

施策目標 9-3	創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業（新規） 平成 29 年度要求額：35.84 億円
行政事業レビューシート番号 0244	

※「国の研究開発評価に関する大綱的指針」等に基づき、科学技術・学術審議会等において評価が行われているため、当該評価をもって事前評価書に代えることとする。

【主管課（課長名）】

研究振興局 ライフサイエンス課（原克彦）

【関係局課（課長名）】

-

【審議会等名称】

科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会

【審議会等メンバー】

別紙参照

【目標・指標】

○達成目標
我が国の優れた基礎研究の成果を医薬品等としての実用化につなげるため、創薬等のライフサイエンス研究に資する高度な技術や施設等を共用する創薬・医療技術支援基盤を整備・強化して、大学・研究機関等による創薬標的候補等の創出を支援する。

○成果指標（アウトカム）
創薬標的（創薬シーズ）の導出件数 等

○活動指標（アウトプット）
共用ファシリティーを活用した「支援」の件数 等

【費用対効果】

投入する予定の国費総額 35.84 億円に対して、上記アウトプット及びアウトカムの結果が見込まれ、健康・医療戦略（平成 26 年 7 月 22 日 閣議決定）及び「医療分野研究開発推進計画」（平成 26 年 7 月 22 日健康・医療推進本部決定）に定められた目標の達成に寄与することから、投入額に見合う大きな成果が期待される。

なお、事業の実施に当たっては、事業の効率的・効果的な運営にも努めるものとする。

科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会

ライフサイエンス委員会 委員名簿

(敬称略、50音順)

	内 海 英 雄	株式会社 ReMI 代表取締役
	大 滝 義 博	株式会社バイオフロンティアパートナーズ代表取締役社長
	岡 野 栄 之	慶應義塾大学医学部長
○	小 幡 裕 一	理化学研究所バイオリソースセンター長
	桐 野 高 明	東京大学名誉教授
	倉 田 の り	農業・食品産業技術総合研究機構理事 (研究推進担当Ⅱ)
	栗 原 美津枝	株式会社日本政策投資銀行常勤監査役
	小 安 重 夫	理化学研究所理事
	菅 野 純 夫	東京大学大学院新領域創生科学研究科教授
	鈴 木 蘭 美	エーザイ株式会社執行役コーポレートBD部長
	高 井 義 美	神戸大学大学院医学系研究科特命教授
	高 木 俊 明	テルモ株式会社取締役常務執行役員チーフクオリティーオフィサー
	高 木 利 久	東京大学大学院理学系研究科教授
	知 野 恵 子	読売新聞東京本社編集局企画委員
	月 田 早智子	大阪大学大学院生命機能研究科/医学系研究科教授
◎	永 井 良 三	自治医科大学学長
	中 釜 齊	国立がん研究センター理事長
	長 野 哲 雄	東京大学名誉教授、東京大学創薬機構客員教授
	成 宮 周	京都大学医学研究科特任教授
	山 本 晴 子	国立循環器病研究センター臨床試験推進センター長
	山 本 雅 之	東北大学東北メディカル・メガバンク機構長
	山 脇 成 人	広島大学大学院医歯薬保健学研究院精神神経医科学教授

◎ : 主査 ○ : 主査代理

平成28年8月1日現在

事前評価票

(平成 28 年 8 月現在)

1. 課題名 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業
(創薬等支援技術基盤プラットフォーム)

2. 開発・事業期間 平成 29 年度～平成 33 年度

3. 課題概要

施策目標：健康・医療・ライフサイエンスに関する課題への対応

大目標（概要）：健康・医療戦略推進本部の下、健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画に基づき、医療分野の研究開発などを着実に推進するとともに、幅広い研究活動等を促進するため、データベースや生物遺伝資源等の知的基盤を整備する。

中目標（概要）：健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画等に基づき、医薬品・医療機器開発への取組を着実に実施する。

重点的に推進すべき研究開発の取組（概要）：「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」に基づき、それぞれの項目について研究開発を着実に実施する。

