

ライフサイエンスに関する 研究開発課題の中間評価結果

令和2年9月

科学技術・学術審議会

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

(敬称略、50音順)

後藤 由季子	東京大学大学院薬学系研究科教授
○小安 重夫	理化学研究所理事
城石 俊彦	理化学研究所バイオリソース研究センター長
菅野 純夫	千葉大学未来医療教育研究機構特任教授 東京医科歯科大学難治疾患研究所非常勤講師
鈴木 蘭美	ヤンセンファーマ株式会社メディカルアフェアーズ本部長
高木 利久	富山国際大学学長
高橋 良輔	京都大学大学院医学研究科教授
谷岡 寛子	京セラ株式会社メディカル事業部薬事臨床開発部責任者
知野 恵子	ジャーナリスト
坪田 一男	慶應義塾大学医学部教授
豊島 陽子	東京大学大学院総合文化研究科教授
◎永井 良三	自治医科大学学長
中釜 斉	国立がん研究センター理事長
長野 哲雄	東京大学名誉教授
奈良 由美子	放送大学教養学部教授
西田 栄介	理化学研究所生命機能科学研究センター長
畠 賢一郎	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング 代表取締役／社長執行役員
深見 希代子	東京薬科大学生命科学部教授
宮田 敏男	東北大学大学院医学系研究科教授
山本 晴子	国立循環器病研究センター臨床研究管理部長・理事長特任補佐
山本 雅之	東北大学東北メディカル・メガバンク機構長

◎：主査 ○：主査代理

令和2年2月現在

中間評価票

(令和2年7月現在)

1. 課題名 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 (再生医療実現拠点ネットワークプログラム)
2. 研究開発計画との関係 施策目標：健康・医療・ライフサイエンスに関する課題への対応 大目標（概要）：健康・医療戦略推進本部の下、「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」に基づき、日本医療研究開発機構を中心に、世界最先端の医療や難病の克服等に向けた研究開発を着実に推進するとともに、幅広い研究活動等を促進するため、データベースや生物遺伝資源等の知的基盤を整備する。 中目標（概要）：「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」等に基づき、世界最先端の医療の実現に向けた取組を推進する。 重点的に推進すべき研究開発の取組（概要）：「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」等に基づき、iPS 細胞等を用いた革新的な再生医療・創薬をいち早く実現するための研究開発を着実に実施する。
3. 評価結果 (1) 課題の進捗状況 ○事業の概要 文部科学省は平成25年度より、京都大学 iPS 細胞研究所 (CiRA) を中核拠点とした研究機関の連携体制を構築し、厚生労働省及び経済産業省との連携の下、iPS 細胞等を用いた革新的な再生医療・創薬を世界に先駆けて臨床応用するべく研究開発を加速することを目的として、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(以下「再生NWP」という。)を推進している。 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的として「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」(平成24年度～平成28年度。以下「旧事業」という。)が開始となり、平成25年度以降は再生NWPの一つのプログラムとして位置付けられている。平成29年度からは旧事業にて構築された研究基盤及びその成果を最大限に活かし、引き続き、創薬等研究の推進及び疾患特異的 iPS 細胞の利活用を一段と促進することにより、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し、「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」(以下「本プログラム」という。)が開始された。 なお、iPS 細胞等を用いた再生医療及び難病については、「健康・医療戦略」(平成26年7月22日閣議決定、平成29年2月17日一部変更)等においても重点化すべき研究分野

として位置づけられており、平成 27 年度以降は本プログラムを含む再生 NWP は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）にて研究課題管理・支援が実施されている。本プログラムが開始され、約 3 年間に経過したことから、本中間評価（評価期間：平成 29 年度～令和元年度）を実施した。

