

32. iPS 細胞研究所

I	iPS 細胞研究所の研究目的と特徴	32-2
II	「研究の水準」の分析・判定	32-3
	分析項目 I 研究活動の状況	32-3
	分析項目 II 研究成果の状況	32-6
III	「質の向上度」の分析	32-9

I iPS 細胞研究所の研究目的と特徴

iPS 細胞研究所は、世界初の iPS 細胞に特化し、基礎研究に留まらず応用研究まで推進することにより再生医療の実現に貢献する先駆的な中核研究機関として、平成 22 年 4 月に創設され、創設後 10 年間に達成すべき目標（ミッション）として

- ① iPS 細胞の基盤技術を確立し、知的財産を確保する
- ② 再生医療用 iPS 細胞ストックを構築する
- ③ 前臨床試験を行い、臨床試験を目指す
- ④ 患者さん由来の iPS 細胞による治療薬の開発に貢献する

を掲げ、以来その達成に務めてきた。

研究所は、初期化機構、増殖分化機構、臨床応用、基盤技術及び寄附研究部門である上廣倫理の計 5 研究部門で構成し、所長室、企画調整室、医療応用推進室、知財管理室、国際広報室の研究支援組織を独自に設置している。

上記の 4 目標をほぼ確実に達成できる見込みを得たことにより、平成 27 年 4 月、iPS 細胞研究をさらに発展させ、患者さんに新しい医療を届けるために、平成 42 年（2030 年）に向けた新たな中長期目標を次のとおり策定した。

- ① iPS 細胞ストックを柱とした再生医療の普及
- ② iPS 細胞による個別化医薬の実現と難病の創薬
- ③ iPS 細胞を利用した新たな生命科学と医療の開拓
- ④ 日本最高レベルの研究支援体制と研究環境の整備

また、上記第③の目標を達成するため、平成 27 年 6 月、初期化機構研究部門を「未来生命科学開拓部門」に改組し、活動を推進している。

研究の推進に際しては、再生医科学研究所、物質 - 細胞統合システム拠点（iCeMS）、医学研究科、医学部附属病院等と密接に連携し、共同研究の奨励と若手研究者の交流・育成に努めている。iPS 細胞研究の成果を医療応用に繋げるための研究の加速、若手研究者の育成、iPS 細胞研究を支える支援者の安定的・戦略的育成を支えるため「iPS 細胞研究基金」を設置し、その充実と有効活用を推進している。

[想定する関係者とその期待]

iPS 細胞研究所は、iPS 細胞の医療応用の早期実現を担う「iPS 細胞研究中核拠点」に認定されており、再生医療用 iPS 細胞ストックの構築を目指している。また、臨床応用可能な品質の iPS 細胞を作製・保管し、全国の大学・研究機関、医療機関、民間研究所・企業等に供給する役割を担っている。

これらの業務は、他に代替機関が存在しない、オールジャパン体制の中核機関の役割を担っており、その確実な遂行が義務づけられている。iPS 細胞の医療応用の具体化を踏まえ、iPS 細胞及び iPS 細胞から分化誘導させた臓器組織細胞の品質評価標準技術の開発・提供並びに評価の実施が上記の機関から、必須の要件として、強く期待されている。

本研究所は、ミッションとして知財の確保を推進しており、研究用資材の提供を含め、国内外の研究機関、企業との研究協力を推進している。iPS 細胞に関わる研究指導、研究者・技術者養成に対する期待も大きい。

また、一般の人々を対象にする講演会、研究紹介や見学会等にも積極的に対応しており、期待に応えるよう務めている。

II 「研究の水準」の分析・判定

分析項目 I 研究活動の状況

観点 研究活動の状況

(観点に係る状況)

(1) 論文、記者会見等による研究成果の発表状況

研究者による研究成果は、Nature、Cell 等、国際的に著名な学術誌に多く報告されており、学術論文の発表件数は高いレベルを維持している（表1）。記者会見等により研究成果を発表した件数も多く、国際的に注目される研究成果が相次いでいる。

