

(2) システムの基本的な考え方

システムの開発にあたって、現行の研究評価に係る事務・業務・作業とその流れを整理した。その結果、一連の業務のうち、「事務局が評価対象の研究計画書と評価票を評価委員に送付する」、「評価委員が評価票に点数とコメントを記入する」、「評価委員が事務局に評価票を送付する」、「事務局が評価票の点数とコメントを入力・集計する」、「事務局が評価委員会に使用する評価の集計結果を作成する」、「事務局が個々の申請課題の評価結果報告を作成する」に関しては、紙媒体や事務スタッフの膨大な労力を使用することなく Web ベースでのデータの入力、送受信、出力によって遂行できることが明らかとなり、それを可能にする電子システムを開発することとした。

(3) 評価・レビューの基準設定の基本的な考え方

評価・レビューの基準に関しては、現状では、厚生労働本省の通達において「評価にあたって考慮すべき事項」が設定されており、評価委員はそれに基づいて総合評価点とコメントを記載することとなっている。しかし評価票では、「考慮すべき事項」が文章で記載されているのみであるため、評価委員がそれらを参考にして評価しているかどうか明らかではない。そこで「評価にあたって考慮すべき事項」を評価の「細項目」として、それぞれに点数とコメントを記入してもらった上で、それを参考に総合評価点とコメントを記入してもらうこととした。

「評価にあたって考慮すべき事項」を評価の細項目に設定するにあたっては、各項目の説明が十分でないため、評価項目の意味や意図が明確になるように説明文を加筆・修正した。なお説明文の作成にあたっては、アメリカの National Institutes of Health (NIH)

における研究費申請書の一次評価で採用しているレビューの基準を参考にした。

評価の細項目を参考に総合評価を行う手順としては、細項目の平均点を算出する方法が一般的であるが、公募課題の採択条件等によって細項目の「重みづけ」が異なると考えられる。NIH のレビューのガイダンスでは、5 つの評価項目（重要性、研究者、革新性、アプローチ、環境）の採点を行うが、総合評価点を高くつける場合、必ずしも全ての評価項目が高い必要はない、とされている。そこで、本システムにおいても、評価の細項目の点数とコメントを記入してもらい、それらを参考にしながら、かつそれらとは独立して総合評価の点数とコメントを記入してもらうこととした。

評価の細項目及び総合評価の点数に関しては、1～10 点で採点することとなっているが、その基準が明確ではなかった。NIH のレビューでは 1～9 点（注：点数が低い方が評価が高い）で採点することとなっており、それぞれの点数の基準が明文化されている。そこで、本システムにおいてもそれらの基準を 10～2 点に適用し、その基準の段階に準じて最低点の 1 点を設定した。

(4) システムの開発・運用・評価の手順

システムの開発業務は専門の SE が上述した基本的な考え方にしたがって行い、平成 22 年 12 月にシステムの基本設計が完了した。

平成 23 年 1 月前半には、評価委員にシステムの ID とパスワードを配布し、試験用の研究計画書と評価票を用いて、計画書のダウンロード及び評価票の入力を実施してもらい、入力不能などのトラブルの発生状況、記入のしやすさ、出力の正確性などを検証し、改良を行った。そして平成 23 年 1 月後半からシステムを稼働して、実際に申請された研究計画書の評価作業を開始した。

平成23年3月に実施された中間・事後評価委員会、事前評価委員会までの一連の評価作業の状況の評価し、本システムの適用可能性を検証した。

2. サイトビジットを通じた研究支援方法の検討

(1) 目的

FAを先行して実施している「健康安全・危機管理対策総合研究事業」では、研究支援活動として、①研究課題の申請（予定）者に対する説明（公募課題の採択方針等）、相談への対応、申請の意志の把握と鼓舞、②研究課題が採択されなかった申請者に対する説明

（不採択理由等）、研究継続の意志の把握と鼓舞、他の研究資金の採択状況などの把握、③採択された研究課題に対する研究期間を通じた支援、などを実施してきた。その中でも特に③に重点的に取り組んでおり、研究代表者に研究班会議（研究代表者と研究分担者の全員が参加する会議）の開催を通知してもらい、研究事業推進官（Program Officer：P0）は可能な限り班会議に出席して、研究の進捗状況、研究班内の連携・コミュニケーションの状況などを把握するとともに、必要に応じて研究の進め方等についての助言や情報提供を行ってきた。この活動の開始当初は開催通知、P0の出席ともに少なかったが、現在では約8割の研究課題から班会議の開催を通知してもらい、そのうちの約8割の班会議にP0が出席している状況である。その結果、開催を通知した研究班、P0が出席した研究班の方が、当該年度の最後に実施される事後評価の点数が高かったことが示されており、このような研究支援方法はある程度の有用性があることが実証されている。

しかし一方で、研究班会議を通じた研究支援の限界も明らかになりつつある。具体的には、多くの研究班、特に規模の大きい研究班では、研究班会議が分担研究項目の成果発表

会として位置づけられているため、その成果に至るまでの調査や実験の実施状況、研究代表者と研究分担者、あるいは研究分担者の間の連携やコミュニケーションといった研究実施体制など、研究の「プロセス」を十分に把握できないという問題が挙げられる。研究支援は、研究の「プロセス」を詳細に把握し、調査研究の円滑な推進を阻害する要因や問題点を抽出し、その解決方法を提案することであり、そのためには研究班会議への出席を代替する、あるいは補完する新たな効果的な研究支援方策を開発する必要がある。

その方法の一つとして「サイトビジット」が挙げられる。研究班会議ではP0はオブザーバーの立場で出席することになるため、質疑応答等が十分にできなかった。それに対してサイトビジットは、調査者（P0等）に対して研究の進捗状況や研究成果を説明することになるため、お互いに納得のいくまで質疑応答を行うことができ、研究の進捗状況を十分に理解した上での助言や情報提供が可能になると考えられる。また、研究を実施している現場を視察することによって、施設・設備、スタッフ、研究機関の支援体制等の研究環境の状況を把握することができ、研究者を取り巻く状況を考慮した上での実効性のある研究支援が可能になると考えられる。

本研究では、新たな研究支援方法としての「サイトビジット」を試行的に実施し、その実施内容等に関して評価するとともに、サイトビジットで得られた情報に基づいた研究支援の具体的な方策を検討することを目的とする。

(2) 方法

①調査対象の研究課題の選定

難治性疾患克服研究事業の交付を受けた研究課題のうち、重点分野「スーパー特区（先端医療開発特区）」の課題を対象とした。

「スーパー特区」は、設定した重点分野に関して、先端医療研究拠点を中核とした他の研究機関や企業との複合体を選定して、研究資金の集中的投入や資金運用の特例化、規制当局との並行協議等を試行的に行うことによって、革新的医療技術の開発・実用化の促進を図ることを目的としている。スーパー特区では、開発と平行した薬事相談、開発した医薬品・医療機器の迅速な承認審査、高度医療評価制度の活用、特許等の早期審査制度の活用、臨床研究の体制整備（人材育成、補償制度の充実等）などを優先的に進めることが可能となっている。

重点分野として、①iPS細胞応用、②再生医療、③革新的な医療機器の開発、④革新的バイオ医薬品の開発、⑤その他、国民保健に重要な治療・診断に用いる医薬品・医療機器の国際的な共同研究開発（がん・循環器疾患・精神神経疾患・難病等の重大疾病領域、希少疾病領域その他）、が設定され、平成20年度に内閣府によって研究課題が公募され、24課題が採択された。そしてそれらの課題の中で、難治性疾患克服研究事業に関連する研究課題が5課題採択され、平成21年度からの3年計画で研究を遂行している。

スーパー特区の研究課題は日本発の医療技術の中でも特に世界に向けた実用化・市場化を目指したもので、最も成果が期待される最先端の研究課題である。これらの課題は、難病研究の方向性の一つである希少医薬品

