

ライフサイエンスに関する 研究開発課題の評価結果

平成23年9月27日

研究計画・評価分科会

科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会
ライフサイエンス委員会 委員名簿

(50音順)

飯島 貞代	三菱化学株式会社ヘルスケア企画室部長 三菱化学フェロー
○ 磯貝 彰	奈良先端科学技術大学院大学長
小幡 裕一	理化学研究所バイオリソースセンター長
甲斐 知恵子	東京大学医科学研究所教授
鎌谷 直之	理化学研究所ゲノム医科学研究センター長
桐野 高明	国立国際医療研究センター理事長
小安 重夫	慶應義塾大学医学部教授
笹井 芳樹	理化学研究所発生・再生科学総合研究センター グループディレクター
定藤 規弘	自然科学研究機構生理学研究所教授
末松 誠	慶應義塾大学医学部長
高井 義美	神戸大学大学院医学研究科教授
高木 俊明	テルモ株式会社 取締役上席執行役員 研究開発本部統轄
高木 利久	東京大学大学院新領域創成科学研究科教授
知野 恵子	読売新聞東京本社編集局編集委員
月田 早智子	大阪大学大学院生命機能研究科教授
◎ 永井 良三	東京大学大学院医学系研究科教授
長洲 毅志	エーザイ株式会社理事・CSO付担当部長
中村 清吾	昭和大学医学部教授
中村 祐輔	東京大学医科学研究所教授
成宮 周	京都大学大学院医学研究科教授
廣橋 説雄	慶應義塾大学医学部 総合医科学研究センター 特別研究教授
若槻 壮市	高エネルギー加速器研究機構物質構造科学研究所副所長

◎：主査

○：主査代理

平成23年9月現在

目 次

<事後評価>

- ターゲットタンパク研究プログラム 1
- 橋渡し研究支援推進プログラム 5
- ナショナルバイオリソースプロジェクト 8

<中間評価>

- 革新的細胞解析研究プログラム（セルイノベーション） 12

<事前評価>

- 再生医療の実現化プロジェクト（拡充） 15
- 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業（拡充） 22
- 橋渡し研究加速ネットワークプログラム（新規） 27
- ナショナルバイオリソースプロジェクト（新規） 31
- 次世代がん研究戦略推進プロジェクト（拡充） 35

革新的タンパク質・細胞解析研究イニシアティブ (ターゲットタンパク研究プログラム)

平成23年度予算額:3,320百万円
 平成22年度予算額:4,280百万円
 平成21年度予算額:4,950百万円
 平成20年度予算額:5,200百万円
 平成19年度予算額:5,527百万円

事業目的

これまで得られた成果や基盤等を活用しつつ、学術研究や産業振興に重要なタンパク質をターゲットとし、それらの構造・機能解析に必要な技術開発と研究を行う。これにより、生命現象の統合的理解、医学・薬学等の産業への貢献、並びに構築した基盤のより様々な分野の研究、産業へ波及効果を与えることを目指す。

事業概要

- ターゲットタンパク研究 (個別課題)
 - ・ 基本的な生命の解明、医学・薬学等への貢献、食品・環境等の産業利用の3分野について、現在の技術水準では解明が困難なタンパク質の構造・機能研究を行うターゲットタンパク研究を展開
- 技術開発拠点
 - ・ タンパク質の試料を作る「生産」、タンパク質の構造を解く「解析」、タンパク質の機能を知る「制御」、情報を共有化させる「情報プラットフォーム」の4領域について、**タンパク質の構造・機能解析のための技術開発**を展開

成果

- ターゲットタンパク研究 (個別課題)
 - ・ がん、動脈硬化、肺線維症、神経因性疼痛等に関与するタンパク質の構造解析による基質切断の分子メカニズムの解明
 - ・ 花粉症・アレルギーの発症因子GPCRの構造解明
 - ・ 植物ホルモンと受容体の複合体等の構造解明 など
- 技術開発研究
 - ・ 微小結晶構造解析に最適化した二本の相補的なマイクロビームラインの開発の進展、
 - ・ 低エネルギー高輝度マイクロビームラインの構築 など

政策

【新成長戦略 (平成22年6月18日閣議決定)】

- 成長戦略実行計画 (工程表)
- V 科学・技術・情報通信立国戦略 3 基礎研究の強化とイノベーション創出の加速
- ・ 新技術開発や新分野開拓を創出する基盤の整備
- (…中略…**創薬・医療技術支援基盤**…中略…)

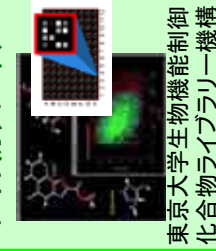
平成23年度から補助金化

(技術開発を行う委託事業から外部開放を本来業務とする補助事業へ)

技術開発(拠点)

制御拠点

化合物ライブラリー



東京大学生物機能制御化合物ライブラリー機構

生産拠点

極微量タンパク質の大量生産技術開発



理化学研究所横浜研究所

解析拠点

X線解析装置 (マイクロビームビームライン)



高エネルギー加速器研究機構
理化学研究所播磨研究所

情報プラットフォーム

ターゲットタンパク研究

医学・薬学等への貢献

食品・環境等の産業応用

基本的な生命の解明

オールジャパンのチーム体制の構築

事後評価票

(平成 23 年 9 月現在)

1. 課題名 ターゲットタンパク研究プログラム
2. 評価結果
(1) 課題の達成状況
【事業の概要】 ターゲットタンパク研究プログラム（以下、「本プログラム」という。）は、タンパク 3000 プロジェクト等の我が国のプロジェクト等により得られた成果や基盤等を活用しつつ、学術研究や産業振興に重要な難解析性のタンパク質をターゲットとし、それらの構造・機能解析に必要な技術開発と研究を行うことを目的として、平成 19 年度から 5 カ年計画で開始された。 本プログラムは、「ターゲットタンパク研究（個別課題）」と「技術開発研究」の 2 つの柱から構成されている。「ターゲットタンパク研究」は、ターゲットとなるタンパク質の構造と機能の解明を目指す「基本的な生命の解明」、「医学・薬学等への貢献」、「食品・環境等の産業応用」の 3 つの分野を対象としており、「技術開発研究」は、本プログラム開始当時の技術水準では解明が極めて困難なタンパク質の解析を可能とするため、タンパク質の試料を作る「生産」、タンパク質の構造を解く「解析」、タンパク質の機能を知る「制御」、「生産」・「解析」・「制御」の情報を共有化させる「情報プラットフォーム」の 4 つの領域から構成されている。
【プログラム運営体制】 「タンパク 3000 プロジェクト」の反省に基づき、プログラムの進捗管理を行うため、プログラムディレクター（PD）及びプログラムオフィサー（PO）制度を導入した。課題内における連携のための調整は PD・PO の最も重要な役割である。実施者への指導・助言、研究現場への視察の他、機能研究と構造研究の連携、隣接する研究課題の連携、困難を伴う技術開発への激励、放射光施設利用支援などを強力に指導している。放射光ビームラインの完成、SAIL 法による NMR 構造解析の推進など、きめ細かく、かつ大局的な判断と行動を示した。 本領域を支える次世代の人材育成の取組に関しては、若手研究者を共同研究に積極的に参加させるとともに、最新技術を紹介する研究セミナーを開催するよう、適切に指導・助言する一方、一部課題で学生やポスドクによる研究が行われていないものがあつたことから今後良き人材育成が課題である。 以上を総合すれば、PD・PO は、ターゲットタンパク研究プログラムの運営に関して、十分に適切な役割を果たしていると判断できる。
【プログラム全体に対する評価】 本プログラムでは、構造解析の対象として、スタート時において発現や構造解析に困難が伴うとされた 13 のターゲットタンパク質群が選ばれている、合計 34 の課題（課題 A と課題 B）が設定されている。本プログラムの技術開発研究とし