【経緯】

平成 24 年度に文科科学省で開始した「創薬等支援技術基盤プラットフォーム事業」(以下「現事業」という。)は、「タンパク 3000 プロジェクト」等で創出された高度な技術や整備された施設・設備を共同利用できる体制を整え、幅広いライフサイエンス研究を推進した。現事業は、多くのアカデミアのライフサイエンス研究者における創薬研究に対する意識を飛躍的に高め、数多くの学術的成果や創薬に関する成果を上げるなど、我が国の創薬等研究支援技術基盤として必要不可欠なものとなっている。一方、アカデミアの最先端技術やサイエンスに立脚した革新的な創薬手法を確立するべきといった課題も指摘されている。このため次期事業では、現事業で確立された研究支援技術基盤のコンセプトは継承しつつ、課題を改善し機能強化した事業内容を以下に提案する。

【事業内容】

創薬等に資する支援技術基盤（共用ファシリティ）を整備し、積極的な外部開放等を行うことで、アカデミアにおける創薬研究をはじめ、基礎生命科学研究等の幅広い分野のライフサイエンス研究者を技術的に「支援」する。あわせて、共用ファシリティは継続的に設備や技術の「高度化」研究を行い、常に最先端の研究支援技術基盤を維持できるように取り組む。さらに、「支援」を通じてアカデミアならではの創薬標的アイデアを発掘し、マネージメントするために、ヘッドクォーター機能を整備し、アカデミア創薬の実現に貢献する。

(共用ファシリティの例)

タンパク質構造・機能解析, 化合物ライブラリー・スクリーニング, 有機合成, 構造インフォマティクス・インシリコ技術, 臨床有用性の検証, 生命情報の統合・分析など

(ヘッドクォーター機能の例)

- ・ 支援成果から創薬標的アイデアを発掘し、創薬標的候補へと価値を高める
- ・ 共用ファシリティ間の連携、資源配分及び改編などを戦略的にマネジメント
- ・ 日本医療研究開発機構の創薬関連事業や企業などのニーズを把握、研究初期からの共同研究の推進及び導出

4. 各観点からの評価

(1) 必要性

我が国発の医薬品が持続的に開発されるためには、基礎研究を幅広く振興し、画期的な創薬シーズが常に生み出される環境を整備しておくことが必要である。これまでにアカデミアの基礎研究からは、創薬標的分子発見につながる成果など創薬への貢献が多数認められる。また、製薬企業では構造・機能解析や分子イメージングなどの最先端科学に基づく合理的な創薬研究開発を目指した取組が行われている。これらのことから、引き続き、幅広いライフサイエンス研究者に対し、一大学・一企業で保有することが困難な大型設備や最先端設備・技術を中心とした研究支援技術基盤を提供することが必要である。

アカデミア発の創薬アイデアは早い段階で企業と共同研究を開始することが望ましいが、創薬アイデアの臨床有用性の検証や信頼性が不十分などの理由で、実現した例は多いとはいえない。このため、大型設備や最先端設備・技術に加え、臨床有用性評価の機能を整備し、各共用ファシリティを有機的に連携させた研究支援技術基盤が必要である。

政府としても、第5期「科学技術基本計画」(平成28年1月22日閣議決定)において超高齢・人口減少社会等に対応する持続可能な社会の実現のため「世界最先端の医療技術の実現による健康長寿社会の形成」が重要政策課題の一つに設定されている。このような中で、本事業はアカデミアの研究成果から創薬シーズを着実かつ迅速に医薬品創出等に結びつけるための重要な研究支援技術基盤として位置付けられることから、今後も戦略的に強化していくことが必要である。

評価項目

- 科学的・技術的意義(先導性、発展性等)
- 社会的・経済的意義(社会的価値(持続可能な社会の実現)等)
- 国費を用いた研究開発としての意義(国や社会のニーズへの適合性等)

評価基準

- 広範な基礎研究の振興、画期的な創薬標的アイデアの創出と育成を可能とする研究支援技術基盤を整備できたか
- 整備された研究支援技術基盤を着実に運用し、数多くの基礎及び創薬研究課題に対し支援を実施できたか
- 評価指標: 有用な共用ファシリティを設置することができたか、共用ファシリティを活用した「支援」の件数

