

核酸フロンティア～核酸科学の再定義と応用から創薬の未来を切り拓く～

趣旨

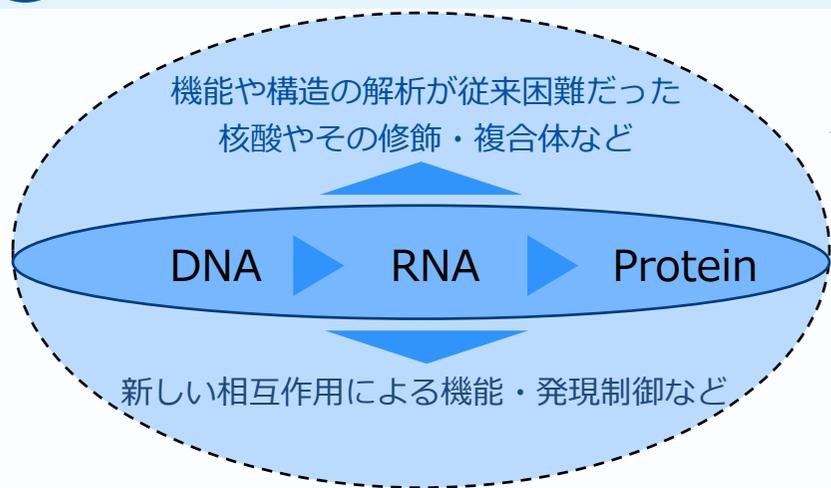
- 核酸は、遺伝情報の担い手という従来の理解を超え、生体機能制御や構造材料としての多面的な役割が明らかになってきている。また、核酸分子設計などの新技術による創薬・診断・予防技術への応用も進展している。
- 進化し続ける核酸科学を基軸に、生体システムの本質解明を進めるとともに、疾患の深層理解、新規創薬標的の発掘、精密診断技術の創出、さらに核酸ナノテクノロジーおよび核酸工学の革新など、核酸創薬等につながる研究領域を切り拓くことを目指す。

達成目標



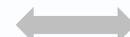
核酸機能の探索と再定義

セントラルドグマを超えて生体内で果たす機能的役割を再定義



多階層的システム統合と疾患機序解明

核酸の新たな概念と、生体の多階層データを統合し、健康と疾患の深層構造を解明



疾患機序の解明や新たな創薬標的の創出など



核酸テクノロジーの進化

多分野融合による革新的診断・創薬技術を創出



核酸の配列・構造を利用した革新的技術や新規概念を基盤とする技術など



将来像

- 疾病の予防・早期発見・治療を可能にする技術の社会実装が進み、国民の健康と生活の質の向上が促進される。
- がん・神経疾患・感染症・希少疾患など深刻な疾患の新たな治療・診断アプローチの創出に寄与し、医療ニーズの高い領域における対応力が強化される。
- AI と核酸科学の融合により高度な創薬・診断が加速し、新産業の創出と国際競争力の向上につながる。

令和8年度研究開発目標

1. 目標名

核酸フロンティア～核酸科学の再定義と応用から創薬の未来を切り拓く～

2. 概要

核酸は、遺伝情報の担い手という従来の理解を超え、生体機能制御や構造材料としての多面的役割を担うことが明らかとなり、核酸科学は新たな科学領域へ発展している。mRNA ワクチンや人工塩基対などの技術革新により、創薬モダリティへの応用が拡大し、イントロン領域やncRNA、非定型配列由来の生体機能分子、エピトランスクリプトーム等の解析の進展によって生命理解も深化している。AI・情報科学の発展で核酸研究が国際戦略の中核となる中、我が国の強みを生かし、核酸機能再定義、多階層統合解析、核酸テクノロジーの進化を柱に、革新的な核酸創薬等につながる基礎研究を推進し、我が国の健康寿命の延伸と国際競争力の強化を目指す。

