

国家戦略特区ワーキンググループ ヒアリング（議事要旨）

（開催要領）

- 1 日時 令和2年10月30日（金）15:37～16:13
- 2 場所 永田町合同庁舎7階特別会議室等（オンライン会議）
- 3 出席

<WG委員>

- | | | |
|----|--------|-------------------------|
| 座長 | 八田 達夫 | アジア成長研究所理事長
大阪大学名誉教授 |
| 委員 | 阿曾沼 元博 | 医療法人社団滉志会社員・理事 |
| 委員 | 中川 雅之 | 日本大学経済学部教授 |
| 委員 | 本間 正義 | 西南学院大学経済学部教授 |
| 委員 | 八代 尚宏 | 昭和女子大学グローバルビジネス学部特命教授 |

<提案者>

- | | |
|-------|---------------------|
| 足利 健淳 | 京都府商工労働観光部ものづくり振興課長 |
|-------|---------------------|

<事務局>

- | | |
|--------|-----------------|
| 眞鍋 純 | 内閣府地方創生推進事務局長 |
| 山西 雅一郎 | 内閣府地方創生推進事務局次長 |
| 佐藤 朋哉 | 内閣府地方創生推進事務局審議官 |
| 黒田 紀幸 | 内閣府地方創生推進事務局参事官 |
| 頼田 勝見 | 内閣府地方創生推進事務局参事官 |

（議事次第）

- 1 開会
- 2 議事 特区再生医療戦略コンシェルジュ制度の構築について
- 3 閉会

○黒田参事官 定刻になりましたので、国家戦略特区ワーキンググループを開催したいと思えます。

本日は、「特区再生医療戦略コンシェルジュ制度の構築について」ということで、京都府から御提案を頂いている内容となります。

資料につきましては、提案者である京都府から御提出いただいております。

資料及び議事の扱いにつきましては、双方とも公開ということでお伺いしておりますけれども、そういう形でよろしいでしょうか。

○足利課長 はい。問題ございません。

○黒田参事官 それでは、これからワーキンググループヒアリングを始めたいと思います。

それでは、八田先生、議事の進行をよろしく願います。

○八田座長 本日は、京都府からわざわざ御参加いただきましてありがとうございます。

まず、京都府の提案の御説明をお願いいたします。

○足利課長 京都府ものづくり振興課長の足利でございます。

本日は、貴重なお時間を頂きまして、ありがとうございます。

それでは、早速ですけれども、御説明を申し上げます。再生医療に係るコンシェルジュ制度の構築を御提案いたしました。

まず、医療分野に関しましては、再生医療の他に医薬品と医療機器がございますけれども、医薬品に関しましては、既に国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の開発迅速化の制度が特区で措置されておりますし、医療機器に関しましては、医薬品医療機器総合機構（PMDA）の制度が既に特区で措置されてございます。再生医療に関してだけがまだこういった制度がないという状況になっております。

一方で、私ども京都府におきましては、この間、iPS細胞の関連のベンチャーを支援しておりまして、特に再生医療に関するベンチャーが次々と立ち上がっている状態でございます。私どももこの10年近くの間、そうしたベンチャーに既に補助金をかなり導入いたしまして、育成を図っております。

具体例で一つだけ言いますと、例えば、心臓の移植は日本でも年間50件あるかないかぐらいだと聞いておりますが、非常に多くの患者がまだ待っていらっしゃるという中で、こうした心臓の臓器再生に係るような研究開発をしているベンチャー企業などがございます。このように、再生医療関係の支援をしてきているのですけれども、その中で、このようなベンチャー企業が研究段階から非臨床試験、それから、治験の段階に移ってきており、PMDAのほうにも相談をしているところです。

ところが、そこでいくつか課題がございまして、これがお手元の資料のほうにも書かせていただいておりますが「現状課題」の①、②、③でございます。

①ですけれども、再生医療に関しましては、医薬品とか医療機器と少し違いまして、一言で言うと、前工程の品質の同一性の確保の部分にかなり労力を割きます。今、前工程と言いましたけれども、逆に後行程は何かと言うと、安全性とか有効性ということになっております。再生医療の場合は、特に前工程の品質同一性にかかなり労力がかかる。

