

研究開発課題の事後評価結果（案）

令和4年〇月

ライフサイエンス委員会

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（第11期）委員名簿

（敬称略、50音順）

有田 正規	国立遺伝学研究所教授
岡田 随象	大阪大学大学院医学系研究科遺伝統計学教授
加藤 忠史	順天堂大学精神医学教授
金倉 譲	一般社団法人住友病院院長
金田 安史	大阪大学理事・副学長
鎌谷 洋一郎	東京大学大学院新領域創成科学研究科教授
上村 みどり	帝人ファーマ株式会社生物医学総合研究所 上席研究員
木下 賢吾	東北大学大学院情報科学研究科教授 東北大学東北メディカル・メガバンク機構副機構長
熊ノ郷 淳	大阪大学大学院医学系研究科呼吸器・免疫アレルギー内科学教授
倉根 一郎	国立感染症研究所名誉所員
※ 古関 明彦	理化学研究所 生命医科学研究センター副センター長
後藤 由季子	東京大学大学院薬学系研究科教授
鹿野 真弓	東京理科大学薬学部薬学科教授
鈴木 蘭美	フェアリングファーマ株式会社取締役 CEO
※ 武部 貴則	東京医科歯科大学医学部統合研究機構教授
谷岡 寛子	一般社団法人日本医療機器産業連合会臨床評価委員会委員長、 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
辻 篤子	中部大学特任教授
豊島 陽子	東京大学大学院総合文化研究科特任研究員
中釜 斉	国立がん研究センター理事長
※ 中村 幸夫	理化学研究所バイオリソース研究センター細胞材料開発室室長
○ 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
◎ 宮園 浩平	東京大学大学院医学系研究科教授
宮田 敏男	東北大学大学院医学系研究科教授
山本 晴子	医薬品医療機器総合機構医務管理監 理事長特任補佐

◎：主査 ○：主査代理

※は利害関係者のため審議には加わらない

令和3年5月現在

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

課題実施期間及び評価実施時期

- 実施期間：平成25年度から令和4年度
- 中間評価：平成28年度に実施、令和元年度に実施
- 事後評価：**令和4年度に実施** **本事後評価**

目的

【公募要項】

- 「iPS細胞研究中核拠点」では臨床応用を見据えた安全性・標準化に関する研究、再生医療用iPS細胞ストックの構築を実施し、「疾患・組織別実用化研究拠点」では疾患・組織別に責任を持って再生医療の実現を目指す研究体制を構築します。
- また、上記の拠点と連携して、我が国のiPS細胞関連産業の育成も目的として、iPS細胞等の臨床応用の幅を広げる技術開発、より高度な再生医療を目指した技術開発、iPS細胞等の産業応用を目指した技術開発を実施します。（「技術開発個別課題」）
- 再生医療の実現化を加速するため、iPS細胞等幹細胞を用いた研究開発について、厚生労働省との協働により、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研究開発を実施する「再生医療の実現化/ハイウェイ」を実施いたします。
- 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」においては、国際的競争力の高い優れた研究成果が期待できる、革新的・独創的な発想に基づく研究を重視します。また、幹細胞・再生医学分野におけるイノベーション創出に資する異分野連携・国際性を有する研究も重視します。さらに、研究の継続的な発展には、人材の育成が必要であることから、特に若手研究者に対する支援を行います。
- 文部科学省、厚生労働省は、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指す「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」を協働で実施します。これらの成果を最大限に活用し、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ともにiPS細胞の利活用を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ます。（「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」）

研究開発の必要性等

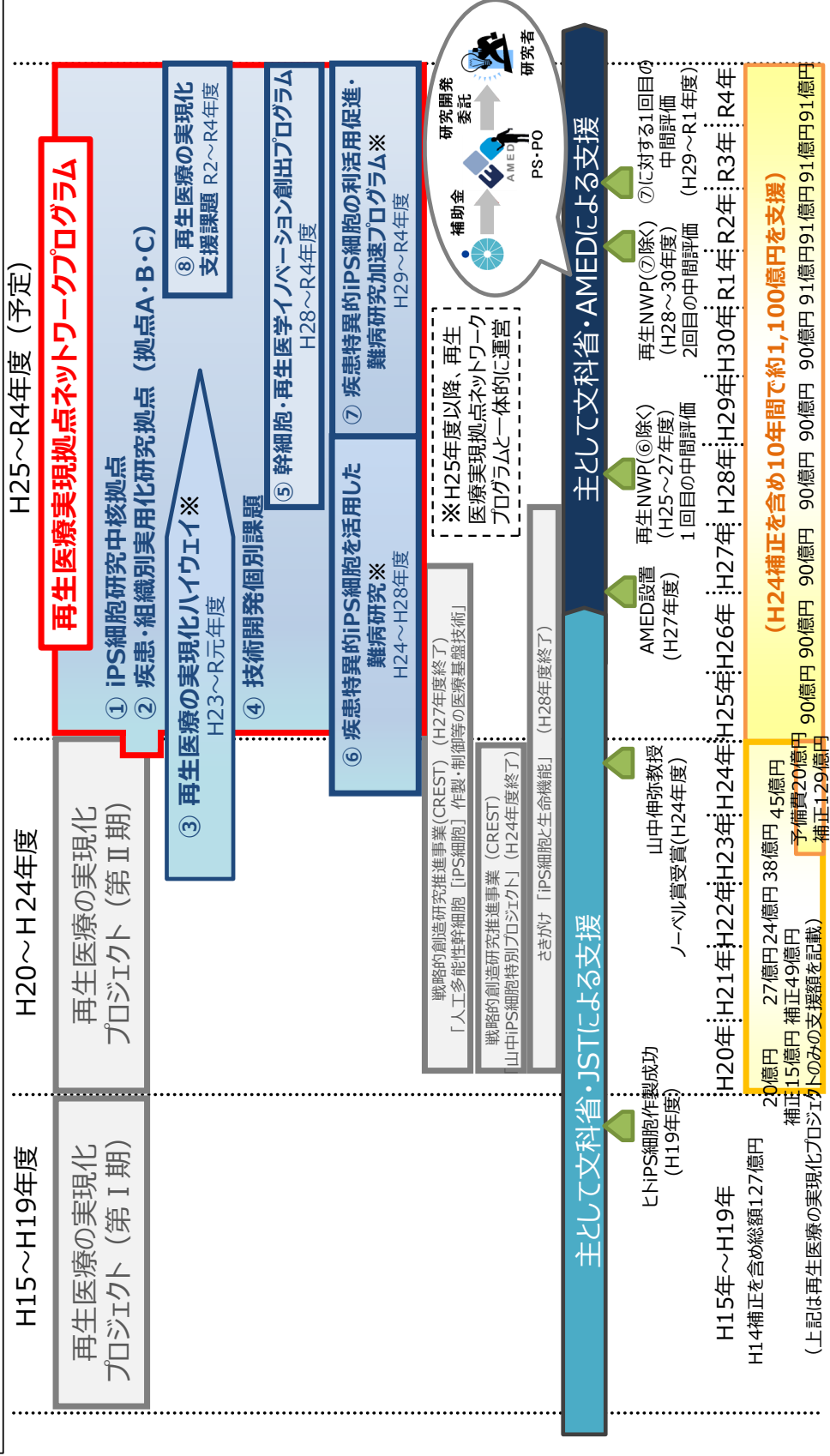
【事前評価（H24年8月 研究計画・評価分科会）】

- iPS 細胞研究は日本発の画期的成果である。その世界的な競争力を生かし、難病・生活習慣病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再生医療を実現化するために、本プロジェクトを推進する必要がある。再生医療の恩恵を国民に還元するためにも、これまでの研究成果を踏まえた更なる研究・開発を加速することが必要である。
- また、幹細胞・再生医学研究の実施体制を機能的なものにするために、それぞれの拠点が連携してネットワーク化することが望ましいと考えられる。

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

研究開発概要・変遷

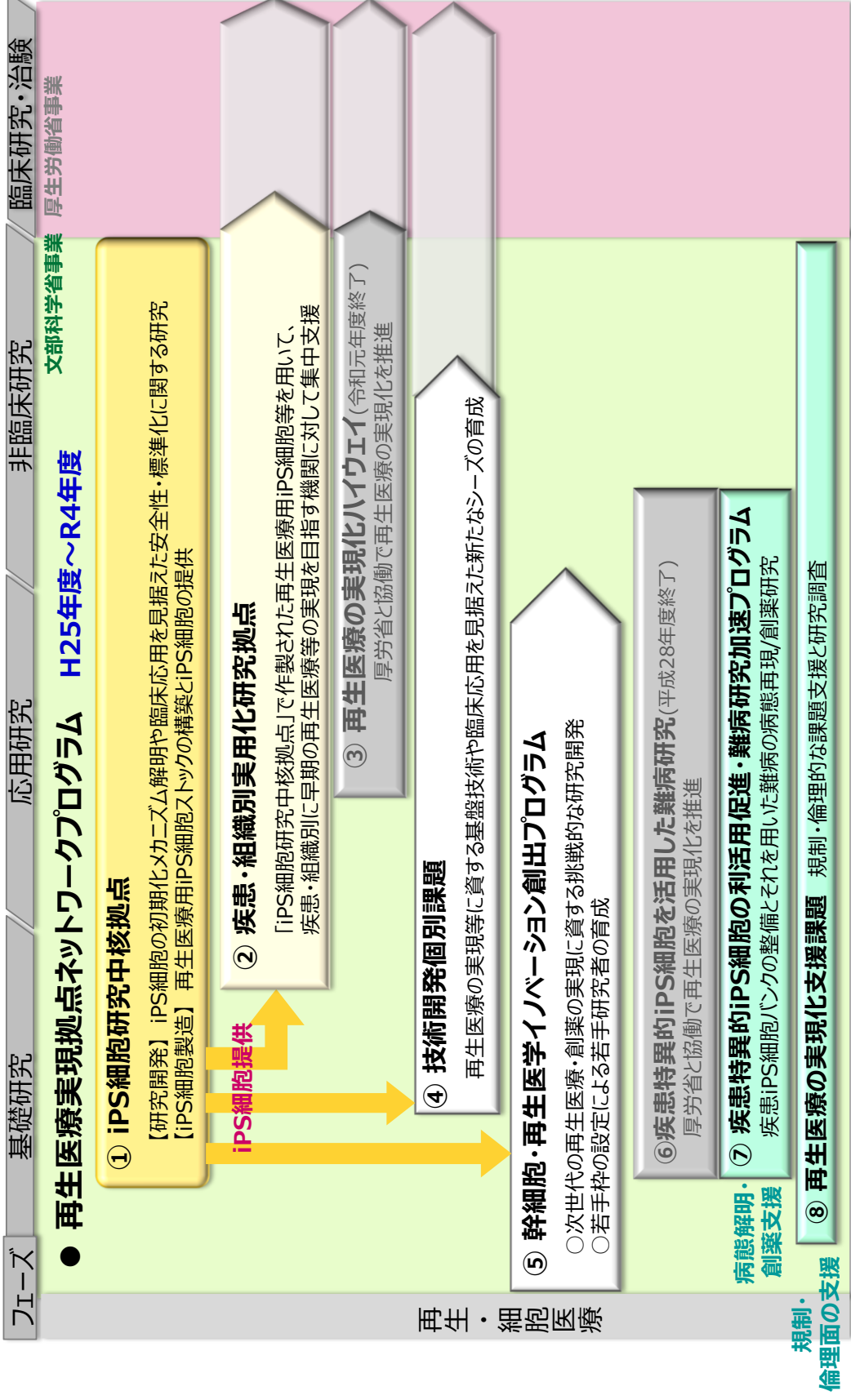
1. H15年度より開始された「経済活性化のための研究プロジェクト（リーディングプロジェクト）」の1つとして、これまでの医療を根本的に変革する可能性のある再生医療の実現を目指し、「**再生医療の実現化プロジェクト（第I期）**」を開始。
2. H19年度の山中伸弥教授によるiPS細胞の作製成功を受け、ES細胞や体性幹細胞のみならず、iPS細胞も重点支援の対象として、「**再生医療の実現化プロジェクト（第II期）**」等を開始。
3. 再生医療の実用化に向け、さらにiPS細胞を含む幹細胞・再生医学研究を加速するため、「**再生医療実現拠点ネットワークプログラム**」を開始。



