

ライフサイエンスに関する研究開発 課題の事前評価結果（案）

平成28年8月

ライフサイエンス委員会

目 次

○ライフサイエンス委員会 委員名簿	2
-------------------	---

<事前評価>

○疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進・難病加速プログラム（仮称）	3
○老化メカニズムの解明・制御プロジェクト	8
○ナショナルバイオリソースプロジェクト	13
○創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業	19
○橋渡し研究戦略的推進プログラム	25
○感染症研究革新イニシアティブ	30

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

平成28年4月1日現在

疾患特異的 i P S 細胞の活用促進・難病研究加速プログラム (仮称)

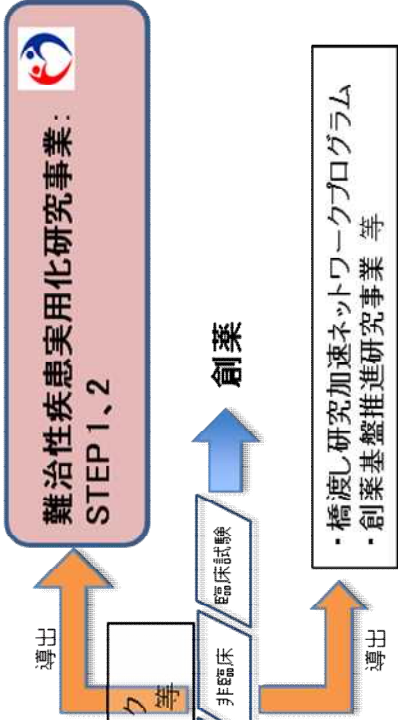
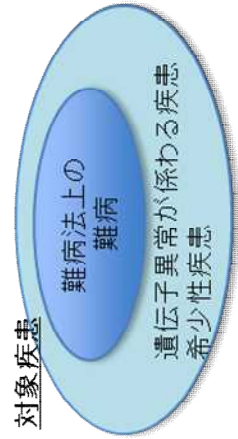
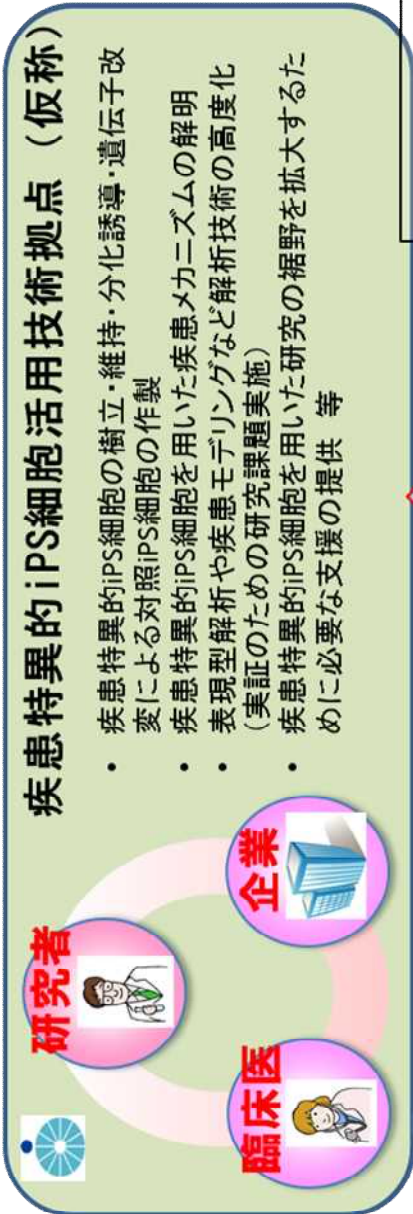
平成29年度	概算要求予定額	調整中
平成30年度	概算要求予定額	調整中
平成31年度	概算要求予定額	調整中
平成32年度	概算要求予定額	調整中
平成33年度	概算要求予定額	調整中
平成34年度	概算要求予定額	調整中

【概要】

○「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」にて構築された研究基盤やそこで樹立されたiPS細胞を用いた研究により疾患・創薬研究への道筋が示された。これらの成果を最大限に活用し、**疾患特異的iPS細胞を用いた疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等をさらに加速させるとともにiPS細胞の利活用を促進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。**

【目的】

- 疾患特異的iPS細胞を用いることで、難治性・希少性疾患などの病態解明、創薬の進展が見込める研究をさらに加速させ、治療薬の創出を図る。
- 疾患特異的iPS細胞を用いた研究に必要な技術を広く普及させる。
- iPS細胞バンクの充実を図るとともに、より多くの研究者・企業がiPS細胞を活用できる環境を整備する。



【成果】

- 疾患特異的iPS細胞による創薬、疾患研究のさらなる加速
- iPS細胞を扱う技術の普及
- 利用価値の高い疾患iPSバンクの構築
- 国内での疾患、創薬研究の促進



事前評価票

(平成 28 年 8 月現在)

1. 課題名 再生医療実現拠点ネットワークプログラム 疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム (仮称) (新規)
2. 開発・事業期間 平成 29 年度～平成 34 年度
3. 課題概要 <p>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、世界最先端の医療の実現に向けた取組、疾病領域ごと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。</p> <p>文部科学省は平成 25 年度より、京都大学 iPS 細胞研究所を中核拠点とした研究機関の連携体制を構築し、厚生労働省及び経済産業省との連携の下、iPS 細胞等を用いた革新的な再生医療・創薬を世界に先駆けて臨床応用するべく研究開発を加速することを目的として、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（以下「ネットワークプログラム」という。）を推進している。</p> <p>疾患特異的 iPS 細胞を用いて疾患発症機構の解明、創薬研究や治療法の開発等を推進することにより、iPS 細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目的として「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」（平成 24 年度～28 年度。以下「第 I 期プログラム」という。）もネットワークプログラムの一部として実施された。平成 29 年度からはこれまでの成果である研究基盤及び疾患・創薬研究の成果を最大限に活かし、創薬等研究の推進及び疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進により、iPS 細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。</p> <p>なお、再生医療及び難病は、「健康・医療戦略」（平成 26 年 7 月 22 日閣議決定）等においても重点化すべき研究分野として位置づけられ、ネットワークプログラムは平成 27 年度からは国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）で実施されている。</p> <p><平成 29 年度新規内容> ○疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム (仮称) 【実施内容】 第 I 期プログラムにおいて疾患特異的 iPS 細胞の樹立、バンクへの寄託、創薬スクリーニング実施、開発候補品の同定等が進められ、全体として研究目標は達成された。 本プログラムでは第 I 期プログラムにて構築された研究基盤及びその成果を基に、iPS 細胞の利活用を一段と促進することにより、疾患特異的 iPS 細胞を用いた疾患発症機構の解明、創薬研究や予防、治療法の開発等をさらに加速させると共に iPS 細胞</p>

等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

具体的には、AMEDにおいて、以下の取組を実施する。

・「疾患特異的 iPS 細胞活用技術拠点（仮称）」

疾患・臓器別に、高度な細胞操作技術を有する機関において、その技術基盤を活かし、疾患特異的 iPS 細胞及び分化細胞を用いて病態解明・創薬研究を推進するとともに、他事業も含め、iPS 細胞を用いる研究課題等に対して、技術的な支援を行う技術拠点。

・「iPS 細胞バンクの充実と利活用支援課題」

遺伝子改変株や健康人 iPS 細胞の樹立・寄託等、iPS 細胞バンクの充実を図る課題。また、細胞に付随させる情報の整備を行い、より多くの研究者・企業が iPS 細胞を利活用できる環境を整備する課題。

【本事業の目標】

iPS 細胞等研究を活用した治療薬創出を図るため、

- 疾患特異的 iPS 細胞を用いて疾患メカニズムの解明に資する新たな知見を創出するとともに、表現型解析や疾患モデリングなど解析技術を高度化する。
- 「難治性疾患実用化研究事業」等の厚生労働省の事業等に本プログラムでの成果を導出し、実用化に向けた研究開発を推進する。
- iPS 細胞バンクに寄託された細胞の利活用を促進する。

4. 各観点からの評価

(1) 必要性

iPS 細胞は疾患の発症や治療方法の研究、創薬開発に資することが期待されており、基礎研究の成果を速やかに社会に還元するため、疾患特異的 iPS 細胞を活用して難病等の克服を目指した研究開発を進める必要がある。

