

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」  
の事後評価結果(案)

平成 26 年 7 月 17 日

総合科学技術・イノベーション会議

## 目次

	(頁)
1. はじめに.....	1
2. 評価の実施方法.....	2
2. 1. 評価対象.....	2
2. 2. 総合科学技術会議による事前評価等の実施.....	2
2. 3. 評価目的.....	3
2. 4. 評価方法.....	3
3. 評価結果.....	4
3. 1. 研究開発成果と目標の達成状況等.....	4
3. 2. 科学技術的、社会経済的、国際的な効果.....	10
3. 3. 研究開発マネジメントの実施状況等.....	11
3. 4. まとめ.....	13
参考資料.....	15

## 1. はじめに

総合科学技術・イノベーション会議は、内閣府設置法の規定に基づき国家的に重要な研究開発について評価を行うこととされており、その実施に関しては、「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について」(平成 17 年 10 月 18 日 総合科学技術会議決定、平成 26 年 5 月 23 日 一部改正)(以下、「評価に関する本会議決定」という。)を定めている。この「評価に関する本会議決定」において、事前評価を実施した研究開発が終了した翌年度に事後評価を実施することとしている。また、評価に当たっては、「評価に関する本会議決定」に従い、あらかじめ評価専門調査会が、専門家・有識者の参加を得て、府省における評価の結果も参考に調査検討を行い、総合科学技術・イノベーション会議はその報告を受けて結果のとりまとめを行うこととしている。

「再生医療の実現化プロジェクト」は、文部科学省が平成 15 年度から実施した研究開発で、総合科学技術会議は平成 14 年 12 月に事前評価を実施した。その評価の結論は、実施課題・プロジェクト期間の再考、他省庁との積極的な連携等に関する指摘事項を踏まえて、研究開発を実施することが適当であるとした。

当該研究開発は、平成 15 年度から実施し、平成 24 年度に終了したことから、今般、総合科学技術・イノベーション会議においてその事後評価を実施した。総合科学技術・イノベーション会議では、評価専門調査会において当該研究開発に関係する分野の専門家・有識者の参加を得て実施した調査検討の結果を踏まえて評価を行い、その結果をここにとりまとめた。

総合科学技術・イノベーション会議は、本評価結果を公表するとともに、文部科学大臣に通知し、利用研究の推進等、本評価結果の施策への反映を求めることとする。

## 2. 評価の実施方法

### 2. 1. 評価対象

- 名称：『再生医療の実現化プロジェクト』
- 実施府省：文部科学省
- 実施期間：平成 15 年度から平成 24 年度までの 10 年間
- 予算額：国費総額は、約 347 億円
- 事業計画内容：「再生医療の実現化プロジェクト」は、従来の治療法を革新する可能性を秘める再生医療について、先進諸国の多くが取り組みを強化し競争が激化している中で、多くの科学技術的知見を蓄積し高い潜在能力を有している我が国の本分野における研究開発を積極的に推進し、国際的に主導的な役割を果たすとともに、その実用化を目指すものである。具体的には、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ものである。
- 実施研究機関：京都大学、慶応義塾大学、東京大学、独立行政法人理化学研究所 ほか

### 2. 2. 総合科学技術会議による事前評価等の実施

総合科学技術会議は、平成 14 年 12 月に事前評価を行い、本プロジェクトにより、再生医療研究に不可欠なヒト幹細胞を各種研究へ供給する体制が整備され、また、生物の分化・増殖機構の解明につながる重要な発見がもたらされ、さらに、細胞治療の臨床研究のための基盤技術が整い、国内の再生医療研究が大きく推進することが期待されるとして、3 つの指摘事項[①ヒト幹細胞バンクの整備の在り方、②細胞治療とハイブリッド人工臓器、③プロジェクト期間]及び4つの留意点[①薬事規制等への対応、②知的財産権について、③制度面・社会面への対応、④推進委員

会・評価委員会の在り方]を付して、実施することが適当とした。

また、プロジェクト開始 2 年目(平成 16 年 8 月)に、評価専門調査会が事前評価のフォローアップを実施した。概ね指摘事項ならびに留意点に沿った対応が図られていると判断したが、厚生労働省との連携の推進、計画変更の妥当性の検討も含めた中間評価、知的財産権の戦略的活用策の早期策定、倫理的・法的・社会的研究(ELSI 研究)や広報活動の推進に関して、今後も対応が必要であると指摘した。

