

- ・また、科学技術関係予算とは直結しないシステム改革（規制改革、特区の活用等）については、資源配分方針に基づく優先度判定の結果が及ばなかったなど、そもそも総合科学技術会議の持つ権限では規制改革や特区の活用までを構想に含む本格的なプロジェクトは困難であったとも考えられる。プロジェクト推進においても、システム改革や標準化は、研究開発や実証・実装が進捗しないと着手しにくい面があり、必ずしも十分進まなかったものもある。今後、同様のプロジェクトの推進に当たっては規制改革会議や特区担当部署との連携を強化し、一体となってプロジェクトの企画立案・推進を行うとともに、総合科学技術会議としては技術進歩で規制が不要になっている等、より建設的な提案に心掛ける必要がある。
- ・社会還元加速プロジェクトでは、府省から複数エントリーされた施策から、社会実装につながる相対的に高いレベルの技術に集約された。今後実施されるプロジェクトにおいては、こうした進行管理によって、課題達成に向けた取組を重点化していくことが重要である。同時に、プロジェクトリーダーを中心に、社会ニーズに合致した明確な目標の達成に向けて、参加者が継続的にコミットしていることなど、俯瞰的・横串的に取組の進捗を把握し、必要に応じて軌道修正を図るなどの総合調整機能が有効に働く体制が必要である。また、このような総合調整機能が組織改廃等の事情に左右されることなく持続的に担保される仕組みを構築することが重要である。

（３）今後の取組

- ・社会還元加速プロジェクトを司令塔となって推進してきた総合科学技術会議は、今後、以上の実績と教訓を踏まえた取組を行っていくこととする。社会還元加速プロジェクトを含む長期戦略指針「イノベーション25」をフォローアップし策定した「科学技術イノベーション総合戦略（平成25年6月7日閣議決定）（以下、「総合戦略」という。）」においても、こうした取組が掲げられている。また、各府省が実施する他の科学技術イノベーションに関するプロジェクトにおいても、社会還元加速プロジェクトで得られた教訓等を踏まえた今後の取組を行っていくべきである。
- ・総合科学技術会議としては、他の司令塔機能（日本経済再生本部、規制改革会議等）との連携強化、府省間の縦割り排除、産学官の連携強化、基礎研究から出口までの迅速化のためのつなぎ等に、自らがより直接的に行動していく。また、総合科学技術会議は、今後、基礎研究から出口までを包含した取組又は各段階での取組を強化し、イノベーションを国全体として増大させ、「世界で最もイノベーションに適した国」の実現に向けて、積極的にコミットしなければならない。

総合戦略に基づき、我が国の科学技術イノベーション政策の司令塔として従来の延長でない強力な措置が必要であり、予算措置や法律改正等の措置を行う

とともに、運営改善により強化できるものは即時に取り組むべきとの認識の下、早急に、科学技術関係予算編成の主導、総合科学技術会議の事務局体制の強化、総合科学技術会議の活性化に向けた取組を行っていく。中でも、総合科学技術会議の司令塔機能強化の重要な柱となっている、「鍵となる技術の開発等の重要課題の解決のための取組に対して、府省の枠にとらわれず、総合科学技術会議が自ら重点的に予算を配分する新たなプログラム（「戦略的イノベーション創造プログラム（仮称）」）」は、社会還元加速プロジェクトと同様に総合科学技術会議が司令塔となって進めていく。

- ・ さらに、社会還元加速プロジェクトで推進した6つの個別のプロジェクト成果に関しても、その成果が今後活用され、実用化、事業化の実現を通して社会への還元が加速されるよう、今後も各府省を含む関係者が取組を進めていくべきである。

3. 各プロジェクトの成果

6つの社会還元加速プロジェクトについて、各タスクフォースが取りまとめた成果報告は、以下のとおりである。

社会還元加速プロジェクト

【1】「失われた人体機能を再生する医療の実現」

1 当初計画

1. 1 概要

失われた組織・器官・機能等を、細胞・組織等を移植等することで回復させる最新の医療を、日本において諸外国に先駆けて受けられるようにするため、再生医療研究のうち、実用化段階に近い領域については、社会還元加速プロジェクト開始から5年以内のなるべく早期に臨床研究から実用化（商品化、高度医療により、実際の臨床に供される状況。）にいたることを目指す。その他の領域についても、同じく5年以内にこれらの研究シーズの多くを、臨床研究が実施できる段階（前臨床試験の終了）又は臨床研究実施段階にまで進め、より多くの研究シーズの有効性を実証することを目指す。

