

## 32. iPS 細胞研究所

|                       |       |
|-----------------------|-------|
| (1) iPS 細胞研究所の研究目的と特徴 | 32-2  |
| (2) 「研究の水準」の分析        | 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         | 32-10 |
| 【参考】データ分析集 指標一覧       | 32-12 |

## (1) iPS 細胞研究所の研究目的と特徴

iPS 細胞研究所は、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世界初の先駆的な中核研究機関として、平成 22 年（2010 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。

創設後 5 年間の活動により上記の 4 目標を加速達成したことにより、平成 27 年（2015 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、令和 12 年（2030 年）に向けた新たな達成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

この目標は所内掲示、ホームページ掲載、講演会等において紹介する等、その周知・共有に努めている。

研究の推進に際しては、医学研究科、医学部附属病院、ウイルス・再生医科学研究所、高等研究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。

## (2) 「研究の水準」の分析

### 分析項目 I 研究活動の状況

#### <必須記載項目 1 研究の実施体制及び支援・推進体制>

##### 【基本的な記載事項】

- ・ 教員・研究員等の人数が確認できる資料（別添資料 5232-i1-1）
- ・ 本務教員の年齢構成が確認できる資料（別添資料 5232-i1-2）
- ・ 指標番号 11（データ分析集）

##### 【第 3 期中期目標期間に係る特記事項】

○本研究所は、未来生命科学開拓、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、基礎から応用まで一貫して iPS 細胞の実用化のための研究を進めている。

また、他部局にある通常の事務組織に加えて、独自に研究支援組織として、所長室、医療応用推進室、国際広報室、企画調整室、基金室及び人材開発室を設置し、所長の補佐と研究者が国内外で円滑に活動し研究に専念できるよう様々な面で支援する体制を構築している。（図 1） [1.1]

図 1 組織図



##### ○iPS 細胞研究基金

iPS 細胞研究の成果を一日も早く社会に還元すべく、本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ため、平成 21 年 4 月に iPS 細胞研究基金を設立した。毎年多くの寄附が寄せられており、医療応用や革新的研究の支援、優秀な研究者・研究支援者の確保、雇用の安定化推進、知的財産（特許）の確保と維持、研究支援体制・研究環境改善の取り組み、情報発信・普及活動等に活用している。基金室のサポートの下、部局長自らが中心となり積極的な寄附募集活動を行い、寄附の申込件数及び寄附金額は年々増加している（表 1）。この貴重な財源を長期にわたり効果的に活用し、革新的な基礎研究が続けられる環境を整え、再生医療研究や創薬研究の成果を社会に還元すべく邁進している。 [1.1]

## 京都大学 iPS 細胞研究所 研究活動の状況

表 1 iPS 細胞研究基金申込件数及び寄附金額

| 年 度   | H28       |            | H29       |            | H30       |            | H31/R1    |            |
|-------|-----------|------------|-----------|------------|-----------|------------|-----------|------------|
|       | 件数<br>(件) | 金額<br>(千円) | 件数<br>(件) | 金額<br>(千円) | 件数<br>(件) | 金額<br>(千円) | 件数<br>(件) | 金額<br>(千円) |
| 個 人   | 12,317    | 1,851,441  | 19,032    | 3,112,089  | 23,551    | 3,199,834  | 13,676    | 2,185,586  |
| 法人・団体 | 856       | 514,240    | 1,056     | 655,045    | 1,161     | 1,605,599  | 627       | 237,145    |
| 計     | 13,173    | 2,365,682  | 20,088    | 3,767,134  | 24,712    | 4,805,433  | 14,303    | 2,422,731  |

※H31/R1 は 9 月末までの集計

- ・ iPS 細胞研究基金ホームページ（別添資料 5232-i1-3）

### < 必須記載項目 2 研究活動に関する施策／研究活動の質の向上 >

#### 【基本的な記載事項】

- ・ 構成員への法令遵守や研究者倫理等に関する施策の状況が確認できる資料  
(別添資料 5232-i2-1～10)
- ・ 研究活動を検証する組織、検証の方法が確認できる資料  
(別添資料 5232-i2-11～12)
- ・ 博士の学位授与数（課程博士のみ）（入力データ集）

#### 【第 3 期中期目標期間に係る特記事項】

○本研究所では、京都大学が規定する 3 年に 1 度の教員評価とは別に年度毎に独自の評価を実施しており、また、定員内教員を含めて全教員に任期制を導入して中間評価（教授は必須）及び再任評価を実施し、常に研究活動の質の向上を図っている。

