

(2) 厚生労働科学特別研究

| | |
|----------|------------|
| 分野名 | I. 行政政策研究 |
| 事業名 | 厚生労働科学特別研究 |
| 主管部局（課室） | 大臣官房厚生科学課 |
| 運営体制 | 所管課単独運営 |

関連する「第3期科学技術基本計画」における理念と政策目標（大目標、中目標）

| | |
|-----|------------|
| 理念 | 健康と安全を守る |
| 大目標 | 安全な誇りとなる日本 |
| 中目標 | 暮らしの安全確保 |

1. 事業の概要

(1) 第3期科学技術基本計画・分野別推進戦略との関係

| | |
|-----------|---------------------------------------|
| 重要な研究開発課題 | 重要な研究開発課題のうち、厚生労働省が所管する研究事業に関係するもの全て。 |
| 研究開発目標 | — |
| 成果目標 | — |

| | |
|-----------------------|--|
| 戦略重点科学技術の該当部分 | 厚生労働科学研究の中でも、緊急性が高く、社会的な要請の強い研究課題について、機動的に研究を行うための事業であり、課題に応じて厚生労働省が所管する研究事業に関する全ての「戦略重点科学技術」及び「重要な研究開発課題」との関係があり得る。 |
| 「研究開発内容」のうち、本事業との整合部分 | — |
| 推進方策 | — |

(2) 社会還元加速プロジェクトとの関係（該当部分）：該当なし

(3) 健康長寿社会の実現との関係（該当部分）：該当なし

(4) 革新的技術戦略との関係（該当部分）：該当なし

(5) 科学技術外交との関係（該当部分）：該当なし

(6) その他

- ・ 低炭素社会の実現との関係：該当なし
- ・ 科学技術による地域活性化戦略との関係：該当なし

(7) 事業の内容（新規・一部新規・継続）

社会的要請の強い諸課題に関する必須もしくは先駆的な研究を支援して、当該課題を解決するための新たな科学的基盤を得ることを目的としており、新たな感染症の発生など極めて緊急性が高く、社会的要請の強い諸問題について研究を行う。また、各事業の一般公募型の研究課題になじみにくく、社会的要請の高い研究課題について研究を実施する場合がある。

(8) 平成22年度における主たる変更点：特になし

(9) 他府省及び厚生労働省内での関連事業との役割分担

基本的に本研究事業においては、緊急性が高く、他の研究事業では実施していない研究を推進することとしている。当該課題については、各部局の関連事業所管課が提案し、大臣官房厚生科学課において、ヒアリング及び事前評価委員会の評価結果を踏まえ選定している。各事業内容を精査した後は、効率的な運用の観点から、所管課において研究事業に係る補助金執行及び研究進捗管理等を行っている。

(10) 予算額 (単位：百万円)

| H 1 8 | H 1 9 | H 2 0 | H 2 1 | H 2 2 (概算要求) |
|-------|-------|-------|-------|--------------|
| 332 | 364 | 417 | 422 | 未定 |

(11) 平成 20 年度に終了した研究課題で得られた成果

本研究事業は、国民の健康生活を脅かす突発的な問題や社会的要請の強い諸課題について、緊急に行政による効果的な施策が必要な場合、先駆的な研究を支援し、当該課題を解決するための新たな科学的基盤を得ることを目的としており、短期間でその成果が集約され、行政施策に活用されることが求められている。

平成 20 年度には、タミフル等の抗ウイルス薬の適正使用に関する研究や、産科救急医療体制や医師不足に関連した医療従事者の連携や役割分担についての研究など、緊急性の高い研究が実施され、行政施策の立案に当たり活用されている。

2. 評価結果

(1) 研究事業の必要性

本研究事業は、国民の健康・安全に係る緊急性のある行政課題について、迅速、かつ、科学的に対応することができるため、社会のニーズへ適合していることに加え、政策・施策の企画立案・実施上極めて必要性が高い。

(2) 研究事業の効率性

本研究事業の特性上、研究期間は 1 年以内であるが、「厚生労働省の科学研究開発評価に関する指針」を踏まえ、本研究事業に関する評価指針を策定し、専門家による事前評価を実施している。また、ヒアリングを実施し、研究の緊急性、目的の妥当性、行政的意義及び関係課との分担・連携及び他研究事業との重複等についても確認した上で、評価結果に基づく研究費の配分を実施しており、効率的に実施されている。短期間ではあるが、政策に反映しうる研究成果が数多くあり、その費用対効果は高いと言える。

(3) 研究事業の有効性

本研究事業では、緊急性のある研究課題が採択され、短期間で現実的な目標達成が求められることから、有効性は高いと言える。また、研究成果は政策・施策へ反映することを意図しているため、社会的、専門的・学術的な波及効果も大きい。

(4) その他

本研究事業は、緊急性が高い研究課題に対する研究経費であり、具体的な目標を明示しつつ、推進体制の適切性、関係課との分担・連携、実施方法の妥当性等を検討しながら採択しており、計画性も担保されている。