さらに、具体的にどういうことかと申しますと、例えば、人間とか動物の体から細胞を作っていくということなので、元々の素材として非常にばらつきがございます。iPS細胞から心臓とか腎臓の色々な臓器に分化させていく中で、前段階の品質に非常にばらつきがある。製造方法も非常に色々なやり方があるということが再生医療の難しい点だと認識しております。そうした前工程の段階で道をそらしてしまいますと、後工程でいくらやっても、そもそも有効性・安全性の部分で難しいということになってきますので、できるだけ前工程の段階から色々な御相談をしたいという実情がまずございます。

2点目は、PMDAの助言を伺っているのですけれども、どうしてもPMDAの制度として、対面助言は2か月前から予約しなければいけない。それから、資料の提出は5週間前までにしなければならないこととかがございまして、その2か月の間に少し研究開発を進めたときに違う方向に行っていたら、2か月後の相談で、そのやり方はこの2か月間でどうも違う方向に行ってしまうていたなというのがよくございます。その手戻りは日本のこの研究開発を進める上で非常にもったいないと思っていますし、相談自体もあまり長時間ではないので、相談する側も非常に効率的に内容を絞らなければいけないのですけれども、実は絞るまでのところで相談したいことがいっぱいあったりということで、非常に悩ましいと思っています。

3点目なのですけれども、再生医療の分野は非常に様々な要素がございまして、材料の話とか項目がたくさんございますので、当然ながらPMDAも担当が細分化されていらっしゃると思います。もちろん相談する企業側は事前に相談項目を提出差し上げるのですけれども、実際にPMDAの相談を受けたときに、この内容は実はこっちの分野だったというようなことがどうしても発生してしまうということもございますので、その場合に手戻りが生じてしまうということもございます。

今言いましたような3点の課題を挙げさせていただいていますが、それを解決する手法として、開発初期から随時、できれば同じアドバイザーの方に相談できるような体制がある方が良くと考えて提案いたしました。これによりまして、手戻りや無駄が排除できますし、再生医療に関しては、まだまだ未知の分野も正直たくさんあると思います。

実は、一昨日に公益財団法人京都大学iPS細胞研究財団の山中理事長らと一緒に、iPS細胞研究のクラウドファンディングを立ち上げたときに山中理事長がおっしゃっていましたけれども、「マラソンで言えば、まだ道の折り返し地点だ」ということをおっしゃっていました。再生医療に関しては、まだまだ未知のところがあるので、研究者側もそうですし、PMDA側にとってもまだまだ相談対応のノウハウをためていかなければいけない時期だと思いますが、こうしたアドバイザー制度、コンシェルジュ制度をもって、お互いにその辺りのノウハウをためて、日本全体として開発を前に進めていきたいと考えております。

簡単ですけれども、最初の御説明としては以上のとおりでございます。どうぞよろしくお願いいたします。

○八田座長 ありがとうございます。

委員の皆様から質問、あるいは御意見はいかがでしょうか。

阿曾沼先生、どうぞ。

○阿曾沼委員 質問なのですが、想定される技術で、例えば、レギュラトリーサイエンスの総合相談は無料で回数の制限がありませんけれども、その中で、十分な議論もした上で、PMDAは次のステップに誘導していきますよね。

戦略相談は無料ですが、対面相談になると有料になります。POCの確立から治験や上市、それぞれに知見が当然違いますよね。おっしゃっているコンシェルジュというのはスーパ

アドバイザーとして窓口を一人特定してほしいということなのですか。それとも、専門的な相談を受ける人間を特定してほしいのか、どちらの要請が強いのでしょうか。

○足利課長 できることならば、専門性を持った方で一貫して御対応いただけるとベストと思っていますけれども、もちろんそもそも専門分野が分かれているということがあって、そういう方が中々いらっしやらないということであれば、相談窓口の特定という方法もあるかと思っています。

それから、阿曾沼先生が最初に少しおっしゃられました総合相談とか事前相談については、無料で相談を受けていただけるのですが、あくまで対面助言のための前さばきと言いますか、論点整理ということでございますので、そこで様々な事柄について幅広くお聞きするということができない状況でございます。

○阿曾沼委員 もう1点よろしいでしょうか。

今、同一人のアドバイザーでコンシェルジュ制度をやると、想定としてはどの程度の短縮が図られて、その短縮が図られることによって上市する上で、どういうメリットがあるのかと想定されていらっしやいますか。