表1 研究論文及び記者会見等による研究成果の発表件数

年 度	22	23	24	25	26	27
原著論文（欧文、査読有り）の発表件数	55	75	80	79	68	88
記者会見等による研究成果の発表件数	5	9	11	17	21	14

(2) 研究成果による知的財産権の出願・取得状況

iPS 細胞研究所では、独自に知財管理室を設置し、出願支援のみでなく、出願可能な成果の発掘を推進している。日本を始め、米国や欧州他の国々において iPS 細胞作製の基本特許を得ており（図1）、標準 iPS 細胞を含む研究資材の提供（別添資料1）に見られるように、知財の活用においても効果を上げている。

平成 28 年 3 月末現在の、iPS 細胞作製の基本特許を含む iPS 細胞関連特許の取得数は、国内外合わせて 110 件である（表2）。

表2 iPS 細胞・技術に関する特許の取得状況

年 度	22	23	24	25	26	27
国 内	3	3	4	11	24	34
海 外	3	13	24	33	66	76
計	6	16	28	44	90	110

※数値は各年度末の特許取得件数を示す

図1 iPS 細胞関連特許の成立した国や地域（平成 28 年 3 月末現在）



(3) 競争的資金による研究実施状況、共同研究の実施状況、受託研究の実施状況

本研究所の主要な競争的資金は、平成 21 年度から平成 25 年度までは、「内閣府最先端研究開発支援プログラム (FIRST)」であり、平成 25 年度からは、10 年間実施予定の「iPS 細胞研究中核拠点」が主たる競争的資金となっている。また、共同研究の実施件数は平成 22 年の 38 件から平成 27 年の 169 件に (表 3) 増加している。

表 3 共同研究の実施件数

年	営利機関	非営利機関	計
22	8	30	38
23	25	35	60
24	36	47	83
25	46	46	92
26	75	63	138
27	75	94	169

平成 27 年 4 月、iPS 細胞研究所は、武田薬品工業株式会社 (以下、「タケダ」) と、iPS 細胞技術の臨床応用に向けた 10 年間の共同研究プロジェクト T-CiRA (Takeda-CiRA Joint Program for iPS Cell Applications: 総額 200 億円) を開始した。本研究所の iPS 細胞技術、タケダの創薬技術というそれぞれの強みを生かし、iPS 細胞技術を用いた革新的な治療法の開発を目指している

(4) 競争的資金受入状況、共同研究受入状況、受託研究受入状況、寄附部門受入状況

全執行予算額の 90% 超が、競争的資金により賄われている (図 3)。また、平成 25 年度から 5 カ年の計画で、公益財団法人上廣倫理財団からの寄附により寄附研究部門として「上廣倫理研究部門」を設置している。予算執行額の経年推移を表 4 に示す。

図 3 iPS 細胞研究所の平成 27 年度予算執行額の概要

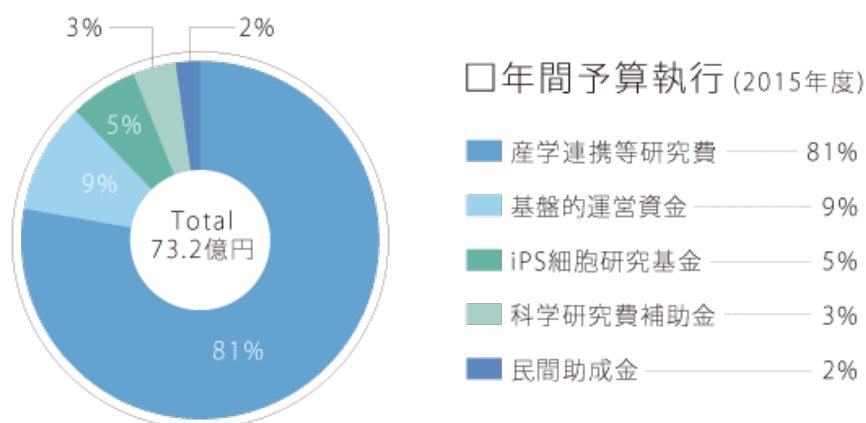


表4 予算執行額の推移

(億円)