再生医療実現拠点ネットワークプログラム

研究開発概要

- 【分類】
- 大規模課題
 - 中規模課題
 - 小規模課題
 - その他支援
(病態解明/創薬/制度)



再生医療実現拠点ネットワークプログラム

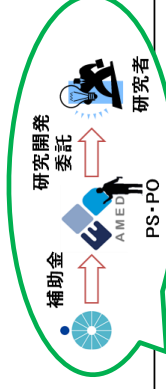
予算の変遷

(単位:百万円)

	平成25年度	平成26年度	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度	令和2年度	令和3年度	令和4年度
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	8,993	8,993	8,993	8,993	9,066	9,066	9,066	9,066
調整費		3,539	960	480	20	15	15			

※「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」の再生医療及びiPS創薬に係る全サブプログラムの合計の予算額/調整費

事業実施機関・体制



○ 政策課題に対応したミッションを研究機関が行うという性格を有する委託事業。

○ したがって、ミッションの達成に向けて、その遂行を担保すべく、各研究機関はAMED(H25、26年度はJST)と委託契約を締結するとともに、明確な目標・計画に沿って、プログラムスーパーバイザー(PS)及びプログラムオフィサー(PO)の指導・助言の下、厳正な評価等を受けながら業務を遂行。

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

事業実施機関・体制

PD	齋藤 英彦	国立病院機構名古屋医療センター（～令和2年度）
PD	永井 良三	自治医科大学（令和3年度～）
事業名	①iPS細胞研究中核拠点 ②疾患・組織別実用化研究拠点（拠点A、B、C）	
PS	齋藤 英彦 赤澤 智宏	国立病院機構名古屋医療センター（～平成29年度） 東京医科歯科大学大学院医学総合研究科（平成30年度～） 順天堂大学大学院医学研究科（平成31年度/令和元年～）
PS(代行)	赤澤 智宏	東京医科歯科大学大学院保健衛生学研究科（～平成29年度）
PO	片倉 健男	国立医薬品食品衛生研究所 薬品部

事業名	③再生医療の実現化ハイウェイ（令和元年度終了）	
PS	高橋 良輔	京都大学大学院医学研究科
PS	黒川 峰夫	東京大学大学院医学系研究科（～平成26年度）
PO	青井 貴之 青井 貴之	神戸大学大学院医学研究科（平成28年度、平成29年度） 神戸大学大学院科学技術イノベーション研究科（平成30年度）

事業名	④技術開発個別課題	
PS	齋藤 英彦 赤澤 智宏	国立病院機構名古屋医療センター（～平成29年度） 東京医科歯科大学大学院医学総合研究科（平成30年度～） 順天堂大学大学院医学研究科（平成31年度/令和元年～）
PS 代行	赤澤 智宏	東京医科歯科大学大学院保健衛生学研究科（～平成29年度）
PO	片倉 健男 小澤 敬也 久道 勝也	国立医薬品食品衛生研究所 薬品部（～平成29年度） 自治医科大学 免疫遺伝子細胞治療学（タカラバイオ）講座（平成30年度～） ロート製薬株式会社（平成30年度～）

事業名	⑤幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム	
PS	中山 俊憲 岩間 厚志	千葉大学大学院医学研究院（平成28年度、平成29年度） 千葉大学大学院医学研究院（平成29年度、平成30年度） 東京大学医科学研究所幹細胞治療研究センター（平成30年度～） 国立成育医療研究センター 再生医療センター 生殖医療研究部
PO	阿久津 英憲 藤井 輝夫 豊島 文子 山本 雅哉	東京大学産技術研究所（平成29年度～令和2年度） 京都大学ウイルス・再生医科学研究所（令和元年～） 東北大学大学院工学研究科（令和3年度～）

事業名	⑥疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究（平成28年度終了）	
PS	葛原 茂樹	鈴鹿医療科学大学大学院 医療科学研究科
PO	赤澤 智宏 小林 健一郎 吉松 賢太郎	東京医科歯科大学大学院保健衛生学研究科（～平成26年度） 国立成育医療研究センター 研究所（～平成27年度） エーザイ（株） エーザイプロダクトクリエーション システムズ

事業名	⑦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	
PS	葛原 茂樹 高坂 新一	鈴鹿医療科学大学大学院 医療科学研究科（～令和元年度） 国立精神・神経医療研究センター 神経研究所（令和2年度～）
PO	吉松 賢太郎 中村 昭則	日本薬学会 / (株) 凜研究所 まつもと医療センター（令和2年度～）

事業名	⑧再生医療の実現化支援課題	
PS	荒戸 照世	北海道大学 北海道大学病院 臨床研究開発センター
PO	掛江 直子	国立成育医療研究センター 臨床研究センター 生命倫理化学研究所 研究室

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 課題実施機関

①iPS細胞研究中核拠点

開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
H25	R4	再生医療用iPS細胞ストック開発拠点	京都大学	山中 伸弥

②疾患・組織別実用化研究拠点

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
拠点 A (5年以内の臨床応用を目指す拠点)	H25	R4	iPS細胞由来神経前駆細胞を用いた脊髄損傷・脳梗塞の再生医療	慶應義塾大学	岡野 栄之
			視機能再生のための複合組織形成技術開発および臨床応用推進拠点	神戸アイセンター病院	高橋 政代
拠点 B (臨床応用に技術的ブレークスルーが必要な分野)	H25	R4	iPS細胞を用いた心筋再生治療創成拠点	大阪大学	澤 芳樹
			パーキンソン病、脳血管障害に対するiPS細胞由来神経細胞移植による機能再生治療法の開発	京都大学	高橋 淳
			培養腸上皮幹細胞を用いた炎症性腸疾患に対する粘膜再生治療の開発拠点	東京医科歯科大学	渡辺 守
			iPS細胞を用いた代謝性臓器の創出技術開発拠点	横浜市立大学	谷口 英樹
			NKT細胞再生によるがん免疫治療技術開発拠点	理化学研究所	古関 明彦
			iPS細胞由来軟骨細胞を用いた軟骨疾患再生治療法の開発拠点	京都大学	妻木 範行
			iPS細胞を基盤とする次世代型胚島移植療法の開発拠点	東京大学	宮島 篤
拠点 C (革新的あるいは異分野融合による手法)	R2	R4	動物生体内環境を利用した移植ヒト臓器の開発	東京大学	中内 啓光
			iPSオルガノイドと臓器骨格の融合による再生部分臓器の開発	慶應義塾大学	八木 洋
			次世代型ヒト人工染色体ベクターによるCAR交換型高機能再生T細胞治療の開発拠点	京都大学	金子 新

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 課題実施機関

③再生医療の実現化ハイウェイ

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
課題 A	H23	H26	iPS細胞由来網膜色素上皮細胞移植による加齢黄斑変性治療の開発	理化学研究所	高橋 政代
		H28	滑膜幹細胞による膝半月板再生	東京医科歯科大学	関矢 一郎
	H29		培養ヒト角膜内皮細胞移植による角膜内皮再生医療の実現化	京都府立医科大学	木下 茂
		H24	培養ヒト骨髄細胞を用いた低侵襲肝臓再生療法の開発	山口大学	坂井田 功
課題 B	H23		H29	磁性化骨髄間葉系細胞の磁気ターゲティングによる骨・軟骨再生	広島大学
		H28	重症高アンモニア血症を生じる先天性代謝異常症に対するヒト胚性幹(ES)細胞製剤に関する臨床研究	国立成育医療研究センター	梅澤 明弘
	H24		H29	iPS細胞を用いた再生心筋細胞移植による重症心不全治療法の確立	慶応義塾大学
		R1	iPS細胞を用いた角膜再生治療法の開発	大阪大学	西田 幸二
課題 C	H23	H30	iPS細胞技術を基盤とする血小板製剤の開発と臨床試験	京都大学	江藤 浩之
		R1	再生医療の早期実現化と国際展開に向けた研究開発支援	藤田医科大学	松山 晃文
課題 D		R1	再生医療研究における倫理的課題の解決に関する研究	東京大学	武藤 香織

