

3-4) 創薬基盤総合研究経費（仮称）

3-4-1) 創薬基盤総合研究経費（仮称）（トキシコゲノミクス研究）

1. 先端的基盤開発研究経費

事務事業名	創薬基盤総合研究経費（トキシコゲノミクス研究）（仮称）
担当部局・課主管課	医政局研究開発振興課
関係課	大臣官房厚生科学課

(1) 基本理念、施策目標、実現目標

基本理念	先端医療の実現
施策目標	先端医療実現のための基盤技術の開発
実現目標	世界に冠たる先端技術の迅速かつ効率的な臨床応用による革新的医療の実現

(2) 事務事業の概要

事業内容（継続）

医薬品の研究開発の初期段階で、将来の副作用発症の可能性をある程度予測できれば、製薬企業は広範な非臨床試験や臨床試験を行う前に新規化合物の安全性を評価することができ、より安全性の高い医薬品を迅速かつ効率的に上市することが可能となる。

そこで本事業では、ヒト肝細胞及びラット肝細胞に対して医薬品候補物質を暴露させ、並行してラットに同じ物質を投与する実験系を構築する。そこから得られた遺伝子変異の情報や毒性・副作用情報、病理学的・生化学的情報のデータを集積し、バイオインフォマティクス技術を活用することにより、医薬品候補化合物の安全性を従来の毒性試験よりも早期に評価・予測し、安全性評価（リスクアセスメント）に用いることができるデータベースを構築する。この研究は、官民が共同して行う。（指定型）

また、多様な研究者が有する資源や研究手法にかかる研究を公募し、競争的資金により支援を行うことにより、ゲノム科学やバイオインフォマティクスを活用した医薬品候補化合物等の選定のための新規スクリーニング技術の開発も併せて行う。（公募型）

なお、より一層の創薬環境の充実・強化を図る観点から、平成18年度より創薬基盤総合研究事業（仮称）を新たに立ち上げ、その中で引き続きトキシコゲノミクス研究の推進を図る。

予算額（単位：百万円）

H14	H15	H16	H17	H18
1,456	1,271	1,176	1,150	（未確定値）

(3)趣旨

1) これまでの研究事業の成果

指定（プロジェクト）型研究において、医薬基盤研究所、国立医薬品食品衛生研究所及び製薬企業の3者による共同研究を着実に進展させる（現在150化合物中約120化合物についてデータを解析中もしくは解析完了）と共に、本プロジェクトへ企業からの研究員が派遣されており、これにより当該研究に係る技術の蓄積及び円滑な移転、人材育成がすすめられている。公募型研究においては、迅速・簡便な微量組織トキシコゲノミクス解析法の確立、薬物動態学を用いて、トランスポーターを介した薬物間相互作用の可能性の定量化、独自の手法を用いた、トキシコゲノミクスの手法としての薬剤-蛋白質相互作用に関する網羅的解析法の開発等の研究が進められ成果が得られている。

2) 残されている課題

指定（プロジェクト）型研究において、データベース構築に必要な対象化合物の数を150と設定した。これは同一条件のもとで生成されたデータベースの規模・質としては世界にも類を見ないものである。このようなデータベースの優位性を保つためには、着実に解析を実施することが必須であり、安易な研究費削減はデータベースの質・規模の低下を招き、プロジェクトの目的達成に大きく影響を及ぼす。限られた研究機関内に予定内容を実施し、データベースを完成させるためにも、所要の予算額の確保が今後の最も重要な課題。

また、公募型研究においては、新規公募の事前評価及び中間・事後評価を適切なタイミングで効果的かつ厳正に実施することにより、採用又は継続する研究課題のレベルを一定水準以上に保つ必要がある。

3) 今後この事業で見込まれる成果

ゲノム情報・技術等を活用した医薬品開発のスクリーニング法、副作用の解明等の技術に関する研究開発を推進することにより、医薬品開発の促進及び安全性確保の両面に寄与することが期待される。

