

「幹細胞産業応用促進基盤技術開発/
モデル細胞を用いた遺伝子機能等解析技術開発/
研究用モデル細胞の創製技術開発」
事後評価報告書（案）概要

目 次

分科会委員名簿	1
プロジェクト概要	2
評価概要（案）	8
評点結果	14

独立行政法人新エネルギー・産業技術総合開発機構 研究評価委員会

「研究用モデル細胞の創製技術開発」(事後評価)

分科会委員名簿

(平成22年6月現在)

	氏名	所属、役職
分科会長	おかの ひでゆき 岡野 栄之	慶應義塾大学 医学部 生理学教室 教授
分科会長 代理	たにぐち ひでき 谷口 英樹	横浜市立大学大学院 医学研究科 臓器再生医学 教授
委員	きたむら としお 北村 俊雄*	東京大学 医科学研究所 細胞療法分野/ 幹細胞シグナル制御 教授
	さくらだ かずひろ 桜田 一洋	株式会社ソニーコンピューターサイエンス研究所 シニアリサーチャー
	てらさき てつや 寺崎 哲也	東北大学大学院 薬学研究科 薬物送達学分野 教授
	なかにし あつし 中西 淳	武田薬品工業株式会社 医薬研究本部 開拓研究所 主席研究員
	ふくだ けいいち 福田 恵一	慶應義塾大学 医学部 循環器内科 教授

敬称略、五十音順

注*：実施者の一部と同一大学であるが、所属部署が異なるため（実施者：東京大学大学院薬学系研究科分子薬物動態学教室）「NEDO 技術委員・技術評価委員規程(平成22年7月1日改正)」第34条（評価における利害関係者の排除）により、利害関係はないとする。

プロジェクト概要

最終更新日

平成 22 年 6 月 8 日

プログラム名	健康安心プログラム						
プロジェクト名	研究用モデル細胞の創製技術開発	プロジェクト番号：P05010					
担当推進部/担当者	バイオテクノロジー・医療技術開発部 担当者氏名 大友 純（平成 22 年 6 月 8 日現在） バイオテクノロジー・医療技術開発部 担当者氏名 新田 実（平成 17 年 4 月～平成 21 年 8 月）						
0. 事業の概要	<p>ゲノム情報を利用した創薬プロセスの導入によって、新薬の開発プロセスを効率化し、安価な医薬品を迅速に上市することが可能になると期待されている。また、遺伝子機能の解明や新薬の安全性や効果を評価する際には、従来、マウスやウサギなどの動物や長期間にわたって培養されている株化されたヒト細胞を利用して評価を行っていたが、これらの細胞とヒト生体内の細胞は異なった性質を持っているため、実際の生体内の細胞に近い状態の細胞を用いた評価系の確立が望まれている。</p> <p>本プロジェクトでは、無限に増殖できるとともに、あらゆる細胞組織に分化できる多能性を有するヒト ES 細胞（ヒト胚性幹細胞）由来の、均質な遺伝的背景を有したモデル細胞を樹立し利用することによって、前臨床試験の段階で臨床試験に進めるかどうかを、より早期に判断することを可能とする有用な研究用モデル細胞の構築を行う。さらに、モデル細胞と各種デバイス技術とを融合させることにより薬物の効果・毒性・副作用等の定量的な評価を可能とする創薬支援システムの構築をめざす。</p>						
I. 事業の位置付け・必要性について	健康安心プログラムの一環として、モデル細胞の創製技術を行うものである。所要の整備を図っていくため、国（NEDO）の積極的な関与が必要なものとする。						
II. 研究開発マネジメントについて							
事業の目標	ヒト ES 細胞の加工技術、分化誘導制御技術を確立するとともに、当該技術を用いて遺伝子機能の解明や新薬の安全性評価、創薬研究の効率化のための技術基盤として有用な研究用モデル細胞を創製する。						
事業の計画内容	主な実施事項	H17fy	H18fy	H19fy	H20fy	H21fy	
	ヒト ES 細胞加工技術開発	→					--
	ヒト ES 細胞分化誘導制御技術開発	→					--
	研究用モデル細胞構築技術開発	→					--
	--	--	--	--	--	--	--
開発予算 (単位：百万円)	会計・勘定	H17fy	H18fy	H19fy	H20fy	H21fy	総額
	一般会計	287	321	686	519	487	2,300
	特別会計	--	--	--	--	--	--
	加速予算	--	--	--	--	--	--
	総予算額	287	321	686	519	487	2,300
開発体制	経産省担当原課	経済産業省製造産業局生物化学産業課 経済産業省産業技術環境局研究開発課					
	プロジェクトリーダー	国立大学法人 京都大学 物質-細胞統合システム 拠点長 教授 中辻 憲夫					

