

＜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」には再生医療実用化研究、創薬基盤推進研究、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

・再生医療実用化

分野名	Ⅱ．厚生科学基盤研究
事業名	再生医療実用化研究
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

1. 事業の概要

(1) 公的研究としての意義（政策との連動性）

政策等への活用を具体的に記載	<ul style="list-style-type: none"> ・医薬品、医療機器等の研究及び開発を推進し、国民の保健や医療などの向上に寄与 ・再生医療の実用化に向けたの振興促進、技術水準の向上を図る
----------------	---

(2) 推進分野の設定等について

推進分野の設定	<ul style="list-style-type: none"> ・再生医療を活用する新規治療技術の実用化のための研究開発 ・再生医療早期実用化促進及び汎用性向上のための周辺基盤技術開発
推進分野とする必要性	<ul style="list-style-type: none"> ・再生医療分野において、医療技術の実用化が必要との課題が確認されており、その課題を解決するために新規治療技術や周辺基盤技術の研究の推進が必要
推進分野の推進により期待される効果	<ul style="list-style-type: none"> ・本分野の推進により、医療技術の実用化の一層の促進が期待される。
今後の厚生労働科学研究において重点化すべき主な分野※2に該当するか否か。	<ul style="list-style-type: none"> ■ 健康長寿社会の実現に向けた研究 □ 少子・高齢化に対応し、活力あふれる社会の実現に向けた研究 □ 該当なし ・再生医療の実用化を推進することによる医薬品や医療技術の開発の結果、健康長寿社会の実現につながるが見込まれる

(3) 科学・技術重要施策アクション・プランとの関係：該当なし

(4) 社会還元加速プロジェクトとの関係（該当部分）

社会還元加速プロジェクトに該当するか否か。	<ul style="list-style-type: none"> ・「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
-----------------------	--

(5) 科学技術外交との関係：該当なし

(6) その他

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

・革新的技術戦略
「再生医療技術」：iPS細胞再生医療技術

(7)事業の内容（新規・一部新規・**継続**）

【再生医療実用化研究事業】

本事業は、再生医療の臨床研究及び治験等の実用化を目指した研究を重点的に行うもの。従前より、再生医療技術の臨床応用に向けた研究、細胞・組織等を用いる治療技術の安全性・品質の確保に関する技術研究などの一般公募型研究や、臨床研究等に資することを目的とした細胞バンク事業に加え、若手育成型による再生医療技術開発に繋がる有望なシーズなども支援している。

なお、細胞調製施設等、再生医療実用化に必要な施設を有しない研究機関の研究者でも、再生医療拠点機関等と共同研究体制を組むことにより3年程度で臨床研究開始可能ならば、当事業の助成対象となりうる。実用化の可能性が高いながら、それを実用化するためのインフラを有しない研究を発掘することで、再生医療の実用化に資するものである。

〔一般公募型〕

- ① 各分野（神経・運動器、肝臓・膵臓、血管・循環器あるいは皮膚・感覚器等）における再生医療技術の早期臨床応用を目標としたエビデンス創出のための研究
- ② 再生医療を活用する新規治療技術の実用化に関連した、細胞・組織等を用いる治療技術の安全性・品質の確保に関する技術開発
- ③ 再生医療早期実用化促進及び汎用性向上のための周辺基盤技術開発
- ④ 「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」に従って実施された臨床研究を支援し、実用化に向けた新たなプロトコル作成・実施を推進する研究

〔若手育成型〕

- ① 臨床研究等に資することを目的としたIPS細胞及びES細胞などの細胞バンク事業

〔指定型〕

- ① 再生医療における革新的治療技術開発を目指した研究

(8)平成23年度における主たる変更点

再生医療の実用化をより一層促進するため、「③ 再生医療早期実用化促進及び汎用性向上のための周辺基盤技術開発」及び「④ 「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」に従って実施された臨床研究を支援し、実用化に向けた新たなプロトコル作成・実施を推進する研究」を課題として新たに立ち上げた

(9)他府省及び厚生労働省内での関連事業との役割分担

・厚生労働省内での関連事業との役割分担
医薬品の開発（医政局）及び医薬品の審査（医薬食品局）等に関し、関連部局と情報交換・連携していく

(10)予算額（単位：百万円）

H19	H20	H21	H22	H23（概算要求）
460	529	540	566	未定

(11)21年度に終了した研究課題で得られた成果

・細胞組織加工医薬品の品質・安全性の確保を目的として、下記の基盤技術の開発を実施し、合理的な品質管理法の策定や安全性の高い細胞組織加工医薬品等の開発および実用化の適正な推進に寄与した。

- ①自己細胞により、角膜の上皮、実質及び内皮の組織再生を期待できる方法を考案しドナー不足や拒絶反応により治療が行えなかった角膜疾患を有する患者に対して根治的治療法を提供することが可能になると考えられる。
- ②臨床で使用されている既存の生体弁と異なる方法論（脱細胞化技術）で作成し、既存の生体弁の欠点であった石灰化や内膜肥厚を抑制できることを示し、我が国において輸入に頼っている既存の生体弁に取って代わる、新規な国産の生体弁を提供することが可能になると期待される。

2. 評価結果

(1) 研究事業の必要性

再生医療は生物の発生・分化に関する知見に基づいた革新的医療技術として、これまで完治が困難とされている疾患への応用が期待されている。本事業では、再生医療の安全性・品質管理に必要なシステムの構築や、細胞組織加工医薬品の品質・安全性の確保のための基盤技術の開発を進めており、再生医療の実用化の推進に寄与している。

またこれまでに、間葉系幹細胞を中心とする体性幹細胞により、末梢血管、角膜、心臓等の臓器で基礎研究が進められ、その有効性を示唆する研究成果が報告され始めており評価できる。今後とも、引き続き一層推進すべき分野である

(2) 研究事業の効率性

再生医療産業は、将来、世界規模で 10 兆円市場になると予測され、我が国においても 1 兆円市場に至ると予測されている。我が国での、再生医療の標的疾患の一つであるパーキンソン病患者は約 14 万人、腎不全による透析患者は約 20 万人であり、再生医療の実用化により社会活動に復帰することができれば、国民健康への大きなインパクトであるのみならず、医療費等の削減による費用対効果は高い。また、医療産業立国に向け、世界に通用する知的財産を産学官を挙げて確保してその活用を進めることにより、十分な経済的効果が見込まれる。基礎医学研究より見いだされたシーズのなかから、臨床研究ひいては実用化にむけて橋渡し支援できるよう、安全かつ有効な医療への具体化の可能性の高いものに重複をさけて重点的に支援する。

(3) 研究事業の有効性

実用化の有望な分野における再生医療技術に対して重点的支援強化することにより、激しい国際競争の中で打ち勝つ技術開発がなされ、若手育成型研究による再生・移植医療を支える人材（人財）の発掘育成とあいまって、将来にわたって安全・品質面も十分に考慮された総合的な実用的技術として確立されるものと想定される。これらの成果が速やかに医療現場に還元されることにより、患者の QOL 向上に大きく寄与し、有効性は高いものと考えられる。