○進捗状況評価

● 「研究拠点 I」（平成 29 年度～令和 4 年度（予定））

疾患特異的 iPS 細胞を用いた「疾患の病態解明」及び「創薬応用」（以下「iPS 創薬」という。）を目指す 6 研究課題が支援されている。なお、「iPS 創薬」に関しては、「創薬スクリーニング評価系の構築」までが「研究拠点 I」で支援されており、以降の研究フェーズであるスクリーニングによる「候補治療薬の同定」及び同治療薬を用いた「臨床試験」は、他事業（主に厚生労働省事業）又は企業で実施することになっている。本評価期間中に、各拠点では進捗状況に差はあるものの、対象疾患に対する「疾患の病態解明」を進め、国際的にも評価される成果をあげている。また、全ての拠点で「創薬スクリーニング評価系の構築」の段階にまで到達していることは、今後の臨床展開が期待される。

● 「研究拠点 II」（平成 29 年度～令和元年度）

疾患特異的 iPS 細胞を用いた「疾患の病態解明」を目指す 8 研究課題が支援されている。各拠点で、ゲノム編集やオルガノイド等の異分野の技術を融合・発展させることで、対象疾患の病態解明や疾患モデルの作製を進めてきた。そのうち 2 研究課題で、AMED で実施された評価委員会において、これまでの成果・進捗が評価され、「創薬応用」への展開が期待されることから、令和 2 年度以降も継続する方針となっている。このような国際的にも優れたいくつかの研究成果に加え、「研究拠点 II」では、「研究拠点 I」とあわせて疾患特異的 iPS 細胞株の樹立（令和元年 8 月：「研究拠点 I/II」で計 57 疾患／840 株）を行っており、疾患特異的 iPS 細胞研究の促進に貢献していることは評価できる。

● 「iPS 細胞樹立課題」（平成 29 年度～令和元年度）

疾患特異的 iPS 細胞を用いた疾患研究を進める上で比較検討に必要な対照（正常）群として、その分化細胞を用いて医薬品候補化合物等の薬効・毒性を評価するための研究ツールとして、ドナーの健康状態や細胞情報等が付随した「研究用の健常人由来 iPS 細胞」を日本人 100 例程度から樹立し、理研 BRC の研究用ヒト iPS 細胞バンクへの寄託等を実施する 1 研究課題が支援されている。本評価期間において、課題終了までに目標とする 100 例を超える健常人由来 iPS 細胞の樹立・細胞情報の整備・寄託（男性 66 例／395 株、女性 67 例／395 株で計 133 例／790 株）が達成される見込みとなっている。さらに、ヒト iPS 細胞株に適応可能な精密なゲノム編集技術の開発を進め、国内外の特許出願に至るなど、我が国の iPS 細胞研究基盤の強化に寄与したことは、評価できる。

● 「バンク活用促進課題」（平成 29 年度～令和元年度）

理研 BRC の研究用ヒト iPS 細胞バンクへ寄託された疾患特異的 iPS 細胞の品質管理や情報整備等を進めることで、より多くの研究者・企業が同細胞を利活用できる環境を整備し

ている。さらに、同バンクが保有する疾患特異的 iPS 細胞の情報公開から利用希望者への迅速な提供までを実施する 1 研究課題が支援されている。

本評価期間において目標とする「即時提供可能な同 iPS 細胞株数の増加 (300 株/3 年間)」に関して、課題終了までに達成される見込みとなっている。さらに、学会等で同バンクの周知活動を積極的に実施したことで、利用希望者へ提供した株数に関しても、課題開始前 (24 疾患/47 株) と比較して、大きく増加 (平成 29 年度～令和元年 12 月 : 173 疾患/468 株) しており、単一の機関としては世界最大規模の研究用ヒト iPS 細胞の充実・環境整備等を進めたことは、評価できる (令和元年 12 月 保管内訳 : 疾患特異的 iPS 細胞 411 疾患/3423 株、研究用の健常人由来 iPS 細胞 177 例/870 株)。

以上のことから、中間評価時点における、目標の達成に向けた本プログラム全体の進捗状況は適正と評価できる。

(2) 各観点の再評価

<必要性>

評価項目

科学的・技術的意義、社会的・経済的意義、国費を用いた研究開発としての意義

評価基準

- 独創性、革新性、先導性、発展性等を有した研究開発を実施しているか。
- 倫理面にも配慮しつつ、社会への還元に向けた研究開発を実施するための取組を進め、疾患特異的 iPS 細胞を用いた研究と社会の調和を図ることができたか。
- 疾患特異的 iPS 細胞を用いた研究に関する国際動向を把握しつつ、本研究分野の国際競争力を高めていくことができたか。