(orphan drug)の開発・実用化を具体化した研究であり、その研究の実施状況を詳細に分析することによって難病研究の実施体制の一つのモデルを提示できると考えられる。またこれらの課題には高額（億単位）の研究資金が投資されており、その進捗状況や研究成果を詳細に把握することはFAの国民に対する説明責任でもある。このような背景から、スーパー特区の研究課題をサイトビジットの対象とした。

②サイトビジットの実施方法

訪問者（調査者）は、難治性疾患克服研究事業の事前評価委員または中間・事後評価委員、厚生労働省健康局疾病対策課の担当職員、P0の各1名で、研究代表者が所属する研究機関を訪問し、調査を実施した。

調査のスケジュールとしては、研究代表者からの研究全体の進捗状況や今後の研究計画等の発表、研究分担者からの各分担研究項目の進捗状況等の発表、関連する施設・設備の稼働状況や実際の実験の様子等の視察を行い、最後に研究代表者、研究分担者を交えて、質疑応答、意見交換を行った。調査時間は約3時間であった。

調査終了後、P0が調査者の意見を取りまとめ、調査報告書を作成した。調査報告書は研究代表者に通知して、今後の研究の推進のために活用してもらった。また評価者に提出し、中間・事後評価委員会における評価の参考にしてもらった。

③調査項目

調査項目は以下のとおりであった。

○研究の進捗状況

- ・昨年度及び現時点までの目標はどの程度達成できたか？
- ・今年度の達成目標は適切に設定されているか？
- ・論文発表、学会発表、講演、特許の申請等は適切に行われているか？

○今後の研究計画

- ・研究計画等に変更が必要な点はあるか？
- ・目標の達成が困難な点はあるか？
- ・見込める研究成果は何か？
- ・論文発表、学会発表、講演、特許の申請等の予定は立てられているか？

○研究課題のインパクト

- ・本研究課題と類似した研究や技術はあるか？ またそれらとの差別化は図られているか？
- ・研究成果が健康（患者のQOL等）、経済（医療費等）、社会に及ぼす利益は何か？ またそれはどの程度の大きさなのか？
- ・研究成果を他の疾患に応用できるか？ またそれはどの程度の範囲に応用できるか？
- ・研究または研究成果によってもたらされるリスクはあるか？ またそのリスクを回避するための方法はあるか？

○研究班体制

- ・研究班員は、目標等についての共通認識に基づいて研究を遂行しているか？
- ・研究代表者は、リーダーシップを発揮しているか？
- ・研究代表者は、研究分担者・研究協力者と定期的に連絡をとっているか？
- ・研究代表者は、研究分担者・研究協力者の研究の進捗状況を把握しているか？ またそれをどのように把握しているか？

○研究スタッフ

- ・スタッフ（研究員、専従スタッフ、大学院生、研究補助員等）は十分に確保されているか？
- ・各スタッフの業務・研究全体において、本研究課題の業務は適切に調整されているか？
- ・スタッフの指導、研修等、人材育成の体制は整備されているか（学位取得率・ドロップアウト率などの実績）？
- ・研究代表者とスタッフとの間で十分なコミュニケーションはとれているか？

○スーパー特区の活用状況

- ・研究資金の統合的かつ効率的な運用はなされているか？

- ・薬事相談等、高度医療制度、先進医療制度、特許申請手続き等を活用しているか？

○産学連携の状況

- ・企業との共同研究は実施されているか？
- ・将来関連しそうな企業はあるか？
- ・企業と共同して実用化を予定している技術はあるか？

○研究環境

- ・研究費の管理・運用体制は整備されているか？ また研究費は適切に使用されているか？
- ・研究施設、研究設備、動物実験施設、研究に必要な特殊設備は十分に整備されているか？ またそれらは適切に使用されているか（稼働率等）？
- ・研究資材の購入・使用、実験動物の手配等は適切に実施されているか？
- ・業者等への委託業務はあるか？ また委託先、委託内容、委託費、終了期限は適切か？

○研究への支援体制

- ・厚生労働省とのコミュニケーションの体制は整備されているか？
- ・所属する研究機関において本研究課題はどのように位置づけられているか？
- ・所属する研究機関、他の研究機関や関係機関（企業、患者団体等）から支援を受けているか？ またどのような支援を受けているか？

④分析

調査結果から、スーパー特区の研究課題の進捗状況の特徴、研究遂行上の障壁や問題点、今後の発展の方向性などを抽出し、研究支援の実施可能性、実施内容、実施のタイミングなど、効果的な研究支援方法を検討した。

(倫理面への配慮)

システムの開発それ自体に関しては倫理的な問題は発生しないと考えられた。しかしシステムにおけるデータには評価委員、研究代表者等の個人情報が含まれるため、セキュリティが最大限に確保されるようなシステムを構築するように配慮した。

サイトビジットに関しては、対象が「研究課題」で特定の個人ではないため、倫理的な問題は少ないと考えられた。

C. 研究結果

1. 電子研究評価システムの開発

(1) システムの構造と機能

電子研究評価システムは、管理者（交付事務組織）とユーザー（評価委員、研究事業推進官）で構成される。

管理者の画面では、研究課題情報の登録、評価委員情報の登録、各研究課題の評価を担当する評価委員の割り当てを行い、マスターデータが作成される。

評価委員の画面では、各自の ID とパスワードを用いてログインすると、評価を担当する研究課題の一覧が表示される。個別の研究課題を選択すると、研究計画書等の評価資料と評価票が表示される。そして評価票に評価点数とコメントを入力・保存して評価が終了する。この時点で、評価情報がマスターデータに登録される。

一方、管理者の画面では、マスターデータから各研究課題の評価点数の平均値、コメントのまとめ等を出力することによって、評価委員会で使用する資料、各研究課題への評価結果報告が作成される。

(2) 評価項目

評価の細項目（評価にあたって考慮すべき事項）の設定と各細項目での採点とコメントの記入、それらを参考とした総合評価点とコメントの記入に関しては、「わかりやすい表

現であった」などの肯定的な意見が得られた。しかし一方、評価の細項目が、事前評価で9項目、中間評価で6項目、事後評価で8項目と多く、「それぞれを採点するのは負担が大きい」といった問題点が指摘された。

点数の配点基準の明文化に関しては、「わかりやすい」という意見と「どこに基準を置いてよいかわかりにくい」という意見がみられた。

(3) 作業・コストの負担

交付事務組織に関しては、評価委員への評価資料（研究計画書等）の送付の作業（コピー、郵送等）の負担が大幅に軽減された。また評価委員が書面で記入していた評価点数とコメントを再入力する必要がなくなり、作業の負担の軽減と正確性の向上を図ることができた。さらに評価委員会の資料や研究課題への評価結果報告もほとんど自動的に行うことが可能になり、作業の負担を大幅に軽減することができた。

一方、評価委員に関しては、必ずしも負担の軽減が図られているわけではなかった。評価資料はPCの画面に表示されるが、画面上で資料を長時間見続けることは困難であるため、「評価資料を印刷して読んだ」という評価委員が多かった。このことは、評価資料の印刷の負担と費用を交付事務組織から評価委員に移転してしまったことになり、むしろ評価委員の負担を増大させてしまった可能性がある。

システム全体の運用に関しては、サーバー等の大きな障害もなく、評価作業の中断などによる時間の損失等大きくなかったと考えられる。

2. サイトビジットによる研究支援方法の開発・実施・評価

(1) 対象の研究課題

本研究で対象とした研究課題は以下の5課題であった。

①免疫修飾薬による多発性硬化症の治療成績向上を実現する探索的研究

②重症肺高血圧症の予後と生活の質を改善するための低侵襲かつ安全安心な吸入ナノ医療の実用化臨床試験

③肝細胞増殖因子による筋萎縮性側索硬化症に対する新規治療法の開発

④重症拡張型心筋症への
bridge-to-transplantation/recovery を目指した新規治療法の開発と実践

⑤疾患特異的 iPS 細胞を用いた難治性疾患の画期的診断・治療法の開発に関する研究

(2) 研究の達成目標と進捗状況

どの研究課題もスーパー特区を開始する前から研究が進められているが、開始時点での研究の達成度が異なることもあり、現在までの達成状況にもばらつきがあった。課題①、②、③の達成目標は臨床試験のフェーズⅠの開始であり、それに向けた前臨床研究（モデル動物を用いた安全性試験や薬物動態試験、GMP 基準による薬剤の大量合成など）が順調に進められていた。またフェーズⅠの完了を目標としている課題④ではすでにヒトを対象とした臨床試験を開始していた。しかし課題⑤では基礎研究の段階で臨床応用に向けた知見を探索している段階であった。