○足利課長 短縮がどれぐらいになるかというところは、具体的に数字で想定までは正直できておりませんが、今まで1回の相談につき、前回の相談が書面で残っていると言うものの、1回1回で担当者が替わっていく度にこれまでの経過を御説明したりということをしてしまうと、1回当たりの相談で3分の1、あるいは半分ぐらいは前回のおさらいの共有化、共通認識化に時間がかかりますので、相談時間の半分ぐらいがロスをしてしまっているということもお聞きします。そういうことから言いますと、全体の半分になるとは言いませんけれども、かなりの割合で短縮されるのではないかと期待しております。

それから、効果に関しましては、心臓の移植に関しましても、まだまだ多くの方が待っていてらっしゃるということをお聞きしています。そうした中で、iPS細胞を使った再生医療の研究開発はまだまだ時間もお金もかかる状況ですので、少しでも早く解決して、多くの患者に届けるというところに辿り着きたいと思っています。

○阿曾沼委員 また後で気が付いたことがあったら、また質問させていただきますが、とりあえずはこれで結構です。

○八田座長 他の委員の方はいかがでしょうか。

中川委員、どうぞ。

○中川委員 御質問なのですけれども、今、阿曾沼先生が御質問されたことを受ける形で、担当のコンシェルジュをPMDAの中に設けて、できたら専門的な知見を持った人がいいと。そういうスーパーマン的な人を一人設けるということについては、PMDA側にそれなりのコストが発生すると思います。そういうスーパーマンみたいな人だけではなくて、何らかの窓口として伴走してくれるような方でも結構だということですが、それはやはりPMDA側の人材を再生医療に張りつけるということになりますので、通常の規制緩和だけではなくて、PMDA側にそれなりのコストが発生するような提案に多分なっていると思うのです。

その場合に、一つの言い方としては、再生医療は通常のPMDAのプロセスに乗せている他のものよりも日本にとって非常に大切なものだからという説明の仕方はあるように思いますが、政治判断とか、それが特に重要だということの説明するのが結構大変だという懸念もあります。

そういう意味で、これは京都府のほうで人材を用意するわけではないので、例えば、PMDA側で用意する人材の負担の増加、あるいはコストの負担分について、特区側として何らかのその負担をすとか支援をすとか、何かそういう御用意はおありなのでしょうかとという質問でございます。

○足利課長 まず、私どもの考えとして、今、中川先生がおっしゃったように、PMDAのほうの負担もかかるだろうと認識しております、これまでの医薬品や医療機器では、基本的には無料ですが、今回の提案に関しては、無料ということを経済的要素だとは思っておりません、例えばですけれども、ユーザーが料金を払うことで、PMDAが負担を回収されるということもあるでしょうし、場合によっては色々な新制度を使って、費用負担を軽減するというところもあるのかもしれないと思っておりますが、目的は費用負担を小さくするというところではなくて、早く開発が進むように、そういう仕組みをお願いしたいということでございますので、費用の部分は色々なパターンを御相談できたらいいかなと思っております。

○中川委員 分かりました。ありがとうございます。

○八田座長 他にございませんか。

本間先生、どうぞ。

○本間委員 今回の御質問に関連するのですが、医療機器のほうではこれが既に存在している。料金のところは対応として色々なシナリオ、あるいはメニューを考えることができるということですが、そうすると、医療機器では実行されているのに、再生医療については厚生労働省がうんと言わない、その理由はどのようにお考えでしょうか。

○足利課長 まず、再生医療に関しては、こういったコンシェルジュ制度が今はありませんので、厚生労働省が予算がない中での費用負担の話が出ていたのではないかなと思うのですけれども、むしろ医療機器と医薬品の部分が無料になっているというのは、ユーザーに近い我々からすると、素晴らしい制度だと思いますので、再生医療でもこのような制度ができれば、ユーザー側としては非常に理想的ですけれども、一方で、PMDAの負担増につながることも国民感情としても分かりますので、そこは私どもとしては、費用負担の部分は無料にこだわっているわけではございません。

○本間委員 多分これは厚生労働省に直接聞いたほうが良いとは思いますが、要するに、他に何がネックになっているのかということはどう分析されているのですか。

○足利課長 まず、そもそも医薬品、医療機器、再生医療の三つの言葉がございすけれども、この言葉は薬機法という医薬品・医療機器関係の認証制度を司る法律がございまして、そこに定義されている言葉です。その法律が平成25年に改正されまして、従来は医薬

