠 賢一郎(座長)
- 大阪大学大学院医学系研究科・医学部附属病院 産学連携・クロスイノベーションイニシアティブ 特任教授(常勤) 岡田 潔
- エピストラ株式会社CEO 小澤 陽介
- 名古屋大学大学院創薬科学研究科 准教授 加藤 竜司
- 東海大学 医学部 医学科 外科学系 整形外科学 教授 佐藤 正人
- 一般社団法人 日本再生医療学会(JSRM) 理事 佐藤 陽治
- ロート製薬株式会社 再生医療事業開発部 副部長 高尾 幸成
- 株式会社ジャパン・ティッシュエンジニアリング(J-TEC)戦略企画室 室長 渡部 正利喜

- 一般社団法人 日本再生医療学会(JSRM)

- 東京科学大学 理事・副学長(国際担当) 森尾 友宏(PS)
- 特定非営利活動法人 バイオ計測技術コンソーシアム 事務局長兼研究部長
バイオビジネスソリューションズ株式会社 代表取締役社長 中江 裕樹(PO)

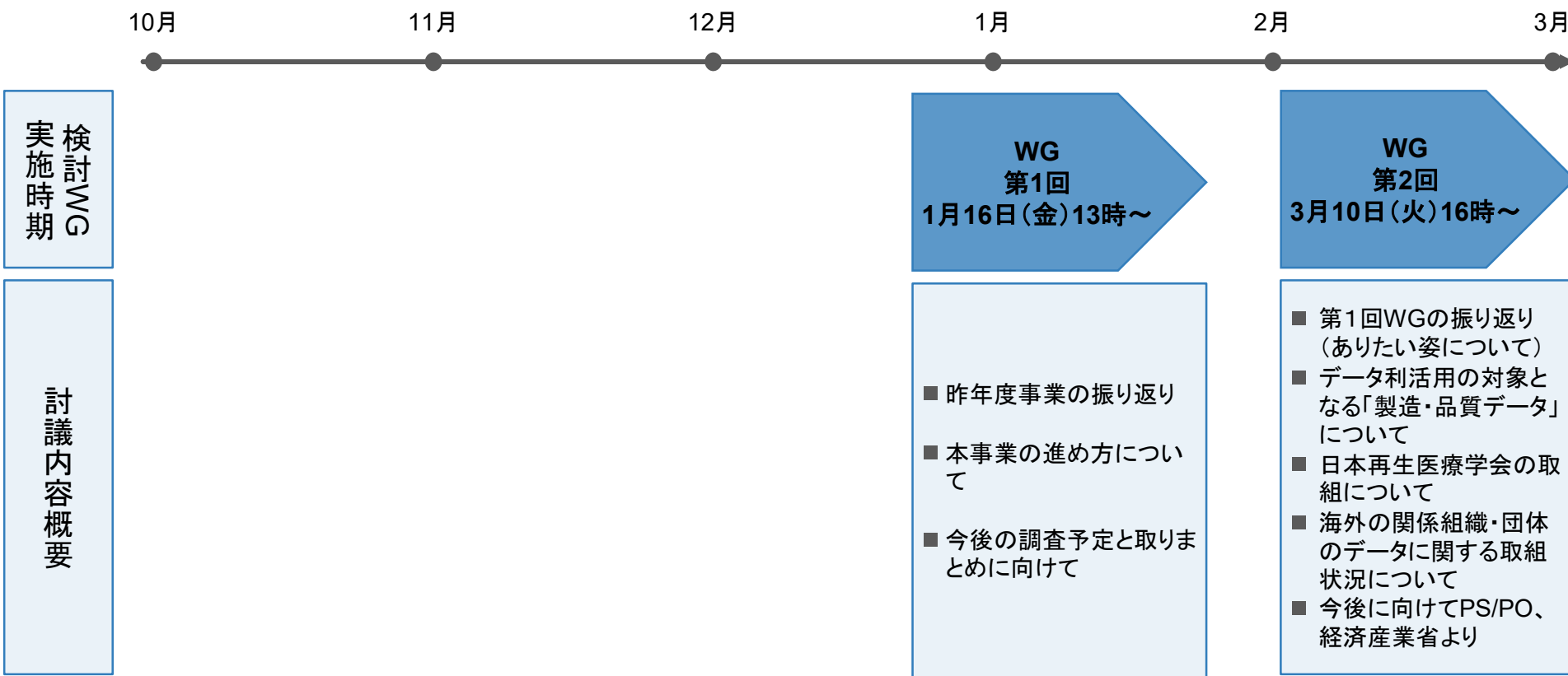
※敬称略。座長・PS・PO以外は五十音順

システム要求事項検討WGの討議スケジュール・討議内容概要

討議スケジュール・討議内容

- システム要求事項検討ワーキンググループを2回実施した

検討会議スケジュール



第1回WG 議事次第

議題	説明	時間	
1. 開会		15分	13:00~13:15
2. 議事			
(1) 昨年度事業の振り返り		10分	13:15~13:25
資料説明	事務局(MURC)	(10分)	
(2) 本事業の進め方について		55分	13:25~14:20
資料説明	事務局(MURC)	(15分)	
ディスカッション(含む 話題提供)	(全体)	(40分)	
(3) 今後の調査予定と取りまとめに向けて		35分	14:20~14:55
資料説明	事務局(MURC)	(5分)	
ディスカッション	(全体)	(30分)	
3. 閉会		5分	14:55~15:00

第1回WGの議論結果(抜粋)

- 昨年度事業の成果と限界、今年度事業の進め方について共通認識を形成した

第1回WGの討議結果(抜粋)

昨年度事業の 振り返り・ 本年度事業の 進め方について

- 昨年度の取り組みをベースに、今年度さらにデータ収集・利活用におけるインセンティブを明らかにしていくため、「ありたい姿」についての意見をもとにバックキャスト型で議論を行うこととした
- 「ありたい姿」の実現とそのためDBの考え方について整理するためには、以下の観点を考慮することが必要不可欠であることが示唆された
 - **安確法と薬機法**とでは、データの取り扱いの意識や収集項目、利活用の目的が異なることを前提に、きちんと**分類・整理**して議論
 - DB構築にあたって、ステークホルダーごとのインセンティブについて整理
 - DB構築にあたって、**競争領域・非競争領域について分類**
 - 構築するDBが将来的にAIも活用してデータ解析を行うことができるように、AI・データサイエンス活用による効率化・高度化の可能性について検討

今後の調査予定 ととりまとめ について

- 「ありたい姿」の実現とそのためDBの考え方について整理するため、本事業内にて以下の調査の実施が必要であることが指摘された
 - CDMO事業者、医療機関等、データ開示・共有に関する意向調査(昨年度協力機関へのヒアリング等を含む)
 - 海外を含むDBの利活用事例(マネタイズ・インセンティブの持たせ方)に関する調査
 - 日本再生医療学会等でのデータ利活用に関する取組事例の調査
 - 必要に応じた、システム構築・AI活用に関する有識者へのヒアリング調査

第2回WG 議事次第

議題	説明	時間	
1. 開会	AMED/出席者		16:00~
2. 議事			
(1) 第1回WGの振り返り(ありがたい姿について)		5分	16:00~16:05
資料説明・質疑応答	事務局(MURC)・全体	(5分)	
(2) データ利活用の対象となる「製造・品質データ」について		20分	16:05~16:25
資料説明	事務局(MURC)	(10分)	
ディスカッション	(全体)	(10分)	
(3) 日本再生医療学会の取組について		20分	16:25~16:45
資料説明	日本再生医療学会	(10分)	
ディスカッション	(全体)	(10分)	
(4) 海外の関係組織・団体のデータに関する取組状況について		25分	16:45~17:10
資料説明	事務局(MURC)	(15分)	
ディスカッション	(全体)	(10分)	
(5) 今後に向けて		35分	17:10~17:45
資料説明	事務局(MURC)	(10分)	
ディスカッション	(全体)	(25分)	
(6) PS/PO、経済産業省より	PS/PO・経済産業省	10分	17:45~17:55
3. 閉会	AMED	5分	17:55~18:00

第2回WGの議論結果(抜粋)

- 本事業に関する調査結果をご共有の上、今後の進め方を確認した。また来年度に向けた積み残し課題等を整理した

第2回WGの討議結果(抜粋)

データ利活用の
対象となる
「製造・品質
データ」について

- データ利活用を検討するにあたり、製造・品質データとは具体的にどのようなデータか、**バイオバンクに関するISO/TC 276/WG5の検討状況を踏まえて、整理**を行った
- また、再生医療等の製造・品質データの特徴として、特に、加工プロセスにおける品質・特性に関するパラメータのほか、**プロセスパラメータの記録も重要**となる点が挙げられた
- システム構築に当たっては、モダリティ別にどのようなデータを蓄積するか、どのような製造フローに沿って収集するか等、**データモデルのあり方についての検討が必要**なことを確認した

臨床データDB
NRMD/REAP
について
(日本再生医療
学会)

- 日本再生医療学会では、NRMD(CR:臨床研究や治験、先進医療/PMS:製造販売後調査)とREAP(治療(自由診療や保険診療))の二つのデータ登録システムを保有
- NRMDは日本医学会の協議会である**レジストリ協議会で登録項目の確認・検討を実施**しているほか、**NRMD/REAPは、ともに薬事水準で登録データの品質保証を行っている**ことから、登録データベースの運用には、データの品質管理やセキュリティ対策等、データベースを維持・管理するためにはイニシャルコストだけでなく、ランニングコストの負担が必要
- YOKOHAMA宣言に続き、2026年3月のKOBE宣言では、再生医療のグレードガイドライン(案)においてREAPの位置づけが示され、NRMD/REAPのさらなる利活用に向けて検討が進んでいる、

海外の取組状況
について

- 海外(米国・欧州)における取組状況を整理し、特に、**製造・品質データについては、収集・共有が難しく、規制当局の関与が突破口となる可能性が示唆された**
 - 臨床データ:医療機関・学会主導の取組と企業主導の取組とがある
 - 製造・品質データ:企業主導の収集・共有の仕組みは見られないが、FDA等の関与により、データを収集・活用しようとする動きがある

次年度以降
の積み残し



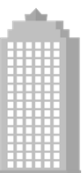

- システム要求仕様書を詳細化するためには、システムの確立方法、運用主体、運用コスト、事業の継続性のほか、システム要求仕様の詳細化などの調査・議論が必要

II. ユーザーインセンティブ明確化のための ニーズおよびコスト構造調査

ステークホルダー別に見たDBやシステムに対するニーズ

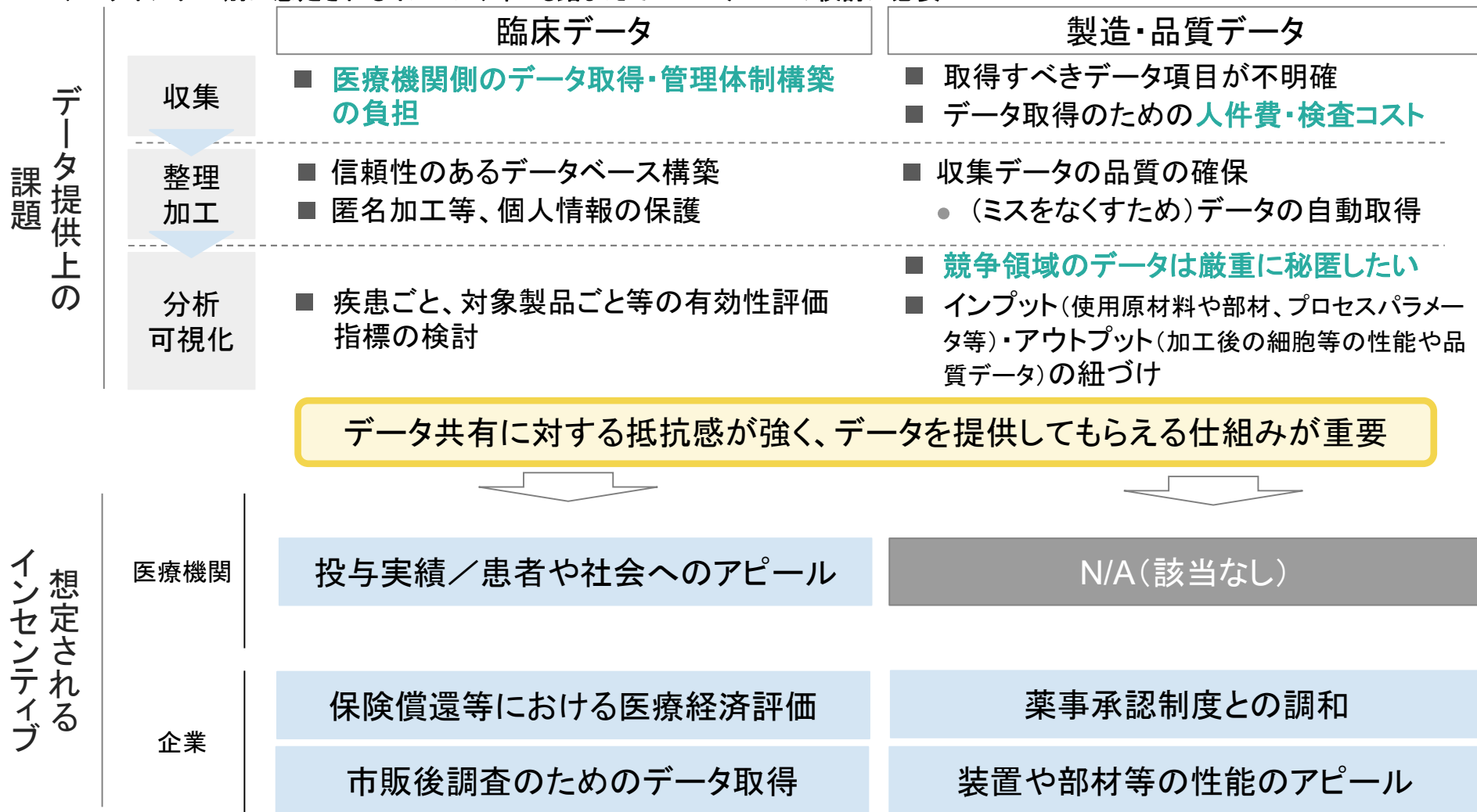
ニーズ調査結果

- データ利活用側からの期待はある一方、データ供給側からすると、データ提供に対する抵抗感が大きく、「何のために」「誰が」「どのようなデータを」「どのように」活用するのか、という点を明らかにし、**データ利活用によるインセンティブを明確化する必要がある**

	ステークホルダー	ヒアリング・調査結果	ニーズの状況
データの供給側	 <p>産業界</p> <ul style="list-style-type: none"> ■ CDMO各社 	<ul style="list-style-type: none"> ■ データ共有により、研究成果へのフリーライドへの懸念が強く、データ共有には強い抵抗感がある ■ 特にSUなど、データ収集・登録の負担(工数面、金銭面)が大きく、データ取得がそもそも不可の場合もある 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 参考となるデータがあれば見たいが、開発中製品が異なる場合に他事業者のデータにどれだけ意義があるか疑問 ■ データ利活用のユースケースの具体的なイメージがわからず、ニーズは高くない
	 <p>医療機関</p> <ul style="list-style-type: none"> ■ 医師 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 治療の質向上やエビデンス蓄積を期待 ■ 日常診療でのデータ収集の体制面やコスト面での負担がある中で、データ取得が課題 ■ IC等についてデータ共有を前提とした対応も必要 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 通常診療の中でのデータ収集負担への抵抗感が強い ■ レジストリの構築ニーズは一部あるが、具体的な医療機関側へのインセンティブイメージなし(保険/集患等...)
利活用側	 <p>学会等</p> <ul style="list-style-type: none"> ■ 日本再生医療学会 ■ 有識者 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 学会として、再生医療臨床のグレードガイドライン(案)を示すなど、適切な再生医療の提供に向けて取組中 ■ データ利活用について、データモデルの整理や国・業界としての取組状況を対外的に情報発信することは、国際的プレゼンス向上のためにも意義がある 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 再生医療の質の担保のため、データ利活用ニーズは高い <ul style="list-style-type: none"> ● ただし、データ収集・共有を進めるための仕組みづくりに課題
	 <p>患者・社会</p>	<ul style="list-style-type: none"> ■ 安全で有効な治療の選択肢が広がること、透明性の高い医療が実現することに期待 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 再生医療の発展への期待 <ul style="list-style-type: none"> ● インフォームドコンセントの取得や、データ共有のあり方などの議論が十分に進んでいない点が懸念か



(参考)ステークホルダー別にみたデータ提供の課題と想定されるインセンティブ

- DBを運用するためには、まずはデータを収集しなくてはならないが、臨床データ、製造・品質データともにデータ共有への抵抗感が強い
- ステークホルダー別に想定されるインセンティブも踏まえてユースケースの検討が必要



NRMD/REAPについて

- 日本再生医療学会では、NRMD (CR:臨床研究や治験、先進医療/PMS:製造販売後調査)とREAP (治療(自由診療や保険診療))の二つのデータ登録システムを保有
- YOKOHAMA宣言、KOBE宣言も通じて、REAPにおけるデータ品質保証の実施による、データ利活用推進を検討

