

再生医療実現拠点ネットワークプログラム
(疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究)
研究開発課題事後評価(平成 28 年度実施)
評価報告書

平成28年8月

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

研究開発課題事後評価委員会

－ 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。

2. 評価の概要

平成 24 年度に開始された「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」について、平成 28 年度に研究開発課題事後評価を実施した。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（疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究）研究開発課題事後評価委員会」を設置し、研究開発課題等について、実施状況、成果等を明らかにし、今後の展開及び実用化に向けた指導・助言等を実施することを目的に、評価を実施した。

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。

共同研究拠点に関する評価項目

①研究開発の達成状況について

- ・ 達成目標を達成できたか。
- ・ 難治性疾患に対する創薬スクリーニングを5件以上実施できたか。
- ・ 疾患研究に関する論文20報以上発表できたか。
- ・ 疾患特異的 iPS 細胞の樹立、寄託が進んだか。
- ・ 疾患特異的 iPS 細胞を用いた研究の実施に必要な技術移転が進んだか。
- ・ 《加点要素》開発候補化合物が同定できたか。

②研究開発の成果について

- ・ 研究開発成果の科学的、社会的価値はどうであったか（新技術の創出に資するものであったか、社会的ニーズに対応するものであったか、医療分野の進展に資するものであったか、先行技術に対する優位性が見られたか、等）
- ・ 専門学術雑誌への発表、学会での講演・発表、科学技術コミュニケーション活動（アウトリーチ活動）、必要な知的財産の確保が図られたか。

③マネジメント

- ・ 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たか（代表機関と分担機関の十分な連携体制が構築されたか）。
- ・ 生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守したか。
- ・ 若手研究者のキャリアパス支援が図られたか。

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。

⑤総合評価

- ・ ①～③の事項を勘案して総合評価する。

樹立拠点に関する評価項目

①研究開発の達成状況について

- ・達成目標を達成できたか。
- ・品質が保証された疾患 iPS 細胞を 200 疾患以上バンクに寄託できたか。
- ・臨床情報の収集、樹立方法の標準化、樹立した iPS 細胞の品質確認が進んだか。
- ・《加点要素》疾患特異的 iPS 細胞に対するコントロール iPS 細胞の樹立が進んだか。

②研究開発の成果について

- ・研究開発成果の科学的、社会的価値はどうであったか（新技術の創出に資するものであったか、社会的ニーズに対応するものであったか、医療分野の進展に資するものであったか、先行技術に対する優位性が見られたか、等）
- ・専門学術雑誌への発表、学会での講演・発表、科学技術コミュニケーション活動（アウトリーチ活動）、必要な知的財産の確保が図られたか。

③マネジメント

- ・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たか（代表機関と分担機関の十分な連携体制が構築されたか）。
- ・生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守したか。
- ・若手研究者のキャリアパス支援が図られたか。

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。

⑤総合評価

- ・①～③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

[評価報告書](#) 

(1) 樹立拠点[1 課題]

「疾患特異的 iPS 細胞樹立促進のための基盤形成」 京都大学 山中 伸弥

(2) 共同研究拠点[5 課題]

「高品質な分化細胞・組織を用いた神経系および視覚系難病の in vitro モデル化と治療法の開発」 京都大学 井上 治久

「疾患特異的 iPS 細胞技術を用いた神経難病研究」 慶應義塾大学 岡野 栄之

「iPS 細胞を用いた遺伝性心筋疾患の病態解明および治療法開発」 東京大学 小室 一成

「疾患特異的 iPS 細胞を活用した筋骨格系難病研究」 京都大学 戸口田 淳也

「難治性血液・免疫疾患由来の疾患特異的 iPS 細胞の樹立と新規治療法開発」 京都大学 中畑 龍俊

4. 評価委員一覧

[評価委員](#) 