

総合科学技術・イノベーション会議が実施する  
国家的に重要な研究開発の評価

「再生医療の実現化プロジェクト」  
事後評価結果（案）

平成26年7月 日  
総合科学技術・イノベーション会議

# 「再生医療の実現化プロジェクト(文部科学省)」の事後評価結果の概要

## 事業の概要

### 事業の目的

再生医療に必要な幹細胞バンクを整備するとともに、その利用技術等を確立し、再生医療の実現を目指す

### 実施期間(予算額)

平成15年度～平成24年度 (約347億円)

### プロジェクト目標

【第Ⅰ期】平成15年度～19年度

- ①研究用ヒト幹細胞バンクの整備、
- ②幹細胞操作技術の開発、
- ③幹細胞による治療技術の開発、

【第Ⅱ期】平成20年度～24年度

(第Ⅰ期の目標に加え)

- ④ヒトiPS細胞(人工多能性幹細胞)・ES細胞を対象とした革新的操作技術の開発
- ⑤ ④を活用した再生医療(治療技術)の開発を臨床研究に移行できる直前の「前臨床研究」の段階まですすめること

## 成果等

- ノーベル賞受賞につながったヒトiPS細胞の樹立、安全なiPS細胞の効率的な樹立など、世界をリードする先進的な研究開発成果
- 網膜、角膜、心筋、血小板、神経細胞等の前臨床研究を進めるなど、再生医療の実現化への道筋に貢献
- 世界の先駆けとなる実現化に向けて、関係府省や産官学の連携によるシームレスな取組に期待。

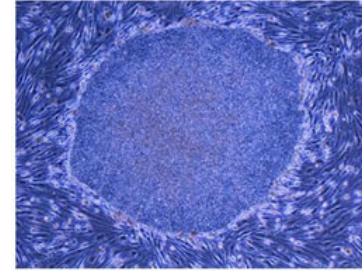
## 主な指摘事項

- 樹立方法等の標準化、安全性・有効性の評価方法の確立など、実現化に向けた残された課題。
- アカデミア、製薬企業などの利用者が利用しやすい形でのiPS細胞バンクの運用が必要。
- 臨床試験において被験者のリクルートなどをスムーズに行うための病院のネットワーク化によるサポートシステムの構築
- 知財戦略に係る専門的人材の育成 等

# 主な成果の例（基礎研究）

## ヒトiPS細胞（人工多能性幹細胞）の樹立

- ヒトの皮膚由来の細胞に4因子を導入することにより、様々な細胞へと分化することができるヒトiPS細胞の樹立に成功。
- 自己由来細胞の利用が可能となるため、拒絶反応が回避できる、倫理的問題が少ない等の利点があり、再生医療や創薬研究を発展させる画期的な成果。



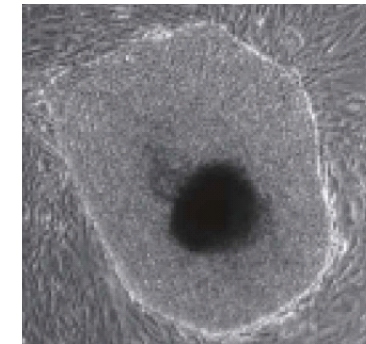
ヒトiPS細胞



京都大学  
山中伸弥教授

## Glis1による安全、効率的なiPS細胞の樹立方法を開発

- c-Myc(がん遺伝子)に替えて、Glis1(卵細胞で強く発現する転写因子)を使用した樹立方法を開発
- iPS細胞の樹立効率が向上。また、完全に初期化した細胞のみが増殖することを発見。
- iPS細胞の安全性の向上に寄与。



Glis1を用いて樹立されたiPS細胞

# iPS細胞の実用化に向けた応用研究

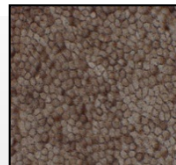
## ①再生医療への応用

現在では治療が困難な様々な疾患について、iPS細胞等から目的の細胞、組織を作製し、移植することによる治療法の開発が期待される。

<応用研究の例>

### iPS細胞による網膜変性疾患の治療法の開発

- ・iPS細胞からの網膜色素上皮細胞の作製と移植による、網膜変性疾患の治療を目指す。
- ・サルを用いた前臨床研究を実施し、安全性、有効性を検証。
- ・iPS細胞を用いた初めての臨床研究に着手。



iPS細胞由来の網膜色素上皮細胞

## ②疾患・創薬研究への応用

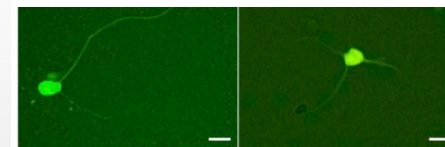
iPS細胞等の利用により、従来、困難であった難治性疾患の病態解明や、創薬への貢献が期待される。