		再生医療等データ登録システム	
サービス名称	REAP (Regenerative medicine Evidence Accumulation Platform)	NRMD (National Regenerative Medicine Database)	
主目的	再生医療等の検証	再生医療等の開発・評価	再生医療等製品の薬事開発
法律	再生医療等安全性確保法 (再生医療等の安全性確保等に関する法律)	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 (通称：医薬品医療機器等法、薬機法)	
適応対象	【安確法】 特定細胞加工物を用いた治療 (自由診療)	 NRMD/CR 【安確法】 特定細胞加工物を用いた臨床研究・先進医療 【薬機法】 再生医療等製品の医師主導治験・企業主導治験	 NRMD/PMS 【薬機法】 再生医療等製品の製造販売後調査 (PMS)
項目決定方法	再生医療等治療関連学会合同WG	日本医学会 レジストリ委員会WG	

CSV(Computerized System Validation)を実施(=データ品質保証)することで、リアルワールドデータの製品開発・リバーストランスレーショナルリサーチへのシームレスな利活用が期待できる。

(出所) 日本再生医療学会作成資料を基に作成

KOBE宣言2026における検証型診療の要件とREAPの位置づけ



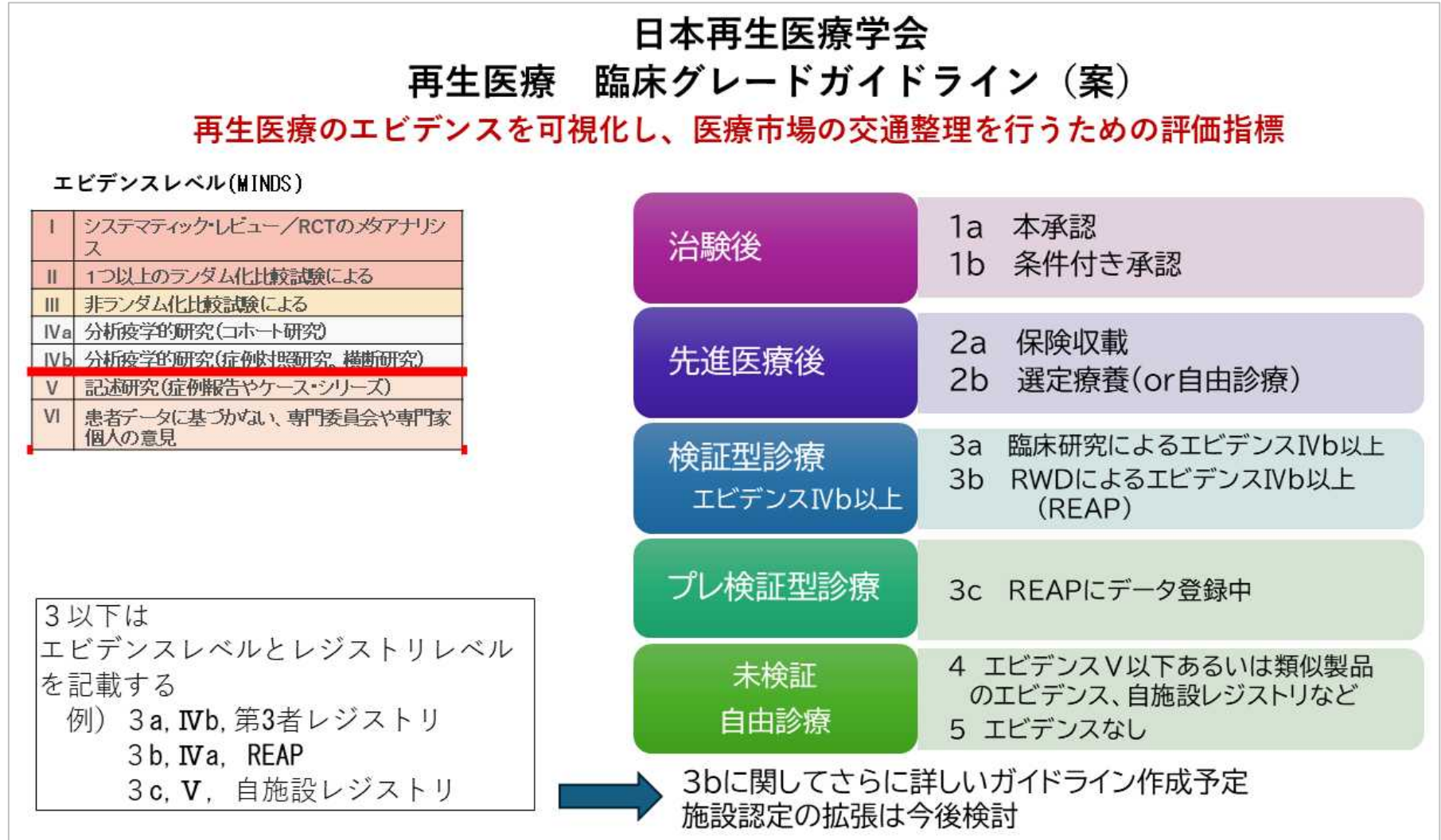
参考:YOKOHAMA宣言 2025(2025年3月19日)[抜粋]

『本会は、医薬品医療機器等法（薬機法）下の薬事開発を引き続き支援するのみならず、再生医療等安全性確保法（安確法）下の臨床研究および治療等の科学的評価に基づいた信頼性獲得に向け、次の行動目標により研究・開発・規制の全方位を対象に活動を強化していく。

1. 患者・市民との対話を重ね、薬事承認（薬機法に基づいた製造販売承認）に基づく治療、ならびに安確法下で自由診療として提供される薬事未承認の医療技術のうち安全性および有効性の「検証」を伴う「検証型診療」*およびそれらの検証を伴わない「無検証診療」についての正確な理解が醸成されるよう、積極的な社会との対話、臨床に携わる会員との意見交換を行う。<後略>』

*検証型診療：薬事承認が得られていない細胞加工物または核酸等を用いた再生医療等の治療のうち、その臨床データが第三者的レジストリに蓄積され、治療の事前および事後に安全性と有効性について科学的な検証が実施されるもの

KOBE宣言2026における検証型診療の要件とREAPの位置づけ



再生医療のデータ利活用に向けたDB運用のコスト構造について

- 特に規制当局にも提出可能なデータを確保するDBを運用するためには、薬事水準のデータ品質の管理や、そのための体制整備が必要
 - 日本再生医療学会では、通常のソフトウェア関連費用やクラウド利用料等のほか、CSV対応をおこなっている点がコストの押上要因か

通常のデータベース運用費とNRMD/REAPにおける日本再生医療学会の取組

項目	概要
ソフトウェア関連費用	<ul style="list-style-type: none"> ■ ライセンス ■ 保守
クラウド利用料 ・ システムインテグレーション費用	<ul style="list-style-type: none"> ■ システム構成によって異なる <ul style="list-style-type: none"> ● オンプレミスの場合は、ハードウェア関連費用、ファシリティ関連費用、減価償却費等
人件費	<ul style="list-style-type: none"> ■ 運用／保守 + ■ 学会としての運営体制 <ul style="list-style-type: none"> ● データベース委員会・事務局による管理・運営

CSVの対応

- 要件整理から設計・開発、保守設計に至るまで、CSV(コンピュータ化システムバリデーション)を含めた一貫対応を実施
- データの真正性(システムの信頼性および改ざん防止)の観点からアクセス管理や監査証跡を含む仕組みを整備
- 通常よりもシステム維持にコストがかかる

(参考)DB運営コストの整理

- データベースを運営するためには、**インシャルコスト**だけではなく、**ランニングコスト**も発生し、データベースの容量やセキュリティレベル等により、必要な予算感は異なる

インシャル
コスト

DBの運用業務(例)

- ログ監視(不審な操作や動作を把握)
- リソース監視(ストレージやサーバーのCPU、ネットワークの管理)
- DBの性能分析(DBの容量や必要な機能の確認)

ランニングコスト(運用コスト)

- ハードウェア/ソフトウェアの購入料(サーバー設置料/サーバー利用料(インシャル).../DBMSの購入費)
- システム開発費用
 - システム設計・開発・開設に係る人件費
 - DB設計費
 - エンティティ(管理項目)の定義、関係(リレーション)設計
 - DB構築・設定費:
 - インストール、初期パラメータ設定、セキュリティ設定
 - アプリケーション開発費: DBと連携するアプリ部分の開発
 - 移行費用(設定にかかる人件費)

- DBの設置に関連する費用
 - オンプレミス: 運用時の保守費用、システム稼働のための電気代
 - クラウド: クラウド利用料(セキュリティの観点で留意が必要)
- DBのバックアップ費用
 - フルバックアップ/部分バックアップ
- 改修費用(必要に応じて)
 - システム構造の機能向上や安定化のためのDBの構造や機能の見直し

(参考)登録データの品質保証

再生医療等データ登録システム「NRMD/REAP」は、薬事水準で登録データの品質保証を行っています。



No		事項	GCPで求められる事項	GPSPで求められる事項	NRMD/REAP
1	システム要件	データの真正性(ID・PWによるセキュリティ、ロールによるアクセス制限、監査証跡)	○	○	○
2		データの見読性(複製・出力時に欠損がないこと、解像度が下がらないこと)	○	○	○
3		データの保存性(バックアップ、長期保存できること、改ざんされないこと、いつでもアクセスできること)	○	○	○
4		信頼性確保(バリデーションの実施)	○	○	○
5	運用体制	運用体制維持	○	○	○
6		業務手順書の作成と遵守	○	○	○
7		EDC利用ユーザーへの教育訓練	○	○	○
8		EDC運用保守業務に関する自己点検	-	○	○
9		PMDA EDC管理シートの作成	-	-	○

22

III. システムの利活用のあり方 に関する調査

システムの利活用のあり方に関する調査：調査概要

海外の関係組織・団体のデータに関する取組状況調査

- 本事業において、どのようなシステムを検討すべきか、そのシステムはどのような要件を満たすべきかという観点から、まずは諸外国における関係組織・団体の臨床データ、製造・品質データに関する収集・解析等への取組や、具体的なデータの取り扱いについて調査を行った

調査目的

- 諸外国(特に欧米)において、**臨床／製造・品質データの利活用についての動向**を確認
 - 対象とするデータや、当該データを収集後の活用目的
 - 当該取組の実施主体や、財源⇒本事業の方向性を検討する際の検討材料を提示
- わが国としての**再生医療産業の発展に向けたデータ利活用モデルやその要求仕様検討の参考**

調査対象

- 米国および欧州における、臨床データ／製造・品質データの収集に関する取組
 - 国や関係団体が参画している取組
 - 民間企業がイニシアティブをとって取り組んでいる事例 …等

調査項目

- 取組の概要(背景・目的)
- これまでの経緯
- 収集しているデータ
- 利活用事例
- 取組への参画者
 - データの保有者(提供者)
 - データの利活用者(受益者)
- 資金源

調査結果とそこから得られた示唆

- 諸外国調査の結果、臨床データと、製造・品質データそれぞれについて一部取組は見られたが、まだ検討・準備段階にあり、今、わが国が再生医療のデータ利活用について取り組むことには一定の意義があることが示唆された

調査結果

【臨床データ】

- 医療機関・学会等主導のレジストリや、企業コンソーシアムによる臨床データ共有等の動きがある

【製造・品質データ】

- 様々に取り組まれているが、必ずしも円滑に進められている取組ばかりではない様子が推察された
- FDA等の関与により、データを収集・活用しようとする動きもみられる

※ なお、臨床データと製造・品質データの紐づけについて何等かの検討や取組があるかについては調査からは確認できなかった

示唆

- 今、再生医療におけるデータ利活用のユースケースの具体化やシステム化に取り組めば、欧米に先んじて国際標準化や、わが国の再生医療産業のプレゼンス向上などの道筋を描くこともでき、わが国として、データ利活用施策に取り組む意義は十分ある

【臨床データ サマリ】医療機関・学会主導型、企業主導型の2種あり

- 調査結果から、①医療機関・学会が実臨床データを収集する臨床レジストリと、②企業が匿名化された対照群の臨床データを共有する企業コンソーシアムという二つの枠組みに分類された

	臨床レジストリ型	企業データ共有型
代表事例	■ CIBMTR	■ DataCELERATE®
収集主体	■ 医療機関・学会	■ 製薬企業コンソーシアム
データ内容	<ul style="list-style-type: none"> ■ 市販後の実臨床データ ■ 造血幹細胞移植(HCT)(CAR-T)のデータ (企業がFDA規制要件を満たすため、CIBMTRレジストリを利用し医療機関がデータを報告) 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 企業が提供する臨床試験データ ■ 臨床試験の対照群・プラセボ群のデータを共有 ⇒ データ共有を通じて、ある試験でコントロール群の組み入れ数を約50%削減したケースあり
資金	■ 年間6,730万ドル(約100億円相当)(政府助成金等43%、産業界45%)	■ 加盟企業による共同資金 (運営企業TransCELERATE BioPharma Inc.の2023年度総支出が約3,200万ドル(50億円相当))
当局との関与	■ CAR-T等の市販後長期フォローアップのデータ収集基盤として利用され、レジストリデータを用いて企業が規制当局へ報告	■ 世界18カ国の当局とのやりとりあり

欧米の臨床データ収集・活用の取組事例

- 日本造血幹細胞移植学会や、日本造血細胞移植データセンター等から協力経験のある①CIBMTRの取組と、大手製薬企業中心に運営されている②DataCELERATE®を中心に調査を行った

 ➔ 深掘調査の対象

No	取組名称	運営主体国	運営主体機関	運営目的	運営方法	その他(取得・共有情報など)
1	CIBMTR	米国	<ul style="list-style-type: none"> ■ 大学 <ul style="list-style-type: none"> ● ウィスコンシン医科大学 (MCW) ■ 骨髄バンク <ul style="list-style-type: none"> ● NMDP 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 造血幹細胞移植(HCT)および細胞治療の臨床アウトカムを国際レジストリとして収集・解析 	<ul style="list-style-type: none"> ■ NIH・米国海軍研究局・産業界・骨髄バンクなどからの助成金により、CIBMTRが共同研究機関としてとりまとめ 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 患者の臨床データ <ul style="list-style-type: none"> ● 移植・CAR-Tの種類・患者年齢・疾患・疾患状態・GVHD予防法・レジメン・人種等
2	DataCELERATE®	米国	<ul style="list-style-type: none"> ■ TransCELERATE BioPharma Inc. (大手製薬企業等からなる非営利団体) 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 過去の臨床試験データの共有を通じて、臨床開発の加速、負担軽減を図る(※再生医療に限らない) 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 加盟企業による共同資金で運営 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 臨床データ ■ 非臨床データ
3	CAR-T Data Collection Initiative	欧州	<ul style="list-style-type: none"> ■ 学会 <ul style="list-style-type: none"> ● EBMT(欧州血液骨髄移植学会) 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 長期的なCAR-T療法の安全性と有効性を証明し、欧州医薬品庁(EMA)が義務付ける市販後安全性調査研究をサポート 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 臨床データ等を開示した医療機関に対し、製薬企業が資金提供 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 患者の臨床データ・製造成功可否に影響を与える因子に関するデータ
4	JOIN4ATMP	欧州	<ul style="list-style-type: none"> ■ 規制当局 <ul style="list-style-type: none"> ● EU Horizon Europe 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 非臨床・臨床試験の効率化・製造の標準化・経済効果の算出・規制に関する普及啓発を目指す 	<ul style="list-style-type: none"> ■ EUが資金提供 <ul style="list-style-type: none"> ● EU資金調達を受けたメンバーの参加を推奨 ■ そのほか、欧州大学病院連合/既存EU資金調達を受けたメンバー/産業界/患者代表が参画 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 前臨床・臨床データセットの共有と手法の評価

事例① | CIBMTR(1/2)

欧米の臨床データ収集・活用の取組事例

- CIBMTRは造血幹細胞移植(HCT)を中心とする臨床アウトカムを集約する世界最大のレジストリであり、CAR-Tなど細胞治療の市販後長期フォローアップデータ基盤としても活用されている