3. 総合評価

厚生労働科学特別研究は、緊急性の高い課題について、効果的に事業が実施されている。今後とも、新規に出現してくる国民の健康・安全に係る緊急課題や社会的ニーズの高い課題について迅速に対応していく必要がある。

また、研究成果に基づいた施策立案や制度改正等に向けて、PDCAサイクルを意識した

研究課題の設定、研究の評価、フォローアップ等に留意する必要もある。

なお、「厚生労働行政の在り方に関する懇談会最終報告（平成21年3月30日）」においては、施策が多く国民の理解と納得を得られるよう、企画立案の裏付けとなるような研究を推進することが必要と指摘されているが、本研究事業は、この指摘に対応し得る研究事業であり適切に推進する必要がある。

4. 参考（概要図）

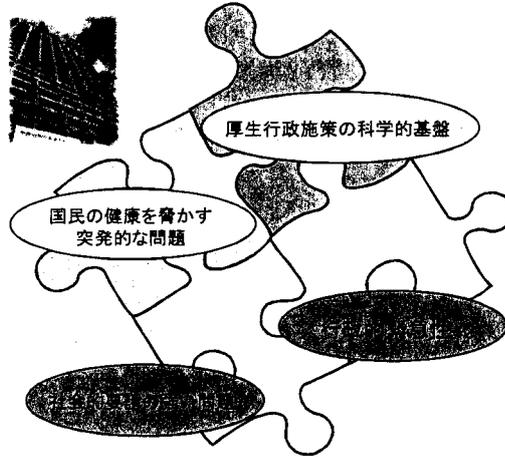
特別研究事業



国民の健康生活を脅かす突発的な問題や社会的要請の強い諸課題について、緊急に行政による効果的な施策が必要な場合、先駆的な研究を支援し、当該課題を解決するための新たな科学的基盤を得ることを目的としている。

平成20年度研究成果例

- ・病院勤務医等の勤務環境改善に関する研究
- ・助産師と産科医の協働の推進に関する研究
- ・臓器移植拡大に受けた医療施設の整備体制に関する研究
- ・ネット世代の自殺関連行動と予防のあり方に関する研究



< II. 厚生科学基盤研究分野 >

厚生科学基盤研究分野は、臨床に直結する成果が期待できる基盤研究について補助することを目的としている。厚生科学基盤研究分野は、「先端的基盤開発研究事業」及び「臨床応用基盤研究事業」からなる。「先端的基盤開発研究事業」には創薬基盤推進研究、再生医療実用化研究、医療機器開発推進研究があり、「臨床応用基盤研究事業」には医療技術実用化研究がある。

(3) 先端的基盤開発研究

- ・創薬基盤推進研究

| | |
|----------|-----------------|
| 分野名 | II. 厚生科学基盤研究 |
| 事業名 | 創薬基盤推進研究経費 |
| 主管部局（課室） | 医政局研究開発振興課 |
| 運営体制 | 医政局研究開発振興課の単独運営 |

関連する「第3期科学技術基本計画」における理念と政策目標（大目標、中目標）

| | |
|-----|------------|
| 理念 | 健康と安全を守る |
| 大目標 | 生涯はつらつ生活 |
| 中目標 | 国民を悩ます病の克服 |

1. 事業の概要

(1) 第3期科学技術基本計画・分野別推進戦略との関係

| | |
|------------------|---|
| <p>重要な研究開発課題</p> | <ul style="list-style-type: none"> ・ 再生医学や遺伝子治療などの革新的治療医学を創成する研究開発 ・ ゲノム、RNA、タンパク質、糖鎖、代謝産物等の構造・機能とそれらの相互作用の解明 ・ 創薬プロセスの加速化・効率化に関する研究開発 ・ 感染症の予防・診断・治療の研究開発 ・ 生活環境・習慣と遺伝の相互関係に基づいた疾患解明及び予防から創薬までの研究開発 ・ がん、免疫・アレルギー疾患、生活習慣病、骨関節疾患、腎疾患、膵臓疾患等の予防・診断・治療の研究開発 ・ 稀少疾病等、公的な対応が必要な疾病の画期的医療技術の研究開発 ・ 研究開発の基礎となる生物遺伝資源等の確保と維持 |
| <p>研究開発目標</p> | <ul style="list-style-type: none"> ・ 2010年までに、ゲノム創薬、個人の遺伝情報に応じた医療の実現に資するための我が国における主要な疾患の関連遺伝子の同定及びその機能の解明、遺伝子治療製剤の安全性・有効性に関する技術の確立に向けた基盤技術を確立する。 ・ 2010年までに、個人の遺伝情報に応じた医療に資するため、薬剤反応性の個人差の原因となる SNPs やマイクロサテライト等の探索・解析システムの実現例を示す。 ・ 2010年までに、医薬品開発の初期段階で利用するトキシコゲノミクスデータベース（ラットの肝臓の遺伝子発現データ等）を構築し、肝毒性等の予測システムの運用開始を実現する。 ・ 2010年までに、日本人における主要疾患（高血圧・糖尿病・がん・認知症等）関連タンパク質を解析・同定し、その結果を活用して、医薬品の研究開発に資する疾患関連蛋白質データベースを構築する。 ・ 2010年までに、感染症・稀少疾病等、政策的に対応を要する疾病の診断・治療に資する新規ワクチンを開発するとともに、創薬に資するモデル動物の開発を実現する。 ・ 2010年までに、ファーマコゲノミクスに基づく評価手法を確立する。 ・ 2010年までに、感染症・稀少疾病等、政策的に対応を要する疾病の診断・治療法の開発に資する研究成果を得るとともに、画期的医療の実用化を可能とする。 ・ 2010年までに、個人の特性に応じた治療や創薬に資するよう、我が国における主要な疾患の関連遺伝子の同定等を行うとともに、予防・治療法や創薬につなげるための手法を開発する。 ・ 2015年頃までに、疾患メカニズムの解明の加速、診断機器の高度化等による創薬プロセスの高度化を実現するとともに、個人の特性を踏まえた、生活習慣病等の予防・早期診断・先端的な治療技術や、難病の早期診断・先端的治療技術を可能 |

