

するための新たな科学的基盤を得ることを目的としている。厚生労働科学研究においては、新たな感染症の発生など、極めて緊急性が高く、社会的な要請の強い諸問題について研究を行う必要がある。また、各事業の一般公募型の研究課題になじみにくく、社会的要請の高い研究課題について、特別研究を実施する場合がある。

(5) 平成20年度における主たる変更点：なし

(6) 他府省及び厚生労働省内での関連事業との役割分担：特記なし

(7) 予算額（単位：百万円）

H16	H17	H18	H19	H20（概算要求）
352	303	332	364	未定

(8) 18年度に終了した本研究事業で得られた成果

緊急性の高い研究課題に関して、期待された知見が提供された。例えば、平成18年4月の診療報酬改定に伴う在宅医療のあり方や看護職員確保に関する調査等は緊急性が高く、医療計画を策定するための喫緊の課題として位置づけられた。また、健康危機管理的な側面から、新型インフルエンザ対応ワクチン開発における効果測定法及び品質管理に関する研究は、同ワクチン開発段階で浮上した問題解決のために不可欠とされた研究である。臓器移植法の改正案の審議において検討される小児の脳死判定基準等についての科学的根拠・妥当性の検証や昨今明らかになった宇和島市の生体腎移植に関連する一連の問題等は、移植医療のあり方についてさまざまな角度から検討する必要性を生じさせた。いずれも厚生行政における制度・施策に関連の高い研究課題であり、発展的な提言を得る等、有効な成果を多く得ている。

2. 評価結果

(1) 研究事業の必要性

本研究事業は、国民の健康・安全に係る緊急性のある行政課題について、迅速、かつ、科学的に対応することができるため、社会のニーズへ適合していることに加え、政策・施策の企画立案・実施上極めて必要性が高い。

(2) 研究事業の効率性（費用対効果にも言及すること）

本研究事業の特性上、研究期間は1年以内であるが、「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、専門家による事前評価を実施している。また、研究ヒアリングを実施し、研究の緊急性、目的の妥当性、行政的意義及び関係課との分担・連携及び他研究事業との重複等についても確認した上で、評価結果に基づく研究費の配分を実施しており、極めて効率的に実施されている。なお、短期間ではあるが、政策に反映しうる研究成果がこれまでに数多く出されており、その費用対効果の妥当性は高いと言える。

(3) 研究事業の有効性

本研究事業は、緊急性に基づき採択され、短期間で現実的な目標達成をすることが求められ、その有効性は高いと言える。また、研究成果は政策・施策へ反映することを意図しているため、社会的、専門的・学術的な波及効果も大きい。

(4) 研究事業の計画性

本研究事業は、緊急性が高い研究課題に対する研究経費であることから、具体的な目標を明示しつつ、推進体制の適切性、関係課との分担・連携、実施方法の妥当性等を、検討しながら採択しており、緊急性の高い研究経費としての計画性を担保している。

