

しい医薬品・医療機器等の形で国民に還元するためには、①支援体制等の整備・増強、②臨床研究者・臨床研究支援人材の確保と育成、③研究推進や承認審査のための環境整備、④国民の参画の4つの取組を進めることが重要である。これらを実行することにより、これまで大きく進展した基礎研究の成果の実用化が進み、国内における治験の推進が期待される。また、現在、日米EU三極で整合化を図った治験のガイドラインの下、各極で医薬品開発を行ったものを他極でも適用できることから、基礎研究の成果の実用化及び国内の治験の推進が図られることによって、我が国発のデータの海外での有効活用につながると考えられる。さらに、臨床研究の拠点となる研究機関を整備・拡充していくことが必要であり、かつその拠点は他の研究機関の研究者も利用・連携できる開かれた拠点とすることが必要である。

①支援体制等の整備・増強

臨床研究は患者への成果還元を目指した研究であるとの認識の下、基礎研究から治験・臨床研究までを連続的に実施することが可能な体制と、治験・臨床研究で得られた知見等の基礎研究へのフィードバックを可能とする双方向的な研究の考え方の普及が必要であり、具体的には以下のような取組が求められる。

- ・基礎研究からのシーズを臨床開発へ展開するのみならず、臨床の視点からのシーズを基礎研究へ結びつける取組
- ・臨床研究における新しい手法や研究への取組、例えば、欧州医薬品審査庁等が認めている、至適投与量や臓器分布等の検討のための極微量投与（マイクロドージング）や、米国・連邦食品医薬品局が進めている、医薬品や医療機器の開発における標準的な手法、医療製品の開発に関する迅速化、効率化等の研究（クリティカルパスリサーチ）等の世界的動向の情報収集と、それらの手法・研究の活用の検討
- ・臨床医と基礎医学研究者、他領域の研究者（特に工学系、薬学系等）との共同体制の増強
- ・医薬品候補物質の探索系開発及びその探索実施のための設備・機関またはネットワークの整備、細胞・組織バンク、非臨床試験専門施設等の研究基盤の拡充

②臨床研究者・臨床研究支援人材の確保と育成

臨床研究をより円滑にかつ精度高く実施するためには、関係者の意識改革を進めることが重要であり、また以下のような人材確保・育成の取組が急務である。

- ・臨床研究支援人材 [クリニカル・リサーチ・コーディネータ（治験コーディネータ）、生物統計学者、臨床疫学者、薬剤師、データ管理者等。育成側人材も含む] の確保や育成

- ・臨床研究者及び臨床研究支援人材の確保（雇用）のための教育の充実、臨床研究に関するキャリアパスや、経済的インセンティブの付与

③研究推進や承認審査のための環境整備

臨床研究推進や医薬品・医療機器の承認審査迅速化基盤整備のためには以下のような取組が重要である。

- ・データの品質管理等、臨床研究における客観性・倫理性を担保し、質の高い試験を行うためのルールの徹底及び支援体制の充実
- ・承認申請の迅速化のための人材確保・育成等による審査体制の充実
- ・再生医療や高機能人工心臓システム等の次世代医療機器の承認審査に係る評価指標の整備、国際化
- ・医療機器開発ガイドラインの速やかな策定と着実な実施
- ・医薬品等の有効性・安全性などを予測・評価する評価科学（レギュラトリー・サイエンス）の考え方に基づく研究の推進と、その成果の承認審査への応用

④国民の参画

臨床研究成果を医薬品等に実用化してより早く国民に還元するためには、国民（患者）自身の治験への参画が重要な要件となる。また治療機器開発において、ペースメーカー等の人体埋め込み型機器の安全性に関する国民の不安が強く、このために、製造者側は医療事故等に起因する訴訟などによる企業イメージダウン等を恐れ、精密機器製造技術が我が国の技術基盤としてあるにもかかわらず、治療機器開発・治験が進まない状況があると指摘がある。このような状況を踏まえ、国民（患者）の治験への参画の促進のために、次のような環境整備が求められる。