(3) 研究を進めるにあたっての障壁

①デバイスの開発

ピタバスタチンのナノ粒子の吸入（課題②）、HGF の髄腔内持続投与（課題③）など、薬剤を効果的に送達するためのデバイスの開発に苦心している課題がみられた。デバイスの開発に当たっては、医学的・薬学的アプローチだけでなく、工学的アプローチが必要である。このような薬剤とデバイスを複合した医療技術の開発は、医学部、薬学部、工学部などを

有する総合大学で実施する方が推進しやすいと考えられる。

②患者のリクルート

開発した医療技術を適用する患者のリクルートに関しては、課題①、②では、研究代表者の所属機関の病院の通院患者で確保できる状況にあった。しかし課題④では、対象疾患である重症拡張型心筋症は、患者数自体が少なく、発症後比較的短期間に死亡に至るため、十分に患者を確保できる状況ではなかった。対照的に、課題③では、対象疾患である ALS の治療法がほとんどないため、効果を期待して患者が殺到する可能性が懸念されている。

フェーズⅠは安全性試験であり、それほど多くの患者を確保する必要はないが、次のフェーズⅡに向けて国内のネットワークを活用した多施設共同研究や国際共同研究の推進方を検討しておく必要がある。また FA としても、多施設共同研究や国際共同研究を円滑に推進させるために、国内外の医療機関のネットワークの構築、患者会との連携などに対する支援を行う必要がある。

またいずれの医療技術も、対象とする疾患の全ての患者に適用できるわけではないが、どのような状態の患者に適用できるかを十分に検証できていない課題が多い。また、バイオマーカーなど、医療技術を評価する指標が十分に確立していない課題もある。したがって、フェーズⅡに進む段階では患者のエントリーの基準や評価指標を明確に設定して、開発した医療技術の効果を正確に検証できるプロトコルを作成する必要がある。

(4) トランスレーショナルリサーチの推進体制

ほとんどの研究代表者の所属研究機関は、文部科学省の「橋渡し研究拠点」としてトランスレーショナルリサーチを推進するための施設や組織が設立され、CPC (Cell Processin

Center)などの最新の設備が整備されていた。また動物実験施設にも最新の検査機器、手術室等が完備され、実験を進める物理的環境は十分に整備されていた。

しかし施設・設備面が充実している反面、トランスレーショナルリサーチを推進するための人材が十分に確保されていないという問題がある。具体的には、トランスレーショナルリサーチの専門家としてのTRC

(translational research coordinator)、事務部門のスタッフなどが挙げられる。特にTRCは、その具体的な役割が十分に確立されていないが、基礎研究におけるシーズの探索、トランスレーショナルリサーチを円滑に推進するための研究者への支援、治験部門との連携と調整など、幅広い役割が期待される。また研究の内容面だけでなく、運営管理面にも精通している必要がある。治験推進の専門家としてのCRC (clinical research coordinator) の人材育成は進んでいるが、今後はTRCのcompetencyの構築とそれに適合した人材育成プログラムを開発する必要がある。

また橋渡し研究拠点と病院の治験部門の間、あるいはTRCとCRCの間の役割分担が明確でないという問題もある。どちらもデータ管理、統計解析、プロトコルの管理など共通する部分が多いが、医師主導のフェーズⅠと企業主導のフェーズⅡでは具体的な業務内容が異なるため、同じ組織で両方の役割を担うことは困難である。しかし類似した業務を担う人材を両方の組織に配置するほどマンパワーに余裕がある状況ではなく、両方の機能を同時に強化することも困難である。

また橋渡し研究拠点が、病院、医学部（医学系研究科）とは別の組織として位置づけられている研究機関がほとんどであり、円滑に機能しない場合、病院とも医学部（医学系研究科）とも十分に連携できず、橋渡しの目的を達成できない可能性も考えられる。

橋渡し研究拠点は設立されて間もないため、実績としてはスーパー特区の研究課題がほとんど初めてであると考えられる。したがって今後も、これらの研究課題の進捗状況を把握するとともに、FAとして研究支援を行うことにより、わが国におけるトランスレーショナルリサーチの推進体制や運営管理の具体的なモデルを確立する必要がある。

(5) スーパー特区

上述したように、スーパー特区は、1)先端医療研究拠点を中核とした他の研究機関や企業との複合体による研究の推進、2)研究資金の集中的投入や資金運用の特例化、3)規制当局との並行協議、を試行的に行うことによって、革新的医療技術の開発・実用化の促進を図ることを目的としている。

1)に関しては、いずれの研究課題も複数の研究機関と企業で研究班が構成されており、研究班内ではそれぞれの特長を生かした研究分担項目が明確に設定され、それぞれの役割を着実に遂行している。しかしスーパー特区内の他の研究課題との連携に関して明確な回答が得られた課題はほとんどなく、十分に連携しているわけではない可能性が示唆される。またスーパー特区における複合体が、比較的類似した研究テーマを実施している研究機関と企業が大型の研究費を獲得するために緩やかに集合した形態である可能性も示唆される。

2)に関しては、スーパー特区は内閣府の主導によって進められているが、内閣府自身は研究費の予算を確保していないため、文部科学省、厚生労働省、経済産業省などから研究費が配分されている。スーパー特区の研究課題であることによって各省庁から大型の研究費が配分されており、「研究資金の集中的投入」は達成できていると考えられる。しかし各省からの研究費は、科学研究費補助金、厚生労働科学研究費補助金の枠組みで配分され、それぞれのルールに従って執行する必要がある。

るため、柔軟な研究資金の運用といった「資金運用の特例化」は困難な状況にある。課題①、③、④から費目間の流用、研究費の繰り越しなどの要望があり、厚生労働科学研究費補助金の使途の制限が研究遂行に支障をきたしている可能性がある。しかし一方で、課題④では、研究費の使途の範囲内で十分に活用できているという意見もみられ、厚生労働科学研究費補助金の規程にしたがって研究費を有効に執行することも十分可能であると考えられる。

3)に関しては、課題①、③、④ではPMDAとの薬事相談を行っており、課題④では高度医療評価制度の活用も検討しているが、課題②、⑤では研究の進捗状況からまだその段階にはなかった。今後研究が進んだ段階で、医薬品・医療機器の迅速審査などを活用することになると考えられるが、そのためにはPMDAや厚生労働省などの規制当局からの積極的な支援が必要であると考えられる。

(6) 研究班体制

上述したように、いずれの研究課題の研究班も複数の研究機関と企業で構成され、それぞれの特長を生かした研究分担項目が明確に設定され、それぞれの役割を着実に遂行していた。また課題⑤では、研究テーマである医療技術を疾患横断的に活用するために、複数の診療科目の研究者が参加していた。このような研究班体制によって、スーパー特区の目的である革新的医療技術の開発・実用化が迅速かつ効果的に推進されると考えられる。

しかし一方で、研究班内のコミュニケーションや情報共有が必ずしも十分ではない状況が伺えた。具体的には、分担研究項目や委託業務の進捗状況に関する質問に対して、研究代表者が必ずしも十分に回答できなかったことが挙げられる。スーパー特区の研究課題は各研究分担項目を着実に遂行することによって目標を達成できる体制であるため、個々の

最終的な研究成果を統合すればプロジェクトは完了する。そのため、研究の途中で何らかの支障が生じない限り、情報交換や情報共有は必ずしも必要ではないと考えられる。しかし研究が円滑に進行している場合でも、他の研究分担者からみて興味深い結果が得られたり、個々の研究分担者だけでは気がつかなかった重要な知見が得られたりする可能性があり、それが研究全体の推進に役立ったり、派生的な研究テーマを推進するきっかけになったりすることも考えられる。