(4) その他

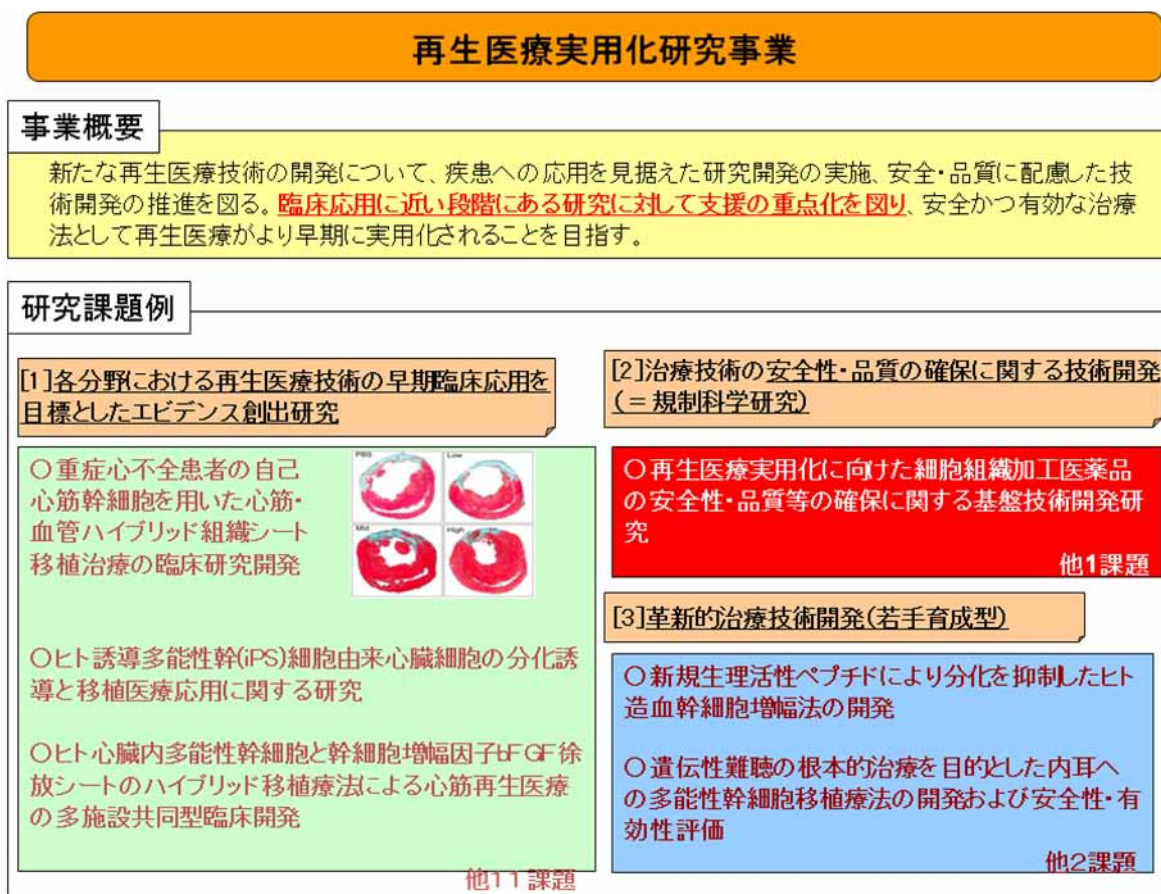
・特になし

3. 総合評価

再生医療は生物の発生・分化に関する知見に基づいた革新的医療技術として、これまで完治が困難とされている疾患への応用が期待されている。

本事業でもこれまでに、細胞製剤の規格作成や安全性の高い細胞組織加工医薬品の開発などの成果が得られており、評価できる。

4. 参考（概要図）



・創薬基盤推進

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

1. 事業の概要

(1) 公的研究としての意義（政策との連動性）

政策等への活用を具体的に記載	<ul style="list-style-type: none"> ・ 医薬品等の研究及び開発を推進し、国民の保健や医療などの向上に寄与 ・ 創薬に関する基礎研究で得られた知見を実用化するための基盤研究の振興促進、技術水準の向上を図る
----------------	--

(2) 推進分野の設定等について

推進分野の設定	<ul style="list-style-type: none"> ・ 新薬の開発を目的とした総合的研究開発 ・ 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を開発 ・創薬スクリーニング等に利用可能なバイオマーカー探索のための研究
推進分野とする必要性	創薬分野において、早期診断・治療を可能とする医薬品の開発が課題とされており、その課題を解決するため医薬品総合開発、研究機関同士の資源結合、バイオマーカー探索の研究の推進が必要。
推進分野の推進により期待される効果	本分野の推進により、創薬開発の一層の促進が期待される。
今後の厚生労働科学研究において重点化すべき主な分野に該当するかどうか。	<input checked="" type="checkbox"/> 健康長寿社会の実現に向けた研究 <input type="checkbox"/> 少子・高齢化に対応し、活力あふれる社会の実現に向けた研究 <input type="checkbox"/> 該当なし ・早期診断・治療を可能とする医薬品の開発の結果、健康長寿社会の実現につながるが見込まれる

(3) 科学・技術重要施策アクション・プランとの関係：該当なし

(4) 社会還元加速プロジェクトとの関係：該当なし

(5) 科学技術外交との関係：該当なし

(6) その他

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

・ 革新的技術戦略
「創薬技術」：iPS細胞活用毒性評価技術

(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。

（創薬総合推進研究）
本事業は、次世代ワクチンや生物資源創薬モデル動物の開発に係る研究を主とした、創薬基盤推進全般のための研究である。
次世代ワクチン開発は、感染症、がん、認知症等に対するワクチンへの期待が寄せられる中、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や、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もの。
また、生物資源・創薬モデル動物は、厚生労働科学研究の推進及び行政活動の実施に必要とされる、培養細胞や実験動物等の整備を推進するための研究を行うもの。
〔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による創薬スクリーニングモデル細胞に関する研究

〔若手型〕

- ① 若手研究者が主体となって行う、創薬基盤推進全般のための研究

（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患はまだ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、エイズについては、世界的に深刻な状況にあり、特にアジア諸国においては急増傾向にある。わが国においては、国内で感染するケースが大半となり、感染経路は性的接触を中心に拡大しつつあることに加え、若年層感染者の増加、同性間性的接触による感染の急増等、エイズ感染の状況は新たな局面を迎えつつある。

このような状況の中で、エイズ治療薬、発症防止薬等の開発に対する期待は、国内外とも高まっており政策的にも重要な課題である。しかしながら、希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（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ものである。

〔一般公募型〕

- ① 希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
- 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

（創薬バイオマーカー探索研究）

本事業は、創薬スクリーニングや医薬品評価指標等に利用可能なバイオマーカー探索のための研究である。平成22年度の「ヒトゲノムテラメード研究」を整理・統合し、たんぱく、トランスクリプトーム、ヒトゲノム等の分野における、バイオマーカーの探索、機能解析、臨床研究などを推進する。

〔一般公募型〕

- ① 疾患関連バイオマーカーの探索、構造解析、高次機能や画像情報の解析、臨床研究による機能の解析
- ② 創薬候補物質によるタンパク質や代謝物発現状況に関する技術に関する研究
- ③ 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、安全性バイオマーカーの開発に資する研究
- ④ 臨床における副作用の発現メカニズムに関し、安全性バイオマーカーの開発に資する研究
- ⑤ 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
- ⑥ ヒトゲノム、遺伝子治療、ファーマコゲノミクス等のゲノム関連の知見を活用したバ

イオマーカーの探索に関する研究。

〔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
- ② 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

(政策創薬探索研究)

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。

政策創薬探索研究事業は、平成 23 年度より実施する事業であり、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実施し、その成果を広く普及することを目的としている。

(8) 平成23年度における主たる変更点

(創薬バイオマーカー探索研究)

研究事業を見直し、「ヒトゲノムテラーメード研究」を「創薬バイオマーカー探索研究」に統合することにより、創薬スクリーニングや医薬品評価指標等に利用可能なバイオマーカー探索のための研究を実施。

(政策創薬探索研究)

医薬品・医療機器等の基礎的段階における研究を支援し、民間だけでは行われにくい政策的に必要な分野の創薬を推進することを目的として、平成 23 年度より新規事業として本事業を実施。

(9) 他府省及び厚生労働省内での関連事業との役割分担

(創薬バイオマーカー探索研究)

総合科学技術会議から指摘を受けた「ヒトゲノムテラーメード研究」について、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、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していく。

(10) 予算額 (単位：百万円)

H 1 9	H 2 0	H 2 1	H 2 2	H 2 3 (概算要求)
5,305	5,102	3,956	3,700	未定

(11) 21 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)

- ・薬物治療の副作用である、薬物誘発性肝障害の発症症例を集積し、遺伝子解析等を網羅的に実施することで、原因薬剤や薬物誘発性肝障害発症に関わる遺伝的要因の解明を行った。これにより、薬物誘発性肝障害の発症メカニズムの解明や適切なテラーメード薬物治療に資するものと考えられ、さらに、創薬における肝毒性の評価法の開発に資するものと考えられる。
- ・関節リウマチ治療薬 2 剤と、関節リウマチ治療に関連する遺伝子の多様性 (遺伝的多型) との相関を調査することで臨床的な有用性や副作用の検討を行い、臨床的有用性をサポートするリスク比、感度、特異度、陽性的中率、陰性的中率を推定できるようになった。

(政策創薬総合研究)

- ・薬剤耐性の変異 HIV が有するタンパク質の解析を行い、薬剤耐性のメカニズムを解析し、それを基に新規な薬剤設計概念を確立するとともに、経口投与可能な抗 HIV 活性化化合物を創出した。これにより、より安価でかつ安全性の高い国産の治療薬の開発へつながっ

ていくと期待される。

- ・個人によってエイズの進行が異なる原因や抗 HIV 薬の副作用、HIV の薬剤耐性について開発途上国と協力して解析を行い、途上国での医療に貢献した。HIV に対する新たな免疫治療法を開発するために、HIV 中和抗体の作用を高める研究を行うことでその分子メカニズムを明らかにするとともに、免疫細胞が HIV を攻撃するメカニズムの解析に必要な抗体の開発を行い、世界で初めて作成した。

(生物資源・創薬モデル動物研究)

- ・マウスのなかで、繁殖が難しいとされている、てんかんモデルマウスの繁殖率の向上に成功した。これはてんかんの治療研究に資するものと考えられる。
- ・ヒトとの類似性の高いカニクイザルから拡張型心筋症モデルを作成し繁殖を開始するとともに、心臓疾患遺伝子についてヒトとの対応を解析しデータベースとして公開した。これらはヒトの拡張型心筋症の治療研究に資するものと考えられる。
- ・ヒトとの類似性の高い小型サルのコモンマーモセットを用いて、ヒト T 細胞白血病ウイルス (HTLV) 感染モデルを作出すること、及び、ヒト難治性白血病原因遺伝子をコモンマーモセットの骨髄に導入することで、骨髄線維症発症モデルを作出することができ、これにより、各種悪性腫瘍の治療研究に資するものと考えられる。

2. 評価結果

(1) 研究事業の必要性

(政策創薬総合研究)

