

ライフサイエンスに関する 研究開発課題の事後評価結果③

令和4年3月

科学技術・学術審議会

研究計画・評価分科会

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

（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	順天堂大学大学院医学研究科精神・行動科学教授
金倉 譲	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	モデルナジャパン株式会社プレジデント代表取締役
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4年2月現在

次世代がん医療創生研究事業の概要

1. 課題実施期間及び評価実施時期

平成28年度～令和3年度

中間評価 令和元年8月、事後評価 令和4年2月

2. 研究開発概要・目的

本事業は、画期的ながん治療法や診断法の実用化に向けて研究を加速し、早期段階で製薬企業や厚生労働省の革新的がん医療実用化研究事業等へ導出することを目的としている。このため、がんの生物学的な本態解明に迫る研究、がんゲノム情報など患者の臨床データに基づいた研究及びこれらの融合研究を推進しており、5つの研究領域を設定して、「標的探索研究」から「応用研究」までの研究開発を支援してきた。事業全体を統括するプログラムスーパーバイザー（PS）の下、領域ごとにプログラムオフィサー（PO）を配置することにより、採択した研究課題のきめ細かい進捗管理や必要な指導・助言を行うとともに、技術支援班、サポート機関による重層的な研究支援を実施した。

3. 研究開発の必要性等

中間評価結果概要

（必要性）

がんに対する画期的な治療法や診断法の実用化に向けては、科学研究費助成事業等を活用した基礎研究と開発研究のギャップを埋めるシーズ探索を毎年継続的に実施していく必要性が認められる。その上で、新たに発掘、育成したシーズのうち実用化に向けて優位性の高い有望なものを企業等へ早期に導出することが必要である。このため、本事業においては、シーズ探索を目的とした「標的探索研究」、及びシーズを企業等に導出すべく育成するための「応用研究」の2つの研究タイプを実施していく必要がある。

本事業では通常の公募では採択が十分でない課題等についても幅広く支援を行うため、必要に応じて希少がん・難治性がん等のテーマを設定して公募を行っているが、これらのテーマについては5つの研究領域に横断する関係の中で整合性が取られており、現在の研究領域の設定は適切なものとなっていると考えられる。

（有効性）

本事業の各領域において、新たな視点による研究が進行中であり、これまでの研究成果は、他事業への導出、国際的な論文発表、臨床治験への進展など、実用化に向けたより具体的な段階へと進捗している。これに並行して、技術支援班による助言・技術支援や、サポート機関による研究指針順守等の講習、サポート機関とAMEDによる研究課題の進捗管理が実施され、研究遂行に際し、必要な取組がなされていると評価できる。また、人材育成に関しては、若手を対象とした公募研究の実施や研究者に対する技術支援・講習会が実施されており、これらが総合的に研究成果につながっていると考えられる。

(効率性)

本事業では、研究開発の手段やアプローチについて、レベルの高い基礎研究に裏打ちされた標的検証を実施し、標的の妥当性を確認すること(ターゲットバリデーション)を研究開発の方針として推進し、医薬品につながるシーズを創出し、実用化にできる限り最短ルートとなるよう配慮された推進が見られた。このことが研究を推進する上で効率性を高めることにつながっている。

また、サポート機関とAMEDが連携して課題の進捗管理を行う一方、必要に応じて、技術支援班による専門的解析の相談・支援とサポート機関による倫理面でのサポートを行ってきた。また、早期に企業への導出を図るため、企業向け成果報告会を実施したが、競合他社の前では研究者と話がしづらいという意見が企業から出されたことから、企業向けリーフレットを作成・配布する方法に改善した。

個別研究課題に対する実用化等への取組については、個別に研究課題を評価することで対応している。例えば、標的探索研究から応用研究へはステージアップ評価を行い、応用ステージへの移行を促した。また、応用研究では、ステージゲート評価として、継続することが適当であると評価される課題に引き続いて支援を行い、該当しない課題は支援を終了した。さらに、本事業から厚生労働省の革新的がん医療実用化研究事業への導出を実施した。いずれも、個別研究課題の導出・新陳代謝の観点から効率的に行われた取組といえる。

4. 予算の変遷

(単位：百万円)

年度	H28(初年度)	H29	H30	R1	R2	R3	総額
予算額	3,973	3,835	3,550	3,651	3,551	3,551	22,110
調整費	1,090	919	585	316	610	323	3,843

