JPBSA WHITE PAPER

WP-07

細胞・遺伝子治療の事業化戦略

― 製造・品質・臨床・供給を一体で設計する ―

Version 1.0
October 2026

一般社団法人 日本薬業支援家協会
Japan Pharma Business Supporters Association（JPBSA）

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association |

発刊にあたって

細胞・遺伝子治療は、従来の医薬品では実現しにくかった治療効果を目指せる一方、製品そのものと製造工程、患者、医療機関、物流が密接に結び付く。

特に細胞製品では、Starting Material、培養・加工、凍結・輸送、投与までの Chain が製品の成立性を左右する。遺伝子治療では、ベクター設計、製造、力価、安全性、体内分布、長期フォローアップなどを一体として考える必要がある。

本書では、細胞治療、遺伝子治療、日本の再生医療等製品を念頭に、研究シーズを患者へ届ける事業へ変換するための基本構造を整理する。個別製品の規制要件を示すものではなく、Drug Architecture、CMC、Quality Governance、Venture Building の視点から事業化を俯瞰する。

本書の位置づけ

本 White Paper は、創薬・医薬品産業に関する一般的な情報および考え方を提供することを目的とする。個別案件に関する薬事、品質、知的財産、投資その他の専門的助言を構成するものではない。

本書は、細胞・遺伝子治療のシーズを持つ研究者、CGT スタートアップの経営者、CMC・品質・薬事の実務者、医療機関・CDMO・投資家の担当者を主な読者とする。第 1 章から第 3 章で「何を、どのような製造の仕組みで届けるのか」を定め、第 4 章から第 9 章で「品質と開発をどう組み立てるのか」を示し、第 10 章から第 12 章で「どう供給し、事業にするのか」を整理する。

本書でいう CGT（Cell and Gene Therapy）は、細胞治療製品、遺伝子治療製品、および日本の薬機法上の再生医療等製品を含む広い概念として用いる。規制上の区分は国・地域により異なる。

目次

発刊にあたって **2**
本書の位置づけ 2
Executive Summary **5**
第 1 章　細胞・遺伝子治療は何が違うのか **6**
1.1 製品と工程を切り離せない 6
1.2 自家と同種で事業構造が変わる 6
1.3 遺伝子治療に固有の論点 7
第 2 章　製品コンセプトを患者から設計する **8**
2.1 TPP に製造・供給の要素を入れる 8
2.2 製品コンセプトと製造コンセプトを同時に設計する 8
2.3 対象患者の選び方 8
第 3 章　Starting Material と製造工程 **9**
3.1 Starting Material の管理 9
3.2 工程は生産手順ではない 9
3.3 閉鎖系・自動化を早期に検討する 9
第 4 章　品質特性と Potency **10**
4.1 製品タイプごとの評価項目 10
4.2 Potency assay を育てる 10
4.3 相補的な分析で製品を理解する 11
第 5 章　製造スケールと技術移管 **12**
5.1 Scale-up と Scale-out 12
5.2 技術移管で移すもの 12
5.3 製造 PoC を早期に作る 12
第 6 章　Comparability と変更管理 **13**
6.1 変更のリスクを評価する 13
6.2 比較戦略を先に設計する 13
6.3 変更の時期を開発計画と合わせる 13
第 7 章　非臨床開発とトランスレーション **14**
7.1 非臨床で答えるべき問い 14
7.2 モデルの限界を理解する 14
7.3 非臨床試験は不確実性を解消するための設計である 14
第 8 章　臨床開発と長期フォローアップ **15**
8.1 初期臨床の設計 15
8.2 長期フォローアップを計画に組み込む 15
8.3 少数例で効果を示す工夫 15

第 9 章　規制戦略と当局対話 16
9.1 日本の制度を理解する 16
9.2 相談制度を段階的に使う 16
9.3 相談結果を計画へ反映する 16

第 10 章　Chain of Identity・物流・医療機関 17
10.1 Chain of Identity と Chain of Custody 17
10.2 物流と時間の管理 17
10.3 医療機関を開発のパートナーとして扱う 18

第 11 章　事業モデル・CDMO・パートナリング 19
11.1 CDMO を選ぶ 19
11.2 製造アクセスは競争優位になる 19
11.3 Value Inflection Point を設定する 19

第 12 章　日本発 CGT ベンチャーの作り方 21
12.1 実行ロードマップ 21
12.2 仮想事例　大学発の自家細胞製品 21
12.3 よくある失敗パターン 22

Conclusion 23

付録 A　CGT 事業化チェックリスト 24

付録 B　CGT 製品・製造コンセプトシート 26

付録 C　主な用語 27

引用文献 28

JPBSA WHITE PAPER SERIES 30

発行情報 31

Executive Summary

細胞・遺伝子治療（Cell and Gene Therapy: CGT）の事業化では、薬効だけでなく、製造工程、品質特性、供給、患者・医療機関オペレーションを含むシステム全体を製品として設計する必要がある。

製造工程の変更が製品特性へ直接影響し得るため、CMC は開発の中心となる。Identity、Purity、Potency、安全性、Viability、Consistency などを製品特性に応じて評価し、臨床効果との関係を理解する。FDA は遺伝子治療の IND における CMC 情報［1］、細胞・遺伝子治療製品の力価保証［2］、製造変更と同等性［3］について考え方を示している。

創薬スタートアップでは、研究 PoC、製造 PoC、非臨床 PoC、First-in-Human、臨床 PoC という段階ごとに不確実性を減らし、製造・臨床・規制・資金を同期させることが重要である。本書の中心となる提言は次の七つである。

