

再生医療実用化シンポジウム 2025 —実用化へのKey Success Factor—

(11/26 15時～18時 開催)

最終報告書

京都大学



KYOTO UNIVERSITY



シンポジウム開催概要・ 参加状況・プログラムなど

開催概要・参加状況

【名称】 再生医療実用化シンポジウム 2025 —実用化へのKey Success Factor—

【日時】 2025年11月26日（水） 15:00～18:00

【会場】 Zoomウェビナー

【申込】 **965名**（重複申し込みは1名とカウント）

【参加】 **709名**（重複入室は1名とカウント）

- ・前半は500～600名程度の参加者で推移し、17時前から徐々に減り300名台の参加者となった
- ・別途、見逃し配信（2025/12/8～12/25）を実施し150名弱の視聴があった

再生医療実用化シンポジウム 2025

— 実用化へのKey Success Factor —

15:00 ▶ 15:05 開会挨拶
妹尾 浩(京都大学医学部附属病院)

15:05 ▶ 15:10 オープニングスピーチ
「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム
(再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題)について」
都築 博彦(日本医療研究開発機構[AMED])

第一部 細胞・遺伝子治療の実用化戦略

15:10 ▶ 15:15 A 規制・社会実装支援課題
「規制・社会実装支援課題と支援事務局会議の活動について」
永井 純正(京都大学医学部附属病院)

15:15 ▶ 15:35 A 規制・社会実装支援課題
「再生・細胞医療・遺伝子治療の研究開発動向と
アカデミアシス事業化に向けた学び」
神田 浩聡(アーサー・ディ・リトル・ジャパン株式会社)

15:35 ▶ 15:45 B-1 事業化戦略支援課題
「出口戦略を見据えた基礎応用研究課題の支援について」
河知 あすか(国立がん研究センター東病院)

15:45 ▶ 15:55 B-2 事業化戦略支援課題
「特許情報ランドスケープ調査、国内企業の開発調査等について」
長村 文孝(東京大学医科学研究所)

15:55 ▶ 16:15 B-3 事業化戦略支援課題
「大阪大学 × Azabu Insights:
なぜ「国際的アプローチ」なのか!?
なぜ「ビジネス・ファースト」なのか!?」
ニール ローゼンブラット(ASMC株式会社)

16:15 ▶ 16:25 C 倫理・社会共創課題
「倫理・社会共創課題の支援状況と調査研究」
松山 琴音(国立成育医療研究センター)

第二部 実用化への登竜門：製造

16:35 ▶ 16:55 製造タスクフォース
「製造に関するステップアップリストを活用した
アカデミアシスのCDMOへの技術移管について」
山元 崇(FIRM[再生医療イノベーションフォーラム]
帝人株式会社)

16:55 ▶ 17:05 D-1 / D-2 試験製造支援課題
(D-1 細胞、D-2 ベクター)
「遺伝子細胞治療用製造における支援需要と
CDMO体制調査について —医療実装に向けて—」
長村 登紀子(東京大学医科学研究所附属病院)

17:05 ▶ 17:15 D-2 試験製造支援課題(ベクター)
E-1 ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題
「AAVベクターを中心とした学術研究支援型製造体制の構築」
岡田 尚巳(東京大学医科学研究所)

17:15 ▶ 17:25 E-2 ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題
「動き出すアカデミア ウイルスベクター製造拠点の利活用」
岡崎 利彦(大阪大学医学部附属病院)

第三部 実用化に向けた課題と取り組み

17:25 ▶ 17:55 パネルディスカッション
モデレーター … 森尾 友宏(東京科学大学・
プログラムスーパーバイザー)
永井 純正(京都大学医学部附属病院)
パネリスト …… 全発表者

17:55 ▶ 18:00 閉会挨拶
森尾 友宏(東京科学大学・
プログラムスーパーバイザー)

日本医療研究開発機構（AMED）の「再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題」では、再生医療の実現を目指す世界を先導できる優れた研究を、規制・事業化・倫理・製造等の観点から支援しています。

（支援課題の紹介URL）

<https://www.saisei-support.site/issues>

本シンポジウムは広く研究者や関連ステークホルダーを対象に、各支援拠点による実用化を見据えた調査研究やプラットフォーム構築等の成果の報告、産学官連携の製造タスクフォースによる製造の円滑化に向けた取り組みの紹介、さらにパネルディスカッションによる再生医療の今後の発展に向けた課題の洗い出しと周知を目的として開催しました。

