

ライフサイエンスに関する 研究開発課題の中間評価結果

平成28年7月

科学技術・学術審議会
研究計画・評価分科会

目 次

○ライフサイエンス委員会 委員名簿	2
-------------------	---

<中間評価>

○再生医療実現拠点ネットワークプログラム	3
----------------------	---

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

	氏名	所属・職名
主査	永井良三	自治医科大学学長
主査代理	小幡裕一	理化学研究所バイオリソースセンター長
	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
	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編集委員
	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
	中釜 齊	国立がん研究センター研究所長
	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

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

(実施期間：平成25年度～平成34年度)

中間評価：平成27年度、平成30年度（予定）、事後評価：平成34年度（予定）

平成25年度	8,993百万円	
平成26年度	8,993百万円、調整費	3,539百万円
平成27年度	8,993百万円、調整費	960百万円
平成28年度	8,993百万円	

概要

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**をいち早く実現するための研究開発を推進。

【事前評価(平成24年)】

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。

I-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し、再生医療用iPS細胞ストックを構築

I-② 疾患・組織別実用化研究拠点

- 疾患・組織別に再生医療の実現を目指す研究体制を構築

I-③ 技術開発個別課題

- iPS細胞等の臨床応用の幅を広げる技術開発、より高度な再生医療を目指した技術開発、iPS細胞等の産業応用を目指した技術開発を実施

PS 齋藤英彦 PS代行 赤澤 智宏 PO 片倉 健男