本評価期間における「研究拠点 I/II」の成果は、「疾患の病態解明」に関するものが中心となっているが、ゲノム編集やオルガノイド技術等の研究手法が多く活用され、「iPS 創薬」だけでなく、「再生医療」等の他の研究領域への貢献や波及効果も大きい。「iPS 創薬」実現の観点からは、旧事業で創出された 4 つの研究成果が、事業終了後にそれぞれ医師主導治験の開始に至ったことを鑑みると、本プログラムの成果が臨床展開されるには一定の時間を要すると考えられる。一方で、「研究拠点 I」の全ての拠点が既に「創薬スクリーニング評価系の構築」の段階に到達しており、発展性を有しているといえる。スクリーニングにより同定された複数の治療候補薬の中で既存薬を用いるドラッグ・リポジショニング戦略や、疾患動物モデルが未確立の場合でも臨床試験につながる可能性を有する「iPS 創薬」の開発戦略は、難病等に対する新規治療薬の開発コストや時間の短縮にも大きく貢献することが期待され、医療経済的な観点から重要といえる。

また、本プログラムの取組により、理研 BRC の研究用ヒト iPS 細胞バンクで保管する健常人由来及び疾患特異的 iPS 細胞が拡充・整備され、我が国の iPS 細胞の利活用促進につながっている。今後は iPS 細胞研究基盤として、利用者のニーズに迅速且つ最適に対応することで、より多くの企業の参入を図り産業化を加速させることが求められる。

本プログラムの研究者及び AMED 事務局が、毎年度国際学会等に参加・発表することで、

「iPS 創薬」を含む iPS 細胞研究分野における我が国の国際競争力の向上に寄与している。関連して、2019 年(令和元年)に開催された国際幹細胞学会 (ISSCR) では、AMED 事務局が取りまとめ、本プログラムを含む再生 NWP 事業を紹介するセッションを開催するなど、我が国の国際的なプレゼンスも高まりつつある。

AMED 事務局だけでなく、本プログラムのいくつかの研究課題においても、アウトリーチ活動を積極的に実施しており、一般市民・患者の「iPS 創薬」に対する理解を深めたことは重要な取組といえる。また、ドナー患者やその家族の同意を前提に、研究者や企業の負担・制限が極力無く、疾患特異的 iPS 細胞が研究に利活用されることは、本プログラムの成果が社会に還元される上で必須である。そのため、本評価期間において、再生 NWP の「課題 D」(※)の協力も得て AMED 事務局が中心となり、利用者のニーズを踏まえつつ適時、ドナー患者からの検体採取時に使用するインフォームド・コンセント (IC) の雛形を改定・更新することで、本プログラム全体の研究促進に寄与している。また、成人だけでなく、幼児を含めた児童も対象としたドナー患者を対象とした、わかりやすいパンフレットを作成・HP で一般公開をすることにより、多くの患者及び一般社会の本プログラム全体に対する理解・受容を高めたことは評価できる。

以上のことから、本プログラムの中間評価時点では今後の発展性が期待される成果が中心となっており、必要性の観点からは概ね妥当であったと評価できる。

(※) 再生 NWP の他プログラムである「再生医療の実現化ハイウェイ」の研究課題の一つであり、再生医療分野の研究開発における倫理面等の課題に対して調査・支援等を実施。

<有効性>

評価項目

研究開発の質の向上への貢献、知的基盤整備への貢献、研究の裾野拡大・人材育成

評価基準

- 疾患特異的 iPS 細胞等を用いた創薬 (以下、「iPS 創薬」という。) に関して、世界に先駆けて臨床応用するべく研究開発が加速されているか。
- 疾患特異的 iPS 細胞に関する、新たな研究開発や若手研究者をはじめとした次世代の人材育成を進めることができたか。
- 学会発表、論文発表、知財取得、iPS 細胞研究に係る技術の移転等を進め、社会及び他の研究者への還元が図られたか。

