

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 細胞の利活用促進・
難病研究加速プログラム)に関する評価結果

(令和元年度実施)

- 研究拠点 I に関する中間評価結果
- 研究拠点 II、バンク活用促進課題、iPS 細胞樹立課題に関する事後評価結果
- 研究拠点 II から研究拠点 I への移行に関する事前評価結果

令和2年3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. 研究拠点 II から研究拠点 I への移行課題

5. 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」のうち、「疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」では、患者由来の疾患特異的 iPS 細胞を用いて、難病等の疾患発症機構及び病態の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等をさらに加速させる。疾患特異的 iPS 細胞を用いた研究に必要な技術を広く普及させ、iPS 細胞バンクの充実を図るとともに、より多くの研究者・企業が iPS 細胞を利活用できる環境を整備する。

2. 評価の概要

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 細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム）研究開発課題評価委員会」を設置し、平成 29 年度に開始された「疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進・難病加速プログラム」のうち、疾患 iPS 細胞を用いた疾患メカニズム解明、立体培養や複数種類の細胞を用いた病態・疾患モデルの作成、分化細胞の表現型解析、創薬スクリーニング系の構築までを目指し、6年間の課題として採択している「研究拠点 I」において、研究計画進捗状況の確認・評価による研究継続の可否および新規研究対象疾患の追加可否について、書面評価及びヒアリング評価により中間評価をおこなった。

また、iPS 細胞利活用促進のため、疾患研究における健常人コントロール群や薬効・毒性評価に向けた研究のための健常人 iPS 細胞の作製・充実化を目指した「iPS 細胞樹立課題」、「バンク活用促進課題」、および疾患 iPS 細胞を用いた疾患メカニズム解明、立体培養や複数種類の細胞を用いた病態・疾患モデルの作成、分化細胞の表現型解析等を目指した「研究拠点 II」は3年間の課題として採択しており、各研究開発課題の進捗状況、成果等の確認のため、書面評価により事後評価をおこなった。

研究拠点 II から研究拠点 I への移行を希望する拠点について、研究拠点 I へ移行することが妥当かどうかを判断することを目的として、研究拠点 I 移行のための事前評価をおこなった。

評価対象研究開発課題		研究期間	評価方法
研究拠点 I	6 課題	6 年間	中間評価
研究拠点 II	8 課題	3 年間	事後評価
バンク活用促進課題	1 課題	3 年間	事後評価
iPS 細胞樹立課題	1 課題	3 年間	事後評価
研究拠点 II から研究拠点 I への移行課題	6 課題	3 年間	事前評価

本評価報告書は、これらの各研究開発課題の評価結果をと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、以下の各評価項目に基づき、総合的に評価が実施された。

研究拠点 I (中間評価)における評価項目

- ① 研究開発進捗状況 (※研究開発開始当初に定めた達成目標を基準として評価する)
 - ・ 研究開発計画に対する進捗状況はどうか
 - ・ 3年度目の達成目標を十分に達成または達成する予定か
- ② 研究開発成果
 - ・ 成果が着実に得られているか
 - ・ 成果は医療分野の進展に資するものであるか
 - ・ 成果は新技術の創出に資するものであるか
 - ・ 成果は社会的ニーズに対応するものであるか
 - ・ 必要な知的財産の確保がなされているか
 - ・ これまでの疾患研究の成果が今後のスクリーニング系の構築に繋がるものか
 - ・ すでに再現性のあるスクリーニング系が確立された例はあるか
 - ・ 研究成果が企業や他支援プログラムに移行されている例はあるか
- ③ 実施体制
 - ・ 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、機能してきたか
 - ・ スクリーニング系構築のための体制(例えば、企業との連携等)が十分機能してきたか
 - ・ 十分な連携体制が構築されているか
- ④ 今後の見通し
 - ・ 今後の研究開発計画は具体的で、明確な目標が設定され、疾患研究の成果がスクリーニング構築につながり、成果を企業や他支援プログラムに移行し、将来的な実用化が期待できる計画となっているか
 - ・ 研究対象疾患を追加する希望のある研究拠点 I においては、その疾患を研究する意義およびその研究計画は妥当なものか
 - ・ 独創性、新規性、国際競争力を有しているか
 - ・ 研究を進めていく上で問題点はないか。問題点がある場合は研究内容等の変更が必要か、必要な場合どのように変更または修正すべきか
 - ・ 経費の内訳、支出計画等は妥当であるか
- ⑤ 事業で定める項目及び総合的に勘案すべき項目
 - ・ 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(研究者としてのキャリアのみならず、企業就職など多様なキャリアパスを含む)が図られているか
 - ・ 専門学術雑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
 - ・ 計画の見直し、中断・中止等の措置が必要か
- ⑤ 総合評価
 - ① ~⑤を勘案しつつこれらと別に評点を付し、総合評価をする。

