

## <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」、「臨床応用基盤研究事業」及びスーパー特区事業（仮称）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、再生医療実用課研究、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. 厚生科学基礎
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

重要な研究開発課題	<ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>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</li> <li>創薬プロセスの加速化・効率化に関する研究開発</li> <li>感染症の予防・診断・治療の研究開発</li> <li>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</li> <li>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</li> <li>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</li> <li>研究開発の基礎となる生物遺伝資源等の確保と維持</li> </ul>
研究開発目標	<ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> <li>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。</li> <li>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。</li> <li>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</li> </ul>

	<p>タベースを構築する。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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にする。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> </ul>
<p>成果目標</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> <li>・ 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。</li> </ul>
--	---

<b>戦略重点科学技術の 該当部分</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 世界最高水準のライフサイエンス基盤整備</li> <li>・ 臨床研究・臨床への橋渡し研究</li> </ul>
「研究開発内容」のうち、本事業との整合部分	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 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</li> <li>・ 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</li> <li>・ 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</li> <li>・ 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</li> </ul>
<b>推進方策</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 生命プログラム再現への取組</li> <li>・ 知的財産権の戦略的確保と活用</li> <li>・ 臨床研究推進のための体制整備</li> </ul>

	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) イノベーション 25 (社会還元加速プロジェクト) との関係 (該当部分)

イノベーション 25	1. 生涯健康な社会
社会還元加速プロジェクトに該当するか否か。	-

(3) 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	・ 創薬技術 i P S細胞活用毒性評価技術

(4) 科学技術外交との関係 (該当部分) : 該当なし

(5) 事業の内容 (新規・一部新規・継続)

<p>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。</p> <p>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。</p> <p><b>(ヒトゲノムテーラーメイド研究)</b></p> <p>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。</p> <p>【一般公募型】</p> <p>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</p> <p><b>(創薬バイオマーカー探索研究)</b></p> <p>たんぱく分野としては、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。</p> <p>トランスクリプトーム分野としては、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。</p> <p>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。</p> <p>【たんぱく分野】</p>
--

〔一般公募型〕

- ① 疾患テーマ別に創薬バイオマーカーを探索し、構造解析、検証等（高次機能解析、代謝物発現解析、画像解析、臨床研究等を含む）を行うための研究

〔指定型〕

- ① 血清、組織等ヒト試料解析標準プロトコールの確立に関する研究
- ② 品質の高いヒト試料の提供システムの提供体制に関する研究
- ③ スループット法の開発

【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

（政策創薬総合研究）

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、創薬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

（次世代ワクチン開発研究）

本研究は、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、これまでの注射による古典的な予防接種技術のみならず、経鼻等の新投与経路によるワクチン、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、創薬に資するモデル動物の開発」に該当する。

〔一般公募型〕

<p>① ワクチン基礎生産技術の向上に関する研究</p> <p>② ワクチン臨床評価に関する研究</p> <p>③ ワクチンの免疫増強剤に関する研究</p> <p><b>(生物資源・創薬モデル動物研究)</b></p> <p>厚生労働科学研究の推進に当たっては、培養細胞や疾患モデル動物等の実験動物等の生物資源が必須なものとなっている。本事業は、当該研究の推進及び行政活動の実施に必要なとされる生物資源（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、創薬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。</p> <p>〔一般公募型〕</p> <p>① 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</p> <p>② 自然発生病態動物の開発法・システムに関する研究</p> <p>〔指定型〕</p> <p>① 創薬モデル動物データベース構築に関する研究</p> <p>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</p>
---

(6) 平成21年度における主たる変更点

<p><b>(生物資源・創薬モデル動物研究)</b></p> <p>当該事業の指定型研究において、新規課題として「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」を設定し、研究を開始する。</p>
---