年度	産学連携 等研究費	最先端 研究支援 PG	基盤的 運営資金	科学研究費 補助金	民間 助成金	iPS 細胞 基金	計
22	7.1	24.3	2.7	6.6	0.7	0.4	41.8
23	9.3	18.1	3.5	8.3	1.9	1.7	42.9
24	23.7	12.9	3.3	4.4	1.3	0.4	46.0
25	18.8	12.7	3.7	2.6	1.7	0.5	39.9
26	42.7	—	5.5	3.3	1.1	2.2	54.7
27	59.2	—	6.6	2.0	1.6	3.9	73.2

(5) 研究環境を改善・安定させるための独自活動

「iPS 細胞研究の成果を一日も早く社会に還元するため、iPS 細胞研究所において基礎から応用研究まで実施できる研究環境を整備し、研究の加速化を図る」ことを目的に、平成 21 年 4 月、iPS 細胞研究基金を設立した。平成 27 年度末の基金残高は 50.6 億円であり、知的財産の確保と維持、優秀な研究者、研究支援者の確保、安定的な研究の推進、医療応用に向けた研究費の支出等のために使用している。

(水準) 期待される水準を上回る

(判断理由) 現在、iPS 細胞研究並びにその医療応用を目指す応用研究が、世界各国において活発化しており、研究成果の相互比較・検証を支える視点から、国際標準となる iPS 細胞の作製や培養・保存技術、特定の臓器・組織細胞への分化誘導技術等の提案が、国内外の研究者、研究機関等から強く要請されている。本研究所は、体細胞の初期化機構の解明、医療応用可能な品質の iPS 細胞の作製、特定の臓器・組織細胞への分化誘導の各分野において、国際的に著名な学術誌における多くの成果発表等が示すように、世界をリードしている。

本研究所が初期に樹立し、世界に供給している iPS 細胞は、新たな iPS 細胞の特性を比較する標準 iPS 細胞として位置づけられている。iPS 細胞に加えて、iPS 細胞の作製に必要な研究資材の提供可能数、提供実績も多く研究成果のみならず、研究資材の提供においても大きく貢献している。

iPS 細胞の作製に関する内外の基本特許は京都大学 (iPS 細胞研究所) によって確保されており、研究目的等の利用に際しては、無料あるいは実費に近い廉価での使用許諾等、国内外での iPS 細胞研究の普及拡大に大きく貢献している。

本研究所は、運営に必要な経費の 90%超を競争的外部資金により賄っており、教職員の殆どを競争的外部資金、寄附金等により雇用している。研究所が掲げるミッションの達成には、教職員の安定的な確保が必要不可欠であり、資金獲得の面においても大きな成果を上げている。

難病と闘う患者さんや医療機関により、iPS 細胞及び iPS 細胞技術を利用した再生医療や創薬の早期実現が強く期待されており、全国の大学・研究機関、民間研究所・企業等からは、iPS 細胞の作製や治療用細胞への分化・誘導の標準法、疾患由来 iPS 細胞や研究資材、医療応用可能な品質の iPS 細胞の安定供給等が強く期待されている。上記に示したように、iPS 細胞研究所は、iPS 細胞の作製、目的細胞への分化・誘導の標準的な方法の多くを、他に先駆けて世界に発表し続けており、かつ基盤技術の知財化を研究所のミッションとして推進しその普及に努めると共に、内外の研究者・技術者を対象に技術講習を実施し、若手研究者・技術者の育成や技術普及に努める他、疾患由来細胞の寄託等、研究の裾野の拡大や再生医療・創薬産業の育成環境の整備にも貢献している。また、必要な経費の 90%超を競争的外部資金から確保している。

