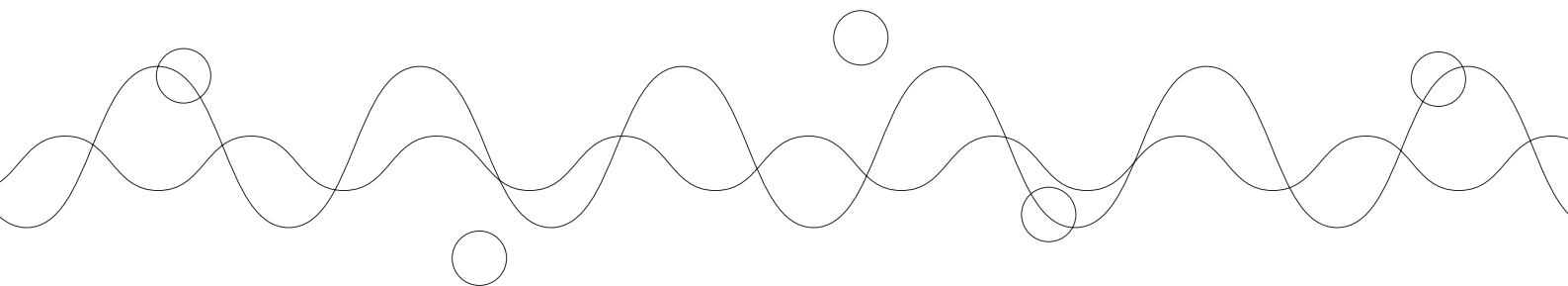


CRDS-FY2013-OR-01

調査検討報告書

# NIHを中心にみる米国のライフサイエンス・ 臨床医学研究開発動向



独立行政法人科学技術振興機構 研究開発戦略センター  
Center for Research and Development Strategy Japan Science and Technology Agency

## エグゼクティブサマリー

本調査検討報告書「NIH を中心にみる米国のライフサイエンス・臨床医学研究開発動向」（以下 CRDS 報告書）の目的は、米国 NIH をはじめとしたライフサイエンス・臨床医学分野の現在の研究開発動向の把握、及び同分野における今後の米国連邦機関による重点的研究開発計画の紹介である。

現在の研究開発動向の把握においては、主に米国国立衛生研究所 (NIH) の組織概要、予算動向、研究プログラム、近年の課題、並びに組織改革などに注目する。これらを公式文書、米国科学アカデミー (NAS) 報告書、並びにその他の二次資料からの情報を中心に紹介する。

今後の重点的研究開発計画では、可能な限り包括的な情報提供を行なうため、ライフサイエンス・臨床医学分野に加え、非医療系の分野（グリーン分野：農業・環境分野の研究開発動向など）にも注目する。ライフサイエンス・臨床医学分野では NIH の諸研究所・センター、ライフ/グリーンを問わず基盤となる基礎生命科学分野では全米科学財団 (NSF)、グリーン分野ではエネルギー省 (DOE)、農務省 (DA)、海洋大気庁 (NOAA)、環境保護庁 (EPA)、並びに地質調査所 (USGS) などの連邦機関により公表されている戦略報告書に基づき、今後の重点的研究開発計画の内容を概観する。これらの計画において掲げられている研究開発課題は、各研究機関の取り組む研究の全てを網羅しているわけではないが、将来の重点投資の特徴を把握する一助となる。

また、米国 NIH 以外の海外のライフサイエンス・臨床医学研究関連機関についても研究開発の概要を参考資料として紹介する。

### <1～10 章 (pp. 1～59) : NIH 組織概要、予算動向、研究プログラム、近年の課題、組織改革など>

NIH は、現在 27 の研究所・センターを擁する世界最大のライフサイエンス・臨床医学研究のグラント（研究費助成）機関である。年間 300 億ドル（約 3 兆円）を超える予算の下、多様なグラント・プログラムの推進を通じて、世界の医学研究を常に牽引し続けている（巨額の研究予算の約 9 割が基礎研究を中心とする医学研究、約 1 割が臨床試験（いわゆる治験）に投資されている）。また、橋渡し研究や NIH の大規模臨床施設の活用を通じた、米国民の健康・保健医療への貢献が強く期待されている。同時に、NIH が直面する課題も大きい。この 20 年間の急速な予算規模拡大に伴い NIH 組織は肥大化し、組織の効率的な運営管理が困難になっている。また、27 の研究所・センターが独立・分散して組織が拡大した結果、近年の最先端のライフサイエンス・臨床医学分野における分野横断型研究への効果的な対応も喫緊の課題となっている。研究助成に関しては、ここ 20 年間の研究者の増加にグラント予算の増大が追いつかず、インフレによる

物価・研究費の上昇などの影響もあり、NIH グラント採択率低下（特に若手研究者の採択率の低下）は懸念すべき状況にある。さらに、近年の創薬開発成功率の低下を受け、橋渡し研究のより適切な推進が求められている。このような課題群に直面する中で、緊縮財政下の政府は 2013 年以降の 5 年間で、連邦機関に対して予算の自動的歳出削減措置を決定しており、これは例外なく NIH 予算にも適用される。

しかし、このような多様な課題に直面するごとに、NIH が独自にリーダーシップを発揮し、時には議会が米国科学アカデミー（NAS）に調査・提言を要請し、多くの政策実施を通じて国家が一丸となり NIH 改革を進めてきた。特に 2006 年 NIH 改革法の成立以降、所長室（OD）の中央運営管理権限の強化、組織改革を検討・提言する科学的管理評価委員会（SMRB）の設置、分野横断型研究を推進するための OD 直轄の共通基金（CF）の設置、橋渡し研究加速に向けた国立先進トランスレーショナル科学センター（NCATS）の設立、並びに臨床センター（CC）の所外研究者への開放などは、近年 NIH において進められた重要政策群である。また、上述の連邦予算の自動的歳出削減措置の決定にもかかわらず、同時に 2017 年までの各省庁予算内において早期ベンチャー支援プログラムの予算割合の漸増が決定されており、今後の米国においてリスクを取る研究開発の姿勢は継続されると考えられる。また、若手研究者のキャリア支援においても、博士号取得後（ポスドク）のキャリア支援のグラント・プログラム（Career “K” Awards）等を充実させ、より多くの若手研究者が独立した研究主催者（PI）へのキャリアパスを構築できるようグラントの重点化を図っている。

#### <11 章 (pp. 60~88) : NIH およびその他の米国連邦機関における今後の重点的研究開発計画（ライフサイエンス・臨床医学、グリーン含む）>

多くの NIH 研究所・センターにおける今後のライフサイエンス・臨床医学分野の推進方策として、引き続き基礎研究・医学研究を重要視しつつ、得られた成果をより効率よく実用化に結びつけるための橋渡し研究、そして臨床試験を含めた研究開発戦略の推進が重要視されている。具体的には、疾患の遺伝要因の同定、バイオマーカーの同定、動物モデルの開発、ヒト臨床への応用、疫学及び行動科学アプローチの利用など、異なる研究アプローチを用いて新規治療法の開発を計画している。また、ゲノム技術や、ビッグデータなど、分野横断型研究に不可欠な基盤技術の整備が各機関の戦略報告書で示されている点も注目に値する。これらを支える政策面では、2006 年 NIH 改革法の影響もあり、分野横断型研究の実現に向けた組織改革や研究プログラムの設置などが NIH 研究所・センターの個別計画にも反映されている。特に、臨床センター（CC）の戦略計画では、橋渡し研究加速を目的に、国立先進トランスレーショナル科学センター（NCATS）との協力が重視されており、NCATS の戦略目標においても CC 並びに、創薬プロセス加速の目的で食品・医薬品局（FDA）との連携強化が提言されている。

ライフサイエンス・臨床医学分野のみならず、分野横断型研究の政策的重要性と、それを支える基盤技術の開発は、グリーン分野においても必要不可欠となっている。異なる連邦機関の戦略計画において、モデル植物・モデル微生物を用いた分子・生化学的機能、代謝経路群、タンパク質間相互作用、細胞内局在性などに関する理解を深め、基礎研究で得られたデータを統合し、データベースの基盤整備が提案されている。政策面では、米国内の環境・生態系に限定せず、エコシステムに関する研究開発を進めるための国際協力が提言されている。

本 CRDS 報告書が検討するように、NIH は基礎研究を中心としながら、橋渡し研究そして臨床試験までの研究経路の構築を目指している。また、米国においては、研究経路の異なるステージにおいて、連邦機関以外の多様なアクター（州政府、大学、創薬ベンチャー企業、投資企業、財団等）も重要な役割を担っている。このような多層的な取り組みに支えられ、米国のライフサイエンス・臨床医学研究が進められている。現在我が国においても「日本版」NIH に関する議論が進んでいるが、本 CRDS 報告書が僅かでもそのような議論の一助となれば幸いである。



## 目次

エグゼクティブサマリー .....	i
目次 .....	v
1 米国におけるライフサイエンス・臨床医学研究開発 .....	1
1. 1 連邦政府機関における科学技術研究開発予算の動向 .....	1
1. 2 納税者救済法(2012)自動的歳出削減措置 .....	2
1. 3 主なライフサイエンス・臨床医学研究開発連邦機関 .....	4
コラム1：安全保障分野の米国ライフサイエンス・臨床医学分野研究開発予算...	5
1. 4 連邦政府以外によるライフサイエンス・臨床医学分野研究開発資金 ....	7
2 NIH .....	8
2. 1 組織概要・予算 .....	8
2. 2 NIH 予算における所外・所内研究及び基礎研究・応用研究 .....	14
2. 3 NIH における研究開発戦略の検討過程 .....	17
コラム2：オバマ政権による重点化政策の概要 .....	19
2. 4 NIH 予算決定プロセス .....	20
2. 5 予算決定における議会の介入に関する議論 .....	21
2. 6 NIH の主なグラント .....	22
2. 7 NIH グラント採択率の推移 .....	23
2. 8 NIH におけるグラント審査プロセス .....	25
3 NIH の成果 .....	27
3. 1 論文、特許件数、並びに経済的効果 .....	27
コラム3：論文の再現性 .....	28
3. 2 NIH の助成研究により生まれた医薬品 .....	29
4 NIH 改革 - 2006 年 NIH 改革法を中心に .....	30
4. 1 2006 年 NIH 改革法 .....	30

5	共通基金 (CF)	33
5.1	戦略的投資分野決定プロセス	34
5.2	共通基金における重点的研究分野	35
6	NIH の橋渡し研究	38
6.1	NCATS 概要	38
6.2	NCATS 予算	39
6.3	トランスレーショナル科学資金 (CTSA)	40
6.4	ドラッグ・リポジショニング (既存薬・化合物の再開発)	42
6.5	NCATS 支援による論文	43
6.6	NCATS の評価	43
	コラム4 : NCATS による FDA、DARPA との共同事業 (ドラッグ・スクリーニング)	44
7	臨床センター (CC)	45
7.1	臨床センター (CC) の課題	47
7.2	臨床センター (CC) の課題解決に向けた取り組み	48
7.3	所外研究者への臨床センター (CC) 研究施設・リソースの開放	49
8	NIH による中小企業支援 (SBIR・STTR プログラム)	50
8.1	SBIR・STTR プログラム予算	51
8.2	SBIR・STTR プログラム比較	52
8.3	SBIR 実施フェーズ	53
8.4	NIH における SBIR 制度に関する課題と対策	54
9	NIH による倫理・社会問題への対応	57
9.1	研究公正局 (ORI)	57
9.2	NIH によるデュアルユース問題への対応	57
10	米国ライフサイエンス・臨床医学分野における研究開発のまとめ	59
11	米国ライフサイエンス・臨床医学分野における今後の連邦戦略計画	60

11. 1 NIH の主な研究所の戦略計画・プログラム.....	63
11. 2 非医療系ライフサイエンス分野戦略計画・プログラム .....	81
参考資料：NIH 以外の海外ライフサイエンス・臨床医学系機関.....	89
参考資料 1 英国.....	90
参考資料 2 フランス.....	93
参考資料 3 カナダ.....	93
参考資料 4 スイス.....	94
参考資料 5 欧州 (EU) .....	95



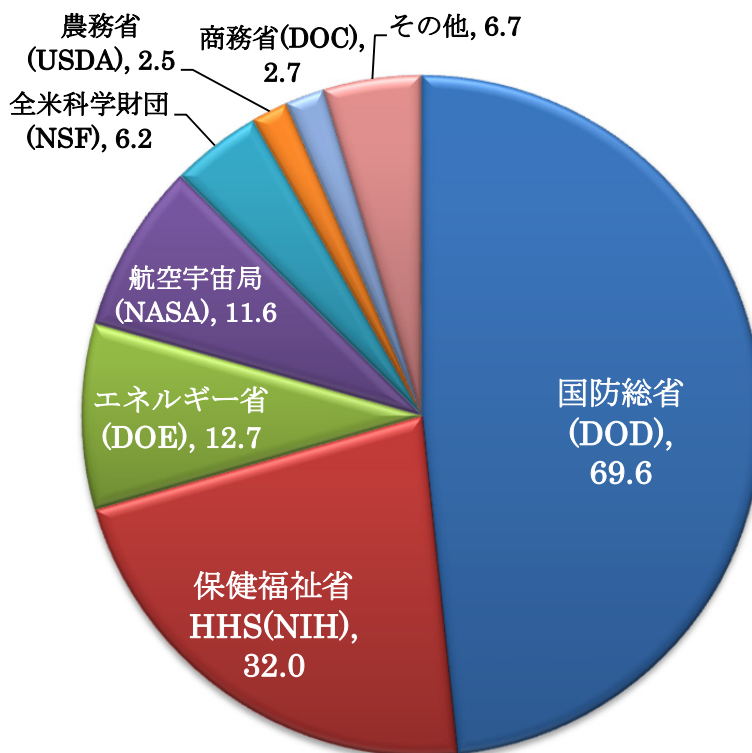


## 1 米国におけるライフサイエンス・臨床医学研究開発

### 1.1 連邦政府機関における科学技術研究開発予算の動向

米国科学振興協会（AAAS）の試算によると、2014 年会計年度の連邦政府機関における研究開発費は 1,442 億ドル（約 14 兆円）である<sup>1</sup>。そのうち、国防総省（DOD）が全体の 50%に近い 696 億ドルを占め、次に保健福祉省（HHS）傘下の NIH が全体の約 22%の 320 億ドル、そしてエネルギー省（DOE）の 127 億ドルが続く（図表 1）。連邦研究開発費の 75%以上が、これら 3 組織がそれぞれ推進する防衛、医療、エネルギー系分野へ配分されていることとなる。このように大規模な科学技術予算を有する米国であるが、図表 2（連邦機関別研究開発予算の推移）が示すように、研究開発費全体の予算は、2007 年金融危機以降、2009 年の米国再生・再投資法（ARRA）による一時的増加を除いて下降傾向にあったが 2014 年度は若干の回復を見せている<sup>2</sup>。

【図表 1】 連邦機関別 2014 年会計年度科学技術研究開発歳出予算の試算（10 億ドル）



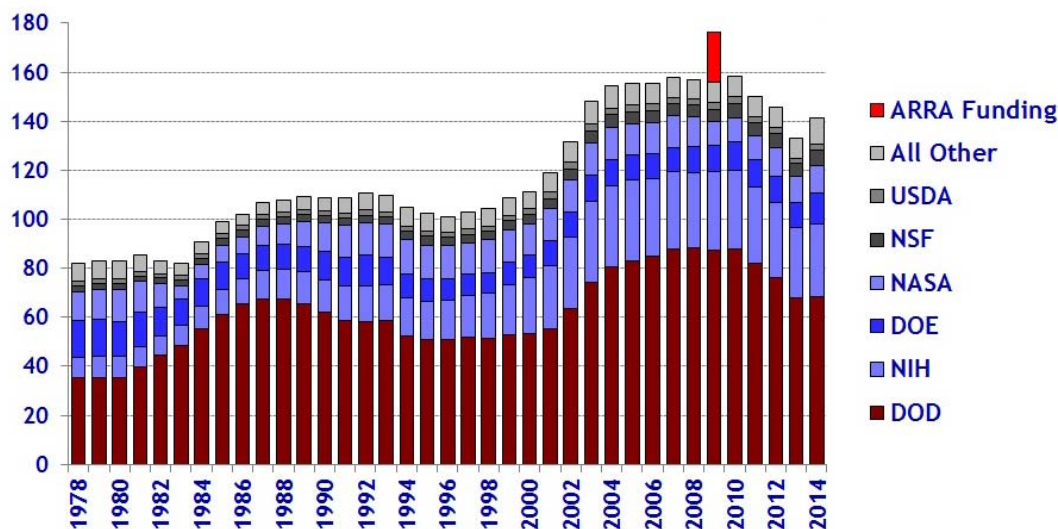
資料 AAAS Report XXXVIII: Research and Development FY2014 Tables:

<http://www.aaas.org/report/aaas-report-xxxviii-research-and-development-fy-2014-tables> より作成

<sup>1</sup> 注: AAAS による試算は政府公式資料を基に作成されているが、あくまで非政府機関による参考情報である  
R&D Budget and Policy Program, Status of Appropriations: <http://www.aaas.org/cspsp/rd/>

<sup>2</sup> Guide to R&D Funding Data Historical Data: <http://www.aaas.org/sites/default/files/migrate/uploads/Agencies.jpg>

【図表 2】 連邦機関別研究開発予算の推移 (10 億ドル)



Source: AAAS Report: Research & Development series.  
 FY 2013 and FY 2014 figures are latest estimates.  
 1976-1994 figures are NSF data on obligations in the Federal Funds survey.  
 © 2013 AAAS



注：予算額は法律により支出義務を伴う“Obligations”を利用。図表内「latest」は2013年6月時点。  
 予算の名目価値からインフレ効果を調整した実質価値の基準年は2014年。

資料：図表内参考文献より抜粋

## 1.2 納税者救済法(2012) 自動的歳出削減措置

2013年以降の研究開発予算に関しては、2011年財政管理法(P.L. 112-25)及び2012年納税者救済法(ATRA: P.L. 112-240)に基づく自動的歳出削減措置の影響で<sup>3</sup>、今後も段階的な削減が実施されるものと考えられる。AAASは2017年までの研究開発費に対する削減割合の試算も示している(図表3)。2013年度予算では、特に防衛研究開発費の削減は顕著であり、前年比でまず13億ドルの削減が議会で決定され、これを同年の自動的歳出削減措置(2013年度における57億ドル削減:図表3)と合わせると、実に合計で70億ドル(前年比約10%)の研究開発費の削減が実施されることとなる<sup>4</sup>。同削減措置の影響の大きさは、2013年度の連邦機関別研究開発費の内訳で、DOD予算が政府科学技術予算全体の50%を超えていた背景からも確認できる<sup>5</sup>。NIHに関しては、2013年から2017年までの5年間で、合計約113億ドルの削減が見込まれる。同図表3で注記すべきは、DOD及びNIHともに、削減率はその他の省庁と際立った差はないが、これら

<sup>3</sup> OMB Final Sequestration Report to the President and Congress for Fiscal Year 2013:

[http://www.whitehouse.gov/sites/default/files/omb/assets/legislative\\_reports/sequestration/sequestration\\_final\\_april2013.pdf](http://www.whitehouse.gov/sites/default/files/omb/assets/legislative_reports/sequestration/sequestration_final_april2013.pdf)

<sup>4</sup> R&D Budget and Policy Program, Status of Appropriations: <http://www.aaas.org/cspsp/rd/>

<sup>5</sup> R&D Budget and Policy Program, Status of Appropriations: <http://www.aaas.org/cspsp/rd/>

の省庁では予算額自体が大きいため、たとえ1%の削減率であったとしても実際の削減額の影響はその他の省庁よりも大きい。

【図表3】会計年度2013年から2017年までの研究開発費削減の試算（百万ドル）

	2013	2014	2015	2016	2017	合計	削減率
国防総省 (DOD)	-5,749	-6,818	-6,696	-6,585	-6,495	-33,524	-9.1%
国立衛生研究所 (NIH)	-2,439	-2,343	-2,251	-2,162	-2,079	-11,274	-7.6%
エネルギー省 (DOE)	-972	-944	-916	-889	-865	-4,585	-8.2%
全米科学財団 (NSF)	-456	-438	-421	-404	-388	-2,106	-7.6%
航空宇宙局 (NASA)	-763	-733	-704	-676	-650	-3,527	-7.6%
農務省 (USDA)	-189	-182	-175	-168	-161	-875	-7.6%
商務省 (DOC)	-103	-98	-95	-91	-87	-474	-7.6%
内務省 (DOI)	-65	-62	-60	-57	-55	-299	-7.6%
環境保護庁 (EPA)	-46	-44	-43	-41	-39	-213	-7.6%
国土安全保障省 (DHS)	-50	-48	-46	-44	-43	-232	-7.6%
合計	-8,995	-11,796	-11,488	-11,196	-10,939	-54,415	-8.4%

注：削減率は2013年度予算比である。資料：Brief: Federal R&D and Sequestration In The First Five Years : [http://www.aaas.org/sites/default/files/reports/SeqBrief\\_0.pdf](http://www.aaas.org/sites/default/files/reports/SeqBrief_0.pdf) より作成

NIH 所長 Francis Collins は、2013 年度予算からの自動削減により、すでに 640 のプロジェクトが停止したことを受け、自動削減に関する議会決定は NIH にとって非常に有害であるとし、研究者コミュニティへ与える影響に懸念を示している<sup>6</sup>。今後同削減措置によるライフサイエンス・臨床医学分野の研究開発への影響が注目される。

また、米国において医薬品承認を行なう保健福祉省 (HHS) 傘下の食品・医薬品局 (FDA) では、医薬品の承認審査期間短縮を目的として、製薬企業などが審査費用を負担する「手数料」が予算の一部を構成している。このような手数料は、国からの直接的な予算配分ではないが、FDA 手数料も自動削減措置の対象とされているため、FDA 予算への影響は小さくない。2013 年の FDA 手数料収入のうち、約 1.1 億ドル以上が自動削減対象となるという試算もある<sup>7</sup>。その影響を懸念し、2013 年 11 月に民主党議員を中心とする 22 名の連邦議員が議会に対して、FDA 手数料は自動的削減対象から除外すべきであると要請した。しかし、現在のところ大統領府行政管理予算局 (OMB) は、1985 年均衡予算・緊急赤字統制法 (BBEDCA) においては、FDA 手数料に関する明確な免除規定がないため、

<sup>6</sup> Dr. Francis Collins: Politics on the Frontier of Science:

<http://online.wsj.com/news/articles/SB10001424052702304073204579170023892274000>

<sup>7</sup> More than \$110 Million in FDA User Fees to be Saized under Sequestration:

<http://www.raps.org/focus-online/news/news-article-view/article/2257>

自動削減措置からの除外は難しいという見解を示している<sup>8</sup>。

### 1.3 主なライフサイエンス・臨床医学研究開発連邦機関

米国においては、ライフサイエンス・臨床医学に関する研究を NIH、広く科学の振興・健康・国防につながる研究の基礎的なライフサイエンス部分を NSF、エネルギー・環境研究全般を DOE が中心となり推進しており、その他、農務省 (DA)、商務省 (DOC) 傘下の海洋大気庁 (NOAA)、内務省 (DOI) 傘下の地質調査所 (USGS)、並び環境保護庁 (EPA) などが関連分野において研究を実施している。2012 年会計年度においては、医学に関する研究分野を所管する NIH が 309 億ドルと突出している。NSF の生物科学局 (BIO) は、学術機関における環境生物学を含む非医療系基礎研究の 62% を支出し、BIO の 2012 年度予算は 7.12 億ドルである<sup>9</sup>。DOE の生物環境研究プログラム (BER) は、生物・環境・気候分野予算で 5.92 億ドル計上している (図表 4)。その他の連邦機関もライフサイエンス・臨床医学分野の研究開発を実施していると考えられるが、上述の、連邦開発費 (図表 1) でも確認したように、それらの組織全体の研究開発費 (ライフサイエンス・臨床医学以外も含む) の規模自体が、NIH、NSF、DOE に比べて相対的に小さいため、米国のライフサイエンス・臨床医学分野の主要な研究機関は、NIH、NSF、DOE であると言える。