（ステップアップリストURL）

<https://www.saisei-support.site/outcome/155>

主催：再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

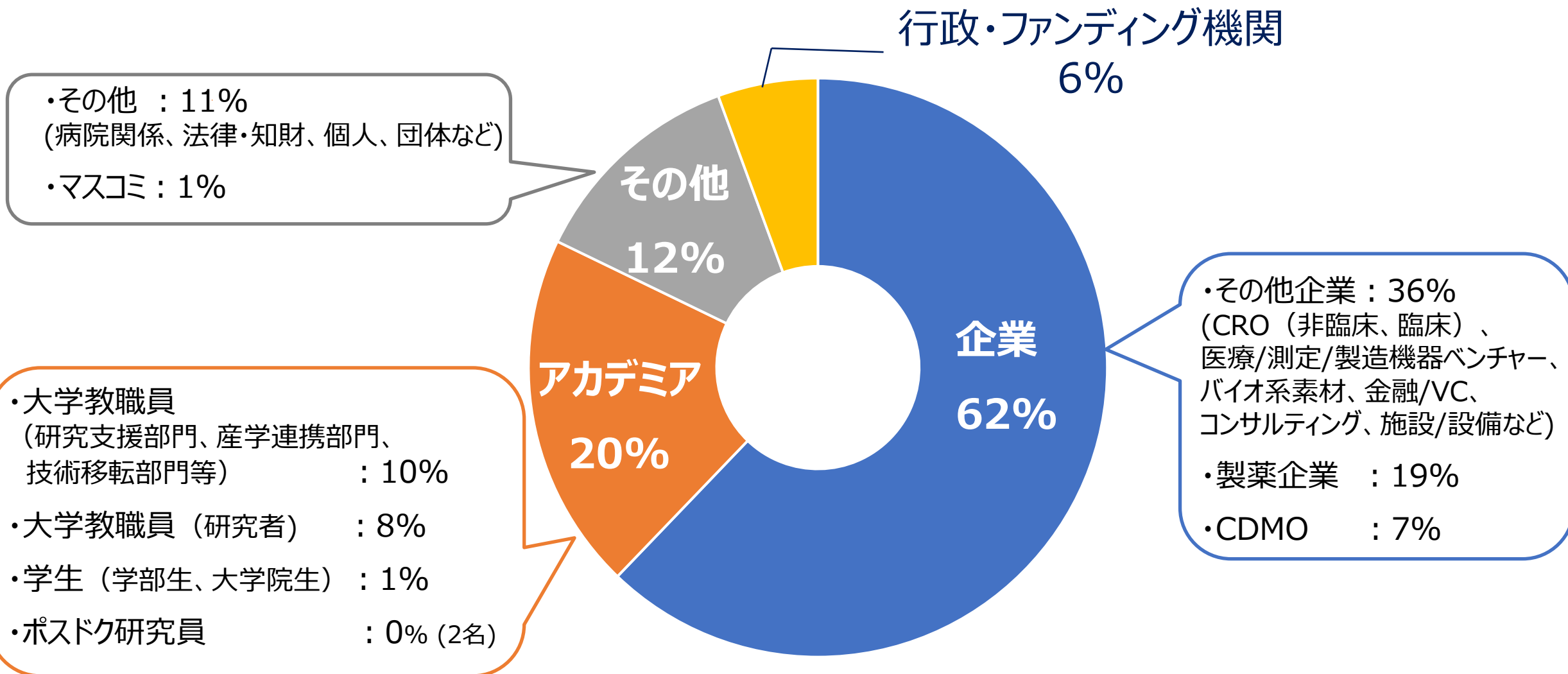
規制・社会実装支援課題（京都大学）

協賛：国立研究開発法人 日本医療研究開発機構（AMED）

運営：京都大学医学部附属病院 先端医療研究開発機構（iACT）

申込者の属性

申込者：965名



パネルディスカッション要約

1. アカデミア研究と実用化の間のギャップ

研究と事業の視点の相違：研究者は技術起点で疾患選択しがちだが、製薬企業への導出を見据えた事業性に繋がる差別化・疾患選定が不可欠

研究者の意識改革：実用化を目指すのであれば、基礎研究の段階から医療実装のゴールを設定することが重要

そのため、早期にCDMOや専門家と連携するための体制整備や研究者への教育も必要

フェーズ1試験の重要性：初期段階から資金調達と開発を両立させ、臨床POCと安全性を証明する臨床試験設計が求められる

2. 製造コストの壁と低コスト化への工夫

高コストとなる要因：本分野のモダリティの特性として試薬・消耗品・設備及び各工程費用が高額である。影響の大きい製造工程の最適化は重要

基盤整備と国産化：国内のGMP製造キャパシティ不足を解消するため、共同利用型施設の整備や製造プラットフォーム確立等による国産化が重要

ライセンス・規制対応の工夫：初期フェーズでの費用低減（後期フェーズに進むにつれて増額）や、PMDAとの早期相談による再試験の削減が有効

研究者による工夫：今できる範囲から進めていくことが現実的で、GMP製造を視野に入れた試験製造は可能なところから取り組むべき

3. 希少疾患におけるジレンマ

安全性評価の難しさ：症例が少ない中で臨床試験を促進するには、安全性情報の共有やガイドライン作成、国レベルでの管理体制構築が望まれる

社会的支援の必要性：企業による参入が難しい超希少疾患には、社会的な支援枠組みが必要

技術と事業性の両立：ゲノム編集(CRISPR/Cas9等)は技術的に希少疾患と相性が良いが、市場規模が小さい場合のライセンス料や、番手が遅れた場合の差し止め請求のリスクはある。突出したプラットフォーム技術は高い展開力に繋がる