表 1　本書の七つの提言

提言	要点
1　治療システムとして設計する	製品・製造・物流・医療機関運用を一体で TPP に落とす（第 1・2 章）
2　Starting Material から管理する	由来・受入・トレーサビリティを製品品質の起点とする（第 3 章）
3　Potency を早期に育てる	作用機序に基づく測定系を開発初期から成熟させる（第 4 章）
4　製造 PoC を早く作る	GMP 製造とスケールの見通しを研究 PoC と並行して示す（第 5 章）
5　変更前に比較戦略を持つ	変更計画段階で同等性評価と当局対話を設計する（第 6 章）
6　長期を見据えた臨床と規制	長期フォローアップと条件付承認制度を含めて計画する（第 7〜9 章）
7　供給と製造アクセスを価値にする	Chain of Identity、CDMO、提携を開発計画と同期させる（第 10〜12 章）

第 1 章　細胞・遺伝子治療は何が違うのか

低分子医薬品では、化学構造を中心に製品の同一性を説明できる場合が多い。CGT では、製品が複雑で、製造工程や Starting Material が最終製品特性に大きく影響する。図 1 は、CGT の Drug Architecture を示したものである。

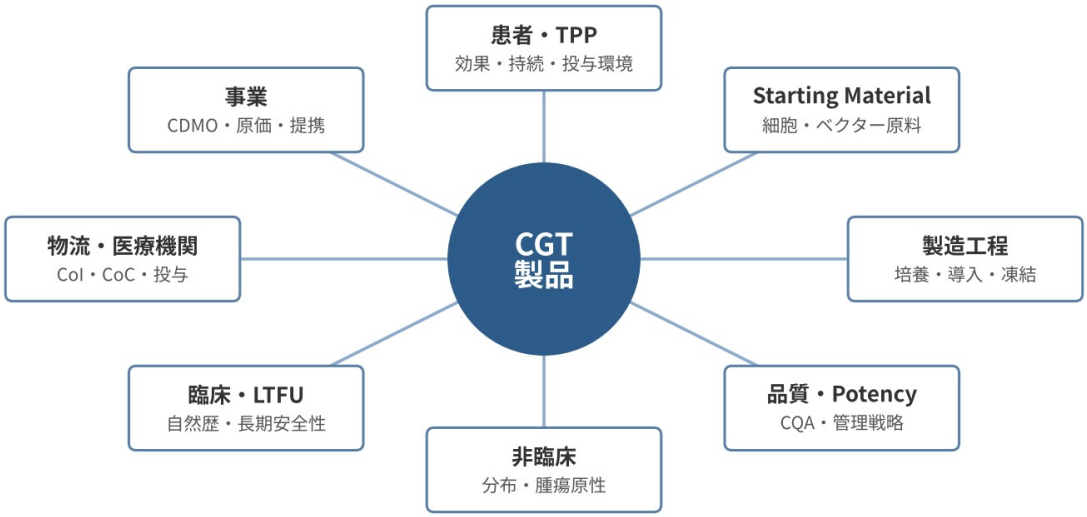


図 1　細胞・遺伝子治療の Drug Architecture（JPBSA 作成）

1.1 製品と工程を切り離せない

表 2 は、低分子医薬品、細胞治療、遺伝子治療の違いを、事業化の観点から比較したものである。

表 2　低分子医薬品と CGT の比較（JPBSA 作成）

観点	低分子医薬品	細胞治療	遺伝子治療（ウイルスベクター）
同一性の説明	化学構造で説明しやすい	細胞の特性・機能で説明	ベクター・導入遺伝子・力価で説明
原材料	化学原料	患者・ドナー由来の細胞	プラスミド、細胞基材、培地
工程の影響	管理された化学反応	培養条件が製品特性を左右	培養・精製条件が力価・不純物を左右
ロット	大量・均質	自家では 1 患者 1 ロット	中規模ロット、収率が課題
供給	常温・在庫型	凍結・時間制約・個別配送	凍結・超低温輸送が多い
安全性評価	標準的な枠組み	腫瘍原性・異所性分化等	体内分布・排出・長期安全性

1.2 自家と同種で事業構造が変わる

自家細胞治療では患者自身が原材料供給者となり、採取から製造、返送、投与までの時間と Chain of Identity が重要となる。同種細胞治療ではドナー、セルバンク、増殖、ロット間一貫性などが重要になる。

表 3　自家細胞製品と同種細胞製品の比較（JPBSA 作成）

観点	自家（Autologous）	同種（Allogeneic）
原材料	患者本人の細胞	ドナー細胞、セルバンク
製造	患者ごとの個別製造（Scale-out）	バッチ製造によるスケールの可能性
供給	採取から投与までの時間・物流が制約	在庫型の供給（Off-the-Shelf）の可能性
品質の論点	患者間の原材料のばらつき	ドナー適格性、セルバンクの特性、免疫反応
事業の論点	1 製造あたりの原価、医療機関との連携	スケールと原価、製品の均一性

1.3 遺伝子治療に固有の論点

遺伝子治療ではベクター、導入遺伝子、発現、体内分布、免疫反応、長期安全性など、製品固有の論点を統合する必要がある。in vivo 遺伝子治療ではベクターの製造能力と力価が、ex vivo 遺伝子改変細胞では細胞製造と遺伝子導入の両方が、事業性を左右する。

第 2 章　製品コンセプトを患者から設計する

CGT でも起点は患者価値である。どの患者を対象とし、既存治療に対してどの程度の効果、持続性、安全性、利便性を目指すのかを TPP として整理する。

2.1 TPP に製造・供給の要素を入れる

一回投与を目指すのか、反復投与が可能なのか、患者の状態に応じた個別製造なのか、標準化された Off-the-Shelf 製品なのかによって、製造・供給モデルは大きく異なる。CGT の TPP には、通常の項目に加えて、製造と供給に関する項目を入れる。

