

**平成12年度厚生科学研究費補助金  
(厚生科学特別研究事業)**

**研 究 報 告 書**

画期的な医薬品等の開発促進のための  
基盤技術開発研究のあり方に関する研究

主任研究者 岸本 忠三 (大阪大学総長)

# 目 次

## 画期的な医薬品等の開発促進のための 基盤技術開発研究等のあり方に関する研究

総括研究報告書	1
最終報告書	
Ⅰ. はじめに	5
Ⅱ. 現状と課題	5
Ⅲ. 基本的な考え方	7
Ⅳ. 具体的提案	10
Ⅴ. おわりに	15
具体的研究課題例	16
検討班名簿	18

## 総括研究報告書

画期的な医薬品等の開発促進のための  
基盤技術開発研究等のあり方  
に関する研究

主任研究者 岸本 忠三 大阪大学総長

**研究要旨** 画期的な医薬品等の開発促進のための基盤技術開発研究等のあり方について、新規の中核的な研究所の整備の必要性を含めて、調査研究を行った。

### A. 研究目的

画期的な医薬品等の開発促進のための基盤技術開発研究を行う拠点的研究機関の整備構想の確立。

### B. 研究方法

厚生科学研究の総合的推進に真に役立つための研究拠点の整備を含め、下記事項について、検討委員会を設け検討した。

#### 1) 現状と課題

- ①医療の現状と画期的な医薬品等への期待
- ②個人の体質に応じた医療（オーダーメイド医療）の実現
- ③基礎研究の成果を個々の医薬品の開発へと橋渡しする技術の開発
- ④医薬品等開発研究の効率化のための信頼できる研究資源の供給

#### 2) 基本的な考え方

- ①医薬品・医療機器の開発促進を目的とする中核的な研究所整備の必要性

#### ②研究所の目的及び業務の範囲

#### ③研究所の組織体制及びその運営

#### 3) 具体的提案

- ①研究所の特長
- ②研究所の性格
- ③研究所の組織
- ④研究所の運営
- ⑤その他

なお、本研究は、拠点的研究機関の整備構想を策定するものであり、倫理面の問題はないものと判断した。

### C. 研究結果

#### 1) 現状と課題

- ①医療の現状と画期的な医薬品等への期待

○近年、世界的に平均寿命が延長し、特に、我が国は世界第一の長寿国となっている。これには公衆衛生の向上と乳幼児死亡率の低下等が少なからず寄与しているとも考えられるが、抗生物質、降圧薬、抗潰瘍薬等の有効な医薬品の果たした役割が最も大きいといえる。

しかしながら、いまだ多くの医薬品の効き目は疾患に付随する症状の緩和（対症療法）に限られており、疾患を根本から治癒するような画期的な医薬品等の出現が期待されている。特に、働き世代を襲うがん、心筋梗塞等の心臓病や脳卒中、あるいは寝たきりの原因となる痴呆や骨・関節疾患への対処は緊急の課題である。

## ②個人の体質に応じた医療（オーダーメイド医療）の実現

○医薬品の生体内における吸収、代謝、排泄にかかる個人差が遺伝子レベルで明らかにされれば、個々の患者の体質に応じた医薬品の選択、用法・用量の設定など有効かつ安全な薬物療法（オーダーメイド医療）が実現するものと考えられる。

オーダーメイド医療の実現のために、患者の体質に応じて適切に使用することのできる医薬品や医療用具が開発される必要があり、そのための技術開発が望まれる。

## ③基礎研究の成果を個々の医薬品の開発へと橋渡しする技術の開発

○基礎研究と開発研究を橋渡しする技術開発のための研究（トランスレーショナル・リサーチ）は、個々の医薬品等の開発を支える基盤として位置づけられることが適当である。従来、研究の段階は、基礎研究、応用研究、開発研究の三つにわけて説明されてきた。ここで言う基盤研究は、基礎研究と開発研究を橋渡しするという観点からみると応用研究に該当するものであるが、その内容は特定の医薬品開発を目的とするものではなく、医薬品等の開発のための普遍的な技術の開発を目的とするものであることから、応用研究の中でも、開発研究を支える基盤技術の開発という特別の位置づけを与え

ることが必要である。

## ④医薬品等開発研究の効率化のための信頼できる研究資源の供給

○医薬品等の開発研究には、品質が確保された標準的な遺伝子、細胞、胚、組織、生理活性物質、特殊な実験動物などの研究資源が適時に供給されることが重要である。

我が国では一部の細胞や遺伝子といった研究資源の供給が国立医薬品食品衛生研究所や国立感染症研究所において実施されているが、その機能を一元化することにより効率的なものとするとともに、これらの供給やその標準化業務をも包含できるものとする必要がある。

## 2) 基本的な考え方

### ①医薬品・医療機器の開発促進を目的とする中核的な研究所整備の必要性

○個々の病態に的確に対応した画期的な医薬品や医療機器の開発を促進し、その医療への速やかな提供を実現するため、関連する基礎研究の成果を医薬品や医療機器の開発に橋渡しするための基盤的な技術開発や研究資源の適切な提供を目的とする中核的な研究所の整備は、緊急に具体化すべき課題である。