### 2. 3. 評価目的

総合科学技術・イノベーション会議は、事前評価の結果やそのフォローアップの結果等を踏まえた実施状況等を検証し、その結果を公表することにより総合科学技術・イノベーション会議としての説明責任を果たすとともに、担当省等による当該研究開発成果の施策への活用や、次の段階の研究開発への展開等を促進することを目的として評価を実施した。

### 2. 4. 評価方法

「評価に関する本会議決定」に基づき、評価専門調査会が担当省における評価結果も参考として調査検討を行い、その結果を受けて総合科学技術・イノベーション会議が評価を行った。

評価専門調査会における調査検討は、「総合科学技術・イノベーション会議が事前評価を実施した研究開発に対する事後評価の調査検討等の進め方について」(平成 21 年 1 月 19 日 評価専門調査会決定、平成 26 年 7 月 4 日 一部改正)に基づき、評価専門調査会の会長が指名する有識者議員及び専門委員、同会長が選考した専門家・有識者から構成する評価検討会を設置し、文部科学省からの研究開発成果、その効果、マネジメントの実施状況等についてのヒアリングなどを行い、調査検討を実施した。

### 3. 評価結果

#### 3. 1. 研究開発成果と目標の達成状況等

##### 3. 1. 1. 研究開発の目的・構成

「再生医療の実現化プロジェクト」は、従来の治療法を革新する可能性を秘める再生医療について、先進諸国の多くが取り組みを強化し競争が激化している中で、多くの科学技術的知見を蓄積し高い潜在能力を有している我が国の本分野における研究開発を積極的に推進し、国際的に主導的な役割を果たすとともに、その実用化を目指すものである。再生医療の実現化に向けて、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することを目的とする。

平成 15 年度からの 10 カ年計画で実施し、最初の 5 カ年(第 I 期)においては、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、の目標が設定され、平成 20 年度からの 5 カ年(第 II 期)では、第 I 期の目標に加え、④ヒト iPS 細胞(人工多能性幹細胞)<sup>注1)</sup>・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」の段階まで進めること、の目標が設定された。

プロジェクトに要した経費(すべて国費)は、第 I 期は約 129 億円(平成 14 年度補正予算含む)、第 II 期は約 218 億円となっている。

##### 注1) iPS 細胞(人工多能性幹細胞)

ヒトの体細胞に遺伝子を導入することにより人工的に作成した多能性幹細胞。あらゆる細胞に分化する能力と無限に増殖する能力を有する。

#### 3. 1. 2. 研究開発成果に係る文部科学省の評価結果

文部科学省では、本プロジェクト第 I 期の終了年度の翌年である平成 20 年度に、外部有識者からなる評価委員会を設置し、第 I 期の事後評価報告書を取りまとめ、これに基づき、科学技術・学術審議会研究計画・

評価分科会において、事後評価結果を決定している。

文部科学省では、さらに本プロジェクト第Ⅱ期の最終年度である平成24年度に、外部有識者からなる評価委員会を設置し、第Ⅱ期の事後評価報告書を取りまとめ、これに基づき、科学技術・学術審議会研究計画・評価分科会において、事後評価結果を決定している。

文部科学省の「再生医療の実現化プロジェクト」の第Ⅰ期の事後評価結果では、以下のように評価されている。プロジェクトの推進にあたっては、課題実施者と有識者からなる推進委員会を設置し、推進委員会の中間評価での指摘事項に真摯に対応し、適切に研究開発が進められている。また、プロジェクトの成果に関しては、一部遅れている研究もあるが、概ね順調に進捗していると判断され、活発な研究活動の結果、再生医療の実現化につながる成果を創出してきた。第Ⅰ期の5年間で中核的な組織に研究基盤が構築されたことは一定の意義があった。安全性・倫理性の妥当性の確保のための研究を計画立案段階で検討するなど、再生医療の実現化に資する研究計画の立案を効果的に行えるよう運営上の工夫が期待される。