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 課題実施機関

④ 技術開発個別課題

※TR=トランスレシーショナルリサーチ

開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
H25	H29	移植免疫寛容カニクイザルコロニーの確立と再生医療への応用 慢性腎臓病に対する再生医療開発に向けたヒトiPS細胞から機能的な腎細胞と腎組織の作製 iPS細胞を用いた新規糖尿病治療法開発 幹細胞パッケージングを用いた臓器再生技術と新規移植医療の開発 再生医療に用いるiPS細胞大量培養プラットフォームの開発 多能性幹細胞から多種類の分化細胞を、最短時間、高効率、高品質、大量、自在に生産するための 基盤技術開発と産業化応用 再生医療のための細胞システム制御遺伝子発現リソースの構築 ヒトiPS細胞を用いた視床下部-下垂体ホルモン産生細胞の分化誘導法と移植方法の開発 幹細胞培養用基材の開発 再生医療における血管形成制御技術の開発 難治性筋疾患に対する細胞移植治療法の開発	滋賀医科大学 京都大学 京都大学 慶応義塾大学 旭硝子株式会社 慶応義塾大学 産業技術総合研究所 名古屋大学 大阪大学 大阪大学 国立精神・神経医療 研究センター 理化学研究所 理化学研究所 自治医科大学 名古屋大学 東京女子医科大学 大阪大学 東京医科歯科大学 川崎重工業株式会社 東京大学	小笠原 一誠 長船 健二 川口 義弥 北川 雄光 熊谷 博道 洪 実 五島 直樹 須賀 英隆 関口 清俊 高倉 伸幸 武田 伸一 辻 孝 二階堂 愛 花園 豊 馬場 嘉信 松浦 勝久 水口 裕之 森尾 友宏 佐藤 理 竹内 純
	H27	歯・外分泌腺などの頭部外胚葉器官の上皮・間葉相互作用制御による立体形成技術の開発 iPS・分化細胞集団の不均質性を1細胞・全遺伝子解像度で高速に測定する技術の開発 ブタ等大型動物を利用するiPS細胞技術の開発 iPS細胞分化・がん化の量子スピンツングin vivo Theranostics 再生医療用製品の大量生産に向けたヒトiPS細胞用培養装置開発 肝細胞移植に向けたヒトiPS細胞由来肝幹細胞の維持・増殖技術の開発 iPS細胞・体性幹細胞由来再生医療製剤の新規品質評価技術の開発 立体浮遊培養の再生医療への実用化のための自動化技術の開発 心機能再生を旨とした特定因子による細胞変換技術	東京大学 慶応義塾大学 慶応義塾大学 理化学研究所 東京大学 慶応義塾大学	木戸 文友 神山 淳 遠山 周吾 二階堂 愛 山崎 聡 湯浅 慎介

開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
H30	R2	iPS細胞由来肝組織ファイバーの構築と新規肝疾患治療法開発への応用 iPS細胞由来神経前駆細胞を「高品質化」する手法の開発 多能性幹細胞の代謝機構に基づく機能制御とその応用 超多検体オミクスによる細胞特性の計測 生体外におけるヒトiPS細胞由来造血幹細胞の増幅技術開発 多能性幹細胞由来細胞種の自動判別法の確立とその応用	東京大学 慶応義塾大学 慶応義塾大学 理化学研究所 東京大学 慶応義塾大学	木戸 文友 神山 淳 遠山 周吾 二階堂 愛 山崎 聡 湯浅 慎介

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 課題実施機関

④技術開発個別課題

※TR=トランスレシーショナルリサーチ

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
移植免疫	H30	R2	iPS再生組織・細胞移植における拒絶反応の免疫指標の確立と、誘導性抑制性T細胞を用いた再生組織の長期生着・免疫寛容の誘導	順天堂大学	奥村 康
			他家iPS細胞由来組織・細胞移植における免疫寛容誘導に関する基礎的研究 新しい皮下脂肪組織内細胞移植法による免疫抑制剤を用いない拒絶反応制御法に関する研究開発 機能再生医療の基盤となる機能的免疫寛容血管床の構築	北海道大学 福岡大学 日本薬科大学	清野 研一郎 安波 洋一 山口 照英
TR, rTR	H30	R3	iPS細胞由来人工心臓組織移植による心臓再生医療における免疫拒絶に関する研究	京都大学	湊谷 謙司
		R2	子宮頸がんに対するiPS細胞由来ユニバーサルCTL療法の開発 培養ヒト角膜上皮細胞注入再生医療の高度化	順天堂大学	安藤 美樹
			人工多能性幹細胞由来顆粒球輸注療法の開発	京都府立医科大学	木下 茂
			ヒト多能性幹細胞を用いた下垂体機能低下症に対する再生医療の技術開発	東京大学	黒川 峰夫
			HLAクラスI欠失ユニバーサル血小板の産業化導出に向けた研究開発	名古屋大学	須賀 英隆
			ヒトiPS細胞と生体臓器骨格の融合による新たな再生臓器移植法の開発	京都大学	杉本 直志
	R3	関節軟骨再生治療の普及を加速するiPS細胞由来軟骨細胞シートの研究開発	慶應義塾大学 東海大学	八木 洋 佐藤 正人	

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
TR1	R1	R3	ヒトiPS細胞由来ライディン細胞の作製	神戸大学	青井 貴之
			シエルタリン因子を用いた造血幹細胞の機能再生と増幅系の確立	九州大学	新井 文用
			最適化したダイレクトリプログラミングによる革新的肺再生	慶應義塾大学	石井 誠
			がん抗原を負荷する抗原提示細胞プラットフォームの開発	国立がん研究センター	植村 靖史
			iPS細胞を用いた機能的ヒト腸管グRAFT構築・製造法の開発	東京医科歯科大学	岡本 隆一
			ヒトiPS細胞を用いた慢性腎臓病に対する細胞療法の開発	京都大学	長船 健二
			完全非侵襲的新生ニューロン補充による新規脳梗塞治療法の創出	九州大学	中島 欽一
			協調的眼細胞誘導法による眼腺組織作製と再生治療法開発	大阪大学	林 竜平
			ヒト多能性幹細胞を用いた小脳疾患に対する再生医療のための技術	関西医科大学	六車 恵子
			新しいiPS細胞由来心筋特異的前駆細胞による低侵襲心臓再生法	京都大学	山下 潤
			三次元細胞積層技術による膀胱機能障害の改善に関する研究	信州大学	今村 哲也
			低分子化合物によるヒト肝前駆細胞を用いた肝硬変治療	長崎大学	江口 晋
TR2			安全な再生医療実現へ向けた革新的細胞デバイスの構築	東北大学	後藤 昌史
			6型コラーゲン欠損筋ジストロフィーに対する細胞治療法の開発	京都大学	櫻井 英俊
			ヒト肝臓オルガノイドによる血液凝固異常症の革新治療概念の実証	東京医科歯科大学	武部 貴則

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 課題実施機関

④技術開発個別課題

※TR=トランスレシーショナルリサーチ

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
TR1	R2	R3	陸島細胞移植免疫応答制御を実現する誘導性制御性T細胞療法開発	京都大学	穴澤 貴行
			組み換え蛋白質による肝臓細胞へのダイレクトリプログラミング法開発	国立国際医療研究センター	石坂 幸人
			再構成基底膜ゲルを用いる移植心筋細胞の生着・成熟促進技術の開発	大阪大学	関口 清俊
			自己凝集化技術によるヒトiPS/ES細胞からの立体軟骨組織の創出	岡山大学	宝田 剛志
			体性幹細胞からの直接変換法による人工膵島作成の革新的技術開発	順天堂大学	松本 征仁
TR2	R2	R3	iPS細胞とバイオ3Dプリンタによる新たな韧带再建技術の開発	佐賀大学	村田 大紀
			高純度同種間葉系幹細胞(REC)と硬化性ゲルを用いた腰部脊柱管狭窄症に対する細胞治療	北海道大学	須藤 英毅
TR3 (rTR)	R2	R4	新生児の肺障害を修復する多能性幹細胞(Muse細胞)を用いた再生治療の開発	名古屋大学	佐藤 義朗
			脳梗塞に対する造血幹細胞を使った細胞治療の作用機序に基づく最適化	神戸医療産業都市推進機構	田口 明彦
			AIを用いた重症心筋症に対する再生医療のPrecision medicineの実践	大阪大学	宮川 繁

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
TR1	R3	R5	ヒト造血幹・前駆細胞増幅を目的としたヒトiPS細胞由来ニッソエ細胞とゲル包埋型マイクロビーズを用いた人工骨髄開発	千葉大学	高山 直也
			高出カマルチオミクスによる細胞特性計測の深化	東京医科歯科大学	二階堂 愛
			ムコリブドーシス(iCD)を対象とした CRISPR/Cas3 系ゲノム編集技術により作製した胎児付属物由来造血幹細胞製剤の POC 取得	国立成育医療研究センター	福原 康之
			間葉系幹細胞治療用中空系膜カラムの開発	名古屋大学	古橋 和弘
			多発性骨髄腫に対する臍帯血由来CAR-NK細胞療法の開発	大阪大学	保仙 直毅
			機能予測と安全を担保したゲノム編集造血幹細胞による遺伝子治療技術の開発	筑波大学	山崎 聡

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 課題実施機関

⑤幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム

開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
一般	H28	アセンブラーとしての癌/非癌幹細胞の機能解明とその制御技術の開発	神戸大学	青井 貴之
			慶應義塾大学	家田 真樹
若手	H30	多能性幹細胞を用いた膵β細胞の成熟化機構解明	東京工業大学	桑 昭苑
		分化・成熟過程の人為的制御による再構築腎臓組織への機能賦与	熊本大学	西中村 隆一
		Primed型hiPS細胞のNaive化/腫瘍化/分化指向性を規定するエピゲノムネットワークの解析	宮崎大学	西野 光一郎
		骨格筋幹細胞の不均一性・階層性原理を応用した筋再生治療法の開発	熊本大学	小野 悠介
		hiPS細胞を用いた呼吸器上皮細胞の量産化と疾患モデリングへの応用	京都大学	後藤 慎平
		発生フィールドの再起動による器官レベルの再生	岡山大学	佐藤 伸
		hiPS細胞由来肝構成細胞による肝線維化モデルの樹立と応用	東京大学	木戸 文友
		未成熟心筋細胞の成熟心筋細胞へのリプログラミングとその分子メカニズムの解明	自治医科大学	魚崎 英毅
		hi多能性幹細胞を用いた局所的細胞運命制御技術の開発	京都大学	大串 雅俊
		hi脳傷害誘導性神経幹細胞を用いた神経再生療法	兵庫医科大学	高木 俊範
		造血幹細胞の代謝制御メカニズム解明と機能増強法の探索	国立国際医療研究センター	田久保 圭誉

