



文部科学省

MINISTRY OF EDUCATION,  
CULTURE, SPORTS,  
SCIENCE AND TECHNOLOGY-JAPAN

# 再生医療の実現化に向けた政策

「再生医療：医療化へのロードマップ」シンポジウム

平成21年3月15日

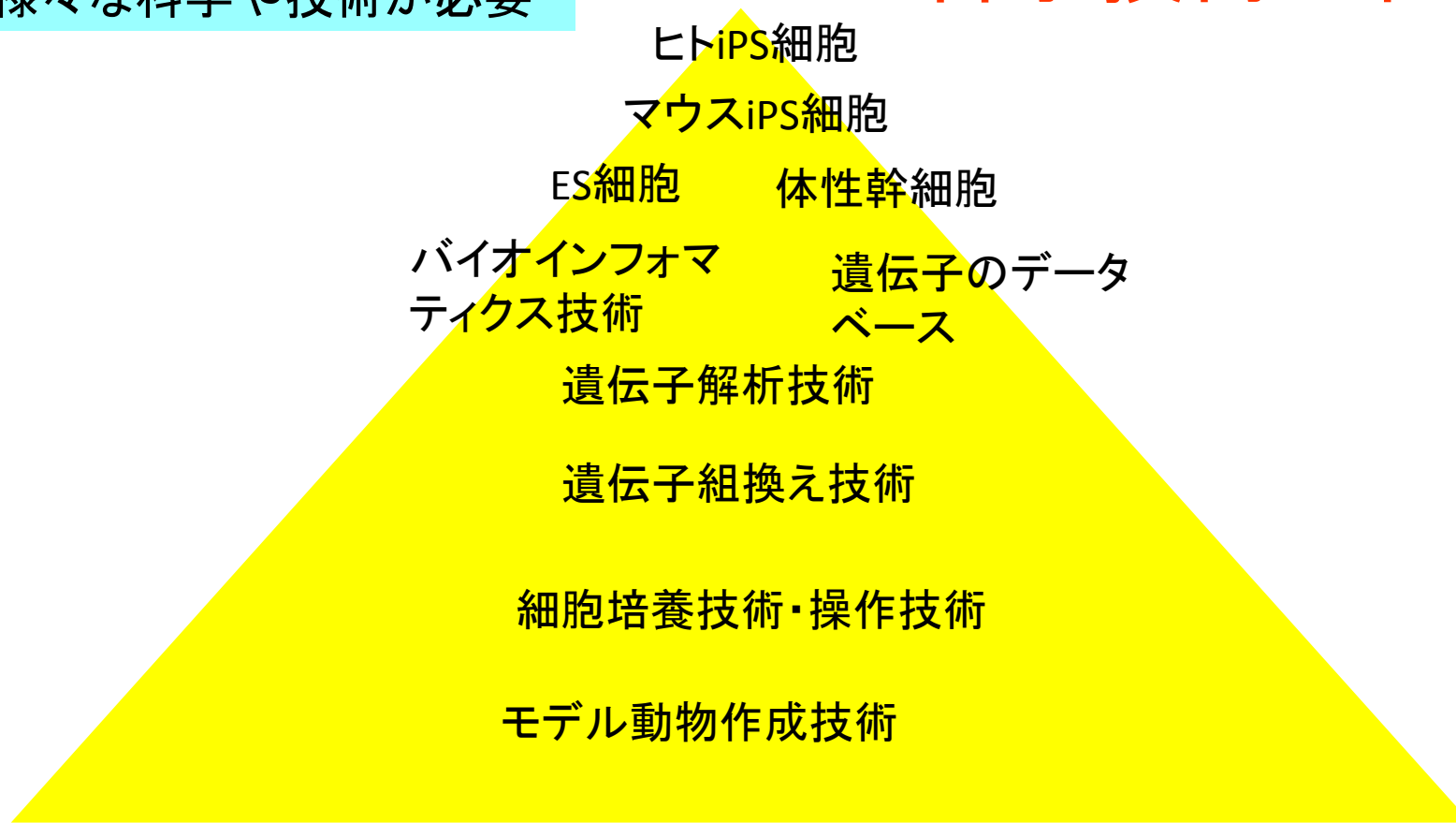
文部科学省研究振興局ライフサイエンス課長

菱山 豊

# iPS細胞研究を支える科学と技術

最先端の研究を行うためには  
は様々な科学や技術が必要

科学技術の総合力



# iPS細胞研究のロードマップ

基礎研究・前臨床研究

臨床研究・治験

医療応用・産業利用

大学・理化学研究所等

産業界

初期化メカニ  
ズム研究

iPS細胞  
樹立

安全な細胞作製研究、分化技術開発、治療技術開発、再生医療

患者からのiPS細胞樹立、疾病メカニズム研究、薬剤スクリーニング

知的財産権の確保・活用

臨床研究指針、治験の審査基準等の整備

文科・厚労・経産各省の連携

# iPS細胞（人工多能性幹細胞）研究等の加速に向けた総合戦略改訂版

平成21年1月20日 文部科学大臣決定

## 総合戦略改訂版策定の目的

- ・ヒトiPS細胞の樹立成功の発表を受け、我が国のiPS細胞研究等を日本全体で戦略的に進めていくために、平成19年12月に総合戦略、平成20年3月に同総合戦略の具体化を策定。
- ・総合戦略策定後の支援の実施状況を振り返るとともに、総合科学技術会議により策定された「iPS細胞研究の推進について（第一次とりまとめ）」（平成20年7月）等も踏まえ総合戦略を改訂。
- ・総合戦略の実施に当たっては、総合科学技術会議及び関係府省における検討とも十分に連携して進める。