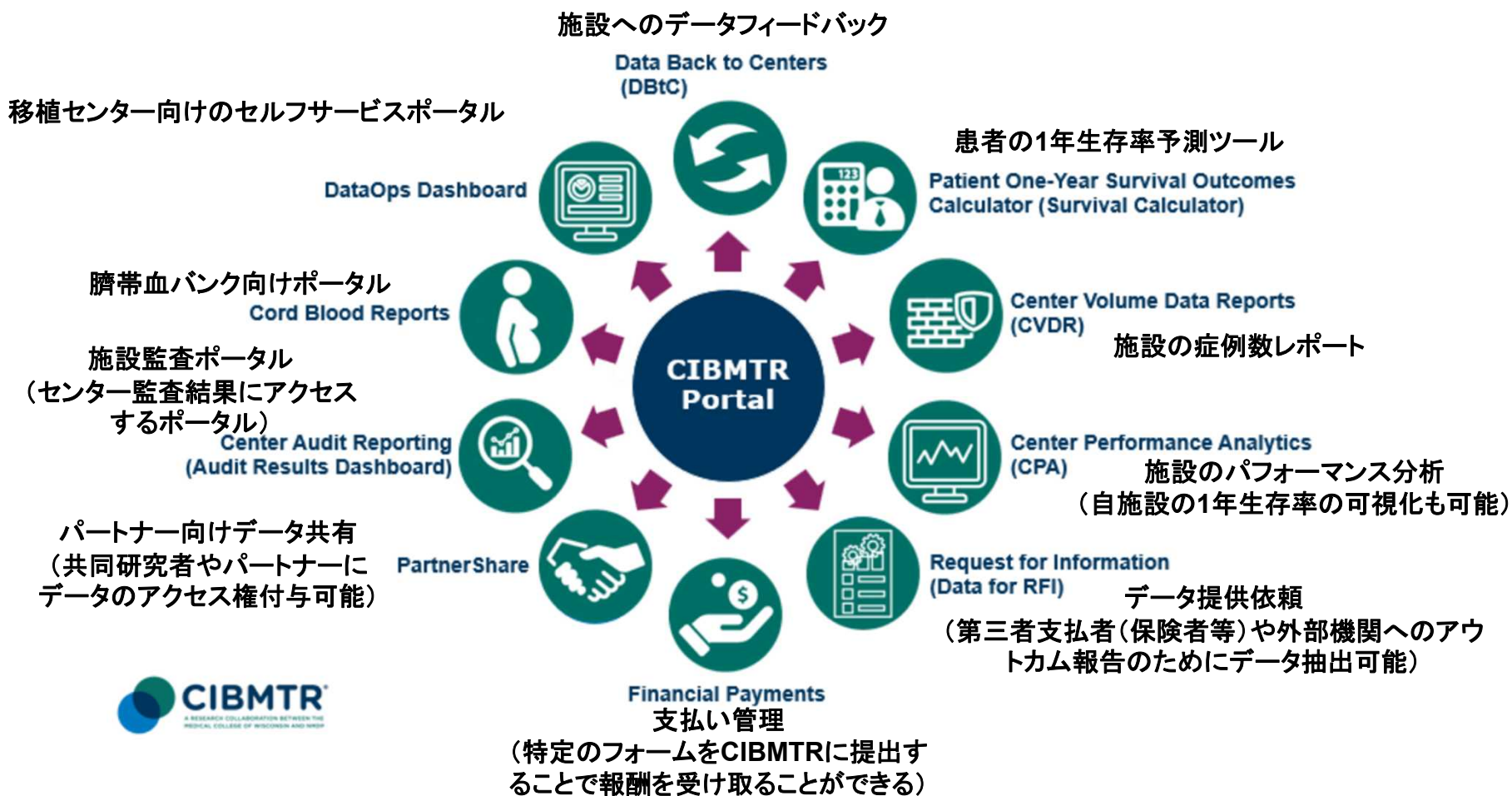
CIBMTRの概要

No	項目	概要
1	名称	■ CIBMTR(Center for International Blood & Marrow Transplant Research)国際血液・骨髄移植研究センター
2	開始年	■ 2004年(前身レジストリは1970年代から存在)
3	実施地域	■ 米国を中心とした国際ネットワーク
4	資金・制度管轄	■ 米国保健福祉省(HHS)
5	実施主体	■ NMDP(National Marrow Donor Program)(国立骨髄ドナープログラム) ■ MCW(Medical College of Wisconsin)(ウィスコンシン医科大学)
6	目的	■ 造血幹細胞移植(HCT)および細胞治療の臨床アウトカムを国際レジストリとして収集・解析
7	特徴	■ 世界最大の造血幹細胞移植(HCT)・細胞治療アウトカムレジストリ ■ 2005年、幹細胞治療・研究法により、米国では、移植アウトカム報告が義務化
8	収集データ	■ CAR-Tなどの細胞治療の市販後長期フォローアップデータを収集 (企業がFDA規制要件を満たすため、CIBMTRレジストリを利用し、投与医療機関がデータを報告)
9	資金	■ NIH、米国海軍研究局、産業界、NMDP、MCW等から資金提供 ■ 年間6,730万ドル(約100億円相当)(政府助成金等43%、産業界45%)
10	参画者	■ 医療機関(移植センター)、政府、企業、ドナー組織(Be The Match等)

事例① | CIBMTR (2/2)

欧米の臨床データ収集・活用の取組事例

- 移植センターから患者背景・治療内容・臨床アウトカム等のデータを収集し、分析結果を医療機関へフィードバックするデータ基盤



(出所) CIBMTR "Manual of Operations Version 12.2 (updated March 2026)" <https://cibmtr.org/Files/Administrative-Reports/Manual-of-Operations/CIBMTR-Manual-of-Operations-Version-12.2.pdf>

事例② | DataCelerate®(1/2)

欧米の臨床データ収集・活用の取組事例

- 製薬企業間で臨床試験の対照群ヒストリカルデータを共有し、臨床試験設計の高度化や臨床開発の効率化、プラセボ群削減を目的とした業界共同プラットフォーム

DataCelerate®の概要

No	項目	概要
1	名称	■ DataCelerate®
2	開始年	■ 2014年頃(TransCelerate BioPharma Inc. が臨床試験データ共有のために開発)
3	実施地域	■ グローバル(TransCelerate加盟製薬企業を中心とした国際ネットワーク)
4	資金・制度管轄	■ TransCelerate
5	実施主体	■ TransCelerate BioPharma Inc. (研究開発の非効率性をなくし、新薬をより早く患者に届けることができるよう、臨床開発の改善を目指した大手製薬企業等からなる非営利団体)
6	目的	■ 過去の臨床試験データの共有を通じて、臨床開発の加速、負担軽減を図る
7	特徴	■ 共有するデータは、臨床試験プラセボ群のヒストリカルデータデータにすることで、企業の共有ハードルを下げる ■ 世界18カ国の当局とのやりとりあり ■ データ共有を通じて、ある試験でコントロール群の組み入れ数を約50%削減したケースもあり
8	収集データ	■ 匿名化された患者の臨床試験対照群ヒストリカルデータ (有効性、安全性)
9	資金	■ 加盟企業による共同資金(TransCelerate BioPharma Inc.の2023年度総支出が約3,200万ドル(50億円相当))
10	参画者	■ 製薬企業18社(Pfizer、Roche、Novartis等。アステラス製薬、塩野義製薬の日系企業も参画)

(出所) TransCelerate Biopharma Inc. “Historical Trial Data Sharing Controls Solutions”

<https://www.transceleratebiopharmainc.com/assets/historical-trial-data-sharing-controls-solutions/>

ProPublica Nonprofit Explorer “TransCelerate Biopharma Inc. <https://projects.propublica.org/nonprofits/organizations/460886344>

AnswersNews「『治験を通常の医療の1つに』 非営利団体トランスセラレート・バイオフィーマ、効率化へ世界の大手製薬が協力」

(2025年10月29日更新) <https://answers.and-pro.jp/pharmanews/31184/> (2026年3月26日最終確認)

事例② | DataCelerate® (2/2)

欧米の臨床データ収集・活用の取組事例

- DataCelerate®でプラセボ群のデータを共有することで、臨床試験の設計精度向上、サンプルサイズ削減、安全性評価の高度化等が可能となり、臨床開発の効率化と患者負担の軽減に寄与する

DataCelerate®によるヒストリカルデータ共有ユースケース

- | | |
|-----------------------------|--|
| 1
安全性シグナル解釈の強化 | ✓ 安全性データの解釈を支援するため、追加の臨床試験安全性データを提供する |
| 2
対照群補完
(早期および後期フェーズ) | ✓ 試験のサンプルサイズを削減する
✓ プラセボ群の患者数を減らす |
| 3
精密な検出力設計 | ✓ プラセボ反応の推定精度およびサンプルサイズを改善する
✓ プラセボ群の患者数を減らす |
| 4
組入れ／除外基準の
最適化 | ✓ アウトカムに影響を与える可能性がある因子特定、それが有効性・安全性に与える影響を評価する
✓ 標準治療、併存疾患、病歴など、患者集団の定義をより適切にする |
| 5
疾患モデリング能力 | ✓ 疾患モデリングを支援するため、参加者レベルのデータを研究する
✓ 疾患進行および新規エンドポイント開発の理解を深める |
| 6
地理的差異の理解 | ✓ 患者における地域差の理解を深める
✓ 国の選定に情報を提供する
✓ 試験実施可能性の評価を強化する |
| 7
バイオマーカー開発 | ✓ 関心のある潜在的バイオマーカーを評価する
✓ バイオマーカー臨床試験計画に情報を提供する |

(出所) TransCelerate <https://www.transceleratebiopharmainc.com/assets/historical-trial-data-sharing-controls-solutions/#Clinical-Data-Sharing-Use-Cases>

【製造・品質データ】米国 | FDAも関与し、競争前領域でデータ収集・共有

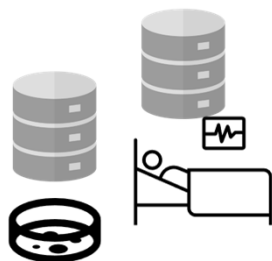
- 米国では、企業固有の製造データ共有は進んでいない一方、研究・製造技術の実証・標準化などの競争前領域でデータを収集・共有する取組が進められており、FDAも関与

米国における状況

米国企業は個社製造データ共有に消極的 (NCMC*1)



細胞データと臨床データ連携は重要な位置づけであり2030年までの実現を目指す (2019年時点) (NCMC*1)



現時点では、企業固有製造データを集約するDBは確認できていない



実際の取組事例

下記のような取組で、競争前領域のデータを収集

データ	事例
研究	<ul style="list-style-type: none"> ✓ アカデミア・企業が参加する研究PJで取得 ✓ 細胞特性評価、製造プロセス、品質評価などのデータを研究コミュニティで共有 (NIH, CMaT*2)
製造技術の実証・実験	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 保有している施設・設備あり。共同プロジェクトを通じてプロセスデータを取得 ✓ 自動化、デジタル化等製造技術開発に活用 (BioFabUSA*3)
標準化	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 共通のプロトコルや試料を用いて、施設間・研究間でデータ取得し標準化を目指す ⇒ ISO等のルールメイキングに活用 (NIST*4)
規制	<ul style="list-style-type: none"> ✓ FDAが革新的製造プロセスを早期に評価する制度 (AMT*5)

FDA
参画

FDA
参画

FDA
主体

(注) 1. NCMC: National Cell Manufacturing Consortium NISTの助成で設立した産学官コンソーシアム
 2. CMaT: Center for Cell Manufacturing Technologies NSF資金による大学コンソーシアム型研究センター
 3. BioFabUSA: 米国防総省管轄。製品固有の製造データではなく競争前領域の製造技術データを官民で共有
 4. NIST: National Institute of Standards and Technology 商務省管轄の官民コンソーシアム。再生医療計測・標準化プログラムあり
 5. AMT: Advanced Manufacturing Technologies Designation Program FDAによる、革新的な医薬品製造技術の認定制度

【製造・品質データ】欧州 | Catapultが取得した製造データを企業にライセンスアウト

- 欧州でも企業固有の製造データを集約する仕組みは確認されていない
- Catapultは自ら取得した製造データを企業にライセンス提供することで産業化を支援している

欧州における状況

細胞データと臨床データ
連携に関する取組は
確認できない



現時点では、
企業固有製造データを
集約するDBは確認でき
ていない



Catapultで取得された
データを企業にライセンス
付与することで産業育成



実際の取組事例

下記のような取組で、競争前領域のデータを収集

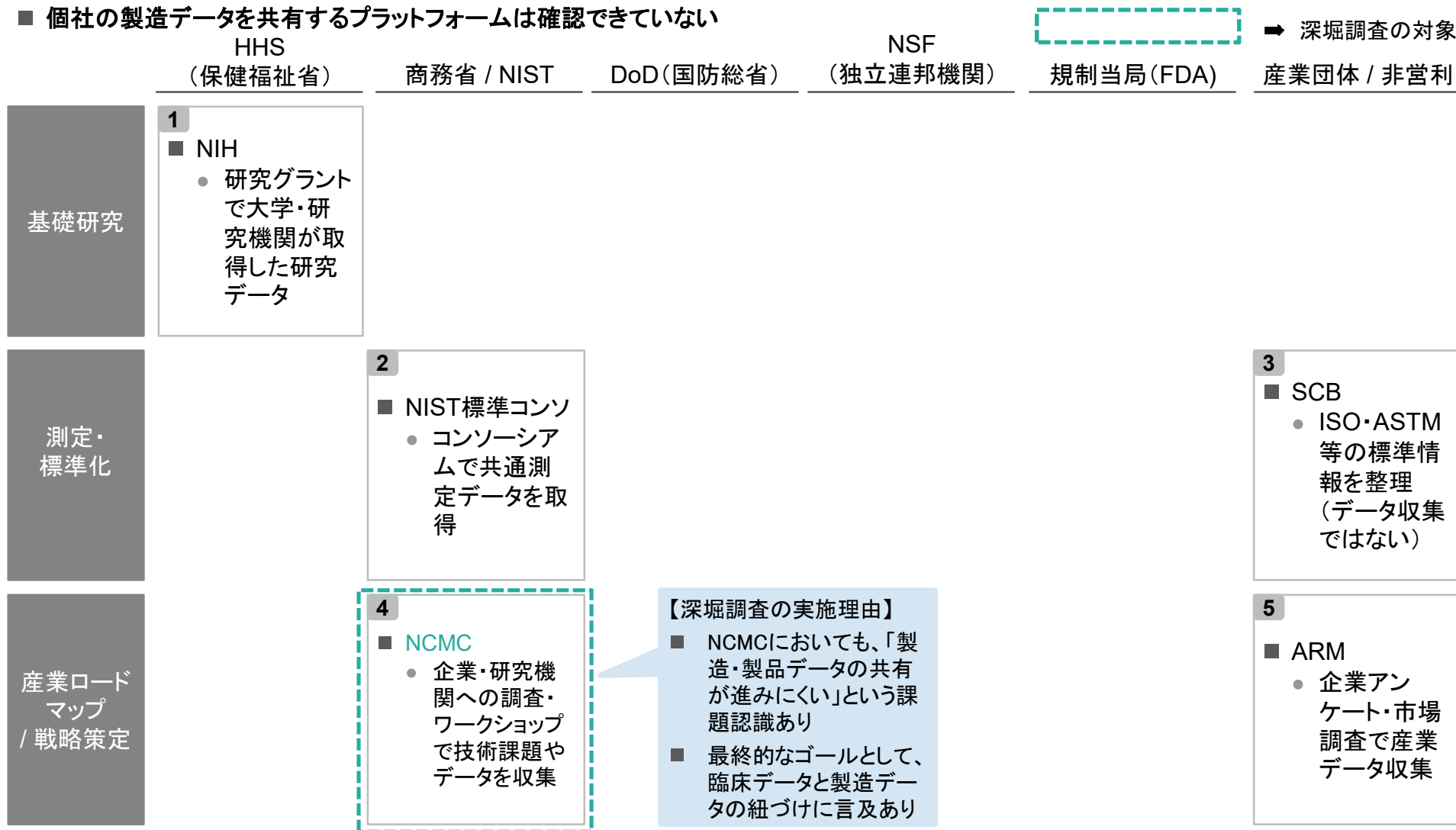
データ	事例
研究	<ul style="list-style-type: none">✓ ヒト多能性幹細胞株国際レジストリ (hPSCreg^{*1})✓ 大学研究グループで幹細胞の品質や微小環境データ等の基礎データ取得 (UKRMP^{*2})
製造技術の実証・実験	<ul style="list-style-type: none">✓ Catapult内部の製造施設と企業で共同で製造プロセスのデータ取得 (Catapult^{*3})✓ アカデミア主体でMSC製造プロセスの研究 (MAINSTREAM Hub^{*4})✓ 採択された研究コンソーシアムにて実験 (Horizon Europe^{*5})
標準化	<ul style="list-style-type: none">✓ 研究資金の公募の中で標準化・品質評価手法の開発 (Horizon Europe)
規制	<ul style="list-style-type: none">✓ (米国のAMTのような取組は見られない)

- (注) 1. hPSCreg: ヒト多能性幹細胞株 (hPSC株)に関するデータレジストリ
2. UKRMP: UK Regenerative Medicine Platform 再生医療の基礎研究、評価技術などを共同で研究する英国国家プロジェクト
3. Catapult: 英国政府 (Innovate UK) が設立した細胞・遺伝子治療の産業化を支援する非営利技術機関
4. MAINSTREAM Hub: MSCの製造プロセスや品質評価手法の研究を行う研究コンソーシアム
5. Horizon Europe: EUが実施する研究・イノベーション支援の大型研究資金プログラム

米国事例 | 製造データ関連組織・団体・プラットフォーム(1/2)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