また、若手研究者育成の取り組みの一環として、令和元年度に「次世代研究者発掘・育成プロジェクト」を立ち上げ、将来を担う若手研究者を発掘し、主任研究者として採用のうえ、世界トップレベルで活躍できる研究者の育成を目指している。 [2. 2]

- ・ 京都大学教員の任期に関する規程（別添資料 5232-i2-13）
- ・ iPS 細胞研究所特定拠点教員の任期に関する内規（別添資料 5232-i2-14）

○平成 27 年 4 月、達成目標の改定に伴い、細胞の初期化機構を解明する基礎研究の成果や iPS 細胞を活用する新たな生命科学・医療分野を切り開く研究活動を推進することを目指し、「初期化機構研究部門」を「未来生命科学開拓部門」に名称変更するとともに、主任研究者の研究の発展を踏まえ、平成 30 年度には、研究部門間で主任研究者を移動させる組織変更を行い、研究力強化と所内流動性の確保を図っている。 [2. 2]

## 京都大学 iPS 細胞研究所 研究活動の状況

○令和元年9月に本研究所の一部の機能を分離し、iPS細胞の臨床応用のための支援、推進、研究開発、細胞製造、普及活動等を行うべく一般財団法人 iPS 細胞研究財団を設立し、10月に公益財団法人認定を申請した。認定されれば、それぞれの設置形態の特性を活かしつつ引き続き一体となって最先端の iPS 細胞研究とその医療応用を担う予定である。 [2.1]

- ・ iPS 細胞研究財団ホームページ (別添資料 5232-i2-15)

○本研究所では、公正に研究活動が行われることを担保する仕組みの一つとして以下の研究不正再発防止策を実施している。 [2.1]

### (1) 実験ノートの管理

医療応用推進室知財グループにおいて、3か月毎に一度定期的に、大学院生を含む全ての研究者を対象に実験ノートを確認している。実験ノートの記載状況等を3段階で評価し、研究室ごとの実験ノート提出率を集計している。評価結果は各研究室の主任研究者に共有される。また、研究室ごとの実験ノート提出率及び評価結果は所内全研究室に共有され、提出率及び評価がよくない研究室に対しては個別に指導する等必要な措置を講じている。

### (2) 研究データの一括管理

研究者は実験機器等により実験データを得た場合には、当該データを所定の保存領域に保存するとともに必ず実験ノートに記載することとしている。また、研究者が研究成果を論文発表したときは、当該論文等の最終稿とともに論文の図表ごとに関連するデータ(生データ及び加工データの全て)を分類、電子格納し、医療応用推進室知財グループに提出することをルールとしている。これらの対策により生データを研究所において確実に保存し、改竄、改変等が不可能な管理下で長期保存することとした。さらに、令和元年11月1日、実験機器から実験データを直接収集、系統的にアーカイブ化し情報管理室において集中一括管理するシステムの運用を開始した。

- ・ iPS 細胞研究所における研究データの保存に関するガイドライン  
(別添資料 5232-i2-16)
- ・ iPS 細胞研究所における実験ノート及び研究データの提出に関する申合せ  
(別添資料 5232-i2-17)
- ・ iPS 細胞研究所における実験0次データ保存ルール  
(別添資料 5232-i2-18)

<必須記載項目 3 論文・著書・特許・学会発表など>

【基本的な記載事項】

- ・ 研究活動状況に関する資料（保健系）  
（別添資料 5232-i3-1）
- ・ 指標番号 41～42（データ分析集）

【第 3 期中期目標期間に係る特記事項】

(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 グループ、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 2）。また、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・社会的に注目される研究成果が相次いでいる。 [3.0]

表 2 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                | H28 | H29 | H30 | H31/<br>R1 |
|--------------------|-----|-----|-----|------------|
| 原著論文（欧文、査読有り）の発表件数 | 111 | 89  | 101 | 57         |
| 記者会見等による研究成果の発表件数  | 32  | 33  | 28  | 14         |