2. 評価結果

(1)必要性

ゲノム科学を初めとするライフサイエンス分野は、先進国において国家戦略として位置づけられており、我が国においても、ミレニアムプロジェクトによる疾患遺伝子の解明、メディカルフロンティアによる疾患タンパク質の解明を押し進めることにより、画期的な医薬品開発等が期待されているところである。

この中で、「ゲノム創薬」の激しい国際競争に伍していくためには、ミレニアムプロジェクトをはじめとするこれまでのゲノム科学の進展により蓄積された成果を踏まえ、医薬品候補物質から迅速かつ効率的に安全性（毒性・副作用）を予測するための技術、すなわち安全性予測技術の開発を行い、我が国の医薬品の開発力の向上を図ることが重要である。

本研究事業では医薬基盤研究所を中核とした医薬品の研究開発に必要となる安全性予測技術の基盤整備を行う指定型プロジェクトの推進や、ゲノム科学やバイオインフォマティクスを活用した医薬品候補化合物等の選定のための新規スクリーニング技術の開発研究を公募型として採択し支援していくことにより、今後も他国に先んじる日本発の画期的な新薬の開発を強力に推進していく必要がある。

(2) 効率性

医薬品候補物質から迅速かつ効率的に安全性（毒性・副作用）を予測するための技術、すなわち安全性予測技術の開発するトキシコゲノミクス研究を推進し、我が国のゲノム創薬技術の向上を図ることを目標としており、それに対しての寄与によって達成度が示される。これにより効率的に事業が進んでいると考えられる。

(3) 有効性

指定研究事業においては、当該研究事業に対する評価委員指針を策定し、外部専門家等による評価（中間・年次評価）を実施している。さらに、当該研究事業によって構築されるデータベースの活用により医薬品候補物質の安全性にかかる評価予測がより早期に行えることが出来るようになり、医薬品の開発の迅速化・合理化につながり、保健医療への貢献度は高い。

公募型研究事業では、「厚生労働省の科学研究開発評価に関する指針」を踏まえ、本研究事業に対する評価指針を策定し、専門家等による評価（事前評価、中間・事後評価）を実施している。

(4) 計画性

トキシコゲノミクス研究において、国家事業として着実に推進していくことが極めて重要である分野については、重点的資金による指定型の研究として推進することとしている。

また同時に、競争的資金による公募型研究課題を採択することにより、多様な研究者が有する研究資源や研究手法に関する情報を収集し、その中から特に優れた研究を支援することにより、医薬品の候補化合物等について、迅速・効率的に安全性（毒性・副作用）を予測する基盤技術に関する研究等の新しい技術によるゲノム創薬を推進する。