て情報プラットフォームが置かれていることから、ホモロジーモデリングによる立体構造予測の結果、13 ターゲットグループの内、1 グループ以外は、すべて立体構造が解明またはモデリングできた成果には、計算構造生物学の寄与が無視できない。本プログラムの構成に、計算機実験研究の課題を取り込んであったこと、実験とタンパク質構造情報学の共同研究の成果を初めて示すことになったことを評価したい。

今後のライフサイエンスにおいて、分野を越えての共同研究のスタイルを実現したことの意義は大きい。今後は、ここで開発された基盤技術がより広く研究者に利用され、我が国の構造生物学の発展へ一層貢献することが期待される。タンパク質の結晶化にはタンパク質の種類による特異性が存在するが、本研究プログラムで開発した技術を、本プログラム終了後も、高い技術を獲得した研究者だけでなく広く技術者（技術支援者）に継承して、我が国の構造生物学のインフラストラクチャーとして活かしていく取り組みが必要である。

基礎技術の応用技術への展開という視点での展開を眼中に活動を続ければ、我が国独自の科学・技術の発展が期待される。舞台は技術開発のインフラストラクチャーの長期的な整備と、このプログラムで進められた技術開発の成果を、今後どのように有効活用していくかの流れを構築できるか否かに移ったといえる。

（２）成果

本プログラムでは技術開発研究とターゲットタンパク（の構造・機能解析）研究の2本の柱が立てられた。研究の特筆すべき結果として、技術開発研究については、第一に、微小結晶構造解析に最適化した二本の相補的なマイクロビームビームラインの開発が進んだことである。具体的には、理研によるマイクロオーダーの微小結晶に最適化した超高輝度マイクロビームビームラインの開発により、従来のビームラインの測定が困難な結晶から回折データ収集に成功し、サブミクロンのアミロイド関連タンパク質微小結晶から回折点を確認できたことである。技術開発研究の第二は、高エネルギー加速器研究機構により、軽原子の異常分散を利用する構造決定に最適化した低エネルギー高輝度マイクロビームビームラインの構築である。具体的には、分子量 6,000 のタンパク質での構造解析による実用性の確認、構造解析が行き詰っていた分子量 4 万のタンパク質の構造解析に成功し、今後はユーザーフレンドリーなルーチン構造解析用ビームラインとして期待できる。また、東京大学による機能性小分子化合物を探索する基盤となる化合物ライブラリーの構築及び各種スクリーニング技術の開発も挙げられる。当該スクリーニング技術を活用した結果、キナーゼ阻害剤、プロテアーゼ阻害剤、タンパク質相互作用阻害剤など nM（ナノモラー）オーダーでの活性化合物を多数見出すことに成功した。

さらに、研究の特筆すべき結果として、ターゲットタンパク研究については、第一に、本プログラム内の共同研究により得られた成果として、東北大学、東京大学、大阪大学のチームによる、がん、動脈硬化、肺線維症、神経因性疼痛などに関与するタンパク質の構造解析を行い、基質切断の分子メカニズムを解明、さらに、化合物ライブラリーでの阻害剤検索の結果、大手製薬企業と治療薬開発のための共同研究契約の締結に至った (Nature SMB 2011)。第二に、大阪大学グループにより細胞間情報伝達に関わるタンパク質の構造解析に成功し、アレルギー治療薬開発で大手製薬企業と共同研究契約の締結に至っている (Nature 2010,

Nature Immunol. 2010)。第三に、構造解析が困難である膜タンパク質について、京都大学のチームにより花粉症・アレルギーの発症因子 GPCR の立体構造が解明され (Nature 2011)、副作用を抑えた抗ヒスタミン薬の探索・設計への期待が高まっている。さらに、膜輸送に関わる膜タンパク質の研究成果として、東京大学チームによる巨大分子を透過させる Sec トランスロコンを構成する膜タンパク質の複合体構造の解明 (Nature 2008, 2011)、や京都大学チームによるアミノ酸の前駆体の取り込みに係る膜タンパク質の構造解明など、顕著な成果が得られている (Science 2011)。第四に、超分子構造構築に関して、大阪大学チームによる鞭毛の構造形成の解明 (Nature 2011, PNAS 2011) や 東京都医学研究機構のチームによる 20S プロテアソームの構造形成の解明 (Nature SMB 2008) がある。第五に、タンパク 3000 プロジェクトからの研究継続による成果がある。東京大学、大阪大学、理化学研究所、慶応義塾大学のチームによる、非翻訳 RNA による高次細胞機能発現機構の解明につながる数種類のタンパク質の構造機能解析の成功 (Nature 2009, Nature 2009, Nature SMB 2009, Mol. Cell 2010, NAR 2010, Nature 2010) や高エネルギー加速器研究機構のチームによる、直鎖状に連結したポリユビキチンが結合した NEMO (NF- κ B Essential modulator) タンパク質の結晶化の成功と、その結合の仕組みの解明がある。がんや炎症などに係る転写因子 NF- κ B の活性化には、NEMO-ユビキチン結合が重要な役割を担うことから、創薬基盤の研究として評価できる。東京大学のチームは RNA ポリメラーゼを阻害する転写因子 Gfh1 と RNA ポリメラーゼ複合体の巨大立体構造の解析に成功し、動的な構造変化を見出している (Nature 2010)。さらに、東京大学と名古屋大学のチームは、2 件の植物ホルモンと受容体複合体の構造を決定し (Nature 2008, 2009)、東京大学チームによるアブシジン酸とその受容体との複合体構造の成果は、Science 誌の 2009 年の 10 大科学発見に選ばれている。

(3) 今後の展望

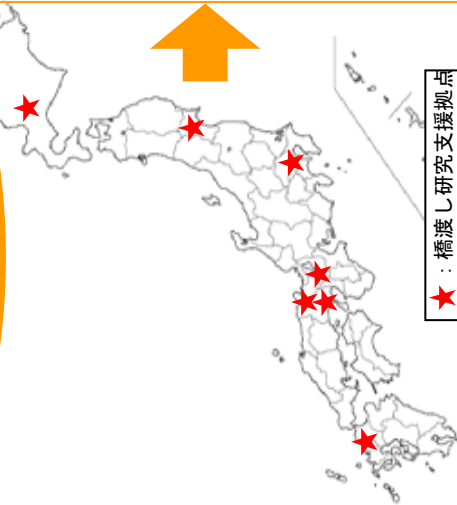
「タンパク 3000 プロジェクト」から「ターゲットタンパク研究プログラム」へ展開されてきた流れを更に発展させるものとして、今後は、技術開発のインフラストラクチャーの長期的な整備と、このプログラムで進められた技術開発の成果を、どのように有効活用していくか、その流れを構築することが重要である。高難度タンパク質の構造解析における技術開発において、特に、高分子量タンパク質の NMR 技術等の解析技術は、まだ確立されたとは言えず、長期的見地に立った安定的支援が必要である。これらの国家プロジェクトにより育成された若手研究者が、その能力を一層発揮できるような環境整備も人材養成の重要課題である。