また、個別の成果としては以下のものが得られている。

- ①研究用幹細胞バンクを整備し、細胞供給の体制を確立
- ②体性幹細胞、ES細胞を対象とした分離、同定、培養、分化誘導など幹細胞操作技術の開発
- ③ヒトiPS細胞の樹立
- ④マーマセツによる脊髄損傷モデル作成と評価システムの確立
- ⑤網膜色素上皮細胞と視細胞を効率的に得る方法の確立
- ⑥幹細胞ニッチ制御技術の提起

特に、京都大学の山中教授による③ヒトiPS細胞の樹立に関しては、国際的にも非常に高く評価されており、またこの成果により目標の一部が前倒しで達成されている。

第Ⅱ期の事後評価結果では、以下のように評価されている。臨床応用への移行の可否を評価するための定量的指標は明確になっていないが、iPS細胞の標準化に向けて細胞操作技術・細胞の品質・作成効率などの改良に取り組み、安全性を向上させたことは大いに評価できる。網膜、角膜、神経(脊髄損傷)、心筋、造血幹細胞(血小板)の再生医療をほぼ前

臨床段階のレベルまで高め、4課題が「再生医療の実現化ハイウェイ」に採択されたことは一定程度以上の「実現化」と評価できる。他方、国民への成果還元までにはまだまだハードルがあるとの認識も必要である。

また、個別の成果としては以下のものが得られている。

- ①iPS細胞の臨床応用に向けた取り組みの加速
- ②iPS細胞を用いた研究に係る課題の抽出
- ③再生医療の対象を拡げる幹細胞操作技術の創出
- ④国民の幹細胞・再生医学研究分野に対する関心の励起
- ⑤研究用幹細胞バンク整備事業をNBRP(ナショナルバイオリソースプロジェクト)へ採択・移行するまで維持・継続
- ⑥疾患特異的iPS細胞の理化学研究所への寄託と研究者への提供体制の整備
- ⑦全国の研究者に対して情報提供・技術支援を行う「iPS細胞技術プラットフォーム」の整備

また、第Ⅱ期では、「ヒトiPS細胞等研究拠点整備事業」として、前臨床研究段階を目標とした治療技術の開発を実施するために、京都大学、慶應義塾大学、東京大学、理化学研究所の4拠点の整備が行われた。

### 3. 1. 3. 目標の達成状況・成果・課題

(研究用幹細胞バンク整備)

「研究用幹細胞バンク整備」については、研究用臍帯血幹細胞バンクの整備及び臍帯血の提供開始、疾患特異的iPS細胞の理化学研究所バイオリソースセンターへの寄託・提供の開始などの成果より、再生医療実現のための研究を促進する基盤整備が進められたと認められる。

細胞バンク事業は、設立後のバンクをいかに維持・管理できるかが重要であるが、本プロジェクトの「研究用臍帯血幹細胞バンク事業」が中間評価での「他のバイオリソース事業の中に移管して、ニーズを踏まえた適正な規模や事業計画で行うべき」との整理を踏まえて、NBRPへの適切な継承が行われたと認められる。

また、本プロジェクトで作製された患者由来iPS細胞を理化学研究所バイオリソースセンターに寄託し、病態解明・創薬研究を行うために提供し始めたことは、これを活用する研究者への提供体制を確立したという点で評価できる。



iPS細胞バンクについては、今後、規模の面での充実が必要であり、これに向けて、iPS細胞樹立拠点、中核となるバンクと、患者からの細胞源を入手する大学や研究機関の病院、あるいは基幹病院が連携し、品質管理はもとより正確に情報記録された細胞が細胞バンクへ寄託されるシステムの構築を検討することも必要である。

さらに、各省庁が関与する各バンクについて、国が方針を明確にして連携を進め、各バンクに寄託されている幹細胞に関する情報を一元的に提供するシステムの提供により、ユーザの利便性の向上を図ることが期待される。

iPS細胞バンクの充実に伴い、疾患特異的iPS細胞を用いた疾患の原因究明のための基礎研究のみならず、iPS細胞から分化誘導した肝細胞等を用いた毒性評価系や疾患特異的iPS細胞を用いた化合物スクリーニング系の構築など、創薬研究分野での応用もより積極的に進められることが期待される。