本プログラムの「研究拠点 I/II」で実施する各研究開発に加えて、難病や稀少疾患の研究者と、本プログラムの研究者のように iPS 細胞研究に精通している研究者を仲介する試みが、令和元年度調整費により本プログラムで一時的に実施された結果、5 件の共同研究に発展しており、「iPS 創薬」研究の裾野拡大に向けた効果的で有効な取組がなされたことは評価できる。

本評価期間において、理研 BRC の研究用ヒト iPS 細胞バンクで保管する疾患特異的 iPS 細胞の即時提供株が充実したため、提供されるまでに要する 3 か月以上の待機が不要となり、利便性が大きく向上した。加えて、同バンクの周知活動等により提供数の増加や認知

度も向上しつつあり、真に利活用される有効な研究基盤として「iPS 創薬」研究を更に促進している。

AMED 事務局がとりまとめ、毎年度実施されている「再生医療」及び「iPS 創薬」に関係する幅広い研究者が一堂に会し、研究者間・事業間での意見交換や連携・融合等を図る研究交流会は、本プログラム全体の効果的な研究開発等につながっており、その有効性は評価できる。また、多くの「研究拠点 I/II」においては、若手・中堅研究者の技術面及びキャリア面の両方の育成に取り組んでいる。さらに、一部の拠点では、若手・中堅研究者自身が再生 NWP の他プログラムの研究課題を主導する「研究代表者」としても活躍しており、本プログラムとの相乗効果が生まれ、「再生医療」の研究開発への波及効果も期待される。

本評価期間において、本プログラム全体で国内外での数多くの学会発表、10 報以上の主要科学誌への論文掲載、培養・分化技術や遺伝子改変技術等に関する特許出願といった学術的成果を積み重ねつつ、iPS 細胞の作製・培養の実技講習等を含む技術移転も進めることで、社会及び iPS 細胞研究の経験が乏しい研究者・研究機関へ広く還元しており、その有効性は評価できる。

以上のことから、本プログラムの有効性は高かったと評価できる。

<効率性>

評価項目

計画・実施体制等の妥当性、目標・達成管理の向上方策の妥当性

評価基準

- プログラムディレクター (PD)・プログラムスーパーバイザー (PS)・プログラムオフィサー (PO) の取組状況及び AMED 事務局の対応状況については効率的・効果的であったか。
- 各研究課題の計画の見直し等の際し、PD・PS・PO や外部有識者等による適切な手順に基づいた評価を踏まえて、実施できていたか。
- 他事業・課題との連携を促進し、「iPS 創薬」の臨床展開を目指す効率的な体制を構築することができたか。

再生医療分野における基礎から臨床段階までの切れ目ない支援を実現するため、AMED 事務局において三省庁（文部科学省/厚生労働省/経済産業省）の事業を統括する PD の下で、本プログラムにおいては、再生 NWP の他プログラムとの課題間連携に加え、厚生労働省事業等との事業間連携も推進された。PD が三省事業の各評価委員会等にオブザーバーとして出席し、PD・PS・PO 会議において情報の共有を図るなどによって、本プログラムを効率的・効果的に運営していることは評価できる。さらに、PS が本プログラムの研究成果を導出する AMED 事業の一つである「難病克服プロジェクト」の PD を兼務しており、効率的・効果的に進捗情報等が共有されたことにより、適切な課題管理や方針決定につながっている。

AMED 事務局においては、各研究課題の進捗状況の把握及び支援継続の可否、適切な予算配分の見直し、研究開発計画変更の可否などのため、適時評価を実施した。さらに、外部有識者や PD・PS・PO からの積極的な指導、助言、情報提供を反映させることで、本プログ

