

事業名	<p>生命科学・創薬研究支援基盤事業（新規）</p> <p style="text-align: right;">令和4年度要求額：4,745百万円 （研究事業総額：未定） 研究事業期間：令和4年度～令和8年度</p>
------------	-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

※研究開発事業に関する評価については、科学技術・学術審議会等において、「国の研究開発評価に関する大綱的指針」等を踏まえ、事前評価が行われているため、当該評価をもって政策評価の事前評価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（武田憲昌）

【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 ライフサイエンス委員会

【審議会等メンバー】

別紙参照

【目標・指標】

○達成目標

幅広い分野のライフサイエンス研究発展に資する高度な技術や施設等の先端研究基盤を整備・維持・共用して支援に活用することにより、大学・研究機関等による基礎的研究成果の実用化を進めるとともに、医薬品研究開発に留まらないライフサイエンス研究全般の推進に貢献する。

○成果指標（アウトカム）

化合物提供の結果ヒット同定プロジェクト数、論文発表件数

○活動指標（アウトプット）

化合物提供件数、構造解析支援実施数、横断的な支援実施数

【費用対効果】

投入する予定の国費に対して、上記アウトプット及びアウトカムの結果が見込まれることから、投入額よりも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。

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②

令和 3 年 8 月

ライフサイエンス委員会

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（第11期）委員名簿

（敬称略、50音順）

有田 正規	国立遺伝学研究所教授
岡田 随象	大阪大学大学院医学系研究科遺伝統計学教授
加藤 忠史	順天堂大学精神医学教授
金倉 謙	一般社団法人住友病院院長
金田 安史	大阪大学理事・副学長
鎌谷 洋一郎	東京大学大学院新領域創成科学研究科教授
上村 みどり	帝人ファーマ株式会社生物医学総合研究所 上席研究員
木下 賢吾	東北大学大学院情報科学研究科教授 東北大学東北メディカル・メガバンク機構副機構長
熊ノ郷 淳	大阪大学大学院医学系研究科呼吸器・免疫アレルギー内科学教授
倉根 一郎	国立感染症研究所名誉所員
古関 明彦	理化学研究所 生命医科学研究センター副センター長
後藤 由季子	東京大学大学院薬学系研究科教授
鹿野 真弓	東京理科大学薬学部薬学科教授
鈴木 蘭美	フェアリングファーマ株式会社取締役 CEO
武部 貴則	東京医科歯科大学医学部統合研究機構教授
谷岡 寛子	一般社団法人日本医療機器産業連合会臨床評価委員会委員長、 京セラ株式会社メディカル事業部薬事臨床開発部責任者
辻 篤子	中部大学特任教授
豊島 陽子	東京大学大学院総合文化研究科特任研究員
中釜 斉	国立がん研究センター理事長
中村 幸夫	理化学研究所バイオリソース研究センター細胞材料開発室室長
○ 西田 栄介	理化学研究所生命機能科学研究センター長
畠 賢一郎	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング代表取締役
◎ 宮園 浩平	東京大学大学院医学系研究科教授
宮田 敏男	東北大学大学院医学系研究科教授
山本 晴子	医薬品医療機器総合機構医務管理監 理事長特任補佐

◎：主査 ○：主査代理

令和3年5月現在

生命科学・創薬研究支援基盤事業（仮称）の概要

1. 課題実施期間及び評価時期

令和4年度～令和8年度。

中間評価 令和6年度、事後評価 令和8年度（予定）

2. 研究開発概要・目的

平成24年度から平成28年度に実施していた創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業の「創薬等支援技術基盤プラットフォーム（PDIS）」の後継事業として平成29年度から5か年計画で開始した「創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム（BINDS）」は、創薬等に資する支援技術基盤（共用設備等）を整備し、積極的な外部共用や技術的な支援等を行うことで、アカデミアにおける創薬研究をはじめとする幅広い分野のライフサイエンス研究を推進してきた。令和4年度からは、モダリティの多様化や各種技術の高度化を踏まえた最先端の共用設備等の整備や研究領域を跨ぐ横断的な連携等に取り組む。

次期事業の主な取組は以下のとおり。

○共用設備等

- ・様々な医薬品開発のモダリティに対応した技術支援基盤として、ライブラリ・スクリーニング、医薬品合成化学・構造展開、ADMET評価、ペプチド・核酸・抗体等の生産など。
- ・創薬に限らない幅広いライフサイエンス研究に資する技術支援基盤として、タンパク質構造解析、イメージング・画像解析、遺伝子・タンパク質発現解析、トランスクリプトーム・プロテオーム・メタボローム解析、パスウェイ解析、生体・生体模倣評価・実験系（を用いた解析）、インシリコ解析、ビッグデータ活用など。

○研究領域を跨ぐ横断的な連携の取組

横断連携を前提とした研究開発課題を設定、非競争領域で企業とアカデミアが協働する産学連携の拡充、支援技術の自動化・遠隔化・DXの推進、感染症関連研究の支援・高度化の推進、創薬研究プラットフォームがアカデミアに整備されている状況を踏まえた構造ベース創薬研究（SBDD、FBDD）の強化など。

