

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価

期間実績評価

③-1人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化

拠点間ネットワークの主な取組

○モニタリングに係る取組 (事務局：東北大学)

初級・中上級モニター研修会の実施等

○監査に係る取組 (事務局：東京大学)

監査担当者研修の実施等

○人材育成に係る取組

TSMTP (代表：九州大 分担：北大、東大、阪大)

Japan Biodesign (代表：阪大 分担：東北大、東大、名大、岡山大、九州大、筑波大)

Research Studio (代表：筑波大 分担：慶應大、京大、阪大、岡山大、九州大)



<事務局打合せ>

2017年8月3日 モニタリングおよび監査事務局打合せ

<モニタリング>

2018年6月25日 第3回モニタリングWG
 2018年12月4日 第4回モニタリングWG
 2019年3月25日 第5回モニタリングWG
 2019年6月10日 第6回モニタリングWG
 2019年12月9日 第7回モニタリングWG
 2019年3月24日 第8回モニタリングWG

<監査>

2018年4月6日 監査WGH29実績報告会
 2018年5月18日 H30第1回監査WG
 2018年11月6日 H30第2回監査WG
 2019年3月12日 H30第3回監査WG
 2019年7月5日 R1第1回監査WG
 2019年10月9日 R1第2回監査WG
 2020年3月26日 R1年度第3回監査WG

Translational Science & Medicine Training Program (TSMTP)

医学の第一線で医薬品開発を推進する講師による若手人材育成プログラムです。医薬品開発の実務を学ぶことで、創薬Translational Researchに関わる若手人材の育成を目的としています。

2019年8月31日(日) [9:00~17:40] / 9月1日(日) [9:00~17:00]

参加企業・アカデミアに問わず、今後医薬品の研究開発に関わりたいと考えている若手研究者 (博士課程学生を含む)

日本橋ライオンズクラブ主催 9/13(日) 東京駅前中央日本橋ビル2F-301-11

参加費 無料 (定員 25名)

8/31(日) 9/1(日)

本プログラムの一環として、後日NH/NCATS講師を含むワークショップを開催予定です。修了者には修了証を発行いたします。

お申し込み：(東京・福岡) 九州大 創薬・医療イノベーション推進センター TSMTP事務局 (2F・F203) 電話：092-642-6210

JAPAN biodesign

医療機器イノベーションを牽引する人材育成を目指すスタンフォード大学発のデザイン思考ベースプログラム

The Process of Innovating Medical Technologies

Classes and Seminars

Fellowship Program Schedule

Research Studio 2019 powered by SPARK

世界初に特化したインテリジェントリーダー育成プログラム

国内外トップ企業との連携

海外最先端アカデミアとの連携

TPP推進を促す企業との連携

2019年11月12日(水)~14日(金)

筑波大



初級モニター研修会：東京・仙台・大阪・福岡の4会場で同時映像配信

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価

③-1人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化

橋渡し研究戦略的推進プログラム・拠点間ネットワークの実務者WGにおいてプロジェクトマネジメントにおける課題の洗い出しと対応策を議論し、橋渡し拠点が連携して前臨床段階を担当できる初級プロジェクトマネージャー(PM)を育成し、キャリアパスの仕組みを構築するPM育成プログラムを企画立案し、令和2年度より開始する予定。

「拠点・拠点外間のプロジェクトマネジメント機能のネットワーク化」(PM育成事業の企画立案)

【拠点間の共通課題】

- 医薬品・医療機器等の開発計画を管理するプロジェクトマネジメント機能は橋渡し研究支援の根幹であるが、拠点外への支援も含め、一拠点だけで当該機能を担うことは難しく、ネットワーク化が必要。
- ネットワーク化が進まない理由としては、アカデミアにおいてプロジェクトマネージャー(PM)のキャリア形成が確立していないことが挙げられる。
→特に若手PMのスキルを認定する基準やPMの育成方法の確立が必要

拠点間連携の下、若手PM(初級PM)のキャリアパス構築等により、拠点外を含むPM人材やプロジェクトマネジメント機能のネットワーク化を図ることで、持続可能な拠点の確立や拠点外での橋渡し研究推進を目指す。

教育プログラムの策定
評価認証の設定



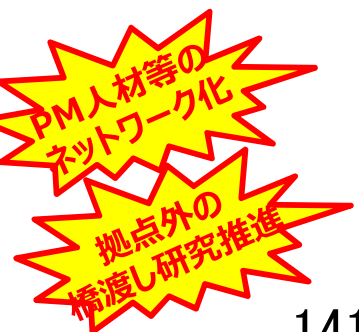
若手PMをOJTで育成



Certification
キャリアパス構築



PM人材の確保
プロジェクトマネジメント機能強化



I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

③革新的医療技術創出拠点



令和元年度評価

③-1人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化

「医療技術実用化総合促進事業」における医療系ベンチャー育成支援プログラム：

臨床研究中核病院ベンチャー支援窓口の運営管理、中核病院におけるベンチャー支援の機能や実績の周知、中核病院間での情報共有・横の連携強化推進を目的とした連絡会の開催

【ベンチャー支援窓口の運営管理】

ベンチャー企業に対する研究開発の支援（医学的評価、臨床研究支援機能の提供）

【ベンチャー支援の機能や実績の周知】

ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット2019（10/9～10/11）出展（臨床研究中核病院12拠点）。

臨床研究中核病院セッションでは、東北大学病院、大阪大学病院、千葉大学医学部附属病院が支援したベンチャー企業とともに発表、パネルディスカッションでは革新的医療技術創出拠点プロジェクト PO 近藤充弘 氏とスタンフォード大学 池野文昭 氏がコーディネートを務め、京都大学医学部附属病院がパネリストを担当（聴講数：122人）。

