

3 研究開発における課題について

(1) 先端科学技術の開発と応用

ア ゲノム・たんぱく質科学関連技術

ヒト遺伝子に存在するSNPsを約20万個特定するとともに、平成13年度末までにヒト完全長cDNAを約3万個取得するなど、世界をリードしており、この優位性を、遺伝子機能解析及びたんぱく質構造機能解析の推進と特許取得を通じて活かしていくことが重要である。また、微生物等を用いたバイオプロセスによるたんぱく質等の生産技術についても、世界的に競争力をもっている。

①SNPs解析研究及び疾患・薬剤反応関連遺伝子解析研究と医療への応用の推進

平成12年度から開始されたミレニアムプロジェクトや平成13年度から推進しているメディカル・フロンティア戦略に基づき、糖尿病、高血圧、がん等社会的影響の大きい疾患に関わるヒトゲノムの多型解析や、疾患・薬剤反応関連遺伝子の解析を進め、個々の患者の遺伝子的特性を踏まえたテーラーメイド医療の実現に取り組むとともに、国際的競争が激化している疾患関連遺伝子の解明、遺伝子の発現形態であるたんぱく質の機能解明に基づいた医薬品開発（ゲノム創薬）や医薬品候補物質のスクリーニング手法（トキシコゲノミクス）の確立に取り組む必要がある。

②たんぱく質及びペプチドの機能及び構造の解析による疾病の予防・治療戦略

生体内の多くのペプチドやたんぱく質の機能解明、あるいはそれらの機能を修飾する糖鎖の役割については、ポスト・ゲノム研究として国際的に激しい競争が行われているが、生体における機能解明のためには、超微量生体内ペプチドやたんぱく質の同定や糖鎖の微細構造解析研究が不可欠となっている。

たんぱく質やペプチドの修飾や微細構造の変化による機能変化、量的変動と疾患の関連が明らかになれば、疾病の原因解明や新たな予防・治療法の開発が可能となる。

特に、疾患に罹患している患者と健常人との間にあるたんぱく質の種類や量の違いを同定するための研究に早急に取り組む必要がある。

③遺伝子治療、細胞治療や再生医療、移植医療における安全確保とその推進

遺伝子治療については、我が国でも、平成6年に臨床研究の指針が制定されて以来、約20件が実施されてきた。今後も新たな技術の開発が見込まれる分野であり、薬事法の改正による医師主導の治験の導入を契機に、一層の推進が期待される。

自己修復能力を利用し、骨、血管、感覚器、神経等の再生に取り組む再生医療の分野については、ヒト幹細胞の活用を中心に、その臨床応用を目指した研究が進められている。既に一般医療として定着しているさい帯血や骨髄など造血幹細胞移植医療や、培養皮膚など臨床応用が成功し治験申請を始めているものから、

神経分野をはじめ、まだ基礎研究段階ではあるが世界をリードしているものまでさまざまである。また、一部は細胞治療という形で臨床応用が図られようとしている。臨床応用を目指した場合に問題となる安全対策等について、制度的にも指針の策定に取り組みながら、ウイルス等の感染症の回避等、安全確保に取り組んでおり、一層の推進が期待される。

臓器移植についても、ウイルス等の感染症の回避等の安全確保や、生着率の一層の向上はもちろん、レシピエントのQOLの向上のため、免疫制御等の研究を推進する必要がある。

イ ナノテクノロジーや情報通信技術等の先進技術を活用した融合領域

ナノ生物学や超微細加工技術、あるいは画像診断技術などでは、世界的にも高い水準にあると言われ、今後、我が国が世界をリードできるか否かを決する重要な分野である。しかし、融合的研究への取組みは十分ではなく、従来の学問領域や研究組織を超えて、異分野の研究者が共同して研究に取り組む必要がある。