H31/R1 年度は 9 月末までの集計

(2) 研究成果による知的財産権の出願・取得状況

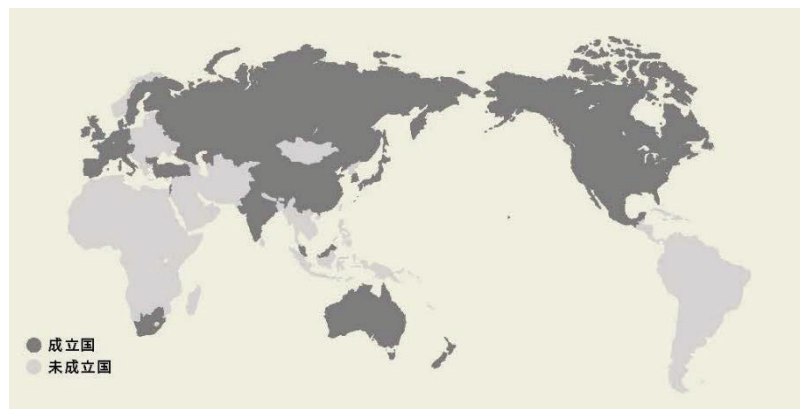
本研究所では、医療応用推進室知財グループにおいて出願支援のみでなく、出願可能な成果の発掘を推進している。日本を始め、米国や欧州他の国々において iPS 細胞作製の基本特許を得ており（図 2）、標準 iPS 細胞を含む研究資材の提供に見られるように、知財の活用においても効果を上げている。

平成 30 年度末時の、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 38 件、国外 118 件である（表 3）。 [3.0]

表 3 iPS 細胞・技術に関する特許の取得状況

| 年 度 | H28 | H29 | H30 | H31/<br>R1 |
|-----|-----|-----|-----|------------|
| 国 内 | 37  | 37  | 38  | —          |
| 海 外 | 92  | 107 | 118 | —          |
| 計   | 129 | 144 | 156 | —          |

図2 iPS 細胞関連特許の成立した国や地域（平成30年度末現在）



#### <必須記載項目4 研究資金>

##### 【基本的な記載事項】

- ・ 指標番号 25～40、43～46（データ分析集）

##### 【第3期中期目標期間に係る特記事項】

(1) 競争的資金による研究実施状況、共同研究及び受託研究の実施状況

本研究所の主要な競争的外部資金は、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」が主たる資金となっている。また、共同研究の実施件数は平成28年の202件から平成30年の206件に（表4）増加している。[4.0]

表4 共同研究の実施件数

| 年度    | H28 | H29 | H30 | H31/R1 |
|-------|-----|-----|-----|--------|
| 営利機関  | 111 | 106 | 119 | —      |
| 非営利機関 | 91  | 74  | 87  | —      |
| 計     | 202 | 180 | 206 | —      |

平成27年4月、iPS細胞研究所は、武田薬品工業株式会社と、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、武田薬品工業株式会社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。

(2) 研究資金執行状況

全執行予算額の約 90%が、競争的外部資金により賄われている(図 3)。予算執行額の経年推移を表 5 に示す。[4.0]

図 3 平成 30 年度予算執行額

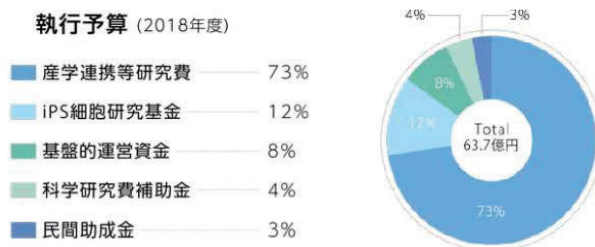


表 5 予算執行額の推移

| 年度        | H28   | H29   | H30   | H31/R1 |
|-----------|-------|-------|-------|--------|
| 産学連携等研究費  | 67.87 | 46.97 | 46.74 | -      |
| iPS細胞研究基金 | 3.37  | 5.63  | 7.59  | -      |
| 科学研究費補助金  | 1.76  | 1.96  | 2.52  | -      |
| 民間助成金     | 1.88  | 2.05  | 1.76  | -      |
| 基盤的運営資金   | 5.88  | 6.43  | 5.09  | -      |
| 計         | 80.76 | 63.04 | 63.70 | -      |

単位：億円

<選択記載項目 B 国際的な連携による研究活動>

【基本的な記載事項】

(特になし)

【第 3 期中期目標期間に係る特記事項】

(1) On-site Laboratory (海外の大学や研究機関等との現地運営型研究室) の設置  
 本研究所は、グローバル人材の育成と、国を超えたボーダレスイノベーションの促進を目的として、令和元年本学の認定を得て、米国サンフランシスコにあるグラッドストーン研究所にアウトバウンド型の On-site Laboratory 「グラッドストーン研究所 iPS 細胞研究拠点」を設置した。[B.2]

- ・ グラッドストーン研究所 iPS 細胞研究拠点調印式の様子  
 (別添資料 5232-iB-1)

(2) CiRA 国際シンポジウムの実施

本研究所から研究活動を発信するとともに、研究者の国際交流により iPS 細胞研究



## 京都大学 iPS 細胞研究所 研究活動の状況

の推進を図るために、定期的に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へいに応じている(表6)。<sup>[B. 2]</sup>