| | |
|-------------|---|
| | <p>にする。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 2010年までに、がん、糖尿病などの生活習慣病や難病の治療・診断法を開発するための基盤を蓄積し、臨床研究につなげる。特に、生活習慣病に関しては、遺伝要因と環境要因に応じた疾患の原因を探求することにより、新たな予防・治療法へつなげる。 ・ 2010年までに、早期がん、難治性がん等の疾患の本態や病態変化を解明し、疾患の早期発見と悪性度の早期診断を実現する技術を開発する。 ・ 2010年までに、花粉症等の免疫・アレルギー疾患に関して、治療法につながる新規技術、患者自己管理手法や重症化・難治化予防のための早期診断法等を確立する。 ・ 2015年頃までに、疾患メカニズムの解明の加速、診断機器の高度化、より有用な薬剤候補物質の絞り込み精度の向上等創薬プロセスの高度化を実現し、個人の特性を踏まえた、生活習慣病や難病の予防・早期診断・先端医療技術を実現する。 ・ 2010年までに、健康・食料生産・環境等の研究開発に資する遺伝子、培養細胞、微生物、植物、水産生物、有用昆虫、実験用小動物、霊長類及び日本人由来ヒト試料等の生物遺伝資源等の研究、開発、収集、増殖、保存、品質管理及び提供等を推進・強化する。 ・ 我が国のライフサイエンス研究推進に不可欠な生物遺伝資源等（生体由来試料を含む）を世界最高水準のものとして維持する。 |
| <p>成果目標</p> | <ul style="list-style-type: none"> ・ 2020年頃までに、再生医療、遺伝子治療などに係る先端技術を迅速かつ効率的に臨床応用し、従来の治療法である臓器移植等に代わりうる、神経疾患、感覚器障害等で失われた機能の補完につながる革新的医療の実現を可能にする。 ・ 2015年頃までに、疾患や薬剤の投与に関連する遺伝子やタンパク質等の解析結果を活用して、創薬等の実用化に向けた利用を加速するとともに、成果の迅速かつ効果的な臨床応用により、科学的知見に基づいた新しい予防法や診断法の提供など、革新的医療を可能とする。 ・ 2010年頃までに、化合物選択の歩留まりを高めることにより、新薬開発期間を大幅に短縮し、2015年頃までに革新的な創薬プロセスの実現により新薬開発期間を更に短縮し、新薬開発コストを削減する。 ・ 2015年頃までに、ファーマコゲノミクス等、新たな知見に基づく評価を踏まえた、個人の遺伝情報に応じた医療に有用な医薬品の承認を可能とする。 ・ 2015年頃までに、エイズ・肝炎や鳥インフルエンザ、SARS等の新興・再興感染症に対する国民に適切な医療を提供する。 ・ 2020年頃までに、感染症対策にかかる医薬品開発に資する先端技術を迅速かつ効果的に臨床応用し、画期的医療の実現を可能とする。 ・ 2015年頃までに、生活習慣病改善のための施策の実地とともに、生活習慣病予防や治療に資する科学技術の開発を推進し、がんの罹患率や生存率、心疾患及び脳卒中の死亡率、糖尿病の発生率を改善させる。 |

| | |
|--|--|
| | <ul style="list-style-type: none"> ・ 2020年頃までに、病気から発症に至る分子機構の解明に基づいた新しい治療法や抗体医薬・診断薬、個人の特性に応じた創薬開発、環境因による精神疾患治療の実現を可能にする。 ・ 2015年頃までに、がん、循環器疾患、糖尿病、腎疾患等の早期診断法、革新的治療法、悪性中皮腫の診断・治療法を可能とする。 ・ 2015年頃までに、医薬品・医療機器の開発に資する先端技術を迅速かつ効率的に臨床応用し、稀少疾病等に対する革新的医療を実現する。 ・ 世界最高水準の生物遺伝資源（生体由来試料バンクを含む）を整備・管理し、国内外に提供することにより、幅の広いライフサイエンスの研究事業を展開し、その成果を活用した独創的な創薬、予防・治療法の開発や、生産性や品質の向上した農林水産物・食品の開発等につなげる。 |
|--|--|