4. 今後の実用化支援の方向性

製造ノウハウの蓄積：CDMOとの交渉のため研究者・スタートアップ側も製造プロセスに精通し、企業導出時はノウハウをパッケージ化して繋ぐことが理想

伴走型支援の強化：AMED等の支援を通じ、アクセラレータープログラムやネットワーキング等によるエコシステム形成を加速させたい

事後アンケート集計報告

事後アンケート質問事項

1. ご回答者さまについて

あなたのご所属として最も当てはまるものをご選択ください（必須）

- ☐ 大学教職員（研究者） ☐ 大学教職員（その他：研究支援部門、産学連携部門、技術移転部門等）
☐ 行政・ファンディング機関 ☐ 製薬企業 ☐ マスコミ ☐ CDMO ☐ その他企業
☐ 学生（学部生、大学院生） ☐ ポスドク研究員 ☐ その他

2. 再生・細胞医療・遺伝子治療全般について

再生・細胞医療・遺伝子治療全般に関して、課題と感じていることやコメントがあれば、今後の施策の参考にしますのでご記入ください（任意・自由記述）

3. 本シンポジウムの内容について

3-1. 本シンポジウム内容の総合的な満足度はいかがでしたか？（必須）

- ☐ 満足 ☐ やや満足 ☐ どちらともいえない ☐ やや不満 ☐ 不満

3-2. そのように思われた理由を可能な範囲で詳しくご記入ください（任意・自由記述）

3-3. 本シンポジウムの個々の演題において、参考になった・良かったと感じた演題を以下よりご選択ください