表6 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<br>(内、外国人) |
|--|------------------------|-----------------|
| CiRA 2017 International Symposium<br>A decade of human iPSCs: From bench to bedside    | H29. 11. 6~11. 8       | 481(140)        |
| CiRA 2019 International Symposium<br>iPSCs Changing the Future of Science and Medicine | R 元. 11. 27~<br>11. 29 | 580(120)        |

○本研究所での研究指導等を希望する国内外の学生を対象に研究活動を体験させ、将来の優秀な研究者を育成、確保するため、平成27年度より研究インターンシップ制度を実施している。本制度では全世界から広く応募を受け付けるべく、独自経費(iPS細胞研究基金)を用いて交通費や滞在中の宿泊費を援助しており、欧米やアジアを中心に世界中から応募がある。応募者数、採択者数ともに年々増加している(表7)。<sup>[B. 2]</sup>

表7 研究インターンシップ受入状況(海外)

| 年 度  | H28 | H29 | H30 | H31/R1 |
|------|-----|-----|-----|--------|
| 応募者数 | 22  | 32  | 42  | 48     |
| 採択者数 | 6   | 6   | 8   | 11     |

## 分析項目Ⅱ 研究成果の状況

### <必須記載項目 1 研究業績>

#### 【基本的な記載事項】

- ・ 研究業績説明書

(当該学部・研究科等の目的に沿った研究業績の選定の判断基準)

iPS 細胞研究所では、所属教員等が国際的に注目度の大きい学術誌に発表する研究成果の内、iPS 細胞研究及びその医療への応用に関する世界初の成果、既存の考え方を革新する成果、社会・経済的な波及効果が大きい成果等を選抜し、学術誌等への掲載に先立ち、その内容を記者説明したり、記者会見等により広報する活動を実施している。また、該当研究成果については、研究所ホームページにおいて紹介している。

研究所ホームページにおいて「研究成果」として広報した研究成果の内、iPS 細胞研究及びその医療応用の分野において、基礎研究、応用研究および医療応用の各視点から、学術的、社会・経済・文化的に特に大きなインパクトを与えた成果を選定する。

#### 【第3期中期目標期間に係る特記事項】

##### (1) 組織単位で判断した研究成果の質の状況

本研究所における研究成果の発表件数は経年的に増加している。特に、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、記者会見を開催して研究内容等を詳しく説明しており、マスコミ等により報道される事例数は高いレベルを維持している。(表2参照) [1.0]

##### (2) 研究成果の学術面及び社会、経済、文化面での特徴

###### ○特許の確保・活用

本研究所は、戦略的に iPS 細胞に関連する特許を確保し、iPS 細胞研究及びその医療応用研究が国際的に活発化するように、特に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、研究所所属の研究者が得た特許を礎に、令和元年9月末時点で6社のベンチャー企業((株)メガカリオン、iHeart Japan(株)、サイアス(株)、(株)aceRNA Technologies、タイムセラ(株)及びリジェネフロ(株))が設立されており、研究成果の医療応用の推進に努めている。

[1.0]

- ・ ベンチャー企業情報 (別添資料 5232-ii 1-1)

### ○iPS 細胞ストック事業：医療用 iPS 細胞の提供

本研究所は日本医療研究開発機構 (AMED) 「iPS 細胞研究中核拠点」として医療応用可能な品質の iPS 細胞ストック事業を遂行している。平成 27 年度に日本国内で最頻度の HLA 型の末梢血の細胞から作製した医療用 iPS 細胞を作製・ストックし、その提供を開始、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継続している。平成 31 年 3 月には HLA 型ホモの健常人血液から臨床応用が可能な 4 種類目の再生医療用 iPS 細胞を作製、研究機関への提供を開始した。いずれの iPS 細胞も国内高頻度の HLA 型で、日本人約 40%に免疫反応の少ない移植が可能と考えられている。 [1.0]

- ・ iPS 細胞ストック事業に係る記事 (別添資料 5232-ii 1-2)

### ○疾患 iPS 細胞・健常人 iPS 細胞の提供：研究用 iPS 細胞の提供

本研究所では、難病に罹患されている方から提供された試料及び健常人から提供された試料から、それぞれ疾患 iPS 細胞及び健常人 iPS 細胞を作製し、理化学研究所 BRC に寄託し、難病の機構解明、治療法や治療薬の開発、それらの研究開発の基準 (コントロール) iPS 細胞として、広く研究機関、医療機関、民間研究所、企業等に提供する活動を継続している。平成 31 年 3 月現在での寄託数は、疾患 iPS 細胞が 3,283 種類、健常人 iPS 細胞が 32 種類である。また、研究用 iPS 細胞の他機関への提供数は、平成 28 年 4 月から平成 31 年 3 月までの 3 年間で 691 件である。 [1.0]

