

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 委員名簿

(50音順)

飯 島 貞 代	株式会社三菱ケミカルホールディングス ヘルスケアソリューション室部長 三菱化学フェロー
磯 貝 彰	奈良先端科学技術大学院大学長
小 幡 裕 一	理化学研究所バイオリソースセンター長
甲 斐 知恵子	東京大学医科学研究所教授
鎌 谷 直 之	株式会社スタージェン情報解析研究所長
桐 野 高 明	独立行政法人国立病院機構理事長
小 安 重 夫	慶應義塾大学医学部教授
笹 井 芳 樹	理化学研究所発生・再生科学総合研究センター グループディレクター
定 藤 規 弘	自然科学研究機構生理学研究所教授
末 松 誠	慶應義塾大学医学部長
高 井 義 美	神戸大学大学院医学研究科教授
高 木 俊 明	テルモ株式会社 取締役上席執行役員 研究開発本部統轄
高 木 利 久	東京大学大学院新領域創成科学研究科教授
知 野 恵 子	読売新聞東京本社編集局編集委員
月 田 早智子	大阪大学大学院生命機能研究科教授
◎ 永 井 良 三	自治医科大学学長
長 洲 毅 志	エーザイ株式会社理事・CSO 付担当部長
中 村 清 吾	昭和大学医学部教授
成 宮 周	京都大学大学院医学研究科教授
若 槻 壮 市	高エネルギー加速器研究機構物質構造科学研究所副所長

◎：主査

平成24年6月13日現在

事前評価票

(平成24年8月現在)

1. 課題名 再生医療実現拠点ネットワークプログラム
2. 開発・事業期間 平成25年度～平成34年度
3. 課題概要 <概要> iPS細胞は、再生医療・疾患研究等に幅広く活用されることが期待される我が国発の画期的成果であり、この研究成果を総力を挙げ育てていくため、オールジャパン体制のもと戦略的に幹細胞・再生医学研究を推進する。 再生医療の実現化プロジェクトは、平成15年度から実施されており、本年度に第Ⅱ期（平成20年度から平成24年度）の終了を迎える。平成25年度からは、これまでの支援の成果である世界最高水準の基礎研究能力を最大限に活かし、安全かつ標準的な再生医療用iPS細胞の確立及び再生医療用iPS細胞ストックの構築を実施するとともに、疾患・組織別に再生医療の実現化まで責任を持って研究を実施する拠点を整備する。 なお、平成23年度から再生医療のいち早い実現化のため、関係省庁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」を実施している。平成25年度から疾患・組織別に再生医療の実現化を目指す拠点を整備することから、再生医療の実現化ハイウェイの既存課題のうち、特に実用化まで5～7年を見込んでいた課題については、必要に応じてこれらの拠点と連携を取ることでより実用化に向けて更なる加速を行うとともに、課題の実施により得られる知見、ノウハウ等を拠点に還元することにより拠点の機能強化に繋げる等、実施体制の強化を行う。 <平成25年度新規内容等> ○iPS細胞研究中核拠点整備 世界最高水準の基礎研究能力を活かし、初期化メカニズム解明等、より安全で効率的なiPS細胞樹立に資する基礎・基盤研究や再生医療用iPS細胞ストックの整備を実施する。 ○疾患・組織別実用化研究拠点整備 目的細胞への分化誘導、分化細胞の安全性評価、移植方法の最適化、幹細胞操作・応用技術開発、立体組織培養技術の開発、知財関係の包括的支援等を実施し、疾患・組織別に責任を持って再生医療の実現を目指す研究体制を構築する。また、「再生医療の実現化ハイウェイ」の既存課題とも必要に応じて連携をおこない、当該課題の実用化の加速を支援するとともに、課題から得られる情報を当該拠点の機能強化に繋げる。

4. 各観点からの評価

(1) 必要性

再生医療の実現化プロジェクトの第Ⅰ期では、移植用適用外さい帯血の研究用の提供開始、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。

また、幹細胞・再生医学研究分野は世界的に激しい競争分野となっているが、京都大学 iPS 細胞研究所をはじめとする我が国の研究機関でこの 5 年間に生み出された成果は世界最高レベルにあるといえる。特に、iPS 細胞の安全性・標準化に関する研究については、山中教授を中心とするグループが現在も世界的に研究開発のイニシアティブを取っているといえる。しかし、欧米に加えて、アジアの研究新興国を含めた海外の猛追は激しく、その手綱を緩めてしまえば、日本の優位性が失われることになる。そこで、文部科学省として、厚生労働省、経済産業省と協働し、幹細胞・再生医学研究の着実な実施といち早い実用化に向けた取組の推進を行うことが重要である。その一つとして、標準化については一定の基準を作成できるようにする必要があり、更に第Ⅱ期の事後評価報告書においても、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、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加速するとともに、早期の再生医療の実現を目指して、機能別に臨床応用研究を実施する体制の構築が重要であると指摘されている。また、HLA ホモの iPS 細胞やオートグラフト（自家移植）であっても、免疫学的課題に配慮することが必要である。