3. 趣旨

核酸は長らく遺伝情報を保持する静的な生体分子として理解されてきたが、近年では、生体機能を制御する分子として、さらには設計可能な構造材料として、多面的かつ動的な役割を担うことが明らかとなり、生命科学の基本概念を含め、新たな視点からその意義を捉え直すことが重要となっている。mRNA ワクチンの実用化をはじめ、人工塩基対や核酸の高次構造を活用した分子設計、核酸由来ナノ構造体の研究開発などが急速に進展し、創薬・診断・予防技術へ直結する成果等が得られ始めている。これらの進歩は医療技術の高度化にとどまらず、将来的な産業構造の変革を促す可能性も有している。

さらに、解析技術の飛躍的向上により、これまで機能を持たないと考えられてきたイントロン領域やノンコーディング RNA (ncRNA) の分子機能が明らかになり始め、核酸そのもののみならず、当該領域に由来する多様な生体機能分子や、RNA 修飾 (エピトランスクリプトーム) 等の新概念も提示されている。これにより、従来のセントラルドグマを超える生命現象の理解が大きく深化し疾患発症メカニズムの再定義や個別化医療の高度化を後押しする重要な基盤が形成されつつある。また、本研究領域はデータ駆動型研究や AI 解析との親和性が高く、学際的連携の強化が不可欠となっている。

加えて、AI・情報科学の発展、ゲノム医療の普及、個別化医療への社会的要請の高まりを背景に、核酸科学分野の国際競争は一段と激化している。欧米・アジア諸国では核酸関連技術の研究開発が国家戦略として推進され、創薬基盤の拡充と産業競争力の強化を図っており、研究基盤、人材育成、データ基盤など総合的支援体制が整備されつつある。

我が国においても、感染症・がん・神経疾患・希少疾患などの克服、国民の健康と生活の質の向上、健康寿命の延伸を実現するためには、核酸科学のフロンティアを切り拓く基礎研究の強化が不可欠である。新薬創製につながる創薬標的の枯渇が指摘される中、次世代医療産業の創

出や国際競争力の向上、そして社会全体の持続可能性の確保に直結する国家的課題である。

以上を踏まえ、核酸分野の基礎研究を戦略的に推進することは、生命科学の新たな地平の開拓につながるとともに、医療・産業・社会に広範な波及効果をもたらす。本研究開発目標は、国際的潮流を的確に捉えつつ、我が国が核酸科学分野で主導的地位を確立するための科学技術基盤の構築を目指すものである。

4. 達成目標

本研究開発目標では、進化し続ける核酸科学を基軸に、生体システムの本質解明を進めるとともに、疾患の深層理解、新規創薬標的の発掘、精密診断技術の創出、さらに核酸ナノテクノロジーおよび核酸工学の革新など、核酸創薬等につながる研究領域を切り拓くことを目指す。その達成に向け、以下の3つの重点目標を設定する。

1. 核酸機能の探索と再定義

核酸が有する多様な機能および構造ダイナミクスを体系的に解明し、従来のセントラルドグマの範囲を超えた、生体内で果たす機能的役割の再定義を行う。

2. 多階層的システム統合と疾患機序解明

高度化・再定義されつつある核酸の概念をもとに、分子・細胞・臓器・個体レベルでの分子間ネットワークや摂動的な生体分子群のゆらぎを捉えた解析データを統合し、生体のロバストネスや疾患発症機構の深層構造を明らかにする。

3. 核酸テクノロジーの進化

核酸工学、物性化学、材料化学、ケミカルバイオロジー、合成化学、合成生物学、デノボ設計に数理・情報科学や予測技術を融合し、未診断疾患の発症・病態解明につながる次世代診断技術や、時空間的に精密制御可能な創薬モダリティなど、核酸の配列・構造や新規概念を基盤とする革新的技術開発を推進する。

5. 見据えるべき将来の社会像

4.「達成目標」の実現を通じて、核酸科学の再定義と応用展開を戦略的に推進することで、革新的な核酸創薬や精密診断技術等の社会実装が加速し、疾病の予防・早期発見・早期治療が可能となる。これにより、国民の生活の質の向上と健康長寿社会の実現が促進される。