(5) その他

特になし

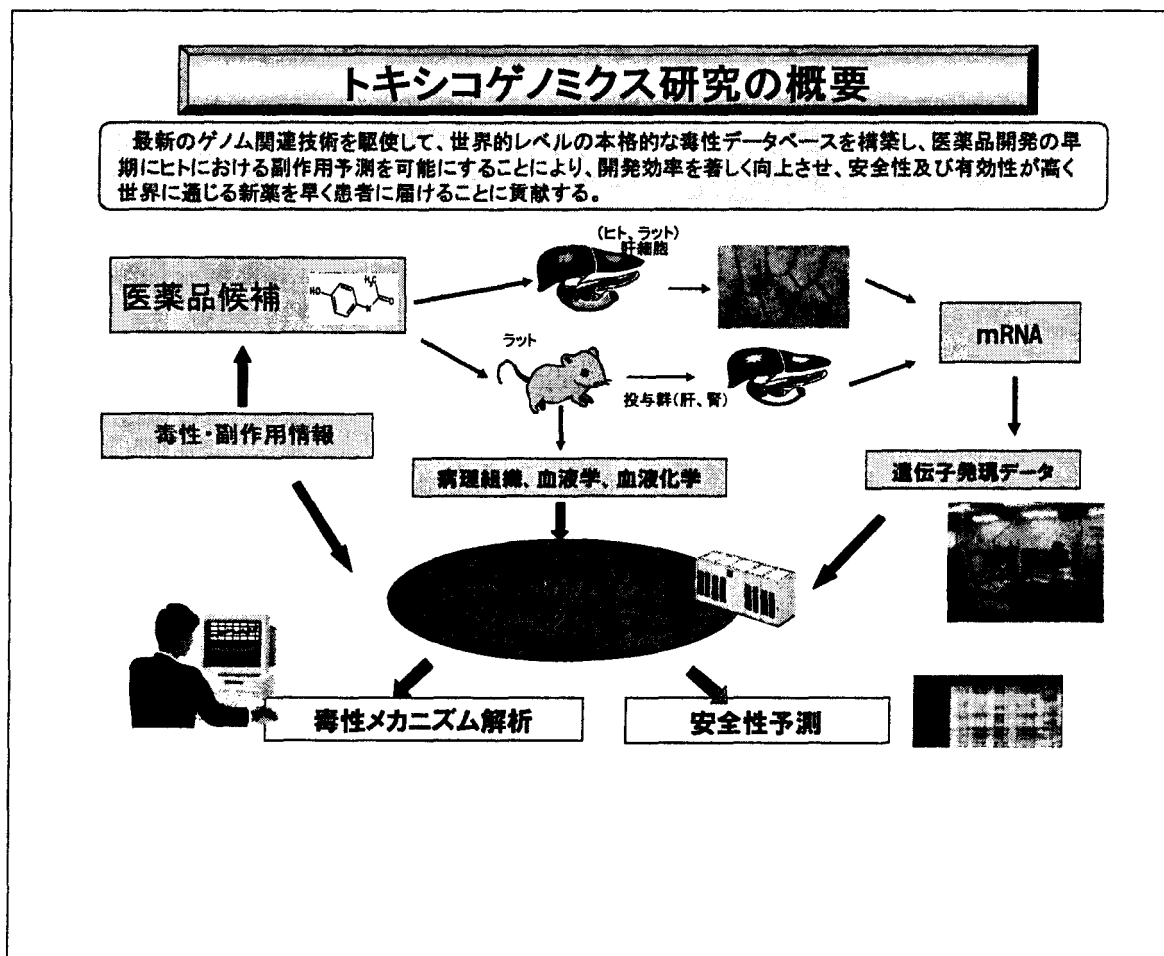
3. 総合評価

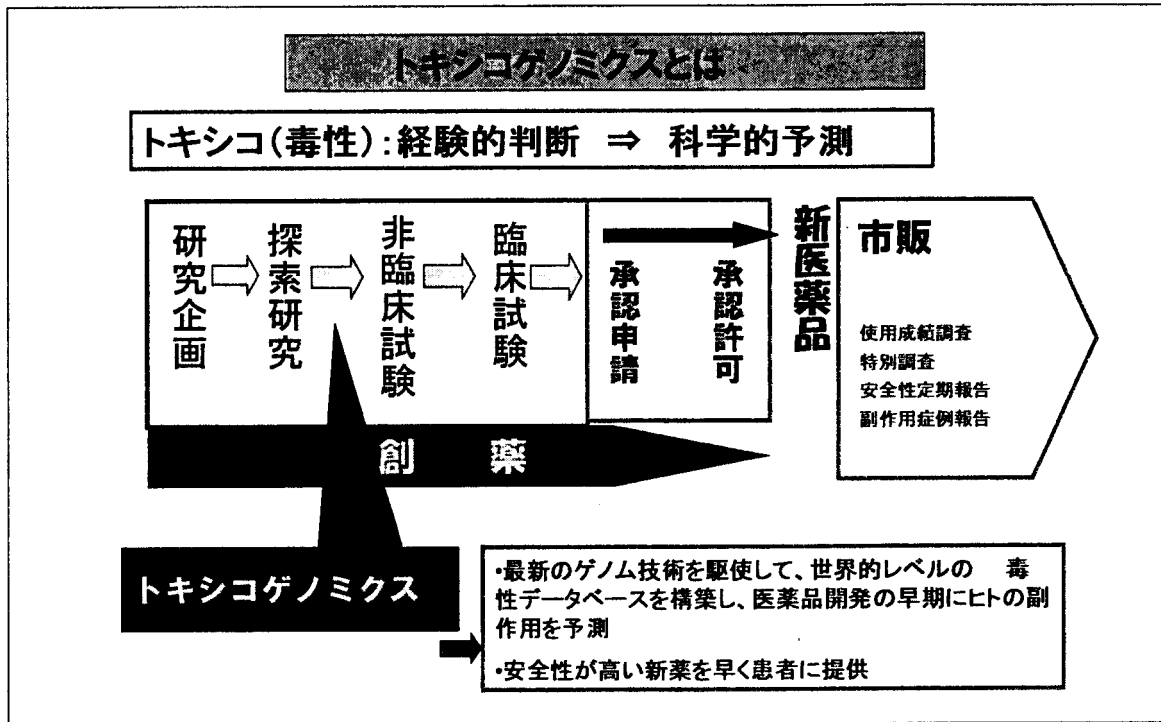
現在、医薬品の開発においては、研究開発の初期段階における動物実験、それに引き続き行われる臨床試験において最終的な安全性を確認することとなるが、この過程で、多大な時間を要するとともに、多数の候補物質が安全性等の問題により製品化が断念される等、時間及び開発費の損失が生じているのが現状である。

本事業において、医薬基盤研究所、国衛研及び国内の製薬企業が共同して、遺伝子発現変化データの精度管理、肝毒性を有する医薬品の遺伝子発現変換解析等を行うことにより、

医薬品候補物質から安全性や有効性に優れた医薬品を選択するための技術である安全性予測技術の開発を着実に推進している。また、公募研究においても、迅速・簡便な微量組織トキシコゲノミクス解析法の確立、薬物動態学を用いて、トランスポーターを介した薬物間相互作用の可能性の定量化、独自の手法を用いた、トキシコゲノミクスの手法としての薬剤-蛋白質相互作用に関する網羅的解析法の開発等着実に成果を挙げているところである。今後とも、我が国におけるゲノム創薬技術の向上を一層推進するため、このトキシコゲノミクス研究の進展に期待したい。

4. 参考 (概要図)