これとともに、システム改革として、レギュラトリーサイエンス研究及びその周辺研究を進め、その成果により、臨床研究を実施する際に必要なガイドライン・指針等の整備を進める。

これらにより、外傷・疾病等で失われた人体機能を再生する医療の実用化を加速する。

(参考) 施策一覧

省庁	施策名	施策の概要
文部科学省	再生医療の実現化プロジェクト	細胞移植・細胞治療等によってこれまでの医療を根本的に変革する可能性を有する再生医療について、必要な幹細胞操作技術等を世界に先駆け確立し、その実用化を目指す。
厚生労働省	食品医薬品等リスク分析研究(医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス総合研究)	再生医学、ファーマコゲノミクス等、新たな知見に基づく評価も含め、医薬品や医療機器等の安全性、有効性及び品質の評価などを政策的に実行するために必要な規制(レギュレーション)を整備するための研究、特に、細胞・組織利用製品の安全性評価基準、ガイドラインの策定などを行う。
厚生労働省	再生医療実用化研究事業	実用化段階に近い「組織構築型心筋再生による重症心不全治療」を臨床研究として実施に移すべく、前臨床試験、非臨床試験に加え、プロトコルの作成を中心とした研究整備を行う。
経済産業省	再生医療評価研究開発事業	再生医療の効率的な実用化を図るため、細胞組織や再生臓器そのものの培養技術の開発とともに、培養プロセスを評価しながら適切に管理する技術を開発する。具体的には(1)再生評価技術開発、(2)心筋再生治療研究開発を行う。(平成21年度で終了)
経済産業省	基礎研究から臨床研究への橋渡し促進技術開発	現場のニーズを掘り起こし多様な技術分野の研究成果を円滑に医療現場に届け、患者のQOLや医療従事者の負担軽減に資する技術の汎用化を実現する新たな医療技術・システムを開発する。再生

		医療、創薬、医療機器、診断技術の分野で、ベンチャー等民間企業と臨床研究機関が連携して技術開発を行う。(平成 22 年度で終了)
--	--	---

1. 2 目標

(1) 目指すべき社会との関係

現在のところ、失われた組織・器官・機能等の回復には、医療機器等の埋め込みや臓器移植による治療等が行われているが、医療機器については、その生体親和性や永続性、回復した患者のQOL等の課題があり、また、臓器移植については、多くの患者が移植を待っている現状があり、そのような現状や課題を解決する手段として、再生医療の実用化が望まれている。

このため、再生医療を諸外国に先駆けて日本で受けることができる社会の実現に向けて、今後、再生医療が健康寿命の延伸やQOLの向上にどの程度つながるか科学的検証を適切に行いつつ、再生医療の実用化とそれを加速するための社会システム（例えば、再生医療の安全性の確認、事故に対する補償のあり方等）の改革を着実に進めて行くことも必要となる。本プロジェクトにおいては、そのための第一段階として、再生医療分野の個別領域に関し、①実用化段階に近い領域については、社会還元加速プロジェクトの開始から5年以内のなるべく早期に臨床研究から実用化にいたることを目指し、②その他の領域についても、5年以内にこれらの研究シーズの多くを、臨床研究が実施できる段階（前臨床試験の終了）又は臨床研究実施段階にまで進め、より多くの研究シーズの有効性を実証することを目指す。

一方で、国民が再生医療研究の成果を真に実感できるよう、短期的なビジョンにとらわれることなく、長期的視点に立った社会還元のためのプログラムに取り組み、継続的に成果が得られていくことが望まれる。そのためには、幹細胞操作技術等の再生医療の基盤となる技術や新規技術の研究開発も促進していく。

