

# ライフサイエンスに関する 研究開発課題の中間・事後評価結果

平成24年8月

科学技術・学術審議会

研究計画・評価分科会

## 目次

- 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 . . . . . 1

### <中間評価>

- 分子イメージング研究戦略推進プログラム（第Ⅱ期） . . 2
- 感染症研究国際ネットワーク推進プログラム（第Ⅱ期） . 6

### <事後評価>

- 再生医療の実現化プロジェクト（第Ⅱ期） . . . . . 11
- オーダーメイド医療の実現化プロジェクト（第Ⅱ期） . . 15

# 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	株式会社三菱ケミカルホールディングス ヘルスケアソリューション室部長 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	株式会社スタージェン情報解析研究所長
桐 野 高 明	独立行政法人国立病院機構理事長
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	自治医科大学学長
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
成 宮 周	京都大学大学院医学研究科教授
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

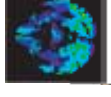
平成24年6月13日現在

# 分子イメージング研究戦略推進プログラム

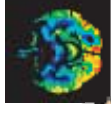
平成24年度予算額 : 500百万円  
 (平成23年度予算額 : 500百万円)

## 分子イメージング技術とは

生体内分子の機能や投与薬物の動態などを生物が生きたままの状態画像化する技術。  
 この技術を活用し、がんなどの疾病について、**病気の診断や解明**だけでなく、**創薬候補物質のスクリーニングや安全性・有効性の確認へ応用可能**。



正常人

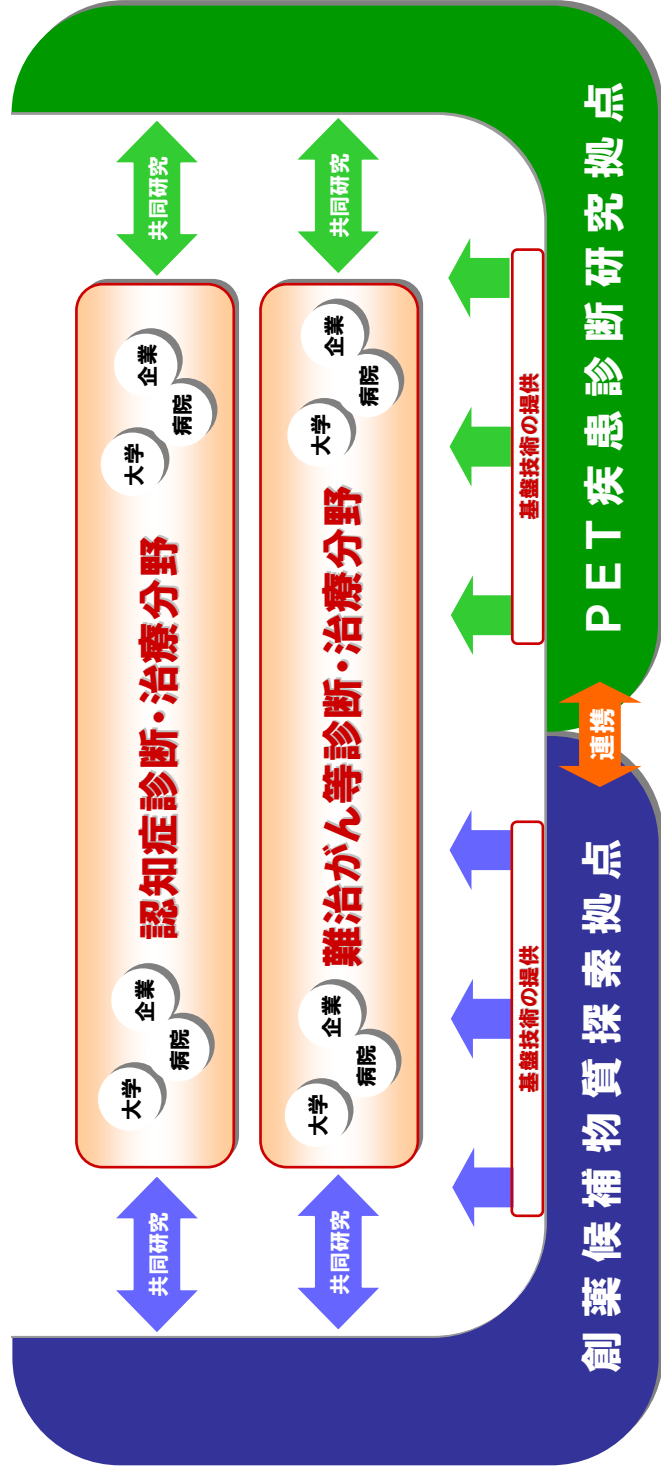


認知症患者

## 概要

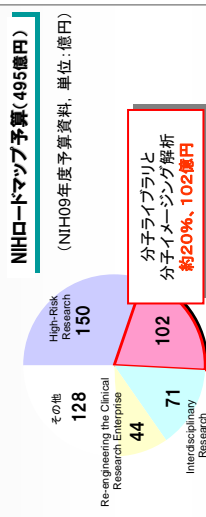
分子イメージング技術を医療へ応用すべく、**創薬候補物質探索拠点・PET疾患診断研究拠点**と、**大学・病院・企業等の連携**により構成される研究体制を構築し、技術の実証に向けた共同研究開発を実施。