| | |
|-----------------------|--|
| 戦略重点科学技術の該当部分 | <ul style="list-style-type: none"> ・ 世界最高水準のライフサイエンス基盤整備 ・ 臨床研究・臨床への橋渡し研究（一部事業が該当） |
| 「研究開発内容」のうち、本事業との整合部分 | <ul style="list-style-type: none"> ・ RNA、解析困難なタンパク質、糖鎖、代謝産物など生命構成体の構造・機能解析による、生命のシステムの要素の相互作用を解明する研究 ・ 国際的優位性が高いデータベースや、国際協力等の観点から我が国で整備しておくべきデータベースを対象とした、蓄積された生命情報のデータの利活用に必須である統合的なデータベース整備に向けた研究開発 ・ 早期に実用化を狙うことができる研究成果、革新的診断・治療法や諸外国で一般的に使用することができるが我が国では未承認の医薬品等の使用につながる橋渡し研究、臨床研究、治験 ・ 研究開発の動向やリソースの質と量の科学的評価を踏まえた、生物遺伝資源等の保全・確保 |
| 推進方策 | <ul style="list-style-type: none"> ・ 生命プログラム再現への取組 ・ 知的財産権の戦略的確保と活用 ・ 臨床研究推進のための体制整備 <ul style="list-style-type: none"> ① 支援体制等の整備・増強 ③ 研究推進や承認審査のための環境整備 |

(2) 社会還元加速プロジェクトとの関係（該当部分）：該当なし

(3) 健康長寿社会の実現との関係（該当部分）：該当なし

(4) 革新的技術戦略との関係（該当部分）

| | |
|-------|--|
| 目標 | (ii) 健康な社会構築 |
| 革新的技術 | <ul style="list-style-type: none"> ・ 創薬技術 iPS細胞活用毒性評価技術（一部事業が該当） |

(5) 科学技術外交との関係（該当部分）：該当なし

(6) その他

・ 低炭素社会の実現との関係：該当なし

- ・ 科学技術による地域活性化戦略との関係 : 該当なし

(7) 事業の内容 (新規・一部新規・継続)

本事業は、医薬品の創薬、創薬に必要な各種技術及びその資源の確保等を目的とし、画期的医薬品の開発を推進するために、創薬の基盤を作る段階の研究開発に対して公的資金を投入して、創薬環境の充実・強化を図るものであり、個別化医療の実現、薬事承認に関する時間と費用の削減、稀少疾患やエイズ等に対する治療薬の開発、がん、感染症等の治療・予防に役立つ画期的医薬品の開発、がん、認知症等に対するワクチンの開発及びがん、心筋梗塞、脳卒中、認知症等の領域での疾患モデル動物の開発等を旨とする研究事業である。

なお、個別の研究事業に関する具体的事項については以下のとおり。

(ヒトゲノムテーラーメイド研究)

本研究は、これまでヒトゲノム分野で明らかになった疾患関連遺伝子やその機能、ファーマコゲノミクス分野で明らかになった医薬品の反応性に関与する遺伝子、その他ゲノム関連の様々な知見を総合的にとらえ、バイオインフォマティクス技術を駆使して、日本人に代表的な疾患について個人の遺伝子レベルにおける差異を踏まえた個別化医療の実現を目指す事業であり、イノベーション25の目標である「個人の特性に応じた治療や創薬に資するよう、我が国における主要疾患の関連遺伝子の同定や予防・治療法や創薬につなげるための手法の開発」に該当するものである。

〔一般公募型〕

① ヒトゲノムテーラーメイド医療の実用化に関する研究

(創薬バイオマーカー探索研究)

たんぱく分野は、生体由来たんぱく質について質量分析装置を利用して配列同定等の研究を中心に行うものであるが、解析方法等の多様化、高感度化等の解析技術の確立や検体の保管等の基盤の整備を指定型研究として推進するとともに、個々の疾患等のテーマ毎に他の解析方法等も利用しつつ、研究機関と企業による共同研究を進めることで、創薬関連の薬効評価等のバイオマーカーの探索等を行い、医薬品等の開発推進に資する研究を実施する。

トランスクリプトーム分野は、創薬に活用できる安全性に係るトランスクリプトームに関して、これまでに構築した動物におけるトキシコゲノミクスのデータベースの活用を促進する研究を実施するとともに、ヒト肝細胞への外挿や肝毒性以外のターゲットへの拡大を行い、創薬を効率的に実施する包括的なトランスクリプトーム解析を行う。

イノベーション25の目標である「医薬品開発の初期段階で利用するトキシコゲノミクスデータベースを構築し、肝毒性等の予測システムの運用開始」及び「日本人における主要疾患(高血圧・糖尿病・がん・認知症等)関連たんぱく質を解析・同定し、医薬品の研究開発に資する疾患関連蛋白質データベースを構築」に該当するものである。