これらにより、社会還元加速プロジェクトの開始から5年以内に実用化や臨床研究の実施を目指し、再生医療技術の安全性や有効性を検証するとともに、制度面も含め、普及方策の検討を行うことで、実際に再生医療を社会に定着させていく。

(2) 社会還元加速プロジェクト終了時（5年後）までの目標

体性幹細胞等を用いた技術の確立を通して、5年以内にヒト由来の再生医療の主要領域（眼・皮膚、骨・軟骨、心筋・血管、造血系・血球系、脊髄・神経、

肝臓・膵臓（膵β細胞、肝細胞）のうち、眼（角膜）・皮膚、骨・軟骨、造血系・血球系等の既に実用化段階に近づいている領域については実用化を目指す。また、その他の領域についても、各分野における技術的課題を克服していくことにより、5年以内に前臨床研究の終了～臨床研究の段階へ移行することを目指し、研究を推進する。

さらに、患者の様々な細胞から未分化幹細胞等へ転換する技術やES細胞等の多能性幹細胞より各細胞を作製し組織及び機能を再生する技術を確立する研究等を通じて、前臨床研究の段階へ移行することを目指す。

1. 3 プロジェクト実施スケジュール

研究・技術要素	2008年度	2009年度	2010年度	2011年度	2012年度～(実証研究)	目 標	
実証研究の実施に向けた取組み	眼・皮膚領域	ヒトiPS細胞等を用いた角膜・網膜細胞の移植について前臨床研究を推進【文部科学省】					事故・病気・老化等により失われた組織・器官・機能等を再生する医療の実現により、国民の健康寿命の延伸やQOLの向上に貢献
	骨・軟骨領域	GMP基準細胞培養ロボットシステムの開発【経済産業省】	細胞培養ロボットシステムの実用化【経済産業省】	細胞培養ロボットシステムで培養した軟骨細胞を用いて関節軟骨再生臨床試験の開始【経済産業省】			
	心筋・血管領域	組織構築型心筋再生技術の臨床応用【厚生労働省】					
	造血系・血球系領域	ヒトiPS細胞等を用いた心筋・血管の移植について前臨床研究を推進【文部科学省】					
	脊髄・神経系領域	ヒトiPS細胞等を用いた神経前駆細胞等の移植について前臨床研究を推進【文部科学省】					
	膵β細胞、肝細胞領域	間葉系幹細胞の染色体異常の解析等による品質検証 間葉系幹細胞の最適な分化・誘導法の開発【経済産業省】		間葉系幹細胞の品質管理技術の確立【経済産業省】			
				分化させた肝細胞・膵β細胞を用いた臨床試験開始【経済産業省】(プロジェクト後)			
		ヒトiPS細胞等を用いた膵β細胞の移植について前臨床研究を推進【文部科学省】					
	共通領域(基礎研究)	幹細胞研究の加速(幹細胞の本態の解明、高次組織・臓器の再構築系開発、幹細胞樹立システム確立等) 治療技術の開発(目的の細胞を分化誘導する方法が確立されている場合の前臨床研究等) 操作技術の開発(高効率の分化誘導技術開発、純化技術開発や遺伝子修復療法開発等) 幹細胞(膵膵島等)を広く提供できる体制の整備・構築の推進【文部科学省】					
	評価・管理技術の構築に向けた研究	眼・皮膚領域	角膜上皮幹細胞疲弊症の治療に資する細胞シート中の幹細胞の量・上皮細胞への分化度を計測評価する技術を確立し、当該評価技術の標準化へ向けJIS等へ提案【経済産業省】	安全性評価手法又は指標確立に資するデータとまとめ【経済産業省】			
骨・軟骨領域		種々培養法における細胞の核型解析各種ウイルス等の安全性評価に資する試験を実施【経済産業省】					
心筋・血管領域		培養軟骨組織の力学的成熟度と構造を計測評価する技術、間葉系幹細胞から分化した骨芽細胞による骨基質形成量を計測評価する技術を確立し、当該評価技術の標準化へ向けJIS等へ提案【経済産業省】					
膵β細胞、肝細胞領域		細胞シートの純度及び分化度を計測評価する技術を確立し、当該評価技術の標準化へ向けJIS等へ提案【経済産業省】	間葉系幹細胞の最適な分化誘導法開発 間葉系幹細胞の染色体異常の解析等による品質検証【経済産業省】(再掲)	間葉系幹細胞の心血管への分化誘導技術の開発【経済産業省】	間葉系幹細胞の品質管理技術の確立【経済産業省】(再掲)		
共通領域(基礎研究)		間葉系幹細胞の細胞表面特性、細胞増殖活性、細胞変異に関する計測評価技術を確立し、当該評価技術の標準化へ向けJIS等へ提案【経済産業省】					
システム改革	相談、研究成果情報の提供等による連携【文部科学省、厚生労働省、経済産業省】						
品質・安全性等の確保のための科学的評価基準の確立	安全性、有効性の確保を前提に事業化促進に適した、より具体的な評価の考え方の明確化(例)組織分化の確認指標、未分化細胞を取り扱う観点からの安全性評価項目等【厚生労働省】		再生医療の品質・安全性等の確保のために必要な基準等のあり方等について適宜検討【厚生労働省】				
医薬品・医療機器の承認審査の迅速化等	薬事法に基づく承認審査・治験前確認等の着実な実施【厚生労働省】						
臨床研究を推進するための制度的枠組みの整備	審査・相談体制の充実に必要な措置の検討・実施【厚生労働省】						
留意事項(研究資金の特例等関係)	「臨床研究に関する倫理指針」の改正等の制度的枠組みの整備【厚生労働省】						
	研究資金の特例や規制当局との並行協議等を実施可能とする「先端医療開発特区」の枠組みについて、現在別途検討が進められており、今後これの活用も視野に入れ、再生医療研究の推進を図る。						