もう一つは、研究分担者による発表の中で、研究課題の目的や目標、研究班の全体像に対する理解、あるいはスーパー特区の研究課題であるという認識が十分でないと思われる発言がみられ、特に若手の研究者にそのような傾向がみられた。若手、中堅の研究者は、与えられた研究分担項目をより深く追求することによって研究成果や業績を上げており、またそれは研究者のキャリアパス上で必要なことである。しかし彼らは将来的には研究代表者として研究プロジェクトを指揮する役割を担うと考えられるため、現在から研究プロジェクトの運営管理の能力を修得することが必要である。研究分担者に研究プロジェクト全体の目的や目標を常に意識させるのは研究代表者の役割であり、研究者教育の観点から、特に若手や中堅の研究者に対して、広い視野から研究プロジェクトを運営管理する能力と限定された研究テーマを深く追求する研究能力の両方を修得できるように支援する必要がある。

ほとんどの研究課題で研究代表者だけでなく研究分担者とも意見交換を行うことができ、いずれの研究分担者からも研究遂行能力の高さが伺えた。その中でも、課題④では、行政経験をもち、医薬品の審査や臨床試験の手続きに精通している研究分担者が配置されていた。この課題では、PMDAとの薬事相談も順調に進んでおり、高度医療評価制度の活用も検

討しているが、それらを中心に進めているのがその研究分担者であった。したがって、研究班を構築する場合、研究代表者の右手には研究遂行能力が高く、研究の内容的側面の中心となる研究者、左手には行政能力が高く、研究の運営管理的側面の中心となる研究者を配置することによって、特にスーパー特区のような医療技術の開発・実用化を目的とした研究課題は円滑に推進されると考えられる。

(7) 研究代表者

いずれの研究課題の研究代表者も研究に対する熱意を十分に保有し、研究の円滑な推進のために積極的に取り組む姿勢が伺われた。しかし一方で、それぞれの研究代表者で異なる特徴もみられた。

一つ目に、研究課題が対象とする疾患に対する取り組みの継続性が挙げられる。課題①では、多発性硬化症に対する長年にわたる基礎研究と臨床経験の中で今回の対象医薬品である OCH にたどりついた。またさらに新しい多発性硬化症の治療薬としての AM80 の開発にも取り組んでいる。また課題③では、大学院生の時期から、難病の象徴的存在であり、治療法がほとんど開発されていなかった ALS に取り組み、原因遺伝子の発見などの優れた研究成果を産出してきた。そして今回 HGF の運動ニューロン保護作用に着目して、ALS に対するほとんど初めての治療法の開発に取り組んでいる。どちらも「疾患」を深く追求し、その治療法を確立することに主眼が置かれている。

それに対して、課題②では、循環器疾患で有効性が検証されたピタバスタチンの適用を呼吸器系の難病にも拡大することを目指している。また課題④では、対象疾患である重症拡張性心筋症を含めた補助人工心臓の患者に対して、再生医療を用いた新しい医療技術(骨格筋芽細胞シート、脂肪組織幹細胞由来心筋細胞)を適用することを目指している。どち

りも新しく開発された「医療技術」を確立するとともに、その適用範囲を拡大することに主眼が置かれている。

「疾患」に主眼を置く場合、病態を解明していく中で最もそれに適した物質や治療薬を発見・開発できる反面、これまでの研究の延長線上にないが効果が期待される医療技術を当該疾患の治療に結びつけることが困難である可能性がある。一方、「医療技術」に主眼を置く場合、動物実験等での成果を蓄積することによって疾患の適用範囲を拡大することが容易である反面、それぞれの疾患に対する作用機序や病態の解明に結びつかない可能性がある。どちらも一長一短であるが、それぞれの短所を克服できれば、アプローチとしてはどちらも適切であると考えられる。

二つ目に、人材育成・人材確保に対する取り組みが挙げられる。これには研究代表者の職位が密接に関係している。課題①、④、⑤の研究代表者は教授であり、教室の運営に関する責任と権限をもっているため、大学院生の採用、他の研究機関や企業からの研究員の受け入れ、海外の留学生の受け入れなどを行い、その人材育成に積極的に取り組んでいた。それに対して課題②、③の研究代表者は准教授、講師であるため人材育成に関わる状況にはなかった。人材育成への取り組みは研究に関与する人材の確保につながり、多くのスタッフを抱えることによってより多くの研究成果を産出する体制が整備されると考えられる。その意味で、研究代表者が教授でない場合、所属機関が人材を積極的に確保し、研究代表者が人材育成に関与できる体制を整備する必要がある。

研究代表者のリーダーシップに関しては、今回のサイトビジットでは十分な情報を得られなかったが、自らが先頭にたって研究班員を引っ張っていくタイプと、研究班員の特長を生かして、彼らの分担研究項目が円滑に遂行されるように調整するタイプが見いだされ

た。他にも様々なタイプがあると考えられるが、今後も様々な研究課題のサイトビジットを実施し、データを蓄積することによって、リーダーシップのタイプとそれによる研究の推進状況の差異を明らかにする必要がある。

(8) 難病に関連する医療技術の開発・実用化の研究の諸相

①研究の「不連続」な展開

難病研究の典型的な展開として、若干の前後があるものの、症例の発見、疾患概念の確立、診断基準の確立、病態の解明、原因・危険因子（人口学的特性、遺伝子、生活習慣等）の解明、治療の標的（分子、遺伝子、細胞等）の設定、物質のスクリーニング、命中、作用機序の解明、前臨床研究（毒性試験、PK/PD、GMP など）、候補薬剤の選定、臨床試験という流れが想定される。この流れの中で、原因の解明から治療の標的の設定、物質のスクリーニングから命中、命中から作用機序の解明、のプロセスに関しては、必ずしも典型的な研究の展開が行われていない可能性がある。

一つ目に、難病には遺伝性疾患が多いため、多くの研究で原因遺伝子の探索に力を注いでいるが、それが必ずしも治療の標的になるわけではないことが挙げられる。課題③では、ALS の原因遺伝子の一つを標的としていたが、その後、原因遺伝子に関わらず HGF の運動ニューロンの保護作用が ALS に作用していることが明らかとなっている。研究代表者の説明の中でも、原因遺伝子の発見から HGF の命中に至る過程が省略されており、この過程で研究が「不連続」に展開されたことが示唆される。

二つ目に、治療の標的の設定から命中までのプロセスで、膨大な試行錯誤が必要になることが挙げられる。課題①では、多発性硬化症の治療標的として NKT 細胞が設定され、その作用物質としてすでに開発されていた α -GC から OCH を合成して効果を実証してい

た。しかし α -GC から OCH に至った経緯については十分な説明がなく、そこには多くの試行錯誤があり、必ずしも円滑に進まなかった可能性が示唆される。

三つ目に、物質が命中していることは明らかであるが、その作用機序やメカニズムが十分に解明されていないことが挙げられる。課題②では、ピタバスタチンのナノ粒子が肺の終末気管支まで到達していないにも関わらず効果を発揮しており、物質が直接作用していない可能性が示唆されているが、その作用機序は明らかにされていない。また課題④では、骨格筋芽細胞シートが心筋の機能を改善する効果は実証されているが、骨格筋芽細胞が心筋に再生するわけではなく、そこから産生される物質が作用していると考えられているが、そのメカニズムは明らかにされていない。このように、作用機序やメカニズムが解明していなくても効果的な医療技術を開発することは可能であり、ここでも研究の「不連続」な展開があることが示唆される。ただし作用機序が解明されていない効果はある意味「想定外」の効果であり、逆に想定外の副作用やリスクが発生する可能性もある。したがってこのような医療技術に関しては、開発・実用化を進めるための臨床研究と平行して、作用機序やメカニズムの解明のための基礎研究も進める必要があると考えられる。

