

再生医療実現拠点ネットワークプログラム  
(再生医療の実現化ハイウェイ) 研究開発課題評価  
(平成28年度実施 中間・事後評価) 評価報告書

平成29年3月

再生医療実現拠点ネットワークプログラム(再生医療の実現化ハイウェイ)

研究開発課題評価委員会

－ 目次 －

1. 事業の概要

2. 評価の概要

3. 各研究開発課題の評価結果

4. 評価委員一覧

## 1. 事業の概要

「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」では、iPS 細胞等を使った再生医療について、オールジャパン体制で研究開発を推進し、日本発の iPS 細胞技術を世界に先駆けて臨床応用することを目的としている。また、疾患発症機構の解明、創薬研究等を実施している。再生医療の実現には、生命倫理や個人情報の保護等について社会のコンセンサスを得るとともに、様々な規制をクリアする必要があるが、本事業では全体として、それらの倫理関係や規制関係に対するサポート体制を構築している。

「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」では、これまで、以下の各サブプログラムにおいて、目的や実施内容に応じた各種の拠点・課題を構築している。

### (1) iPS 細胞研究中核拠点／疾患・組織別実用化研究拠点(拠点A・B)／技術開発個別課題

iPS 細胞の標準化、安全性の確保をおこないつつ、再生医療用 iPS 細胞ストックの構築をめざして必要な研究開発を長期的に実施する拠点を「iPS 細胞研究中核拠点」として構築するとともに、「iPS 細胞研究中核拠点」で作製される再生医療用 iPS 細胞等を用いて、臨床研究を実施するために必要な研究開発をおこない、責任を持って臨床応用をおこなう拠点を「疾患・組織別実用化研究拠点(拠点A・拠点B)」として構築している。また、これらの拠点と連携して iPS 細胞等の臨床応用の幅を広げる技術開発や、より高度な再生医療を目指した技術開発、iPS 細胞等の産業応用を目指した技術開発を「技術開発個別課題」として実施している。

### (2) 再生医療の実現化ハイウェイ

再生医療のいち早い実現のため、連続的に再生医療研究を支援するとともに、疾患・組織別実用化研究拠点と連携しさらに研究を加速している。

### (3) 疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究

病態解明、創薬の進まない難治性・希少性疾患に対する研究を疾患特異的 iPS 細胞を用いることで推進し、治療薬の創出を図っている。

### (4) 幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム

幹細胞・再生医学分野の発展および次世代の再生医療の革新的な医療の実現に資する、独創的な発想に基づく目標達成型の基礎的研究を実施する。研究の継続的な発展には、人材の育成が必要であることから、特に若手研究者に対する支援を行う。

## 2. 評価の概要

平成 23 年度に開始された「再生医療の実現化ハイウェイ」について、平成 28 年度に研究開発課題評価を実施した。国立研究開発法人日本医療研究開発機構に「再生医療実現拠点ネットワークプログラム(再生医療の実現化ハイウェイ) 研究開発課題評価委員会」を設置し、各研究開発課題の進捗状況、成果等を把握し、これを基に適切な予算配分や計画の見直し、中断・中止を含めた計画変更の要否の確認等を実施することを目的に、評価を実施した。

再生医療実現拠点ネットワークプログラム(再生医療の実現化ハイウェイ)では、再生医療の実現を目指し、以下の 4 分野において研究開発を行っている。

課題 A	課題開始から 1～3 年目までに臨床研究に到達することを目指す、主として体性幹細胞を用いた研究開発課題。
課題 B	課題開始から 5～7 年目までに臨床研究に到達する(注2)ことを目指す、主として iPS/ES 細胞を用いた研究開発課題。
課題 C	課題 A 及び課題 B を含む再生医療実現拠点ネットワークプログラムの全課題を対象とした進捗管理、ノウハウ集約等の協力を実施する課題。
課題 D	課題 A 及び課題 B を含む再生医療実現拠点ネットワークプログラムの全課題を対象として、再生医療の実現化に向けた研究開発における生命倫理上の問題に関して調査・検討・協力を実施する課題。

平成 23 年度に開始して平成 28 年度に終了予定の 4 課題について事後評価を実施し、それ以外のうち 3 課題について中間評価を実施した。本評価報告書は、これらの各研究開発課題の評価結果を取りまとめたものである。