3-4-2) 創薬基盤総合研究経費(仮称)(疾患関連たんぱく質解析研究)

1. 先端的基盤開発研究経費

事務事業名	創薬基盤総合研究経費(仮称)(疾患関連たんぱく質解析研究)(仮称)
担当部局・課主管課	医政局研究開発振興課
関係課	大臣官房厚生科学課

(1) 基本理念、施策目標、実現目標

基本理念	先端医療の実現
施策目標	先端医療実現のための基盤技術の開発
実現目標	世界に冠たる先端技術の迅速かつ効率的な臨床応用による革新的医療の実現

(2) 事務事業の概要

事業内容(継続)

医薬品開発のシーズとなる疾患関連たんぱく質を発見し、その知的財産権を確保することは、激しい国際競争が繰り広げられている医薬品産業の今後の発展に必要不可欠である。このため、高血圧、糖尿病、がん、痴呆等を対象に、産学官が連携して、大規模かつ集中的に疾患関連たんぱく質を同定し、データベース化を行う基盤的研究、医療機関からの提供サンプルの採取・保存方法や効率的なハイスループット分析方法などの基盤技術確立のための研究、疾患関連たんぱく質のデータベース構築に必要なバイオインフォマティクスに係る研究などを進め、国際的に競争力のある医薬品開発のシーズの探索を図る。なお、より一層の創薬環境の充実・強化を図る観点から、創薬基盤総合研究事業(仮称)を新たに立ち上げ、その中で引き続き疾患関連たんぱく質解析研究の推進を図る。