以下のように、健康・医療分野に関する国民の期待は高く、本プログラムをさらに強化・発展させる必要がある。

- 再生医療、難病については、健康・医療戦略推進本部の下、「健康・医療戦略」に基づき、各省連携プロジェクト「再生医療の実現化ハイウェイ構想」、「難病克服プロジェクト」において、AMED を中心に、文部科学省、厚生労働省、経済産業省の関連する研究開発プログラムと統合的に連携し、一体的な運用が図られている。「日本再興戦略 2016」（平成 28 年 6 月 2 日閣議決定）においても、日本発の優れた医薬品・医療機器等の開発・事業化、グローバル市場獲得・国際貢献のため、再生医療、難病等の領域ごとの取組の加速化・重点化を図るなど、AMED において、基礎研究から実用化まで切れ目ない研究管理・支援を一体的に行うことにより、日本発の革新的な医薬品・医療機器等の創出に向けた研究開発を推進する、とされている。
- 平成 27 年 8 月には、幹細胞・再生医学研究を取り巻く状況の変化を踏まえ、幹細胞・再生医学戦略作業部会において「今後の幹細胞・再生医学研究の在り方について 改訂版」がとりまとめられたが、引き続き厚生労働省等とも連携して、疾患特異的 iPS 細胞の樹立を行い、これらを用いた疾患発症機構の解明、創薬研究や先制医療、治療法の開発を行う取組をより強化する必要があるとされている。また、疾患特異的 iPS 細胞バンクについては、バンクとしての機能を質・量ともに拡充する

取組の強化が必要であると指摘された。

- 第5期「科学技術基本計画」（平成28年1月22日閣議決定）においても、超高齢化・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。

評価項目：国費を用いた研究開発としての意義、科学的・技術的意義

評価基準：

- ・疾患特異的 iPS 細胞から目的の細胞・組織に分化誘導させることによって、疾患発症機構の解明、創薬研究や治療法の開発等に資することができたか。

（2）有効性

- 第I期プログラムにおいて、開発候補品を同定する成果を挙げたように、構築された研究基盤やそこで樹立された iPS 細胞を用いて、疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等をさらに加速させるとともに寄託された iPS 細胞の利活用を促進することは、難病に対する治療方法や予防法の開発に資すると期待される。
- 開発候補品等の本プログラムの成果を、「難治性疾患実用化研究事業」等に導出し、実用化に向けた研究開発を推進する体制を構築することで、iPS 細胞等を用いた基盤研究の成果を速やかに社会に還元することが期待できる。また、医療分野研究開発推進計画の2020年頃までの達成目標実現に向けて有効と考えられる。
- iPS 細胞バンクの充実等により利活用促進の取組に加え、これまで iPS 細胞を使うことが困難であった研究者にも、疾患特異的 iPS 細胞研究の裾野を広げていくことで、難病に限らず希少疾患から他の疾患への応用も期待され、創薬研究の推進に有効と考えられる。

評価項目：

- ・新しい知の創出への貢献、研究の裾野拡大

評価基準：

- ・疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発
- ・作製技術や分化誘導技術などの技術移転
- ・多くの研究者、企業が疾患特異的 iPS 細胞を用いた研究、創薬を実施できる基盤の構築
- ・戦略的な疾患特異的 iPS 細胞の樹立

（3）効率性

- 第I期プログラムにて厚生労働省の事業や製薬企業と連携し、疾患の発症機序に関する解析や創薬による治療法開発に向けた研究が効率的に進んだ。本プログラムにおいても、研究者だけでなく、実際に難病の患者に接する臨床医、製薬企業と連携することで効率的な研究開発が期待できる。
- 難治性・希少性疾患等の創薬に対しては、難病に限らず希少疾患から他の疾患への応用や、再現性・定量性のあるスクリーニング系構築が今後の課題であり、AMED

において、アカデミア創薬拠点の活用、また厚生労働省、経済産業省や企業、アカデミア、創薬支援に係わる他の事業との間で情報共有、連携が図られるよう取り組むことで一層効率的に創薬に向けた開発を推進することが可能となる。

○AMEDにおいてネットワークプログラムとして実施することで、各種の規制や海外動向に関する情報を共有することや、他のサブプログラムの研究課題と必要な技術的協力を行うことが期待でき、効率的な事業の展開が可能となる。

評価項目：

- ・計画・実施体制の妥当性

評価基準：

- ・目的の達成に向けて、効率的な研究を推進するための適切な実施計画と体制が形成され実施されているか

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。

現段階で検討されている事業設計方針に基づき、AMED・厚生労働省との更なる積極的な連携が重要となる。

【中間評価・事後評価の実施時期】

○中間評価については3年目を目処に、事後評価については事業終了後に実施する。

【留意事項】

○難病法上の難病ではない疾患の中にも、例えば、遺伝子異常を伴うコモンディーズ等、疾患特異的 iPS 細胞を用いることで病態モデルが構築でき、戦略的な創薬研究が期待できる疾患がある。事業全体として対象疾患を戦略的かつ柔軟的に設定できる推進体制となるよう考慮するべきである。

○早期から、企業との連携を念頭におき、再現性の確保や情報データの取扱いについて、望ましい在り方を検討する必要がある。

○疾患特異的 iPS 細胞活用技術拠点（仮称）の規模については、一律ではなく、機能等に応じて複数設定するなど、柔軟に検討する必要がある。

○今後は更に戦略的な iPS 細胞の樹立・収集が必要である。

*難病の患者に対する医療等に関する法律（平成26年法律第50号）

第一条 この法律は、難病（発病の機構が明らかでなく、かつ、治療方法が確立していない希少な疾病であって、当該疾病にかかることにより長期にわたり療養を必要とするものとなるものをいう。以下同じ。）の患者に対する医療その他難病に関する施策（以下「難病の患者に対する医療等」という。）に関し必要な事項を定めることにより、難病の患者に対する良質かつ適切な医療の確保及び難病の患者の療養生活の質の維持向上を図り、もって国民保健の向上を図ることを目的とする。

老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

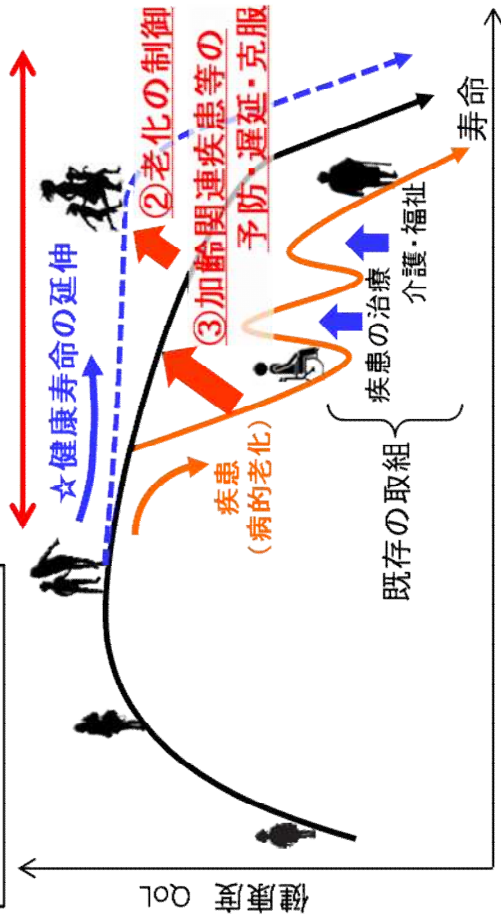
概要

老化遅延による健康寿命の延長を目的として、老化そのものを加齢関連疾患の基盤ととらえ、老化メカニズムの解明・制御を目指す基礎研究を体系的に実施するとともに、疾患への応用・人材育成等を包括的に推進する。生命への本質的な問いともいえる老化についての人類の知の開拓にも貢献。

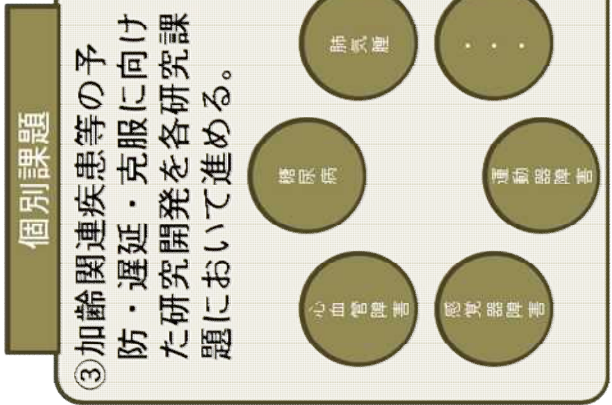
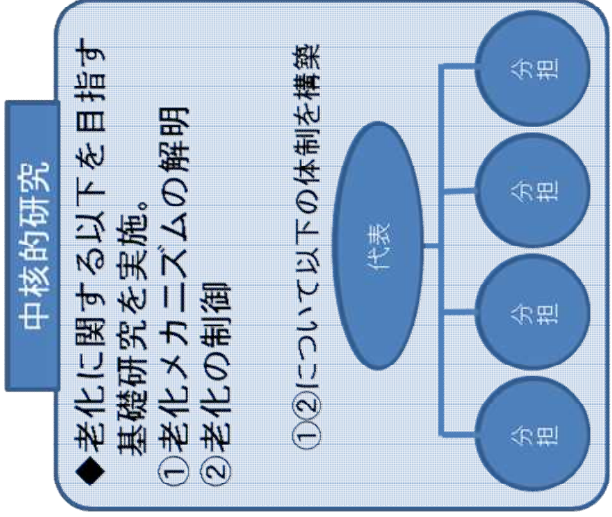
- ◆分野融合のアプローチを取り入れつつ、生物学・生命科学に基づく老化メカニズムの解明（図の①）と老化の制御（図の②）を
目指す基礎研究を、中核的研究において実施
- ◆加齢関連疾患等の老化メカニズムに立脚した予防・遅延・克服に向けた研究開発（図の③）を疾患ごとに各研究課題において実施
- ◆老化研究の基盤となる実験動物の長期にわたる管理とそれに基づく全国の老化研究の推進・支援、共通する課題の解決等につながる基礎技術の研究開発を併せて実施