これらの研究活動実績から、「関係者の期待を上回る成果を挙げている」と判断できる。

観点 大学共同利用機関、大学の共同利用・共同研究拠点に認定された附置研究所及び研究施設においては、共同利用・共同研究の実施状況

(観点に係る状況)

該当なし

(水準)

(判断理由)

分析項目Ⅱ 研究成果の状況

観点 研究成果の状況

(観点に係る状況)

(1) 組織単位で判断した研究成果の質の状況

平成 22 年に iPS 細胞研究所が創設されて以来、研究成果の発表件数は経年的に大きく増加している。とりわけ、国際的に顕著な研究成果を著名な国際学術誌等に発表する際には、記者会見を開催し、マスコミ等により報道される事例が多い。(表 1 参照)

iPS 細胞の作製、分化誘導機構に関連する基礎研究に加えて、特定の臓器組織の作製や臨床応用、創薬に関連する応用研究が活発に行われ、関連する研究成果が多く発表されるようになってきたことがその原因である。

(2) 研究成果の学術面及び社会、経済、文化面での特徴

iPS 細胞研究所は、戦略的に iPS 細胞に関連する特許を確保し、iPS 細胞研究並びにその医療応用研究が国際的に活発化するよう、とりわけ研究目的の利用に際しては極めて廉価な価格でその利用を許諾する政策を一貫して採用している。また、作製した iPS 細胞や開発した研究資材を国内外の研究者、研究機関に提供している。更に、難病等の患者さんから提供された体細胞等から作製した、いわゆる疾患 iPS 細胞を、理化学研究所 BRC (Bio Resources Center) に寄託している。同時に、iPS 細胞の臨床応用を見据えた標準化、安全性を確保しつつ再生医療用 iPS 細胞ストックの構築を目指す研究を「iPS 細胞研究中核拠点」として遂行している。

研究成果の一部、例えば血液製剤、心筋細胞や軟骨細胞等については、本研究所における研究成果を基にベンチャー企業が設立され活動を開始している。難病に対する創薬開発研究も活発化しており、マスコミ報道等に見られるように、経済産業面での社会の期待も大きい。

本研究所が創設以来その早期達成を目指してきた再生医療に使用可能な品質の iPS 細胞を、日本人で最頻度の HLA 型の細胞から作製し、平成 27 年 8 月 6 日、再生医療用 iPS 細胞ストック第 1 号として提供を開始した。この iPS 細胞から作製した分化細胞は、日本人の約 17 パーセントに免疫反応が少なく移植可能と考えられる。

平成 26 年 9 月には、理化学研究所網膜再生医療研究開発プロジェクトの高橋政代リーダー等により iPS 細胞を用いた世界初の臨床試験が行なわれ、本研究所は、この臨床試験に用いられた細胞の品質評価に重要な役割を果たした。

(3) 研究成果に対する外部からの評価

iPS 細胞研究所は、毎年度、国際シンポジウムを開催している。シンポジウムには幹細胞研究分野における国際的に著名な研究者が招聘に応じている(表 5)。

表 5 国際シンポジウムの開催

シンポジウム名称	開催年月日	参加者数 (内、外国人)
CiRA International Symposium 2011 iPS Cell Research: From Reprogramming to Clinical Application	2011. 3. 31～4. 1	震災により中止
CiRA International Symposium 2012 Advances in Nuclear Reprogramming and Stem Cell Research	2012. 2. 23	270 (39)
CiRA International Symposium 2013 Raising the Next Generation of Stem Cell Research	2013. 3. 11～3. 12	547 (69)
CiRA International Symposium 2014 iPS Cells in Drug Discovery & Development	2014. 1. 17	567 (102)
CiRA International Symposium 2015 iPS Cells for Regenerative Medicine	2015. 1. 16	692 (200)
CiRA/ISSCR International Symposium 2016 From Basic Science to Therapeutic Applications	2016. 3. 22～3. 24	575 (201)