日本は欧米に比べて利用者の利便性を考えた細胞バンクの整備が遅れているとの指摘もあるが、ELSI (Ethical, Legal and Social Issues)の観点からも、限られた細胞資源を有効に活用するためにも、分譲に際しては研究計画の科学的正当性の審査など、適切な手続きは必要である。現在、「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」にて、アカデミア、製薬企業を問わず、利用者が利用しやすい形でのバンクの整備が進められていることから、今後も再生医療の実現化に資するバンクの整備が進むことが期待される。あわせて、医療や創薬研究における細胞バンクの重要性及びインフォームドコンセント取得に対する国民の理解を得ることも必要である。

また、再生医療の進展に伴い、必要とされる幹細胞や分化誘導細胞の種類が変化していくことが想定されるため、細胞分譲の際には、細胞の品質や一般的な細胞の性質に関する情報だけでなく、例えば、細胞の分化状態の解析結果など、細胞のプロファイルに関連する情報を提供し、付加価値の高い細胞バンクの構築に向けた検討も必要である。

#### (幹細胞操作技術開発)

「幹細胞操作技術開発」に関しては、山中教授のノーベル賞受賞につながったヒトiPS細胞の樹立、新規転写因子Glis1をc-Mycの代わりに用

いることによって安全性を向上させたヒトiPS細胞の高効率な樹立方法の確立、ヒトES細胞からドーパミン神経細胞、網膜色素上皮細胞等への分化誘導の成功など、発生生物学、再生医学の進歩に大きく貢献し、再生医療の実現等に向けた更なる成果につながると期待される、高く評価できる成果が得られた。

また、国が集中的に支援した結果、iPS細胞の基礎研究については精力的に研究が進められたが、今後、予算の推移だけでなく研究内容も含めた海外の動向にも留意しつつ、再生医療の早期の実現化という目的に向けて、日本の強みであるiPS細胞研究と同時に、ES細胞や体性幹細胞など、各幹細胞の特性を生かした研究の遂行及びその成果の他の細胞研究への活用など、融合的なアプローチにより効率的に研究開発を進めていくことが重要である。

#### (治療技術の開発)

第Ⅰ期における研究成果を踏まえつつ、第Ⅱ期においては「臨床研究に移行できる直前の前臨床研究の段階まで進める」との目標に対し、網膜変性疾患の治療法の開発の他、重点的取組を行った角膜、心筋、血小板、ドーパミン神経細胞についての研究課題が、その後、文部科学省、厚生労働省、経済産業省が連携し再生医療の実現に向けた取り組みを一体的に推進する「再生医療の実現化ハイウェイ」に採択され実用化に向けた加速的な取り組みにつながるなど、再生医療の実現化への道筋に貢献したものと認められる。

特に、マウス、ヒトiPS細胞由来神経幹細胞をマウスあるいはマーモセット脊髄損傷モデルへ移植、機能回復の検証に成功したことは高く評価できる。

ただし、第Ⅱ期で掲げられた「臨床研究に移行できる直前の前臨床研究の段階まで進める」という目標の範囲が広く、今後は、達成度を明確に評価できる目標設定が望まれる。

再生医療として実用化する段階においては、iPS細胞、あるいは体性幹細胞の導入、またバイオマテリアルの利用など、一つの疾患に対して複数の治療法が考えられるが、それぞれメリット・デメリットがある。今後の研究の進展に応じて、疾患ごとにどの治療法に優位性があるかを、費用対効果も含め見極めつつ、戦略的に研究開発を進めていくことが必要である。また、疾患によっては臓器・組織を構築して用いる必要があるた

め、組織工学的なアプローチも重要となってくる。今後、関連するプロジェクトが連携しながら、組織工学的な研究についても引き続き推進していくことが必要である。

以上のことを鑑み、iPS細胞研究の進め方や新しい医療技術としての方向性について、さらにグランドデザインを充実させつつ、国内外での再生医療に関わる研究開発の動向等を踏まえ、その機敏な見直しを行いながら、研究開発を推進していくことも重要である。

また、今後、臨床試験を推進するためには、本プロジェクトにて整備された研究4拠点の関連病院を中心にして、適切な疾患レベルの臨床試験被験者のリクルート等がスムーズに行えるよう、全国の病院のネットワークでのオールジャパンのサポートシステムの整備を進めていくことも必要である。