平成29年度	概算要求予定額：調整中
平成30年度	概算要求予定額：調整中
平成31年度	概算要求予定額：調整中
平成32年度	概算要求予定額：調整中
平成33年度	概算要求予定額：調整中

研究課題のイメージ図



プロジェクト体制と役割



共通基盤

- ◆実験動物の病理組織解析、生化学的解析
- ◆モデル動物の作出・供給・管理 ◆測定技術等の開発

研究課題の目標例

- ①: 5年以内に臨床研究に向けた②の段階に移るシーズを1つ以上発見する
- ②: 5年以内に1つ以上の老化制御の候補物質等について、臨床研究に向けて安全性・有効性を検証する
- ③: 5年以内に1つ以上の疾患等の老化メカニズムに立脚した予防法・遅延法・克服法の基礎を確立する

事前評価票

(平成28年8月現在)

1. 課題名 老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

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、健康・医療分野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。

○老化の遅延による健康寿命の延長を目的として、これまでのような個別の疾患等の研究ではなく、老化そのものを加齢関連疾患の基盤ととらえ、老化のメカニズムの解明・制御を目指す研究を進める。

○幅広い分野の研究者の参画により、我が国の強みを踏まえつつ、老化に関連する基礎研究を体系的に実施し、抜本的強化を図るとともに、疾患への応用、人材育成等をプロジェクトとして包括的に推進する。また、生命への本質的な問いともいえる老化についての人類の知の開拓にも貢献する。

- ・分野融合のアプローチを取り入れつつ、生物学・生命科学に基づく老化メカニズムの解明と老化の制御を目指す基礎研究を、中核的研究において実施

- ・加齢関連疾患等の老化メカニズムに立脚した予防・遅延・克服に向けた研究開発を疾患ごとに各研究機関において実施

- ・老化研究の基盤となる実験動物の長期にわたる管理とそれに基づく全国の老化研究の推進・支援、共通する課題の解決等につながる基盤技術の研究開発を併せて実施

○プロジェクトはAMEDを通じて実施し、AMEDの内の関係プロジェクトと連携しつつ研究を推進するとともに、AMEDと文部科学省が協力し、関係する行政機関や研究機関等の関係者が一丸となって、社会的ニーズを把握しつつ研究開発を推進し、実用化・社会実装を進める体制を構築する。

4. 各観点からの評価

(1) 必要性

- 世界で最も急速に高齢化が進む我が国において、老化の遅延により健康寿命を延伸するとともに要介護期間を減少することにより、肉体的にも精神的にも健康な老後を実現することは、高齢者自身の生活の質の向上のためのみならず、労働力人口の確保、医療や介護等の社会保障に要する費用の削減等の社会経済上も最も重要な課題の一つである。
- 特に、加齢関連疾患を発症する前の事前介入による予防が実現すれば、その経済的・社会的な影響は極めて大きく、個別の疾患の予防・治療研究や最先端医療技術の実現に向けた研究とのバランスをとりつつも、十分な投資をしていくことが必要な分野である。
- 我が国においては、老化のメカニズムの解明を目指した研究や健康寿命を縮める原因疾患に関する研究について、個別に優れた研究が実施されているものの、我が国の基礎研究の強みを生かす体系的な研究は実施されておらず、老化に関する基礎研究の成果を疾患の予防・克服や、実用化・社会実装につなげるための分野・領域を横断する取組が必要とされている。
- 科学的な面においても、老化は、生まれてから加齢をへて死にゆくすべての生命にとって避けられない、いわば生命の本質ともいえる現象であって、その解明により、人類の知の開拓にも貢献することは生命科学の発展において重要な役割を果たすものと期待できる。
- 「ニッポン一億総活躍プラン」（平成28年6月2日閣議決定）において、「老化メカニズムの解明等を進める」とされており、「日本再興戦略 2016—第4次産業革命に向けて—」（平成28年6月2日閣議決定）においても、「高齢者に特有の疾患の解明や老化・加齢の制御についての基礎研究の推進」を進めることとされており、政府としても本分野の研究を推進すべきと位置づけている。
- 以上のことから、本事業を実施することが必要と評価できる。

評価項目：

- ・国や社会のニーズへの適合性、科学的・社会的意義

評価基準：

- ・政府方針に合致するか。
- ・老化メカニズムの解明と老化の制御を目指す基礎研究の成果を創出できたか。また、老化遅延や加齢関連疾患等の予防・遅延法・克服法の開発等に資することができたか。

(2) 有効性

- 近年、老化研究の分野では、モデル動物における研究が進み、ヒトの老化遅延も現実可能な段階となっている。米国の大学との共同研究により、健常人を対象として抗老化作用を検証する世界初の臨床研究が国内の大学において進行中であるなど、我が国における研究の進展・蓄積を踏まえると、老化研究は我が国が独自性、創造性をもってイニシアティブを発揮できる分野である。
- また、細胞レベルから個体レベルまで幅広い階層の研究とそれを融合したシステムの理解が欠かせないことから、既存の領域にとらわれない、幅広い分野の研究者の参加を促し、新たな研究領域や研究基盤の創造にも資する分野である。
- さらに、加齢関連疾患を発症する前の事前介入による予防が実現すれば、その経済的・社会的な影響は極めて大きい。

- 欧米を中心として、政府による当該分野に対する研究開発投資が進んでいる中、強みを有する我が国においても、世界をリードする成果創出と我が国の経済・社会への多大な波及効果が期待されることから、率先して取り組んでいくべき研究分野である。
- 以上のことから、本事業は新たな知の創出や経済・社会への貢献が期待されることから、有効であると評価できる。

評価項目：

- ・新しい知の創出への貢献、直接・間接の成果・効果やその他の波及効果の内容等

評価基準：

- ・本分野の基礎研究を体系的に実施し強化することで、老化の制御につながる画期的なシーズを創出することができたか。
- ・臨床研究を目指した抗老化物質等の研究開発を進めることができたか。

(3) 効率性

- プロジェクトはAMEDを通じて実施することとしているが、AMEDにおいては、がんや認知症等の個別疾患の発症機序解明研究や診断技術開発、生体恒常性の維持・変容機構の統合的理解の研究、ヒト腸内微生物叢の共生研究、発生・再生研究等、老化研究との関連が指摘されている研究が幅広く実施されており、AMED内においても、これらの研究と連携・協力して効率的に研究を進めることとしている。
- また、理化学研究所、科学技術振興機構等の国立研究開発法人等の研究機関や大学においても、老化関連の研究が幅広く実施されており、これらの取り組みと適切な役割分担の下で連携・協力して研究を効率的かつ効果的に進めていくこととしている。
- さらに、AMEDと文部科学省が協力し、関係者一丸となって研究開発を推進し、実用化・社会実装を進める体制を構築することとしている。
- 以上のことから、効率的な研究推進と成果創出に向けた体制が構築されると期待できる。

評価項目：

- ・計画・実施体制の妥当性

評価基準：

- ・目的の達成に向けて、効率的な研究を推進するための適切な実施計画と体制が形成され実施されているか

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】

- 老化研究は各個体の加齢による経年変化を長期間観察する必要があることから、ヒトに近いほ乳類ではその寿命に比例して長期間の研究とならざるを得ない。プロジェクトの期間は当面5年間としつつも、その成果を踏まえつつ研究分野の特性に留意し、長期的なプロジェクトとして育てていくことが重要である。また、プロジェクトの目標設定や評価に当たっても、そのような特性にも十分配慮する必要がある。
- 特に、老化の実験は長期にマウス等の実験動物を一定の環境で安定的に飼育する必要がある、そのための設備が不可欠であり、共通基盤は着実に措置する必要がある。
- 効率的かつ効果的にプロジェクトを実施していくため、AMEDにおけるファンディングの経験や本分野の専門家の助言も踏まえ、研究課題とその目標設定や成果創出に向けた連携などの実施体制等をより明瞭に精緻化していく必要がある。