表 4　CGT の TPP に加える項目の例（JPBSA 作成）

項目	検討内容
製品形態	自家／同種、新鮮／凍結、細胞数・ベクター量の範囲
投与までの時間	採取から投与までの許容時間、患者の病状の進行との関係
投与環境	投与できる医療機関の要件、前処置、入院の要否
効果の持続	単回投与での持続期間、再投与の可能性
製造の成功率	規格に適合する製品を製造できる割合と、不成立時の対応
価格と原価	1 患者あたりの製造原価、医療制度上の評価の見通し

2.2 製品コンセプトと製造コンセプトを同時に設計する

製品コンセプトと製造コンセプトを同時に設計することが、CGT の Drug Architecture では不可欠である。例えば、自家製品で「採取から 3 週間以内の投与」を目標とすれば、製造期間、検査期間、輸送、医療機関のスケジュールがすべてその目標に従う。

2.3 対象患者の選び方

CGT の初期開発では、既存治療で効果が得られない重症の患者や、希少疾患を対象とすることが多い。対象患者の選択は、臨床での効果の示しやすさ、リスク・ベネフィットの許容度、製造の負担、市場規模のすべてに影響するため、科学と事業の双方から判断する。

第 3 章　Starting Material と製造工程

細胞製品では、ドナーまたは患者由来材料、組織、細胞、セルバンク等の Starting Material の特性が最終製品へ影響する。採取条件、受入基準、感染症リスク、トレーサビリティを設計する。図 2 は、自家細胞製品を例に、Starting Material から患者投与までの Chain を示したものである。



図 2　Starting Material から患者投与までの Chain（自家細胞製品の例。JPBSA 作成）

3.1 Starting Material の管理

遺伝子治療では、プラスミド、ベクター原材料、細胞基材、補助材料など、製造に用いる材料の品質と供給を管理する必要がある［1］。表 5 は、Starting Material と原材料の管理で確認する事項である。

表 5　Starting Material・原材料の管理で確認する事項（JPBSA 作成）

対象	確認する事項
患者・ドナー細胞	採取方法・条件、ドナー適格性、感染症検査、受入基準、輸送条件
セルバンク	樹立の履歴、特性解析、無菌性・ウイルス安全性、保存と更新の計画
プラスミド・ベクター原料	配列確認、品質グレード、供給者、保管条件
生物由来原料	由来、ウイルス安全性、代替品の可能性
培地・試薬	品質グレード、ロット間差、供給の継続性

3.2 工程は生産手順ではない

製造工程は単なる生産手順ではない。培養、遺伝子導入、精製、濃縮、製剤化、凍結などの各工程が CQA へ与える影響を理解し、Control Strategy を構築する［4］。研究段階で用いた手作業の工程が、そのまま GMP 製造に移行できるとは限らない。

3.3 閉鎖系・自動化を早期に検討する

開放系の手作業は、汚染リスク、作業者による差、処理能力の制約を生む。閉鎖系の装置や自動化を早期に検討することは、品質の安定とスケールの両方に寄与する。ただし、装置を変更すれば製品特性が変わる可能性があるため、変更の時期を臨床開発計画と合わせて判断する。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

第 4 章　品質特性と Potency

CGT では、Identity、Purity、Potency、安全性、Viability、ベクター力価、残留不純物など、複数の品質属性を組み合わせて製品を評価する。図 3 は、代表的な品質評価軸である。



図 3　細胞・遺伝子治療製品の代表的な品質評価軸（JPBSA 作成）

4.1 製品タイプごとの評価項目

表 6　製品タイプごとの評価項目の例（JPBSA 作成）

評価軸	細胞製品	ウイルスベクター製品
Identity	表面マーカー、遺伝子型、形態	導入遺伝子配列、カプシド等の同一性
Purity	目的細胞の割合、不要な細胞・残留物	空カプシド比率、宿主細胞由来物質、プラスミド残留
Potency	作用機序に基づく機能評価	感染力価、導入遺伝子の発現・機能
安全性	無菌性、マイコプラズマ、エンドトキシン、腫瘍原性	無菌性、増殖性ウイルスの否定、エンドトキシン
量	生細胞数、生存率	ゲノム力価・感染力価

4.2 Potency assay を育てる

Potency assay は、製品の生物学的活性を示し、製造変更、安定性、ロット一貫性を評価するうえで重要となる。FDA は、作用機序に基づいて力価を保証する戦略を開発初期から構築し、開発の進行に応じて力価試験を成熟させる考え方を示している［2］。

Potency assay 開発で確認すること

- 想定する作用機序と、測定する生物活性の関係
- 臨床で期待する効果と測定値の関係を将来示せるか
- 試験の精度・頑健性と、出荷試験として実施できる期間・費用
- 参照品・対照品の確保と、試験法変更時の比較の方法

4.3 相補的な分析で製品を理解する

単一の試験ですべてを説明できない場合もある。複数の相補的分析法を用い、製品理解を深めることが重要である。出荷試験に用いない特性解析のデータも、変更時の比較や臨床結果の解釈に役立つため、初期のロットから保管検体とデータを残しておく。

第 5 章　製造スケールと技術移管

研究室工程から GMP 製造へ移行すると、装置、培養容器、原材料、作業者、閉鎖性、自動化、スケールなどが変化する。日本の再生医療等製品では、GCTP 省令が製造管理・品質管理の基準を定めている［5］。

5.1 Scale-up と Scale-out

細胞では単純な Scale-up が難しく、Scale-out が必要となる場合もある。遺伝子治療ベクターでは大規模培養・精製、収率、空カプシド等の品質課題が事業性へ直結することがある。

表 7　Scale-up と Scale-out の比較（JPBSA 作成）

観点	Scale-up（規模の拡大）	Scale-out（並列化）
主な対象	同種細胞、ウイルスベクター	自家細胞製品
課題	培養条件の変化が製品特性に与える影響	装置・人員・施設の並列化と工程の均一性
原価への影響	規模の経済が働きやすい	1 製造あたりの原価が下がりにくい
品質の論点	スケール変更前後の比較	製造ライン・作業者間の一貫性