関節リウマチ治療薬 2 剤と、関節リウマチ治療に関連する遺伝子の多様性 (遺伝的多型) との相関を調査することで臨床的な有用性や副作用の検討を行った。これにより臨床的有用性をサポートするリスク比、感度、特異度、陽性的中率、陰性的中率を推定できるようになったと考えられる。また、関節リウマチ治療をモデルとしたテーラーメイド医療の有用性 (倫理、法、医療経済的側面) について検討を行い、患者への説明やカウンセリングに必要なツールの開発、及び、テーラーメイド医療の経済性の分析を行った。

(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。また、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 21 年度において、薬物誘導性肝障害のメカニズムの解明と予測試験系の構築や、データベースを用いた安全性バイオマーカー等の開発などの成果が得られた。さらに、肺がんにおけるがん遺伝子 EML4-ALK を発見する、川崎病の発症関連遺伝子を複数同定するなどの重要な結果が得られており評価できる。これらは、今後とも、引き続き一層推進すべき分野である。

(創薬総合推進研究)

- ・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、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や、厚生労働科学研究の推進及び行政活動の実施に必要とされる、培養細胞や実験動物等の整備を推進するための研究を主とした創薬基盤推進全般のための研究技術開発を行うものである。
- ・平成 21 年度において、急性冠症候群 (急性心筋梗塞、不安定狭心症、心突然死等) の疾患モデルウサギを作成した。疾患モデル動物を樹立することで創薬のための新たな基盤技術の開発などの成果が得られ、今後とも、引き続き一層推進すべき分野である。

(政策創薬探索研究)

- ・保健医療分野において、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。

(2) 研究事業の効率性

本事業を実施することにより、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、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。

(創薬バイオマーカー探索研究)

・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。また、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。

(政策創薬総合研究)

・希少疾患やエイズ等の医薬品開発を目的とし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。これら新医薬品の開発や科学技術の進展における人材育成は重要性が高く、その費用対効果は大きいと史料される。

(創薬総合推進研究)

・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史料される。

(政策創薬探索研究)

・保健医療分野において、重要な疾患領域に対する共通の基盤となる基礎研究の推進に力を注ぐことにより、革新的な医薬品・医療機器の基礎的研究の向上及び共通的技术基盤の向上が期待できるため、高い費用対効果が得られると考えられる。

(3) 研究事業の有効性

本事業を実施することにより、知的財産権の確保、情報公開への迅速な対応、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、国民健康の増進・創薬研究の推進が期待でき、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。

(創薬バイオマーカー探索研究)

・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。

- ・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。

(創薬総合推進研究)

- ・次世代ワクチン開発分野は、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。

(政策創薬探索研究)

- ・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基礎的研究を推進することにより、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。

(4) その他

- ・特になし

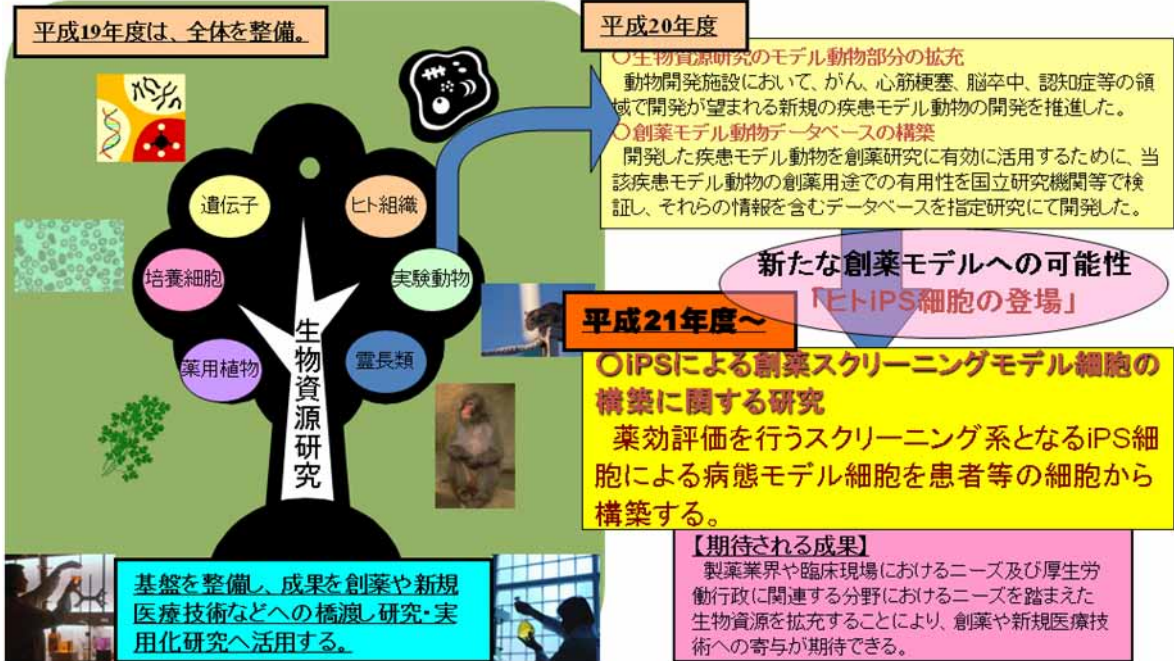
3. 総合評価

- ・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。

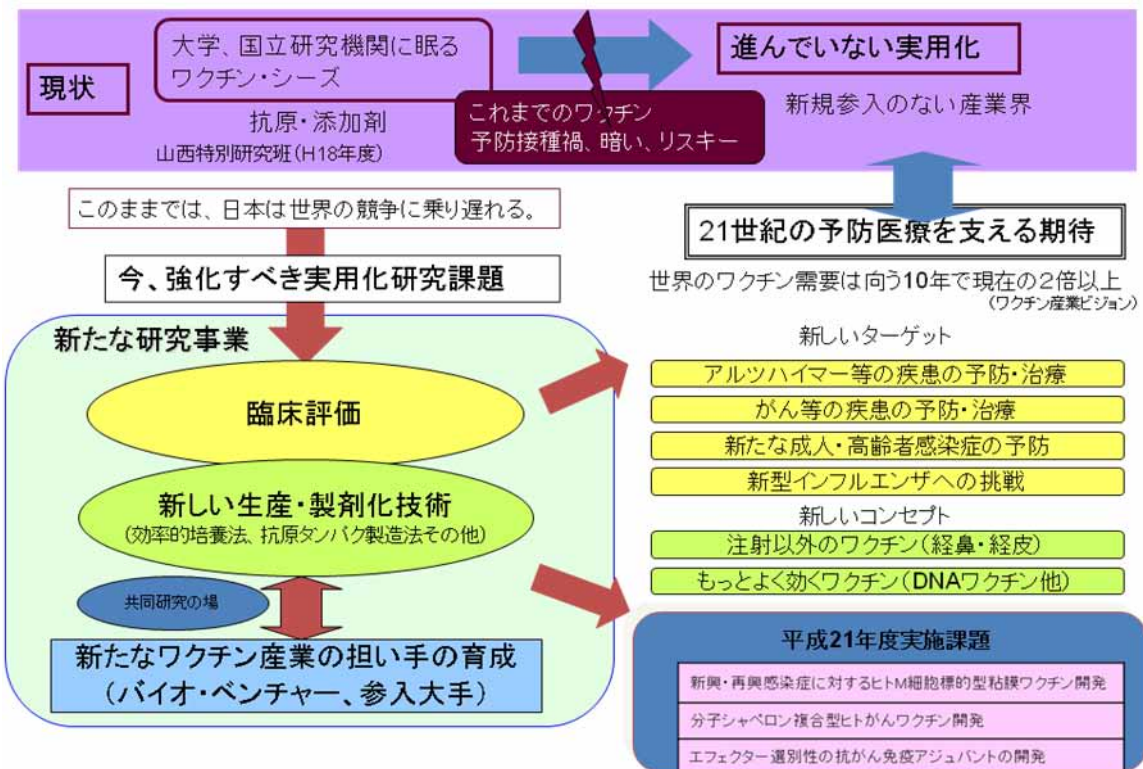
4. 参考（概要図）

創薬総合推進研究(生物資源・創薬モデル動物)