## 1. 体制整備に関する取組

- (1) 幹細胞・再生医学研究の振興方策等の検討
  - ・幹細胞・再生医学戦略作業部会において引き続き検討を実施中。
- (2) 日本全体の研究推進体制の確立と支援
  - ・iPS細胞研究等を加速し、総合的に推進するため、「文部科学省iPS細胞等研究ネットワーク」を構築した。
  - ・関係府省と緊密な連携の下、日本全体での総合的な研究推進体制の構築に向けて引き続き支援する。
- (3) 中核的研究組織の整備
  - ・世界トップレベル研究拠点プログラムを活用し、中核的研究組織として「iPS細胞研究センター」を設置した。
  - ・文部科学省は、iPS細胞研究センターの現在整備中の施設の完成を支援する。

## 2. 新たな制度等に関する取組

- 新**(1) 先端医療開発特区（スーパー特区）の活用
  - ・特区制度に基づき、研究資金の統合的かつ効率的運用等を通じ、iPS細胞の実用化促進を図る。
- 新**(2) 革新的技術戦略の着実な展開
- (3) iPS細胞研究等を推進する上での倫理面の配慮

## 3. 研究の推進及び社会還元に関する取組

- (1) iPS細胞等に関する基礎研究の加速
  - ・JST戦略的創造研究推進事業や科学研究費補助金等を通じて、iPS細胞関連の基礎研究を引き続き支援する。
- 拡**(2) iPS細胞等を用いた再生医療の実現化に向けた研究の加速
  - ・「再生医療の実現化プロジェクト」を通じて、さらなる支援を拡充。
- 新**(3) iPS細胞研究等の拡充に向けた基盤構築
  - ・iPS細胞の標準化技術や品質管理等の基盤となる「iPS細胞技術プラットフォーム」の運用を支援。
- 新**(4) 産学官連携によるiPS細胞等の成果の社会還元の加速

