

<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対し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」と「臨床応用基盤研究事業」から構成されている（表3参照）。

表3. 「厚生科学基盤研究分野」の概要

研究事業	研究領域
3) 先端的基盤開発	3-1) ヒトゲノム・再生医療等
	3-2) 疾患関連たんぱく質解析
	3-3) 萌芽的先端医療技術推進 (ナノマテリアル・トクソゲミクス)
4) 臨床応用基盤	3-4) 身体機能解析・補助・代替機器開発
	4-1) 基礎研究成果の臨床応用推進 4-2) 治験推進

3) 先端的基盤開発研究事業

3-1) ヒトゲノム・再生医療等研究

1) ヒトゲノム研究

事務事業名	先端的基盤開発研究 ヒトゲノム・再生医療等研究経費（ヒトゲノム・遺伝子治療分野）
担当部局・課主管課	研究開発振興課
関係課	大臣官房厚生科学課

A. 研究事業概要

(1) 関連する政策体系の施策目標

基本目標 1 1	国民生活の向上に関わる科学技術の振興を図ること
施策目標 2	研究を支援する体制を整備すること
1	厚生労働科学研究費補助金の適正かつ効果的な配分を確保すること

(2) 事務事業の概要（継続）

今世紀初頭のヒト遺伝子の全解読等のゲノム科学の進展を受けて、ゲノム創薬、テーラード医療に代表される次世代医療の中心を担うヒトゲノム・遺伝子治療分野における研究競争が国際的に激化している。このような状況において、本研究事業により、ヒトゲノム研究を強力に押し進め、幅広い分野での新産業の創出を図るとともに、バイオテクノロジーを活用したゲノム創薬につながる研究の推進及び強化が必要となっている。

具体的には高齢者の主要疾患に関連する遺伝子を解明し、個人の特徴に応じた革新的な医療の実現などに資する以下の研究を実施する。

- 高齢者に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
- ヒトゲノム分野、遺伝子治療分野及び再生医療分野研究に関連する倫理に関する研究

(3) 予算額（単位：百万円）

H13	H14	H15	H16	H17
2,356	2,356	2,118	2,179	2,179

(4) 趣旨

- 施策の必要性と国が関与する理由

21世紀に入って、ヒトの遺伝子が解読され、ゲノム科学やたんぱく質科学等を応用した新しい創薬手法であるゲノム創薬による新薬開発競争が激化する一方、ヒトゲノムの多様性を解析することで、遺伝子レベルで個人の体質の違いを把握し、個人の特性にあった診断・治療・予防、薬の投与を実現するいわゆるオーダーメイド医療が現実味を帯びてきている。しかしながら、我が国のバイオテクノロジーに関する研究開発の現状は、特にヒトゲノム分野において研究の水準、研究者の層、民間投資のいずれにおいても、欧米特に米国に大きく水をあけられ、このままでは、我が国はバイオテクノロジーのもつ巨大な可能性を活用しえず、世界の流れに遅れをとるとともに、高齢化社会への準備を十分に整えられない可能性がある。

2000年を境に、生命科学はDNAの構造解析主体の時代から生命現象への解明へと進み、世界の各国が本格的な競争へと移行している。そのため、ゲノムに係る研究開発を強力に推し進めることにより、高齢者にとって活気ある社会への道を切り拓き、医薬品の安全性の確保と国民の理解の増進を図りつつ、幅広い分野における新しい産業の創出を図るとともに、バイオテクノロジーを活用したゲノム創薬につながる研究の推進及びさらなる充実が必要である。

- 他省との連携

研究の進捗に応じて、必要があると認められた場合には、関係各省との連携について検討する。

- 期待される成果

先端的な技術を臨床応用に導く極めて新しい研究分野であり、疾患関連遺伝子の同定、遺伝子治療製剤の臨床研究や安全性に関する研究、病変の遺伝子診断技術、などを実現する研究である。これまでの研究により、肝特異的なトランスポーターのSNPとスタチン系薬物による横紋筋融解症との関連性解明、骨粗鬆症関連遺伝子のSNP