橋渡し研究支援推進プログラム

概要

- がんや認知症、生活習慣病等の国民を悩ます病に対する創薬や医療技術などについて、**有望な基礎研究の成果を実用化につなげる「橋渡し研究」の支援体制を整備。**
- 橋渡し研究を加速するため、**全国7箇所の支援拠点を中核として**、地域性や開発シースの特性を基本とした、大学等から構成される**橋渡し研究ネットワークを形成。**
- 平成23年度までに、各拠点2件の研究シーズを治験の段階まで移行させ、拠点の支援能力について一定の確立を図るとともに、**各拠点の自立した橋渡し研究支援を促進。**

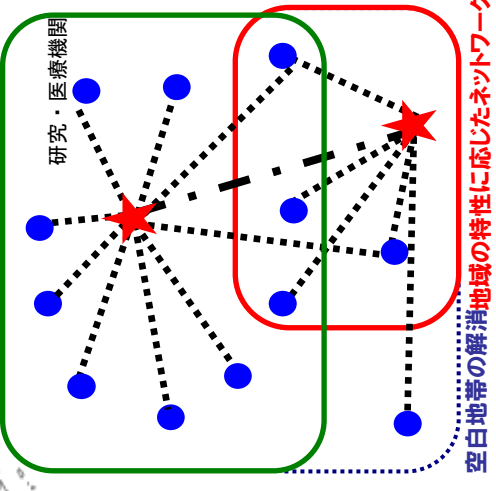
【目標】
国家としての基礎研究成果
の実用化パイプラインを構築



平成23年度予算額：3,000百万円
平成22年度予算額：2,398百万円
平成21年度予算額：2,400百万円
平成20年度予算額：1,750百万円
平成19年度予算額：1,500百万円

橋渡し研究ネットワークの形成

開発シースの特性に応じたネットワーク



概要・実施体制

橋渡し研究ネットワーク

橋渡し研究支援拠点
(7拠点)

橋渡し研究

支援設備



支援人材



医療として実用化



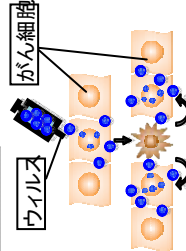
企業への
ライセンスアウト・
先進医療・
治験 ※
(厚労省・経産省が支援)

※シーズの進捗状況(H23.5現在)
治験へ移行 9件
企業へのライセンスアウト 17件
先進医療 6件

波及効果と成果の例

■がんのウイルス療法

がん細胞だけで増殖でき、
よるよう人工的に造った
ウイルスにより、がん
細胞だけを壊滅させる。



がん総患者数：142万人※、国民医療費：2.9兆円※※

■脳梗塞に対する細胞治療

自己の骨髄細胞を用いた
新治療法。麻痺してい
た身体が動くようになる
など、これまで12例で
顕著な臨床効果を確認。



脳血管疾患総患者数：137万人※、国民医療費：1.6兆円※※

※平成19年厚労省の保健統計(厚生労働省) ※※平成20年度国民医療費の概況(厚生労働省) なお、脳血管疾患には脳梗塞、脳出血等を含む。

事後評価票

(平成 23 年 9 月現在)

1. 課題名 橋渡し研究支援推進プログラム
2. 評価結果
<p>(1) 課題の達成状況</p> <p>文部科学省では平成 19 年度に 5 か年の計画で、橋渡し研究の支援機関を拠点的に整備することを目的とした「橋渡し研究支援推進プログラム」を開始、①橋渡し研究支援機関の機能強化、②橋渡し研究支援を行うための人材の確保・登用・育成、③橋渡し研究支援、④橋渡し研究支援機関の活動・連携の促進、を 4 つの柱として、公募により、平成 19 年度に 6 拠点を採択し、併せてこれらの拠点の整備状況を把握し拠点間のネットワーク形成などをサポートする機関を採択した。平成 20 年度に 1 拠点を公募で追加採択した。これら計 7 拠点に対しては、プログラムの具体的な成果として、「プログラム期間内に、1 機関（拠点）あたり有望な基礎研究の成果が、2 件ずつ薬事法に基づく治験の段階に移行すること」を目標として課した。</p> <p>各拠点の努力により、プログラム期間内の目標である 2 件の治験届受理は、全拠点で達成の可能性があると考えられる。平成 23 年 8 月時点で、3 拠点（オール北海道：2 件、東京大学：3 件、京都大学：2 件）で上記目標を達成しており、他の 4 拠点（東北大学：1 件、大阪大学：1 件、先端医療財団：2 件、九州大学：0 件）と合わせた治験届の全数は 10 件で、内訳は医師主導治験 6 件、企業治験 4 件であった。出口企業が見つからないために進捗していないシーズもあるが、橋渡し研究支援シーズのライセンス交渉、知的財産戦略担当の人材を育成又は導入することで、解決が促進される可能性がある。</p>
<p>(2) 成果</p> <p>橋渡し研究支援推進プログラムの平成 19 年度からの取組により、本プログラムの 4 つの柱である①支援機関の機能強化、②人材の確保・登用・育成、③橋渡し研究支援、④支援機関の活動・連携促進等、はおおむね目標に到達している。</p> <p>① 支援機関の機能強化</p> <p>各拠点は、CPC（細胞培養施設）、臨床試験の実施体制について、GMP、GCP の適格性に関して、外部組織から助言を得るなどにより、体制整備が進められ、これら整備した基盤は、臨床試験実施により動作確認がおおむねできたと考えられる。</p> <p>② 人材の確保・登用・育成</p> <p>人材育成のプログラムは、質の向上、ネットワーク化、人数等、改善の余地があるものの、主に大学院生等を対象とした科目として、各拠点で創意工夫により積極的に実践されている。また、プログラムの参加者が拠点に研究者（職員）として登用されたりする状況も生まれており、今後の橋渡し研究支援の人材の広が</p>

りに期待が持てる。

③ 橋渡し研究支援

各拠点において治験移行への目処がたち始めているとともに、R&Dパイプラインに続々と後継シーズが流れており、橋渡し研究によるシーズ開発が加速していると考えられる。

④ 支援機関の活動・連携促進等

拠点間の連携及び情報共有は、拡大運営委員会や、サポート機関が推進した各拠点横断的な専門家単位での会合（専門家連絡会）により進捗し、地域、拠点間のネットワークはかなり整備されてきた。また、拠点を核とした地域や共同研究を基盤とした病院・研究機関間ネットワーク形成の萌芽も認められた。