①高度画像解析機器、人工臓器及び人体機能の代替に係る研究の推進

ゲノム科学、生物工学やバイオインフォマティクスの進展に伴い、生体の機能を総合的に解析し、理解しようとする試みが始まっており、遺伝子、たんぱく質に関するデータベースの整備や生体システムのコンピューターモデルによる定量化が有機的に統合することにより、人間の複雑な身体機能に関する理解が深まりつつある。今後、高度画像解析機器等の身体機能等を解析する分野や、手術ロボット等の身体機能を補助する分野、人工臓器（人工心臓、人工内耳、人工血管、人工血液など）、人工組織、インプラント機器等の身体機能を代替する研究分野での新たな進展が期待されている。

②補助機器、在宅用人工呼吸器及びロボティックスの研究

近年の著しい科学技術の進展とこれまでの科学研究の蓄積を活用することによって、身体の運動機能や感覚器機能を補助・代替し、医療や福祉の分野で患者に対する医療や障害者の生活支援のために活用できる画期的な機器開発の実現性が高まっている。患者や障害者の具体的なニーズを基にして様々な技術を組み合わせ、これらの機器開発とその実用化に関する研究開発を推進する必要がある。

③高齢者の障害・二次障害の予防・軽減及び障害者等の雇用促進に資する支援技術の研究開発

高齢者・障害者の安全な生活や、自立・社会参加の促進を進めるためには、社会的、環境的な側面の整備によって、障害者等がもつ障害を補完するとともに、障害の重症化や二次障害の発生を予防し、また、雇用をはじめとする社会参加を支援するための高齢者・障害者の需要に基づいた研究開発を進める必要がある。

④ナノメディシン（ナノテクノロジーの医療分野への応用）の研究推進

ナノテクノロジーの進展に伴い、超微細技術の医療分野への応用が期待されており、米国でもNIHを始めとして、ナノテクノロジーの医療分野への応用研究の積極的な推進が行われている。具体的には、細胞・組織における分子機能や構造を解析するナノ解析技術の革新により、循環器疾患等の病態の解明や、細胞レセプターの機能解明等による薬物伝送システムの研究開発が期待されるとともに、ナノデバイスの医療機器分野への応用により、ペースメーカー等の治療機器の小型精密化が進むことが期待されている。こうした萌芽的な医療技術の研究開発の推進は国際競争力強化の観点からも重要であり、今後積極的にナノメディスンの研究開発を推進していく必要がある。

(2) 少子高齢化に対応した生活習慣病をはじめとする疾患の予防、治療等に関する研究
我が国のがん研究は、分野を越えて学際的に推進されてきた長い歴史を有し、その成果は、国際的に高い評価を受けるとともに、生命科学を中心とする他の研究分野に波及効果をもたらし、幅広く貢献してきた。

ア 最先端科学を活用したがん、循環器疾患、糖尿病等の生活習慣病に係る本態解明及び予防・治療等に関する研究

急速に進展しているゲノム科学の知見を活用して、疾患の発症機構の解明や生体異常の指標（バイオマーカー）等の開発と活用を通じたがん、循環器病、糖尿病等の生活習慣病の一次予防、早期診断、早期治療、標的治療の実現などに取り組むことが必要である。

特に、健康増進法を踏まえ、生活習慣病のリスク因子を低減させるため、適切な時期に予防策を行うリスクリダクション、ごく早期に生活習慣病のバイオマーカーなどの徴候を発見することにより可能となる予防的治療を地域保健の場で実現しようとする、いわゆる新公衆衛生戦略を推進する必要がある。

高齢者の健康の維持に資する生理学的老化の研究や、骨粗鬆症や関節の変形をはじめとする老年病や痴呆の原因解明、予防・治療法の開発を目指した老年医学の研究を、要介護状態となることを防止し、健康寿命を延伸する観点からも進める必要がある。

イ 根拠に基づく医療（EBM）等の推進

根拠に基づく医療の考え方にに基づき、最先端の技術のみでなく、既存の技術についても科学的な評価、いわゆるシステマティック・レビューを加え、そのデータベース化を図ることなどを通じて医療の現場に普及させることが重要である。また、このような実証的な考え方を保健分野等においても活用していく必要がある。