II 再生医療の実現化ハイウェイ

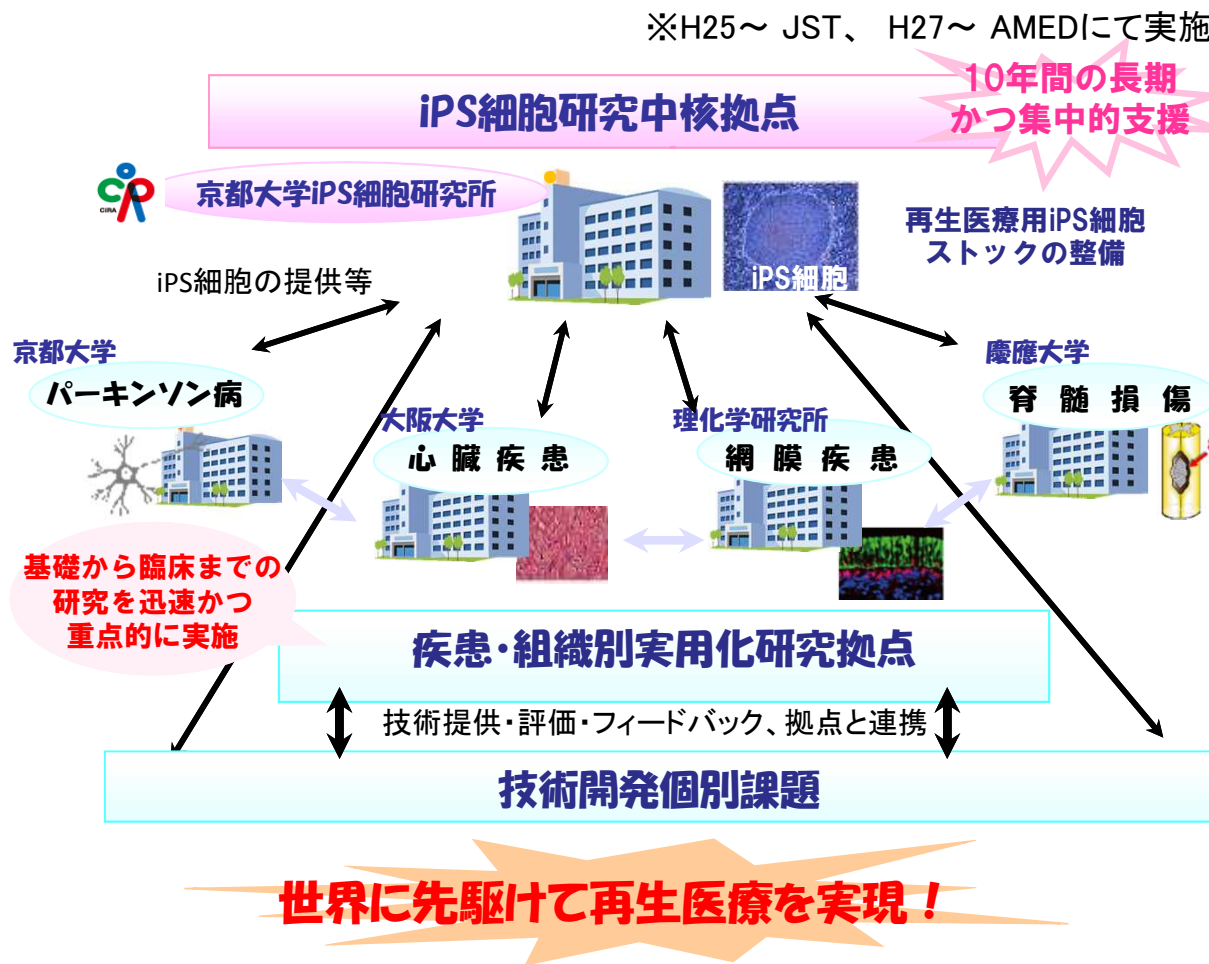
- 再生医療のいち早い実現のため、関係省庁が連続的に支援

III 疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究

- 患者由来のiPS細胞を用いて疾患発症機構の解明、創薬研究等を実施

再生医療研究のサポート体制構築

- 知財戦略、規制対応等、iPS細胞研究の支援体制を構築



再生医療実現拠点ネットワークプログラム 中間評価対象

I-① iPS細胞研究中核拠点

H25年度～H28年度 予算累計 111億円、調整費17億円

研究開発課題名	代表機関	代表研究者	分担機関
再生医療用iPS細胞ストック開発拠点	京都大学	山中 伸弥	

I-② 疾患・組織別実用化研究拠点

拠点A（5年以内の臨床応用が見込まれる分野） H25年度～H28年度 予算累計 64億円

研究開発課題名	代表機関	代表研究者	分担機関
iPS細胞由来神経前駆細胞を用いた脊髄損傷・脳梗塞の再生医療	慶應義塾大学	岡野 栄之	(独)国立病院機構大阪医療センター、大日本住友製薬(株)
視機能再生のための複合組織形成技術開発および臨床応用推進拠点	(独)理化学研究所	高橋 政代	(公財)先端医療振興財団
iPS細胞を用いた心筋再生治療創成拠点	大阪大学	澤 芳樹	
パーキンソン病、脳血管障害に対するiPS細胞由来神経細胞移植による機能再生治療法の開発	京都大学	高橋 淳	(独)理化学研究所、(公財)先端医療振興財団

拠点B（臨床応用に技術的ブレークスルーが必要な分野） H25年度～H28年度 予算累計 32億円、調整費4億円

研究開発課題名	代表機関	代表研究者	分担機関
培養腸上皮幹細胞を用いた炎症性腸疾患に対する粘膜再生治療の開発拠点	東京医科歯科大学	渡辺 守	慶應義塾大学
iPS細胞を用いた代謝性臓器の創出技術開発拠点	横浜市立大学	谷口 英樹	(独)国立成育医療研究センター、(株)クラレ、味の素(株)、積水メディカル(株)
NKT細胞再生によるがん免疫治療技術開発拠点	(独)理化学研究所	古関 明彦	千葉大学、慶應義塾大学、(独)国立病院機構本部総合研究センター
iPS細胞由来軟骨細胞を用いた軟骨疾患再生治療法の開発拠点	京都大学	妻木 範行	大阪大学、東京大学
iPS細胞を基盤とする次世代型膝移植療法の開発拠点	東京大学	宮島 篤	(独)国立国際医療研究センター、(公財)実験動物中央研究所、(株)カネカ

