

平成27年度
革新的先端研究開発支援事業
「人工多能性幹細胞（iPS細胞）作製・制御等の
医療基盤技術」研究開発領域
領域事後評価結果

平成28年3月

革新的先端研究開発支援事業
「人工多能性幹細胞（iPS細胞）作製・制御等の医療基盤技術」研究開発領域
領域事後評価委員会

－ 目 次 －

I. 概要

1. 研究開発領域の概要
2. 評価の概要
 - (1) 評価会の実施時期
 - (2) 評価委員一覧
 - (3) 評価項目

II. 領域事後評価結果

I. 概要

1. 研究開発領域の概要

本研究領域は、近年著しい進歩の見られる、iPS 細胞を基軸とした細胞リプログラミング技術の開発に基づき、当該技術の高度化・簡便化を始めとして、モデル細胞の構築による疾患発症機構の解明、新規治療戦略、疾患の早期発見などの革新的医療に資する基盤技術の構築を目指す研究を対象とするものです。

具体的には、ゲノミクス・染色体構造・エピジェネティクス解析を通じたリプログラムおよび細胞分化機構の研究、遺伝子導入の制御などの研究、リプログラムを誘導する化合物のハイスループットスクリーニングを行う研究、先天性疾患の患者細胞から作製された多能性幹細胞を用い疾患発症機構の解明を目指す研究などが含まれます。

さらには、こうした幹細胞研究と病態研究等の統合による、これまでにない新規治療法や予防医療の開発に繋がる研究も対象とします。

2. 評価の概要

(1) 評価の実施時期

研究開発領域終了時に実施。

(2) 評価委員一覧

評価委員長

齋藤 英彦 国立病院機構名古屋医療センター 名誉院長

評価委員

阿形 清和 京都大学大学院理学研究科 教授

岡野 栄之 慶應義塾大学医学部 医学部長

条 昭苑 東京工業大学生命理工学研究科 教授

関野 祐子 国立医薬品食品衛生研究所 薬理部長

曾我部 正博 名古屋大学大学院医学系研究科 特任教授

(3) 評価項目

本評価委員会においては、以下の評価項目に基づき総合的に評価が実施された。

1. 研究開発領域としての研究開発マネジメントの状況
 - (1) 研究開発課題の選考方針は適切であったか
(採択された課題の構成、研究者の専門分野・所属等)
 - (2) 領域アドバイザーの構成は適切であったか
(専門分野、所属等)
 - (3) 研究開発領域のマネジメントは適切であったか
(研究領域の運営方針、研究進捗状況の把握と評価、それに基づく指導、課題間の連携の推進、研究費の配分上の工夫、人材育成等)
2. 研究開発領域としての研究開発目標の達成に資する成果
 - (1) 科学技術の進歩に資するという視点から見て、研究成果は国際的に高い水準が期待できるか
(論文、学会・会議における発表状況等)
 - (2) 医療の革新に寄与する卓越した成果(技術的・社会的に大きなインパクトを期待できる成果)が期待できるか
(産業や社会への展開・実装の見通し、知的財産権取得への取組状況等)
3. 総合所見

II. 領域事後評估結果

総合評価

合計 23 課題を採択し 63 億円を掛けた研究開発領域として、総合的に優れた成果を上げたと評価する。特に、再生医療を見据えた基礎科学と応用科学をつなぐ領域を創出した役割は大きい。基礎科学が枯れては応用科学の発展は全く望めない。未来への投資として躊躇なく基礎と応用をつなぐ分野を開拓した点を評価する。AMED にあっても、医学応用を目指す研究のみでなく、基礎的な機構解明を重視した基盤的研究をサポートする事業が今後も継続的に維持されることを期待する。本領域は、その模範となった研究開発領域であったと考える。

なお、領域中間評価結果では、①将来臨床に使うことのできる安全な iPS 細胞、および②iPS 細胞の造血幹細胞への誘導、について期待する旨コメントが述べられている。①については、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」で目指す課題であり、本領域が基礎・基盤技術研究に特化した判断は妥当であったものとする。②については、科学的に難易度の高い研究テーマであり、達成こそ出来なかったが、多くの新しい知見を得ることが出来たものとする。

研究開発目標の主要テーマであるリプログラミング技術の高度化・簡便化に関しては必ずしも十分には目的を達成していない部分もあるが、分化誘導、発生理解、エピジェネティクスや疾患モデル細胞などで世界的に優れた成果を上げた。