ナショナルバイオリソースプロジェクト

実施期間・評価時期

平成29年度～平成33年度 中間評価 平成31年度予定 事後評価 平成33年度予定

目的・概要

国が戦略的に整備することが重要なバイオリソース(※)について、体系的な収集・保存・提供等の体制を整備し、品質の確保された**世界最高水準のバイオリソース**を大学・研究機関等に提供することにより、我が国のライフサイエンス研究の発展に貢献。

※研究開発の材料としての動物・植物・微生物の系統・集団・組織・細胞・遺伝子材料等及びそれらの情報

(参考)「医療分野研究開発推進計画」(平成26年7月22日 健康・医療戦略推進本部決定)

・ライフサイエンス研究の発展に向け、重要かつ質の高いバイオリソースを、中核的拠点を戦略的に収集・保存し、研究機関に提供する。

「科学技術基本計画」(平成28年1月22日 閣議決定)・「科学技術イノベーション総合戦略2016」(平成28年5月24日 閣議決定)

・生物遺伝資源等の知的基盤について、公的研究機関を実施機関として、戦略的・体系的に整備する。

【本事業のポイント】

- 日本全国に散在するバイオリソースを**中核的拠点へ集約し、効率的かつ適正な品質管理**を実施。バイオリソースを利用する際に**効率的なアクセスを可能**とする。
- 厳格な品質管理のもと、**実験の再現性を確保**するとともに、ゲノム情報等の解析による付加価値の向上等により、**独自性・先導性の高い品質の確保**されたバイオリソースを提供。

【第4期の取組内容】

- 第4期に移行するにあたり、リソースの質の向上と活用に重点を移し、より戦略的な**収集・保存・提供**を実施。
(平成28年5月23日 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 基礎・横断研究作業部会報告書)

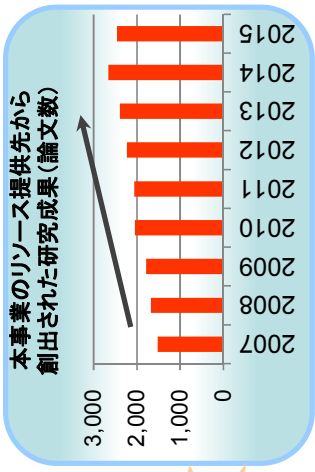
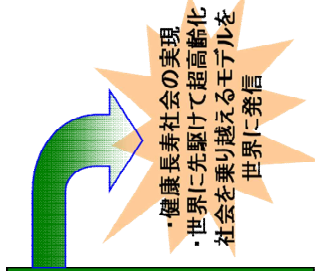
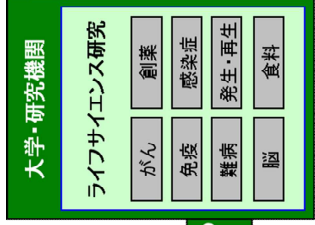
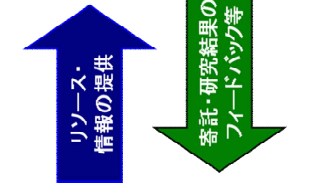
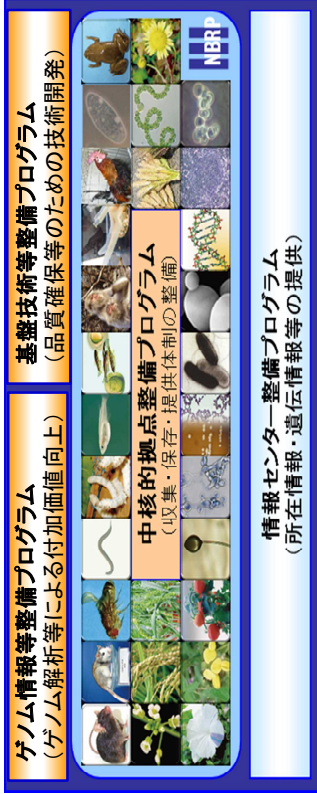
第3期

- ①先進的なバイオリソース
- ②発展途上のバイオリソース
- ③発展が見込まれるバイオリソース
- ④維持の必要なバイオリソース

第4期

- ①世界的規模で活用されるモデル生物等の「**基幹的なバイオリソース**」
- ②学問的な重要性や我が国の**独自性を発揮**した研究等のための「**維持が必要なバイオリソース**」

- ライフサイエンス研究の進展に応じた、品質管理水準の向上等による、**最高水準の品質のバイオリソース**を提供する体制を整備。
- ゲノム編集技術の進展により、急速に寄託が増加するリソースの品質の確保等のための**基盤技術**を整備。



























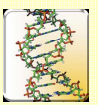
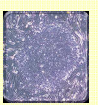



整備すべきバイオリソースの要件

- ライフサイエンス研究の発展に不可欠であり、安定的な組織としての保存、供給体制の整備が適切であるバイオリソース
- 利用する研究者のクリティカルマスが存在するバイオリソース (* 性質が十分に標準的な系統 * が存在するバイオリソース (* 性質が十分に解析されており、再現性が保証されているもの)
- 我が国の独自性を発揮した研究、あるいは既に高いポテンシャルを有する研究を進めていくうえで重要なバイオリソース

中核的拠点整備プログラム（第3期）

参考

動物	植物	微生物、細胞		
実験動物マウス  理化学研究所BRC (運営費交付金)	ラット  京都大学 大学院医学研究科	ショウジョウバエ  情報・システム研究機構 国立遺伝学研究所	線虫  東京女子医科大学 医学部	カイコ  九州大学 大学院農学研究院
メダカ  自然科学研究機構 基礎生物学研究所	ゼブラフィッシュ  理化学研究所 脳科学総合研究センター	ニホンザル  自然科学研究機構 生理学研究所	カタエウレイボヤ  筑波大学 下田臨海実験センター	ニフトリ・ウズラ (第3期から)  名古屋大学
ゾウリムシ (第3期から)  山口大学	ネツタイツメガエル  広島大学 両生類研究施設	シロイヌナズナ  理化学研究所BRC (運営費交付金)	イネ  情報・システム研究機構 国立遺伝学研究所	コムギ  京都大学 大学院農学研究所
オオムギ  岡山大学 資源植物科学研究所	藻類  国立環境研究所	広義キク属  広島大学 大学院理学研究科	アサガオ  九州大学 大学院理学研究院	ミヤコグサ・ダイズ  宮崎大学 農学部
トマト  筑波大学 大学院生命 環境科学研究科	細胞性粘菌  筑波大学 大学院生命 環境科学研究科	病原微生物  千葉大学 真菌医学研究センター	一般微生物  理化学研究所BRC (運営費交付金)	原核生物 (大腸菌・枯草菌)  情報・システム研究機構 国立遺伝学研究所
酵母  大阪立大学 大学院理学研究科	遺伝子材料  理化学研究所BRC (運営費交付金)	ヒト・動物細胞  理化学研究所BRC (運営費交付金)	ヒト臍帯血幹細胞 (第3期から)  東京大学 医学研究所	計: 29リソース

事前評価票

(平成28年8月現在)

1. 課題名 ナショナルバイオリソースプロジェクト
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、 <u>バイオリソース等研究開発の環境の整備や国際的視点に基づく取組</u> 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。 ナショナルバイオリソースプロジェクトは、ライフサイエンス研究を支える基盤として、国として戦略的に整備することが重要な実験動植物や微生物等のバイオリソースの整備を行う事業である。 本事業では、リソース種ごとに中核的拠点を置き、リソースの収集・保存・提供を行うとともに、ゲノム情報等の解析や保存技術等の技術開発によるバイオリソースの付加価値や質の向上により、時代の要請に応えたバイオリソースの整備を行う。また、バイオリソースの所在情報等を提供する情報センター機能について、リソースの中核機関や関連データベースとも連携して強化を図る。 本事業で整備すべきバイオリソースや、その体制を担う中核的機関等については、公募を行い、専門家による評価を踏まえて選定する。 第1期（平成14年度～平成18年度）、第2期（平成19年度～平成23年度）、第3期（平成24年度～平成28年度）においては、バイオリソースの収集・保存・提供を体系的に行うための体制の確立と、バイオリソースについて収集に注力しつつ、付加価値や質の向上を進めてきたところである。第4期（平成29年度～平成33年度）においては、さらに利便性と有用性に優れたバイオリソースの質の向上と利活用に重点をおき、各生物種の特性を踏まえて、これまでの4分類を、基幹的なバイオリソースと維持を必要とするバイオリソースの2つの分類に集約して、今後の目指すべき方向性を明確化した上で、研究動向等を踏まえて戦略的に収集・保存・提供を行う。また、ライフサイエンス研究の進展に応じた品質管理水準の向上等に取り組む。これらにより、ライフサイエンス研究の基盤のより一層の充実を図る。
4. 各観点からの評価 (1) 必要性