- ・被験者の参加促進のインセンティブを向上させるような枠組みの構築、被験者の保護・補償を行う手法の検討
- ・被験者に治験への参加の同意を得るにあたっての、治験の目的・方法・安全性・リスク等の十分な説明

また欧米各国では、多くの研究が個人や非営利財団からサポートを受けて実施されている。我が国でもライフサイエンスを推進するために、現在の税制を再検討して、個人や非営利財団からのサポートを充実させる必要がある。

(3) 安全の確保のためのライフサイエンスの推進

重篤な感染症、NBCテロリズム、食品安全問題等、安全・安心を脅かす社会的課題が存在する現状に対して、適切なライフサイエンスの成果を迅速・的確に提供していくことが、これら社会的課題に対して有効な解決に資することになる。例え

ば、重篤な感染症やNBCテロリズムに対しては、それらに関する重要な研究開発課題等の推進はもとより、それらの脅威に対処するための高度安全実験(Biosafety Level-4 (BSL-4))施設について、その活用や利用者の技術レベル向上のための教育、国内外の人材交流や共同研究も活用した研究拠点の充実、施設の周辺住民との対話等を含めた国民理解を進めることが解決への大きなステップとなる。

食の安全確保のための研究では、基礎科学を基盤に、科学技術の革新を目指す考え方のみならず、科学技術の有効性や安全性等を予測・評価する評価科学(レギュラトリー・サイエンス)の考え方も基礎とした研究開発を推進することが重要である。すなわち、食品の生産から加工・流通及び消費までの全ての食品供給行程(フードチェーン)を通じた安全を確保する‘フードチェーンアプローチ’の考え方、及び食品中に存在するリスクに対し科学的な根拠に基づき評価を行い[リスク評価]、その結果に基づいた行政的対応を実施する[リスク管理]とともに、関係者間において情報及び意見の交換を積極的に行う[リスクコミュニケーション]という‘リスク分析’の考え方の下、食品供給行程(フードチェーン)全般におけるリスク分析に資する研究開発を推進することが重要である。

(4) 成果に関する国民理解の促進

新たなライフサイエンス研究の成果を円滑に実用化する上で、国民の理解を得ることは重要である。我が国では、例えば遺伝子組換え作物については、一部の地方自治体において栽培の規制を設ける動きがあり、遺伝子組換え作物がもたらす、厳しい条件下での良好な生育や施肥量の軽減等の便益が実感されるには至っていない。国民の理解を得るためには、リスク管理や安全性の審査の情報開示、便益や安全性に関する科学的根拠の十分な説明を行うなどの取組を進め、国民の中に安全性やリスク・便益両面に対する正しい認識と技術に対する安心感を広げていくことが必要である。

また、学校教育や生涯教育の場を含め、科学技術に関する適切な情報発信が種々の場所・場面で継続的に行われて、国民の議論が活発化し、国民一人一人が多様な考え・価値観に基づいて、受け入れる研究成果や科学技術を取捨選択できる社会を目指すべきである。その際、かかる情報発信がより有効に機能するためには、学校等で生物学教育を強化・充実させることや、遺伝子組換え技術等先端技術について、その安全性や社会的・経済的効果を評価できる人材や、それらを国民に説明できる人材を養成することが重要である。さらに、例えば遺伝子組換え作物の栽培実験を行う実験圃場の整備といった、ライフサイエンス研究成果がもたらすリスク、便益や安全性を実例として国民へ提示するための設備の整備など、研究成果の実用化について国民の理解を得るための体制整備を進める必要がある。