5. 課題実施機関・体制

プログラムスーパーバイザー (PS)

宮園浩平 (東京大学 大学院 医学系研究科分子病理学 教授)

プログラムオフィサー (PO)

研究領域 A

佐谷秀行 (慶應義塾大学 慶應義塾大学病院 副院長、臨床研究推進センター長)

中签斉 (国立がん研究センター 理事長、総長)

研究領域 B

大島正伸 (金沢大学 がん進展制御研究所 腫瘍遺伝学研究分野 教授)

古矢修一 (岡山大学 副理事(研究担当)、中性子医療研究センター 副センター長、特任教授)

研究領域 C

佐藤昇志(札幌医科大学 名誉教授／札幌道都病院 学術センター 学術センター長／東札幌病院 病理・免疫センター センター長／千歳科学技術大学 客員教授／栗林育英学術財団 理事長)

光富徹哉 (近畿大学 医学部 外科学講座呼吸器外科部門 主任教授)

研究領域 D

高橋雅英 (藤田医科大学 特命教授・統括学術プログラムディレクター、国際再生医療センター長)

山田哲司 (ヒトプロテオーム機構 アジア・オセアニア地区理事)

研究領域 E

谷川千津 (東京大学 医科学研究所 ヒトゲノム解析センター シークエンス技術開発分野 助教)

間野博行 (国立がん研究センター 理事、研究所所長)

事後評価票

(令和4年2月現在)

1. 課題名 次世代がん医療創生研究事業

2. 上位施策（研究開発計画又はその他の分野別戦略・計画）との関係

施策目標：健康・ライフサイエンスに関する課題への対応

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（以下「AMED」という。）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。

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、疾病領域ごとの取組：がん、精神・神経疾患、感染症等の疾患克服に向けた研究開発等を推進する。

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」等に基づき、がん、精神・神経疾患、感染症等の疾患克服に向けた研究開発等を着実に実施する。

本課題が関係するアウトカム指標：次世代がん医療創生研究事業採択課題のうち、新規分子標的薬剤及び新規治療法に資する有望シーズ、早期診断・個別化治療予測バイオマーカー及び新規免疫関連有効分子の数（累積）

3. 評価結果

(1) 課題の達成状況

本事業は、画期的ながん治療法や診断法の実用化に向けて研究を加速し、早期段階で製薬企業等へ導出することを目的としている。このため、がんの生物学的な本態解明に迫る研究、がんゲノム情報など患者の臨床データに基づいた研究及びこれらの融合研究を推進しており、具体的には以下の5つの研究領域を設定して、「標的探索研究」から「応用研究」までの研究開発を支援してきた。事業全体を統括するプログラムスーパーバイザー（PS）の下、領域ごとにプログラムオフィサー（PO）を配置することにより、採択した研究課題のきめ細かい進捗管理や必要な指導・助言を行うとともに、技術支援班、サポート機関による重層的な研究支援を実施した。

研究領域A：がんの発症・進展に関わる代謝産物やタンパク質相互作用に着目した新規治療法の研究（治療ターゲット）

研究領域B：がん生物学と異分野先端技術の融合による新規創薬システムの構築とそれによるがん根治療法の研究（異分野融合創薬システム）

研究領域C：体内のがん細胞を取り巻く環境制御と免疫応答効率化への革新的・基盤的療法の研究（免疫機能制御）

研究領域D：患者に優しい高感度・高精度ながん診断法の研究（診断／バイオマーカー）

研究領域E：がん細胞の不均一性等に対応した難治性がんの療法の研究（がん多様性）

技術支援班は、創薬に関する専門知識・技術を有する研究者・機関を結集したチームを作り、「創薬ツール創出」、「POC取得・薬効評価」、「製剤開発促進」の3つの技術面で研究支援を実施してきた。平成28年度から令和3年度までの6年間で、131課題について技術支援を実施した。支援項目別としては延べ325課題で、その内訳は、分子標的候補のPOC取得（36課題）、標的のケミカルバイオロジー評価（71課題）、創薬シーズ化合物の薬効評価（50課題）、最適化・合成展開（37課題）、抗体及び機能性阻害ペプチド作製（73課題）、効率的がん治療薬の薬物動態・DDS開発（31課題）、単一細胞・オルガノイドの調製及び各種解析（27課題）である。