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 中間評価対象

I-③ 技術開発個別課題

H25年度～H28年度 予算累計 39億円、調整費11億円

研究開発課題名	代表機関	代表研究者	分担機関
難治性筋疾患に対する細胞移植治療法の開発	(独)国立精神・神経医療研究センター	武田 伸一	京都大学、大阪大学、藤田保健衛生大学、京都府立医科大学
iPS細胞を用いた新規糖尿病治療法の開発	京都大学	川口 義弥	
立体浮遊培養の再生医療への実用化のための自動化技術の開発 ※H27年度で終了	川崎重工業(株)	佐藤 理	住友ベークライト(株)、大日本住友製薬(株)、住友化学(株)
幹細胞パッケージングを用いた臓器再生技術と新規移植医療の開発	慶應義塾大学	北川 雄光	自治医科大学、東京大学
幹細胞培養用基材の開発	大阪大学	関口 清俊	(株)ニッピ
慢性腎臓病に対する再生医療開発に向けたヒトiPS細胞から機能的な腎細胞と腎組織の作製	京都大学	長船 健二	横浜市立大学、(独)医薬基盤・健康・栄養研究所
移植免疫寛容カニクイザルコロニーの確立と再生医療への応用	滋賀医科大学	小笠原 一誠	東海大学、京都大学
iPS細胞分化・がん化の量子スイッチングin vivo Theranostics	名古屋大学	馬場 嘉信	京都大学
iPS・分化細胞集団の不均質性を1細胞・全遺伝子解像度で高速に測定する技術の開発	(独)理化学研究所	二階堂 愛	
再生医療に用いるiPS細胞大量培養プラットフォームの開発	旭硝子(株)	熊谷 博道	
心機能再生を目指した特定因子による細胞変換技術開発 ※H27年度で終了	東京大学	竹内 純	京都大学
多能性幹細胞から多種類の分化細胞を、最短時間、高効率、高品質、大量、自在に生産するための基盤技術開発と産業化応用	慶應義塾大学	洪 実	
iPS細胞・体性幹細胞由来再生医療製剤の新規品質評価技術法の開発	東京医科歯科大学	森尾 友宏	(公財)かずさDNA研究所、国立医薬品食品衛生研究所
ブタ等大型動物を利用するiPS細胞技術の開発	自治医科大学	花園 豊	
再生医療用製品の大量生産に向けたヒトiPS細胞用培養装置開発	東京女子医科大学	松浦 勝久	エイブル(株)、旭化成(株)
歯・外分泌腺などの頭部外胚葉器官の上皮・間葉相互作用制御による立体形成技術の開発	(独)理化学研究所	辻 孝	(株)オーガンテクノロジーズ
再生医療のための細胞システム制御遺伝子発現リソースの構築	(独)産業技術総合研究所	五島 直樹	(一社)バイオ産業情報化コンソーシアム
ヒトiPS細胞を用いた視床下部-下垂体ホルモン産生細胞の分化誘導法と移植方法の開発	名古屋大学	須賀 英隆	藤田保健衛生大学
肝細胞移植に向けたヒトiPS細胞由来肝幹前駆細胞の維持・増殖技術の開発	大阪大学	水口 裕之	(株)リプロセル
再生医療における血管形成制御技術の開発	大阪大学	高倉 伸幸	

中間評価票

(平成 28 年 5 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. 評価結果

(1) 課題の進捗状況

○ 事業の概要

文部科学省では、平成 24 年 5 月に取りまとめられた「今後の幹細胞・再生医学研究の在り方について」を踏まえ、我が国の優位性を活かし、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、平成 25 年度より国立研究開発法人科学技術振興機構において、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（以下「本プログラム」という。）を開始した。本プログラムの開始後、再生医療については、「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づけられ、平成 26 年度からは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」において、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を統合的に連携し、一体的な運用を図っている。

○ 進捗状況評価

・ iPS 細胞研究中核拠点

iPS 細胞の臨床応用を見据えた安全性や標準化については、初期化メカニズム解明、ゲノム解析等、様々な角度から研究が進展し、動物由来原料を可及的に除いたヒト iPS 細胞の樹立・維持培養法が確立された。再生医療用 iPS 細胞ストックの構築については、再生医療用 iPS 細胞の供給が開始された

・ 疾患・組織別実用化研究拠点

国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「AMED」という。）の本プログラム研究開発課題評価委員会における中間評価で研究開発課題の進捗・成果や今後の見通し等について「優れている」と評価されたのが 4 拠点、「妥当である」と評価されたのが 5 拠点で、全て「妥当である」以上の評価をされており、再生医療の実現を目指す研究体制の構築は順調に進んでいる。

・ 技術開発個別課題

iPS 細胞等関連産業の育成、iPS 細胞等の臨床応用の幅を広げる技術開発、より高度な再生医療を目指した技術開発を実施する技術開発個別課題については、課題によって進捗にばらつきがみられるが、上記拠点と連携しつつ、細胞培養用素材の製造方法の確立、微生物検出法等の確立、内在性レトロウイルスの働きの解明、分化細胞集団の不均質性の測定法開発、下垂体等の構築に向けた研究等、着実に成果が上がっていると評価する。