(2) 有効性

次期事業は、異なる専門分野の研究者たちを糾合し、数々の貴重な大型ファシリティを一般の研究支援に活用することで、基礎生命科学の発展と応用展開に大いに貢献すると考えられる。特に、アカデミアの基礎研究の支援を通じて創薬アイデアを発掘することは、サイエンスに立脚した新規創薬標的候補分子の発見や創薬手法の開発などの成果が期待され、さらに、非連続の全く新しい創薬標的アイデアが生み出される可能性もある。

創薬実現性を高める基盤整備として、最新型クライオ電子顕微鏡、生体試料分析 (Wet) と計算機 (Dry) の融合などの革新的なタンパク質立体構造解析法、高い効率と精度のインシリコ創薬など、アカデミアの最先端科学を活用することが有効と考えられる。また、疾患モデル動物やヒト検体を用いた臨床有用性の評価系構築、リバース・トランスレーショナル・リサーチ、化合物ライブラリーの拡充・スクリーニング技術の高度化など臨床や企業で抱えている課題の解決につながる基盤整備も有効である。希少疾患や革新的医薬品 (核酸医薬、遺伝子治療、細胞療法等) など企業では開発リスクが高い創薬についても対応できることが望ましい。

事業内での異分野研究融合は、複数領域に専門性を持つ人材育成につながることを考えられる。また、創薬専門家の参画により学生や若手研究者の創薬スキルに関する教育効果が期待される。

評価項目

- 新しい知の創出への貢献
- 研究開発の質の向上への貢献
- 人材の養成

評価基準

- 幅広い分野のライフサイエンス研究者が利用しやすい環境を整備することにより、学術的成果が得られたか
- サイエンスに立脚した革新的な創薬手法を確立し、それらを創薬支援技術基盤として実装できたか。また、支援課題の中からアカデミア発の医薬品創出に貢献できたか
- 異分野融合人材の育成
- 評価指標：トップクラスのジャーナルへの論文発表件数、特許申請の件数、産業移転の件数、事業を通じて養成された学生数 (卒業論文数など)

(3) 効率性

現事業と同様に、利用者の「支援」と共用ファシリティの設備や技術の「高度化」を適切なエフォート比率 (支援を 50%以上) で行う仕組みとすることで、確実な支援を提供しつつ最先端基盤を維持することが両立できる。

また、事業全体をふかんするヘッドクォーター機能を設置し、事業を効率的にマネジメントできる体制とする。ヘッドクォーターの取組としては、基礎研究支援を通じた革新的な創薬アイデアの涵養や創薬標的候補分子の発掘、共用ファシリティ間の連携や資源配分による創薬シーズの価値向上、他事業や企業への導出などである。

アカデミア創薬は、いずれかの段階で産業移転や導出を実施しなければならない。本事業は創薬標的探索や検証の支援機能を中心に共用ファシリティーを整備している。ヘッドクォーターのマネジメントにより早期に産業移転することや、日本医療研究開発機構の創薬関連事業などへつなぐことを目指す。

評価項目

- 計画・実施体制の妥当性
- 目標・達成管理の向上方策の妥当性

評価基準

- アカデミア等において実施される創薬等のライフサイエンス研究が一層効率的に進むことが可能となったか
- ヘッドクォーター機能を設置する等により、実現性の高い創薬標的候補分子の目利き、各共用ファシリティー間の連携強化、製薬企業等との連携促進、日本医療研究開発機構の他事業との双方向連携等を戦略的に推進することができたか
- 評価指標：高度化研究が共用ファシリティーに実装された件数、創薬標的（創薬シーズ）の導出件数

5. 総合評価

【実施の可否】

以上の点を考慮すると、本事業は積極的に推進すべき課題と判断する。

【中間評価・事後評価の実施時期】

中間評価については3年目を目途に、事後評価については事業終了後に実施する。

【留意事項】

- アカデミア創薬では、製薬企業や臨床の現場などが抱えている課題を共有することで、アカデミアに期待されている役割を果たすことが重要である
- 科学技術の進歩など外部環境の変化や研究支援を通じて発生した課題などに対し、適宜、研究支援技術基盤の内容を改善・整備することが重要である
- アカデミア創薬では、アカデミアと製薬企業等が知財戦略と出口戦略に基づいて、協力連携することが重要である