研究拠点 II、バンク活用促進課題、iPS 細胞樹立課題(事後評価)における評価項目

① 研究開発達成状況(※ 研究開発開始当初に定めた達成目標を基準として評価する)

- ・ 研究開発計画に対する達成状況はどうか
(開発終了時の達成目標は達成しているか、または達成予定であるか)

② 研究開発成果

- ・ 予定していた成果または予定外ではあったが相当の成果が得られたか

【研究拠点 II】

- ・ インパクトの高い国際学術雑誌への発表等、国際的競争力の高い優れた研究成果が得られたか
- ・ 成果は iPS 細胞を用いた疾患研究の発展や次世代の革新的な創薬の実現に資するものであるか
- ・ 異分野連携・国際性を有する研究については、それらが疾患研究におけるイノベーション創出に資するものであったか
- ・ 成果は医療分野の進展に資するものであるか
- ・ 成果は社会的ニーズへ対応するものであるか
- ・ 必要な知的財産の確保がなされたか
- ・ 国内外の競合研究の進捗状況を踏まえた研究成果の優位性・意義が高いか

【バンク活用促進課題、iPS 細胞樹立課題】

- ・ 細胞を利用する大学や企業等のニーズに対応していたか
- ・ 事業内容の周知は図られていたか

③ 実施体制

- ・ 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
- ・ 十分な連携体制が構築されていたか

④ 今後の見通し

【研究拠点 II】

- ・ 今後、研究開発成果がさらなる(疾患)研究の展開に寄与することが期待できるか
- ・ 疾患研究の成果が、今後の創薬に繋がるものか

【バンク活用促進課題、iPS 細胞樹立課題】

- ・ 事業終了後も必要な細胞や情報等を継続して提供可能な体制や、寄託された細胞がどのように活用されているかを調べる体制が構築されているか

⑤ 事業で定める項目及び総合的に勘案すべき項目

- ・ 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
- ・ 専門学術雑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