さらに、患者が自らの判断で適切な医療機関を選択するために必要な情報が幅広く提供されることが望ましく、医療の選択に資する情報の提供の在り方として、客観的に比較可能な情報を整備するための用語の標準化やデータベース化を進めること等が課題である。

ウ 生活習慣病の予防

生活習慣病の発症予防、進展の防止、さらには、生活習慣の積極的な改善による治療効果については、既に多くの研究によって明らかにされている。しかしながら、これらの生活習慣の改善やそれを長期的に維持していくことは、実際、極めて困難があり、我が国の社会・文化的背景や日本人の生物学的・心理学的特性を勘案した、新たな科学的根拠に基づく効果的な生活習慣病の改善プログラムの開発が急務である。

エ 妊娠障害の機序解明及び治療法の研究

少子化が進む中で、子どもを生みたいと考える親を支援することも重要な課題である。妊孕障害の機序解明と治療法の研究開発を進めるため、生殖細胞の分化・成熟機序、着床メカニズムの解明、不育症の原因と治療に関する基礎的及び臨床的研究の振興を図る必要がある。また、児童の心身について長期にフォローアップし、必要なケアを行うシステムの確立が望まれ、基礎・臨床医学はもとより、人文・社会科学等を視野に入れた学際的な取り組みがもとめられる。

(3) 感染症及び免疫系疾患に関する研究

感染症対策については、感染症の制圧やワクチンの開発等で、国際的にも貢献が可能であり、期待されている分野である。

ア 新興感染症等の病原体の解明、ワクチン・抗生物質開発、検査・サーベイランス・流行予測等の感染症対策

近時、新興感染症や院内感染症、あるいは人畜共通感染症が特に問題となっている。また、ウイルス性肝炎対策、CJD、生物テロ対策などの社会的問題への対処も大きな課題である。こうした感染症の問題については、病原体の侵入過程から、宿主応答、感染防御のメカニズムなどの基礎的な研究とともに、病原体の解明やワクチン・抗生物質開発に取り組むことが求められる。また、迅速診断法の開発や、検査・サーベイランス・流行予測の技術開発と普及、発生動向を分析して施策を講じるための研究を進めることが求められる。

院内感染の問題について、発生の低減及び発生時の拡大防止を図るため、院内感染サーベイランスの実施など日常的な院内感染対策をはじめ、患者に対する適切な情報提供など、対策の検討を進める必要がある。

イ アレルギーなど免疫系疾患、特に難治性の自己免疫疾患の予防・診断・治療法の開発

症状が長期にわたり持続し健康を脅かすアレルギー疾患や免疫疾患について、免疫システムの成立・維持・賦活化・破綻のメカニズムや、かかりやすい体質と生活環境等の関係を明らかにし、免疫応答が関与する疾患の発症機構の解明による免疫治療の実現、疾病の予防、診断、治療法に関する新たな技術を開発するとともに、既存の治療方法を整理・評価することが必要である。

また、小児難病を克服して社会活動へ参画する者が次第に増える中で、心身のケアや長期のフォローアップを行える基盤整備が求められる。

(4) こころの健康と精神疾患、神経・筋疾患等に関する研究

脳科学研究は、現代の自然科学において最も未開拓、未知の部分の多い研究領域である。また、こころの健康問題については、近年、様々な社会問題が生じる中で、深刻な問題として認識されるようになった。

ア 分子的・遺伝的研究、脳画像のモニタリングなどによる発症機構の解明及び診断・予防・治療法の開発

遺伝子やたんぱく質などを基盤とする分子的・遺伝的研究や、非侵襲的イメージング法など脳画像のモニタリング技術の活用等を通じて、脳疾患の発症機構の解明や、診断・治療・予防法の開発を推進する。

イ こころの健康問題の研究及びこころの健康管理・精神的ケアの展開

自殺、発達障害、摂食障害、睡眠障害、児童虐待、老化による問題等多岐にわたるこころの健康問題について、疫学、分子生物学、画像診断、生理学的手法等を活用し、その発症要因や病態等を解明するとともに、これらの問題に適切に対処する地域資源ネットワークや介入のあり方等についても検討を進める必要がある

