

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

平成24年8月

科学技術・学術審議会

研究計画・評価分科会

目次

- 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 1

<事前評価>

- 再生医療実現拠点ネットワークプログラム 2
- オーダーメイド医療の実現化プロジェクト(第Ⅲ期) . . . 7
- 感染症研究ネットワーク推進プログラム 10
- 次世代がん研究戦略推進プロジェクト 13

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

(50音順)

| | |
|-----------|--|
| 飯 島 貞 代 | 株式会社三菱ケミカルホールディングス ヘルスケアソリューション室部長 三菱化学フェロー |
| 磯 貝 彰 | 奈良先端科学技術大学院大学長 |
| 小 幡 裕 一 | 理化学研究所バイオリソースセンター長 |
| 甲 斐 知恵子 | 東京大学医科学研究所教授 |
| 鎌 谷 直 之 | 株式会社スタージェン情報解析研究所長 |
| 桐 野 高 明 | 独立行政法人国立病院機構理事長 |
| 小 安 重 夫 | 慶應義塾大学医学部教授 |
| 笹 井 芳 樹 | 理化学研究所発生・再生科学総合研究センター グループディレクター |
| 定 藤 規 弘 | 自然科学研究機構生理学研究所教授 |
| 末 松 誠 | 慶應義塾大学医学部長 |
| 高 井 義 美 | 神戸大学大学院医学研究科教授 |
| 高 木 俊 明 | テルモ株式会社 取締役上席執行役員 研究開発本部統轄 |
| 高 木 利 久 | 東京大学大学院新領域創成科学研究科教授 |
| 知 野 恵 子 | 読売新聞東京本社編集局編集委員 |
| 月 田 早智子 | 大阪大学大学院生命機能研究科教授 |
| ◎ 永 井 良 三 | 自治医科大学学長 |
| 長 洲 毅 志 | エーザイ株式会社理事・CSO 付担当部長 |
| 中 村 清 吾 | 昭和大学医学部教授 |
| 成 宮 周 | 京都大学大学院医学研究科教授 |
| 若 槻 壮 市 | 高エネルギー加速器研究機構物質構造科学研究所副所長 |

◎：主査

平成24年6月13日現在

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

政策

【日本再生戦略(平成24年7月31日閣議決定)】

○Ⅳ. 日本再生のための具体策 [ライフ成長戦略]
 再生医療については、世界に先駆けて本格的に実用化することにより、世界的に優位な産業として成長させるため、10年程度で世界最先端のiPS細胞等の安全性や標準化の確立を目指す研究に対して、成果や進捗状況等を踏まえた集中的な支援を行うなど、早期にできる限り多くの実用化の成功事例創出に取り組む。

○日本再生に向けた改革工程表 I 環境の変化に対応した新産業・新市場の創出～ライフ成長戦略～(1)再生医療再生医療の研究開発から実用化までの一貫した支援体制の構築(再生医療の実現化ハイウェイ構想等)
 ・臨床研究への順次移行(体性幹細胞は2013年度まで、iPS/ES細胞は2017年度まで)
 ・iPS細胞等の安全性や標準化の確立を目指す研究に対する集中的支援
 ・評価手法・装置等の基準作成、国際標準取得支援強化

その他、「医療イノベーション5か年戦略」(平成24年6月)、「第4期科学技術基本計画」(平成23年8月)等でも重点的な柱として位置づけ

概要

○京都大学山中教授により樹立されたiPS細胞は、再生医療・疾患研究等に幅広く活用されることが期待される我が国発の画期的成果。
 ○世界に先駆けて、iPS細胞等を用いた再生医療を実現するために、京都大学iPS細胞研究所の誇る世界最高水準の基礎研究能力を最大限に活かし、**拠点機能強化及びネットワーク化**をオールジャパン体制で推進。

1. iPS細胞研究中核拠点

臨床応用を見据えた安全性・標準化に関する研究等を実施

- iPS細胞の初期化の分子機構や特性の解明
 - 樹立や培養等のiPS細胞技術の標準化
 - 臨床応用に向けてのiPS細胞の安全性の確立
- 再生医療用iPS細胞ストックを構築
- 再生医療グレードのiPS細胞ストックの構築

2. 疾患・組織別実用化研究拠点

疾患・組織別に責任を持って再生医療の実現を目指す研究体制を構築

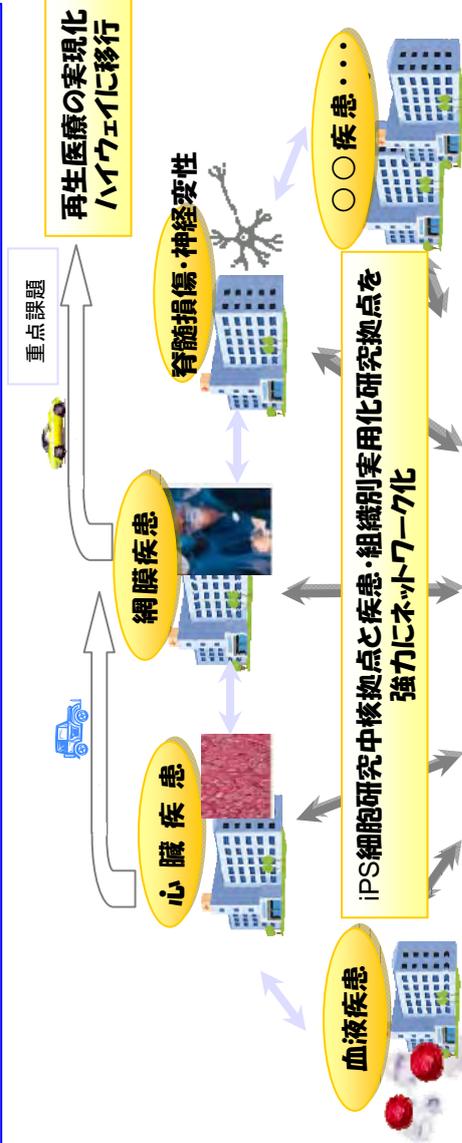
- 目的細胞への分化誘導法確立 ■幹細胞操作・応用技術開発
- 分化細胞の安全性評価 ■立体内組織培養技術の開発
- 移植方法の最適化 ■知財関係の包括的支援 ■知財人材の育成