【図表 4】 ライフサイエンス研究開発に関わる主要連邦機関

連邦機関	研究分野	2012 年度予算
NIH	健康・医療分野全般	309 億ドル
NSF (BIO)	分子・細胞生物学、環境生物学、生物学的基礎構造、統合的 生物システム分野	7.12 億ドル
DOE (BER)	生物システム科学 (BSSD)、気候・環境科学及び気候・地球 システム科学 (CESD) 分野	5.92 億ドル

資料：Federal R&D Funding, by Budget Function: Fiscal Years 2011-13:

<http://www.nsf.gov/statistics/nsf13308/pdf/nsf13308.pdf>

; Biological and Environmental Research Funding Profile by Subprogram and Activity:

[http://science.energy.gov/~media/budget/pdf/sc-budget-request-to-congress/fy-2014/Cong\\_Budget\\_2014\\_Biological\\_Environmental.pdf](http://science.energy.gov/~media/budget/pdf/sc-budget-request-to-congress/fy-2014/Cong_Budget_2014_Biological_Environmental.pdf) より作成

<sup>8</sup> Lawmakers Intent on Reducing FDA Fees from Sequester:

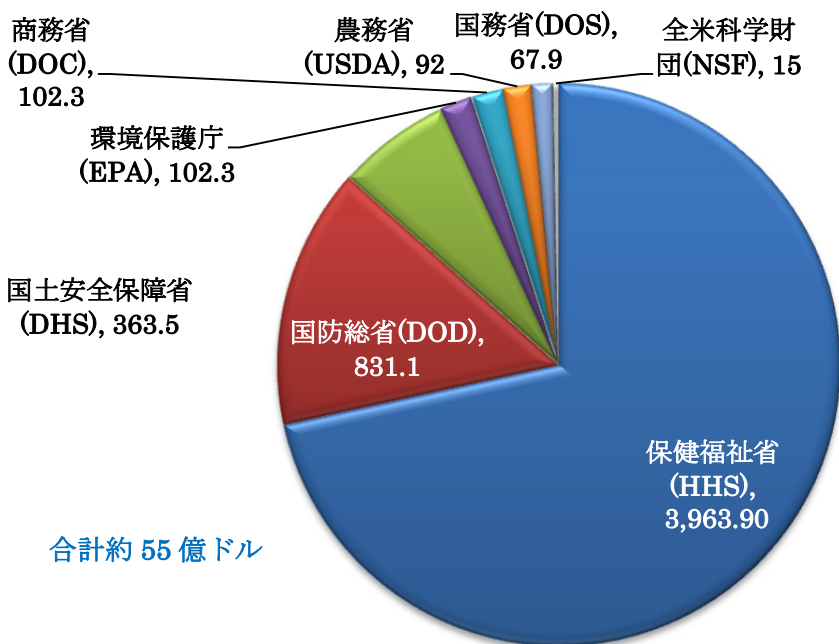
<http://www.bioworld.com/content/lawmakers-intent-rescuing-fda-fees-sequester-0>

<sup>9</sup> Biological and Ecological Science in the FY 2013 Budget: <http://www.aaas.org/spp/rd/rdreport2013/13pch17.pdf>

コラム 1 : 安全保障分野の米国ライフサイエンス・臨床医学分野研究開発予算

米国では、安全保障の観点からもライフサイエンス・臨床医学分野に対して巨額の研究開発投資がなされていることが、わが国と比較した際特筆すべき点として挙げられる。2013 年度予算においては、全体で約 55 億ドルがバイオディフェンスを目的として計上されている。図表 5 が示すように、先述したライフサイエンス・臨床医学分野の研究開発に関わる多くの連邦機関において、バイオディフェンス予算が配分されている。

【図表 5】 2013 年会計年度省庁別バイオディフェンス予算 (百万ドル)



資料 : Federal Agency Biodefense Funding: FY2012-FY2013 より作成

ここでのバイオディフェンスの定義は、「国民」を生物テロや感染症の脅威から保護する目的の「民間生物防衛費」であり、軍隊による軍事計画の遂行に必要な研究開発とは異なる。民間生物防衛の内容は大きく分けて 2 種類ある。まず、テロなどの脅威から国民を守るための防衛目的（有事に対する予防・準備・対応）に特化した研究開発プログラムである。もう 1 つは、防衛目的に限定されず、科学、公衆衛生、健康・医療、国家・国際安全保障に貢献できる広い意味でのバイオディフェンス研究開発プログラムである<sup>10</sup>（例：自然発生の感染症へのワクチン備蓄は、生物テロによる同感染症へのワクチンとして利用することもできるため、平時における公衆衛生また有事における国民保護の両方の目的に利用可能である）。

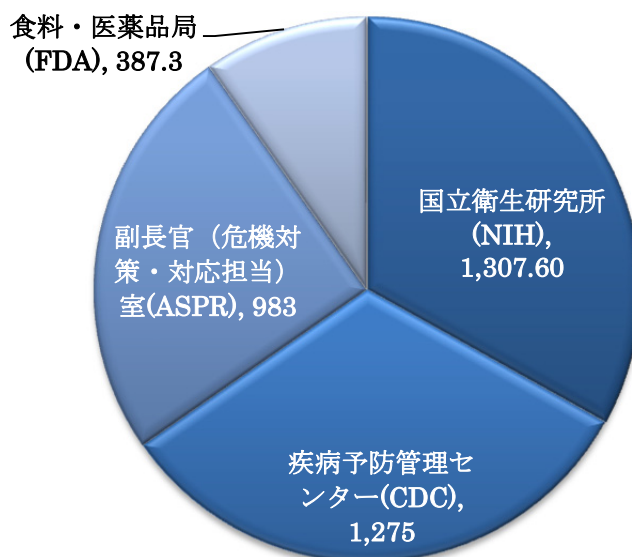
<sup>10</sup> Federal Agency Biodefense Funding, FY2012-FY2013:

<http://www.upmchealthsecurity.org/website/resources/publications/2012/2012-06-12-biodeffunds.html>



2013 年度の省庁別バイオディフェンス予算 (55 億ドル) の内訳をみると、全体の 70% 以上の約 39 億ドルが公衆衛生・医療を担う保健福祉省 (HHS) に予算が配分されている点からも、米国のバイオディフェンス・プログラムは、公衆衛生的な特徴が強い (図表 5)。防衛目的に限定されたプログラムの予算は、約 5.7 億ドルと全体の約 10% であった<sup>11</sup>。このように、米国の民間バイオディフェンス・プログラムのほとんどは、科学・健康・環境への広い応用目的をもってプログラムが実施されている。

【図表 6】 2013 年会計年度保健福祉省 (HHS) バイオディフェンス予算 (百万ドル)



資料 : Federal Agency Biodefense Funding: FY2012-FY2013 より作成

HHS 内のバイオディフェンス予算の内訳は、その 33% (約 13 億ドル) が NIH、32% (約 13 億ドル) が疾病予防管理センター (CDC)、25% (約 9.8 億ドル) が副長官 (危機対策・対応担当) 室 (ASPR)、そして、残りの 10% (約 3.9 億ドル) が食品・医薬品局 (FDA) に配分されている (図表 6)。NIH バイオディフェンス予算は、その全てが、国立アレルギー感染症研究所 (NIAID) の「バイオディフェンス及び新興感染症研究」プログラムに利用されている<sup>12</sup>。

<sup>11</sup> Federal Agency Biodefense Funding, FY2012-FY2013:  
<http://www.upmchealthsecurity.org/website/resources/publications/2012/2012-06-12-biodeffunds.html>

<sup>12</sup> Federal Agency Biodefense Funding, FY2012-FY2013:  
<http://www.upmchealthsecurity.org/website/resources/publications/2012/2012-06-12-biodeffunds.html>

### 1.4 連邦政府以外によるライフサイエンス・臨床医学分野研究開発資金

【図表 7】 米国における州政府・民間財団・個人寄付による研究資金助成の例

提供者	対象・内容	規模
州政府	カリフォルニア再生医療機構は、カリフォルニア州の「カリフォルニア幹細胞研究医療法」により 2004 年に設立された機関 <sup>13</sup>  ニューヨーク幹細胞科学は、ニューヨーク州が行っている 2007 年設立の幹細胞研究プログラムであり、幹細胞科学の全領域における 153 の研究助成プログラムを実施 <sup>14</sup>	10 年間で幹細胞研究に総額 30 億ドルの支援を計画、2006 年から年間約 2.5 億ドルの助成を実施  約 1 億ドルを、州を横断した 24 の研究機関に助成
民間財団	ビル&メリンダ・ゲイツ財団 <sup>15</sup>  ハワード・ヒューズ医学研究所 <sup>16</sup>	2011 年、グローバルヘルス領域（ワクチン開発など）に約 20 億ドルの助成  2011 年、医学研究に 8 億ドルの研究費を助成
個人による寄付	ハーバード大学医学部 <sup>17</sup>  ブロード研究所 (MIT ゲノム研究所 (WICGR)・ホワイトヘッド研究所における先端ゲノム研究と、ハーバード大学医学部及び同大学の 5 つの関連病院における医学研究を、融合させる目的で 2004 年に設立された) <sup>18</sup>	2012 年、寄付の総額は 6,200 万ドルであり、この内、100 万ドル以上を寄付した個人の数は 25 名に上る <sup>18</sup>  2012 年予算の 35%にあたる 9,900 万ドルが寄付

米国のライフサイエンス・臨床医学研究開発費においては、連邦政府以外の組織・団体なども重要な役割を担っている。連邦政府が緊縮財政にありながらも、NIH の予算規模は大きな存在感を示しているが、一方でこのような重層的かつ多面的なグラントも、米国のライフサイエンス・臨床医学研究を支える重要な要素であると考えられる（図表 7）。

<sup>13</sup> CIRM Funding Commitments: <http://www.cirm.ca.gov/our-progress/summary-cirm-rounds-funding>  
<sup>14</sup> Empire State Stem Cell Board: <http://www.nystem.org/sites/default/files/documents/files/esscb-pivotal-years.pdf>  
<sup>15</sup> Building Better Lives Together 2011 Annual Report: <http://www.gatesfoundation.org~/media/GFO/Documents/Annual%20Reports/2011Gates%20Foundation%20Annual%20Report.pdf>  
<sup>16</sup> Fact Facts and Financials: <http://www.hhmi.org/about/financials>  
<sup>17</sup> Dean's Report 2012-2013 Harvard Medical School: [http://hms.harvard.edu/sites/default/files/assets/About\\_Us/Deans\\_Report/files/DR2013.pdf](http://hms.harvard.edu/sites/default/files/assets/About_Us/Deans_Report/files/DR2013.pdf)  
<sup>18</sup> Honor Roll of Donors: <http://hms.harvard.edu/honor-roll>  
<sup>19</sup> Broad Institute 2012: [http://www.broadinstitute.org/files/news/media-kit/2012\\_broad\\_institute\\_ar.pdf](http://www.broadinstitute.org/files/news/media-kit/2012_broad_institute_ar.pdf)



## 2 NIH

### 2.1 組織概要・予算

NIH は HHS 傘下に組織された医学研究分野における世界最大のグラント助成・研究機関である。その起源は、1887 年ニューヨーク・スタテン島において、商船船員の治療を行なう海軍病院（現在の米公衆衛生サービス：PHS）内に設置された一研究室に始まる。その後、コレラや黄熱病などの感染症研究を通じて公衆衛生・医学研究機関としての役割を拡大させた歴史を持つ<sup>20</sup>。2013 年現在、NIH におけるコアミッションは、次のとおりである。

- 創造性に富んだ基礎科学研究、革新的研究戦略の開発、そして、基礎的な発見の健康増進への橋渡し
- 米国の疾患予防能力を高める科学的資源・人材の開発、維持、進歩
- 医療・周辺科学分野における基盤知識の普及
- 公共投資に対する経済的利益の創出
- 科学に対する高い誠実性、科学者の社会に対する説明責任の実現<sup>21</sup>

上記の目的を遂行するため、NIH は異なる疾患やヒトの体組織を研究テーマとする 27 の独立研究所・センターの集合体として組織されている（図表 8）<sup>22</sup>。これら個別の研究所・センターを統括するために、所長室（OD）があり、NIH に関する政策決定、グラントの計画・管理、研究所間の運営調整を担っている<sup>23</sup>。現所長は、かつてヒトゲノム計画をリードした Francis Collins である（2014 年 1 月時点）。2009 年 7 月 8 日に大統領により任命が公表され、同年 8 月 17 日に着任した<sup>24</sup>。前所長は、著名な放射線医学研究者である Elias Zerhouni であり、その前任はノーベル賞受賞者であり国立がん研究所（NCI）現所長の Harold E. Varmus であった。

それぞれ異なる分野において研究開発を実施する各研究所・センターを補佐する目的で、OD には分野別に多数のサブオフィスが組織されている（図表 9）。各研究所・センターと協力してグラント・プログラムを計画する科学技術分野担当のオフィスから、法務、倫理、情報、教育、臨床手続きなど、多様な専門オフィスを設けている。また、所長に対して NIH の運営管理や研究ポートフォリオに関する助言を与える諮問委員会（ACD）も設置されている。ACD は学界の有識者を中心に 20 名で構成されており、通常、年間 3 回程度の会合を主催する。全ての会合は公示されるが、内容に関しては NIH の判断により一部非公開で実施されることもある。2013 年の会合では、後述の「2.3 NIH における研究開発戦略の検討過程」や「コラム 2」で紹介されている、大統領 BRAIN イニシアチブの進捗に関する検討が定期的に行われている<sup>25</sup>。

NIH の 2013 年度予算は、309 億ドルである（図表 10）。予算の 80%以上は、2,500 を超える大学などの所外研究所（約 300,000 名以上の研究者）に対して、競争的研究資金や研究契約を通じて拠出される（図表 11）。同時に、約 6,000 名の科学者が、NIH 機関の研究所において所内研究を実施しており、そのほとんどがメリーランド州ベセスダにある「メイン・キャンパス」と呼ばれる NIH の本部に在籍している。（NIH における Program

<sup>20</sup> A Short History of the National Institutes of Health: <http://history.nih.gov/exhibits/history/>

<sup>21</sup> Mission: <http://www.nih.gov/about/mission.htm>

<sup>22</sup> About NIH: <http://www.nih.gov/about/>

<sup>23</sup> About NIH: <http://www.nih.gov/about/>

<sup>24</sup> The NIH Directors: <http://www.nih.gov/about/almanac/historical/directors.htm>

<sup>25</sup> Meetings: <http://acd.od.nih.gov/meetings.htm>

Officer (PO) の役割については、「2.8 NIH におけるグラント審査プロセス」で後述する)。また、メイン・キャンパスには臨床研究に特化した世界最大の臨床研究病院である、臨床センター (CC) も設置されている<sup>26</sup>。

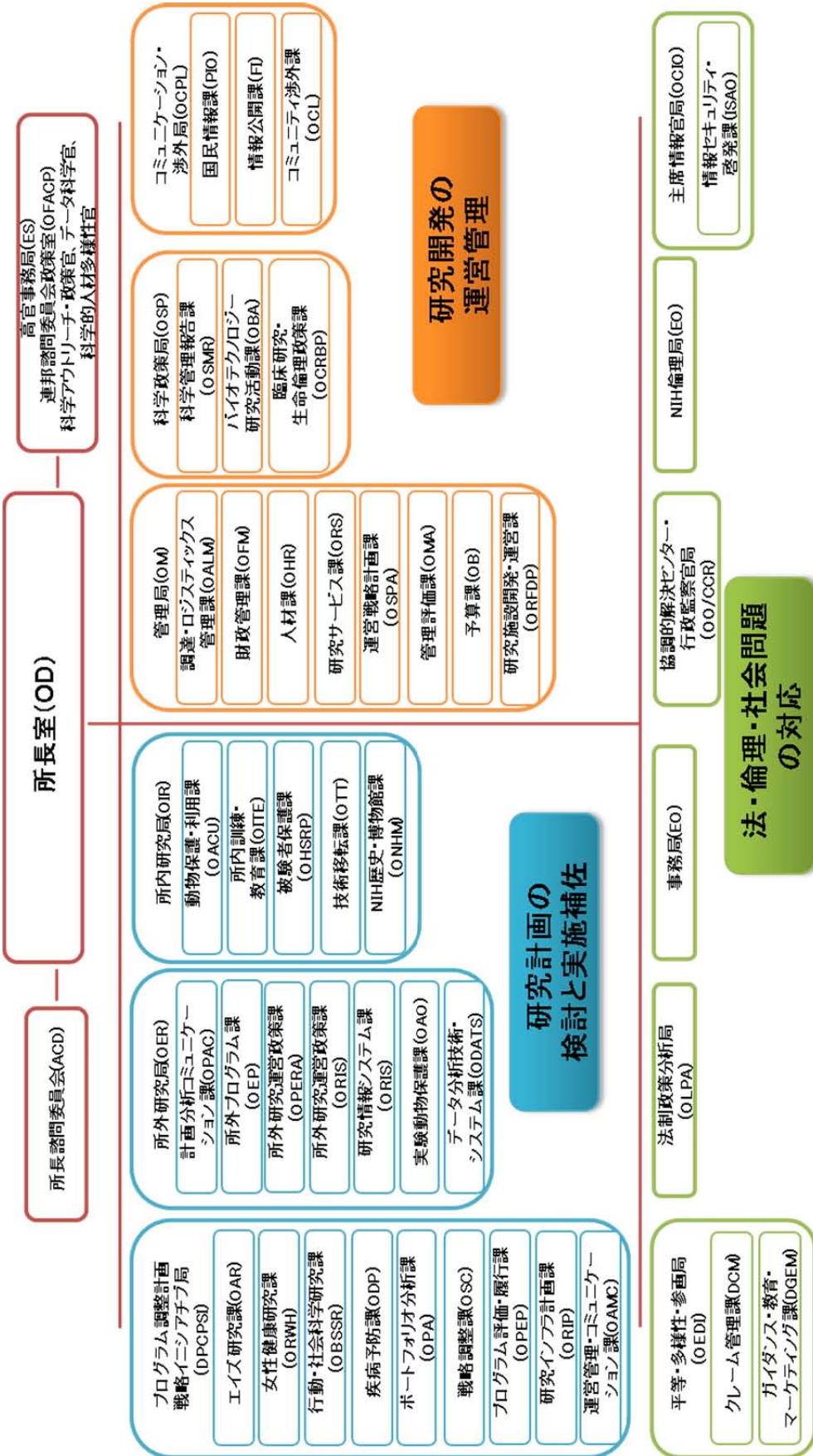
<sup>26</sup> About NIH: <http://www.nih.gov/about/>

【図表 8】 NIH 組織図



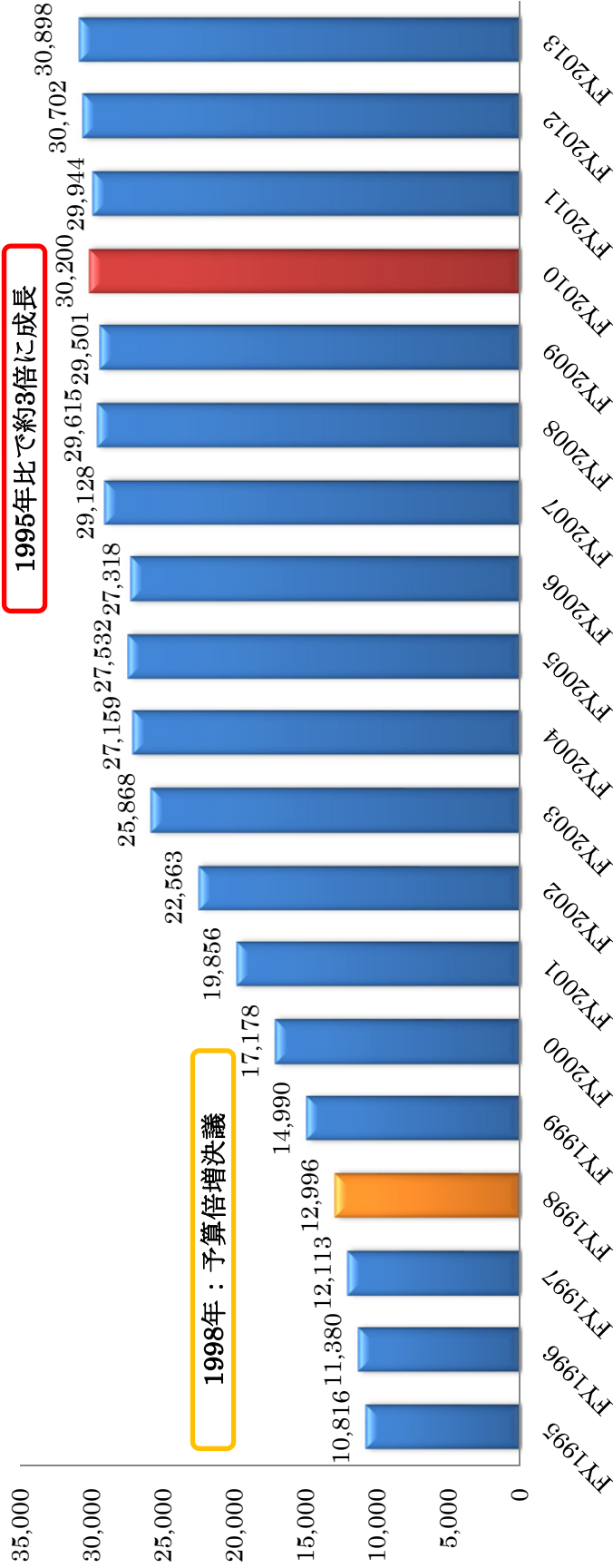
資料：Institutes, Centers & Offices: <http://www.nih.gov/icd/index.html> より作成

【図表 9】 NIH 所長室 (Office of Director) 組織図



資料：Office of the Director, NIH: <http://oma.od.nih.gov/public/MS/organization/Organization%20Charts/OD-NIH.pdf>; 及び「海外政府系研究開発機関における研究開発評価システムに関する調査・分析」調査報告書: [http://www.mext.go.jp/component/a\\_menu/science/detail/\\_icsFiles/afieldfile/2011/09/28/1310953\\_1.pdf](http://www.mext.go.jp/component/a_menu/science/detail/_icsFiles/afieldfile/2011/09/28/1310953_1.pdf) より作成

【図表 10】 NIH 予算の推移 (百万ドル)



資料：Data Book: <http://report.nih.gov/NIHDataBook/Charts/Default.aspx?show=Y&chartId=153&catId=1> より作成