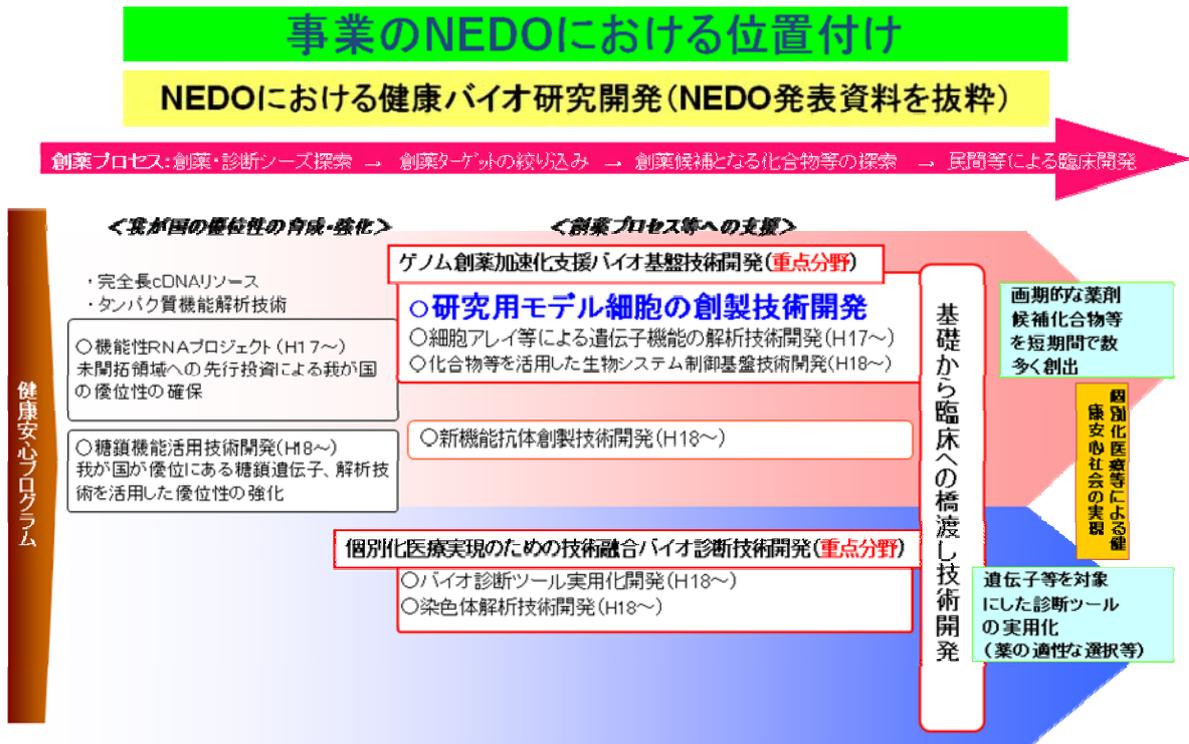
	委託先	国立大学法人京都大学再生医科学研究所、特定非営利活動法人幹細胞創薬研究所、国立大学法人大阪大学蛋白質研究所、国立大学法人東京医科歯科大学、国立大学法人東京大学、独立行政法人国立環境研究所、財団法人日本皮革研究所
情勢変化への対応	<p>研究の進捗に伴い、以下のような対応を行った。</p> <ol style="list-style-type: none"> 平成17年スタートした後、研究開発を促進するために、平成18年度は研究内容を追加充実して委託先の追加公募を実施した。 平成18年度は、研究内容の追加による大幅な増額変更を実施した。 	
中間評価結果への対応	<p>中間評価結果への評価書指摘事項に対し、以下のような対応を行った。</p> <ol style="list-style-type: none"> ヒトES細胞研究の大臣確認は必要なグループで取得を完了した。8月の「ヒトES細胞の樹立及び使用に関する指針」の改定により、使用研究が進められるようになったことを踏まえ、研究を推進していく。 創薬産業利用に資する実用化を目指して、ニーズに基づいた優先課題を現時点で再確認し、モデル細胞の評価基準を明確化するとともに、情報交換・意思統一の強化を進める。なお肝細胞研究については関係者でチームを作り毎月ミーティングを行うなど、統一的に評価できる体制を整えた。 研究実施体制を有効に活用しながら、モデル細胞の評価基準を明確化することにより、具体的に実用化に近いモデル細胞の絞り込みとその創製に向けたマイルストーンの見直し（優先課題の明確化）を平成20年度中に行うこととする。さらに、必要があれば最終目標の見直しも行う。 ヒトES細胞の産業利用に関するニーズ把握は既に実施してきているところであるが、iPS細胞への適用も含め随時見直し、その状況を踏まえて、社会に向けてプロジェクトの成果を積極的に発信していく。 継続して特許情報を把握し、国際的な競争力が薄保できるように特許出願に努める。 個々のテーマに対しES細胞での実用化に止まらずiPS細胞への適用も含めて現時点で実用化の道筋（ロードマップ）を見直し、実用化の姿について具体例を示しつつ、プレスへの広報等を通じて広く一般に示し、この研究および実用化についての理解を得るように努めていく。 プロジェクトリーダーと連携しつつ、引き続き研究推進委員会や開発担当者会議を活用し、実施者間の情報交換、意思疎通に努め、技術展開を図る。既に肝細胞チームを作って連携強化を図る等の具体的な活動に着手した。 創薬産業界において研究に資することが可能となるモデル細胞の創製順位を明確に設定し、そのモデル細胞を着実に創製していく。 ヒトES細胞の加工技術開発については遺伝子機能の解明や創薬研究での利用に対するニーズを踏まえ、既に明確化している具体的なターゲット（遺伝子、細胞等）について引き続き検討する。 遺伝子導入法については導入効率等／組換え効率等を各手法間で比較できるように研究を進めているところであるが、今後も長所短所を明確にしつつ系統化・体系化し、外部の研究者から見ても分かりやすく示していく。 ヒトES細胞の加工技術を何に應用するかについては産業技術としての実用化ニーズ等を踏まえて決定しているところであるが、具体的な有用性を示せる応用例の研究成果を示せるよう研究を進めていく。 遺伝子導入技術や相同組み換え技術については、まずは組換え効率を上げることに注力し、その後、汎用性について京大の保有する3種のヒトES細胞株において同様の成果を得られることを確認していく。 HPRT 遺伝子座以外の遺伝子座の相同組み換え法についても、全体の優先課題を見直す中で、取り組みの可能性を検討し、実施内容に反映させる。 相同組み換え技術については、まだ、組換え効率向上等の技術改良が必要な段階であるが、研究後半に向けては、分化誘導技術等との組み合わせも含め、具体的な有用性を示す研究を中心に重点化する。 遺伝子機能の解明や創薬研究での応用を目指し、既に実用化プランを作成しているが、本研究開発の進捗や顧客ニーズを踏まえて、必要な見直しを行い、着実な産業利用へつなげることに努める。 中間評価を受け、これまでに開発してきた要素技術の統合を目的として関連ある実施機関をまとめ肝細胞チームを作り、創薬現場等の産業利用で求められる肝細胞の機能の評価基準と到達目標を明確化するとともに、創出した肝細胞を評価することによって以降の開発にデータをフィードバックしながら実用化にむけた開発を順次すすめる。 分化誘導制御技術の優先課題（再現性、効率向上等）に留意して研究を進めているところであるが、指摘事項を踏まえ、引き続き、より注意して進める。 	