⑥ 総合評価

- ①～⑤を勘案しつつこれらと別に評点を付し、総合評価をする。

研究拠点 II から研究拠点 I への移行課題(事前評価)における評価項目

- ① 事業趣旨等との整合性
 - ・ 研究拠点 I としての事業趣旨、目標等に合致しているか
- ② 計画の妥当性
 - ・ 全体計画の内容と目的は明確であるか
 - ・ 年度ごとの計画は具体的なものでかつ、実現可能であるか
 - ・ 生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守した計画となっているか
 - ・ 今後 3 年間でスクリーニング系を構築し、成果を企業や他支援プログラムに移行できる計画となっているか
 - ・ 研究対象疾患の追加を希望している場合、その疾患を研究する意義およびその研究計画は妥当なものか
- ③ 科学的・技術的な意義及び優位性
 - ・ 現在の技術レベル及びこれまでの実績は十分にあるか
 - ・ 独創性、新規性、革新性を有しているか
 - ・ 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
 - ・ 国内外の競合する疾患研究や創薬研究の進捗状況を踏まえたこれまでの研究成果や今後の計画の優位性・意義は高いか
- ④ 実施体制
 - ・ 申請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
 - ・ 十分な連携体制が構築されているか
 - ・ 申請者等のエフォートは適切であるか
 - ・ 不合理な重複／過度の集中は無い
 - ・ スクリーニング系構築のための体制(例えば、企業との連携等)が計画されているか
- ⑤ 事業で定める項目及び総合的に勘案すべき項目
 - ・ 今後 3 年間でスクリーニング系の構築し、成果を企業や他支援プログラムに移行させるための十分な研究成果がこれまでにでているか
- ⑥ 所要経費
 - ・ 経費の内訳、支出計画等は妥当であるか
 - ・ 支援総額は原則 6,000 万円(間接経費込、上限 9,000 万円)とするが、6,000 万円を超えた提案については、超過する理由が妥当か
- ⑦ 総合評価
 - ①～⑥を勘案しつつこれらと別に評点を付し、総合評価をする。

3. 各研究開発課題の評価結果

[評価報告書](#) 

(1) 研究拠点 I [中間評価 6課題]

「神経疾患特異的 iPS 細胞を活用した病態解明と新規治療法の創出を目指した研究」 慶應義塾大学
岡野 栄之

「疾患 iPS 細胞を活用した難治性血液・免疫疾患の病態解明と治療法開発」 京都大学 斎藤 潤

「筋疾患に対する治療薬の創出を目指した研究」 京都大学 櫻井 英俊

「難治性骨軟骨疾患に対する革新的 iPS 創薬技術の開発と応用」 京都大学 戸口田 淳也

「ヒト iPS 細胞を用いた呼吸器難病の病態機序の解明と新規創薬基盤の確立」 京都大学 平井 豊博

「難治性心筋症疾患特異的 iPS 細胞を用いた集学的創薬スクリーニングシステムの開発と実践」 大阪
大学 宮川 繁

(2) 研究拠点 II [事後評価 8課題]

「疾患特異的 iPS 細胞をもちいた小児難治性疾患の統合的理解と創薬開発」 大阪大学 北畠 康司

「iPS 細胞由来心筋細胞を活用した遺伝性拡張型心筋症の病態解明と治療薬開発」 東京大学 小室
一成

「疾患モデル高度化による視床下部・下垂体難病研究」 名古屋大学 須賀 英隆

「疾患特異的 iPS 細胞を用いた下垂体疾患モデルの創出を目指した研究」 神戸大学 高橋 裕

「疾患特異的 iPS 細胞を用いた遺伝性腎疾患の病態解明拠点」 熊本大学 西中村 隆一

「小児てんかん性脳症の革新的創薬を見据えた病態解析」 福岡大学 廣瀬 伸一

「疾患 iPS 細胞由来3D 心臓組織による新しい不整脈モデルを用いた遺伝性心疾患の病態解析と治療
応用」 京都大学 山下 潤

「早老症疾患特異的 iPS 細胞を用いた老化促進メカニズムの解明を目指す研究」 千葉大学 横手 幸
太郎

(3) バンク活用促進課題 [事後評価 1課題]

「疾患特異的 iPS 細胞バンク事業」 理化学研究所 中村 幸夫

(4) iPS 細胞樹立課題 [事後評価 1課題]

「日本人健常人集団由来 iPS 細胞株の構築」 京都大学 山中 伸弥

4. 研究拠点 II から研究拠点 I への移行課題

研究拠点 II のうち 6 課題から移行希望があり、そのうち以下の 2 課題が研究拠点 I への移行が妥当であると評価された。

「疾患特異的 iPS 細胞を用いた遺伝性腎疾患の病態解明拠点」 熊本大学 西中村 隆一

「早老症疾患特異的 iPS 細胞を用いた老化促進メカニズムの解明を目指す研究」 千葉大学 横手 幸
太郎

5. 評価委員一覧

[評価委員](#) 