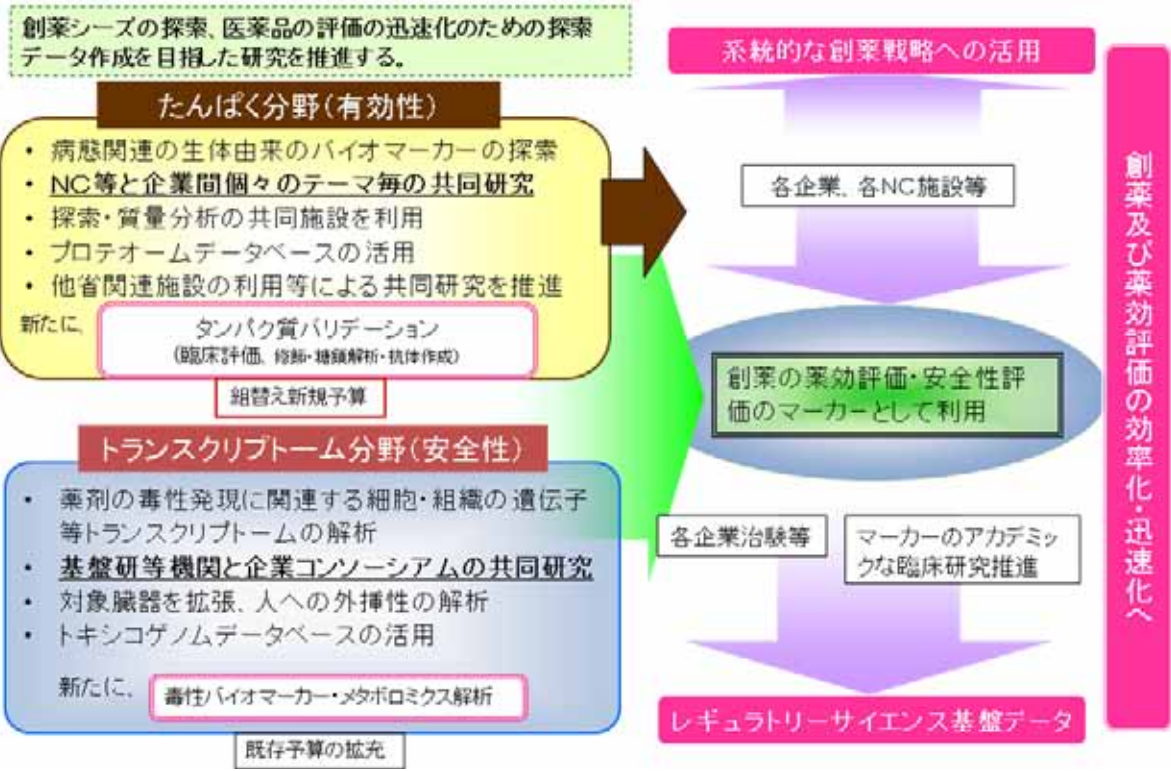
目的: 培養細胞や実験動物等の生物資源を整備し、厚生労働科学研究を推進する。
 第3期科学技術基本計画分野別推進戦略においても、生物資源の整備がライフサイエンス研究を支える基盤として、戦略重点科学技術の一項目とされている。



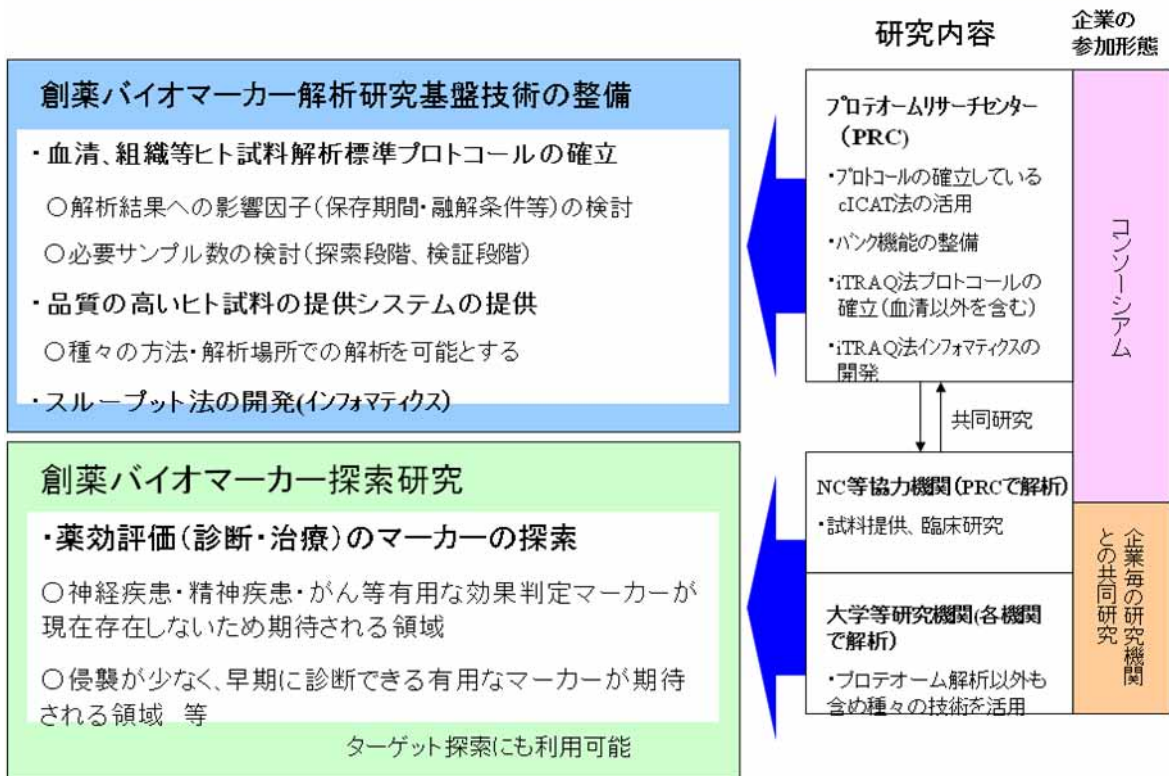
創薬総合推進研究(次世代ワクチン開発)



創薬バイオマーカー探索研究



創薬バイオマーカー探索研究の目標



・医療機器開発推進

分野名	Ⅱ. 厚生科学基礎
事業名	医療機器開発推進研究
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

1. 事業の概要

(1) 公的研究としての意義（政策との連動性）

政策等への活用を具体的に記載	<ul style="list-style-type: none"> ・ 医療機器等の研究及び開発を推進し、国民の保健や医療などの向上に寄与 ・ 患者にとってより安全・安心な非侵襲・低侵襲を目指した医療機器等の振興促進、技術水準の向上を図る
----------------	--

(2) 推進分野の設定等について

推進分野の設定	・ ナノテクノロジーを医学に応用することにより非侵襲・低侵襲を目指した医療機器の開発を目的とした研究開発
推進分野とする必要性	・ 医療機器分野において、早期診断・治療を可能とする医療機器の開発が課題とされており、その課題を解決するため医療機器総合開発の研究の推進が必要。
推進分野の推進により期待される効果	・ 本分野の推進により、医療機器開発の一層の促進が期待される。
今後の厚生労働科学研究において重点化すべき主な分野に該当するか否か。	<ul style="list-style-type: none"> ■ 健康長寿社会の実現に向けた研究 □ 少子・高齢化に対応し、活力あふれる社会の実現に向けた研究 □ 該当なし <p>・ 早期診断・治療を可能とする医療機器の開発の結果、健康長寿社会の実現につながるが見込まれる</p>

(3) 科学・技術重要施策アクション・プランとの関係：該当なし

(4) 社会還元加速プロジェクトとの関係：該当なし

(5) 科学技術外交との関係：該当なし

(6) その他

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

<ul style="list-style-type: none"> ・ 革新的技術戦略 「医療工学技術」：低侵襲医療機器技術（触覚センサー内蔵型内視鏡） 心機能人工補助装置技術

(7) 事業の内容（新規・一部新規・継続）

本事業は、医療機器の開発に係る基盤整備を進めるとともに、産学官患の連携の下によるニーズに合った非侵襲・低侵襲医療機器の開発や他省庁の研究事業と連携の下での開発

支援等により、医療機器の研究開発を総合的に推進することを目指すものである。

(医療機器開発(ナノテクノロジー等)総合推進研究)

平成22年度の「低侵襲・非侵襲医療機器(ナノテクノロジー)研究」及び「医工連携研究推進研究基盤研究」を統合した、医療機器開発推進全般のための研究。

低侵襲・非侵襲医療機器(ナノテクノロジー)研究は、患者にとってより安全・安心な医療技術の実現を図るため、ナノテクノロジー等の技術を用いた、非侵襲・低侵襲を目標とした医療機器等の研究開発を推進している。

医工連携研究推進基盤は、工学者を医療機関等の医学研究機関でトレーニングする等、レジデント雇用を促進して医学と工学とを緊密に融合することにより、臨床現場のニーズに応える新規医療機器の、より効率的な開発を目的とする。

[一般公募型]

- ① 超微細技術(ナノテクノロジー)を活用した医療機器の開発技術について、民間企業との連携・発展させる研究
- ② 低侵襲診断・治療機器、社会復帰型治療機器開発分野及び革新的在宅医療機器の開発に関する研究
- ③ 医工連携研究の推進に向けた医療機器開発及び人材育成の場の提供並びに教育プログラム開発等基盤構築に関する研究

[指定型]

- ① 生体内部機能代替機器開発、先端画像解析・バイオリアクターに関する研究

[若手型]

- ① ナノテクノロジーを活用した先端あるいは基盤的研究

(8)平成23年度における主たる変更点

(医療機器開発(ナノテクノロジー等)総合推進研究)

・研究事業を見直し、低侵襲・非侵襲医療機器(ナノテクノロジー)研究」と「医工連携研究推進研究基盤研究」を統合することにより、医療機器開発推進全般のための研究を実施。

(9)他府省及び厚生労働省内での関連事業との役割分担

厚生労働省内での関連事業との役割分担

医療機器の開発(医政局)及び医療機器の審査(医薬食品局)等に関し、関連部局と情報交換・連携していく。

(10)予算額(単位:百万円)