<p>中間評価結果への対応</p>	<p>18. 人工基底膜による分化誘導法の開発は、まずは機能の検証を進めることが第一であるが、技術の進展を踏まえつつ有用な技術については適宜取り入れていく。</p> <p>19. 優先課題を重点化し誘導効率を高めた技術の確立を関係するグループの連携のもとで前倒しして進めいち早い提供を目指す。</p> <p>20. 実用化可能性を重視して優先課題を整理し、研究が必要な技術課題について絞込み実施していく。</p> <p>21. 人工基底膜および擬似基底膜についてはヒトES細胞を用いた検討を行うべく、京大グループ等に提供し、計画通り機能評価を進める。</p> <p>22. 分化誘導制御技術について進めている様々な方法について、引き続き長所短所を明確にし系統化・体系化に取り組む。</p> <p>23. 指摘事項は構築したモデル細胞の実用化に向けたプロジェクト後半での重要な課題であり、その証明に向けたデータを取得し、その評価に努める。</p> <p>24. ヒトES細胞からの神経変性疾患モデル細胞の構築は、先行する類似研究との比較評価を行い、引き続き、研究内容の見直しや前倒し実施も含め優位性の維持に努める。</p> <p>25. ES細胞由来の心筋細胞を用いた毒性試験はヒトES細胞から分化誘導された細胞を用いた研究への展開を進める。</p> <p>26. 肝細胞の機能の評価方法・評価基準等の作成などの取り組みを強化すべく、既に着手した。</p> <p>27. 既に肝細胞チームを立ち上げる等実施しているところであるが、今後とも、グループ間で進行スケジュール等の確認・すり合わせを行い、研究計画を柔軟に効率的に運用していく。</p> <p>28. 個々の技術について、創薬メーカーのニーズを捉えつつ実用化までの課題を整理し、実用化可能性を考慮し、優先順位をつけて目標および配分を見直していく。</p> <p>29. 生命倫理問題についてのアプローチについては8月に指針の改定があり研究の制約は緩和されたところであるが、iPS細胞の利用も視野に入れ実用化を検討していく。</p> <p>30. DNAセンサー、細胞センサーなどを用いた生物学的評価分野で用いられる計測技術は、本プロジェクトにおける細胞評価技術とも関連するので、今後も先行する技術については積極的に導入していく。</p> <p>31. これまでも成果発信を行っているところであるが、特に本テーマの成果については一般向けにも広報を進め、本研究への理解を広めていく。</p> <p>なお、本研究のES細胞の分化誘導を中心とする技術はiPS細胞に対しても適用可能な技術と考えられるため、本研究の成果は、iPS細胞の実用化促進および我が国の優位性確立にも貢献するものであり、実施意義はさらに大きいものになったと考えら。その現状を踏まえ、iPS細胞に関する技術進歩を踏まえつつ、実用化のロードマップを見直すなど、今後も引き続き柔軟に情勢を捉えて計画を見直していく。</p>	
<p>評価に関する事項</p>	<p>事前評価</p>	<p>なし</p>
	<p>中間評価</p>	<p>19年度 中間評価実施</p>
	<p>事後評価</p>	<p>22年度 事後評価実施</p>