サポート機関は、研究者専用のデータベースを整備し、高いセキュリティレベルを担保した環境下で研究の進捗状況の確認や資料の閲覧を行えるように管理運営を行なった。また、医薬品開発に必須である知的財産確保のための先行技術調査、個人情報保護法改正に伴う人を対象とする研究に関する倫理指針等の改正への対応に関する助言、企業への導出促進についての助言、特に若手研究者へは丁寧な研究支援を行った。

事業開始当初に設定したアウトカム目標値（企業及び厚生労働省革新的がん医療実用化研究事業（以下「革新がん事業」という。）への導出数）は15種であったが、令和3年8月時点で、企業40種、革新がん事業20種（計60種）と目標値を大幅に超え、更にその他のAMED事業へも18種を導出した（表1）。本事業では、前身である次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム（以下「P-DIRECT」という。）における導出実績を参考にアウトカム目標値を設定したが、P-DIRECTの経験を発展させたことにより効率的な成果の創出が進み、計画よりも多く導出することが可能となった。特許出願数は、令和3年3月現在で278件である。

表1. アウトカム目標値に対する実績（令和3年8月時点）

次世代がん医療創生研究事業採択課題のうち、新規分子標的薬剤及び新規治療法に資する有望シーズ、早期診断・個別化治療予測バイオマーカー及び新規免疫関連有効分子の数
※企業及び「革新がん事業」への導出数として集計

	平成28年	平成29年	平成30年	令和元年	令和2年	令和3年
目標値（累積）	—	—	—	—	—	15
実績値（累積）	—	2	14	22	57	60

<必要性>

評価項目

科学的・技術的・社会的・経済的意義、国費を用いた研究開発としての意義

評価基準

- 科学的・技術的・社会的・経済的意義はあるか。
- 国費を用いた研究開発としての意義はあるか。

「健康・医療戦略」（令和2年3月、閣議決定）及び「医療分野研究開発推進計画」（令和2年3月、健康・医療戦略推進本部決定）では、健康長寿社会の実現を目指して、医療分野の研究開発における基礎的な研究開発から実用化のための研究開発まで一貫した研究開発の推進及びその成果の円滑な実用化により世界最高水準の医療を提供することを基本理念としている。その中で、医薬品開発を目指す「医薬品プロジェクト」は6つの統合プロジェクトの一角を担い、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行うと定められている。本事業は、「医薬品プロジェクト」におけるがん研究の初期フェーズに位置付けられ、画期的な治療法や診断法の実用化に貢献した。現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野に係る研究開発を戦略的・体系的に推進する観点から、統合プロジェクト横断的に対応できる体制の下で、「がんの生物学的本態解明に迫る研究開発や、患者のがんゲノム情報等の臨床データに基づいた研究開発」等の推進に貢献した。

また、本事業は「がん対策基本法」（平成18年6月、成立）に基づく「がん対策推進基本計画」（平成30年3月、閣議決定）や「がん研究10か年戦略」（平成26年3月、文部科学大臣・厚生労働大臣・経済産業大臣確認）を踏まえ推進しており、「がん研究10か年戦略」の中間評価において、今後も、有望なシーズを見出し、着実に育て、実用化まで切れ目のない支援をしていくべきである、と必要性が指摘された。

文部科学省においては、がん研究の強化を図るため、平成23年度から5年計画でP-DIRECTを実施し、創薬をさらに意識した後継事業として、平成28年度から6年計画で本事業を実施した。本事業では、画期的ながんの治療法や診断法の実用化に向けた研究を加速することにより、創薬ターゲットの減少や開発コストの増加が背景となり製薬企業では達成し得ない挑戦的な創薬等シーズの創出を、大学等の研究機関から行うことも目指している。本事業に要請された各研究領域の必要性については次のとおりである。

研究領域A：各種解析技術の飛躍的な進歩により、分子標的薬等の新たな医療シーズの開発が加速した。一方で、がんの発生・進展・転移の原因となる新たな遺伝子変異等が同定されてもそれらが治療のための創薬標的とならない場合や、治療反応性が個体間で異なることも分かってきた。がん細胞における分子の構造及び機能異常と表現型とを繋ぐ新たな標的候補を見出し、生物学的特性の理解に基づいて、これらを制御する治療薬開発の新規戦略や評価系の構築が求められる。本領域はその端緒となる創薬候補分子の標的妥当性の検証と治療薬の創出に向けたシーズの発掘を担ってきたものであり、本領域の必要性は高かった。