5.2 技術移管で移すもの

技術移管では手順書だけでなく、工程理解、失敗経験、重要パラメータ、分析法、材料管理を移管する。研究室の担当者しか知らない「コツ」が残っていると、移管先で同じ製品を作れない。

5.3 製造 PoC を早期に作る

研究 PoC だけでなく、GMP 製造の見通しを示す製造 PoC を早期に作ることが、CGT の企業価値を大きく左右する。少なくとも、臨床に必要な量を規格に適合して製造できること、製造の成功率と期間、主要な原材料の供給の見通しを示す。将来の商用供給を想定して開発知識を蓄積する。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

第 6 章　Comparability と変更管理

CGT では開発中の変更を完全に避けることは難しい。製造所、スケール、培地、原材料、工程、分析法、凍結条件などが変更され得る。変更前後の製品が比較可能であることを、分析的評価を中心に科学的に説明する［6, 3］。

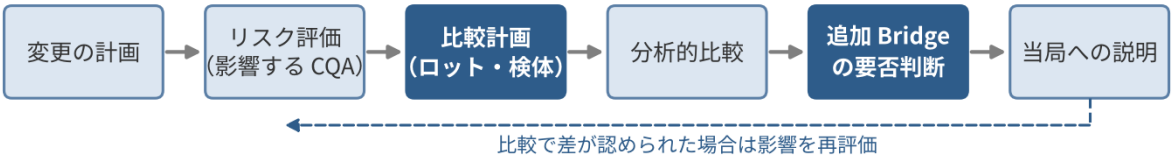


図 4　CGT における Comparability 戦略（JPBSA 作成）

6.1 変更のリスクを評価する

変更の程度と製品理解によっては、追加の非臨床または臨床の Bridge が必要となる可能性がある。表 8 は、変更の種類とリスクの考え方の例である。

表 8　変更の種類とリスクの考え方（例。JPBSA 作成）

変更の種類	リスクの目安	比較評価の考え方
試験法の改良	低〜中	新旧試験法の並行測定、ブリッジング
原材料の供給者変更	中	原材料の同等性と、製品特性の比較
培養スケール・装置の変更	中〜高	複数ロットでの特性解析、安定性の比較
製造所の変更	高	技術移管の検証、変更前後のロット比較
工程の本質的変更	高	分析比較に加え、非臨床・臨床での確認を検討

6.2 比較戦略を先に設計する

変更を実施してから比較方法を考えるのではなく、変更計画段階で Comparability Strategy と規制当局との対話を設計する。比較に用いる変更前のロット・保管検体が残っていなければ、比較そのものができない。

6.3 変更の時期を開発計画と合わせる

大きな変更は、臨床の重要なデータを取得する前に行う方が、後の説明が容易になることが多い。ピボタル試験の途中や承認申請の直前の変更は、比較評価の負担と遅延のリスクが大きい。変更の判断は、WP-05 で示した Quality Governance の仕組みで経営として行う。

第 7 章　非臨床開発とトランスレーション

非臨床では、薬理、体内分布、持続性、腫瘍原性、免疫原性、毒性、ベクター排出など、製品特性に応じたリスクを評価する。FDA は細胞・遺伝子治療製品の非臨床評価の考え方を［7］、ICH S12 は遺伝子治療製品の非臨床体内分布試験の考え方を示している［8］。

7.1 非臨床で答えるべき問い

表 9　CGT の非臨床で答えるべき問い（JPBSA 作成）

領域	答えるべき問い	主な手段
薬理	作用機序に基づく効果が疾患モデルで得られるか	疾患モデル、in vitro 機能評価
体内分布	細胞・ベクターはどこへ分布し、どれだけ残るか	定量 PCR、イメージング
安全性	毒性、異所性の作用、免疫反応は起きるか	動物試験、ヒト細胞系
腫瘍原性	細胞の腫瘍形成、挿入変異のリスクはあるか	免疫不全動物、挿入部位解析
排出	ベクターが体外へ排出され、第三者へ影響するか	体液・排泄物の測定

7.2 モデルの限界を理解する

ヒト細胞やヒト特異的ベクターでは、動物モデルが臨床製品の挙動を十分再現できないことがある。モデルの限界を理解し、in vitro、in vivo、文献、プラットフォーム知識を統合する。免疫不全動物を用いる場合は、ヒトでの免疫反応を評価できないことを踏まえて臨床計画を設計する。

7.3 非臨床試験は不確実性を解消するための設計である

非臨床試験はチェックリストではなく、First-in-Human へ進むための主要な不確実性を解消するための設計である。非臨床で用いた製品と臨床製品の製法の違いを説明できるよう、試験に用いたロットの履歴を管理する。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

第 8 章　臨床開発と長期フォローアップ

CGT では少数患者の希少疾患を対象とすることも多く、自然歴、患者選択、エンドポイント、バイオマーカーが重要となる。単回投与や長期持続効果を想定する製品では、短期的な有効性だけでなく、効果の持続性と遅発性の安全性を評価する必要がある。

8.1 初期臨床の設計

表 10　CGT の初期臨床で設計する主な項目（JPBSA 作成）

項目	設計の考え方
対象集団	リスク・ベネフィットを踏まえ、既存治療で効果が得られない患者から始めることが多い
用量	細胞数・ベクター量の段階的増量、患者間の投与間隔の設定
前処置	リンパ球除去等の前処置の要否と安全性
評価項目	自然歴との比較、PD・バイオマーカー、細胞の生着・発現の持続
製造不成立時	規格外製品の扱い、再製造、患者への説明

8.2 長期フォローアップを計画に組み込む

遺伝子治療等では製品特性に応じて長期フォローアップが重要となる。FDA は、遅発性有害事象のリスクに応じて、遺伝子治療製品の投与後に長期のフォローアップを行う考え方を示している［9］。長期フォローアップは、患者追跡、データ管理、費用、事業継続性まで含めて設計する。会社の提携・売却・解散が起きても追跡が続く仕組みを考えておく。