III. 研究開発成果について	<p>1. ヒト ES 細胞の加工技術開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ヒト ES 細胞への遺伝子導入による安定 T e t - O n 株の作出に成功 (導入遺伝子発現制御に成功) ・ヒト ES 細胞の相同組み換え技術を確立 世界的な高効率優位技術 <p>2. ヒト ES 細胞の分化誘導制御技術開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ・神経幹細胞・神経前駆細胞への高効率分化誘導に成功 (日本人由来のヒト ES 細胞株を利用) ・心筋細胞、肝細胞、血管系細胞及びアストロサイトへの分化誘導技術を確立 <p>3. 研究用モデル細胞の構築技術の開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ・神経変性疾患原因遺伝子の発現ベクターを構築 ・疾患関連遺伝子導入安定発現株樹立 (株数増加中) ・BBB モデル構築技術確立 (3次元モデル培養系構築技術進展) ・ハイスループットスクリーニング (HTS) 技術構築 <p>4. 細胞外環境の人工制御技術開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ・マウス基底膜分子構成をデータベース化「Mouse Basement Membrane Bodymap」 ・人工基底膜による ES 細胞の選択的分化誘導制御技術開発に着手 ・基底膜構造体培養基質を創製 ・脳血流閉鎖培養系コラーゲン繊維基質開発 <p>5. モデル細胞を利用した創薬支援ツールの開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ・薬物動態研究用モデルである肝細胞を用いるサンドイッチ培養法技術を構築 ・無染色画像処理型細胞精製技術開発、データベース化 ・アプタマー可逆修飾細胞精製技術確立 	
	論文/文献/学会発表等	「論文/文献」 193 件、「学会/研究会」 332 件
	特 許	「出願済」 24 件 (うち国際出願 6 件)
	その他の外部発表 (プレス発表等)	「新聞/マスコミ」 45 件 平成 22 年 5 月 18 日に、「NEDO 公開シンポジウム」を開催し、研究開発成果を広く一般に公表した。
IV. 実用化、事業化の見通しについて	<p>1. ヒト ES 細胞の加工技術開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ・作業効率と付加機能が向上するとともに細胞医療・細胞加工ビジネスへ期待 <p>2. ヒト ES 細胞の分化誘導制御技術開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ・日本人由来のヒト ES 細胞を利用したことで日本人における薬効、安全性の確認等への利用に期待 <p>3. 研究用モデル細胞の構築技術の開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ・神経変性疾患モデル神経細胞を用いた医薬品候補化合物スクリーニング系への利用に期待 <p>4. 細胞外環境の人工制御技術開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ・世界的標準リファレンスとなりうる成果であり一部製品化された他、技術移転交渉中 <p>5. モデル細胞を利用した創薬支援ツールの開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ヒト肝細胞に適用し創薬プロセスの効率化への期待 ・心筋毒性スクリーニングビジネス 	
V. 基本計画に関する事項	作成時期	平成 17 年 3 月制定
	変更履歴	平成 18 年 1 月一部改訂。 平成 20 年 1 月一部改訂。プロジェクトリーダー名の記載 平成 20 年 7 月、イノベーションプログラム基本計画の制定により、「(1) 研究開発の目的」の記載を改訂

技術分野全体での位置づけ

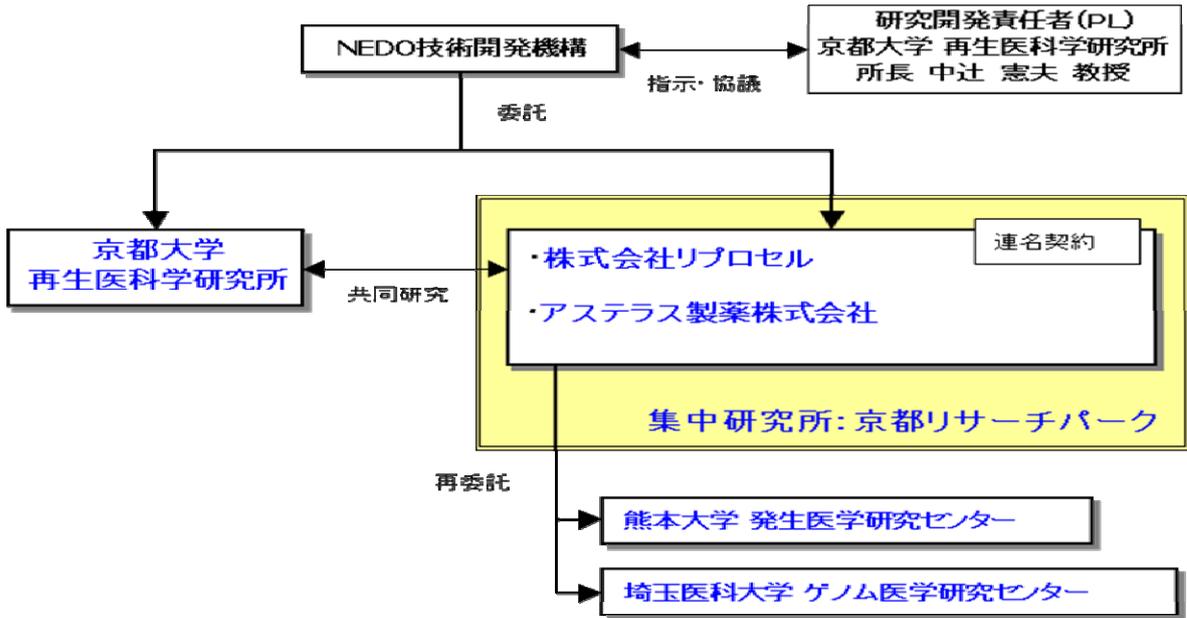
(分科会資料5-2-1より抜粋)