これに加え、ライフサイエンスの発展は、社会的な側面に大きな影響を与えるようになってきており、社会・国民に支持されるためには、ライフサイエンスが及ぼす新しい倫理的・法的・社会的課題に取り組んでいく必要がある。生命倫理の課題については、これまでもヒトに関するクローン技術等について検討が行われてきたが、現在、脳神経科学とコンピュータとの融合研究が進められ、コンピュータを使って疾病によって低下した脳機能を回復させる技術の研究も行われつつあり、人間の脳にどこまで医療技術が介入して良いのかといった新たな生命倫理上の課題（ニューロエシックス）も出てきている。また、ライフサイエンス研究は個人の遺伝情報等の個人情報扱う分野でもあり、個人情報の取扱いに留意する必要がある。例えば、ポストゲノム研究の成果は個別化医療の道を開いているが、その前提として、適切な個人情報保護が必要である。さらに、医療保険等における遺伝情報の取扱いや遺伝子診断の是非など、遺伝子差別が起こりうるという社会的課題についても考慮する必要がある。かかるライフサイエンス分野を取り巻く状況を踏まえ、ライフサイエンス研究の進展に対して社会的信頼を獲得するために、常に新たな倫理的・法的・社会的課題を注視し、必要に応じて、適切なルール作りの検討を行う必要がある。

（５）医療におけるITの活用

正確な臨床情報を電子化し、データベース化することは、医療・臨床研究の中核を確固たるものにすることを意味する。すなわち、電子カルテ等の医療情報システムの活用は、ヒューマンエラーを回避し安全を確保するとともに、医療機関における疾病動向を把握することで、疫学研究や感染症サーベイランスへの応用も可能となる。また医療情報システムにより系統的な記述で蓄積されるデータからなる臨床情報データベースは、予後因子やリスク因子等の解析、予防医療への活用、基礎研究へのフィードバック等に威力を発揮して、臨床研究や治験における有用な研究基盤として機能することが期待できる。したがって、電子化された臨床データを適切に分析・活用できるように、臨床データや健康（予防・予知）データ等の質の確保に資する標準化を含めて、医療情報システムの普及や医療機関間の連携に取り組む必要がある。その際、医療の質の向上に資するとの根本的な目的を達成することを重視しつつ、医療機関の機能、規模、特性等の考慮や、導入コストの低減や奨励策の活用等を進め、医療におけるITの活用を効果的に進めていく必要がある。

（６）医理工連携等の促進

ライフサイエンス分野の推進にあたっては、本項目の（１）に記載した、生命の統合的全体像の理解のための学問的連携のほかにも、新しい医療実現のための融合学問として生命医工学という新領域が提案されたり、脳からの信号をコンピュータで読み取ってロボットに考えたとおりの動きをさせて、失われた人体機能を補完す

る技術が開発されたり、内視鏡下に細かな作業を確実に行うことで患者への侵襲性を最小限にした手術ができるロボット等が開発されたりしてきており、研究成果の実用化に際して、医工連携の取組が重要となっている。このほかにも、医農連携により、例えば花粉症緩和米のように医学的知見を活かした新しい機能の付与が期待できる作物の開発が行われ、また農工連携により、リモートセンシング技術を用いた作物の収穫適期予測や家畜の生体情報管理の技術が開発されつつある。このように、今後ライフサイエンス研究の推進に当たり、生命科学の中での連携にとどまらず、電子情報、コンピュータ、機械等と融合した領域を創成していくことが重要である。

(7) 生物多様性の保全・確保

遺伝子組換え生物を利用するバイオテクノロジー研究においては、その生物の利用に際して、生物多様性の保全及び持続可能な利用に悪影響を及ぼさないよう充分配慮する必要がある。

外来生物の移入については、例えば台湾リスのように在来固有種と交雑をして遺伝子汚染を起こすことや、外来生物が様々な病原菌や寄生虫を持ちこむことが懸念されている。また絶滅危惧種など希少種では遺伝的劣化などが起こっていることが多い。このため、遺伝的汚染や病原菌などの有無を検出する技術、遺伝子の健全性や多様性を判別する技術や、低下した繁殖能力を補う技術を開発する等、我が国に固有な生態系や種類、遺伝系統などに悪影響が及ばないよう対策を講じておくことが必要である。