予算額（単位：百万円）

H14	H15	H16	H17	H18
4,300（補正）	500	662	661	（未確定値）

(3)趣旨

1) これまでの研究事業の成果

本事業は平成15年度から5年計画で指定（プロジェクト）型研究として開始した事業である。これまでに産学官共同による事業の運営・実施体制等を整備するとともに、ヒト試料の採取・管理から前処理、質量分析、創薬ターゲット探索用データ解析までを一括管理するシステムを構築し、今年度より試料の解析を開始した。

今後は、引き続き関係医療機関と協力して網羅的な疾患関連たんぱく質解析を進めるとともに、さらなる関連技術の開発を進め、データベース構築を促進する。

2) 残されている課題

データベース構築については研究費と成果が得られるスピード及びその質の間にはリニアの関係があり、安易な研究費削減はデータベースの質の低下を招き、プロジェクトの目的達成に大きく影響を及ぼし、限られた研究機関内に予定内容の実施が困難となることから、所要の予算額の確保が今後の課題。

3) 今後この事業で見込まれる成果

本事業の成果により、創薬シーズが効率的に提供され、医薬品の研究開発が活性化される。これにより、我が国における医薬品産業がスパイラル的な発展をすることにより、日本の医薬品産業の国際的競争力が強化されるとともに、日本国内はもとより世界の患者に優れた医薬品を提供することが期待される。

2. 評価結果

(1)必要性

既に欧米諸国では、疾患からのアプローチとしてのプロテオミクス研究に国家的規模のプロジェクトとして取り組みに着手しているが、我が国においては、欧米のような大規模かつ集中的な疾患関連たんぱく質に関する研究はない。また、多額の費用を要することなどから企業単独で取り組むことも困難である。このため、我が国においても産学官の連携のもと、患者と健常者との間で種類等が異なるたんぱく質を同定し、これに関するデータベースの整備を図ることにより、画期的な医薬品の開発を促進する必要がある。

(2)効率性

創薬研究の活性化につながり、我が国における医薬品産業がスパイラル的な発展を行うことにより、日本の医薬品産業の国際的競争力が強化されるとともに、国内はもとより世界の患者に質の高い医薬品を提供することを目標としており、これらの目標に対する寄与によって達成度が示される。これにより効率的に事業が進んでいると考えられる。

(3)有効性

本研究事業の推進にあたっては、独立行政法人医薬基盤研究所、国立高度専門医療センター等の医療機関、製薬企業からなる共同研究体制を構築し、大規模かつ集中的な疾患関連たんぱく質に係るハイスループット解析の実現等効率的な事業運営を図るとともに、本研究に関する知見と経験を有するプロジェクトリーダーを置き、その下に独自の倫理審査委員会や部門別実施組織を編成するなど、産学官が連携した有効な共同実施体制が構築されている。

さらに、当該研究事業に対する評価指針を策定し、外部専門家等による評価（中間・年次評価）の実施を予定しており妥当である。

(4) 計画性

本研究は、産学官連携で実施する共同研究である。これまでに産学官共同による事業運営・実施体制を整備するとともに、サンプルの採取・管理から前処理、質量分析、創薬ターゲット探索用データ解析までを一括管理するシステムの構築を終え、実際のヒト試料の解析も開始している。今後は、これらを基盤にして、生体試料分析のための前処理等の研究手法や技術の開発も進めながら、共同研究体制を構築した医療機関の協力により大量の試料を収集し、網羅的な疾患関連たんぱく質解析を進め、データベース構築を推進する予定であり、計画性をもって研究が進められている。

