

## 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
事業の運営体制	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	イノベーター日本ー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) 分野別推進戦略(第3期科学技術基本計画)で関係する「重要な研究開発課題」

重要な研究開発課題	<ul style="list-style-type: none"> <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、創造疾患等の予防・診断・治療の研究開発</li> <li>・ 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</li> <li>・ QOLを高める診断・治療機器の研究開発</li> <li>・ 感染症の予防・診断・治療の研究開発</li> <li>・ 治験を含む新規医療開発型の臨床研究</li> </ul>
研究開発目標	<p>○疾患メカズムの解明の加速、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。</p> <p>○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。</p> <p>○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。</p> <p>○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。</p> <p>○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</p>

	<p>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。</p> <p>○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実現する。</p> <p>○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ンリサーチにより、実用化を可能とする。</p>
<p>成果目標</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>◆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>◆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。</li> <li>◆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。</li> <li>◆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。</li> <li>◆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。</li> </ul>

(2)事業内容(継続)

保健医療分野において、いわゆる生活習慣病の予防や治療技術の開発、老人性痴呆の研究は、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、国として、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。

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。この事業は平成8年度に医薬品・医療機器総合機構(当時は医薬品副作用被害救済・研究振興調査機構)に創設されたが、平成17年4月より医薬基盤研究所に移管された。本事業においては、一般公募による研究課題の採択を実施しており、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。

また、公募課題の採択評価、採択課題の中間・事後評価等のために、医学、薬学の他、生命倫理や知的財産権等の専門家により構成される「基礎的研究評価委員会」を設置しており、同委員会に本事業担当の行政官の参加を求めて、専門的及び行政的観点からこれらの評価等を実施している。

### (3)関連事業(関連事業所管課)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、独創的又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や治療技術の開発、老人性痴呆の研究など、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、画期的な医薬品又は新規のコンセプトに基づく医療機器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増進に資することを目的としている。

### (4)分野別推進戦略(第3期科学技術基本計画)における「戦略重点科学技術」及び「重要な研究開発課題」との関係

高齢化社会を迎えた我が国の重要な問題である老人性痴呆症や若年層にも蔓延している生活習慣病等、社会・国民のニーズが特に強まっている領域への基盤研究を当該事業において推進し、国民の健康の保持増進に資することを目的としている。特に「がん、免疫・アレルギー、精神・神経系疾患(認知症等の高齢者が罹患する疾患も含め)、難病」についての診断技術、治療技術の向上が国民側から強く求められているところ。また、現在目覚ましい発展を遂げている「再生医療や遺伝子治療などの革新的な治療医学」についても世界規模において社会的ニーズが示唆されている。このような状況下においてニーズの強い領域に対する「画期的な医薬品や医療機器の開発」が急務であることから開発可能な技術に対する研究課題に対し採択を行い研究を実施している。従って、第3期科学技術基本計画にある「重要な研究開発課題」において提言されている課題との関連性は非常に強く、当該事業を引き続き推進することにより基礎研究から基盤研究、また研究成果による技術活用に至るまでの一連のアクションが可能である。

### (5)予算額(単位:百万円)

H15	H16	H17	H18	H19
6,562	8,071	8,000	7,982	(未確定値)

### (6)研究事業の成果

### 1)これまでの研究事業の成果

保健医療分野において、いわゆる生活習慣病の予防や治療技術の開発、老人性痴呆の研究は、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、国として、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、画期的な医薬品又は新規のコンセプトに基づく医療機器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。また、ゲノム科学、たんぱく質科学や医用工学を応用した新しい治療技術・新薬等の研究開発も実施している。

これまでに得られた主な研究成果としては、腸管出血性大腸菌O157に対する新規抗体医薬の研究開発や、クロイツフェルト・ヤコブ病の新規診断法の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などの成果が出てきている。

### 2)今後この事業で見込まれる成果

これまで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(高齢化に伴い増加している生活習慣病など)での診断、治療、予防を目的とした医薬品・医療機器の開発を目指した研究、既存の治療法等における患者負担の軽減や患者のQOLを向上させるような医薬品・医療機器の開発を目指した研究、DDS技術、抗体製造技術、細胞・組織培養技術、バイオインフォマティクス等の新規の医薬品・医療機器の開発の基盤となる技術の開発を目指した研究、疾患関連遺伝子の解析研究に相当の実績を有しており、それらの研究成果に基づいて、がん、高血圧、認知症、糖尿病、アレルギー疾患等の診断、治療、予防を目的とした新規の医薬品・医療機器の開発を目指した研究分野について研究を進めることにより画期的な医薬品・医療機器の開発が振興されることとなる。

### 3)残されている課題

本事業は医薬基盤研究所に対する運営費交付金によって実施されている。独立行政法人に対する運営費交付金は(基本的に)毎年節約によって削減するため所要の予算額の確保が重要な課題である。

## 2. 評価結果

### (1)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。

本事業においては、医薬品、医療機器の開発に繋がる成果の実用化を目指した研究や、疾患関連遺伝子の解析、疾患関連たんぱく質の機能や相互作用の解明、医用工学の応用等により、疾病の診断、治療法の確立やテーラーメイド医療を目指した研究等を実施してお

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)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、腸管出血性大腸菌O157に対する新規抗体医薬品の研究開発やクロイツフェルト・ヤコブ病の新規診断法の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、研究費の配分額が決定されているほか、研究計画の見直しや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)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、妥当である。さらに、当該事業の成果を活用することにより、画期的な医薬品・医療機器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)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、実行して行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するとともに、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、また、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(第3期科学技術基本計画)の研究開発目標、成果目標の達成状況

- ・ 重要な疾患群において SNPs の網羅的解析を行いデータベースを構築し、疾患メカニズムの解明、早期診断などに貢献しつつある。
- ・ hFGF をセンダイウイルスにより導入する末梢動脈閉塞症の遺伝子治療が現在臨床研究

中であり遺伝子治療の実用化を推進している。また平成18年度には遺伝性パーキンソン病の国内で見いだされた原因遺伝子を AAV ベクターで導入するパーキンソン病の遺伝子治療を開発するプロジェクトを採択した。

- ・ 新興・再興感染症に関しても、SARS ウイルスに対する医薬品候補物質のスクリーニング、あるいは AIDS ウイルスに対するワクチン開発の研究課題を推進中である。
- ・ がん、糖尿病などに関連するゲノム解析、プロテオーム解析を行う課題を推進しており、いくつかの標的蛋白、医薬品候補物質を見いだしており、現在これらを基に実用化に向けた研究を行っている。
- ・ がんに対する免疫療法ではトランレーショナルリサーチを行う課題を推進し一定の効果を示している。
- ・ 神経・筋疾患に対する骨髄幹細胞療法を開発する研究課題を推進している。

#### (6)その他

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、医療機器の開発に資する疾病構造の解明や遺伝子治療技術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助成を行っており、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。

期待される知的資産の形成や、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。

### 4. 参考(概要図)

## 基礎研究事業(独立行政法人医薬基盤研究所)

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などと研究契約を締結し実施し、その成果を広く普及することを目的としています。  
 具体的には、当研究所が募集分野を定め、公募を行い、実施プロジェクトを決定して実施する研究（「一般公募による研究事業」）と厚生労働省から研究の基本方針や研究実施機関などの指定を受けて実施する研究（「メディカル・フロンティア戦略に係わる基礎的研究」等）の研究推進業務を実施しています。

