

i P S 細胞研究WG 第一次とりまとめ(案)

平成 20 年 6 月 25 日
総合科学技術会議
i P S 細胞研究WG

1. はじめに

2006 年に山中教授らによってマウスの体細胞に少数の遺伝子を導入することによって、すべての細胞に分化可能な人工多能性幹細胞（i P S 細胞）の作製が可能であることが示された。この知見は、これまで、脊椎動物では、核移植などの特殊な例でのみ示されていた細胞分化のリプログラミングが、わずか 4 種類の遺伝子で、哺乳類の分化した細胞においても可能であることを示した点で、生物学に大きなインパクトを与えた。

さらに、この研究は、2007 年にヒト i P S 細胞の樹立が報告されるに至り、一人一人の体細胞から i P S 細胞を作ることが可能になった。そして、i P S 細胞を再分化させ、得られた体細胞・組織を個人に戻すことにより免疫拒絶のない再生医療の実現の可能性を提示するというパラダイムシフトをもたらした。

これを受けて、i P S 細胞研究の強力な推進を図るため、総合科学技術会議に i P S 細胞研究WG が設置された。当WG はこれまで合計 9 回の会議を開催し、i P S 細胞研究の成果がもたらす医療への波及効果や新しいバイオインダストリーの進展等を含め、以下のような推進方策をまとめた。

2. i P S 細胞研究等の今後の進め方

i P S 細胞研究を進めるロードマップについては、以下のようにまとめた。この分野の研究はまだ開始間もないため、再生医療実現に向けてクリアすべき課題が多々ある。したがって、基礎研究と再生医療の実現に向けた研究を同時並行的に強化して行く必要がある。また、i P S 細胞を利用することにより、多くの種類の細胞を作製することができ、疾患病態解明・創薬研究が大きく加速される可能性があるため、i P S 細胞を利用した疾患病態解明・創薬研究を推進する。

なお、今後の i P S 細胞研究に必要と考えられる研究課題の詳細については、別添にとりまとめた。

(1) 基礎研究

iPS細胞が樹立されるメカニズムには、いまだ未知の要素が多数含まれており、また、このメカニズムの解明は、iPS細胞樹立法の改良や、応用研究に向けた細胞分化誘導法の開発にとってもきわめて重要であるので、今後とも多方面からの解析を進める。

(2) 再生医療の実現に向けた研究

①腫瘍化の危険性のないiPS細胞の樹立

腫瘍化の危険性がないiPS細胞を樹立することが重要であり、iPS細胞樹立方法の改良研究を進める。また、腫瘍化の危険性に関する安全性評価方法の開発を進める。

② 再生医療の臨床研究

- ・ iPS細胞を目的とする細胞・組織に分化誘導する技術開発研究を進める。また、分化誘導して得た目的細胞の特性、品質や純度を確認する技術の開発研究を進める。

このような安全性評価法の開発や品質管理法の確立に関するレギュラトリーサイエンス研究の成果を踏まえて、iPS細胞及び目的細胞・組織の特性や適応疾患ごとの特徴を十分に考慮して安全性・有効性を確認して、臨床研究を進める。

- ・ iPS細胞の再生医療研究の効率的推進のため、ES細胞や体性幹細胞研究も並行して進め、そこで得られた分化誘導技術や目的細胞の分離技術等をiPS細胞研究の促進に利用することが肝要である。
- ・ 安全性が担保されたiPS細胞が得られる状況になれば、iPS細胞を用いたセミオーダーメイド再生医療を実現するため、iPS細胞の公的な細胞バンクを設立する
- ・ 薬物治療、外科手術などの既存の治療方法との比較を行い、有効性、安全性及びコストを踏まえて、対象疾患を絞って臨床研究を進める。

(3) iPS細胞を利用した疾患・創薬研究

①疾患病態解明に向けた研究

患者由来のiPS細胞を作製し、疾患に関係する細胞へと分化させ、疾患の病態解明さらに治療法開発に役立てる研究を推進する。得られた患者由

来の i P S 細胞の遺伝子多型や DNA 塩基配列決定と組み合わせることにより、疾患病態を効率的に解析する研究を進める。

②創薬を含む医学・薬学・工学の応用に向けた研究

i P S 細胞を用いた疾病モデル細胞や生体機能発現細胞を作製し、薬剤の有効性評価系の開発により、特異的かつ効果的な創薬を推進する。医薬品の有効性・毒性評価系については、薬事申請への活用が可能な試験方法として確立するために、開発段階から、規制当局との情報交換・意見交換が重要であり、i P S 細胞利用研究の成果を規制研究に利用するとともに、規制研究の考え方を踏まえて、i P S 細胞利用研究を進める。