8.3 少数例で効果を示す工夫

希少疾患では、無作為化比較試験が困難な場合がある。自然歴データの整備、患者内比較、客観的なバイオマーカーの活用など、少数例で説得力のある証拠を得る工夫を、当局との対話を通じて設計する。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

第 9 章　規制戦略と当局対話

CGT では製品固有性が高く、一般論だけで開発計画を確定しにくい。製品の作用機序、製造、品質、非臨床、臨床の関係を整理し、早期から規制当局と対話する。EU では治験段階の ATMP の品質・非臨床・臨床の要求事項を示すガイドラインが 2025 年に適用された［10］。

9.1 日本の制度を理解する

日本では、薬機法上の「再生医療等製品」の区分があり、有効性が推定され、安全性が確認された場合に、条件及び期限を付して承認する制度が設けられている［11］。この制度を利用する場合でも、承認後に有効性・安全性を検証し、期限内に改めて承認申請を行う必要がある。制度を前提とした事業計画では、承認後の検証に必要な期間と費用を織り込む。

9.2 相談制度を段階的に使う

日本では再生医療等製品に関する相談制度等を活用し、品質・非臨床・臨床の主要論点を段階的に確認することが重要である［12, 13］。

表 11　開発段階ごとに当局と確認する論点の例（JPBSA 作成）

段階	確認する論点
非臨床開始前	品質の考え方、Starting Material の管理、非臨床試験の計画
治験開始前	治験製品の品質、非臨床データの十分性、初期臨床の計画
臨床開発中	製造変更と同等性、評価項目、長期フォローアップ
申請前	申請データパッケージ、承認制度の選択、承認後の検証計画

9.3 相談結果を計画へ反映する

当局相談では、自社の提案、科学的根拠、リスク、代替案を提示する。相談結果を製造・臨床・資金計画へ反映させることが規制戦略である。

第 10 章　Chain of Identity・物流・医療機関

CGT では製造所だけで品質を完結できない場合がある。患者またはドナーからの採取、輸送、製造、保管、医療機関への配送、投与までを一つのオペレーションとして設計する。図 5 は、CGT を成立させるオペレーションを示したものである。

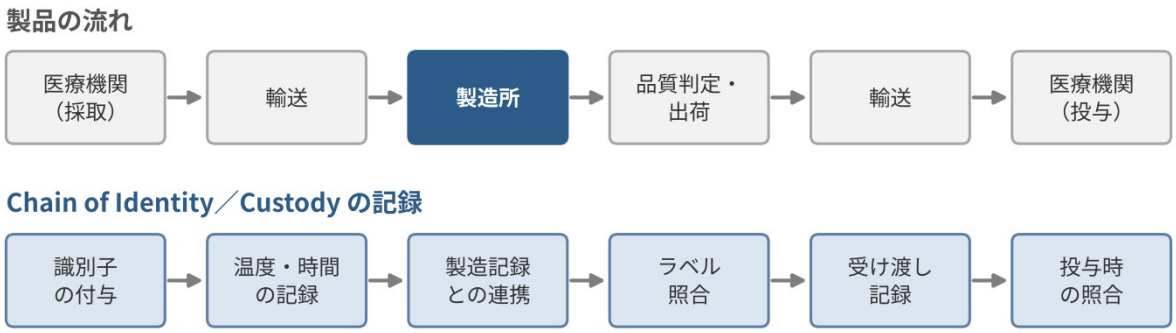


図 5　CGT を成立させるオペレーション（JPBSA 作成）

10.1 Chain of Identity と Chain of Custody

特に自家細胞製品では、患者と製品の取り違えを防ぐ Chain of Identity と、製品の保管・輸送の履歴を管理する Chain of Custody が重要となる。識別子、ラベル、受け渡し記録、システム間のデータ連携を設計し、どの時点でも患者と製品の対応を確認できるようにする。

10.2 物流と時間の管理

凍結条件、輸送温度、配送時間、受入、解凍、投与手順、医療機関教育なども製品の実用性と事業性を左右する。

表 12　物流・医療機関運用で設計する項目（JPBSA 作成）

項目	設計内容
採取	採取施設の要件、採取方法の標準化、採取物の輸送
輸送	温度管理、輸送時間の上限、逸脱時の判断
受入・保管	医療機関での受入確認、保管設備
解凍・調製	手順の標準化、使用期限、担当者の教育
投与	投与手順、前処置、有害事象への対応体制
情報	製造状況の共有、スケジュール調整、トレーサビリティの記録

10.3 医療機関を開発のパートナーとして扱う

CGT の臨床試験と上市後の治療は、限られた医療機関で行われることが多い。医療機関の体制、医師・看護師・薬剤師の教育、採取から投与までのスケジュール調整は、製品の価値を実際に患者へ届けるための前提であり、開発初期から医療機関と協働して設計する。

第 11 章　事業モデル・CDMO・パートナリング

CGT ベンチャーでは、自社製造、CDMO 活用、共同開発、地域ライセンス、グローバルライセンスなど複数のモデルが考えられる。

11.1 CDMO を選ぶ

CDMO 選定では、単なる製造能力だけでなく、対象モダリティの経験、分析、品質システム、スケール、供給能力、技術移管、変更管理を評価する。

表 13　CDMO 選定の評価項目（JPBSA 作成）

評価項目	確認内容
モダリティ経験	同種の細胞・ベクターの製造実績、臨床・商用の段階
分析能力	特性解析・力価試験・出荷試験の実施能力
品質システム	当局査察の実績、逸脱・変更の管理、データ完全性
製造能力	スロットの確保、リードタイム、スケールの拡張性
技術移管	移管の体制、自社の知識の保護、将来の移管先変更の条件
契約条件	知財の帰属、製造データへのアクセス、費用構造