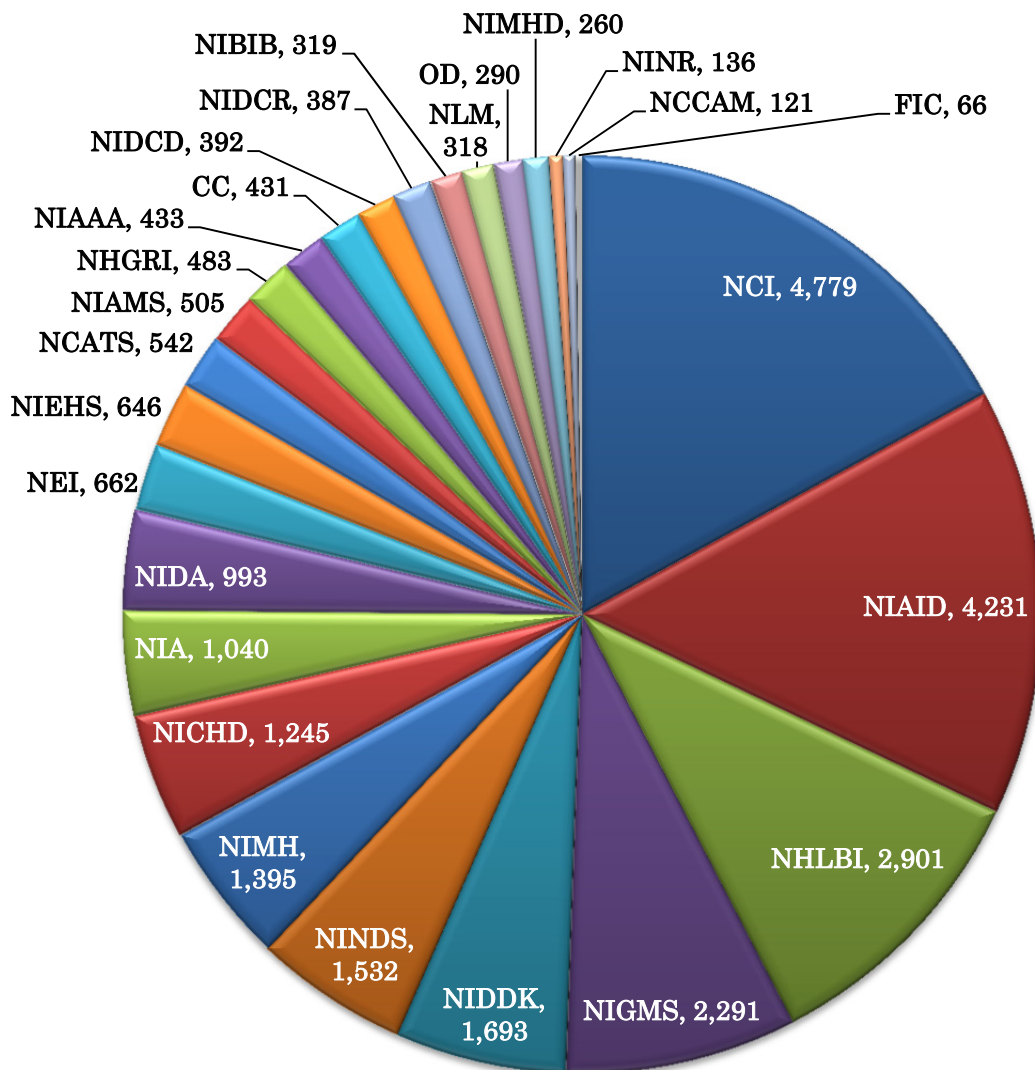
NIH 予算は、1995 年 108 億ドルから 2001 年の間に約 2 倍の 199 億ドルに拡大し、2010 年以降は、1995 年の約 3 倍にあたる約 300 億ドル前後を推移しており、この 20 年間で急速な拡大を遂げている。この背景として、1980 年代後半から 1990 にかけて産業界によるライフサイエンス研究開発投資が米国において大きな経済効果を生み出したが、政府による戦略的な投資は遅れていた<sup>27</sup>。そこで、1998 年、第 105 回議会では超党派の支持の下、米国における医学研究を政府による研究支援で加速させるため、1999 年から 2003 年までに NIH 予算を倍増させる決議を成立させた<sup>28</sup>。

<sup>27</sup> Increased Funding for NIH: A Biomedical Science Perspective: <http://www.fasebi.org/content/12/14/1431.long>

<sup>28</sup> H.Con.Res.284(105<sup>th</sup>) Budget Resolution FY1999: <https://www.govtrack.us/congress/bills/105/hconres284>



【図表 11】 NIH 研究所・センター別予算分布（百万ドル）



注:Center for Information Technology (CIT) 及びCenter for Scientific Review (CSR) のデータは含まれていない

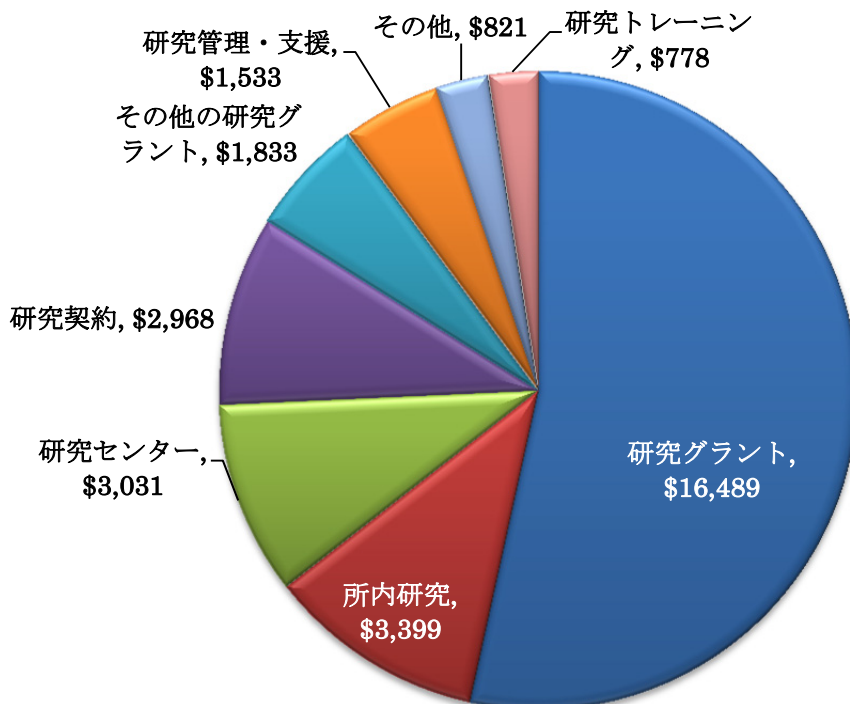
資料: Mechanism Table accompanying FY 2013 Operating Plan:

<http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/FY13/FY%202013%20Full-Year%20NIH%20Mechanism%20Table%20Posting%20.pdf> より作成

NCI (国立がん研究所)、NIAID (国立アレルギー・感染症研究所)、NHLBI (国立心・肺・血液研究所)、NIGMS (一般医学研究所) の 4 研究所予算が全体予算の半分以上を占めている。これらの研究所に加え、10 億ドルを超える予算を有するのは、国立関節炎・筋骨格・皮膚疾患研究所 (NIAMS)、国立糖尿病・消化器・腎疾患研究所 (NIDDK)、国立神経疾患・脳卒中研究所 (NINDS)、国立精神衛生研究所 (NIMH)、国立小児保健発達研究所 (NICHD) 並びに、国立老化研究所 (NIA) である。

## 2.2 NIH 予算における所外・所内研究及び基礎研究・応用研究

【図表 12】 NIH プロジェクト別予算内訳（百万ドル）



資料：Overview of FY 2013 Presidents Budget より作成

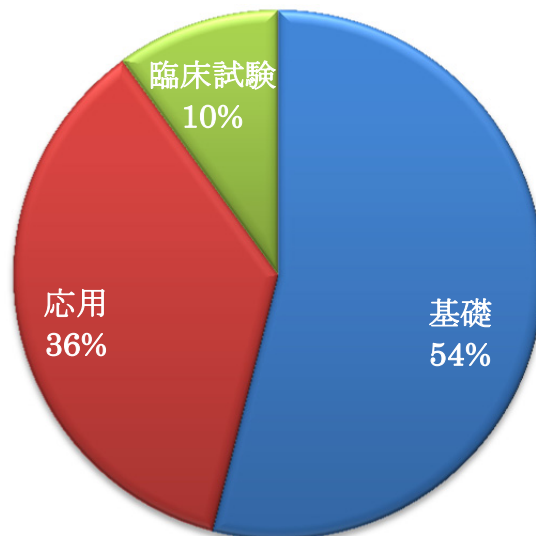
<http://report.nih.gov/NIHDataBook/Charts/Default.aspx?sid=0&index=1&catId=1&chartId=5>

NIH 研究費予算の 80%以上が、競争的研究資金（研究グラント）、トレーニング、並びに研究開発（R&D）契約の形をとり、NIH 外部に対して助成されている。所内研究費は全体の 10%程度と定められており、所外研究の支援が NIH の中核的なミッションである点を確認できる<sup>29</sup>。研究開発（R&D）契約は、競争的資金ではないが、政府からの随意契約提案を受けて、大学などの所外研究者がプロジェクトを実施する取り組みである。このように所外研究費の中でも、研究者主導（ボトムアップ型）プロジェクトと、政府による目的志向型（トップダウン型）プロジェクトとのバランスがとられている。

<sup>29</sup> Overview of FY 2013 Presidents Budget:

<http://report.nih.gov/NIHDataBook/Charts/Default.aspx?sid=0&index=1&catId=1&chartId=5>

【図表 13】 NIH 予算の基礎・応用（研究費）臨床試験費内訳



資料：FY 2013 Overview: [http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/fy13/fy2013\\_overview.pdf](http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/fy13/fy2013_overview.pdf) ; 及び Estimates of Funding for Various Research, Condition, and Disease Categories (RCDC): [http://report.nih.gov/categorical\\_spending.aspx](http://report.nih.gov/categorical_spending.aspx) より作成

NIH の研究予算に関する複数のデータに基づいて判断すると、約 54% が基礎研究、約 36% が応用研究（ヒトを対象とした医学研究など）、約 10% が臨床試験（いわゆる「治験」）という内訳である。近年橋渡し研究（応用研究）の加速により、基礎研究の割合が少なくなるという懸念に対し、NIH 所長は基礎研究と実用化研究のバランスを崩さない立場を示している<sup>30</sup>。ここでの基礎研究は、疾患の発症・進行の原因解明、予防介入法のデザイン、診断法の開発、新薬・治療法の発見を目的に実施される。応用研究はヒトを対象とした研究（臨床研究）や、臨床試験の主に早期フェーズが含まれ<sup>31</sup>、基礎研究における発見の更なる検討や橋渡しを目的に実施される。研究・症状・疾患に関する NIH 予算カテゴリ表（RCDC）によると、2013 年度予算において、臨床研究に約 110 億ドル、臨床試験に約 32 億ドル（NIH 予算の約 10%）が計上されている（注：臨床研究費の内訳として臨床試験費が含まれると考えられる）<sup>32</sup>。前者の臨床研究は、ヒトおよびヒト試料を用いた研究を含み、具体的にはコホート研究、症例報告の調査、ヒト試料を用いた研究である。後者の臨床試験に関しては、食品・医薬品局（FDA）によるフェーズ 1～3 の審査・承認過程である。

<sup>30</sup> FY 2013 Overview: [http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/fy13/fy2013\\_overview.pdf](http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/fy13/fy2013_overview.pdf)

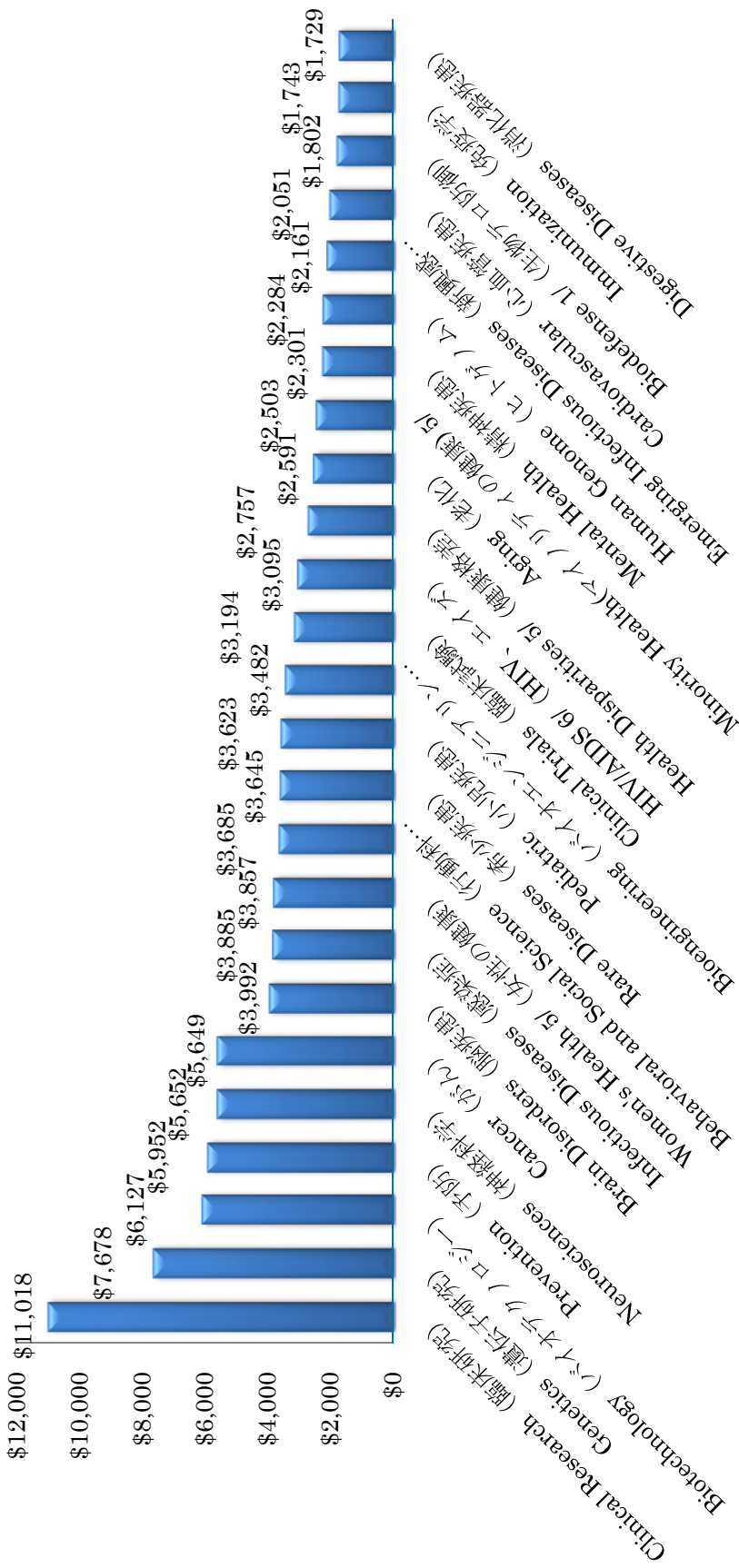
<sup>31</sup> フェーズ 1: 小規模の健康な被験者に対し、治療域内最大投与量と副作用の関係を試験、  
フェーズ 2: 小規模患者に対し、投与量・投与方法に関する試験、

フェーズ 3: 新薬と上市済の承認薬を大規模患者集団に用いて効果の比較分析を行ない、特定の症状に対する新薬の効果を同定

<sup>32</sup> FY 2013 Overview: [http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/fy13/fy2013\\_overview.pdf](http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/fy13/fy2013_overview.pdf)



【図表 14】2013 年 NIH における研究領域／疾患領域別予算ランキング（所内・所外研究を含む）（百万ドル）



資料：Estimates of Funding for Various Research, Condition, and Disease Categories: [http://report.nih.gov/categorical\\_spending.aspx](http://report.nih.gov/categorical_spending.aspx) より作成

NIH データベースでは、臨床研究や他分野で利用される基盤技術（例、遺伝子研究など）は、異なる疾患研究プロジェクトにおいても登録されているため、重複して計上されていると思われる。健康格差、マイノリティ（人種別）の健康といった社会的観点からの研究も重点化されている。

## 2.3 NIHにおける研究開発戦略の検討過程

ここでは、NIHにおける研究開発分野の検討がどのようなプロセスで行なわれるかを紹介する。文部科学省科学技術政策研究所（NISTEP）の2010年調査報告書によると、米国においては、日本の科学技術基本計画に類する枠組みは持たないが、個別省庁の重点化政策は、それぞれの「戦略計画」において示され、一方、省庁横断型の重点化政策に関しては、大統領府による検討を通じて示される。大統領府においては、各連邦機関の長官らにより開かれる国家科学技術会議（NSTC）において、科学技術政策局（OSTP）の調整を踏まえ、各省が参考とすべき指針が検討される。毎年夏季にOSTP局長と行政管理予算局（OMB）局長の連名で公表される「各連邦機関長官への覚書」は重要である<sup>33</sup>。2013年の覚書は「2015年会計年度に向けた科学技術の優先事項」というタイトルの下、重点項目として次の研究開発分野の提言を行なっている<sup>34</sup>。

- 先端製造技術（サイバー基盤整備、ナノ技術、産学連携強化など）
- クリーンエネルギー
- 気候変動
- 政策決定のための研究開発
- IT（ビッグデータなど）
- 国家安全保障
- 生物学及び神経科学におけるイノベーション
- 科学、技術、工学、数学教育（STEM）

それぞれの項目が、ライフサイエンス・臨床医学分野との関連で重要であるが、NIHミッションに直結するのは「生物学及び神経科学におけるイノベーション」である。ここでは、特に2012年大統領により公表された『2012年国家バイオエコノミー青写真』で示された項目に重点投資するように提言されている。その内容は、バイオシステム・デザイン技術開発、システム生物学の理解、ハイスループット生物学、感染症対策、生物学・物理学・工学の融合研究、そして、大統領イニシアチブである『革新的神経科学技術の進歩による脳研究』（ブレイン・イニシアチブ：BRAIN）などである<sup>35</sup>。

これらと並行して、大統領府内には、21名の学界・産業界からの有識者から構成される大統領科学技術諮問会議（PCAST）があり、PCASTも有力な提言を行なっている。CRDS海外調査によれば、特にオバマ政権ではPCASTの提言を大統領政策として積極的に活用している<sup>36</sup>。オバマ大統領就任以降、異なる科学分野に関する会合が2013年11月までに計19回開催されてきた。それぞれの会合が大統領への提言として報告書を公表しており、その中には、「H1N1インフルエンザ」（2009）、「インフルエンザワクチン」（2010）、「医療情報技術」（2010）、「米国の研究事業」（2012）、「新薬の発見、開発、評価におけるイノベーションの推進」（2012）などの、医療分野の内容も多い<sup>37</sup>。

NIH所長は、これらの政府による覚書や提言に加え、保健福祉省長官による戦略計画<sup>38</sup>、そして、毎年27のNIH研究所・センターから提示される研究計画、NIH所長室（OD）戦略を総合的に考慮してNIHとしての研究ポートフォリオをデザインする（図表15）。NIHの研究計画の具体的内容は本CRDS報告書11章にて紹介する。

<sup>33</sup> 第三期科学技術基本政策の主要政策に関する主要国の比較：

<http://www.nistep.go.jp/achiev/ftx/jpn/mat175j/pdf/mat175j01.pdf>

<sup>34</sup> Memorandum for the Heads of Executive Departments and Agencies:

[http://www.whitehouse.gov/sites/default/files/microsites/ostp/fy\\_15\\_memo\\_m-13-16.pdf](http://www.whitehouse.gov/sites/default/files/microsites/ostp/fy_15_memo_m-13-16.pdf)

<sup>35</sup> National Bioeconomy Blue Print:

[http://www.whitehouse.gov/sites/default/files/microsites/ostp/national\\_bioeconomy\\_blueprint\\_april\\_2012.pdf](http://www.whitehouse.gov/sites/default/files/microsites/ostp/national_bioeconomy_blueprint_april_2012.pdf)

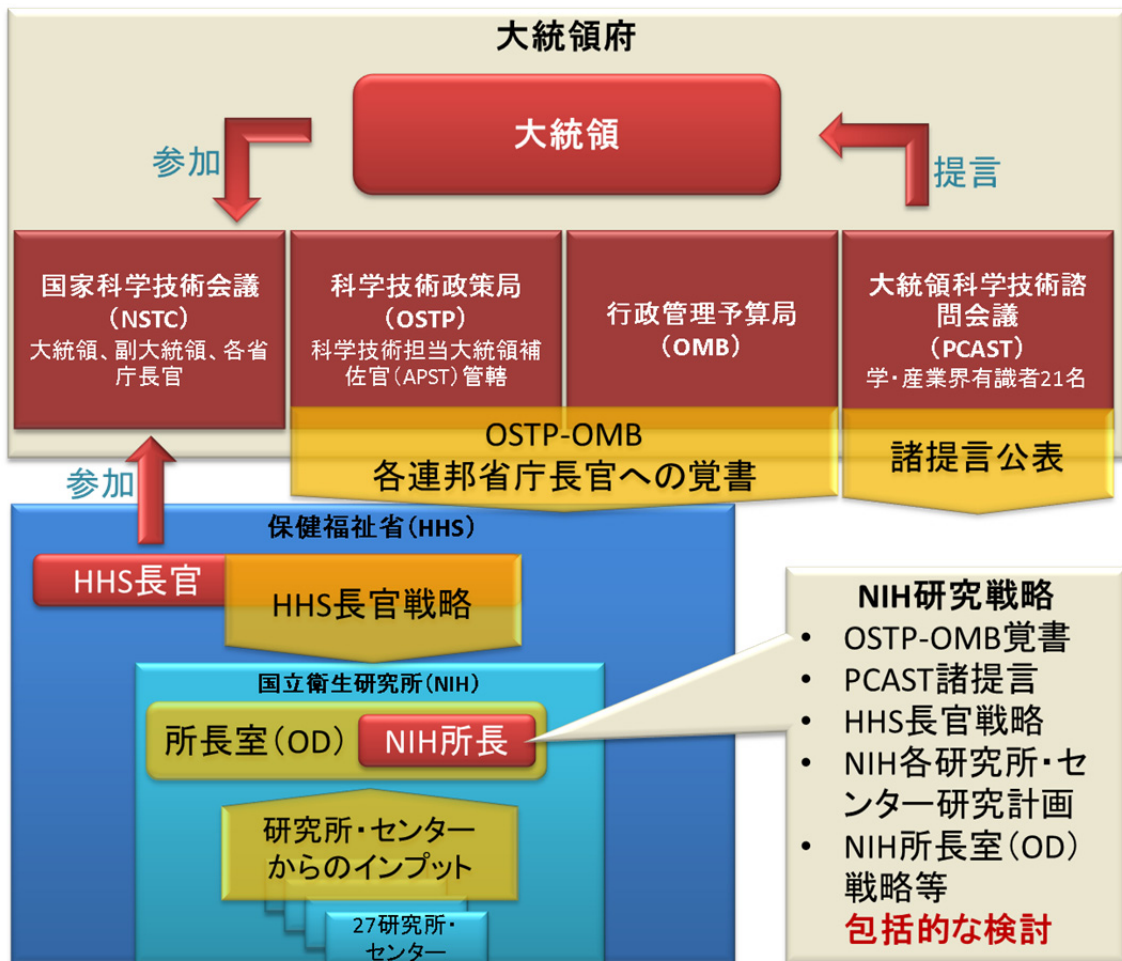
<sup>36</sup> CRDS 研究開発の俯瞰報告書：主要国の研究開発戦略（2013年）:

<http://www.jst.go.jp/crds/pdf/2012/FR/CRDS-FY2012-FR-08.pdf>

<sup>37</sup> PCAST Documents and Reports: <http://www.whitehouse.gov/administration/eop/ostp/pcast/docsreports>

<sup>38</sup> Secretary's Strategic Initiatives: [http://www.hhs.gov/strategic-plan/strat\\_initiatives.pdf](http://www.hhs.gov/strategic-plan/strat_initiatives.pdf)

