

**研究評価委員会**  
「ヒト幹細胞産業応用促進基盤技術開発」  
ヒト iPS 細胞等幹細胞を用いた創薬スクリーニングシステムの開発」  
(事後評価) 分科会  
議事録

日 時：平成26年10月14日(火) 12:30~17:45

場 所：大手町サンスカイルーム 27階 D室

**出席者(敬称略、順不同)**

＜分科会委員＞

分科会長	後藤 俊男	(独)理化学研究所 社会知創成事業 創薬・医療技術基盤プログラム プログラムディレクター
分科会長代理	中西 淳	武田薬品工業株式会社 医薬研究本部 基盤技術研究所 主席部員 湘南インキュベーションラボ ディレクター
委員	樽林 陽一	(独)医療基盤研究所 創薬支援戦略室 理事 兼 室長
委員	中村 幸夫	(独)理化学研究所 バイオリソースセンター 細胞材料開発室 室長
委員	水口 裕之	大阪大学 大学院薬学研究科 分子生物学分野 教授 独立行政法人 医薬基盤研究所 招へいプロジェクトリーダー
委員	横山 周史	株式会社リプロセル 代表取締役社長

＜推進者＞

山崎 知巳	NEDO バイオテクノロジー・医療技術部 部長
加藤 紘	NEDO バイオテクノロジー・医療技術部 プログラムマネージャー
三代川 洋一郎	NEDO バイオテクノロジー・医療技術部 主任研究員
菅原 武雄	NEDO バイオテクノロジー・医療技術部 主任研究員
知場 伸介	NEDO バイオテクノロジー・医療技術部 主査

＜実施者※メインテーブル着席者のみ＞

安田 賢二 (PL)	東京医科歯科大学 生体材料工学研究所 医療デバイス研究部門 バイオ情報分野 教授
福田 恵一	慶應義塾大学 医学部 循環器内科 教授
関島 勝	(株)LSI メディエンス 創薬支援事業本部 先端事業推進室
野村 典正	東京医科歯科大学 生体材料工学研究所 医療デバイス研究部門 バイオ情報分野 准教授
井上様	(株)LSI メディエンス 創薬支援事業本部 副本部長・室長
長田様	(株)LSI メディエンス 創薬支援事業本部 先端事業推進室

＜評価事務局等＞

佐藤 嘉晃	NEDO 評価部 部長
保坂 尚子	NEDO 評価部 主幹
梶田 保之	NEDO 評価部 主査

## 議事次第

### <公開の部>

1. 開会、資料の確認
2. 分科会の設置について
3. 分科会の公開について
4. 評価の実施方法について
5. プロジェクトの概要説明
  5. 1 「事業の位置づけ・必要性」及び「研究開発マネジメント」
  5. 2 「研究開発成果」及び「実用化に向けての見通し及び取り組みについて」
  5. 3 質疑

### <非公開の部>

6. プロジェクトの詳細説明
  6. 1 ヒト iPS 細胞等幹細胞から心筋細胞への高効率な分化誘導技術の開発
  6. 2 ヒト iPS 細胞等幹細胞を用いた創薬スクリーニングシステムの開発
    6. 2. 1 基礎・基盤技術の開発
    6. 2. 2 実用化に向けての見通し及び取り組みについて
7. 全体を通しての質疑

### <公開の部>

8. まとめ・講評
9. 今後の予定
10. 閉会

## 議事内容

### <公開の部>

1. 開会、資料の確認
  - ・後藤分科会長挨拶
  - ・出席者の紹介（評価事務局、推進者）
  - ・配布資料確認（評価事務局）
2. 分科会の設置について
  - ・研究評価委員会分科会の設置について、資料1に基づき評価事務局より説明。
3. 分科会の公開について
  - 評価事務局より資料2及び3に基づき説明し、議題6.「プロジェクトの詳細説明」、議題7.「全体を通しての質疑」を非公開とした。
4. 評価の実施方法について
  - 評価の手順を評価事務局より資料4-1～4-5に基づき説明した。
5. プロジェクトの概要説明
  5. 1 「事業の位置づけ・必要性」及び「研究開発マネジメント」
  5. 2 「研究開発成果」及び「実用化に向けての見通し及び取り組みについて」
    - 推進者より資料6 (5.1 事業の位置付け・必要性及び研究開発マネジメント) に基づき説明が、実施者より資料6 (5.2 研究開発成果及び実用化に向けての見通し及び取り組みについて) に基づき説明が行わ

