

事前評価票（拡充）

（平成 23 年 9 月現在）

1. 課題名 再生医療の実現化プロジェクト

2. 開発・事業期間 平成 20 年度～

3. 課題概要

〈概要〉

世界でも比類なき高齢化社会を迎えている我が国において、難病・生活習慣病・障害等に対するこれまでの医療を根本的に変革する可能性のある細胞移植・細胞治療等による再生医療について、iPS 細胞等を用いた革新的な幹細胞操作技術や治療技術等を世界に先駆け確立し、その実現化を目指す。

本プロジェクトは、平成 15 年から実施されており、特に第Ⅱ期（平成 20 年から平成 24 年）においては、国民への効率的な成果還元のため「ヒト幹細胞を用いた研究」を中心とし、再生医療の実現化を目指している。

また、平成 23 年度より、再生医療のいち早い実現化のため、関係省（文部科学省、厚生労働省）が連続的に支援を実施することが可能な仕組みを構築し、長期間（10～15 年間）、研究開発を支援・橋渡しすることを目指す「再生医療の実現化ハイウェイ」を新たに実施。

〈平成 24 年度新規・拡充内容等〉

○疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究（新規）

iPS 細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指して、文部科学省と厚生労働省が協働して、疾患特異的 iPS 細胞を用いて難病等の疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進する。

○再生医療の実現化ハイウェイ（拡充）

平成 23 年度より実施している「再生医療の実現化ハイウェイ」について、切れ目なく実用化に向けたシーズを発掘し、再生医療実現化を加速していくため、新規公募行うために拡充する。

○研究用幹細胞バンク整備領域

さい帯血幹細胞を収集して研究者に提供することを目的とした「研究用幹細胞バンク整備領域」について、来年度以降、バイオリソースとして効率的に収集・保存を行い、幅広く研究者の利用に供していくために、ナショナルバイオリソースプロジェクトに移管して実施する。

4. 各観点からの評価

（1）必要性

「新成長戦略」（平成 22 年 6 月 18 日 閣議決定）において、再生医療等の先端医療技術等の研究開発・実用化の促進が謳われており、「新成長戦略実行計画（工程表）Ⅱ. 健康大国戦略」の「新たな医療技術の研究開発・実用化促進」において、再生医療に関する前臨床－臨床研究事業の一元的な公募審査、進捗管理などによる「再生医療の実現化ハイウェイ」構想を実施すべき、とされている。

また、第4期科学技術基本計画(平成23年8月19日閣議決定)において、ライフイノベーションの推進が最重要政策課題に位置づけられ、iPS細胞による疾患細胞等を駆使した疾患・治療のメカニズムの解明や新規創薬ターゲットの探索、iPS細胞、ES細胞、体性幹細胞等の体内及び体外での細胞増殖・分化技術の開発が示されている。

「平成24年度科学技術重要施策アクションプラン」(平成23年7月21日科学技術政策担当大臣 総合科学技術会議有識者議員)において、再生医療研究は今後の医療に大きな可能性を拓くものと期待され、「身体・臓器機能の代替・補完」が政策課題として挙げられ、体性幹細胞・胚性幹細胞を用いた再生医療、iPS細胞を用いた難病克服・創薬が重点的取組として示されている。

さらに、平成23年6月16日に開催された第2回医療イノベーション会議において「医療イノベーション推進の基本的方針」が合意されたが、同方針において、再生医療分野は4つの重点分野の一つに位置付けられ、iPS/ES細胞、体性幹細胞等の両方を強力に推進することが記載されている。

「iPS細胞研究ロードマップ」(平成21年6月24日文部科学省)として今後のiPS細胞研究に関して、①基礎研究、②標準化、③iPS細胞の疾患研究・創薬応用、④再生医療の具体的な目標が設定されている。

「新たなライフサイエンス研究の構築と展開(中間とりまとめ)」(平成21年12月7日ライフサイエンス委員会)において、「府省の縦割りを打破し一体的かつ横断的に、革新的な研究シーズの実用化に向けて集中的・集約的に投資し、質の高い医療・福祉サービスの提供、新たな産業の創出などの形で社会・経済に早急に還元していくことが急務であると言える」とされている。

本事業の第I期では、移植用適用外さい帯血を研究用に提供開始、ヒトES細胞からの有用細胞の産生、脊髄損傷等のモデル動物の細胞移植治療成功等を通じ、我が国の再生医療研究の躍進に貢献した。これら研究の進捗と、平成19年11月の京都大学の山中伸弥教授らによるヒトiPS細胞樹立を受け、これらの成果を効率的かつ迅速に国民へ還元することが重要である。再生医療の実現化に向けては克服すべき、腫瘍化等に対する安全性や標準化の課題があり、引き続き、安全性や標準化に関する解析、初期化の分子機構の解明等の基礎研究を推進することが重要である。その一方で、早期の再生医療の実現を目指して、切れ目なく実用化に向けたシーズを発掘して、関係省との協働により、基礎研究から臨床研究までの一貫した支援が必要である。