（3）今後の展望

① 橋渡し研究支援の必要性について

本プログラムで支援するシーズの多くは、全く新しい発想に基づく極めてチャレンジングなものであったり、支援対象が稀少疾患であることなどから企業が開発に手を出しにくいいため、国による橋渡し研究を支援する仕組みは当面継続して維持していくことが適当である。

② 橋渡し研究支援の目標について

今後は、大学等の基盤整備から、研究シーズの開発の進捗に目標管理の重心を徐々に移していくことが適当であろう。例えば、シーズを研究開発のプロセスであるコンセプト段階、シーズ候補段階、前臨床段階、臨床試験段階に振り分け、シーズの次の段階への移行を目標とし、最終的に移行したシーズの数を評価する仕組みとすることも考えられる。

③ 橋渡し研究支援の体制について

現状では、中部地区、中国・四国地区は橋渡し研究支援拠点の空白地帯となっているが、医療系の大学の多い関東・東京地区を含め、優秀な大学等が存在すれば、今後新たに拠点を設けることも考えられる。また、今後、複数施設による共同研究の増加に備え、拠点間の連携を一層強化することも重要である。

④ 橋渡し研究支援の運営について

TRを進めるにあたっては、アカデミアならではの魅力的シーズ、テーマを発掘していくことが決定的に重要となるため、各大学等におけるシーズの選定、評価のプロセスについて、今後改善されるべき点があるように思われる。

また、シーズ毎に開発戦略は異なることから、開発を支援するシーズは各々の大学等が得意とする研究領域に集約すべきである。

⑤ 橋渡し研究支援の出口について

大学等における橋渡し研究の出口戦略として、企業との共同研究開始への支援、仕組みを構築できないか、検討が必要である。本プログラムにより整備した機能を活用することで、知財、薬事、臨床試験の実施に係る諸問題を解決し、早期に企業との共同研究を進めるべきである。

ナショナルバイオリソースプロジェクト

文部科学省では、ライフサイエンス研究の推進を図る観点から、国が戦略的に整備することが重要なバイオリソース（27種）について、体系的な収集・保存・提供等を行うための体制を整備

平成23年度予算額：1,325百万円
 平成22年度予算額：1,338百万円
 平成21年度予算額：1,368百万円
 平成20年度予算額：1,400百万円
 平成19年度予算額：1,776百万円

■生物遺伝資源（バイオリソース）は、ライフサイエンス研究の実施に必要な不可欠な研究材料。**バイオリソースなくして、ライフサイエンス研究は成し得ない。**

■日本全国に散在する**バイオリソースを中核的拠点へ集約**することにより、効率的かつ適正な**品質管理**が可能。また、バイオリソース利用の**効率的なアクセス**が可能。

■厳格な品質管理のもと、取り違えや微生物汚染のない標準バイオリソースを整備し（※）、実験の再現性を確保した世界最高水準のバイオリソースを提供することで、我が国のライフサイエンス研究の発展に貢献。

（※） 寄託リソースのうち、細胞の約10%は取り違え、約30%はマイコプラズマによる汚染、マウスの約20%は病原微生物の汚染が認められている（理研BRC）。

27種のバイオリソースについて収集・保存・提供体制の整備

【事業内容】

- ◆バイオリソースの収集・保存・提供等を行う中核機関を国が支援。
- ◆世界最高水準のバイオリソースを整備し、国内外のライフサイエンス研究者に提供

（参考：バイオリソースの現状）
 バイオリソースの保有数

実験動物	58,000系統以上
実験植物	630,000系統以上

（理研BRC含む）

世界第2位

世界3大拠点

【22年度における改正点】

- ◆行政刷新会議の評決結果を踏まえ、学術研究以外（民間）のリソース手数料の見直しを実施。
- ◆利用者負担の明確化を図り、価格を改定。
- ◆学術研究以外の機関への提供は、学術研究向け価格よりも高い金額を徴収。



ヒト細胞から植物まで
 世界最大規模の
 プロジェクト

ナショナルバイオリソースプロジェクト(NBRP)

大学、研究機関等が担当

（研究開発施設共用等促進費補助金により実施）

哺乳類（ラット、ニホンザル、ヒトES細胞）
 小動物（シヨウジョウバエ、線虫、ネッタイツメガエル、カイコ、メダカ、ゼブラフィッシュ、カタユウレイボヤ・ニッポンウミシダ）
 植物（イネ、コムギ、オオムギ、藻類、広義キク属、アサガオ、ミヤコグサ・ダイズ、トマト）
 微生物等（細胞性粘菌、病原微生物、原核生物、酵母）

連携

協力

理化学研究所BRCが担当

（運営費交付金により実施）

マウス、
 シロイヌナズナ、
 一般微生物、
 遺伝子材料、
 ヒト・動物細胞

事後評価票

(平成 23 年 9 月現在)

1. 課題名 ナショナルバイオリソースプロジェクト

2. 評価結果

(1) 課題の達成状況

【事業の目的】

ナショナルバイオリソースプロジェクト（以下、「NBRP」という。）は、ライフサイエンス研究の基礎・基盤となるバイオリソース（動物、植物等）について収集・保存・提供を行うとともに、バイオリソースの質の向上を目指し、保存技術等の開発、ゲノム等解析によるバイオリソースの付加価値向上により時代の要請に応えたバイオリソースの整備を行う。また、バイオリソースの所在情報等を提供する情報センター機能を強化する。

【研究体制】

バイオリソースごとに研究体制は異なるが、各バイオリソースの特質に応じてそれぞれによく工夫し、中核機関と分担機関とのバイオリソースの配分やデータベース構築の連携などが積極的に行われており、効率的な体制が整備されていると評価できる。また、海外との連携についてもバイオリソースごとに特徴が表れ、国内の研究の独自性を反映しているものもそれなりに評価に値する成果を挙げている。

NBRP の第 1 期に比して機関の集約化が進んでおり、効率の点では好ましいが、東日本大震災によって、バックアップの重要性が再認識された。コミュニティとの連携の度合いはバイオリソース間で著しく異なっており、運営委員会のメンバー構成、広報活動の質・量は、各バイオリソースで工夫されてはいるものの大きな違いがある。

NBRP の維持を考えた場合に、技術職員の雇用の確保、研究職員のキャリアパスの確保など、人員の確保と育成に関する課題がある。現在、中核になっている研究者の世代交代を控え、特に重要な喫緊の課題である。

また、中核機関といっても、理化学研究所と情報・システム研究機構国立遺伝学研究所を除くと、多くは大学等の研究開発の活動とバランスを取りながらバイオリソースの収集・保存・提供を実施している状況で、技術的、事務的負担が小さくないのが現状であり、将来的に改善の方策が必要であろう。

【進捗・達成度】

各バイオリソースの中核機関の整備、中核機関と分担機関の連携等、NBRP を推進するための基本的な体制が整備され、ほとんどのバイオリソースについて収集数、保存数及び提供数の目標値を達成できており、我が国のバイオリソ

ースが質・量ともに飛躍的に充実したと評価できる。さらに一部のバイオリソースでは世界をリードするまでになっており、特に、日本の固有バイオリソースであるメダカ、カイコ等の進捗には目を見張るものがある。