## 体制図



## 欧米諸国でも分子イメージング研究を強かに推進

◆米国立衛生研究所(NIH)は、2003年に策定した「NIHロードマップ」において、戦略分野のひとつとして位置づけ、分子イメージング研究を推進。



◆欧州では多数の研究施設をネットワーク化する施設を構築し、分子イメージング研究を加速

# 中間評価票

(平成24年8月現在)

## 1. 課題名 分子イメージング研究戦略推進プログラム

## 2. 評価結果

### (1) 課題の進捗状況

#### ○事業の概要

本プログラムは、分子イメージング研究プログラム（平成17年度～22年度。以降、「第I期プログラム」と表記）において整備された創薬候補物質探索拠点及びPET疾患診断研究拠点の両拠点機能と開発された要素技術等を活用し、革新的な医療技術開発の加速や新薬審査の迅速化等に資する分子イメージング技術を、早期に臨床研究等によって実証し、実用化に繋げていく必要があることから開始された。

具体的には、平成22～26年度までの第II期プログラムの間に、特に社会的なニーズの高い「認知症診断治療」、「難治がん診断治療」に関して本技術を実証すべく、臨床に向けたPOCを取得することを目標とした研究を推進している。また、分子イメージング分野における技術水準の向上と若手研究者等分子イメージング技術の将来を担う高度専門人材の育成を目的とした事業を推進している。

#### ○プログラム全体の評価

本プログラムでは、薬物動態や認知症・がんの研究に精通したPD【杉山雄一（理化学研究所 社会知創成事業 イノベーション推進センター 特別招聘研究員）】/PO【認知症：岩坪威（東京大学大学院医学系研究科 教授）、がん：藤原康弘（国立がん研究センター 中央病院 副院長）】を配置し、研究の進捗管理や、個別研究等に関し助言を行いながら事業を推進している。さらに第I期プログラムに比べ予算の制約がある中、選択と集中により選定された研究課題や人材育成について、両拠点がサポートし、この上半期までにPOC獲得に向けた研究が概ね適切に進んでいる。

以上のことから本プログラムについては、適切なプログラム運営がなされていると評価できる。

#### ○個別研究課題の評価

##### 【難治がん診断治療分野】

創薬候補物質探索拠点（理研）と共同で行った研究では、乳がんを対象としたPET用標識抗体（ $^{64}\text{Cu}$  DOTA-トラスツズマブ）を用いた我が国で初めのヒト臨床試験（First-In-Human）の実施や、がん幹細胞のイメージング開発研究の過程で、グリオーマの悪性度を制御する機能因子Glimの重要な下流機能因子を明らかにするなどの成果が出された。

PET疾患診断研究拠点（放医研）と共同で行った研究では、低酸素PETプローブを用いた多施設臨床研究や、がん細胞集塊の高解像度酸素分圧測定法や酸素分圧測定プローブの開発を進め、

がん細胞集塊解析のための基盤技術開発を実施するなど、実用化が期待できる研究が行われており、今後の研究の成果が期待できる。

#### 【認知症診断治療分野】

創薬候補物質探索拠点と共同で行った研究では、 $[^{11}\text{C}]\text{KTP-Me}$  を利用した脳内炎症診断プローブについて、ヒトPET研究を開始するため、安全性試験および健常人を対象としたFirst-In-HumanのPET撮像を実施し、安全性と被ばく線量には問題ないこと、薬剤の脳への移行を確認し、その後速やかに洗い出されることが判明するなど、探索的臨床試験に向けた準備が進められている。また、タウタンパク凝集の最初の過程である初期リン酸化を担っているDYRK1Aの特異的阻害剤として見いだされたINDYを $^{11}\text{C}$ -標識PETプローブ化することに成功するなどの実用化に向けた研究成果が得られた。

PET疾患診断研究拠点と共同で行った研究では、アルツハイマー病の病理カスケードを標的として、 $\text{A}\beta$  およびタウ病変のPETプローブ開発と一体化した病態解明を行い、複数のタウ病変プローブを臨床で評価する基盤が整えられている。また、 $\text{A}\beta$  蓄積と神経炎症・神経変性を相互に結びつける機構の可視化に取組み、 $\text{A}\beta$  蓄積から神経変性に至る機構をより忠実にモデル化したマウスの開発を理化学研究所脳科学総合研究センターで行い、中核拠点で評価を開始するなど、実用化に向けた研究が推進されている。

以上から個別研究は概ね順調に進んでおり、最終年度には、がん、認知症の診断・治療に役立つ研究開発の目標が達成されるものと推測される。

#### ○高度専門人材育成の評価

高度専門人材育成については、それぞれの機関において手法は様々ではあるが、概ね中核拠点と連携しながら人材育成に努めており、一部の機関では、既にキャリアパスの実績も出ていることから、一定の成果が上がっていると評価でき、本事業が継続して推進される事で、分子イメージング技術に関する若手研究者・技術者等の育成・底上げが期待できる。

## (2) 各観点の再評価と今後の研究開発の方向性

昨年8月に閣議決定された「第4期科学技術基本計画」に示されるライフイノベーションの推進において、国としては、大学、公的研究機関、産業界との連携、協力の下、「革新的な予防法の開発」「新しい早期診断法の開発」「安全で有効性の高い治療の実現」等に対応した研究開発等の関連施策を重点的に推進することとしている。

分子イメージングの技術は、同計画に掲げる「新しい早期診断法」「安全で有効性の高い治療」に該当するものであり、ライフイノベーションの推進に大いに貢献するものであると考えられる。