H19	H20	H21	H22	H23(概算要求)
2,760	2,698	2,429	2,291	未定

(11)21年度に終了した研究課題で得られた成果

(ナノメディシン研究)

- ・既存の薬剤溶出ステントが有する問題(重大な副作用(血栓、心筋梗塞)及び体内永久残存)を解決する、生体吸収性合金製かつ血管保護作用を有するステントを創出した。これにより、革新的な国産の低侵襲デバイスが提供されるとともに、循環器疾患に対する新たな治療が可能となる。
- ・胎児手術における超高精度3D/4D超音波誘導下の超高感度胎児内視鏡手術システムを開発した。これにより、胎児の生理的子宮内環境を乱すことなく、低侵襲性の治療を行うことが可能となり、母体・胎児の治療成績、予後の改善が期待される。また、治療可能な胎児疾患の適応拡大(胎児心臓、胎児腫瘍(胸部・腹部)、胎児脊髄膜瘤(二分脊椎症)に対する内視鏡手術など)による胎児治療全体の飛躍的な進展、さらには、胎児に限ることなく広範な疾患領域での低侵襲手術が一層可能となる。

2. 評価結果

(1) 研究事業の必要性

・本事業は、ナノテクノロジーの医学への応用による効果的で侵襲性の低い医療機器等の研究・開発を官民共同で推進することにより、①患者にとってより安全・安心な医療技術の提供の実現を図るとともに、疾患の超早期診断・治療システムを開発すること、②産官学に患者の視点を組み入れた「産官学患連携」により、現状の超高齢化社会における医療・介護負担の低減をもたらす、高齢者等の自立と充実した生活を可能とする革新的医療機器を開発すること、③我が国で行われる医工連携研究の質の向上を目的として、医療機関において行われる医療機関・教育機関等の医工連携研究を支える基盤の整備を、革新的医療機器開発の場を提供する観点及び人材育成の観点から効率的に行うことである。

・平成21年度においては、①についてはヒトの膠芽腫と同様な腫瘍血管構築を有するマウス glioblastoma 細胞の同所移植モデルの作成や、過剰リン酸化タウ蛋白に特異的選択的に結合することによりアルツハイマーの診断が可能な分子有機化合物の開発などの成果が得られており、非常に評価できる。②については、炎症・感染、便尿漏れ、陥入・狭窄を防ぐことが可能なスキンボタンの開発や、長寿命型の人工股関節の開発など多くの成果を得ており、非常に評価できる。③については、循環器系シミュレータ技術を用いた外科訓練センターの創設のパイロットスタディの実施や、先端的循環器系治療機器の開発と臨床応用、製品化に関する横断的・統合的研究の連携体制構築など多くの成果を得ており、非常に評価できる。

これらは今後とも、引き続き一層推進すべき研究分野である。

(2) 研究事業の効率性

超微細技術（ナノテクノロジー）の医学への応用による非侵襲・低侵襲を目指した医療機器等の研究・開発を推進することにより、画期的な医薬品や医療機器の研究・開発が促進され、国民に対してより安全・安心な医療技術の提供や医療機器産業等の振興が期待される。

また、身体機能の補助・代替により、近い将来到来する超高齢化社会における医療・介護負担の低減がもたらされるばかりでなく、高齢者の自立を可能とし、充実した生活が営めることができるようになる。これにより、高齢者の社会参加が促されるという効果も想定される。また、医療機器メーカーの国際競争力強化にもつながる。これらから得られる成果の定量は困難であるが、効果的な研究開発は明らかに予算に見合ったものとなると考える。

(3) 研究事業の有効性

本研究事業は、ナノテクノロジーの医学への応用による効果的で侵襲性の低い医療機器等の研究・開発を官民共同で推進することにより、患者にとってより安全・安心な医療技術の提供の実現を目標としており、これにより健康寿命の延伸を実現するとともに、萌芽的先端医療技術の研究開発を推進することで我が国の医療機器分野の技術革新を促すことが期待される。また、近年の技術の進歩を基礎として、生体機能を立体的・総合的に捉え、個別の要素技術を効率的にシステム化する研究、いわゆるフィジオームを利用し、ニーズから見たシーズの選択・組み合わせを行い、新しい発想による医療機器開発を推進することが求められている。本研究事業は、この要請に応えるものであり、研究成果の活用により、高齢者や障害者の自立や社会参加が促されると考えられる。また、医療機器産業の国際競争力の強化をもたらす効果もあり、有効性は高い。

(4) その他

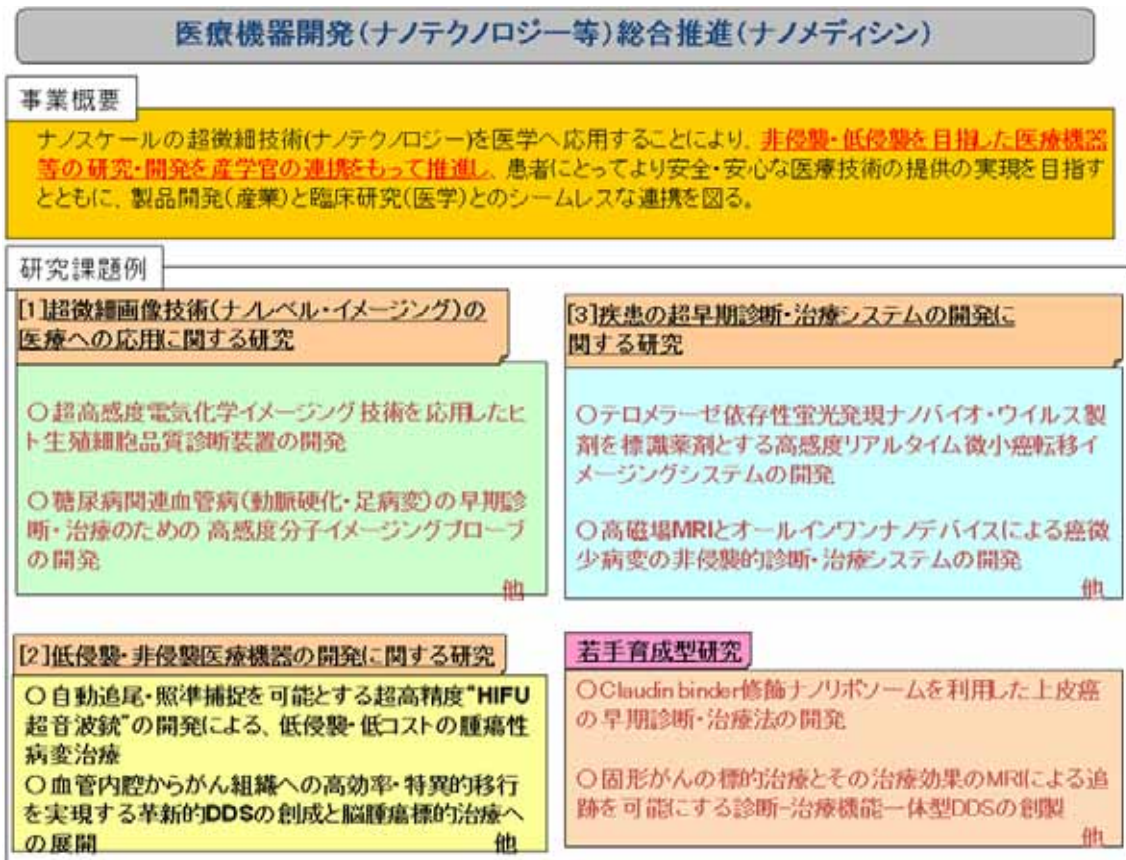
・特になし

3. 総合評価

本事業は、ナノテクノロジーの医学への応用による効果的で侵襲性の低い医療機器等の研究・開発を官民共同で推進することにより、患者にとってより安全・安心な医療技術の提供の実現を図ることを目的としている。その目的を達成するために、事業の一部においてN

EDOとのマッチングファンドを実施している。これまでに、DDSの機能評価やよりアルツハイマーの診断が可能な分子有機化合物の開発を進めており、評価できる。また、既存の技術の進歩を基礎として、生体機能を立体的・総合的に捉え、個別の要素技術を効率的にシステム化する研究、いわゆるフィジオームを利用し、ニーズから見たシーズの選択・組み合わせを行い、新しい発想による医療機器開発についても推進している。これまでに、スキンボタンや長寿命型の人工股関節の開発などの成果が得られており、評価できる。さらに、本事業は、工学者を医療機関等の医学研究機関でトレーニングする等、レジデント雇用を促進して医学と工学とを緊密に融合するとともに、分野ごとの教育モジュール、教育機器の開発及び人材養成に関する研究を実施しており、これまでに、循環器系シミュレータ技術を用いた外科訓練センターの創設による人材育成などの成果が得られており、評価できる。

4. 参考（概要図）



医療機器開発(ナノテクノロジー等)総合推進(活動領域拡張医療機器開発)