#### (総論)

日本の幹細胞研究について、基礎研究は世界最先端レベルにある。今後はこの強みを生かして、早期の臨床研究による再生医療の実現や創薬研究への応用の加速化が産官学の連携のもと求められる。

本プロジェクトの実施により、ヒト iPS 細胞の樹立を始め、基礎研究における世界をリードする革新的な成果が得られた。

また、再生医療による治療技術について、網膜、角膜、心筋、血小板、ドーパミン神経細胞等についての研究課題が「再生医療の実現化ハイウェイ」に採択され実用化に向けた加速的な取り組みにつながるなど、再生医療の実現化への道筋に貢献したものと認められる。

加えて、10年という長い期間を通じ、シーズ研究を行う大学の研究者に「実用化」という出口を意識させ、知的財産管理、薬事規制、企業との協力等、幅広い連携体制の必要性を認識させ、意識改革を行ったことは、本プロジェクトの大きな成果と評価できる。

しかしながら、GMP(Good Manufacturing Practice)準拠のヒトiPS細胞の樹立法など、前臨床段階での安全性評価と有効性評価に必要な基盤技術の進歩も見られるが、iPS細胞の初期化メカニズムの解明、免疫寛容機構の解明とともに、iPS細胞の樹立方法及び樹立されたiPS細胞や分化誘導法の標準化、科学的検証に基づく安全性・有効性の評価方法の確立など、実用化に向けてはまだ多くの課題が残されている。早期の

実現化に向けて、研究開発を着実に推進するとともに、規制当局との早い段階からの連携も含め、課題解決に向けた適切な対応が求められる。

本プロジェクト終了後において健康・医療戦略推進本部が設置され、平成 27 年度に独立行政法人日本医療研究開発機構が設立される。

再生医療関連のプログラムが新独法のプロジェクトの大きな柱となるとともに、関係府省間の一層の連携により、入口から出口までを切れ目なくつなぐ課題解決に向けた取り組みが期待される。

また、今後、ヒト幹細胞を用いた臨床研究に関する報告内容を情報共有するなど、他の研究者の成果・知見が多くの研究者によって活用されることが重要である。

### 3. 2. 科学技術的、社会経済的、国際的な効果等

基礎研究に関しては、ヒト iPS 細胞の樹立、ヒト ES・iPS 細胞からドーパミン神経細胞、網膜色素上皮細胞等への分化誘導の成功など、高く評価できる成果が得られている。また、操作技術や治療技術については、iPS 細胞による網膜変性疾患の治療法の開発、ES 細胞から人工網膜組織の 3 次元形成など、再生医療研究や関連研究の進展に資する有効な成果が得られていると認められる。今後、早期の実用化により、社会経済的な効果の発現が期待される。

iPS 細胞の樹立及びそれに続く iPS 細胞に関する基礎研究の成果は、日本の特筆すべき成果と高く評価できる。また、日本は iPS 細胞の基本的な部分の特許を積極的に出願しており、国際的に見ても、精力的に知的財産を確保していると評価される。実用化の段階においても世界をリードし再生医療の可能性を切り開いていくことが望まれる。

さらに、iPS細胞バンクについても、諸外国との連携も視野に入れ、各国の研究者等の利用に寄与するなど国際貢献していくことが期待される。

再生医療は、主として患者数の少ない疾患が対象になること、また国民のQOLの向上に資するものとして期待されることも踏まえると、再生医

療分野に対する国の支援が引き続き必要である。

それに加えて、今後の製品化、市場化を見据え、民間企業の積極的な参入を促すことも重要である。このため、国際競争力にも留意しつつ、今後の再生医療やiPS細胞等を利用した創薬の産業化の大きな流れについて明らかにしていくことが必要である。

### 3. 3. 研究開発マネジメントの妥当性等

#### (1) 研究開発マネジメントとその体制

本プロジェクトは、第Ⅰ期においてはプロジェクトリーダーが、第Ⅱ期においてはPDおよびPOが任命され、実施方針の提示、運営方針にかかる文部科学省への助言・提言、拡大運営委員会の開催、課題実施者への助言・提言、各拠点・課題間の連携・調整を行った。