ラムの進捗管理は AMED 事務局により適切に行われており、効率的な運営が実施されていたと評価できる。

AMED 事務局がとりまとめ、疾患特異的 iPS 細胞の更なる利活用促進を目指し、「バンク活用促進課題」や再生 NWP における研究支援担当課題等が参加し、研究用ヒト iPS 細胞バンクの在り方を検討するための会議を実施した。また、製薬企業・ベンチャー企業が参加する意見交換会を開催し、企業が求める研究用ヒト iPS 細胞バンクや「iPS 創薬」研究の支援の在り方についての検討を進めたことは評価できる。引き続き、利用希望者の多様なニーズを踏まえた、研究用ヒト iPS 細胞バンクの柔軟な運用・運営を進めていくことが肝要である。

さらに、AMED 事務局において研究課題管理だけでなく、研究交流会や一般向けのシンポジウム等を毎年開催しており、「iPS 創薬」に関する正確な情報を科学コミュニティ及び社会へ普及・啓蒙活動を適切に行ったと評価できる。

以上のことから、本プログラムの効率性は高かったと評価できる。

(3) 科学技術基本計画等への貢献状況

「健康・医療戦略」（平成 26 年 7 月 22 日 閣議決定、平成 29 年 2 月 17 日 一部変更）に即して策定された「医療分野研究開発推進計画」の 2020 年までの成果目標（KPI）のうち、「iPS 細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用（臨床研究又は治験の開始）」は旧事業の成果が進捗・発展したことで、既に達成されている。本プログラムでも、疾患特異的 iPS 細胞を用いた新規治療候補薬の同定に向けた研究開発が順調に進んでおり、今後の臨床応用が期待される。また、理研 BRC の研究用ヒト iPS 細胞バンクは単一の機関としては世界最大規模のバンクとして、iPS 細胞研究基盤の強化に大きく寄与している。このような本プログラムの成果は、「科学技術基本計画」（平成 28 年 1 月 22 日 閣議決定）の「世界最先端の医療技術の実現による健康長寿社会の形成（※）」を引き続き進めていく上で、大きく貢献するものと考えられる。

※参照：第 3 章（1）の②の i）

(4) 今後の研究開発の方向性

本課題は「継続」、「中止」、「方向転換」する（いずれかに丸をつける）。

理由：

事業開始後 3 年目時点での評価としては、疾患特異的 iPS 細胞の利活用を促進し「iPS 創薬」研究を加速することを目的とする本プログラム全体の今後の研究開発については、上記で示したとおり、その進捗状況、「必要性」、「有効性」、「効率性」の観点で一定の評価に値するといえることを踏まえ、引き続き、我が国の「iPS 創薬」研究を臨床展開し多くの患者に還元すべく、本プログラムへの支援を継続する方向性は妥当である。

一方で、研究開発の推進にあたり、以下の点について留意が必要である。

○ 旧事業と同様に、本プログラムでは難病や稀少疾患が中心ではあるものの、対象疾患数

が増加し、iPS 細胞に係る研究手法が以前と比して確立されつつあることから、より多様で深化した研究開発が実施されている。加えて、単一遺伝子疾患患者由来の疾患特異的 iPS 細胞の解析結果及び同定された候補治療薬の、同じ表現型を呈する疾患・疾患群への展開（” From Rare to Common”）、ゲノム編集により変異を修復した疾患特異的 iPS 細胞由来分化細胞の in vitro 下での解析結果に基づく遺伝子治療の開発、多因子疾患や健常人由来の iPS 細胞を用いた疾患発症のリスク予測や層別化といった、新しい研究戦略は今後有用であると考えられる。このような iPS 細胞の創薬への応用の可能性を最大限に引き出すためには、異分野の先端技術や研究者とも連携・融合し、新しい知見や技術、人材、ネットワーク等を柔軟且つ迅速に本プログラムへ取り入れることが重要である。これを実現するため、多様な機関や専門分野に対する支援の充実を検討すること。