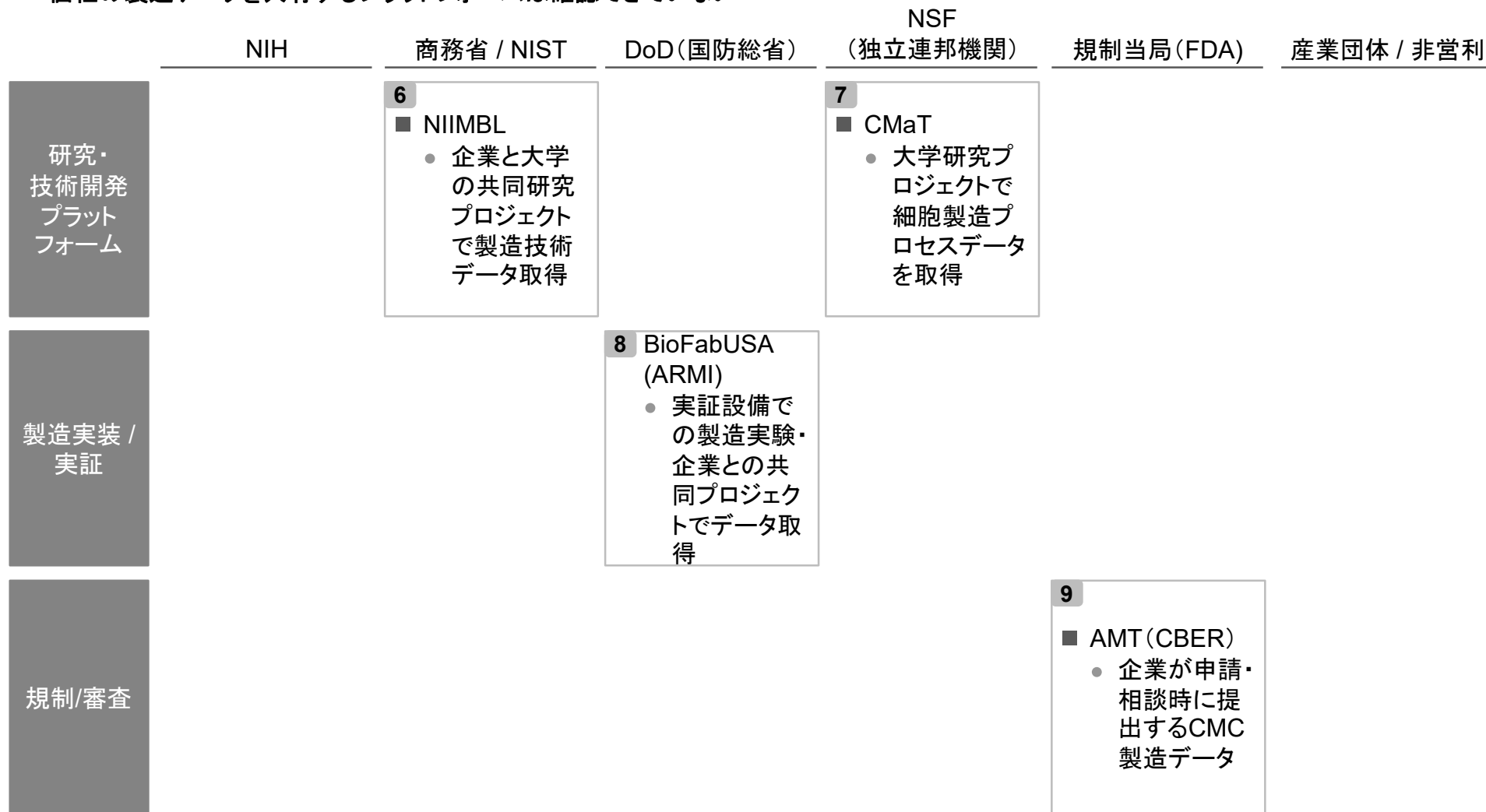
- 米国では再生医療製造データを単一DBで集めるのではなく、標準化・研究・製造実証など機能別の組織が分担して活用している
- 個社の製造データを共有するプラットフォームは確認できていない



米国事例 | 製造データ関連組織・団体・プラットフォーム(2/2)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- 米国では再生医療製造データを単一DBで集めるのではなく、標準化・研究・製造実証など機能別の組織が分担して活用している
- 個社の製造データを共有するプラットフォームは確認できていない



米国事例 | NCMC (National Cell Manufacturing Consortium) (1/3)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- NISTのAMTech助成により設立された産学官コンソーシアムで、細胞治療製造の課題整理とロードマップ策定を通じて、コスト削減や自動化など製造技術の方向性を示すことが目的

NCMC (National Cell Manufacturing Consortium) の概要

No	項目	概要
1	名称	■ NCMC (National Cell Manufacturing Consortium)
2	開始年	■ 2014年設立 (NISTのAMTechプログラム助成により設立)
3	実施地域	■ 米国
4	資金・制度管轄	■ 商務省 (NIST)
5	実施主体	■ Georgia Institute of Technology (Georgia Tech) 主導の産学官コンソーシアム
6	目的	■ 細胞治療 (Cell Therapy) の製造技術の課題整理・技術ロードマップ策定・産業基盤構築
7	特徴	■ 企業・大学・政府研究機関が参加するプレコンペティティブ研究コンソーシアム ■ 細胞製造のコスト削減・自動化・スケールアップ技術を中心に検討 ■ 産業界ヒアリングをもとにCell Manufacturing Roadmapを策定
8	収集製造データ	■ - (産業ロードマップ作成のためのコンソーシアムであり、製造データ収集なし)
9	資金	■ NIST AMTech助成: 約50万ドル (約8,000万円相当) で設立
10	参画者	■ 25社以上の企業と15の学術機関、政府機関 ■ ロードマップ作成には、FDA関係者も関与

(出所) National Cell Manufacturing Consortium "National Cell Manufacturing Consortium" <https://cellmanufacturingusa.org/national-cell-manufacturing-consortium>

米国事例 | NCMC (National Cell Manufacturing Consortium) (2/3)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- 企業の知的財産保護への配慮から、製造・製品データの共有が進みにくいという課題は、日本だけでなく米国においても共通して認識されており、データの比較や利活用を進める上での重要な論点となっている

NCMCが2019年作成した細胞製造に関するロードマップ(※一部のみ抜粋)

- NCMCが2019年作成した細胞製造に関するロードマップに記載されている重要課題の中から、以下のみ抜粋

Core Challenges

Reluctance to share manufacturing and product data

- ▶ Cell manufacturing companies are protective of intellectual property, limiting the ability to compare data across facilities, companies, and products that could inform development of relevant standards and regulations.

製造および製品データの共有に対する抵抗

- ✓ 細胞製造企業は知的財産の保護に慎重であるため、施設間・企業間・製品間でデータを比較することが難しくなっており、その結果、関連する標準や規制の策定に役立つデータの活用が制限されている

※直訳

米国事例 | NCMC (National Cell Manufacturing Consortium) (3/3)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- 米国では、患者レジストリを整備し、細胞特性データと患者背景・臨床アウトカムを連結することで、細胞治療の評価・製造改善に活用するデータ基盤の構築が検討されている(2019年作成ロードマップより)

NCMCが2019年作成した細胞製造に関するロードマップ(※一部のみ抜粋)

Type of cell:	Autologous	Allogeneic	Pluripotent	Crosscutting	Bold = high-priority activity * = new activity	Timeline to Complete		
						2019-2021	2022-2025	2026-2030
Process Analytical Technologies and Data Analytics, continued								
↔					*Develop a software standard for exchanging manufacturing process and cell quality data between labs to better enable large-scale bioinformatic analysis that connects process steps and conditions with results	▶		
✓ ラボ間で製造プロセスおよび細胞品質データを交換するためのソフトウェア標準を開発することでプロセス工程や条件と結果を結びつける大規模バイオインフォマティクス解析を可能にする								
👥🔗					Automate analytics for product release, including gene editing, human leukocyte antigen typing, sterility/mycoplasma removal, and tissue compatibility testing		▶	
✓ 製品出荷判定のための解析を自動化する 以下を含む(遺伝子編集、HLAタイピング、無菌性/マイコプラズマ除去、組織適合性試験)								
👥					*Develop software solutions to automate harmonization of batch data and assay results to facilitate batch release		▶	
✓ バッチデータと試験結果の統合化を自動化するソフトウェアを開発し、ロット出荷を促進する								
↔					*Generate a registry of patient history and clinical outcomes, linking cell data to patient data and disease characteristics			▶
✓ 患者の既往歴および臨床アウトカムのレジストリ(登録データベース)を構築し、細胞データを患者データおよび疾患特性と連結する								

(出所) National Cell Manufacturing Consortium (NCMC) "Cell Manufacturing Roadmap to 2030"
https://cellmanufacturingusa.org/sites/default/files/2025-08/Cell%20Manufacturing%20Roadmap%20updated_2019.pdf

欧州事例 | 製造データ関連組織・団体・プラットフォーム

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- 欧州では再生医療製造に関するコンソーシアム等の組成が行われているが、個社の製造データを共有するプラットフォームは確認できていない

 ⇒ 深堀調査の対象

	EU	各国	EMA/各国規制当局	産業団体 / 非営利
測定・標準化	<p>1 Horizon Europe</p> <ul style="list-style-type: none"> ATMP 製品の工程内品質管理、スケールアップ、バッチ間の再現性、コスト低減などの取組支援 			
産業ロードマップ / 戦略策定				<p>2 BioPhorum (英国)</p> <ul style="list-style-type: none"> 医薬品の上市を加速できる環境作り 参画企業が資金提供する自律的運営 規制当局への発信力あり
研究・技術開発プラットフォーム	<p>3 hPSCreg</p> <ul style="list-style-type: none"> ヒト多能性幹細胞株 (hPSC株) を登録し、出版物やデータリソース全体で認識可能へ 	<p>4 UK Regenerative Medicine Platform</p> <ul style="list-style-type: none"> 細胞製造に関わる複数プロジェクトを実施 主にアカデミアが参画 ※2024年に終了 		
製造実装 / 実証	<p>1 Horizon Europe</p> <ul style="list-style-type: none"> ATMP 製品の工程内品質管理、スケールアップ、バッチ間の再現性、コスト低減などの取組支援 	<p>5 MAINSTREAM HUB</p> <ul style="list-style-type: none"> MSCの持続可能かつ手頃な製造に向けて、細胞製造に関わる複数プロジェクトを実施 主にアカデミアが参画 		<p>6 Catapult cell and gene therapy</p> <ul style="list-style-type: none"> ATMP 製品の工程内品質管理、スケールアップ、バッチ間の再現性、コスト低減などの取組支援

【深堀調査の実施理由】

- 自組織内の製造拠点での製造データ等を他社に共有した実績あり

欧州事例 | Catapult cell and gene therapy (1/3)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- Catapultは、英国にて設立された業界団体の一つであり、規制当局とのつながりを生かして、開発～製造まで支援している
- 自組織内の製造拠点での製造データ等を他社に共有することで、産業育成にも取り組む

Catapult cell and gene therapy

No	項目	概要
1	名称	■ Catapult cell and gene therapy (英国政府のイノベーション機関であるInnovate UKが設立したネットワークの一部)
2	募集年	■ 2016年
3	実施地域	■ 英国
4	目的	■ 細胞および遺伝子治療の進歩に取り組む独立したイノベーションおよび技術組織であり、特に細胞および遺伝子治療の開発、製造、患者提供に影響を与える主要な課題に対する解決策の特定にコミットすることを目的とする
5	特徴	■ MHRAやNHSとのつながり(資金調達は見受けられない)あり ■ 自組織内にて、GMP製造設備をもち、臨床試験向け製造の知見を有する <ul style="list-style-type: none">● 企業に、製造データの公開も実施 ■ 細胞製造に関する人材育成等にも取り組む ■ 取得したデータは、企業にライセンス付与することができる
6	資金調達金額	■ 合計6.5億ポンド(1,300億円相当) <ul style="list-style-type: none">● (2025実績)Innovate UK(国立医療研究所などを含む)1,600万ポンド(33億円)、第三者助成金:2,800万ポンド(59億円)、産業収入:1,630万ポンド(33億円)

(出所) Catapult cell and gene therapy <https://ct.catapult.org.uk/> より当社作成

欧州事例 | Catapult cell and gene therapy (2/3)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

Catapult cell and gene therapy 取組内容(製造関連)

細胞治療	出発物質選択と系統的バイアス	<ul style="list-style-type: none"> ■ 細胞産生に影響を与える分子および代謝の要因の特定 ■ エピジェネティクス、トランスクリプトミクス、メタボロミクス、プロテオミクスなどの高度な分析技術によるプロセス特性解析 ■ プロセス制御のための非破壊アッセイ
	細胞工学と遺伝子送達	<ul style="list-style-type: none"> ■ 非ウイルス性遺伝子送達による指向性分化法 ■ より安全でコスト効率の高い同種治療のための新規遺伝子編集ツール ■ 概念実証研究からより大規模な臨床段階プロセスへの応用 ■ エンジニアリングセル特性評価のための解析
	製造とスケールアップ	<ul style="list-style-type: none"> ■ 高収率(>10⁷細胞/mL)と純度を示す強化・拡張・拡張型iPSC増殖プラットフォーム ■ 2Dおよび3DキャリアフリーサスペンションiPSCの膨張と微分 ■ 単一細胞シーディング、灌流、半自動化統合通路操作など、主要単位操作の自動化を備えた処理プラットフォーム ■ スケーラブルなセル選択および精製技術
	解析的發展	<ul style="list-style-type: none"> ■ リリースおよび安定性試験のためのアッセイ開発、インプロセス監視およびプロセス分析技術(PAT)のサポート ■ 分化モニタリング、制御された系統指定、バイオマーカー発見のためのマルチオミクス ■ 新しいデジタル・自動化技術を取り入れたスケールアップのための分析自動化ソリューション・QCイノベーションアプローチ
製造の革新	技術移転とGMP製造	<ul style="list-style-type: none"> ■ 堅牢な製造戦略の策定 ■ プロセス開発、人員、プロセス、品質管理システム、バッチリリースに関する知財の保持 ■ 技術移転とプロセスのスケールアップ ■ 臨床用または商業用資料の作成を確保するためのMHRAライセンス構造 ■ 臨床製造から商業製造へと成長する際、柔軟でモジュール式の製造アプローチを活用し、製造戦略を調整
	化学・製造・制御(CMC)	<ul style="list-style-type: none"> ■ ATMP向けの最新の分析手順へのアクセス ■ ATMP生産に関する規制に関する先進的な知識 ■ 環境モニタリングを行い、生産プロセスに適した条件を維持することを保証
	サプライチェーン	<ul style="list-style-type: none"> ■ Cryoportのグローバルサプライチェーンハブを通じた物流および低温輸送サービス ■ 製造イノベーションセンター(MIC)における局所の低温保存 ■ 生産最大化のためのGMP材料および試薬の無菌キット化

欧州事例 | Catapult cell and gene therapy (3/3)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- Catapultで研究・取得されたデータは企業にライセンス付与することができる
- Catapultの「Cell Plasticity」プログラムで取得されたiPSC株を、2017年に味の素にライセンス供与

Catapult cell and gene therapy データ共有事例(2017年6月)

Ajinomoto Co., Inc. utilized data from CGT Catapult's Industrialization group work to advance industrializing of cell therapies, highlighting the global reach of the Catapult initiative.

The Cell and Gene Therapy Catapult (CGT Catapult; London, UK) has announced it has licensed data from its pluripotent stem cell development program 'Cell Plasticity' to Japanese food and amino acid company Ajinomoto Co., Inc. (Japan) further advancing CGT Catapult's place as one of the global leaders in the development of solutions for the industrialization of cell therapies. Through utilizing process and analytical data from CGT Catapult's program, Ajinomoto Co. was able to evaluate the adherent expansion of CGT Catapult's human induced pluripotent stem cell (iPSC) line CGT-RCiB10 in different culture systems.