【図表 15】 NIH による重点的投資分野検討のイメージ



資料：Memorandum for the Heads of Executive Departments and Agencies:

[http://www.whitehouse.gov/sites/default/files/microsites/ostp/fy\\_15\\_memo\\_m-13-16.pdf](http://www.whitehouse.gov/sites/default/files/microsites/ostp/fy_15_memo_m-13-16.pdf)

National Bioeconomy Blue Print:

[http://www.whitehouse.gov/sites/default/files/microsites/ostp/national\\_bioeconomy\\_blueprint\\_april\\_2012.pdf](http://www.whitehouse.gov/sites/default/files/microsites/ostp/national_bioeconomy_blueprint_april_2012.pdf)

PCAST Documents and Reports:

<http://www.whitehouse.gov/administration/eop/ostp/pcast/docsreports>

文部科学省 (2010) 第三期科学技術基本政策の主要政策に関する主要国の比較:

<http://www.nistep.go.jp/achiev/ftx/jpn/mat175j/pdf/mat175j01.pdf>

CRDS 研究開発の俯瞰報告書：主要国の研究開発戦略 (2013年):

<http://www.jst.go.jp/crds/pdf/2012/FR/CRDS-FY2012-FR-08.pdf>

などを参考に作成

## コラム 2 : オバマ政権による重点化政策の概要

コラム 2 においては、オバマ政権によるいくつかの重点的科学技术政策に関する概要を紹介する。最初の 2 項目 (ビッグデータと 2012 国家バイオエコノミー青写真) の概要は、遠藤悟「緊縮財政下における米国の科学技術政策: 2012 年 AAAS 科学技術政策年次フォーラム報告」『科学技術動向』2012 年 7・8 月号 31-43 項より引用<sup>39</sup>。

### ビッグデータ

『ビッグデータ研究開発イニシアチブ (Big Data Research and Development Initiative)』は、情報技術の発展により得られた能力を、科学的発見・環境および生命医学研究・教育・国家安全保障の向上に向けて変容させることを目的として、2012 年 3 月に創設された。1) 大量のデータを収集し、保存・管理・分析・共有するために必要な最先端の革新的技術を前進させる、2) それらの技術を科学工学における発見・国家安全保障の強化・教育と学習の変容 (transform) を加速化させるために利用する、3) ビッグデータ技術の開発と利用に必要な労働力を増強する、といった内容を目的としている。本イニシアチブは、大統領科学技術諮問委員会 (PCAST) の提言に基づき実施されるもので、大統領府にビッグデータ上級運営グループ (Senior Steering Group on Big Data) を設置し、政府全体の調整にあたらせ、NSF・NIH・国防省・エネルギー省・米国地質調査所の各機関で各プログラムを実施する。」

### 2012 国家バイオエコノミー青写真

「オバマ政権におけるイノベーションと経済成長の動因としての生命科学を強化するための一連の取り組みである。その内容は、2012 年 4 月に発表された「全米 (本 CRDS 報告書では「国家」と表記) バイオエコノミー青写真 (National Bioeconomy Blueprint)」に記載されているが、そこに示された 5 つの戦略目標は以下のとおりである。1. 未来の米国のバイオエコノミーに基盤を提供する研究開発投資を支援する。2. トランスレーショナル科学とレギュラトリーな科学に焦点を絞ることを含め、生物に関する発明における研究室から市場への移転を進める。3. 人の健康および環境の健全性を保護しつつ、障壁を低下させ、規制的手順の速度を速めるとともに予測可能性を高め、また、費用を低減させることを目的として、規制について開発・改善する。4. 全国的な労働力ニーズに対応する学生向けトレーニング・プログラムを最新の状態とし、大学のインセンティブに合わせる。5. 競争者が、成功と失敗を通して学ぶ資源、知識、専門性をプールすることのできる、公的部門と民間部門の間の連携および競争前段階の協力関係が発展する機会を明らかにし支援を行う。」

### 革新的神経科学技術の進歩による脳研究 (BRAIN) イニシアチブ

BRAIN イニシアチブでは、新技術の活用により、脳細胞と複雑な神経経路のマッピングを行い、脳機能と行動の理解が進められる。最終的にはアルツハイマーやパーキンソンを含む神経疾患に対する治療法の創出や、防衛分野では兵士のトラウマ治療への応用等が目的とされている。現在米国が重点投資を行っているゲノム研究やビッグデータの基盤技術を利用し、分野横断的アプローチにより進められる国家プロジェクトである。2014 年の開始予算は約 1 億ドルであり、NIH、国防高等研究計画局 (DARPA) 並びに全米科学財団 (NSF) より拠出される<sup>40</sup>。

<sup>39</sup> 緊縮財政下における米国の科学技術政策: 2012 年 AAAS 科学技術政策年次フォーラム報告: <http://www.nistep.go.jp/achiev/ftx/jpn/stfc/stt130j/report3.pdf>

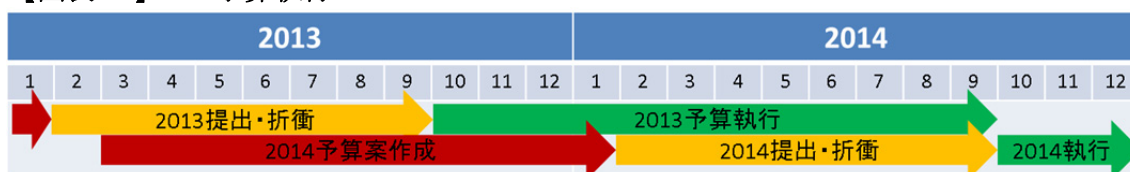
<sup>40</sup> Fact Sheet Brain Initiative: <http://www.whitehouse.gov/the-press-office/2013/04/02/fact-sheet-brain-initiative>



## 2.4 NIH 予算決定プロセス

米国議会には、House（下院）、Senate（上院）のそれぞれに、分野ごとの（農業、防衛、健康など）歳出小委員会が設置されている。NIH に関しては「労働、健康・福祉、教育、並びに関連機関」小委員会で審議が行なわれる。予算案作成にあたっては、NIH 予算オフィス（OB）が NIH 所長に助言を与え、予算政策の補佐を行なっている。具体的には、NIH 予算見積もりの作成、その後の保健福祉省（HHS）、行政管理予算局（OMB）そして議会とのコミュニケーションの確保、そして、27 の NIH 研究所・センターによる予算執行の監督と調整を実施する<sup>41</sup>。また、大統領府内の OSTP も OMB を通じて、予算に関する助言を行う。

【図表 16】 NIH 予算執行プロセス



資料：NIH Budget Process Chart：

[http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/FY14/Budget%20Process%20\(Timeline%20Chart\)-NEW1a.pdf](http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/FY14/Budget%20Process%20(Timeline%20Chart)-NEW1a.pdf)

より作成

### A. 予算案作成

1. 3月、NIH 所長が、各 NIH 研究所・センターから意見聴取を行ない、NIH 全体で重点化すべき研究分野を検討
2. 5月～7月、これらの重点課題を HHS の予算案原案に要求し、HHS 予算評価委員会において説明を実施
3. 8月～9月、NIH が政府の行政管理予算局（OMB）に必要文書を提出
4. 11月～12月、OMB からの差し戻し案に NIH 所長が対応し、1月からの議会証言を準備（この間 OSTP による OMB を通じた関与が行われる。）

### B. 予算案提出・折衝

1. 1月～2月、小委員会に対し所長室（OD）・各 NIH 研究所・センターの予算案（Congressional Justification: CJ）を提出<sup>42</sup>
  - 臨床センター（CC）に関しては予算方法が異なるため CJ の提出は行なわれない（CC の予算化については第7章にて詳しく後述する）。
  - CJ の主な構成は、予算の内訳、以前の予算案からの主な変化の報告、そして予算内訳の正当性の説明である。
2. 春、NIH 所長・その他の研究所所長が小委員会において大統領予算案に関する証言を実施
3. 夏、小委員会が提出された予算案を政府予算として作成
4. 8月～9月、上院・下院における政府予算案の精査を経て、その後 NIH に対して予算の執行が開始<sup>43</sup>

<sup>41</sup> NIH Office of Budget: <http://officeofbudget.od.nih.gov/br.html>

<sup>42</sup> Institute/Center Submissions: [http://officeofbudget.od.nih.gov/insti\\_center\\_subs.html](http://officeofbudget.od.nih.gov/insti_center_subs.html)

<sup>43</sup> NIH Budget Process Chart:

[http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/FY14/Budget%20Process%20\(Timeline%20Chart\)-NEW1a.pdf](http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/FY14/Budget%20Process%20(Timeline%20Chart)-NEW1a.pdf)

## 2.5 予算決定における議会の介入に関する議論

伝統的に、歳出委員会では、各 NIH 研究所・センターといった組織の予算レベルに対する評価は行なうものの、特定研究分野の予算案への介入は行なってこなかった。2010 年会予算委員会報告書によると、オバマ政府がピア・レビューによらず政治主導で個別の研究分野（がん研究、自閉症）に対する予算レベルを設定しようとした試みに、同歳出委員会が強い懸念を示した<sup>44</sup>。同委員会は政府が支援すべき最も有望な科学研究へのグラントは、科学的ピア・レビューに基づく形で実施される必要があると指摘し、がん研究と自閉症研究の重要性は認めつつも、オバマ政権によるそれぞれの分野に対する約 270 億円と約 19 億円の予算増加案を拒否した<sup>45</sup>。

同時に、既存のグラント・プロジェクトを議会の判断で停止しようという介入に関しても議論がある。多くの場合これらは行動科学に関する研究分野であり、精神疾患やヒトの性的傾向性に関する研究に関する内容である。議会は、行動科学分野において、必ずしも研究価値が明確でない研究に貴重な税金を投資すべきではないという見解を示す。しかし、一方で、研究者コミュニティや NIH の指導層は、そのような研究はその技術的な優位性や、研究課題の重要性が評価された結果、研究資金を助成されており、議会による研究停止の試みはピア・レビューの死を意味すると警告している<sup>46</sup>。

<sup>44</sup> Report of the committee on Appropriations together with Minority Views 111-220:  
<http://www.gpo.gov/idsys/pkg/CRPT-111hrpt220/html/CRPT-111hrpt220.htm>

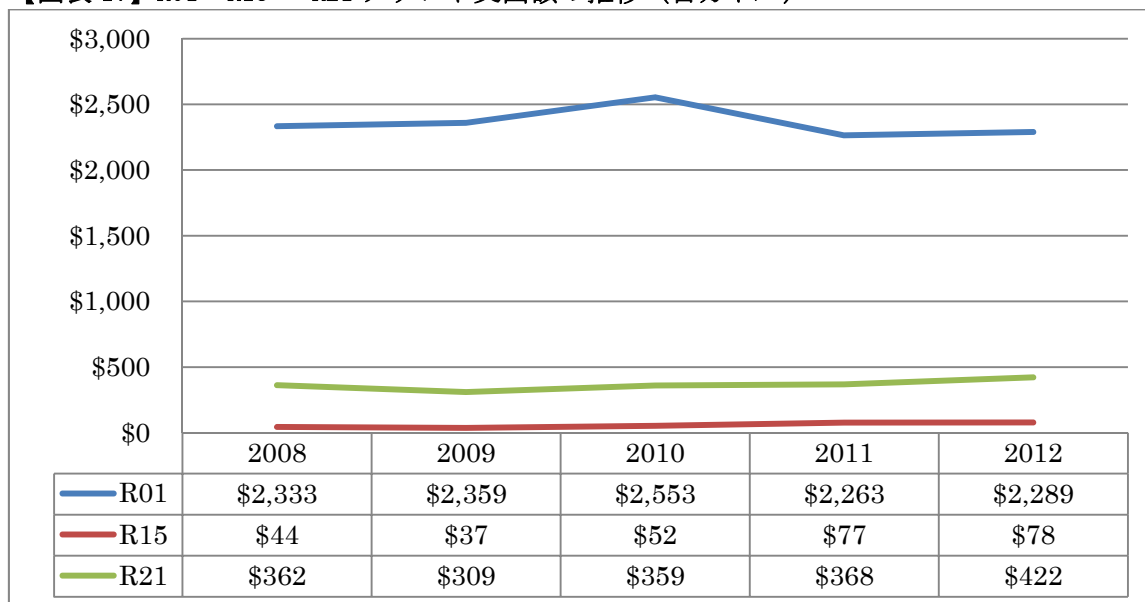
<sup>45</sup> The National Institutes of Health (NIH): Organization, Funding, and Congressional Issues Grant Funding:  
<http://www.aau.edu/WorkArea/DownloadAsset.aspx?id=11980>

<sup>46</sup> The National Institutes of Health (NIH): Organization, Funding, and Congressional Issues Grant Funding:  
<http://www.aau.edu/WorkArea/DownloadAsset.aspx?id=11980>

## 2.6 NIH の主なグラント

NIH の最も一般的なプログラム Research Project Grant Program (R01) は、年間平均 40 万ドル程度が 3～5 年の研究期間を目安に助成され、基礎研究と応用研究の区別はない。Academic Research Enhancement Award (AREA) (R15) は、年間 30 万ドル以下の学生参加型の小規模プロジェクトをサポートし、研究期間は最大 3 年間である。Exploratory Developmental Research Grant Award (R21) は、年間 27.5 万ドル以下の規模で、萌芽的研究をサポート、研究期間は最大 2 年間である。2008 年から 2012 年までのグラント支出に関しては、R01 グラントが約 23 億ドルから約 25 億ドル前後を推移しており、R15 及び R21 は相対的に件数が少ない (図表 17)。2012 年度の全 R 系グラント支出の総額が約 38 億ドルであった点からも、R01 グラントが NIH グラント・プログラムの中核的な存在であることが確認できる<sup>47</sup>。ちなみに、R に続く数字はコード番号であり、R01 から R15 までの全ての数字に関してグラントが存在するわけではない。

【図表 17】 R01・R15・R21 グラント支出額の推移 (百万ドル)



資料 : Funding for Competing Awards by Mechanism and Selected Activity Codes:

<http://report.nih.gov/NIHDataBook/Charts/Default.aspx?showm=Y&chartId=203&catId=2> より作成

研究者のキャリア支援を主な目的とした K (Career) アワードにも、K01、K02、K07、K08、K12、K22、K23、K24、K25、K99 等、異なる種類が存在している。次章 2.7 でも示すように、近年若手研究者のグラント採択率低下の課題もあるが、その課題解決に向けて、NIH においては若手の研究者のキャリア支援グラントの整備も積極的に進めている。2012 年度予算における K アワードの支出は、約 1.5 億ドルであった。K99/00 はポストドクから研究主催者 (PI) までのキャリアパスを支援、K08/K23 等は若手臨床研究者のキャリア支援、そして中堅研究者へのキャリア支援として K02 等が準備されている<sup>48</sup>。図表 18 は R01、R15、R21 以外のグラント・プログラムの目的と概要を紹介している。

<sup>47</sup> Funding for Competing Awards by Mechanism and Selected Activity Codes:

<http://report.nih.gov/NIHDataBook/Charts/Default.aspx?showm=Y&chartId=203&catId=2>

<sup>48</sup> NIH Career Development Programs (“K” Awards):

[https://www2.sph.unc.edu/images/stories/research\\_and\\_practice/research/documents/NIH/career\\_development\\_programs.pdf](https://www2.sph.unc.edu/images/stories/research_and_practice/research/documents/NIH/career_development_programs.pdf)

【図表 18】 NIH における R01・R15・R21 以外の主なグラント

コード	名称	目的	グラント概要
R03	Small Grant Program	プロジェクトの実行可能性の試験、1次データの収集、2次データの分析など	直接経費年間5万ドル、最大2年間
R13	Conferences and Scientific Meetings	NIH ミッションに関する科 学会議・会合開催を支援	費用上限はケース毎に異なり、各 NIH 研究所・センターが決定
R34	Clinical Trial Planning Grant	臨床試験提案段階での早期 審査と試験の準備を支援	最大3年間で10万ドルから上限45万ドルの直接経費
R41/R42	Small Business Technology Transfer (STTR)	詳細は本 CRDS 調査報告書第8章を参照	
R43/R44	Small Business Innovative Research (SBIR)	詳細は本 CRDS 調査報告書第8章を参照	
R56	High Priority, Short Term Project Award	NIH 研究グラント申請中の 現行プロジェクトの継続を 支援（申請が採択された場 合は終了）	提出された申請案件の中から、NIH が重要であると判断する案件を、支援対象として NIH が選択
U01	Research Project Cooperative Agreement	共同研究契約	異なる所内・所外研究所間での共同研究
K	Career Development Award	ポスドク研究者、若手教員 等のキャリア支援	本図表の注にもあるように多様なキャリア支援アワードがある。K アワードの2012年度総支出は約1.5億ドル

注：2012年度の、R03, R13, R34, R56 グラント予算の合計は約10億ドル

K グラントに関しては、現在次の内容がある（K01, K02, K07, K08, K12, K22, K23, K24, K25, K99, その他）

資料：Types of Grant Programs: [http://grants.nih.gov/grants/funding/funding\\_program.htm#u01](http://grants.nih.gov/grants/funding/funding_program.htm#u01) 及び  
Funding for Competing Awards by Mechanism and Selected Activity Codes:

<http://report.nih.gov/NIHDatabook/Charts/Default.aspx?showm=Y&chartId=203&catId=2> より作成

## 2.7 NIH グラント採択率の推移

図表 17 のように、近年のグラント支出額は全体として大きな変動はないが、グラント採択率（Success Rate）は、2000年以降急速に低下している。2007年度、一次申請に関しては、採択率が実に7.2%まで低下しており、第二次申請（一度採択を見送られたが、修正に関するコメント付きで再提出の機会を得た場合）に関しても25.2%と2000年度の半分以下の採択率となっている（図表 19）<sup>49</sup>。2007年当時の NIH 所長（Elias Zerhouni）によると、1998年度のRタイプ（R01以外も含む）グラントは、24,151件の申請があったが、2006年度は46,000件、2007年度は49,000件というように、急速な申請件数の拡大を示した<sup>50</sup>。これは、ライフサイエンス・臨床医学分野の成長に伴い、科学者の数自体が増えたことが大きな原因であり、これに加え、インフレによる物価・研究費の上昇なども影響し、科学者の増加に対してグラント予算の拡大が追い付いていない状況があった。そして、後の世界経済危機による緊縮財政が打撃を与えたことは想

<sup>49</sup> NIH in the Post-Doubling Era: Realities and Strategies: <http://www.sciencemag.org/content/314/5802/1088>

<sup>50</sup> NIH in the Post-Doubling Era: Realities and Strategies: <http://www.sciencemag.org/content/314/5802/1088>



像に難くない。

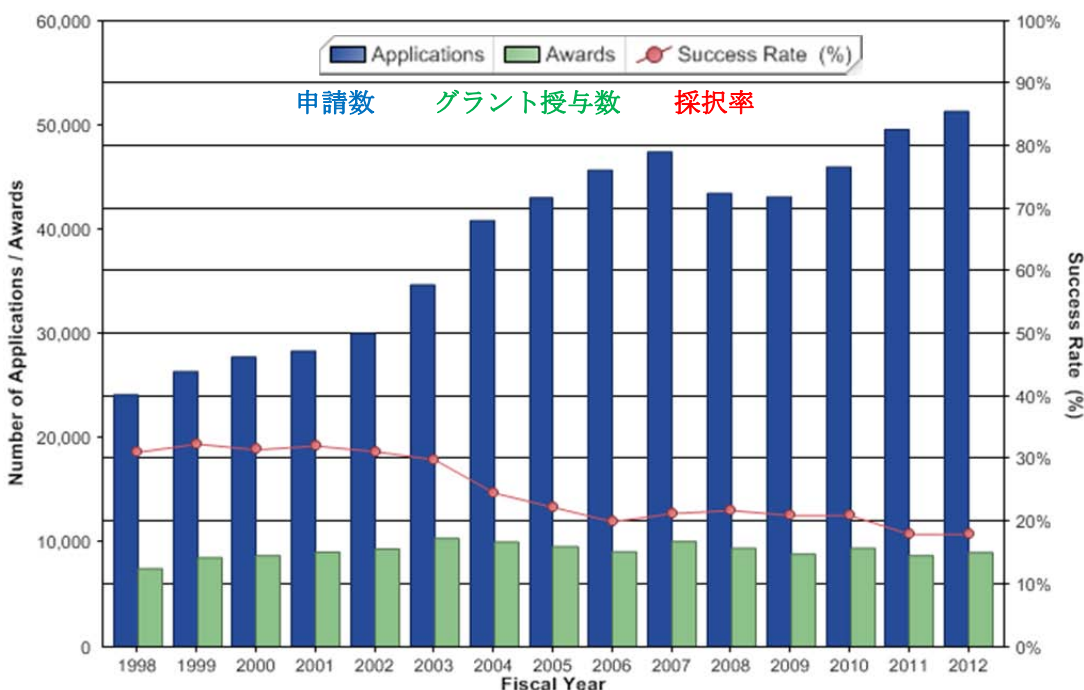
【図表 19】 2000 年から 2007 年までの R01 グラント採択率の低下

	第一次申請			第二次申請 (修正・再提出)		
	応募数	獲得数	採択率 (%)	応募数	獲得数	採択率 (%)
2000	10,284	2084	20.3	3374	1787	53.0
2001	9,851	1864	18.9	3218	1687	52.4
2002	10,083	1831	18.2	3270	1606	49.4
2003	11,511	1733	15.1	3922	1606	45.0
2004	13,370	1595	11.9	3955	1606	40.2
2005	13,578	1236	9.1	4128	1335	32.3
2006	13,659	941	6.9	3881	998	25.7
2007	12,021	864	7.2	3605	909	25.2

資料 : Declines in NIH R01 Research Grant Funding :

<http://www.sciencemag.org/content/322/5899/189.1.full?sid=c0d94884-4d38-4862-ad71-3d8aab840b79>

【図表 20】 NIH グラント採択率の推移



資料 : NIH IMPAC, Success Rate File:

<http://report.nih.gov/NIHDataBook/Charts/Default.aspx?show=Y&chartId=20&catId=2> より抜粋

さらにグラフ (図表 20) が示すように R タイプグラントのみならず、その他の種類のグラントを含めた NIH のグラント全体の採択率に関しても、同様の傾向 (申請者の増加と、グラント採択率の低下) が確認できる。2012 年は約 5 万件のグラント申請に対し、約 1 万件が採択され、採択率は 20%以下であった。

特に若手研究者によるグラント採択率の低さは懸念すべき状況である。1970 年においては、若手研究者が初のグラントを獲得する平均年齢は 34 歳であったが、2004 年には、42 歳となる。1960 年代では、グラント採択率が 40%から 60%であったが、2008

年には、23%と非常に低迷した<sup>51</sup>。このような環境において、特に医学分野の科学者は、基礎研究ではなく、臨床現場でキャリアを模索することも可能である。そのため、長きに渡りリスクの高い基礎研究を継続してキャリア設計を危うくするよりは、若手研究者が早期に研究から離れてしまう可能性を懸念する意見もある<sup>52</sup>。

## 2.8 NIHにおけるグラント審査プロセス

NIHによるグラント申請は、科学審査センター（CSR）に提出される<sup>53</sup>。2011年には、50,000件を超える申請が行われた。これを240名のCSR職員（常勤職員）である科学評価官（CSO）の補佐の下、16,000名の外部評価委員が、申請内容を科学的な重要性に基づいて評価する（ピア・レビュー）<sup>54</sup>。CSOは異なる分野の科学評価を行うため、CSR内の関連部局において外部評価委員の選定、そして評価グループを補佐する（図表21）。CSOの任期は4年間である。