3. 再生医療の実現化ハイウェイ

再生医療のいち早い実現のため、関係省庁が連続的に再生医療研究を支援。疾患・組織別拠点と連携しさらに加速。

4. 疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究

疾患特異的iPS細胞を用いて疾患発症機構の解明、創薬研究等を実施



世界最高水準の基礎研究能力を最大限に活かし、安全かつ標準的な再生医療用iPS細胞を確立

10年程度の長期かつ集中的支援
 ○iPS細胞ストックの整備
 ○初期化メカニズムの解明等



オールジャパン体制で世界に先駆けて再生医療を実現!

事前評価票

(平成24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 |
| 2. 開発・事業期間 平成25年度～平成34年度 |
| 3. 課題概要 ＜概要＞ iPS細胞は、再生医療・疾患研究等に幅広く活用されることが期待される我が国発の画期的成果であり、この研究成果を総力を挙げ育てていくため、オールジャパン体制のもと戦略的に幹細胞・再生医学研究を推進する。 再生医療の実現化プロジェクトは、平成15年度から実施されており、本年度に第Ⅱ期（平成20年度から平成24年度）の終了を迎える。平成25年度からは、これまでの支援の成果である世界最高水準の基礎研究能力を最大限に活かし、安全かつ標準的な再生医療用iPS細胞の確立及び再生医療用iPS細胞ストックの構築を実施するとともに、疾患・組織別に再生医療の実現化まで責任を持って研究を実施する拠点を整備する。 なお、平成23年度から再生医療のいち早い実現化のため、関係省庁が連続的に支援を実施することが可能な仕組みを構築し、長期間（10～15年間）、研究開発を支援・橋渡しすることを目指す「再生医療の実現化ハイウェイ」を実施している。平成25年度から疾患・組織別に再生医療の実現化を目指す拠点を整備することから、再生医療の実現化ハイウェイの既存課題のうち、特に実用化まで5～7年を見込んでいた課題については、必要に応じてこれらの拠点と連携を取ることでより実用化に向けて更なる加速を行うとともに、課題の実施により得られる知見、ノウハウ等を拠点に還元することにより拠点の機能強化に繋げる等、実施体制の強化を行う。 ＜平成25年度新規内容等＞ ○iPS細胞研究中核拠点整備 世界最高水準の基礎研究能力を活かし、初期化メカニズム解明等、より安全で効率的なiPS細胞樹立に資する基礎・基盤研究や再生医療用iPS細胞ストックの整備を実施する。 ○疾患・組織別実用化研究拠点整備 目的細胞への分化誘導、分化細胞の安全性評価、移植方法の最適化、幹細胞操作・応用技術開発、立体組織培養技術の開発、知財関係の包括的支援等を実施し、疾患・組織別に責任を持って再生医療の実現を目指す研究体制を構築する。また、「再生医療の実現化ハイウェイ」の既存課題とも必要に応じて連携をおこない、当該課題の実用化の加速を支援するとともに、課題から得られる情報を当該拠点の機能強化に繋げる。 |

4. 各観点からの評価

(1) 必要性

再生医療の実現化プロジェクトの第Ⅰ期では、移植用適用外さい帯血の研究用の提供開始、ヒト ES 細胞からの有用細胞の産生、脊髄損傷等のモデル動物の細胞移植治療成功等を通じ、我が国の再生医療研究の躍進に貢献した。これら研究の進捗と、平成 19 年 11 月の京都大学の山中伸弥教授らによるヒト iPS 細胞樹立を受け、これらの成果を効率的かつ迅速に国民へ還元することが重要である。

また、幹細胞・再生医学研究分野は世界的に激しい競争分野となっているが、京都大学 iPS 細胞研究所をはじめとする我が国の研究機関でこの 5 年間に生み出された成果は世界最高レベルにあるといえる。特に、iPS 細胞の安全性・標準化に関する研究については、山中教授を中心とするグループが現在も世界的に研究開発のイニシアティブを取っているといえる。しかし、欧米に加えて、アジアの研究新興国を含めた海外の猛追は激しく、その手綱を緩めてしまえば、日本の優位性が失われることになる。そこで、文部科学省として、厚生労働省、経済産業省と協働し、幹細胞・再生医学研究の着実な実施といち早い実用化に向けた取組の推進を行うことが重要である。その一つとして、標準化については一定の基準を作成できるようにする必要があり、更に第Ⅱ期の事後評価報告書においても、再生医療の実現化に向けては克服すべき、腫瘍化等に対する安全性や標準化の課題があり、安全性や標準化に関する解析、初期化の分子機構の解明等の基礎研究を加速するとともに、早期の再生医療の実現を目指して、機能別に臨床応用研究を実施する体制の構築が重要であると指摘されている。また、HLA ホモの iPS 細胞やオートグラフト（自家移植）であっても、免疫学的課題に配慮することが必要である。

以上を受けて、安全性や標準化の確立を担う iPS 細胞研究中核拠点および免疫学的課題の解決を含めた疾患・組織別に責任を持って再生医療の実現を推進する疾患・組織別実用化研究拠点を整備することが必要である。

さらには、政府の方針として、「日本再生戦略」（平成 24 年 7 月 31 日 閣議決定）のⅣ. 日本再生のための具体策 「ライフ成長戦略」において、再生医療については、世界に先駆けて本格的に実用化することにより、世界的に優位な産業として成長させるため、10 年程度で世界最先端の iPS 細胞等の安全性や標準化の確立を目指す研究に対して、成果や進捗状況等を踏まえた集中的な支援を行うなど、早期にできる限り多くの実用化の成功事例創出に取り組む。また、再生医療の開発・実用化に必要な装置等の周辺産業を含めた関連産業の国際競争力強化等の産業振興に資する取組を行う、とされている。