○ 簡便で普遍的な目的細胞への分化誘導技術の開発・普及、細胞形態ではなく分子レベルのマーカーを利用した高度な創薬スクリーニング系の構築、より均一な細胞集団といえる高品質なナイーブ型ヒト iPS 細胞株の樹立などを目指す基礎研究は、今後の疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進のために必須であることから、本プログラムを含めた再生 NWP 全体で推進するよう検討すること。また、本プログラムの成果については、もとより低分子創薬のみを想定したものではないが、技術の進展に合わせ、今後はより多様なモダリティへの応用が考えられることを念頭において、プログラムの進捗管理を行うよう検討すること。

○ 旧事業及び本プログラムで培われてきた、ゲノム編集やオルガノイド、発生工学に基づいた分化誘導技術等の「iPS 創薬」に係る高度な研究手法を、若手を含む他分野の研究者・研究機関に広く展開し、我が国の科学技術・研究開発の底上げに貢献できるよう検討すること。

○ 旧事業及び本プログラムの成果として、理研 BRC の研究用ヒト iPS 細胞バンクでは 300 疾患/3000 株を超える疾患特異的 iPS 細胞が保管されるに至った。同 iPS 細胞を有効に活用し「iPS 創薬」の臨床展開・産業化を加速させることが求められていることから、今後はアカデミアだけでなく企業との密な連携及びニーズ等の情報共有を進める戦略が重要である。加えて、より多くの研究者が研究用ヒト iPS 細胞バンクを活用できるよう、細胞に付随する情報の整理・整備やバンク運営の効率化を一層図りつつ、研究者コミュニティ等に対する更なる周知や、研究の進展や利用者のニーズに合わせた利活用促進の取組を検討すること。

○ 健常人由来ヒト iPS 細胞や、疾患特異的 iPS 細胞の利活用に関して、基礎的知見や関連人材の育成を含めた基盤整備を進めることは、iPS 細胞から分化誘導した目的細胞を用いて、再現性が担保された薬物の安全性評価を行う等、レギュラトリーサイエンスの観点からも重要な知見の蓄積に繋がる。厚生労働省事業とも連携しつつ、本プログラムを含む再生 NWP 全体で「iPS 創薬」に寄与できるよう検討すること。他事業への導出や連携にあたっては、引き続き PDPSP0 の配置に工夫を行う等現行の取組を継続するとともに、それに留まらず関係省庁間や AMED 内の連携をより一層密にすることが期待される。

(5) その他

³原則として、事前評価を行った課題の単位で実施することとし、事前評価の単位と異なる場合は、課題との関係性について本欄中に明瞭に記載すること。

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（実施期間：平成29年度～令和4年度）

研究開発概要・目的

【目的】

- 疾患特異的iPS細胞を用いて、**難病等の病態解明、創薬等の研究を加速し**、治療法を創出。
- 疾患特異的iPS細胞を用いた研究に必要な**技術の普及**。
- **iPS細胞バンクの充実**や、より多くの研究者・企業がiPS細胞を利活用できる環境の整備。

研究拠点 I（6課題）、研究拠点 II（8課題）

- 疾患特異的iPS細胞の樹立・維持・分化誘導技術や病態解析技術の高度化・効率化
- 疾患特異的iPS細胞を用いた疾患メカニズムの解明
- 表現型解析や疾患モデル作成
- 裾野を拡大するために必要な支援の提供
- スクリーニング系構築（研究拠点 I）

細胞寄託

iPS細胞樹立



京都大学iPS細胞研究所



iPS細胞バンクの利活用促進



理化学研究所BRC

- 利活用促進のための情報公開から分譲までのスムーズな運営
- 健常人iPS細胞の充実 等

連携、成果の導出

厚労省事業

再生医療実用化研究事業
難治性疾患実用化研究事業 など

企業
その他支援プログラム など

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（実施期間：平成29年度～令和4年度）

課題実施期間及び評価時期

- 実施期間：平成29年度から令和4年度
- 中間評価：**令和元年度に実施**
本中間評価（評価期間：H29-R1年度）
- 事後評価：令和4年度を予定

研究開発の必要性等 事前評価概要（平成28年度 実施）

○ 第1期プログラム（平成24年度～28年度）実施事業「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」にて構築された研究基盤及びその成果を基に、iPS細胞の利活用を一段と促進することにより、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、治療法の開発等をさらに加速させると共に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す。