PD、POは、拡大運営委員会、成果報告会、サイトビジット等を通じ、情報を共有して幅広い事業の進行状況を把握し、助言、具体的指導を行い、平成23年度に4拠点11個別課題から4拠点7個別課題とするなど事業の効率化を図り、精力的に活動したと評価できる。

また、第Ⅱ期には、事業内での公募により「前臨床研究加速プログラム」課題を採択して課題の重点化を図り、またPD主導により臓器別の課題間連携を推進し、その結果として4課題が「再生医療の実現化ハイウェイ」に採択されるなど、プロジェクトは効果的に推進されたと判断される。

本プロジェクトの成果も踏まえ、幹細胞・再生医学研究の今後の方向性が取りまとめられ、疾患・組織毎に臨床研究に向けたロードマップが策定されている。再生医療の実現化のためには、具体的な目標と実施計画を立てて研究を遂行し、PDCAサイクルを効果的に回すことによって進捗状況と問題点を明らかにして、問題の解決を鋭意進めていくことが求められるとともに、国内外の開発状況も見極めて柔軟に研究計画を見直しつつ研究開発を進めていくことが重要である。

#### (2) 民間企業との連携

本プロジェクトでは、疾患特異的 iPS 細胞の提供など、一定の連携があったことは評価できるが、今後、臨床研究に向けて、企業との連携がさらに広がっていくことが期待される。

iPS 細胞の創薬への応用は、製薬企業との連携が重要であるが、今後それに向けて、製薬企業も利用しやすい疾患特異的 iPS 細胞バンクの充実、企業ニーズを捉えるためのアカデミアと製薬企業の情報共有は重要である。また、産業育成の観点から、日本における細胞供給ビジネスやその周辺産業の振興について、官民の役割分担のあり方も含めて検討することが必要である。

### (3) 戦略的な知的財産権の確保等

日本は iPS 細胞の樹立に関する基本的特許を含め、第 I 期、第 II 期を通じて 292 件と数多く特許出願しており、知的財産権は着実に確保されていると評価できる。引き続き、ES 細胞、体性幹細胞も含め、知的財産権の着実な確保に留意していくことが重要である。

第 II 期からは、拠点に知的財産の専門家を配置し、知的財産確保に努めたことは評価できる。また、知財勉強会や情報交換会等、知的財産関連の担当者のレベルアップ等に向けた取り組みも進められた。再生医療に限らず、ライフサイエンス全般で、引き続き、戦略的に知的財産確保を進めるための専門人材を育成していく必要がある。また、そのためには、特許や標準化に係る業務に対する重要性の認識を高めるなどの理解醸成を進めることが重要である。

また、今後のプロジェクトにおいては、研究成果を有効活用し着実に実用化に結びつけて行く観点から、何を特許取得の対象とし、何を国際標準化するのかの戦略を明確にすることが重要である。このため、PD 等を中心とした専門家の参画した体制を充実させていくことも求められる。

### (4) 薬事規制等への対応

PMDA(独立行政法人医薬品医療機器総合機構)の薬事戦略相談な

どの制度ができ、また関係府省との連携により再生医療等の安全性の確保等に関する法律なども制定されるなど、研究開発の進展に伴って制度面での整備が着実に進むとともに、再生医療への機運が高まっている。本プロジェクトでも、京都大学でのパーキンソン病に関する取り組みでも、PMDA との相談も実施しながら、研究開発が実施され、制度の活用が行われている。

#### (5) 倫理面・社会面への対応

本プロジェクトにおいては、再生医療に係る倫理的・社会的課題に関する研究が進められ、その後、再生医療の実現化ハイウェイの採択課題に移行している。

引き続き、再生医療研究における倫理的課題の解決を目指した研究を鋭意遂行し、その成果を指針・ガイドライン等に適切に反映していくことが望まれる。

本プロジェクトでは、ホームページ運営、関連学会・展示会等でのブース展示、公開シンポジウムなどアウトリーチ活動が積極的に行われた。現在、再生医療が社会的に理解が進んでいる状況である。一方で、再生医療の実現化に向けては、更なる基礎研究の遂行、iPS 細胞の樹立方法や分化誘導法の標準化、安全性・有効性の評価方法の確立などの課題解決に向けて、今後も時間や予算が必要なものであることを国民に適切に理解してもらうことが必要である。