研究領域B：がん生物学と異分野先端技術の融合による新規創薬システムの構築、例えば、薬物送達（DDS）技術と薬剤、中性子線とホウ素薬剤との組合せ（BNCT）、更には光免疫（PIT）のような異分野複合技術応用とそれによるがん根治療法の研究が進められた。特に「異分野先端技術の融合」からの「根治療法」創生が重要で、「異分野」の本質的な特徴は「研究多様性」にある。また、がん組織を細胞社会とし

てとらえて、がん細胞と間質反応や免疫反応などの宿主反応とのネットワークの理解を進めて、がん微小環境を標的とした新しい治療開発を進める点も特徴的であり、本領域の必要性は高かった。

研究領域C：免疫チェックポイント阻害剤の創出により、がんの免疫療法は、手術療法・放射線療法・化学療法・分子標的療法に続く治療法として確立し、今後さらに精力的に研究開発が行われていくと考えられる。CAR-Tなどの細胞療法も新しい治療法として有望視されており、今後も質の高い基礎免疫学に基づく新たながん治療法を創出していくことは重要である。また、ヒトの免疫系やがん細胞の多様性に起因する治療効果の不均一性から、分子標的療法と同様にバイオマーカーに基づく精密な治療戦略を構築することも必要である。自己免疫疾患や感染症の治療戦略への展開も考えられ、本領域の必要性は高かった。

研究領域D：従来腫瘍マーカーは血清・血漿のタンパク質や糖鎖等に限られていたが、本領域では、遺伝子変異はもちろんのこと、様々な遊離核酸、タンパク質断片などのペプチド、酵素、代謝物などの生体分子、更にはエクソソームや血中循環腫瘍細胞、腸内細菌などの新たなバイオマーカーの開発が進められており、今後も更に発展することが期待されている。また、アカデミアが見出した診断シーズについて生物学的解明を進めることが、新たな創薬標的の同定を通じて、医薬品の開発に繋がることも期待され、本領域の必要性は高かった。

研究領域E：旧来の殺細胞薬としての抗がん薬の次に登場したのは、発がん原因分子等を選択的に抑制する分子標的治療薬であり、現在のがん治療の主流といえる。しかし、ほとんどの分子標的治療薬が加療中に治療抵抗性を生じるため、このような治療抵抗性を克服する治療法の開発が急務となっている。がんの治療抵抗性獲得の最も大きな理由は、がんのクローン多様性及びそれを支える微小環境にある。本領域では、その解析手法の先進性やサンプリングの多様性の点で、国際的優位性が高い課題を支援しており、がんの多様性を解明する極めて先進的な領域である本領域の必要性は高かった。

以上のことから、設定した研究領域の内容を含め、本事業の「必要性」は高かったと評価できる。

<有効性>

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、実用化・事業化や社会実装に至る全段階を通じた取組、人材の養成、研究開発の効果や波及効果

評価基準

- 新しい知の創出への貢献が果たされているか。
- 研究開発の質の向上への貢献が果たされているか。
- 実用化・事業化や社会実装に至る全段階を通じた取組がなされているか。
- 人材の養成等がなされているか。
- 研究開発の効果や波及効果はあるか。

本事業は、科学研究費助成事業等を活用したアカデミア等の研究者の自由な発想による基礎研究と実用化に向けた開発研究を繋ぐ研究フェーズを支援する研究事業として新しくかつ医療において重要な知の創出を果たしてきた。P-DIRECTの取組を円滑に継承・発展させたことにより、開始初年度から特許申請、論文発表等の成果を上げ、AMED他事業への導出38種、企業導出40種などの成果は、研究開発の質の向上を裏付けるものである。創出されたシーズの中には、臨床試験が開始されているものや企業と共同で実用化に向けて進められ、社会実装までを意識した取り組みが行われているものもあり、研究開発課題の事後評価において高く評価された。

各研究領域において採択された研究課題の主な成果については、次のとおりである。

研究領域A：平成28年度から令和3年度までの6年間の支援課題数は、標的探索研究タイプ52課題（うち、若手育成枠10課題）、応用研究タイプ19課題である。AMED他事業への導出数は9種（うち革新がん事業への導出は3種）、企業への導出数は5種。特に、「がんのアミノ酸代謝特性を標的にした治療法の開発」においては、シーズを企業へ導出するとともに「橋渡し研究戦略的推進プログラム」およびそれを継続する「臨床研究・治験推進研究事業」へと導出を行い、医師主導治験を実施している。「ヒストンアセチル化酵素複合体を標的とした新規治療薬の開発」においては、複数のシーズを企業導出し、令和3年度内に臨床試験の開始が予定されている。「テロメア制御因子を標的とした革新的がん治療法の開発」は、令和元年度に革新がん事業へ導出するに至った。「膜タンパク質CKAP4を標的とする新規抗がん剤の開発と評価」については、シーズを「橋渡し研究戦略的推進プログラム」へと導出し、実用化へ向けた更なる研究加速を目指している。