以上を受けて、安全性や標準化の確立を担う iPS 細胞研究中核拠点および免疫学的課題の解決を含めた疾患・組織別に責任を持って再生医療の実現を推進する疾患・組織別実用化研究拠点を整備することが必要である。

さらには、政府の方針として、「日本再生戦略」（平成 24 年 7 月 31 日 閣議決定）のⅣ. 日本再生のための具体策 「ライフ成長戦略」において、再生医療については、世界に先駆けて本格的に実用化することにより、世界的に優位な産業として成長させるため、10 年程度で世界最先端の iPS 細胞等の安全性や標準化の確立を目指す研究に対して、成果や進捗状況等を踏まえた集中的な支援を行うなど、早期にできる限り多くの実用化の成功事例創出に取り組む。また、再生医療の開発・実用化に必要な装置等の周辺産業を含めた関連産業の国際競争力強化等の産業振興に資する取組を行う、とされている。

また、「医療イノベーション5か年戦略」（平成 24 年 6 月 6 日 医療イノベーション会議決定）において、臨床研究における幹細胞研究・開発の推進、安全性を確保した iPS 細胞等の実用化に向けた研究、iPS 細胞等を活用した難病治療法や創薬等に係る研究、研究用&臨床用バンク（日本の強みを活かした iPS 細胞ストック等）、バンクする細胞の規格・標準の確立等を推進する旨が記載されており、日本発の再生医療を実現し、世界的リーダーシップを獲得する、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 25 年度科学技術重要施策アクションプラン」(平成 24 年 7 月 19 日 総合科学技術会議 科学技術イノベーション政策推進専門調査会決定)において、今後の医療応用において様々な可能性を秘めた再生医療技術については我が国が世界をリードできるポジションにあるという優位性を生かし、社会還元を促進するためのシステム改革を進めつつ研究開発を強力に推進し、早期実用化を目指すこととされている。

「今後の幹細胞・再生医学研究の在り方について」(平成 24 年 5 月 28 日 幹細胞・再生医学戦略作業部会決定)において、京都大学 iPS 細胞研究所を中心に、iPS 細胞の初期化メカニズムの解明などを徹底的におこない、その結果に立脚した高い安全性・分化能を有する iPS 細胞からなる臨床用「iPS 細胞ストック」を確立し、他機関へも提供できる体制を構築する。また、iPS 細胞の臨床応用を目指す機関は、疾患・組織毎に明確な実用化に向けたターゲットを定め、「iPS 細胞ストック」からの細胞等を用いて、研究開発を行う。その際、実用化に向けて必要となる課題を洗い出し、それを解決するための研究開発を行う、とされている。

なお、再生医療の実用化は日本発の新規治療法の創出が期待されるところであり、さらに推し進める必要がある。

(2) 有効性

○iPS 細胞中核研究拠点整備

iPS 細胞の再生医療への応用について、iPS 細胞由来網膜色素上皮細胞を用いた加齢黄斑変性症治療については平成 25 年度中に、また、重度心不全、脊髄損傷等の治療については 5 年程度で臨床研究へ移行することが見込まれているが、これらの着実な実施に向けては安全で効率的な iPS 細胞等の供給が重要であり、京都大学 iPS 細胞研究所を中心に基礎基盤的な研究体制を強化することで、これらが加速することと期待される。

○疾患・組織別実用化研究拠点整備

iPS 細胞等幹細胞を用いた再生医療について、疾患・組織別に責任を持って再生医療の実用化を目指す研究体制を構築することで、臨床応用が加速されることが期待される。また、疾患・組織別拠点との連携により「再生医療の実現化ハイウェイ実施課題についても、実用化に向けて加速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、「再生医療の実現化ハイウェイ」「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」、厚生労働省「再生医療実用化研究事業」、経済産業省「幹細胞産業応用促進基盤技術開発」等、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。

・機関別の拠点ではなく、機能別に臨床応用研究を実施する体制を構築することで、

拠点が責任を持って再生医療の実現に向けた研究を効率的に推進することが可能になると考えられる。

5. 総合評価

iPS 細胞研究は日本発の画期的成果である。その世界的な競争力を生かし、難病・生活習慣病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再生医療を実現化するために、本プロジェクトを推進する必要がある。再生医療の恩恵を国民に還元するためにも、これまでの研究成果を踏まえた更なる研究・開発を加速することが必要である。