れ、その内容に対し質疑応答が行われた。

### 5. 3 質疑

【後藤分科会長】 ただいまの説明に関する意見、質問をお願いします。議題6で非公開部分の技術の詳細を議論する予定です。ここでは、主に、6年間のプロジェクトの評価、特に中間評価以降、今までがどうかという意味で、この間のプロジェクトマネジメントの観点からお願いします。

委員の先生方、いかがでしょうか。

それでは、指名させていただきます。最初の顧客は製薬メーカー、あるいは、製薬メーカーでなくとも、これらを使うネットワーク、そういうことかと思しますので、まず中西委員からご意見ををお願いします。

【中西分科会長代理】 5年間のプロジェクトの前半に、いろいろな目標を持った多様なプロジェクトが入っていました。それらが今回の創薬スクリーニングに向けたプロジェクトに集中したということだと思います。この前半において、製薬企業が複数社集まってユーザフォーラムという形で意見を交わしたことが立上げ時にはあったと思います。それが後半、プロジェクトが集中した後で、そういうユーザフォーラムの話が出てきません。後半、それはどうなったのですか。

【東京医科歯科大学：安田 PL】 ユーザフォーラムに関しては前半に行いました。前半から問い合わせをして皆様に使っていただくということで、後半になってから施設・装置を準備していました。しかし、実際には、三菱が事業化の準備の対応をする予定でしたが、準備が間に合わなかったことと、もう一つは、国際化ということで HESI (Health and Environmental science Institute) から、エマージェンシーイシュー (issue) ということで立ち上げてはどうかという提案をいただきました。私たちは、国際標準化があるので、HESIに提案していこうということで、リソースをそちらに集中させました。

【後藤分科会長】 創薬支援ということでネットワークを組んで推進しています。ここでも重要なイシューになるとしますので、榎林委員から質問をお願いします。

【榎林委員】 2点お伺いします。

1つは、15個の偽陽性・偽陰性（見過ぎ・見落とし）の薬物をツールにして、これまでに見られなかった、あるいは、見出すことが難しかった心毒性（心室性不整脈等誘発作用）を見出したことです。詳細は非公開の場で説明されるのかもしれませんが、これまで明らかにQT延長（心電図のQ波からT波までの時間、心室での収縮期の延長を示す）があつて落ちた標準薬、そこでのあたりはどのくらいでしたか。実際に臨床で何か問題があったものはおしなべて引っかかってきたのかどうか1点です。

2つ目は、LSIメディエンスへの簡単な質問です。スループット向上ということで、開発が進んだ化合物の評価に使うことを目的に実用化を戦略としていたのか、あるいは、もっとアーリーステージの研究で、化合物がどんどん出てきてリード化合物を見出すような数多くの検体を短時間で評価できるという観点から系を組んできたのか、その点を教えてください。

【東京医科歯科大学：安田 PL】 1点目の質問は私がお答えします。この点は、推進委員会の中でも議論がありました。陽性の薬剤も、一番知りたいことは定量性についてです。陽性・陰性（反応あり、反応なし）は、薬物を足していけば必ず何か出てきます。その定量的なものがどうかという話が陽性の薬剤で出て対応しています。それは非公開部分で報告します。定量性の部分でも面白い結果が出ています。

もう一つは、既存の、世の中で *in vitro*（生体外の培養細胞）で計測できると主張している計測方法の問題点、我々がそれらに対してどのようなアドバンテージを持つ技術をつくったかも紹介します。