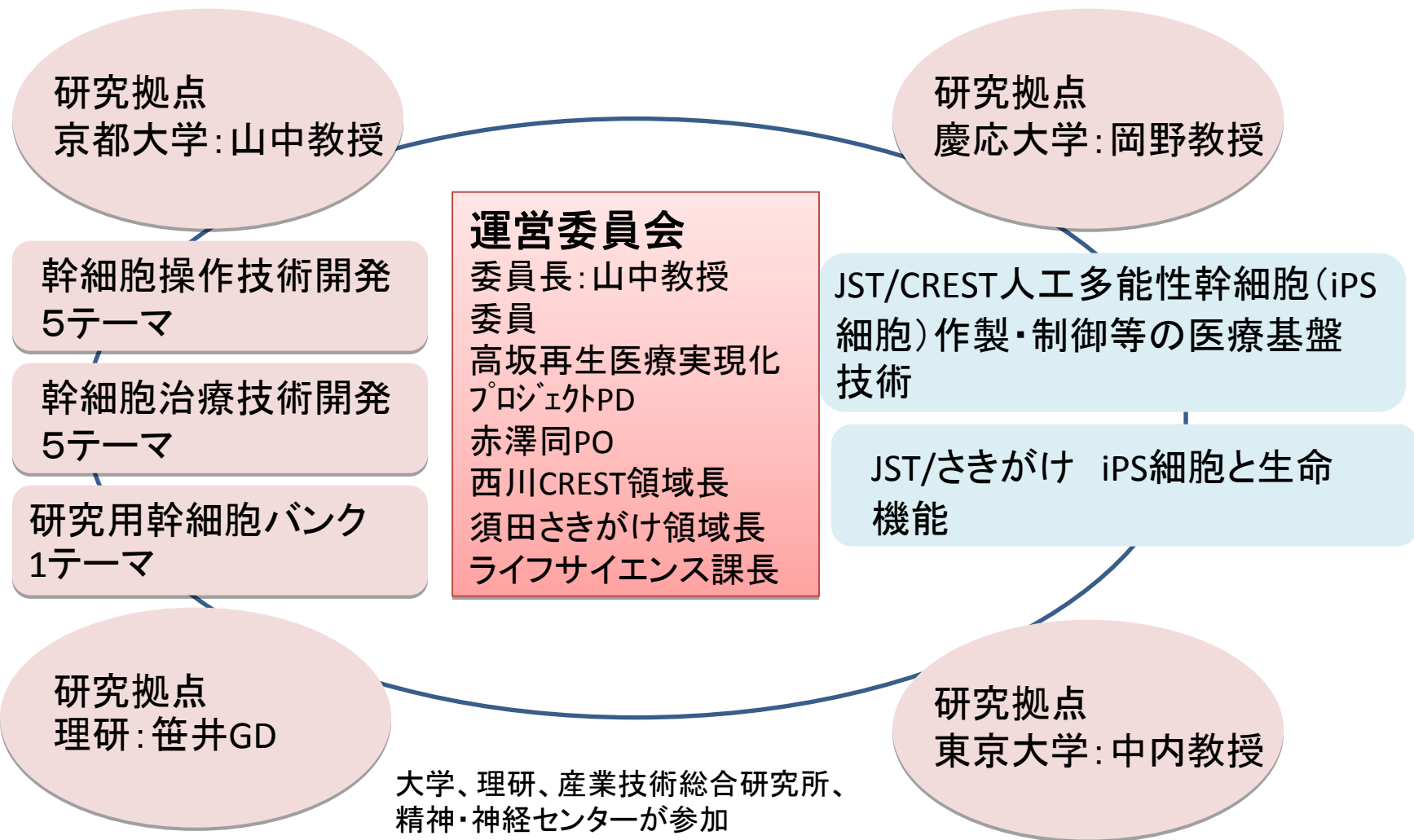
## 4. 研究環境整備に関する取組

- 新**(1) 若手研究者の育成・人材交流の推進
- 新**(2) 国際化支援・研究者交流等の推進

## 5. 知的財産に関する取組

- (1) iPS細胞に関する特許の確保
  - ・iPS細胞樹立方法の特許が日本で成立（平成20年9月）。
  - ・必要に応じた知財専門家の研究機関への派遣、海外の関連知財動向調査、海外特許申請等を支援する。
- 拡**(2) iPS細胞に関する知財の管理・活用体制の整備
- (3) iPS細胞の利用の円滑化

# 文部科学省iPS細胞等研究ネットワーク



# 平成21年度拡充内容 ～iPS細胞技術プラットフォーム～

平成20年度整備したiPS細胞等研究拠点において、iPS細胞研究の基盤を整備し、わが国の研究体制を強化する。

## 疾患特異的iPS細胞の樹立・提供

患者から提供される体細胞から、最適誘導技術によりiPS細胞を樹立・提供することにより、疾患発症機構の解明、薬剤候補物質の探索、薬理試験系に資する基盤を構築し、iPS細胞研究の成果を速やかに人々へ還元

### 疾患のメカニズムの解明

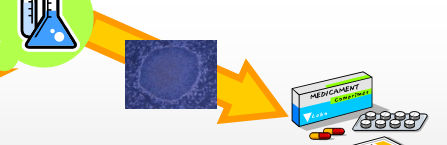
未だ発症機構が解明されていない多くの疾患に対して、予防・治療アプローチを提供する。