更に、本年6月6日に取りまとめられた「医療イノベーション5ヵ年戦略」においては、がんや精神・神経疾患等の原因分子やメカニズムの解明等のために、創薬候補物質の探索及びPET疾患診断に資する分子イメージング技術にかかる研究開発を進めることが掲げられ、本プログラムの重要性が示されているところである。

この様なことから本プログラムの継続は必要と考えるが、残りの期間については、PD/PO、両中核拠点を中心に、研究グループ間での連携の促進、実用化を見据えた臨床医等からの意見の研究内容への反映、選択と集中による効率的な予算配分等を考慮しつつ、本プログラムを加速させ、効率的・効果的な運営を実施する。

---

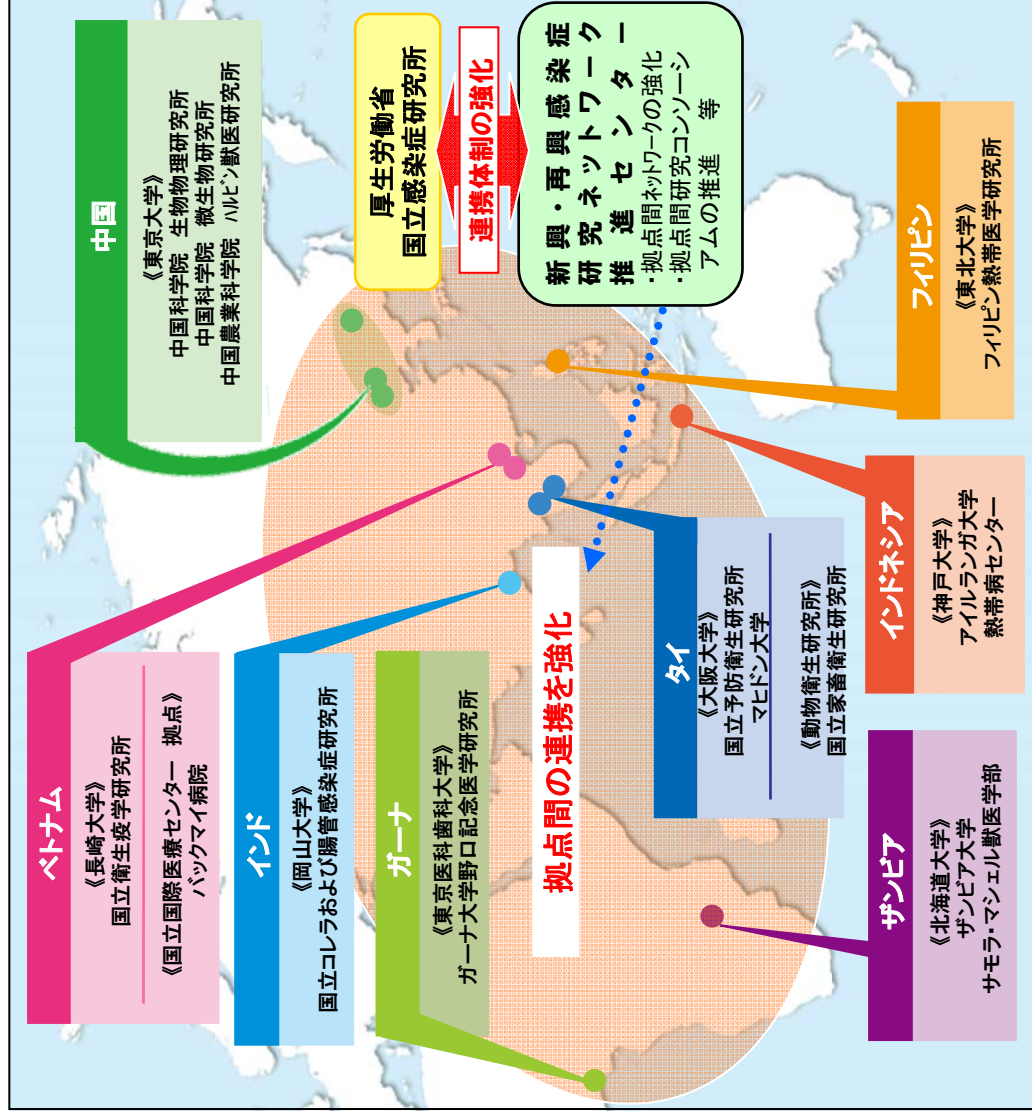
(3) その他

# 感染症研究国際ネットワーク推進プログラム

平成24年度予算額：1,722百万円  
(平成23年度予算額：1,722百万円)

## 概要

- 第1期プログラム（平成17～21年度）において、新型インフルエンザやSARSなどの新興・再興感染症について、アジア・アフリカ8ヶ国に海外研究拠点を整備し、各拠点で研究を実施した。
- 第2期ではこれらの拠点を活用し、感染症対策に資する研究開発を実施し、基礎的知見の集積や人材育成等を図るとともに、**拠点間の共同研究を推進し、連携を強化**する。
- 新興・再興感染症研究ネットワーク推進センターにおいて、**国内外の感染症研究に関する情報の集約・展開**を図る。
- 国内外関係機関（厚生労働省、国立感染症研究所、WHO等）との連携**を強化する。
- これら取組を通じ、アジア・アフリカ各国に対する**戦略的な外交政策の主要なツールとして活用**（科学技術外交）。





# 中間評価票

(平成24年8月現在)