【連絡会の開催】

医療系ベンチャー支援についての適切なあり方について議論（臨床研究中核病院の役割、大学本部との連携、等）。

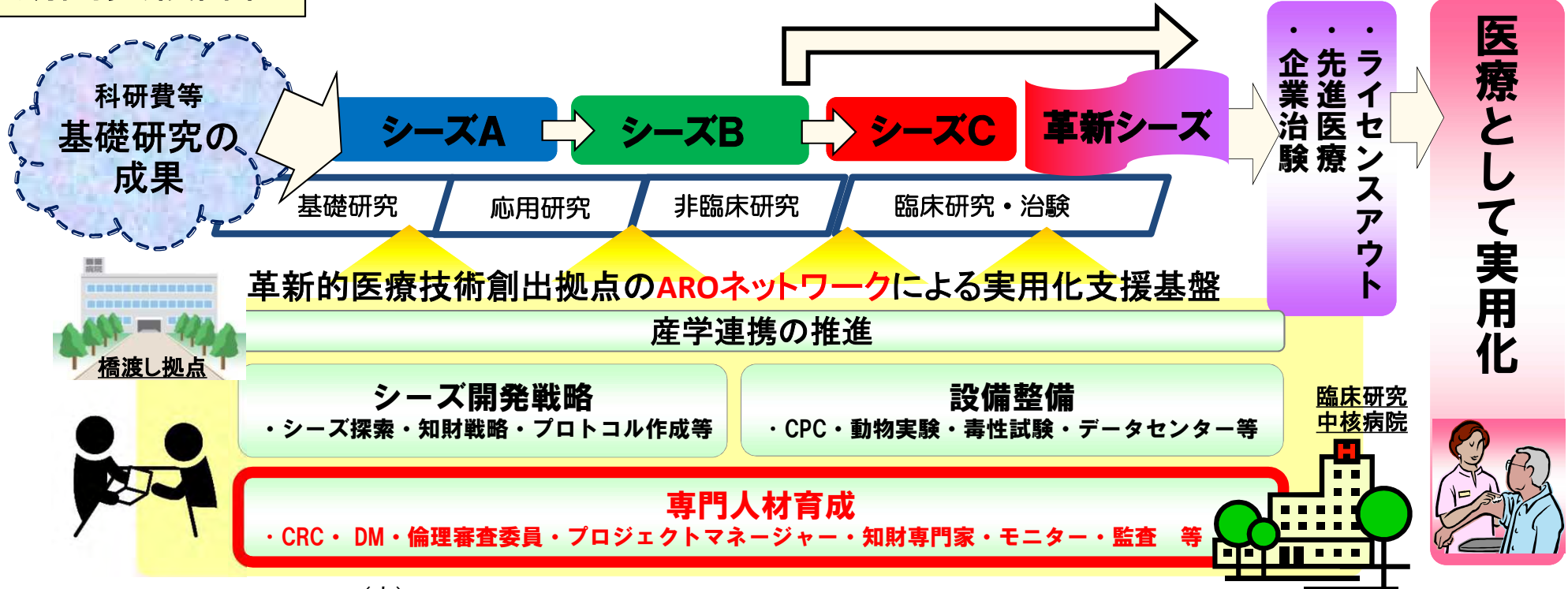
（5回実施）

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

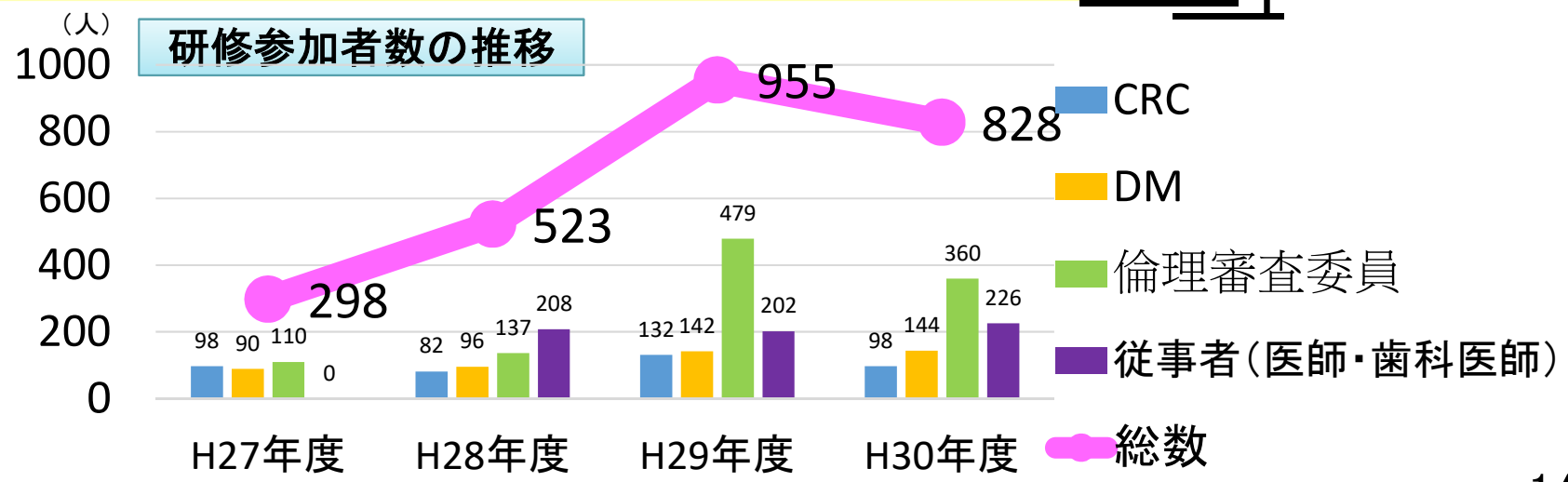
③革新的医療技術創出拠点

期間実績評価

③人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化



- 専門人材の確保、モニター・監査人材の研修、教育訓練等を実施
- 臨床研究人実施者を育成



I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

③革新的医療技術創出拠点



令和元年度評価

期間実績評価

<成果目標達成状況> ※ I (2)①~⑨のみ

KPI【2020年までの達成目標】	令和元年度の達成状況
医師主導治験届出数：年間40件	21件(AMED全体で44件)
First in human試験(企業主導含む)：年間40件	30件(AMED全体で36件)