それと同時に、再生医療領域を含む先端医療関連研究においては特に、研究者が高い倫理観のもと、公正に行うべきものであることを自覚しつつ今後とも進める必要がある。

#### (6) 文部科学省の事後評価結果

目標の達成状況や成果、マネジメント内容等について、機関ごとの拠点体制ではなく機能別の拠点構築が望ましいとの指摘や目標設定に現実に即していない部分があることなどの指摘等も含め、全般的には、適切に評価されていると認められる。また、評価結果を適切にその後の取り組みに反映させていると判断される。

### 3. 4. まとめ

#### ○ 総合評価

- ・ヒトiPS細胞の樹立に加え、安全性を向上したiPS細胞の効率的な樹立方法など、革新的な幹細胞操作技術に係る世界をリードする研究成果が得られたと認められる。
- ・再生医療による治療技術について、網膜変性疾患の治療法の開発の他、重点的取組を行った角膜、心筋、血小板、ドーパミン神経細胞についての研究課題が、その後「再生医療の実現化ハイウェイ」に採択され実用化に向けた加速的な取組につながるなど、再生医療の実現化への道筋に貢献した。
- ・プロジェクト終了後において、再生医療の実現化に向けて残された課題としては、iPS細胞の初期化メカニズムの解明、免疫寛容機構の解明、iPS細胞の樹立方法や分化誘導法の標準化、安全性・有効性の評価方法の確立等があげられる。
- ・今後、これらの課題解決を図り、早期の実現化に向けて、健康・医療戦略推進本部を中心とした関係府省の連携によるシームレスな取組が期待される。

#### ○ その他の指摘事項

- ・iPS細胞バンクについて、ELSIの観点などを踏まえた適切な審査等の手続きの確保に留意しつつ、アカデミア、製薬企業を問わず、利用者が利用しやすい形での整備が必要である。
- ・本プロジェクトにて整備された研究4拠点を中心にして、適切な疾患レベルの臨床試験被験者のリクルート等がスムーズに行えるよう、全国の病院のネットワークをサポートするオールジャパンのサポートシステムの整備の推進も必要である。
- ・知財戦略に係る専門的人材の育成が、引き続き課題である。
- ・達成度を明確に評価できる目標設定。具体的な目標と実施計画のもと、PDCAサイクルを効果的に回すこと、また、国内外の開発状況も見極めて柔軟に研究計画を見直すことが重要である。
- ・iPS細胞に加えES細胞、体性幹細胞等、各幹細胞の特性を生かした研究の遂行、また融合的なアプローチを通じた、再生医療の実現化という目標に向けた研究開発の推進が重要である。
- ・国内外のさまざまな治療技術の開発状況を踏まえ、新たな医療技術



のグランドデザインを充実させるとともに機敏な見直しを行いながら、その実現に向けて戦略的に研究開発を進めていくことが必要である。

《参考資料》

(参考1) 評価専門調査会名簿

(参考2) 評価検討会名簿

(参考3) 審議経過

## (参考1) 評価専門調査会 名簿

(議員:5名)

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:19名)

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

平成 26 年 7 月 17 日現在

## (参考2) 評価検討会名簿

	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	アステラス製薬株式会社研究本部研究統括部課長 (評価専門調査会)
座長	西島 正弘	昭和薬科大学学長 (評価専門調査会)
	福井 次矢	聖路加国際病院院長、京都大学名誉教授 (評価専門調査会)
	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 (評価専門調査会)
	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

### (参考3) 審議経過

平成 25 年

11 月 26 日

評価専門調査会

評価検討会の設置、進め方の確認等

平成 26 年

2 月 27 日

第 1 回評価検討会

文部科学省から研究開発成果等の聴取、質疑  
委員からの評価コメントに基づき論点を整理

5 月 14 日

第 2 回評価検討会

文部科学省からの追加質問事項に対する回答の聴取、質疑  
論点に基づき調査検討結果をとりまとめ

7 月 4 日

評価専門調査会

評価に係る調査検討結果の報告、評価結果案の検討

7 月 17 日

総合科学技術・イノベーション会議

評価結果案に基づく審議と評価結果の決定