それぞれのバイオリソースの特質や歴史的背景などもあって、バイオリソース間にレベルの差はあるものの、総じて良く健闘しており、日本のみならず世界の生物学の進展に大きく貢献しているバイオリソースも少なくない。

(2) 成果

生物種ごとに設定目標は異なるが、ほとんどのバイオリソースにおいて収集・保存・提供の目標値を達成しており、質的にも世界最高水準の提供が行われている。具体的には、線虫、ショウジョウバエなどは世界最高と判断され、マウス、ラットも世界トップクラスにある。また、凍結保存法などの基盤技術の確立に成功したいくつかのバイオリソースについては、保存数が明らかに増加している傾向が見られた。一方で、未だに凍結保存が困難なバイオリソースにおいては、質の維持・運営にかかるコストを軽減する観点からも技術開発が待たれるところである。バイオリソース全般については、ゲノム情報の整備が行われ、NBRP のホームページを通じて日本のみならず世界中の利用者に情報が発信されたことにより、利用者の幅を広げるとともに我が国のバイオリソースの品質の高さをアピールできたと評価できる。また、MTA の制定や課金制度の導入などの共通課題にも積極的に取組み、一定の成果を挙げている。

(3) 今後の展望

バイオリソースごとにコミュニティの大きさ、質・量・内容の広さ、研究進展の度合いも異なる中で、全バイオリソースで第1期、第2期のプロジェクトの推進を通して、世界最高水準あるいはそれに近いレベルに達したと評価できる。今後は、バイオリソースごとの状況を踏まえて設定目標を多様化し、それに合わせて予算の配分を行うことが必要である。また、ランダムな突然変異体の収集が各種のバイオリソースで進められているが、急速に進展する技術の革新に対応したバイオリソースの活用方法の再検討を行うべきである。

全てのバイオリソースで、ゲノム情報整備の重要性が明らかになった。今後は、各バイオリソースの全ゲノム配列の整備と、それを基礎にしたゲノム多様性についての整備が重要になる。また、胚、配偶子に対する凍結保存法は、バイオリソースの保存ならびにバックアップ体制の整備という面から非常に重要である。ショウジョウバエ等の未だ凍結保存法が確立していないリソースについては、凍結保存プロジェクトを立ち上げ、緊急に解決すべきである。収集・保存・提供はほぼ目的を達成したと評価できるので、今後は品質管理、国内外へのアピール等、他の観点からの評価にも重点を置くべきである。

高品質なバイオリソースの重要性は今後ますます大きくなると考えられるが、新しい用途のひとつに代替実験動物としての利用があろう。動物愛護等の観点から代替実験動物を求める動きが、国内外で大きな高まりを見せている。この要請に応えるうえでも、ゼブラフィッシュやメダカのような小型魚類や、ショウジョウバエ、カイコ、線虫をはじめとする無脊椎動物に係わる、高品質

かつ使い勝手の良いバイオリソースの重要性は言を俟たないであろう。

また、NBRP ではリソースの量的な充実のみならず、我が国として特徴のあるバイオリソースの整備をより一層進めていくことが必要である。今後、我が国独自の特徴のあるバイオリソースから生まれる画期的な研究成果がライフサイエンスの新しい現象の発見に結びつく事が重要である。

(4) その他特記事項

平成 23 年 3 月に発生した東日本大震災により、東日本の広範囲にわたり NBRP に係る研究機関にも被害が発生した。更に、発災直後の停電や断水に加えて、長期間にわたり電力供給が不安定になるという事態にも至った。バイオリソースの性格上、ライフラインへの依存が高いことから、以前より災害等への備えを進めていたところであるが、今回の震災を踏まえバイオリソースのバックアップ等について一層の備えを追加する必要がある。なお、バックアップするバイオリソースについては、我が国の研究基盤として必要不可欠なのか、一旦失われると復元が困難なものかといった観点から優先順位を決定し整備していくことが適当である。

また、生物資源の管理において、法規制と知的財産権への対応が一層重要になってきた。特に、生物多様性条約とそれに関連する「遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律」ならびに「生物の多様性に関する条約の遺伝資源の取得の機会及びその利用から生ずる利益の公正かつ衡平な配分に関する名古屋議定書」、海外由来のバイオリソースの扱いに関連する「感染症の予防及び感染症の患者に対する医療に関する法律」、「植物防疫法」、「外国為替及び外国貿易法」、「特定外来生物による生態系等に係る被害の防止に関する法律」などが慎重に考慮されなければならない。また、特許あるいはそのほかの知的財産権の保護にも配慮しなければならない。これらの情報については利用者の誤った使用を避けるために、適切な情報提供の方法を検討する必要がある。これらへの取り組みについても NBRP 共通のものと各バイオリソース特有のものを認識して、適切な体制を取ることが望まれる。

現状では、NBRP を利用する研究者からの利用結果に関するフィードバックが十分になされておらず、中核機関等が自らデータベースで論文やバイオリソース作製情報を検索し情報収集を行っている状況にある。バイオリソースの質的向上を図るためには、提供したバイオリソースから解析されたゲノム情報をはじめとする新たな研究データ等も重要であり、このような関連情報について利用者から確実なフィードバックが得られるような方策を工夫する必要がある。

また、確立したバイオリソースの維持・発展には質の高い技術職員の確保と研究職員のキャリアパスの確保は欠くことのできない要件である。

革新的タンパク質・細胞解析研究イニシアティブ (革新的細胞解析研究プログラム(セルイノベーション))

平成23年度予算額: 880百万円
 平成22年度予算額: 890百万円
 平成21年度予算額: 3,220百万円※
 ※(うち補正予算額: 2,500百万円)

事業目的

近年急速に性能が向上している高速のシーケンサー等を活用して、従来なしえなかった大規模・多面的な遺伝情報解析や細胞情報の経時・連続計測等の手法を駆使し、細胞・生命プログラム解読に挑む。これにより、生命現象の統合的理解、医学・薬学等の産業への貢献することを目指す。

事業概要

- シーケンス拠点、データ解析拠点整備
 - ・大量かつ多面的なゲノム情報の統合解析により細胞・生命プログラムを解明するために、革新的な解析能力を持つ次世代シーケンサーを整備した**シーケンス拠点**と大量データを扱う**データ解析拠点**を構築。
- 先導研究
 - ・遺伝子の働きの変化、細胞内の情報の伝わり方等について、従来なしえなかった多種多様な大量遺伝子情報解析を行うとともに、細胞情報の経時・連続計測やシステムバイオロジー研究等の手法を駆使し、**がん等の細胞・生命プログラム解読**に向けた先導研究を推進する。

先導研究 大学等

- ・がん等に関わる**細胞**の機能の基本原理や高次生命活動機構の解明
- ・次世代シーケンサーを活用した**細胞機能解析**



オールジャパンのチーム体制の構築

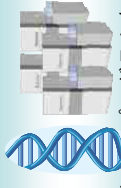
データ解析拠点

- ・大量情報の一元管理
- ・データ解析技術の開発
- ・データ共有、データ公開



シーケンス拠点 理化学研究所

- ・最先端の次世代シーケンサーを整備
 - ・研究コミュニティ等を開かれた拠点
- ※シーケンス利用技術開発は、運営費交付金で実施し、本プログラムを支援。



拠点と先導研究の積極的な連携を加速

平成23年度の取組

- 拠点と先導研究の積極的な連携を加速
 - ・がん細胞等を対象とした先導研究の現場から創出されるシーケンスデータの解析研究により、ブレークスルーをもたらす先導研究を加速