2 成果

関係各省において、それぞれ目標とする実証研究の実施に向けた研究を推進し、次のような段階に進んでいる。

体性幹細胞等を用いた技術の確立を通じて、プロジェクト開始から5年以内に実用化を目指すこととしていた眼・皮膚、骨・軟骨、造血系・血球系のうち、眼・皮膚、骨・軟骨についてはこれまで以上の臨床研究の進展が見られた。その他の領域についても、各分野の技術的課題に取り組み、概ねロードマップに示された期待に沿って進展しつつある。

(1) 実証研究の実施に向けた取組

[眼・皮膚領域]

- ・角膜自家移植法の開発に向けて、ヒトiPS細胞から角膜上皮細胞、角膜内皮細胞を分化誘導し、中動物を用いて安全性及び有効性を確認した。
- ・加齢黄斑変性症の治療法の開発に向け、iPS細胞から分化誘導させた網膜色素上皮細胞について、サルを用いた前臨床試験が完了した。加齢黄斑変性症の患者に対する臨床研究計画が（独）理化学研究所及び先端医療振興財団の機関内倫理委員会で承認され、現在、「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」（平成22年厚生労働省告示第380号）に基づき、厚生労働省において慎重に審査されているところである。

[骨・軟骨領域]

- ・再生細胞シートの培養システムを開発し、軟骨培養評価を行うとともに、大量培養への拡張性を有するシステムを構築し、基本性能の確認を行った。また、骨髄間葉系細胞培養に関して、「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」に基づく申請に向け、必要な試験を行う等準備を実施した。
- ・iPS細胞から軟骨への分化誘導系の確立を目指して、iPS細胞から軟骨への分化誘導に応答するシグナルに活性化をもたらす外的刺激について検討を行った。また、軟骨欠損動物モデルを用いた細胞デリバリーシステムの最適化を目指し、活性化をもたらす外的刺激移植後の生体内機能評価系について検討を行った。ヒトiPS細胞から軟骨細胞の作製に成功し、これをマウスに移植して長期的な生着を確認した。

[心筋・血管領域]

- ・重症心不全患者に対して、ヒト心臓幹細胞と幹細胞増殖因子（bFGF）の

ハイブリッド自家移植療法の第 I 相臨床研究（3 症例）を実施した。これに関しては、移植された幹細胞の生着は未確認であるが、有害事象は認められないことを確認した。