開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
H30	R2	光操作技術を用いた神経幹細胞の新規分化制御法の開発	京都大学	今吉 格
		再生医療等に用いるヒト胎盤由来幹細胞の細胞特性の解明	東北大学	岡江 寛明
	iPS細胞を用いた神経疾患・神経変性疾患診断システムの構築	国立成育医療研究センター	菅原 亨	
	hi多能性幹細胞に由来する分化指向性間葉系前駆細胞集団の選別単離方法の開発	岡山大学	宝田 剛志	
	内胚葉オルガノイドの線維化誘導とメカノスクリーニング体系の創生	東京医科歯科大学	武部 貴則	
	心臓発生・心筋細胞分化における核内クロマチン高次構造の動態と制御	東京大学	野村 征太郎	
	HLA全ホモ接合多能性幹細胞の開発と汎移植適合性の検証	理化学研究所	林 洋平	
	新規キメラ作製法を用いた目的臓器の再生	生理学研究所	小林 俊寛	
	再生組織に対する拒絶反応の予測モデルの構築と拒絶反応抑制法の開発	京都大学	増田 喬子	
	成体由来・高可塑性腸上皮オルガノイドのリプログラミング法開発	東京医科歯科大学	油井 史郎	

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 課題実施機関

⑤ 幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
一般	R1	R3	ダイレクトリプログラミングによる慢性心不全に対する革新的心臓再生組織胎児化による新規皮膚潰瘍治療法の開発 RNA機能構造の制御に基づく多能性幹細胞維持機構の解明と細胞運命制御 脳細胞の移動・再生促進技術の開発 肝前駆細胞直接誘導法を用いた革新的肝再生療法の開発 三次元ガストロイドを用いて、試験管内でヒト着床期の発生原理を解明する 骨格筋幹細胞のポジショナルメモリーに則した筋再生治療基盤の構築 多能性幹細胞を用いたヒト由来肺組織シミュレーターの創出 ヒト多能性幹細胞を用いた転写/エピゲノム多様性・性差に基づく神経細胞分化能の制御機構解明と予測モデルの構築 血管化ヒト脳オルガノイドを用いた脳組織再生技術の確立 最長寿命歯類を利用した革新的な幹細胞の機能低下/がん化予防法の開発 ゴノサイト分化と加齢に伴う精子幹細胞の質的変化の解析	筑波大学 東京大学 京都大学 名古屋市立大学 九州大学 京都大学 熊本大学 京都大学 東海大学 島根大学 熊本大学 東京大学	家田 真樹 栗田 昌和 齊藤 博英 澤本 和延 鈴木 淳史 高島 康弘 小野 悠介 後藤 慎平 福田 篤 松井 健 三浦 恭子 山中 総一郎
若手					
	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
一般	R2	R4	造血幹細胞成熟プログラムの理解と成熟誘導技術の創出 胸腺機能の再構成による多様な反応性を持つヒトT細胞の再生 心臓再生のカギとなるヒト心筋細胞増殖制御機構の解析と増殖の実現 幹細胞－免疫細胞間の相互作用を軸としたヒト骨格筋再生機構のモデル化 ヒトiPS由来神経と生体吸収性素材による損傷神経の再生を促進する安全な医療材料開発 階層的血管構造を有する3次元臓器の構築 組織形成環境を制御するデザイナーニューロン細胞の開発 マウス胎内を利用したiPS細胞由来腎前駆細胞からのヒト腎臓再生技術の開発	国立国際医療研究センター 京都大学 京都大学 日本医科大学 新潟大学 横浜市立大学 金沢大学 東京慈恵会医科大学	田久保 圭誉 濱崎 洋子 山下 潤 小池 博之 芝田 晋介 田所 友美 戸田 聡 山中 修一郎
若手					

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 課題実施機関

⑤ 幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
国際	R2	R4	パーキンソン病細胞移植治療でのヒト多能性幹細胞からのドーパミン神経分化誘導時における非侵襲モニタリングシステムの構築	神戸市立医療センター中央市民病院	森實 飛鳥
			造血幹細胞の医学への最新技術強化	東京大学	山崎 聡
			ヒト肝細胞の自己複製、分化、移植能力を有する前駆細胞へのリプログラミング法の確立	京都大学	遊佐 宏介
			精子幹細胞の運命可塑性を利用した移植効率向上の試み	基礎生物学研究所	吉田 松生
			In vitroにおける3次元ヒト胚体軸形成モデルの確立	京都大学	ALEV CA NTAS
			体外製造血小板の臨床実装に向けた巨核球の改造産生	京都大学	江藤 浩之
			幹細胞とニッチの制御による血液幹細胞移植の効率化	熊本大学	滝澤 仁
			マクロファージと幹細胞の動態制御メカニズムに基づく生体活性ナノクレイ-抗炎症性分極化誘導ゼラチン粒子複合体による骨再生誘導技術の開発	京都大学	田畑 泰彦

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 課題実施機関

⑤幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
一般	R3	R5	新生・再生ニューロンの光操作による脳機能再生に関する研究開発 多様な難聴遺伝子変異に対応した遺伝性難聴患者iPS細胞によるAAVゲノム編集治療法の開発 上皮-間葉相互作用に依拠した、内胚葉組織高度化を実現する基盤的方法論の構築 ヒト造血幹/前駆細胞の細胞系譜の理解による細胞分化制御基盤技術の開発	京大大学 順天堂大学 理化学研究所 京大大学	今吉 格 神谷 和作 高里 実 山本 玲
若手			ヒト前脳型コリン作動性神経細胞の選択的誘導法の開発と、薬剤評価系への応用 立体組織の形成過程を最適化するモデルベース培養法の開発 エピジェネティクス修飾によるキメラ抗原受容体導入幹細胞様メモリーT細胞の自己複製増殖方法の開発 組織の凹凸を保持した三次元皮膚モデルの構築と評価指標の確立 ART(生殖補助医療)における胚着床率の劇的向上に向けた多階層幹細胞・着床ニッチ構築を目指すヒト胚発生オルガノイドモデル作製 上皮細胞により腸管を再デザインする研究開発 ヒト体内時計全身制御の解明と新規眠剤創薬のための時計中枢オルガノイドの研究開発 ヒト骨発生におけるエンハンサーランドスケープの解明とエピゲノム編集による細胞運命制御法の開発 iPS細胞由来腎集合管嚢胞モデルを用いたADPKDに対する新規治療薬の探索	金沢大学 愛知県がんセンター(研究所) 熊本大学 東北大学 慶應義塾大学 京都府立医科大学 東京大学 京大大学	奥田 寛 籠谷 勇紀 佐田 亜衣子 柴田 峻 杉本 真也 田宮 寛之 北條 宏徳 前 伸一

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 課題実施機関

⑥ 疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
樹立拠点	H24	H28	疾患特異的iPS細胞樹立促進のための基盤形成	京都大学	山中 伸弥
共同研究拠点			高品質な分化細胞・組織を用いた神経系および視覚系難病のin vitroモデル化と治療法の開発	京都大学	井上 治久
			疾患特異的iPS細胞技術を用いた神経難病研究	慶応義塾大学	岡野 栄之
			iPS細胞を用いた遺伝性心筋疾患の病態解明および治療法開発	東京大学	小室 一成
			疾患特異的iPS細胞を活用した筋骨格系難病研究	京都大学	戸口田 淳也
			難治性血液・免疫疾患由来の疾患特異的iPS細胞の樹立と新規治療法開発	京都大学	中畑 龍俊

⑦ 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

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
拠点I	H29	R4	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した研究	慶応義塾大学	岡野 栄之
			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
			筋疾患に対する治療薬の創出を目指した研究	京都大学	櫻井 英俊
			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	戸口田 淳也
			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
			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践	大阪大学	宮川 繁

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 課題実施機関

⑦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

	開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
拠点Ⅱ	H29	R1	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 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 疾患モデル高度化による視床下部・下垂体難病研究 疾患特異的iPS細胞を用いた下垂体疾患モデルの創出を旨とした研究 小児てんかん性脳症の革新的創薬を見据えた病態解析 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析と治療応用	大阪大学 東京大学 名古屋大学 神戸大学 福岡大学 京都大学	北畠 康司 小室 一成 須賀 英隆 高橋 裕 廣瀬 伸一 山下 潤
バンク活用促進課題			疾患特異的iPS細胞バンク事業	理化学研究所	中村 幸夫
iPS細胞樹立課題			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
拠点Ⅱ ⇒拠点Ⅰ		R4	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 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	熊本大学 千葉大学	西中村 隆一 横手 幸太郎
拠点Ⅲ		R4	成育期疾患iPS細胞樹立と新規病態モデルの研究開発 ミトコンドリア病iPS細胞の樹立と病態解析 先天代謝異常症の新規表現型の解析と薬剤開発の拠点研究 神経・筋相互作用を標的とした運動神経疾患の病態解明と治療薬開発 無虹彩症に生じる眼異常の発症機構の解明と治療法の開発 iPS細胞を用いたサブタイプ別心筋組織構築による心疾患研究	成育医療研究センター 自治医科大学 熊本大学 愛知医科大学 大阪大学 京都大学	阿久津 英憲 魚崎 英毅 江良 沢実 岡田 洋平 西田 幸二 吉田 善紀
利活用促進課題 (バンク充実)			疾患特異的iPS細胞バンク事業	理化学研究所	中村 幸夫
利活用促進課題 (ロバスト)			興奮／抑制均衡と神経変性疾患解析のための神経サブタイプ純化 2.5次元共培養系を用いたヒト神経細胞シナプス成熟法の開発 次世代型マトリックスによる高効率骨格筋幹細胞分化誘導法の開発	慶応義塾大学 大阪医療センター 大阪大学	石川 充 金村 米博 関口 清俊
利活用促進課題 (マッチング)			iPS細胞を用いた希少疾患の研究促進のための研究者マッチング	京都大学	齋藤 潤