（必要性）

- 基礎研究の成果を速やかに社会に還元するため、疾患特異的iPS細胞を活用して難病等の克服を目指した研究開発を進める必要がある。
- 健康・医療分野に関する国民の期待は高く、本プログラムをさらに強化・発展させる必要がある。
- 平成27年8月にとりまとめられた「今後の幹細胞・再生医学研究の在り方」について、改訂版において、引き続き厚生労働省等とも連携して、疾患特異的iPS細胞の樹立を行い、これらを用いた疾患発症機構の解明、創薬研究や先制医療、治療法の開発を行う取組をより強化する必要があるとされている。
- 同報告書において、疾患特異的iPS細胞バンクについては、バンクとしての機能を質・量ともに拡充する取組の強化が必要であると指摘されている。

（有効性）

- 第1期プログラムにおいて構築された研究基盤やそこで樹立されたiPS細胞を用いて、疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等をさらに加速させるとともに寄託されたiPS細胞の利活用を促進することは、難病に対する治療方法や予防法の開発に資すると期待される。
- 開発候補品等の本プログラムの成果を、「難治性疾患薬用化研究事業1等」に導出し、実用化に向けた研究開発を推進する体制を構築することで、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。
- iPS細胞バンクの充実等により利活用促進の取組に加え、これまでiPS細胞を使うことが困難であった研究者にも、疾患特異的iPS細胞研究の視野を広げたいくことで、難病に限らず希少疾患から他の疾患への応用も期待され、創薬研究の推進に有効と考えられる。

（効率性）

- AMEDにおいて、アカデミア創薬拠点の活用、また厚生労働省、経済産業省や企業、アカデミア、創薬支援に係わる他の事業との間で情報共有、連携を図られるよう取組むことで一層効率的に創薬に向けた開発を推進することが可能となる。
- AMEDにおいて、ネットワークプログラムとして実施することで、各種の規制や海外動向に関する情報を共有することや、他のサブプログラムの研究課題と必要な技術的協力を行うことが期待でき、効率的な事業の展開が可能となる。

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（実施期間：平成29年度～令和4年度）

○ 予算の変遷（単位：百万円）

	平成29年度	平成30年度	令和元年度	総額
（参考）再生医療実現拠点ネットワークプログラム全体予算	8,993	8,993	9,066	27,052
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予算	1,050	1,050	1,050	3,150
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調整費			15	15

○ 課題実施体制

PD・PS・PO（H29～R1年度）

PD※ 齋藤 英彦	国立病院機構 名古屋医療センター 名誉院長	PS 葛原 茂樹	鈴鹿医科大学大学院 医療科学研究科長／教授
		PO 吉松 賢太郎	日本薬学会 常任理事 (株) 澤研究所 代表取締役社長

（所属はR1年度時）

※ 文部科学省事業の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」を含む）及び厚生労働省、経済産業省の3つの事業を統合的に連携し、一体的な運用を図る。