- ・成人重症心不全患者に対して、骨格筋筋芽細胞シート移植の安全性を確認するための臨床研究を実施し（合計 14 症例）、安全性を確認した。また、一部の対象疾患については治験を開始した。
- ・心筋組織の欠損部を補てんする治療法の開発に向けて、血管網を有する厚い心筋組織（バイオ心筋）を作製し、動物の左心駆出率を回復させることを確認した。
- ・ i P S 細胞由来の心筋細胞の大量培養技術の開発を実施するとともに、純化方法を開発した。また、マウス等を用いた前臨床研究を実施し、安全性及び有効性を確認した。
- ・ヒト i P S 細胞から作製した心筋細胞シートをブタに移植し、長期的に生着すること、心機能改善効果があることを示した。また、移植後もレシピエントの心臓と電氣的に連動することを小動物を用いて明らかにした。

[造血系・血球系領域]

- ・代替血液作製に向けて、ヒト i P S 細胞から巨核球を分化誘導し、血小板を産生させる培養技術を開発し、臨床応用に向けた培養技術開発を実施した。持続的な血小板の産生に向けて、不死化巨核球細胞株をヒト i P S 細胞から作製することに成功するとともに、それから作製した血小板について、マウスへの移植実験により止血機能を持つことを確認した。
- ・造血幹細胞移植法の開発に向けて、造血幹細胞の未分化維持培養法等の検討を行うとともに、i P S 細胞由来の造血幹細胞が機能的な赤血球、肥満細胞及び T リンパ球へ分化できることを検証した。また、ヒト i P S 細胞から複数の赤芽球細胞株を樹立することに成功し、一部の株については、赤血球の直前まで分化させることに成功した。

[脊髄・神経系領域]

- ・脊髄損傷の治療法の開発に向けて、i P S 細胞由来の神経幹細胞を作製し、マーモセットを用いて前臨床研究を実施した。ヒト i P S 細胞から作製した神経前駆細胞をマウス脊髄損傷モデルに移植し有効性を確認したことに加え、移植 i P S 細胞由来の神経前駆細胞の選択的除去法を確立した。
- ・パーキンソン病の治療法の開発に向けて、i P S 細胞由来のドパミン神経細胞の機能を評価した。また、ヒト i P S 細胞から作製したドパミン神経細胞がサルの大脳皮質に生着することを確認した。

[膵β細胞、肝細胞領域]

- ・膵β細胞の移植治療法の開発に向けて、ヒトiPS細胞から膵島を分化誘導する方法や現時点では最適と考えられる培養条件等について検討を実施しつつある。
- ・ヒト間葉系幹細胞においてWnt/ β -catenin経路を低分子化合物により抑制することで肝細胞を分化誘導する方法の開発等を実施した。また、ヒト間葉系幹細胞から作製した幹細胞シートをマウスに移植し、急性肝障害への効果を確認したことに加え、慢性肝障害モデルマウスに移植し、効果を検証した。
- ・ヒトiPS細胞を用いて、本来膵臓が産生するインスリン、グルカゴン等のホルモンを分泌しうる機能的な膵島の作製に成功し、これを糖尿病マウスモデルに移植し、その効果を検証した。

[共通領域]

- ・iPS細胞等研究拠点を設け、iPS細胞の安全性評価技術や幹細胞操作技術等の基盤研究を実施した。
- ・iPS細胞技術プラットフォームを構築し、細胞の標準化、疾患特異的iPS細胞の樹立・提供を実施した。
- ・iPS細胞を研究者へ供給するバンクの構築を推進した。
- ・文部科学省iPS細胞等研究ネットワークを活用して、知的財産戦略や管理・活用体制の強化等を支援した。

(2) 評価・管理技術の構築に向けた研究

[眼・皮膚領域]

- ・培養角膜上皮細胞シートに必要な評価項目を設定し、評価法を開発した。

[骨・軟骨領域]

- ・間葉系細胞の培養に関する安全性評価ガイドライン案を作成した。
- ・培養軟骨組織の性状判定、移植後の構造判定技術を開発し、標準化を進めた。

[心筋・血管領域]

- ・筋芽細胞の純度測定法を開発した。また、筋芽細胞シート移植における標準プロトコールを作成した。
- ・間葉系幹細胞を効率的に心筋へ分化誘導する方法を確立した。