また、幹細胞・再生医学研究の実施体制を機能的なものにするために、それぞれの拠点が連携してネットワーク化することが望ましいと考えられる。

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

政策

【日本再生戦略(平成24年7月31日閣議決定)】

○IV. 日本再生のための具体策 [ライフ成長戦略]
再生医療については、世界に先駆けて本格的に実用化することにより、世界的に優位な産業として成長させるため、10年程度で世界最先端のiPS細胞等の安全性や標準化の確立を目指す研究に対して、成果や進捗状況等を踏まえた集中的な支援を行うなど、早期にできる限り多くの実用化の成功事例創出に取り組む。

○日本再生に向けた改革工程表 I 環境の変化に対応した新産業・新市場の創出～ライフ成長戦略～(1)再生医療再生医療の研究開発から実用化までの一貫した支援体制の構築(再生医療の実現化ハイウェイ構想等)
・臨床研究への順次移行(体性幹細胞は2013年度まで、iPS/iES細胞は2017年度まで)
・iPS細胞等の安全性や標準化の確立を目指す研究に対する集中的支援
・評価手法・装置等の基準作成、国際標準取得支援強化

その他、「医療イノベーション5か年戦略」(平成24年6月)、「第4期科学技術基本計画」(平成23年8月)等でも重点的な柱として位置づけ

概要

○京都大学山中教授により樹立されたiPS細胞は、再生医療・疾患研究等に幅広く活用されることが期待される我が国発の画期的成果。
○世界に先駆けて、iPS細胞等を用いた再生医療を実現するために、京都大学iPS細胞研究所の誇る世界最高水準の基礎研究能力を最大限に活かし、拠点機能強化及びネットワーク化をオールジャパン体制で推進。

1. iPS細胞研究中核拠点

臨床応用を見据えた安全性・標準化に関する研究等を実施

- iPS細胞の初期化の分子機構や特性の解明
 - 樹立や培養等のiPS細胞技術の標準化
 - 臨床応用に向けてのiPS細胞の安全性の確立
- 再生医療用iPS細胞ストックを構築
- 再生医療グレードのiPS細胞ストックの構築

2. 疾患・組織別実用化研究拠点

疾患・組織別に責任を持って再生医療の実現を目指す研究体制を構築

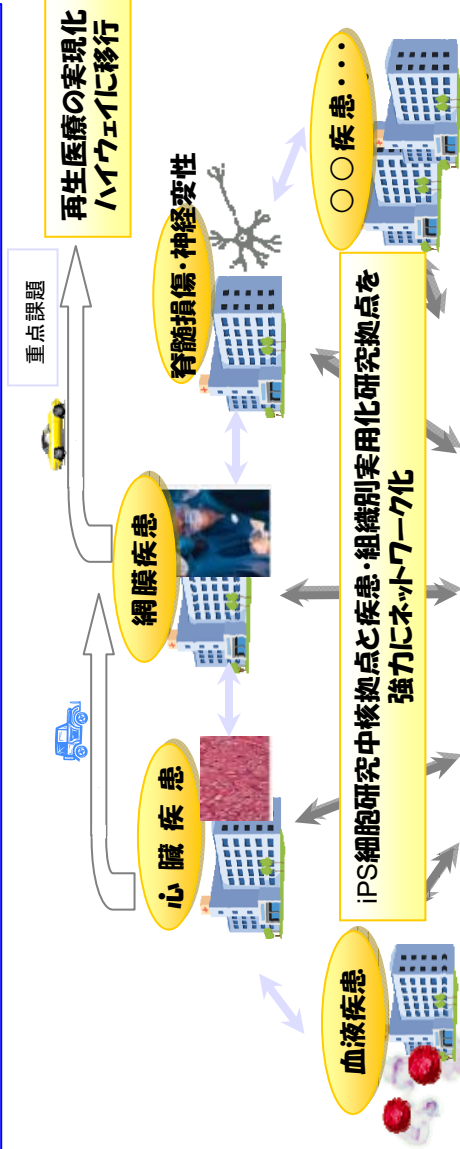
- 目的細胞への分化誘導法確立 ■幹細胞操作・応用技術開発
- 分化細胞の安全性評価 ■立体内組織培養技術の開発
- 移植方法の最適化 ■知財関係の包括的支援 ■知財人材の育成

3. 再生医療の実現化ハイウェイ

再生医療のいち早い実現のため、関係省庁が連続的に再生医療研究を支援。疾患・組織別拠点と連携しさらに加速。

4. 疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究

疾患特異的iPS細胞を用いて疾患発症機構の解明、創薬研究等を実施



世界最高水準の基礎研究能力を最大限に活かし、安全かつ標準的な再生医療用iPS細胞を確立

10年程度の長期かつ集中的支援

- iPS細胞ストックの整備
- 初期化メカニズムの解明等

オールジャパン体制で世界に先駆けて再生医療を実現！