また、iPS細胞は目的の細胞・組織に分化誘導させることによって、疾患の発症や治療方法の研究、創薬開発に資することが期待されている。これまで本事業等において、多数の疾患特異的iPS細胞が樹立されており、今後は、疾患特異的iPS細胞を用いた疾患発症機構の解明、創薬研究や治療法の開発等を関係省が緊密に連携して進め、基礎研究の成果を速やかに社会に還元することが重要である。

(2) 有効性

○疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究 (新規)

- ・疾患特異的 iPS 細胞等を用いた疾患の原因解明や創薬等への応用により、発症機構が未解明な疾患や治療法が確立されていない疾患等に対する治療方法や予防法を開発されることが期待される。
- ・文部科学省および厚生労働省の採択機関が、難病等の特定の疾患に着目してチーム型で疾患発症機構の解明、創薬研究を実施することで、iPS細胞等を用いた基礎研

究の成果を速やかに社会に還元することが期待できる。

○再生医療の実現化ハイウェイ（拡充）

- ・ ヒト幹細胞を用いた研究を通じ、これまでの医療を根本的に変革する可能性を有する再生医療が実現化され、難病や生活習慣病に対する根治的治療方法が開発されることが期待される。
- ・ 関係省が連続的に長期間、研究開発を支援・橋渡しする仕組みを構築することによって、「死の谷」を克服し、いち早く基礎研究の成果を医療の形で社会還元することが期待できる。

○研究用幹細胞バンク整備領域

- ・ 「研究用幹細胞バンク整備領域」については、当初、再生医療実現のための研究を促進する基盤整備の一環として第Ⅰ期より開始されたが、第Ⅱ期よりは、再生医療での利用のみならず、広く研究者に提供することを目的として本事業を推進している。今後、さい帯血幹細胞をバイオリソースとして、収集・保存・提供していくことで、より広く利用されることが期待される。

（３）効率性

○本事業については、科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会 ライフサイエンス委員会及び幹細胞・再生医学戦略作業部会における議論等を踏まえ、他の関連施策との役割分担を明確にしつつ、拠点による取組と個別課題による取組を有機的に連携させることとしている。

○疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究（新規）

- ・ 平成 24 年度に本事業において新たに実施する予定の「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」では、文部科学省と厚生労働省の事前の明確なる役割分担・協働方針に従って効率的な事業の展開が期待できる。
- ・ また、iPS 細胞から目的細胞を分化・誘導する方法がある程度、確立された特定の疾患・組織に着目して、疾患特異的 iPS 細胞を用いて文部科学省および厚生労働省の採択機関がチームで研究を実施することによって、基礎的な研究成果が効率的に社会に還元されることが可能となる。

○再生医療の実現化ハイウェイ（拡充）

- ・ 平成 23 年度に本事業において新たに実施している「再生医療の実現化ハイウェイ」では、短期で臨床研究への到達を目指す再生医療研究課題（主として体性幹細胞を用いた研究を想定）については 1～3 年目までに、一方、中長期で臨床研究への到達を目指す再生医療研究課題（主として iPS/ES 細胞を用いた研究を想定）については 5～7 年目までに、それぞれ臨床研究に移行することを目指すこととしており、明確な目標を設定して有望な研究成果を効率的に社会に還元することが期待される。
- ・ また、再生医療をいち早く実現化するためには、各種の規制（薬事法、ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針等）に対して適切・迅速に対応する必要があり、再生医療の実現化を目指す研究の支援において、研究の進捗管理や臨床研究に向けた必要な協力を行うことで、効率的な事業の展開が可能となる。

5. 総合評価

- ・ 疾患研究や創薬への iPS 細胞の応用は、疾患の病態解明及び創薬研究への応用という観点から、iPS 細胞の創薬研究への応用という観点から、世界的にも極めて競争の激しい領域となっており、我が国として支援することに意義がある。
- ・ 特に、患者数の多い疾患だけでなく、患者数が少なく、民間だけでは解決のでき

ない難病疾患の克服に向けて我が国の優位性のある iPS 細胞研究を活用できる点で意義がある。

- ・ 疾患研究や創薬研究といった速やかな iPS 細胞の成果を社会に還元を目指して、関係省が連携した研究開発の体制を構築すべきである。
- ・ iPS 細胞を活用した難病研究や創薬研究を行うに当たっては、製薬企業等との連携という視点も重要である。
- ・ 平成 23 年度から開始した再生医療の実現化ハイウェイについては、関係省が協働して再生医療の実現化の加速に向けて取り組んでいく上で重要であり、今後も切れ目なく実用化に向けたシーズを発掘していくという視点が重要である。