11.2 製造アクセスは競争優位になる

製造能力が希少な領域では、製造アクセス自体が競争優位となる。提携時には、臨床データと同様に、再現可能な製造・品質パッケージが重要な企業価値となる。

11.3 Value Inflection Point を設定する

図 6 は、CGT 事業の主な価値上昇点である。研究 PoC だけで提携を目指すより、製造 PoC と非臨床 PoC を組み合わせることで、提携先の評価が具体的になる。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

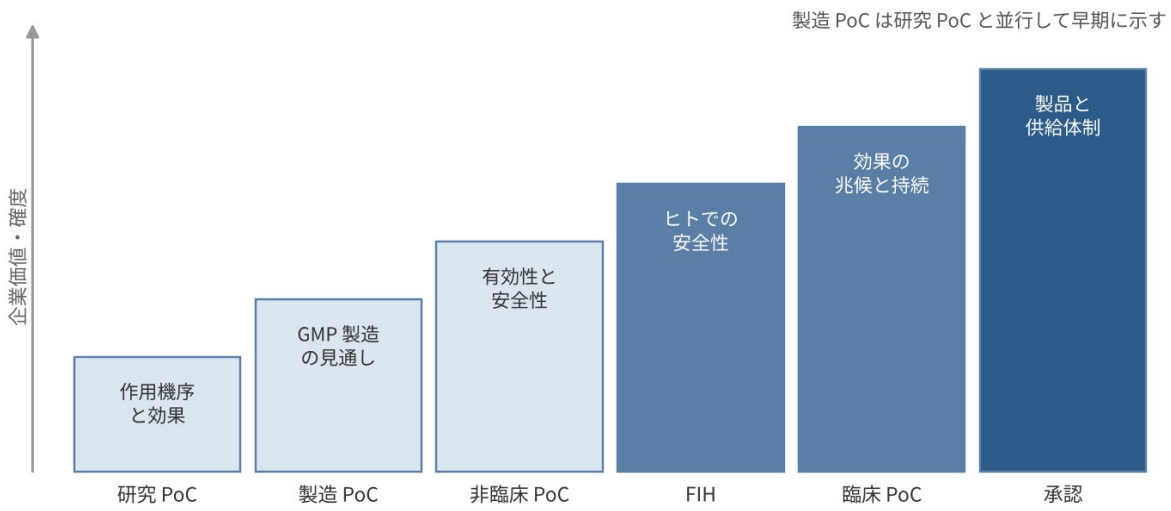


図 6　CGT 事業の Value Inflection Point（JPBSA 作成）

第 12 章　日本発 CGT ベンチャーの作り方

日本には細胞生物学、再生医療、ウイルスベクター、製造装置、材料、医療機関など、CGT を支える技術基盤がある。研究シーズを事業へ変えるには、研究 PoC だけでなく、早期に製造 PoC を作り、Starting Material、工程、品質、供給、臨床導入を統合する必要がある。

12.1 実行ロードマップ

図 7 は、日本発 CGT ベンチャーの実行ロードマップの例である。各段階の境目では、経営会議で継続・変更・保留を判断する。

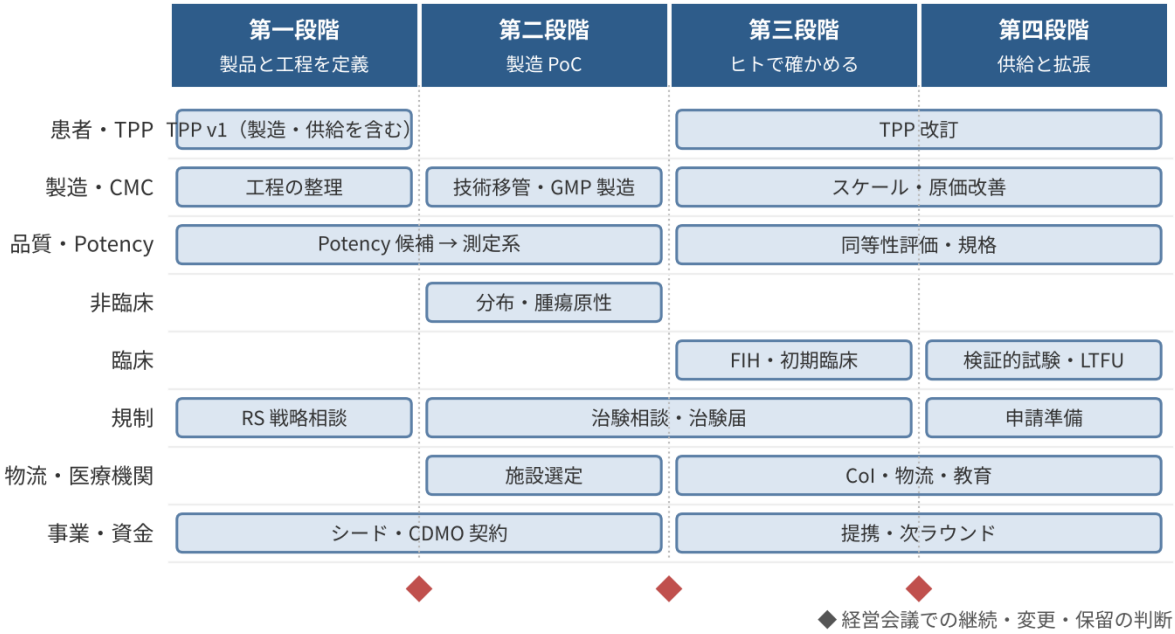


図 7　日本発 CGT ベンチャーの実行ロードマップ（例。JPBSA 作成）

12.2 仮想事例　大学発の自家細胞製品

以下は考え方を説明するための仮想事例であり、実在する企業や案件ではない。ある大学病院の研究チームが、自家細胞を用いた治療法で、臨床研究において有望な結果を得た。研究チームは会社を設立し、企業治験を経て再生医療等製品として承認を目指すことにした。