【たんぱく分野】

〔一般公募型〕

- ① 疾患関連バイオマーカーの探索及び構造解析
- ② 疾患関連バイオマーカーの高次機能や画像情報の解析、臨床研究による機能の解析
- ③ 創薬候補物質によるたんぱく質や代謝物発現状況に関する技術(トキシコプロテオミクス、トキシコメタボロミクス)に関する研究

〔指定型〕

- ① 疾患関連たんぱく質解析の効率化に関する研究

【トランスクリプトーム分野】

〔一般公募型〕

- ① トキシコプロテオミクス、トキシコメタボロミクス、ヒトES細胞等の利用による評価系の開発に関し、指定研究と連携して、安全性バイオマーカーの開発に資する研究
- ② 臨床(臨床研究を含む)における副作用の発現メカニズムに関し、指定研究と連携

して、安全性バイオマーカーの開発に資する研究

- ③ 肝・腎毒性以外の一般毒性をターゲットとしたトランスクリプトーム手法を用いた安全性予測・評価研究

〔若手育成型〕

- ① トランスクリプトーム分野の一般公募型の研究課題において若手研究者が主体となって行う先端的あるいは基盤的研究

〔指定型〕

- ① トランスクリプトーム手法を用いた医薬品安全性評価予測システムの構築とその基盤に関する研究

(政策創業総合研究)

稀少疾患やエイズ等に対する治療薬の開発は、産業界の自主努力に頼るだけでは研究開発の促進が図られないことから、これらの領域について、優れた医薬品・医療機器（医薬品等）の開発を行うため、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成のための技術開発を行う事業であり、イノベーション25の目標である「感染症・稀少疾病等、政策的に対応を要する疾病の診断・治療に資する新規ワクチンを開発するとともに、創業に資するモデル動物の開発」に該当するものである。

〔一般公募型〕

- 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予防診断・治療法等の開発に関する研究（政策的に対応を要する疾患の例：C型肝炎、花粉症など）
④ 医薬品等開発のためのヒト組織の利用に関する研究
⑤ 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
⑥ エイズ発症防止薬の開発に関する研究
⑦ 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

〔指定型〕

- ① 政策的に対応を要する研究

(創業総合推進研究)

平成21年度の「次世代ワクチン開発研究」、「生物資源・創業モデル動物研究」を統合し、これら既存研究を主とした創業基盤全般を推進するための研究。

次世代ワクチン開発分野は、感染症のみならず、がん、認知症等に対するワクチンの開発や、これまでの鶏卵培養・注射による古典的な技術のみならず、DNAワクチン、組織培養法によるワクチン等の新ワクチンの生産技術、品質管理技術の開発及びそれらのワクチンの臨床評価などの実用化に関する研究を行う事業であり、イノベーション25の目標である「感染症・稀少疾病等、政策的に対応を要する疾病の診断・治療に資する新規ワクチンを開発するとともに、創業に資するモデル動物の開発」に該当する。

また、生物資源・創業モデル動物分野は、研究の推進及び行政活動の実施に必要とされる生物資源（培養細胞、ヒト組織、遺伝子、実験動物、霊長類、薬用植物）の整備を図り、厚生労働科学研究を支える基盤としての生物資源研究の充実化を行うものであり、イノベーション25の目標である「感染症・稀少疾病等、政策的に対応を要する疾病の診断・治療に資する新規ワクチンを開発するとともに、創業に資するモデル動物の開発」に該当する。また、iPS細胞を用いた医薬品の有効性、安全性のスクリーニング方法の開発等に係る研究を実施する。

〔一般公募型〕

- ① ワクチンの基礎生産技術、臨床評価、免疫増強剤に関する研究
② がん、心筋梗塞、脳卒中、認知症等の領域で開発が望まれる新規の疾患モデル動物（細胞等の評価系を含む）の開発または自然発生病態動物の開発法・システムに関する研究。

〔指定型〕

- ① 創薬モデル動物データベース構築に関する研究
- ② iPS細胞による創薬スクリーニングモデル細胞に関する研究

(8) 平成22年度における主たる変更点

(創薬総合推進研究)

研究事業を見直し、「次世代ワクチン開発研究」、「生物資源・創薬モデル動物研究」を統合するとともに、これら既存研究を主とした創薬基盤全般を推進するための研究事業を新設。

(9) 他府省及び厚生労働省内での関連事業との役割分担

(ヒトゲノムテラメード研究)

総合科学技術会議から指摘を受け、文部科学省の SNP 関係の事業と整合性を図るため、内容について精査を行い、戦略的にバイオマーカー探索へ発展させるよう必要な研究を推進することとしている。

(10) 予算額 (単位: 百万円)

| | H18 | H19 | H20 | H21 | H22 (概算要求) |
|------------|-------|-------|-------|-------|------------|
| (ヒトゲノム) | 2,012 | - | - | - | |
| (テラメード) | - | 1,997 | 1,438 | 791 | |
| (トキシ) | 805 | 544 | - | - | |
| (タンパク) | 562 | 393 | - | - | |
| (創薬パイ) | - | - | 1,171 | 1,020 | |
| (政策創薬) | 2,139 | 2,071 | 1,968 | 1,673 | |
| (創薬総合) | - | - | - | - | |
| (次世代ワクチン) | - | - | 100 | - | |
| (生物資源) | - | 300 | - | 91 | |
| (生物・モデル動物) | - | - | 425 | - | |
| | | | | 381 | |
| (総額) | 5,518 | 5,305 | 5,102 | 3,956 | 未定 |