再生医療実現拠点ネットワークプログラム 課題実施機関

⑦疾患特異的iPS細胞の活用促進・難病研究加速プログラム

開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
R3	R5	FCMD及びび類縁疾患のiPSCs由来三次元培養法による疾患モデルを駆使した病態評価と低分子治療法開発	藤田医科大学	池田 真理子
		GJB2変異型難聴における軽度変異型および重度変異型の患者iPS細胞を用いた難聴重症化メカニズムの解明	順天堂大学	神谷 和作
		革新的遺伝子量補正法による性特異的X連鎖難治疾患iPS細胞を用いた脳神経病態モデリングに関する研究開発	東海大学	福田 篤
		疾患特異的iPS細胞を用いた先天性中枢性低換気症候群における低CO2感受性の分子機構	神戸大学	藤岡 一路
		ゲノム編集疾患iPS細胞を用いた血管閉塞性疾患のモデル樹立と病態解明	京都大学	峰晴 陽平

⑧再生医療の実現化支援課題

開始年度	終了年度	研究開発課題名	代表機関	代表研究者
R2	R4	再生医療実現化を加速する次世代型支援基盤とOJT体制の構築	大阪はびきの医療センター	松山 晃文
R2	R4	再生医療研究とその成果の応用に関する倫理的課題の解決支援	東京大学	武藤 香織

事後評価票

(令和4年1月現在)

1. 課題名 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、国立研究開発法人日本医療研究開発機構を中心に、再生医療など世界最先端の医療の実現に向けた研究開発などを着実に推進する。

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。

本課題が関係するアウトプット指標：なし

本課題が関係するアウトカム指標：iPS細胞等幹細胞を用いた課題の臨床研究への移行（累積）

年度	H28年度	H29年度	H30年度	R1年度	R2年度
件数（累積）	7	7	14	15	17

3. 評価結果

(1) 課題の達成状況

0. プロジェクトの概要

文部科学省では、「今後の幹細胞・再生医学研究の在り方について」（平成24年5月）を踏まえ、我が国の優位性を活かし、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、平成25年度より「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（以下「本プロジェクト」という。）を開始した。また、平成23年度から再生医療のいち早い実現のため関係省庁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て研究開発を支援・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、平成24年度から疾患特異的 iPS 細胞を用いて疾患発症機構の解明及び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た「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」をそれぞれ実施していたが、本プロジェクトの開始に伴い本プロジェクト内のサブプロジェクトとして一体的な運用を行った。

再生医療は、平成26年7月に策定された第1期の「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」において各省連携プロジェクトの一つとして位置づけられた。その後、令和2年3月に策定された第2期の「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」において、再生医療は細胞医療及び遺伝子治療も含めた「再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト」として位置づけられた。

このたび令和4年度に本プロジェクトが終了するに当たり、事後評価を実施した。

1. プロジェクトの進捗状況について

1-1. 主な実績

- 「iPS 細胞研究中核拠点」

「iPS 細胞研究中核拠点」では iPS 細胞の初期化メカニズムの解明、分化誘導技術の開発等の基礎研究及び安全性の高い iPS 細胞作製に向けた基盤技術の確立に向けた研究等を行った。また、再生医療用 iPS 細胞ストックを整備して実施機関に提供する体制を構築し、さらに、令和元年からはゲノム編集した iPS 細胞研究株の提供を開始した。

- 「疾患・組織別実用化研究拠点」

拠点 A において、慶應義塾大学では神経細胞への分化誘導法及び凍結保存法並びに PET を用いた造腫瘍性評価法を確立した。神戸アイセンター病院では試験管内での立体網膜の作製、移植半年後のマウスでの生着及び機能性の評価及び眼杯の形態が形成される仕組みの解明等を行った。大阪大学では高純度の心筋細胞の作製法の確立、SPring-8 を用いた移植心筋の活動評価及び心筋分化指向性マーカーの同定等を行った。京都大学ではドパミン神経前駆細胞の有効性・安全性評価及び MHC 適合サル iPS 細胞由来神経細胞のサルへの移植による生着率向上の評価等を実施した。拠点 A の 4 課題全てにおいて、臨床研究・治験段階に移行した。

拠点 B において、東京医科歯科大学ではマウス小腸上皮細胞をマウス大腸に移植し幹細胞として機能することの評価、ヒト大腸由来組織幹細胞のマウス大腸への移植 10 か月以上の生着の評価及び大腸腫瘍における上皮細胞の可塑性獲得の評価等を行った。横浜市立大学では立体的な肝臓原基及びミニ肝臓作製並びに分化誘導後に残存する未分化細胞の高感度検出法を確立した。理化学研究所では NKT 細胞の分化誘導法の確立とマウスにおける有効性・安全性の評価等を実施した。京都大学では硝子軟骨の分化誘導法の確立とミニブタ関節における 1 か月以上の生着の評価及び軟骨細胞の分化機序の解明等を実施した。東京大学ではカプセル化した臍島細胞のマウスにおける有効性の評価等を実施したが、免疫隔離膜開発の進捗が不十分である等の理由から令和元年度をもって支援を中止した。拠点 B の 5 課題のうち、3 課題において臨床研究・治験段階に移行した。

- 「再生医療の実現化ハイウェイ」（平成 23 年度から令和元年度まで）

慶應義塾大学では高効率な iPS 細胞樹立法や心筋細胞だけを選択的に選別する方法の確立、大阪大学では機能的な角膜上皮組織の作製、東京医科歯科大学では滑膜幹細胞が軟骨保護作用を有するメカニズムの解明等をそれぞれ実施し、9 課題の全てにおいて臨床研究・治験段階に移行した（このうち理化学研究所は平成 27 年度より疾患・組織別実用化研究拠点に統合）。

藤田医科大学及び東京大学では規制面や倫理面で各課題を横断的に支援し、基礎研究が臨床に移行するための効果的・効率的な支援を行った。これらの活動は令和 2 年度より「再生医療の実現化支援課題」に引き継がれた。

- 「技術開発個別課題」

平成 25-29 年度において 20 課題を支援した。このうち 2 課題は平成 27 年度に実施した AMED の中間評価結果を踏まえて支援終了となった。1 課題については当初予定されていた研究期間満了に伴うものであり、もう 1 課題については開発スケジュールの遅れ及び研究者間のコミュニケーション不足が理由となった。残り 18 課題のうち、名古屋大学では下垂体ホルモン産生細胞の

分化誘導法の確立、旭硝子（株）では微細加工細胞培養容器の製造法の確立、大阪大学では生物由来原料基準に適合した再生医療用 iPS 細胞培養に適した足場タンパク質の製造法の確立をそれぞれ行った。

平成 30 年度から令和 3 年度においては細胞特性 6 課題、移植免疫 5 課題、トランスレーショナルリサーチ及びリバーストランスレーショナルリサーチ 38 課題を支援した。東京大学では造血幹細胞培養における血清代替品の作製や遺伝子治療モデルの確立、京都大学では HLA 欠失血小板の作製及び骨格筋幹細胞への分化誘導法の確立とモデルマウスにおける有効性の評価、順天堂大学では他家ヒトパピローマウイルス特異的細胞傷害性 T 細胞の作製、京都府立医科大学ではリバーストランスレーショナルリサーチにより培養ヒト角膜内皮細胞移植における分子機序の評価等をそれぞれ行った。

● 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」（平成 28 年度から）

令和 3 年度までに若手 38 課題を含む 64 課題を支援した。熊本大学では尿管芽の分化誘導法の確立、筑波大学では低分子化合物を用いたダイレトリプログラミングによる心筋再生法の確立、京都大学ではⅡ型肺胞上皮細胞の分化誘導法の確立、国立国際医療研究センターではマウス造血幹細胞を体外において骨髄と同じ状態で 1 か月間機能を維持する方法の確立、東京医科歯科大学では肝臓オルガノイドの培養技術と脂肪性肝炎モデルの確立、九州大学ではマウス肝細胞のダイレトリプログラミングの分子メカニズムの解明等をそれぞれ行った。

● 「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」（平成 24 年度から平成 28 年度まで）

京都大学では進行性骨化性線維異形成症及び FGFR3 病に対して、慶應義塾大学では筋萎縮性側索硬化症及びペンドレット病に対して、東京大学では肥大型心筋症に対してそれぞれ開発候補品を見出した。また、樹立拠点における 261 疾患 403 症例の疾患特異的 iPS 細胞を樹立するなど、本サブプロジェクト全体で多くの iPS 細胞を樹立した。

● 「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」（平成 29 年度から）

京都大学では進行性骨化性線維異形成症に対する新規の 2 つの化合物の同定、骨リモデリングシミュレーション実験基盤の構築及び顔面肩甲上腕型筋ジストロフィーにおける病態解明、慶應義塾大学では遺伝性パーキンソン病や筋萎縮性側索硬化症における病態解明、熊本大学では先天性腎臓病における病態解明、千葉大学ではウェルナー症候群における病態解明をそれぞれ行うとともに、疾患特異的 iPS 細胞 37 疾患 106 症例 228 株を樹立した。また、「iPS 細胞樹立課題」において健常人由来 iPS 細胞 133 症例 790 株が樹立されるとともに、「バンク活用促進課題」における即時提供可能株の増加により提供数も大幅に増加した（本課題開始前 24 疾患 37 症例 47 株→令和 3 年 3 月 275 疾患 439 症例 684 株）。

● 「再生医療の実現化支援課題」（令和 2 年度から）

大阪はびきの医療センターでは、本プロジェクトの採択課題において個別に実用化に向けた助言を行うとともに、「再生医療の実現化ハイウェイ」より引き続き各実施機関のノウハウを展開するためのプロジェクトマネージャー会議（平成 25 年度より毎年 10～12 回実施（令和 2 年度のみ 6 回））の開催等を行った。東京大学では、本プロジェクトの採択課題において個別に倫理的問題に対する助言、「再生医療の実現化ハイウェイ」より引き続き各実施機関が参加する倫理担