- カタパルトは、味の素(株)に対し、カタパルトが収集した多能性幹細胞開発プログラムで取得したプロセスデータ・分析データ使用のライセンスを供与

- 自社の再生医療の臨床研究用培地が、異なった組成の他社培地よりも良好なiPS細胞増殖性を示すことを確認した

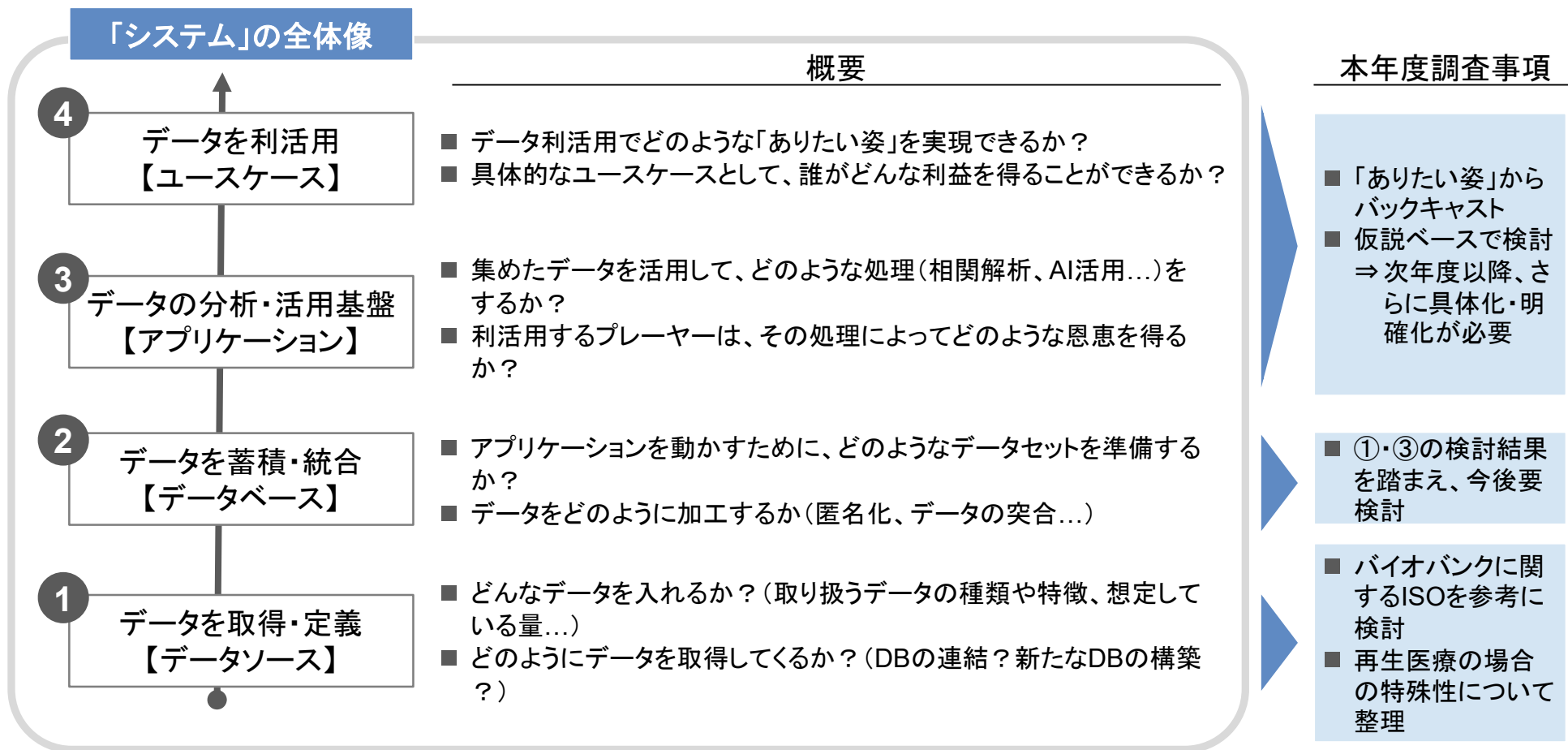
(出所) RegMedNet <https://www.regmednet.com/licensed-cell-and-gene-therapy-catapult-cell-culture-data-will-expand-industrialization-of-cell-therapy-in-japan/>
Catapult cell and gene therapy <https://ct.catapult.org.uk/capabilities/cell-therapies>、<https://ct.catapult.org.uk/capabilities/manufacturing-innovation> より当社作成

(注) 1. Cell Plasticity

IV. システムへの 要求仕様書の作成

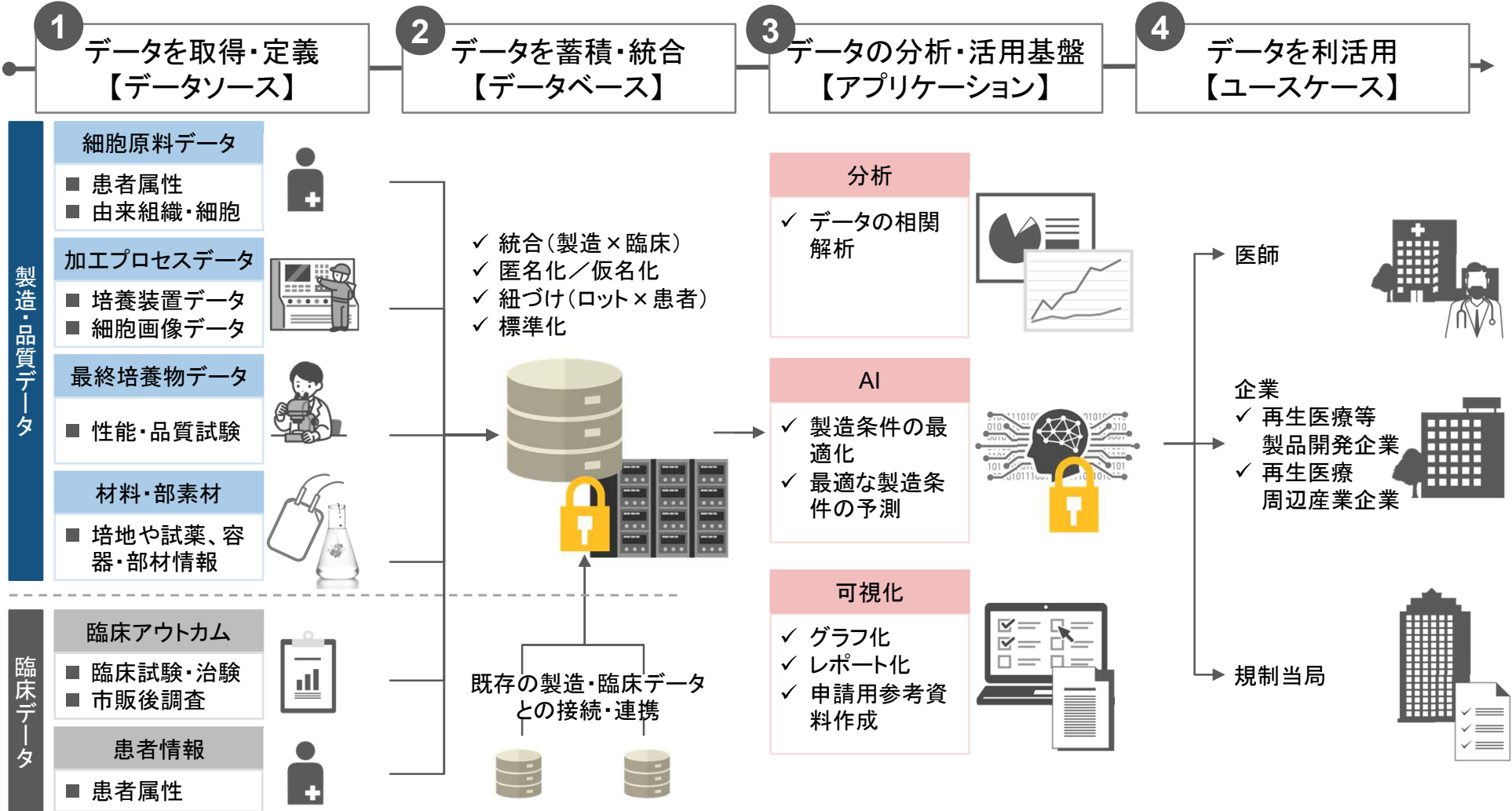
データ利活用のための「システム」とは

- ①データソース、②データベース、③アプリケーション、④ユースケースの4層で整理し、データ取得から活用まで一体的な基盤構築が必要
 - 本調査においては、①～④について、以下のような検討を行った



再生医療データシステムの全体像

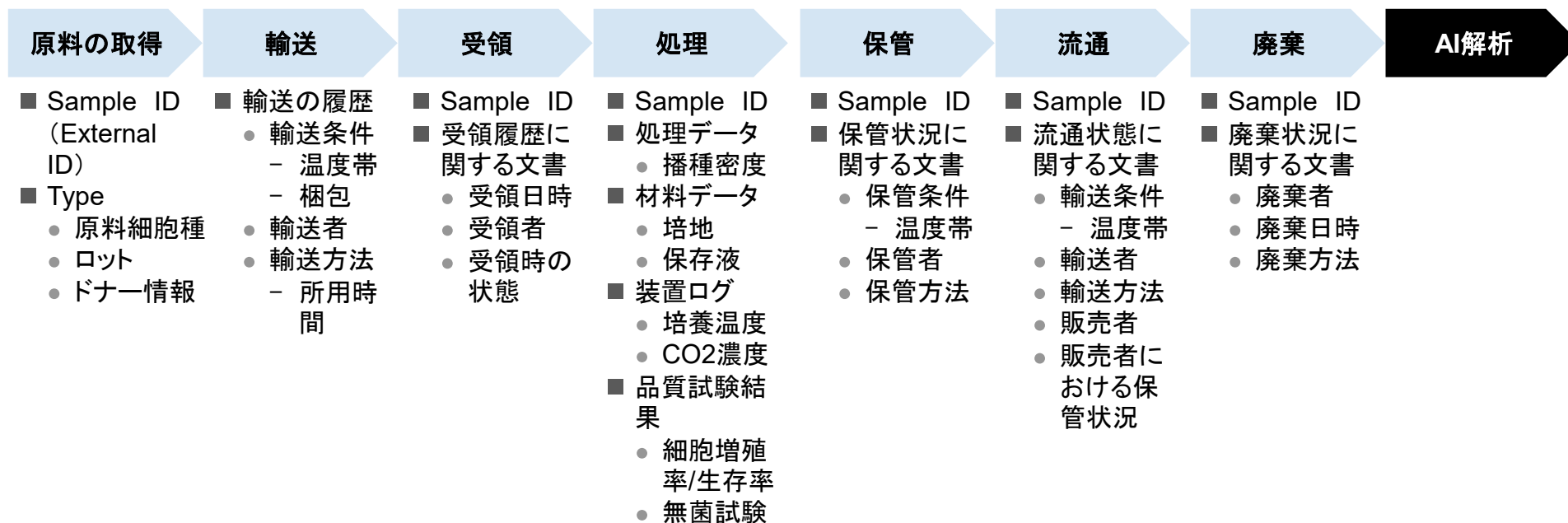
- 今年度は、①データソースや、④ユースケースを想定した③アプリケーションについて検討したが、具体化・詳細化が途上であり、詳細なシステム要求仕様書の検討は困難であった



バイオバンクに関するISOの検討過程を踏まえた再生医療製造・品質データの履歴管理

ISO/TC 276/WG5 “Data processing and integration” ISO_23494

- バイオバンクが取得するデータの来歴について、以下のような各段階においてトレーサビリティ・データコンプライアンスも踏まえて登録することが、AI等の解析を行うために重要だと整理している



【トレーサビリティ】

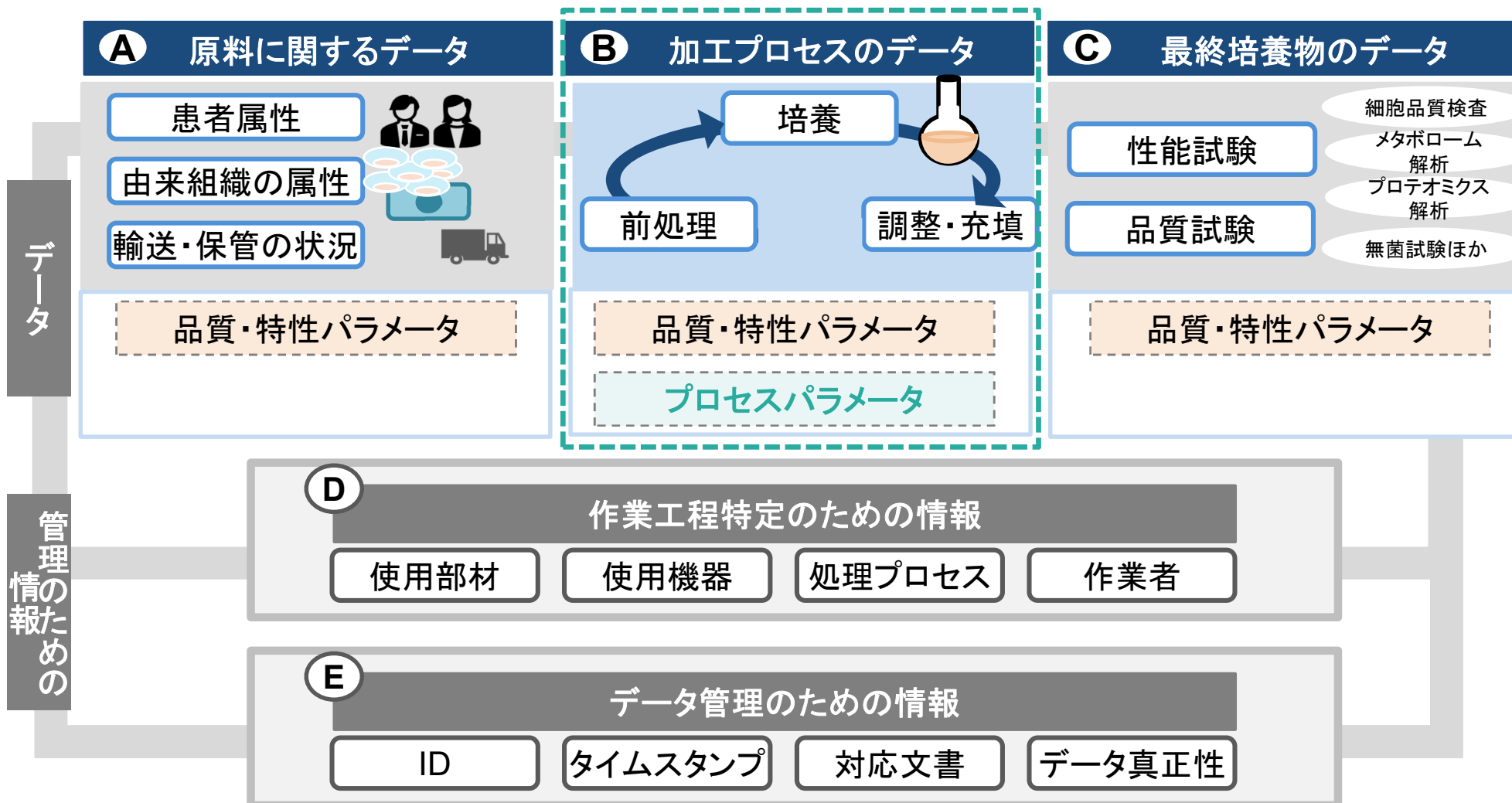
- SOP(作業工程/根拠となるドキュメント)

【データコンプライアンス】

- Preservation(データ真正性担保) → 電子記録の取得日時
- Container (DBにおける階層)

製造・品質データの全体像

- バイオバンクでの検討を踏まえた際、特に、Bの加工プロセスにおいて、どのような工程であったかだけでなく、そのプロセスにおける工程管理のためのプロセスパラメータも取得・解析する必要がある点が再生医療等製品の特徴の一つではないか



(参考)昨年度検討した製造データ項目(例)

- 昨年度は、協力機関の検討状況も含め、変形性膝関節症について、以下のような取得データ項目の整理を実施
 - 今年度、ISO/TC 276/WG5の検討状況や、ヒアリング等を通じ、より詳細の検討を実施した

昨年度
検討項目例

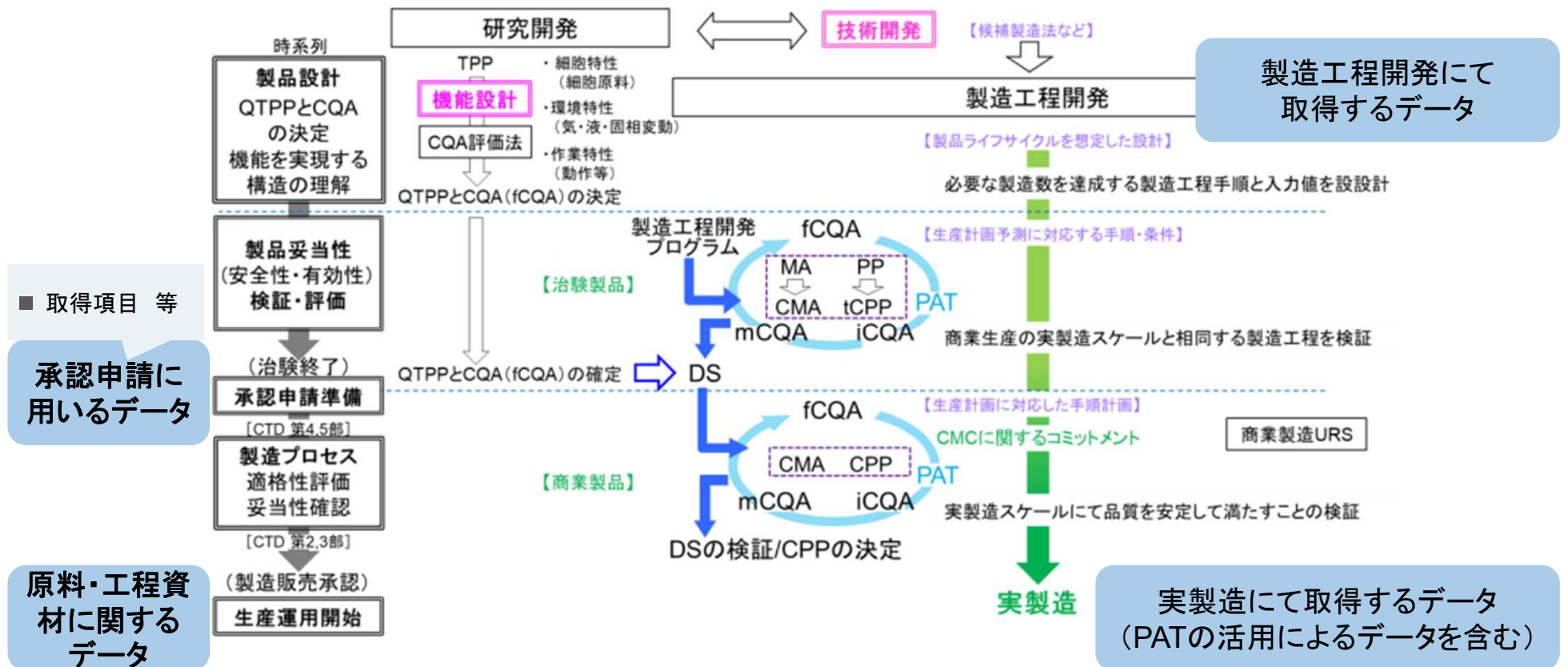
取得・共有する製造データ項目(素案)(変形性膝関節症を例に)