(8) バイオ産業等における標準化の推進

近年、経済活動のグローバル化、技術革新が進展する中、研究成果や製品は国境を越えて流通している。このため、学術研究における再現性保証の観点のみならず、バイオ産業の市場獲得、臨床、診断での利用など研究開発成果の社会への還元の観点から、知的財産戦略を踏まえつつ、バイオテクノロジーの共通基盤である生体分子の計測技術等の質の確保に資する標準化や、これに必要な標準物質の整備などの国際標準化の取組を研究開発と一体的に進めることが必要である。これにより、等価性、信頼性、同等性が確保されるとともに、研究効率の向上や成果の社会還元の促進、国際競争力の強化や新規産業の創出が期待できる。

特に我が国の得意分野において主体的に標準を策定し、我が国の財産（タンパク質、cDNA、RNA、SNPs、生物遺伝資源等）を長期的に生かせるようにする必要がある。

(9) バイオベンチャーの育成・支援

米国では製薬企業がリスクの高い創薬研究をベンチャーに委託し、リスク回避を図っていることに示されるように、各産業の研究開発力確保にはバイオベンチャーが不可欠な存在であり、我が国においても支援（国有大型施設の優先使用、施設の維持・支援事業への参画等）の充実が必要である。

また、ベンチャーと大手企業との間での人材の流動化の促進や、地域におけるクラスター形成活動を一層推進し、産学官・産産・異業種連携のネットワーク活用によるバイオベンチャーの多様なビジネスモデルの展開を促進することが重要である。

(10) 知的財産権の戦略的確保と活用

ライフサイエンス分野以外の産業の製品は1つの製品に多くの特許が絡み、製品化においてクロスライセンスが進みやすいが、医薬品産業、農林水産業のようなライフサイエンス分野の産業では、例えば、医薬品は基本特許が原則1つであり、農林水産物は品種登録が1つであるという製品の知的財産上の特徴がある。これを踏まえ、ライフサイエンス研究の成果を活用するにあたっては、何を特許化し、何を公開するかについて、極めて戦略的に取り組んでいく必要がある。また、ライフサイエンス分野においては、研究開発成果を早期に特許化・権利化・活用することがそのまま競争力の源泉となることもあるため、基本特許等につながる基礎的な研究の強化を前提にしつつ、戦略的な知的財産の権利取得と活用を促進することが重要である。さらに、ライフサイエンス分野におけるリサーチツール特許の使用の円滑化や先端医療技術の特許保護のあり方など、先端技術分野が抱える知的財産の諸問題について検討を行い、必要な措置を講ずることが重要である。

なお、基礎・基盤的なライフサイエンス研究によって得られたデータベース等については、成果の知的財産上の特徴を踏まえた上で公開を促進し、我が国から世界へ情報発信を行うことによって、国内外におけるデータの利活用を促進することも必要である。そして、我が国が当該研究分野においてリーダーシップを発揮していくことが重要である。また、農林水産物については、我が国で育成された優れた新品種の種苗が不法に海外に持ち出され、種苗のみならず収穫物・加工品として逆輸入されている事態又はそのおそれが生じていることから、必要に応じて海外での品種登録を行うとともに、分子生物学的品種判別技術などの開発をすすめ、不法な種苗の持ち出しにより生産された収穫物等の逆輸入を抑止し、我が国における育成者権の保護に悪影響が生じないようにしていくことも重要である。

特許等知的財産権の取得に資する体制については、例えば臨床研究のために公的な機関と企業が連携する場合は、連携の成果が医薬品・診断薬として確実に、また円滑に国民に還元されるよう、その出口に相応しい知的財産権の確保や取捨選択をし、さらに研究当事者間や使用ツール等の権利関係と権利範囲に留意する一方、研究の実態

に応じて契約内容・運用の柔軟性を確保することが必要である。

また、分析機器開発においては、機器開発と使用する試薬の開発が一体となって進められ、特許の取得・活用が機器と試薬のセットで行われることが競争力の源泉となる。この際、機器を使用する側のニーズをしっかりと把握して有用性の高い機器を開発することが競争力のある機器開発につながる。このため、理学、工学、医学、薬学の専門家のチームによる機器開発や試薬開発の推進が重要となる。