### ②研究所の目的及び業務の範囲

○本研究所は、画期的な医薬品など医療上その必要性の高い医薬品や医療機器の研究開発の促進のために必要な基盤的な技術の開発に関する研究及び研究資源の提供等を行うことにより、保健医療の向上を図ることを目的とすることが適当である。

上記の目的を達成するため、本研究所は、医療上その必要性の高い医薬品や医療機器の研究開発の促進のために、

- 基盤的な技術の開発に目する研究及びこれに関連する業務
- 研究資源の開発、標準化、維持及び供給並びにこれらに関連する業務
- 上記の業務に係る技術指導及び成果の普及
- 国立高度専門医療センターや国立試験研究機関の基礎研究機能及び臨床研究機能との連携などその成果の医薬品等開発への利活用を行うことが求められる。

### ③研究所の組織体制及びその運営

○研究所の整備に当たっては、画期的な医薬品等の開発とその速やかな国民への提供という観点から、保健医療上の必要性を基本に、学問の進歩や産業界のニーズを踏まえつつ、集中的に効率的に、時代にあった研究課題と明確な研究目標の設定が重要である。

今後10年から20年程度を見渡すと、基盤技術の開発研究としては、驚異的な発展を示しているゲノム科学、たんぱく質科学、情報科学（バイオインフォマティクス）を利用した医薬品等開発のための技術の研究、中でも細胞情報伝達（セル・シグナリング）に着目した技術開発に注力することが適当である。

## 3) 具体的提案

### ①研究所の特長

○細胞情報伝達に着目した技術開発に集中すべきこと。例えば情報伝達に関与する生体分子の高次構造や相互作用などを解析する技術やその作用を阻害あるいは促進する化合物を設計する技術（分子設計）などの開発を急ぐ必要がある。

なお、これらの技術開発に当たっては、バイオインフォマティクスの視点に立って、大量の情報を整理、検討することが必要である。

また、産業界のニーズを反映した世界的レベルの研究の実施や速やかな技術移転を図るため、学界、経済界、産業界等からなる助言委員会の設置、いわゆる「寄付講座」の設置や積極的な研修生の受け入れなどを図るべきである。

### ②研究所の性格

研究所の性格としては、産業界への研究成果等の速やかな移転や研究資源の適切な供給の観点から、独立行政法人とすることが適当であること。また、公平性などの観点から、国家公務員の身分を与えることが適当であること

### ③研究所の組織

○基盤研究部門、研究資源部門のほか研究所内外の研究内容の企画整備、産業界・経済界との連携を図るための企画調整部門を設置すべきこと。

本研究所は基盤技術開発研究機能、研究資源供給機能を2つの柱とするが、研究機能については学問の進歩や産業界のニーズにあわせて研究課題の普段の見直しができる柔軟な組織とするため、固定的な部室制ではなく、プロジェクト型のチーム制を採用し、研究資源供給機能の分野においては、安定した事業の継続を図り、その責任の所在を明確なものとするため、事務部門、研究企画調整部門とあわせて、固定的な部室制とすることが適当である。

本研究所の基盤技術開発研究機能に従事する研究については、保健医療上の必要性、学問の進歩や産業界のニーズなどに応じて研究課題を普段に見直ししていくことが必要であることなどから、研究課題に相応しい研究者を選定し、活力ある研究所を維持するため、任期制の採用を検討すべきである。

なお、研究資源供給機能の分野に従事する研究者にあっては、継続的・安定的な事業とするため、所長、企画調整部門や事務部門とあわせ、任期制ではなく、通常の定年制とすることが適当である。

#### ④研究所の運営

○産官学で構成される外部の評価委員会を、上述の助言委員会とは別組織として設け、毎年、研究の進捗状況、その方向性などについて厳格な評価を実施し、研究の中止や研究内容の変更など適切な措置を講じることが必要である。

また、研究者の選考に当たっては、能力の高い研究者であると同時に、基盤的な技術開発の大切さを知り、それに専念できる人材を国内外から広く求める必要がある。募集に当たっては、公募を原則とするが、基盤研究機能についてはそれぞれのリーダーを中心にチームとして機能するよう、それぞれのチームのリーダーには若手の研究者を一定の条件のもとで推薦できる方策を盛り込む必要がある。

なお、研究者の採用に際しては、医学、薬学、農学、理学、工学、その他広い領域にわたり、優れた意欲的な人材を求めよう努める必要がある。

#### ⑤その他

○本研究所の計画人員は、リサーチレジデントや研究支援者を含め、最低限100名程度と見積られる。これに対し、他の研究所の事例から一人あたりの床面積は50㎡から100㎡程度であること、新しい研究機器の登場などに伴い一人あたり床面積が増加傾向にあること、本研究所の使命である技術等の産業界への移転を図るためには共同研究を行う十分なスペースが必要であること、動物施設等の整