なお、評価委員会においては、各研究開発課題の評価にあたり、次ページの各評価項目に基づき、総合的に評価が実施された。

## 中間評価における評価項目

### 【課題 B】

#### ①研究開発進捗状況について（目標達成度）

- ・研究が着実に進捗し、課題開始から 5～7 年目以内の臨床研究又は治験への到達に向けた準備が進んでいるか(PMDA への薬事戦略相談の実施など)
- ・臨床研究又は治験を見据え、実用化に向けた取り組みが検討されているか(企業との交渉・秘密保持・共同研究契約を図る等の進捗)
- ・平成 25 年度中間評価で示されたコメントに対する対応はどうか

#### ②研究開発成果について（成果の科学的・社会的価値）

- ・成果の科学的・技術的価値はどうであったか(医療分野の進展に資するものであるか、新技術の創出に資するものであるか、社会的ニーズへ対応するものであるか、先行技術に対する優位性が見られるか、等)
- ・必要な知的財産の確保がなされているか
- ・専門学術誌への発表並びに学会での講演及び発表など科学技術コミュニケーション活動(アウトリーチ活動)が図られていたか

#### ③マネジメントについて

- ・研究開発代表者を中心とした研究開発体制が適切に組織されているか
- ・生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守しているか
- ・若手研究者のキャリアパス支援が図られているか
- ・本事業の他課題と、必要に応じて情報共有・連携等を実施しているか

#### ④今後の見通し

- ・臨床研究又は治験以降、成果の普及(事業化等)を目指した実現可能な研究計画が立てられているか
- ・今後の年度毎の研究計画は具体的で、明確な目標が設定されているか
- ・見込まれる成果の展開・発展性、実用化の見込みはどうか

#### ⑤総合評価

- ①～④の事項を勘案して総合評価する

### 【課題 C】

#### ①研究開発支援の進捗・成果について

- ・各課題の臨床研究、治験又は先進医療に向けて、独自の戦略をもって支援を行っているか
- ・拠点・課題運営支援(拠点マネージャー会議の開催、薬事戦略相談に係る論点整理、等)を適切に行っているか
- ・臨床展開支援(品質・非臨床試験支援、研究関連データ・ノウハウの共有・教育・規制への反映、等)を適切に行っているか
- ・平成 25 年度中間評価で示されたコメントに対して適切に対応を行っているか

#### ②マネジメントについて

- ・研究開発代表者を中心とした研究開発支援体制が適切に組織されているか
- ・他課題との十分な連携体制が構築されているか
- ・生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守しているか
- ・若手研究者のキャリアパス支援が図られているか

#### ③今後の見通し

- ・現在の達成度をふまえ、各課題の臨床研究・治験・先進医療到達に向けて、妥当かつ実現可能な支援の計画が立てられているか
- ・見込まれる支援の成果は、今後、臨床応用を目指す研究開発等において活用され、更なる発展に寄与することが期待できるか

#### ④総合評価

- ①～③の事項を勘案して総合評価する

【課題 D】

①研究開発(倫理支援・教育及び調査研究の)進捗・成果状況について

<全体>

- ・成果は社会ニーズに対応するものであるか
- ・平成 25 年度中間評価で示されたコメントに対する対応はどうか

<倫理支援・教育>

- ・再生医療の実現における倫理上の問題について、独自の戦略をもって各課題へ協力を行っているか
- ・研究者・研究支援者等の人材育成を適切に行っているか

<調査研究>

- ・再生医療の実現化研究が進展する上で、現在生じている又は今後生じうる新たな問題の抽出、及び対応についての調査研究を行っているか
- ・必要な知的財産の確保がなされているか
- ・専門学術誌への発表並びに学会での講演及び発表など科学技術コミュニケーション活動(アウトリーチ活動)が図られているか

②マネジメントについて

- ・研究開発代表者を中心とした研究開発体制が適切に組織されているか
- ・他課題との十分な連携体制が構築されているか
- ・生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守しているか
- ・若手研究者のキャリアパス支援が図られているか

③今後の見通し

- ・現在の達成度をふまえ、再生医療の実現に向けた倫理上の問題の解決に向けて、妥当かつ実現可能な計画が立てられているか
- ・見込まれる成果は、今後の行政又は、臨床応用を目指す研究開発等において活用され、更なる発展に寄与することが期待できるか