課題は、大学の細胞調製施設で行っていた手作業の工程を、CDMO で再現することであった。会社は、まず研究段階の工程と品質データを整理し、Potency の候補となる機能評価を特定した。そのうえで、CDMO への技術移管と並行して、臨床研究の製品と治験製品の比較計画を作成し、当局相談で確認した。製造 PoC を早期に示したことが、次の資金調達の評価につながった。

12.3 よくある失敗パターン

表 14　CGT ベンチャーのよくある失敗パターンと予防策（JPBSA 作成）

失敗パターン	内容	予防策
研究工程のまま進む	手作業・開放系の工程で臨床へ進もうとする	製造 PoC と閉鎖系・自動化の計画を早期に作る
Potency の後回し	出荷試験に使える力価試験がない	作用機序に基づく測定系を初期から育てる
比較できない変更	変更前のロット・検体が残っていない	保管検体と比較計画を変更前に準備する
原価の見落とし	1 製造あたりの原価が事業として成立しない	TPP に製造原価と製造成功率を入れる
供給の後回し	承認後の物流・医療機関体制が整わない	臨床段階から Chain of Identity と運用を設計する

一つの製品で製造・臨床の成立性を証明し、そこからプラットフォームや複数適応へ展開する。Drug Architecture、Quality Governance、外部専門家ネットワーク、Venture Building を組み合わせることが、日本発 CGT 企業創出の一つの方法となる。

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

Conclusion

細胞・遺伝子治療では、製品と製造工程を切り離すことができない。さらに、患者、医療機関、物流、長期フォローアップまで含めて治療システムを設計する必要がある。

優れた研究成果を、再現可能に製造でき、品質を説明でき、患者へ確実に届けられる製品へ変換することが事業化の中心課題である。

研究 PoC から製造 PoC、非臨床 PoC、臨床 PoC へと段階的に不確実性を減らし、科学・品質・規制・供給・資金を同期させる。その統合設計が CGT ベンチャーの価値を生み出す。JPBSA は、この統合設計を担う人材と知識を育てることを目指す。

付録 A　CGT 事業化チェックリスト

各項目を「確認済・不足・未確認」で評価し、根拠となる資料、担当者、期限を併記する。未確認を不適合と同一視せず、確認が必要な事項として扱う。

領域	確認する問い	評価	根拠・担当・期限
患者・TPP	対象患者、投与方法、治療価値、持続性、製造・供給の要件を TPP に入れているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
Starting Material	由来、受入、感染症、トレーサビリティを管理しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
製造工程	工程が CQA へ与える影響を理解し、閉鎖系・自動化を検討しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
Potency	作用機序と関連する評価系を開発しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
分析	Identity／Purity／Safety／Consistency 等を評価でき、保管検体があるか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
スケール	Scale-up／Scale-out と商用供給・原価のギャップを把握しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
Comparability	変更前に比較戦略と Bridge の必要性を評価しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
非臨床	モデルの限界と臨床への外挿性を説明できるか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
臨床	患者選択、自然歴、長期フォローアップを設計しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
規制	製品固有の論点を整理し、承認制度の選択を検討しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：
物流	Chain of Identity／Custody、温度、時間、医療機関運用を設計しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

領域	確認する問い	評価	根拠・担当・期限
事業	製造能力、CDMO、資金、Partnering を開発計画と同期しているか	□確認済 □不足 □未確認	根拠： 担当： 期限：

付録 B　CGT 製品・製造コンセプトシート

候補ごとに 1 枚作成する。根拠欄にはデータまたは情報源を記し、未確認の場合はその旨と確認方法を記す。

製品名：　　**版番号：**　　**改訂日：**　　**承認者：**

項目	現在の仮説	目標とする水準	根拠・未確認事項
対象患者・適応			
製品形態（自家／同種等）			
Starting Material			
製造工程・期間			
Potency・主要 CQA			
製造成功率・原価			
物流・投与環境			
主な安全性リスク			
長期フォローアップ			
承認制度・開発地域			

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association

付録 C　主な用語

語	本書での意味
CGT	Cell and Gene Therapy。細胞治療・遺伝子治療の総称。本書では日本の再生医療等製品を含む。
再生医療等製品	薬機法上の製品区分。細胞加工製品や遺伝子治療製品等を含む。
Starting Material	製造の出発となる材料。患者・ドナー細胞、セルバンク、プラスミド等。
Potency	力価。製品の生物学的活性。作用機序に基づき評価する。
CQA	Critical Quality Attributes。望ましい製品品質を確保するために管理すべき重要品質特性。
Comparability	同等性／同質性。製造変更の前後で製品が比較可能であること。
Scale-out	製造ラインを並列化して処理能力を高めること。自家細胞製品で用いられる。
Chain of Identity	患者と製品の対応関係を、採取から投与まで一貫して保証する仕組み。
Chain of Custody	製品の保管・輸送・受け渡しの履歴を管理する仕組み。
LTFU	Long-Term Follow-Up。投与後の長期フォローアップ。
GCTP	再生医療等製品の製造管理及び品質管理の基準。

引用文献

本文中の番号は以下の引用文献に対応する。ガイドラインは適用範囲と開発国での実装状況を確認して使用する。JPBSA の実務提案、仮想事例、概念図および記入様式は、文献の規制要件をそのまま転記したものではない。ウェブ資料の参照日：2026 年 10 月 20 日。

[1] FDA. Chemistry, Manufacturing, and Control (CMC) Information for Human Gene Therapy Investigational New Drug Applications (INDs). Guidance for Industry. 2020 年 1 月.
参照箇所：原材料、製造工程、特性解析、規格・試験、安定性に関する IND 記載事項。
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/chemistry-manufacturing-and-control-cmc-information-human-gene-therapy-investigational-new-drug

