

ERATO「中内幹細胞制御」プロジェクト 追跡評価報告書

1. 研究成果の発展状況や活用状況

本プロジェクトでは、胚盤胞補完法によりヒトの臓器を異種動物の体内で作出することで、臓器不全症の根本的な治療である臓器移植を可能にすることを念頭に、異種間の個体で目的の臓器を三次元的に構築する技術基盤の確立とその実証を目指した。

中内は、本プロジェクト終了後も、科学研究費(基盤研究(A)、基盤研究(S)、新学術領域研究)、国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)の戦略的国際共同研究プログラム、革新的先端研究開発支援事業(LEAP)など、さらに現在拠点とする米国において California Institute for Regenerative Medicine (CIRM)および National Institutes of Health (NIH)より大型競争的資金を獲得して研究を継続、発展させている。

本プロジェクトの成果論文が44報(Top10%論文が19報)であったのに対して、発展論文は73報(Top10%論文が16報)、展開論文は73報(Top10%論文が11報)であった。被引用数も多く、中内の研究が国内外で高い学術的評価を得ているものと判断される。特許に関しては、期間中に出願された国内31件、海外5件のうち国内9件、海外2件が登録された。プロジェクト終了後は、国内14件、海外14件の特許出願を行い、国内5件、海外3件が登録された。

以上より、プロジェクト終了後も卓越した研究が継続して展開され、さらに発展しており、また研究成果も大いに活用されており、高く評価する。

2. 研究成果から生み出された科学技術や社会・経済への波及効果

本プロジェクト終了後の特筆すべき研究成果として、1)ES細胞よりも分化が進んだ前駆細胞から特定の組織に限定したキメラを作製する手法の開発、2)異種キメラ動物体内に作った膵臓で、糖尿病マウスの治療に成功、3)次世代型の胚盤胞補完法と多能性幹細胞の新規培養系による機能的な肺臓器再生法の開発、4)ドナー細胞のキメリズムを異種キメラ体内で飛躍的に上昇させることに成功、が挙げられる。また、中内は、iPS細胞による再生医療を事業化するため、ベンチャー企業を4社(国内3社、米国1社)設立した。現在、中内はスタンフォード大学を拠点とし、また東京医科歯科大学にも籍を置き、国際的に研究を推進している。

本プロジェクトの究極の目標は、「患者自身の細胞に由来するiPS細胞からブタ体内で作製した臓器を患者に移植する」ことである。2019年ついに文部科学省の専門部会がiPS細胞を使って動物の体内でヒトの臓器を作る中内らの研究計画を了承、文部科学相が承認した。これにより、臨床応用に向けた基盤研究が飛躍的に加速している。我が国における臓器移植希望者に対するドナーの圧倒的不足という課題の解決に向けて期待が高まっており、胚盤胞補完法の応用により、患者自身の細胞から作った臓器を移植することが可能になれ

ば、ドナー不足の解消だけでなく、拒絶反応を抑制し、患者の QOL の向上と社会復帰に大きく貢献することが期待できる。

なお、本プロジェクトに参加した若手研究員は大学・研究機関で昇進あるいは職を得て(教授 3 名、准教授 1 名、特任准教授 1 名等)活躍の場を広げ、活躍している。

以上より、本プロジェクトは異種でのヒト臓器作製の基礎的な技術を確立し、臓器移植の新たな手法を創出するものであり、国際的にも高く評価される。また、研究成果の社会実装に向けての準備も順調に進んでおり、社会的・経済的な波及効果は大きいと評価する。

以上