(5) その他

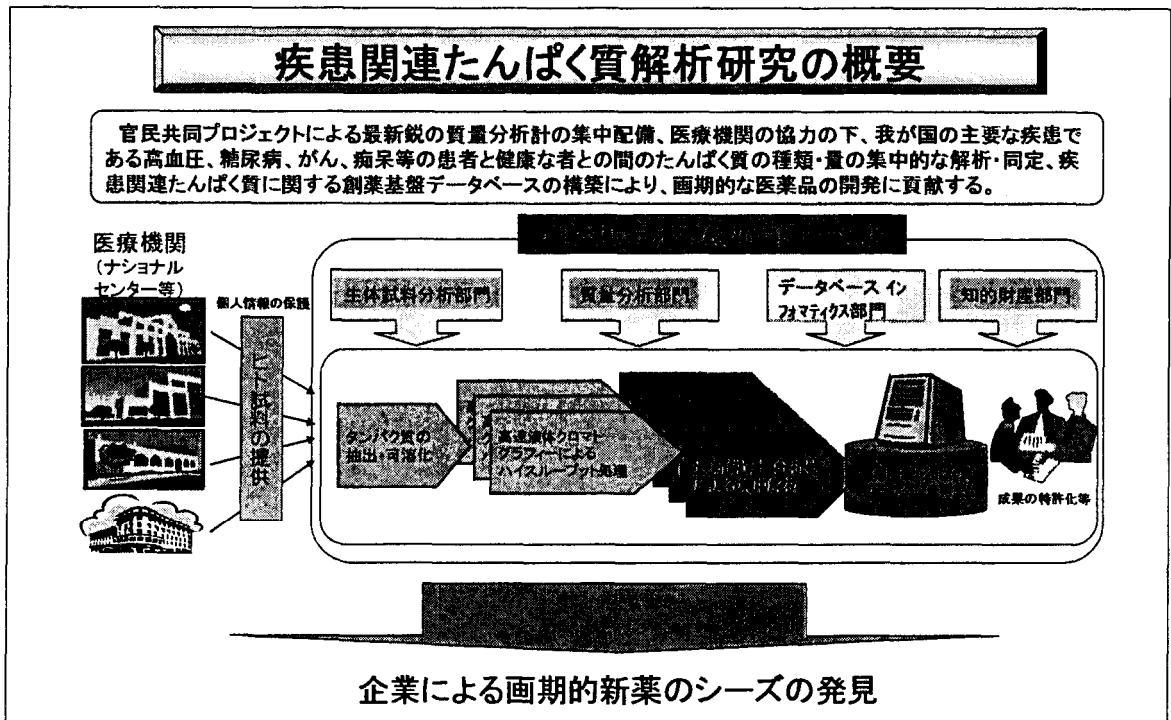
特になし

3. 総合評価

本研究事業は平成15年度より産学官連携の指定（プロジェクト）型研究事業として開始されたものである。これまでに産学官共同による事業の運営・実施体制等を整備するとともに、ヒト試料の採取・管理から前処理、質量分析、創薬ターゲット探索用データ解析までを一括管理するシステムを構築し、サンプルの解析を開始したことは評価できる。今後は、欧米諸国との競争を見据えて、可能な限り早期に、医療機関等と共同で大量の疾患関連たんぱく質を解析・同定し、画期的な医薬品の開発に貢献しうる疾患関連たんぱく質データベースの構築を進めるべきと考える。

今後とも、プロテオミクス研究については、疾患からのアプローチという観点から、引き続き着実に推進すべきである。

4. 参考（概要図）



3-4-3) 創薬基盤総合研究経費（仮称）（政策創薬総合研究）

1. 先端的基盤開発研究経費

事務事業名	創薬基盤総合研究経費（政策創薬総合研究）（仮称）
担当部局・課主管課	医政局研究開発振興課
関係課	大臣官房厚生科学課

(1) 基本理念、施策目標、実現目標

基本理念	先端医療の実現
施策目標	先端医療実現のための基盤技術の開発
実現目標	世界に冠たる先端技術の迅速かつ効率的な臨床応用による革新的医療の実現

(2) 事務事業の概要

事業内容（継続（一部改変））

がん・アルツハイマー病など、有効な治療薬が開発されていない疾病はいまだ多く残されており、優れた医薬品・医療機器（医薬品等）の開発が強く望まれている。このため、（財）ヒューマンサイエンス振興財団を実施主体として公募方式による官民共同研究等を実施する「創薬等ヒューマンサイエンス総合研究事業」を実施してきた。