[2] FDA. Potency Assurance for Cellular and Gene Therapy Products. Draft Guidance for Industry. 2023 年 12 月.
参照箇所：作用機序に基づく力価保証の戦略、開発段階に応じた力価試験の成熟（ドラフト）。
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/potency-assurance-cellular-and-gene-therapy-products

[3] FDA. Manufacturing Changes and Comparability for Human Cellular and Gene Therapy Products. Draft Guidance for Industry. 2023 年 7 月.
参照箇所：製造変更の影響評価、同等性評価計画、開発段階ごとの考え方（ドラフト）。
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/manufacturing-changes-and-comparability-human-cellular-and-gene-therapy-products

[4] ICH / FDA. Q8(R2) Pharmaceutical Development. FDA 版 2009 年 11 月.
参照箇所：Part II 第 2 章 QbD の要素、Annex 第 2 節 QTPP・CQA。
https://www.fda.gov/media/71535/download

[5] e-Gov 法令検索. 再生医療等製品の製造管理及び品質管理の基準に関する省令（平成 26 年厚生労働省令第 93 号）.
参照箇所：再生医療等製品の製造管理・品質管理、構造設備、バリデーション。
https://laws.e-gov.go.jp/law/426M60000100093

[6] ICH / EMA. Q5E Comparability of Biotechnological/Biological Products Subject to Changes in Their Manufacturing Process. ICH 2004 年 EMA 実施 2005 年.
参照箇所：第 1 章 適用範囲、第 2 章 同等性／同質性評価。
https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/ich-q-5-e-comparability-biotechnologicalbiological-products-step-5_en.pdf

[7] FDA. Preclinical Assessment of Investigational Cellular and Gene Therapy Products. Guidance for Industry. 2013 年 11 月.
参照箇所：動物種・モデルの選択、試験製品と臨床製品の関係、体内分布・腫瘍原性の評価。
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/preclinical-assessment-investigational-cellular-and-gene-therapy-products

[8] ICH / FDA. S12 Nonclinical Biodistribution Considerations for Gene Therapy Products. FDA 版 2023 年.
参照箇所：遺伝子治療製品の非臨床体内分布試験の考え方。
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/s12-nonclinical-biodistribution-considerations-gene-therapy-products

[9] FDA. Long Term Follow-Up After Administration of Human Gene Therapy Products. Guidance for Industry. 2020 年 1 月.
参照箇所：遅発性有害事象リスクの評価と長期フォローアップの期間・内容。
https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/long-term-follow-after-administration-human-gene-therapy-products

[10] EMA. Guideline on quality, non-clinical and clinical requirements for investigational advanced therapy medicinal products in clinical trials. 2025 年 7 月適用.
参照箇所：治験段階の ATMP の品質・非臨床・臨床に関する要求事項。
https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-quality-non-clinical-clinical-requirements-investigational-advanced-therapy-medicinal-products-clinical-trials_en.pdf

[11] e-Gov 法令検索. 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（昭和 35 年法律第 145 号）.
参照箇所：第 12 条 製造販売業の許可、第 13 条の 3 外国製造業者の認定、第 14 条 承認、第 19 条の 2 外国特例承認、第 23 条の 26 条件及び期限付承認。
https://laws.e-gov.go.jp/law/335AC0000000145

[12] PMDA. 医薬品・医薬部外品の相談業務について. 現行ウェブページ.
参照箇所：新医薬品の治験相談等をはじめとする対面助言・事前面談の区分。
https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/consultations/0017.html

[13] PMDA. RS 総合相談・RS 戦略相談. 現行ウェブページ.
参照箇所：大学・研究機関・ベンチャー企業を対象とする相談の目的と範囲。
https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/strategies/0006.html

注：本 White Paper は細胞・遺伝子治療の事業化を俯瞰する一般的な実務フレームワークである。製品の規制分類、必要試験、長期フォローアップ、製造・品質要件等は製品特性および開発地域により異なる。FDA のドラフトガイダンスは参照日時点の状態であり、最終化の状況を確認して使用する。図表は JPBSA が独自に作成した概念図である。

JPBSA WHITE PAPER SERIES

WP-01　創薬スタートアップのための薬業支援

WP-02　創薬スタートアップの作り方

WP-03　Drug Architecture — 創薬構造設計入門

WP-04　創薬スタートアップの CMC 戦略

WP-05　Quality Governance — 創薬企業の品質統治

WP-06　核酸医薬・DDS の事業化戦略

WP-07　**細胞・遺伝子治療の事業化戦略（本書）**

WP-08　海外バイオベンチャーの日本参入ガイド

WP-09　創薬人材と外部専門家活用

WP-10　創薬スタートアップのパートナリング・導出・アライアンス戦略

WP-11　創薬スタートアップの資金調達と企業価値設計

WP-12　日本の創薬エコシステム 2030

発行情報

発行：一般社団法人 日本薬業支援家協会（JPBSA）

発行部門：JPBSA 出版部

シリーズ：JPBSA WHITE PAPER

文書番号：WP-07

版番号：Version 1.0

発行年月：2026 年 10 月

関連文書：WP-04『創薬スタートアップの CMC 戦略』、WP-05『Quality Governance — 創薬企業の品質統治』

© 2026 Japan Pharma Business Supporters Association. All Rights Reserved.

「薬業支援家」は一般社団法人日本薬業支援家協会に関係する登録商標です。

免責事項：本 White Paper は、創薬・医薬品産業に関する一般的な情報および考え方の提供を目的とするものであり、個別の医薬品開発、規制、品質、法律、知的財産、税務、投資その他に関する専門的助言を構成するものではありません。本書に記載した制度・手続き・数値は作成時点の公開情報に基づくものであり、利用に当たっては最新の公式情報を確認してください。本書の仮想事例は説明のためのものであり、実在の企業・案件を示すものではありません。