

# 「今後の幹細胞・再生医学研究の在り方について」概要

## 現状と課題

(平成24年5月28日 科学技術・学術審議会 幹細胞・再生医学戦略作業部会 決定)

### ○我が国におけるこれまでの幹細胞・再生医学研究の成果

- ◆この5年間でGlis 1(より安全で高効率な因子)の発見など、他国と比較しても高品質な安全性の高いiPS細胞樹立が可能となる。
- ◆知財の確保について、iPS細胞の樹立に関する基本特許が欧米等でも成立し、世界で主導権を有するようになった。
- ◆iPS細胞の臨床応用に向けて着実な進捗。  
〔例: 網膜色素上皮細胞(平成25年度に世界で初めて臨床研究の開始が見込まれる) 〕

### ○国際的な動向

- ◆米国の幹細胞研究について、NIHの予算だけでも約900億円あり、資金投入量としては米国が大きく引き離している。
- ◆今年4月、米国オバマ政権はバイオ分野のイノベーションを掲げた“NATIONAL BIOECONOMY BLUEPRINT”を発表し、iPS細胞研究を重点化。

## 今後の幹細胞・再生医学研究の在り方

H19 京都大学山中教授によるiPS細胞の樹立

H20~H24 「再生医療の実現化プロジェクト(第Ⅱ期)」: iPS細胞の臨床応用を目指した研究を開始

H25以降

① 京都大学iPS細胞研究所の世界最高水準の基礎研究能力を最大限に活かし、安全かつ効率的な再生医療用iPS細胞を確立

② 疾患・組織別に責任を持って臨床応用を目指す研究体制を整備

- 次世代の再生医療実現のための革新的技術の開発(立体培養等組織再生、大量培養)
- 新たなオミックス解析技術等を用いた初期化機構の解明
- iPS細胞を用いた創薬研究や治療法、予防法の開発
- 長期的な研究支援(10年)と人材育成
- 再生医療の特性を踏まえた評価法の確立、制度・運用の強化
- オールジャパン体制の知財戦略等も併せて実施

臨床応用が視野に!

ネットワーク化を強力に推進



それぞれの機関が責任を持って臨床応用を実現し、患者の元に届けることを目指す!



## 事前評価における指摘事項に対する対応状況 ①

### 「再生医療の実現化プロジェクト」評価検討会

井村 裕夫	総合科学技術会議議員	隅蔵 康一	政策研究大学院大学助教授
藤野 政彦	評価専門調査会専門委員	中内 啓光	東京大学医科学研究所教授
岩田 博夫	京都大学再生医科学研究所教授	中村 雅美	日本経済新聞社編集委員
上田 実	名古屋大学大学院医学研究科教授	松田 暉	大阪大学大学院医学系研究科教授

#### ① ヒト幹細胞バンク整備の在り方について

##### (指摘事項)

- 当初より特定の幹細胞について大規模バンクを整備することは適切ではなく、全国をカバーする基幹的な少数のバンクと複数の細胞調整施設を整備することが適当。
- 臍帯血は様々な幹細胞の源としての可能性があるため検討すべき。
- その他、新しい幹細胞ソースの開発、ES細胞のバンクも考慮すべき。

##### (対応状況)

- 第Ⅰ期において、既存の臍帯血バンクと連携し、一つの中核機関と複数の分担機関からなる研究用臍帯血を収集、提供するシステムを構築した。
- 一方、iPS細胞樹立成功を踏まえて、第Ⅱ期においては、理化学研究所バイオリソースセンターに研究用iPS細胞バンクを整備した。

#### ② 細胞治療とハイブリッド人工臓器について

##### (指摘事項)

- ハイブリッド型人工臓器については再生医療と異なる科学技術上の要素が必要であり、別プロジェクトにすることも含めて改めて計画を検討すべき。

##### (対応状況)

- ハイブリッド人工臓器については本事業では実施せず、細胞治療に集中して実施した。

## 事前評価における指摘事項に対する対応状況 ②

### ③プロジェクト期間について

(指摘事項)

- 上記2点を鑑み、プロジェクト期間を5～15年程度に短縮し、3～5年を1期とした段階的な推進とすべき。

(対応状況)

- 1期5年間で2期(計10年間)実施した。

### ④薬事規制等への対応について

(指摘事項)

- 幹細胞バンク由来の幹細胞で臨床研究を実施する段階に至ることを見越して、バンク整備においては当初よりGMP等への対応を行うべきである。

(対応状況)

- 再生医療に用いるiPS細胞バンクは、京都大学iPS細胞研究所においてGMP基準に基づいて作成しており、各拠点にはGMPに準じた細胞調製施設を整備している。一方、研究用iPS細胞バンクについては非GMPで構築している。

### ⑤知的財産権について

(指摘事項)

- 成果の特許化・活用を図るために、特許戦略やバイオに通じたTLO、専門人材の育成が重要であり、組織的・戦略的な特許申請・取得に向けて、継続的な検討を行うべきである。

(対応状況)

- 第Ⅰ期においては、積極的な知財確保、産学連携に取り組んだ。
- 第Ⅱ期においては、知財専門家を拠点内に確保し、知財セミナーを開催するなど、さらに戦略的な知財確保をおこなうとともに、人材育成にも注力した。

## 事前評価における指摘事項に対する対応状況 ③

### ⑥ 制度面・社会面への対応について

#### (指摘事項)

- 再生医療が社会に受け入れられるために、本プロジェクトにおいて一定の倫理的・法的・社会的研究(ELSI研究)を実施することが重要。
- 本プロジェクトの進展や成果を積極的に広報していくことが重要

#### (対応状況)

- 第Ⅱ期において、「再生医療研究における倫理的課題の解決に関する研究」を採択し、ELSI研究を推進した。
- 一般向けシンポジウムを計5回開催するとともに事業のホームページを開設し、研究進捗状況の社会への広報をおこなった。

### ⑦ 推進委員会・評価委員会の在り方について

#### (指摘事項)

- 適切な目標設定と明確な評価、プロジェクトの進捗等に応じた柔軟な軌道修正をおこなうため、役割、権限、責任を明確にした委員会の設置が重要。

#### (対応状況)

- 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」の設置、外部有識者からなる「評価委員会」の設置、PD,PO,課題実施者からなる「拡大運営委員会」の設置などにより、目標設定、評価、進捗管理などを実施した。