

総括研究報告書

1. 研究開発課題名：臨床利用のための新規 ES 細胞の樹立とストック作製に関する研究
2. 研究開発代表者：梅澤 明弘（国立研究開発法人国立成育医療研究センター 再生医療センター長）
3. 研究開発の成果

ES 細胞の臨床使用にあたっては、倫理に関して特段の配慮が必要であるが、平成 26 年 11 月 25 日に新しく「ヒト ES 細胞の樹立に関する指針（平成 26 年 11 月 25 日、文科省・厚労省告示第 2 号）」が公布され、ES 細胞の臨床利用に関する周辺環境が整備された。本研究では、新しく策定された「ヒト ES 細胞の樹立に関する指針（平成 26 年 11 月 25 日、文科省・厚労省告示第 2 号）」及び「再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成 26 年 11 月 25 日、法律第 85 号）」に従い、ES 細胞の臨床利用の実現にむけ、最新の国際動向もふまえた上で、新規 ES 細胞を樹立しストック作製を行うことが一義的目的となる。また、再生医療実現に向けたバンク作製等に関する開発ガイドラインをまとめる。ES 細胞に関連する指針、法律等は「ヒト ES 細胞の樹立に関する指針（平成 26 年 11 月 25 日、文科省・厚労省告示第 2 号）」、「ヒト ES 細胞加工医薬品等の品質及び安全性の確保に関する指針（平成 24 年 9 月 7 日、薬食発 0907 第 6 号）」、ICH Q5（生物薬品の品質に関するガイドライン）、生物原材料基準（平成 26 年 9 月 26 日、厚労省告示第 375 号）等の多岐に渡るガイドラインが整備され、運用が開始されている。これらの規制ガイドラインの内容を包括した上で、ヒト ES 細胞樹立が必要となる。本研究において整備すべきガイドラインは、規制側の有識者（文部科学省、厚生労働省、PMDA 等）の意見を聴取し、実際の現場におとし込み、研究に支障が出ない形でまとめ上げることを目的とする。さらに創薬の原材料として ES 細胞を位置付けた際に、各国の規制をクリアしていく必要がある。ES 細胞をはじめとする多能性幹細胞を用いた薬事的なトレンドを把握し、日本発の技術、審査体制が海外においても利用可能な体制づくりに貢献することが可能となる。ヒト ES 細胞をはじめとする多能性幹細胞について、国際基準に合致する Certificate of Origin (COO) の発出が可能となるレベルで体制整備・運用を行っていく必要があることも留意する。また、ES 細胞を用いた薬事的な世界的トレンドを把握することは、日本発の技術、審査体制が海外においても利用可能な体制づくりに貢献することが可能となる。さらに、ヒト ES 細胞樹立は胚の減失を伴うことから、命の萌芽、命の尊厳の観点から、様々な議論がなされてきた。これらの議論、パブリックコメントを基盤としたヒト「ES 細胞の樹立に関する指針（平成 26 年 11 月 25 日、文科省・厚労省告示第 2 号）」が発出され現在に至っている。しかしながら、ヒト ES 細胞に関する世間の認知度は高くなく、研究成果を広く社会に公開し社会的な合意を、従来にひきつづき形成していくことも大きな責務である。本研究の重要な課題として、ガイドライン策定の過程において国民の理解を深める市民講座、シンポジウムを積極的に開催し、情報公開を行うことで、国策としてのヒト ES 細胞の臨床応用を周知することができる。

本年度は ES 細胞樹立に向けた同意文書に関する検討、ワーキンググループを開催した。また、ES 細胞シンポジウムを日本橋三井ホールにて開催し、国民への情報発信に注力した。海外でも臨床応用可能なヒト ES 細胞樹立を目指し、米国内のヒト ES/iPS 細胞臨床開発者への調査研究を行った。対象施設・研究者は、Xianmin Zeng 教授（Buck Institute：ES 細胞由来ドパミン細胞によるパーキンソン病に対する再生医療。現在、pre-IND 手続き）、カリフォルニア再生医療機構（CIRM）（ヒト ES 細胞による再生医療開発支援について）、Susan Fisher 教授（UCSF：再生医療を目指した GMP-grade ヒト ES 細胞樹立）、Kevin Eggan 教授（Harvard Univ.：再生医療を目指した新規ヒト ES 細胞樹立）と Kapil Bharti 博士（NIH：自家ヒト iPS 細胞による加齢性黄斑変性症への再生医療。現在、pre-IND 手続き）に対して、FDA が認めるヒト ES/iPS 細胞を用いた再生医療の考え方と方策について継続して情報交換する連携を構築した。今後、本プロジェクトでのガイドライン策定に反映していきたい。