(7) 他府省及び厚生労働省内での関連事業との役割分担

<p><b>(ヒトゲノムテラームード研究)</b></p> <p>昨年度、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。</p> <p><b>(生物資源・創薬モデル動物研究)</b></p> <p>本事業は、「革新的医薬品・医療機器の創出のための5か年戦略」(平成19年文部科学省・厚生労働省・経済産業省)の下で推進する研究であることから、文部科学省及び経済産業省との連携を取っている。</p>
---

(8) 予算額 (単位：百万円)

	H17	H18	H19	H20	H21 (概算要求)
(ヒトゲノム)	2,288	2,012	-	-	
(テラームード)	-	-	1,937	1,438	
(トキシコ)	1,150	805	544	-	
(タンパク)	661	562	393	-	
(創薬バリエーション)	-	-	-	1,171	
(政策創薬)	1,997	2,139	2,071	1,968	
(次世代ワクチン)	-	-	-	100	
(生物資源)	-	-	300	-	
(生物・モデル動物)	-	-	-	425	
(総額)	6,238	5,518	5,245	5,102	未定

(9) 19 年度に終了した研究課題で得られた成果

**(ヒトゲノムテラーメード研究)**

〔成果例〕

- ・ 導入遺伝子が必要な期間だけ発現した後は消滅する、新しいセンダイウイルスベクターの開発と大量生産に成功した。造血幹細胞の増幅能が明らかな HoxB4 遺伝子を搭載するセンダイウイルスベクターを用いて、霊長類 ES 細胞の造血分化促進効果を確認した。
- ・ 進行したパーキンソン病 (PD) 患者 2 例にアデノ随伴ウイルスベクターを定位脳手術的に両側被殻に注入する遺伝子治療を実施した。ベクターの安全性に問題なく、L-DOPA の服用により治療 6 か月でも PD 症候の改善と導入遺伝子の発現が FM T-PET で観察された。
- ・ 血小板インテグリンの活性化に關与する制御因子と ADAMTS13 結合タンパク質をゲノム網羅的手法を用いて同定した。一般住民約 1,600 名の血小板凝集活性能のデータベース化を行った。
- ・ アトピー性皮膚炎について SNP による全ゲノム連鎖解析により 1 番及び 15 番染色体に連鎖領域を見だし、15 番染色体連鎖領域の SMAD3 遺伝子とアトピー性皮膚炎との関連を同定した。
- ・ 新生児期から乳児期早期にかけて発症する難治性のてんかん性脳症である大田原症候群の原因遺伝子を発見した。
- ・ 疼痛について、医薬品の効果に關わる個人差を生じる遺伝子を発見・解析し、その臨床的な意義について確認した。

**(創薬バイオマーカー探索研究)**

本研究事業は、平成 20 年度に組み替えを実施した事業であり、当該事業での成果は報告されていないが、組み替え前の「トキシコゲノミクス研究」及び「疾患関連たんぱく質解析研究」において、成果が報告されている。

〔成果例 -トキシコゲノミクス研究-〕

- ・ ヒト ES 細胞由来神経系細胞を用いて薬剤応答性評価試験を実施するための技術体系を確立し、ヒト神経幹細胞/前駆細胞を含む複数のヒト細胞種における複数の薬剤応答性に関するデータベース並びにトランスクリプトームデータベースを構築した。
- ・ 薬剤性間質性肺炎副作用が問題になっている抗リウマチ薬等に関してトランスクリプトーム解析を行い、これらの医薬品が抗炎症作用を持つタンパク質の発現を強く抑えることがこの副作用の原因であることを示唆するデータを得るとともに、その実験動物モデルの確立に成功した。
- ・ ラット及びヒトの尿を試料とし、LC/MS/MS による網羅的プロテオーム解析システムの技術開発に成功した。