以上のようにライフサイエンスの研究成果の実用化を確実に、かつ円滑に進めるためには、知的財産戦略、技術移転、経営に詳しい人材の養成が必要である。

別紙 1 - 1 重要な研究開発課題の体系

「よりよく食べる」、「よりよく暮らす」 領域の課題

- 高品質な食料・食品の安定生産・供給技術開発
- 有効性・安全性についての科学的評価に基づいた機能性食料・食品の研究開発
- 食料・食品の安全と消費者の信頼の確保に関する研究開発
- 微生物・動植物を用いた有用物質生産技術開発
- 生物機能を活用した環境対応技術開発
- 基礎研究から食料・生物生産の実用化に向けた橋渡し研究
- 植物の多様な代謝、生理機能や環境適応のシステム的理解と植物生産力向上への利用
- 食料分野、環境分野における微生物・動植物ゲノム研究

ライフサイエンス 研究全体を支える 基礎・基盤研究課題

- 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
- ゲノム情報等に基づく、細胞などの生命機能単位の再現・再構築
- 比較ゲノム解析による生命基本原理の解明
- 脳や免疫系等の高次複雑制御機構の解明など生命の統合的理解
- 発生・再生および器官形成における複雑制御機構の解明と統合的理解
- 情報科学との融合による、脳を含む生命システムのハードウェアとソフトウェアの解明
- こころの発達と意志伝達機構並びにそれらの障害の解明
- 多様な環境中の生物集団のメタゲノム解析と個別ゲノム解析、これらに基づく有用遺伝子の収集・活用

体制整備の課題

- 研究開発の基礎となる生物遺伝資源等の確保と維持
- ライフサイエンス分野における標準化に関する研究開発
- 生命情報統合化データベースの構築に関する研究開発
- 臨床研究者、融合領域等の人材を育成する研究開発

「よりよく生きる」領域の課題

- 治験を含む新規医療開発型の臨床研究
- 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
- 子どもの健全な成長・発達及び女性の健康向上に関する研究開発
- 再生医学や遺伝子治療等の革新的治療医学を創成する研究開発
- 科学的評価に基づいた統合・代替医療活用に向けた研究開発
- バイオイメージング推進のための統合的研究
- 化学生物学（ケミカルバイオロジー）の研究開発
- 遺伝子・タンパク質等の分析・計測のための先端技術開発
- ITやナノテクノロジー等の活用による融合領域・革新的医療技術の研究開発
- QOLを高める診断・治療機器の研究開発
- 医薬品・医療機器、相換え微生物、生活・労働環境のリスク評価等の研究開発
- 医療の安全の推進、医療の質の向上と信頼の確保に関する研究開発
- 感染症の予防・診断・治療の研究開発
- テロリズムを含む健康危機管理への対応に関する研究開発
- リハビリテーションや、感覚器等の失われた生体機能の補完を含む要介護状態予防等のための研究開発
- 難病患者・障害者等の自立支援など、生活の質を向上させる研究開発
- 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
- ライフサイエンスが及ぼす社会的影響や、社会福祉への活用に関する研究開発
- 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
- 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
- 創薬プロセスの加速化・効率化に関する研究開発

別紙 1 - 2 重要な研究開発課題の概要及び目標

(ライフサイエンス分野)