課題実施機関（H29年度開始）

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

研究開発課題名	代表機関	代表研究者	分担機関	支援期間
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す研究	慶應義塾大学	回野 宋之	順天堂大学、東北大学	H29-R4
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	齋藤 潤	東京大学、筑波大学、防衛医科大学校	H29-R4
筋疾患に対する治療薬の創出を目指す研究	京都大学	櫻井 英哉	国立精神・神経医療センター、名古屋大学、順天堂大学、大阪大学、東京医科大学	H29-R4
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	戸田 洋也	理化学研究所、大阪大学、兵庫医科大学、慶應義塾大学、滋賀県立小児保健医療センター	H29-R4
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	-	H29-R4
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証	大阪大学	宮川 繁	理化学研究所、大日本印刷株式会社、京都大学	H29-R4
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	北島 謙司	京都大学、愛知県心身障害者ユニバーシティ研究センター	H29-R1
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	国立成育医療センター、東京女子医科大学	H29-R1
疾患モデル高度化による規以下部、下垂体難病研究	名古屋大学	須賀 英隆	藤田医科大学、群馬大学、山口大学、東京工業大学	H29-R1
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す研究	神戸大学	高橋 裕	慶應義塾大学	H29-R1
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	京都大学	H29-R1
小児てんかん性脳症の革新的治療を見据えた病態解明	福岡大学	鹿瀬 伸一	京都府立医科大学、慶應義塾大学、東京慈恵会医科大学、東京女子医科大学	H29-R1
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明と治療応用	京都大学	山下 潤	滋賀医科大学	H29-R1
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	榎手 幸太郎	東京大学	H29-R1
【iPS細胞創設課題】 日本人健康人集団由来iPS細胞株の構築	京都大学	山中 伸弥	-	H29-R1
【iPS細胞創設課題】 疾患特異的iPS細胞バンク事業	理化学研究所	中村 幸夫	-	H29-R1

(参考1)

元 文 科 振 第 4 1 0 号
令 和 2 年 1 月 2 3 日
文 部 科 学 省 研 究 振 興 局

令和元年度 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」中間評価委員会設置要綱

1. 設置の目的

平成 29 年度より事業を開始した、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」(以下「本プログラム」という。)の実施状況や今後の方向性等を評価するため、令和元年度 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」中間評価委員会(以下「委員会」という。)を設置する。

2. 検討事項

本プログラムの評価に関すること

3. 委員の任命

- (1) 委員は、有識者から文部科学省研究振興局長が任命する。
- (2) 委員の任期は、委嘱した日から令和 3 年 3 月末日までとする。

4. 委員会の運営

- (1) 委員会に主査を置き、委員会に属する委員のうちから文部科学省研究振興局長が指名する者が、これに当たる。
- (2) 主査は、委員会の事務を掌理する。
- (3) 主査は、委員会の会議を召集する。
- (4) 主査は、委員会の会議の議長となり、議事を整理する。
- (5) 主査は、必要に応じて当該委員会の委員のうちから副主査を指名することができる。副主査は、主査に事故等があるときは、その職務を代理する。
- (6) 委員会は、委員の過半数が出席しなければ開会することができない。
- (7) 主査が必要と認めるときは、委員は、テレビ会議システムを利用して会議に出席することができる。

5. 設置期間

委員会の設置が決定された日から令和 3 年 3 月末日までとする。

6. 情報公開

委員会は個別利害に直結する事項に関わる検討を行うため、会議及び議事については非公開とする。ただし、個別利害に直結する事項を除き、委員会の資料及び議事録を適切な方法で公開することができる。

7. 守秘義務

委員は、本委員会において知り得た情報について他に漏らしてはならない。

8. 庶務

委員会の庶務は、文部科学省研究振興局ライフサイエンス課において処理する。

9. 雑則

この要綱に定めるもののほか、委員会の議事の手続きその他委員会の運営に関し必要な事項は、主査が委員会に諮って定める。

令和元年度 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」
中間評価委員会 委員名簿

大倉 華雪	藤田医科大学 研究支援推進本部 国際再生医療センター 教授
◎小澤 敬也	自治医科大学 免疫遺伝子細胞治療学 名誉教授、客員教授
高坂 新一	国立精神・神経医療研究センター神経研究所 名誉所長
関野 祐子	東京大学大学院薬学系研究課 ヒト細胞創薬学寄附講座 特任教授
万代 道子	理化学研究所 生命機能科学研究センター 網膜再生医療研究開発プロジェクト 副プロジェクトリーダー
吉見 英治	アステラス製薬株式会社 研究本部 Virtual Venture Unit Head

以上6名（敬称略、50音順）

◎：主査

(参考3)

令和元年度 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」

中間評価の主なスケジュール

2月10日(月) 13:00~15:00 (2時間)

中間評価委員会

- ・評価の観点や評価方法等の審議・確定
- ・文部科学省及びAMEDへのヒアリング
- ・「中間評価票(素案)」を審議・「中間評価票(案)」の策定