CSRは日々変化する多様な医学研究分野に対応できる多くの外部評価委員を確保しなければならない。そのための取り組みとして、評価委員の公募や、早期キャリア審査プログラム（ECR）という枠組みを設けている。後者は、若手研究者（教員若しくはポスドク研究者）を評価プロセスに参加させ、経験を積んだ研究者・評価者との協業を通じて、評価の取り組みを学ばせるプログラムである<sup>55</sup>。

NIHのピア・レビュープロセスは2段階評価で行われる。第1段階がCSRによる審査であり、CSOの補佐のもと、申請案件ごとに約20名若しくはそれ以上の外部評価委員で構成される評価グループにより審査が実施される。通常審査は1日若しくは2日間で実施され、R01グラントタイプの場合、その結果は10日程度で申請者に対して通知される<sup>56</sup>。ここでの評価は次の項目を中心として申請案件がスコア化される。

- 科学研究としての重要性
- 研究者グループの構成・質
- 新規治療法、創薬、若しくは医療への貢献の潜在性
- 目的達成のために必要な方法論・研究戦略の準備
- 研究施設・環境の準備

また、追加的な評価事項として、被験者保護、脊椎動物の利用、バイオハザードに関する検討が行われるが、これら追加事項に関する評価はスコア化されない<sup>57</sup>。

第1次審査の評価結果のサマリー、評価スコア、第2次審査に向けた提案事項、並びにその他の手続的事項がCSRによって準備され、NIHのデータベースに保管される。1次審査を通過した申請案件に関しては、関係する研究分野のNIH研究所・センターにおいて、第2次審査が実施される。そこで第1次審査の評価に加え、それぞれの研究所・センターにおける研究開発の優先事項と照らし合わせて総合的な評価が実施される<sup>58</sup>。

<sup>51</sup> The National Institutes of Health (NIH): Organization, Funding, and Congressional Issues Grant Funding: <http://www.aau.edu/WorkArea/DownloadAsset.aspx?id=11980>

<sup>52</sup> The National Institutes of Health (NIH): Organization, Funding, and Congressional Issues Grant Funding: <http://www.aau.edu/WorkArea/DownloadAsset.aspx?id=11980>

<sup>53</sup> About CSR: <http://public.csr.nih.gov/aboutcsr/Pages/default.aspx>

<sup>54</sup> PCORI and Peer Review: <http://www.pcori.org/assets/PCORI-and-Peer-Review1.pdf>

<sup>55</sup> Early Career Development Program:

<http://public.csr.nih.gov/ReviewerResources/BecomeAReviewer/Pages/Overview-of-ECR-program.aspx>

<sup>56</sup> The Peer Review Process:

<http://public.csr.nih.gov/ApplicantResources/ReceiptReferral/Pages/The-Peer-Review-Process.aspx>

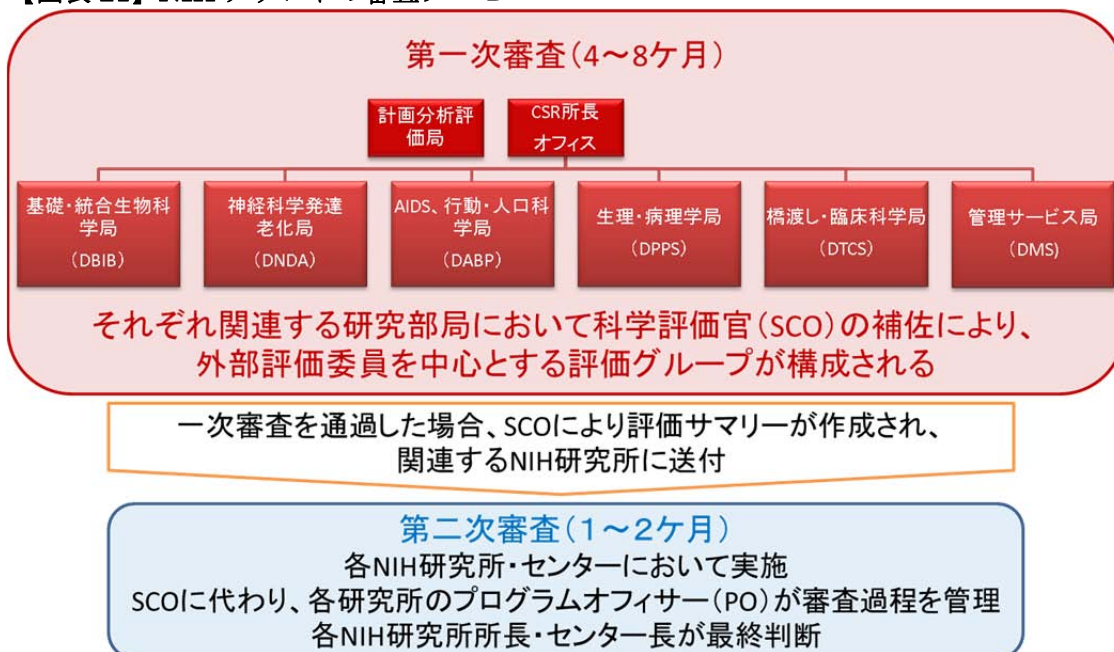
<sup>57</sup> Peer Review Process: [http://grants.nih.gov/grants/peer\\_review\\_process.htm#Second](http://grants.nih.gov/grants/peer_review_process.htm#Second)

<sup>58</sup> The Peer Review Process:

<http://public.csr.nih.gov/ApplicantResources/ReceiptReferral/Pages/The-Peer-Review-Process.aspx>

第2次審査からは、CSO に代わり、第2次審査を請け負う研究所・センターにおいてプログラム・オフィサー (PO) が研究者との連絡係となる。PO の役割は、申請の補佐、各研究所・センターにおける評価委員会の統括、グラント助成後のプロジェクトの進捗管理、そして国民に対するプロジェクトの説明を含む<sup>59</sup>。例えば、NIH 研究所・センター別予算で、第2位の予算を有する国立感染症・アレルギー研究所 (NIAID) では、300名を超える PO (NIH 職員) を抱えている<sup>60</sup>。

【図表 21】 NIH グラントの審査プロセス



注：第1次審査への提出から、2次審査終了まで、通常約10か月程度の時間を要する。

資料：The Peer Review Process:

<http://public.csr.nih.gov/ApplicantResources/ReceiptReferral/Pages/The-Peer-Review-Process.aspx> ; 及び [http://grants.nih.gov/grants/grants\\_process.htm](http://grants.nih.gov/grants/grants_process.htm) より作成

<sup>59</sup> The Role of the Program Officer at NIH: [http://www.jst.go.jp/po\\_seminar/h16semi/pdf/semi2/pre/no.10.pdf](http://www.jst.go.jp/po_seminar/h16semi/pdf/semi2/pre/no.10.pdf)

<sup>60</sup> Program Officers Listed by Project Calss Code:

<http://www.niaid.nih.gov/researchfunding/tool/documents/programofficerspcc.xls>

### 3 NIH の成果

#### 3.1 論文、特許件数、並びに経済的効果

ライフサイエンス・臨床医学分野において、NIH は世界で最も多くの成果（論文）を出している研究助成機関である。Web of Knowledge<sup>61</sup>で論文数を検索した結果（2013年11月18日17:28、トピック「biology」、「タイムスパン=全範囲」）、10,950件の論文が確認された。全体の約30%と28%の論文がNational Institutes of Health若しくは、NIHによる助成名義で公表されている。ライフサイエンス・臨床医学分野の他の多くのキーワードでもほぼ同様の結果が得られることから（検索結果は省略）、世界のライフサイエンス・臨床医学研究におけるNIHの論文数は突出していると言える。なお、論文内容の再現性の問題については、近年多くの議論がなされている（コラム2参照）。NIHはこれまでに研究費の助成を通じて、130以上のノーベル賞受賞者を輩出するなど、多くの画期的な成果を創出している<sup>62</sup>。

【図表 22】 Web of Knowledge（生物学分野：biology）における NIH 論文

フィールド: 助成金提供機関	レコード件数	% / 10950	棒グラフ
NIH	3333	30.438 %	
NATIONAL INSTITUTES OF HEALTH	3063	27.973 %	
NATIONAL SCIENCE FOUNDATION	1927	17.598 %	
NATIONAL NATURAL SCIENCE FOUNDATION OF CHINA	1636	14.941 %	
NSF	1210	11.050 %	
WELLCOME TRUST	719	6.566 %	
AMERICAN HEART ASSOCIATION	215	1.963 %	
NATIONAL BASIC RESEARCH PROGRAM OF CHINA	190	1.735 %	
HOWARD HUGHES MEDICAL INSTITUTE	128	1.169 %	
NATIONAL CANCER INSTITUTE	117	1.068 %	

資料：Web of Knowledge-Web of Science:

[http://apps.webofknowledge.com/WOS\\_GeneralSearch\\_input.do?product=WOS&search\\_mode=GeneralSearch&SID=X1EZdDVqr9ciMwXnwao&preferencesSaved=&highlighted\\_tab=WOS](http://apps.webofknowledge.com/WOS_GeneralSearch_input.do?product=WOS&search_mode=GeneralSearch&SID=X1EZdDVqr9ciMwXnwao&preferencesSaved=&highlighted_tab=WOS) ウェブサイトより抜粋

<sup>61</sup> Web of Knowledge-Web of Science:

[http://apps.webofknowledge.com/WOS\\_GeneralSearch\\_input.do?product=WOS&search\\_mode=GeneralSearch&SID=P2cxmzxMjsfoqnJZcU6&preferencesSaved=&highlighted\\_tab=WOS](http://apps.webofknowledge.com/WOS_GeneralSearch_input.do?product=WOS&search_mode=GeneralSearch&SID=P2cxmzxMjsfoqnJZcU6&preferencesSaved=&highlighted_tab=WOS)

<sup>62</sup> About NIH: <http://www.nih.gov/about/>

特許に関しては、WIPO Patentscope を用い<sup>63</sup>、検索式を、「キーワード=National Institutes of Health」と設定した。ここでは、出願人を「NIH」とした場合を「所内研究」と仮定して検索すると、313 件の特許件数が確認された。そして次に、出願人を「大学」と定めた場合を「所外研究」として検索した結果 2,392 件が確認された。

【図表 23】 所内・所外研究別特許件数

検索式	キーワード	出願人	合計
所内研究	National Institutes of Health	National Institutes of Health	313 件
所外研究	National Institutes of Health	University	2,392 件

CRDS 調べ 2013 年

### コラム 3：論文の再現性

現在 NIH において論文の再現性に関する議論が進んでいる。その背景として次の報告例がある。

- 2011 年 9 月、ドイツの製薬会社 Bayer HealthCare が、67 プロジェクトのうち 3 分の 2 の割合で、社内データと論文データとの間に相違があることを確認
- 2012 年 3 月、米カリフォルニアの製薬企業 Amgen が、同社の研究者によって公表されたがん分野における画期的な 53 論文のうち 89% が再現に失敗したと報告
- 2013 年 5 月、米テキサス州立大学、MD Anderson Cancer Center のサーベイによると、回答者の半数以上の研究者が論文データの再現に失敗したと報告

このような中、NIH は再現性問題を検討するワークショップを 2 度開き、NIH 副所長、国立がん研究所所長、並びに、国立神経疾患・脳卒中研究所所長らとともに、27 研究所・センター所長から意見収集を行っており、これを NIH 所長に報告する準備を行なっている<sup>64</sup>。2013 年時点では、NIH グラントの査読段階において、臨床試験に進む可能性の高い研究申請に関しては、より厳密な審査の導入が議論されている。

一部の科学誌においては、再現性に関する審査を論文査読時に第三者に依頼するといった試みも確認されている。同時にそれに懐疑的な見解としては、現在の生命科学研究は非常に複雑化（膨大なデータ利用、遺伝子改変動物、とくに複雑なヒト細胞培養モデル）しており、研究当事者であっても研究結果の再現には長い時間と技術が必要となる<sup>65</sup>。そのため、第三者にそれを任せるとなれば、研究当事者と相当密な情報交換が必要となる。そして「再現性の審査員の審査は誰が行なうのか？」といった問いも自然と発生する<sup>66</sup>。患者の健康に大きな影響を与えるライフサイエンス・臨床医学研究にとって、本議論に関する重要性は今後高まるかもしれない。

<sup>63</sup> WIPO PatentScope: <http://patentscope.wipo.int/search/en/search.jsf>

<sup>64</sup> NIH Mulls Rules for Validating Key Results: <http://www.nature.com/news/nih-mulls-rules-for-validating-key-results-1.13469>

<sup>65</sup> Reproducibility: The Risks of the Replication Drive: <http://www.nature.com/news/reproducibility-the-risks-of-the-replication-drive-1.14184>

<sup>66</sup> Reproducibility: The Risks of the Replication Drive: <http://www.nature.com/news/reproducibility-the-risks-of-the-replication-drive-1.14184>



### 3.2 NIH の助成研究により生まれた医薬品

2011 年、New England Journal of Medicine 誌における報告によると、米国において、公的機関からの助成研究の結果上市された医薬品は過去 40 年間で 153 件に上る。低分子医薬品 93 品、生物製剤 36 品、ワクチン 15 品、*In Vivo* 診断材料 8 品、そして、市販医薬品 1 品<sup>67</sup>。この内、NIH の成果から生まれた薬やワクチン（NIH に特許が帰属するもの）は過去 40 年間で 22 件である。ここでの成果とは、NIH の所内研究所が単独で、または、NIH から研究費の助成をうけた大学等と共同で応用研究を実施し、新薬の発見につながる特許の取得若しくは特許申請を達成した場合を指す。

【図表 24】 NIH の成果から生まれた薬など

分類	一般名	商品名	製薬企業
低分子	bortezomib	Velcade	Takeda
	darunavir ethalonat	Prezista	J&J
	didanosine	Videx	Bristol-Myers
	fludarabine phosphate, 2-F-araA	Fludara	Bayer Healthcare
	itraconazole	Sporanox	J&J
	paclitaxel	Taxol	Bristol-Myers
	palifermin	Kepivance	BioVitrium
	phosphorothioate oligonucleotide/fomivirsen sodium	Vitravene	Novartis
	thyrotropin alfa	Thyrogen	Genzyme
	trimetrexate glucuronate	NeuTrexin	AstraZeneca
バイオ医薬品	zalcitabin	Hivid	Roche
	daclizumab	Zenapax	Roche
	ibritumomab (Intravenous route)	Zevalin	BiogenIdec
ワクチン	palivisumab	Synagis	AstraZeneca
	diphtheria, tetanus, and pertussis (DTaP) vaccines	Certiva	Baxter Healthcare
	hepatitis A adult vaccine	Havrix	GlaxoSmithKline
	hepatitis A inactivated/hepatitis B (recombinant) vaccine	Twinrix	GlaxoSmithKline
	human papillomavirus (HPV) vaccine, quadrivalent	Gardasil	Merck
診断	OspA lipoprotein	LYMERix	GlaxoSmithKline
	rotavirus vaccine, live (oral)	RotaShield	Wyeth
	technetium Tc 99m depreotide injection	NeoTect	Bayer Healthcare
	technetium TC-99M apcitude	AcuTect	Bayer Healthcare

資料 : The Role of Public-Sector Research in the Discovery of Drugs and Vaccines:

<http://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMsa1008268> より作成

<sup>67</sup> The Role of Public-Sector Research in the Discovery of Drugs and Vaccines:

<http://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMsa1008268>

## 4 NIH 改革-2006 年 NIH 改革法を中心に

本章では、近年の NIH 組織改革の背景、政策実施、そしてその影響について紹介する。NIH 予算がこの 20 年間でほぼ 3 倍に拡大したことは先述の通りであるが（図表 10）、それに伴い NIH の研究所・センターの数も増加してきた。その結果、肥大化した組織全体の効率的なマネージメントが課題となっている。また、近年の先端医学研究の特徴として、異なる分野の科学者・技術者の参加を必要とするような横断型研究の重要性が指摘されており、細分化された NIH の独立分散型組織が、そのような研究トレンドへの対応が可能かどうか懸念する意見もある<sup>68</sup>。このような中、NIH の組織・体制が 21 世紀型の医学研究に対応できるかを評価するため、2001 年、議会は米国科学アカデミー（NAS）に対し、調査を実施し提言を行なうよう指示した<sup>69</sup>。

その検討の結果、NAS は 2003 年調査報告書『NIH の成長力の強化～新たな課題に対応するための組織改革』において、NIH の組織を効率的に運営するためには、既存のリソースの再配置と、分野横断型研究を実施するための新戦略の実施が必要であると結論づけた。ここでは、NIH の組織が幾つの研究所・センターに組織化されると最適であるのか、具体的な数字は示されなかったが、現在の分散型の NIH 組織においては、各研究所がハイリスクな研究を実施しにくい環境にあると指摘した。そして、ハイリスクな分野横断型研究に関しては、所長室（OD）の直轄予算項目としてプログラムを計画・実施すべきであるとした。NAS 報告書は次の内容を含む、いくつかの提言を行なった<sup>70</sup>。

- 所長室による NIH マネジメント機能の強化
- 臨床研究の強化
- NIH 横断型研究の戦略立案
- 新たな所長室直轄の研究部門・研究プログラムの創設
- ハイリスク型研究の実施

その後 2006 年に成立した NIH 改革法に提言のいくつかが反映された。次にその内容を紹介する。

### 4.1 2006 年 NIH 改革法

NIH 改革法案は 2006 年 9 月より議会により審議され、1944 年公衆衛生法（42 U. S. C. 281）第 401 項の修正により、2007 年 1 月 15 日に法律（P. L. 109-482）として成立した（以下、NIH 改革法と記載する）<sup>71</sup>。NIH 改革法における主な決定事項は次の内容を含む。

- A) NIH 所長のマネジメント強化
  - B) プログラム調整・計画・戦略イニシアチブ局（DPCPSI）の設置
  - C) 共通基金・コモンファンド（CF）の設立
  - D) 科学的管理評価委員会（SMRB）の設立
  - E) NIH 所長による議会への隔年報告の義務化
- これより、各項目について紹介する。

<sup>68</sup> Scientific Management Review Board Report on Deliberating Organizational Change and Effectiveness: [http://smrb.od.nih.gov/documents/announcements/DOCE\\_112010.pdf](http://smrb.od.nih.gov/documents/announcements/DOCE_112010.pdf)

<sup>69</sup> Enhancing the Vitality of the National Institutes of Health: Organizational Change to Meet New Challenges: [http://www.nap.edu/catalog.php?record\\_id=10779](http://www.nap.edu/catalog.php?record_id=10779)

<sup>70</sup> Enhancing the Vitality of the National Institutes of Health: Organizational Change to Meet New Challenges: [http://www.nap.edu/catalog.php?record\\_id=10779](http://www.nap.edu/catalog.php?record_id=10779)

<sup>71</sup> Public Law 109-482 109th Congress: <http://www.gpo.gov/fdsys/pkg/PLAW-109publ482/pdf/PLAW-109publ482.pdf>

#### A) NIH 所長のマネジメント強化

NIH 改革法は、NIH 所長のマネジメント権限を強化し、NIH 所長が個別の研究所・センターのプログラムにおける戦略的な優先事業化の計画・調整の責任を負うことを決定した。これにより、プログラム間の重複を避け、可能な場合は分野横断的な協力を実現し、バランスのとれた NIH 研究体制を目指す。

#### B) プログラム調整・計画・戦略イニシアチブ局 (DPCPSI) の設置

NIH 所長のマネジメント強化の具体策として、所長室 (OD) 直轄のプログラム調整・計画・戦略イニシアチブ局 (DPCPSI) が設置された。DPCPSI は今後新たに発生する医療問題と、それに伴い必要となる科学研究の機会を探索する。特に、複数の NIH 研究所・センターの横断的な協力が必要な研究内容を検討し、所長に助言を行なう。これにより、個別の研究所・センターからの目標設定だけでは拾いきれない俯瞰的な戦略決定を実施する。

#### C) 共通基金・コモンファンド (CF) の設立

DPCPSI の下で、分野横断的な科学研究助成 (所外及び所内研究) を実施するため、共通基金 (CF) が設立された。その名前が示す通り、NIH 研究所・センターが共通の目的をもって実施すべき横断型研究テーマを取り扱う。CF 予算は OD の予算項目の一部として計上され、それぞれの会計年度において、前年よりも多くの予算を配分することが決定された。CF の初年度 (2006 年度) 予算は約 3 億ドルであったが、2014 年度予算案は 5.5 億ドルと急速な拡大を見せている。CF プログラムの詳細は後述する。そのような分野横断型の研究計画に効果的な助言を与えるために、27 名の委員で構成される新たな評議委員会 (Council of Councils) を設置した。本委員会は、NIH 研究所・センターのアドバイザー委員、OD 任命委員、並びに外部有識者から構成される。

#### D) 科学的管理評価委員会 (SMRB) の設立

科学的管理評価委員会 (SMRB) は、NIH 全体の組織改革の助言を目的に組織されている。その目的は、少なくとも 7 年毎、もしくは 7 年以内に NIH の運営管理が効率的に資源を利用しているかを精査し、報告書を作成し、NIH 所長に助言を行なう。もし、組織改革が必要であると SMRB が結論した場合、提案された政策は報告書作成時から 100 日以内に開始され、また、全ての実施項目が 3 年以内に完了しなければならない。ただ、これらの要求の一部、または全てに対して、NIH 所長が 90 日以内に公式に意義を申し立て、説明が行なわれた場合はその限りではない。

#### E) NIH 所長による議会への隔年報告の義務化

NIH 所長には、議会に対する隔年報告書の提出が義務付けられた。報告内容は、医学研究の現状に関する一般的概要とその評価、NIH 所内・所外研究の構造、種類、並びに推進政策、そして、NIH 全体及び個別の NIH 研究所・センターの戦略的目標設定などを含む。また、がん、神経科学、加齢、ヒト進化、リハビリ、自己免疫疾患、ゲノム科学、分子生物学と基礎科学、技術開発、痛みと緩和ケアを含む慢性疾患、感染症と生物テロ、マイノリティの健康と医療格差、並びに NIH 所長が適切であると判断するその他の分野に関しては、NIH 全体としての報告が求められている。現在まで、2006 年・2007 年度版、2008 年・2009 年度版、そして 2010 年・2011 年度版の 3 報告書が公表されている<sup>72</sup>。

上記項目の中で、特に項目 3 の共通基金 (CF) は今後の NIH の分野横断型の戦略的研究課題の動向把握において重要である。また、項目 4 の SMRB は、2010 年以降、橋渡し

<sup>72</sup> Biennial Report of the Director National Institutes of Health, Fiscal Years 2010 & 2011:

<http://report.nih.gov/biennialreport/>



医療・治療法（TMAT）に関する作業部会、及び NIH 所内研究プログラム（IRP）に関する作業部会を設置し、それぞれの作業部会が報告書を公表しており、そこでの検討を経て、2012 年の国立先進トランスレーショナル・センター（NCATS）の設立、また、臨床センター（CC）の所内・所外共同研究の推進など、近年の NIH 組織変革において注目に値する施策を実現している<sup>73</sup>。次章より、CF、NCATS、CC を順に紹介する。

<sup>73</sup> Report on the NIH Clinical Center: [http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/CC\\_122010.pdf](http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/CC_122010.pdf) 及び Report on Translational Medicine and Therapeutics: [http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/TMAT\\_122010.pdf](http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/TMAT_122010.pdf)

## 5 共通基金(CF)

共通基金(CF)は所長室(OD)直轄のプログラム調整・計画・戦略イニシアチブ局(DPCPSI)に設立され、今後5年から10年のスパンで変革的な影響をもたらす科学研究への戦略投資を目的としている。それぞれ個別のNIH研究所・センターが単独で実施するには複雑で広すぎるが、同時に多くのNIH研究所・センターにとって必要な、分野横断的研究モデル、基盤技術、データベース、並びに研究資源の開発と支援を目的としている。ゆえに、共通基金は、特定の患者集団や疾患分野に対する投資を最優先としていない<sup>74</sup>。