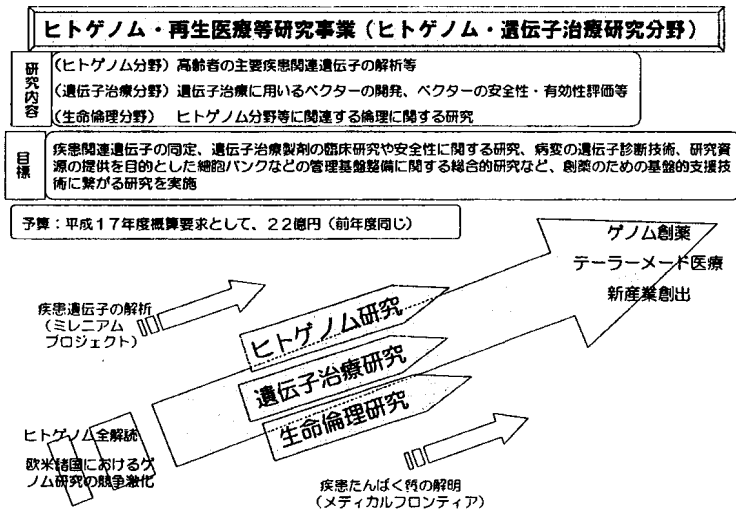
Pと骨量との有意な相関関係を明らかにする等着実に成果をあげてきたところである。

● 前年度の総合科学技術会議および科学技術部会での評価に対する取り組み

本研究事業では、新規採択課題については、研究者への研究課題の周知徹底、適切な事前評価を実施するとともに、継続課題に対しては、中間・事後評価を厳正に実施し、質の高い研究課題の採択を図っている。

これらによって、これまでに骨粗鬆症関連遺伝子のSNPと骨量との有意な相関関係を明らかにする等の成果を着実に挙げており、今後とも、ヒトゲノム研究を強力に押し進め、幅広い分野での新産業の創出を図るとともに、バイオテクノロジーを活用したゲノム創業につながる質の高い研究を継続する。

(5) 事業の概略図



B. 評価結果

(1) 必要性

医療分野においては、ヒトの遺伝子情報の解析により、病気の発生原因や発病メカニズムを根本から解明し、痴呆、がん、糖尿病、高血圧等、従来の手法では解決することが難しかった疾病も克服することが可能となる。また、ヒトゲノムの多様性を解析することで、遺伝子レベルで個人の体質の違いを把握し、個人の特性にあった診断・治療・予防、薬の投与が可能となり、いわゆるオーダーメイド医療の実現が可能となる。

しかしながら、我が国のバイオテクノロジーに関する研究開発の現状は、特にヒトゲノ

ム分野において研究の水準、研究者の層や民間投資のいずれにおいても、欧米に、特に米国に大きく水をあけられ、このままでは、我が国はバイオテクノロジーのもつ巨大な可能性を活用しえず、世界の流れに遅れをとるとともに、高齢化社会への準備を十分に整えられない可能性がある。

2000年を境に、生命科学はDNAの構造解析主体の時代から生命現象への解明へと進み、世界の各国が本格的な競争へと入っていくが、2000年からの数年間こそが、我が国の遅れを取り戻す数少ないチャンスである。そのため、ゲノムに係る研究開発を強力に推し進めることにより、来るべき新世紀を高齢者にとって活気ある社会への道を切り拓き、安全性の確保と国民の理解の増進を図りつつ、幅広い分野における新しい産業の創出を図るとともに、バイオテクノロジーを活用したゲノム創業につながる研究の推進及び強化が必要である。

(2) 有効性

厚生労働省においては、本研究事業について、「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、高齢者の主要疾患に関連する遺伝子を解明し、個人の特徴に応じた革新的な医療の実現を図るため、研究課題を専門家等により、厳正に評価（事前評価、中間・事後評価）を実施しているところであり、妥当である。

(3) 計画性

ゲノム創業に向けた研究開発が国際的に激化する中において、生物遺伝資源に係る研究を国家事業として整備していくことが極めて重要であり、本事業において指定型の研究として推進することとしている。また同時に、競争的資金による公募型研究課題を採択することにより、多様な研究者の有する資源や研究手法を広く集め、ヒトゲノム研究を強力に推し進め、幅広い分野での新産業の創出、バイオテクノロジーを活用したゲノム創業につながる研究の推進及び強化を行う。

(4) 効率性

ゲノム創業、オーダーメイド医療に代表される次世代医療の中心を担うヒトゲノム・遺伝子治療分野における研究を推進し、優れた医薬品を創製し、革新的な医療の実現を図ることを目標としており、それに対しての寄与によって達成度が示される。これにより、効率的な運営がなされていると考えられる。

(5) その他

特になし

C. 総合評価

今世紀初頭のヒト遺伝子の全解読等を受けて、ゲノム創薬、テーラーメイド医療等の次世代医療の中心を担う分野の研究競争が国際的に激化している。このような状況において、本研究事業により、ヒトゲノム研究を強力に押し進め、幅広い分野での新産業の創出を図るとともに、バイオテクノロジーを活用したゲノム創薬につながる研究の推進及び強化が必要である。