1. 研究開発領域としての研究マネジメントの状況

(1) 研究開発課題の選考方針

妥当であった。平成 20 年度から 3 年間にわたり順次課題を公募により選考・採択した。公募時はまだ iPS 細胞の研究者が少なかったこともあり、多様な課題を採択した。新しい研究分野に意欲的に取り組む研究者が選抜できている。幅広い人材を集めた分リスクも増えるが、8 年間のうちに何か新規なものを生むためには、幅広さは不可欠という見識を評価したい。並行して行われた文部科学省「再生医療の実現化プロジェクト」との重複を避けて基礎科学を重視したことは評価する。しかし、一部には両者に採用された研究者もいる。事前評価の際における国際評価の導入(国際レビュー)は一長一短であり、今後の課題であろう。

課題中間・事後評価において、①科学的レベルが高いか、②iPS 細胞研究への貢献あるいは波及効果の度合いが高いか、という評価の観点は適切といえる。画期的な成果を出した課題もある一方で、インパクトのある研究成果のなかった課題も少なくなかった。中間評価で一部の進捗の悪い課題や分担課題を早期終了し、新しい課題を採択する方法を検討してもよかったのではないかと考える。

(2) 領域アドバイザーの構成

妥当であった。多分野から権威のある領域アドバイザーを任命し、広くアドバイスを得たことは評価する。研究開発総括の人脈でないといえども集められない構成であり、iPS 細胞の専門家というよりも、その周辺基礎科学に携わる広汎なリーダー科学者を中心に配置して、採択課題の間口を広げたことは高く評価できる。

諸外国において大規模データベース構築が行われ活用されている状況を鑑みると、エピジェネティクス、マルチオミクス等のデータベース構築をしっかり指導できるアドバイザーがいても良かったと考える。また、採択された課題が非常に幅広いライフサイエンス分野にまたがっていることから、アドバイザーとは別途に、関連分野のオブザーバーを複数おく仕組みがあった方が良かったと思われる。

(3) 研究開発領域のマネジメント

優れていたと評価する。研究開発総括は、研究者の自主性を尊重するという基礎科学の発展・深化のための最も重要な視点を軸に据えつつ、各研究開発課題の進捗を把握して適切な指導を行った。熱心にサイトビジットを行い、研究方針についても適切なアドバイスをしたと思われる。一方、課題間連携の推進や研究費の配分上の工夫については、今ひとつ明らかではなかった。若手育成の観点では、領域会議において泊り込みで若手とベテラン研究者とが議論できたことは、良い取り組みであり、次世代の人材育成にとって極めて重要な貢献であった。

また、関連領域との情報交換・連携を精力的に行った。特にカナダのプロジェクトとの国際交流をしたことは評価する。予算さえ許せば、他の研究開発領域にも応用するとよいであろう。さらに、国際的に高い水準の研究が行われているので、国内研究者との交流の起爆剤として公開シンポジウムをもっと積極的に開催してもよかった。

2. 研究開発領域としての研究開発目標の達成に資する成果

(1) 科学技術の進歩に資するという視点から見て、研究成果は国際的に高い水準が期待できるか

国際的にも優れた成果を挙げた。生まれたての研究分野であり、予測の出来ないところからのスタートであることを考えると、成功したと言える。優れた論文をグループ全体から出すことに重点を置かれていたことが、領域としてブレない状態を作り出し、世界的なレベルの研究を創出したことにつながったと思われる。初期胚の母性因子、iPS 細胞からの生殖細胞の誘導、遺伝性軟骨疾患の新しい薬の発見などは特筆すべきである。主要テーマであるリプログラミング技術の高度化・簡便化からやや離れた課題で成果が出たことは興味深い。一方、人工染色体、ヒトナイーブ iPS 細胞の作成、低分子化合物による iPS 細胞の樹立は目的を達成出来なかった。

(2) 医療の革新に寄与する卓越した成果（技術的・社会的に大きなインパクトを期待できる成果）が期待できるか

産業や社会への展開には時間を要するであろう。本来、AMED-CREST は基礎・基盤技術研究なので、現時点での評価は難しい。しかし、数は多くはないが、受精可能な生殖細胞を iPS 細胞から作製したことや多能性幹細胞のシグナル伝達など、将来の応用が期待できる課題で世界をリードする優れた基礎研究の成果が生まれたことは評価したい。造血幹細胞の分化誘導について成功にいたらなかったのは残念である。