品と医療機器でしたが、近年、御承知のとおり、iPS細胞も開発され、再生医療が脚光を浴びてきたので、平成25年度から再生医療分野が新しくカテゴリーとして出来ました。ですので、厚生労働省が拒否しているというよりも、従来からあった医薬品と医療機器が先行し、新しく出来た再生医療が取り残されている状態になっているということかと理解しております。

○本間委員 ありがとうございます。

○八田座長 他にございますか。

阿曾沼委員、どうぞ。

○阿曾沼委員 今、再生医療が取り残されているという判断、色々な御判断があるのだろうと思いますが、再生医療そのもののルールは、安全性が担保され、有効性が推定されていけば早期に承認をするというスキームで、通常の医療機器、医薬品に比べれば、当然短納期で上市できるというルールができていますと理解しています。それをうまく活用することが重要だということなのですが、それを利用する上で、同じアドバイザーがいないと、開発が長期化するということがどうも結び付かないのです。

対面助言は2か月前に予約というのは、当然色々な案件スケジュールを調整する、専門家を探す、それから、専門委員に対して事前に資料をチェックしてもらって、相談を円滑に進めるために、この期間が設定されていると思うのですが、この期間そのものが十分に活用できていないのでしょうか。また、担当者が替わることによって、例えば、相談時間の30分が10分になってしまうということなのでしょう。例えば、この30分を1時間にするとそれが解決できるのですかという運用の問題なのか、制度の問題なのかというところがよく理解できない部分もあります。関係部署と話していく上で、もう少しピンポイントで何か課題が整理できるといいなと思います。その辺はいかがでしょうか。

○足利課長 まず、1点目の条件・期限付承認制度のことなのですが、私どもの資料で言いますと、①の製造工程での確認が必要というところを改めてもう少し御説明したいと思います。

再生医療を前工程と後工程に分けて御説明しますと、先ほど阿曾沼先生がおっしゃっていただいた部分は、後工程の部分だと認識しております。すなわち、安全性と有効性の確認です。まず、安全性がしっかりと担保された上で、有効性が推定できるならば、条件付承認が行われるようになります。

一方で、再生医療に関しましては、前工程の部分が重要なネックとなっております。人間や動物の体から取ってきてiPS細胞を作りますので、材料そのものに非常にばらつきがあったり、細胞をどう組み合わせていくのか、分化させていくのかという部分で様々な手法があります。前工程のところで、しっかりと相談ができればいいのですけれども、そこでしっかりとした相談ができていないままに後工程に行ってしまうと、前工程をまた一からとなり、非常に大きなロスがあると考えております。それが1点目のお話だと思っています。

2点目の、例えば、1回当たりの相談時間を倍にしたらいいということについて、確かにそうなのですけれども、まず、料金設定が決められておまして、例えば、大企業ですと1回150万円超という設定があるので、それを倍にすると、おそらく150万円が300万円超になるということになると思いますので、これは私どもがどうこう言えるというよりも、PMDA自身のルールですので、それが良い悪いということでは無いのですけれども、そういったルールが既にあるということでございます。

以上です。

○阿曾沼委員 ありがとうございます。

○八田座長 他にございませんか。

それでは、私から質問させていただきます。阿曾沼先生のお話とも関係しているのですが、例えば、対面助言は2か月前で、これを短縮するにはどうしたらいいのかというと、第1は、順番待ちをスキップしてもらおうというために特急料金を払ってやってもらう。第2は、対面助言もオンラインでやるということにすると、時間の調整なんかも楽かもしれない。第3に、5週間前に資料提出という期限の短縮です。向こうが読んで検討するのに時間がかかるのか、ひょっとしたらこれも読むのに順番待ちなのかもしれない。これも特急料金でかなり解決し得る話ではないかと思うのです。ところで、その辺のこんなに時間がかかることの根拠はどのようにお考えですか。

○足利課長 すみません。正直なところ、その根拠まではつかみ切れておりません。

○八田座長 そうすると、やはりPMDAも人手不足で、行列があって、順番はこれだけ時間がかかるという可能性もありますよね。それを今度のワーキンググループで伺ってみたいと思います。それが1点です。