内閣府の支援を得て、平成 21 年度～同 25 年度に、山中伸弥教授を中心研究者として実施した「内閣府最先端研究開発支援プログラム (FIRST)」の事後外部評価では「目標を達成しており、世界をリードする世界トップ水準の研究成果が得られと判断される」との高い評価結果を得ている。

本研究所の研究者は、その研究成果に対し、多くの権威ある表彰、国際的に評価の高い表彰を受けている。例えば、所長である山中伸弥教授はウルフ賞 (平成 23 年)、文化勲章 (平成 24 年)、ノーベル医学・生理学賞 (平成 24 年)、ブレークスルー賞 (平成 25 年) 等を受賞している。また、所属研究者に対する特別講演・招待講演等の依頼件数も大幅に増加しており、当研究所の活動に対する注目・評価が高まっている (表 6)。

表 6 特別講演等の件数

年 度	22	23	24	25	26	27
特別・招待講演等の件数	37	98	102	121	445	556

また、研究所への訪問者、見学者も経年的に増加の傾向にあり、一般の方々を対象にする講演会 (平成 27 年度は講演会を 1 回実施、計 920 名参加)、サイエンスカフェや研究所見学会 (8 回開催、計 293 名参加) 等への参加者も多く、iPS 細胞研究や iPS 細胞研究所の活動に対する学术界、一般の関心は極めて大きい。

iPS 細胞研究やその医療への応用の見通し等、一般の方々や患者さんの団体等から多くの講演依頼が寄せられており、本研究所はこれらの依頼に積極的に応えている。

(水準) 期待される水準を上回る

(判断理由) iPS 細胞研究所は、平成 22 年 4 月に創設されて以来、着実に活動を活発にしている。創設に際して設定した「10 年間に達成すべき 4 目標」には、基礎研究に留まらず、知財の確保、再生医療用 iPS 細胞ストックの構築、臨床試験を目指すこと、治療薬の開発に貢献すること等、研究成果の医療への応用の促進を明確に掲げている。また、研究所設立後 5 年間の活動を自己評価し、当初の予定を上回る早さでの目標達成が確実であることから、平成 27 年 4 月に、平成 42 年 (2030 年) 迄に達成すべき目標を掲げている。

研究成果の発表、iPS 細胞研究を普及させるための知財戦略、標準 iPS 細胞や研究資材の

京都大学 iPS 細胞研究所

提供、疾患由来 iPS 細胞の寄託、iPS 細胞中核研究拠点として再生医療用 iPS 細胞ストックを構築する取り組み、共同研究を介しての産業化への指導・協力等の活動に加えて、一般を対象にする研究成果の普及・還元等の諸活動にも積極的に取り組んでいる。所属研究者に対する受賞、特別講演・招待講演等の依頼件数の増加等から、当研究所の活動に対する注目・評価の高まりを伺うことができる。

iPS 細胞研究所は、「iPS 細胞研究中核拠点」として医療応用可能な品質の iPS 細胞のストック事業を遂行しており、平成 27 年 8 月にその第 1 号の出荷を達成し、以来、全国の大学・研究機関、医療機関、民間研究所・企業等に供給する活動を開始している。

また、平成 26 年 9 月に実施された加齢黄斑変性に iPS 細胞から作成された網膜色素上皮細胞の品質評価に際しては、iPS 細胞研究所が連携して評価に協力した。表 1 に示した様に、記者会見等により顕著な研究成果として公表した件数も多く、また、世界の多くの国・地域において知財を確保している（表 2）他、共同研究の推進（表 3）や一般の人々を対象にする講演会（表 6）、研究紹介や見学会等にも積極的に対応しており、期待に応えている。加えて、必要な経費の 90%超（図 3）を競争的外部資金から確保していること等から「関係者の期待を上回る成果を挙げている」と判断できる。

Ⅲ 「質の向上度」の分析

(1) 分析項目Ⅰ 研究活動の状況

第1期中期目標期間においては設置されていなかったため、該当なし

(2) 分析項目Ⅱ 研究成果の状況

第1期中期目標期間においては設置されていなかったため、該当なし