【LSIメディエンス：関島様】 ご質問にお答えします。製薬会社の中でどういうプロセスで創薬しているか

は、各社いろいろなストラテジを持っていると思います。特に心毒性は、一般的には hERG (human Ether-a-go-go Related Gene) という細胞系を用いたスクリーニングが比較的初期の段階で行われることと、いわゆる安全性薬理コアバッテリー試験として GLP 試験 (Good Laboratory Practice、医薬品の安全性に関する非臨床試験の実施の基準) でも hERG アッセイ(分析、評価)が要求されています。今回開発していく技術は、そういうフェーズで活用されると考えています。

しかし、ガイドライン化するとすると、いろいろなコンセンサス、ICH (日米 EU 医薬品規制調和国際会議) という 3 極での合意も必要になります。これらの技術が既存のものに対して評価でき得るものであることを提示しないと、合意が得られないと考えています。まず、実用化は比較的早い段階で製薬会社がいろいろな戦略の中で活用してもらう。その場合、正確性と迅速性が必要になると思います。

また、in vivo で行う場合に、大量の化合物を早い段階で合成するのは、いろいろな意味でブレイキになるので、比較的少量でスクリーニングできる。ただ、その正確度はどの段階で判断するか、あるいは、補完的に他の指標で評価することも出てくるため、そういった段階で活用してもらう技術を提供することを念頭に考えています。

将来的には、これらの技術が成熟していく中で、より高度な技術、レギュレーション等できちんと評価できる技術を確立していく。そのように、今回の技術について協力していきたいと考えています。

**【後藤分科会長】** それでは、先ほどの議論のポイントになる事業の位置づけ・必要性あるいは研究開発マネジメントについて、カスタマーというよりは製造側の立場から、横山委員、お願いします。

**【横山委員】** 2点、質問します。研究開発のマネジメントという意味で、装置開発とソフトウェア、細胞と、それを使用する企業、要素はそろっていると思いますが、具体的にどのような連携をして進めていったのか、漠然とした質問で申し訳ないのですが、マネジメント体制を質問します。

もう一つは、大学と企業は知財の面で相いれないことがあります。実用化に向けて、その辺はどのような方針なのか。オープンにするか、クローズドにするかを含めて、どのような話し合いの中で知財を形成していったのか、質問します。

**【東京医科歯科大学：安田 PL】** まず、プロジェクトのマネジメントについて、私がお答えする立場にあると思いますのでお話しします。

このプロジェクトで一番難しかった点は、できた細胞を使って計測方法を確立するだけでなく、細胞をつくることと並行して計測技術も開発していたことです。このプロジェクト終了後に、それらが合体して成果になるだろうと思っていました。そういう意味では難しい進め方であったと思います。

今回の場合、福田先生 (実施者、慶應義塾大学医学部) がプロジェクト開始時に基礎的な開発を行う。そうして開発した技術を受け取り、細胞を産業化する役割でアスピオファーマ株式会社という企業が当初参画していました。そのアスピオファーマから私たちに、福田先生がつくった細胞が供給され、その細胞を私たちが評価し、使えるか、使えないかをフィードバックするフォーメーションを組んでいました。ところが、アスピオファーマは経営的な課題があり、途中で参画を見合わせることになり、その部分が弱くなりました。ただ、私たちは、福田先生がつくった細胞に関してはそれぞれ評価しました。

その前に、こういう状態の中で、どのようにして装置側の技術を開発するかが難しかったのです。ヒト ES 細胞由来の心筋細胞に関しては市販された細胞があり、製薬企業が使用していたので、とりあえず疑似的にそれを利用して評価しつつ、福田先生がつくった iPS 細胞と比較するというスタンスで評価を行い、フィードバックする形でフォーメーションを組んでいます。