研究領域B：平成28年度から令和3年度までの6年間の支援課題数は、標的探索研究タイプ43課題（うち、若手育成枠11課題）、応用研究タイプ18課題（うち、チーム型3課題）である。AMED他事業への導出数は8種（うち革新がん事業への導出は5種）、企業への導出数は12種。主な研究成果として、「がん多段階フェノタイプの理解に基づいた先端的創薬システムの開発」では、オルガノイドを用いた治療モデル開発研究により大腸がん幹細胞を標的とした転移がん治療の可能性を示し、さらに、すい臓がんにおけるWnt依存性を明らかにした。「異分野先端技術融合による薬剤抵抗性を標的とした革新的複合治療戦略の開発」におけるES細胞の作製・維持方法の新規技術開発は、将来の再生医療やがん研究に広く応用が期待される。「がん微小環境を標的とした革新的治療法の実現」においては、技術支援班により合成された環状ペプチド（Hip8）にHGF阻害作用があることを明らかにし、新規バイオマーカーとしての可能性を明らかにした。

研究領域C：平成28年度から令和3年度までの6年間の支援課題数は、標的探索研究タイプ47課題（うち、若手育成枠9課題）、応用研究タイプ12課題（うち、チーム型1課題）である。AMED他事業への導出数は5種（うち革新がん事業への導出は1種）、企業への導出数は9種。「免疫抑制に対する制御能を有するCAR-T細胞を利用したがん治療法の研究」では、6年経ずして目標を達成し、革新がん事業へ移行した。世界的にも極めて独創的な我が国からの研究として、その更なる発展と実臨床

での具現化が大変期待されている。また、免疫抑制性T細胞Tregに係る研究も新たな研究側面に到達し、がん臨床への貢献に大変な期待がもたれている。さらに、抗PD-1抗体に関する研究においては、抗腫瘍効果増強メカニズムや治療効果予測バイオマーカーを明らかにするなど、今後の展開が期待できる成果を創出し、その成果に基づき臨床試験が進められているものもある。

研究領域D：平成28年度から令和3年度までの6年間の支援課題数は、標的探索研究タイプ38課題（うち、若手育成枠6課題）、応用研究タイプ17課題である。AMED他事業への導出数は11種（うち、革新がん事業への導出は9種）、企業への導出数は12種。従来腫瘍マーカーは血清・血漿のタンパク質や糖鎖等に限られていたが、近年、例えば、細胞外小胞であるエクソソームを用いた高感度ながんの早期診断法の開発等が注目されるようになり、エクソソームの精製技術、エクソソームを含有するタンパク質やマイクロRNAの解析技術等が急速に進歩してきた。「がん特異的エクソソームの捕捉による新規体液診断の実用化研究」ではエクソソームを用いた診断法を企業導出したのみならず、エクソソームが関与する卵巣がん転移メカニズムを解明し、治療薬開発に発展させている。また、「Down症の急性巨核芽球性白血病発症を予測する革新的バイオマーカーの開発」ではダウン症の白血病発症を正確に予測できるDNAメチル化マーカーを同定したのみならず、再発をきたした症例に対してDNAメチル化阻害薬である5-アザシチジンを従来の化学療法に併用することで、完全寛解をもたらしている。

研究領域E：平成28年度から令和3年度までの6年間の支援課題数は、標的探索研究タイプ45課題（うち、若手育成枠9課題）、応用研究タイプ15課題（うち、チーム型3課題）である。AMED他事業への導出数は5種（うち革新がん事業への導出は2種）、企業への導出数は2種。「腫瘍血管正常化によりがん悪性を抑制する治療法の実用化」では、標的分子の活性化化合物を企業と共同で開発しており、実現すれば、広範な腫瘍に対するDDSとして役立つと考えられる。「分子プロファイリングを基盤とした小児期からAYA世代に発症する難治がんの新規治療法の実用化」においては、ATM遺伝子の機能失活変異が生じている症例にPARP阻害剤が有効であることを示し、患者に対する同薬剤の臨床試験が開始された。「血液がんにおける腫瘍細胞と微小環境との相互作用の分子メカニズムに基づく治療標的の照準化」では、RHOA遺伝子変異がSRCファミリーキナーゼの活性化を介して発がんに至ることを突き止めた。また、マイクロサテライト不安定性大腸がんにおいて大規模ゲノム解析を行い、同疾患の約1割に融合型チロシンキナーゼが存在することを発見した。現在当該キナーゼに対する阻害剤の臨床試験が進行中である。