- ☐ AMED～パネルディスカッションの全演題名を列挙して選択（複数選択可・必須）

事後アンケート質問事項 続き

3-4. そのように思われた理由や個々の演題に対するコメント・参考になった点・良かった点・改善してほしい点など、自由にご記入ください（任意・自由記述）

3-5. このような再生医療シンポジウムがあれば、また参加したいと思いますか？（必須）

☐思う ☐やや思う ☐どちらともいえない ☐やや思わない ☐思わない

3-6. 3-5.で「思う」「やや思う」と回答された方で、取り上げて欲しいトピックがございましたらご記入ください（任意・自由記述）

4. 本シンポジウムの運営について

本シンポジウムの運営（案内、進行、資料等サービス全般）について、ご意見・ご要望等ございましたらご記入ください（任意・自由記述）

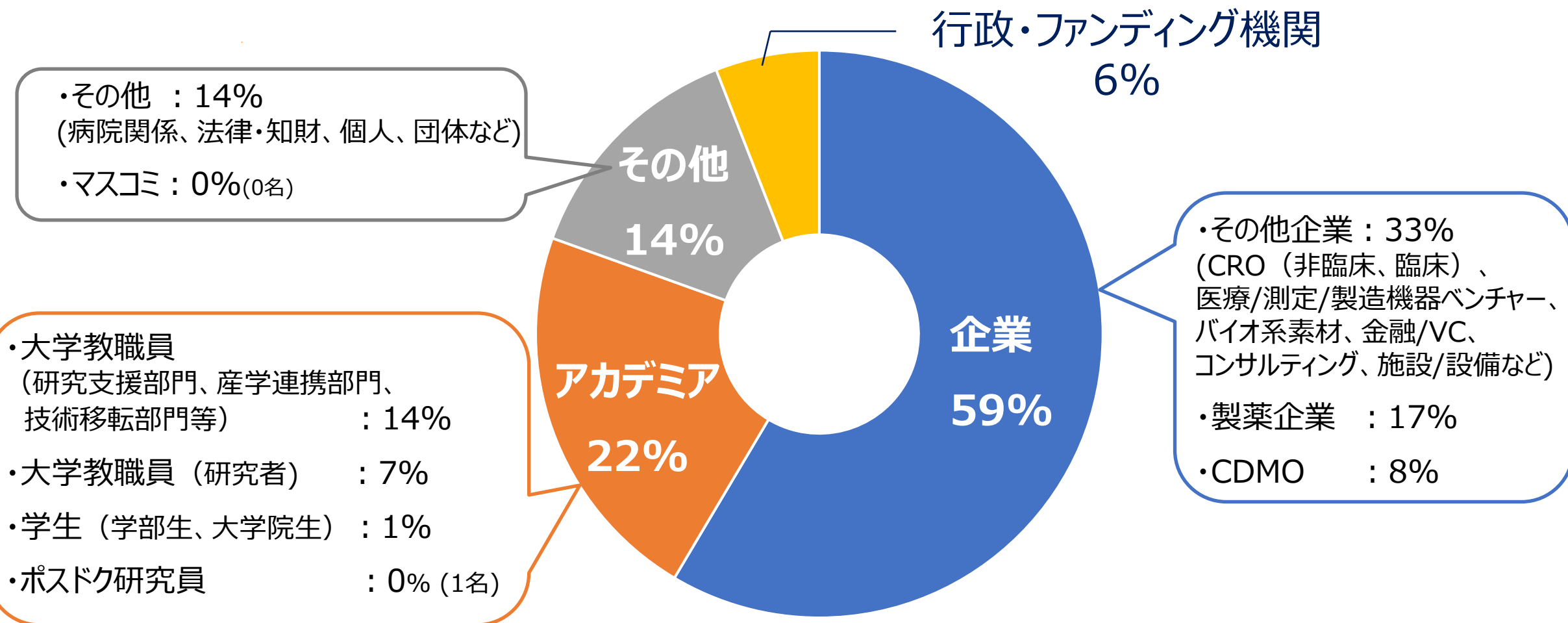
自由記述の分析について

自由記述の回答において、生成AI（Gemini 3 Pro）を使用してキーワードの抽出および構造化を行った。抽出されたキーワードは、事務局が回答原文と照合し、文言の修正・精査を行った。

質問1. 回答者の属性

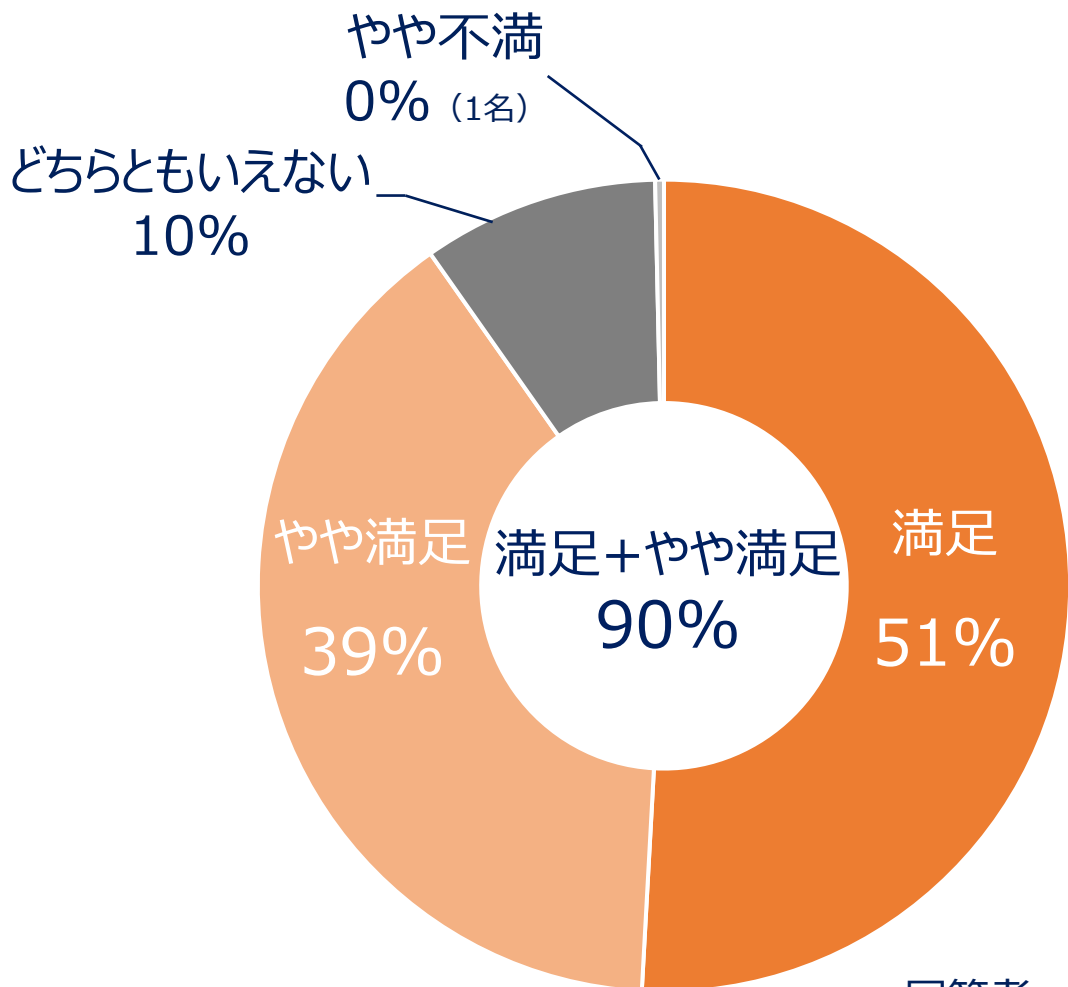
アンケート回答者：289名

アンケート回答率：40.8 % (289名/709名)