備を図ることなどを踏まえて、建物の規模13,000㎡程度とすることが適当である。

#### D.考察

個々の医薬品等の開発を支える基盤として位置付けられる基礎研究と開発研究を橋渡しする技術開発をするための研究（トンスレーショナル・リサーチ）推進の為、具体的な研究内容とその研究体制のあり方、国立高度専門医療センター等との具体的な連携方策等について、産業界への技術移転、企画調整機能の強化、研究運営の透明性の確保などの観点を踏まえてまとめられており、画期的な医薬品等の開発に関する基盤技術の拠点的研究機関の確立を促進するものである。

#### E.結論

中核的な機能を有する研究所が早期に整備されることによって、驚異的な発展をみせているゲノム科学、たんぱく質科学や情報科学を利用した画期的な医薬品等の開発が促進され、保健医療の一層の向上を志向する国民の期待に応えることができる。

#### F.研究発表

なし

#### G.知的所有権の取得状況

なし

画期的な医薬品等の開発促進のための  
基盤技術開発研究等のあり方  
に関する研究

最終報告

平成13年3月31日

主任研究者 岸本 忠三（大阪大学総長）

## I・はじめに

厚生科学とは、医学、薬学を始めとする幅広い諸科学の手法を用いて、疾病原因の解明、予防・診断・治療の向上、健康増進、公衆衛生と福祉水準の向上、生活環境の安全性確保などを目指した研究及び開発を行う科学である。厚生科学の一層の発展は、人々の保健医療の向上はもとより、福祉の向上と経済社会の発展に大きく貢献するものと期待される。このため、厚生科学の総合的推進と飛躍的展開を目指して、厚生省では、国立試験研究機関の再編成・機能強化が進められており、平成7年に提唱された画期的な医薬品開発の基盤研究の充実等を目的とする厚生科学基盤技術開発研究所（仮称）の設立を除き、現在ほぼ完結する段階に到達している。

20世紀は偉大な科学技術の世紀であり、その飛躍的な発展は人類に大きな福音をもたらした。特に、ゲノム科学やたんぱく質科学といった分子生物学、生物工学、情報科学などの驚異的な発展は、病態に的確に対応する画期的な医薬品や医療用具の開発の基礎となるものと考えられる。昨年5月の厚生科学審議会答申においても、ゲノム情報に基づいた新しい作用機序を有する医薬品等の開発が必要であることが強く指摘されている。

しかしながら、ゲノム科学等の基礎研究の成果を個々の医薬品等の開発研究に有効に結びつけるためには、効率的かつ迅速に安全性や有効性を予測するためのシステムの開発など、基礎研究と開発研究を橋渡しするための技術開発を欠くことはできない。

このような背景のもと、本検討班は、平成7年に提唱された画期的な医薬品等の開発を促進するための厚生科学基盤技術開発研究所（仮称）が現段階においても必要であるのか、必要であるとしたらどのような機能が期待されるか、どのような組織運営形態が望ましいのかなどについて総合的な検討を行い、今般、最終報告をとりまとめることができたので、ここに報告する。

## II・現状と課題

### 1. 医療の現状と画期的な医薬品等への期待

近年、世界的に平均寿命が延長し、特に、我が国は世界第一の長寿国となっている。これには公衆衛生の向上と乳幼児死亡率の低下等が少なからず寄与しているとも考えられるが、抗生物質、降圧薬、抗潰瘍薬等の有効な医薬品の果たした役割が最も大きいといえる。例えば、1940年代の抗生物質の出現によって感染症から多くの生命が救われるようになった。また、消化性潰瘍に対するヒスタミンH<sub>2</sub>受容体拮抗薬やプロトンポンプ阻害薬の出現で、ストレス、性差、基礎疾患の有無なども治療経過に影響が少なくなり、外科的手術を要するほど症状が悪化することを防止するなど医療の質の向上に貢献するとともに、入院、手術費を含めた医療費削減の効果ももたらしているのは、周知の事実である。

しかしながら、いまだ多くの医薬品の効き目は疾患に付随する症状の緩和（対症療法）



に限られており、疾患を根本から治癒するような画期的な医薬品等の出現が期待されている。特に、働き世代を襲うがん、心筋梗塞等の心臓病や脳卒中、あるいは寝たきりの原因となる痴呆や骨・関節疾患への対処は緊急の課題である。これら疾患に対応するためには、生活習慣の改善や医療技術のレベルアップはもとよりであるが、抜本的な解決のためには、ゲノム科学やたんぱく質科学を応用した画期的な医薬品の開発、再生医療を利用した人工血管、人工骨の実現やマイクロマシーン技術を用いた無侵襲性の手術・検査機器の開発などが期待される。

## 2. 個人の体質に応じた医療（オーダーメイド医療）の実現

ヒトゲノムの解析はほぼ終了し、疾患あるいは医薬品の反応性に関与する遺伝子の探索が本格化しており、我が国でも今年度からミレニアム・ゲノム・プロジェクトが発足されたところである。このような研究を通じて、医薬品の生体内における吸収、代謝、排泄にかかる個人差が遺伝子レベルで明らかにされれば、個々の患者の体質に応じた医薬品の選択、用法・用量の設定など有効かつ安全な薬物療法（オーダーメイド医療）が実現するものと考えられる。