(11) 平成20年度に終了した研究課題で得られた成果

(ヒトゲノムテラメード研究)

- ・ パーキンソン病に対する遺伝子治療を実施し、ベクターによる有害事象が無く、線条体のドパミン合成能の回復がPETにて示されるとともに、ほぼ全例で運動機能の改善がみられた。
- ・ 難治性てんかん性脳症の大田原症候群について、原因遺伝子である STXBP1 の単離に成功した。
- ・ 致死性遺伝性不整脈疾患である先天性QT延長症候群 (LQTS) および Brugada 症候群において、多施設登録データベースを基に、遺伝情報と臨床情報の関連を検討した。また、先天性及び薬剤などによる二次性 LQTS、Brugada 症候群につき、これまで報告のない遺伝子変異 (新規の遺伝子型) を同定した。

(創薬バイオマーカー探索研究)

- ・ 薬剤性間質性肺炎に関する動物モデルを確立し、このモデルが新薬候補品の間質性肺炎副作用を予測するシステム及び間質性肺炎治療薬の評価システムとして有用であることを示した。また、ゲフィチニブなどが抗炎症タンパク質を低下させることにより薬剤性間質性肺炎を起こしていることを示唆するデータが得られ、薬剤性間質性肺炎の誘導機構の解明が進んだ。
- ・ 重層的・定量的トキシコモディファーム解析を用いた安全性バイオマーカーの探索の

ため、その基盤技術となる、SILAC法を用いた精度の良いプロテオーム定量系を構築し、それを用いたリン酸化ペプチドの同定・定量系を構築した。

(政策創業総合研究)

- ・ヘモグロビン小胞体による人工酸素運搬体を開発し、動物実験により有効性および長期保存性を検証するとともに、物性が均質なことを確認した。
- ・ヒト用新型インフルエンザワクチン株作成用に安全性、品質の検証された培養細胞L1210-F2細胞のバンク構築に成功し、RG法を用いたヒト用インフルエンザ株の供給を可能にした。
- ・血管炎治療のための、ヒト型人工ガンマグロブリンのプロトタイプを開発し、モデルマウスによる力価判定を実施するとともに、体外診断法の開発を免疫系と血管内皮細胞にて検討した。

(次世代ワクチン開発研究)

- ・ヒトに応用可能なM細胞標的型粘膜ワクチンを開発するため、カンクイザルのパイエル板およびヒトの扁桃を実験材料とし、両方のM細胞に反応性を有するモノクローナル抗体の作成を進め、抗体の樹立などの成果を得た。
- ・HSPを介した樹状細胞内での抗原ペプチド、抗原蛋白のクロスプレゼンテーションの機構を明らかにし、効率よく強力なCTLを誘導することを可能にした。
- ・抗がん免疫アジュバントとして、TLR2アジュバントおよびTLR3アジュバントを確立するとともに、樹状細胞によるNK活性化の機能とマウス移植がん退縮効果を評価した。

(生物資源・創薬モデル動物研究)

- ・マーマセットを用いたデングウイルス感染・発症モデルを確立し、本モデルがワクチン評価系で有用であることを確認した。
- ・ヒト多因子疾患に即したモデルマウスを作成するために、多重ノックダウンシステムの開発を試み、これまでに2種ノックダウンシステムの開発に成功した。
- ・国内外の植物資源を材料に、抗酸化活性等の強い活性を示した植物から活性成分を単離し、その構造を明らかにした。

2. 評価結果

(1) 研究事業の必要性

本事業は、医薬品の創薬、創薬に必要な各種技術及びその資源の確保等を目的とした事業である。なお、「新健康フロンティア戦略」、「イノベーション25」、「ワクチン産業ビジョン」、「革新的医薬品・医療機器の創出のための5か年戦略」、「第3期科学技術基本計画」及び「経済成長戦略大綱」において、医薬品開発に資する基礎・基盤研究の推進が述べられており、本事業は強力に推進する必要がある。

個別の研究事業に関する必要性は以下のとおり。

(ヒトゲノムテラメード研究)

本研究事業は、これまで明らかになったゲノム関連の様々な知見を総合的にとらえ、バイオインフォマティクス技術を駆使して、日本人に代表的な疾患について個人の遺伝子レベルにおける差異を踏まえた個別化医療の実現を目指すものである。

平成20年度の研究においては、パーキンソン病に対する遺伝子治療により改善傾向が確認される、大田原症候群に責任遺伝子の単離に成功するなどの重要な結果が得られており、その必要性は高い。

(創薬バイオマーカー探索研究)

本事業は、トランスクリプトーム分野及びたんぱく分野よりなる事業であり、創薬ターゲットに活用できるバイオマーカー・タンパク質の探索、機能解析及び臨床研究の推進を行うものである。