また、「医療イノベーション5か年戦略」（平成 24 年 6 月 6 日 医療イノベーション会議決定）において、臨床研究における幹細胞研究・開発の推進、安全性を確保した iPS 細胞等の実用化に向けた研究、iPS 細胞等を活用した難病治療法や創薬等に係る研究、研究用&臨床用バンク（日本の強みを活かした iPS 細胞ストック等）、バンクする細胞の規格・標準の確立等を推進する旨が記載されており、日本発の再生医療を実現し、世界的リーダーシップを獲得する、とされている。

また、第4期科学技術基本計画(平成 23 年 8 月 19 日 閣議決定)において、ライフイノベーションの推進が最重要政策課題に位置づけられ、iPS細胞による疾患細胞等を駆使し

た疾患・治療のメカニズムの解明や新規創薬ターゲットの探索、iPS 細胞、ES 細胞、体性幹細胞等の体内及び体外での細胞増殖・分化技術の開発が示されている。

「平成 25 年度科学技術重要施策アクションプラン」(平成 24 年 7 月 19 日 総合科学技術会議 科学技術イノベーション政策推進専門調査会決定)において、今後の医療応用において様々な可能性を秘めた再生医療技術については我が国が世界をリードできるポジションにあるという優位性を生かし、社会還元を促進するためのシステム改革を進めつつ研究開発を強力に推進し、早期実用化を目指すこととされている。

「今後の幹細胞・再生医学研究の在り方について」(平成 24 年 5 月 28 日 幹細胞・再生医学戦略作業部会決定)において、京都大学 iPS 細胞研究所を中心に、iPS 細胞の初期化メカニズムの解明などを徹底的におこない、その結果に立脚した高い安全性・分化能を有する iPS 細胞からなる臨床用「iPS 細胞ストック」を確立し、他機関へも提供できる体制を構築する。また、iPS 細胞の臨床応用を目指す機関は、疾患・組織毎に明確な実用化に向けたターゲットを定め、「iPS 細胞ストック」からの細胞等を用いて、研究開発を行う。その際、実用化に向けて必要となる課題を洗い出し、それを解決するための研究開発を行う、とされている。

なお、再生医療の実用化は日本発の新規治療法の創出が期待されるところであり、さらに推し進める必要がある。

(2) 有効性

○iPS 細胞中核研究拠点整備

iPS 細胞の再生医療への応用について、iPS 細胞由来網膜色素上皮細胞を用いた加齢黄斑変性症治療については平成 25 年度中に、また、重度心不全、脊髄損傷等の治療については 5 年程度で臨床研究へ移行することが見込まれているが、これらの着実な実施に向けては安全で効率的な iPS 細胞等の供給が重要であり、京都大学 iPS 細胞研究所を中心に基礎基盤的な研究体制を強化することで、これらが加速することと期待される。

○疾患・組織別実用化研究拠点整備

iPS 細胞等幹細胞を用いた再生医療について、疾患・組織別に責任を持って再生医療の実用化を目指す研究体制を構築することで、臨床応用が加速されることが期待される。また、疾患・組織別拠点との連携により「再生医療の実現化ハイウェイ実施課題」についても、実用化に向けて加速されることが期待される。

(3) 効率性

・本事業については、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及び幹細胞・再生医学戦略作業部会における議論等を踏まえ、「再生医療の実現化ハイウェイ」「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」、厚生労働省「再生医療実用化研究事業」、経済産業省「幹細胞産業応用促進基盤技術開発」等、他の関連施策との役割分担を明確にしつつ、拠点による取組と個別課題による取組を有機的に連携させることとしている。

・機関別の拠点ではなく、機能別に臨床応用研究を実施する体制を構築することで、

拠点が責任を持って再生医療の実現に向けた研究を効率的に推進することが可能になると考えられる。

5. 総合評価

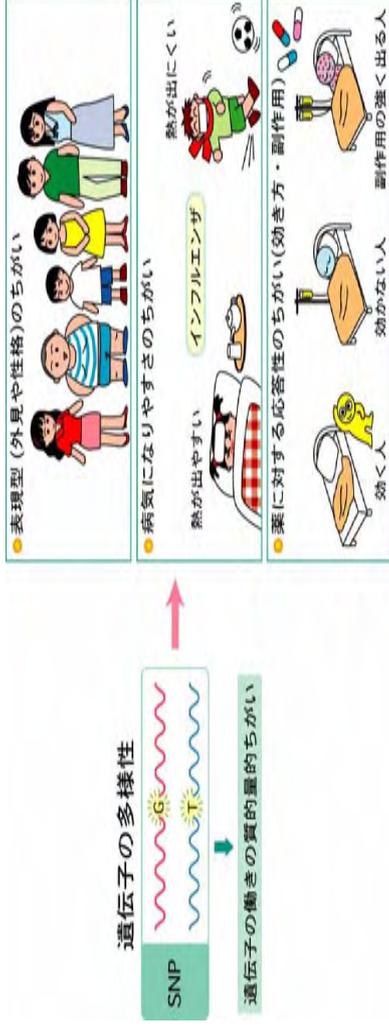
iPS 細胞研究は日本発の画期的成果である。その世界的な競争力を生かし、難病・生活習慣病等に対するこれまでの医療を根本的に変革する可能性のある再生医療を実現化するために、本プロジェクトを推進する必要がある。再生医療の恩恵を国民に還元するためにも、これまでの研究成果を踏まえた更なる研究・開発を加速することが必要である。