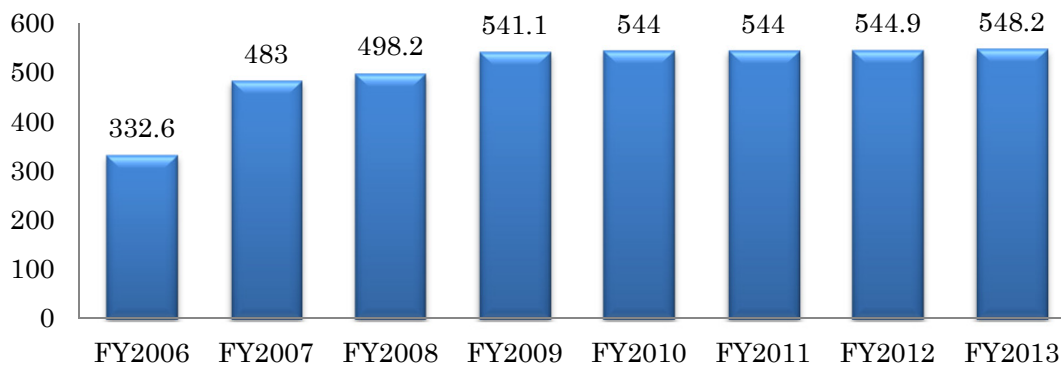
NIH改革法以前は個別のNIH研究所・センターのロードマップ・プログラムとして分野横断型研究の予算が組まれていたが、2006年NIH改革法成立により、2007年からは、その予算が、所長室(OD)予算として一元化された(図表25)<sup>75</sup>。また、その際2007年度予算は前年比で1.5億ドル増加の4.83億ドルを計上し、その後、2009年においては前年比で5,000万ドル増加し、5.41億ドルに達し、その後も微増を続けている(図表26)。

【図表 25】 2006年改革法に伴う共通基金予算配分の変化(百万ドル)

	FY2006	FY2007	FY2008	FY2009
研究所・センター(IC) ロードマップ・プログラム	274.3	0.0	0.0	0.0
所長室(OD)共通基金(CF)	85.3	483.0	498.2	541.1
合計	332.6	483.0	498.2	541.1

資料: Common Fund Strategic Planning Report 2009: <https://commonfund.nih.gov/about-cfspr2009.aspx> より作成

【図表 26】 共通基金予算の変遷(百万ドル)



資料: Common Fund Strategic Report 2013: <http://commonfund.nih.gov/about-cfspr2009.aspx> 及び、Common Fund FY 2013 Congressional Justification: [http://commonfund.nih.gov/sites/default/files/Vol\\_1\\_tab4\\_Common%20Fund.pdf](http://commonfund.nih.gov/sites/default/files/Vol_1_tab4_Common%20Fund.pdf) より作成

<sup>74</sup> Common Fund Strategic Report 2013: [https://www.commonfund.nih.gov/pdf/Rnd2a\\_2013\\_Strategic\\_Planning\\_Rept\\_NIH.pdf](https://www.commonfund.nih.gov/pdf/Rnd2a_2013_Strategic_Planning_Rept_NIH.pdf)

<sup>75</sup> Common Fund Strategic Report 2013: <https://commonfund.nih.gov/about-cfspr2009.aspx>

## 5.1 戦略的投資分野決定プロセス

共通基金における戦略投資分野の計画に際して、各 NIH 研究所・センターは、共通基金で重点投資されるべき研究内容を 2 つまで提案することができる。研究所・センターによる研究提案を効果的に評価するために、次のような検討基準が採用されている<sup>76</sup>。

- 共通基金が取り組むべき主な研究課題・機会とは何か？
- 研究プログラムが達成すべき目的は何か？
- その目的達成になぜ NIH 組織横断型の研究戦略が必要なのか？
- NIH 全体及び各研究所・センターへどのような貢献が可能か？
- プログラム実施にどのような取り組みが必要か？
- そのプログラムが共通基金を通じて実施された場合のインパクトは何か？

【図表 27】 共通基金 (CF) 計画・実施フェーズ



資料: Common Fund Strategic Report 2013: <https://commonfund.nih.gov/about-cfspr2009.aspx> より作成

共通基金の実施サイクルは大きく 4 つのフェーズに分けられる (図表 27)。第 1 フェーズにおいては NIH 所長、各研究所・センター長と、プログラム調整・計画・戦略イニシアチブ局 (DPCPSI) が申請計画の NIH 内での一次評価を実施する。また、外部有識者から構成される評議委員会により、プロジェクト案の第 3 者評価が実施される。その後、第 2 フェーズにおいては、提言内容のポートフォリオ分析、そして、ワークショップを開催し、所内・所外関係者が共同して議論・評価を行なう。

ポートフォリオ分析においては、申請計画と同分野の既存の NIH プロジェクトに加えて、同分野の国際研究開発動向を比較検討し、共通基金で分野横断的に重点化すべきかどうかを評価する。ワークショップに関しては、投資分野の探索・ブレインストームに特化した会合や<sup>77</sup>、具体的戦略計画の作成を目的としたワークショップなど<sup>78</sup>、異なる目的で取り組みが行なわれる。それらを踏まえ、最終的に提言の詳細化がなされた後、NIH 所長の判断で事業化の決定がなされる。事業計画の詳細を決定した後、第 3 フェーズにおいて、プログラムを 5 年から 10 年のスパンで実施する。その結果を踏まえ、第 4 フェーズにおいて、研究結果の社会実装若しくは次期研究プログラムへの移行を決定する<sup>79</sup>。

<sup>76</sup> Common Fund Strategic Report 2013: <https://commonfund.nih.gov/about-cfspr2009.aspx>

<sup>77</sup> Innovation Brain Storm: Transforming Discovery into Impact: <http://conferences.thehillgroup.com/DPCPSI/InnovationBrainstorm/index.html>

<sup>78</sup> Forward Focus Workshop: Strategic Planning for the NIH Common Fund: <http://commonfund.nih.gov/meetings/chicago/about.aspx>

<sup>79</sup> Common Fund Strategic Report 2013: [https://www.commonfund.nih.gov/pdf/Rnd2a\\_2013\\_Strategic\\_Planning\\_Rept\\_NIH.pdf](https://www.commonfund.nih.gov/pdf/Rnd2a_2013_Strategic_Planning_Rept_NIH.pdf)

## 5.2 共通基金における重点的研究分野

共通基金による具体的な研究プロジェクトでは、科学研究の基盤技術やデータシステム開発など、橋渡し研究を可能にする研究分野への重点化がなされている(図表 28)。つまり、特定の疾患に注目する研究プログラムというよりは、多くの医学研究分野で横断的に利用可能な研究開発テーマが共通基金において推進される。その成果を各 NIH 研究所・センターにおける個別疾患の治療法開発へ応用することも重要な目的である。

2014 年度予算においては、約 5.5 億ドルのうち、約 2.1 億ドルがハイリスク研究 (NIH 所長パイオニア・アワード、NIH 所長イノベータ・アワード、革新的 TR01 アワード、そして早期独立支援アワード) に配分されている。ここでの「ハイリスク」とは、特に若手の研究者による、医学研究にパラダイムシフトをもたらす潜在性があるような研究計画に、通常の R01 グラント等よりも簡易な申請手続きでグラント支援が行われる特徴がある。ハイリスク型研究プログラムにおいては脳科学分野の研究が顕著である。具体的な内容に関しては、図表 29 を参照。

【図表28】 共通基金による投資プログラムの分野、特徴、並びに2014年度予算案

プログラム名 (予算額：千ドル)	技術・データ	基礎科学	橋渡し科学	イノベーション
知識へのビッグデータ (BD2K) (40, 891)	○			○
生物情報学と計算生物学 (0)	○	○	○	○
橋渡しギャップの是正 (BrIDGs) (終了)	○		○	○
生物学的経路とネットワーク (0)	○	○		○
エピゲノミクス (10, 500)	○	○		○
細胞外RNAコミュニケーション (24, 149)	○	○	○	○
遺伝子型組織発現 (GTEx) (35, 614)	○	○	○	○
グローバルヘルス (10, 652)	○	○	○	○
湾岸石油流出研究 (2, 500)			○	○
HCS研究協力 (不明)	○		○	○
医療経済学 (10, 919)	○		○	○
ハイリスク研究 (パイオニア、イノベータ、変革的研究、並びに早期独立支援アワード) (210, 187)	○	○	○	○
ヒトマイクロバイオームプロジェクト (5, 000)	○	○		○

NIH助成人材の多様化促進 (32, 300)				○
ノックアウトマウス表現形プログラム (13, 700)	○	○		○
統合ネットワーク型細胞シグネチャーライブラリ (LINCS) (0)	○	○	○	○
メタボロミクス (22, 381)	○	○		○
分子ライブラリと可視化技術 (0)	○	○	○	○
ナノ医療 (16, 000)	○	○	○	○
NIH 再生医療センター (NIH CRM) (10, 000)	○		○	○
NIH医学研究奨学制度 (1, 100)			○	○
患者報告アウトカム情報システム (0)	○		○	○
タンパク質捕獲用分子 (試薬) (11, 000)	○			○
レギュレトリサイエンス (0)	○		○	○
行動変化の科学 (3, 674)	○		○	○
一細胞分析 (19, 560)	○	○	○	○
医学研究人材の育成 (32, 300)				○
構造生物学 (0)	○	○		○
診断未確定疾患 (17, 650)	○		○	○

凡例：図表中の（○）は、それぞれの該当項目に資する研究分野を意味する。

資料：Common Fund Strategic Report 2013:

[https://www.commonfund.nih.gov/pdf/Rnd2a\\_2013\\_Strategic\\_Planning\\_Rept\\_NIH.pdf](https://www.commonfund.nih.gov/pdf/Rnd2a_2013_Strategic_Planning_Rept_NIH.pdf) より作成

【図表 29】 共通基金 (CF) ハイリスク研究アワードの概要

種類	概要	個別研究予算	期間
NIH 所長新パイオニア・アワード	分野横断的な医学研究に高いインパクトをもたらす研究の支援	年間最大 50 万ドル	5 年間
NIH 所長新イノベータ・アワード	潜在的に高いインパクトを有する研究であり、研究開始 10 年未満の若手研究者で、データの準備が整っていないプロジェクトを支援	年間最大 30 万ドル	5 年間
変革的 TR01	医学研究の根本的なパラダイムシフトをもたらすような研究の支援	上限無し、及び、年間 50 万ドル助成に対する事前承認の必要なし	規定なし
早期独立アワード	ポテンシャルの高い若手研究者に対し、従来のポストドク訓練プロセスをスキップして大学などでのポジション (助教レベル) を準備	年間最大 25 万ドル	5 年間

資料：Comparison of NIH High-Risk High-Reward Programs;

<http://commonfund.nih.gov/highrisk/table.aspx> より作成

CF ハイリスク研究プログラムによる研究例は次の内容を含む。これらは、異なるハイリスクプログラム研究者間の共同研究も含む。

#### NIH 所長新パイオニア・アワード

- 細胞意思決定に関する微生物研究：ゲーム理論と協調に関する進化上の起源
- 脳科学におけるオプトジェネティクスの研究（記憶の形成、呼吸といった原理的機能から、より複雑な依存症、精神疾患、並びにアルツハイマーなどのより複雑な疾患への応用）
- マウス間のブレインマシーンインターフェース（マウス間の脳信号の共有）
- 異なる種類の疾患に関係するたんぱく質を血液から同定する新たなスクリーニング法の開発

#### NIH 所長イノベータ・アワード

- 脳機能修復の新技術開発、
- ドラッグデリバリー、医療移植片に利用できる新素材の開発
- 脳幹細胞環境のマッピング

#### 革新的 TR01

- ヒト胚性幹細胞の前駆細胞への変換により、多くの異なる脳細胞を大量生産
- 化学工学、計算工学、並びに分子遺伝学の利用により、全く損傷のないマウスの脳を、構造と分子要素を破壊せずに完全にゲル化した脳に変化させる新技術の開発

#### 早期独立アワード

- 神経イメージング、薬理学、並びに計算モデルの利用により、統合失調症などを含む神経精神病学の症状の認識・応答メカニズムの理解



## 6 NIH の橋渡し研究

2010年5月、NIH 所長は、所長室 (OD) 内に設置された科学的管理評価委員会 (SMRB) に対して、既存の NIH プログラム、ネットワークそして研究所・センターの活用によって治療法開発に効果的な研究分野を検討し戦略提言するよう命じた。これを受けて SMRB は、橋渡し医療・治療法 (TMAT) 作業部会を設置した。調査の結果、2010年12月 SMRB は報告書『橋渡し医療と治療法』において、橋渡し研究推進にむけた新たな NIH 研究センターの設立を提言した<sup>80</sup>。新センターにおいては、研究リソース、専門知識、情報、並びに研究技術の提供を実施し、多くのステークホルダーにとって前競争的 (pre-competitive) な研究が可能なスペースを提供し、橋渡し研究者の育成も行う重要性が提言された<sup>81</sup>。

NIH 所長がこのような調査を指示した背景には理由がある。既存の創薬開発経路においては、95%の医薬品シーズが有効性を示せていない現状を受け、治療や健康維持に資する発見を加速する必要性が指摘されていた。研究資金が限られている中、食品・医薬品局 (FDA) などが安全性を認める化合物の中から、有望な創薬シーズをより効率的に抽出することが橋渡し研究の大きな課題となっていた。そのためには、官、学、産、特にベンチャー企業などの多様なステークホルダー (利益当事者) の協力を深め、研究開発経路をより統合的なものにしていくことが不可欠となる。

そこで、NIH の役割は重要となる。NIH には、新規治療モデルの創出を支援する研究リソースがある。例えば、Molecular Libraries Program (MLP) を推進する化学ゲノムセンターは、ハイスループットスクリーニング系、35,000 以上の化合物ライブラリを有する。これらは、ドラッグ・リポジショニング (既に安全性などが確立した化合物を、新たな疾患などに適用可能か検証する研究) の目的でもこれらは有益なリソースである。また、研究の橋渡しを担う人材育成は極めて重要である。人材育成にあたって、企業や FDA において科学者に経験を積ませることや、キャリアパスの多様性を示すことも NIH が担うべき役割である。このような取り組みを通じ、基礎研究の知見を新規治療技術として実現させることは、国民や議会から信頼される国家の研究機関として重要となる<sup>82</sup>。

### 6.1 NCATS 概要

上記 SMRB の提言を受け 2012 年、基礎研究の橋渡しを目的に国立先進トランスレーショナル科学センター (NCATS) が設立される。初年度予算は、5.74 億ドルであった<sup>83</sup>。NCATS は所内研究および所外研究の両方を、基礎研究から臨床研究までの研究経路を通じて支援する。臨床研究では、臨床センターを所内研究リソースとして、所外研究では大学病院などの施設を通じた治験も視野に入れた橋渡しを推進するための研究基盤整備を実施する。大学、企業、病院が協調的に研究を進められる前競争的なプラットフォーム作りを支援する。契約の形態の 1 つとして CRADA (企業にインセンティブ (ライセンス) を与えることで技術移転を促進) が存在する。ただ、NCATS 以外の NIH 各研究所も橋渡し研究を行なっているため、既に各研究所が実施している橋渡し研究の取り組みと競合するのではなく、相互補完的な触媒やコネクターとしての役割を目指している (図表 30)。

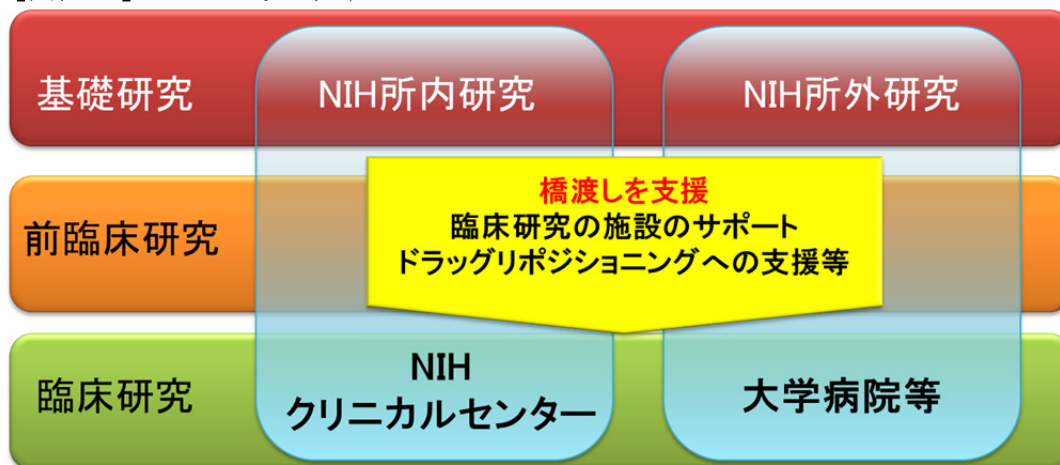
<sup>80</sup> Report on Translational Medicine and Therapeutics: [http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/TMAT\\_122010.pdf](http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/TMAT_122010.pdf)

<sup>81</sup> Report on Translational Medicine and Therapeutics: [http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/TMAT\\_122010.pdf](http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/TMAT_122010.pdf)

<sup>82</sup> Report on Translational Medicine and Therapeutics: [http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/TMAT\\_122010.pdf](http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/TMAT_122010.pdf)

<sup>83</sup> DHS NIH NCATS: <http://www.ncats.nih.gov/files/justification-2014.pdf>

【図表 30】 NCATS の取り組みイメージ

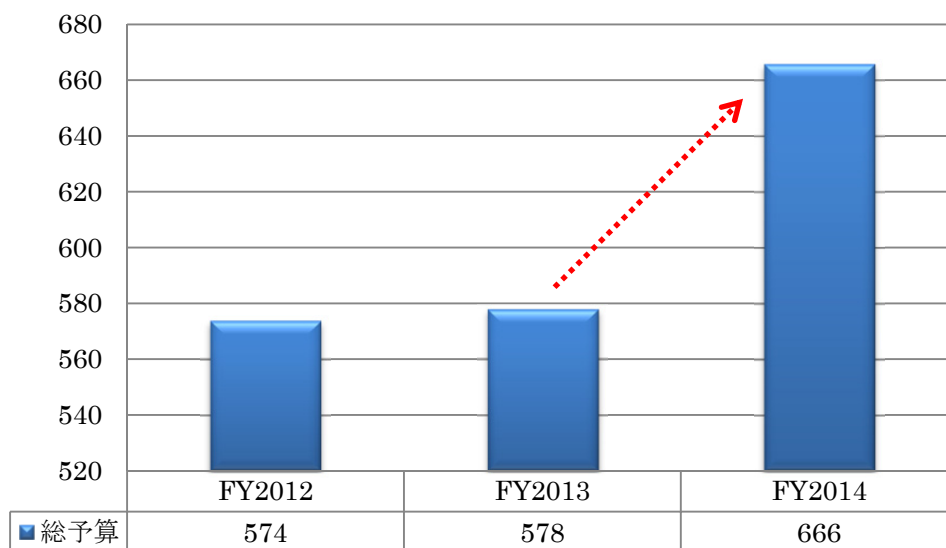


©2013JST/CRDS

## 6.2 NCATS 予算

NCATS の総予算は 2012 年から次年度の 2013 年度に関しては、5.74 億円、5.78 億円と、大きな変動はないが、2014 年度予算に関しては、6.66 億円と予算の増加が確認できる（図表 31）<sup>84</sup>。プログラム別予算の内訳に関して、2013 年度予算（5.78 億ドル）では、トランスレーショナル科学資金（CTSA）が、全体の約 80% の 4.6 億ドルを計上する（図表 32）<sup>85</sup>。また、所外・所内研究費の内訳をみると、希少疾患研究・治療法、橋渡し研究資源、橋渡し科学再改革、そして治癒加速ネットワーク（CAN）プログラムはすべて所外研究として助成され、その合計は総予算の 90% 以上の 5.48 億ドルとなり、所内研究は僅か 4% 程度の 2,300 万ドルである。

【図表 31】 NCATS 予算の推移（百万ドル）

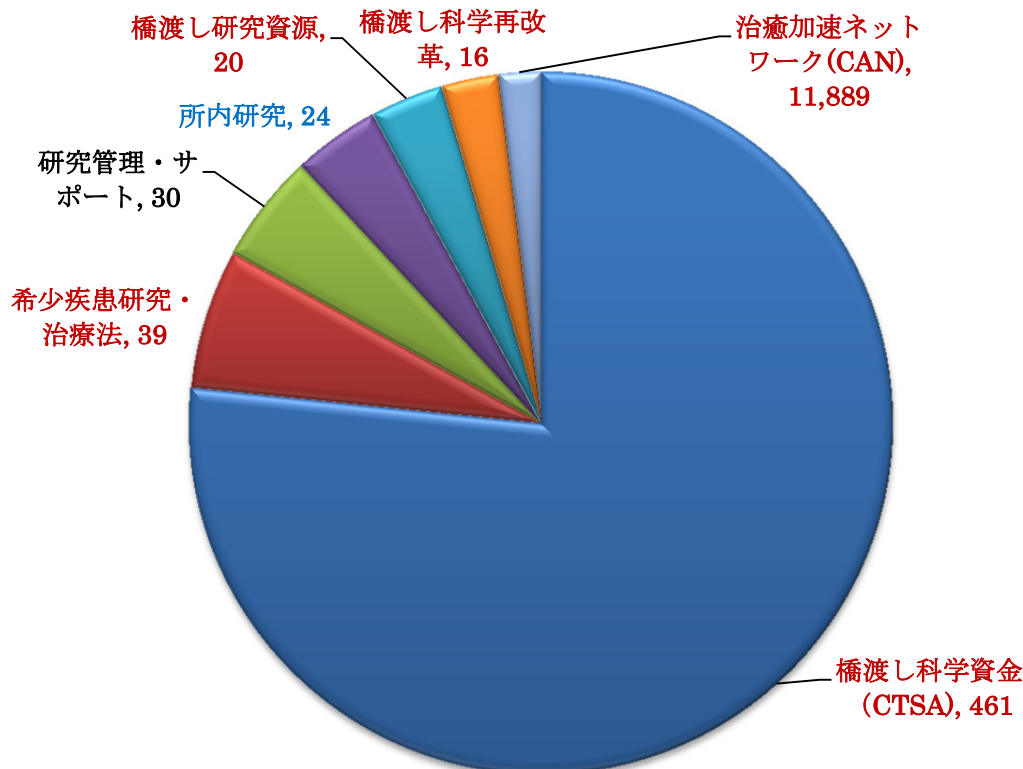


資料:HHS NIH NCATS: <http://www.ncats.nih.gov/files/justification-2014.pdf> より作成

<sup>84</sup> DHS NIH NCATS: <http://www.ncats.nih.gov/files/justification-2014.pdf>

<sup>85</sup> DHS NIH NCATS: <http://www.ncats.nih.gov/files/justification-2014.pdf>

【図表 32】 NCATS プログラム予算（2013 年度）の内訳（百万ドル）



凡例：赤字（所外研究）青字（所内研究）

資料：HHS NIH NCATS: <http://www.ncats.nih.gov/files/justification-2014.pdf> より作成

### 6.3 トランスレーショナル科学資金（CTSA）

CTSA はもともと国立研究資源センター（NCRR）により所管されていたが、NCATS の設立に伴いその所管が移行され、現在は NCATS における臨床イノベーション局（DCI）が管理している<sup>86</sup>。DCI 取り組みには次の内容がある。