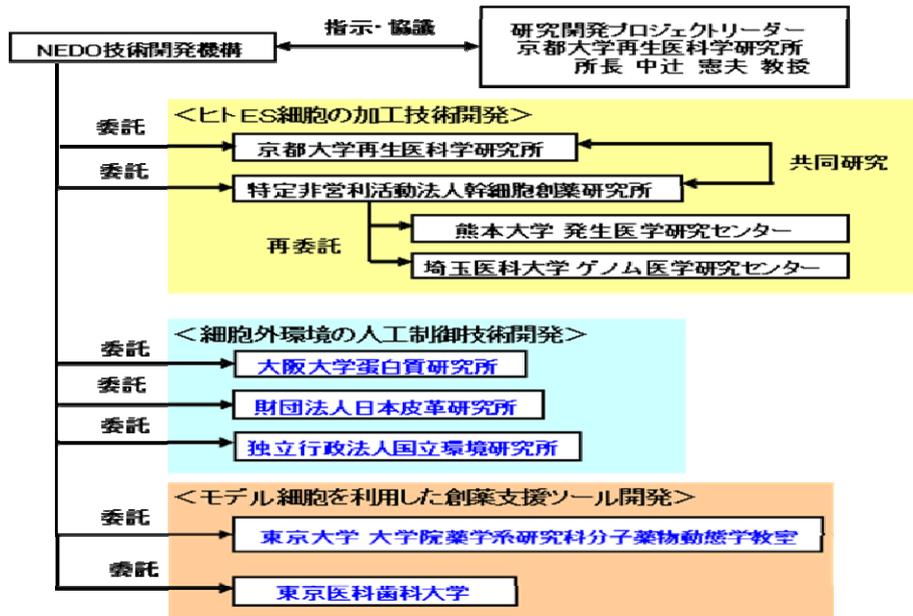
「研究用モデル細胞の創製技術開発」

全体の研究開発実施体制

プロジェクト発足時の実施体制



追加公募後の事業の実施体制 (2)



「研究用モデル細胞の創製技術開発」（事後評価）

評価概要（案）

1. 総論

1) 総合評価

ヒトES細胞の産業利用を目指した我が国初のプロジェクトとして、戦略的な目標を設定し、ヒトES細胞を用いた研究モデル細胞の創出に大きく貢献した。さらに我が国が現在力を入れているヒトiPS細胞を用いたモデル細胞の創製にも大きな貢献をしたものと考えられ、高く評価できる

プロジェクトリーダーの強力なリーダーシップの下、バックグラウンドが異なる研究者グループを率いて研究開発に取り組んだ結果、世界的に優位性のある複数の成果を創出した。また、創薬利用の観点から実用化につながる複数の芽を創出することが出来、創薬における薬効評価・安全性評価に加えて、幹細胞研究・再生医学研究などの関連分野や今後のiPS細胞研究に大いに活かされると考えられる。

その一方、この優れた成果は、論文発表はされているものの、研究者コミュニティへの還元については、改善の余地がある。事業化あるいは公的バンクへの deposit 等により、研究者コミュニティへの還元を加速されたい。

2) 今後に対する提言

今後の創薬研究の効率化とそのため基盤形成のためにも、ヒトES細胞を用いた研究用モデル細胞の創製技術開発研究をさらにパワーアップし、世界標準を作っていくことを期待したい。

本プロジェクトの成果を創薬の場で実用化に繋げるためには、製薬企業が組みたいと考える疾患分野や治療戦略に基づき評価系を構築するなど、製薬企業との共同開発を推進する必要がある。

また、実用化に至らなかったモデル細胞について、今後の具体的な検討課題を整理し、得られた成果をより有効に活用するように今後の支援体制について検討することが必要である。

2. 各論

1) 事業の位置付け・必要性について

安全性が高く、有効性も良好な新薬の開発に資するヒトES細胞の産業応用は、我が国の製薬企業の競争力を高めるための新技術開発であるが、開始時は

倫理面、制度面でのハードルが高く、ニーズは高いもののリスクが極めて大きいことから民間活動のみでは改善できないものであることが多く、又は公共性が高いことに鑑み、NEDOの関与が必要とされる事業である。

本プロジェクトは日本におけるヒトES細胞の基盤研究技術を底上げするもので、国家戦略上も重要な事業と位置づけられ、欧米諸国が国家的支援を行っている状況から、本事業が実施されたことは、健康安心イノベーションプログラムの目標達成のために大きな寄与をしたものと評価できる。