以上のことから、本プログラムの中間時点における目標達成の程度及び運営状況は優れていると評価できる。

(2) 各観点の再評価

○ 各観点の再評価

【必要性に対する評価】

幹細胞を用いた再生医療は、細胞移植・組織移植により、これまで不可能であった難治性疾患の根治を目指す革新的医療技術となる可能性がある。「健康・医療戦略」等において重点化すべき研究分野となっており、現在も国民から早期の実用化が期待されている。「今後の幹細胞・再生医学研究の在り方について 改訂版」(平成27年11月11日)において、平成24年5月にとりまとめた改定前の報告書の基本的な考え方及び具体的な推進方を踏襲しつつ、幹細胞・再生医学研究の継続的かつ効率的な支援、再生医療の安全性確保、疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進、長期的視野に立った再生医療分野の人材育成・確保、国際競争力の強化に向けた戦略的な国際標準化の取組が提言されており、再生医療のいち早い実用化に向けた着実な取組の推進のために、本プログラムの「必要性」は引き続き高い。

【有効性に対する評価】

iPS 細胞研究中核拠点において、再生医療用 iPS 細胞ストックの構築については、日本人で最頻度の HLA 型の iPS 細胞の供給が開始されたことは評価できるが、平成27年10月末時点で日本人カバー率約17%と、当初目標(平成27年度末:30%程度)からは若干遅れている。

疾患・組織別の再生医療の実現を目指す研究体制の構築は順調に進んでおり、今後、臨床応用への展開が進められていくことが十分に期待できる。

iPS 細胞研究中核拠点と疾患・組織別実用化研究拠点との協力のもと、移植細胞の安全性評価法の検討も実施された。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の臨床研究について、平成26年度に第1例目の移植手術が実施された。中核拠点における安全性の確保の取組は当該臨床研究に係る審議に大きく貢献した。

事前評価における「有効性」について進捗が認められるとともに、事業開始5年程度で臨床研究へ移行することが見込まれていた重症心不全、脊髄損傷等の治療の着実な実施に向けて、今後も一層の努力が必要である。

【効率性に対する評価】

プロジェクト全体の運営については、「再生医療の実現化ハイウェイ構想」全体を理解するとともに、大局的な観点から本プログラムを俯瞰し、適切に指導・助言がなされている。進捗管理は適切であると考えられる。

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している。

さらに、AMEDにおいて、PD(プログラムディレクター)の下で厚生労働省、経済産業省の事業との事業間連携についても積極的に推進できており、再生医療の実現に向けた強固なネットワークが構築されつつあることは評価できる。

(3) 今後の研究開発の方向性

3年目時点での評価としては、プロジェクト全体の目標の達成状況及び運営状況は優れており、今後も優れた研究成果や波及効果が得られることが見込まれることから、本プログラムは継続して実施すべきである。

なお、研究開発の推進にあたり、以下の点について留意が必要である。

- ・ iPS 細胞等再生医療の安全性確保に関して、iPS 細胞研究中核拠点、疾患・組織別実用化拠点等から積極的に情報提供を行うなど、規制科学の発展にも寄与するよう取り組むこと。
- ・ 本プログラムの推進に当たって、国内外の研究動向、技術動向、政策動向等の変化に柔軟に対応できるよう、将来を見据えて機動的に事業を運営すること。臨床研究又は治験の段階では、その成績や治療コスト等、将来の実用化を見据えた対応が求められるとともに、いかなる疾患に iPS 細胞等を応用すべきなのか、先行する体性幹細胞や ES 細胞を用いた再生医療研究の動向と比較しながらあらためて検討すべきこと。
- ・ 再生医療用 iPS 細胞ストックについては、日本人に頻度の高い HLA ホモドナーより樹立された iPS 細胞がある程度整備された時点で、一旦、疾患・組織別実用化研究拠点における臨床研究又は治験の実施に注力し、その臨床的有用性が確認された後にストックの拡大を図るなど、柔軟な対応を検討すること。
- ・ 基礎・臨床両面に貢献しうる材料・部品・装置開発等の産業への派生効果も求めるうえで、他の研究分野を積極的に取り込むことも検討すること。
- ・ 中長期的に社会実装を達成できる課題も創出・推進することが重要であり、萌芽的内容の積極的な取組みに期待すること。

(4) その他