中間評価票

(平成 23 年 9 月現在)

1. 課題名 革新的細胞解析研究プログラム (セルイノベーション)

2. 評価結果

(1) 課題の進捗状況

○事業の概要

革新的細胞解析研究プログラム (以下、「セルイノベーション」という。) は、ゲノムネットワークプロジェクト等により得られた成果や基盤等を活用しつつ、高速のシーケンサー等を活用して、従来なしえなかった大規模・多面的な遺伝情報解析や細胞情報の経時・連続計測等の手法を駆使し、細胞・生命プログラム解読に挑むとともに、生命現象の統合的理解や医学・薬学等幅広い研究分野へ波及効果を与えること等を目的として、平成21年度から5カ年計画で開始された。

セルイノベーションは、大規模多面的なゲノム情報等の解析により細胞・生命プログラムを解明するために革新的な解析能力をもつ高速シーケンサーを整備した「シーケンス拠点」と、多様かつ大量のデータを取扱う「データ解析拠点」を構築している。これらの基盤を活用し、遺伝子発現制御、シグナル伝達等の細胞機能解析を行うとともに、イメージング等によるリアルタイム細胞・組織情報解析研究やシステムバイオロジー研究を一体として行う「先導研究」を実施し、細胞・生命プログラムの解明を目指している。

○プログラム全体に対する評価

シーケンス拠点やデータ解析拠点は、体制が順調に整備されてきていると判断でき、各先導研究拠点との連携にも尽力していると考えられる。一方、次世代シーケンサーの機器やそのデータ解析技術の開発は、技術革新のスピードがすさまじい領域であり、次世代シーケンサーも本拠点以外に多くの施設で導入されてきている。今後は、先導的かつ革新的な技術開発に特に留意した効率的かつスピーディーな取り組み、技術や研究成果の社会への普及、啓発活動に関する取り組みが期待される。

本プログラムに対する適切な進捗管理と総括を通じて、興味ある成果が本プログラムより出つつある。今後は、実際に次世代シーケンサーを駆使することで生命科学の向上につながるような論文発表や特許などの先駆的成果が生まれることが期待される。

これらの内容を踏まえて考えれば、本プログラムの進捗状況および得られた成果は優れており、次年度以降も引き続き実施することが適当であると評価できる。

(2) 各観点の再評価と今後の研究開発の方向性

○進捗状況

シーケンス拠点やデータ解析拠点の整備は順調に進んでいると評価できる。また、個々の研究テーマに関しても、おおむね順調に進展しており、全体としては今後一定の研究成果が期待できる。しかしながら、一部本プログラムに貢献しえない研究課題や遅れている課題もあり、これらに関しては、助言・指導や積極的な見直しも含めた一層の努力が必要である。

○プログラム運営体制

本プログラムでは、プログラムの円滑な実施を図るためプログラムディレクター (PD) およびプログラムオフィサー (PO) を配置している。PD、PO は プログラムの進捗管理および総括、プログラム運営委員会の開催・運営、課題内における連携のための調整など、いずれも適切に行い、積極的かつ適正なプログラムの推進を図っている。頻繁なサイトビジットによる進捗状況の把握にも積極的に取り組み、プログラム全体の進捗状況の掌握に努めている。また、研究成果発表会やシーケンス拠点でのシーケンサー利用技術講習会を5回行い、この領域の若手研究者の人材育成に尽力している。これらの活動を通じて、PD・PO はプログラムの適切な運営に向け、大きな貢献をしていると判断される。

○今後の展望

今後はシーケンス拠点やデータ解析拠点として完全な支援体制の確立に向けてさらなる発展が求められる。

技術革新のスピードがすさまじい領域であることから、既存の技術の改良のみならず、今後先導的かつ革新的な技術開発への積極的な取り組みが必要とされる。

(3) その他

○特記事項

次世代シーケンサーを駆使した成果については今後の課題として残っている。全体としては今後一定の研究成果が期待できるが、これまでの部分では、「いかにも次世代シーケンサーだからこそ、可能になった」という典型的な成果には至っておらず、そうした具体的な先導例が今後この事業から出るような取り組みが期待される。

再生医療の実現化プロジェクト

平成24年度調整中：調整中
 (平成23年度予算額：3800百万円)

概要

- 京都大学山中教授により樹立されたiPS細胞は、再生医療・疾患研究等に幅広く活用されることが期待される我が国発の画期的成果である。
- この研究成果を総力を挙げ育てていくため、iPS細胞等の研究をオールジャパン体制のもと戦略的に推進するとともに、iPS細胞等幹細胞を用いた研究開発について、関係省との協働により、基礎研究の成果をもとに、前臨床・臨床研究までの一貫した支援を実施し、再生医療の早期の実現を図る。



iPS細胞



京都大学
山中伸弥教授

体制

■ヒトiPS細胞等研究拠点整備事業(4拠点)



京都大学
代表：山中教授

- ・安全かつ効率的な作成技術の開発や、iPS増殖制御技術開発
- ・臨床応用に向けた安全性の確保やその評価技術の開発 等



慶應義塾大学
代表：岡野教授

- ・中枢神経系を中心とした分化誘導技術開発や、安全性確認及び治療開発研究 等



東京大学
代表：中内教授

- ・血液系細胞を中心とした分化誘導技術開発や、安全性確認及び治療開発研究 等



理化学研究所
代表：笹井GD

- ・多能性幹細胞の効率的培養等の基盤技術開発
- ・感覚器系を中心とした分化誘導技術開発や、安全性確認及び治療開発研究 等

■個別研究事業(7課題)

今後の重要課題

再生医療の実現に向けた研究開発



bud

- ・再生医療の実現化に向け、**臨床研究を見据えた研究を一層加速・推進**
- ・iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを旨として、**疾患や創薬の研究を推進**



Innovation

平成24年度の取組

関係省の協働により、研究開発を支援・橋渡しする仕組みである「**再生医療の実現化ハイウェイ**」を拡充

関係省が協働して、**疾患特異的iPS細胞を用いた疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発**等を推進