〔成果例 -疾患関連たんぱく質解析研究-〕

- ・ 各研究機関から提供された日本人健常者及び糖尿病等 23 疾患の患者の血清 (624 検体) のすべてについて、cI-CAT 法による高発現血清たんぱく質 (上位約 140 種類、累計約 350 種類) の同定と比較定量解析を終了し、その解析結果と臨床情報から構成するデータベースを構築した。
- ・ 各種がん患者組織試料 (がん組織・正常組織等合計 34 検体) を cI-CAT 法により解析し、患者毎に 600-1000 種類のたんぱく質の同定と比較定量 (がん組織/正常組織) を行い、スキルス胃がんに特徴的な十数種類のたんぱく質を見出した。
- ・ SELDI-QqTOF-MS 法を導入して、糖尿病患者の血清 (合併症有・無の患者の血清、合計 124 検体) 及び健常人の血清 (40 検体) を解析し、合併症に関連して観察されるたんぱく質と考えられる複数のシグナルを見出した。
- ・ 脳脊髄液を用いた cI-CAT 法による解析法を検討し、約 310 種類のたんぱく質を同定・比較定量した。

**(政策創薬総合研究)**

- ・ これまでに類例のない HCV エントリー受容体 CD81 を直接の分子標的とする新規の HCV エントリー阻害剤を同定した。
- ・ エイズ関連悪性腫瘍の原因として重要な EBV EBNA-1 タンパク質の oriP への結合阻害活性をもつ化合物の探索を行い、いくつかの候補化合物を同定した。
- ・ 新たな HIV ワクチンの研究において、新しい粘膜性免疫による機序のワクチンを開発し、サルにおいて高い免疫原性を示した。ヒト臨床試験の準備を計画中。
- ・ ヒト ES 細胞を用いて、高効率な無フィーダー血液細胞、好中球分化誘導法を確立した。
- ・ 新規遺伝子組み換えアルブミン(2箇所のアミノ酸を改変)を作製、人工合成したプロトヘムを結合させた物質(酸素運搬を行うことが可能と判断)を作製した。
- ・ 血管炎モデルマウス(川崎病、腎炎)開発とそれに有効なマウス型人工ガンマグロブリンを完成させ、ヒト型に特化した人工型ガンマグロブリンのプロトタイプの作製に成功した。
- ・ ヒト用ワクチン株作製用 GMP-LLCMK2 細胞を用いることにより、わが国でもヒト用の H5N1 弱毒化ワクチン株の作製と供給が可能となった。
- ・ H3N2 型インフルエンザウイルスを中和できる抗体の単離・解析により、ヒト体内に存在する中和抗体レパートリーの全体像を明らかにした。

#### (次世代ワクチン開発研究)

本研究事業は、平成20年度より開始された事業であり、当該事業での成果は報告されていない。

#### (生物資源・創薬モデル動物研究)

本研究事業は、平成20年度に組み替えを実施した事業であり、当該事業での成果は報告されていないが、組み替え前の「生物資源研究(平成19年度が初年度)」において、成果が報告されている。

- ・ 南米産生薬46種、東南アジア産39種、独立行政法人医薬基盤研究所北海道研究部保有植物109種、同筑波研究部保有植物225種、同種子島研究部保有植物327種、合計746種類等についてアッセイを実施した結果、現在までにチョウジ、シクンシ科の植物等12種にアミラーゼ阻害活性、糖吸収抑制活性が認められた。(抽出された成分が、アミラーゼ阻害活性(デンプンの加水分解の阻害活性)や糖吸収抑制活性を示すことは、その成分が血糖値上昇抑制薬に成りうる可能性を示している。)
- ・ ES細胞の血清除去による心筋への効率的分化誘導と、網羅的発現遺伝子の探索により心筋及び心筋前駆細胞で発現する候補マーカーを同定した。
- ・ 病理解剖バイオリソースの法的検討において、「病理解剖組織バンク」を直接規定する法律はないこと、研究用組織利用の利用範囲と違法性に関する研究を行った結果、研究用組織利用の必要性と適正さを提示する必要があることが判明した。

## 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。

#### (ヒトゲノムテラーメード研究)

本研究事業は、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する遺伝子や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