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

③革新的医療技術創出拠点



評価軸

橋渡し研究支援拠点、臨床研究中核病院等の一体化を進めたか。

令和元年度評価

期間実績評価

- ・革新的医療技術創出拠点の拠点長等、PD、PS、PO、関係省庁が出席する全体会議、13拠点を訪問して行う拠点調査会議を実施し、拠点機能の強化やシーズ開発・臨床試験の進捗、革新拠点プロジェクトを構成する各事業の実施状況等について把握するとともに、ARO人材の俸給表やキャリアパスについて拠点と意見交換を行った。拠点外シーズの発掘・育成の負担や臨床試験の品質管理、特にリスクに基づく取組（risk-based approach）の整備が各拠点共通の課題として抽出され、その解決策を協議するための取組を令和2年度の事業内容に反映した。
- ・各拠点や病院の一体的な運営を推進するために文部科学省及び厚生労働省と協力しつつAMEDが中心となって、適宜今年度の本プロジェクトの実施内容及びスケジュール等について共有・議論した。年度上半期には、PD、PS、PO、文部科学省、厚生労働省及び革新的医療技術創出拠点とともに全体会議を実施し、当該年度のサイトビジットの重点方針等について拠点間で共有した。
- ・毎年、拠点調査会議（サイトビジット）を行い、前年度サイトビジットでの指摘事項に対する対応や、研究成果の実用化のための体制構築について各拠点の取組状況をヒアリングするとともに、PD、PS、PO、文部科学省、厚生労働省及びサポート機関と連携の上、拠点のARO機能等の体制整備状況について適切なアドバイスをを行った。
- ・平成29年度より、革新的医療技術創出拠点プロジェクト関連シーズについては、文部科学省が所管する橋渡し研究戦略的推進プログラムと厚生労働省が所管する革新的医療シーズ実用化研究事業を、同一の課題評価委員会で一体的に評価出来るよう、PD、PS、PO、文部科学省及び厚生労働省と調整を行い、平成29年12月～平成30年3月、平成30年6～8月に合同公募を実施、中間・事後評価についても同一の評価委員会で実施している。

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

③革新的医療技術創出拠点



評価軸

人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化、ネットワーク化、オープンアクセス化及びシーズの拡大を更に推進したか。

令和元年度評価

期間実績評価

- ・拠点へのサイトビジット等において、プロジェクトマネジメント、臨床研究コーディネーター(CRC)、データマネージャー(DM)、モニタリング、監査、生物統計家、CPC技術員等の人員確保状況および今後の充足予定を把握するとともに、拠点機能の強化・特色化に向けた指導助言を実施した。
- ・拠点機能は概ね整備されてきたため、平成29年度から開始する橋渡し研究戦略的推進プログラム及び医療技術実用化総合促進事業において、拠点機能の特色化を進めていく方針とした。
- ・中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会での一括審査促進に向けた取り組み、審査する研究の質の担保を図るについては、前ページ等の③を参照のこと。
- ・生物統計家人材育成支援事業において、生物統計家人材育成支援プロジェクト会議を開催し、それぞれ東京大学大学院、京都大学大学院を中心とする2つの育成拠点の体制整備、教育カリキュラムの策定状況を確認するとともに、平成30年度からの学位授与コースの開設、専門教育・育成研修の実施に向けた指導・助言を行った。2拠点において、平成30年度より大学院修士課程の学生受け入れを開始した。現在、第I期生21名、第II期生18名が在籍し、研鑽に務めている。
- ・質の高い臨床研究を実施できるようにするため研修については、前ページ等の③-1を参照のこと。また、CPC業務をこなす細胞培養員等に対しては、学会と協働のもと拠点を対象とした講習会を開催するなどの人材育成を継続して行った。
- ・平成30年度、令和元年度には実務者WGとして、シーズの発掘・実用化を前臨床段階から支援・進捗管理できるプロジェクトマネージャー(PM)の育成に関する課題について議論し、初級PMを育成するプログラムを企画立案した。
- ・ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミットにて、臨床研究中核病院におけるベンチャー支援に関するブースを出展した(2018年10月:6拠点、2019年10月:全12拠点)。
- ・平成30年度には、臨床研究中核病院の臨床研究の質を向上させ、臨床研究のさらなる安全性の確保をはかるため、病院情報システム内の医療情報データの質の担保を図ると共にそのデータを研究等にも利活用できる体制整備を開始した。令和元年度には事業の目標となるVision, Missionを策定し、各病院が有する医療情報システムの状況の把握、品質管理、標準化手法の検討、ユースケースの検討を行った。

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

③革新的医療技術創出拠点



評価軸

各医療機関が有するARO機能について客観的な評価を行ったか。

令和元年度評価

期間実績評価

- ・「支援機能の見える化」を図るため、ARO機能評価事業において、拠点等を含む全国のAROの研究開発支援機能について調査、その結果を類型化しリストを作成し、類型化結果リストをホームページで公開した。
- ・平成30年度はこの内容を活用しつつ、ARO機能の利用者であるアカデミアの視点でAROの支援機能の評価する指標の検討を開始した。
- ・令和元年度も継続して、革新的医療技術創出拠点を含む全国のAROの研究開発支援機能についての調査を実施してその機能を類型化し、AROの支援機能を客観的に評価する指標を検討、結果をまとめるとともに、jRCTを活用した若手研究者や研究支援者の貢献度評価手法の検討を行った。

評価軸

ICH-GCP準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO機能を持ち、多施設共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進めたか。

令和元年度評価

期間実績評価

- ・橋渡し研究支援拠点、臨床研究品質確保体制整備病院、臨床研究中核病院、国際共同臨床研究実施推進拠点に対し、ICH-GCP準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するための支援を、サイトビジット等を通じて行った。
- ・革新的医療シーズ実用化研究事業の「若手研究者によるプロトコール作成研究」では、研究開発費を200～300万円程度としている。令和元年度の公募では、研究代表者が所属する機関以外の中核病院に支援を求める場合には研究開発費の上限を400万円とする工夫により、拠点内4課題、拠点外2課題を採択して、拠点外シーズ支援の促進を図った。

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療



令和元年度評価

評定(自己評価)