関連機器開発に関しては、我が国の国際的な競争力を育成するため、及び、i P S 細胞をはじめとした幹細胞の研究を推進するため、i P S 細胞の大量培養装置や特異的な目的細胞分離装置等の関連する研究機器の開発研究を進める。

3. i P S 細胞研究を促進する体制

(1) i P S 細胞研究者層の拡大と i P S 細胞の迅速な配付

i P S 細胞研究を促進するためには、我が国全体の i P S 細胞研究者層の拡大が急務である。従って、i P S 細胞を樹立・維持している京都大学から、i P S 細胞が広く迅速に配付されることが不可欠である。

従って、京都大学は、理化学研究所等の公的機関と連携し、知的財産権に配慮しつつ、速やかに i P S 細胞の提供を進めるべきであり、研究材料提供契約 (MTA: Material Transfer Agreement) などのルールも i P S 細胞が広く使われることを促進する内容とすべきである。特に、民間企業へのヒト i P S 細胞の配付は、「ライフサイエンス分野におけるリサーチツール特許の使用の円滑化に関する指針」(総合科学技術会議、平成 19 年 3 月 1 日決定) を適用して、広く利用されるようにすることを第一に優先し、迅速に配付すべきである。

(2) 包括的な研究組織の立ち上げ

平成 20 年 4 月、大学及び理化学研究所並びに各省庁の研究機関を含む i P S 細胞等研究ネットワークが立ち上げられた。このネットワークを現時

点での包括的な研究組織として、研究の進展とともに参加機関を増やし、発展・進化させていくことが期待される。

なお、包括的な研究組織内における有機的な連携や、情報交換を積極的に促進すると同時に、包括的な研究組織は、常に外部に開かれたものとして、排他的なものとならぬよう、留意すべきである。

また、包括的な研究組織において、京都大学 i P S 細胞研究センターは、理化学研究所、慶應義塾大学及び東京大学と連携して、研究の実施のみならず、技術的指導、施設・設備の供用、社会への情報発信等研究推進に関しても、中核的な拠点として我が国の主導的役割を果たすことが求められる。

また、地理的に近接している研究拠点は共通の研究目標を設定し、その下で研究を実施する主任研究者 (Principal Investigator) に対して相互の身分を与え、研究者が相互の研究施設を自由に使用可能とするなど、機関や制度の壁を越え、一つの研究組織であるかのように融合するなど、総力を結集して研究を実施するための工夫をする必要がある。また、外部研究者にも交流の場を提供することは有効である。

4. i P S 細胞研究に対する国の支援の在り方

(1) 中核的な拠点の整備

i P S 細胞研究の中核的な拠点には、国際的に遜色のない優れた研究環境を実現するため、研究費、施設・基盤整備費を含めて、必要な支援を行う。

(2) 研究の推進への支援

各省は、本年度、i P S 細胞研究に関する研究予算を大幅に増額している。また、「革新的技術戦略」(総合科学技術会議、平成20年5月19日決定)の中でも、重点的に推進すべき「革新的技術」としてi P S 細胞研究関連の2つの技術が挙げられており、平成21年度においても、引き続き強力で研究を推進する必要がある。

このような研究資金については、府省の縦割りを排し、有機的な連携の下に、ここで掲げられたロードマップに従って、活用されることが必要である。

(3) スーパー特区制度の活用

i P S細胞研究は、先端医療特区制度の対象研究分野となっている。平成20年度に開始される先端医療開発特区制度に基づき、研究資金の統合的、効率的運用、開発段階からの規制当局と協議、特許審査の早期審査を行い、研究開発の加速に努める。