また、幹細胞・再生医学研究の実施体制を機能的なものにするために、それぞれの拠点が連携してネットワーク化することが望ましいと考えられる。

オーダーメイド医療の実現プログラム

オーダーメイド医療とは

＜一部の遺伝子の違いが、個人の特徴に影響する＞



薬が効きやすい・効きにくいなど、医療に関する遺伝子がわかれば、それを事前に調べること
で、個人の体質にあった治療が選択できる。

＝オーダーメイド医療の実現

期待される成果

○オーダーメイド医療の実現による疾患の予防、副作用の回避、効果的な薬剤投与等により、我が国の急増する国民医療費の削減が期待される。

具体的取組

- 第1期プログラム (平成15～19年度) : 47疾患について、全国55病院から約20万人、約30万症例の血液サンプル、DNA、臨床情報等を収集し、世界最大規模のバイオバンクを構築。
- 第2期プログラム (平成20～24年度) :
 - ・第1期で構築したバイオバンクを活用し、個人の遺伝情報に応じたオーダーメイド医療の実現に向けた取組を実施。
 - ・糖尿病などの生活習慣病、肝炎などの発症リスクに関連する遺伝子の特定や副作用の個人差に関する研究を推進

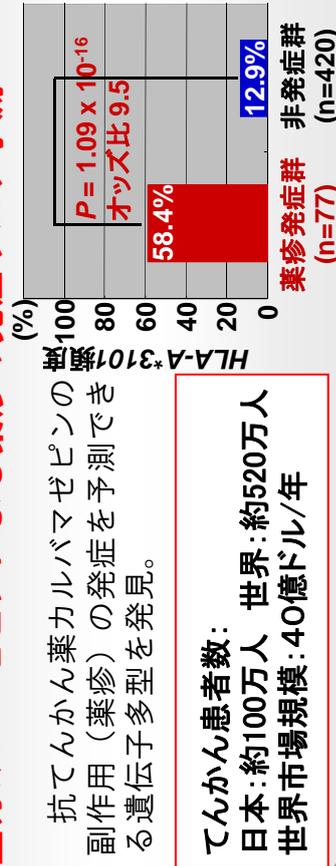
実施体制



がん・生活習慣病等の予防・治療の改善
副作用の少ない効率的な治療の実現
オーダーメイド医療の実現へ

波及効果と成果の例

■カルバマゼピンによる薬疹の発症リスク予測



事前評価票

(平成24年8月現在)

| | |
|-------------|---|
| 1. 課題名 | オーダーメイド医療の実現プログラム（第Ⅲ期） |
| 2. 開発・事業期間 | 平成25年度～平成29年度 |
| 3. 課題概要 | <p>本プロジェクトは、遺伝情報を基に個人個人に適合した診断・治療・予防を可能とする医療（オーダーメイド医療）の実現に向けた取組を行うことを目的としている。</p> <p>具体的には</p> <ol style="list-style-type: none">① 本プロジェクトの第1、2期に構築したデータおよび資源を円滑に最大限活用し、対象疾患の患者の血清、臨床情報、予後情報を継続収集するとともに、新たに生活習慣情報の収集を行い、バイオバンクの安定した維持・運営を図る。② 疾患関連遺伝子や薬剤応答性遺伝子の同定並びに疾患SNP解析データベースの構築により、新しい診断・治療・予防への展開を図り、オーダーメイド医療の医療現場への導入を目指す。 |
| 4. 各観点からの評価 | <p>(1) 必要性</p> <ul style="list-style-type: none">● 平成23年8月に「第4期科学技術基本計画」が閣議決定され、その重要課題の一つとして、生活習慣病などに対する革新的な予防法の開発が挙げられており、「国民の健康状態を長期間追跡し、食などの生活習慣や生活環境の影響を調査するとともに、臨床データ、メタボローム、ゲノム配列の解析等の疾患ゲノムコホート研究を推進し、生活習慣病等の発症と進行の仕組みを解明することで、客観的根拠(エビデンス)に基づいた予防法の確立を目指す」こととしている。● 平成23年6月に医療イノベーション会議がまとめた「医療イノベーション推進の基本的方針」においても、医療分野が今後の我が国の経済成長を担う新しい成長産業に育つことを目指すための4つの重点分野の一つとして、「個別化医療」があげられており、個別化医療実現への期待が寄せられている。● 内閣官房医療イノベーション会議が取りまとめた「医療イノベーション5か年戦略」(平成24年6月)においては、個別化医療推進のためのインフラ整備として、これまで20万人の患者の検体を収集したバイオバンクジャパンを活用し、個別化医療の実現に向けた研究開発を推進することとしている。● 文部科学省では、平成23年度より「東北メディカル・メガバンク計画」を推進しており、平成24年5月に行われた東北メディカル・メガバンク計画検討会で示された提言書案では、「将来的に個別化医療等の次世代医療を実現するためには、疾患コホートによって疾患連遺伝子候補を同定し、次に住民コホートでその疾患関連遺伝子候補と環境要因の相互作用を解明するという、それぞれの特徴を活かした役割分担に基づいて両者が推進されるような我が国全体のコ |

ホート研究のグランドデザインが必要となる」と指摘されている。

- 本プロジェクトで培った「20万人、30万症例、47疾患」の患者試料や、5万人を超えるゲノムワイドSNPタイピングを実施し、350億SNP情報の取得、新規の186個の疾患感受性遺伝子・薬剤関連遺伝子を同定した実績や、今後立ち上がる住民コホートとの連携等は、わが国において「個別化医療」や「先制医療」を推進するためにも必要・不可欠な基盤であり研究である。今後、更なるバイオバンクジャパンの活用や他の研究機関・大学・ナショナルセンターにおけるバイオ事業との役割分担・連携について第3期開始前に検討する必要がある。

(2) 有効性

- 本プロジェクトの「バイオバンク・ジャパン」では、約10年間に渡り収集され保管されている検体・試料は、我が国において、遺伝情報を用いた新しい「個別化医療」や「先制医療」を実現する研究の推進に必要な研究基盤として、重要な資産である。
- また、個別の全ゲノム解析という新時代に入り、疾患遺伝子解析は一層盛んになることが予想される。この新時代に向けて、理研ゲノムセンターが中心になって行ってきた遺伝子解析の実績は、十分に活用されるものと認識される。