平成20年度において、薬剤性間質性肺炎誘導機構の解明が進むとともに、安全性バイオマーカーの探索のための基盤技術構築などの成果が得られており、その必要性は高い。

(政策創薬総合研究)

本事業は、希少疾患やエイズ等に対する治療薬の開発などの、政策的に重要であるが、産業界の自主努力に頼るだけでは研究開発の促進が図られないような領域について、優れた医薬品・医療機器の開発を行うため、官民の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を行うものである。

平成 20 年度において、人工酵素運搬体の開発や、ヒト用ワクチン株作製用 GMP-LLCMK2 細胞を用い、国内におけるヒト用 H5N1 弱毒化ワクチン株を作成するなどの成果が得られ、治療薬の開発も進んでいる。

また、グリア細胞をターゲットとする創薬など新たな治療薬へのアプローチも具体化しており、その必要性は高い。

(創薬総合推進研究)

本事業は、平成 22 年度から「次世代ワクチン開発研究」、「生物資源創薬モデル動物研究」を統合し、これら既存研究を主とした創薬基盤推進全般のための研究を実施する。

次世代ワクチン開発研究として、感染症のみならず、がん、認知症等に対するワクチンの開発による疾患の予防や、組織培養や遺伝子組換えたんぱく技術等のワクチン製造技術の低コスト化・効率化などにより、国民健康を増進させることを目的とするとともに、生物資源創薬モデル動物研究として、生物資源（培養細胞、ヒト組織、遺伝子、実験動物、霊長類、薬用植物）の整備及び薬効評価に利用できるモデル動物（細胞等の評価系を含む）を作成し、厚生労働科学研究を支える基盤を整備することを目的とする。

平成 20 年度において、M 細胞に反応性を有するモノクローナル抗体の作成や、HSP-抗原ペプチド複合体によるがんワクチンとしての免疫性向上など(次世代ワクチン開発)に加え、マーモセットを用いたデングウイルスワクチン評価系の有用性、強い活性を示した植物から活性成分を単離し構造を明らかにするなど(生物資源創薬モデル動物)の成果が得られており、その必要性は高い。

(2) 研究事業の効率性

本事業を実施することにより、科学技術の進展のための人材育成（政策創薬総合研究）、創薬の開発期間の短縮、薬事審査における評価指標の活用（創薬バイオマーカー探索研究）、副作用等に対応するコスト削減（ヒトゲノムテラーメード研究）、生産技術、品質管理技術の開発による製造の低コスト化、保存期間の延長（創薬総合推進研究）などが期待できる。なお、その結果、新規に開発される医薬品の開発コストの削減及び国民健康の増進等による医療費の削減が見込まれる。

なお、個別の研究事業に関する具体的事項については以下のとおり。

(ヒトゲノムテラーメード研究)

「新健康フロンティア戦略」の人間活動領域拡張力の「先進的予防・診断・治療技術の開発」において「画期的治療法をもたらす技術」が、また、「イノベーション 25」において、創薬プロセスの加速化・効率化に関する研究開発が述べられており、強力に推進する必要がある。本事業の成果により、ゲノムレベルでの個人差を踏まえた医薬品の効果及び副作用を事前に予測するシステムが開発されれば、患者へのより安全・安心な医療技術の提供が図られ、副作用等に対応するコスト削減が可能となるため、医療費削減への寄与も期待できる。

(創薬バイオマーカー探索研究)

「新健康フロンティア戦略」の人間活動領域拡張力の「先進的予防・診断・治療技術の開発」に「画期的治療法をもたらす技術」が、また、「イノベーション 25」に「創薬プロセスの加速化・効率化に関する研究開発」が述べられており、強力に推進する必要がある。たんぱく分野については、たんぱく質の解析を行う事業において使用する質量分析以外の方法も活用することとしている。トランスクリプトーム分野は、着実な推進を図る観点から指定型として製薬企業と共同研究を行うこととしている。なお、同時にこれらの研究成果は、医薬品の効率的な評価のバイオマーカーとして、承認審査における評価基準作成の基礎データとして活用することが可能である。

(政策創薬総合研究)

「新健康フロンティア戦略」の人間活動領域拡張力の「先進的予防・診断・治療技術の開発」に「画期的治療法をもたらす技術」が、また、「イノベーション25」には「創薬プロセスの加速化・効率化に関する研究開発」が述べられており、引き続き推進すべき研究事業である。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。エイズ医薬品等開発研究においては、エイズ患者に対して我が国では未承認のエイズ薬を用いた治療研究を行っている。また、若手研究者奨励研究を通じた人材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。これらの成果を定量化することは困難であるが、科学技術の進展における人材育成の重要性等をふまえると、その費用対効果は大きいと思料される。

(創薬総合推進研究)

