

5. 基礎研究推進事業費 (独立行政法人医薬基盤研究所運営費交付金)

事業名	保健医療分野における基礎研究推進事業
主管部局（課室）	医政局研究開発振興課
運営体制	医薬基盤研究所は大臣官房厚生科学課の所管であり、基礎研究推進事業費は、医政局研究開発振興課が所管しており、両課の密接な連携により事業を推進している。

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	国力の源泉を創る
大目標	イノベーター日本—革新を続ける強靱な経済・産業を実現
中目標	科学技術により世界を勝ち抜く産業競争力の強化

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	<ul style="list-style-type: none"> ・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 ・精神・神経疾患、感覚器障害、認知症、難病等の原因解明と治療の研究開発 ・QOLを高める診断・治療機器の研究開発 ・感染症の予防・診断・治療の研究開発 ・治験を含む新規医療開発型の臨床研究
研究開発目標	<ul style="list-style-type: none"> ○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の精度の向上等の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。 ○画像診断機器の高度化等による検査の高速化や、生体機能・代謝の可視化による疾患の早期発見技術を実用化する。 ○神経工学・再生医療学を適応した神経疾患・感覚器障害の治療法の確立を目指した知見を集積する。 ○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とする。 ○デバイスやバイオセンサ等、ナノ技術を駆使し、生体構造・組織への適合性を高めた医療機器の開発を進め、臨床応用が検討される段階まで到達する。 ○国民の健康を脅かす新興・再興感染症について、国民に対する適切な医療の確保への道筋をつけるべく、予防・診断方法の確立や治療法の開発を実現する。 ○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となる知見を集積し、臨床研究に繋げる。基盤の集積

	により、我が国で生み出された基礎研究成果を活用・育成することにより、臨床研究を経て、実用化（創薬等）を目指す。また、我が国で生み出された基礎研究成果からトランスレーショナルリサーチにより、実用化を可能とする。
成果目標	<ul style="list-style-type: none"> ◆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。 ◆精神疾患、神経・筋疾患、感覚器疾患について、細胞治療、遺伝子治療、創薬等による治療法の例を示す。 ◆低侵襲で早期復帰が可能な治療法など、新規の医薬品・診断機器・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、革新的医療の実現を可能とする。 ◆感染症対策に係る医薬品開発に資する先端技術を迅速かつ効率的に臨床応用し、画期的医療の実現を可能とする。 ◆国民のニーズに合った新しい診断法・治療法の臨床現場への提供を実現する。

戦略重点科学技術の該当部分	<ul style="list-style-type: none"> ②「臨床研究・臨床への橋渡し研究」 ③「標的治療等の革新的がん医療技術」 ④「新興・再興感染症克服科学技術」 ⑦「世界最高水準のライフサイエンス基盤整備」
「研究開発内容」のうち、本事業との整合部分	<ul style="list-style-type: none"> ・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 ・創薬プロセスの効率化など成果の実用化を促進する研究開発 ・がん予防に資する、がんの超早期発見技術などの研究 ・がん患者の生活の質に配慮した低侵襲治療や標的治療などの治療技術の研究 ・がんの生存率を向上させる標準的治療法の研究 ・我が国及びアジア地域にとってリスクの高い、新興・再興感染症、動物由来感染症の予防・診断・治療の研究 ・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
推進方策	①支援体制等の整備・増強

(2) イノベーション 25 との関係（該当部分）

5つの社会像	<ul style="list-style-type: none"> 1. 生涯健康な社会 4. 世界的課題解決に貢献する社会
中長期的に取り組むべき課題	<ul style="list-style-type: none"> 1) 生涯健康な社会形成 ②治療重点の医療から予防・健康増進を重視する保健医療体系への転換 ③生命倫理・安全性と医療技術促進政策の調和 4) 世界的課題解決に貢献する社会形成

早急に開始すべき社会還元加速プロジェクトとの関係	・「生涯健康な社会」を目指して 失われた人体機能を補助・再生する医療の実現		
研究開発ロードマップにおける該当箇所			
(分野) ライフサイエンス分野	戦略重点科学技術	2010年頃までの研究目標（第3期科学技術基本計画期間）	2011年以降の研究目標（第4期以降）
臨床研究・臨床への橋渡し研究	治験を含む新規医療開発型の臨床研究	・我が国で生み出された基礎研究成果を基にしたトランスレーショナルリサーチ（臨床への橋渡し研究）による、がん、糖尿病等の治療・診断法の実用化	・効率的・効果的な新規医療システムの基盤確立と日本の臨床研究環境の向上による革新的医療技術の成果の国民への迅速な還元 ・国民のニーズに合った新しい診断法・治療法の臨床現場への提供の実現
臨床研究・臨床への橋渡し研究	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	・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の探求	・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・先端医療技術の実現化 ・ナノテクノロジーとバイオテクノロジーとの融合を加速し、主要疾患（がん、循環器疾患、糖尿病、認知症等）の極めて初期の段階における診断・治療技術の実用化（2020年頃まで） ・画像診断機器の高度化などによる検査の高速化、生体機能・代謝の可視化による疾患の早期発見技術の実用化
臨床研究・臨床への橋渡し研究	精神・神経疾患、感覚器障害、認知症、難病等の原因解明と治療の研究開発	・脳の重要な認知機能とその臨界期、情動、意志決定、コミュニケーション	・神経疾患、感覚器障害等について、細胞治療等による機能補完技術の確立