(3) 効率性

- 既に保管されている検体試料等を用いながら研究を実施することから、効率性は担保できる。
- また、「東北メディカル・メガバンク」等の住民コホートでは、5年～数10年経過しないと、対象集団の中から解析に必要な数の患者が出てこないと思われる。つまり、その時期にならないと、疾患関連遺伝子解析はできないこととなるが、本プロジェクトと連携して、本プロジェクトで解析された疾患関連遺伝子結果を用いることで、早期に「介入研究」や「候補遺伝子-環境交互作用の解析」が可能となる。これにより、住民コホートだけでは10年以上待たないと出てこない成果を、早期に得ることが可能となるなどの有効性・効率性が期待される。

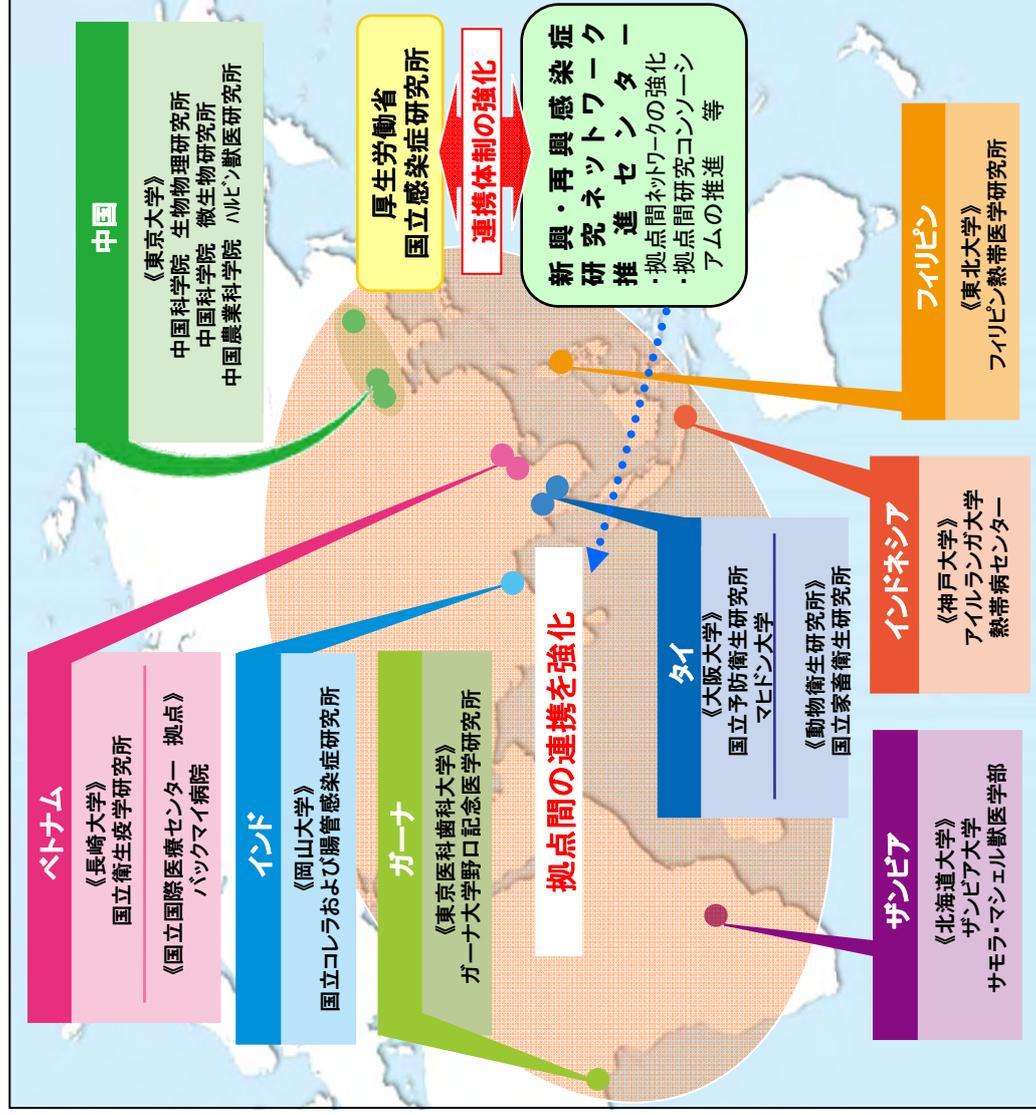
5. 総合評価

- 本プロジェクトは、世界最大規模の患者試料バンクとして我が国が誇るべき研究基盤であり、第Ⅲ期も継続させる必要がある。これに際し、以下の点等をはじめとして具体的な計画を早期に検討する必要がある。
 - ・ バイオバンクを長期間維持させる仕組み
 - ・ 今後のゲノム解析の技術改革に適応した遺伝子解析の方向性
 - ・ 住民コホート研究を始めとした他のコホート研究との連携
 - ・ 外部研究者との共同研究を拡充させる方策

感染症研究国際ネットワーク推進プログラム

概要

- 第1期プログラム（平成17～21年度）において、新型インフルエンザやSARSなどの新興・再興感染症について、アジア・アフリカ8ヶ国に海外研究拠点を整備し、各拠点で研究を実施した。
- 第2期ではこれらの拠点を活用し、感染症対策に資する研究開発を実施し、基礎的知見の集積や人材育成等を図るとともに、**拠点間の共同研究を推進し、連携を強化**する。
- 新興・再興感染症研究ネットワーク推進センターにおいて、**国内外の感染症研究に関する情報の集約・展開**を図る。
- 国内外関係機関（厚生労働省、国立感染症研究所、WHO等）との連携**を強化する。
- これら取組を通じ、アジア・アフリカ各国に対する**戦略的な外交政策の主要なツールとして活用**（科学技術外交）。