A

PDPSPOIによる助言や交流会等による研究者同士のネットワークの形成、課題担当者の進捗管理・アドバイスによる橋渡し等、再生医療の迅速な実現を進めるための支援を行った結果、①令和元年度中に5件(内1件は臨床研究の治験への移行)が臨床研究段階又は治験段階に移行とともにiPS細胞ストックの安定供給の見通しを得ており、臨床研究・治験の実施が進んだ。また、②「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」において、若手研究者による新たな研究シーズの創出が始まった。プロジェクトの運営にあたっては、「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」の継続した採択時評価や進捗管理への活用し、CRO協会との共催セミナー等の新たなプロジェクト運営の方法を構築を継続した。さらに、③研究交流会や公開シンポジウム等を通じてネットワーク形成、人材育成、患者・一般への情報発信を継続させ、公募においてMRCとの日英国際共同研究枠も設けた。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①再生医療研究開発における顕著な成果事例

- ①-1 大阪大学 西田教授らは、iPS細胞由来角膜上皮幹細胞疲弊症に対する角膜上皮細胞シートを用いた臨床研究において、第1例目の移植を実施した。
- ①-2 佐賀大学 中山教授らは、バイオ3Dプリンタで作製した細胞製人工血管をヒトに移植する臨床試験を開始する。
- ①-3 東京医科歯科大学 武部教授らは、脂肪肝オルガノイドの創出に成功した。
- ①-4 筑波大学 家田教授らは、非ステロイド性抗炎症薬による心筋細胞の新たな再生法を発見した。
- ①-5 名古屋市立大学の松永教授と富士フイルム(株)は、ヒトiPS細胞由来腸管上皮細胞「F-hiSIEC™」を実用化した。

③研究育成、人的交流、国際連携等に資する活動

- ③-1 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」の中で、若手研究者の登用を積極的に進めた。海外の研究者を招聘して公開シンポジウムを実施した。
- ③-2 「AMED再生医療研究交流会」を開催し、支援する研究者の交流の促進、及び若手研究者に発表機会を提供した。患者及びその家族・一般を中心に理解を得ることを目的に「AMED再生医療公開シンポジウム」を開催し、研究者が患者、市民のニーズと触れる場として活用した。
- ③-3 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」の中で、令和2年度はMRCと協力して日英国際共同研究枠を設けた。

②再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

- ②-1 「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を活用し、事業間連携に結びつけた。
- ②-2 日本CRO協会・AMED共催セミナーにおいてのCROへの委託での留意点について実例を含めて説明した。「AMED再生医療研究交流会」において、再生医療研究課以外の再生医療関係研究課題参画研究者やPSPOも参加し、参加者が相互に議論できる機会を提供した。
- ②-3 研究課題における規制科学課、難病研究課・臨床研究課との連携を継続した。

④成果目標達成状況(評価指標)

KPI【2020年までの達成状況】	令和元年度の達成状況
・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用	iPS細胞技術によって病態解明の研究は進んだが、臨床研究又は治験への移行はなかった。
・再生医療等製品の薬事承認数の増加	自家培養口腔粘膜上皮(ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング)が希少疾病用再生医療等製品として厚労省・部会で了承された。
・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 目標35件	5件(但し1件は臨床研究から治験への移行)が臨床研究又は治験に移行した。京都大学iPS細胞ストックが公益財団となり、恒久的な細胞提供への道筋ができた。
・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	富士フイルムが、名古屋市立大学 松永教授の分化誘導技術を用いたヒトiPS細胞由来腸管上皮細胞「F-hiSIEC™」を発売した
・iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言	FDA、CiPAのメンバーとiPS心筋のwhite paperをまとめおり、in silicoのwhite paperが2019年9月に論文誌に受理された



I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療

期間実績評価

AMED設立後この5年間において、②採択課題のマネジメント見直し、外部機関との連携、再生医療ナショナルコンソーシアムの体制構築やiPS細胞バンク、患者・市民参画(PPI)の取組など、再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善により、①再生医療課題の臨床研究段階又は治験段階への移行47件、iPS細胞を活用した新規治療薬の治験開始4件、周辺機器・装置等の販売開始6製品8品目、省庁における新たなガイドライン策定への貢献など、再生医療研究開発における顕著な成果事例を創出した。また、③研究者交流の推進、若手・国際人材の育成、国際共同公募の実施、患者・一般への情報発信・交流の活動も活性化させており、再生医療分野の基礎研究・応用研究をいち早く実用化・事業化に繋げる基盤を構築した。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

次期は、再生・細胞医療・遺伝子治療事業部という新たな体制において、今期構築した基盤を土台に、再生医療が『3つのLIFE(生命・生活・人生)』に対して可能性と選択肢を拡げ、社会に展開していくための新たなフェーズへ移行し、再生医療分野に留まらない分野融合、若手研究者の参画等による研究の加速、患者や家族、市民の皆様、社会や地域との共創など、オープンな形で再生医療(研究)の社会展開を目指していく。

評定
(自己評価)

A

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	A	A	B	A	A	A	A
主務大臣評価	A	B	B	A		A	

①再生医療研究開発における顕著な成果事例

- ①-1 臨床研究・治験の実施の期間実績として、期中上方修正した目標値35件を上回る47件が臨床研究段階又は治験段階に移行し、研究開発を推進した。主な研究課題として、a 神戸アイセンター病院 高橋政代センター長らのiPS細胞由来網膜色素上皮細胞による加齢黄斑変性治療、b 京都大学 高橋淳教授らのiPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞によるパーキンソン病治療、c 大阪大学 澤教授らのiPS細胞由来心筋細胞シートによる重症心不全治療、d 東京医科歯科大学 関矢教授らはの自家滑膜幹細胞による半月板損傷治療等があげられる。
- ①-2 iPS細胞を活用した新規治療薬の探索で、4件の治験が開始された。
- ①-3 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」において、若手研究者による新たな研究シーズの創出も始まった。(令和元年度成果参照)
- ①-4 6社が周辺機器・装置等の実用化を進め、6製品8品目が発売し、1種の既存製品を薬機法に基づくマスターファイル登録した。
- ①-5 ヒト細胞原料の安定供給実現に向けた委員会が、「ヒト(同種)細胞原料供給に係るガイドランス(初版)」を取り纏め公表した。