また今回の研究課題では該当しないが、設定した標的とは別の標的に命中することもあり、これを利用して、承認済みの医薬品の別の目的や別の疾患への適用、つまり医薬品の再目的化や再ポジショニングが行われることも多い。これに関しては、副作用のデータなどの解析によって判明することがあるが、当初の標的とは全く無関係の偶然の産物として「不連続」に研究が展開される可能性がある。

②工学との連携

スーパー特区の研究課題が対象としている医療技術は、単に作用物質をスケールアップして医薬品として開発するだけでは効果を発揮しないものが多い。上述したように、ピタバスタチンのナノ粒子の吸入（課題②）、HGFの髄腔内持続投与（課題③）など、開発した薬剤を効果的に送達するためのデバイスもあわせて開発する必要がある。これらの開発にあたっては工学的アプローチが必要であり、工学部との密接な連携が不可欠であると考えられる。どちらの課題の研究代表者の所属研究機関も総合大学で、工学部の実績は日本有数である。特に課題③の橋渡し研究拠点は医療工学に力を入れており、工学部と連携して医療機器の開発や実験設備の開発に積極的に取り組んでいる。このような研究機関の特長を活用した学際的な取り組みは、医学、薬学のみでは円滑な推進が困難な研究領域の新たな展開の原動力となる可能性がある。逆に、医学、薬学の領域のみで可能な一般的な医薬品の開発は製薬企業等でも可能であり、公的資金である厚生労働科学研究費補助金においては民間ではできない学際的な医療技術の開発に重点を置く必要があると考えられる。

工学との連携の必要性のもう一つの側面として、実験・測定機器の開発が挙げられる。課題①では、標的であるNKT細胞の抗体の測定機器としてカラーフローサイトメトリーを使用しているが、その性能が向上したことによって判別可能な抗体の種類が増加し、多くの研究成果をもたらした。現代の医学における研究成果はこのような実験・測定機器の性能の向上によるところが大きく、この側面でも工学との連携によって医学の進歩に有用な機器を開発していくことが必要である。

③医療技術の普及

上述と関連して、革新的な医療技術(technology)の中にはそれを扱う技術(technique)を伴う場合があり、医療技術の

普及を促進するためには両者をあわせて開発・実用化する必要がある。課題④では、骨格筋芽細胞シートの作製や移植、脂肪組織幹細胞由来心筋細胞の経冠動脈投与にある程度の高度な手技を必要とするため、それを習得するための訓練や研修などの人材育成もあわせて実施する必要がある。また課題⑤では、iPS細胞の作製に関して製薬企業等への技術移転が十分に進んでいないため、iPS細胞を用いた各種試験等を実施する際に支障が生じる可能性がある。

このような技術(technique)を普及するための研修、訓練などの人材育成には多くの時間を要するため、医療技術が確立してもそれを使用できる人材がないという状況が発生する可能性がある。そのような「タイムラグ」を回避する上でも、医療技術の開発と同時進行で人材育成を行い、医療技術の確立と同時に全国の患者にそれを普及できる体制を整備しておく必要がある。また人材育成には、研修を実施する施設、講師、設備、資材などが必要であり、そのための予算を医療技術の開発とは別に確保する必要がある。それを厚生労働科学研究費補助金の枠組みで実施すべきかどうかについては検討の余地があるが、何らかの形で予算を配分して、技術の普及を促進する必要がある。

④日本の「弱み」を生かした研究開発

スーパー特区の研究課題は「日本発」の医療技術を世界に向けて実用化・市場化することを目指しているが、今後もそれをさらに推進するためには、日本の特徴を最大限に活用することで成果を発揮できる研究課題、研究テーマを探索していく必要がある。

日本の特徴を活用する方法として、例えば世界でも有数の「ものづくり」の技術を活用して、上述したような工学部との連携のもとでイノベーションを創出する、というように、日本の「強み」を生かす方法が一般的である。

しかし日本の「弱み」も逆に一つの特徴であり、それを活用（克服）するための医療技術を開発することによって、諸外国では考えられないようなイノベーションを創出することが可能であると考えられる。

課題④では、日本では心臓移植が十分に普及していないため、人工心臓を装着しながら長期間にわたって移植を待機している患者が多いが、そのような日本の問題を克服するために、人工心臓から心臓移植までの待機期間の生存年数の延長とQOLの向上を目指した

「bridge to transplantation」の技術として再生医療（骨格筋芽細胞シート等）を活用したという経緯がある。心臓移植が進んでいる諸外国ではこのような技術の必要性が小さいために十分に組み込まれていないのが現状であり、これは、日本に特有の「弱み」を克服する形で世界に通用する医療技術を開発した一つの事例である。

課題①では、腸管免疫に関する動物実験の結果等を踏まえて、食生活等のライフスタイルの変化がわが国の多発性硬化症の患者数の増加に影響していることが指摘され、また遺伝子の要因のみで疾患の原因の解明や治療法の開発はできないことが指摘されていた。アメリカのNational Institutes of Health

(NIH)では「個別化医療 (personalized medicine)」、つまり患者個人の遺伝子情報に基づいた診断と個人差にあわせた最適な治療や投薬を行う治療の推進を目指して、遺伝子の研究に重点が置かれている。それに対してわが国では、遺伝子研究は十分に進んでいない状況であるが、その「弱み」を生かして、アメリカでは重点が置かれていない遺伝子以外の要因（環境、ライフスタイルなど）に着目して、それらによるイノベーションの創出と新しい「個別化医療」の開発を行うことが可能であると考えられる。

このような日本の特徴（強み、弱み）を生かした研究開発を推進するためには、諸外国

の研究開発、保健医療制度、社会システム等の特徴（強み、弱み）を広範に把握し、世界における日本の位置を明確に見極め、「強み」を推進するだけでなく、「弱み」を克服する方策を検討し、それを実現するために必要な研究領域や研究シーズを探索する必要がある。また、強み (Strength) や弱み (Weakness) を分析して戦略を策定する手法として「SWOT分析」が開発されており、わが国の研究開発戦略の策定のツールとして活用できる可能性がある。

⑤医療技術と難病の関係

スーパー特区の研究課題が扱う医療技術はいずれも、難治性疾患だけでなく、他の疾患にも適用が可能であり、またその適用範囲も、同じ疾患系だけでなく、他の疾患系にも拡大できるものもある。しかし別の観点からみれば、対象の医療技術が多く疾患に適用可能であり、その中に難病も含まれると捉えることもできる。課題②のピタバスタチン、課題③のHGF、課題④の再生医療（骨格筋芽細胞シート、脂肪幹細胞由来心筋芽細胞）、課題⑤のiPS細胞は、いずれも医療技術が先に開発され、それらを難病の治療に応用するという流れで研究が進められている。ここでの問題として、厚生労働科学研究費補助金の研究事業は「疾患」別に実施されている場合が多いが、複数の疾患に適用可能な「医療技術」の開発をどの研究事業で実施すべきかという点が挙げられる。複数の疾患別の研究事業から研究費を獲得して医療技術を開発している研究者も多いが、それぞれについて報告書の作成や事務手続きなどが必要となるため、負担が大きいという問題がある。また研究費配分機関の観点から、研究費の重複など研究費の適正な執行に支障をきたす恐れもある。したがって、研究事業の枠組みを再構築し、成果が期待される医療技術に対して、単一の高額な研究費を配分してより効率的に研究を推

進めるような研究事業を新たに構築する必要がある。

しかし一方で、複数の疾患への適用可能性が期待されているが、現時点ではどの疾患に対しても特異的な治療効果が現れていないような医療技術の場合、どの疾患別の研究事業からも研究費を獲得できない可能性がある。課題⑤の iPS 細胞も、現時点では特定の疾患の臨床への応用の成果は十分には得られていないが、多くの疾患の診断・治療に役立つ成果が期待される医療技術である。iPS 細胞に関しては、国全体として研究の推進が求められているため多額の研究費が配分されているが、これは例外的な措置であり、同様の潜在能力を有しながら研究が十分に進められていない医療技術も存在すると考えられる。したがって今後は、そのような医療技術を早期に探知し、集中的な研究費配分ができる体制を整備する必要がある。