## 1. 課題名 感染症研究国際ネットワーク推進プログラム

## 2. 評価結果

### (1) 課題の進捗状況

#### ○事業の概要

本プログラムは、国内での感染症研究だけでなく、感染症が発症した海外現地において研究が可能な体制整備と人材育成を目的に、海外研究拠点を設置し、これらの拠点を活用して、我が国及び研究相手国の基礎的知見の集積、双方の感染症研究のレベルアップを目指すとともに、各国の研究拠点の横のつながりを念頭に置いた研究を行うこととしている。

平成17～21年度までの第Ⅰ期においては、国内の大学（北海道大学、東北大学、東京大学、東京医科歯科大学、大阪大学、神戸大学、岡山大学、長崎大学）や国立国際医療研究センター、動物衛生研究所が、8カ国（タイ、ベトナム、中国、インドネシア、フィリピン、インド、ザンビア、ガーナ）に計12カ所の研究拠点を開設し、各研究機関等の協力を保ちつつ、広い領域の専門家が一体となって現地研究者・専門家と共に研究を進める体制を構築した。

平成22年度からの第Ⅱ期プログラムにおいては、この感染症研究拠点を充実・強化することにより、持続的な研究活動を進める基盤を確立し、また、国内外の他機関との連携を深めつつ、基礎研究、臨床研究、応用研究を継続的に進め、我が国及び相手国における知見、技術の集積、人材育成等を図ることにより、国際貢献を果たしつつ、国民の健康と安全を守ることに寄与する。

#### ○プログラムの企画・運営に対する評価

今期から常勤的なPDと常勤的/非常勤のPOが発令され、PD/POはCRNIDの技術的・事務的支援を受け、プログラムの総合的推進に全責任を持つことになった。PDとPOは、

- ① 文科省と相談の上、各拠点への配分額を含む運営方針の策定
- ② PD、PO、拠点及びCRNID代表者と文科省から成る実施会議の開催
- ③ 中国ハルビン拠点を除くすべての海外拠点（アジア6か国、アフリカ2か国の計12拠点）の視察
- ④ 課題の必然性、実施能力、研究の進捗状況等を把握のため、8大学2研究所及びCRNIDに対してヒヤリングの実施
- ⑤ 複数の海外拠点を活用した課題別研究コンソーシアムの設置

等、プログラム全体を見据えた運営に努めてきたところである。

これらの活動については、感染症の主な流行地域である、アジア・アフリカ諸国に長期的または持続的な拠点を形成し、拠点・ネットワーク形成をとおして、人材を育成し、国際的

にも存在感を示すことを目指すとともに、高い研究水準を維持しており、おおむね目標に沿った企画・運営されていると評価できる。

### ○プログラムの実績（各拠点における研究実績等）に対する評価

第2期2年間は研究活動の最盛期、最大化を迎えようとしており、この間の論文数・内容は、およそ第1期の事後評価前後から開始されたものも含まれると推定されるが、年間70～80件に上っている。論文発表だけではなく、例えば、タイ拠点ではLAMP<sup>※1</sup>法と呼ばれる定温核酸増幅法によって、コレラ・アウトブレイク対策の飛躍的前進により担当した研究者がタイ王女から賞牌を授与されるなど、相手国の公衆衛生対策に貢献したケースも出てきている。

人材育成についても、特任教授、特任准教授としてJ-GRIDに深く関わった人材がテニユアの要職に就く、ポスドク、特任教員などの若手がそれぞれの機関内で昇進、または他機関のテニユア職を得るなど、順調に進んでいる。

特に第2期に入ってから、多くの論文が発表されており、また、RAPID<sup>※2</sup>法、LAMP法、Smart Amp<sup>※3</sup>法など、病原体の迅速・確実な同定につながる新しい方法論を確立し実際に各種現場で活用されるなどの社会貢献につながる活動や成果も見られている。これらは、当該国での感染症の制圧・制御に寄与するものであり、国内への感染症の侵入のリスクを大きく低減させる効果があるとともに、当該国と日本の国益を超えた、世界全体に対する日本の科学的貢献であり、科学技術立国を目指す日本の一つの成功モデルだと言える。

### ○プログラム全体に対する評価

第2期プログラムでは、第1期で整備された海外拠点を充実・強化しつつ、国内外の他機関との連携を深めるとともに、基礎研究、臨床研究、応用研究を継続的に進め、我が国及び相手国における知見、技術の集積、人材育成等を図ることにより、相手国の感染症対策へも貢献しつつ、我が国の国民の健康と安全を守ることに寄与することとしている。これまでに約2年間において、おおむねこの目標を見据えた運営がされているところである。

### (2) 各観点の再評価と今後の研究開発の方向性

平成23年8月に「第4期科学技術基本計画」が閣議決定され、平成23年度からの5か年は、同計画に基づき政策が実施されることとなっている。同計画においては、地球規模問題である新興・再興感染症について、病原体の把握、予防、診断、治療に関する研究開発を推進し、得られた成果の国内外への普及と展開を促進するとともに、課題への対応に向けた国際社会の合意形成を先導することとしている。

### ○プログラムの企画・運営について

研究体制の基礎となる予算が単年度ベースであることから、割り当て予算の漸減からプロ

※1 LAMP : Loop-Mediated Isothermal Amplification の略。遺伝子の簡易・迅速な増幅法

※2 RAPID : Robotics Assisted Pathogen Identification の略。原因不明感染症例の緊急診断のために使用されるシステムで、阪大と理研オミックス基盤研究領域と共同で構築。