- 臨床（研究・試験）過程を進める新方法・技術開発のための研究プロジェクトの計画、実施、並びに支援
- 既存・開発中の臨床技術や臨床スペクトルの評価の計画、実施、並びに支援
- 橋渡し研究の臨床フェーズに必要なトレーニングの支援
- 臨床・橋渡し研究機関・研究者にリソースを提供
- その他の NIH 機関や研究センター並びに、研究者との協力
- 患者、産業界、規制当局といった利益当事者との相談

現在 CTSA は 60 の学術機関を中心とした橋渡し研究を支援しており、研究グループには DCI による支援と、実際の橋渡し研究に必要な学術基盤の構築を実施する研究資金が支出される。これにより、地域研究機関、連邦研究機関、並びに臨床施設を包含する研究コンソーシアム（共同体）の整備の推進を目指している。

CTSA 支援による具体的な研究分野は、実に多様である。その一例として、NCATS による報告書『発見の加速：研究室から臨床へ進捗報告書 2009-2011』は、異なる戦略目的

<sup>86</sup> Report on Translational Medicine and Therapeutics: [http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/TMAT\\_122010.pdf](http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/TMAT_122010.pdf)

に基づいて実施された CTSA 助成プログラムの概要を紹介している（図表 33）<sup>87</sup>。

【図表 33】 CTSA 助成研究プログラムの進捗例

戦略分野	研究タイトル
試験的臨床研究の推進	<ul style="list-style-type: none"> <li>集束レーザー・高周超音波によるアイスキャナーの開発</li> <li>4\$ジェネリック医薬品プログラム：医療費削減と、消費可能な医薬品利用による治療効果の分析</li> </ul>
科学的発見に不可欠な研究費助成	<ul style="list-style-type: none"> <li>希少・通常疾患に関係する損傷遺伝子とその他の変数（要因）の早期同定技術の開発：幼児の新たな遺伝性疾患の同定</li> <li>希少遺伝性疾患～マルファン病（大動脈破裂）～の発症に関する血中変異タンパク質の絶対値測定を可能にする質量分析技術の導入</li> <li>パーキンソン病研究：疾患につながるタンパク質異常の原因の研究</li> </ul>
横断的研究方法	<ul style="list-style-type: none"> <li>心臓発作を事前予測するための新治療介入方法の開発を目指した、ゲノムの特定箇所における DNA 変異の発見</li> <li>記憶力の低下と軽度認知症リスクを抑制する遺伝子変異の同定：アルツハイマー治療薬開発創出の可能性</li> </ul>
FDA 承認に向けた規制手続きの合理化	<ul style="list-style-type: none"> <li>CTSA コンソーシアム内で、臨床試験における成功事例を共有することで、FDA 承認を達成しやすい研究プラットフォームの構築を推進（インフォームドコンセント手続きの明確化、副作用事例の報告手続きの規定、安全注意事項の準備など）</li> </ul>
施設内治験審査委員会（IRB）における、臨床研究手続きの改善 より多くのデータ収集のための、臨床試験患者リクルートの拡大	<ul style="list-style-type: none"> <li>臨床試験における倫理的、政策的、規制手続き上の問題を分析し、IRB における審査申請から承認までの時間を短縮（多くの大学における手続き時間の短縮結果が本報告書では示されている。）</li> <li>データ駆動型共同研究プロジェクト - EDW - により、膨大な患者資料から、診療・審査結果・投薬指示を1つのデータベースから検索</li> <li>移動式バンの利用により、医療へのアクセスが悪いコミュニティに出向き、医療に関する意識啓発の実施とデータ収集</li> <li>治験許可における異なる人種・文化的背景を持つ患者集団の獲得</li> </ul>

資料： Progress Report 2009-2011: [http://www.palladianpartners.com/NCATS/ctsa\\_2011/ch1.asp](http://www.palladianpartners.com/NCATS/ctsa_2011/ch1.asp) より作成

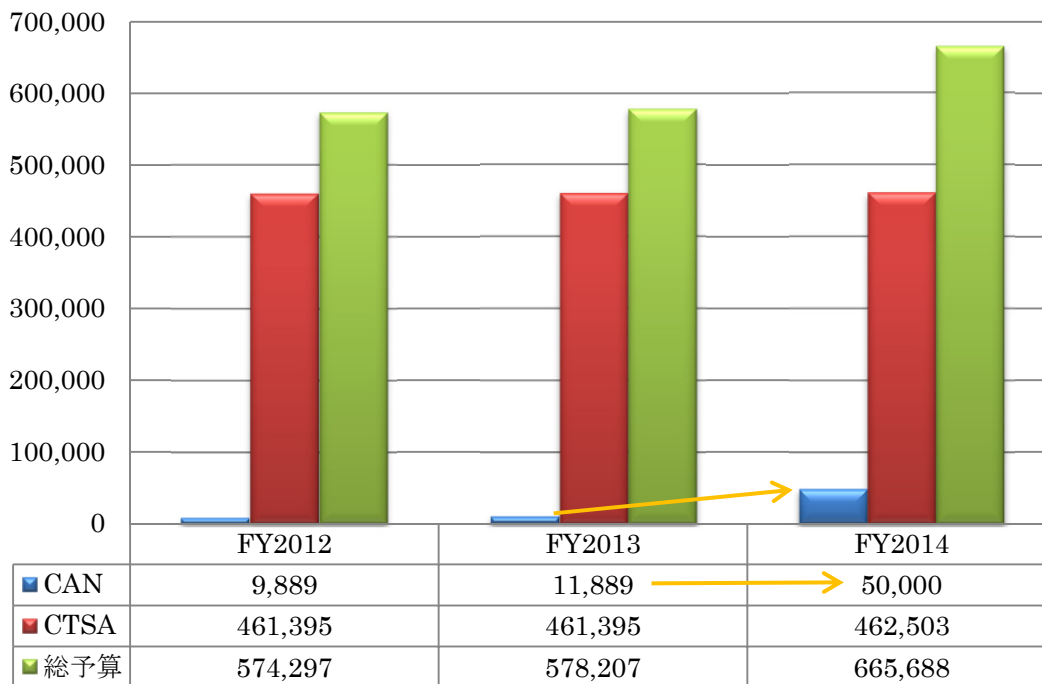
NCATS 予算に占める CTSA の割合が多いことは上述したが、この特徴は、2012 年と 2013 年度予算では共通している。これに加え、2014 年度予算では、治癒加速ネットワーク（CAN）プログラムの予算増加が確認できる（図表 34）。CAN は、2010 年に成立した「患者保護及び医療費負担適正化法」（P.L. 111-148）に基づいて設立された研究支援グラントである<sup>88</sup>。CAN の目的は、需要の高い治療技術創出の加速である。特に、ドラッグ・リポジショニング（創薬過程で研究放棄された薬の再開発）など、企業があまり手を出したがない基礎研究と臨床研究の間に存在するバリアの克服をめざし、リスクの高い研究も積極的な支援の対象とする。NCATS によるドラッグ・リポジショニングに関しては下記に詳しく紹介する。2013 年度から 2014 年度の予算は、前年から約 3.8 億ドル増という予算化が実施された。もちろん、CTSA と比べて現在はまだその事業規模は小さいが、所長室（OD）においても共通基金（CF）などを通じ、ハイリスク型の研究投資を重視している点からも、CAN の今後の取り組みが期待される。

<sup>87</sup> Progress Report 2009-2011: [http://www.palladianpartners.com/NCATS/ctsa\\_2011/ch1.asp](http://www.palladianpartners.com/NCATS/ctsa_2011/ch1.asp)

<sup>88</sup> Supreme Court of the United States Syllabus: <http://www.supremecourt.gov/opinions/11pdf/11-393c3a2.pdf>



【図表 34】 NCATS 予算における CTSA 及び CAN 予算の変遷(千ドル)



資料: HHS NCATS FY2014 Budget: <http://www.ncats.nih.gov/files/justification-2014.pdf> より作成

## 6.4 ドラッグ・リポジショニング(既存薬・化合物の再開発)

薬の再開発計画は、今後 NCATS が重点的に進めていく分野の1つであると考えられる。これは、新薬の開発途中で、放棄された化合物や、もしくは承認薬の新用途を発見し、既存の目的とは別の医療目的で新たな利用価値を模索する研究である。ただ、特許切れ或いは切れかけた薬に研究投資することは経済的な効果が必ずしも高くないため、企業は研究開発投資に関心を示しにくい。また、企業にとって、承認薬を別の目的へ転用することは法的責任を伴うリスクがあり、化合物が別の目的に利用される場合、その安全性を再評価する追加的なコストが必要となる。しかし、通常の創薬プロセスよりも開発コストが低いことも確かであり、NCATS は、バオインフォマティクス、化合物ライブラリ、データベースのインフラ整備によって、薬の再開発は重要な利益をもたらすと考えている<sup>89</sup>。

2013 年の段階で、NCATS は新たに 9 つのパイロット事業に対して 1,200 万ドルの支援を決定した<sup>90</sup>。このパイロット事業においては、AbbVie (前 Abbott)、AstraZeneca、Bristol-Myers Squibb Company、Eli Lilly and Company、GlaxoSmithKline、Janssen Research & Development、LLC、Pfizer、そして Sanofi などの製薬企業が、58 の化合物を提供して次の具体的な研究が進められる。

- 選択的エストロゲンレセプターベータアゴニストの効率性と安全性
- アルツハイマー疾患に対する AZD0530 による Fyn 抑制
- 禁煙の新治療薬開発

<sup>89</sup> NIH-Industry Roundtable: Exploring New Uses for Abandoned and Approved Therapeutics April 21 • 22: 2011 [http://www.ncats.nih.gov/files/exploring\\_new\\_uses\\_for\\_abandoned\\_and\\_approved\\_therapeutics.pdf](http://www.ncats.nih.gov/files/exploring_new_uses_for_abandoned_and_approved_therapeutics.pdf)

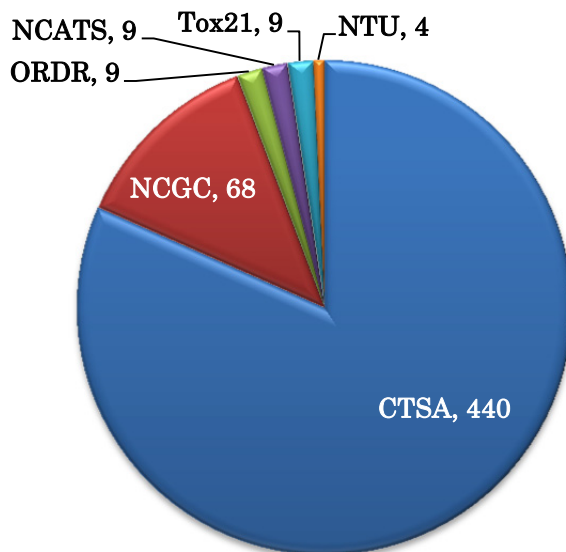
<sup>90</sup> NIH-Industry Roundtable: Exploring New Uses for Abandoned and Approved Therapeutics April 21 • 22: 2011 [http://www.ncats.nih.gov/files/exploring\\_new\\_uses\\_for\\_abandoned\\_and\\_approved\\_therapeutics.pdf](http://www.ncats.nih.gov/files/exploring_new_uses_for_abandoned_and_approved_therapeutics.pdf)

- アルコール依存症治療の新規化合物
- デュシェンヌ型筋ジストロフィー
- 抹消動脈障害患者に対する ZD4054 の再利用
- リンパ脈管筋腫症の治療戦略
- 石灰沈着性大動脈狭窄進行抑制治療戦略
- 翻訳的脳科学：GlyT1 抑制因子の最適化

## 6.5 NCATS 支援による論文

NCATS 設立から、2013 年 12 月時点において、NCATS（所内研究）の支援を受けた 539 の論文がこれまで公表されている。CTSA に加え、NCATS 希少疾患オフィス（ORDR）、ドラッグ・リポジショニング（薬の再開発計画（NTU））、化学ゲノムセンター（NCGC）によるヒトゲノム計画の医療へ橋渡し研究、NIH、FDA、並びに環境保護庁（EPA）による化合物毒性評価法の開発共同プログラム（ToX21）など、異なるプログラムによる支援を受けた論文が公表されている。図表 35 の示す通り、CTSA による支援研究論文の数が全体の約 8 割を占めている<sup>91</sup>。

【図表 35】 NCATS 支援を受けて公表された分野別論文



注：CTSA は 2012 年以前から存在していたため、NCATS 設立以前に開始された研究成果も含まれる。

資料：NCTAS Scientific Publication: <http://www.ncats.nih.gov/research/pubs/sci-pubs.html> より作成

## 6.6 NCATS の評価

設立後まだ間もない NCATS であるが、その評価については、賛否両論、意見が示されている。NCATS の設立により橋渡し研究が重点化されることで、NIH の基礎研究費が脅かされるのではないかと、との質問に対して Collins 所長は「基礎研究に配分する 54% という割合を変えるつもりはない」と回答しているが、メルク社の元 CEO である Roy Vagelos は「製薬企業は NCATS の約 100 倍にあたる \$50 billion (500 億ドル) / 年を投

<sup>91</sup> NCTAS Scientific Publication: <http://www.ncats.nih.gov/research/pubs/sci-pubs.html>



資しているが、それでも製薬のボトルネックは多く存在する」と指摘し、橋渡しの課題を NCATS が解決できる、という発想には懐疑的である<sup>92</sup>。同時に「NIH は若年研究者にもっと研究費を配分することで、結果的に創薬につながるのではないかと指摘する<sup>93</sup>。一方、MacroGenics 社 CEO の Scott Koenig 氏は、「NCATS は素晴らしい取り組み。Predictive toxicology など、大企業があまり手を付けない分野に取り組める」とその存在を支持している<sup>94</sup>。

米国研究製薬工業協会 (PhRMA) からの支持も報告されている。2011年1月23日、David E. Wheadon 上席副会長は、『創薬における官・産協力に関する声明文』において、「産業・NIH・学界による協力は、特に早期段階における創薬のイノベーション推進の重要な要素である。大胆で野心的な CollinsNIH 所長の諸提案（橋渡し研究の推進）は、現在では解決法のない医療ニーズに対する新治療法の発見を協力的に進めるためのカギとなる」と発言した<sup>95</sup>。一方これよりも若干慎重な意見として、2012年11月26日、PhRMA John Castellani 会長兼 CEO による『臨床試験・共同研究に関する声明文』は、「PhRMA 産業界は、2000年からこれまで、創薬の研究開発に（民間投資で）すでに約 50 兆円を投資してきた。もちろん、産業でも官でも、どちらも創薬に必要な全ての人的資源や専門性を持ち合わせているわけではない。産業、NIH、学術機関、病院、公衆衛生、そして臨床試験のためのボランティア患者を広く抱合する科学エコシステムにおいて臨床試験は初めて達成できる」とし、産業界の大規模な取り組みに比べると、NIH による国家投資の潜在的なインパクトを慎重に評価する声もある<sup>96</sup>。

#### コラム 4 : NCATS による FDA、DARPA との共同事業（ドラッグ・スクリーニング）

NCATS を中心とした NIH、FDA、DARPA による共同事業として、ドラッグ・スクリーニング加速のための 3D 組織チップ（ヒト生理学をモデル化したコンピュータチップ）の開発がある<sup>97</sup>。2011年9月16日にオバマ大統領によって公表された本事業は、ヒト臨床試験に先立ち、化合物の毒性と医療効果を評価（ドラッグ・スクリーニング）するために用いることが可能な、ヒト組織を模倣したチップを開発する。

創薬プロセスにおいて、ドラッグ・スクリーニングは非常に重要な取り組みであるが、組織チップの導入により、前臨床段階から、化合物の評価に FDA が協力することで、有望な化合物をより効果的に臨床試験に進めることを目的としている。また、DARPA は NIH と協力し、異なる臓器におけるチップの利用可能性を探索する。

NIH は、本事業を大学研究者へのグラントを通じて実施し、2012年からの5年間で最大 7,000 万ドルを支援する計画である。2012年度、17の研究プロジェクトに対して、NCATS は 900 万ドル、コモンファンドから 400 万ドルの支援が行われた。国立神経疾患・脳卒中研究所 (NINDS) をはじめ、計 15 の NIH 研究所・センターが本事業への協力を行っている<sup>98</sup>。

<sup>92</sup> NIH Director Grilled over Translational Research Center:

<http://blogs.nature.com/news/2012/03/nih-director-grilled-over-translational-research-center.html>

<sup>93</sup> NIH Director Grilled over Translational Research Center:

<http://blogs.nature.com/news/2012/03/nih-director-grilled-over-translational-research-center.html>

<sup>94</sup> NIH Director Grilled over Translational Research Center:

<http://blogs.nature.com/news/2012/03/nih-director-grilled-over-translational-research-center.html>

<sup>95</sup> PhRMA Statement regarding Translational Medicine:

<http://www.phrma.org/media/releases/phrma-statement-regarding-translational-research-0>

<sup>96</sup> PhRMA Statement on Clinical Trials, Research Collaborations and Washington Post Article:

<http://www.phrma.org/media/releases/phrma-statement-clinical-trials-research-collaborations-washington-post-article>

<sup>97</sup> Tissue Chip for Drug Screening: <http://www.ncats.nih.gov/research/reengineering/tissue-chip/tissue-chip.html>

<sup>98</sup> NIH Funds Development of Tissue Chips to Help Predict Drug Safety:

<http://www.nih.gov/news/health/jul2012/ncats-24.htm>

## 7 臨床センター(CC)

これまで、橋渡し研究に関する NIH の取り組みに注目してきたが、新薬・治療法開発において、最も重要な取り組みの1つがヒトを対象とした臨床研究、及び臨床試験（いわゆる治験）である。本章では NIH の臨床センター（CC）について紹介する。

1944年に成立した公衆衛生法（P.L. 78-410）を受け、1953年にCCは開設された。その後発展を遂げたCCは、現在世界最大の研究病院である。CCの中核である Warren Grant Magnuson Clinical Center（約230,000平方メートル大の14階建てのセンター）は、約5,000室、15の外来診療所、医学審査局（Department of Laboratory Medicine）を有し、野球場サイズの敷地に設置されている。ここに、1997年、240の入院患者用ベッド、82の外来診療施設を有する Mark O. Hatfield Clinical Research Center が新たに設置された<sup>99</sup>。1,200名の医師、歯科医、博士研究員と、620名の看護師に加え、薬剤師、栄養士、医療技術者、イメージング技術者、セラピスト、医療記録管理者、並びに、医療サプライ担当職員といった450名の専門職員を抱える<sup>100</sup>。伝統的にCCのリソースは NIH の研究所・センターで研究を行う所内研究者に利用されてきた（リソースの所外開放に関しては後述）。

臨床センターでの治療費は、連邦資金により賄われ、患者の医療費は免除される。ただ、研究病院であるため、CCで研究が行なわれている特定の疾患、もしくは疾病段階における患者のみが治療を受けることができる。このため、全ての患者は、かかりつけ医師からの紹介を必要とする<sup>101</sup>。2011年以降、CC予算は約4億ドルで推移している（図表36）。

【図表 36】臨床センター（CC）予算の推移

会計年度	2011	2012	2013
予算（百万ドル）	406.3	400.3	400.3

資料：HHS NIH Supplementary Table FY 2013 Budget:

<http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/FY13/Vol%201%20Tab%203%20-%20Supplementary%20Tables.pdf>

より作成

CCで実施される臨床研究分野は広く、アルコール依存、アレルギー、関節炎、筋骨格疾患、皮膚疾患、がん、小児保健、慢性痛、難聴・その他のコミュニケーション障害、歯科・口腔顔面障害、肥満、消化器病・腎臓病、視覚障害、心臓・肺・血液疾患、感染症、遺伝医学、精神的健康、神経障害、並びに、脳卒中などのあらゆる疾患に取り組んでいる。1953年以降、これまで475,000名が臨床研究に参加した。CCの患者は2種類に分類される。

- ボランティア患者：特定の疾患や健康上の問題を抱え、クリニカルセンターが実施する新たな投薬療法・医療措置・治療法の臨床研究に参加する者
- 健康ボランティア：重篤な健康上の問題を持たず、新薬・医療装置・医療法の試験に参加する者

年間、10,000名の新たな患者が研究に参加、6,000名の入院患者（入院患者の平均滞在期間は9.3日）を抱え、105,000名の外来患者を迎える。

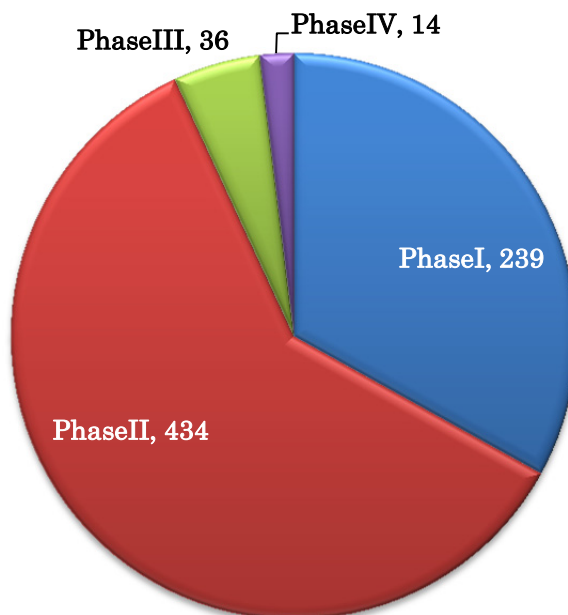
<sup>99</sup> Fact at a Glance: <http://clinicalcenter.nih.gov/about/welcome/fact.shtml>

<sup>100</sup> Fact at a Glance: <http://clinicalcenter.nih.gov/about/welcome/fact.shtml>

<sup>101</sup> Fact at a Glance: <http://clinicalcenter.nih.gov/about/welcome/fact.shtml>

1,500 件の臨床研究が現在進行中であり、そのうち半数は、他の研究所では行なわれていない希少疾患に注目しており、希少疾患のメカニズムの理解を CC で行い、それを一般的な疾患（糖尿病など）の理解につなげることも CC の目的である<sup>102</sup>。また、2012 年度に臨床センターで実施された臨床試験は、フェーズ I (239 件) 及びフェーズ II (434 件) が全体の 93% を占めている（図表 37）。

【図表 37】 2012 年度フェーズ別所内臨床試験数



注：フェーズ I（小規模の健康な被験者に対し、治療域内最大投与量と副作用の関係を試験）、フェーズ II（小規模患者に対し、投与量・投与方法に関する試験）

資料：NIH Clinical Center Director's Annual Report:

[http://www.cc.nih.gov/about/profile/pdf/Profile\\_2013.pdf](http://www.cc.nih.gov/about/profile/pdf/Profile_2013.pdf) より作成

<sup>102</sup> NIH Clinical Center Director's Annual Report: [http://www.cc.nih.gov/about/profile/pdf/Profile\\_2013.pdf](http://www.cc.nih.gov/about/profile/pdf/Profile_2013.pdf)

図表 38 は Clinical Trials Gov データベース (米国 FDA で医薬品審査が行なわれる案件は全て登録されている) による、米国における臨床研究件数の規模の概観である<sup>103</sup>。各件数の絶対数については、重複カウント等の可能性もあり更なる検証が必要であるが、米国で実施される臨床研究における NIH の役割が大きいことは、同表から確認できる。