平成18年度からは、官民共同研究の一層の強化、充実や政策的に必要性の高い分野における創薬への取り組みの推進など、研究事業の目的を明確化し、「政策創薬総合研究（仮称）」として事業を行うこととする。この事業においては以下の2つの研究を行う。

(1) 創薬等ヒューマンサイエンス総合研究

- ① 稀少疾病治療薬の開発に関する研究
- ② 医薬品開発のための評価科学に関する研究
- ③ 政策的に対応を要する疾患等の予防診断・治療法等の開発に関する研究
- ④ 医薬品等開発のためのヒト組織の利用に関する研究

(2) エイズ医薬品等開発研究

- ① 抗エイズウイルス薬、エイズ付随症状に対する治療薬の開発に関する研究
- ② エイズワクチン等エイズ発症防止薬の開発に関する研究
- ③ 抗エイズ薬開発のための基盤技術の開発等に関する研究

なお、より一層の創薬環境の充実・強化を図る観点から、創薬基盤総合研究事業（仮称）を新たに立ち上げ、その中で政策創薬総合研究（仮称）の推進を図る。

予算額（単位：百万円）

H14	H15	H16	H17	H18
2,758	2,576	2,528	1,997	（未確定値）

(3)趣旨

＜前年度の総合科学技術会議および科学技術部会での評価を参考にしてください＞

1) これまでの研究事業の成果

当該事業は3年毎に公募を行っており、H16年度は新規に課題を採択したところである。このため、具体的な成果の例として平成13～15年度の間に各研究分野の官民共同型研究から得られた実例を以下に示す。

〈創薬等ヒューマンサイエンス総合研究〉

第1分野：いくつかの高感度分析法を開発に成功し事業化への動きを開始した成果がある。

第2分野：低酸素反応因子や血管新生作用を持つRNAiに関する成果を応用した医薬品の開発に着手。

第3分野：超難溶性の薬剤の製剤化技術を開発し、成果は安定性試験のガイドライン設定に反映された。

第4分野：神経毒素精製の研究成果が、稀少疾病治療薬の製剤化に応用された。

第5分野：細胞培養由来の新規不活化日本脳炎ワクチンを開発し、承認申請に向け企業において開発中。

第6分野：医薬品製造のプロセスバリデーションに関する成果が製造現場や薬事監視員の教育等に利用。

第7分野：生体肝移植時の免疫抑制剤の体内動態に関する研究により、移植手術での免疫抑制剤の使用法確立に寄与している。

〈エイズ医薬品等開発研究〉

1) エイズおよびHIV感染症とその合併症の迅速な治療のために日本で未承認の治療薬を輸入して臨床研究を行い、副作用の報告、用法、用量等のEBMの集積を通じて多くの医薬品の迅速な薬事法承認に貢献した。

2) 残されている課題

これまで、100件超の特許出願、エイズ患者に対する未承認エイズ薬の治療研究の実施、若手研究者症例研究を通じたポスドクの育成、官民共同研究の実施による研究成果の活用等を通じて、本事業の目的達成を目指しているが、特許については医薬品開発まで相当の時間が必要であり、エイズ治療研究については根本的な治療方法が確立していないため、今後とも継続して研究を実施する必要がある。

また、変化する研究ニーズに迅速に対応するため、平成17年度より毎年公募することとし、さらに平成18年度からは総合科学技術会議の指摘に対応し、事業のあり方を抜本的に見直した。これにより、効率的かつ効果的な事業の運営を図る。