※3 Smart Amp : Smart Amplification Process の略。複数の酵素を組み合わせ、一塩基の違い (SNP) を正確に識別しながら DNA 増幅させる方法

グラムによっては人的、資金的に負担を感じているのが見られるため、その対策として効率的な組織運営を目指す必要がある。さらに、本プログラムの存在、及びその価値をアピールすること（研究に留まらず、一般社会・現場に出て行くこと）も肝要であり、その為の施策を考え、戦略を練り、実践することが、一層、求められる。

### ○プログラムの実績（各拠点における研究実績等）

拠点を担当する大学あるいは研究機関の実力、熱意、組織としての温度差が認められ、拠点によってその進捗はかなり異なっている。

また、人材育成について、日本国内のみならず、相手国の研究人材も確実に養成されていると思われるが、人材異動後の追跡調査などにより着実に人材育成に寄与しているのかを評価すべきである。

### ○PD・POの裁量による研究課題等について

今回の設定課題については、極めて妥当・適切でタイムリーであると評価できるが、他にも重要課題はあること、選択と集中の観点からプログラム全体の中でアソシエートメンバーをどのように位置付けていくか、共同の在り方（例えば、解析する共通事項を決め、その結果のデータバンクを構築すれば、ウイルス株の流れを把握でき、対策にも役立つ）、アジア圏内の感染症データバンクの作成等について検討する必要がある。

### ○今後の展望

後半に向けては、PD/PO及び文部科学省は、プログラム全体としてネットワークの維持・発展や、国内外の機関の連携をより効率的なものとして推進するべきである。その際、J-GRID以外の大学・国立感染症研究所等の研究機関に多数存在する優秀な感染症研究者・臨床家が参画しやすい体制整備や、同一国内拠点の連携、拠点設置国側のリソースも活用したプログラムの検討も必要である。また、既に行われているが、各拠点において実施されている共通する課題の更なる連携も必要である。このようなプログラムの企画・運営を実施する為には、公明性・公平性が担保された第3者機関を早急に設置する必要がある。

また、一般国民に向けた（分かりやすい）成果の報告など広報活動をより積極的に行うなど、J-GRIDの研究成果を国内はもとより、国際的にも発信を続け、本プログラムに対する理解を広く獲得する努力を行うべきである。

なお、今回、せつかく拠点を整備しても、相手国情勢等による管理関連業務が大きな負担となり、本来の研究業務へ支障を来しているケースもみられ、本来の研究に専念できる環境整備/支援体制を行う制度や施策を日本側で至急検討すべきである。

---

(3) その他

○特記事項

本プログラムは、科学的成果、人材育成成果のみならず、当該国と日本の国益を超えた、世界全体に対する日本の科学的貢献であり、積極的に拡充しつつ継続が必要である。このまま予算が減少すれば、拠点を維持し、研究を進めることが困難になっていくことから、十分な予算確保が必要である。

# 再生医療の実現化プロジェクト

平成24年度予算額: 4,499百万円  
平成23年度予算額: 3,800百万円  
平成22年度予算額: 2,370百万円  
平成21年度予算額: 7,559百万円 (補正予算額4,909百万円含む)  
平成20年度予算額: 3,500百万円 (補正予算額1,500百万円含む)

## 政策

【第4期科学技術基本計画(平成23年8月19日閣議決定)】

4. ライフサイエンスの推進

○新薬の開発においては、動物疾患モデルやiPS細胞による疾患細胞等を駆使して疾患や治療のメカニズムを解明し、新規創薬ターゲットの探索を行う必要…(略)...

○再生医療に関しては、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・分化技術を開発するとともに、その標準化と利用技術の開発、安全性評価技術に関する研究開発を推進。

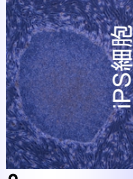
## 概要

○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。

○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ンパ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。



京都大学  
山中伸弥教授



iPS細胞

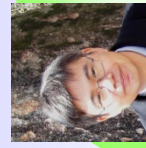
## 体制

### ■ヒトiPS細胞等研究拠点整備事業



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

### 幹細胞操作技術開発領域

- ・幹細胞から、移植に用いる心筋細胞や肝細胞などを効率的に作成
- ・医療につなげるため、目的細胞の創出等の技術開発を推進等

### 幹細胞治療開発領域

- ・ヒト肝細胞を目的細胞に分化誘導できた疾患群について、その治療技術を前臨床研究段階まで開発等

### 研究用幹細胞バンク整備領域

- ・臍帯血等の幹細胞を採取、保管し、適切に研究者に提供等

### ■個別研究事業

# 事後評価票

(平成24年8月現在)

1. 課題名 再生医療の実現化プロジェクト（第Ⅱ期）

2. 評価結果

（1）課題の達成状況 ※達成度の判定とその決定根拠を明確にする

文部科学省では、再生医療に関する研究の現状を踏まえ、国民への効率的な成果還元のため、平成20年度より「再生医療の実現化プロジェクト（第Ⅱ期）」を開始し、「ヒト幹細胞を用いた研究」を中心とした研究開発を通じた再生医療の実現を目指してきた。