プロジェクトの最終年度まで、私たちは多電極法計測とパッチクランプ法計測によって、後ほど非公開部分で話しますが、例えばパッチクランプの場合、シングルの cell の情報を取っていると思いますが、細胞ネットワークを構築したところでもパッチクランプを取っており、ネットワークになるとどういふ変化が起きるかまで最終年度では出ています。実質的には、細胞のクオリティコントロールを、どうしてもヘテロな細胞集団（均一でない細胞集団）になってしまうので、それをどう解決するかという課題を見出したところで終わったという状況です。これはまだ解くことのできる問題ではありませんが、そういう形での細胞評価の観点で技術グループと連携できたと思います。実際には開発途上ですので、その細胞を使ったシステムの構築までには至っていません。

あと、技術開発部門と LSI メディエンスの関係は、東京医科歯科大学の中に LSI メディエンスが使う、いわゆるユーザフォーラム向けの開発を行う施設を設置し、そこは評価班ということで LSI が対応しました。しかし、技術的になかなか難しい面があり、最終的には、大学でかなりの部分の評価を行いました。その中で、技術に関しては、一通りのものを、メディエンスの担当者を大学内に入れて技術指導を行い、200 ページくらいのプロトコルのブックを作成し、これをノウハウ供与として行ってクオリティをそろえる。そういうことを基盤的なものにさせていただきました。

知財に関しては、各組織で扱いが違ふと思いますので、後でそれぞれ説明してほしいと思います。東京医科歯科大学では、NEDO の国家プロジェクトであることを理解しているので、LSI メディエンスから共願を希望されたものは、私たちの単独発明ではありましたが、無償で共同出願を、事業化することを前提に認可して供与しています。ただ、これは国策的なものであるため、LSI メディエンスでも事業化を自社でどこまで進めるのか、わかりませんが、例えば株式会社リプロセルでも行いたいのであれば大学に相談してもらえば、LSI メディエンスの了解があれば事業化できるという流れになると思います。

海外を見ても、新しい技術は、ベンチャー企業が手がけるほうが、ハードルが低いと思います。大企業だと、上層部に、どれくらいの事業化ができるのかという際のスタートアップの最低売上高の見込み額が何十億円以上なければいけないとか、そういうハードルを考えれば、正直言うと、ベンチャー企業などが行うことが一番よいと、私も海外のいろいろなものを見て感じています。

先ほど言った海外からの 3 件のオファーに関しては、3 件ともリーディングカンパニーです。

**【慶應義塾大学：福田教授】** 知財に関しては、アスピオファーマ、G-CSF（顆粒球コロニー刺激因子）に関しては中外製薬、iPS 細胞の樹立に関してはディナベック株式会社という会社と共同で提出しています。

**【後藤分科会長】** たぶん、iPS の心筋だけではなく、肝臓、そのデポジットなどいろいろなことがあると思いますが、その辺について、中村委員、水口委員、お願いします。

**【中村委員】** 前半で患者由来の iPS 細胞の話が出てきたと思います。事業化で受託解析する際は、あくまでも健常者由来の細胞が対象で、臨床的に QT 延長等がわかっている疾患は、サンプルとして関係ないのでしょうか。

**【LSI メディエンス：関島様】** まずは、正常な心筋での応答性が重要と考えています。副作用という点ではなく、むしろ、薬効など新しい薬の開発という点では、遺伝的な疾患を持っている患者由来の心筋はいろいろな形で応用されていく可能性があります。そうした点で、例えば、正常な心筋ではこういう作用があらわれるけれども、患者の心筋でもそれと同程度、あるいは、それ以上出ることについては、ケースバイケースで検討する必要があると思います。将来的に、薬効評価という点での活用が期待されると理解しています。

【中村委員】 もう1点、ライセンスの件で、海外から使いたいというオファーがあったが、国プロなので断ったという話がありました。エクスクルーシブ・ライセンスでない契約であれば可能だと思いますが、その辺はいかがでしょうか。

【NEDO：知場主査】 知財については、このプロジェクトの価値がまだはっきりしていないことが一番大きいと思います。LSI メディエンスも、基本的に、事業化する場合に、どこまでがビジネスになるのかの見極めがつかないので、現時点で、ここだけで、あとはもうということにならず、LSI メディエンス自身がその価値を判断するためにキープしたいということがあります。要するに、所有する知財のどこかを切り取ってライセンスすることは難しいというか、今の段階では判断できないと私は理解しています。