再生医療の実現化プロジェクト

基盤技術開発・研究基盤整備



seeds

・再生医療の実現の基盤となる知見を蓄積すべく、iPS細胞の**安全性評価技術や幹細胞操作技術等の基盤研究**を実施



soil

・疾患研究の推進や創薬研究等の共通インフラや、知的財産の戦略的な確保に向けた支援など、**研究を支える土台となる基盤づくり**を推進

iPS細胞等研究拠点、個別研究事業実施機関により、研究開発を引き続き推進

iPS細胞バンクのiPS細胞リソースの充実等により、iPS細胞技術プラットフォームを強化

iPS細胞研究ネットワークを活用し、**知的財産戦略や管理・活用体制の強化**等に関する支援の実施

疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究

文部科学省
厚生労働省

【概要】

文部科学省、厚生労働省が協働して、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

【ポイント】

特定の疾患・難病に着目して5拠点程度を採択し、文部科学省および厚生労働省の採択機関が共同研究等を実施。

○文部科学省：疾患特異的iPS細胞の樹立・分化に関する技術の普及や、疾患特異的iPS細胞を用いた研究を個別機関と共同で実施

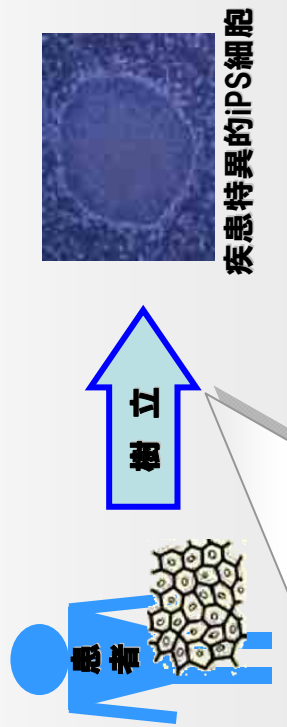
○厚生労働省：疾患特異的iPS細胞を用いた臨床研究

各拠点のイメージ

中核機関：疾患特異的iPS細胞の樹立・分化
再生医療の実現化プロジェクトで実施

**特定の難病・疾患に着目した課題を採択
(約2億円×5拠点)**

- 疾患特異的iPS細胞を用いた疾患発症機構や創薬の研究を個別機関と共同で実施
- 疾患特異的iPS細胞から分化・誘導させた目的細胞の個別機関への提供や、その技術の講習会等での普及を実施

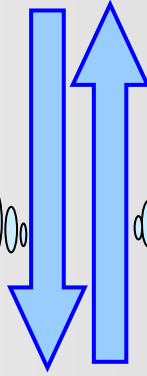


**厚生労働省・医療機関と連携して、難病や稀少
疾患等の患者の体細胞等を収集**

チームで研究を実施

文科省と厚労省が共同で課題を選定し、疾患特異的iPS細胞の樹立機関及び利用機関が共同で研究を実施

○患者の体細胞や疾患情報を提供
○疾患発症機構等を共同で研究



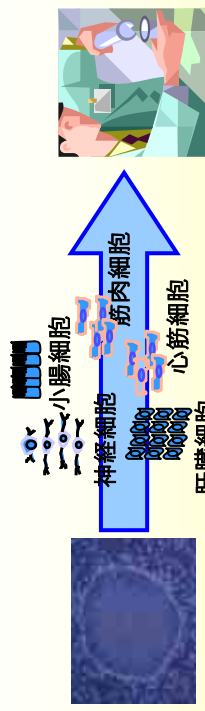
○疾患発症機構等を共同で研究
○分化・誘導に関する技術の普及
○人材の育成

個別機関等：疾患特異的iPS細胞を用いた研究
厚生労働科学研究費で実施

樹立された疾患特異的iPS細胞を用いて、疾患発症機構の解明、創薬研究等を実施。

疾患特異的iPS細胞を用いた研究(例)

○発症機構の解明



難病や稀少疾患等の疾患患者由来のiPS細胞から分化、誘導させた目的細胞等を用いて、疾患の発症機構を解明

○創薬・治療方法の開発



疾患特異的iPS細胞から分化させた各種細胞を用いて、創薬研究や治療方法の開発等を展開

「再生医療の実現化ハイウェイ」の運営体制

再生医療の実現化ハイウェイ構想

再生医療のいち早い実現化のため、文部科学省、厚生労働省、経済産業省が連続的に支援を実施することが可能な仕組みを構築し、長期間（10～15年間）、研究開発を支援・橋渡しすることを目指す。

◆課題の内容や進捗状況に応じた制度

- ・課題A（厚労省） 次年度には臨床研究実施のための効率的臨床研究基盤を探索・実証する研究を対象。
- ・課題B（文科省） 1～3年目までに臨床研究に到達することを目指す。体性幹細胞を用いた研究を想定。
- ・課題C（文科省） 5～7年目までに臨床研究に到達することを目指す。iPS/ES細胞を用いた研究を想定。
- ・課題D、E（経産省） 再生医療の基盤となる周辺機器（簡便で正確な細胞評価装置、培養装置等）を開発。
- ・課題F（経産省） 再生医療技術を活用し、生体内で自己組織の再生を促す再生デバイスを開発。

関係省庁が有機的に連携し、再生医療の実現に向けた取組を一体的に推進

- ◆文科省、厚労省が協働して評価を実施し、結果が芳しくないものは非臨床研究段階から支援を打ち切り。
- ◆PMDAの薬事相談窓口が可能となる仕組みの構築
- ◆基礎研究から臨床研究への迅速かつシームレスな移行を可能とする仕組みの構築



事前評価票（拡充）

（平成 23 年 9 月現在）

1. 課題名 再生医療の実現化プロジェクト
2. 開発・事業期間 平成 20 年度～
3. 課題概要 〈概要〉 世界でも比類なき高齢化社会を迎えている我が国において、難病・生活習慣病・障害等に対するこれまでの医療を根本的に変革する可能性のある細胞移植・細胞治療等による再生医療について、iPS 細胞等を用いた革新的な幹細胞操作技術や治療技術等を世界に先駆け確立し、その実現化を目指す。 本プロジェクトは、平成 15 年から実施されており、特に第Ⅱ期（平成 20 年から平成 24 年）においては、国民への効率的な成果還元のため「ヒト幹細胞を用いた研究」を中心とし、再生医療の実現化を目指している。 また、平成 23 年度より、再生医療のいち早い実現化のため、関係省（文部科学省、厚生労働省）が連続的に支援を実施することが可能な仕組みを構築し、長期間（10～15 年間）、研究開発を支援・橋渡しすることを目指す「再生医療の実現化ハイウェイ」を新たに実施。 〈平成 24 年度新規・拡充内容等〉 ○疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究（新規） iPS 細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指して、文部科学省と厚生労働省が協働して、疾患特異的 iPS 細胞を用いて難病等の疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進する。 ○再生医療の実現化ハイウェイ（拡充） 平成 23 年度より実施している「再生医療の実現化ハイウェイ」について、切れ目なく実用化に向けたシーズを発掘し、再生医療実現化を加速していくため、新規公募行うために拡充する。 ○研究用幹細胞バンク整備領域 さい帯血幹細胞を収集して研究者に提供することを目的とした「研究用幹細胞バンク整備領域」について、来年度以降、バイオリソースとして効率的に収集・保存を行い、幅広く研究者の利用に供していくために、ナショナルバイオリソースプロジェクトに移管して実施する。
4. 各観点からの評価 （1）必要性 「新成長戦略」（平成 22 年 6 月 18 日 閣議決定）において、再生医療等の先端医療技術等の研究開発・実用化の促進が謳われており、「新成長戦略実行計画（工程表）Ⅱ. 健康大国戦略」の「新たな医療技術の研究開発・実用化促進」において、再生医療に関する前臨床－臨床研究事業の一元的な公募審査、進捗管理などによる「再生医療の実現化ハイウェイ」構想を実施すべき、とされている。