再生医療分野において世界をリードするイノベーションとなるような、ヒト iPS 細胞を中心とした独創性の高い幹細胞革新的操作技術の開発、前臨床研究段階を目標とした幹細胞を用いた難病や生活習慣病等の治療技術の開発（安全性の検討等）を実施するために、4つの拠点を整備するとともに、個別課題として、再生医療等の基礎やトランスレーショナル研究を推進する基盤としてヒト臍帯血由来細胞の提供を行う課題、独創性の高いヒト幹細胞を対象とした革新的操作技術の開発を実施する課題、細胞移植等に使用する細胞の分化誘導法がある程度確立されている治療開発研究について、ヒト iPS 細胞やヒト ES 細胞等を用いて前臨床研究段階を目標とした難病や生活習慣病等の治療技術の開発を実施する課題等、計11の課題（中間評価等を踏まえ、平成23年度末までに6課題に整理）を採択し、事業を実施した。

本事業の目標は、

- 1) ヒト iPS 細胞・ES 細胞を対象とした革新的操作技術の開発
- 2) それを活用した再生医療（治療技術）の開発を臨床研究に移行できる直前の「前臨床研究」の段階まで進めること

の2点である。

1) については、国際標準との比較検討や造腫瘍性について定量的にどれだけ改良されれば臨床応用できるのかなどの答えは出ていないものの、iPS 細胞の標準化に向けて細胞操作技術・細胞の品質・作成効率などの改良に取り組み安全性を向上させたことは大いに評価できる。

2) については、網膜、角膜、神経（脊髄損傷）、心筋、造血幹細胞（血小板）の再生医療をほぼ前臨床研究のレベルまで高めた。その結果として、4 課題が「再生医療の実現化ハイウェイ」に採択されたことは一定程度以上の「実現化」と評価できる。他方、国民への成果還元は、まだその段階ではなく、実用化される迄にはまだまだハードルがあるとの認識も必要である。

その他には、研究用幹細胞バンク整備事業を NBRP へ採択・移行するまで維持・

継続したことも成果と思われる。また、疾患特異的 iPS 細胞の理研への寄託と研究者への提供体制を整備したことも評価できる。さらに、「iPS 細胞技術プラットフォーム」により全国の研究者に対して情報提供や技術支援を行うシステムを作ったことも評価できる。

## (2) 成果

本事業の成果として、主に以下の4つが挙げられる。

### ① iPS 細胞の臨床応用に向けた取組の加速

本事業実施課題の中から、iPS 細胞の実用化を目指す多くの課題が「再生医療の実現化ハイウェイ」に移行し、iPS 細胞を用いた初めての臨床試験が平成 25 年度にも予定されているなど、iPS 細胞の臨床応用が視野に入るまでに研究開発が大きく進捗した。

### ② iPS 細胞を用いた研究に係る課題の抽出

4 拠点が連携して集中的な研究を行ったことにより、iPS 細胞の利用に関して、更なる安全性の向上、樹立方法の改善（期間の短縮や効率の向上など）、分化誘導法の改善の必要性などの問題点が抽出され共有された。その結果、これらを克服するための方策として、iPS 細胞の初期化のメカニズムの解明等、iPS 細胞の臨床応用に向けた基盤技術の開発の必要性が共有された。

### ③ 再生医療の対象を拓げる幹細胞操作技術の創出

立体培養法の確立など、再生医療の対象を拓げる新たな関連技術が創出された。

### ④ 国民の幹細胞・再生医学研究分野に対する関心の励起

本事業により再生医療の実現化に向けた成果が次々と産み出され、それらの成果が報道やアウトリーチ活動によって周知が図られた結果、国民の再生医療分野に対する関心が大いに高まった。これが再生医療分野のみならずライフサイエンス分野への関心を高める素地なることが期待される。

## (3) 今後の展望

### ① 幹細胞・再生医学研究推進の必要性について

本事業の実施により、幹細胞・再生医学研究について一定の成果が得られたものの、再生医療の実用化による恩恵を国民に還元するには、上記の成果を踏まえた更なる研究、開発の加速が必要である。

### ② 幹細胞・再生医学研究の目標について

iPS 細胞等幹細胞を用いた再生医療の実用化による新規治療法の創出、及び疾患・創薬研究による新規産業等の創出を目指すべきである。

### ③ 幹細胞・再生医学研究の実施体制について

本事業では、多面的機能を持った機関単位の拠点を国内に複数形成することにより全体のボトムアップを図ってきたが、必ずしも機能的な体制とは言いにくい面もあ

ったように思われたため、今後は機能別の拠点方式とし、それぞれが強力に連携しネットワーク化することが望ましいと考えられる。

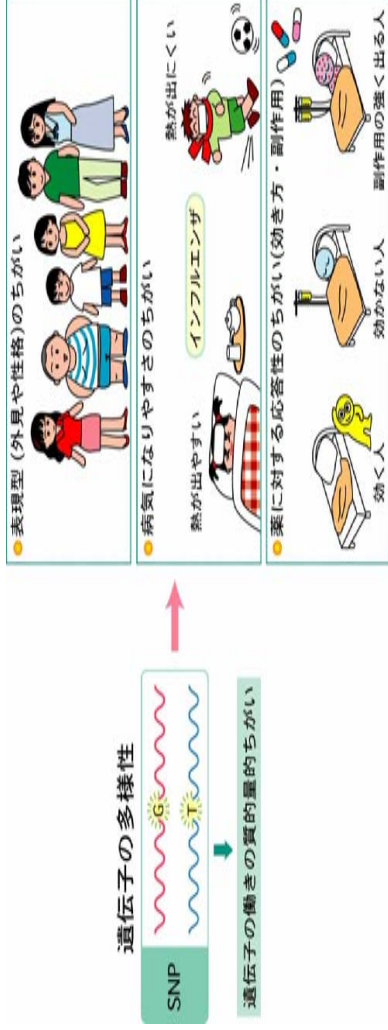


# オーダーメイド医療の実現プログラム

平成24年度予算額 : 1,560百万円  
(平成23年度予算額 : 1,560百万円)

