

次世代の医療を産む再生医療・創薬の課題、展望及びとるべき方策
ー i P S 細胞研究及びその臨床応用に向けた取り組みの経験からー

京都大学 i P S 細胞研究所長 山中 伸弥

1. i P S 細胞の再生医療・創薬への応用に向けた展望

・別添資料 1～3 ページ

2. 再生医療の推進に向けた課題と方策

1) 各種審査基準の明確化

- ・開発費用、開発期間が無駄にならないよう、早急にストック用 i P S 細胞の規格や審査基準や iPS 細胞由来分化細胞を用いた臨床研究・治験の審査基準を策定することが必要
- ・日本発の i P S 細胞・分化細胞を海外にも普及させるため、ドナーの選択基準や細胞培養に用いる原材料の基準、さらには製造や検査を実施する施設基準など、国際的な調整・交渉と整合化が必要

2) 臨床研究・治験の準備・実施の支援

- ・非臨床研究、臨床研究、治験、製造承認には 20 年近い時間がかかり、再生医療製品は、低分子医薬品や医療機器と比べ、製造プロセスも多く衛生管理も極めて高度、かつ試験検査にも多額の費用を要するので、切れ目のない長期的支援、一貫したサポート体制が必要

3) 再生医療関連産業の育成支援・競争力強化

- ・再生医療に用いる原材料（細胞など）の大量かつ安定的な国内生産及び供給体制が不可欠で、製品（細胞など）の生産及び供給体制に応じた規制が必要
- ・日本が得意とするロボット技術などを活かすことで、世界に先駆けて自動大量培養装置や産業化の核となる周辺装置が開発できるよう産学連携への支援が必要
- ・国内実施体制の無いウイルス検査について、信頼性・国際競争力の高い試験検査実施体制を構築することが必要

4) 産業界の支援

- ・大学や公的研究機関が、単独で GMP 管理下での製造・品質管理体制を構築することは極めて困難で民間企業との協力が不可欠であり、産学が協同して実用化を促進する事業が必要

3. 創薬の推進に向けた課題と方策

- ・再生医療に比べて研究費支援が少なく、欧米に差をつけられつつあるので、各省庁一体で、基礎研究・橋渡し研究・応用研究への一貫性のある支援が必要
- ・特に、疾患 i P S 細胞を用いた創薬事業の場合は、基礎と臨床との間の緊密なフィードバックが不可欠であり、そのためには両者に対する同時支援が必要
- ・疾患 i P S 細胞を用いた創薬に興味を持つ製薬企業が増えているので、研究者－企業間の個別の共同研究を公的プロジェクトと並列・連携して実施できる体制作りが必要
- ・大学の研究者はスクリーニング系を構築することはできても、リソース（化合物ライブラリー）を殆ど有しておらず、また大量スクリーニング化技術に乏しいため、研究が途中で止まってしまうことか

ら、これらのリソースや技術を有する製薬企業の協力が不可欠で、産学協同への継続的な支援が必要

4. 共通する課題と方策

1) 知財への対応

- ・ 知財の確保と同じくらい（それ以上に）他者特許の侵害問題の解決は重要で、今後ますます訴訟等が増加することが予想されるので、大学等における体制構築や支援体制の整備が必要
- ・ 汎用性の高い技術に係る第三者特許（特に海外ベンチャー保有の特許）については、個別大学等の問題ではないので、国家レベルで侵害問題を検討・解決する仕組みが必要

2) 研究環境（施設インフラと支援人材）の充実

- ・ 複数のラボが効率的かつ効果的に研究を進めるには、インタラクティブな研究環境が必須で、研究施設インフラの更新頻度を加速し、オープンラボ化などを進めることが必要（別添資料4ページ）
- ・ 知財、規制、倫理、広報といった研究の推進を支援する専門家や、日進月歩で進歩する実験装置や実験技術の変化に柔軟に対応できる技術者の確保が不可欠で、これら優秀な研究支援人材を育成するための教育体制の制度か、そして安心して働き続けることができる制度や処遇、さらには公的な資格認定制度を取り入れたキャリアパスの明確化が必要

3) 研究を推進しやすい柔軟な予算制度の構築

- ・ 予算の効率的かつ効果的な執行を行うためには、研究の加速や減速などの進捗状況に応じ、前倒しや繰り越しが柔軟に行える予算制度（基金など研究費のプール化）が必要
- ・ 省庁毎やプロジェクト毎に厳格な縦割りで予算を管理するのではなく、国民目線で目指すゴールを合理的に達成できるよう、異なるプロジェクトや複数府省の予算の相乗りが認められることが必要

4) 倫理的・法的・社会的課題（E L S I : Ethical, Legal and Social Issues）

- ・ ヒト i P S 細胞の臨床応用には、倫理的・法的・社会的課題（例えば、倫理面では動物体内でのヒト臓器の作成やヒト生殖細胞の産生、法制面では細胞提供者の権利が及ぶ範囲の曖昧さ、社会的には保険診療への接続など）があるので、研究者だけではなく、社会全体で議論を行って丁寧な合意形成を経て決めていくことが必要

5) 次代を見据えた研究の推進方策

- ・ 研究者にも研究支援者にも、理系と文系のハイブリッドな人材が不可欠で、理系の学生にも、知財マインドや企業センス、倫理、アウトリーチ活動の経験を磨く教育プログラムを充実させることが必要
- ・ 研究者が魅力的な仕事になるには、研究に専念できる研究環境（ハードとソフト）の充実が欠かせないが、とりわけソフト面では、研究支援人材という職種が、一生の仕事として魅力的な職であることを示し、優れた研究支援者がいることで研究者が成果をあげ、さらに優れた人材が研究者や研究支援者を目指するという、好循環を生み出すことが必要
- ・ ブレークスルーを生み出す画期的な研究成果は、自由度の高い基礎研究から生み出されることが多いので、応用の目的を絞りすぎない基礎研究予算をより充実させること（応用研究の過程で発見されるブレークスルーの芽を育てるための研究費を応用研究費に含めること）と、芽の出た成果を見極めて応用に橋渡しする仕組みが必要。

以 上