難病や稀な疾患、組織が得られにくい中枢神経系等の疾患の患者からiPS細胞を作製し、それを用いた疾患のメカニズムの解明や、治療方法の開発等に役立てる。

### 創薬へ展開

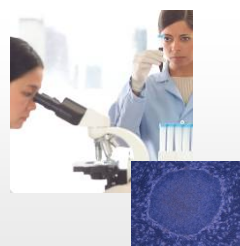
ヒト細胞試験系を活かして、有望な薬剤候補群を効率的に選抜する基盤を提供する。



iPS細胞から分化させた各種細胞、組織を用い、薬剤の候補物質の薬効等を調べる選抜試験（スクリーニング）に役立つ技術基盤を構築

### 医薬品の副作用を未然に防止

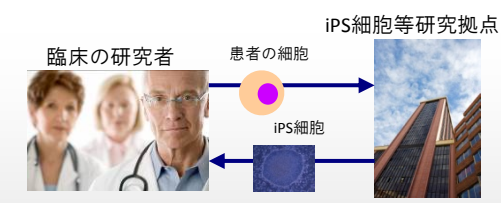
従来、上市後に見いだされた副作用を、事前に高感度に検出する薬理試験系を提供する。



例えば、ヒトiPS細胞から分化させた心筋細胞、肝細胞などを用いた毒性の試験系や、ヒトiPS細胞を用いた催奇形性の試験系等の基盤構築と規格化

### 臨床等他分野の研究者との連携

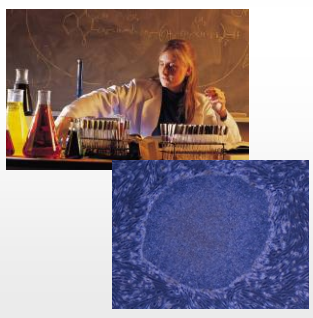
患者等から提供された体細胞を、iPS細胞にして返すことにより、臨床研究を推進する。



拠点において、患者の細胞からiPS細胞を作製して臨床の研究者に返すことで、iPS細胞作製技術のない臨床の研究者もiPS細胞を用いた研究が可能となる。

## 細胞の標準化

iPS細胞の臨床応用を目指した細胞の標準化、分化誘導して得た目的細胞の特性、品質や純度を確認する技術の開発研究。



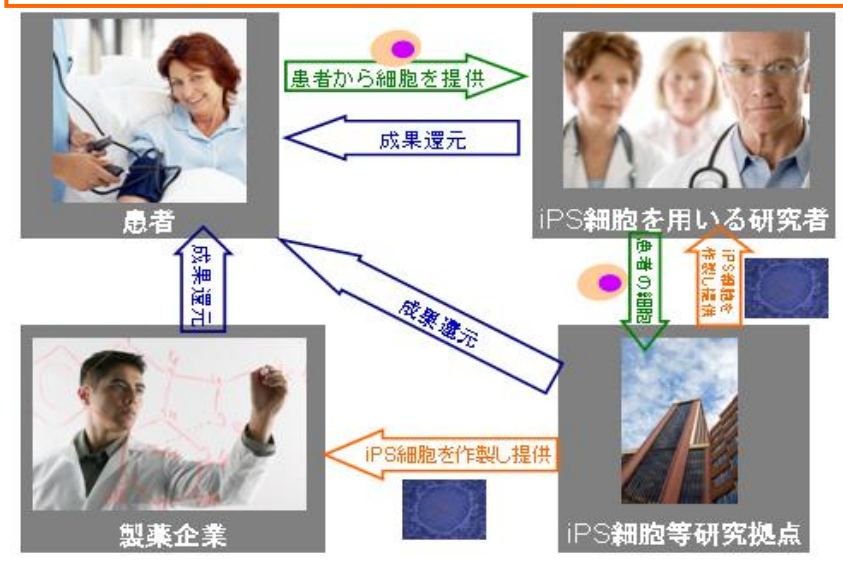
臨床応用のためには、安全性・安定性の確保が重要となるため、得られた細胞の品質管理や、標準となる細胞の整備が必要である。

## 細胞誘導の技術講習会・培養トレーニングプログラムの実施

細胞誘導の技術講習会、培養トレーニングプログラムの実施によって研究者の裾野の拡大し、iPS細胞研究における国際競争力の強化を図る。



## iPS細胞技術プラットフォームの全体像

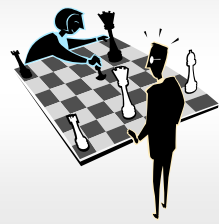


# 平成21年度拡充内容 ～知的財産戦略および管理・活用体制強化～

## 目的・概要

総合科学技術会議 i P S細胞研究WGの「i P S細胞研究の推進について（第一次とりまとめ）」（平成20年7月3日）においても、激しい国際的な知的財産競争を勝ち抜くために、日本国内のみならず海外も含めた戦略的な特許出願及び取得を最速で行い、知的財産権を確保するために国としても迅速かつ強力な支援を行うことが提言されている。これらを踏まえ、文部科学省では、iPS細胞等研究ネットワークを活用し、再生医療の実現化のために必要な国際競争を見据えた知的財産ポートフォリオの構築、及び知的財産戦略や管理・活用体制の強化を行う。