## オーダーメイド医療とは

＜一部の遺伝子の違いが、個人の特徴に影響する＞



薬が効きやすい・効きにくいなど、医療に関する遺伝子がわかれば、それを事前に調べること  
で、個人の体質にあった治療が選択できる。

## オーダーメイド医療の実現

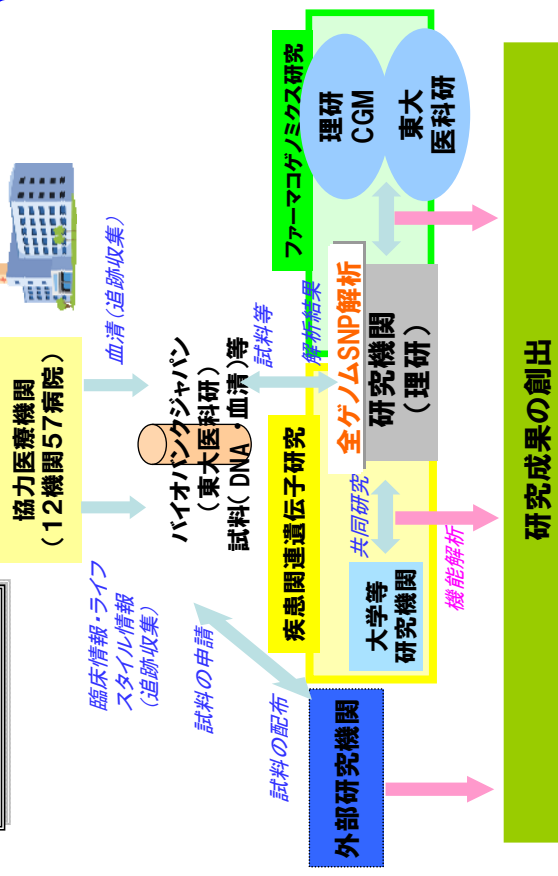
### 期待される成果

○オーダーメイド医療の実現による疾患の予防、副作用の回避、効果的な薬剤投与等により、我が国の急増する国民医療費の削減が期待される。

### 具体的取組

- 第1期プログラム（平成15～19年度）：47疾患について、全国55病院から約20万人、約30万症例の血液サンプル、DNA、臨床情報等を収集し、世界最大規模のバイオバンクを構築。
- 第2期プログラム（平成20～24年度）：
  - ・第1期で構築したバイオバンクを活用し、個人の遺伝情報に応じたオーダーメイド医療の実現に向けた取組を実施。
  - ・糖尿病などの生活習慣病、肝炎などの発症リスクに関連する遺伝子の特定や副作用の個人差に関する研究を推進

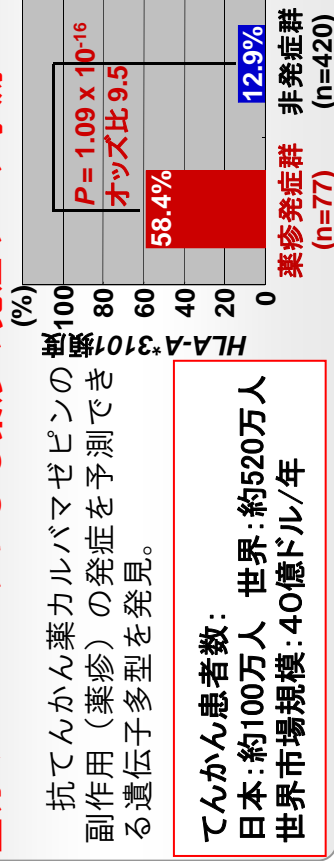
## 実施体制



がん・生活習慣病等の予防・治療の改善  
副作用の少ない効率的な治療の実現  
オーダーメイド医療の実現へ

## 波及効果と成果の例

### ■カルバマゼピンによる薬疹の発症リスク予測



てんかん患者数：  
日本：約100万人 世界：約520万人  
世界市場規模：40億ドル/年

# 事後評価票

(平成24年8月現在)