(4) 制度的な対応

研究の進展・進捗に合わせ、迅速にi P S細胞を用いた臨床応用に関して指針、基準等の整備を実施する必要がある。i P S細胞研究加速に欠かせないES細胞研究を促進するためには、ES細胞の分化誘導研究などの使用研究の際の手続きを緩和すべきとの要望があり、それを受けて、生命倫理専門調査会で検討を開始したところである。

また、同様に、ES細胞の臨床応用についても、指針、基準等の検討・整備が必要であり、検討を開始することとされている。

(5) 産業化に向けた起業支援

再生医療等の革新的な医療技術の産業化に当たっては、バイオベンチャーが重要な担い手となるため、革新的創薬等のための官民対話の下に設置されているベンチャーWG等を活用して、バイオベンチャーの取り組みを積極的に支援する。今後、創設が予定されている「イノベーション創造機構」(仮称)等を活用し、企業、業種、大学の壁を越えた新たなビジネスモデル創造を支援する。

5. 知的財産戦略

(1) 知的財産の迅速な取得

激しい国際知的財産獲得競争を勝ち抜くために、日本国内のみならず海外も含めた戦略的な特許出願及び取得を最速で行い、知的財産権を確保するために国としても迅速かつ強力な支援を行う。

(2) 知的財産権の戦略的な管理・運用

- ・ 公的研究費を用いて、今後発生する i P S 細胞研究関連の知的財産権を、効果的に社会に還元するために、知的財産権を戦略的に確保、管理・活用する体制を早急に構築すべきである。京都大学では、すでに有限責任中間法人 i P S ホールディングスが創設され、近々、そのガバナンスの下に動く知的財産管理・活用会社が設立される予定である。しかし、より広範で統合的な組織の方が、カバーする範囲が広く、かつ、運用において効率的であることから、知的財産管理・活用会社（仮称）は、国内のすべての大学や研究機関及び製薬企業や医療機器企業などの民間企業も参加・利用できるように開かれたものになるべきである。
- ・ その際、参加研究機関は、公費で得られた知的財産については、各機関の利益のみを優先することなく、最大限協力すべきである。
また、公的研究資金で得られた知的財産権は、情報提供により、実施中の研究が競争面で不利になる場合などを除き、データベース化等により、実用化に向けて、情報提供すべきである。
- ・ なお、より戦略的な見地から、海外において得られた研究成果についても、必要に応じてライセンス導入するなど、外部リソースの積極的な活用も視野に入れるべきである。

(3) 先端医療関連技術の知財保護のあり方の検討

i P S 細胞関連技術を含めた先端医療関連技術に対する知的財産保護のあり方については、知的財産戦略専門調査会で検討され、知的財産戦略（総合科学技術会議、平成20年5月19日決定）に盛り込まれた。それを受けて、知的財産戦略本部がとりまとめた「知的財産推進計画2008」（平成20年6月18日決定）には、内閣官房、内閣府、厚生労働省、経済産業省、関係府省において、「医療分野に広く応用可能で国際的な研究開発競争や知的財産取得競争が激化している i P S 細胞関連技術を含む先端医療分野における適切な知的財産保護の在り方について、2008年度から直ちに検討を開始し、2005年4月に改訂された特許審査基準の運営状況及び先端医療分野の技術の特許保護に関する国際的な議論の動向も踏まえ、早急に結論を得る。」こととなっている。

6. 国際協力の在り方

このiPS細胞研究の目標は、最終的には、医療に活かして多くの人々の健康に貢献することである。そのためには、世界中の研究者が、競争を通じて、よりよい成果を目指すとともに、協力して新たな課題に挑戦することも必要となると考えられる。

例えば、疾患iPS細胞研究などでは、国際ヒトゲノム計画、イネゲノム計画のように、より多くの疾患を早期にカバーするような国際分業体制も今後の研究の進展に合わせて検討すべきである。

7. おわりに

iPS細胞研究は、日本が世界に誇る画期的な成果であるが、海外との競争は激化している。この日本発の優れた成果を更に発展させ、国民生活の向上に結びつけるためには、研究を進めやすい環境作り（研究費、研究環境、体制、制度、知的財産権）が不可欠である。

今後、この研究成果の更なる発展は、我が国の研究政策にとっての試金石とも言える。総合科学技術会議としては、引き続き、この研究を支援し、必要な措置を講じていく。