難治性疾患克服研究事業は、治療法未確立である難病を対象にしていることから、効果的な治療法の確立に貢献するような医療技術の開発に取り組むことに適していると考えられる。また特に研究奨励分野の対象疾患は、がんなどとは異なり、これまで十分に研究が進められてこなかったがゆえに、新しいイノベーションを創出する潜在性を保有していると考えられる。しかし現在の本研究事業の研究課題では、疾患の疫学(患者数の推計など)、病態や原因・危険因子の解明、診断基準の確立・改定、治療法の開発、そして臨床試験と幅広く手がけているため、医薬品等の医療技術の開発への重点的な取り組みは必ずしも十分ではなかった。今後、医療技術の開発を難病研究の重点領域と位置づけるならば、それを円滑に遂行できる研究班体制の構築と遂行が可能な研究費の配分と効率的な執行が必要であると考えられる。具体的には、これまでの「疾患別」の研究課題に加えて、「医療技

術」に重点を置いた研究課題を公募する、などの方法が考えられる。

D. 考察

(1) 電子研究評価システムの今後の課題

今回開発した Web ベースの電子研究評価システムによって、研究評価に係る事務・業務・作業の正確性の向上、交付事務組織の時間・費用・負担の軽減を図ることができた。しかし一方で、評価委員にとっては、研究計画書等の評価資料の印刷にかかる費用と負担が増大した可能性がある。特に、評価する課題数が多い評価委員ほど負担が大きくなることから、今後は一定の課題数以上の評価を担当する評価委員に対して、電子書籍等を閲覧する専用端末(デバイス)を貸与し、デバイスで資料を見ながら、Web で評価点数とコメントを入力してもらう、などの方法も検討する必要がある。

評価項目に関しては、細項目(評価にあたって考慮すべき事項)が多く、それぞれに採点とコメントを行うことは負担が大きいことから、今後は、細項目とそれに対応する「メモ」欄を設定し、必要に応じて使用してもらい、それを見ながら総合評価(点数、コメント)をできるように改変する必要がある。また点数の配点基準の明文化に関しては、採択あるいは継続の可否に関してある程度基準となる点数を設定する必要があるかどうか、検討する必要がある。

今回の開発を通じて、研究評価に係る事務・業務・作業が必ずしも単純なものではなく、電子化、自動化できる部分とそうでない部分があることが明らかとなった。今後さらに開発を進めるにあたっては、一つ一つの業務・作業の実行者、実施内容、実施のタイミング等を綿密に分析した上で、システム化可能な作業、担当者の判断・チェックのもとで進めるべき業務を明確に区分し、担当者とし

システムの間の連携と役割分担が可能な体制を整備する必要がある。

今後は、以上の問題点を解決した上で、難治性疾患克服研究事業だけでなく、厚生労働科学研究費補助金全体において、本電子研究評価システムの実用化を推進する必要があると考えられる。

(2) サイトビジットの実施方法等の評価

今回のサイトビジットでは、対象の研究課題の研究代表者や研究分担者、及び所属研究機関の全面的な協力によって、また同行した評価委員や厚生労働省の担当者の助力を得て、研究課題の進捗状況や実施体制の詳細を把握することができた。特に質疑応答に多くの時間をかけることができ、研究課題や研究事業に対する互いの理解が促進された。このような効果は、研究代表者との関わりが限定的である研究会議への出席では得られなかったものであり、サイトビジットが有効な研究支援方法の一つであることが確認された。

実施方法に関しては、評価委員、行政担当者、POで構成されるチームによる訪問調査、研究遂行の最前線である現場の視察、互いに納得いくまで時間をかける質疑応答、POのとりまとめによる調査報告書の作成・提出など、今回の方法である程度の成果を得ることができると考えられる。

調査項目に関しては、今回は幅広く設定したが、調査報告書をまとめる過程である程度集約できることが明らかとなった。具体的には、「研究の進捗状況」、「今後の研究計画」、「研究課題のインパクト」、「研究班体制・スタッフ」、「研究環境（施設・設備等）」、「研究支援体制」を基本項目として、必要に応じて追加項目を設定することで、十分な情報を得ることが可能であると考えられる。

研究代表者のサイトビジットへの対応に関しては、今回は「研究の進捗状況と今後の研究計画の説明」、「実験等の実施状況の視察」、

「質疑応答・意見交換」を行うことを事前に通知し、具体的な対応体制やスケジュール等の詳細に関しては研究代表者が設定した。その結果、発表内容や視察内容については大きな差はみられなかったが、対応体制に若干の差がみられた。具体的には、研究班（研究代表者、研究分担者、企業）のほとんど全員が参加した課題（②、④、⑤）、研究代表者の所属研究機関の機関長や橋渡し研究拠点の代表者など、研究課題を支援する立場の者が同席した課題（①、③）、研究代表者がほとんどの説明を行った課題（①、②、③）、研究分担者が各研究分担項目の説明を行った課題（④、⑤）など、様々な体制で対応していた。研究分担者や企業が参加していなかったこと、橋渡し研究拠点の担当者が参加していなかったことなどによって十分な情報を得られない場合もあったが、対応体制に関しては、研究代表者がどの程度研究課題を理解してもらいたいかという熱意と工夫が現れる部分であるため、調査者側から具体的な指示をせずに研究代表者の判断に委ねた方がよいと考えられる。

サイトビジットの問題点として、事前の準備（研究代表者、評価委員、行政担当者への連絡及び日程調整、評価票等の資料の作成など）、訪問現場への移動、事後の対応（調査者の意見のとりまとめ、調査報告書の作成など）に多くの時間と労力を必要とするため、訪問可能な研究課題数が限定されることが挙げられる。したがって研究事業の交付を受けた全ての研究課題のサイトビジットを実施することは現実的に不可能である。したがって今後は、サイトビジットの対象の選定基準等を明確に設定し、研究事業全体として効果的かつ効率的な情報収集と研究支援を行う必要がある。

今後の取り組みとして、サイトビジット及び調査報告書の効果を測定する必要がある。具体的には、研究課題の研究代表者、研究班、

所属研究機関がサイトビジットや調査報告書をどのように活用したか、調査報告書で指摘された課題が解決されているか、そしてそれによって研究成果が向上したか、などを把握する必要がある。場合によっては、追跡のためのサイトビジットを行うなど、サイトビジットによる研究支援の効果を検証する必要がある。

(3) サイトビジットで得られた知見に基づく FA・PO の研究支援の具体的方策

今回のサイトビジットの対象である「スーパー特区」の研究課題は難病研究の最先端であり、難病研究の実施体制のモデルを提示するものであると考えられる。したがって、今回のサイトビジットで得られた知見や示唆は他の研究課題にも共通する部分が多いと考えられる。その観点から、スーパー特区の研究課題の遂行に当たっての問題点から、FA や PO による研究支援の具体的方策の可能性を検討することは有用であると考えられる。

①施設・設備の共同利用

ほとんどの研究課題では、トランスレーショナルリサーチのための新しい施設、動物実験施設等における最新の設備など、施設・設備面が充実していた。しかし文部科学省の「橋渡し研究拠点」に指定されていない研究機関では施設のスペースが不足している状況がみられたことから、スーパー特区以外の研究課題でも同様の問題が発生している可能性が示唆される。

その解決方法の一つとして、国立保健医療科学院の施設・設備の共同利用が考えられる。難治性疾患克服研究事業の研究代表者や研究分担者を客員研究員に任命して、科学院のスペースを自由に活用してもらい、ミーティングや論文の作成などを行ってもらうことが可能である。また必要に応じて、科学院が保有する実験・測定機器を利用したり、新たに実

験設備を導入したりすることによって、関連する実験を実施してもらうことも可能である。

FA として、研究の可変的生産要素である研究費を配分するだけでなく、固定的生産要素である施設・設備の面でも支援を行うことによって、配分された研究費を効果的かつ効率的に活用できると考えられる。