また、新興感染症の出現など、将来予測が困難なリスクに対しても迅速かつ柔軟に対応できる医療・産業基盤が整備され、我が国全体の持続可能性とレジリエンス向上に寄与する。

さらに、情報科学・AI と核酸研究の融合を進めることで、大規模データを活用した迅速・高精度な創薬および診断が可能となり、知識集約型産業の高度化が進展する。

これらの成果は、我が国の国際競争力を強化し、生命科学分野における世界的な研究・産業のハブとしての地位確立に資するものである。

6. 参考

6-1. 国内外の研究動向

(国内動向)

核酸医薬は、低分子医薬および抗体医薬に続く「第三の創薬モダリティ」として、国際的な注目を集めている。我が国は、RNA 研究および RNA 解析技術において高い国際的優位性を有しており、解析技術の進展に伴って、これまで機能が不明であった分子群の機能を同定する研究など、先端領域において世界をリードする研究者を数多く擁している。さらに、核酸解析技術や核酸化学合成技術に関しても厚みのある研究者層が形成されており、国際競争力の高い学術基盤が整備されている。

これまでも、日本医療研究開発機構 (AMED) 「次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業」や、科学技術振興機構 (JST) 戦略的創造研究推進事業 ERATO 「鈴木 RNA 修飾生命機能プロジェクト」など、核酸科学および核酸医薬に関する研究基盤整備が推進されてきた。これらの研究基盤から得られた知見を横断的に統合し、生体制御機構全体への理解へと体系化する取り組みは、さらにその必要性が高まってきている。

本研究開発目標は、核酸を研究の主軸とし、単一階層にとどまらない生体機能と核酸の配列・構造・動態を統合的かつ複合的に理解する新たな学術的フレームワークを構築することを目的とする。これにより、既存分野の枠組みを超えた横断的研究領域の創出を図り、核酸科学・核酸医薬の飛躍的発展と、国家としての研究力・産業競争力の強化を実現する。

(国外動向)

米国では、核酸高次構造の原理解明・機能解析および関連技術開発を包括的に推進する大型支援プロジェクト「4D Nucleome」が展開されている。また、National Institutes of Health (NIH) および National Science Foundation (NSF) によって RNA の理解促進を目的とした助成が実施されるなど、核酸科学の基盤強化に向けた投資が継続的に進められている。

英国では、核酸医薬の開発加速、産業界とのパートナーシップ強化、投資促進を目的として、研究イニシアチブ Nucleic Acid Therapy Accelerator (NATA) が設立され、研究から産業応用までを一体的に支援する体制が構築されている。

EU においては、Horizon Europe における重点課題として RNA を標的とする化合物研究支援が位置づけられ、国際連携を含む研究促進が進展している。

さらに、ヒト細胞内に存在するすべての RNA 分子およびその化学修飾の網羅的解読を目指す国際研究コンソーシアム「The human RNome project」が 2025 年に始動し、世界的規模での RNA 研究の高度化が加速している。