ウ 精神疾患、難治性の神経・筋疾患の病因解明と予防・診断・治療法の開発

精神疾患や、原因が不明で治療法が未確立であり、しかも進行性あるいは後遺症を残す難治性の神経・筋疾患については、病態の進行や不可逆的な変性を食い止め、その機能を回復させることにより、患者のQOLを向上できるよう研究を推進する必要がある。特に、現在社会的問題となっているアルツハイマー病等の痴呆疾患やうつ病について、さらなる研究が必要である。

エ 精神作用物質依存及び司法精神医学

薬物及びアルコール依存の予防、治療方法、社会内でのリハビリテーション手法について研究を進める必要がある。

心神喪失等の状態で重大な他害行為を行う者については、適切な医療を確保することによって、病状の改善と同様の行為の再発防止を図り、社会復帰を促進することが重要であり、このため「心神喪失等の状態で重大な他害行為を行った者の医療及び観察等に関する法律案」が国会審議中である。日本においては、司法精神医学の研究・実践が著しく遅れているところから、暴力リスク評価・治療方法・社会復帰支援手法等の開発、疫学的評価手法の確立等を早急に図る必要がある。

(5) 食品、医薬品、医療・福祉機器及び化学物質に係る安全の確保

ア 基本的考え方

食品をはじめ、医薬品、医療・福祉機器、化学物質等に対する不安感を軽減する

ため、リスク分析（リスク評価、リスク管理、リスクコミュニケーション）の考え方にに基づき、適切に規制等の対策を講じるため、有害物質の検査法や評価法の開発、規格基準の策定に必要な判断基準に関する調査研究を進めるとともに、安全性等に関する国内外の情報を広く収集し、その迅速かつ的確な評価と対策を行うなど、新たな組織体制と制度のもとで、食品、医薬品等の安全の確保を進める必要がある。

イ 食品安全の確保

①食品に関する安全情報の収集・評価・提供や迅速な対応を講じるための試験分析方法の開発

食中毒情報をはじめ、食品に関する安全情報の収集・評価・提供と収集技術や、ポストマーケティング・モニタリングに必要な検査方法など、食品衛生のための試験分析方法を開発し、適切な監視を実施する必要がある。

②牛海綿状脳症発生のメカニズム及びリスクの解明、検査技術の向上等に関する研究

食品に対する不安のきっかけとなった牛海綿状脳症の問題を克服するため、実験動物や感染牛等を用いた感染メカニズムの検討、異常プリオンの高感度・迅速検出法、食肉への汚染評価方法の開発、不活化の検証法の開発、めん羊等へのサーベイランスに関する研究などを進める。

③遺伝子組換え食品等の安全性の確認

遺伝子組換え食品については、食品衛生法に基づき安全性が確認されたものを除き、輸入及び流通が禁止されている。また、消費者への正しい情報提供のために、遺伝子組換え農産物を原材料とした場合等は、その表示が義務づけられている。このため、迅速、簡便かつ確実に組換えの有無を検知し、混入率も測定できる方法を開発するとともに、遺伝子組換え食品のより一層の安全を確保するため、後代交配種などの安全性の確認やその評価の方法を開発する。

また、特定保健用食品素材については、その安全性及び有用性に関する研究をさらに進める。

④添加物、残留農薬、残留動物用医薬品等各種化学物質の安全性評価

添加物、残留農薬、残留動物用医薬品等各種化学物質について、最新の科学的知見を踏まえた安全性の評価手法を開発するとともに、迅速・効果的な分析法を開発する。

ウ 医薬品及び医療・福祉機器の有効性・安全性及び適正使用に関する研究

生物由来製品のウイルス等のリスクと有効性、新型ワクチンの安全性等のリスクの評価手法、あるいはより高度な試験法による医薬品及び医療機器の安全性評価などに取り組むとともに、適正な規格基準の作成、適正使用の推進のための情報提供の在り方等について研究を進め、科学的に規制及び監視を実施する。