②再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

- ②-1 「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」の作成・活用による事業間連携強化、競合技術の比較調査を活用した事業設計等により、事業運営体制を強化した。また、京都大学iPS細胞研究所の臨床用iPS細胞ストックを供給する体制を構築するとともに、疾患iPS細胞バンクの寄託及び活用を推進した。
- ②-2 製薬協や日本CRO協会との共催セミナー、「AMED再生医療研究交流会」と「再生医療公開シンポジウム」での交流・情報交換等の仕組みを構築した。
- ②-3 レギュラトリーサイエンス関連研究課題で規制科学課、創薬支援研究課題で難病研究課・臨床研究課によりAMED内連携が進んだ。
- ②-4 再生医療学会を中心とした「ナショナルコンソーシアム」の再生医療等データ登録システム(NRMD)を構築し、活用を進めた。

③研究育成、人的交流、国際連携等に資する活動

- ③-1 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」の中で、次世代のシーズ作りを目指した基礎的な研究開発を実施、及び若手研究者の登用と交流強化を進めた。
- ③-2 「AMED再生医療研究交流会」が、研究者の交流を促進させるとともに若手研究者に発表機会と研究者交流の場として定着した。また、「AMED再生医療公開シンポジウム」が、再生医療について患者及びその家族・一般の理解の促進と研究者が患者・市民のニーズを知る場として定着した。
- ③-3 シンガポール科学技術研究庁A*STAR、英国MRCとの国際連携を強化した。
- ③-4 ヒトiPS細胞由来心筋細胞等を用いた心毒性試験をICHガイドライン化に向けた活動を継続して進めている。

④成果目標達成状況(評価指標)

KPI【2020年までの達成状況】	令和2年3月迄の累積達成状況
・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用	患者由来の疾患特異的iPS細胞を活用した創薬研究により、4件の治験が開始された。
・再生医療等製品の薬事承認数の増加	これまで累計で5品目、7症例が承認された。
・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 目標35件	47件(内、治験:21件、対象疾患数:41疾患)が臨床研究又は治験に移行し、対象疾患は着実に拡大、KPIを達成した。
・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	6品目8種の製品が発売され、1品目がマスターファイル登録された
・iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言	産官学連携の検証試験等からiPS心筋で催不整脈リスクの予測可能となり、ICHに作業部会が設置され、本アプローチの利用可能性を検討が始まった。

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療



令和元年度評価

①再生医療研究開発における顕著な成果事例

①-1 大阪大学 西田幸二教授 他



iPS細胞由来角膜上皮細胞シートを用いた角膜疾患に対する臨床研究

- 他人由来のiPS細胞から作製した角膜上皮細胞シートによる患者の眼表面に移植
- 平成31年3月 厚生科学審議会再生医療等評価部会にて了承
- 令和元年7月 大阪大学病院で第1例目の移植を実施



①-2 佐賀大学 中山功一教授 他



バイオ3Dプリンタを用いて造形した小口径Scaffold free細胞人工血管の臨床研究

- 患者の皮膚組織の細胞よりバイオ3Dプリンタにて管状構造体を作製し、人工血管として移植する臨床研究
- 令和元年8月 特定認定再生医療等委員会にて了承
- 令和元年11月 再生医療等提供計画を厚生労働大臣に提出



①-3 東京医科歯科大学 武部貴則 教授 他



内胚葉オルガノイドの線維化誘導とメカノスクリーン体系の創生

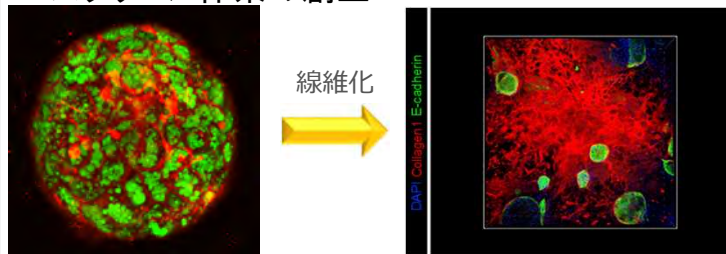


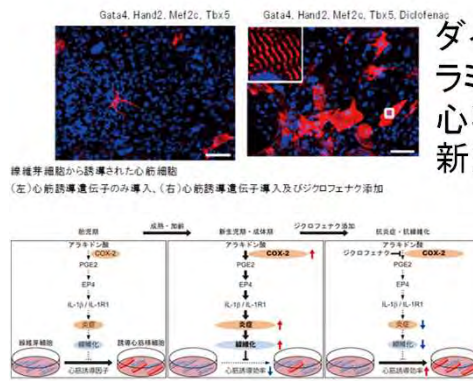
図 ヒト脂肪性肝炎オルガノイドの蛍光観察像
緑：中性脂肪、赤：細胞膜

2019年5月30日 Cell Metabolism

①-4 筑波大学 家田真樹 教授 他



ダイレクトリプログラミングによる慢性心不全に地する革新的心臓再生



2019年2月20日

Nature Communications

①-5 名古屋市立大学 松永民秀 教授 他



生体模倣小腸-肝臓チップ：バイオアベイラビリティ予測と安全性評価in vitroモデルの開発

iPS細胞から腸管上皮細胞への分化誘導技術の開発に取り組み、同技術を用いた富士フィルム(株)がヒトiPS細胞由来腸管上皮細胞「F-hiSIEC™」として販売を開始した。同細胞は、ヒト生体に近い機能を有し、薬物の吸収性を高精度に評価でき、医薬品開発の効率化に大きく貢献することが期待されている。