我が国では平成11年度に、2万数千件の副作用報告が厚生省にもたらされているが、オーダーメイド医療の実現によってその中のかかなりの部分が防止されるものと思われる。このようなオーダーメイド医療の実現のために、患者の体質に応じて適切に使用することのできる医薬品や医療用具が開発される必要があり、そのための技術開発が望まれる。

## 3. 基礎研究の成果を個々の医薬品の開発へと橋渡しする技術の開発

生命科学、情報科学等の関連学問の成果を、画期的な医薬品・医療機器の開発に結びつけるためには、これを橋渡しするための技術開発を欠かすことができない。例えば、疾患に関連する遺伝子がわかったとしても、医薬品を開発するためには、その遺伝子からどのようなたんぱく質が生産されるのか、そのたんぱく質はどのような機能をもつのか、どうすればその機能は阻害（促進）されるのかなどが明らかにされる必要がある。このためには、たんぱく質の立体構造を迅速かつ効率的に解析する技術、物理化学的なパラメータで生体反応や化学反応を解析する技術、目的とする立体構造を有する化学物質を合成する技術、合成された多種の化合物の有効性や安全性を迅速にスクリーニングする技術などの開発が必要である。また、それぞれの段階で得られる情報を体系的に整理、解析するためのソフトウェアの開発も重要である。

この基礎研究と開発研究を橋渡しする技術開発のための研究（トランスレーショナル・リサーチ）は、個々の医薬品等の開発を支える基盤として位置づけられることが適当である。従来、研究の段階は、基礎研究、応用研究、開発研究の三つにわけて説明されてきた。ここで言う基盤研究は、基礎研究と開発研究を橋渡しするという観点からみると応用研究に該当するものであるが、その内容は特定の医薬品開発を目的とするものではなく、医薬品等の開発のための普遍的な技術の開発を目的とするものであることから、応用研究の中でも、開発研究を支える基盤技術の開発という特別の位置づけを与えることが必要であろう。

#### 4. 医薬品等開発研究の効率化のための信頼できる研究資源の供給

医薬品等の開発研究には、品質が確保された標準的な遺伝子、細胞、胚、組織、生理活性物質、特殊な実験動物などの研究資源が適時に供給されることが重要である。特に、最近の動向をみると、生体内で種々の働きを有しているサイトカイン、酵素等の生理活性物質の標準化が求められている。

我が国では一部の細胞や遺伝子といった研究資源の供給が国立医薬品食品衛生研究所や国立感染症研究所において実施されているに過ぎず、英国のNIBSCや米国の国立健康研究所（NIH）のNCBIのように、その機能を一元化することにより効率的なものとするとともに、これらの供給やその標準化業務をも包含できるものとする必要がある。

### Ⅲ・基本的な考え方

#### 1. 医薬品・医療機器の開発促進を目的とする中核的な研究所整備の必要性

上記の課題に対応し、個々の病態に的確に対応した画期的な医薬品や医療機器の開発を促進し、その医療への速やかな提供を実現するため、関連する基礎研究の成果を医薬品や医療機器の開発に橋渡しするための基盤的な技術開発や研究資源の適切な提供を推進することが必要である。

医薬品等の開発は本質的に企業の責任で行うものであるが、特に、

- ①汎用性の高い最先端の技術であって、医薬品や医療機器の開発に多大の貢献が予測されるものの、大きなリスクが伴う技術の開発
- ②医薬品や医療機器の開発に多くの企業の間で普遍的に利用される技術であるため、一企業、一研究者により独占されるべきでない技術の開発
- ③医薬品や医療機器の開発研究はもちろん、広く厚生科学研究の材料として不可欠な試薬・試料等の標準化や生物材料等の開発、維持ならびに供給

については、我が国の医療水準を向上し、国民の便益を確保するためにはこれらの技術開発を国内で確実に行う必要があること、基礎研究を主とする大学や開発研究を主とする企業に期待することは困難であること、知識集約型産業である医薬品産業等の国際競争力の向上にも寄与することが期待されることなどから、国が積極的に必要な体制整備を図るべきである。

現存する国立の研究所や国立高度専門医療センター（ナショナルセンター）は、医薬品等の安全確保対策、感染症対策、主要な疾患の個別対策などに必要な調査研究をその任務としており、医薬品開発のための基盤技術研究等を目的とする研究機関は国内には存在しない。医薬品、医療機器という観点からみると、国立医薬品食品衛生研究所があるが、同研究所は医薬品等の評価のための試験検査及びそのために必要な調査研究を任務としており、国際的な規制の整合化などその研究業務が増加していること、規制と開発促進という相反する目的を同一の研究所に担わせることは必ずしも適切ではないと

考えられることなどから、同研究所にこれらの機能を付与することは経過的な措置としてはあっても、適当ではないと考えられる。また、既存の複数の研究所にこれらの機能を分散して担わせることについては、集中的、効率的な研究の展開を考えると適切ではないと考えられる。