事業概要

生体機能を立体的・総合的に捉え、個別の先端的要素技術を効率的にシステム化する研究、いわゆる「**フィジオーム**」を利用し、ニーズから見たシーズの選択・組み合わせを行い、新しい発想による機器開発を推進する。産官学に患者の視点を組み入れた「**産官学患連携**」により、近い将来到来する超高齢化社会における**医療・介護負担の低減、高齢者等の自立と充実した生活を可能とする革新的医療機器の開発**を目的とする。

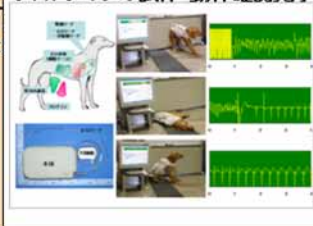
研究課題例

代表例

○慢性心不全の予後を改善するための非侵襲で安全・安心な無痛性ICDの実用化臨床試験

カスタムLSIによる小型化・省電力化、長期耐用性の確認→商品化に必要な性能の付加確認

プロトタイプを試作・動作確認完了



低電力除細動の開発

4つのなしによるICDの革命

- ・心室細動なし →心室細動の予防(迷走神経刺激)
- ・意識消失なし→即時診断(心室容積)
- ・ショック(苦痛)なし →超低電力除細動(電極最適配置)
- ・状態不明なし →遠隔モニタ(リビータ機能)

[1]低侵襲診断・治療機器開発分野

- 高速セルイメージングを可能にする次世代X線CT用ハロゲン化物シンチレータの開発
- 国産技術に基づく不整脈治療用衝撃波アブレーションシステムの開発
- エコーガンによる低侵襲の胎児期遺伝子治療:胎児腹腔内への非ウイルス性バクテリウム注入と胎児肝母体外超音波照射による遺伝子機能発現の出生前矯正

[2]社会復帰型治療機器開発分野

- 高齢者の寝たきり予防に役立つナノ表面構築型人工股関節の開発に関する研究

[3]革新的在宅医療機器開発分野

- 皮膚貫通型医療機器及びストーマを有する患者のQOL向上を目的としたスキンプタンシステムの開発・実用化研究

医療機器開発(ナノテクノロジー等)総合推進(医工連携研究推進基盤)

事業概要

我が国で行われる医工連携研究の質を向上させるために、**医療機関・教育機関等の医工連携研究を支える基盤の整備**を主に人材育成の観点から効率的に行う

事業イメージ



採択課題

- 実学的医工学教育・研究拠点育成(東北大学)
- 循環器系DRYラボセンターの創設とENGINEERING BASED MEDICINE(EBM)の推進(早稲田大学・東京女子医科大学)
- 循環器病治療機器の医工連携による研究開発・製品化・汎用化を実現するための基盤整備に関する研究(国立循環器病センター)

(4) 臨床応用基盤研究事業

・医療技術実用化総合研究

分野名	Ⅱ. 厚生科学基礎
事業名	医療技術実用化総合研究
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

1. 事業の概要

(1) 公的研究としての意義（政策との連動性）

政策等への活用を具体的に記載	革新的な医薬品、医療機器等の研究及び開発を推進し、国民の保健や医療などの向上に寄与
----------------	---

(2) 推進分野の設定等について

推進分野の設定	革新的な医薬品、医療機器等の開発のための医師主導治験、臨床研究の推進及びそれらの実施のための基盤整備
推進分野とする必要性	医療分野において、早期診断・治療を可能とする医薬品、医療機器等の開発が求められており、これを達成するために臨床研究、治験及び実施のための基盤整備の推進が必要。
推進分野の推進により期待される効果	本分野の推進により、医薬品、医療機器等の開発の一層の促進が期待される。
今後の厚生労働科学研究において重点化すべき主な分野に該当するか否か。	<input checked="" type="checkbox"/> 健康長寿社会の実現に向けた研究 <input type="checkbox"/> 少子・高齢化に対応し、活力あふれる社会の実現に向けた研究 <input type="checkbox"/> 該当なし ・早期診断・治療を可能とする医薬品、医療機器等の開発の結果、健康長寿社会の実現につながるが見込まれる

(3) 科学・技術重要施策アクション・プランとの関係（該当部分）

重要な研究開発課題	革新的診断・治療報の開発による治癒率の向上
方策	早期診断・治療を可能とする技術、医薬品、機器の開発
成果目標	・革新的治療用機器の研究開発、がんの増殖阻害や転移の防止等を目指した新規標的薬等の開発と低侵襲な治療法の開発の統合的推進

(4) 社会還元加速プロジェクトとの関係：該当なし

(5) 科学技術外交との関係：該当なし

(6) その他

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

・健康長寿社会の実現 研究拠点の整備、橋渡し研究・臨床研究に従事する人材の確保・育成

・革新的技術戦略

「医療工学技術」：低侵襲医療機器技術（触覚センサー内蔵型内視鏡）
心機能人工補助装置技術

(7) 事業の内容（新規・一部新規・継続）

本事業は、治験推進研究、臨床研究基盤整備推進研究及び臨床研究推進研究からなり、医薬品・医療機器の開発に関連する医療機関等の体制整備及び治験・臨床研究の推進を目的とした事業である。

なお、本事業に含まれる各事業内容は次のとおり。

（治験推進研究）

国際基準に則った新 GCP 施行や外国臨床データ受け入れ拡大等の影響から、我が国での治験の実施数が減少しており（「治験の空洞化」といわれている。）、その結果として、国内における医薬品等の開発が遅れ、画期的な治療薬に対する患者のアクセスが遅れている。このような問題に対応するため、治験環境の整備を行い、医療上必須かつ不採算の医薬品・医療機器に関しては、医師主導の治験が適切に行えるようにして、患者に必要な医薬品・医療機器の提供を迅速に行うことが必要である。

〔指定型〕

- ① 医薬品及び医療機器の医師主導治験に関する研究

（臨床研究基盤整備推進研究）

平成22年度の「臨床疫学基盤整備研究」及び「臨床研究支援複合体研究」を整理・統合し、我が国で行われる臨床研究の質の向上を目標に、医療機関・教育機関等の臨床研究を支える基盤の整備を、人材育成等の観点から効率的に行う。

新たな治験活性化5カ年計画の中核病院として、個々の医療機関における治験を含む臨床研究を推進する人材や体制等の基盤を整備や、臨床研究に関する教育プログラムを広く提供することによって質の高い臨床試験や医師主導治験を実施している。また、患者背景データ等の臨床疫学の基礎となる大規模コホートのデータベースの構築及び薬剤疫学的データの収集や、臨床研究ネットワークのハブ機能を果たす医療機関の人材育成などについても実施する。

〔一般公募型〕

- ① 医療機関における臨床研究実施基盤整備研究
- ② 臨床研究基盤をつくる教育プログラムの開発
- ③ 疾患別患者背景及び処方・診療実態データベース構築に関する研究
- ④ 臨床研究ネットワークの人材育成のハブ機能を果たすための人材育成に関する研究
- ⑤ 臨床研究の計画や実施方法に関する相談を提供する人材育成に関する研究

〔指定型〕

- ① 臨床試験情報の公開システム整備

（臨床研究推進研究）

我が国で実用化されていない治療法、適応外使用、重大疾病、統合医療等の臨床研究を推進するための研究。

基礎的な段階に留まっている研究成果について実用化を促進することにより、国民に有用な医薬品・医療技術等が提供される機会が増加することが見込まれる。このため、基礎研究成果を実際に臨床に応用し、その有効性・安全性の見極めや臨床応用に際しての問題点を洗い出す研究を推進する。

また、論理性及び科学性が十分に担保されうる質の高い臨床試験を実施し、根拠に基づく医療の推進を図ることを目標に、医療機関、教育機関等で実施される臨床試験そのものに対して研究資金を提供する。

平成 23 年度から、高度医療評価制度により高度医療として認められた医療技術について、当該技術の実用化を目的とした臨床研究を推進していく。また、平成 20 年 7 月に改正した「臨床研究に関する倫理指針」により、補償保険の導入を一層推進していく。

〔一般公募型〕

- ① 基礎研究の成果を臨床現場に適切に応用する研究であって、安全性及び効果検討試験に関する研究（がん及び再生医療研究に基づくものを除く）
- ② 基礎研究の成果を臨床現場に適切に応用する臨床研究であって、臨床薬理試験や用量探索試験に関する研究（がん及び再生医療研究に基づくものを除く）
- ③ 医薬品や医療機器のうち、我が国で実用化されていない治療法等のエビデンスの確立に係る臨床研究の計画に関する研究
- ④ 医薬品や医療機器のうち、我が国で実用化されていない治療法等のエビデンスの確立に係る臨床研究を実施する研究
- ⑤ 高度医療を用いた臨床研究の推進

〔指定型〕

- ① 希少疾病用医薬品の開発等の政策的に対応を要する研究

(8) 平成23年度における主たる変更点

（臨床研究基盤整備推進研究）

・研究事業を見直し、「臨床研究基盤整備推進研究」に「臨床疫学基盤整備研究」及び「臨床研究支援複合体研究」統合することにより、臨床研究の質の向上を目標にした、医療機関・教育機関等の臨床研究を支える基盤の整備を実施。