I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療

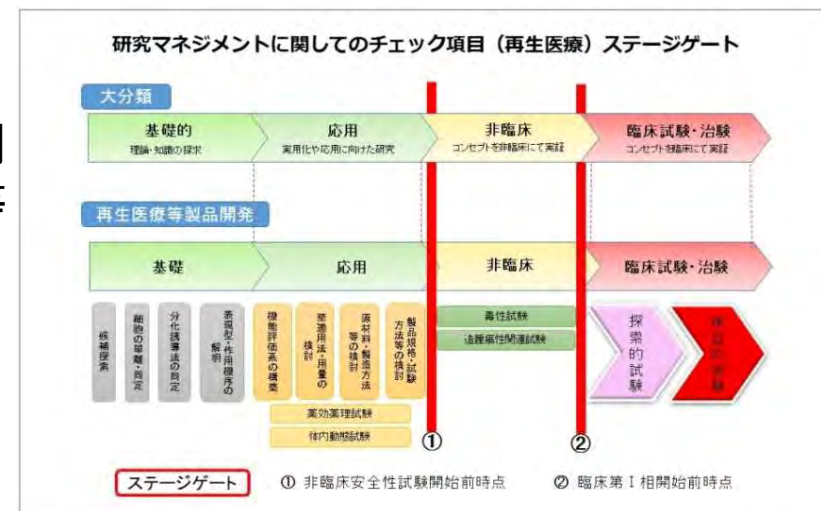


令和元年度評価

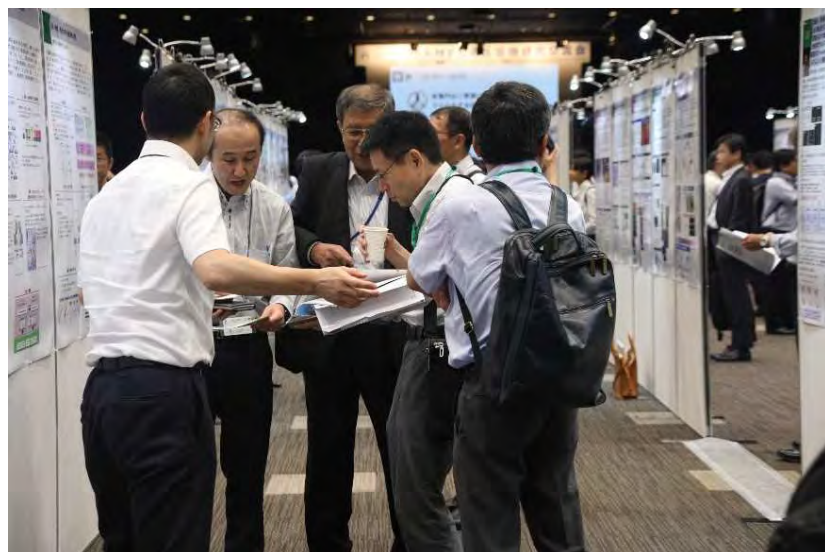
②再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 平成30年度に取り纏めた「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を、令和元年度「再生医療実用化研究事業」等の関連事業の中間評価や事前評価等で活用することにより、プロジェクトの運営や事業間連携を強化した。

②-2 再生医療実用化研究事業において、令和元年9月に日本CRO協会・AMED共催セミナーを開催し、アカデミアを中心の対象として再生医療におけるCROへ委託する上での留意点について実例を含めて説明した。



再生医療研究事業のマネジメント



AMED再生医療研究交流会

令和元年度も継続して実施したAMED再生医療研究交流会において、研究者が相互に議論できる機会として、ポスターセッション、企業展示を提供した。また、再生医療研究課以外の再生医療関係研究課題参画研究者やPSPOにも参加してもらい交流・情報交換の幅を広げることが出来た。

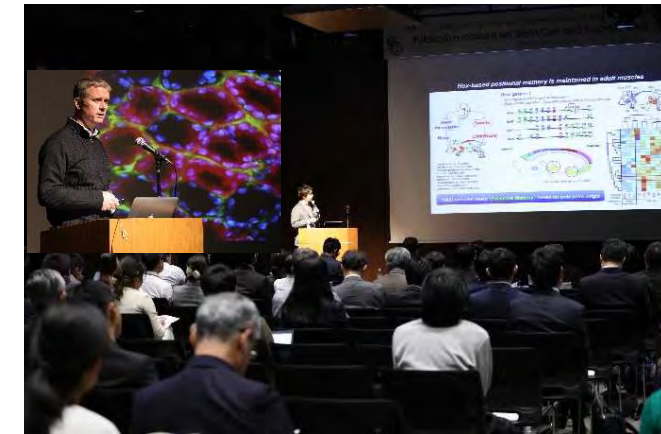
②-3 継続したAMED内連携として、レギュラトリーサイエンス関連の研究課題（移植細胞の造腫瘍性評価、iPS細胞を利用した医薬品毒性評価等）の規制科学課との共同で運用した。また、及び疾患特異的iPS細胞を活用した創薬支援研究課題の難病研究課・臨床研究課との情報を共用した。

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐ実施④再生医療

令和元年度評価

③研究育成、人的交流、国際連携等に資する活動

③-1 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」を平成28年度に開始した。その中で、次世代のシーズ作りを目指した基礎的な研究開発を実施するとともに、公募の際には、若手研究者枠を必ず設け、若手研究者の登用を積極的に進めた。令和元年度は、海外の研究者を招聘して公開シンポジウムを実施した。令和2年度公募においても、継続して若手枠を設けて公募した。東京医科歯科大学 武部教授、筑波大学 家田教授等の若手研究者が、国際的にも評価の高い雑誌に新たな再生医療シーズとしての成果を発表した。



「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」公開シンポジウム

③-3 昨年度から継続して、「AMED再生医療研究交流会」を開催し、再生医療実現プロジェクトで支援する研究者の交流を促進させるとともに若手研究者に発表機会を提供した。また、ポスター発表は、若手研究者を中心に発表してもらう等、若手の活躍の場を提供した。

③-4 昨年度までから継続して、再生医療について患者及びその家族・一般を中心に理解を得ることを目的に「令和元年度AMED再生医療公開シンポジウム」を開催した。治験実施中の研究課題、これから臨床研究に入る研究課題、機作研究課題に関する講演の他、パネルディスカッションやポスター解説を織り交ぜて、第一線の再生医療の研究者による、再生医療をわかりやすく解説を行った。本年度は装置展示、細胞観察などで、市民がよりリアルに研究にモノに触れる機会とした。