【水口委員】 知財の話になったので、関連するところでお伺いします。44 ページ（資料6）を見ると、特許の数が外国と PCT（国際出願）で違うのはどうしてですか。米国だけ出願した、そういう意味ですか。

【東京医科歯科大学：安田 PL】 各国出願したものを1件ずつカウントしているのではないかと思います。

【水口委員】 では、知財の数としては、外国11件、PCT2件とあるものの、本当は2件ということですね。

【東京医科歯科大学：安田 PL】 実際には、各国出願する際に補正をいろいろ入れたりもしているので、完全に同じものではないと思います。

【水口委員】 例えば特許は2つで、その後、各国に分けて、という形ですか。

【東京医科歯科大学：安田 PL】 詳細はわかりませんが、PTC で対応したものと、各国出願したものと混ざっていると思います。

【水口委員】 外国出願の数が多いと思ったのですが、同じものを延べで数えているということですか。

【NEDO：知場主査】 特許は事務上、そういう数え方をしていると思います。

【東京医科歯科大学：安田 PL】 これは大学から知財の数を出してもらいましたので。シンガポール、アメリカ、ヨーロッパ、中国、香港、そういう形になっています。

【水口委員】 あと、我々もアカデミアにいて頭が痛いのは、外国出願の費用をどうするかという問題です。今回は、会社との共願で、費用は会社にて全て持ってもらったのですか。

【東京医科歯科大学：安田 PL】 一部、LSI メディエンスが希望したものはそういう対応をしています。ただ、そういう対応をしてもらえなかったものは、NEDO の前で言うのは申し訳ないのですが、JST の外国出願補助制度のサポートを受けています。ご指摘のとおり、頭の痛い問題です。先ほど話があったように、ライセンスを早く取得することが、費用の維持、追加の特許を出していくという観点では重要なことから、本当は早く行いたいということがあります。つまり、生殺しというか、そういう状況はきついていると思っています。

【水口委員】 QT 延長の患者も含めて多数の iPS をつくったということですが、それは、IC（インフォームド・コンセント）を取るところから、その iPS を製薬メーカーが将来、営利につながる創薬段階の研究で使用することを説明して IC を取っているのですか。それを取っていないと、せっかくつくった細胞がアカデミアで使うだけで、産業界からすると役立たなくなります。

【東京医科歯科大学：安田 PL】 それに関しても2つのアプローチをしています。福田先生はアカデミアベースで実証性を確認しなければいけないので、それは福田先生のところで進めていただいています。私たちは、方法がないか、いろいろ探しています。お金さえあれば進められるという状況までの対応策をとっています。それは何かというと、まずターゲットの細胞として薬物性 QT 延長の細胞に焦点を絞っています。なぜかということ、従来、QT 延長症候群1型から3型は、事前にわかっている可能性が高い

ので、薬として投与しないようにすればよいという対応があると思います。一番怖いのは薬物性 QT 延長です。これが *in vitro* 系というか、詳しい *in vivo* の中で一番アドバンテージが出てくるので、まずその細胞をつくりたいと考えています。

海外の細胞に携わるところといろいろ話をしていると、甘いというか、フランスやスウェーデンは産業上、例えば福田先生の技術をフランスに持って行って薬物性 QT 延長の患者の iPS 細胞をつくって、これを日本に戻してくれば、行った場所とボランティアが日本人でもいいのですが、フランスで細胞を採ってきたと。これがあれば、産業上は利用できるということまでは確認しています。法的なものによるようですが、それであれば、そういう展開ができると思っています。

【慶應義塾大学：福田教授】 研究当初の段階では、そういうコマーシャルベースのもののインフォームドコンセントは取得していませんが、研究の途中の段階からインフォームドコンセントを別のものにして、産業応用してもよいという形のインフォームドコンセントを取得しています。