(5) 分野別推進戦略の研究開発目標、成果目標の達成状況(18年度からの継続課題について):
特記なし

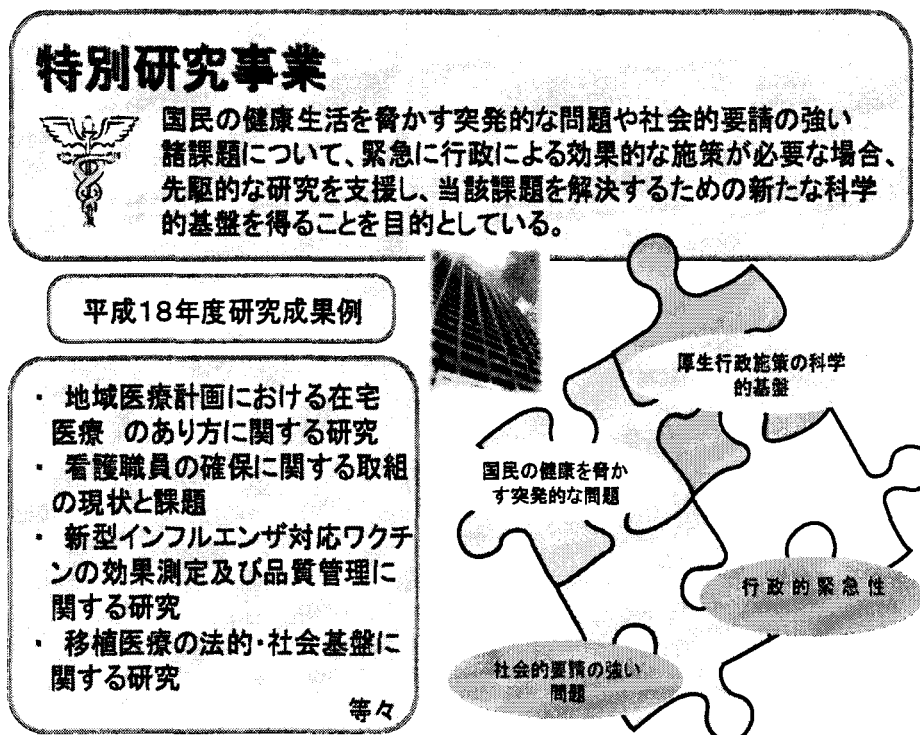
(6) その他: 特記なし

3. 総合評価

厚生労働科学特別研究は、緊急性の高い課題について、極めて効果的に事業が実施されている。今後とも、新規に出てくる国民の健康・安全に係る緊急課題や社会的ニーズの高い課題について迅速に対応していく必要がある。

今後とも、一層の予算確保に努めると共に、行政的に重要な研究を、適切に実施する体制とすることが望ましい。

4. 参考(概要図)



< 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。厚生科学基盤分野は、「先端的基盤開発研究事業」、「臨床応用基盤研究事業」からなる。「先端基盤開発研究事業」は創薬基盤推進研究、再生医療実用課研究、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

・創薬基盤推進研究

分野名	厚生科学基盤研究分野
事業名	先端的基盤開発研究事業 ・創薬基盤推進研究
主管部局（課室）	医政局研究開発振興課
運営体制	主管部局単独運営

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	健康と安全を守る
大目標	生涯はつらつ生活
中目標	国民を悩ます病の克服

1. 事業の概要

(1) 第3期科学技術基本計画・分野別推進戦略との関係

重要な研究開発課題	<ul style="list-style-type: none"> 再生医学や遺伝子治療などの革新的治療医学を創成する研究開発 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 創薬プロセスの加速化・効率化に関する研究開発 感染症の予防・診断・治療の研究開発 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 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 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 研究開発の基礎となる生物遺伝資源等の確保と維持
研究開発目標	<ul style="list-style-type: none"> 2010年までに、ゲノム創薬、個人の遺伝情報に応じた医療の実現に資するための我が国における主要な疾患の関連遺伝子の同定及びその機能の解明、遺伝子治療製剤の安全性・有効性に関する技術の確立に向けた基盤技術を確立する。 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目指す。 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

	<p>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。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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タンパク質データベースを構築する。 ・2010年までに、ファーマコゲノミクスに基づく評価手法を確立する。 ・2010年までに、感染症・稀少疾病等、政策的に対応を要する疾病の診断・治療法の開発に資する研究成果を得るとともに、画的医療の実用化を可能とする。 ・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うとともに、予防・治療法や創薬につなげるための手法を開発する。 ・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。 ・2010年までに、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を蓄積し、臨床研究につなげる。特に、生活習慣病に関しては、遺伝要因と環境要因に応じた疾患の原因を探求することにより、新たな予防・治療法へつなげる。 ・2010年までに、早期がん、難治性がん等の疾患の本態や病態変化を解明し、疾患の早期発見と悪性度の早期診断を実現する技術を開発する。 ・2010年までに、花粉症等の免疫・アレルギー疾患に関して、治療法につながる新規技術、患者自己管理手法や重症化・難治化予防のための早期診断法等を確立する。 ・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、より有用な薬剤候補物質の絞り込み精度の向上等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。 ・2010年までに、健康・食料生産・環境等の研究開発に資する遺伝子、培養細胞、微生物、植物、水産生物、有用昆虫、実験用小動物、霊長類及び日本人由来ヒト試料等の生物遺伝資源等の研究、開発、収集、増殖、保存、品質管理及び提供等を推進・強化する。 ・我が国のライフサイエンス研究推進に不可欠な生物遺伝資源等（生体由来試料を含む）を世界最高水準のものとして維持する。
成果目標	<ul style="list-style-type: none"> ・2020年頃までに、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にする。 ・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