このようなことから、平成7年に提唱された画期的な医薬品や医療機器の開発のための基盤技術の研究等を目的とする中核的な研究所の整備の必要性は現段階においても変わりなく、近年のゲノム科学やたんぱく質科学などの発展や米国の動きなどをみると、その整備は緊急に具体化すべき課題となっている。

なお、その名称については、平成7年には「厚生科学基盤技術開発研究所」として提唱されているが、その目的を踏まえ、「創薬基盤技術開発研究所」あるいは「医薬品医療機器基盤技術開発研究所」にすることがより適当と考える旨、中間報告で提案したところであるが、平成13年度予算案の検討過程で「医薬基盤技術研究所」という仮称が提唱されたことは本研究班の中間報告の趣旨を踏まえたものと評価される。

## 2. 研究所の目的及び業務の範囲

本研究所は、画期的な医薬品など医療上その必要性の高い医薬品や医療機器の研究開発の促進のために必要な基盤的な技術の開発に関する研究及び研究資源の提供等を行うことにより、保健医療の向上を図ることを目的とすることが適当である。

上記の目的を達成するため、本研究所は、医療上その必要性の高い医薬品や医療機器の研究開発の促進のために、

- ①基盤的な技術の開発に関する研究及びこれに関連する業務
- ②研究資源の開発、標準化、維持及び供給並びにこれらに関連する業務
- ③上記の業務に係る技術指導及び成果の普及
- ④国立高度専門医療センターや国立試験研究機関の基礎研究機能及び臨床研究機能との連携などその成果の医薬品等開発への利活用

を行うことが求められる。

なお、医薬品等の開発が最終的には企業の手によって行われることから、本研究所における研究成果が産業界に速やかに円滑に移転されることも重要であり、そのために必要な運営体制のあり方もあわせて検討する必要がある。

## 3. 研究所の組織体制及びその運営

### (1) 集中、効率的な研究の実施

研究所の整備に当たっては、画期的な医薬品等の開発とその速やかな国民への提供という観点から、保健医療上の必要性を基本に、学問の進歩や産業界のニーズを踏まえつつ、集中的に効率的に、時代にあった研究課題と明確な研究目標の設定が重要である。当然のことながら、その研究内容は国際的な競争に耐えうるものでなければならない。

今後10年から20年程度を見渡すと、基盤技術の開発研究としては、驚異的な発展を示しているゲノム科学、たんぱく質科学、情報科学（バイオインフォマティクス）を利用した医薬品等開発のための技術の研究が当面の目標として適当である。

その中でも、今後期待される医薬品の多くが細胞内、細胞間等の情報伝達を阻害または促進するものであると考えられること、情報に関わるたんぱく質の立体構造解析等が進みつつあること、ゲノム科学の進展によって遺伝子とたんぱく質の関係が明らかになりつつあること、たんぱく質に関する研究のわが国の蓄積は欧米に比肩しうるものであることなどから、細胞情報伝達に着目し、ゲノム科学、たんぱく質科学、情報科学などに活用できる技術開発を行うことが適当であると考えられる。

なお、再生医療については平成13年度予算案の検討過程において本研究所の目的から除外するという整理がなされたが、遺伝子の機能解明等のためには、一定の生物工学的な技術が必要であり、その範囲で生物学を利用した技術開発に取り組むことが適当である。

## （2）チーム制と任期制の採用

医薬品開発の歴史を見ると、1940年代の抗菌作用の発見に伴う抗生物質の開発、1960年代の新たな神経受容体拮抗作用の発見に伴う高血圧用薬等の開発、1980年代の遺伝子組み換え技術によるインターフェロン等の開発など大きな変革を経験しており、今後、この変革の速度は加速的に増加し、本研究所に求められる基盤技術開発研究の内容も大きく変化するものと予測される。このため、基盤技術の開発研究を行う基盤研究部門の組織体制は固定的な部室制ではなく、柔軟な対応ができるよう、プロジェクトチーム制とするとともに、研究者も任期制とすることが望まれる。

## （3）産業界への技術移転と国立高度専門医療センター等との連携

本研究所で開発された基盤技術は企業による医薬品等の開発に利活用されるものでなければならない。このため、具体的な研究課題の選定などに当たっては産業界のニーズを的確に反映できるものとするとともに、民間資金も活用しつつ、予算の年度や定員にかかわらず、知的財産権の配分にも十分に考慮した産官共同研究やいわゆる「寄付講座」の設置などに積極的に取り組めるような体制を構築する必要である。

また、国立高度専門医療センターや国立試験研究機関と密接な連携を図り、これらの機関の基礎研究や臨床研究の成果を医薬品等の開発に結びつけるとともに、本研究所の成果をこれらの機関にフィードバックすることにより、相乗的な効果を発揮できるような体制を構築することが求められる。

さらに、研究所内の研究内容の企画調整はもとより、外部の研究機関や産業界との密接な連携を図ることができるよう、所長が的確にその指導力を発揮できるような柔軟な体制とするとともに、企画調整部門を置くことが必要である。