3. 予算（概算要求予定額）の総額

年度	R4（初年度）
概算要求予定額	調整中

4. その他

なし

事前評価票

(令和3年8月現在)

1. 課題名	生命科学・創薬研究支援基盤事業（仮称） (創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム (BINDS))
2. 開発・事業期間	令和4年度～令和8年度
3. 課題概要	<p>(1) 研究開発計画との関係</p> <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</p> <p>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、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）を中心に、オールジャパンでの医薬品創出・医療機器開発、革新的医療技術創出拠点の整備、再生医療やゲノム医療など世界最先端の医療の実現、がん、精神・神経疾患、新興・再興感染症や難病の克服に向けた研究開発などを着実に推進する。</p> <p>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。</p> <p>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>本課題が関係するアウトプット指標：化合物提供件数、構造解析支援実施数、横断的な支援実施数</p> <p>本課題が関係するアウトカム指標：化合物提供の結果ヒット同定PJ数、論文発表件数</p> <p>(2) 概要</p> <p>平成24年度から平成28年度に実施していた創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業の「創薬等支援技術基盤プラットフォーム事業 (PDIS)」の後継事業として平成29年度から5か年計画で開始した「創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム (BINDS)」は、創薬等に資する支援技術基盤（共用設備）を整備し、積極的な外部共用や技術的な支援等を行うことで、アカデミアにおける創薬研究をはじめとする幅広い分野のライフサイエンス研究を推進した。共用設備については、継続的に設備や技術の「高度化」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み、「支援」を通じて創薬等ライフサイエンス研究の推進に大きく貢献した。</p> <p>具体的には、欧米諸外国に比べて普及が遅れている最先端クライオ電子顕微鏡の整備の強化を図るとともに、国内ネットワークを構築し、国内の研究者がクライオ電子顕微鏡にアクセスしやすい環境を整備した。また、COVID-19への研究支援にも迅速に対応するため、感染症治療薬探索・評価基盤（<i>in vitro</i> 薬効評価支援）等を整備し、COVID-19関連の研究支援を実施した。さらに、国内のBSL3施設にハイエンドなクライオ電子顕微鏡、試料準備・作製システムの導入も進めた。</p>

一方、ニーズや進捗状況等に応じ、単独支援だけでなく研究領域を跨ぐ横断的な支援を柔軟に行うことが促進されるような体制や仕組みを検討すべきであるということがライフサイエンス委員会 基礎・横断研究戦略作業部会において指摘されている。次期事業では、事業全体の進捗を把握し、個々の支援課題の特性に応じた研究領域横断的な支援機能を強化することで、事業を効率的、効果的にマネジメントする体制とする。

さらに、創薬研究のみならず広くライフサイエンス研究全体の振興に貢献している実績やモダリティの多様化、各種技術の高度化を踏まえ、次のとおり、最先端の共用設備等の整備（維持及び更新を含む）と研究領域の横断的連携の取組について実施することとする。

○共用設備等

- ・ 様々な医薬品開発のモダリティに対応した技術支援基盤として、ライブラリ・スクリーニング、医薬品合成化学・構造展開、ADMET 評価、ペプチド・核酸・抗体等の生産など。
- ・ 創薬に限らない幅広いライフサイエンス研究に資する技術支援基盤として、タンパク質構造解析、イメージング・画像解析、遺伝子・タンパク質発現解析、トランスクリプトーム・プロテオーム・メタボローム解析、パスウェイ解析、生体・生体模倣評価・実験系（を用いた解析）、インシリコ解析、ビッグデータ活用など。

○研究領域を跨ぐ横断的な連携の取組

横断連携を前提とした研究開発課題の設定、非競争領域で企業とアカデミアが協働する産学連携の拡充、支援技術の自動化・遠隔化・DXの推進、感染症関連研究の支援・高度化の推進、創薬研究プラットフォームがアカデミアに整備されている状況を踏まえた構造ベース創薬研究（SBDD、FBDD）の強化など。

アカデミア創薬を実現させるために創薬標的探索や検証の支援機能を中心に共用設備等を整備し、研究領域横断的な支援のマネジメント強化により早期に企業導出へ誘導することや、AMEDの創薬関連事業などへつなぐことを目指す。

4. 各観点からの評価

（1）必要性

これまで BINDS では、放射光施設、クライオ電子顕微鏡、化合物ライブラリー、次世代シーケンサーなどの大型設備等を整備し、積極的な共用を行うとともに、構造解析、タンパク質生産、ケミカルシーズ・リード探索、構造展開、ゲノミクス解析、インシリコスクリーニングなどの技術を有する最先端研究者や臨床有用性評価（薬効・ADMET 評価）の専門家が支援する仕組みを構築してきた。

これらのライフサイエンスに係る基礎研究から創薬研究に資する先端的な研究支援基盤を整備・強化することは、我が国のライフサイエンスの発展や医薬品が継続的に創出される研究環境を構築するために今後も重要となる。

第6期「科学技術・イノベーション基本計画」（令和3年3月26日閣議決定）では、「医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進する」とされており、また、