	<p>するとともに、成果の迅速かつ効果的な臨床応用により、科学的知見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。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 2010年頃までに、化合物選択の歩留まりを高めることにより、新薬開発期間を大幅に短縮し、2015年頃までに革新的な創薬プロセスの実現により新薬開発期間を更に短縮し、新薬開発コストを削減する。 ・ 2015年頃までに、ファーマコゲノミクス等、新たな知見に基づく評価を踏まえた、個人の遺伝情報に応じた医療に有用な医薬品の承認を可能とする。 ・ 2015年頃までに、エイズ・肝炎や鳥インフルエンザ、SARS等の新興・再興感染症に対する国民に適切な医療を提供する。 ・ 2020年頃までに、感染症対策にかかる医薬品開発に資する先端技術を迅速かつ効果的に臨床応用し、画期的医療の実現を可能とする。 ・ 2015年頃までに、生活習慣病改善のための施策の実地とともに、生活習慣病予防や治療に資する科学技術の開発を推進し、がんの罹患率や生存率、心疾患及び脳卒中の死亡率、糖尿病の発生率を改善させる。 ・ 2020年頃までに、病気から発症に至る分子機構の解明に基づいた新しい治療法や抗体医薬・診断薬、個人の特性に応じた創薬開発、環境因による精神疾患治療の実現を可能にする。 ・ 2015年頃までに、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。 ・ 2015年頃までに、医薬品・医療機器の開発に資する先端技術を迅速かつ効果的に臨床応用し、稀少疾病等に対する革新的医療を実現する。 ・ 世界最高水準の生物遺伝資源（生体由来試料バンクを含む）を整備・管理し、国内外に提供することにより、幅の広いライフサイエンスの研究事業を展開し、その成果を活用した独創的な創薬、予防・治療法の開発や、生産性や品質の向上した農林水産物・食品の開発等につなげる。
--	---

<p>戦略重点科学技術の該当部分</p>	<ul style="list-style-type: none"> ・ 世界最高水準のライフサイエンス基盤整備 ・ 臨床研究・臨床への橋渡し研究
<p>「研究開発内容」のうち、本事業との整合部分</p>	<ul style="list-style-type: none"> ・ RNA、解析困難なタンパク質、糖鎖、代謝産物など生命構成体の構造・機能解析による、生命のシステムの要素の相互作用を解明する研究 ・ 国際的優位性が高いデータベースや、国際協力等の観点から我が国で整備しておくべきデータベースを対象とした、蓄積された生命情報のデータの利活用に必須である統合的なデータベース整備に向けた研究開発 ・ 早期に実用化を狙うことができる研究成果、革新的診断・治療法や諸外国で一般的に使用することができるが我が国では未承認の

	医薬品等の使用につながる橋渡し研究、臨床研究、治験 ・研究開発の動向やリソースの質と量の科学的評価を踏まえた、生物遺伝資源等の保全・確保
推進方策	・生命プログラム再現への取組 ・知的財産権の戦略的確保と活用 ・臨床研究推進のための体制整備 <ul style="list-style-type: none"> － 支援体制等の整備・増強 － 研究推進や承認審査のための環境整備

(2) イノベーション 25 との関係 (該当部分)

5つの社会像	1. 生涯健康な社会		
中長期的に取り組むべき課題	1) 生涯健康な社会形成 ②治療重点の医療から予防・健康増進を重視する保健医療体系への転換		
研究開発ロードマップにおける該当箇所			
(分野)	戦略重点科学技術	2010年頃までの研究目標 (第3期科学技術基本計画期間)	2011年以降の研究目標 (第4期以降)
ライフサイエンス分野	臨床研究・臨床への橋渡し研究 －創薬プロセスの加速化・効率化に関する研究開発	・イメージング技術により遺伝子・細胞レベルでの薬物の動態を把握し、分子機能を解析して、薬剤候補物質のスクリーニングを大幅に高速化 ・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や予防・治療法や創薬につなげるための手法の開発	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・先端医療技術の実現
	臨床研究・臨床への橋渡し研究 －創薬プロセスの加速化・効率化に関する研究開発	・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を構築し、肝毒性等の予測システムの運用開始 ・感染症・稀少疾病等、政策的に対応を要する疾病の診断・治療に資する新規ワクチ	・疾患メカニズムの解明の加速、診断機器の高度化、より有用な薬剤候補物質の絞り込みの精度向上等の創薬プロセスの高度化の実現 ・個人の特性を踏まえた、生活習慣病