6-2. 検討の経緯

「戦略目標の策定の指針」(令和元年 7 月科学技術・学術審議会基礎研究振興部会決定)に基づき、以下のとおり検討を行った。

1. 我が国および世界の基礎研究を始めとした研究動向について、科学計量学的手法を用いた論文分析や JST 研究開発戦略センター（CRDS）の有する知見、科学技術・学術政策研究所（NISTEP）の各種調査結果、AMED が実施してきた研究領域の評価結果や事業運営を通じて得られた知見等を収集・蓄積し、研究動向の俯瞰的把握を行った。
2. 上記情報収集の結果に加え、有識者等へのヒアリング、ライフサイエンスや医療関連学会の学術総会等の動向も踏まえて検討した結果、多様な専門分野の知見・技術を融合し、我が国の強みも活かした新規創薬シーズや生体制御技術を創出するとともに、その基盤となる生命現象の理解を一層深化させることの重要性が確認された。この検討を通じて、核酸を基軸とした基礎研究を戦略的に推進し、医療・産業への波及効果を最大化する研究基盤の強化が重要であるとの認識を得て、「核酸フロンティア：核酸科学の再定義と応用」を注目すべき研究動向として特定した。
3. 令和 7 年 12 月に、文部科学省と AMED の共催により、注目すべき研究動向「核酸フロンティア：核酸科学の再定義と応用」に関係する産学の有識者が一堂に会するワークショップを開催した。同ワークショップでは、①当該領域に関する国際的最新版動向、②新規解析技術・制御技術を活用した核酸科学の発展と創薬・診断・予防等の医療応用への展開可能性、③本研究開発目標が想定する将来社会の姿、④基礎から応用に至る研究の中で現時点で重点的に取り組むべき領域・技術、また連携・融合すべき分野等について議論を行った。これらの議論および有識者ヒアリングの結果を踏まえ、本研究開発目標を取りまとめた。

6-3. 閣議決定文書等における関係記載

「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）

第 1 章基本的な考え方

3. Society 5.0 という未来社会の実現

(1) 我が国が目指す社会（Society 5.0）

①国民の安心と安全を確保する持続可能で強靱な社会

（略）政府は、科学技術の発展を梃子にして、我が国の国際競争力の強化を図るとともに、これらの様々な脅威に対して常に適切に対応することができる持続可能で強靱な社会の構築や総合的な安全保障の実現を目指すことが求められており、国民の安全・安心を確保すべく様々な取組を充実・強化させる必要がある。その際、科学技術には多義性があり、ある目的のために研究開発した成果が他の目的に活用できることを踏まえ、適切に成果の活用を図っていくことが重要である。

「第 3 期健康・医療戦略」（令和 7 年 2 月 18 日閣議決定）

I 総論

1. 1 基本理念

(本戦略の位置付け)

健康・医療戦略推進法（平成 26 年法律第 48 号）第 1 条に定められているとおり、国民が健康な生活及び長寿を享受することのできる社会（健康長寿社会）を形成するためには、世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発及び健康長寿社会の形成に資する新産業創出を図るとともに、それを通じた我が国の経済の成長を図ることが重要となっている。本戦略は、これを踏まえ、同法第 17 条に基づき、政府が講ずべき健康・医療に関する先端的研究開発及び新産業創出に関する施策を総合的かつ計画的に推進するための計画として策定するものである。

IV 具体的施策

4. 1 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(2) 分野融合や新たなモダリティの絶え間ないシーズ創出・育成

売り上げ上位の新薬の中心が低分子医薬品からバイオ医薬品、再生・細胞医療・遺伝子治療といった新規モダリティへと変化するとともに、情報工学の進展に伴う AI 創薬・ゲノム創薬、医療機器における SaMD の発展といったコンバージョンサイエンスが拡大している。そこで、新規モダリティに即した研究開発の環境整備の充実・強化を図る。一方で、AI・情報科学の進展とともに、低分子創薬の可能性の拡大が見込まれる。絶え間なくシーズの創出を行っていくには、我が国の持続可能な開発力の維持・向上が不可欠であり、我が国の強みである低分子創薬や医療機器創出についても、引き続き発展させていくことが重要である。また、サイエンスとビジネスの好循環を生み出すスター・サイエンティストの育成と活用に資するファンディングの在り方が重要である。このため、創薬シーズ・新規モダリティの創出による創薬標的枯渇の解消と、創出された創薬シーズからの開発候補品創出の効率化・加速化の両面から取り組む。

創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議中間とりまとめ（令和 6 年）

1. 創薬力の強化

(我が国の創薬エコシステムの形成に向けて)

(略) 創薬開発の川上であるアカデミアの研究も、「創薬枯渇」を防ぐための源泉となる基礎研究を充実しイノベーションの種を絶え間なく創出していくとともに、創薬開発の出口からの視点を加えた研究開発が実施されるような視点による助成もが追求されるべきである。