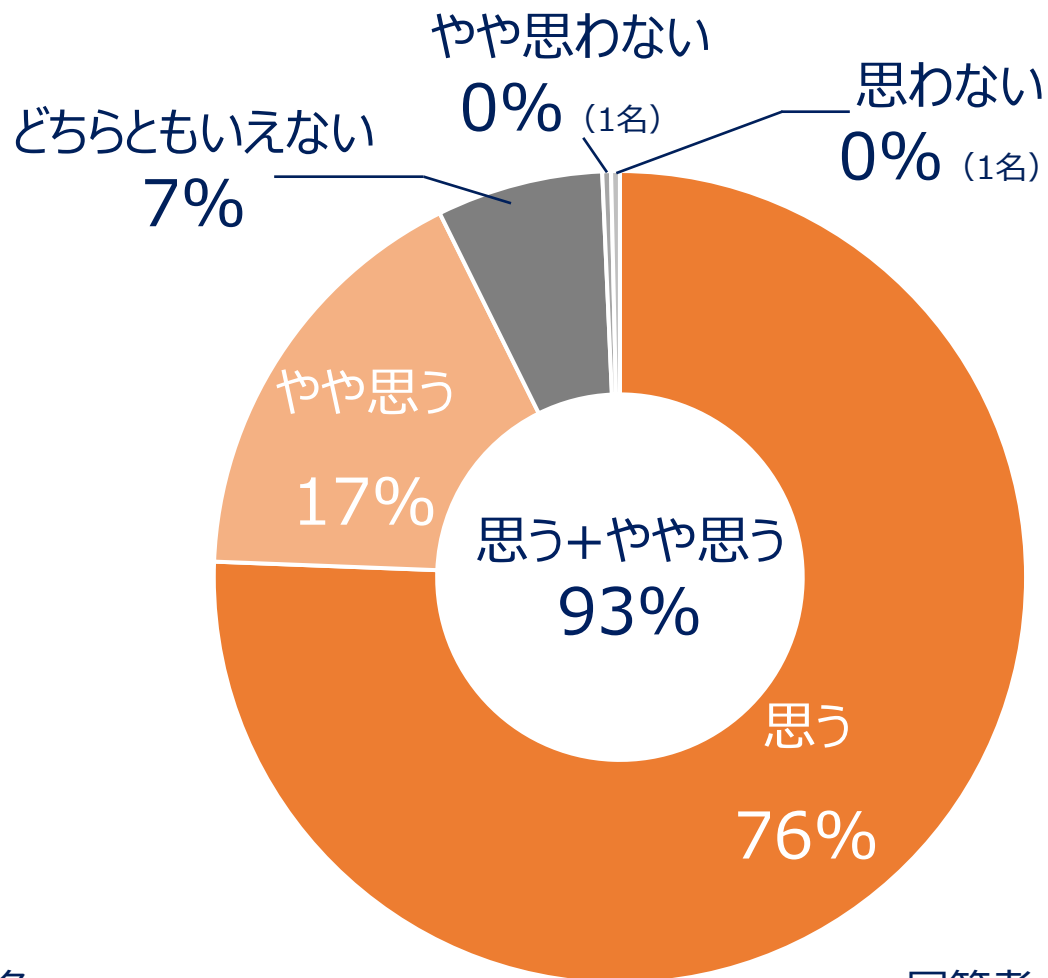


質問3-1. 3-5. 満足度

＜3-1 全体的な満足度＞



＜3-5 このようなシンポジウムにまた参加したいか＞



質問2. 再生・細胞医療・遺伝子治療全般に関して、 課題と感じていること・コメント（回答数83件）

AIによるキーワード抽出（スライド14～20に抜粋した回答を掲載）

1. コスト・事業性・資金調達

製造・開発コストの高さ

資金調達の困難さ

市場性と希少疾患のジレンマ

2. 製造・技術（CMC）・アカデミアとCDMO連携

初期段階でのCMC（製造管理・品質管理）の弱さ

認識やノウハウの溝などアカデミアと産業界のギャップ

国内産業・エコシステムの空洞化懸念

3. 規制・制度・国際競争力

臨床試験・承認プロセスの課題

国際競争力の低下

支援体制の偏り

4. 人材・意識

事業化視点の不足

製造・品質管理の人材不足

大学教職員（研究者、ポスドク研究員）

- どの開発ステージでCDMOと共同作業を始めるか、また不十分な状態で相談して多くの相談料、実験費用が発生するか不明。出費費用を抑えるために相談に乗れないのが現状。
- 海外で急速に進んでいる先進医療が日本では足踏み状態であることに強い危機感を感じる。
- 早くもっと前例を作る。
- 法的な整備、プラットフォーム化して非臨床安全性など全て0から積み上げないでも出来るようになったら良いと思う
- 支援する新たなモダリティを理解するための背景となる学習を製造を受けるCDMO側もすべきなので、技術教育だけでなく、基礎知識として必要な教育ができる場が欲しい。特に製造においてプラットフォームの確立のために技術支援をしてくれる基礎研究者との協働を促すHUB組織が欲しい
- 再生医療ベンチャーからアカデミアに移籍して細胞製品の開発に携わっています。研究室での製法開発でできることは限られているのでできるだけ早期にCDMOに委託したいところではありますが、予算を考えるとアカデミアでは困難と感じています。基礎と応用の橋渡しとなるような支援（費用や人的サポート）がもう少し手厚くなると有難いです。
- 材料やプロセスの変更に対して、機能面で同等性を示すことで、すべての試験をやり直すことなく変更が可能になるとよい。細胞製造に関しても、ヒトが細胞を作る世界が許容されているのに対して、自動化に対する規制が厳しすぎるように感じている。