<応用研究の例>

### iPS細胞を用いた難病ALSの原因と治療薬候補の特定

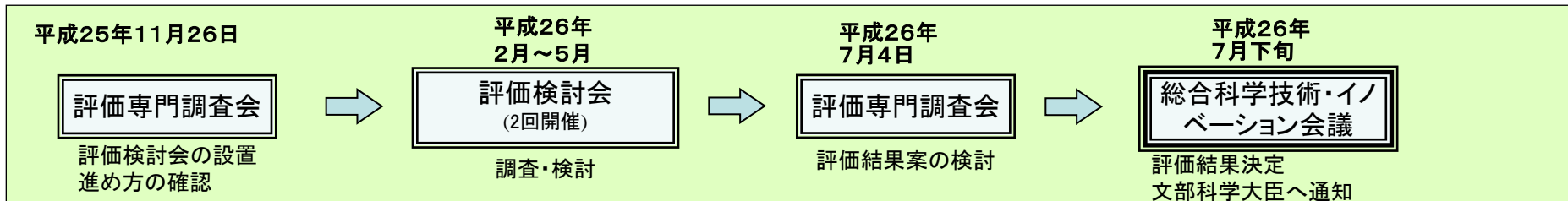
- ・3人の患者から作製したiPS細胞を用いて、難治性疾患である筋萎縮性側索硬化症(ALS)の原因の一部を解明し、治療薬の候補を特定。

健常人iPS細胞由来 ALS患者iPS細胞由来



運動ニューロンの突起長の比較

## ○ 評価経過



## ○ 評価専門調査会委員

(議員)

会長	久間 和生	総合科学技術・イノベーション会議議員
	原山 優子	同
	小谷 元子	同
	橋本 和仁	同
	平野 俊夫	同

(専門委員)

相澤 彰子	国立情報学研究所コンテンツ科学研究系教授
天野 玲子	鹿島建設株式会社知的財産部専任役
石田 東生	筑波大学システム情報系社会工学域教授
射場 英紀	トヨタ自動車株式会社電池研究部部長
上野 裕子	三菱UFJリサーチ&コンサルティング株式会社主任研究員
長我部 信行	株式会社日立製作所中央研究所所長
門永 宗之助	Intrinsics代表
河合 誠之	東京工業大学大学院理工学研究科教授
北村 隆行	京都大学大学院工学研究科教授
齋藤 修	千葉大学大学院園芸学研究科教授
白井 俊明	横河電機株式会社フェロー
竹中 章二	株式会社東芝コミュニティ・ソリューション社執行役常務待遇首席技監
玉起 美恵子	アステラス製薬株式会社研究本部研究統括部課長
西島 正弘	昭和薬科大学学長
福井 次矢	聖路加国際病院院長、京都大学名誉教授
藤垣 裕子	東京大学大学院総合文化研究科教授
松岡 厚子	独立行政法人医薬品医療機器総合機構規格基準部テクニカルエキスパート
松橋 隆治	東京大学大学院工学系研究科教授
安浦 寛人	九州大学理事・副学長

## ○ 「再生医療の実現化プロジェクト」評価検討会委員

	久間 和生	総合科学技術・イノベーション会議議員
	原山 優子	同
	平野 俊夫	同
	玉起 美恵子	評価専門調査会専門委員
座長	西島 正弘	同
	福井 次矢	同
	松岡 厚子	同
(招聘者)		
	上田 実	名古屋大学大学院医学系研究科教授
	北村 惣一郎	堺市立病院機構理事長、国立循環器病研究センター名誉総長
	高戸 毅	東京大学大学院医学系研究科教授
	中西 淳	武田薬品工業株式会社 医薬研究本部基盤技術研究所 湘南インキュベーションラボ主席部員