		ンを開発するとともに、創薬に資するモデル動物の開発	や難病の予防・早期診断・先端医療技術の実現
生命プログラムの再現科学技術 -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		日本人における主要疾患（高血圧・糖尿病・がん・認知症等）関連たんぱく質を解析・同定し、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	<p>・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、制御に必要な技術を開発・向上・確立し、これまで不可能であったタンパク質の構造・機能解析を実施</p> <p>・ゲノム・RNA・タンパク質、糖鎖、代謝産物等の相互作用を集中的に解析して、各種疾患、動植物の生命現象システムを解明</p> <p>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、科学的知見に基づいた新しい予防法や診断法の提供など、革新的医療を実現</p>
世界最高水準のライフサイエンス基盤整備 -研究開発の基礎となる生物遺伝等の確保と維持		・我が国のライフサイエンス研究推進に不可欠な生物遺伝資源等（生体由来試料を含む）を世界最高水準のものとして維持	

(3) 新健康フロンティア戦略との関係（該当部分）

部	新健康フロンティア戦略を支援する家庭・地域・技術・産業
項目	2. 人間の活動領域の拡張に向けた取り組み（人間活動領域拡張力） 3. 医療・福祉技術のイノベーション（研究開発力）
対策	2-② 先端的予防・診断・治療技術の開発 3-① 医薬等ベンチャー・基盤産業支援対策 3-④ 実用化における製品・技術評価の迅速化等

(4) 事業の内容（新規・一部新規・継続）

（全体的事項）

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。

（ヒトゲノムテラーメード研究）

本研究は、これまでヒトゲノム分野で明らかになった疾患関連遺伝子やその機能、ファーマコゲノミクス分野で明らかになった医薬品の反応性に関与する遺伝子、その他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事業であり、イノベーション25の目標である「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や予防・治療法や創薬につなげるための手法の開発」に該当するものである。

（創薬バイオマーカー探索研究（仮称））

本研究は、疾患関連たんぱく質を探索し、質量分析装置を利用した配列同定研究に加え、タンパク構造解析、画像情報研究を組合せ、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タンパク分野と、創薬に活用できる安全性に係るトランスクリプトームに関して、これまでに構築した動物におけるトキシコゲノミクスのデータベースの活用を促進する研究を実施するとともに、ヒト肝細胞への外挿や肝毒性以外のターゲットへの拡大を行い、創薬を効率的に実施する包括的なトランスクリプトーム解析を行う事業であり、イノベーション25の目標である「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を構築し、肝毒性等の予測システムの運用開始」及び「日本人における主要疾患（高血圧・糖尿病・がん・認知症等）関連たんぱく質を解析・同定し、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」に該当するものである。

（政策創薬総合研究）

稀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とから、本研究は、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事業であり、イノベーション25の目標である「感染症・稀少疾病等、政策的に対応を要する疾病の診断・治療に資する新規ワクチンを開発するとともに、創薬に資するモデル動物の開発」に該当するものである。

（生体内情報伝達分子解析研究（仮称））

これまでにゲノムやタンパク質に関する研究に対して多額の公的研究資金が投入され飛躍的に発展したが、生命科学研究の進展に伴い、生体内の反応にはゲノムやタンパク質に加え糖鎖が深く関与していることが明らかになってきた。本研究は、糖鎖が関与する疾患の治療・

予防等に資するため、生体内糖鎖の構造・機能にかかる研究を推進し、その成果を活用して、がん、感染症等の治療・予防に役立つ画期的医薬品の開発を目指す事業であり、イノベーション 25 の目標である「ゲノム・RNA・タンパク質、糖鎖、代謝産物等の相互作用を集中的に解析して、各種疾患、動植物の生命現象システムを解明」に該当するものである。