注 1) 本表に記載している研究開発目標は、重要な研究開発課題に関連する全ての研究開発目標を網羅的に記載しているものではない。

注 2) 研究開発目標及び成果目標は、特定の研究開発投資を前提とするものではない。

重要な研究開発課題	重要な研究開発課題の概要	研究開発目標 (○：計画期間中の研究開発目標、◇：最終的な研究開発目標)	成果目標
<p>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 ①-4 ④-15 ⑤-1</p>	<p>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を解明し、生命現象を統合的に理解するとともに、医薬品開発等へ活用する研究を行う。</p>	<p>○2010年までに、各種生命現象において重要な役割を果たしているが、現在の技術水準では解明が極めて困難なタンパク質の生産、解析、制御に必要な要素技術を開発する。(文部科学省) ○2010年までに、ゲノム、RNA、タンパク質、糖鎖、代謝産物などの相互作用を集中的に解析し、各種疾患、動植物の生命現象システムを解明するためのネットワークを描き出す。(文部科学省) ○◇2010年までに、ゲノム解析データや情報技術などの活用と融合研究による細胞や生体のシミュレーションプログラムを開発する。(文部科学省) ○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。(厚生労働省) ○◇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タベースを構築する。(厚生労働省) ○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い、個人の特性に応じた予防・治療法や創薬へ繋げるための手法を開発する。(文部科学省) ○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。(厚生労働省) ○2010年までに、糖鎖や糖タンパク質などの機能を分子レベルで効率的に解明するための技術を確認するとともに、産業利用を目指し、糖鎖の機能解析・検証技術を開発する。(経済産業省) ○2010年までに、機能性RNAを解析するためのツール(インフォマティクスや高感度な定量解析技術)を確立し、疾患に関連する機能性RNAの機能を解明する。(経済産業省) ○2010年までに、タンパク質相互作用・ネットワーク解析技術や疾患など生物現象を制御する化合物探索技術、膜タンパク質構造解析技術、疾患モデル細胞の構築技術など創薬効率化のための技術基盤を確立し、創薬ターゲット候補となる新規の重要なタンパク質相互作用情報等の情報を蓄積する。(経済産業省) ◇2010年代までに、ゲノム、RNA、タンパク質、糖鎖、代謝産物等の構造・機能と、それらのネットワークを解明することを目指し、解析に必要な基盤技術を確認し、これらの分子の構造・機能を解明する。(文部科学省、経済産業省) ◇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。(文部科学省、厚生労働省、経済産業省)</p>	<p>◆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、成果の迅速かつ効率的な臨床応用により、科学的見解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。文部科学省、厚生労働省、経済産業省)</p>
<p>ゲノム情報等に基づく細胞などの生命機能単位の再現・再構築 ①-4</p>	<p>生命を1つのシステムとして理解する研究や生命構成体(ゲノム、RNA、タンパク質、糖鎖など)を用いてシステムを再構築する研究を行う。</p>	<p>○2010年までに、生命階層(ゲノム、RNA、タンパク質、代謝産物など)の動態解明を行い、細胞や生命体をシステムとして理解する。(文部科学省) ◇2015年頃までに、細胞や生命体をシステムとして統合的に理解するとともに、システム改変による新規機能を創生する。(文部科学省)</p>	<p>◆2015年頃までに、ヒトや動植物、昆虫の生命体としてのシステムを統合的に理解し、生命の仕組みを解明する。文部科学省)</p>
<p>比較ゲノム解析による生命基本原理の解明 ①-4</p>	<p>ヒトと動植物、微生物のゲノムを比較し、寿命、再生力、機能などの観点でヒトや生物の多様性を解明する。</p>	<p>○◇2010年までに、生物ゲノムを比較解析することにより、進化的に離れた生物間のゲノムの比較からは生物全般に共通する情報を、近縁種の比較からは各生物の固有の形質を規定する情報を、そして同一種内の個体間のゲノムの比較からは個体差に関する情報を抽出・同定し、生命の多様性の解明を目指す基盤を確立する。(文部科学省)</p>	<p>◆2015年頃までに、新たな遺伝子機能の発見や、生物の進化、さらには言語や脳の働きをはじめとするヒトの遺伝的特徴の解明に向けた研究を一層加速し、生活習慣病や難病の克服に貢献する。(文部科学省) ◆2015年頃までに、新しいバイオリソースを開発・試料を同定し、あらゆる研究分野の促進と創薬や先端医療の発展に貢献する。(文部科学省)</p>