③-2 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」の令和2年度の公募では、MRCと協力して日英国際共同研究枠を設けた。



「AMED再生医療公開シンポジウム」

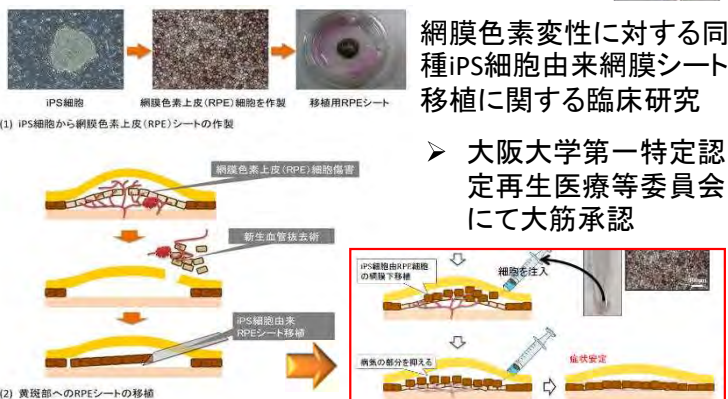
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療

期間実績評価

①再生医療研究開発における顕著な成果事例

①-1a 神戸アイセンター病院 高橋政代 研究センター長 他

網膜色素変性に対する同種iPS細胞由来網膜シート移植に関する臨床研究

➢ 大阪大学第一特定認定再生医療等委員会にて大筋承認

(1) iPS細胞から網膜色素上皮 (RPE) シートの作製

(2) 黄斑部へのRPEシートの移植

①-1b 京都大学 高橋淳 教授 他

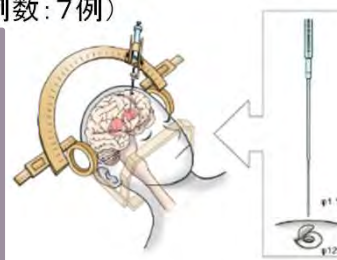


パーキンソン病に対する他家iPS細胞を用いた

医師主導治験

- パーキンソン病に対して、他家由来iPS細胞からドパミン神経前駆細胞を作製し、移植する医師主導治験。
- 現在、1例実施。(予定症例数: 7例)


iPS細胞から分化誘導したドパミン神経前駆細胞(約500万個)を、注射針のような器具を用い、パーキンソン病の患者の脳に細胞を注入する。



①-1d 東京医科歯科大学 関矢一郎 教授 他



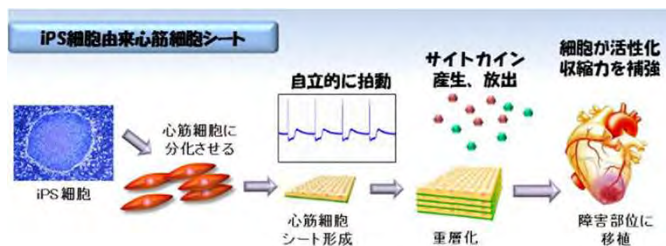
自家滑膜幹細胞の半月板損傷を対象とする医師主導治験、および変形性膝関節症に対する滑膜幹細胞の関節内注射

- 半月板損傷患者に自家滑膜幹細胞を移植する医師主導治験を実施、再生医療製品として製造販売申請の準備中。
 - 滑膜幹細胞については、変形性膝関節症患者への実用化にも取組中。
- 

①-1c 大阪大学 澤芳樹 教授 他



心筋再生治療に関するiPS細胞を用いた医師主導治験



- 他人由来のiPS細胞から作製した心筋細胞シートによる重症心不全(虚血性心筋症)になった患者、最大10例に移植を予定。
- 令和元年10月29日、医薬品医療機器総合機構に医師主導治験届を提出。
- 令和2年1月21日、1例目の被験者にiPS細胞由来心筋細胞シートを移植。

①-5 ヒト細胞原料の安定供給実現に向けた委員会 委員長: 東京医科歯科大学 森尾友宏 教授

「ヒト(同種)細胞原料供給に係るガイダンス(初版)」の取り纏め

- 「国内医療機関からのヒト(同種)体性幹細胞原料の安定供給モデル事業」の一環として実施した。
- 平成30年度 ヒト細胞原料の供給にかかる体制整備に向けた研究を開始
- 研究開発事業と並行して、ヒト細胞原料供給に関わる法的・倫理的な課題等を議論する有識者からなる検討委員会を設置し、検討を進めている。
- 令和2年3月 ヒト細胞原料の採取や仲介に携わることを目指す医療機・関、学術研究機関及び企業等での活用を狙い、経産省より取り纏め「ヒト(同種)細胞原料供給に係るガイダンス(初版)」を公表した。また、ドナーに対する説明文書及び同意文書(IC)の参考例文と解説を附属資料として策定した。

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療



期間実績評価

②再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 京都大学iPS細胞研究所が作製する臨床用iPS細胞ストックについて有識者からヒアリングを行い、課題を抽出した。PDが全事業の各評価委員会等にオブザーバーとして出席することや各事業の評価委員やPS・POを相互に兼任すること等により、事業内連携の助言、研究開発計画、研究開発費、体制改善の見直し指示が効率的・効果的になされるよう工夫した。

平成30年度に取り纏めた「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を中間評価や事前評価等で活用することにより、プロジェクトの運営や事業間連携を強化した。

平成30年度に再生医療等製品とその競合技術の比較調査を実施し、令和元年度には調査結果について勉強会を催し、評価や事業設計の参考とした。

②-2 再生医療実用化研究事業において、「製薬協・AMED共催セミナー『花開け！再生医療のシーズ』」(平成30年7月)を開催したアカデミアと製薬企業等産業界の討議から、令和元年度から新たな産学連携課題の公募を開始した。また、令和元年度にはアカデミアのシーズをより企業にとって魅力的とするため、アーリーフェーズの研究を進めるアカデミアの研究者を対象とした相談会、及び日本CRO協会・AMED共催セミナーを開催した。