当者会議（平成 25 年度より毎年 1～4 回実施）の開催等を実施した。

1-2. 評価について

- プロジェクト全体及び各評価事業は順調に進捗したと評価できるか。
- 今後より発展させていくために、プロジェクト全体及び各評価事業の戦略や事業運営体制等について、改善すべき課題はあるか。

● 「プロジェクト全体」

iPS 細胞の実用化に関し当初は将来の発展が明らかでなかった点も多く、研究の進捗の過程で問題点が明らかとなった課題が複数あったが、プロジェクト内の進捗管理の中で課題の評価が行われたことで、その後の対応が適切に行われたことは、プロジェクト全体として適切であったと考える。若手研究者育成や国際化等を内包する基礎研究支援課題が遅れて立ち上がったこと、ES 細胞関連課題が少なかったこと、疾患特異的 iPS 細胞関連課題の他のプロジェクトとの連携に課題があったこと等があったものの全体としては比較的順調に進捗したと評価する。本分野は長期的な取組が必要であることから、新しいシーズを見つけた場合にはそれを長期的に育てる仕組みを並走させることなしには、若手研究者が自立できない可能性が危惧される。

薬事承認のためにはベンチャーも含めた企業の関与や導出が必要で、出口のない研究を避けるためにも、堅牢性の高い臨床データの創出が必須である。また、企業との連携については、プロジェクト全体を通して十分とは言い切れず、データに基づく企業との連携を促進する仕組みの構築が求められる。今後は、科学面での国際優位性や独創性、あるいはシンプルな医療ニーズという観点だけではなく、本プロジェクトによる産業構造の転換・発展という視点に基づく戦略も加味することで、民間からの投資が更に期待され、それにより、我が国の再生医療研究の国際競争力の向上や加速化が可能になると考える。

● 「iPS 細胞研究中核拠点」

我が国全体の iPS 細胞研究を牽引し、基礎研究では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と考えられる。ゲノム編集 iPS 細胞株の配布につなげることができたことは、我が国の再生医療研究進展に貢献できるものと期待される。日本人の約 40%をカバーできる再生医療用 iPS 細胞ストックを構築し、新たに財団を設立するなど、応用・実用化に向けて着実に成果を得た。再生医療用 iPS 細胞ストックの供給を一時停止し、他の課題の進捗に少なからず影響を与えたものの、製造工程や管理システムなどの徹底的な見直しを行い、製造工程管理システムを構築したことは評価できる。世界的に iPS 細胞関連の基礎・応用技術開発の進展が加速化している中で、今後は世界に先駆けて画期的な次世代 iPS 技術の開発に集中してもらいたい。

● 「疾患・組織別実用化研究拠点」

全く新しい領域を開拓していく必要性から品質、非臨床安全性、製造等の面で課題も多く、想定より時間を要したことはやむを得ないと考えるが、拠点 A 及び B の 9 課題の中で 7 課題が臨床研究又は治験へと進んだことは高く評価される。「再生医療の実現化ハイウェイ」を含め、疾患別・臓器別に実用化に向けた難易度や課題が異なることを考慮すると、早期探索的な臨床試験の結果を踏まえて治験での実証研究に進むことができる課題を選定できると良いと考える。また、長期に亘る研究に対してはその進捗を的確に評価して適切な判断をすることが求められる。今後は、

安全性、有効性について早期に検証し、実用化に向けて次の段階に進むべきかどうかについて、個々の課題ごとに見極めることが肝要である。さらに、前臨床から臨床に向けた開発の経験やノウハウが蓄積されていることから、それらを可能な限り開示することにより、再生医療の社会実装に役立てることが望ましい。一方、本領域の将来を鑑みると、拠点Cのような取組を、より早期に行う必要性もあったと考える。

- 「再生医療の実現化ハイウェイ」

- 「再生医療の実現化支援課題」

「再生医療の実現化ハイウェイ」課題A及びBの9課題全てが、臨床研究又は治験に移行したことは高く評価される。規制面及び倫理面の研究者が実施する課題C及びDが併走して支援することが、課題A及びBの順調な進捗を助けたものと考えられ、今後も「再生医療の実現化支援課題」のような支援課題をプロジェクトの中で継続することが望ましい。今後は技術的な課題なども個々の研究者に依存することなくプロジェクト全体として把握して水平展開ができるような仕組みが望ましい。また、規制・倫理領域を担う若手研究者を育成することは急務である。

- 「技術開発個別課題」

今後の展開に期待が持てる進捗が示されたが、実用化へのプロセスを明確にすることが求められる。また、目標を達成していない課題に対しては、適切な評価による継続の可否の判断が必要である。

- 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」

若手研究者や国際的な研究に対する支援が行われ、現在活躍する若手研究者のトップランナー達が成果をあげた点で評価できる。

- 「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」

- 「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」

疾患特異的 iPS 細胞を用いた新しい創薬手法の先例となり高く評価できるが、化合物スクリーニング系の構築が十分な疾患研究に基づいているのか確認が必要である。本サブプロジェクトの創薬の方向性は低分子が主体であったが、特に創薬標的が同定された難治性疾患の場合は、*ex vivo*/*in vivo* 遺伝子治療も含めて最適なモダリティーを選択することが重要であり、モダリティーの多様性を志向したプロジェクトの展開が必要と考える。

ヒト iPS 細胞バンクにおいてはその寄託数が年々増加するとともに、目標を大きく上回る提供数を達成しており、疾患特異的 iPS 細胞研究の広がりや活性化に寄与したことは評価できる。ニーズが低い難治性疾患の iPS 細胞に対してもより迅速な提供をするため、体制の強化を期待するとともに、今後の展開に資する十分な疾患の種類と、疾患ごとの株数が確保できたかについては、多因子疾患の疾患内の差異に鑑み、精査が必要である。

以上のことから、本プロジェクトの成果は、優れていると評価できる。

2. プロジェクトの必要性について

2-1. 主な実績

● 科学的・技術的意義について

疾患オルガノイドの物理特性を解析する創薬研究用ツールの確立（東京医科歯科大学）、光操作技術を用いた神経幹細胞の分化制御法の確立（京都大学）、分化指向性間葉系前駆細胞集団の選別単離方法の確立（岡山大学）、マイクロ流体気道チップとヒト iPS 細胞から分化誘導した気道上皮シートとを組み合わせ細胞間の線毛協調運動を生体内に近い形で再現し機能評価する技術の確立（京都大学）、血清代替に PVA を使用した造血幹細胞の培養法の確立（東京大学）、培養ヒト角膜内皮細胞移植において細胞内代謝リプログラミングの観点から体性細胞の脱分化から分化を高効率化させる技術の確立（京都府立医科大学）等が、本プロジェクトの実施による科学的・技術的な意義として挙げられる。

	H25	H26	H27	H28	H29	H30	H31/R1	R2
論文数（和文・英文）	394	332	430	574	651	585	591	271

● 社会的・経済的意義について

大阪大学で開発した医療用ラミニン基材が再生医療用 iPS 細胞やドパミン産生神経細胞及び網膜色素上皮細胞の製造に、旭硝子（株）で開発した培養容器や東京女子医科大学で開発した大量培養装置が国内の多くの研究者に使用される等に至った。

「iPS 細胞研究中核拠点」の再生医療用の他家 iPS 細胞を用いた研究 8 課題、自家 iPS 細胞を用いた研究 2 課題、ES 細胞を用いた研究 1 課題、体性幹細胞を用いた研究 5 課題がそれぞれ臨床研究又は治験の段階に移行した。

疾患特異的 iPS 細胞を用いた病態解明・創薬研究では 6 薬剤候補の同定に至り、そのうち既存薬である 4 薬剤において治験段階に移行した。また、理化学研究所のヒト iPS 細胞バンクは世界最大規模の寄託数を有し、民間も含め多くの研究者に提供された。

令和 2 度から英国との国際共同研究枠にて 8 課題を採択し、国際連携を推進した。また、「再生医療の実現化ハイウェイ」及び「再生医療の実現化支援課題」において国際動向調査を実施した。

「再生医療の実現化ハイウェイ」及び「再生医療の実現化支援課題」において一般向けシンポジウムの開催や、子供を対象とする同意説明補助資料の絵本作成を行った。

	H25	H26	H27	H28	H29	H30	H31/R1	R2
特許出願件数	48	101	33	27	34	33	40	21

2-2. 評価について

評価項目：科学的・技術的意義（独創性、革新性）、社会的・経済的意義（産業・経済活動の活性化・高度化）、国費を用いた研究開発としての意義等。

評価基準：

○研究の成果を社会に還元することに資する研究開発等が行われたか。

○再生医療に関する国際動向を把握しつつ、国として本研究分野の国際競争力を高めていくことができたか。

○研究倫理面にも配慮した研究開発を進めるための体制を構築し、再生医療と社会との調和を図る

ことができたか。

○科学的・技術的意義（独創性、革新性、先導性、発展性等）を有しているか。

○社会的・経済的意義（産業・経済活動の活性化、知的財産権の取得・活用等）を有しているか。

● 「プロジェクト全体」

多くの課題の成果が科学的・技術的意義及び社会的・経済的意義を有していると評価できる。iPS細胞研究中核拠点を中心に先導的な研究開発が多数支援され、対象疾患の重篤性・難治性や再建する細胞・組織の多様性は、患者や社会への還元の度合いを質的に高めるものである。複数の課題が臨床研究又は治験段階に移行し、技術開発などにおいても実用化が進むとともに、ドラッグリポジショニングの薬剤候補も医師主導治験に移行するなど社会への還元に向けた研究が進んでいる。国際競争力を高め、研究倫理面を含めた体制の構築等も順調に進んだことは評価できる。一方、実際に再生医療の社会への還元として主に期待される「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である。

iPS細胞などの幹細胞を用いた細胞医療も試みられているが、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、幹細胞による組織修復のメカニズムの解明も含めて、全体として継続して支援していく必要性は高い。そのためにも、的確な進捗管理に基づく継続実施や中止の決定を行い、支援すべき課題を選び出す必要がある。

我が国の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、今後は研究段階に留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である。

世界に先駆けて iPS 細胞医療の着手がなされ、若手研究者の研究支援や国際連携の試みもなされているが、全体としては我が国の立ち位置の優位性があまり明確でなく、我が国の研究者がリードする国際共同研究の実例を多く創出する必要がある。そのためにも、各種研究の独創性など競合優位性の判断には十分な情報の収集が必要であり、その情報に基づいた判断が重要である。この面では未だ十分とは言えず、情報収集力とその解釈能力の強化が必須である。