## 国際競争を見据えた知的財産戦略



- ライフサイエンスに強く、国際的な知財戦略を行える弁理士のコンサルティング等により、各機関において産業財産権取得を見据えた効率的・効果的な研究開発戦略が可能となるスキームの構築を目指す。

## 知的財産の管理・活用体制の強化



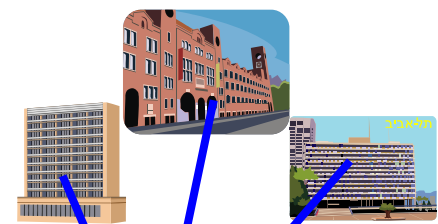
- 各機関にて整備されているTLOや知財管理法等を利用しつつ、機関内外の関連する知的財産を有効活用した研究推進体制の構築のために、知的財産の管理及び活用体制の強化を目指す。

## 知的財産ポートフォリオ※の構築



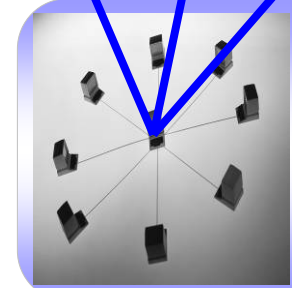
- 関連特許や業界の技術動向の調査を行い、その調査結果を有効活用することにより、効率的・効果的なiPS細胞等の研究開発戦略の構築等を目指す。

## 全体のスキーム



### 本プロジェクトの実施機関

- 以下のネットワーク内では他の機関の求めに応じ、知財を原則無償で実施許諾する。
- 研究計画において、知財に関するコンサルティング等を受ける。



文部科学省iPS細胞等研究ネットワーク  
本ネットワークにおいて、知的財産権、研究成果の公開、機密保持等の観点に関する共通的なルールを定めており、知的財産の円滑な利用や一元管理等により効率的な運用を図る。



### 知財戦略の専門家

本事業に参画する各機関からの、上記ネットワークを通じた支援要請に応える。

※知的財産ポートフォリオとは、保有する特許の評価と業界の技術動向を踏まえた全体としての強み弱みを判断する際に活用する指標であり、特許戦略の構築、ライセンス交渉の有利な展開、研究開発戦略の構築等のベース（特許庁HPより）

# ES細胞に関する米国の動向と日本

3月7日のAPの見出し: Source: Obama to reverse limits on stem cell work

3月7日夕刊読売新聞の見出し: 米のES細胞研究、停滞脱す...オバマ大統領が助成解禁へ



- 日米で背景となる事情が異なる。
- 日本では米国のような制限はない。
- ES細胞の研究は、iPS細胞ができてても重要。



# ヒトES細胞指針の改定に向けて

- ヒトES細胞指針策定までの経緯
- 歴史、文化、宗教などが関係する問題
- 最先端の課題であり、制度を直輸入というわけにはいかない。
- 社会との調和
- 研究や審査の経験の蓄積

# 橋渡し研究・臨床研究に対する取組

## 【現状】

大学等における基礎研究の成果には、優れたものが多い。しかし、医療として実用化されたものは少ない。

## 【理由】

- 研究者は、論文を出すことで満足し、研究成果の実用化に向けての開発研究には消極的
- 臨床研究のインセンティブが低い
  - 時間、労力がかかるが、論文になりづらい
  - 研究に対する評価が低い
  - 研究に専念できる時間が少ない
  - ポスト(キャリアパス)がない
- 研究体制が弱い
  - 実施機関が不足
  - 臨床研究を行う医師、専門家が少ない
  - 病院の規模が小さく、症例等が集まらない
- ヒトに対する安全性・有効性が示されないと企業は投資困難
- 研究費が不足している