毎年度継続して実施しているAMED再生医療研究交流会が定着し、ポスターセッション、企業展示の場で、研究者が相互に議論できる機会となった。また、再生医療研究課以外の再生医療関係研究課題参画研究者やPSPOにも参加してもらい交流・情報交換の幅を広げることが出来た。

②-3 レギュラトリーサイエンス関連の研究課題(移植細胞の造腫瘍性評価、iPS細胞を利用した医薬品毒性評価等)の規制科学課とのAMED内連携が定着した。また、疾患特異的iPS細胞を活用した創薬支援研究課題の難病研究課・臨床研究課との情報の共有が進んだ。

②-4 再生医療臨床研究促進基盤整備事業(平成28年度～)において、再生医療学会を中心に、再生医療の知識・経験を有する大学、医療機関等が連携する「ナショナルコンソーシアム」の活動の一つとして、再生医療等データ登録システム(NRMD)を構築した。臨床研究に関しては、再生医療等臨床研究データ登録システム(NRMD/CR)に平成29年度より眼科関連研究(RPE臨床研究データ)の登録受入を開始、平成30年度より上市済みの製品の再生医療等製品使用データ登録システム(NRMD/PMS)に登録を開始し、データの提供も進めている。

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療



期間実績評価

③研究育成、人的交流、国際連携等に資する活動

- ③-1 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」を平成28年度に開始した。その中で、次世代のシーズ作りを目指した基礎的な研究開発を実施するとともに、公募の際には、若手研究者枠を必ず設け、若手研究者の登用を積極的に進めた。地方での事業内交流会、アウトリーチ活動としての小・中学校で出張授業、海外の研究者を招聘した公開シンポジウムを実施した。
- ③-2 昨年度までと同様に、「AMED再生医療研究交流会」を開催し、再生医療実現プロジェクトで支援する研究者の交流を促進させるとともに若手研究者に発表機会と交流の場として定着した。
毎年継続して開催している「AMED再生医療公開シンポジウム」が、再生医療について患者及びその家族・一般を中心に理解を得る場として定着した。第一線の再生医療の研究者による分かりやすい講演、パネルディスカッション、ポスター発表や企業等の展示を通して、再生医療技術に関する知識の普及と研究者が直接患者や市民と話す場として機能している。
- ③-3 共同ワークショップ開催によるシンガポール科学技術研究庁A*STARとさらなる連携強化、「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」での公募による英国MRCとの共同研究を推進した。
- ③-4 iPS細胞技術を応用した心毒性評価手法の開発について、国際検証試験により、ヒトiPS細胞由来心筋細胞を用いて医薬品による致死性不整脈の発生リスクを評価できることを明らかにし、その論文が受理された。また、国際安全性薬理学会で発表し、議論を行った。さらに、2018年に開催されたICHにおいて、作業部会が設置され、ヒトiPS細胞由来心筋細胞等を用いた新しいアプローチの利用可能性を検討することがコンセプトペーパーに記載された。ICHガイドライン化に向けた活動を継続して進めている。

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療



令和元年度評価

期間実績評価

<成果目標達成状況(評価指標)> ※ I (2)①~⑨のみ

KPI【2020年までの達成状況】	① 令和2年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
<p>・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用(臨床研究又は治験の開始)</p>	<p>患者由来の疾患特異的iPS細胞を活用した創薬研究により、以下の4件の治験が開始された。① 京都大学iPS細胞研究所 戸口田教授らグループによる進行性骨化性線維異形成症(FOP)へのシロリムスの治験、② 慶應義塾大学医学部耳鼻咽喉科学教室の小川郁教授、藤岡正人専任講師らの生理学教室(岡野栄之教授)との共同研究によるPendred症候群へのシロリムスの治験、③ 慶應義塾大学病院神経内科診療科部長の中原仁教授、診療科副部長の高橋慎一准教授らの生理学教室(岡野栄之教授)との共同研究によるALSへのロピニロール塩酸塩の治験、④京都大学iPS細胞研究所 井上治久教授らによるALSへの疾患特異的iPS細胞を用いたスクリーニングにより見出したボスチニブの治験。これまで累計で5品目、7症例が承認された。</p>	<p>患者由来の疾患特異的iPS細胞の利用による新薬探索につながる病態解明の研究は進んだが、臨床研究又は治験への移行はなかった</p>
<p>・再生医療等製品の薬事承認数の増加</p>	<p>H27年度に、① 条件・期限付承認としてヒト(自己)骨格筋由来細胞シート(「ハートシート」(テルモ株式会社)「虚血性心疾患」、②ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞(「テムセルHS 注」(JCR ファーマ株式会社 「GVHD」)、H28年度に、③ 適応追加としてヒト(自己)表皮由来細胞シート(「ジェイス」(株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング)「先天性巨大色素性母斑」、H30年度に、④条件・期限付承認としてヒト(自己)自己骨髄間葉系幹細胞「ステミラック注」(ニプロ株式会社)「脊髄損傷」、⑤追加適応としてヒト(自己)表皮由来細胞シート(「ジェイス」(株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング)「表皮水疱症」が、⑥ チサゲンレクルユーセル(「キムリア点滴静注」(ノバルティスファーマ株式会社)「B細胞性急性リンパ芽球性白血病」及び「びまん性大細胞型B細胞リンパ腫」、⑦ ベペルミノゲン ペルプラスミド(「コラテジェン筋注用4mg」(アンジェス株式会社)「慢性動脈閉塞症」)が条件・期限付きで承認された。令和元年度に、自家培養口腔粘膜上皮(開発名:COMET01、株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング)「角膜上皮幹細胞疲弊症」が厚労省薬事・食品衛生審議会 生医療等製品・生物由来技術部会で希少疾病用再生医療等製品の指定が了承された。</p>	<p>令和元年度は、自家培養口腔粘膜上皮(開発名:COMET01、株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング)「角膜上皮幹細胞疲弊症」が2月に厚労省薬事・食品衛生審議会 生医療等製品・生物由来技術部会において希少疾病用再生医療等製品への指定が了承された。</p>