(次世代ワクチン開発研究(仮称))

本研究は、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や、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及び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事業であり、イノベーション 25 の目標である「感染症・稀少疾病等、政策的に対応を要する疾病の診断・治療に資する新規ワクチンを開発するとともに、創薬に資するモデル動物の開発」に該当するものである。

(生物資源・創薬モデル動物研究(仮称))

厚生労働科学研究を推進するため、培養細胞や疾患モデル動物等の実験動物等の生物資源が必須なものとなっている。本研究は、研究の推進及び行政活動の実施に必要とされる生物資源(培養細胞、ヒト組織、遺伝子、実験動物、霊長類、薬用植物)の整備を図り、厚生労働科学研究を支える基盤としての生物資源研究の充実化を行う事業であり、イノベーション 25 の目標である「感染症・稀少疾病等、政策的に対応を要する疾病の診断・治療に資する新規ワクチンを開発するとともに、創薬に資するモデル動物の開発」に該当するものである。

(5) 平成20年度における主たる変更点

(全体的事項)

創薬及びその基盤を支える研究を創薬基盤推進研究事業の下に統合。

(ヒトゲノムテーラーメイド研究)

文部科学省の関連施策との役割分担を明確にするためには「実用化」の観点を重視し、また具体的な成果を上げるためには対象疾患を絞り込むなど、公募に際して明確な方針を示す必要がある、との指摘を受け、既に平成 19 年度内の公募要項において、採択する疾患の絞り込みを実施し、「がん、認知症、生活習慣病その他の日本人に代表的な疾患」としている。なお、平成 20 年度に関しては、特に変更点はない。

(創薬バイオマーカー探索研究(仮称))(新規)

トキシコゲノミクス研究において、①今後は、インフォマティクスと連携してデータの公開性を高めることが、医薬品開発の促進にとって重要である、及び②これまでの成果が、新たな技術革新や創薬につながる可能性を示す必要があり、また、疾患関連たんぱく質解析研究において、データの公開を進めた上で、これまでの研究事業で得られた技術基盤を利用して効率的に効果を出せる研究体制に見直すべきである、との指摘を受け、トキシコゲノミクス研究と新たに薬効に関連するバイオマーカー研究を組み合わせ、創薬バイオマーカー探索研究(仮称)を立ち上げて研究体制を見直すとともに、新規事業では、これまでの研究事業で得られた技術基盤(データベース等)を公開・活用して、官民共同研究や文部科学省ターゲットタンパク事業とのマッチングファンドを行い、創薬シーズの創出を推進することとする。なお、それに伴い、新規事業とする。

(生体内情報伝達分子解析研究(仮称))(新規)

①企業とのマッチングファンドとしての本提案はわが国として推進されるべき課題であるが、産業や医療のニーズに応えるような重要な研究課題に集中投資すべきである、及び②全体的に研究のレベルを上げる必要がある、との指摘を受け、研究公募課題を、がん、感染症等に絞り込み、治療・予防に役立つ画期的医薬品の開発を目指すこととする。

(次世代ワクチン開発研究(仮称))(新規)

平成20年度からの新規事業として、新たに、次世代ワクチン開発研究(仮称)を立ち上げ、各種疾患に関する新たなワクチンの開発を目指す。

(生物資源・創薬モデル動物研究(仮称))(新規)

生物資源研究において、オールジャパンの視点で文部科学省、経済産業省等の関連府省、研究機関等と連携して進める必要がある、との指摘を受け、「総合科学技術会議 基本政策推進専門調査会 ライフサイエンス PT」にて関係府省と調整を図っている。また、本事業は既存の生物資源研究を生物資源・創薬モデル動物研究(仮称)に変更するとともに、開発が望まれている、がん、心筋梗塞、脳卒中、認知症等の領域での新規の疾患モデル動物の開発を推進する。

(6) 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(仮称))

本事業は、これまでの研究事業で得られた技術基盤(データベース等)を公開・活用して、官民共同研究や文部科学省ターゲットタンパク事業とのマッチングファンドを行い、創薬シーズの創出を推進することから、文部科学省との連携を取る予定である。