### ○iPS 細胞を用いた臨床研究の開始

本研究所に所属する研究者を主たる実施担当者として、創薬研究、臨床応用研究において iPS 細胞を用いた臨床研究が複数開始された。創薬研究では平成 29 年度に進行性骨化性線維異形成症 (FOP)、平成 30 年度に筋萎縮性側索硬化症 (ALS) の医師主導治験が開始され、臨床応用研究では平成 30 年度にはパーキンソン病の治療を目指した医師主導治験、令和元年度には再生不良性貧血に対する臨床研究が開始されている。これらはマスコミ報道等にて大きく報じられ、その成果は難病と闘う患者さんをはじめ、多くの医療機関等で大きく期待されている。 [1.0]

【参考】データ分析集 指標一覧

| 区分                       | 指標<br>番号 | データ・指標                            | 指標の計算式   |
|--------------------------|----------|-----------------------------------|--|
| 5. 競争的外部<br>資金データ        | 25       | 本務教員あたりの科研費申請件数<br>(新規)           | 申請件数(新規) / 本務教員数   |
|                          | 26       | 本務教員あたりの科研費採択内定件数                 | 内定件数(新規) / 本務教員数<br>内定件数(新規・継続) / 本務教員数                                    |
|                          | 27       | 科研費採択内定率(新規)                      | 内定件数(新規) / 申請件数(新規)  |
|                          | 28       | 本務教員あたりの科研費内定金額                   | 内定金額 / 本務教員数<br>内定金額(間接経費含む) / 本務教員数                                       |
|                          | 29       | 本務教員あたりの競争的資金採択件数                 | 競争的資金採択件数 / 本務教員数  |
|                          | 30       | 本務教員あたりの競争的資金受入金額                 | 競争的資金受入金額 / 本務教員数  |
| 6. その他外部<br>資金・特許<br>データ | 31       | 本務教員あたりの共同研究受入件数                  | 共同研究受入件数 / 本務教員数   |
|                          | 32       | 本務教員あたりの共同研究受入件数<br>(国内・外国企業からのみ) | 共同研究受入件数(国内・外国企業からのみ) /<br>本務教員数   |
|                          | 33       | 本務教員あたりの共同研究受入金額                  | 共同研究受入金額 / 本務教員数   |
|                          | 34       | 本務教員あたりの共同研究受入金額<br>(国内・外国企業からのみ) | 共同研究受入金額(国内・外国企業からのみ) /<br>本務教員数   |
|                          | 35       | 本務教員あたりの受託研究受入件数                  | 受託研究受入件数 / 本務教員数   |
|                          | 36       | 本務教員あたりの受託研究受入件数<br>(国内・外国企業からのみ) | 受託研究受入件数(国内・外国企業からのみ) /<br>本務教員数   |
|                          | 37       | 本務教員あたりの受託研究受入金額                  | 受託研究受入金額 / 本務教員数   |
|                          | 38       | 本務教員あたりの受託研究受入金額<br>(国内・外国企業からのみ) | 受託研究受入金額(国内・外国企業からのみ) /<br>本務教員数   |
|                          | 39       | 本務教員あたりの寄附金受入件数                   | 寄附金受入件数 / 本務教員数  |
|                          | 40       | 本務教員あたりの寄附金受入金額                   | 寄附金受入金額 / 本務教員数  |
|                          | 41       | 本務教員あたりの特許出願数                     | 特許出願数 / 本務教員数  |
|                          | 42       | 本務教員あたりの特許取得数                     | 特許取得数 / 本務教員数  |
|                          | 43       | 本務教員あたりのライセンス契約数                  | ライセンス契約数 / 本務教員数   |
|                          | 44       | 本務教員あたりのライセンス収入額                  | ライセンス収入額 / 本務教員数   |
|                          | 45       | 本務教員あたりの外部研究資金の金額                 | (科研費の内定金額(間接経費含む) + 共同研<br>究受入金額 + 受託研究受入金額 + 寄附金受入<br>金額)の合計 / 本務教員数      |
|                          | 46       | 本務教員あたりの民間研究資金の金額                 | (共同研究受入金額(国内・外国企業からのみ)<br>+ 受託研究受入金額(国内・外国企業からのみ)<br>+ 寄附金受入金額)の合計 / 本務教員数 |