バイオリソースは、我が国のライフサイエンス研究の進展に必要不可欠な研究基盤であり、また、生き物であり一度途絶えると二度と復元できない研究材料である。このため、これまで3期に亘って本事業を実施してきた。バイオリソースの重要性は国際的にも認識されており、欧米では網羅的・戦略的な整備が進み、中国や韓国、その他アジア諸国においても整備が進められている。

今後も、我が国が、ライフサイエンス研究分野における国際的優位性を確保し、世界を先導していくためには、先端的な研究に必要なリソースを品揃えと質の両面から、時代を先取りして戦略的に整備することが重要である。

また、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、バイオリソースは、研究開発活動を安定的かつ効果的に促進するため、知的基盤として整備していくものと位置付けられている。さらに、医療分野研究開発推進計画（平成26年7月22日健康・医療戦略推進本部決定）においても、重要かつ質の高いバイオリソースを、中核的拠点に戦略的に収集・保存し、研究機関に提供することは、ライフサイエンス研究の発展に向けて重要であることが謳われている。

以上より、第3期に引き続き、第4期についても本事業を実施する必要があるものと評価できる。

評価項目

科学的・技術的意義

評価基準

我が国のライフサイエンス研究に必要なバイオリソースの整備が行われ、研究に利活用される事業となっているか

(2) 有効性

本事業は、バイオリソースの収集・保存・提供体制の整備や我が国で研究開発されたバイオリソースの戦略的な確保、高度の品質保証、所在・特性情報の整備、利用者への円滑な提供を行うことにより、幅広いライフサイエンス研究の発展に貢献してきた。実際に、本事業により整備されたバイオリソースを利用した研究成果論文は多数発表され、着実に増加してきている。

このような、これまでに実績ある取組を継続することに加え、第4期においては、利便性と有用性に優れたバイオリソースの質の向上と利活用に重点をおき、各リソースの特性を踏まえて、これまでの4分類を、基幹的なバイオリソースと維持を必要とするバイオリソースの2つの分類に集約し、今後の目指すべき方向性を明確化した上で、研究動向等を踏まえて戦略的に収集・保存・提供を行うこととしている。

さらに、品質管理水準の向上により、急速に進展するライフサイエンス分野の高度な研究での利用に適したリソースの整備や、今後急増することが見込まれるゲノム編集技術で作成されたリソースの品質管理等のための技術整備を実施することとしている。

以上より、本事業は、ライフサイエンス研究の基盤として、研究の進展に応じたより一層充実したバイオリソースを提供し、研究の発展に貢献することが期待されることから有効であると評価できる。

評価項目：

知的基盤の整備への貢献、研究開発の質の向上への貢献

評価基準：

本事業で整備された高品質のバイオリソースが研究に利活用され、我が国のライフサイエンス研究の発展に貢献するものとなっているか。

(3) 効率性

第1期～第3期（平成14年度～平成28年度）の本事業の取組により、バイオリソースを収集・保存・提供する中核的拠点整備プログラムと、所在情報等を集約し公開する情報センタープログラムが連携する体制を確立している。

第4期の本事業を実施するに当たっては、これまでの経験・ノウハウ等を活用することにより効率的な実施体制の構築や運営を行うことが可能である。

中核的拠点整備プログラムでは、生物種ごとにリソースの特性や実情に適した実施体制を構築し、当該生物種のリソースを集中的に収集・保存・提供するほか、ユーザー等を含む運営委員会を置き、研究ニーズを踏まえた運営を行うこととしている。また、情報センター整備プログラムでは、各リソースの実施機関や関連データベースとも連携して情報を集約し、迅速に公開することとしている。

本事業によって、個々の研究者はそれぞれにリソースを維持管理することなく、質の高いリソースを利活用した研究を実施することが可能である。さらに、リソースの情報をホームページ等で公開することにより、リソースの重複作製を回避でき、研究者が時間、労力及び研究費を有効に利用することができることから、我が国のライフサイエンス研究の効率的な推進に貢献することが期待できる。

以上より、本事業は効率的に実施されるものと評価できる。

評価項目：

計画・実施体制の妥当性

評価基準：

我が国のライフサイエンス研究の基盤を支える事業として、効率的な体制の構築や運営を行うものとなっているか

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。

- ・我が国におけるライフサイエンス研究の発展のために、バイオリソースが大きく貢献していることは明らかであり、最先端の研究内容に見合ったバイオリソースの利用環境を継続的に整備し研究コミュニティに利用機会を提供することは、我が国のライフサイエンス研究の振興を図る上で極めて重要である。そのため、最先端の研究とそれらの研究を支えるバイオリソースとの両者が相まってバランス良く発展できるよう、国家プロジェクトとしての本事業は積極的に推進すべき課題と判断する。
- ・バイオリソースは、一度途絶えると二度と復元できない研究材料であるため、第1期～第3期で実施されてきた本事業を着実に実施し、引き続き、ライフサイエンス研究の基盤の充実を図ることは適切である。

【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。

創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業

年度	H29	H30	H31	H32	H33
概算要求 予定額	調整中	調整中	調整中	調整中	調整中
評価時期			中間		事後

目的

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。

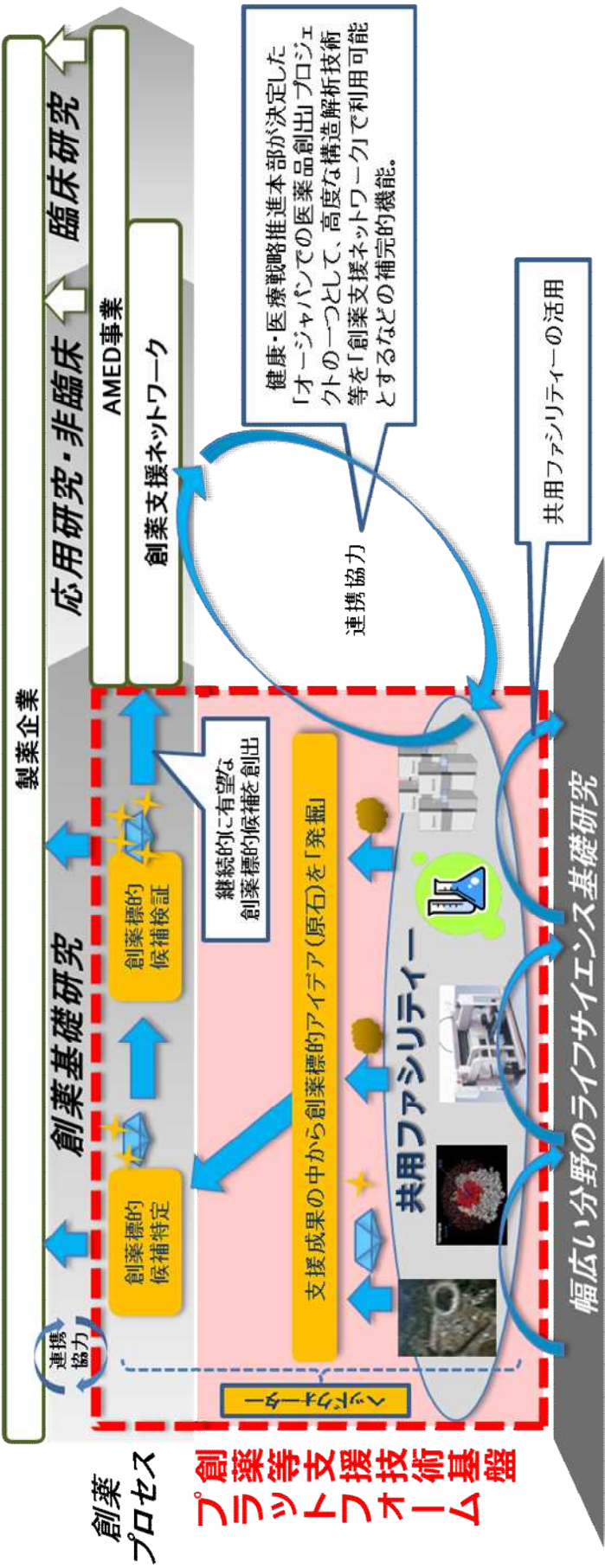
概要

- 創薬等研究に活用可能な高度な計測・分析装置及び技術等（共用ファシリティー）を整備した『創薬等支援技術基盤プラットフォーム』により、幅広いライフサイエンス研究を支援する。
- 創薬標的候補を継続的に創出するためヘッドクォーター機能を整備し次の取組を行う。
 - ・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
 - ・共用ファシリティー間の連携、資源配分及び改編などを臨機応変かつ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等のニーズを把握、研究初期からの共同研究の推進
- 保有する設備や技術の継続的な高度化を行うことにより、サイエンスに立脚したアカデミア独自の革新的な創薬標的候補探索手法の確立を目指す。