図ることを目的としており、より安全・安心な医療技術を国民に提供するうえで、必要性は高い。

**(創薬バイオマーカー探索研究)**

本研究事業は、たんぱく分野及びトランスクリプトーム分野から構成されている。たんぱく分野としては、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ものであり、官民共同で当該研究を実施する必要性は高い。

また、トランスクリプトーム分野は、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や iPS 細胞等の活用を行い、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ものであり、その必要性は高い。

**(政策創薬総合研究)**

急速に高齢化が進む中で、がん、アルツハイマー病をはじめとして、これまでに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、優れた医薬品の開発が強く望まれている。また、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。このような状況に鑑み、これらの領域について、優れた医薬品・医療機器の開発を行うため、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ものであり、必要性は高い。

**(次世代ワクチン開発研究)**

本研究事業は、「ワクチン産業ビジョン」(平成 19 年厚生労働省)において開発を促進すべきとされており、感染症のみならず、がん、認知症等に対するワクチンへの期待が寄せられていることから、その必要性は高い。

**(生物資源・創薬モデル動物研究)**

本研究事業は、「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課題である。また、先に決定された「第 3 期科学技術基本計画」においても、生物資源の整備がライフサイエンス研究を支える基盤として、戦略重点科学技術の一項目として位置づけられたところであり、厚生労働科学研究を支える基盤としての生物資源研究を充実化していく必要がある。

創薬に利用可能な疾患モデル動物に関するバイオリソースデータベースの需要が高く、それに関する研究を指定型研究として実施する必要性は高い。同時に、昨年より iPS 細胞に関する研究が注目されていることから、今後必要とされると思われる iPS 細胞を用いたモデル動物を作成し、創薬スクリーニングに生かす新規の研究を実施する必要性は高い。

**(2) 研究事業の効率性**

本事業を実施することにより、科学技術の進展における人材育成(政策創薬総合研究)、創薬の開発期間の短縮(生物資源・創薬モデル動物研究、創薬バイオマーカー探索研究)、薬事承認に関する時間と費用の削減(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(次世代ワクチン開発研究)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低価格化及び国民の健康福祉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により、薬事承認に関する時間と費用の削減のみならず、開発される医薬品の価格及び医療費削減への寄与が期待でき、費用対効果に優れた事業である。

#### **(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、エイズ患者に対する未承認エイズ薬の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。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をふまえると、その費用対効果は大きいと思料される。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。このように、効率的な事業運営がなされており、当該事業の生み出す成果は投資に十分見合ったものである。

#### **(次世代ワクチン開発研究)**

「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「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、推し進めるべき事業である。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は、国民の健康福祉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。

#### **(生物資源・創薬モデル動物研究)**

本事業は、「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、また、「イノベーション25」においては「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。本研究事業による、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）の整備及び薬効評価に利用できるモデル動物の作製は、創薬の開発期間の短縮に不可欠であり、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は、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。

### (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（ヒトゲノムテラーメード研究）、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）、国民の健康福祉の増進（次世代ワクチン開発研究）及び創薬研究の推進（生物資源・創薬モデル動物研究）が期待でき、企業の国際競争力の強化から国民の健康福祉の増進まで、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。

#### （ヒトゲノムテラーメード研究）

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、今後も提供されたすべての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を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を検証する等のさら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探索することにより、レギュラトリーサイエンス分野にも応用でき、医薬品の開発・承認審査の迅速化にも資することも期待されている。

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う。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。

#### （次世代ワクチン開発研究）

ワクチン＝感染症予防という概念を取り払い、がん、認知症等に対するワクチンなどの開発の実施や、注射という古典的な予防接種技術に拘らず、経鼻等の新投与経路によるワクチンなどを開発することは、国民の健康福祉の増進及び医療現場等における患者への投薬の選択肢を増やすことができることから、その有効性は高い。

#### （生物資源・創薬モデル動物研究）

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