②人材育成

ほとんどの研究課題では、トランスレーショナルリサーチを推進する部門の設置、病院、医学部（医学系研究科）、所属機関からの支援など、研究支援体制は十分に整備されていたが、具体的な支援を行う人材は必ずしも十分には確保されていなかった。特にトランスレーショナルリサーチの専門家としての TRC (translational research coordinator) の人材の養成・確保が非常に不足していた。

その解決方法の一つとして、国立保健医療科学院における TRC の養成のための研修の企画・運営が挙げられる。TRC の具体的な役割は十分に確立されていないが、基礎研究におけるシーズの探索、トランスレーショナルリサーチを円滑に推進するための研究者への支援、治験部門との連携と調整など、幅広い役割が期待される。また研究の内容面だけでなく、運営管理面にも精通している必要がある。このような専門家に必要な具体的な competency の構築、それに適合した研修プログラムの開発は、研修機関としての役割を長期間果たしてきた科学院が最も得意とする部分であり、科学院を中心とする人材育成プログラムの開発・実施は十分に可能であると考えられる。

また上述したように、研究課題で開発された医療技術 (technology) の中にはそれを扱う技術 (technique) を伴う場合があり、その技術 (technique) を普及するための訓練・研修も必要である。このような訓練・研修は研究課題の研究班が主体となって実施する必要

があるが、訓練・研修を実施する施設、予算等の運営管理面で国立保健医療科学院が支援できる部分もあると考えられる。

③Health Research Fund の設立

多くの研究課題から費目間の流用や研究費の年度の繰り越しなど、柔軟な研究資金の運用に対する要望がみられた。研究費は国民の税金を財源としており、ルールにしたがって適正に執行した上で研究成果を国民に還元することは研究者、研究機関の義務である。しかしそのルールが研究の円滑な遂行に支障をきたし、国民に還元すべき研究成果が十分に得られないとしたら本末転倒である。

研究費の柔軟な運用を可能にする方法の一つとして、研究費を「補助金」ではなく「基金」とすることが考えられる。具体的には、研究者・研究機関に一定の期間（例えば3～5年間）研究費を投資し、リターンとして研究報告書や研究成果（特許等の知的財産権等）を提出させる。使用しなかった研究費は返還し、研究費が不足した場合は厳正な審査を行った上で追加の投資を行う。また研究費の用途については、使用が認められない費目、費目の使用の上限等のみを提示し、それ以外の費目の配分額等については制限を行わない。このような形で研究費を配分すれば、年度の繰り越しや費目間の流用などの柔軟な運用が可能になる。

一方FAは省庁から独立した組織（独立行政法人等）として、国から配分される研究費補助金、民間等からの寄付金を収入、研究者・研究機関に配分する研究費を支出として運営する。国からの研究費補助金は会計年度に従うが、各年度での会計報告は、当該年度に支出した研究者・研究機関別の研究費配分額、当該年度に得られたリターン（研究報告書、特許等）とする。ただし、研究費配分額とリターンの間には時間的なずれがあるため、研究費補助金全体としての研究費の執行と研究

成果を監査できることが条件となる。このような運用を可能にするためには解決すべき課題が山積しているが、「Health Research Fund」の実行可能性を現実的に検討していく時期にきていると考えられる。

④研究者の発想への支援

今回のサイトビジットを通じて、難病に関連する医療技術の開発・実用化の研究の様々な特徴が明らかとなった。具体的には、難病の病態解明から医療技術の開発までの間で研究が「不連続」に展開されること、日本の「弱み」が医療技術の開発の原動力となりうること、他の疾患で開発された医療技術が難病に適用される場合が多いこと、などが挙げられる。これらのことは、特定の難病に焦点を絞って研究を着実に積み重ねていくだけではイノベーションを創出することが困難であり、新しい着眼、逆転の発想、異なる角度の視点などが必要であることを示唆している。

これらは研究者の能力の本質的部分であるが、これを全て研究者の能力に任せるだけでなく、それらを円滑に進めるために何らかの「研究支援」も可能であると考えられる。例えば、日本の「強み」や「弱み」を同定するための諸外国の研究開発等の動向、他の疾患（がん、心疾患、糖尿病等）で開発途上にある医療技術、他の学問分野（工学等）で開発されている技術などに関する情報を早期に探知し、その情報を研究者、研究機関に提供することによって、研究者のアイデアや発想を促進することが可能である。そしてそれらの新しいアイデアや発想を早期に逆探知し、そこに集中的に研究費を投入することもFAの重要な役割となりうると考えられる。

(4) rare の意味と価値

①医師・研究者の観点からみた rare の意味と価値

希少疾患 (rare disease) の rare には、レアメタル、レアアースのように、「希少」と同時に「貴重」の意味合いも含まれている。これは経済学の概念であり、「希少」な資源を求める経済主体（消費者、生産者）が多数存在することによって、その資源の価値は高く、つまり「貴重」になる。一方、希少疾患の「希少」は患者が少ないという意味であるが、希少疾患を治療するための医療技術を求める経済主体（患者）が少ないためにそれを開発・供給しようとする経済主体（製薬企業等）も少なくなり、その医療技術の価値は低くなる。難病に特化した医療技術が開発されることが少なく、難病以外の疾患（希少でない疾患）で開発された医療技術が難病に適用されることが多いことはその証左である。

難病に対する医療技術の開発が進まないことを理由として、政府は研究費の補助などの介入を行っているが、研究費が国民の税金を財源としている限り、難病研究の成果は国民に還元されなければならない。医療は「私的財」であり、それを受けた特定の個人（患者及びその家族）のみが便益を享受できるが、これは難病についても同様であり、難病に対する医療技術が開発されたとしても、難病患者とその家族以外には何ら利益をもたらすことはない。国民全体に何らかの便益をもたらすためには、難病研究で得られた知見が他の多くの疾患の解明に貢献すること、難病のために開発された医療技術が他の多くの疾患にも適用できることが必要である。アメリカの NIH では、rare disease の研究で得られた知見が一般的な疾患 (common disease) に対しても重要な情報を提供することを目指しているが、現在のところそのような知見は十分には得られていない。

最近アメリカでは、rare disease を包含する概念として「顧みられない疾患 (neglected disease)」が用いられるようになってきているが、これは社会において不当に不利な立場にある

少数のもの (minority) を救済する「福祉」と密接に関係する。わが国の「難病」もその傾向があり、研究費の補助だけでなく医療費の助成などの公的な支援が行われている。しかし医学研究を福祉の概念と結びつけるには困難な部分が多い。医師の行動原理は「患者を救うこと」、しかも「多くの患者を救うこと」であるため、患者数の少ない難病の治療に献身する医師は少なくなる可能性がある。また研究者の行動原理は「インパクトの大きい研究を実施すること」であるが、「インパクト」は多くの患者の診断・治療に貢献する知見である場合がほとんどであり、やはり難病の研究に献身する研究者も少なくなる可能性がある。

しかし、実際には、難病に献身する医師や研究者は必ずしも少ないわけではない。それは難病が「希少」であったり「顧みられな」かったりするからではなく、「原因不明」で「治療方法が未確立」であるからである。つまり、原因を解明したい、治療法を確立したい、という医師や研究者の意志の力が難病に見事に合致するからである。わが国の難病には「rare disease」や「neglected disease」とは異なる意味と価値、つまり「原因不明」、「治療方法が未確立」という側面を有しており、それを強調した難病研究を推進していくことによってわが国独自の優れた研究成果を産出することが可能になると考えられる。

②患者にとっての rare の意味と価値

患者の観点から難病をみると、希少であることが貴重につながっている。それは、わが国の難病患者への支援が充実しており、そこから受ける恩恵が大きいからである。上述したように、「福祉」の対象は社会において不当に不利な立場にあるものであるが、それらは社会全体からみれば「希少」な存在である。逆に希少でなくなった場合、一般の人々との