なお、本事業では、POを中心に、研究者が計画した実用化へのマイルストーン達成を管理支援することで、研究者の研究開発における実用化の意識が維持され、大きな成果に繋がるとともに、技術支援班及びサポート機関によりサイエンスと実用化の両面で専門的な技術支援・助言等が行われた。また、チーム型の研究を実施することにより、異分野との融合、基礎医学と臨床医学との連携を推進した。このような研究体制は、がん創薬研究開発の質の向上はもちろん人材育成に大きく貢献し、次世代のPrincipal Investigatorとなる人材を多く輩出した。

以上のことから、本事業の「有効性」は高かったと評価できる。

<効率性>

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、研究開発の手段やアプローチの妥当性

評価基準

- 計画・実施体制は妥当であるか。
- 目標・達成管理の向上方策は妥当であるか。
- 研究開発の手段やアプローチは妥当であるか。

本事業では、有用性の高いがん治療薬や早期診断法の開発に繋がるシーズを取得することを目的とした「標的探索研究タイプ」と、実用化に向けた企業導出や非臨床試験、それに続く臨床への応用など、次のステージに研究開発を進めることを目的とした「応用研究タイプ」を実施した。これら2つの研究タイプをそれぞれ効果的に推進しつつ、標的探索研究から応用研究へのステージアップ評価、応用研究におけるステージゲート評価、PO推薦による革新がん事業への導出、企業向け成果報告会の実施等、全体を有機的に進捗管理することにより、事業が効率的に実施されたと評価できる。

画期的ながん治療法及び診断法を実用化していくためには、研究分野を越えて複数の研究者がチームを編成し研究を実施することも重要であり、「応用研究タイプ」においては「チーム型」の公募も実施した。様々な分野の研究者がチームとして6年間に渡り研究に集中できるため着実に成果が出ており、また人材の育成という点でも貢献している一方で、研究期間が長いことや研究班の大型化による進捗管理の難しさも指摘された。

各研究課題の支援は、PS/POを中心に、AMED・サポート機関・技術支援班が一体となって実施された。サポート機関において、AMEDと連携して研究課題の進捗管理を行う一方で、技術支援班による専門的支援とも連動した研究進捗状況に合わせた特許調査や企業等への導出活動支援等を行う知的財産コンサルティングを実施するとともに、国内外の調査研究を踏まえ倫理面の方針策定・改定・周知等を行う研究倫理コンサルティングを行ってきた。技術的支援に係るマッチング会議についても、研究の方向性について研究者に気づきを与える場として非常によく機能した。

以上のことから、本事業の「効率性」は高かったと評価できる。

(2) 科学技術基本計画又は科学技術・イノベーション基本計画等への貢献状況

本事業は、「健康・医療戦略」（令和2年3月、閣議決定）及び「医療分野研究開発推進計画」（令和2年3月、健康・医療戦略推進本部決定）における「創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発」「がんの生物学的本態解明に迫る研究開発や、患者のがんゲノム情報等の臨床データに基づいた研究開発」に大きく貢献した。

また、「科学技術基本計画」（平成28年1月、閣議決定）において掲げられている、オールジャパンでの医薬品創出による世界最先端の医療の実現、がんの克服に向けた研究開発の推進に寄与し、また、科学技術イノベーションの基盤的な力の強化に向けて、若手研究者による挑戦的な課題も積極的に支援しており、その推進に、大きく貢献した。