#### (4) 厳格な外部評価の実施

本研究所における基盤技術開発は、具体的な研究課題と明確な達成目標のもとに、プロジェクト型のチームによって研究を進めることを一つの特徴とするものである。その研究の状況は、毎年度、学界、産業界、医療行政の関係者を含む第三者よりなる評価委員会による厳格な評価を行い、その結果に基づき、研究の中止を含め、適切な措置を講じることが必要である。特に、評価に当たっては、国内外の技術動向や保健医療上の必要性、産業界のニーズなどを踏まえて、研究実施の妥当性とその進捗を客観的な評価基準により評価することが求められる。

### IV・具体的提案

#### 1. 研究所の特長

##### (1) 細胞情報伝達（セル・シグナリング）に着目した技術開発への集中

本研究所は医薬品等開発のための基盤技術開発と研究資源の供給を主な業務とするものであるが、基盤技術開発については、集中的、効率的な研究を推進するため、今後10年から20年程度は、細胞情報伝達（核内、細胞質内、細胞—細胞間及び細胞—細胞外マトリックス間の情報伝達）に着目し、ゲノム科学、たんぱく質科学、情報科学の各方面にわたり医薬品等開発のために必要な技術の開発に注力することが適当である。

多細胞生物の発生・成長・活動は、調和のとれた細胞情報伝達により行われる。情報伝達の不具合は、細胞活動の異常を引き起こし、疾患の原因となる。このため、細胞情報伝達が画期的な医薬品等の開発の重要なターゲットとなっている。

細胞情報伝達の研究は、従来、生理学・生化学・酵素学的な手法が用いられてきたが、近年、cDNAクローニングとその発現細胞を用いる分子生物学的な研究手法により大きな進展をみせており、情報伝達の鍵となる多くのたんぱく質等生体分子の一次構造などが解明されつつある。

このような成果を画期的な医薬品等の開発に結びつけるため、細胞情報伝達に関与する生体分子の高次構造や相互作用などを解析する技術やその作用を阻害あるいは促進する化合物を設計する技術（分子設計）などの開発を急ぐ必要があり、本研究所としては、これらの研究に集中的に取り組むことが適当である。

なお、これらの技術開発に当たっては、バイオインフォマティクスの視点に立って、大量の情報を整理、検討することが必要である。

具体的な研究課題については、上記の方針に基づき、今後、詳細な検討が必要であるが、現段階で、その候補として整理したものは、別添のとおりである。

## (2) 効果的、実際的な産業界との連携

本研究所の目的は画期的な医薬品・医療機器の開発のための基盤技術開発であり、その目的を達成するためには、産業界のニーズを反映した世界的レベルの研究の実施や産業界への速やかな技術移転を図る必要がある。

このため、学界、経済界、産業界等のメンバーからなる研究課題の選定、産官共同研究の推進など研究所の運営全般にわたる助言委員会（プロジェクトフォーメーション機能）を設置するとともに、研究者に過大な負担を課すことなく、特許等の知的財産権の取得、管理、譲渡を行う機能（技術獲得促進機能）やベンチャー企業などの育成を図る機能（インキュベーション機能）などをあわせて整備することが求められる。

また、医薬品等の開発研究が完全にグローバルな競争の中にあることを考慮し、内外無差別の原則にたって透明な形で、いわゆる「寄付講座」の受け入れや大学・産業界からの人の派遣の受け入れなどを積極的に図ることが必要である。

さらに、研究機能の充実を図るため、経済界、産業界から支援をうけるための組織作りもあわせて図ることが必要である。

## 2. 研究所の性格

本研究所における医薬品等開発のための基盤技術開発等については、上述のとおり、我が国の医療水準の向上の観点から確実にを行う必要があること、大学や企業の自主的な取組は期待できないこと、医薬品産業等の国際競争力の向上への寄与が期待されることなどから国として積極的に取り組む必要があるが、産業界への研究成果や技術の速やかな移転や研究資源の適切な供給を考えると、国立研究機関では予算の単年度主義、定員の制約などの制限が多いことなどから、独立行政法人とすることが適当である。

また、その研究者等の身分については、本研究所の研究成果や技術の移転は、医薬品等開発の基盤となるものであることから、特定の個人や企業を利することなく、適正かつ効率的に行う必要があること、研究資源の提供のための標準化は公平に行う必要があること、現実問題としてその職員の一部は、さまざまな専門領域にわたり、複数の国立研究機関から異動することとなることなどから、国家公務員の身分を与えることが適当であると考えらる。

## 3. 研究所の組織

### (1) 所長のリーダーシップと企画調整機能の充実

研究所の実際の運営を考えた場合、所長の果たすべき役割は大きい。研究所の趣旨を十分に理解し、広い視野と先見性と実行力を持つ者を選任する必要がある。無原則に先端科学的な研究所を目指すことは、本研究所の特長を失うこととなろう。他の国立試験研究機関や国立高度専門医療センター（ナショナルセンター）の研究を正しく評価し、これらの機関と連携を図るとともに、保健医療上の必要性や産業界のニーズを的確に把握して、医薬品等開発の基盤を強化できるよう、所長の指導力の発揮等による的確なマ