健常者の iPS 細胞に対して薬剤負荷を行った場合と、QT 延長の患者に薬剤負荷を行った場合、健常者は、いくら薬剤を使っても不整脈がなかなか起きないのに対して、患者は比較的軽い薬剤を、臨床使用される濃度で使っても激しい不整脈が起きることもあります。薬剤で患者が突然死する現況は、全く何もない健常者で起きるよりも、薬剤性 QT 延長症候群あるいは QT 延長症候群がある方が、何らかの薬剤を飲む場合に起こる場合のほうがはるかに多いと想定されます。我々の試験管 (*in vitro*) の中での成果でも、健常者ではかなりの濃度を使っても起きない不整脈が、容易に誘発できることがあります。むしろ、QT 延長のリスクが高い患者の iPS 細胞を使ったほうが不整脈の検出には優れているという感触を持っています。

【後藤分科会長】 どうもありがとうございます。それでは、予定の時間がまいりましたので、ここで 10 分間の休憩を取ります。ほかのご意見、ご質問は、この後の非公開部分で、より詳細な説明があると思いますので、その時をお願いします。

<非公開の部>

6. プロジェクトの詳細説明 (実施者入替)

7. 全体を通しての質疑

省略

<公開の部>

8. まとめ・講評

【後藤分科会長】 審議を終了しましたので、各委員の皆様から講評をいただきます。横山委員から始めて、最後に私という順に行います。

【横山委員】 発表、ありがとうございました。面白く聞かせていただきました。私もこの世界で心筋の事業者として生きているため、学会などで、国際的にもいろいろな情報を聞く機会が多いのですが、今回の技術開発は間違いなく世界最先端であると思います。あまり見たことがないというか、患者由来のものと正常のものとの違いをきめ細かく研究したり、単なる QT 延長ではなく、ゆらぎなど違う軸を出していたり、完全に新しい成形の形で開発している。あとは、事業者であるメディエンスがしっかりサポートする形で加わっているという意味では、技術的に進んでいるというのが私の実感です。

先生方も指摘されていたように、今後、どういう形でこの事業を実用化していくかということがあり

ます。実用化はビジョン的にはかなり見えていると思いますし、行うべきことも、ある程度具体的にわかっているという意味では、実用化の見込みがあると思います。誰がどのように進めていくかが次のステージだと思います。技術的に優れたものですので、実用化に結びつけてほしいと思います。

【水口委員】 細胞の技術にしても、それをアッセイ（分析、評価）する機器類の系にしても、最先端の素晴らしい技術であると思いながら拝聴しました。

途中でも述べましたが、iPS 心筋は、今スタートして、標準化に向かい、あるいは、ICH ガイドライン化に向かって世界各国が開発を進めています。日本がそのイニシアチブを取るように進めているので、ぜひともそこに食い込んで、ワン・オブ・ゼムでも、日本の技術が世界で使われるように、プロジェクトは終わりましたが、今から邁進してほしいと思います。

【中村委員】 iPS 細胞技術が日本で開発されて、最初は再生医療が注目されていましたが、iPS 由来の細胞を薬のスクリーニングに使うということで、いち早くこのプロジェクトが立ち上がりました。ヒトの心臓や肝臓の細胞を製薬企業が入手するルートは、アメリカの脳死患者から得た心筋や肝臓を使うことが今でもメインだと思います。それに代わる代替法を提示できたという意味で、総論的には大成功のプロジェクトであったと思います。各論的には、私、個人的には血液分野が専門ですが、血液の分野では胎児型血液と成人型血液があります。心臓にもそういうものがあることがわかり、勉強になりました。それが障壁にならず、活用できそうだと聞いて、大変有望だと思いました。

また、安田先生が、中間評価からさらに進んで伝導障害を評価する系を開発したことは大変な努力だと思いました。高く評価できると思います。引き続き、このプロジェクトが終了しても、この分野で iPS 由来の心筋が有効性を発揮できるように進めてほしいと期待しています。