また、本研究で得られた知見は創薬だけではなく幹細胞を用いた再生医療や基礎研究にも利用可能であり、創薬基盤支援のみならず、ライフサイエンス研究全般への大きな波及効果が期待される。

2) 研究開発マネジメントについて

再生医学・再生医療の内外の技術動向、市場動向等を見たとき、本プロジェクトは、ヒトES細胞の加工技術、分化誘導技術、モデル細胞構築という研究の流れを的確に考慮した戦略的な目標が設定されており、適切であると考えられる。プロジェクトリーダーのリーダーシップのもと、幹細胞の基礎生物学だけでなく、企業の研究者、薬理の研究者など分野を超えた世界トップクラスの研究開発実施体制で、各研究グループが連携して研究が推進された。また、直接的に関係が薄かった装置開発テーマの途中中止や、追加公募による細胞外環境の人工制御技術開発を加えるなど、適切なマネジメントがされており評価できる。

しかしこの分野は競争が激しく、特にここ数年で技術が大きく進歩し欧米を中心に実用化も始まっている情勢を考慮し、到達目標の再設定や競争力のあるテーマへの絞込みをより積極的に行なう必要があった。また、一部メンバーの事業全体への貢献度や実用化への積極的な関与に物足りなさを感じた。今後の実用化に向けた課題とその実現体制についてさらなる検討が必要であると考えられる。

3) 研究開発成果について

細胞外マトリックスの研究やヒトES細胞の相同組み換え技術など世界的に優位性がある複数の成果を創出し、全体の目標達成レベルは高く、投入予算に見合った成果が得られている。また、本プロジェクトの成果は一部商品化されており、本邦初のものとして再生医療、再生医学の研究に資するところとして、評価できる。

ヒトES細胞を利用して薬剤候補の毒性試験が可能であることは創薬に役立つことが期待される。世界的にみてヒトES細胞から分化誘導した細胞が創薬

向けに広く製造販売されていない現状を考えると、実用化に向けた今後の取り組みこそが重要である。

成果の発表は論文や学会発表など適切に行われているが、今後、本プロジェクトで得られた研究成果に関する情報発信を積極的に行うことにより、様々なヒト細胞の産業利用の重要性についての社会的認知度を高めていくことが期待される。

また、細胞加工技術について特許出願しないでノウハウとして技術を保有していることは、アカデミアでの使用については問題がないが、企業での使用や事業化の際には支障が出る可能性がある。

4) 実用化の見通しについて

全体として実用に向けて研究が進展し、ヒトES細胞由来心筋細胞を用いた心毒性評価法や人工基底膜による分化誘導制御技術開発など他の競合技術と比較して高い優位性を見出すことができる。さらに、創薬における薬効評価・安全性評価に加えて、幹細胞研究・再生医学研究などの関連分野やiPS細胞研究への波及効果も期待出来る。

しかし、本プロジェクトでは、神経、肝臓等将来有望な領域を含むものの、実用化に向けてまだ基礎生物学的な検討のほか、製造した細胞の同等性評価など検討課題が残されている。学術論文を先に出しておきながら、事業化は外国のグループに先をこされた例（ヒトES細胞の未分化維持システム）もあり、一層の努力を期待したい。

個別テーマに関する評価

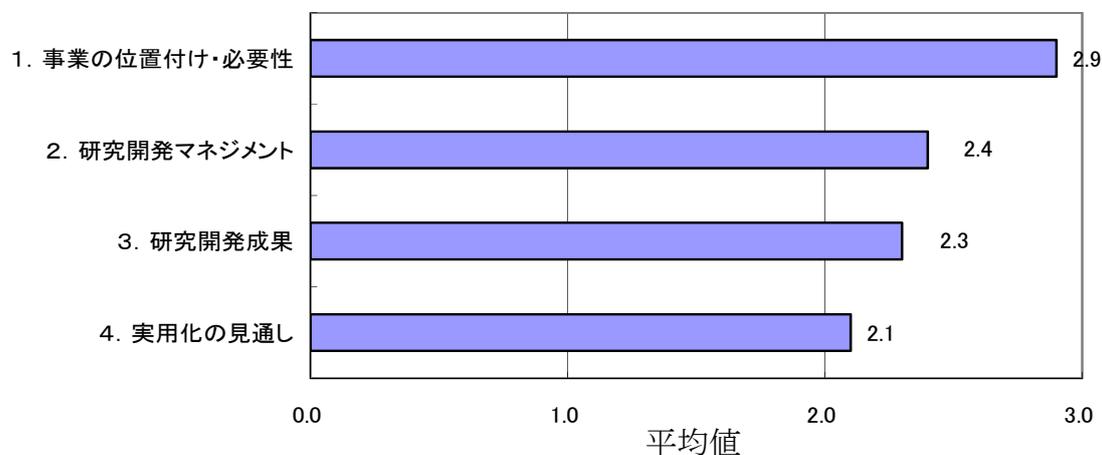
	研究開発成果について	実用化の見通しについての評価及び今後の提言
ヒトES細胞の加工技術開発	<p>モデル細胞の構築に必須な基盤技術として、ヒトES細胞への遺伝子導入技術、誘導発現技術、相同組換え技術の開発を行い、個別課題のみならず全体としても目標を十分に達成した。ヒトES細胞の相同組み換え技術など、独自性の高い重要な技術で世界初の評価すべき点も多く、幅広い応用の可能性がある。今後これらの成果に関する情報発信を積極的に行えば、市場の拡大或いは市場の創造につながることを期待できる。</p> <p>一方、遺伝子相同組み換えがベクターや細胞によって大きく異なる理由が明らかになれば効率をより高めることができる可能性があり、そのためにも分子メカニズムの解析を詳細に行う必要がある。今後、相同組み換えの効率を高める新コンセプトの創成と技術開発に期待する。</p> <p>また、研究成果として多数の論文が発表され、一般研究者に対して積極的な情報発信の努力が認められるが、技術移転などの成果の実用</p>	<p>ヒトES細胞の加工技術は、ヒトES細胞・iPS細胞の創薬分野、再生医療への活用のために必須の技術であり、技術ライセンスや細胞ビジネスなど実用化のイメージは妥当である。</p> <p>また、1)キット発売, 2)ノウハウのライセンスアウトなど、事業化に取り組みを開始しており、関連分野において一定の波及効果が期待できる。将来的に本法が実用化されれば、遺伝子異常を有するES細胞の遺伝子を修復できる可能性が有ると考えられる。</p> <p>但し、実用化は世界をリードして行われるべきものであるが、若干出遅れている感もある。また、成果については研究者コミュニティーに早く情報提供すべきである。</p>