知的財産権の取得・活用として、毎年非常に多くの出願が行われていることは基礎研究成果が充実していることと評価されるが、その中から PCT 出願が行われて他国で権利化できたものの割合の把握や、出願後の知的財産の確保・権利化に関するサポートも重要である。さらに、特許出願以降の企業への導出や新技術を元にした大学発ベンチャーの設立など、他のプロジェクトとの積極的な連携が望まれる。また、今後国際的な先導性を失わないためには、企業の参入が必須であるが、現状は医師主導でなければ実用化が難しく実際に獲得可能な最大市場規模が大きくなるので、企業が参入しやすくするための取組が必要である。

研究倫理面では、慎重さのあまり研究の進展を困難とする状況が現出することは好ましいことではなく、新規の技術開発を推進するためのバランスの取れた環境作りが望まれる。

● 「iPS細胞研究中核拠点」

● 「疾患・組織別実用化研究拠点」

● 「再生医療の実現化ハイウェイ」

● 「再生医療の実現化支援課題」

研究の成果を社会に還元することに資する研究開発等が行われ、多くの臨床段階への移行ができてきており、大変高く評価できる。ただし、現段階では多くが安全性評価の段階であることから、国際競争力を高めるための有効性評価の段階に早く至ることが極めて重要であり、今後、第2相

臨床試験の実施が可能な課題を優先的に支援していくことが重要であると考える。

各国での事情がある中で、我が国においてはES細胞がiPS細胞と対比して、より重層的にプロジェクトが展開しなかったことは課題である。一方、体性幹細胞による地道な研究も取り上げたことは、臨床応用や産業化という点では重要であった。間葉系幹細胞等では、今後も分化系等の基礎研究及びブレークスルーに至る可能性がある研究の支援が必要である。倫理面の支援を行うことができる若手研究者の育成が今後の課題である。

- 「技術開発個別課題」
- 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」

技術開発個別課題から5件の上市が達成されたことは社会還元の実績として評価できる。また、研究の裾野を広げて企業の参入を促し、周辺産業の活性化の面で社会的・経済的意義があったと評価できる。再生医療に対する取組の中で生まれた技術が異分野での広がり・用途拡大があるか、国際的にも活用される可能性があるかが今後の課題である。

- 「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」
- 「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」

ドラッグリポジショニングとして、4薬剤が医師主導治験に進んだことは大きな実績として評価できる。細胞樹立からオルガノイドや臓器研究へと発展させることで、創薬開発で活用できる重要なツールとなる可能性があり、革新性及び発展性が大いに期待できるため、今後の展開が期待される。

ヒト iPS 細胞バンクからアカデミアだけでなく企業にも疾患特異的 iPS 細胞及び健常人 iPS 細胞を提供しており、既に社会への還元の一部は始まっていることは評価できる。一方で、臨床情報が不足しており、株数が少ないことは課題である。また、企業への提供を一層促進するためには手続きの簡素化・迅速化を更に進める必要がある。

疾患特異的 iPS 細胞については、疾患の病態解明、各組織への分化技術の確立がまず重要な課題であり、科学的・技術的な側面を重視したサブプロジェクトとして始めるべきであったが、初期から創薬、企業との連携を打ち出していた点で、課題が残る。創薬においても、モデル細胞の特性解析を基にした適切な評価指標を設定することが重要である。

評価をより厳密に行い、課題の入替えを活発化させ、より先鋭的な研究を実施していく必要があると考えられる。これにより国際競争力を高め、社会への貢献度の高い研究として生き残ることができると考えられる。

以上のことから、本プロジェクトの必要性は、優れていると評価できる。

3. プロジェクトの有効性について

3-1. 主な実績

- 新しい知見の創出・研究開発の質の向上・知的基盤整備への貢献等について

「iPS細胞研究中核拠点」においては研究用 iPS 細胞を 60 機関 55 課題、再生医療用 iPS 細胞を 28 機関 28 課題へ提供した。さらに、海外 17 機関へ提供又は提供調整中であるとともに、研究用ゲノム編集株を 14 機関 17 課題に提供した（令和3年7月）。

AMEDにおいて一部のPS及びPOや課題担当者が複数のプロジェクトを兼務することで、本プロ

プロジェクトから多数の課題が文部科学省の他のプロジェクトや、厚生労働省及び経済産業省の所管するプロジェクトへ導出・技術移転された。

本プロジェクトの各サブプロジェクトにおいては、多数の若手研究者の育成や、学会・シンポジウムでの発信がなされた。「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」においては、成果の発信に加え、これまでに研究代表者総計 12 名の昇進がなされる等の本プロジェクトを通じた若手研究者の育成がなされたり、小中学校へ出張授業が行われた。また、「再生医療の実現化支援課題」においては、支援人材の育成がなされた。「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」においては、疾患研究者と iPS 細胞研究者のマッチング支援が行われ、これまでに 21 課題が採択された。

「再生医療の実現化ハイウェイ」及び「再生医療の実現化支援課題」においては、先述のプロジェクトマネージャー会議や倫理担当者会議を開催し、本プロジェクトの各研究者と情報共有・意見交換が行われた。

3-2. 評価について

評価項目：新しい知見の創出への貢献、研究開発の質の向上への貢献、知的基盤整備への貢献等。

評価基準：

- iPS 細胞の臨床応用を見据えた安全性や標準化に関する研究、再生医療用 iPS 細胞ストックの構築を進めることができたか。
- iPS 細胞等を用いた再生医療について、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・組織別に責任を持って再生医療の実現を目指す研究体制の構築を進めることができたか。
- 我が国の再生医療関連産業（再生医療・創薬、細胞製造、装置、培地等）の育成に資する技術開発を進めることができたか。
- 次世代の革新的な再生医療に向けた新たなシーズの開発や若手研究者をはじめとする次世代の再生医療に関わる人材育成、他分野の研究者の参入等を図ることができたか。
- 研究倫理やレギュラトリーサイエンス等の課題に対して、各研究機関が連携することで、効果的に研究開発が行われたか。
- 社会全体や行政施策、知的基盤等へ多面的な波及効果を与えることができたか。

● 「プロジェクト全体」

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、再生医療の分野に大きなインパクトを与えたと考える。更なる研究者間の連携の推進を図ることなどの方策を講ずることで、視野の広い国際的にも認められる研究者の輩出につながることを期待したい。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、そのためには本プロジェクトの牽引役となる成功事例を示すことが望まれる。さらに、医療応用、産業化を前にして、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と考える。

再生医療関連の産業育成については、成果がアカデミア内、医師主導治験にとどまっている可能性があり、企業による成果活用の実態について分析する必要がある。

生命倫理や規制科学の面からの被験者保護や倫理的課題に関する会議を数多く実施し、臨床研究・治験を支える体制を教育的な観点でサポートできている。

● 「iPS 細胞研究中核拠点」

研究用 iPS 細胞を国内外の多くの機関に提供し、iPS 細胞を用いた再生医療研究の推進に大きな役割を果たしている。一方で、iPS 細胞の安全性・標準化といった品質評価については、iPS 細胞研究中核拠点以外の評価施設での計画的かつ精緻な評価が必要であったと思われる。また、HLA ゲノム編集 iPS 細胞については民間を含む国内外の他機関でも先行実施しており、品質の面に加え、知的財産面や価格面においても優位性を示すことが必須である。

● 「疾患・組織別実用化研究拠点」

● 「再生医療の実現化ハイウェイ」

● 「再生医療の実現化支援課題」

他のプロジェクトへの導出を多数実現したことは、所管している省庁の垣根を越えて本プロジェクトが有効に機能した結果であると考えられる。疾患・組織ごとの研究拠点を中心に研究開発を進められている点は、有効性の観点では高く評価できる。さらに、有望な若手研究者を対象にした支援・配慮もなされており、本プロジェクトの有効性を高めてきたと考える。基礎研究から実用化研究を進めるためには一部の課題に集約化が求められるが、次世代の再生医療創出に向けた若手研究者に関して、裾野の大きい多面的な広がりには至っていないと考えられる。

本プロジェクトにて試みられている医療技術は、その多くが新規の試みであることから、実用化に向けては、既存の製薬企業だけでなくベンチャー企業が果たす役割も大きい。また、そのような状況においては、臨床段階に到達して試験が開始されても全ての開発課題が成功するとは限らないことから、各開発課題の進捗を適切に判断して、支援すべきもの、そうでないものを峻別することがプロジェクト全体の有効性を高めることにつながることに留意すべきである。適切なモデル動物が存在しない、又は既存の細胞医療や ES 細胞を用いた再生医療との有効性の比較ができていない等の理由から十分な非臨床 PoC が得られていない課題もあることから、今後、第 2 相以降の臨床試験の実施可能性が高い課題を選択して支援するとともに、十分な臨床 PoC の獲得が困難な課題においては、作用メカニズムの解明に立ち戻った研究の実施や、モダリティの変更等を検討する必要がある。

本プロジェクトで実施される学術研究成果を着実に臨床応用につなげるために、規制・倫理の領域の研究者によるサブプロジェクトを設定し積極的に支援する体制を構築したことは、非常に効果的であり、高く評価できる。今後も支援課題を担う研究者が必要となると考えられ、研究開発の質の向上への貢献が継続されることが期待される。規制・倫理領域の若手研究者の育成が急務であり、それに関連した取組も必要である。

● 「技術開発個別課題」

● 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」

細胞培養・調製に関連した再生医療の基盤技術に係る研究成果が得られたことは、それらの特許取得に加え、我が国の再生医療研究の質の向上に大きく貢献するものであるとともに、異分野の研究者や企業の参入を促進して本領域の研究開発の活発化に貢献していることは高く評価できる。

特に若手研究者枠については、より早期から検討されておくべきものであったと考える。自由な発想による分化・発生研究は、これからの国際的競争力をもつ再生医療関連プロジェクトの推進にとって重要であり、若手研究者育成の支援は継続的課題と考える。異分野の研究者参入という

観点からは、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。また、企業が研究開発の早期から参画することも重要である。