評価を反映した見直し

<評価と課題>

- 創薬標的候補などの成果
 - 研究者の創薬意識の向上
- 一方で、
- ◆創薬に向けた一層の取組
 - ◆アカデミア独自の創薬手法開発
- 等



共用ファシリティーの例

創薬支援ネットワークやAMED事業等との連携協力

(創薬等支援技術基盤プラットフォーム)

基盤の活用、創薬標的候補の創出

構造解析ユニット

タンパク質構造解析手法による創薬標的候補分子の機能解析や高度な構造生命科学研究所の支援等

タンパク質構造解析



世界最高水準の放射光施設や最新型クライオ電子顕微鏡等を活用

タンパク質試料生産



膜タンパク質等高度タンパク質試料の生産(発現、精製、結晶化及び性状評価など)

スクリーニング・合成ユニット

創薬シーズ探索のために、化合物ライブラリー提供、ハイスループットスクリーニング、有機合成を一貫して支援等

化合物ライブラリー

大規模な化合物ライブラリーを整備し外部研究者等に提供



スクリーニング (HTS) ハイスループットスクリーニング (HTS) を支援



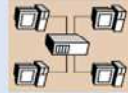
有機合成

化合物の構造最適化や新規骨格を持つ化合物合成を支援



情報ユニット

情報の統合・分析等による創薬等研究戦略の支援等



データベース構築・公開解析ツール活用支援等

活性評価ユニット

構造解析等で見出された創薬標的候補の臨床予見性評価やHTSヒット化合物の活性評価の支援等



疾患モデル動物やヒト疾患組織等のリソース提供及びそれらの検体に対するオミクス解析などの支援

In silicoユニット

生物試料分析 (Wet) とインフォマティクス (Dry) の融合研究による創薬標的候補の機能推定や化合物ドッキングシミュレーションの支援等



構造インフォマティクス技術によるタンパク質立体構造や生体分子と化合物との相互作用の推定等

幅広い分野のライフサイエンス基礎研究

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。併せて、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
- ・ 共用ファシリティー間の連携、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り組みが行われている。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ー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づけられることから、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ーを設置することができたか、共用ファシリティーを活用した「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）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、事業全体を俯瞰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り組みとしては、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

橋渡し研究戦略的推進プログラム

(平成29～33年度；中間評価 平成31年度；事後評価 平成34年度)

概要・目的

これまでに整備されてきた革新的医療技術創出拠点の基盤を活用しつつ、全国の大学等の拠点において、他機関のシーズの積極的支援や産学連携を強化し、大学等発の有望なシーズを育成することで、アカデミア等における革新的な基礎研究の成果を臨床研究・実用化へ効率的に橋渡しができる体制を我が国全体で構築し、革新的な医薬品・医療機器等をより多く持続的に創出することを旨とする。

事業の主な取組

- 拠点機能の強化
 - 他機関への支援・産学連携推進
 - ・ 知財支援人材やプロジェクトマネージャー、医療機器開発リーダー人材等の支援人材の充実や教育訓練等により、他機関のシーズについても実用化まで一貫して支援できる体制を強化
 - ・ シーズの早期導出、創薬や医療機器の実用化を加速するため産学連携を推進
 - ・ 強化された機能を維持するため、事業期間中2-5年内の自立化を目指して体制整備

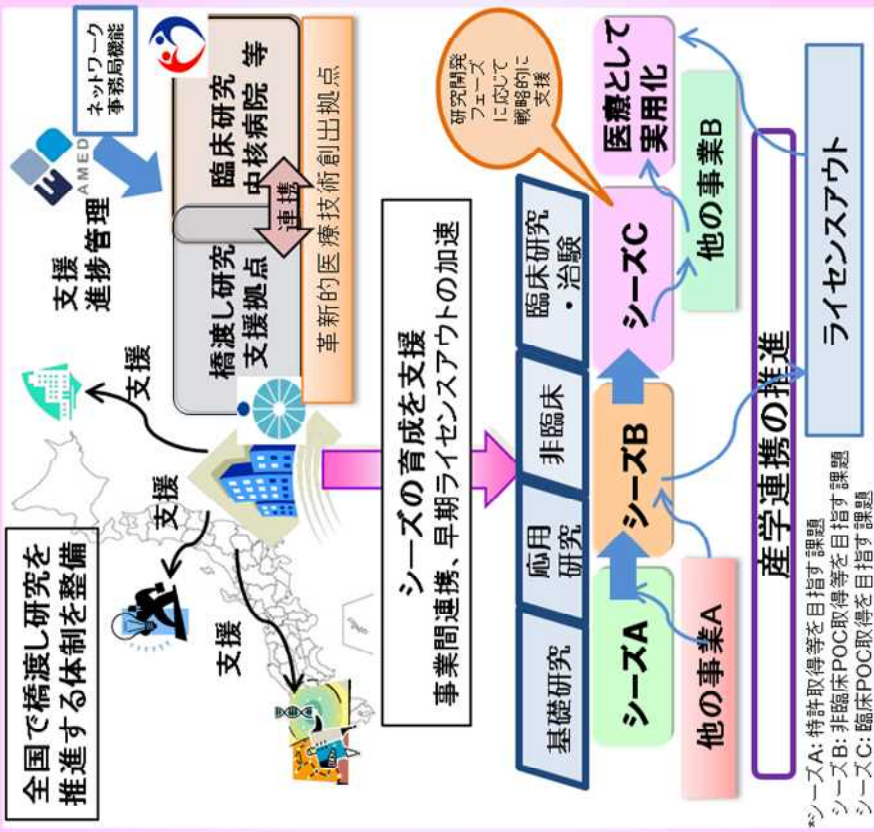
○ シーズの育成

- 基礎から非臨床フェーズのシーズを中心に戦略的なマネージメント
 - ・ これまでに構築した拠点の機能・ノウハウを活用し、シーズの進捗管理を徹底し、革新的なシーズの企業へのライセンスアウトや他事業への導出、実用化を促進

○ 質の高い研究推進のためのネットワーク強化

- マッチング機能や人材育成の強化
 - ・ シーズやニーズのカタログ化により企業や異分野の研究者と拠点のマッチングによりシーズ開発を加速
 - ・ 橋渡し研究を推進する専門人材を育成
 - ・ 拠点の特色を活かしたネットワーク形成による医療イノベーションの加速

年度	H29 (初年度)	H30	H31	H32	H33
概算要求 予定額 (内訳)	調整中	調整中	調整中	調整中	調整中
	調整中	調整中	調整中	調整中	調整中



*シーズA: 特許取得等を目指す課題
 シーズB: 非臨床POC取得等を目指す課題
 シーズC: 臨床POC取得を目指す課題

事前評価票

(平成 28 年 8 月現在)

1. 課題名 橋渡し研究戦略的推進プログラム
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、臨床研究・治験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。 【概要】 我が国の先端医科学研究の分野において、ゲノム科学や再生医学等の発展により、これまで基礎研究で大きな成果を上げているにもかかわらず、そのような研究成果を新しい治療薬・治療技術の開発等、実用化に結びつけるための橋渡し研究を推進する体制、研究費等の研究環境整備が十分ではなかった。 平成 19 年度より橋渡し研究支援推進プログラム、平成 24 年度より橋渡し研究加速ネットワークプログラムが開始され、これまで 2 期 10 年にわたり橋渡し研究を推進してきた。橋渡し研究の支援基盤の整備は完了しつつあり、平成 28 年度末までに最低 3 件のシーズを医師主導治験まで到達させることを目標としてきたが、すでに 9 拠点中 7 拠点で目標を達成するなど、臨床応用にむけて着実な成果を挙げている。しかしながら、拠点以外の機関における橋渡し研究の推進や拠点の自立化等、いくつかの課題が残されている。橋渡し研究作業部会では、今後強化すべき橋渡し研究の方策として、①拠点以外の機関における橋渡し研究の推進、②産学連携の推進、③拠点機能のさらなる強化、④シーズを継続的に創出するための基礎研究の強化、が挙げられた。 【実施内容】 今後、これらの課題を克服し、我が国における橋渡し研究体制を完成形にするべく、以下について強化する。 ○拠点以外の機関の支援、産学連携強化のための拠点機能を強化 拠点以外の機関に眠っている有望なシーズの実用化を加速するために、拠点機能をさらに強化して拠点以外の機関の支援・ネットワークを強固なものとし、オールジャパンの橋渡し研究体制を構築する。また、素早い意思決定や対応により有効な知財化を進めること、産学連携体制の強化等により、シーズの価値を最大限に高め研究成果の早期企業導出や実用化が加速され、研究の成果を効果的・効率的に国民へ