「健康・医療戦略」（令和2年3月27日 閣議決定）では、「創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む」とされていることから、今後も継続的・戦略的にライフサイエンスに関する研究支援基盤を整備・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シーズの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、多数の課題に対し支援を実施できたか

評価指標：

有用な共用設備等の設置状況、支援実施件数（領域別に算出）

（2）有効性

これまでも BINDS により整備した最先端クライオ電子顕微鏡、化合物ライブラリーの拡充・スクリーニング技術、生体・生体模倣評価・実験系を用いた解析、遺伝子・タンパク質発現解析などにより、創薬標的探索や作用機序解明に向けた機能解析研究など創薬をはじめとするライフサイエンス研究の推進に大きく貢献してきた。また、近年、自動化などの技術の高度化によって、構造解析等を専門分野としていない研究者による共用設備等の利用が増えており、ライフサイエンス分野に革新的な研究成果をもたらしている。

次期事業も様々な専門分野の研究者による最先端の共用設備等を活用した研究支援を継続することで、ライフサイエンスの発展と応用展開に大いに貢献することが期待される。特に、次期事業において新たに導入を検討しているトランスクリプトーム・プロテオーム・メタボローム解析や、パスウェイ解析などの最先端技術は、創薬の実現可能性を高めることが期待される。

また、今後は事業内での研究領域横断的な支援を推進することを予定しており、複数領域に専門性を持つ人材育成につながることを期待される。さらに、企業研究者の参画による産学連携の取組の推進により、アカデミアの若手研究者に対しては企業が有する創薬プロセスに関する教育効果を、企業研究者等に対してはクライオ電子顕微鏡等の最先端研究設備に関する専門家の育成につながることを期待している。

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：

○幅広いライフサイエンス分野の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、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
- 複数領域に専門性を有する人材の育成の機会を提供できたか

評価指標：

特許出願件数、企業導出件数、講習会等実施回数

(3) 効率性

高額な大型設備や最先端設備・技術並びに化合物ライブラリなどの共用を進めることにより、個々の研究者等がそれぞれ設備等を整備するのに比べ、我が国全体としては、効率よく研究を行うことができるようになる。また、今後のライフサイエンス研究にとって重要な最先端設備等の導入を迅速に行い、広く研究者に利用してもらうことができるという点においても、効率性の高い取組である。

さらに、共用設備等を有する支援者が技術の高度化を行うことにより、利用者（被支援者）はこれらの最先端設備と技術を享受できるようになることが期待される。そのため、次期事業においても、高度な研究支援の提供と最先端基盤の高度化を両立させるために、研究開発課題代表者による「支援」と共用設備等や支援技術に関する「高度化」について適切なエフォート比率（「支援」を50%以上）を設定する。

以上のことから、次期事業についても、十分な効率的な事業であると考えられる。

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ライフサイエンス研究及び創薬研究等が一層効率的に進むことが可能となったか
- 研究領域横断的な支援機能の強化等により、実現性の高い創薬標的候補分子の目利き、事業内の連携、企業等との連携促進、AMED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：

- 支援技術に関する高度化研究の成果が共用設備等へ実装されたか
- 創薬標的（創薬シーズ）の導出件数
- 重点プロジェクト設定などによりAMEDの創薬関連事業との連携や他の創薬関連事業への展開があったか

5. 総合評価

(1) 評価概要

以上、各視点に照らして評価を総合的に踏まえると次期事業を実施することは妥当である。

(2) 科学技術・イノベーション基本計画等への貢献見込み

第6期「科学技術・イノベーション基本計画」（令和3年3月閣議決定）に、健康・医療

分野は重要政策課題の一つとして掲げられている。第2期「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」に基づき、次期事業の着実な推進により「医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進する」とされた目標の達成に貢献する。

(3) その他（研究開発を進める上での留意事項）

- 中間評価については事業開始から3年目となる令和6年度に、事後評価については事業終了年度の令和8年度に実施する。
- 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。自然災害やパンデミックの発生時においても、研究活動を制限することなく、研究活動を継続させるために共用設備等の自動化・遠隔化等の研究支援技術や研究基盤のDXを推進することが重要である。
- 産学連携について、企業出身の研究者がアカデミアに常駐して実施するアカデミアシーズの構造最適化支援とOJTによる専門人材の育成の拡充や、クライオ電子顕微鏡において実践されている複数の企業が非競争領域でアカデミアと協働して実施する勉強会を別の研究領域に展開することを検討する。
- 感染症関連研究の支援・高度化の推進についてCOVID-19関連研究の支援が令和3年3月末時点で56件に達していることなど社会のニーズを踏まえ、様々な感染症関連研究の支援が可能となる体制構築を検討する。
- 次期事業から生じる様々なデータについて、AMEDが運営するデータ利活用プラットフォームにおいて集約し、アカデミア及び民間企業の幅広い分野での利活用を着実に推進する。
- 支援終了後に支援を受けた領域の満足度や、他の領域を含め今後受けたい支援内容に関する期待や希望等についてアンケートを実施し、事業内容に関するユーザーの満足度を把握する。