3) 今後この事業で見込まれる成果

官民共同研究により、画期的・独創的な医薬品の研究開発、医療現場のニーズに密着した医薬品の開発及び長寿社会に対応した保健・医療・福祉に関する先端的、基盤的技術開発に関する研究及びエイズ医薬品等の研究開発の推進が期待される。

2. 評価結果

(1) 必要性

画期的医薬品等の研究開発を推進するためには、我が国の研究開発基盤の脆弱性を補完する上でも国が、重点的にライフサイエンス分野への研究資金投下を行い、しかるべく評価をし、研究を推進する必要がある。

また、エイズ医薬品等開発においては、疾病の重大性を踏まえ、国が主体となってエイズ治療薬の開発推進に取り組む必要がある。

(2) 効率性

創薬等ヒューマンサイエンス研究の各分野においては、これまでに100件超の特許が出願されている。さらに、単位研究費あたりの特許出願数、論文発表数に関し、平成15年度の実績を他の厚生労働科学研究事業と比較してもトップクラスである。エイズ医薬品等開発研究においては、エイズ患者に対する未承認エイズ薬の治療研究を行っており、更に若手研究者奨励研究を通じたポスドクの育成や官民共同研究の実施による研究成果の活用を通じて当該事業目的の達成を目指している。さらに平成18年度からは事業のあり方を抜本的に見直し、官民共同研究の一層の充実や政策的創薬へ取り組むこととしている。これらの目標に対する寄与によって達成度が示される。これにより、効率的な事業運営がなされている。

(3) 有効性

事業のあり方の抜本的見直しにより平成18年度からは原則として官民共同研究で行う創薬等ヒューマンサイエンス総合研究(4分野)、エイズ医薬品等開発(3分野)に加えて、若手研究者を育成するための若手研究者奨励研究、国際共同研究を推進するための国際グラントを実施している。

これらの研究に対して、外部の評価委員で構成される評価委員会が、多角的な視点から評価を行い、その結果に基づき適切な研究費の配分が行われている。また、事業の主たる部分である官民共同研究は、民間からの委託金を当該事業に対する補助金に加える手法によって行われており、研究規模の拡大、人材育成などの様々な点から有効である。

(4) 計画性

本事業は、官民共同研究方式を原則として国立試験研究機関と民間研究機関等の研究者、研究資源等を結合し、画期的・独創的な医薬品等の創製のための技術開発、医療現場のニーズに密着した医薬品の開発及び長寿社会に対応した保健・医療・福祉に関する先端的、基盤的技術開発に関する研究を推進するものとしており、公募型研究課題を採択することにより、多様な研究者の有する資源や研究手法を広く集め、研究の推進及び強化がなされている。

(5) その他

特になし

3. 総合評価

近年、急速に高齢化が進む中、がん、アルツハイマー病をはじめとして、これまで有効な治療薬が見いだされていない疾病はいまだ多く残されており、国内の研究基盤を整備する上で、政府が投下するライフサイエンス関係予算を用いた研究の強化によって優れた医薬品が一日も早く開発される必要がある。

また、エイズ医薬品等の研究開発については、行政的に重要性の高い研究事業であり、特に、国内未承認の有効なエイズ/HIV 治療薬における国内の臨床試験の実施については、今後とも精力的に取り組むべき課題である。

さらに、エイズについては、世界的に深刻な状況にあり、アジア諸国でも急増傾向にあるが、本研究事業においては、国際的な共同研究等についても実施されており、さらなる推進が期待される。

これらのことから、官民共同研究により、画期的・独創的な医薬品の研究開発、医療現場のニーズに密着した医薬品の開発及び長寿社会に対応した保健・医療・福祉に関する先端的、基盤的技術開発に関する研究及びエイズ医薬品等の研究開発を推進する当該研究経費の有用性は高いと考える。

4. 参考（概要図）