本研究事業においては、これまでにプリオン異常型凝集体に対する特異的なモノクローナル抗体の樹立、肝特異的なトランスポーターのSNPとスタチン系薬物による横紋筋融解症との関連性解明、骨粗鬆症関連遺伝子のSNPと骨量との有意な相関関係を明らかにする等の極めて重要な研究成果をあげてきたところであり、一層推進すべき分野として、今後の研究の進展に期待したい。

ii 再生医療研究

事務事業名	ヒトゲノム・再生医療等研究経費（再生医療分野）
担当部局・課主管課	健康局 疾病対策課
関係課	大臣官房厚生科学課

A. 研究事業概要

(1) 関連する政策体系の施策目標

基本目標	自己組織の自律的な修復能力を高めることによる治療方法の実現を目指すとともに、現在行われている臓器移植・骨髄移植の改良に寄与する。
施策目標	新たな治療方法の開発及び確立
	厚生労働科学研究費補助金の適正かつ効果的な配分を確保すること。

(2) 事務事業の概要（一部新規）

目的としては、1) 痴呆をもたらす脳梗塞、2) 寝たきりに伴う床ずれ、3) 骨粗鬆症による骨折、4) 糖尿病に伴う動脈硬化症、5) 高血圧に伴う虚血性心疾患等の高齢者の主要な疾患について、生物の発生・分化等の機構の解明に基づき、自己組織の自律的な修復能力を高めることによる治療方法の実現を目指す。

具体的には、新たな再生医療技術の開発を各分野（①骨・軟骨分野、②血管分野、③神経分野、④皮膚・角膜分野、⑤血液・骨髄分野、⑥移植技術分野）で行うと同時に、新たな医療技術の実用化に必要な品質管理・品質保証に関する研究を推進する。

本事業においては、このような行政上必要な研究について公募を行い、専門家、行政官による事前評価等により採択された研究課題について補助金を交付する。なお、得られた

研究成果については、適切に行政施策に反映させる。

(3) 予算額（単位：百万円）

H 1 3	H 1 4	H 1 5	H 1 6	H 1 7
1,104	1,104	993	933	1,500

(4) 趣旨

● 施策の必要性と国が関与する理由

新たな医療技術を生み出す本分野での研究開発を推進することは国民にとって、非常にメリットがあり、また同時に、新たな医療技術に対しての品質保証に資する研究を行うことも、安全に再生医療技術が利用されるために併せて必要不可欠であり、国が牽引すべき事業である。

● 他省との連携

特に連携した研究は実施していない。

● 期待される成果

① 新たな再生医療技術の開発

それぞれの分野において、新しい医療技術が開発され、ベットサイドにおいて安全に利用できることが期待できる。具体的には、(1)骨・軟骨分野では、骨髄細胞からの骨再生、注入型人工骨の開発、(2)血管分野では、骨髄細胞移植による血管新生療法が高度先進医療として認定されたことに続いて、冠動脈創成を心筋組織内で誘導する技術の開発、(3)神経分野では、脊髄内神経幹細胞からの神経細胞の分化促進する遺伝子治療、低分子化合物によって神経幹細胞の分裂増殖を促進する治療の開発、(4)皮膚・角膜分野では、難治性眼疾患に対する羊膜移植術が高度先進医療として認定されたことに続いて、角膜の再生技術の開発、(5)血液分野では、ミニ移植の検証、活性化CD-34によるDLIの開発、(6)移植技術では、基礎医学的なメカニズムを解明し、臓器の保存液の改良等、新たな医療技術の開発を目指す。

② 新たな医療技術の実用化に必要な品質管理・品質保証に関する研究

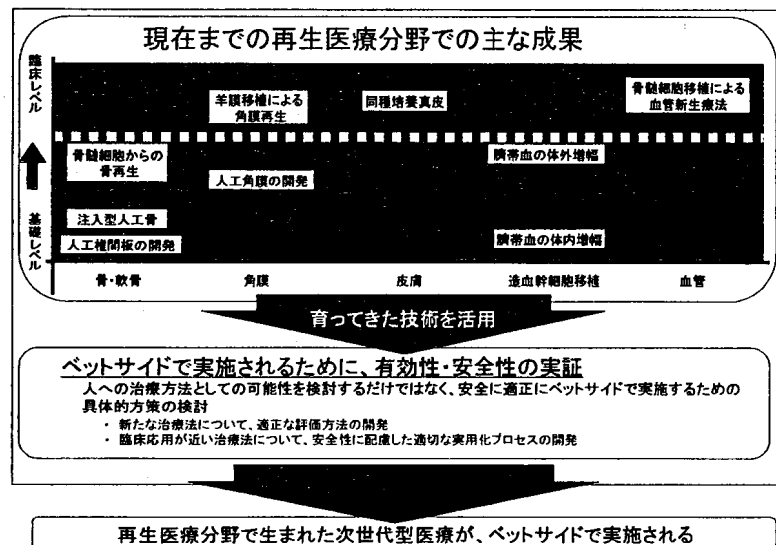
感染性ウイルスの迅速・高感度検出法の開発を行い、細胞変性を指標とする方法に比べて非常に高感度に感染性ウイルスを検出できることを明らかにしたところであるが、今後は総合的に再生医療技術の安全性を担保する方策を開発する。