差は小さくなり、福祉の対象から排除される可能性がある。

一方、逆説的ではあるが、難病患者が「希少」であることを社会に認知してもらうためには、ある程度数で存在している必要がある。そのために患者は自分と同じ疾患に悩まされている他者を探し、患者同士で密接に結びつき、やがて組織（患者会等）が形成される。そして、そこまで到達した時点で初めて「希少」な存在であることを認知させることが可能となる。しかし組織は拡大してはならない。なぜならば「希少」であり続けなければならないからである。つまり難病の存在を確立するために患者をある程度多く集合させる必要がある一方、希少であり続けるためには異なる症状や状態のものを別の疾患として排除し続けなければならない。

このように、難病を「希少」の概念でとらえる場合、患者の集合体は必然的にその内部にジレンマを抱え、不安定な状態になる。そして疾患群、個別疾患、個別疾患の亜系、疾患の個別の原因（遺伝子等）というように、患者の分類と集合体が無限に増加していく可能性がある。このような状況を回避するためにも、難病を「希少」であること、「顧みられない」ことに結びつけるのではなく、「原因不明」で「治療方法が未確立」ことを強調することが必要である。個々の難病患者は、「病気の原因を知りたい」、「治療法を確立して症状を改善したい」ことを望んでおり、それは難病に献身する医師や研究者の意志の力と見事に合致するのである。

（5）「研究哲学」なるものの勃興

本研究を進めることによって「研究哲学」なるものが勃興することは必然である。「研究哲学」のテーマは「人はなぜ研究をするのか」、「研究をする存在としての人とは何か」である。本研究では、研究者、評価委員、行政担当者など、様々な立場で「研究」に関わ

る人々の「本性」と彼らの行為によって発生する様々な「現象」を分析していくことになるが、そのような実践的な分析を通じて「研究哲学」のテーマが解明されることが期待される。

現時点では、以下の仮説を設定することができる。

①研究は要素に分解することができる。

- ・研究を形づくる要素は、「研究者」、「研究班（研究者の集合体）」、「研究機関（研究者を直接取り巻く環境）」の3つである。そしてそれらを取り巻く「研究世界」が存在する。
- ・それぞれを方向づける条件は、研究者は「意志の力」、研究班は「知の構造」、研究機関は「権力の行使」である。

②研究は人間の領域における実践である。

- ・現存する学問には神の領域に属するものと人間の領域に属するものがある。
- ・前者は「予言」が可能で、理論的（演繹的）に真理に到達できる学問で、例えば数学、（理論）物理学が相当する。これらの学問では実践は必要条件ではなく、古典的な哲学に近い「観照」が優位に立つ。
- ・後者は「予言」が不可能で、試行錯誤を繰り返しながら、実践的（帰納的）に研究して真理を探求する（ただし到達はできない）学問で、例えば医学、工学が相当する。そして医学、工学は人間の領域にあるため互いに親和性がある。
- ・「神は死んだ、今求められているのは超人である」（ニーチェ）ことから、人間の領域にある医学、工学の研究では、超人の到来を待つと同時に、超人を探し、育てる必要がある。

③研究は人間の基本的な活動力である。

- ・ハンナ・アレントによれば、人間の活動力には労働（labor）、仕事（work）、活動（action）がある。人間の領域にある研究は人間の活動力によるものであり、それはそれぞれの側面から捉えることができる。
- ・「労働」としての研究は、生活・生命の維持のための活動力であり、職業としての研究である。ただし研究の業績や成果を多く産出することと、生活・生命の維持のために研究（職）から多くの所得を得ることの間の相関関係は小さい。
- ・「仕事」としての研究は、論文や特許などの業績や成果を産出することである。これらを多く産出することによって、研究と研究者は「世界（研究世界）」を作り出す。それは死すべき研究者を超えた永続性をもつ。
- ・「活動」としての研究は、公共空間において他者に対して「卓越」を示す様々な活動である。「仕事」によって産出された研究業績や研究成果が認められることを目指して行う講演などが相当する。「第一人者になりたい」という研究者に特有の指向は活動の原動力となる。

④研究者には品格がある。

E. 結論

難病対策に関する過去の研究成果の評価と現在の研究動向の分析を行い、当該分野における研究者・研究機関の研究遂行能力を把握し、効果的な研究評価、研究支援の手法を開発・実施することによって、今後重点的に推進すべき研究領域と研究テーマの同定、それらの研究を効果的に推進するための現在の難病研究の組織の再編成と新たな研究班体制の構築、患者の予後及びQOLの向上に資する難治性疾患克服研究事業の研究開発戦略の策定の具体的方策を検討することを目的として、

①Webベースの「電子研究評価システム」の開発、②「サイトビジット」の試行とそれに基づく「研究支援」の具体的方策の検討、を実施した。その結果、以下のことが明らかとなった。

- ・今回開発したシステムによって、研究評価に係る事務・業務・作業の「正確性の向上」、交付事務組織の「負担・費用の軽減」を図ることができたが、PCの画面上での評価資料の閲覧が困難な場合が多かったことから、評価委員の負担・費用は十分に軽減できなかった。今後は、評価を担当する課題数の多い評価委員に対して電子書籍等を専用端末（デバイス）を貸与し、システムと併用して評価作業を実施してもらうなどの方法を検討する必要がある。
- ・難病に関連する医療技術の開発過程において、原因遺伝子の探索が必ずしも治療の標的の設定や命中につながるわけではないこと、治療の標的の設定から命中までのプロセスで膨大な試行錯誤が必要になること、命中した医療技術の作用機序やメカニズムが十分に解明されていないこと、設定した標的とは別の標的に命中することがあること（医薬品の再目的化、再ポジショニング）などの、「不連続」な展開がなされることが示唆された。
- ・医療技術の開発にあたっては、薬剤（作用物質）だけでなく、それを効果的に送達するためのデバイスの開発、関連する実験・測定機器の開発が必要であり、そのためには「工学との連携」が不可欠であることが示唆された。
- ・医療技術（technology）を普及させるためにはそれを扱う高度な手技などの技術（technique）もあわせて普及させる必要がある。

あり、そのための訓練や研修などの人材育成もあわせて検討する必要があることが示唆された。

- 日本の「弱み」（例えば、心臓移植が十分に普及していないこと、遺伝子研究が十分に進んでいないこと、など）を活用（克服）することによって、諸外国では発想できないような「日本発」のイノベーション（例えば、再生医療の心疾患への応用、環境やライフスタイルなどの遺伝子以外の要因に着目した個別化医療など）を創出することが可能であることが示唆された。
- 難治性疾患克服研究事業を含む厚生労働科学研究は「疾患別」に研究事業、研究班が構成される場合が多いが、難治性疾患などの特定の疾患だけでなく他の疾患にも適用可能な医療技術、現時点ではどの疾患に対しても特異的な治療効果は現れていないが複数の疾患への適用可能性が期待される医療技術の開発を推進するためには「医療技術別」の研究事業や研究班を設定して、単一の研究費を集中的に配分できるような枠組みを構築する必要があることが示唆された。
- サイトビジットを通じて得られた研究支援の具体的方策として、①研究の固定的生産要素である施設・設備の共同利用の推進、②人材育成（TRC (translational research coordinator) などの専門職の養成、医療技術の普及のための訓練・研修の支援など）、③研究費の柔軟な運用を可能にする「Health Research Fund」の設立、④研究者のアイデアや発想を促進する情報の提供（諸外国の研究開発の動向、様々な疾患領域での医療技術の開発状況、他の学問分野（工学等）での技術の開発状況など）が提案された。

F. 健康危険情報 なし

G. 研究発表

1. 論文発表

- 松繁卓哉, 成木弘子, 武村真治. 患者からの情報収集方法の検討 —稀少性難治性疾患患者の受療ヒストリーから—. 保健医療科学. 2010; 59(3): 204-211.
- 武村真治, 緒方裕光. 難治性疾患の疾患概念確立プロセス. 保健医療科学. 2010; 59(3): 241-244.
- 児玉知子, 武村真治. 未分類疾患情報システムおよび希少疾患対策の国際比較. 保健医療科学. 2010;59(3):245-255.

2. 学会発表 なし

H. 知的財産権の出願・登録状況 なし