(生物資源・創薬モデル動物研究(仮称))

本事業は、「革新的医薬品・医療機器の創出のための5カ年戦略」(平成19年 文科省、厚労省、経産省)の下で推進する研究であることから、文部科学省及び経済産業省との連携を取っている。

なお、その他の事業に関しては、当課単独の研究事業で、他部局との役割分担はない。

(7) 予算額 (単位: 百万円)

	H17	H18	H19	H20 (概算要求)
(ゲノム) 2,179	2,288	2,012	(テラー) 1,937	
(トキシコ) 1,177	1,150	805	544	
(タンパク) 662	661	562	393	
-	-	-	-	
(HS) 2,528	1,997	2,139	2,071	
-	-	-	-	
-	-	-	-	
-	-	-	(生物資) 300	
-	-	-	-	
6,546	6,238	5,518	5,245	未定

(8) 18年度に終了した本研究事業で得られた成果

(ヒトゲノムテラーメード研究)

- ・独自の方法とゲノム医学を活用した方法により、骨粗鬆症・変形性関節症疾患遺伝子の候補としての標的因子を多数明らかにした。
- ・マウス肺腺がん感受性遺伝子座 *PAS1* に相当するヒト遺伝子と肺腺腫リスクとの相関を見出した。
- ・自己免疫疾患に共通の感受性遺伝子を同定し、その感受性 SNP と自己抗体産生能の相関関係を解明した。
- ・実用可能な HAC ベクターを構築した。
- ・細胞内外でのプラスミド DNA の徐放化システムを開発し、遺伝子発現レベルの増強と発現期間の延長を図った。
- ・本事業の研究成果により、より優れた医薬品の創製や遺伝子治療などの革新的な医療の実現が期待される。

【旧疾患関連タンパク質解析研究】

- ・産学官共同による事業の運営・実施体制等を整備するとともに、ヒト試料の採取・管理から前処理、質量分析、創薬ターゲット探索用データ解析までを一括管理するシステムを構築。
- ・各協力医療機関から提供されたヒト試料を集中解析施設であるプロテオームファクトリー (PF) において、質量分析を中心として網羅的に 100-150 種類のたんぱく質を解析。
- ・疾患関連たんぱく質の探索・同定結果に基づくデータベースを構築。各協力研究機関においてはヒト試料の提供とともに、ペプチドの分離や質量分析法の基盤技術の開発、たんぱく質の機能解析や糖鎖の構造解析、血液以外の体液の解析などを実施。
本事業の研究成果により、創薬シーズが効率的に提供され、医薬品の研究開発が活性化されれば、日本国内はもとより世界の患者に質の高い医薬品を提供できるようになることが期待される。

【旧トキシコゲノミクス研究】

- ・尿を試料とし、NMR によるメタボローム解析および LC/MS/MS による網羅的プロテオーム解析及び解析ソフトの技術開発をした。
- ・正常神経系細胞に対する薬剤毒性情報の取得・データベース化し、合計 41 種の既存薬剤および新規化合物の毒性スクリーニングを実施。覚醒剤、レチノイン酸誘導体、向精神薬、

抗うつ薬の詳細な毒性評価を行った。

- ・ PVDF 膜上に各種 CYP タンパク質を認識するモノクローナル抗体アレイの簡易な作成技術を確立。
- ・ 外科手術で得られた正常ヒト肝組織断片よりヒト小型肝細胞をほぼ純粋に分離し、無血清培養液にて増殖させる方法を確立。
- ・ 被検物質として、医薬品を中心とした 150 化合物を選択し、そのすべてについて肝臓を中心に遺伝子発現データと関連する毒性データとして約 7 億 3 千万件のデータを取得（質・量ともに世界に類を見ない大規模データベースとなった。）また、これと連動して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（TG-GATEs と命名）した。
- ・ 医薬品による薬物代謝誘導を観察可能なヒト肝三次元培養系を構築した。
- ・ 従来型 Ad ベクターと比較し毒性の低い改良型 Ad ベクターを開発した。
- ・ 改良型ストレス遺伝子チップを開発した。