提供することが可能となる。拠点は、これまでの自立化に向けた取組を強化するとともに、他機関を支援することなどによる収入の多様化・増加を図り、事業期間中2-5年後には拠点整備費の補助がなくとも運用できることを目指して体制を整備する。

○シーズの育成

アカデミアを中心とした研究機関において基礎研究を強化すること、また、異分野の研究者や企業との連携によって多くのシーズをパイプラインに組み入れ、戦略的にシーズの育成・進捗管理を行うことでシーズの実用化を促進する。

○質の高い研究実施体制の強化

シーズやニーズのカタログ化により、企業や異分野の研究者と拠点のマッチングを促しシーズの実用化を加速する。また、橋渡し研究を推進するリサーチ・アドミニストレーター等の人材育成を強化する。さらに、これまで築き上げた拠点間ネットワーク、地域ネットワークを活用し、さらに臨床研究中核病院との連携強化を図り、リソースの共有やシーズ・専門人材の評価方法の策定を行うなど、これまで以上に質の高い研究を遂行する。

【本事業の目標】

○基礎研究から得られた革新的な医薬品・医療機器を国民に提供することを大きな目標としつつ、橋渡し研究プログラムとしてより適切な指標（拠点以外の機関における治験実施件数、企業へのライセンスアウト件数、ステップアップしたシーズ件数、より開発後期の日本医療研究開発機構 (AMED) 他事業への橋渡し件数等）の達成。

○拠点強化による人員の定員化等を通じた自立化を目指した体制整備。

4. 各観点からの評価

(1) 必要性

以下のように、健康・医療分野に関する国民の期待は高く、橋渡し研究は、ライフサイエンス分野における次世代の産業を振興していくための戦略的展開として、その重要性は増しており、本プログラムをさらに強化・発展させる必要がある。

○健康・医療戦略推進本部の下、「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）に基づき、AMEDを中心に、革新的医療技術創出拠点の整備等を着実に推進することとしている。

○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、超高齢化・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。また、イノベーション創出に向けた人材、知、資金の好循環システムの構築を強力に推進することとしている。

○平成28年4月に文部科学省が発表した「科学技術イノベーションによる未来社会創造プラン」においても、世界一の健康長寿命社会実現に向け、iPS細胞等を用いた再生医療研究やがん研究、認知症等の疾病克服を目指した老化・加齢メカニズムの解明・制御研究、感染症対策研究、医療機器開発につながる基礎的な研究開発を加速させることが提言されている。

- 平成 28 年 5 月に閣議決定された「医療機器基本計画」においても、基礎研究の強化、産学官連携の強化、医療ニーズを見出す人材育成を強化する事が提言されており、本プログラムにおいて推進する必要がある。
- 日本再興戦略 2016（平成 28 年 6 月閣議決定）においても、日本発の優れた医薬品・医療機器等の開発・事業化、グローバル市場獲得・国際貢献のために、「医療分野の研究開発の推進」が一つの柱とされ、AMED において、基礎研究から実用化まで切れ目ない研究管理・支援を一体的に行うことにより、日本発の革新的な医薬品・医療機器等の創出に向けた研究開発を推進することが提言されており、本プログラムが果たす役割は大きいと考える。

評価項目：科学的・技術的意義、政策的意義、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）

評価基準：橋渡し研究支援拠点の強化、拠点のオープンアクセス化、特色化・専門化（臨床で実用化に至ったシーズ数、他機関のシーズの支援により目標を達成したシーズ数）

（2）有効性

- 第 2 期の橋渡し研究加速ネットワークプログラムにおいて、橋渡し研究支援拠点が支援しているシーズ数は、平成 24 年度 178 件、平成 25 年度 239 件、平成 26 年度 472 件、平成 27 年度 616 件、平成 28 年 797 件と急激に増加しており、また、本事業において、平成 27 年度末までに治験届提出に至ったシーズが 69 件（医師主導治験 57 件、企業主導治験 12 件）、製造販売承認等に至ったシーズが 20 件等、着実に成果を挙げている。第 2 期プログラムを土台とした橋渡し研究を推進することは、2020 年の KPI（革新的医療技術創出拠点プロジェクトとして医師主導治験届出数年間 40 件等）達成に向けて有効と考えられる。
- 知財支援人材やプロジェクトマネージャー、医療機器開発リーダー等の教育訓練等による研究支援人材の育成により、拠点だけでなく拠点以外の機関のシーズについても実用化まで一貫して支援できる体制を強化することができ、質の高い研究を推進するための体制構築に有効である。
- 拠点間のネットワークにおいて、橋渡し研究を推進する専門人材に必要なスキル、能力の評価指標や革新的な医薬品・医療機器につながるシーズを見極める評価方法を作成することは専門人材の育成、研究の進展に有効である。

評価項目：新しい知（医薬品・医療機器等）の創出への貢献、研究開発の質の向上への貢献、研究開発支援基盤の整備への貢献、事業の研究成果による（見込まれる）直接的・間接的波及効果、人材の育成

評価基準：シーズの橋渡しが加速され、国民へ医薬品・医療機器等として提供されるか、有望なシーズを次々と革新的医療として実用化するための人員等の整備が図られるか（高い能力を有する専門人材が育成されたか、拠点や拠点以外の機関におけるライセンスアウト等の成果の件数、拠点の収入）

(3) 効率性

- 第1期、第2期橋渡し研究の研究基盤を活かしつつ、さらに、産学連携やネットワーク形成等拠点が有する機能を更に強化、支援することで効率的に基礎研究の成果を国民に還元することが可能となる。
- 第1期では基盤整備が主たる目的であったが、第2期においては研究費部分を拡充し、研究者、拠点が成功体験を積み、効率的・効果的な支援が行えるようになった。第3期では拠点以外の機関、そこに所属する研究者が拠点のリソース等を活用し成功体験を積むことで橋渡し研究の考え方を理解し、全国裾野まで効果的・効率的な研究開発のノウハウが波及することが期待される。
- 医療法に基づく臨床研究中核病院が創設されたことにより、厚生労働省によって整備が進められた拠点との連携を強化し、基礎研究から実用化まで一貫して支援する体制が整備されつつある。シーズを研究開発のプロセスに沿って分類し、次の開発段階への移行を目標として進捗管理しているが、目標として企業への導出や厚生労働省拠点を活用した臨床研究事業への導出を目指したプロセスを進めることで、効果的・効率的な開発が期待される。また、この機会にさらに集中的な支援を行うことで、拠点や拠点以外の機関に埋もれている多数のシーズの発掘、支援をさらに促進する等により、オールジャパンで橋渡し研究を効率的に推進することが可能となる。

評価項目：計画・実施体制の妥当性

評価基準：目的の達成に向けて、効率的な研究を推進するための適切な実施計画と体制が形成され実施されているか

(プロジェクトマネジメントの体制整備状況、次の開発段階に進んだシーズ数)

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年目を目処に、事後評価については事業終了後に実施する。

【留意事項】

- 厚生労働省との積極的な連携が重要である。
- 非効率的な取組の中止等、的確な判断がなされる体制とすべきである。
- 適正な拠点の規模を維持するために必要な費用と収入の見通しを見極め、大学一丸となって計画的に進めていくことが必要である。
- 拠点共通で集約して持つべき機能と、拠点毎に持つ必要がある機能を効率性の観点から見極めることが必要である。
- AMEDの他事業ともうまく役割分担・連携できる体制としていく必要がある。

感染症研究革新イニシアティブ

平成29～38年度 概算要求予定額：調整中

概要

- 西アフリカで感染が拡大したエボラ出血熱や、中南米を中心に小頭症児との関連で問題となっているジカウイルス感染症、近年世界的に脅威を拡大している薬剤耐性等は、国際社会に大きな衝撃と不安を与え、その対策が迫られている。
- 国際的に脅威となる感染症対策関係会議において「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」（平成28年2月）や「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」（平成28年4月）を策定し、感染症研究や感染症人材育成の強化の必要性を指摘。G7伊勢志摩サミットにおいても対策強化の宣言がなされている。
- これらの指摘を踏まえ、感染症の革新的な医薬品の創出を図るため、大学等の多様な領域の研究者が分野横断的に連携し、病原性の高い病原体等に関する人材育成や創薬シーズの標的探索研究等を行う。

多様な領域の研究者で構成されるネットワークの構築

医学、薬学、獣医学、農学等の領域の研究者に加え、構造生物学やイメージング、バイオインフォマティクスなど他領域の研究者が分野横断的に連携して研究を推進することにより、新たなブレークスルーを生み出す。

エボラ出血熱等の病原性の高い感染症に関する研究

エボラ出血熱等の病原性の高い感染症について、新たな創薬へとつながるウイルス蛋白の構造と機能、ウイルスゲノムの構造と機能、ウイルス生活環、感染増殖系等の研究を推進。



