



再生医療実現拠点ネットワークプログラム 事後評価結果（案）（概要）

文部科学省研究振興局ライフサイエンス課

- 「文部科学省における研究及び開発に関する評価指針」(平成29年4月最終改定 文部科学大臣決定)を踏まえて、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム事後評価委員会」において評価を実施。
- 今後、科学技術・学術審議会研究計画・評価分科会において決定。
- 以下の5段階で、プロジェクトの進捗状況、必要性、有効性、効率性の各観点から評価するとともに、総合的に評価を行う。
 - 5：大変優れている。
 - 4：優れている。
 - 3：妥当である。
 - 2：十分であるとは言えない。
 - 1：不十分である。

再生医療実現拠点ネットワークプログラム事後評価委員会 委員

岩崎 甫	山梨大学融合研究臨床応用推進センター センター長
関野 祐子	東京大学大学院薬学系研究科 特任教授
谷 憲三郎	東京大学定量生命科学研究所 特任教授
中神 啓徳	大阪大学大学院医学系研究科 健康発達医学寄附講座 教授
中西 淳	株式会社ケイファーマ サイエントフィックアドバイザー
松岡 厚子	ふくしま医療機器開発支援センター信頼性保証部 部長
宮園 浩平	東京大学大学院医学系研究科分子病理学 教授
森尾 友宏	東京医科歯科大学大学院発生発達病態学分野 教授
吉見 英治	アステラス製薬株式会社 ジーンセラピーリサーチ&テクニカルオペレーションズ イノベーション&テクノロジーユニット ユニットヘッド

進捗状況：優れている

- 全体としては比較的順調に進捗した。
- 堅牢性の高い臨床データの創出が必須。
- iPS細胞中核拠点においては、我が国全体のiPS細胞研究を牽引し、初期化や分化誘導法等において優れた成果を継続して発表するなど大きな成果を得た。
- 規制及び倫理の研究者による支援は、各研究開発の順調な進捗の一助になっており、今後もこのような取組が重要であるとともに、それを担う若手研究者の育成は急務。
- 疾患特異的iPS細胞研究ではこれまで低分子が主体であったが、今後は最適なモデルを選択することが重要。

必要性：優れている

- 各課題による成果は、科学的・技術的意義及び社会的・経済的意義を有している。
- 「患者さんが臨床でその恩恵に預かることができる」までには、まだ、いくつかのステップが必要。
- 幹細胞を用いた細胞治療は、未だ明確な臨床的な有効性を示す段階には至っておらず、メカニズムの解明も含めて、全体として支援継続の必要性が高い。なお、支援すべき課題をしっかりと見極めることが必要。
- 遺伝子治療研究については諸外国に比して大きな差があり、今後は研究段階にとどまらず実用化を推進する社会的な環境作りにも注力することが必要。
- ES細胞がiPS細胞と比べ重層的に事業が展開されなかったことは課題。体性幹細胞では引き続き基礎研究やブレークスルーに至る可能性のある研究の支援が必要。
- ヒトiPS細胞バンクでは臨床情報の不足や株数の少なさは課題。

有効性：優れている

- 国際共同研究、若手研究者育成、異分野との融合等が効率的に行われ、再生医療分野に大きなインパクトを与えた。
- 真の実用化のためには産業界との確固とした連携・協力体制の構築が必要であり、牽引役となる成功事例を示すことが望まれる。さらに、これからますます、基礎研究と着実なデータ収集が必要になる。
- 若手研究者育成支援は継続的課題。より基礎科学寄りの科学者やデータサイエンティスト等の参入が望まれる。

効率性：妥当である

- PDが厚生労働省や経済産業省主導の実用化・産業化に関する事業も併せて統括し、情報収集や事業内・事業間連携を行う体制を作ったことを評価。
- AMED事務局の人的強化等は今後の課題。
- 異分野からの参入者との効率的な連携を図るためには、更なる工夫が必要である。
- 中間評価や事後評価において、評価基準を厳格に適用し、中止又は計画縮小をして有望な課題への支援をより厚くするような方策も必要。
- 革新的な医療技術を創出する可能性がある挑戦的な課題は、想定外の全く新しい成果が創出されることもあるため、基礎的な研究を着実に実施するとともに、このような課題の進捗において明らかになった問題点を抽出し、情報を共有することが重要。

総合評価：優れている

今後の展望

- 次世代の画期的な発見・技術開発や、臨床で見出された知見のリバーストランスレショナルリサーチ、実用化に向けた課題を解決するための新技術・手法・周辺技術を積極的に支援し、基礎的理解を深め、科学的な裏付けの下での臨床応用が重要。
- 若手研究者の育成支援の継続、異分野の研究者の積極的な参入や確固とした産業界との連携、関係省庁間の更なる連携により、基礎研究から社会実装への切れ目ない支援が必要。
- 引き続き中核的な拠点を設け、初期化や分化誘導に関する研究や高品質なiPS細胞の樹立も含めた本領域の基礎研究の更なる推進、分野間・分野内の連携、外部機関や企業との連携、若手研究者の育成、社会への成果発信などに中心的な役割を果たすことを期待。
- 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解析・創薬研究について、低分子化合物に限らずモダリティの多様性を志向した事業の展開が必要。
- ヒトiPS細胞バンクは、治療薬開発のスクリーニングの系として今後も重要な役割を果たすことが確実。疾患のレパートリーや1疾患あたりの症例数を拡充するとともに、十分な臨床データ等を備えたバンキング事業とすべく、一層の充実・強化がなされるべき。
- 規制・倫理領域の若手研究者の育成が急務。社会からの適正な理解と支援には生命倫理を考慮したプロジェクトの構築や適切な情報提供を行い、社会との共創の場を築くことに留意すべき。
- 遺伝子治療について、再生・細胞医療研究と互いに連携して研究開発を進め、若手研究者の育成や疾患治療に向けた多面的な取組、遺伝子治療薬のプラットフォームを有する企業との産学連携の推進を期待。