

施策目標 9-3	再生医療実現拠点ネットワークプログラム 疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進・難病加速プログラム（仮称）（新規） 平成 29 年度要求額：10.5 億円
行政事業レビューシート番号 0244	

※「国の研究開発評価に関する大綱的指針」等に基づき、科学技術・学術審議会等において評価が行われているため、当該評価をもって事前評価書に代えることとする。

【主管課（課長名）】

研究振興局 ライフサイエンス課（原克彦）

【関係局課（課長名）】

—

【審議会等名称】

科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会

【審議会等メンバー】

別紙参照

【目標・指標】

○達成目標

- iPS 細胞等研究を活用した治療薬創出を図るため、
  - ・疾患特異的 iPS 細胞を用いて疾患メカニズムの解明に資する新たな知見を創出するとともに、表現型解析や疾患モデリングなど解析技術を高度化する。
  - ・「難治性疾患実用化研究事業」等の厚生労働省の事業等に本プログラムでの成果を導出し、実用化に向けた研究開発を推進する。
  - ・iPS 細胞バンクに寄託された細胞の利活用を促進する。

○成果指標（アウトカム）

iPS 細胞技術を活用して作成した新規治療薬の臨床応用 等

○活動指標（アウトプット）

「難治性疾患実用化研究事業」等のより実用化に近い事業等への導出数 等

【費用対効果】

投入する予定の国費総額 10.5 億円に対して、上記アウトプット及びアウトカムの結果が見込まれ、健康・医療戦略（平成 26 年 7 月 22 日 閣議決定）及び「医療分野研究開発推進計画」（平成 26 年 7 月 22 日健康・医療推進本部決定）に定められた目標の達成に寄与することから、投入額に見合う大きな成果が期待される。

なお、事業の実施に当たっては、事業の効率的・効果的な運営にも努めるものとする。

## 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

(敬称略、50音順)

	内 海 英 雄	株式会社 ReMI 代表取締役
	大 滝 義 博	株式会社バイオフロンティアパートナーズ代表取締役社長
	岡 野 栄 之	慶應義塾大学医学部長
○	小 幡 裕 一	理化学研究所バイオリソースセンター長
	桐 野 高 明	東京大学名誉教授
	倉 田 の り	農業・食品産業技術総合研究機構理事 (研究推進担当Ⅱ)
	栗 原 美津枝	株式会社日本政策投資銀行常勤監査役
	小 安 重 夫	理化学研究所理事
	菅 野 純 夫	東京大学大学院新領域創生科学研究科教授
	鈴 木 蘭 美	エーザイ株式会社執行役コーポレートBD部長
	高 井 義 美	神戸大学大学院医学系研究科特命教授
	高 木 俊 明	テルモ株式会社取締役常務執行役員チーフクオリティーオフィサー
	高 木 利 久	東京大学大学院理学系研究科教授
	知 野 恵 子	読売新聞東京本社編集局企画委員
	月 田 早智子	大阪大学大学院生命機能研究科/医学系研究科教授
◎	永 井 良 三	自治医科大学学長
	中 釜 齊	国立がん研究センター理事長
	長 野 哲 雄	東京大学名誉教授、東京大学創薬機構客員教授
	成 宮 周	京都大学医学研究科特任教授
	山 本 晴 子	国立循環器病研究センター臨床試験推進センター長
	山 本 雅 之	東北大学東北メディカル・メガバンク機構長
	山 脇 成 人	広島大学大学院医歯薬保健学研究院精神神経医科学教授