また、福祉機器についても、使用する障害者や高齢者にとっての利便性のみならず、これらの者が使用する際の安全性の確保には、より一層の配慮を行う必要があるので、その基準や安全性の確認に関する研究を進める必要がある。

エ 化学物質に係る安全確保

化学物質の毒性スクリーニング法や検出法については、従来、動物実験やヒト疫学調査が行われた来たところであるが、これらに加え、細胞・タンパク・遺伝子の変化を指標とした解析や解析業務の自動化の推進など、迅速・効率的な方法を検討し、極めて多種に及ぶ化学物質の安全性を効率的かつ効果的に点検して、適切な基準の作成と情報発信や対応を行うことが必要である。

オ 水道水の安全確保

阪神淡路大震災において、水道を含むライフラインが被害を受けた教訓を踏まえ、水道施設の耐震化を進めるとともに、新興感染症や生物テロ、あるいは化学物質による汚染から防護するため、高度分析機器やPCR法等最新の手法を用いた検出技術や、水源汚染の監視、情報伝達等の技術の向上を進める必要がある。

カ 生活環境の安全確保

室内空気汚染問題（いわゆるシックハウス症候群）に関する病態解明、建築物や浴場におけるレジオネラ属菌等の微生物汚染防止のための調査研究、その他の生活環境における環境衛生上の課題について取り組む。

電磁界の健康影響への可能性については、各国で数十年にわたり調査研究が進められているが、現在も依然として明かでない点が多い。我が国でも、世界保健機関（WHO）の国際電磁界プロジェクトに対応するために、省庁横断的な電磁界研究者ネットワークが設けられており、今後とも、居住環境中の商用周波電磁界、携帯電話等で使用される高周波電磁界、作業環境としての超低周波電磁界について安全評価の研究を実施する必要がある。

（6）医療安全対策と健康危機管理の推進

ア 医療安全対策

医療安全対策に当たっては、誤りが発生しやすい箇所やその原因を分析し、医療機関における安全対策、医薬品・医療用具等にかかわる安全性の向上、教育研修など、各般にわたる対策を実施し、さらにその対策の評価を行うという一連の過程を合理的に行うことが重要である。

このため、国は、医療安全に関する知見を収集・整理し、その成果を広く提供しなければならない。そのためには、医療事故の実態の的確な把握方法、また、具体的な事故防止対策やその評価方法など、医療安全に必要な研究を総合的かつ計画的に行わなければならない。なお、医療安全に関する情報の交換など、諸外国との協力も必要に応じて行うべきである。

イ 健康危機管理の推進

国民の生命や健康の安全が脅かされる事態に対して、健康被害の発生予防、拡大防止、治療等の対策を講じる健康危機管理においては、情報の広汎な収集を行い、これを科学的・客観的に分析・評価して、原因究明や具体的対策を講じるとともに、国民に対し適切な情報提供が行われなければならない。このため、健康安全に関わる科学的知見や仕組みを迅速に活用できるよう、必要な知見の集積を進めるとともに、調査・情報収集・分析を行う体制の強化を進める必要がある。

(7) 臨床研究の活性化と研究成果の活用

ア 基礎研究の成果を臨床につなぐ橋渡しの研究(トランスレーショナル・リサーチ)の推進

ゲノム科学をはじめ基礎研究については、世界的レベルにあるものも多いが、国民に実際に役に立つ応用開発研究や臨床研究については十分なものとはいえない。国民にいち早く最新の科学技術を応用した医療を提供するため、被験者の人権保護に十分留意しつつ、基礎研究の成果を臨床の場につなぐトランスレーショナル・リサーチの推進が必要である。