【中西分科会長代理】 本日は、素晴らしい成果を聞かせていただき、ありがとうございました。

このプロジェクトの意義は、中村委員も言われたように、iPS 細胞が登場してすぐに立ち上げ、iPS 細胞を創薬にどのように使用できるかについて、検証を始めたことだと思います。日本政府が再生医療に重点的に資金を投下していく中で、数少ない創薬プロジェクトとして、結果として十分役割を果たしたと思います。特に、福田先生（実施者）の iPS 細胞から心筋細胞への分化は良い細胞ができています。理想としては、その細胞を安田先生（PL）や LSI メディエンス（実施者）がビジネスで利用できればもっと良かったと思います。今後、日本の細胞を使用できれば素晴らしいと思います。

創薬分野はアメリカがかなり先行している部分があります。米 CDI 社（Cellular Dynamics International）の細胞を皆が使用していることも、その状況を示すものだと思います。今この成果を、これから、少なくとも日本企業が使用していく、そこから世界に発信していくようにするにはどうしたらよいか、考える必要があります。私も、弊社に戻り、安全性部門にアピールしておきます。

それとともに、議論がありましたように、製薬協のタスクフォースに数十社が参加して、薬剤の安全性評価に iPS 細胞をどのように使用するか検討する、標準化して世界に発信していくという意味で、まじめに活動しています。そことうまく連携してもらおうとよいと思います。

最後に、これも議論がありましたが、iPS 細胞が、これからアドバンテージの可能性のあるのは、福田先生も言われたようにパネル試験だと思います。薬剤には個人差がありますし、その反応性も、副作用も個人差があるので、それがうまく、この成果を基に解析できるようになれば素晴らしいと思います。それが個別化医療にもつながるので、今後の方向性としては、NEDO も含めて、そういう関連したプロジェクトをぜひ立ち上げてほしいと考えています。



【後藤分科会長】 今日、3人の先生方、事務局、推進部、プロジェクトマネジメントがしっかり行われて、アウトプットが良い形で出てきたということで、おめでとうございます。

私から、細かい話を何点か、指摘させていただきます。

まず、疾患iPS由来の心筋細胞の分化誘導に末梢血のT細胞を用いることを一般化したということで、学術的な意味でも高い成果を出したと思います。このアウトプットは、疾患iPSを用いた薬理学、その疾患をどう治すかという面にも一つの出口があると思います。本日の議論では安全性に重きが置かれていますが、そちらにもぜひ目を向けてほしいと思います。

また、安田先生が、非常に難しい、1細胞のイメージングというか、1細胞の測定法を開発すると同時に、多細胞におけるQT延長の原因がどうなっているかまで詰めたことは、学術的な意味もあると思います。実用化の面でも、原理を支える基盤を構築したと思います。

心毒性へのスクリーニングシステムを構築するという意味で、原理だけではなく、デバイスまで、あるいは、OSまで踏み込んでいるので、次の実用化に良い形でバトンタッチできると考えています。

また、メディエンスには細胞とデバイスの2つのシーズが上がってきています。ぜひ、これらも、実用化に向けてがんばってほしいと思います。期待しています。

最後はNEDOに対してです。このプロジェクトがスタートした時は、かなり全方向指向でした。ただ、途中から、疾患iPSということも含めて、今までの再生医療というよりは、むしろこの部分に絞り込むということで、安全性のiPS創薬、特に心臓に絞り込んだことは賢明だったと思います。ただ、今は絞り込んだのですが、アウトプットがいろいろ出ており、デバイスもある。先ほどのセーフティだけではなく、エフィカシーファーマコロジー (efficacy pharmacology) にも使うことのできるアウトプットが出ています。この辺りの出口についても何らかのマネジメントをしてほしいと思います。

いずれにしても、9月12日に、高橋政代さん(理化学研究所)によって日本初のiPS細胞を用いたRPE(網膜色素上皮)の再生移植手術が行われたと同時に、このような形で創薬のiPS利用もできたのは喜ばしいことと思います。