- AMED支援を受けていても、CDMOへの費用がかかりすぎて十分にまかなえないこと、また、予算執行が年度を繰り越せないという条件が、製造スケジュールと合わず、医師主導治験のスケジュールに影響がでる等の課題があります。CDMOの現状周知と合わせて予算の増額・柔軟な執行の承認を願っています。
- 今日のディスカッションでもポイントされていましたが、基礎研究者の医療実装への意気込みの有無は課題と思いました。

大学教職員（その他：研究支援部門、産学連携部門、技術移転部門等）

- POC試験の製造が課題
- 安定した品質の確保、製造に要する時間とコスト
- 開発早期の製造は公的な研究費のみで進められる程度に安価にできることが望ましく、多くのシーズをすくい上げられ、ひいては成果を増やし日本のプレゼンスを向上させるためにも重要と考えます。そのようなコストダウンをCDMOに望むことは難しいため、AROで構築できればと思っています。ただそのために利用できるグラントを拡大してほしいと思います。
- 国内でプラットフォームが形成されていない点が課題であると感じております。
- 研究段階から社会実装に至るまでに、さまざまな要素で隘路がたくさんあること、その隘路がなかなか見えにくいこと。
- 実用化には幾多の困難を乗り越えないといけないので、研究の素養を持ちつつも一攫千金を狙ってプロジェクトをぐいぐい引っ張っていく様な人材育成とそういう人が活躍できるしくみ構築が鍵を握るのではないかと思います。
- 品質、費用
- 次世代のモダリティとして、次世代核酸（RMAやワクチン、Exosome,LMP他）と同様に、今後の創薬の主流となることは間違いないし、iPS研究や、幹細胞研究、CAR-T、遺伝子編集、加工iPS細胞の製品化等次世代の医療をけん引する大変高いポテンシャルにある。大変きたいし、関心を寄せているし、その支援も重点を置いているところ。
- やはり、再生・細胞医療・遺伝子治療のCMC関連が弱い。
- 開発費用が高額であることを前提に、治療対象とする疾患が希少疾患なのかそれ以外なのか、言い方を替えるとマーケットが小さいか大きいことによって、社会実装を実現するまでの道筋を分けて考えるべきではないかと考えます。投資家等のリスクマネーを得るには、マーケットが重視されるのは当然のことです。しかしながら、それだけでは希少疾患の患者さんやご家族には有効な治療法が届けられないのではないかと危惧します。社会実装＝採算性のある事業という構図、それ一択の現状は課題と思います。医療機関が主体となって、細胞治療や遺伝子治療を提供できる仕組みが、特に希少疾患に対しては必要ではないかと思っています。