◎ : 主査      ○ : 主査代理

平成28年8月1日現在

# 事前評価票

(平成 28 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 疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム (仮称) (新規)
2. 開発・事業期間 平成 29 年度～平成 34 年度
3. 課題概要 <p>施策目標：健康・医療・ライフサイエンスに関する課題への対応</p> <p>大目標 (概要)：健康・医療戦略推進本部の下、健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画に基づき、医療分野の研究開発などを着実に推進するとともに、幅広い研究活動等を促進するため、データベースや生物遺伝資源等の知的基盤を整備する。</p> <p>中目標 (概要)：健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画等に基づき、世界最先端の医療の実現に向けた取組、疾病領域ごとの取組を着実に実施する。</p> <p>重点的に推進すべき研究開発の取組 (概要)：「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」に基づき、それぞれの項目について研究開発を着実に実施する。</p> <p>文部科学省は平成 25 年度より、京都大学 iPS 細胞研究所を中核拠点とした研究機関の連携体制を構築し、厚生労働省及び経済産業省との連携の下、iPS 細胞等を用いた革新的な再生医療・創薬を世界に先駆けて臨床応用するべく研究開発を加速することを目的として、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(以下「ネットワークプログラム」という。)を推進している。</p> <p>疾患特異的 iPS 細胞を用いて疾患発症機構の解明、創薬研究や治療法の開発等を推進することにより、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的として「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」(平成 24 年度～28 年度。以下「第 I 期プログラム」という。)もネットワークプログラムの一部として実施された。平成 29 年度からはこれまでの成果である研究基盤及び疾患・創薬研究の成果を最大限に生かし、創薬等研究の推進及び疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進により、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す。</p> <p>なお、再生医療及び難病は、「健康・医療戦略」(平成 26 年 7 月 22 日閣議決定)等においても重点化すべき研究分野として位置付けられ、ネットワークプログラムは平成 27 年度からは国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) で実施されている。</p> <p>&lt;平成 29 年度新規内容&gt;</p> <p>○疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム (仮称)</p> <p>【実施内容】</p> <p>第 I 期プログラムにおいて疾患特異的 iPS 細胞の樹立、バンクへの寄託、創薬スクリーニング実施、開発候補品の同定等が進められ、全体として研究目標は達成された。</p> <p>本プログラムでは第 I 期プログラムにて構築された研究基盤及びその成果を基に、iPS 細胞の利活用を一段と促進することにより、疾患特異的 iPS 細胞を用いた疾患発症機構の解明、創薬研究や予防、治療法の開発等を更に加速させるとともに iPS 細胞等</p>

研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

具体的には、AMEDにおいて、以下の取組を実施する。

・「疾患特異的 iPS 細胞活用技術拠点（仮称）」

疾患・臓器別に、高度な細胞操作技術を有する機関において、その技術基盤を生かし、疾患特異的 iPS 細胞及び分化細胞を用いて病態解明・創薬研究を推進するとともに、他事業も含め、iPS 細胞を用いる研究課題等に対して、技術的な支援を行う技術拠点。

・「iPS 細胞バンクの充実と利活用支援課題」

遺伝子改変株や健康人 iPS 細胞の樹立・寄託等、iPS 細胞バンクの充実を図る課題。また、細胞に付随させる情報の整備を行い、より多くの研究者・企業が iPS 細胞を利活用できる環境を整備する課題。

【本事業の目標】

iPS 細胞等研究を活用した治療薬創出を図るため、

- 疾患特異的 iPS 細胞を用いて疾患メカニズムの解明に資する新たな知見を創出するとともに、表現型解析や疾患モデリングなど解析技術を高度化する。
- 「難治性疾患実用化研究事業」等の厚生労働省の事業等に本プログラムでの成果を導出し、実用化に向けた研究開発を推進する。
- iPS 細胞バンクに寄託された細胞の利活用を促進する。

#### 4. 各観点からの評価

##### （1）必要性

iPS 細胞は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おり、基礎研究の成果を速やかに社会に還元するため、疾患特異的 iPS 細胞を活用して難病等の克服を目指した研究開発を進める必要がある。

以下のように、健康・医療分野に関する国民の期待は高く、本プログラムを更に強化・発展させる必要がある。

- 再生医療、難病については、健康・医療戦略推進本部の下、「健康・医療戦略」に基づき、各省連携プロジェクト「再生医療の実現化ハイウェイ構想」、「難病克服プロジェクト」において、AMEDを中心に、文部科学省、厚生労働省、経済産業省の関連する研究開発プログラムと統合的に連携し、一体的な運用が図られている。「日本再興戦略 2016」（平成 28 年 6 月 2 日閣議決定）においても、日本発の優れた医薬品・医療機器等の開発・事業化、グローバル市場獲得・国際貢献のため、再生医療、難病等の領域ごとの取組の加速化・重点化を図るなど、AMEDにおいて、基礎研究から実用化まで切れ目ない研究管理・支援を一体的に行うことにより、日本発の革新的な医薬品・医療機器等の創出に向けた研究開発を推進する、とされている。
- 平成 27 年 8 月には、幹細胞・再生医学研究を取り巻く状況の変化を踏まえ、幹細胞・再生医学戦略作業部会において「今後の幹細胞・再生医学研究の在り方について 改訂版」が取りまとめられたが、引き続き厚生労働省等とも連携して、疾患特異的 iPS 細胞の樹立を行い、これらを用いた疾患発症機構の解明、創薬研究や先制医療、治療法の開発を行う取組をより強化する必要があるとされている。また、疾患特異的 iPS 細胞バンクについては、バンクとしての機能を質・量ともに拡充する取組の強