事前評価票

(平成24年8月現在)

| |
|--|
| 1. 課題名 感染症研究国際ネットワーク推進プログラム |
| 2. 開発・事業期間 平成22年度～平成26年度 |
| 3. 課題概要 〈概要〉 本プログラムは、国内での感染症研究だけでなく、感染症が発症した海外現地において研究が可能な体制整備と人材育成を目的に、海外研究拠点を設置し、これらの拠点を活用して、我が国及び研究相手国の基礎的知見の集積、双方の感染症研究のレベルアップを目指すとともに、各国の研究拠点の横のつながりを念頭に置いた研究を行うこととしている。 平成17～21年度までの第Ⅰ期においては、国内の大学（北海道大学、東北大学、東京大学、東京医科歯科大学、大阪大学、神戸大学、岡山大学、長崎大学）や国立国際医療研究センター、動物衛生研究所が、8カ国（タイ、ベトナム、中国、インドネシア、フィリピン、インド、ザンビア、ガーナ）に計12カ所の研究拠点を開設し、各研究機関等の協力を保ちつつ、広い領域の専門家が一体となって現地研究者・専門家と共に研究を進める体制を構築した。 平成22年度からの第Ⅱ期プログラムにおいては、この感染症研究拠点を充実・強化することにより、持続的な研究活動を進める基盤を確立し、また、国内外の他機関との連携を深めつつ、基礎研究、臨床研究、応用研究を継続的に進め、我が国及び相手国における知見、技術の集積、人材育成等を図ることにより、国際貢献を果たしつつ、国民の健康と安全を守ることに寄与する。 第1期プログラム開始以来7年が経過し、各拠点における設備に老朽化が目立っており、事業の継続のためには更新が必要である。また、世界の感染症及び感染症研究の実態の動向を調査し、拠点整備の空白地である中南米地域を中心として今後の研究拠点の整備の必要性等の検討に資する。 |
| 4. 各観点からの評価 (1) 必要性 ○総合科学技術会議においてとりまとめられた「科学技術外交の強化に向けて」（平成20年5月19日）において、現行プログラムは、科学技術外交を推進するために取り組むべき施策として取り上げられており、ODA等のわが国の支援で整備された各国・地域の拠点等を活用・設備の充実を図り、開発途上国のニーズに応じた共同研究や人材育成を実施することとされている。 ○「第4期科学技術基本計画」（平成23年8月閣議決定）において、重要課題達成 |

のための施策推進として、地球規模問題である新興・再興感染症について、病原体の把握、予防、診断、治療に関する研究開発を推進し、得られた成果の国内外への普及と展開を促進するとともに、課題への対応に向けた国際社会の合意形成を先導することとしている。

(2) 有効性

本プログラムを強化する主な有効性は、以下のとおりである。

- 新興・再興感染症研究拠点では、日本国内では入手できない、研究に必要な検体、動植物や生活する人々の疫学的な情報の取得、また相手国の患者をターゲットとした臨床研究などの協力によって可能となる診断法やワクチン等の技術開発が進められており、我が国及び相手国にとって有効である。
- ウイルス等の病原体は、生き物のように伝播とともに、人への感染能力や高病原性といった、新たな能力を変異により獲得し、再興することもあり得ることから、本取組のように新興・再興感染症研究拠点設置国において、日本及び相手国の人材を育成していくことは有効である。
- 今後とも、我が国及び相手国の国民の安全と繁栄を確保するとともに、国際社会全体の平和及び安定と繁栄の確保に寄与し、地域や世界の共通利益の実現のため、積極的に国際社会に主張し、リーダーシップを発揮する外交を展開していく上で、科学技術外交の観点から有効である。

(3) 効率性

本プログラムを強化する主な効率性は、以下のとおりである。

- 我が国の支援で整備された各国・地域の拠点等を、新興・再興感染症研究拠点として活用しつつ、日本国内では入手できない研究に必要な検体や疫学的な情報の取得、動物への先回り調査、診断技術や治療法開発のための現地の患者をターゲットとした臨床研究等を行うことができる。このことによって、感染症における知見、技術の集積、人材育成等を図ることにより、我が国の国民の健康と安全を守ることにも寄与するという観点から効率的である。
- また、海外に研究拠点を形成することで、日本にはない病原体について相手国研究機関と共同研究することができ、万が一我が国へ侵入した際に速やかに効率の良い対処を可能にすることができるとともに、相手国研究者の技術向上にもつながり、ひいては科学技術外交として多大な貢献を果すという観点からも効率的である。

5. 総合評価

各拠点における設備の更新及び世界の感染症及び感染症研究の実態の動向を調査を実施することは適切である。

国際社会でのリーダーシップを確立するためにも、科学技術外交の一環として本施策を推進する必要がある。

次世代がん研究戦略推進プロジェクト

背景・課題

- がんは**日本国民の最大の死亡原因**。現在では3人に1人、近い将来国民の半数が、がんにより死亡すると予測。
- 国内の基礎的がん研究の優れた成果が、バイオベンチャーの不在等により、次世代がん医療の開発に生かされないうち、①日本発の医薬品が上市されず欧米企業の医薬品が世界市場を席巻し、②日米の基礎研究に対する公的投資の格差が拡大しており、**研究開発の失速、研究人材の散逸、国際競争力の低下、がん克服に向けた展望の途絶などが懸念。**

概要・実施体制

次世代がん医療創生研究HQ

- ・研究方針の決定
- ・プログラム全体の進捗管理
- ・国内外のがん研究動向調査
- ・利害関係者を含めた会議の開催
- ・各チームが共有する研究支援基盤の整備等を実施

革新的がん医療シーズ育成グループ

例：革新的な新規分子標的
→分子標的としての有用性の確認、これに対する阻害剤等の化合物の探索、実験動物の機能解析系における検証等の一連の過程を一体的に推進する複数のチームを結成

がん臨床シーズ育成グループ

例：新規バイオマーカー
→ヒトがん発生・進展の分子機構に対する深い洞察に基づき設定される幾つかの研究課題の下に、国内の臨床研究者を結集した複数のチームが、臨床研究の成果を選元した研究を推進