エボラウイルス
(国立感染症研究所提供)

研究領域の例

創薬の標的探索のための病原体－宿主因子の相互作用及び感製制御機構等の研究

病原体と細胞内オルガネラとの相互作用、細胞内での増殖などの感染成立過程に着目した研究、また病原体の病原性発現機序を標的とした新規創薬開発に向けた探索研究を推進。

感染症創薬研究等の基盤となる新規技術の開発のための研究

感染症の基礎研究及び治療薬等の開発のためのブレークスルーとなりうるイノベーションを伴う基盤技術となる感染症モデル動物、新規微生物培養系、インシリコによるバーチャルスクリーニング法等の開発のための研究を推進。

宿主の防御機構を回避する感染症成立の分子機構に関する研究

宿主の多様な感染防御機構を回避して成立する感染病態の分子基盤の解明により新たな治療標的の開拓につなげる研究を推進。また分野横断的な連携により新たなブレークスルーについても推進。

病原性の高い病原体を扱う研究者等の人材育成

国内で実施できない研究を海外の施設を利用し、人材育成を行うためのプログラムを設定。

リサーチマインドを持った感染症専門医の育成

微生物学研究に従事する医師を確保するため、リサーチマインドを持った感染症専門医を育成するためのプログラムを設定。

人材育成の例

連携

新興・再興感染症に対する革新的な医薬品等開発推進研究事業

感染症研究国際展開戦略プログラム(J-GRID)

AMED他事業(創薬支援ネットワーク等)

国立感染症研究所

感染症関連学会

国際研究機関

製薬企業

- ・我が国の感染症基礎研究水準の全体的な向上
- ・日本発の画期的な創薬の開発
- ・感染症危機管理体制の強化
- ・国際社会への持続的貢献

事前評価票

(平成28年8月現在)

1. 課題名 感染症研究革新イニシアティブ

2. 開発・事業期間 平成29年度～平成38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、疾病領域ごと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。

【背景】

現在でも世界中で三大感染症の死者は年間300万人を越え、さらにエボラ出血熱等の新興感染症が世界的に猛威をふるい、国際社会に大きな衝撃を与えている。抗菌薬に耐性を持つ薬剤耐性（AMR）微生物の脅威も世界的に拡大している状況にある。

こうした中で、本年5月のG7伊勢志摩サミットにおいて感染症対策の強化宣言が出され、我が国では「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」（平成28年2月国際的に脅威となる感染症対策関係閣僚会議決定）、「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」（平成28年4月同会議決定）が策定され、感染症研究や感染症人材育成を強化すべきとの指摘がなされている。

これまでも様々な事業を通じて感染症研究が推進されてきたが、感染症研究には以下のような課題がある。

- ・これまでの研究は、国内に蔓延又は蔓延リスクが高い感染症を主な対象として進めてきたが、様々な感染症の地政学的リスクが増大している。
- ・AMR微生物に対応した医薬品のニーズは高いものの、科学的には新規標的のシーズ枯渇、製薬企業の抗菌薬からの撤退という事態に直面しており、産学連携により革新的な医薬品の開発が期待される。
- ・感染症研究を推進する上で、多様なバックグラウンドの研究者の確保が重要であるが、とりわけ、医学部の微生物学関連教室では人材の不足が深刻化しており、人材確保を図ることが急務となっている。

【実施内容】

上記の課題の解決を目指し、感染症の革新的な医薬品の創出を図るため、大学等の多様な領域の研究者が分野横断的に連携し、危険性の高い病原体やAMR微生物をはじめ

とする様々な病原体に関して、感染症の病態メカニズムの根本的解明等による創薬シーズの探索研究や人材育成等を図る。

事業の実施に当たっては、日本医療研究開発機構（以下「AMED」）において、各省連携プロジェクト（健康・医療戦略推進本部決定）の「新興・再興感染症制御プロジェクト」の一事業と位置付けることとし、現行の事業との役割分担と連携に留意する。

4. 各観点からの評価

（１）必要性

世界的に各種感染症が未だに死因の上位を占め、グローバル化の進展等に伴い、先進国においても感染症の脅威が高まるとともにAMR微生物の出現と蔓延が深刻化している。

このような中、国際的に脅威となる感染症対策についてはその効果的かつ総合的な推進を図るため、平成27年9月に内閣総理大臣が主宰する「国際的に脅威となる感染症対策関係閣僚会議」が設置され、「国際的に脅威となる感染症対策の強化に対する基本方針」が決定され、「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」の策定に至った。

また、平成27年5月の世界保健機関総会において、AMRの世界行動計画が採択され、その取組を関係省庁が一体となって進めるため、「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」の策定に至った。

これら計画において、国際感染症等対応人材として大学における感染症に関する人材育成の推進、危険性の高い病原体等の感染症関係の研究開発の推進、薬剤耐性（AMR）対策として新しい機序の抗微生物薬の研究開発等を進めることとしている。

また、「健康・医療戦略」（平成26年7月22日閣議決定）や「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）に感染症対策の取組が掲げられ、これらの施策方針に基づいた各省連携プロジェクト（健康・医療戦略推進本部決定）の一つとして「新興・再興感染症制御プロジェクト」を定めるなど、政府としても感染症対策強化を重要なものとして位置付け、関係府省で連携しながら目指しているところである。

以上により、本事業は政策的に意義があり、AMEDの「新興・再興感染症制御プロジェクト」の一事業として実施することが必要と評価できる。

評価項目

政策的意義（政府方針等に基づいたものか）

評価基準

健康・医療戦略、医療分野研究開発推進計画、国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画等の政府方針に合致するか。

（２）有効性

エボラウイルス等の病原性の高い病原体等の取り扱いに精通した人材については、高度な安全設備を備えた実験施設において十分な研修を積むことが必要であり、計画的に人材育成を進めていくことが重要となっている。「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」にもその重要性が明示されており、本事業では必要な人材の育成が期待できる。

また、感染症の臨床の現場では、宿主によって症状の程度に大きな差がみられるが、疾

患感受性に関する研究は十分に行われておらず、若い世代の感染症専門医がリサーチマインドを持ち、宿主と病原体の相互作用に関する研究に取り組むことが望まれており、本事業ではそのような人材の育成についても期待できる。

さらに病原性の高い病原体やAMR等の様々な病原体の感染原理及びそれらが引き起こす免疫応答や疾患形成機序の解明を通じて、革新的な新規感染症治療法の開発へとつながる基礎的・探索的研究を推進し国際的に貢献できる成果の創出が期待できる。

また、幅広い病原体や感染症を対象とし多様性を確保するとともに、微生物学分野だけではなく、免疫学や分子生物学などの生命科学、さらには工学、情報科学などの多様な領域の研究者が参入し、分野横断的に連携することで新たなブレークスルーを生み出すことが期待できる。

以上により、本事業は人材の養成や研究の発展に貢献できることが期待されることから有効であると評価できる。

評価項目：

新しい知の創出への貢献、人材の養成

評価基準：

本分野の研究を強化することで画期的な感染症の創薬シーズを創出することができたか、次世代の感染症研究を担う優秀な若手研究者の養成できたか。

(3) 効率性

本事業は、各省連携プロジェクト（健康・医療戦略推進本部決定）の「新興・再興感染症制御プロジェクト」の一つとして、AMEDの下、プログラムディレクター（PD）、プログラムスーパーバイザー（PS）及びプログラムオフィサー（PO）による統括的管理体制の下で事業の運営を行うこととしている。

PD/PS/POと協力し、事業が機動的かつ円滑に運営されるように、サポート機関（仮称）の設置も検討しており、本事業に参加する研究者が領域を超えて一同に会し、異分野交流が進められるようにシンポジウムや成果発表会の開催、若手研究者の人材育成等を目的とした研修会の開催、本事業に関係する研究機関、関係学会、製薬企業等との連携体制の構築等を図ることとしている。

また、革新的な成果の創出を実現するためには、裾野を広げて良質なシーズ探索研究に数多くの研究グループが取り組むことが求められているため、過度に重点配分をするのではなく、研究の幅が広がるように考慮することとしている。

以上により、本事業は効率的・効果的な研究推進と、成果創出に向けた体制が構築されると期待できる。

評価項目：

計画・実施体制の妥当性

評価基準：

目標達成に向けて、効率的・効果的な研究が推進できる計画・実地体制が構築されてい

るか。

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。中間評価及び事後評価においては、研究開始時点で研究者が策定した研究計画に沿って研究が進捗しているかを厳格に評価し、研究の中途段階においても、進捗が著しく遅滞している場合には、研究費を打ち切ることも考慮する。

【留意事項】

本事業は病原微生物を取り扱うものであることから、バイオセーフティー等に係る関係法案や指針等に遵守し倫理面への配慮を行う。