● 前年度の総合科学技術会議および科学技術部会での評価に対する取り組み

事前評価、中間評価ともに実施されており、より効率的な研究が行われるように検討がなされている。

(5) 事業の概略図

厚生科学研究(再生医療分野)における成果と今後の計画



B. 評価結果

(1) 必要性

近年の科学技術の急速な進展に伴い、ヒトの体細胞が有する自己修復能力のメカニズムを応用する再生医療、移植医療の発展に関する期待は高く、実際に本研究事業の中からも、「骨髄細胞移植による血管新生療法」や「難治性眼疾患に対する羊膜移植術」などが高度先進医療に認められるなど、新たな医療技術を生み出している。

今後もこの分野で新たな医療技術の開発を行い、かつ、開発された医療技術が実際の医療現場で安全に利用されるために具体的な基準作りをおこなう必要がある。

(2) 有効性

この厚生労働科学研究費補助金においては、1研究課題あたりの金額は平均約3800万円であり、適正な規模の研究が効率的に実施されている。

評価方法についても適切に整備され、評価委員会が最新の知見に照らした評価をおこない、研究費が配分されていることより、効率性、妥当性は高いと考えられる。

限られた予算の中で、公募した研究課題から約2割の課題を採択し、研究を実施することにより、必要性、緊急性が高く、予算的にも効率的に研究課題が採択され、研究が実施

されていると評価できる。

医学の進歩の一助となっていることが、論文発表、特許申請として現れていると同時に、現行医療の改善のために新たな医療技術を生み出している。

●これまで達成された成果・今後見込まれる効果

①新たな再生医療技術の開発

(a) 骨・軟骨分野：自家骨の有効な保存法開発のために新規デバイスを開発。さらには自家骨髄細胞から分化させた骨・軟骨細胞による膝関節症、股関節症、歯槽膿漏、下顎骨損傷に対する治療法の開発を始め、すでに臨床研究を始めている。増殖が現状では困難な間葉系幹細胞の増殖法を確立し、産業化に取り組む。

(b) 血管分野：骨髄細胞を用いた血管新生療法の基礎、臨床に関する研究の推進を図るとともに肝細胞増殖因子を用いた難治性血管障害の治療に関する研究が臨床応用され良好な成績を収めており、平成15年には「骨髄細胞移植による血管新生療法」が高度先進医療として認められた。今後は、ヒト幹細胞を用いた心筋梗塞を中心に有効な治療法を確立するとともに、そのメカニズムについての解明も進める。

(c) 神経分野：平成12年度からの研究により確立した神経幹細胞の単離、分化、増殖機構の解明に基づき、動物実験においてパーキンソン病モデル動物にて有効な治療成績を得ている。平成15年度から臨床応用に向けた取り組みを行う。

(d) 皮膚・角膜分野：同種皮膚の無細胞化マトリクスを用いた臨床研究を行い、これまで困難であった難治性皮膚潰瘍、熱傷等の疾患に対し良好な成績を収めている。今後は発汗能や発毛能等を備えた機能的な皮膚を、幹細胞を用いて開発し、より機能的な移植用皮膚および毛髪再生の開発に努める。

角膜に関しては、「難治性眼疾患に対する羊膜移植術」が高度先進医療として認められており、今後は再生表層結膜について動物実験を行い、臨床応用へとつなげる。

(e) 血液分野：機能障害に陥った自己造血幹細胞を他家幹細胞を用いた治療成績(さい帯血移植、末梢血幹細胞移植、ミニ移植)のエビデンスを得ることが出来た。今後は、造血系の疾患のみならず、固形腫瘍も念頭においた治療成績向上のための造血幹細胞移植技術の革新を目指す。