がん薬物療法の個別適正化プログラム

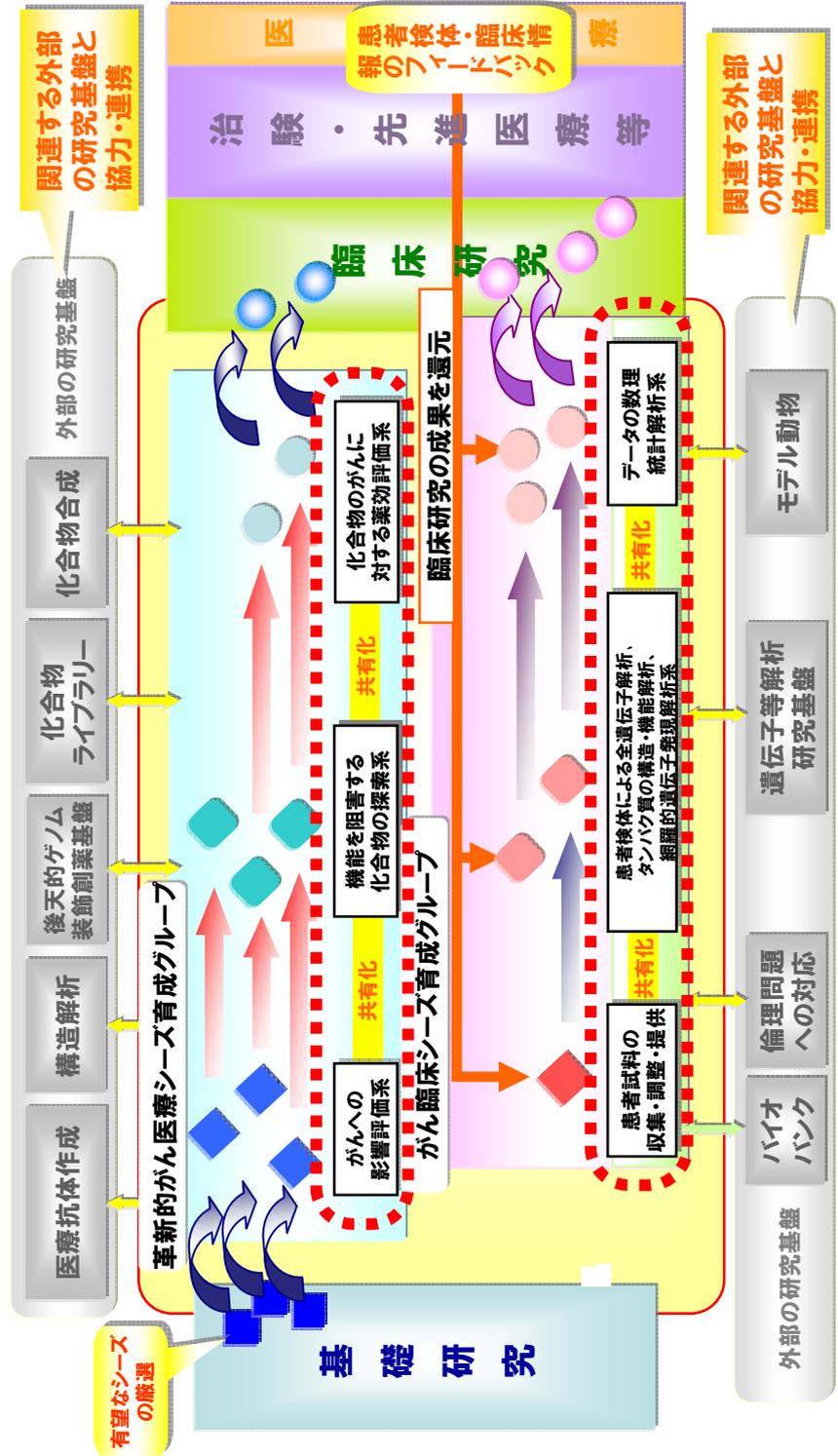
遺伝子の違いによる薬理作用の違いに関する研究の成果の臨床応用に向けた取組を推進

対応

- 限られた資源を社会的なニーズの高い、肺がん・肺がん・肝がんを初めとする難治がんに集約し、**世界をリードする研究領域・研究者へ戦略的に重点配分**
- **革新的な基礎研究の成果(有望シーズ)を厳選、戦略的に育成し、臨床研究へと研究を加速。**

目標
簡便、高精度かつ非侵襲な早期診断法の開発
再発・転移を抑える画期的な治療法の開発
革新的ながん根治療法の開発

次世代がん医療の実現



事前評価票（拡充）

（平成24年8月現在）

1. 課題名 次世代がん研究戦略推進プロジェクト

2. 開発・事業期間 平成23年度～平成27年度

3. 課題概要

日本国民の最大の死亡原因であるがんについては、平成15年7月に策定された「第3次対がん10か年総合戦略」、平成19年4月に施行された「がん対策基本法」及び同法に基づき定められた「がん対策推進基本計画」（平成24年6月より第3期計画）により、がんの罹患率と死亡率の激減を目指した取組を推進してきた。

「がん対策推進基本計画」においては、がんの特性の理解とそれに基づく革新的がん診断・治療法の創出に向け、先端的生命科学をはじめとする優良な医療シーズ（研究開発に関する新たな発想や技術などをいう。）を生み出すがんの基礎研究への支援を一層強化するとともに、その基礎研究で得られた成果を臨床試験等へつなげるための研究などへの支援の拡充を図ることとされている。

このため、本事業では、これまで有望なシーズを輩出してきた「がん疫学・予防」や「発がん研究」などの有望な基礎研究の成果を、シームレスにTR（トランスレーショナル・リサーチ）に繋げる仕組みを構築し、がん対策に資する革新的な予防・診断・治療法を開発することで、医療イノベーションの推進やがん対策推進基本計画に寄与することを目指す。