また、第4期科学技術基本計画(平成23年8月19日閣議決定)において、ライフイノベーションの推進が最重要政策課題に位置づけられ、iPS細胞による疾患細胞等を駆使した疾患・治療のメカニズムの解明や新規創薬ターゲットの探索、iPS細胞、ES細胞、体性幹細胞等の体内及び体外での細胞増殖・分化技術の開発が示されている。

「平成24年度科学技術重要施策アクションプラン」(平成23年7月21日科学技術政策担当大臣 総合科学技術会議有識者議員)において、再生医療研究は今後の医療に大きな可能性を拓くものと期待され、「身体・臓器機能の代替・補完」が政策課題として挙げられ、体性幹細胞・胚性幹細胞を用いた再生医療、iPS細胞を用いた難病克服・創薬が重点的取組として示されている。

さらに、平成23年6月16日に開催された第2回医療イノベーション会議において「医療イノベーション推進の基本的方針」が合意されたが、同方針において、再生医療分野は4つの重点分野の一つに位置付けられ、iPS/ES細胞、体性幹細胞等の両方を強力に推進することが記載されている。

「iPS細胞研究ロードマップ」(平成21年6月24日文部科学省)として今後のiPS細胞研究に関して、①基礎研究、②標準化、③iPS細胞の疾患研究・創薬応用、④再生医療の具体的な目標が設定されている。

「新たなライフサイエンス研究の構築と展開(中間とりまとめ)」(平成21年12月7日ライフサイエンス委員会)において、「府省の縦割りを打破し一体的かつ横断的に、革新的な研究シーズの実用化に向けて集中的・集約的に投資し、質の高い医療・福祉サービスの提供、新たな産業の創出などの形で社会・経済に早急に還元していくことが急務であると言える」とされている。

本事業の第I期では、移植用適用外さい帯血を研究用に提供開始、ヒトES細胞からの有用細胞の産生、脊髄損傷等のモデル動物の細胞移植治療成功等を通じ、我が国の再生医療研究の躍進に貢献した。これら研究の進捗と、平成19年11月の京都大学の山中伸弥教授らによるヒトiPS細胞樹立を受け、これらの成果を効率的かつ迅速に国民へ還元することが重要である。再生医療の実現化に向けては克服すべき、腫瘍化等に対する安全性や標準化の課題があり、引き続き、安全性や標準化に関する解析、初期化の分子機構の解明等の基礎研究を推進することが重要である。その一方で、早期の再生医療の実現を目指して、切れ目なく実用化に向けたシーズを発掘して、関係省との協働により、基礎研究から臨床研究までの一貫した支援が必要である。

また、iPS細胞は目的の細胞・組織に分化誘導させることによって、疾患の発症や治療方法の研究、創薬開発に資することが期待されている。これまで本事業等において、多数の疾患特異的iPS細胞が樹立されており、今後は、疾患特異的iPS細胞を用いた疾患発症機構の解明、創薬研究や治療法の開発等を関係省が緊密に連携して進め、基礎研究の成果を速やかに社会に還元することが重要である。

(2) 有効性

○疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究 (新規)

- ・疾患特異的 iPS 細胞等を用いた疾患の原因解明や創薬等への応用により、発症機構が未解明な疾患や治療法が確立されていない疾患等に対する治療方法や予防法を開発されることが期待される。
- ・文部科学省および厚生労働省の採択機関が、難病等の特定の疾患に着目してチーム型で疾患発症機構の解明、創薬研究を実施することで、iPS細胞等を用いた基礎研

究の成果を速やかに社会に還元することが期待できる。

○再生医療の実現化ハイウェイ（拡充）

- ・ ヒト幹細胞を用いた研究を通じ、これまでの医療を根本的に変革する可能性を有する再生医療が実現化され、難病や生活習慣病に対する根治的治療方法が開発されることが期待される。
- ・ 関係省が連続的に長期間、研究開発を支援・橋渡しする仕組みを構築することによって、「死の谷」を克服し、いち早く基礎研究の成果を医療の形で社会還元することが期待できる。

○研究用幹細胞バンク整備領域

- ・ 「研究用幹細胞バンク整備領域」については、当初、再生医療実現のための研究を促進する基盤整備の一環として第Ⅰ期より開始されたが、第Ⅱ期よりは、再生医療での利用のみならず、広く研究者に提供することを目的として本事業を推進している。今後、さい帯血幹細胞をバイオリソースとして、収集・保存・提供していくことで、より広く利用されることが期待される。

（３）効率性

○本事業については、科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会 ライフサイエンス委員会及び幹細胞・再生医学戦略作業部会における議論等を踏まえ、他の関連施策との役割分担を明確にしつつ、拠点による取組と個別課題による取組を有機的に連携させることとしている。

○疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究（新規）

- ・ 平成 24 年度に本事業において新たに実施する予定の「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」では、文部科学省と厚生労働省の事前の明確なる役割分担・協働方針に従って効率的な事業の展開が期待できる。
- ・ また、iPS 細胞から目的細胞を分化・誘導する方法がある程度、確立された特定の疾患・組織に着目して、疾患特異的 iPS 細胞を用いて文部科学省および厚生労働省の採択機関がチームで研究を実施することによって、基礎的な研究成果が効率的に社会に還元されることが可能となる。

○再生医療の実現化ハイウェイ（拡充）

- ・ 平成 23 年度に本事業において新たに実施している「再生医療の実現化ハイウェイ」では、短期で臨床研究への到達を目指す再生医療研究課題（主として体性幹細胞を用いた研究を想定）については 1～3 年目までに、一方、中長期で臨床研究への到達を目指す再生医療研究課題（主として iPS/ES 細胞を用いた研究を想定）については 5～7 年目までに、それぞれ臨床研究に移行することを目指すこととしており、明確な目標を設定して有望な研究成果を効率的に社会に還元することが期待される。
- ・ また、再生医療をいち早く実現化するためには、各種の規制（薬事法、ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針等）に対して適切・迅速に対応する必要があり、再生医療の実現化を目指す研究の支援において、研究の進捗管理や臨床研究に向けた必要な協力を行うことで、効率的な事業の展開が可能となる。

5. 総合評価

- ・ 疾患研究や創薬への iPS 細胞の応用は、疾患の病態解明及び創薬研究への応用という観点から、iPS 細胞の創薬研究への応用という観点から、世界的にも極めて競争の激しい領域となっており、我が国として支援することに意義がある。
- ・ 特に、患者数の多い疾患だけでなく、患者数が少なく、民間だけでは解決のでき

ない難病疾患の克服に向けて我が国の優位性のある iPS 細胞研究を活用できる点で意義がある。

- ・ 疾患研究や創薬研究といった速やかな iPS 細胞の成果を社会に還元を目指して、関係省が連携した研究開発の体制を構築すべきである。
- ・ iPS 細胞を活用した難病研究や創薬研究を行うに当たっては、製薬企業等との連携という視点も重要である。
- ・ 平成 23 年度から開始した再生医療の実現化ハイウェイについては、関係省が協働して再生医療の実現化の加速に向けて取り組んでいく上で重要であり、今後も切れ目なく実用化に向けたシーズを発掘していくという視点が重要である。