区分	取得項目(例)
採取	■ 採取者のデータ
原料細胞	■ 細胞増殖度 ■ 細胞形状の仮足率 ■ 有核細胞数 ■ 血清量 ■ ミトコンドリア活性度
製造工程	■ 培地 Redox成分解析 ■ 播種面積 ■ 培養時間 ■ 培養温度 ■ 力価
輸送	■ 輸送時の温度 ■ 輸送時間 ■ 輸送にかかる振動

(参考)ヒト細胞加工製品に関連した「製造データ」とは

- ヒト細胞加工製品に関連した「製造データ」には、それぞれ特徴が異なる、複数種類が存在している
- 本システム検討にて検討対象とする製造データの範囲について、議論を行う必要があると考えられる

ヒト細胞加工製品に関連した「製造データ」の種類(仮)



(出所) 大阪大学 大学院工学研究科 テクノアリーナ最先端研究拠点部門 イノベーション拠点 (紀ノ岡細胞製造コトづくり拠点)

『ヒト細胞加工製品の製品開発における製造工程開発の手順に関する考え方(ACE指南書)』(2025年4月20日 第1版)、AMED事業成果、
https://www-bio.eng.osaka-u.ac.jp/ps/kotozukuri_top.files/inst_book_main.pdf

(参考)ヒト細胞加工製品の製造工程開発に関する用語

ヒト細胞加工製品の製造工程開発に関する用語

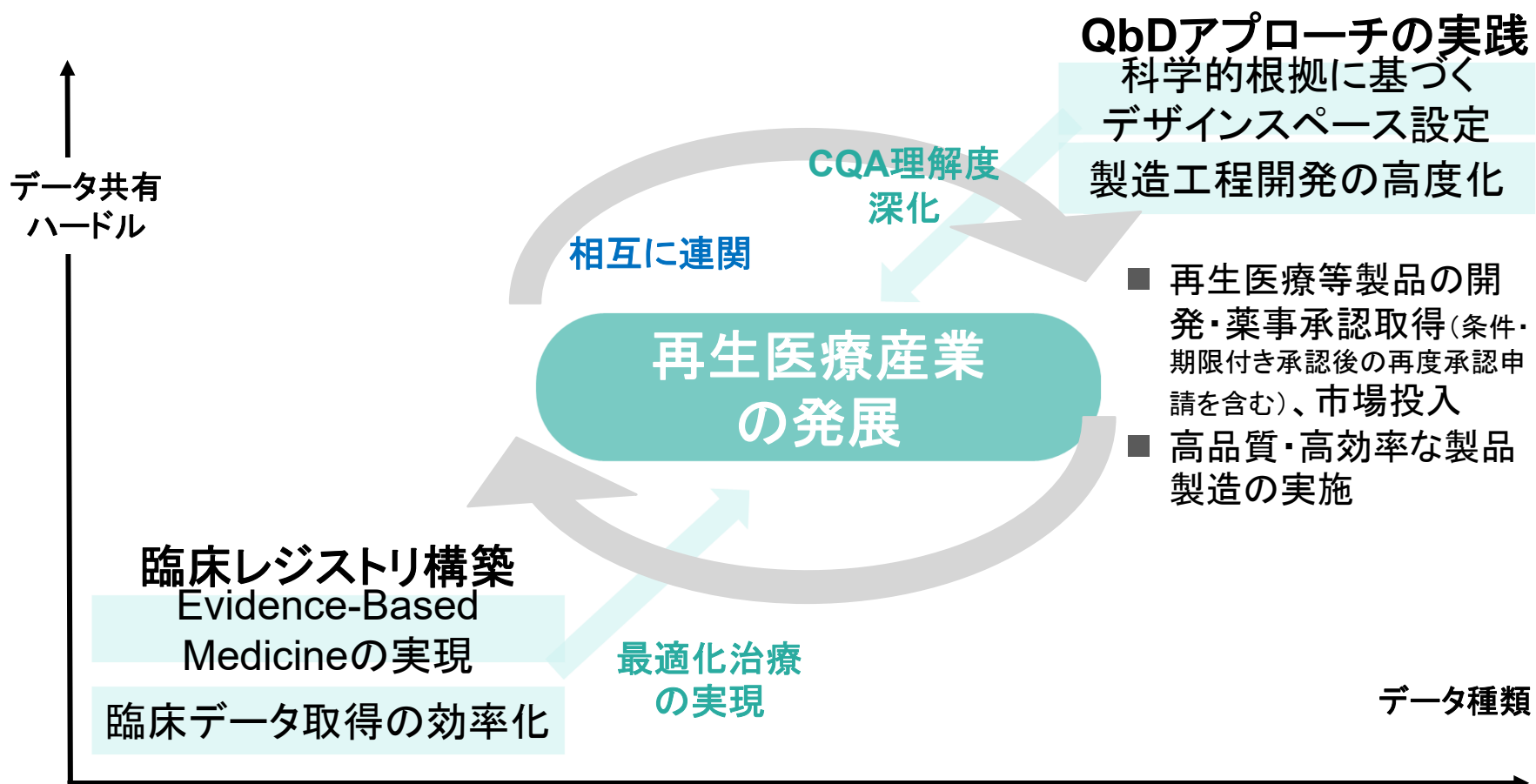
工程 (process)	入力を出力に変換する、相互に関連する経営資源及び活動のまとめり 備考: 経営資源には要員, 財源, 施設, 設備, 技法及び方法が含まれる	
作業 (operation)	対象物の物的、情動的な特性の人為的な変化, 観察, 評価, 処理など 備考: 具体的には, 取り扱われる原材料の加工 (変形、変質)、運搬、検査、監視、帳票処理など	
動作 (motion)	作業を行うときの人の手足又は胴体の動き	
製造プロセス	製造所において製品が完成するまでの必要作業、作業順序、作業条件	
製品開発	顧客のニーズ変化、生産者の技術向上、地球環境への対応などを動機として新たな製品を企画し、その製品化を図る活動	
製品設計	期待する製品の性能を発揮させるために、構成部品の機能・形状とそれらの関連を決める活動 (一般に構成部品リスト、部品図, 組立図によって示す)	
機能設計	期待する製品の性能を発揮するのに必要な機能とそれらの関連を求め、各機能を実現させる構造を求める活動、又はその構造図	
生産設計	機能設計の内容について、生産に対する容易性・経済性などを考慮して設計する活動、又はその設計図	
製造工程開発 (manufacturing process development)	製造工程の選択、製造工程管理、及び製造工程の最適化 (商業生産を想定したロットなど)を行う活動。具体的には、標準製品品質プロファイル (QTPP) を満たすために監視する重要品質特性 (CQA) 及び管理する重要工程パラメータ (CPP) を特定する活動を指す	

(出所) 「ヒト細胞加工製品の製品開発における製造工程開発の手順に関する考え方 (ACE 指南書) https://www-bio.eng.osaka-u.ac.jp/ps/kotozukuri_top.files/inst_book_main.pdf

再生医療等データ利活用における「ありたい姿」

- わが国の再生医療領域における基礎研究の優位性や、安確法下における多数の臨床実績を活用しつつ、**薬機法における再生医療等製品の有効性を確認、最適化治療の実現とCQAの理解度深化**により、より再生医療等製品の投与効果を高め、製造効率を向上させ、国際的なプレゼンスを確立し、再生医療産業の発展に寄与するデータ利活用の仕組み・体制づくりを志向する

わが国の再生医療等製品・産業の国際的なプレゼンス向上



再生医療等製品におけるAI・データサイエンスの意義

- 再生医療等製品の研究開発・製造におけるAIやデータサイエンスの意義について、株式会社エピストラCEO小澤氏の協力を得て整理
⇒ 対象が複雑な再生医療等製品の研究開発・製造においては、AI・データサイエンス利活用の可能性が大きい

再生医療等製品の 研究開発・製造プロセスの特徴

対象が複雑(高次元・非線形)で
人の直感的理解を超えている

- 細胞が複雑
 - 多様・動的・制御難
- 製造条件が複雑で相互に影響し合う
 - 培地組成、添加因子濃度、培養温度、酸素濃度、攪拌、継代条件 etc.
- 製造プロセスが長期にわたることも多い
- 同じ条件で行っても、結果がばらつくことが多い

AI・データサイエンスができること

データの質と量に応じて
複雑なものを複雑なまま扱える
= 高次元・非線形な関係をそのまま扱える

- 高次元空間を効率的に探索して、優良なプロセスパラメータを見つける
- 多変量の相関構造を抽出できる
 - 測定データから、機能や品質の予測
 - 品質管理
 - CPP/CQAの推定
 - デザインスペースの推定



AI活用の可能性が大きい

「ありたい姿」に向けた現状課題及び必要とされる条件の整理

- 一方で、「ありたい姿」の実現に向けては、以下のような課題があり、現時点でデータベースの全体像を構築しようとしても、ステークホルダーから見て使いたいと思えないデータベース・システムを作り出してしまふ懸念について、改めて指摘を受けた

再生医療の最適化治療の実現・CQA探索のためにはデータ収集・解析が重要

再生医療産業の発展に向け、データを利活用したい

何を？

集めるべきデータ項目が不明確

- 再生医療等製品の製造工程において、取得すべきデータ項目について議論が不十分。具体的にどのようなシステムを準備してデータを格納すべきかを確認することが必要

どのように？

AI活用のためにはデータの品質が重要

- どのような来歴のデータか、どの時点でどのような方法で集めたデータか、比較可能性を担保することが重要
 - 不適切なデータを入れると適切な解析は難しい

誰が？

データ収集は多大なコスト・手間

- 薬機法下でも、特にSUIは、期限・条件付き早期承認制度を目指し、網羅的なデータ取得の余裕がない場合も
- 安確法ではデータ収集のインセンティブが存在しない

事業の取組方針

具体的なユースケースを想定し、
データ利活用の意思のある事業者による取組を先行する施策も検討される

データの保有主体別に見た「インセンティブ設計」の仮説

■ 例えば、以下のようなデータ共有のためのインセンティブ設計の仮説を基に検討を行った

主な保有主体	データ共有の難易度	データ共有のためのインセンティブ設計(案)	収集可能データ(例)
<ul style="list-style-type: none"> ■ 再生医療等製品開発・製販企業 ■ CDMO・細胞加工業者 ■ 医療機関 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 難 (競争領域として強い抵抗感) 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 規制との連携 <ul style="list-style-type: none"> ● 審査・申請・市販後調査等と紐付かないと提出インセンティブがない 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 臨床データ <ul style="list-style-type: none"> ● 有効性、安全性 ■ 製造データ <ul style="list-style-type: none"> ● 工程・品質
<ul style="list-style-type: none"> ■ 再生医療周辺産業企業 <ul style="list-style-type: none"> ● 培地や培養装置等のメーカー 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 中 (データ開示により自社を選択してもらいたい) 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 装置等の信頼性証明 ■ 規制連携の可能性があれば、さらに協力を得やすくなる <ul style="list-style-type: none"> ● MF制度等により、データ提出が製品販売のメリットになる 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 再生医療周辺データ <ul style="list-style-type: none"> ● 培地や装置等、マスターファイル化可能なデータ
<p>(国等の支援を受けつつ研究開発を実施している)</p> <ul style="list-style-type: none"> ■ 企業 ■ アカデミア ■ 医療機関 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 容易 (補助対象選定要件化可能) 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 補助金の条件として共有を求める 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 国プロで取得したデータ

システム利活用 仮説案 ①製造・品質データ 1/2

- 最終的なユースケースを想定し、アプリケーションの持つべき機能等を整理するため、WGでは、以下のようなシステム利活用のイメージ案も持ちながら議論を行った

	イメージ例①	イメージ例②
Why? 何のために	<ul style="list-style-type: none"> ■ 規制当局が参照することができる「マスターファイル」を作る 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 規制当局に認めてもらえるような毒性試験の基準値をこれまでの研究から同定
Who? 誰がデータを出す？	<ul style="list-style-type: none"> ■ 再生医療等製品の製造企業 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 再生医療等製品の製造企業 ■ CDMO企業
What? どのようなデータ	<ul style="list-style-type: none"> ■ 製造工程におけるCQAを同定できるようなデータ 	<ul style="list-style-type: none"> ■ どの企業も測定している毒性試験の検査項目及びパラメータと製品の安全性のデータと紐づけた結果
Whom? 誰がどうやって活用する？	<ul style="list-style-type: none"> ■ 再生医療等製品製造企業→薬事承認申請の際に援用可能 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 製造企業→工程開発援用可能 ■ わが国としても諸外国に対して研究が進んでいる点を幅広くアピール
How? どのように？	<ul style="list-style-type: none"> ■ 規制当局に対し、各企業がデータを提出 ■ 規制当局がデータを参照し、企業に必要な範囲で情報を提供 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 試験の結果等を踏まえた日本における検討状況を論文化、論文が援用される
How much? どれくらいの予算で？	<ul style="list-style-type: none"> ■ TBD <ul style="list-style-type: none"> ● FDAによるAMTプログラムが参考となるか 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 国プロジェクトとして実施することに意義あり(アカデミアや企業だけではない意義)

システム利活用 仮説案 ①製造・品質データ 2/2

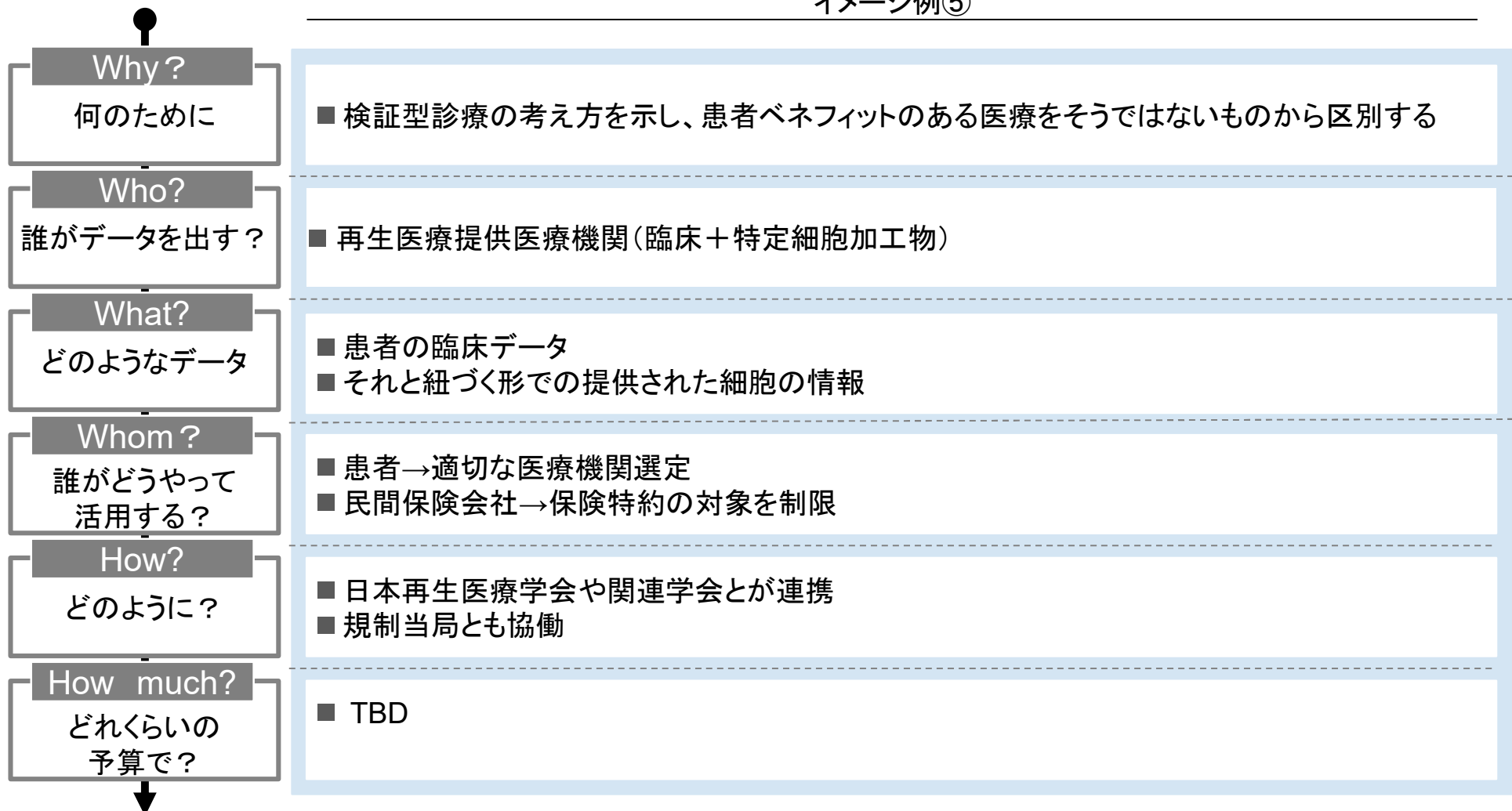
イメージ例③

イメージ例④

Why? 何のために	<ul style="list-style-type: none"> ■ スケールアップのための必要なパラメータ設定の参考情報を得る 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 企業に対してより適切な製造工程を構築できることを示す
Who? 誰がデータを出す？	<ul style="list-style-type: none"> ■ 再生医療等製品の製造企業 	<ul style="list-style-type: none"> ■ CDMO事業者 ■ 細胞培養装置メーカー、部材メーカー
What? どのようなデータ	<ul style="list-style-type: none"> ■ 前処理→培養→精製・充填の各プロセスにおけるプロセスパラメータ <ul style="list-style-type: none"> ● 失敗した際のパラメータや値 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 前処理→培養→精製・充填の各プロセスにおけるプロセスパラメータ <ul style="list-style-type: none"> ● 自社製品・検査等を行った場合の値
Whom? 誰がどうやって活用する？	<ul style="list-style-type: none"> ■ 国主導のプロジェクトに参画を希望する民間企業(特にスタートアップ)で構成するコンソーシアム 	<ul style="list-style-type: none"> ■ CDMOや装置、部材メーカーが自社のサービス・製品を企業にアピールする
How? どのように？	<ul style="list-style-type: none"> ■ コンソーシアムにおいて、匿名のまま情報を提供し、製造工程高度化のための共同研究を国主導で行う 	<ul style="list-style-type: none"> ■ 国や業界団体において検討の場を提供し、そこで議論
How much? どれくらいの予算で？	<ul style="list-style-type: none"> ■ AMEDからの調査研究費用+参加企業からの研究開発費？ 	<ul style="list-style-type: none"> ■ AMEDからの調査研究費用