(9) 他府省及び厚生労働省内での関連事業との役割分担

臨床研究基盤整備推進研究は、文部科学省の橋渡し研究支援拠点形成プログラム及び経済産業省の基礎から臨床研究への橋渡し促進技術開発と連携を図っていくこととされている。文部科学省及び経済産業省の研究成果について、迅速に臨床研究へと導入、実施する役割を担うため臨床研究基盤整備推進研究を実施する。

(10) 予算額（単位：百万円）

H 1 9	H 2 0	H 2 1	H 2 2	H 2 3（概算要求）
4,129	4,957	6,182	6,014	未定

(11) 21 年度に終了した研究課題で得られた成果

（治験推進研究）

平成 21 年度には、以下のとおり 1 品目について治験を終了し、2 品目について薬事承認の申請を行った。

- ・イリノテカン塩酸塩（難治性小児悪性固形腫瘍）（治験終了）
- ・沈降不活化インフルエンザワクチン（H5N1 型/小児）（2 品目）（申請中）

また、これまでに治験実施体制の整備を実施するために大規模治験ネットワークを形成し（平成 22 年 3 月 31 日現在の登録医療機関数は 1,611 施設）、同ネットワークの中から選定された治験実施医療機関において上記の医師主導治験を実施した。

（基礎研究成果の臨床応用推進研究）

- ・咽頭冷却により、蘇生時から安全に急速に脳温を低下させ脳を保護できるか POC 試験を行うに先立って、安全性試験を行い確認した。これにより、日本全国で救急隊員は年間 11 万人に心肺蘇生を施行しているが社会復帰率は数%であり、心停止中に脳が障害されるため多くの方が社会復帰できないでいる。咽頭冷却は蘇生時から安全に急速に脳温を低下させ脳を保護し患者の社会復帰が期待できる。

（臨床研究基盤整備推進研究）

- ・本邦において適正に臨床試験及び治験を行える医師や CRC を養成することを目的とし

て、日本専門医制評価・認定機構に加盟している71学会に理念や統一した教育プログラムについてのアンケート調査を実施した。その結果の実現化のために、「臨床試験を適性に行える医師養成のための協議会」を設立し、第1回協議会を開催し、統一したCRC教育のカリキュラムについて議論を行うとともに、今後も協議会において議論ができるように環境整備した。これらにより、多くの専門医は臨床試験に関する基礎知識を学習したことになり臨床試験の基礎知識を多くの医師に普及するとともに、各領域の学会に対しても臨床試験の基礎的な知識の普及になると考える。

(臨床研究・予防・治療技術開発研究)

- ・本研究では、小児ステロイド感受性ネフローゼ症候群に対する初期治療法のエビデンスを確立するために、国際法（プレドニゾン2ヶ月投与）と長期投与法（プレドニゾン6ヶ月投与）との比較検討を行う多施設共同ランダム化比較試験を実施できた。平成21年度において、登録症例数は188例であり、250例に近づいた時点で中間解析を行う予定である。
- ・日本での小児ネフローゼ症候群の新規発症患者数は年間約1000人で、そのうち200-300人がステロイド感受性頻回再発ネフローゼ症候群となり長期入院の主要原因疾患となっている。本試験で有効性及び安全性が示されれば、再発回数の減少により、患者の予後とQOLは改善する。また、再発回数の減少により、医療費の削減も期待できると考えられる

2. 評価結果

(1) 研究事業の必要性

(治験推進研究)

- ・本事業は、我が国における治験環境の整備を行うとともに、医療上必要であるが採算が得られにくい等の理由により企業等による治験が実施されにくい医薬品・医療機器において医師主導治験を実施することにより、患者に対して必要な医薬品・医療機器をより迅速に提供することを目的とするものである。なお、本事業では、医薬品・医療機器開発の進捗・内容により分類し「治験の計画に関する研究」「治験の調整・管理に関する研究」「治験の実施に関する研究」等の研究を推進しているところであり、平成21年度までに18課題の医師主導治験課題を採択し、医薬品19品目、医療機器1品目について計22件の治験届を提出した。そのうち、医薬品6品目について薬事法上の承認を取得し、医薬品2品目について薬事法上の承認申請中である。その他の医薬品10品目、医療機器1品目について、治験を実施または終了しているところである。以上から、事業として十分な成果が得られていると評価する。

医師主導治験の推進については、平成19年3月に策定された「新たな治験活性化5カ年計画」に基づく取り組みの一つとして実施しているところであり、引き続き一層の推進を実施する必要がある。

(臨床研究基盤整備推進研究)

- ・本事業は、我が国で行われる臨床研究の質の向上を目標に、医療機関・教育機関等の臨床研究を支える基盤の整備を主に人材育成の観点から効率的に行う。また、優れた臨床試験を実施するために、個々の医療機関において治験を含む臨床試験の基盤の整備を行うことを目的としている。

本事業は平成19年4月より「新たな治験活性化5カ年計画」における重点取組事項の一つに位置付けられており、中核病院等の治験推進のための医療機関の体制整備や臨床研究機関において臨床研究に携わる人材（医師、コーディネーター、データマネージャー）の雇用、研修や研究実施支援の実施、臨床研究部門の整備、審査体制の充実、データマネジメントシステム及び進捗管理システムの構築などを行っており、その有効性に関して評価は高い。

今後とも、引き続き一層の推進を行うべき事業である。

(臨床研究推進研究)

・本事業は、基礎的な段階に留まっている研究成果の実用化を促進することにより、国民に有用な医薬品・医療技術等が提供される機会を増加させることを目的としている。また、医薬品や医療機器を用いた治療法等の医療技術について、臨床において適切に実施されるようエビデンスを確立する研究を推進することを目的としている。

平成21年度の研究では、慢性呼吸不全とその基礎疾患となる慢性呼吸器疾患を対象としたグレリン投与の無作為化二重盲検比較試験、レプチンの医師主導治験による脂肪萎縮症治療薬としての開発などにおいて今後の臨床研究に繋がる非常に重要な研究結果が得られており、高く評価できる。さらに、長期に生存し得る小児悪性固形腫瘍の患者に対して最適な治療を行う医療体制づくりや、ライソゾーム病の酵素補充療法製剤における有効性や安全性に関する情報収集など多くの成果が得られており、評価できる。

これらは今後とも引き続き一層の推進が必要である。

(2) 研究事業の効率性

治験・臨床研究の推進のために、以下の各種施策を総合的に実施していくことで、医薬品や医療機器の研究開発に係る資源や時間が有効に活用されることが期待できる。

(治験推進研究)

・製薬企業において一つの医薬品が上市されるまでに数百億円規模の費用がかかると言われる、特に治験段階では莫大な費用が費やされる。治験環境の整備により、開発費用は低く抑えられることとなり、この点だけでも費用対効果は極めて優れていると言える。さらに、医療上必要であっても不採算等のために企業が治験に消極的な医薬品を国民に迅速に提供できることとなり、国民健康への大きな貢献となる。

(臨床研究基盤整備推進研究)

・本研究事業は基盤整備のための研究であり、短期間の投資により、将来にわたって新規治療法やEBMを国民に提供でき、さらに医薬品・医療機器産業の国際競争力強化というメリットがもたらされると考えられる。これらのメリットを定量化することは困難であるが、国内メーカーや臨床研究機関の受けるメリットだけでも事業に要する経費を十分上回るものと考えられる。課題の採択に当たっては、研究者に対して具体的な目標の提示、それに到達するためのロードマップ等を示すことを求めており、年次評価において検証することとしている。

(臨床研究推進研究)

・基礎的な段階に留まっている研究成果の実用化を促進することにより、国民へ新しく有用な医薬品・医療技術等を提供する機会の増加を目標としている。さらに、省内の様々なプロジェクトに係る研究成果を集約し臨床研究へつなげることができることから効率的な研究の実施が可能となる。さらに、臨床研究の迅速な実施による効果の高い医薬品・医療機器の開発が進むことにより、国民健康への大きな貢献となる。

(3) 研究事業の有効性

治験・臨床研究に係る体制整備等の各種事業の推進により、迅速に医薬品や医療機器が提供されることで、国民健康への貢献が期待できることからその有効性は非常に高い。

(治験推進研究)

・治験環境の整備を行うとともに、医療上必須であるが不採算の医薬品等に関して医師主導の治験を行う。これにより、我が国の治験の活性化を図るとともに、患者に必要な医薬品等の迅速な提供を可能とするものであり、有効性は高い。

(臨床研究基盤整備推進研究)

・日本全国の基幹となる医療機関において、新規治療法の開発につながる臨床研究の基盤が整備されることを目標とする。このため、個別に立案した整備計画を作成するとともに、臨床研究に関して専門的な教育を受けたリーダーたる人材（若手医師・生物統計学者等）を育成し、それらの機関において臨床研究チームや倫理審査委員の教育を重点的に行う。

また、臨床研究基盤を永続的なものとするために、全国の医療機関、医療従事者の臨床研究能力の開発に資する教育プログラムを開発し、臨床研究基盤の裾野の拡大を図る。

これにより、我が国の臨床研究の推進が図られ、有効性に優れた事業と考える。
(臨床研究推進研究)