（政策創薬総合研究）

- ・ 痛みの神経研究の中から、疼痛の発症・維持を ATP 受容体の切り口で研究することによって、難治性疼痛の新しい中心的メカニズムを発見した。これは難治性疼痛に有効な鎮痛薬創製研究に直結する成果といえる。
- ・ 血圧や血糖値の調節にかかわる因子（アドレナリン、バソプレッシン等）の受容体を欠損したモデル動物を作成し、病態・疾患におけるそれぞれの受容体の機能解析・受容体特異的薬物の評価を行った。受容体各サブタイプの特異的薬物の薬物効果・副作用解明は、今後の創薬研究に重要な知見であり、これら受容体特異的薬物による新たな適応症の開発にも繋がる。
- ・ 活性化臍帯血 T 細胞を用いたドナーリンパ球輸注療法（臍帯血 DLI）を実用化するため、少量の臍帯血からの活性化 CD4 陽性 T 細胞調製の培養法を確立した。臍帯血 DLI の有効性と安全性の検討と、今後の臨床試験に繋がる臨床試験プロトコル案を作成した。
- ・ 高い効率で複製可能な C 型肝炎ウイルス株を用いて、全長ウイルス遺伝子の培養細胞におけるウイルス複製系および感染系を確立し、ウイルス複製に関与する新たな細胞性因子、あるいはウイルス側因子の同定を行い、その機構を解析した。抗ウイルス薬の探索および抗ウイルス療法の開発の新たな戦略の構築を進めている。
- ・ また、エイズ医薬品等開発研究においては、新規エイズワクチンを目指した系の開発やスクリーニング、あるいは RNAi などの新しい展開を含めた遺伝子治療法の研究を進めている。さらに、国内未承認薬の臨床応用研究を推進し、早期に治療薬の提供に取り組んでいる。

2. 評価結果

(1) 研究事業の必要性

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た事業である。なお、「新健康フロンティア戦略」、「イノベーション 25」、「ワクチン産業ビジョン」、「革新的医薬品・医療機器の創出のための 5 年戦略」、「科学技術基本計画」及び「経済成長戦略大綱」において、医薬品開発に資する基礎・基盤研究の推進が述べられていることから、当該事業は、強力に推進する必要がある。

なお個別の研究事業に関しては以下のとおり。

（ヒトゲノムテラーマード研究）

本研究事業は、これまでヒトゲノム分野で明らかになった疾患関連遺伝子やその機能、フ

ァーマコゲノミクス分野で明らかになった医薬品の反応性に関する遺伝子やその他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図ることを目的としており、より安全・安心な医療技術を国民に提供する上で、必要性は高い。

(創薬バイオマーカー探索研究 (仮称))

本研究事業は、タンパク分野及びトランスクリプトーム分野から構成されている。タンパク分野は、疾患関連たんぱく質を検索し、質量分析装置を利用した配列同定研究に加え、タンパク構造解析、画像情報研究を組合せ、創薬ターゲット薬効評価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り、その必要性は高い。また、トランスクリプトーム分野は、これまでに構築した動物におけるトキシコゲノミクスのデータベースの活用を促進する研究を実施するとともに、ヒト肝細胞への外挿や肝毒性以外のターゲットへの拡大を行い、創薬を効率的に実施する包括的なトランスクリプトーム解析を行うものであり、その必要性は高い。

(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病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、稀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り、必要性は高い。

(生体内情報伝達分子解析研究 (仮称))

我が国が強みを持つ糖鎖工学分野の研究を諸外国に先んじて進めることで、生命科学に根ざす産業分野の競争力の強化にもつながる。このため、この第3の生命反応因子である糖鎖構造に関する研究の推進を行うものであり、その必要性は高い。

(次世代ワクチン開発研究 (仮称))

本研究事業は、「ワクチン産業ビジョン」(平成19年厚生労働省)において開発を促進すべきとされており、感染症のみならず、がん、認知症等に対するワクチンへの期待が寄せられており、その必要性は高い。

(生物資源・創薬モデル動物研究 (仮称))

本研究事業は、「革新的医薬品・医療機器の創出のための5カ年戦略」(平成19年文科省、厚生労働省、経産省)の下で推進する研究課題である。また、先に決定された「第3期科学技術基本計画」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して位置づけられたところであり、厚生労働科学研究を支える基盤