それでは、推進部長、プロジェクトリーダーから、何か一言ございますか。

【NEDO：山崎部長】 後藤分科会長ほか委員の皆様方、本日は閣下にご審議いただき、また、貴重なご意見をいただき、ありがとうございました。

分科会長からお話があったとおり、日本発のiPSをいかにものにしていくかということで、創薬スクリーニングに絞った形で途中から進めてきました。6年度間にわたって推進してきたことについて、ご講評をいただいたとおり、概ね良い形で終わりを迎えることができたと思います。

途中、企業が離脱するという事情があり、若干、当初想定していたことができなかつたかもしれませんが、安田先生、福田先生が先端研究に取り組み成果を出したこと、LSIメディエンスが今年7月から受託サービスに研究成果を活用し始めたことで、NEDOも所期の目的を達成できたと考えています。

委員の皆様からコメントをいただきました研究成果をどのように実用化につなげていくかという点について、1つは、これまで取り組んできた方々に引き続き研究を継続してもらう、または、LSIメディエンスに、ぜひ実用化につなげてもらうよう尽力してほしいと期待しています。

もう一つは、今年度、調整費を使って、ICHガイドラインの改定作業に向けた日本側の提案を固めることに軸足を置いたプロジェクトを開始しようとしています。そちらでも、これまで取り組んできた研究成果を生かすことができると考えています。それをぜひNEDOとしても後押ししたいと考えています。

改めて、本日、皆様のご協力に感謝申し上げます。どうもありがとうございました。

【東京医科歯科大学：安田 PL】 今朝まで、台風の影響で会議が開催できるか危ぶまれていました。その台風が通り過ぎた後の、本日の快晴の天気のように、我々もすがすがしい気持ちで発表に臨むことができ、よかったと思います。

いろいろな建設的ご助言、特に、先生方から NEDO に提案していただくことが、一番アピールする力があります。その意味では、我々も今回、基礎技術の開発は目標値を達成できたと思いますが、一つ足りないのは、バリデーションがないと実用化まで進まない、ここの部分をどうするか、ということです。課題として NEDO にお返しすべきところだと思います。そこはぜひ、株式会社リプロセルなど日本をリードするベンチャー企業に取り組んでもらい、新しい技術を世界に発信してほしいと思います。その意味では、横山様が分科会委員であることは、良い形をアレンジしてもらったと思います。

プロジェクトは終了していますが、自分たちが持っている予算の範囲内で今後も細々とがんばりたいと思っています。本日は、いろいろとご指導をありがとうございました。がんばりますので、今後ともよろしくをお願いします。

9. 今後の予定

10. 閉会

## 配布資料

- 資料1 研究評価委員会分科会の設置について
- 資料2 研究評価委員会分科会の公開について
- 資料3 研究評価委員会分科会における秘密情報の守秘と非公開資料の取り扱いについて
- 資料4-1 NEDOにおける研究評価について
- 資料4-2 評価項目・評価基準
- 資料4-3 評点法の実施について
- 資料4-4 評価コメント及び評点票
- 資料4-5 評価報告書の構成について
- 資料5 事業原簿(公開)
- 資料6 プロジェクトの概要説明資料(公開)
  - 5.1 事業の位置付け・必要性及び研究開発マネジメント
  - 5.2 研究開発成果及び実用化に向けての見通し及び取り組みについて
- 資料7-1 プロジェクトの詳細説明資料(非公開)
  - 6.1 ヒト iPS 細胞等幹細胞から心筋細胞への高効率な分化誘導技術の開発
- 資料7-2-1 プロジェクトの詳細説明資料(非公開)
  - 6.2 ヒト iPS 細胞等幹細胞を用いた創薬スクリーニングシステムの開発
    - 6.2.1 基礎・基盤技術の開発
- 資料7-2-2 プロジェクトの詳細説明資料(非公開)
  - 6.2 ヒト iPS 細胞等幹細胞を用いた創薬スクリーニングシステムの開発
    - 6.2.2 実用化に向けての見通し及び取り組みについて
- 資料8 今後の予定
- 参考資料1 NEDO 技術委員・技術委員会等規程
- 参考資料2 技術評価実施規程

以上