	化と普及に関する効果的な取組みが今後の課題である。	
ヒトES細胞の分化誘導制御技術開発	<p>世界的にも競争の激しいところであるが、要素技術の開発では、大変優れているものも少なくない。人工基底膜による分化誘導技術の開発は、多数の細胞外マトリックスの系統的な発現解析から人工合成にいたるまでを戦略的・計画的に推進しており、基盤技術として価値が高い。また、心筋分化誘導技術については、ES細胞由来心筋細胞を用いたQT延長測定系を確立し、ベンチャー企業において事業化まで進んでいることを高く評価する。</p> <p>しかし、神経分化誘導技術については、他の報告と比較して技術の独自性、優位性が必ずしも明確ではない。肝細胞様細胞の樹立研究は大きく進展が見られたものの、肝細胞様細胞の成熟化の促進において検討課題が残されている。</p>	<p>基底膜蛋白質の高発現系の開発とヒトES細胞の分化制御の連携は素晴らしいものがあり、すぐにでも実用化できる可能性を示している。</p> <p>またヒトES細胞・iPS細胞由来心筋細胞を用いた委託毒性評価をベンチャー企業が世界に先駆けて実用化したことの意義は大きい。さらに多数の薬剤に関する検証データを集め、利便性を向上させることが出来れば、事業規模はさらに広がる可能性がある。</p> <p>一方、ヒトES細胞の未分化維持システムでは、論文発表では本事業の方が先行していたのにも係わらず、海外で先に商品化された。今後、価格・品質の面で勝る技術を早く事業化し、先行の製品より良い日本発の製品として商品化することが待たれる。</p> <p>また、基盤研究としての実用化のイメージは明確であり、それにより優れた研究成果が得られたが、実用化を目指すNEDOのプロジェクトとしては更なる努力が求められる。機能細胞の分化誘導について、スペック、量、生産コストなどについての具体的な目標設定や開発行程が不明確であり、今後具体的な目標設定と課題抽出へと適切に発展させて欲しい。</p>

<p>研究用モデル細胞の構築技術の開発</p>	<p>技術的な観点から、国際的にみてまだまだ未開発な部分が多い challenging な領域であるが、困難なテーマに取り組んだ努力は評価できる。</p> <p>ハイスループットスクリーニング(HTS)技術の開発では機器システムのプロトタイプが完成し、心筋分化誘導促進物質の探索において低分子化合物が同定され、実際に幹細胞を用いて化合物の発見へとつながることを実証した。</p> <p>一方で神経疾患のモデル作成のためにES細胞に遺伝子変異を起こさせる研究や研究用モデル細胞としてのヒト肝細胞は、まだまだ改善の余地があるといえよう。さらに「血液脳関門モデルの創製」では一定の成果が得られたと評価されるものの実用的なレベルまで細胞特性を向上させるには、目標とする細胞特性をより具体的に設定して研究を継続させる必要がある。</p>	<p>ヒトES細胞・iPS細胞由来の分化細胞を用いた創薬評価系は、今後ますます注目される分野であり、基盤研究としての実用化のイメージは明確であり適切である。今後はより具体的な用途に絞って細胞分化、スクリーニングの簡便さなどの改良を進めるとともに、同等性を評価し確保する技術開発が進むことを期待する。</p> <p>しかし、研究用モデル細胞としては、神経細胞、肝細胞とも興味深いものの、実用化には課題が残る。実用化のためには全般的な技術躍進が必要である。今回構築した神経変性疾患モデル細胞を今後、スクリーニング等の創薬研究で利用するためには、利便性、コスト、細胞供給などの面で改善が必要である。</p> <p>また、機能細胞の均一性の確保のための技術開発や、機能細胞の大量創出技術の開発などの現実的なテーマ設定があっても良かった。</p>
-------------------------	--	--