製薬企業

- 製造コスト 細胞治療・遺伝子治療に対する投資家の過剰な懸念（資金調達が困難）
- 製造コスト、輸送コスト、管理費等がかさむが、疾患により償還価格が低いなど保険制度の限界がある。安確法下で野放しにされたモダリティは何かしらの事故によりイメージが悪くなるなど
- 個別課題として解決すべきことが多いが、実用化に対する課題が十分に整理されておらず、産官学の関係者でも対応が混沌としているように感じる。とくに技術開発や事業化の視点は重要ではあるが、難病に苦しむ患者さんに新たな医療を届けることが重要なので、その視点も加味して議論してもらいたいと感じた。
- アカデミアシーズから実用化の段階で、早期にCDMOに関与いただく重要性は理解できるが、この段階での資金調達は非常に難しい。研究者も企業もこれで行けるだろうと思っていてもCDMO移管はやはりリスクが伴う。溝が埋められない。
- 製造に関してなぜそんなにコストがかかるのか、というご質問が印象的でした。製造方法が定まり、規制当局の指針も明確で、分析項目や安定性評価方法が概ね固定されている既存モダリティと比較して、高コストの材料を使い手探りで様々なことを試さないといけない細胞遺伝子治療製品のハードルの高さについて目線合わせを行うことの大切さを感じました。産官学が協力して取り組むことの重要性をあらためて認識しました。
- スタートアップ企業発での再生医療の開発に関しても、開発後期、IPO、Later stageに進んだとしても資金獲得が難しく、苦慮するケースが多いと感じる。開発後期に関しても充実した支援体制が望まれる。臨床試験が補助金対象になっていても実質では非臨床試験やCDMOなどの設備投資が対象に偏っており、経産省テリトリーであっても開発後期の部分的な支援に偏っていることが大きな課題であると感じている。
- 日本におけるアカデミア発のCandidateの産業化の困難さ
- 高価な製造コスト 細胞製品の品質保証と安定的供給 非臨床試験の組み方 長期安全性担保におけるRWDの活用方法
- 今回、開発ステージに関する講演でしたが、再生医療は患者負担も医療経済へのインパクトも大きいので、これらに対する国あるいはグローバルとしての対策が必要と考えます。医療はグローバルで取り組むべき領域ながら、国は国単位でしか支援を考えない点に大いなるギャップを感じます。
- 今は投資環境としては厳しいが、今後必ず必要とされるモダリティと考えます。

製薬企業（続き）

- 原材料費についてはコストダウンの取り組みは今後もなされていくと思いますがもちろん限界がありますし、コストの大部分を占める人件費，製造設備・機器の維持管理費，品質管理・保証に係る試験費はむしろ増大していくのではないのでしょうか。コストがかかりすぎる側面から現行の保険制度下での社会実装はハードルが高いでしょうし，その辺りの枠組みも含めた議論が必要かと思います。
- 高騰する薬価 保険診療として認可されない限り人々に行き渡らない現実課題を感じます。
- 再生医療等製品のCTDモックアップがあるとありがたいです。

CDMO

- CGT領域において良いものを堅牢な製法で製造するにはコストがかかることについて製薬企業も含め認識が甘いと感じており、この点については問題提起、社会的な教育が必要ではないかと思います。ぜひ安価な中国CDMOなどに安易に流れないように、あるいはAMED関連シーズなど税金の補助を受けているものについては国内CDMOを活用するためのインセンティブ設計を官に検討いただけるような働きかけをお願いします。そうでないと国内産業としてバイオ製造が空洞化してしまいます。
- アカデミアの先生方と受託製造の話をするが、AMED補助金のみで遺伝子治療用ベクター製造や動物実験まで対応する必要があり、資金不足となっているケースが多い。もっと開発品への資金的なサポートを実施していただき、国産の開発品が活発になるような仕組み構築を早急に対応するべきと考える。
- 大学の先生が考えるシーズの価値と市場性から考える価値の違いから生じる摩擦
- 同一のものを作製することが困難であり、製造にコストがかかる。
- 高額な試薬・資材が高額な臨床検体製造費用に寄与しているのは事実かと思います。初期開発用と商用開発用とで費用を差別化するように企業努力を促していくという岡崎先生のアイデアは納得感がありました。

その他企業

- 研究開発・製造向けの分析機器原理を開発しております。支援機器類のシンポジウムが増えると市場の投資意欲が高まると思います。結果的に、コスト的にも良い再生医療等製品に繋がると思います。
- アカデミアシーズの技術移管、トランスレーショナルリサーチの重要性
- 安確法、グローバル展開
- 製造工程管理の点についてまだ課題が多いと感じています。これらの市場性はどうか、調査結果があれば公表してほしいです。
- アカデミアと企業との橋渡し 収益性の確保 製造・品質管理人財の育成 国家的政策と支援
- 製造についての課題
- 製造コスト と 製造技術
- 培地開発企業に属していますが、CDMOにも相談に行かれていない研究者が、培養に課題がありながらも既に非臨床に進んでいて培地を変えることが出来ないと言われるケースが多いです。 今回のセミナーで各先生が述べられていましたように、製造プロセス開発の重要性や、早期に検討しなければならないことを啓発する必要があります。
- 解決すべき課題が多く、製品化、実用化が難しい 日本に良いシーズがあるという話は聞か、資金力がないためか、市場のニーズにマッチしないからか、全体的な成長の兆しが見えない
- 安全性に関し、本当にどこまで担保しなければならないのかの判断が難しいと感じています
- 開発初期に製造方法を確立しておくことが課題だと感じています。
- 薬事審議の迅速化をしないと国際競争力が失われる。
- 特に遺伝子治療に関しては希少疾患が対象となることが多く、患者数が少ないため企業にとって開発のハードルが高い。「遺伝子組換え」に対する国民の不安を和らげるよう、正しい情報発信が重要。