		ン社会の中での人間の振る舞い、老化の基本原理の解明・多様な難病の病態に関して情報収集し、適切な治療法が選択出来るような基盤の確立	
臨床研究・臨床への橋渡し研究	QOL を高める診断・治療機器の研究開発	<ul style="list-style-type: none"> ・分子イメージング技術の高度化により、腫瘍の治療に対する反応性の評価、転移可能性や予後予測等、腫瘍の性状評価手法や精神・神経疾患の診断手法、薬効評価手法を開発 ・デバイスやバイオセンサ等、ナノ技術を駆使して、生体構造・組織への適合性を高めた医療機器の開発を進め、臨床応用が検討される段階まで到達 	<ul style="list-style-type: none"> ・画像診断機器の高度化等による検査の高速化、生体機能・代謝の可視化による疾患の早期発見技術の実用化 ・心筋や血管等の再生を可能にする再生医療技術の確立 ・診断治療情報の統合等による低侵襲で早期復帰が可能な治療の実現
標的治療等の革新的がん医療技術	がんの予防・診断・治療の研究開発	<ul style="list-style-type: none"> ・QOL の高い治療法の確立を目指して、アスベストによる悪性中皮腫の簡便かつ低侵襲な早期診断法の確立 ・重粒子線による、膵臓がん等の超難治性がんの治療法の確立 ・創薬プロセスの高度化を実現し、個人の特性を踏まえた、がんの予防・早期診断・先端医療技術の実現 ・画像診断機器の高度化等による検査の高速化や、生体機能・代謝の可視化による疾患の早期発見技術の実用化 ・ナノテクノロジーとバイオテクノロジーとの融合を加速し、がんの超早期診断・治療技術の実用化 	
新興・再興感染症克服科学技術	感染症の予防・診断・治療の研究開発	<ul style="list-style-type: none"> ・感染症・稀少疾病等、政策的に対応を要する疾病の診 	<ul style="list-style-type: none"> ・振興・再興感染症について、国民に対する適切な医療の確

		断・治療法の開発に資する研究成果を得、画期的医療の実用化	保への道筋をつけるべく、予防・診断方法の確立や治療法の開発 ・BSE や高病原性鳥インフルエンザ等主要な人獣共通感染症を含む家畜感染症の簡易・迅速診断技術や予防技術の確立
--	--	------------------------------	--

(3) 新健康フロンティア戦略との関係（該当部分）

部	新健康フロンティア戦略を支援する家庭・地域・技術・産業
項目	2. 人間の活動領域の拡張に向けた取り組み
対策	先進的予防・診断・治療技術の開発

(4) 事業の内容（新規・一部新規・継続）

<p>保健医療分野において、いわゆる生活習慣病の予防・治療技術の開発、老人性認知症の研究は、高齢社会を迎えた我が国の重要な課題であり、また、がん等の予後不良の疾患やエイズ等の感染症の克服は喫緊の課題である。これらの多くの課題に対して有効な対策を講じるため、これらの課題の共通の基盤となる基礎研究の推進に力を注ぐ必要がある。</p> <p>保健医療分野における基礎研究推進事業は、国民の健康の保持増進に役立つ画期的な医薬品・医療機器等の開発につながる可能性の高い基礎的な研究を国立試験研究機関や大学等に委託して実施し、その成果を広く普及することを目的としている。本事業では、一般公募により、研究課題を採択しており、特に基礎研究の成果が画期的な医薬品・医療機器等の開発に繋がる可能性の高い研究課題に重点をおいて公募課題を採択して研究を実施している。</p>
--