「新健康フロンティア戦略」の人間活動領域拡張力の「先進的予防・診断・治療技術の開発」に「画期的治療法をもたらす技術」が、また、「革新的医薬品・医療機器の創出のための5か年戦略」の下で推進する研究であり、「新健康フロンティア戦略」の「医薬等ベンチャー・基盤産業支援対策」に「各省横断的な医薬・機器開発リソース・ライブラリー（天然資源、生物資源及びその解析データ）を形成または強化する。」が、さらに「イノベーション25」には「臨床研究・臨床への橋渡し研究」の「創薬プロセスの加速化・効率化に関する研究開発」に「感染症・稀少疾患等、政策的に対応を要する疾病の診断・治療に資する新規ワクチンを開発するとともに、創薬に資するモデル動物の開発」が述べられており、引き続き、強力に推進すべき事業である。

次世代ワクチン開発分野は、感染症のみならず、がん、認知症等に対するワクチンの開発による疾患の予防や新ワクチンの生産技術、品質管理技術の開発によるワクチン製造の低コスト化、保存期間の延長などにより得られる効果により、国民健康を増進させるとともに、医療費削減への寄与も期待でき、費用対効果に優れた事業である。また、生物資源創薬モデル動物分野は、生物資源（培養細胞、ヒト組織、遺伝子、実験動物、霊長類、薬用植物）の整備及び薬効評価に利用できるモデル動物の作製により、創薬の開発期間の短縮が期待され、それら資源のデータベースを構築し、創薬研究の用に供することにより、ライフサイエンス研究の基盤を支えるとともに、それら研究に係る費用の削減に寄与することが期待できるため、費用対効果が大きいと思料される。

(3) 研究事業の有効性

本事業を実施することにより、個人差に応じた最適な医療・処方が実現（ヒトゲノムテーラーメイド研究）、知的財産権の確保、情報公開への迅速な対応（創薬バイオマーカー探索研究）、産業界の自主努力に頼るだけでは研究開発の促進が図られない希少疾患やエイズ等に対する治療薬の開発（政策創薬総合研究）、国民健康の増進・創薬研究の推進（創薬総合推進研究）が期待でき、企業の国際競争力の強化から国民健康の増進まで、その有効性は計り知れない。

なお、個別の研究事業に関する具体的事項については以下のとおり。

(ヒトゲノムテーラーメイド研究)

我が国の主要な疾患に関連する遺伝子の解析や遺伝子治療の基盤となる研究、遺伝子治療に用いるベクターの開発及び遺伝子治療に用いるベクターの安全性・有効性評価方法に関する研究等ヒトゲノム分野、遺伝子治療分野及びファーマコゲノミクス研究における研究結果を活用し、これまでに研究事業で得られた成果に加え、世界中で精力的に行われてきたゲノム研究にかかる成果を総合的にとりまとめ、ゲノムレベルでの個人差に応じた最適な医療・処方が実現するなど、患者にとってより安全・安心な医療技術の提供の実現が期待され、有効性は高い。

(創薬バイオマーカー探索研究)

たんぱく分野においては、民間企業では入手困難な生体組織を用いた研究に焦点を当て、今後も各種疾患患者血清及び癌などの組織を用いて、血中及び組織中のたんぱく質の同定及び比較定量を実施するだけでなく、バイオインフォマティクスによる解析、臨床評価との関

連などバリデーションを行い、薬効評価等に利用できるバイオマーカーの取得・検証等の更なる成果の実現が期待される。このような臨床評価を伴ったバイオマーカーを取得することにより、これをレギュラトリーサイエンス分野にも応用し、医薬品の開発・承認審査の迅速化にも資することが期待されている。

トランスクリプトーム分野においては、これまでの成果をとりまとめて企業の開発力の強化に資するために、膨大なデータをハンドリングするための解析システム、多重解析・判別分析を主とした予測システムを開発して利用に供したところであり、その有効性は高い。

(政策創薬総合研究)

希少疾患やエイズ等に対する治療薬の開発は、政策的に重要であるが、産業界の自主努力に頼るだけでは研究開発の促進が図られない。このような領域について、優れた医薬品・医療機器の開発を行うため、官民の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を行っている。具体的には、(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を行う「創薬等ヒューマンサイエンス総合研究」及び「エイズ医薬品等開発研究」を実施しており、有効性は高い。

(創薬総合推進研究)

次世代ワクチン開発分野は、ワクチン＝感染症予防という概念を取り払い、がん、認知症等の治療に有効なワクチンなどの開発を実施することは、国民健康の増進及び医療現場等における患者への治療の選択肢を増やすことができる。

また、生物資源・創薬モデル動物分野は、本研究事業により、生物資源(培養細胞、ヒト組織、遺伝子、実験動物、霊長類、薬用植物)の整備及びそれら資源のデータベースを構築し、必要な生物資源やそれらのデータを研究者に提供することにより、創薬研究を推進することが期待できることから、その有効性は高い。

(4) その他：特になし

3. 総合評価

厚生労働省においては、革新的創薬等のための官民対話に基づく「革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略」を策定し、関係府省や産業界とも連携しながら、医薬品・医療機器の研究開発の推進に向けた施策を実施しており、創薬基盤推進研究による優れた医療を国民に迅速に提供するための研究開発支援は非常に重要であることから、当該事業は積極的に推進していくべきである。