（3）総合評価

① 総合評価

本事業は、がん治療薬の研究開発の初期フェーズを担い、事業開始当初に設定したアウトカム目標値（企業及び革新がん事業への導出数）を達成した。本事業では、がんの生物学的本態解明に迫る研究開発及び患者のがんゲノム情報等の臨床データに基づいた研究開発を推進し、創出された成果は、新しい知の創出であり、科学的・技術的意義を有している。画期的ながんの治療法や診断法の実用化による我が国の健康長寿社会の実現に向けて、今後、大きく貢献することが期待される。また、創薬ターゲットの減少や開発コストの増加が背景となって製薬企業では達成し得ない挑戦的な創薬等シーズについて、国費を用いて大学等の研究機関が研究開発に取り組み、新たなイノベーションが創出したことは、社会的にも経済的にも有意義であったと評価できる。このことは特許申請や論文発表等によって具体的に示されている。PS/POを中心としたAMED・サポート機関・技術支援班の一体的運営により、個別の研究課題への技術支援、プロジェクト全体の進捗管理及び他事業や企業への導出等が適切に実施されたことは、効率性に優れ、研究開発の質の向上にも貢献したと評価できる。また、このような支援体制の元で行われたがん創薬研究の推進は、人材育成にも大きく貢献した。さらに、がん研究の基本分野として設定した5つの研究領域のもと、サポート機関・技術支援班のきめ細かな貢献を得ることにより、Principal Investigator を目指す若手人材の育成がなされるとともに、得られた研究者の経験の蓄積が、更なる研究レベルの向上と目標達成を招来するという好循環を生んだ。これにより事業として大きな成果を達成したと評価できる。

② 評価概要

本事業は、画期的な治療法や診断法の実用化に向けて研究を加速し、早期段階で製薬企業等へ導出することを目的としている。医薬品プロジェクトにおいて、がん研究における基礎的フェーズを支援する事業として、適切な運営体制の下に着実な成果を挙げた。「必要性」、「効率性」、「有効性」はいずれも高く、本事業の実施が、がん領域において健康寿命の延伸に貢献する我が国独自の医薬品の創出に大きく貢献したと評価できる。

(4) 今後の展望

本事業の取組と成果を踏まえ、以下に今後の展望を記載する。

- ・ P-DIRECTでは、がん研究者の間での創薬プロセスへの理解が深まり、「出口（治療薬や診断法の開発を通じた次世代のがん医療の確立）」を意識して研究に取り組む姿勢が定着してきた。この流れを汲み、本事業では出口へ着実に進めるための様々な仕組みや体制を整備し、更に発展させたことによって、大きな成果を挙げた。文部科学省では、引き続きこの事業の方向性を維持・発展させた、新たながん研究の支援を実施することが強く期待される。具体的には、次世代がん医療の創生の加速に向けて出口を意識した国際的にも質の高い探索研究が一層推進されることを期待する。こうした質の高い研究基盤の整備によりがんの臨床現場を大きく変革するような新たな成果を創出する環境を作ることを目指す。
- ・ 新しいシーズと研究課題の発展のため、毎年度の公募機会の確保が必要である。また、本事業では、アウトカム目標値を早期に達成するなど、事業開始早期から優れた成果を創出した。これは、P-DIRECTで培われた我が国が誇る研究者の基盤をしっかりと受け継ぐことができたことが大きな要因の一つである。次期事業でも、事業開始当初から、P-DIRECT及び本事業で培われた我が国のがん研究の基盤を受け継げるような対応が必要である。
- ・ 本事業においては、研究者に対する専門的支援体制を整備しているという特徴がある。研究者には技術的な支援に加え、創薬プロセスなどに習熟した専門家から研究に関して高度な助言を得ることができる貴重な機会となっており、着実な成果の創出はもちろんのこと、研究者の育成にも繋がっており、この取組は本事業推進の基盤となるものである。技術基盤（アプローチやモダリティ）は日進月歩であるので、継続的に支援体制を強化・高度化しながら推進することが重要である。更に、ゲノムデータベース、バイオリソース、AI、スーパーコンピュータといった既存の研究基盤との連携が進むことも期待する。
- ・ 本事業はがんの基礎研究者のステップアップのために重要な位置にあり、採択されることがその後の研究者としてのキャリアにも大きな影響を与えている一方で、事業の予算的な制約もあり、狭き門となっているのが実態である。若手や研究環境が恵まれない研究者の研究開発提案には、将来性のある優れた提案と評価されても不採択となるものもある。そこに存在するイノベティブな発想を育てる機会を与えるような新たな仕組みが期待される。また、AMEDの他の事業との連携をさらに密接にし、がん研究で得られた成果を他の研究分野と広く共有するとともに、異分野との融合を促進し、新たな技術基盤の速やかな導入を促進する仕組みが必要である。