システム利活用 仮説案 ②臨床データ

イメージ例⑤



V. 調査結果の取りまとめ

本年度事業の総括

事業における実施項目

調査・検討結果の概要

1

システム要求仕様検討
に向けた前提条件の整理

- ニーズ調査により、**データ提供の負担・強い抵抗感**を確認
- 十分なインセンティブを示せないままシステムを構築してもデータ提供者・ユーザー共に集まらず、利活用が進まない恐れ
- データ利活用のあり方検討の際**インセンティブ明示・具体化が必要**

2

再生医療データ利活用による
「ありたい姿」の明確化

- インセンティブ設計に当たり、再生医療データ利活用により実現したい「**ありたい姿**」を確認することで、ゴールイメージを共有、議論
- 標準化を主導する立場となるなど、**わが国の再生医療等産業の発展・振興**のため、**国を挙げて取り組んではどうか**

3

データ利活用のユースケース
検討の方向性

- 具体的なデータ項目や解析の目的・方法(ユースケース)議論
 - 例えば、加エプロセスにおけるプロセスパラメータの収集・解析による**製造工程の高度化**や、**臨床アウトカムを対照群と比較し**、製品の治療効果をマッピング 等
- 臨床アウトカムと結びつく形での製造・品質データの整備・解析が重要。実装を見据え、「**規制当局との連携**」も含め**モデルを深掘り**

次年度以降の調査方針(現時点案)

- 「システム要求仕様書」を作るため、想定する「システム」とその利活用の目的(=再生医療のデータ利活用により得られる各ステークホルダーへのメリット)を明らかにするための調査を行う
- そのために、必要な範囲で実証事業を行う検討もする

システム詳細検討

実証仕様の検討

本年度事業の総括	
事業における実施項目	調査・検討結果の概要
1 システム要求仕様検討 に向けた前提条件の整理	<ul style="list-style-type: none"> ■ ニーズ調査により、データ提供の負担・強い抵抗感を確認 ■ 十分なインセンティブを示せないままシステムを構築してもデータ提供者・ユーザー共に集まらず、利活用が進まない恐れ ■ データ利活用のあり方検討の際インセンティブ明示・具体化が必要
2 再生医療データ利活用による 「ありたい姿」の明確化	<ul style="list-style-type: none"> ■ インセンティブ設計に当たり、再生医療データ利活用により実現した「ありたい姿」を確認することで、ゴールイメージを共有、議論 ■ 標準化を主導する立場となるなど、わが国の再生医療等産業の発展・振興のため、国を挙げて取り組んではどうか
3 データ利活用のユースケース 検討の方向性	<ul style="list-style-type: none"> ■ 具体的なデータ項目や解析の目的・方法(ユースケース)議論 <ul style="list-style-type: none"> ● 例えば、加エプロセスにおけるプロセスパフォーマンスの収束・解析による製造工程の高度化や、臨床アウトカムを対照群と比較し、製品の治療効果をマッピング 等 ■ 臨床アウトカムと結びつく形での製造・品質データの整備・解析が重要。実装を見据え、「規制当局との連携」も含めモデルを深掘り

58 Mitsubishi UFJ Research and Consulting

1 データ利活用のあり方具体化に向けた調査

- データ利活用像を具体化することで、システム要求仕様を検討するための深堀調査
 - 今年度積み残し課題である、データ提供に対するインセンティブ設計詳細化のほか、システム運用主体やデータの共有方法等についての検討を行う

2 システム要求仕様決定に向けた調査

- 【業務要件】【機能要件】【非機能要件】の詳細調査: データ利活用のために必要な要求仕様を具体化、可視化するための調査・検討を実施
 - 将来的なAI解析活用も含めた取組を想定

3 ユースケース具体化のための実証事業の仕様検討

- バックキャスト型の検討だけではなく、データ利活用によるユースケースの提案を受ける事業も検討
 - アカデミアや、CDMO等製造事業者とデータサイエンティストの協働提案で、ユースケースを開発

Appendix. 参考資料

(参考) 日本国内における事例: Gaudi Clinical

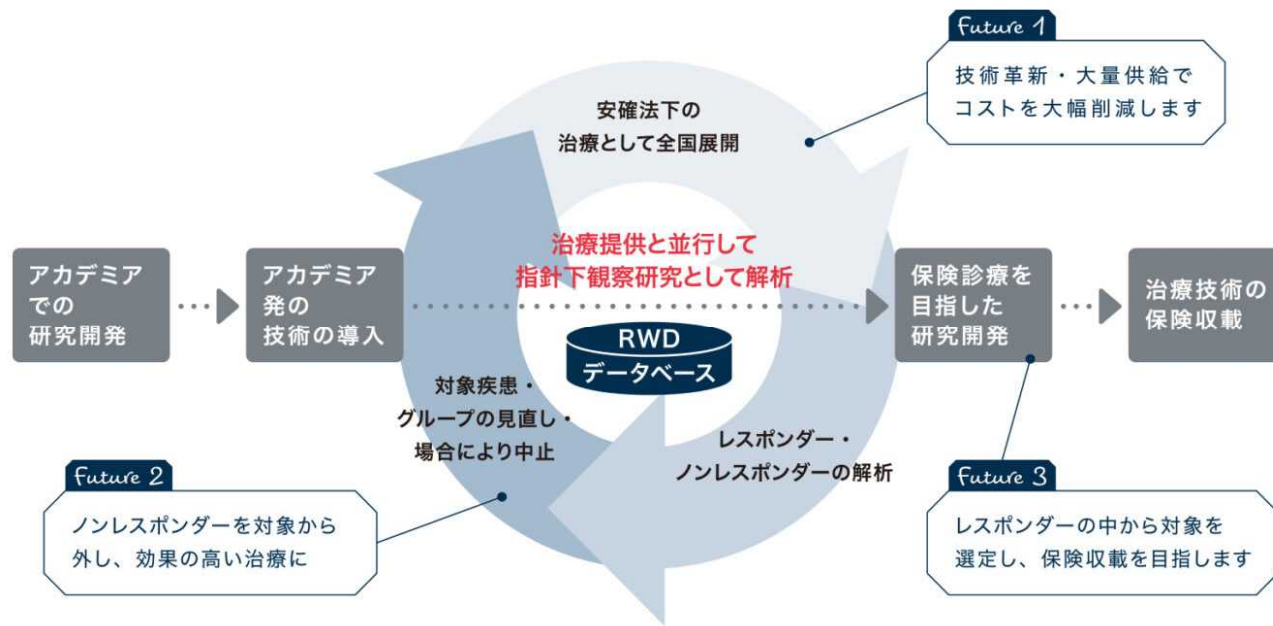
- GaudiClinicalでは、治療データや細胞製造データの集約を実現する事業の提供を画策している

実施機関

株式会社Gaudi Clinical 「再生医療データ解析支援事業」

- キオスク型の細胞調製室の運営のほか、再生医療等安全性確保法で求められるデータ(①治療データ、②患者主観評価、③細胞製造データ)の集約をサポート
- 本データ収集には、調製室に勤務する再生医療コーディネータが実施

詳細イメージ



(出所) Gaudi Clinical「インタビュー(飛田 護邦)」<https://gaudi-clinical.co.jp/regenerative-medicine-technology/interview-tobita/> より当社作成

米国事例① | NIH (National Institutes of Health)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- NIHは米国最大の医療研究機関であり、研究所での内部研究と大学・企業への研究助成を通じて細胞・遺伝子治療などの基礎・トランスレーショナル研究を推進し、研究データを創出・共有している

NIH (National Institutes of Health) の概要

No	項目	概要
1	名称	■ NIH (National Institutes of Health)
2	開始年	■ 1887年
3	実施地域	■ 米国
4	資金・制度管轄	■ 米国保健福祉省 (HHS)
5	実施主体	■ NIH (特に NHLBI、NCATS、NCIなどの研究所)
6	目的	■ 細胞・遺伝子治療等のトランスレーショナル研究および製造技術の確立を支援し、臨床開発を加速
7	特徴	■ アカデミア・医療機関・企業に グラント形式で資金提供 ■ 自前の研究所を持ち、NIH研究者が基礎研究やトランスレーショナル研究 (遺伝子治療、細胞治療等) を実施
8	収集データ	■ 研究で創出されるデータ。細胞培養条件、ベクター製造、精製・スケールアップなど ■ 研究データは研究コミュニティで共有。論文化され公開
9	資金	■ NIH年間予算: 約480億ドル (2025年)。そのうち再生医療分野への予算は不明
10	参画者	■ 公募研究に応募しプロジェクトベースで参画

(出所) NIH <https://www.nih.gov/>

米国事例② | NIST

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- NISTが主導する再生医療の計測・標準化プログラム。産業界・FDA等と連携し、細胞品質評価やフローサイトメトリー等の測定標準を整備することで、再生医療製品の製造再現性と規制評価の信頼性向上を目指す

NIST Regenerative Medicine Measurement & Standards Programの概要

No	項目	概要
1	名称	■ NIST Regenerative Medicine Measurement & Standards Program(再生医療計測・標準化プログラム)
2	開始年	■ 2010年代
3	実施地域	■ 米国
4	資金・制度管轄	■ 商務省
5	実施主体	■ NIST(National Institute of Standards and Technology)
6	目的	■ 再生医療・細胞治療の品質評価・計測方法・データ標準を確立し製品の再現性と規制評価の信頼性を向上させる
7	特徴	■ NIST主導の官民コンソーシアム型研究 ■ 細胞解析・品質評価・製造計測の標準化研究。フローサイトメトリーや細胞特性評価の定量標準を開発
8	収集データ	■ 共通テーマを設定して測定・評価したデータ (NISTが共通試料や測定プロトコルを提示し、企業・大学・研究機関がデータを取得)
9	資金	■ (例:フローサイトメトリー標準コンソの場合)25,000USD/年(約400万円/年 相当)を支払う
10	参画者	■ グローバル大手製薬企業 ■ FDA

米国事例③ | SCB Regenerative Medicine Standards Portal

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- 再生医療の標準化情報を一元化するため、米国の標準化機関SCB(Standards Coordinating Body)が運営するポータルサイト
- 規制・標準・ベストプラクティスを整理し、企業・研究機関が再生医療製品の開発・製造時に参照できるようにする目的

SCB Regenerative Medicine Standards Portalの概要

No	項目	概要
1	名称	■ SCB Regenerative Medicine Standards Portal
2	開始年	■ 2017年公開
3	実施地域	■ 米国(国際標準情報も掲載)
4	資金・制度管轄	■ FDA(特に Center for Biologics Evaluation and Research: CBER)
5	実施主体	■ Standards Coordinating Body (SCB) for Regenerative Medicine(非営利標準化団体)
6	目的	■ 再生医療分野の標準・ガイドライン・規制情報を整理し、企業や研究機関が利用できるようにすること(ASTM、ASME、USP、FACT、AABB、ISO等)
7	特徴	■ 再生医療の標準を体系的に整理したデータベース
8	収集製造データ	■ -(標準・ガイドライン等を整理したデータベースであり、製造データ収集なし)
9	資金	■ 不明
10	参画者	■ -(ポータルのため参画者なし)

(出所) The Regenerative Medicine Standards Portal <https://portal.standardscoordinatingbody.org/>

米国事例④ | NCMC (National Cell Manufacturing Consortium) (本編より再掲)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- NISTのAMTech助成により設立された産学官コンソーシアムで、細胞治療製造の課題整理とロードマップ策定を通じて、コスト削減や自動化など製造技術の方向性を示すことが目的

NCMC (National Cell Manufacturing Consortium) の概要

No	項目	概要
1	名称	■ NCMC (National Cell Manufacturing Consortium)
2	開始年	■ 2014年設立 (NISTのAMTechプログラム助成により設立)
3	実施地域	■ 米国
4	資金・制度管轄	■ 商務省 (NIST)
5	実施主体	■ Georgia Institute of Technology (Georgia Tech) 主導の産学官コンソーシアム
6	目的	■ 細胞治療 (Cell Therapy) の製造技術の課題整理・技術ロードマップ策定・産業基盤構築
7	特徴	■ 企業・大学・政府研究機関が参加するプレコンペティティブ研究コンソーシアム ■ 細胞製造のコスト削減・自動化・スケールアップ技術を中心に検討 ■ 産業界ヒアリングをもとにCell Manufacturing Roadmapを策定
8	収集製造データ	■ - (産業ロードマップ作成のためのコンソーシアムであり、製造データ収集なし)
9	資金	■ NIST AMTech助成: 約50万ドル (約8,000万円相当) で設立
10	参画者	■ 25社以上の企業と15の学術機関、政府機関 ■ ロードマップ作成には、FDA関係者も関与

(出所) National Cell Manufacturing Consortium "National Cell Manufacturing Consortium" <https://cellmanufacturingusa.org/national-cell-manufacturing-consortium>

米国事例⑤ | ARM (Alliance for Regenerative Medicine)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

■ 再生医療の産業化促進と政策提言を担う世界最大の業界団体

ARM (Alliance for Regenerative Medicine) の概要

No	項目	概要
1	名称	■ ARM (Alliance for Regenerative Medicine)
2	開始年	■ 2009年設立
3	実施地域	■ 米国(欧州・アジアにも活動拠点あり)
4	資金・制度管轄	■ 民間主導の国際業界団体(非営利)
5	実施主体	■ 民間主導の国際業界団体(非営利)
6	目的	■ 再生医療の産業化促進や規制政策への提言と国際的な規制調和の推進
7	特徴	■ 世界最大の再生医療業界団体
8	収集製造データ	■ ー(政策提言、規制調和、市場データ分析等を実施する業界団体であり、製造データ収集なし)
9	資金	■ 参画企業の会費。企業売上規模によって年会費異なる
10	参画者	■ 製薬企業、CDMO、研究機関、患者団体等

(出所) ARM (Alliance for Regenerative Medicine) <https://alliancerm.org/>

米国事例⑥ | NIIMBLE

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- 産学官のコンソーシアムにより、バイオ医薬品の次世代製造技術の研究開発と人材育成を推進する、Manufacturing USAのバイオ医薬製造イノベーション拠点

NIIMBLEの概要

No	項目	概要
1	名称	■ NIIMBLE (National Institute for Innovation in Manufacturing Biopharmaceuticals)
2	開始年	■ 2016年設立
3	実施地域	■ 米国
4	資金・制度管轄	■ 米国商務省 (Manufacturing USAプログラム、NIST) による官民パートナーシップ
5	実施主体	■ NIIMBLE Institute (非営利)
6	目的	■ バイオ医薬品の次世代製造技術開発と米国製造基盤強化
7	特徴	■ Manufacturing USAのバイオ医薬製造拠点
8	収集製造データ	■ 製造プロセスデータ (培養条件、工程制御、品質評価)、PAT・連続製造データ等を研究プロジェクトで取得
9	資金	■ 設立時合計2.5億ドル (約400億円相当) 以上 (商務省から約7,000万ドル (初期5年) + 企業等から1.8億ドル)
10	参画者	■ 製薬企業、バイオ周辺産業企業、CDMO、アカデミア、政府機関 (NIST、FDA等)

(出所) NIIMBLE <https://www.niimbl.org/>

FDA Public-Private Partnerships <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/innovative-technologies/public-private-partnerships>

米国事例⑦ | CMaT (Center for Cell Manufacturing Technologies)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- NSF資金による大学コンソーシアム型研究センターであり、研究プロジェクトを通じて細胞特性・製造プロセス・品質評価データを取得し、細胞製造技術の高度化を推進する

CMaT (Center for Cell Manufacturing Technologies) の概要

No	項目	概要
1	名称	■ CMaT (Center for Cell Manufacturing Technologies)
2	開始年	■ 2017年設立 (Georgia Tech主導のNSF Engineering Research Centerとして開始)
3	実施地域	■ 米国
4	資金・制度管轄	■ NSF (National Science Foundation)
5	実施主体	■ Georgia Institute of Technology (ジョージア工科大学)
6	目的	■ 高品質・低コスト・再現性ある細胞治療製造を実現し、細胞ベース治療の産業実装を進める
7	特徴	■ Georgia Techを中心とする大学コンソーシアムによる研究実施
8	収集製造データ	■ 研究プロジェクトの中で 細胞特性・製造プロセス・品質評価に関するデータを取得・解析
9	資金	■ NSFから5年間で2,000万ドル(30億円相当)のERC (NSF Engineering Research Center) 助成を受けて開始
10	参画者	■ 大学、資金機関、医療機関・研究機関が中心 (大阪大学も参画) ■ 企業はIndustry Membersとして参画 (製薬企業よりも製造技術企業が中心)