その他企業（続き）

- 基礎・応用ともiPS細胞に偏っているという印象。 再生医療・細胞治療・遺伝子治療はコストが高く、コストを下げるのは現実問題として非常に難しいのではないかと。 コストが高止まりする場合、そのコストを負担し、利益を出すことができるのか懐疑的。 長年言われ続けている課題はそう簡単に解決できないのは、結局どうしてなのかと。
- 安全性・有効性の確保と、コスト削減のバランスに関して興味があります。
- 製造変更が求められるが、同等性の証明が難しいこと。
- 治験薬のsmall scale製造が日本でできる場所がないこと。またその費用が高いこと。
- 規制
- 再生医療に関し、日本は論文は多いのですが、コストの問題もあり、実用化に壁があるということを改めて痛感しました。
- 非臨床試験（特に安全性試験）について、製品ごとに試験デザインが異なってくることが多いが、規制当局の考え方の変化について、情報発信をお願いしたい。
- 使用される理化学機器は海外性が多いのが現状ですが、日本がリードしているiPS細胞製品分野では、日本製の機器、消耗品の共同開発を活性化させる仕組みが必要だと思っています。
- これまで治療法がなかった疾病の有効な治療法ができてくるのは良いことだとは思いますが、一方、無理な延命に進んで医療費と高齢化・要介護が増大するのは好ましくないと思っています、ほどほどで自然に寿命を迎える社会を期待します。
- パネルディスカッションでもおっしゃっていたように、新しい発見をすることをゴールにしている研究者もいる中で、実用化を見据えた研究テーマをしていくことが求められているのではないかと感じました。研究段階から、企業とタッグを組み計画的かつ効率的に研究を進めることができれば、双方の強みを生かした研究開発ができるのではと感じました。
- 条件付き承認がなかなか通らない、これまでの治験の考え方だとバラツキの大きく品質担保が難しい。検証型臨床研究に期待したい
- 細胞の解析
- 承認審査における有効性や安全性に係る基準設定

行政・ファンディング機関、学生、その他

- 高額になり得る治療費の患者負担軽減 ・自由診療における安全性の確保
- 細胞治療・遺伝子治療の開発では、ラボレベルでの試験物の製造では臨床試験に持っていけない。とはいえ、GXPレベルでの試験に対応した試験物の製造では、岡崎先生の話に有ったように今のアカデミアでの製造法検討で時間がかかり過ぎ、実用化のタイムラインに乗せることが難しい。
- 治療費を最適にするためのコスト削減が重要と感じております。細胞の状態によって治療効果に差が出てくるのでは感じております。
- 細胞治療薬の製造コスト調査・コストに基づく薬価設定

質問3-2. 満足度（理由） （回答数88件）

AIによるキーワード抽出

1. 現状の俯瞰と多角的な視点の獲得

網羅的な理解

産学官の多様な専門性

最新情報の入手

2. 実用化・事業化（出口戦略）への意識改革

出口戦略：TPPなどビジネス視点の重要性

アカデミアと企業・CDMOの間のギャップの認識

3. 具体的・実質的な情報の提供

CDMOの開発費用などコスト・数値情報

AMEDや橋渡し事業の取り組み、規制対応などの施策・支援体制

4. 構成・運営面での評価

効率的な構成

資料公開や見逃し配信などの利便性

質問3-4. 参考になった・良かった演題（理由） （回答数36件）

AIによるキーワード抽出

1. 実用化・事業化（出口戦略）に向けた視座の獲得
 - アカデミアと企業のギャップ認識
 - ビジネス視点の重要性
 - エコシステムへの理解
2. 開発・製造（CMC/CDMO）に関する具体的情報の把握
 - CDMOなどコスト感の把握
 - 早期からの製造パートナーの重要性
3. グローバル展開と具体的なイメージの視覚化
 - 海外動向の具体化
 - 世界市場への意識
4. パネルディスカッションと政策・課題の共有
 - 課題の総括
 - 行政・支援への提言

質問3-6. 次回に取り上げてほしいトピック (回答数48件)

AIによるキーワード抽出

1. 実用化・事業化に向けた具体的戦略

早期からの事業戦略

コストと収益性

知財やロジスティックスなどの周辺戦略

2. ケーススタディ・事例共有（成功と失敗）

成功事例とギャップ分析

開発のリアルな軌跡

連携のノウハウ

3. 製造・品質管理（CMC）と技術トレンド

品質・規格設定、CQA、QbD

製造基盤

注目モダリティ（iPS細胞、エクソソーム、mRNA、AAVベクター、次世代核酸等）

4. 制度・エコシステム・環境整備

臨床・規制：希少疾患等の国内臨床試験推進体制、安確法下での提供課題

産学連携の深化

再生医療分野の人材育成、国際的な開発競争力