## 【文部科学省の取組】

### <体制整備>

- 国立大学病院に治験管理センターを整備
- 国立大学の臨床研究に対する支援

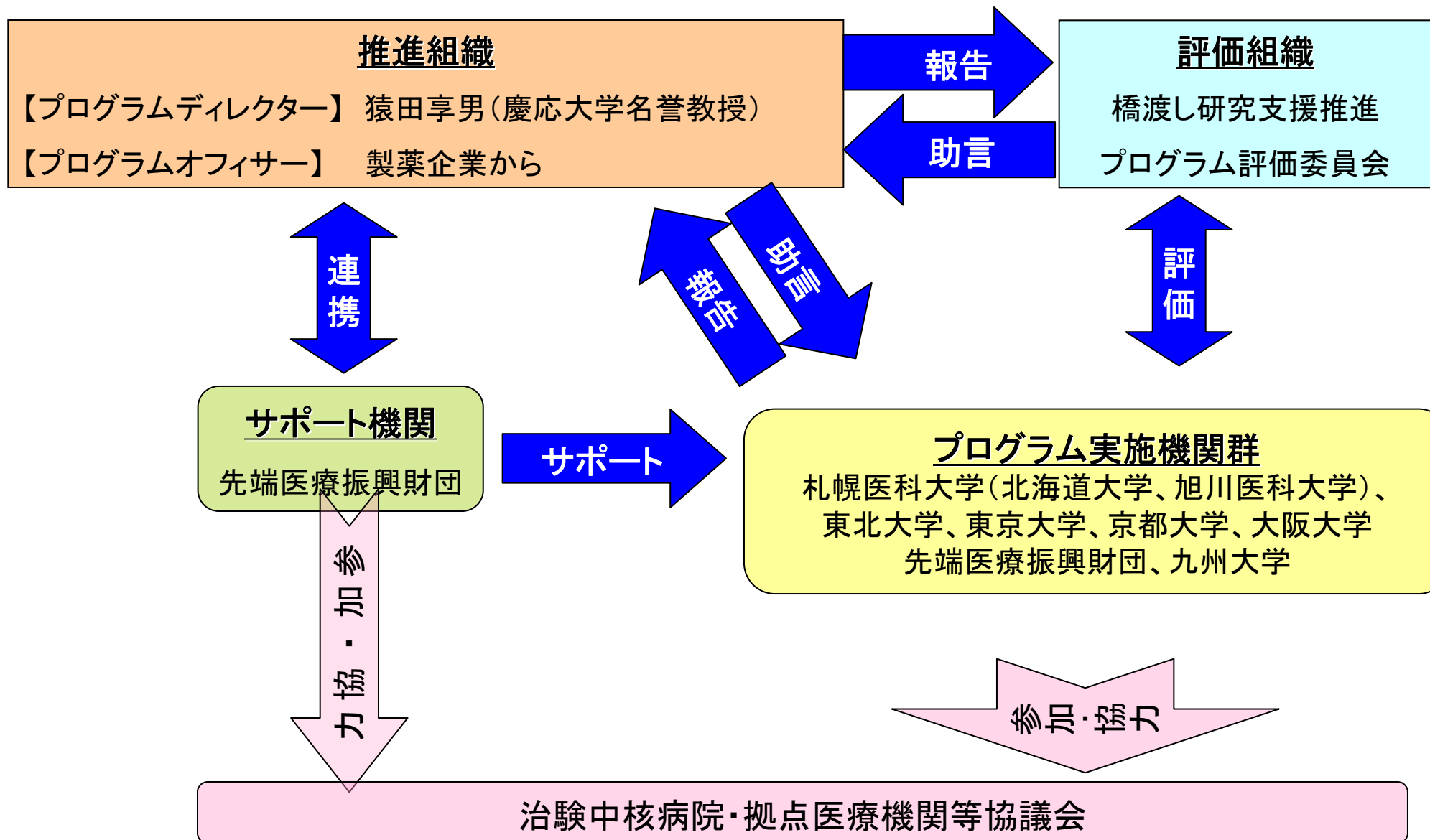
### <人材育成>

- 治験コーディネータ養成研修の実施
- 質の高い臨床研究者や研究支援人材を育成する優れた取組を支援

### <研究開発>

- 橋渡し研究の支援を行う機能を拠点的に整備

# 橋渡し研究支援推進プログラムの実施体制



# 再生医療の実現に向けて

## 1. 産学連携

- ・患者にとどけるためには、産業化が必要
- ・スクリーニング、標準化

## 2. 特許の取得・管理・活用

- ・幹細胞の特許や海外の知財制度に関する専門家
- ・研究者(発明者)側にとっても、産業(利用者)側にとっても利益になるような特許の管理・活用

## 3. 臨床研究体制の強化

- ・基礎研究を臨床につなげ、かつ、臨床研究の実施が可能となるような体制の整備

## 4. 臨床応用のための基準策定

- ・幹細胞からの分化細胞の細胞治療、分化細胞の創薬スクリーニング使用のための基準作り