④総合評価

- ①～③の事項を勘案して総合評価する

## 事後評価における評価項目

### 【課題 A】

- ①研究開発達成状況について（目標達成度）
  - ・臨床研究に到達後、治験又は先進医療に向けた取り組みの達成度かどうか
  - ・平成 25 年度中間評価で示されたコメントに対する対応はどうか
- ②研究開発成果について（成果の科学的・社会的価値）
  - ・成果の科学的・技術的価値はどうであったか(医療分野の進展に資するものであるか、新技術の創出に資するものであるか、社会的ニーズへ対応するものであるか、先行技術に対する優位性が見られるか、等)
  - ・必要な知的財産の確保がなされたか
  - ・専門学術誌への発表並びに学会での講演及び発表など科学技術コミュニケーション活動(アウトリーチ活動)が図られていたか
- ③マネジメントについて
  - ・研究開発代表者を中心とした研究開発体制が適切に組織されていたか
  - ・生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守していたか
  - ・若手研究者のキャリアパス支援が図られていたか
  - ・事業化に向けて、企業との連携・共同研究を実施する等、着実に運営されているか
  - ・本事業の他課題と、必要に応じて情報共有・連携等を実施しているか
- ④今後の見通し
  - ・今後、研究開発成果のさらなる展開が期待できるか
  - ・治験又は先進医療以降、成果の普及(事業化等)を目指した計画が立てられているか
- ⑤総合評価
  - ①～④の事項を勘案して総合評価する

### 【課題 B】

- ①研究開発達成状況について（目標達成度）
  - ・研究が着実に進捗し、課題開始から 5～7 年目以内の臨床研究又は治験への到達に向けた準備が進んでいるか(PMDA への薬事戦略相談の実施など)
  - ・臨床研究又は治験を見据え、実用化に向けた取り組みが検討されているか(企業との交渉・秘密保持・共同研究契約を図る等の達成度)
  - ・平成 25 年度中間評価で示されたコメントに対する対応はどうか
- ②研究開発成果について（成果の科学的・社会的価値）
  - ・成果の科学的・技術的価値はどうであったか(医療分野の進展に資するものであるか、新技術の創出に資するものであるか、社会的ニーズへ対応するものであるか、先行技術に対する優位性が見られるか、等)
  - ・必要な知的財産の確保がなされたか
  - ・専門学術誌への発表並びに学会での講演及び発表など科学技術コミュニケーション活動(アウトリーチ活動)が図られていたか
- ③マネジメントについて
  - ・研究開発代表者を中心とした研究開発体制が適切に組織されていたか
  - ・生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守していたか
  - ・若手研究者のキャリアパス支援が図られていたか
  - ・本事業の他課題と、必要に応じて情報共有・連携等を実施しているか
- ④今後の見通し
  - ・今後、研究開発成果のさらなる展開が期待できるか
  - ・臨床研究又は治験以降、成果の普及(事業化等)を目指した研究計画が立てられているか
- ⑤総合評価
  - ①～④の事項を勘案して総合評価する

### 3. 各研究開発課題の評価結果

[報告書](#) 

#### (1) 課題 A [事後評価 3課題]

「滑膜幹細胞による膝半月板再生」 東京医科歯科大学 関矢 一郎 [事後評価]

「培養ヒト角膜内皮細胞移植による角膜内皮再生医療の実現化」 京都府立医科大学 木下 茂 [事後評価]

「培養ヒト骨髄細胞を用いた低侵襲肝臓再生療法の開発」 山口大学 坂井田 功 [事後評価]

#### (2) 課題 B [中間評価 1課題、事後評価 1課題]

「iPS 細胞を用いた角膜再生治療法の開発」 大阪大学 西田 幸二 [中間評価]

「重症高アンモニア血症を生じる先天性代謝異常症に対するヒト胚性幹 (ES) 細胞製剤に関する臨床研究」 国立成育医療研究センター 梅澤 明弘 [事後評価]

#### (3) 課題 C [中間評価 1課題]

「再生医療の早期実現化と国際展開に向けた研究開発支援」 医薬基盤・健康・栄養研究所 松山 晃文 [中間評価]

#### (4) 課題 D [中間評価 1課題]

「再生医療研究における倫理的課題の解決に関する研究」 東京大学 武藤 香織 [中間評価]

### 4. 評価委員一覧

[別紙参照](#) 