1. 課題名 オーダーメイド医療の実現プログラム (第Ⅱ期)
2. 評価結果
(1) 課題の達成状況
○プログラムの目的 本プロジェクトは、遺伝情報を基に個人個人に適合した診断・治療・予防を可能とする医療(オーダーメイド医療)の実現に向けた取組を行うことを目的としている。 具体的には ① 本プロジェクトの第1期に構築したデータおよび資源を円滑に最大限活用し、対象疾患の患者の血清、臨床情報、予後情報を継続収集するとともに、新たに生活習慣情報の収集を行い、バイオバンクの安定した維持・運営を図る。 ② 疾患関連遺伝子や薬剤応答性遺伝子の同定並びに疾患SNP解析データベースの構築により、新しい診断・治療・予防への展開を図り、オーダーメイド医療の医療現場への導入を目指す。
○課題の達成状況 研究基盤の構築(バイオバンクの安定した維持・運営)については、第1期では世界に誇れる患者試料バンクを構築した。第2期においても本プロジェクトの推進に必要な様々な体制を維持運営し、さらに追加情報として血清サンプルと臨床情報の収集を行い、追跡調査を実施した。 疾患関連遺伝子解析については、バイオバンク・ジャパンの試料等を用いて、理研ゲノムセンターにおいて効率的に実施された。その結果、各種疾患の感受性遺伝子を同定し、さらにその成果がNature Geneticsなど多くのトップジャーナルに掲載され、国内では他の追従を許さない成果を挙げている。 疾患関連遺伝子研究については、公募を採択し、選定された全国の疾患研究機関とも連携しながら、バイオバンク・ジャパンの試料の有効活用を図るために種々の研究推進を計画するなど、本プロジェクトに合致した合理的体制づくり及びバイオバンクとの連携意義を実証できた。
(2) 成果
○バイオバンクジャパンの安定した維持・運営 本研究プロジェクトの究極的な目標であるオーダーメイド医療の実現に向け、試料収集や情報収集を精力的に行い、第1期で構築したバンクを更に充実させた。 特に、予後調査検討ワーキンググループを設置し、重点32疾患の罹患者約15万人を平均4.1年間追跡した生存調査を行った結果、追跡率は94.6%にもものぼり、協力医療機関の良好な連携を維持していることは高く評価できる。また、1年以上の非来院者等約4.5万人を対象に実施した住民票調査では、新たに約1万人の死亡例を確認するなど追跡に関して高く評価できる成果を挙げている。

## ○疾患関連遺伝子解析

5万人を超えるゲノムワイドSNPタイピングを実施し、350億SNP情報の取得、新規の186個の疾患感受性遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定等、目覚ましい成果を得ている。特に、薬剤関連遺伝子解析については、「次世代がん研究戦略推進プロジェクト『がん薬物療法の個別適正化プログラム』」で実施している臨床介入研究に橋渡しされたものもあり、高く評価する。

## ○ELSI

オーダーメイド医療の実現に向けた研究をはじめとする先端医科学研究は、社会に大きく貢献するポテンシャルを有しながらも、倫理や現行法制度等と密接な関係にある中で進められている。しかしその円滑な発展を促進させ得る制度の内容や方法論については、わが国はもとより諸外国においても未確立の状況にある。このような状況下において、プロジェクト側の諮問に対して、同意撤回、同意書保管、予後調査、死亡診断書の取扱い、生存調査、遺伝子検査結果の取扱い等の難しい問題についても適切に対応している。

### (3) 今後の展望

現在、平成23年8月に閣議決定された「第4期科学技術基本計画」において、国民が心身ともに健康で、豊かさや、生きていることの充実感を享受できる社会の実現に向けて、ライフイノベーションを強力に推進することとしている。そのための重要課題の一つとして、革新的な予防法の開発が挙げられており、国民の健康状態を長期間追跡し、食などの生活習慣や生活環境の影響を調査するとともに、臨床データ、メタボローム、ゲノム配列の解析等のコホート研究を推進し、生活習慣病等の発症と進行の仕組みを解明することで、客観的根拠(エビデンス)に基づいた予防法の開発を進めることとしている。

また、平成23年6月に医療イノベーション会議がまとめた「医療イノベーション推進の基本的方針」においても、医療分野が今後の我が国の経済成長を担う新しい成長産業に育つことを目指すための4つの重点分野の一つとして、「個別化医療」があげられており、個別化医療実現への期待が寄せられている。

さらに、文部科学省では、平成23年度より「東北メディカル・メガバンク計画」を推進しており、平成24年5月に行われた東北メディカル・メガバンク計画検討会で示された提言書案では、「将来的に個別化医療等の次世代医療を実現するためには、疾患コホートによって疾患連遺伝子候補を同定し、次に住民コホートでその疾患関連遺伝子候補と環境要因の相互作用を解明するという、それぞれの特徴を活かした役割分担に基づいて両者が推進されるような我が国全体のコホート研究のグランドデザインが必要となる」と指摘されている。

本プロジェクトの「バイオバンク・ジャパン」では、約10年間に渡り収集され保管されている検体・試料は、我が国において、遺伝情報を用いた新しい「個別化医療」や「先制医療」を実現する研究の推進に必要な研究基盤として、重要な資産である。また、個別の全ゲノム解析という新時代に入り、疾患遺伝子解析は一層盛んになることが予想される。この新時代に向けて、理研ゲノムセンターが中心になって行ってきた遺伝子解析の実績は、今後も十分に活用されるものと認識される。更なるバイオバンク・ジャパンの活用に向けて、利用研究の拡充、試料配布手続の改善等について検討が期待される。

また、先に述べた「東北メディカル・メガバンク」等の住民コホートでは、5年～数10年経過しないと、対象集団の中から病気になる人が出てこないと思われる。つまり、その時期にないと、疾患関連遺伝子解析はできないこととなるが、本プロジェクトと連携して、本プロジェクトで解析された疾患関連遺伝子結果を用いることで、早期に「介入研究」や「候補遺伝子-環境相互作用の解析」が可能となる。これにより、住民コホートだけでは10年以上待たないと出てこない成果を、

早期に得ることが可能となるなどの有効性・効率性が期待される

このようなことから、本プロジェクトは、非常に重要な研究基盤であるバイオバンクを長期間維持させる仕組み、今後のゲノム解析の技術改革に適応した遺伝子解析の方向性、住民コホート研究を始めとした他のコホート研究との連携等を考慮しつつ、第3期も継続させる必要がある。