以上のことから、本プロジェクトの有効性は、優れていると評価できる。

4. プロジェクトの効率性について

4-1. 主な実績

● 計画・実施体制や目標・達成管理の向上方策の妥当性等について

JST（平成 25-26 年度）での運営統括が、AMED（平成 27 年度以降）での PD として引き続き統括し、各個別課題の把握、プロジェクト内の連携並びに厚生労働省及び経済産業省が所管するプロジェクトとの連携を推進した。採択においては、専門の異なる外部有識者による評価委員会において、各サブプロジェクトに合わせた審査の観点から審査を実施し、これまで採択した課題の疾患・組織や細胞種等も踏まえて採択を実施した。AMED で毎年度実施するヒアリングやサイトビジットによる進捗管理及び事前/中間/事後評価委員会において、PS 及び P0 からプロジェクト内連携や知的財産確保の助言、研究開発の見直しの指示等を行った。また、評価委員会の選定においては、若手（59 歳以下）40%以上、女性 10%以上の登用を進めた。

平成 26 年度より概ね毎年、本プロジェクトの研究交流会を開催し、プロジェクト内の連携を促進するとともに、PS 及び P0 の助言・指導のもと各課題において個別に連携を促進する場を設定した。「iPS 細胞研究中核拠点」と「疾患・組織別実用化研究拠点」との拠点長会議や、「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」におけるプログラム内交流会をそれぞれ年 1 回程度開催した。また、AMED 事務局においては、進捗状況の整理や各課題の連携の場の設定を実施した。「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」では製薬企業やベンチャー企業との意見交換会を開催し、そのニーズを踏まえた支援の在り方について検討した。

平成 25 年度より毎年、AMED 再生医療公開シンポジウム（平成 25 年度及び 26 年度は JST においてそれぞれキックオフシンポジウム及び公開シンポジウム）を開催し、研究者が一般市民に向け発表を行った。また、本プロジェクトについて関連学会や学術誌での発信を実施した。

4-2. 評価について

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等。

評価基準：

○PS 及び P0 の取組状況及び事務局の対応状況についてはどうか。

- ・プロジェクト全体の進捗管理は適切だったか。
- ・研究課題や研究機関、企業間の連携が効率的に図られていたか。
- ・プロジェクト推進のための実施者への指導・助言は適切だったか。
- ・事務局は、PS 及び P0 の指導・助言が反映されるようにするため、本プロジェクト全体の研究進捗状況の整理等の補助的業務を適切に行っていたか。
- ・事務局は、社会との関係を意識した普及・啓発活動や科学コミュニケーションに関する活動を適切に行っていたか。

○プロジェクトで支援すべき研究課題の採択は適切であったか（採択した疾患・組織や細胞種等）。

○各研究課題の計画の見直しについて、PD、PS、P0 及び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。

● 「プロジェクト全体」

PS 及び P0 並びに AMED 事務局による進捗管理に加えて、拠点長会議や研究交流会でそれぞれの研究進捗や臨床計画の共有が行われたことは、研究の効率性を高める上で重要であり評価できる。一方で、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。また、アカデミアだけの研究チームでなく、積極的な企業とのマッチングや企業開発経験者等による支援を積極的に活用して、実用化を目指すような試みも検討が必要である。

PD が厚生労働省及び経済産業省が所管する実用化・産業化に関するプロジェクトも併せて統括し、情報収集並びにプロジェクト内及びプロジェクト間連携を行う体制を作ったことは評価される。PS 及び P0 においては、偏重を避けるための判断基準を設ける、多様な臓器・疾患へ分散させる、確度の高い研究提案だけでなく挑戦的・意欲的な研究提案にも機会を提供する、という対応を行っており、その点について評価できる。AMED 事務局は PD、PS 及び P0 との連携の中で、補助的業務を実施し、ヒアリングや相談の機会も多く適切な知識を有する担当者の配置を含め、人的強化等は今後の課題と考える。PS 及び P0 並びに各サブプロジェクトの評価委員については、異分野や若手の委員の採用を積極的に行っていく必要がある。

研究課題の採択は概ね適切であったと考えられるが、今後は申請書中の「研究の準備段階」に関するより詳細な情報を得ながら課題を選択していくこと、さらには、綿密な進捗度の確認及び指導の実施が肝要と考える。研究課題の進捗に対しての判断を評価者が客観的に行うためには、研究計画の策定時に、研究目標に対する継続実施・中止の判断基準を明記させ、その到達度合いを示すことで判断を下すことができる仕組みの導入が求められる。限りある資源の効率的な活用、また、社会からの理解・支援を得るためにも、適切な判断の下での各課題の継続・実施が必要と考える。中間評価及び事後評価において、支援を継続し成功に導くことは重要であるが、評価基準を厳格に適用し、中止又は計画縮小を実施して、有望な課題への支援をより厚くするような方策も必要と考える。一方で本領域のような革新的な医療技術を創出するプロジェクトにおいては当初の計画通りに進捗しなかった課題もあるが、むしろそのような課題から想定外の全く新しい成果が創出されることもある。社会からの期待も大きい研究領域であるため、基礎的な研究を着実に実施するとともに、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の進捗を通じて明らかになった問題点を抽出し、その情報を共有することが重要である。

● 「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」

● 「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」

実用化・社会還元に向けた製薬企業・ベンチャー企業との意見交換、「iPS 創薬」に関する戦略の方向性を議論していることは評価できる。一方で、基礎研究としての病態の解明研究の深化や、厚生労働省所管の難治性疾患実用化研究事業等とのより戦略的な連携が必要であった。

以上のことから、本プロジェクトの効率性は、妥当であると評価できる。

(2) 科学技術基本計画又は科学技術・イノベーション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）に則して策定された「医療分野研究開発推進計画」において2020年までの成果目標（KPI）のうち、「臨床研究又は治験に移行する対象疾患」は、目標の約35件に対し、本プロジェクトの成果及び本プロジェクト

での研究が完了し臨床段階に移行した研究課題への厚生労働省による支援の成果を含めて47件であり、目標を大幅に上回った。特にiPS細胞を用いた再生医療については、複数の支援課題が世界に先駆けて臨床段階に到達しており、「第5期科学技術基本計画」（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」に、大きく貢献したものと考えられる。

（3）総合評価

① 総合評価

「（1）課題の達成状況 1. プロジェクトの進捗状況」に記載のとおり、「iPS細胞研究中核拠点」を中心に、「疾患・組織別実用化研究拠点」や「再生医療の実現化ハイウェイ」等の各課題と連携して再生医療の実現に資する多くの研究成果を見出した。必要性や有効性においても優れていると評価できることから、本プロジェクト全体の総合評価は、優れていると評価できる。

② 評価概要

本プロジェクトを通して我が国のiPS細胞研究は高い国際競争力を有することができ、科学的・社会的意義の高い成果が数多く創出されるとともに、世界に先駆けて複数の疾患において再生医療やiPS創薬が臨床段階に移行した。また、若手研究者の育成や規制面及び倫理面の課題解決に積極的に取り組むとともに、PD、PS及びPOがAMED事務局と連携して効率的にプロジェクトの運営を実施した。近年、世界において活発に再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発が行われ、我が国において承認された再生医療等製品も年々増加しているものの、本領域における研究開発品は依然として臨床段階で明確な有効性を示すことができていないものも多く、アンメットメディカルニーズを十分に満たしている状況ではないと考える。また、異分野の研究者や産業界の参入が十分とは言えず、規制・倫理領域や遺伝子治療の若手研究者の育成が急務である等の課題がある。このように本プロジェクトを通して明らかになった課題を解決し、引き続き国際的な競争力を維持するためにも、発生や分化等の基礎研究への十分かつ継続した支援が必須であるとともに、今後は、遺伝子治療をはじめとする分野内連携及びAIやデータサイエンス等の異分野連携により、本領域のブレークスルーとなるような新しい研究成果の創出に期待する。

（4）今後の展望

- 再生・細胞医療・遺伝子治療は我が国の生命科学の将来において極めて重要である。次世代の画期的な発見や技術開発を目指した研究開発、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・周辺技術に関する研究開発を積極的に支援し、基礎的理解を深め、科学的な裏付けの下での臨床応用を進めることが重要である。若手研究者の育成支援を継続するとともに、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を実施する必要がある。世界的にiPS細胞関連の基礎・応用技術開発の競争が激化している中で、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、若手研究者の育成及び社会への成果発信等に中心的な役割を果たすことを期待する。

- 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解析・創薬研究では、低分子化合物に限らずモダリティの多

様性を志向したプロジェクトの展開が必要と考える。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であり、疾患の種類や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の取組を行うべく、一層の充実・強化がなされるべきである。

- 規制・倫理領域の若手研究者の育成が急務である。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である。
- 遺伝子治療については、近年、海外において活発に研究開発が行われているが、我が国においては研究基盤が不十分である。そのため、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や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が期待される。

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設置要綱

1. 設置の目的

再生医療実現拠点ネットワークプログラム（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、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（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4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) 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。
- (6) 主査が必要と認めるときは、委員以外の関係者の出席を求め、検討会に参加させることができる。
- (7) 主査が必要と認めるときは、委員は、Web 会議システム（映像と音声の送受信により会議に出席する委員等の中で同時かつ双方向に対話をすることができる会議システムをいう。以下同じ。）を利用して会議に出席することができる。
- (8) Web 会議システムの利用において、映像のみならず音声を送受信できなくなった場合、当該 Web 会議システムを利用して出席した委員等は、音声を送受信できなくなった時刻から会議を退席したものとみなす。

5. 設置期間

委員会の設置が決定された日から令和4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

委員及び主査が必要と認めて出席した委員以外の者は、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。

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 委員名簿

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 憲三朗	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 サイエンティ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

令和3年10月31日現在

以上9名（敬称略、50音順）

◎：主査

※：技術開発個別課題の評価には加わらない

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

事後評価委員会スケジュール

2021年12月6日（月） 17:00～19:00

第1回事後評価委員会

（評価委員会の設置、評価法の説明、ヒアリング等）

2021年12月7日（火）～2022年1月14（金）

委員による書面審査

2022年1月28日（金） 17:00～19:00

第2回事後評価委員会

（「事後評価票（案）」）の審議、確定等）