(5) 平成20年度における主たる変更点

<p>平成20年度においては、審査の透明性と評価体制の充実をさらに進めつつ、着実に本事業を実施することとしている。</p> <p>また、平成19年度においては、</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 新たな創薬手法の開発（既存手法に対し画期的な改善がなされた方法も含む）に関する研究（提案した手法を活用し医薬品開発を目的として計画された研究内容であること） 2. これまでに治療等の手段がないか、又は既存の治療薬等が十分に開発されていない領域において新規の作用機序やコンセプトに基づく画期的な医薬品又は医療機器の開発を目指す研究 3. 独創的な発想に基づく創薬プロセスに関して、若手研究者（37歳以下）が単独で行う研究を公募テーマとして、新規研究プロジェクトの募集・採択を行ったところであるが、平成20年度には、社会的要請を公募テーマの設定に反映させるため、臨床現場等に対し社会的ニーズアンケートを実施し、最終的に、外部有識者による会議を開催するとともに、厚生労働省の意見を聴取した上で、公募テーマを決定し、重要な疾患領域に対する画期的な医薬品・医療機器等の開発につながる実用化に向けた基礎的研究の採択・実施を行うこととしている。

(6) 他府省及び厚生労働省内での関連事業との役割分担

厚生労働科学研究費補助金事業は「厚生労働科学研究の振興を促し、もって、国民の保健医療、福祉、生活衛生、労働安全衛生等に関し、行政施策の科学的な推進を確保し、技術水準の向上を図ること」を目的とし、独創的または先駆的な研究や社会的要請の強い諸問題に関連する研究について競争的な研究環境を形成しているものである。

保健医療分野における基礎研究推進事業では、いわゆる生活習慣病の予防・治療技術の開発、老人性認知症の研究など、高齢社会を迎えた我が国の重要な課題や、また喫緊の対策が求められているがん等の予後不良の疾患やエイズ等の感染症の克服といった課題に対して有効な対策を講じる必要性から、重要な疾患領域に対する画期的な医薬品・医療機器等の開発を目指した成果の実用化に向けた明確な計画を有する研究を推進し、当該研究において確立された技術を活用することにより国民の健康の保持推進に資することを目的としている。

(7) 予算額（単位：百万円）

H16	H17	H18	H19	H20（概算要求）
8,071	8,000	7,982	7,977	未定

(8) 18年度に終了した本研究事業で得られた成果

保健医療分野において、いわゆる生活習慣病の予防・治療技術の開発、老人性認知症の研究は、高齢社会を迎えた我が国の重要な課題であり、また、がん等の予後不良の疾患やエイズ等の感染症の克服は喫緊の課題である。これらの多くの課題に対して有効な対策を講じるためには、これらの課題の共通の基盤となる基礎研究の推進に力を注ぐ必要がある。このような背景から、本事業では、重要な疾患領域に対する画期的な医薬品・医療機器等の開発を目指した成果の実用化に向けた明確な計画を有する研究を広く公募採択して実施している。

これまでに得られた主な成果としては、自己免疫疾患に対する新規治療薬の研究開発、潰瘍性大腸炎に対するプロスタノイド受容体作動薬の研究開発、新規マラリア薬の研究開発、次世代型呼吸循環補助装置(PCPS)の研究開発、ヒト胚性幹細胞から心筋細胞の再生に関する研究開発等が挙げられる他、いくつかの研究プロジェクトでは臨床研究が実施されている。また、本事業によって、保健医療の向上に結びつく知的資産の形成等の成果が出てきている。

2. 評価結果

(1) 研究事業の必要性

感染症やがん等の疾病の克服に資する、画期的な医薬品・医療機器等の開発は、国民の保健医療水準の向上に寄与するのみならず、国際社会にも大きく貢献するものと考えられる。近年の遺伝子治療や再生医療等をはじめとする先端的科学技術が目覚ましい進歩を遂げている中、こうした技術の基盤となる基礎的研究は、ますますその重要性を増している。

本事業では、医薬品・医療機器等の開発に繋がる成果の実用化を目指した研究を実施しており、これらの研究は疾病の克服・健康の保持増進に大きな役割を果たすと考えられる。

(2) 研究事業の効率性（費用対効果にも言及すること）

本事業の研究成果としては、自己免疫疾患に対する新規治療薬の研究開発、ヒト胚性幹細胞から心筋細胞の再生に関する研究開発など社会的注目度の高い研究成果もあがっている他、いくつかの研究プロジェクトでは臨床研究が実施されている。このように、本事業によって、保健医療の向上に結びつく数々の研究成果が出てきており、これらの成果が実用化さ

れることにより、高い費用対効果が得られると考えられる。

各研究プロジェクトの採択時及び研究実施期間中に毎年度行われる評価においては、外部の専門家により組織された基礎的研究評価委員会による評価が、評価要領に従って定量的に行われており、それらの評価に基づき、採択の可否・研究費の配分額が決定されている他、研究計画の見直し、成果があがっていない研究プロジェクトへの支援打ち切り等が行われ、効率的な制度の運営が行われている。