ネージメントが期待される。

また、所長を補佐し、研究所内外の研究内容の企画調整や産業界・経済界との密接な連携などを図るため、企画調整機能を充実し、これを専門に行う部門を設ける必要がある。

## (2) チーム制の採用

本研究所は基盤技術開発研究機能、研究資源供給機能を2つの柱とするが、研究機能については学問の進歩や産業界のニーズにあわせて研究課題の普段の見直しができる柔軟な組織とするため、固定的な部室制ではなく、プロジェクト型のチーム制を採用し、リーダーには従来の部長相当職あるいは室長相当職の者をもって充てることが適当である。

チームは、まとまりをもって、一つの研究課題にあたることを考えると、あまりに大きな組織でも、小さな組織でも適当ではない。研究課題によってその大きさを検討する必要があるが、標準的には、リーダーのほか、研究者3名程度、リサーチレジデント（いわゆるポスドク）3名程度、研究支援者（派遣職員等の非常勤職員）が3～6名程度（1研究者につき1～2名）で構成することが適当であると考えられる。

なお、研究資源供給機能の分野においては、安定した事業の継続を図り、その責任の所在を明確なものとするため、事務部門、研究企画調整部門とあわせて、固定的な部室制とすることが適当である。

## (3) 任期制の採用

本研究所の基盤技術開発研究機能に従事する研究者については、保健医療上の必要性、学問の進歩や産業界のニーズなどに応じて研究課題を普段に見直していくことが必要であることなどから、研究課題に相応しい研究者を選定し、活力ある研究所を維持するため、任期制の採用を検討すべきである。

その任期については、関係する諸学問が急速に発展するであろうことや成果をあげるためには一定の時間を要することなどから、5年程度として、評価結果や次の研究課題の内容等からみて適切な場合には再任を認めることが適当と考えるが、現行の国家公務員に関する法制度は、招聘型の研究者は原則7年（必要な場合は10年）、若手育成型の研究者は原則3年（必要な場合は5年）であって、再任は認められておらず、任期の延長や適切な場合には再任できる旨の規定の追加などの改善が望まれる。

なお、研究資源供給機能の分野に従事する研究者にあつては、継続的・安定的な事業とするため、所長、企画調整部門や事務部門とあわせ、任期制ではなく、通常の定年制とすることが適当であると考えられる。

#### (4) リサーチレジデントや研究支援者の確保

研究者が与えられた研究目標に向かって、自由にのびのびと研究ができるよう、その環境整備を図ることが必要である。研究要員の確保のためにはリサーチレジデントの活用が有効であるので、そのための方策を用意することが求められる。短期間有限のレジデントが期間終了後に、自らの得た経験をもとに、新たな分野の人的資源として活躍できるように、事務作業などに従事させることなく、高い研究レベルとユニークな研究内容に取り組むことができるよう配慮することも必要がある。

また、研究者1名に対し、一般に研究支援者1名ないし2名が必要と言われている。国内の研究機関ではこの条件がなかなか満足されておらず、それが頭脳流出の大きな要因の一つともなっている。優れた研究者を確保するためにはそれなりの環境整備を図ることが是非とも必要であり、必要な研究費の手当てとともに、研究支援者の確保は欠くことができない。また、研究支援者のキャリアパスにも留意が必要である。

なお、研究資源供給機能の分野においては、開発、標準化というような研究業務あわせ資源とそれに伴う情報の管理や提供の業務を担う必要があるので、これら業務に必要な研究支援者を確保すべきである。

#### (5) 研究所の機構

研究所の組織については、目的実現に最も効果的、合理的であり、従来の発想に捕らわれることなく、国際的にも評価されるものとする必要があるが、現段階で想定される機構は次のとおりである。

所 長	
事 務 部 門	人事、会計、総務、広報など
企画調整部門	研究内容の企画及び実施についての総合調整、他の国立研究機関、国立高度専門医療センターや産業界等との連絡、調整など
基盤研究部門	細胞情報伝達に着目し、ゲノム科学、たんぱく質科学及び情報科学につき、それぞれのチームを設置
資源供給部門	細胞、遺伝子、生理活性物質、疾患モデル動物等について、それぞれの開発、標準化、管理、供給を担当する室を設置

これらの組織を考慮すると、動物施設等の管理を外部に委託するとしても、最低限50名程度の研究者や事務職員等の定員職員とほぼ同数のリサーチレジデントや研究支援者等の非常勤職員が必要である。ゲノム科学などの急速な発展を考えると、基盤技術開発研究部門はその充実が必要であり、産業界などの理解と支援を受けて、拡充を図ることが望まれる。

なお、X線結晶解析やNMRを用いた構造解析その他の高度先進分析技術やコンピューターを用いた情報処理技術などについては、これらが基盤研究部門の複数の研究課題に関連し、また資源供給部門の業務をも支える役割を持つものであり、常時他研究所との共同研究にも配慮が必要であることから、任期制やチーム制によらず、継続的な部門として設置することも検討すべきである。