イ 画期的医薬品等の実用化のための治験や根拠に基づく医療の推進のための臨床研究の推進

画期的な医薬品・医療機器等のライフサイエンスの成果を実用化するためには、治験を行い、ヒトに有効であるか、安全であるかを最終的に確認することが必須である。しかし、治験の空洞化と指摘されるように、我が国の治験は停滞している現状にある。また、欧米では標準的な医薬品であっても、不採算等の理由により国内では治験が行われず、結果として国民が利用できない医薬品等も多い。このため、企業が主導して実施する治験と医師(研究者)が主導して行う治験の双方を、疾患群ごとに数十の医療機関からなる大規模治験ネットワークを構築する等の方策を通じて早急に活性化し、より良い医薬品等をより早く国民に提供できる仕組みづくりが必要である。

また、根拠に基づく医療を推進するためには、市販されている医薬品の組み合わせ、薬物療法、外科療法、放射線療法等の比較、予防や治療の延命に対する効果等について長期にわたる大規模な臨床研究を実施する必要がある。

このような研究を拡充するため、研究者や研究協力者だけでなく、科学的な研究計画(プロトコール)を策定できる知識と経験を有する者、データ管理を行う者等の人材育成やその配置、臨床研究を適正に推進するためのルールづくり等基盤整備を急ぐ必要がある。

ウ ゲノム疫学研究やコホート研究などの大規模疫学研究の推進

生活習慣病の克服のためには、多数の研究対象者の生活習慣に関する情報を集め、長期にわたって疾病の発症に関する追跡を行う疫学研究を実施し、どのような生活習慣が疾病の発症に関連しているのかを明らかにする必要がある。また、生活習慣は

国によって異なることから、日本人についての研究が実施される必要があるが、研究の蓄積は必ずしも充分とは言えない現状にある。

こうしたいわゆる大規模コホート研究については、我が国ではいくつかの研究者のチームにより取り組まれているところであるが、その重要性を踏まえ、生活習慣病の各分野などでさらに着実に推進するとともに、必要に応じ研究が充実されるよう支援する必要がある。

さらに、ゲノム科学を医療に応用し予防を進める上で、環境要因と遺伝的要因を併行して調査解析するゲノム疫学的手法を取り入れることも重要である。

エ 高齢者、障害者等のＱＯＬの向上に関する研究の推進

介護保険制度、老人保健制度等の高齢者に対する施策の推進、障害者に対するサービスへの支援費制度の導入や新たな障害者基本計画の検討を踏まえつつ、リハビリテーションの効果的な利用方法や福祉用具の活用、普及等、高齢者、障害者等のＱＯＬの向上に関する研究に取り組む必要がある。

オ 組織・細胞・遺伝子バンク等研究資源の確保

研究資源の確保について、我が国は国外に大きく依存しているが、近年、各国が自国の資源の保護への関心を高める傾向が強まっており、研究資源の確保への取組みを強化する必要がある。

ヒト組織・細胞・遺伝子については、厚生労働省の試験研究機関等においても、生命倫理問題に留意しつつバンク事業が実施されているが、今後、医薬基盤技術研究施設（仮称）の整備を契機に、関係機関からの要請に応えられるよう、事業を拡充する必要がある。さらに、現行の臨床向け諸バンクに保存されている細胞等の研究利用の在り方や、研究資源バンクとさい帯血バンクなど臨床向けバンクとの役割分担や連携の在り方についても検討する必要がある。

また、良質な資源の確保が困難となりつつある薬用植物や、感染症、老年病、精神・神経疾患等の研究で欠かせない研究用霊長類の確保についても、かねてより取り組んでおり、今後は優先的な課題を明らかにしつつ、取組みを進める必要がある。

そして、ヒトへの臨床応用を前提とする医療用動物については、高度の安全性を確保する必要があり、関係指針を踏まえつつ、研究開発に取り組む必要がある。

(8) 労働安全衛生の向上

科学技術や産業技術の現状と発展の方向を踏まえ、我が国が得意とする安全技術の向上に努める等、産業安全、労働衛生に関する研究を推進し、労働災害等の産業災害の防止を図る必要がある。

ア ロボット・自動化技術等の労働災害防止対策への活用

日本が優位とされるロボット・自動化技術についての活用を図る等、産業安全技術のさらなる向上に努める必要がある。