(f) 移植技術：移植技術に関しては、新たな技術の開発(臓器保存液の開発等)を目指すとともに、新たな移植ルール検討のための研究(新ABOルール)を行っている。

②新たな医療技術の実用化に必要な品質管理・品質保証に関する研究

再生医療をより安全に行うための取組としては、品質、安全性評価技術を確立するために、微量ウイルス等の濃縮法を開発した。今後は、新たになら開発された医療技術の品質管理・品質保証が行われ、実際の医療現場において安全に実施されるよう総合的な検討を行い、必要な基準を検討する研究を開始する。

(3) 計画性

平成12年度より再生医療分野の研究事業が行われており、現在までに、「骨髄細胞移植による血管新生療法」や「難治性眼疾患に対する羊膜移植術」などの新しい医療が生み出されてきたところ。

現在、世界的な動向として、新たな医療技術である再生医療特有の環境に合致した安全性や有効性の担保の必要性が求められているところであり、今後は、新たな医療技術の開発に取り組むと同時に、再生医療技術の品質保証に資する研究を推進する予定としている。

(4) 効率性

いずれの事業においても、研究課題の目標の達成度は高く、国際的な水準に照らし合わせても有効な研究が推進されている。

再生医療分野に関しては、国際的にみても学術的な新規性の高い研究が多く実施され、世界にひけをとらない研究を実施している。

これらの研究とその成果は、我が国に新たな医療技術をもたらし、先進医療である臓器、造血幹細胞移植のより高いレベルを保つためにも大きな貢献をおこなっているものと考えられる。

(5) その他

本事業では、これまでに、世界にひけをとらない再生医療技術の開発、臓器・造血幹細胞移植のより高いレベルの保持に寄与してきたが、今後は、研究水準の向上や、患者を取り巻く医療環境の変化にあわせて、行政ニーズと学術的な問題点を十分に把握した上で、効率的に研究を進める必要があると思われる。

C. 総合評価

自己組織の自律的な修復能力を高めることによる治療方法の実現を目指す再生医療分野においては、世界のレベルを常に意識し、高いレベルの研究を実施し、臨床応用に結びつけるよう努力する必要がある。また、現在行われている臓器移植・骨髄移植の改良に寄与できる調査・研究も継続して行われていく必要がある。

本事業では、すでに新たな医療技術の開発（「骨髄細胞移植による血管新生療法」「難治性眼疾患に対する羊膜移植術」）において実績を持つところであるが、現在も、新たな技術開発への取り組みや、新たな医療技術の品質確保・品質保証を組み合わせ、効率的に研究を進めており、今後も、再生医療の推進や、臓器移植・骨髄移植の改良に寄与できるものと考えられる。

なお、本事業がさらなる貢献をできるよう、評価体制の強化についても常に検討をおこなうべきである。

2-2) 疾患関連たんぱく質解析研究

事務事業名	疾患関連たんぱく質解析研究
担当部局・課主管課	医政局研究開発振興課
関係課	大臣官房厚生科学課

A. 研究事業概要

(1) 関連する政策体系の施策目標

基本目標 1	国民生活の向上に関わる科学技術の振興を図ること
施策目標 2	研究を支援する体制を整備すること
1	厚生労働科学研究費補助金の適正かつ効果的な配分を確保すること

(2) 事務事業の概要

医薬品開発のシーズとなる疾患関連たんぱく質を発見し、その知的財産権を確保することは、激しい国際競争が繰り広げられている医薬品産業の今後の発展に必要不可欠である。このため、高血圧、糖尿病、がん、痴呆等を対象に、産学官が連携して、大規模かつ集中的に疾患関連たんぱく質を同定し、データベース化を行う基盤的研究、医療機関からの提供サンプルの採取・保存方法や効率的なハイスループット分析方法などの基盤技術確立するための研究、疾患関連たんぱく質のデータベース構築に必要なバイオインフォマティクスに係る研究などを進め、国際的に競争力のある医薬品開発のシーズの探索を図る。

(3) 予算額（単位：百万円）

H 13	H 14	H 15	H 16	H 17
	4,300 (補正)	500	662	662

(4) 趣旨

● 施策の必要性と国が関与する理由

既に、スイス、ドイツ等欧米諸国では、疾患からのアプローチとしてのプロテオミクス研究を国家的規模のプロジェクトとして、大量の予算を投入している状況にあるが、我が国においては、欧米のような大規模かつ集中的な疾患関連たんぱく質に関する研究はいまだに無く、また、多額の費用を要することなどから企業単独で取り組むことも困難である。

このような状況を踏まえ、我が国においても、産学官の強力な連携のもと、患者と健常者における疾患に関連した、たんぱく質の量と種類の違いを同定するための大規模な基盤整備を国家戦略として進める必要がある。

● 他省との連携

本研究事業は、新薬のシーズ開発を目的として、ヒトの疾患という観点からのアプ