## 4. 研究所の運営

### (1) 厳格な評価の実施

産官学で構成される外部の評価委員会を、上述の助言委員会とは別組織として設け、毎年、研究の進捗状況、その方向性などについて厳格な評価を実施し、研究の中止や研究内容の変更など適切な措置を講じることが必要である。

また、基盤的技術の開発研究は既存の枠外の分野を開拓することが多く、国内のみでは評価されがたいこともあるので、3年に1度程度の割合で、国外の専門家による評価を行う仕組みを設けることも必要である。

評価に当たっては、論文数や既存の価値観にとらわれず、国内外の技術動向や保健医療上の必要性、産業界のニーズなどを踏まえて、研究実施の妥当性とその進捗を客観的な評価基準により評価することが求められる。

### (2) 研究者の適切な採用

研究者の選考に当たっては、能力の高い研究者であると同時に、基盤的な技術開発の大切さを知り、それに専念できる人材を国内外から広く求める必要がある。募集に当たっては、公募を原則とするが、基盤研究機能についてはそれぞれのリーダーを中心にチームとして機能することができるよう、それぞれのチームのリーダーには若手の研究者を一定の条件のもとで推薦できる方策を盛り込む必要がある。

なお、研究者の採用に際しては、医学、薬学、農学、理学、工学、その他広い領域にわたり、優れた意欲的な人材を求めるよう努める必要がある。

### (3) コンピューターによる運営機能の整備

効率的、効果的な運営を行うため、所内LAN、各種サーバ、高速回線、ファイアウォール等の整備を図るとともに、その利用に当たっては適切な自己管理がなされるようルール作りが必要である。

### (4) 研究費の適切な確保

有能な研究者を確保し、本研究所が目的とする基盤技術開発等に専念させるためには、一定の研究費が適切に確保されることが必須である。特に、基盤技術開発の多くは地味なものであり、競争的な研究費が支出される最先端の研究と異なる研究も手がける必要があることなどから、研究費の確保に配慮が必要である。

## 5. その他

本研究所の計画人員は、リサーチレジデントや研究支援者を含め、最低限100名程度と見積られる。これに対し、他の研究所の事例から一人あたりの床面積は50㎡から100㎡程度であること、新しい研究機器の登場などに伴い一人あたり床面積が増加

傾向にあること、本研究所の使命である技術等の産業界への移転を図るためには共同研究を行う十分なスペースが必要であること、動物施設等の整備を図ることなどをふまえて、建物の規模を13,000㎡程度とすることが適当であると考えられる。

その敷地については、建物の規模のほか、動物・RIなどの管理区域が必要な施設があること、将来の増築スペースを確保すること、相当規模の駐車場を設置すること、地域に開かれたオープンスペースを設け、周辺緑化整備を行うことが望ましいことなどから、十分な広さの敷地を確保する必要がある。

なお、施設整備にあたっては、有能な研究者が確保できるよう研究者が研究に集中できるような方策、官民共同研究などの共同研究が効率的に行えるような方策、研究課題の変更に柔軟に対応できる方策、施設管理の効率化への対応などが配慮されるべきである。

## V・おわりに

本検討班は、中間報告を平成12年8月10日に公表し、その後のパブリックコメントや国立医薬品食品衛生研究所を中心として策定されようとしている「画期的な医薬品等の開発に関する基盤技術の拠点的研究機関（医薬基盤技術研究施設）」の基本構想等広く意見を聞きつつ更なる検討を加え、最終報告をまとめるにいった。

本検討班としては、報告で提唱した中核的な機能を有する研究所が早期に整備されることによって、驚異的な発展をみせているゲノム科学、たんぱく質科学や情報科学を利用した画期的な医薬品等の開発が促進され、保健医療の一層の向上を志向する国民の期待に応えることができることを強く期待するところである。

本研究班の各委員の多大なご協力に深く感謝申し上げます。

## 具体的な研究課題例

I・ゲノム科学	1 有用遺伝情報を基盤としたDNAチップ、プロテインチップ等の高度化に関する技術開発
	2 有効性・安全性を予測するDNAチップ等の標準化に関する研究
	3 DNAマイクロアレイを用いた遺伝子発現解析の高度化・効率化に関する研究
	4 遺伝子・たんぱく質の機能解析に関する技術開発
II・たんぱく質科学	5 受容体反応部位の構造生物学に基づくたんぱく質高次構造解析技術等の開発
	6 たんぱく質の高次構造や低分子化合物との相互作用等に関する情報を利用した分子設計技術、候補物質の探索技術及び新規化合物の合成技術の開発
	7 核内、細胞質内、細胞—細胞間及び細胞—細胞外マトリックス間の情報伝達の制御を目的とした新規技術の開発
III・バイオインフォマティクス	8 疾患モデル動物の遺伝子発現データベースの作成とヒトに利用するための技術の開発
	9 DNA—たんぱく質、たんぱく質—たんぱく質、たんぱく質—低分子化合物の間の相互作用解析とそのデータベース化に関する研究