具体的には、①プログラムのマネジメントや政策提言などを行う強力な「次世代がん医療創生研究ヘッドクォーター」の構築、②効率的かつ速やかにシーズを育成するため、基礎段階に近いシーズを育成する「革新的がん医療シーズ育成チーム」と、臨床段階において臨床情報や患者由来のサンプルの解析により得られる情報を基盤とした基礎研究の更なる発展を行う「がん臨床シーズ育成チーム」の結成、③これらのシーズ育成チーム内に、複数の研究領域を設定、④シーズの育成を支援する研究支援基盤の整備・共有化、などを実施する。

また、「がん薬物療法の個別適正化プログラム」において、個人の遺伝的背景に配慮した副作用・効果の予測や診断を可能とする医療の実現に向けて、ファーマコゲノミクス研究の成果を臨床応用するための取組を行う。

平成25年度は、本年6月に閣議決定された「がん対策推進基本計画」において、特に「難治性がん」「小児がん」を含めた希少がんについて、創薬等などの有効な診断・治療法を早期に開発し、実用化するための研究を推進する。また、ファーマコゲノミクス研究において、臨床応用段階に近い成果が生まれてきていることから、進捗に合わせた研究費の拡充を行う。

4. 各観点からの評価

(1) 必要性

これまで「第3次対がん10か年総合戦略」や「がん対策推進基本計画」に基づき、がん研究を推進してきたが、①日本発の医薬品が上市されず欧米企業の医薬品が世界市場を席卷し、結果として国民医療費が増大している、②日米の基礎研究に対する公的投資の格差が拡大しており、①の状況がさらに悪化しつつある、③中国、シンガポールにおいても年々研究投資が増加しており、我が国を凌駕するような勢いがある、等の現状となっている。これまでのがん研究の質の高さや国際競争力を維持・向上させ、医療イノベーションの推進に寄与するとともに、「がん対策推進基本計画」において、がんの特性の理解とそれに基づく革新的がん診断・治療法の創出に向け、先端的生命科学をはじめとする優良な医療シーズを生み出すがんの基礎研究への支援を一層強化するとともに、その基礎研究で得られた成果を臨床試験等へつなげるための研究などへの支援の拡充を図ることとされている。

また、平成24年6月に閣議決定された「医療イノベーション5か年戦略」においても、「がんに関する基礎研究から得られた我が国発の革新的なシーズについて、共有の研究支援基盤による効率的・効果的な育成を図り、臨床応用を目指した研究を加速する」こととされており、「がん対策推進基本計画」において新たに位置づけられた「小児がん」に対しても、更なる研究の推進が必要である。

現在のがん薬物療法では、薬剤投与後に問題が起きてから薬の種類や量を調整するという場当たりの対応をとらざるを得ないが、薬剤作用と個人のゲノム情報を結びつけるファーマコゲノミクスに基づき、個々の患者における薬剤の副作用リスクや効果を投与前に予測・診断することで、より安全で個々の患者に適切ながん薬物療法を行うことが可能になるとともに、薬剤の適正使用による国民医療費の削減も期待できる。「医療イノベーション5か年戦略」においても、「遺伝子（ゲノム）、後天的ゲノム修飾、核酸、タンパク質等の生体分子の機能・構造解析や薬剤動態解析等の技術開発により、個別化医療に資する医薬品・診断薬のシーズ発見につなげる」こととされており、研究を一層加速させる必要がある。

(2) 有効性

これまで、がん特定領域等の基盤的な研究により、一定の水準に到達したシーズが、既に多数創出されている。このため、これらの創出・集積されたシーズや集められた研究人材を散逸することなく、実用化に向けた次の段階の研究開発へとシームレスに移行することにより、これまで創出されてきた優れた基礎研究成果の実用化を加速することが可能となり、日本再生戦略や医療イノベーション5か年戦略やがん対策推進基本計画の実現に大きく貢献することができる。医療技術の実用化までの研究開発に要する期間を考慮すれば、このような取組は継続して実施されることが重要であり、そのためには、がん医療の発展に資する成果を上げたか否かについて、厳格な評価を

実施し、改善を図っていくことが必要となる。

(3) 効率性

本事業の実施に当たっては、

- ①研究方針の決定に際し、様々なステークホルダーの参画を得ることにより、真に必要とされる研究領域を設定
- ②設定された研究領域について、指定・公募により有望なシーズを有する基礎及び臨床の研究者から構成される真にポテンシャルの高いシーズ育成チームを構成
- ③複数のシーズ育成チームに共通して必要となる研究支援機能（阻害剤探索、プロテオーム解析等）を開かれた研究支援基盤として整備・共有化、及び基盤充実による研究の進展
- ④既存の研究基盤と連携し、有効に活用

として、効率的かつ研究目的を遂行させるための研究推進体制を構築してきたところである。加えて、このプロジェクトで育成されたシーズの企業への導出に向けて、産学連携支援企業とも提携し、取組を進めているところである。今後とも、このような点に関して、十分な配慮を行うことを期待する。

以上のような効果的かつ効率的な研究推進の仕組みを導入することにより、医療イノベーション5か年戦略に掲げられている、がん対策推進基本計画の実現、日本発の革新的な医薬品の研究開発が期待できる。

さらに、事業開始から3年目にあたる平成25年度には、プロジェクト全体及び個別の研究について評価するための評価委員会を設置し、その評価結果を踏まえ、各研究の次年度以降の重点化による研究費増額や中止などの措置も含めてその在り方検討することで、効率的な事業の実施を図る。

5. 総合評価

「難治性がん」「小児がん」を含めた希少がんについて、創薬等などの有効な診断・治療法を早期に開発し、実用化するための研究を推進することは適切である。

なお、実用化に向けた次の段階の研究開発へシームレスに移行できるか否かという点をきちんと分析を行なうとともに、優れたシーズに集中投資するなどのメリハリの利いた評価が重要である。