(出所) CMaT <https://cellmanufacturingusa.org/>

米国事例⑧ | BioFabUSA

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- 企業の知財を保護するため、製品固有の製造データではなく競争前領域 (pre-competitive) の製造技術データを官民で共有し、再生医療の製造基盤の標準化・高度化を推進

BioFabUSAの概要

No	項目	概要
1	名称	■ BioFabUSA
2	開始年	■ 2017年設立 (Manufacturing USAのバイオ製造拠点として)
3	実施地域	■ 米国
4	資金・制度管轄	■ 米国防総省 (DoD)
5	実施主体	■ ARMI (Advanced Regenerative Manufacturing Institute)
6	目的	■ 再生医療・細胞治療の製造プロセスを標準化・自動化し、大量製造を可能にすること
7	特徴	■ 150以上の企業・大学・政府機関が参加する官民コンソーシアム ■ 自動培養装置、閉鎖型製造、品質評価、デジタル製造などの技術開発
8	収集製造データ	■ 再生医療製造の競争前領域 (pre-competitive) データ ■ BioFabの実証設備で実験を行い、プロセスデータを取得
9	資金	■ 8,000万ドル (125億円相当) の国防総省助成金
10	参画者	■ 産業界、学术界、非営利セクターから170以上の加盟団体が参加。FDA参画あり

(出所) BioFabUSA <https://www.armiusa.org/biofabusa/>

FDA Public-Private Partnerships <https://www.fda.gov/emergency-preparedness-and-response/innovative-technologies/public-private-partnerships>

米国事例⑨ | AMT (Advanced Manufacturing Technologies)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- 革新的な医薬品製造技術をFDAが公式に認定し、その技術を用いた医薬品開発を規制面から支援することで、次世代の医薬品製造の普及を促進する制度

AMT (Advanced Manufacturing Technologies) の概要

No	項目	概要
1	名称	■ Advanced Manufacturing Technologies Designation Program (AMT指定制度)
2	開始年	■ 2022年募集開始 / 2024年FDAガイダンス公表
3	実施地域	■ 米国
4	資金・制度管轄	■ FDA
5	実施主体	■ FDA (特にCenter for Biologics Evaluation and Research およびCDER)
6	目的	■ 効率的・高品質な医薬品製造を実現する 新しい製造技術の導入促進が目的
7	特徴	■ 企業や技術開発者、CDMOなど、新しい製造方法や製造プラットフォームについてFDAに申請し、医薬品の製造プロセスを大きく改善すると認められた場合、AMT指定を受けることができる ■ 『まほろ』による ロボット式細胞培養自動化システム (2025年12月AMT指定)
8	収集データ	■ 企業の製造技術データ (CMC・工程データ・品質データ)
9	資金	■ 不明
10	参画者	■ - (制度であるため参画者なし)

(出所) FDA "Advanced Manufacturing Technologies Designation Program" CY 2025 Report <https://www.fda.gov/media/190407/download?attachment>

欧州事例① | Horizon Europe プログラム (1/2)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- Horizon Europeにて支援されるプログラムテーマの一つに先端治療医薬品(ATMP)の製造最適化があり、このプログラムでは単独企業ではなく、コンソーシアム形式での共同研究が前提とされる点が特徴

Horizon Europe 先端治療医薬品(ATMP)の製造の最適化

No	項目	概要
1	名称	■ 先端治療医薬品(ATMP)の製造の最適化 (Optimising the manufacturing of Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs))
2	募集年	■ 2025年
3	実施地域	■ 欧州
4	目的	■ 先端治療医薬品(ATMP)製造におけるスケールアップ、品質管理、コスト低減等の課題を解決し、分散型製造を含む新たな製造モデルの確立を目指す
5	特徴	■ EUが所管するHorizon Europeの枠組みに基づく共同研究プロジェクト ■ 後段にて記載の、JOIN4ATMP等に代表されるコンソーシアム型で、企業・研究機関の共同開発を前提とする ■ EU内での製造実用化に、優先的に取り組むことを支援条件とする
6	予算金額	■ 600~800万ユーロ/プロジェクト(10~15億円相当)
7	参画企業	■ 現段階で、当プロジェクトの採択機関等は公開なし

(出所) European Commission, CORDIS "Optimising the manufacturing of Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs)", https://cordis.europa.eu/programme/id/HORIZON_HORIZON-HLTH-2025-01-IND-01 より当社作成

欧州事例① | Horizon Europe プログラム (2/2)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

概要

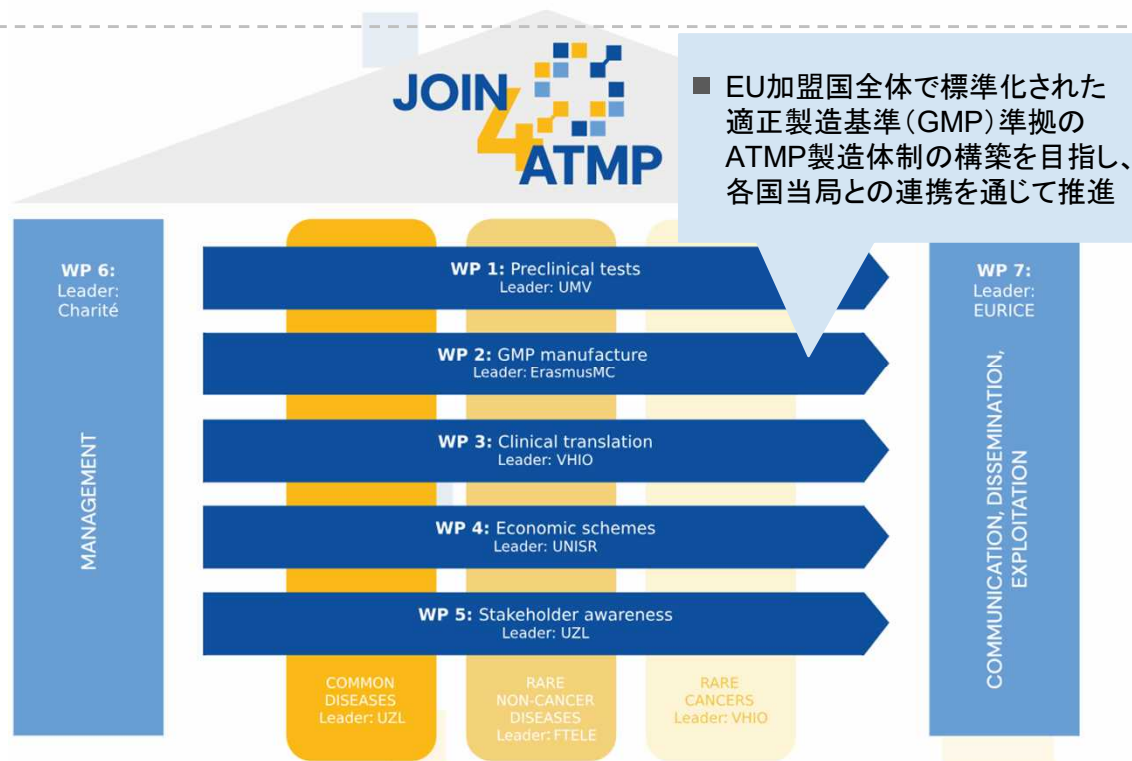
■ JOIN4ATMPプロジェクト

実施機関

- 欧州大学病院連合 (EUHAL) の全メンバー
- 既存EUプロジェクト (T2EVOLVE*1、RESTORE*2 等) 参画機関
- 産業界パートナー
- 患者代表

詳細イメージ

- 目的: 欧州におけるATMPの開発を加速し、リスク低減および患者アクセスの拡大を図る
 - 生産コスト・治療コストの低減
 - 規制対応の効率化および制度整備
 - 承認プロセス短縮
- 資金元: EU
 - 各財団や研究所をパートナーにもつ
- 取扱いデータ: 前臨床・臨床データ等



(出所) JOIN4ATMP "WORK PACKAGES", <https://join4atmp.eu/research/workpackage> より当社作成

欧州事例② | BioPhorum_概要(1/2)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- BioPhorumは、英国を拠点とするバイオ医薬品業界の環境づくりを牽引する組織。参画企業の資金提供により運営され、バイオ医薬品業界に対してロードマップを示すなど、業界・規制当局への発信力をもつ

BioPhorum

No	項目	概要
1	名称	■ BioPhorum
2	設立年	■ 2008年
3	所在地	■ 英国
4	目的	■ バイオ医薬品業界における製造・品質・規制の標準化とベストプラクティス策定を主導する 業界団体
5	特徴	<ul style="list-style-type: none">■ 11のフォーラムで構成される業界横断コンソーシアム(100社以上・数千人が参画)■ 各テーマごとに企業が協力し、実務で使える最適な手法を整理・共有し、各社での導入を加速■ 参画企業は、BioPhorumとのコラボレーションの結果、数百万ドルの節約や数か月のスピード向上が実現できる可能性がある■ 参画企業が資金提供し、運営■ 業界団体として、規制当局や業界全体への発信力をもつ
6	参画企業	■ 次頁参照

11のフォーラム

1. 先進治療医薬品
2. 開発グループ
3. 薬物送達
4. 薬物成分
5. 充填仕上げ
6. ITデジタルとデータ
7. 品質
8. 規制-CMC
9. 供給体制・回復力
10. サステナビリティ
11. テクノロジー戦略

BioPhorumのメリット



生産性とコストの改善



市場投入までのスピード



規制リスクと簡素化



持続可能性



労働力の強化

(出所) BioPhorum <https://www.biophorum.com/>

欧州事例② | BioPhorum_参画企業(2/2)

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

参画企業

- AbbVie
- **AGC Biologics**
- **Ajinomoto North America, Inc.**
- Amgen
- Amicus Therapeutics
- APC Limited
- Apprentice FS Inc.
- Arcus Biosciences
- **Asahi Kasei Bioprocess**
- **Astellas Pharma Inc.**
- AstraZeneca
- Autodesk
- Avantor
- BASF
- Bayer
- Becton Dickinson and Company
- BioMarin
- bioMérieux
- Boehringer Ingelheim
- BridgeBio Gene Therapy
- Bristol Myers Squibb
- Broadley James Ltd
- Catalent
- Cell and Gene Therapy Catapult
- Center for Breakthrough
- Medicines
- Charles River Laboratories
- **Chugai**
- COPA-DATA
- CPC (Colder Products Company)
- CPI (Centre for Process Innovation)
- CRB
- Croda
- CSL Behring
- Cygnus Technologies Inc.
- Cytiva
- **Daiichi Sankyo**
- Dassault Systèmes
- **Eisai Co. Ltd**
- Eli Lilly
- Emerson
- Endo International
- Endress+Hauser
- Entegris
- Eurofins Biopharma
- Product Testing
- Exyte
- Ferring
- FPC@DCU (Fraunhofer Project Centre@Dublin City University)
- Friesland Campina Ingredients
- **FUJIFILM Diosynth**
- Biotechnologies
- **FUJIFILM Irvine Scientific**
- Gilead
- Grand River Aseptic
- Manufacturing
- Groninger
- GSK
- Honeywell
- IDEX Corporation
- Incyte
- Insmad Gene Therapy
- Intel Corporation
- Ipsen Biopharm
- Janssen
- Kerry Bioscience
- Körber
- **Kyowa Kirin Co., Ltd.**
- Lonza
- MacroGenics, Inc.
- Meissner
- Merck & Co, Inc., Rahway, NJ, USA
- Merck Group
- Moderna Inc.
- MTC (Manufacturing Technology Centre)
- Mural Oncology
- NewAge AdvantaPure
- NIBRT
- Nordson Medical
- Novartis
- Novo Nordisk
- Nu-Tek Biosciences
- Organon
- PAK Biosolutions
- Partner Therapeutics, Inc
- Pfizer
- Pharmaron
- PM Group
- Polymershapes
- Procelys
- Purolite Corporation
- Qosina Corp.
- Regeneron
- RegenXbio
- Repligen
- Resilience (National Resilience, Inc.)
- Roche
- Rockwell Automation
- Saint-Gobain
- Samsung Bioepis
- Samsung Biologics
- Sanofi
- Sarepta Therapeutics
- Sartorius Stedim
- Schneider Electric
- **Shionogi & Co. Ltd**
- Siemens
- SK Pharmteco
- Sobi
- Solventum
- Solvias USA, LLC
- **Takeda**
- Teva Pharmaceuticals
- Thermo Fisher
- **Tosoh Bioscience**
- TraceLink
- UCB
- Ultragenyx Pharmaceutical
- ValGenesis
- Veeva Systems Inc.
- Vertex Pharmaceuticals
- Vetter Pharma
- Vir Biotechnology
- Waters Corporation
- Watson-Marlow Fluid
- Technology Solutions
- West Pharmaceutical
- Services, Inc.
- Xencor, Inc.
- **Yokogawa Insilico**
- Biotechnology GmbH
- Yposkesi

欧州事例③ | hPSCreg

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- hPSCregは、ヒト多能性幹細胞株（hPSC株）に関するデータレジストリであり、細胞種の情報やその細胞種を用いた臨床研究のデータを閲覧することができる

hPSCreg

No	項目	概要
1	名称	■ hPSCreg
2	設立年	■ 2007年
3	実施地域	■ 世界
4	目的	■ ヒト多能性幹細胞株（hPSC株）を登録し、出版物やデータリソース全体で認識可能とする
5	特徴	<ul style="list-style-type: none">■ 臨床研究データベースとの紐づけを行い、各細胞株が用いられた研究の検索が容易■ 世界中のレジストリ・細胞バンクや国際的取組との連携あり■ EUの支援により運営■ 1万件程度の細胞株が登録済み■ NIH Human Embryonic Stem Cell Registryのような、規制当局が所管するレジストリでは、NIHから資金提供を受ける研究は当該レジストリに登録済みの細胞株を用いる必要があるが、当レジストリは規制当局に縛られない点で特徴的
6	収集データ	■ 細胞起源、調達、誘導プロセス、遺伝発現データ、その他の分子的・生物学的特性、用途、および細胞株の品質
7	参画企業	■ 現段階で、当プロジェクトの採択機関等は公開なし

(出所) hPSCreg「Search Results (検索結果)」 <https://hpscereg.eu/search> より当社作成

欧州事例④ | UK Regenerative Medicine Platform

欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- 再生医療の実用化に向け、基礎研究から臨床応用への橋渡し(トランスレーション)課題の解決を目的とした英国の研究プログラムである。公的資金のもと大学・研究機関を中心に推進され、企業の関与は限定的である

UK Regenerative Medicine Platform

No	項目	概要
1	名称	■ UK Regenerative Medicine Platform
2	開始年	■ 2013年 ※2024年に終了
3	実施地域	■ 英国
4	目的	■ 再生医療の実用化に向け、基礎研究から臨床応用への移行(トランスレーション)課題の解決を目的とする研究プログラム
5	特徴	■ 医療研究評議会(MRC)、バイオテクノロジー・生物科学研究評議会(BBSRC)、工学・物理科学研究評議会(EP SRC)が資金提供 <ul style="list-style-type: none">● 多能性幹細胞ハブや細胞エンジニアリングハブ・スマートマテリアルハブなど複数プロジェクトを実施● 企業の参画に関する情報は得られていない
6	予算金額	■ 4,200万ポンド(88億円相当)(2013~2024年)
7	参画企業	■ 大学関係者が各ハブ代表者を務める

(出所) K Research and Innovation (UKRI)「UK Regenerative Medicine Platform」

<https://www.ukri.org/what-we-do/browse-our-areas-of-investment-and-support/uk-regenerative-medicine-platform/> より当社作成

欧州事例⑤ | MAINSTREAM Hub


欧米の製造データ収集・活用の取組事例

- MAINSTREAM Hubは、MSCの持続可能かつ低コストな製造の実現に向け、英国で2025年に開始された。大学・研究機関を中心に、規制当局や企業と連携して推進されるが、企業間でのデータ・技術共有は見受けられない

MAINSTREAM Hub

No	項目	概要
1	名称	■ MAINSTREAM Hub
2	開始年	■ 2025年
3	実施地域	■ 英国
4	目的	■ MSC製造のスケールアップや免疫応答などの各課題解決に向け、協働
5	特徴	<ul style="list-style-type: none">■ 英国の3つの大学およびCell and Gene Therapy Catapultを中心に運営(NHS*1も関与)■ 多くの企業や患者団体のほか、NHS・企業も一部資金提供■ MSC製造のスケールアップや低コスト化が課題である背景を踏まえMSCの持続可能かつ低コストな製造に注力■ 大学内の研究施設を活用し、複数大学が共同研究<ul style="list-style-type: none">● 企業が技術やデータを出し合うような協働は見受けられない
6	予算金額	■ ー
7	参画企業	■ 大学・研究機関を中心に、企業・NHS等が連携

(出所) mainstream「UK Hub for Stem Cell Manufacturing」 <https://www.mainstream-hub.org/> より当社作成



三菱UFJリサーチ&コンサルティング株式会社

www.murc.jp/

本報告書を引用する場合には、出典を明記してください。引用に伴う損害等に対して、国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)及び三菱UFJリサーチ&コンサルティング株式会社は責任を負いません。