- ・本研究事業は、基礎的な段階に留まっている研究成果について実用化を促進し、国民に有用な医薬品・医療技術等が提供される機会を増加させることを目的とした事業であり、基礎研究成果を実際に臨床に応用する研究を推進することは、国民健康の促進のために有効性が高いと考えられる。また、臨床研究を推進することにより、国民に有用な医薬品・医療技術等が提供される機会を増加させることを目的とした事業であり、その有効性・安全性の見極めや臨床応用に際しての問題点を洗い出す研究を推進することは、国民健康の促進のために有効性が高いと考えられる。

(4) その他

- ・特になし

3. 総合評価

優れた医療を国民に提供する上で、治験を含む臨床研究は極めて重要な役割を担っている。厚生労働省においても、「新たな治験活性化5カ年計画」や官民対話に基づく「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、臨床研究の推進を含む医薬品・医療機器の研究開発の推進に向けた施策を実施することとされている。

そのような状況にあって、医療技術実用化総合研究において、「臨床研究基盤整備推進研究」、により臨床研究を実施する体制等インフラの整備を進めつつ、「治験推進研究」、「臨床研究推進研究」により特色に応じた研究開発の支援をすることで、効率性の高い総合的な取組となり、その成果の国民への迅速な還元が期待できるため、各事業を積極的に推進していくべきである。

4. 参考（概要図）

治験推進研究

目標: 日本の治験を「速い」・「安い」・「質が良い」へ
 治験期間の半減、コスト低下、質の向上を実現するとともに、国民に、
 世界最高水準の医薬品・医療機器を速やかに提供する(平成15年度～)。



治験の空洞化

日本の治験は「遅い」・「高い」・「質が悪い」

- 国内企業が欧米での治験を先行させ国内治験数が減少
- 国内における医薬品開発が遅れる
- 画期的治療薬への患者アクセスが遅れる

治験環境の整備を行うとともに、医療上必須であるが不採算の医薬品等に関して**医師主導の治験**を行う。これにより、我が国の治験の活性化を図るとともに、患者に必要な医薬品等の迅速な提供を可能とする。



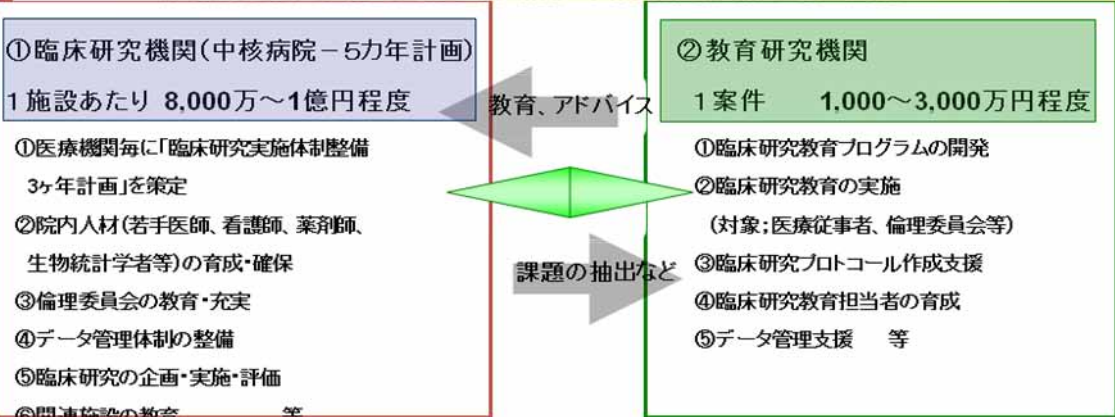
欧米で標準的な医薬品でありながら不採算のために国内導入されていない医薬品等を速やかに国民に提供

1

臨床研究基盤整備推進研究

目標 世界水準の臨床研究基盤の整備

- ・国民に提供する医療の質の向上(EBMの実践)
- ・新規治療法、新規医薬品・医療機器の開発促進(治験環境の整備)



H21年度採択機関

- 慶應義塾大学医学部
- 国立がんセンター
- 国立循環器病センター
- 国立成育医療センター
- 独立行政法人国立病院機構本部

H22年度採択機関

- 大分大学医学部附属病院
- 国立国際医療センター
- 国立精神・神経センター
- 千葉大学医学部附属病院

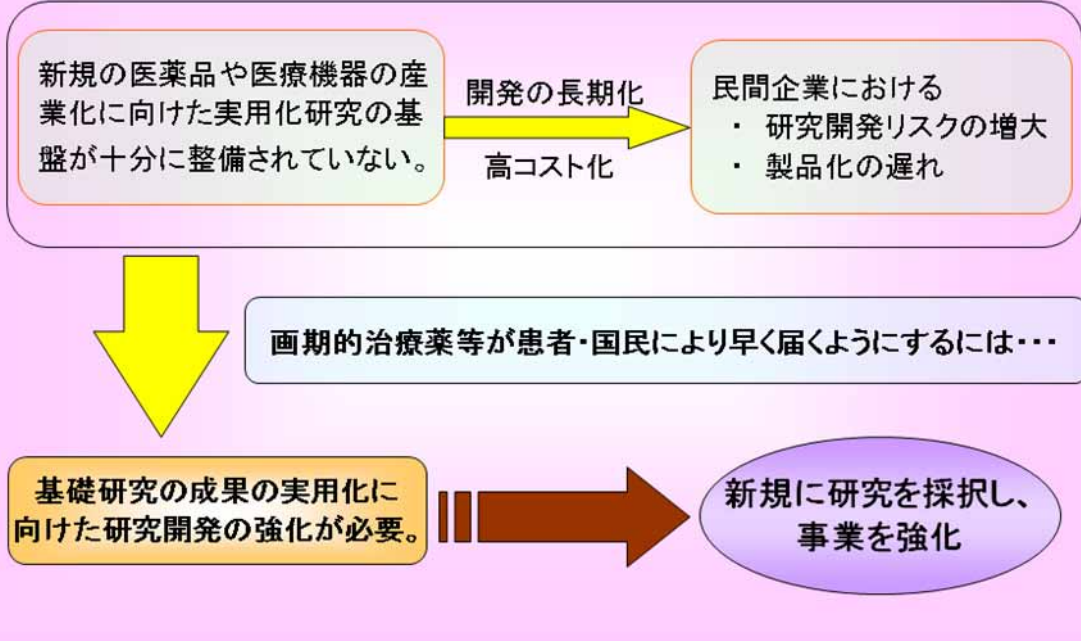
H21年度採択機関

- 京都大学大学院医科学研究所
- 京都大学医学部附属病院
- 国立がんセンターがん予防・検診研究センター

2

臨床研究推進研究（基礎研究成果の臨床応用推進）

第3期科学技術基本計画分野別推進戦略（ライフサイエンス分野）より

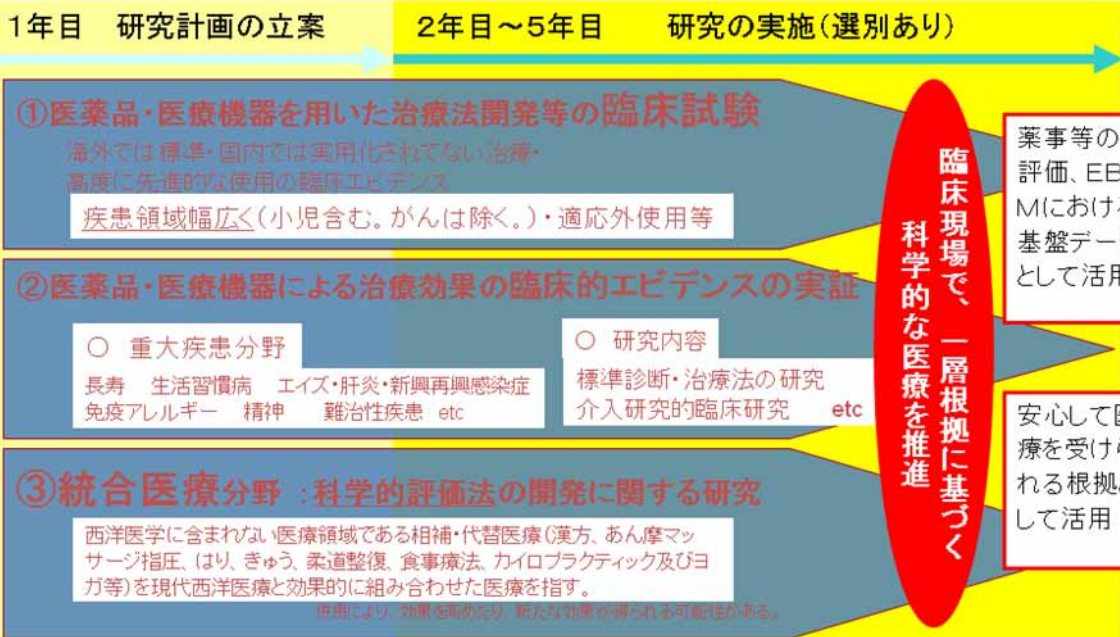


3

臨床研究推進研究（臨床研究・予防・治療技術開発）

第Ⅱ期トランスレーショナルリサーチの推進

医薬品や医療機器を用いた治療法等の医療技術（既存のものを含む。）について臨床において適切に実施されるようエビデンスを確立する研究



4