3. 評点結果

3. 1 プロジェクト全体



評価項目	平均値	素点 (注)							
		A	A	A	A	A	A	B	B
1. 事業の位置付け・必要性について	2.9	A	A	A	A	A	A	A	B
2. 研究開発マネジメントについて	2.4	A	B	A	A	B	B	B	B
3. 研究開発成果について	2.3	A	A	B	B	A	B	B	C
4. 実用化の見通しについて	2.1	B	A	B	B	B	B	A	C

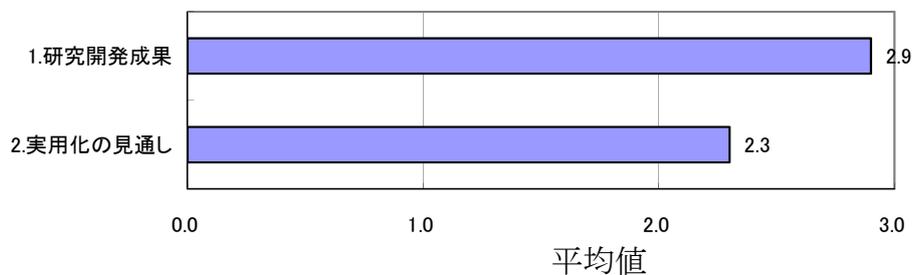
(注) A=3, B=2, C=1, D=0 として事務局が数値に換算し、平均値を算出。

〈判定基準〉

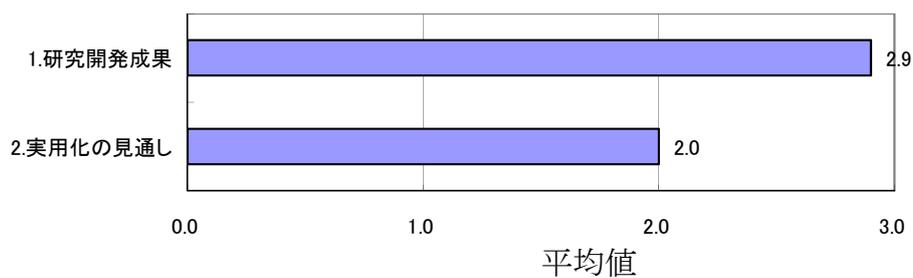
1. 事業の位置付け・必要性について	3. 研究開発成果について
・非常に重要 →A	・非常によい →A
・重要 →B	・よい →B
・概ね妥当 →C	・概ね妥当 →C
・妥当性がない、又は失われた →D	・妥当とはいえない →D
2. 研究開発マネジメントについて	4. 実用化の見通しについて
・非常によい →A	・明確 →A
・よい →B	・妥当 →B
・概ね適切 →C	・概ね妥当であるが、課題あり →C
・適切とはいえない →D	・見通しが不明 →D

3. 2 個別テーマ

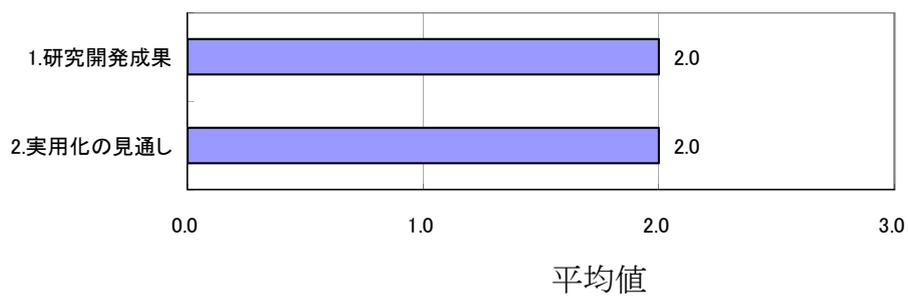
3. 2. 1 ヒトES細胞の加工技術開発



3. 2. 2 ヒトES細胞の分化誘導制御技術開発



3. 2. 3 研究用モデル細胞の構築技術の開発



個別テーマ名と評価項目	平均値	素点（注）							
3. 2. 1 ヒトES細胞の加工技術開発									
1. 研究開発成果について	2.9	A	A	A	A	A	A	A	B
2. 実用化の見通しについて	2.3	A	A	B	B	B	B	B	B
3. 2. 2 ヒトES細胞の分化誘導制御技術開発									
1. 研究開発成果について	2.9	A	A	A	A	A	A	A	B
2. 実用化の見通しについて	2.0	A	A	B	B	B	B	C	C
3. 2. 3 研究用モデル細胞の構築技術の開発									
1. 研究開発成果について	2.0	A	B	B	B	B	B	B	C
2. 実用化の見通しについて	2.0	B	A	B	B	B	B	B	C

（注）A=3, B=2, C=1, D=0 として事務局が数値に換算し、平均値を算出。

〈判定基準〉

1. 研究開発成果について

- ・非常によい
- ・よい
- ・概ね適切
- ・適切とはいえない

2. 実用化の見通しについて

- A ・明確
- B ・妥当
- C ・概ね妥当であるが、課題あり
- D ・見通しが不明