それから、前工程でかかる時間は、大体どのぐらいかかるものなのですか。他では前工程でそんなに手間がかからないわけですから、前工程でかかるところでさっきのような順番待ちが特にあるようにも思えないのです。もし、ここに時間がかかるとしたら、元々再生医療をなさる方が非常に少ないから、時間がかかってしまうのかもしれない。そうなると、これはまた他の問題のような気がします。時間がかかっている原因はどのようなことなのでしょう。

○足利課長 PMDAには、どの工程でも同じように対応していただけているのですけれども、この前工程の話はPMDA側の話というよりも、開発者側の問題でございまして、この段階で非常に悩みが多い。作り方、振れ幅が非常に大きくなりますので、前工程の時点で本当はかなりしっかりと相談をしておきたいという企業側の事情があります。そこで伴走支援と言いますか、しっかりとしたアドバイスを受けることができればという希望でございます。

○八田座長 なるほど。

そうしますと、先ほど阿曾沼先生がおっしゃったように、全ての過程で習熟した人を見つけるのは難しいわけだけども、その場合に前工程の人は特に治験に詳しい人なのか、非臨床実験なのか、要するに後工程のどこの段階に詳しい人に最初から伴走してもらいた

いと特に思うのか。そういうところも特定されていると、厚生労働省に伺うにはいいのではないかと思うのですけれども。

○足利課長 確かにそこは非常に悩ましいところでして、例えば、材料というか、その辺りを開発している中でも、後工程のこれがどのように有効性とか安全性につながるのかという視点もありますし、一方で、材料の部分に詳しいという視点もあろうかと思いたすので、誰か特定の専門家の方がオールラウンドにというよりは、窓口を一本化して、最も支援を必要とする前工程で特定の専門家に伴走いただくほうがいいのかもしれないと、先生たちの御指摘を聞きながら我々も思ったところがございます。

○八田座長 では、窓口が一本で、関係しそうな人たちを集めて相談に乗ってもらおうという感じですか。

○足利課長 そうですね。そういう手もあるかと思いたす。

○八田座長 全ては時間が大切なわけけれども、その分お金はかかるから、お金のほうは取れるような仕組みをちゃんと作ってくればいいということですね。

○足利課長 そうですね。

○阿曾沼委員 再生医療の勝負は培養プロセスの品質と安全性の管理がきちんとしていることですが、標準手順書、POCの確立が重要だと思います。細胞種によってどういうPOCを作ったらいいかというのは専門的な助言が必要だということもよく分かります。

さらに、無菌検査をどうしていくかとか、培地をどう使うかとか、材料をどういう環境の中でどう取っていくかというところの総合的なものは、専門家が必要だと思いますが、現実はそのではないという認識なのではないでしょうか。

○足利課長 そうですね。その部分で今まで企業が苦勞してしまして、我々京都府にいるベンチャー企業でも数年かけてその前工程の辺りがようやく終わりますという感じで進んでいます。

○阿曾沼委員 ということは、今のお話で行けば、①、②、③の中の重要性の最大のポイントは、重要度としては①のところになるのですか。

○足利課長 そうですね。おっしゃるとおり①が一番ポイントだと思っております。

○阿曾沼委員 なるほど。分かりました。

○八田座長 それでは、他に委員の方で御質問とか御意見はございますか。

ないようでしたら、事務局から何かありますか。

○頼田参事官 本提案については、一度厚生労働省に事務的に書面で検討要請を行ってござりまして、先ほどの御質問の一つお答えすると、厚生労働省としては、PMDAの承認審査の活動自体が、基本的には承認申請をする企業から徴収した手数料で成り立っているの、そのリソースを特区に偏らせることは不公平だというのが一番のポイントです。

今日京都府からお伺いしたお話、それから、先生方の御意見も含めて、至急厚生労働省と事務的に打ち合わせた上で、ワーキンググループで今度は厚生労働省の見解をお聞きいただければと思っております。

よろしく願いいたします。

○八田座長 そうすると、一つは、特急料金みたいなことは可能かどうか。それから、第1工程で色々な分野の専門家に相談に乗ってもらえることができるだろうかということが大きかったと思いますが、他に何かポイントはありましたか。それが二つの大きなポイントですか。

○頼田参事官 そうですね。料金設定と、一番大事なところは①ですということです。

○八田座長 では、そういうことで、まず、厚生労働省に事務的に当たってもらいまして、その後にワーキンググループを開催したいと思います。

今日はお忙しいところ、御参集いただきまして、どうもありがとうございました。