(3) 研究事業の有効性

公募研究プロジェクトの採択審査、継続研究プロジェクトの年次評価、中間評価、事後評価等については、外部の専門家からなる基礎的研究評価委員会に本事業担当の行政官の参加を求めて、評価実施要領に基づき専門的及び行政的観点からの評価を実施しており、評価の結果に基づき、採択課題の決定及び研究費の配分等を行っている。また、独立行政法人医薬基盤研究所において、研究機関の実地調査も行い、研究実施状況及び研究費の執行状況等の確認を行っており、必要に応じて、研究の目的達成のための指導・助言を行っている。これらのプロジェクトの成果を活用することにより、画期的な医薬品・医療機器等の創製に結びつくと考えられ、保健医療への貢献度は高い。

(4) 研究事業の計画性

本事業においては、従来より医薬品医療機器総合機構に研究者出身の顧問を置いて、業務の技術的事項についての助言を受けていたが、平成16年度より、プログラム・ディレクター、プログラム・オフィサーの制度を導入し、研究経験のあるこれらの職員により、本事業の運営について主体的に計画し、実行していく体制が整えられている。

また、医薬基盤研究所では、各研究プロジェクトの実施状況について、提出された研究成果報告書、実地調査等により把握し、必要に応じて、研究の目的達成のための指導・助言を行うとともに、採択時及び研究実施期間中に毎年度、基礎的研究評価委員会による評価を行っており、それらの評価の結果を各研究プロジェクトの総括研究代表者に通知し、それらを踏まえた研究計画の変更等の提言を行っている。

(5) 分野別推進戦略の研究開発目標、成果目標の達成状況（18年度からの継続課題について）

- ・重要な疾患群においてSNPsの網羅的解析等を行い、データベースを構築し、遺伝子レベルでの疾患メカニズムの解明、早期診断などに貢献しつつある。
- ・神経疾患治療法の確立に関して、脊髄損傷治療を目的とした抗体医薬の研究開発や、遺伝性パーキンソン病原因遺伝子をAAVベクターで導入するパーキンソン病遺伝子治療の研究開発などを推進し、臨床応用に向けた成果が得られている。
- ・再生医療に関して、ヒト胚性幹細胞から心筋細胞の再生に関する研究開発や、人工万能幹細胞樹立による細胞移植療法及び創薬にむけた研究開発などを推進している。
- ・新規の医療機器については、次世代型呼吸循環補助装置(PCPS)の研究開発を推進し、本事業における研究成果を基に、承認申請の段階まで到達している。
- ・がん、糖尿病等の生活習慣病に対する医薬品の開発を目指した研究を行う課題を複数採択しており、いくつかの標的たんぱく、医薬品候補物質が同定されており、それらの基礎研究成果を基とした知的財産権の創出やトランスレーショナルリサーチを推進し、臨床応用にむけた一定の成果が得られている。

(6) その他

本事業は平成8年度に創設され、本事業の実施運営主体は、平成15年度までは、医薬品副作用被害救済・研究振興調査機構であったが、政府の特殊法人等改革により、同機構が国立医薬品食品衛生研究所医薬品医療機器審査センター等と統合され、独立行政法人医薬品医療機器総合機構が設立されたことから、平成16年4月より本事業は新独立行政法人に移管された。更に、独立行政法人医薬品医療機器総合機構法の国会審議の際、平成14年12月12日の参議院厚生労働委員会において「独立行政法人医薬品医療機器総合機構の在り方に関する決議」がなされ、本事業を含む研究開発振興業務が分離されたことから、本事業は平成17年度より新たに設立された「独立行政法人医薬基盤研究所」に移管された。

3. 総合評価

画期的な医薬品・医療機器等の開発は、疾病の克服に必要不可欠であり、新規の作用機序やメカニズムによる医薬品・医療機器等の開発に資する医薬品候補化合物の発見、疾病構造の解明、遺伝子治療技術の開発等の基礎研究の重要性は益々高まっている。

本事業は、このような背景の下、画期的な医薬品・医療機器等の開発に結びつく可能性の高い研究課題を選定して研究委託を行っており、また、研究実施期間においては毎年度、厳正な評価を行い、その結果に基づき研究費の配分額の決定や、研究計画の修正、中止等を求めるなど、適正な事業の運営に努めていることが伺われる。

期待される知的財産の形成や、研究成果の実用化も認められるなど、その有用性も高く評価できる。

以上より、今後とも推進すべき研究事業であると判断する。