化が必要であると指摘された。

- 第5期「科学技術基本計画」(平成28年1月22日閣議決定)においても、超高齢化・人口減少社会等に対応する持続可能な社会の実現のため、「世界最先端の医療技術の実現による健康長寿社会の形成」が重要政策課題の一つに設定されている。

評価項目：国費を用いた研究開発としての意義、科学的・技術的意義

評価基準：

- ・疾患特異的 iPS 細胞から目的の細胞・組織に分化誘導させることによって、疾患発症機構の解明、創薬研究や治療法の開発等に資することができたか。

## (2) 有効性

- 第I期プログラムにおいて、開発候補品を同定する成果を上げたように、構築された研究基盤やそこで樹立された iPS 細胞を用いて、疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を更に加速させるとともに寄託された iPS 細胞の利活用を促進することは、難病に対する治療方法や予防法の開発に資すると期待される。
- 開発候補品等の本プログラムの成果を、「難治性疾患実用化研究事業」等に導出し、実用化に向けた研究開発を推進する体制を構築することで、iPS 細胞等を用いた基盤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。また、医療分野研究開発推進計画の2020年頃までの達成目標実現に向けて有効と考えられる。
- iPS 細胞バンクの充実等により利活用促進の取組に加え、これまで iPS 細胞を使うことが困難であった研究者にも、疾患特異的 iPS 細胞研究の裾野を広げていくことで、難病に限らず希少疾患から他の疾患への応用も期待され、創薬研究の推進に有効と考えられる。

評価項目：

- ・新しい知の創出への貢献、研究の裾野拡大

評価基準：

- ・疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発
- ・作製技術や分化誘導技術などの技術移転
- ・多くの研究者、企業が疾患特異的 iPS 細胞を用いた研究、創薬を実施できる基盤の構築
- ・戦略的な疾患特異的 iPS 細胞の樹立

## (3) 効率性

- 第I期プログラムにて厚生労働省の事業や製薬企業と連携し、疾患の発症機序に関する解析や創薬による治療法開発に向けた研究が効率的に進んだ。本プログラムにおいても、研究者だけでなく、実際に難病の患者に接する臨床医、製薬企業と連携することで効率的な研究開発が期待できる。
- 難治性・希少性疾患等の創薬に対しては、難病に限らず希少疾患から他の疾患への応用や、再現性・定量性のあるスクリーニング系構築が今後の課題であり、AMEDに

において、アカデミア創薬拠点の活用、また厚生労働省、経済産業省や企業、アカデミア、創薬支援に係わる他の事業との間で情報共有、連携が図られるよう取り組むことで一層効率的に創薬に向けた開発を推進することが可能となる。

○AMED においてネットワークプログラムとして実施することで、各種の規制や海外動向に関する情報を共有することや、他のサブプログラムの研究課題と必要な技術的協力をを行うことが期待でき、効率的な事業の展開が可能となる。

評価項目：

- ・計画・実施体制の妥当性

評価基準：

- ・目的の達成に向けて、効率的な研究を推進するための適切な実施計画と体制が形成され実施されているか

## 5. 総合評価

### 【実施の可否】

○以上の点を考慮すると、本事業は積極的に推進すべき課題と判断する。

現段階で検討されている事業設計方針に基づき、AMED・厚生労働省との更なる積極的な連携が重要となる。

### 【中間評価・事後評価の実施時期】

○中間評価については3年目をめどに、事後評価については事業終了後に実施する。

### 【留意事項】

○難病法上の難病ではない疾患の中にも、例えば、遺伝子異常を伴うコモンディージーズ等、疾患特異的 iPS 細胞を用いることで病態モデルが構築でき、戦略的な創薬研究が期待できる疾患がある。事業全体として対象疾患を戦略的かつ柔軟的に設定できる推進体制となるよう考慮するべきである。

○早期から、企業との連携を念頭におき、再現性の確保や情報データの取扱いについて、望ましい在り方を検討する必要がある。

○疾患特異的 iPS 細胞活用技術拠点（仮称）の規模については、一律ではなく、機能等に応じて複数設定するなど、柔軟に検討する必要がある。

○今後は更に戦略的な iPS 細胞の樹立・収集が必要である。

\*難病の患者に対する医療等に関する法律（平成26年法律第50号）

第一条 この法律は、難病（発病の機構が明らかでなく、かつ、治療方法が確立していない希少な疾病であって、当該疾病にかかることにより長期にわたり療養を必要とするものとなるものをいう。以下同じ。）の患者に対する医療その他難病に関する施策（以下「難病の患者に対する医療等」という。）に関し必要な事項を定めることにより、難病の患者に対する良質かつ適切な医療の確保及び難病の患者の療養生活の質の維持向上を図り、もって国民保健の向上を図ることを目的とする。