【図表 38】米国における臨床研究の件数ランキング

順位	件数	機関名、企業名など	順位	件数	機関名、企業名など
1	8086	NIH-国立がんセンター	16	981	NIH
2	3380	NIH-臨床センター	17	891	Bristol-Myers Squibb
3	1703	NIH-NIAID 国立アレルギー・感染症研究所	18	878	Kennedy Shriver National Institute of Child Health...
4	1536	Pfizer	19	838	University of California, San Francisco
5	1462	GlaxoSmithKline	20	828	Eli Lilly and Company
6	1351	M. D. Anderson Cancer Center	21	820	Stanford University
7	1289	NIH-国立心肺血研究所	22	813	Duke University
8	1289	NIH-国立精神衛生研究所	23	811	University of Pittsburgh
9	1230	NIH-国立薬物乱用研究所	24	806	Genentech
10	1219	Department of Veterans Affairs	25	790	Novartis Pharmaceuticals
11	1192	Novartis	26	778	NIH-国立神経疾患・脳卒中研究所
12	1137	Massachusetts General Hospital	27	725	Sanofi
13	1023	NIH-国立糖尿病・消化器・腎疾患研究所	28	626	AstraZeneca
14	999	Memorial Sloan-Kettering Cancer Center	29	622	Johns Hopkins University
15	998	Mayo Clinic	30	604	Brigham and Women's Hospital

凡例：青 (NIH)、赤 (企業)、緑 (大学)

注意：本データベースには、Clinical Trial (FDA の治験基準による) 及び、Observational Studies (疫学や FDA の治験基準には該当しない医療介入法) も評価も“Clinical Studies”として含まれている。また、表中の件数の絶対値は、重複カウントの可能性も考えられるため、あくまで参考値  
CRDS 2013 年度調べ

## 7.1 臨床センター(CC)の課題

このように CC は米国での臨床研究、臨床試験において重要な役割を果たすが、その課題もまた大きい。その 1 つに財政問題がある。2006 年 SMRB 内に設置された NIH 所内研究プログラム (IRP) 作業部会は、当初、NIH 全体の所内研究の評価を目的に設立されたが、NIH 所長は CC が直面する喫緊の予算危機を認識し、同作業部会に対して CC の予算の持続可能性と財政健全化に特化した提言を行なうよう指示した<sup>104</sup>。

その後、2010 年 12 月に公表された SMRB 報告書『NIH 臨床センターに関する報告書』において CC の歳入方法に関する検討が行なわれている。これまで臨床センターの予算の決定方法に関しては、「スクール・タックス」と「利用率」との間で、試行錯誤が続いている。2000 年以降、CC 予算は CC で臨床研究を実施している 23 の NIH 研究所 (所内研究プログラム) からの使用料により計上されている (スクール・タックス方式)。ここでは、CC の「利用率 (施設、リソース、サービスをどれだけ使っているか)」ではなく、各 NIH 研究所が実施する研究プロジェクトの「規模」により一定の定額予算が算出

<sup>103</sup> ClinicalTrials.Gov: <http://clinicaltrials.gov/>

<sup>104</sup> Report on the NIH Clinical Center: [http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/CC\\_122010.pdf](http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/CC_122010.pdf)



され、プロジェクト規模の大きい研究所ほど、多くの臨床予算を臨床センターへ支払う。

しかし、これまで各研究所による研究プロジェクトの規模自体は毎年それほど大幅に変動することはなかったが、近年の臨床研究運営費の大幅な増加により、CC が負担するリソース・サービス費用は増加し、CC にとって大きな財政的な負担となっていた。このため、2004 年から 2010 年にかけて、一部のプロジェクトに対しては、「利用率」を反映した使用料の徴収を実施した。それによって、プロジェクト予算が少ない小規模の NIH 研究機関にとって、CC 施設を利用する際の負担が増えるという別の問題が生み出された<sup>105</sup>。

SMRB メンバーである Susan Shurin (国立心臓・肺・血液研究所所長代理) は、スクール・タックス方式を続ければ、CC の財政は圧迫されるが、使用料が高ければ所外研究者や小規模プロジェクトを招くことが難しいジレンマがあると指摘する<sup>106</sup>。CC の適切な予算決定方法は、今後も米国の橋渡し研究にとって重要な課題となると考えられる。

SMRB 報告書では、その他の重要な論点として、CC による所外研究者との共同研究の遅れが指摘された。歴史的に CC は、NIH の所内研究用に利用されてきた。これは、非連邦職員による政府施設利用上の課題、内部・外部研究資金の管理、共同研究における知的財産の管理など、臨床研究に伴う複雑なプロジェクトガバナンスの問題が背景にある。しかし、多くの有望な所外研究者の存在や、分野横断的な橋渡し研究の必要性から、CC 所長兼、NIH 臨床研究副主任 John Gallin は、「CC が所外研究者との共同研究を実施すれば、実験室における発見や科学的観察に基づいた、新たな診断、治療、そして疾病予防方法への橋渡しが更に強化される」と指摘する<sup>107</sup>。また現在は、共同研究のために所外研究者を受け入れる物理的な設備態勢は整ってきたが、共同研究を支えるグラントが存在しない、と 2010 年の SMRB 報告書は指摘した<sup>108</sup>。

## 7.2 臨床センター(CC)の課題解決に向けた取り組み

これまでの課題を踏まえ、2010 年の科学管理評価委員会 (SMRB) は、委員 14 名の全会一致で、次の提言を行なった<sup>109</sup>。

- 国家のリソースとして CC を利用 (共同研究を通じた臨床センターの所外研究者への開放)
- ガバナンスの簡易化
- 臨床研究に関する予算とプログラム計画の明確化
- 安定した予算確保と平等な予算配分
- 臨床研究を実施する NIH 研究所・センターを横断する形で、持続可能な予算を検討
- NIH 研究者や所外アドバイザーと協力し、ミッション、機能、能力、そして将来へのビジョンの提示
- 研究病院や行政専門家との協力による、病院マネジメントのビジネスモデルの構築
- 所内・所外研究者にむけて、CC の共同利用の重要性と可能性を説明
- 臨床研究者による、CC の拡張的利用の実効性とその望ましいあり方の検討

<sup>105</sup> Report on the NIH Clinical Center: [http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/CC\\_122010.pdf](http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/CC_122010.pdf)

<sup>106</sup> NIH May Open Access to Clinical Facility: <http://www.nature.com/news/2010/100706/full/466172a.html>

<sup>107</sup> Clinical Center Welcomes Extramural Investigators:  
<http://irp.nih.gov/catalyst/v20i5/clinical-center-welcomes-extramural-investigators>

<sup>108</sup> Report on the NIH Clinical Center: [http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/CC\\_122010.pdf](http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/CC_122010.pdf)

<sup>109</sup> Report on the NIH Clinical Center: [http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/CC\\_122010.pdf](http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/CC_122010.pdf)

### 7.3 所外研究者への臨床センター(CC)研究施設・リソースの開放

SMRB 提言を受け、2012年11月28日、新たなグラントとして、コードU01『研究プロジェクト・共同契約』がCCにおけるグラントの1つに追加され(U01グラント自体はその他のNIH機関において以前から存在している)、グラント受付が2013年2月20日に開始された。CCにおけるU01グラントの目的は、所内・所外の基礎研究者と臨床研究者による共同研究を拡大し、橋渡し研究を加速・強化することである。また、新たな疾病の診断、治療、そして予防法創出の可能性のある実験室・動物レベルの研究結果を、臨床レベルで試すために、所外研究者に対して、CCにおける多くのリソース、専門知識、並びにインフラアクセスを提供する<sup>110</sup>。U01プログラムを通じて、具体的には次のリソースにアクセスが可能となる<sup>111</sup>。

- ・ 医薬品適正製造基準(GMP)に基づいた調剤施設の準備
- ・ 特定疾患の臨床表現型研究の実験施設(代謝やその他のユニットを含む)の準備
- ・ イメージング用に新たにデザインされたPETリガンドの生産と使用
- ・ 特定の研究に必要な血液製剤やその他の薬剤の準備
- ・ 特定の医薬品や、その他の診療方法の研究に関する臨床プロトコルの作成、また、極めて珍しい疾病研究において所外研究者の知名度が高くない場合に、CCとの共同研究の機会を創出
- ・ 臨床研究における確固たるトレーニング・プログラムの実施
- ・ 臨床研究は患者家族のサポートも必要とするため、患者・遺族へのリソース提供
- ・ 患者や遺族は自宅を離れて臨床研究のためにCCに滞在することになるため、CC内における家族ロジや子供施設の準備などの家庭的環境の創出(子供が患者である場合、家族と共に宿泊できる施設 Children's Inn や幼稚園児から12歳までの子供が入院中に教育を受けることが可能な Children's School もある<sup>112</sup>)

具体的に、各NIH研究所は所外研究者との共同研究プログラムとしてCCを利用する際、(図表39)のような研究内容を想定している。

【図表39】CCにおけるU01グラントの研究内容

NIH 研究所	研究分野
NEI	眼疾患・視覚機能維持に関する臨床研究
NCI	がんの予防・診断・治療に関する臨床研究
NHGRI	生化学遺伝学・小胞輸送欠損・沈着症などの臨床研究
NHLBI	心臓・肺・血液・睡眠の予防・診断・治療に関する臨床研究
NIAAA	広くアルコール関連の個別遺伝子・ゲノム・脳科学・疫学臨床研究
NIAID	伝染性、免疫、アレルギー性疾患の臨床研究
NIAMS	広く炎症に関わる個別遺伝子・ゲノム・予防・治療研究
NIBIB	イメージング・バイオイメージング研究
NICHD	避妊、受精、妊娠、出産の臨床研究
NIDCD	聴覚、バランス、味覚、嗅覚、声帯、会話、言語に関する臨床研究
NIDA	コミュニティ・国民レベルでの臨床研究
NLM	医療記録の電子化
ORWH	筋痛性脳脊髄炎・疲労症候群の臨床研究

資料: Part1 Overview Information: <http://grants.nih.gov/grants/guide/pa-files/PAR-13-029.html>

<sup>110</sup> Part1 Overview Information: <http://grants.nih.gov/grants/guide/pa-files/PAR-13-029.html>

<sup>111</sup> Part1 Overview Information: <http://grants.nih.gov/grants/guide/pa-files/PAR-13-029.html>

<sup>112</sup> Patient Services: <http://clinicalcenter.nih.gov/participate/patientinfo/services.shtml>



## 8 NIH による中小企業支援(SBIR・STTR プログラム)

中小企業技術改革制度 (SBIR) プログラムは、1982 年、中小企業技術革新開発法 (P. L. 97-219) により設立され、連邦研究開発事業における中小企業 (ベンチャー) 支援を行う。1992 年には、連邦機関と中小企業による共同研究の実施を目的に、中小企業技術移転 (STTR) 法 (P. L. 102-564, Title II) が成立した。SBIR は市場化の見込みのある中小企業の連邦研究開発への参加 (単独での実施を含む) が目的であり、STTR は市場化の見込みのある中小企業と米国研究開発機関 (大学、非営利団体、連邦研究機関) との共同研究の実施が目的である。SBIR・STTR プログラムは NIH に限定されたものではなく、研究開発に関わる連邦機関を対象として実施されている。その予算化においては、各会計年度予算から一定の割合を、各連邦機関が SBIR・STTR プログラムに拠出することが要求されている。SBIR 法成立以降、これまで、約 1 万 5 千社の中小企業における 40 万人の科学技術者に対して、合計 210 億ドルが投資され、5 万件の特許取得を達成している<sup>113</sup>。

全米研究評議会 (NRC) は、2009 年度の調査報告書『ベンチャー・ファンディングと NIH における SBIR』において企業支援の重要性を次のように説明している。通常ベンチャー・キャピタル (VC) などの民間投資は、投資家・投資会社の特定の目的の下に支出される。そのため早期中小企業による研究プロジェクトには、商業化の潜在性があっても、投資家の利益に直接的に関係しない事業はリスクが高いという評価を受け、民間投資による資金調達が難しい中小企業も多い。そのような中、SBIR は早期のハイリスク・ベンチャー事業に対して公費を用いて出資することができる。中小企業にとっては、十分な民間投資の調達が難しい場合に、公的資金の利用で事業の多様化を模索することが可能となる<sup>114</sup>。

内閣府資料では、「公的資金の SBIR によるコンクール優秀者には、元々アメリカで潤沢な民間 VC 投資 (08 年 VC 投資額 284 億ドル：日本 1,366 億円の約 20 倍) へのアクセスが容易となる。例えば、全米バイオ製薬企業トップ 10 中の 7 社が資金不足の創業初期に受賞。新エネルギー関係でも、VC 投資を受け、急成長するベンチャー企業を多数発掘している」と報告されている<sup>115</sup>。

<sup>113</sup> SBIR: <http://www.sbir.gov/about/about-sbir>

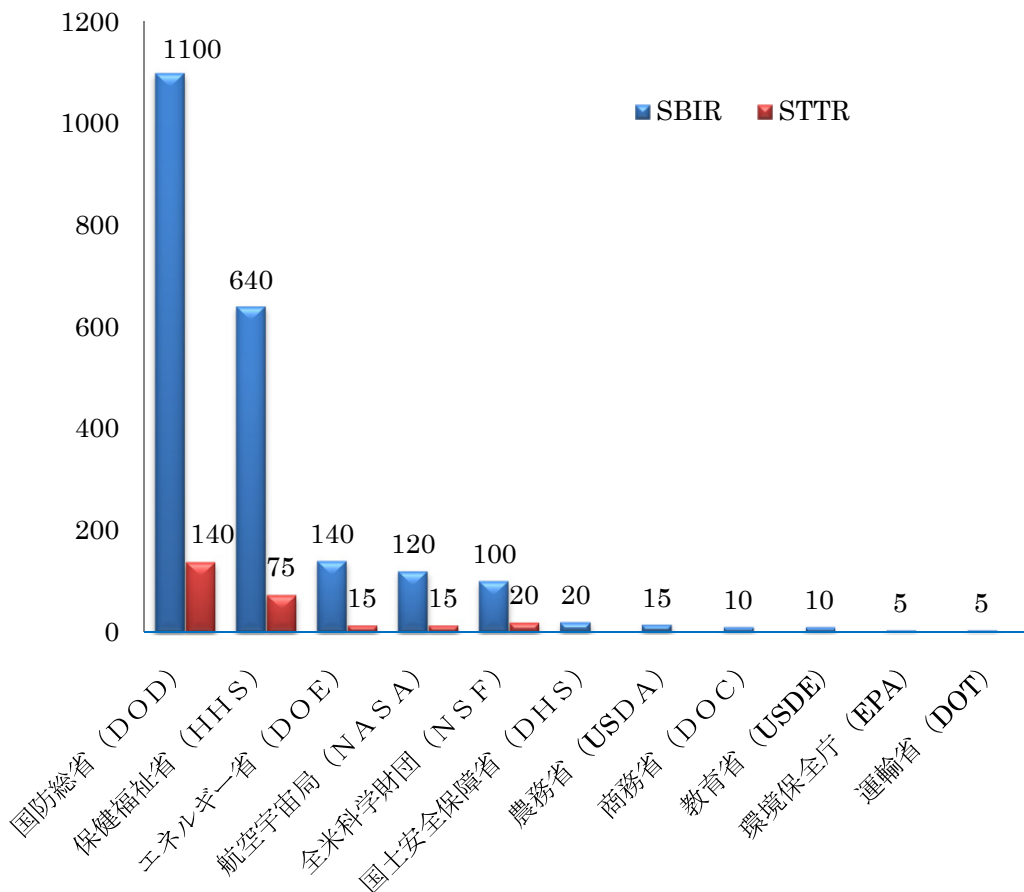
<sup>114</sup> Venture Funding and the NIH SBIR Program: [http://www.nap.edu/catalog.php?record\\_id=12543](http://www.nap.edu/catalog.php?record_id=12543)

<sup>115</sup> 科学技術に関する基本政策について－第4期科学技術基本計画策定に向けて:  
<http://www8.cao.go.jp/cstp/tyousakai/seisaku/torimatome/toushin6.pdf>

## 8.1 SBIR・STTR プログラム予算

2009 年度の省庁別 SBIR・STTR プログラム予算によると、国防総省の SBIR は 11 億ドルであり、次に保健福祉省の 6.4 億ドルが続き、実にこれら 2 つの省で全体の 81% の SBIR プログラムが実施されている (図表 40)。全連邦機関を通じて STTR 予算は SBIR に比べて相対的に低く、図表 40 が示すように、DHS~DOT においては STTR プログラムの予算化がなされていない。その理由は、図表 41 「SBIR と STTR プログラム比較」が示すように、後者は予算規模 10 億ドル以上の連邦機関でのみ実施されるプログラムであることがその理由である。また、SBIR と STTR では連邦機関が拠出する予算割合の要件も異なる。本章では、実施程度の大きい SBIR を中心に紹介する。

【図表 40】 2009 年度省庁別 SBIR・STTR プログラム予算 (百万ドル)



資料: Small Business Innovation Research (SBIR) and Small Business Technology Transfer Program (STTR): <http://documents.scribd.com/s3.amazonaws.com/docs/79bwisj5mo12flos.pdf?t=1312495230> より作成

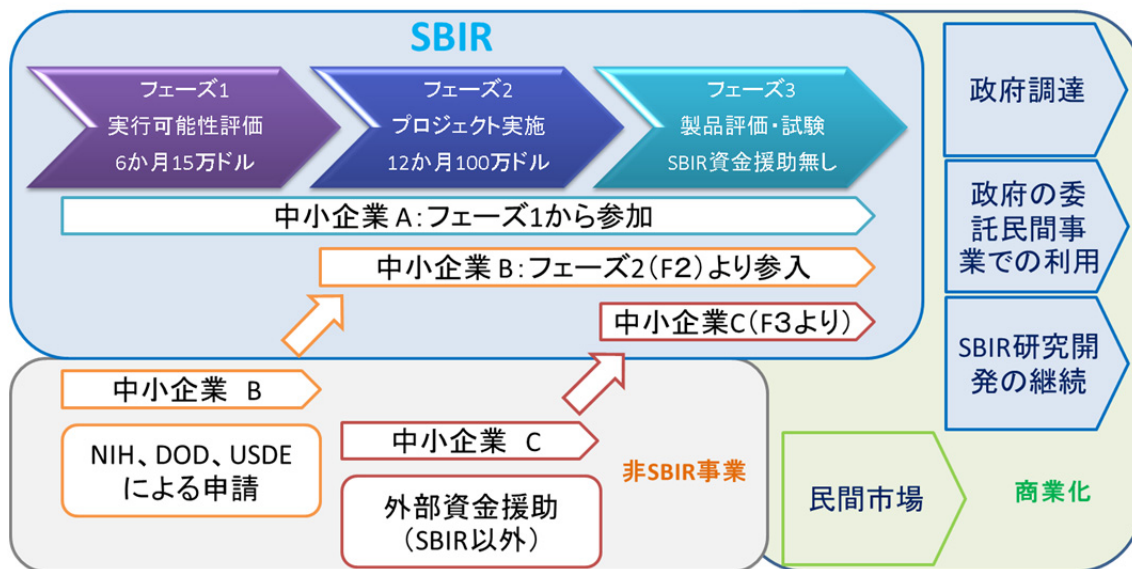
## 8. 2 SBIR・STTR プログラム比較

	SBIR	STTR
<b>【図表 41】 SBIR・STTR プログラム比較</b>		
<b>目的</b>	市場化の見込みのある中小企業の連邦研究開発への参加	市場化の見込みのある中小企業と米国の研究開発機関（大学、非営利団体、連邦研究機関）との共同研究の実施
<b>予算規定</b>	予算規模 1 億ドルを超える連邦機関が、所外研究費予算の 2.5% を企業支援に利用	予算規模 10 億ドルを超える連邦機関は所外研究費予算の 0.3% を企業支援に利用
<b>実施連邦機関</b>	11 の連邦機関：国防総省 (DOD)、保健福祉省 (HHS)、エネルギー省 (DOE)、航空宇宙局 (NASA)、全米科学財団 (NSF)、国土安全保障省 (DHS)、農務省 (DA)、商務省 (DOC)、教育省 (ED)、環境保全庁 (EPA)、運輸省 (DOT)	5 つの連邦機関：国防総省 (DOD)、保健福祉省 (HHS)、エネルギー省 (DOE)、航空宇宙局 (NASA)、全米科学財団 (NSF)
<b>実施フェーズ</b>	フェーズ 1：実現可能性調査（最大 6 か月 15 万ドル） フェーズ 2：研究開発（最大 12 か月 100 万ドル） フェーズ 3：商業化移行作業（政府調達及び市場化にむけた試験・評価）、若しくは外部資金による研究継続 (SBIR 支援は無い)	フェーズ 1：実現可能性調査（最大 1 年 10 万ドル） フェーズ 2：研究開発（最大 2 年 75 万ドル） フェーズ 3：商業化移行作業（政府調達及び市場化にむけた試験・評価）若しくは外部資金による研究継続 (STTR 支援は無い)
<b>参加資格</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>米国を本拠地とする営利目的企業であり、少なくとも資本の 51% が米国籍を有する個人若しくは特別永住者によって所有されていること、また、共同事業の場合は、参加企業の 1 つの少なくとも 51% の資本を、米国籍を有する個人若しくは特別永住者が所有</li> <li>関連企業含め従業員 500 名以下 (フェーズ 1、2 のみに適用)</li> <li>研究主権者 (PI) が企業内で第一次雇用されていること</li> <li>その他の研究機関との共同研究は任意</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>米国を本拠地とする営利目的企業であり、少なくとも資本の 51% が米国籍を有する個人若しくは特別永住者によって所有</li> <li>関連企業含め従業員 500 名以下 (フェーズ 1・2 のみに適用)</li> <li>研究主権者 (PI) が企業内で雇用されている必要は無い</li> <li>企業が研究開発の少なくとも 40%、主要共同研究機関が 30% を実施</li> <li>企業と共同研究機関は、研究開発成果の市場化に向けて、知的所有権に関する取り決めを行なうこと</li> </ul>

注：本図表内の「フェーズ」とは、治験におけるフェーズとは異なる

資料：SBIR Policy Directive: <http://www.sbir.gov/about/sbir-policy-directive> より作成

### 8.3 SBIR 実施フェーズ



【図表 42】SBIR 実施フェーズと商業化

資料: SBIR Policy Directive: <http://www.sbir.gov/about/sbir-policy-directive> より作成

**フェーズ 1:** 政府から研究者に対する研究開発契約の提案や、研究者発のグラント申請によって実施される。フェーズ 1 の主な目的は、フェーズ 2 における本格的な研究開発における重点的な研究費の助成に先立って、プロジェクトの実行可能性の評価である。ここでの評価には、科学・技術的な優位性に加えて、商業化の潜在性も検討される。特に、グラントを与える各省庁のミッション、科学技術の特性、そして商業化に向けた事業リスクのバランスが評価される。

**フェーズ 2:** フェーズ 2 の目的はフェーズ 1 で実行可能性が証明された研究開発計画の本格的なプロジェクト実施である。フェーズ 2 では 100 万ドルを本格的な研究開発に利用するフェーズであるため、原則としてフェーズ 1 プロセスを通過したプロジェクトのみがフェーズ 2 へ進むことができる。ただ、例外として、2017 年の会計年度までの間、国立衛生研究所 (NIH)、国防総省 (DOD)、並びに教育省 (USDE) の 3 つの連邦機関に関しては、それらの所長・長官からの申請と説明があった場合は、フェーズ 1 を通過していない中小企業の研究開発支援を、フェーズ 2 の段階から例外的に開始することができる。その理由として、SBIR 以外の連邦資金で活動する中小企業 (例: 大学発ベンチャーなど) で、プロジェクトの優位性と実行可能性、若しくは商業化のポテンシャルが確認されていれば、それを SBIR のフェーズ 2 の支援によってさらなる加速が可能となるためである。

**フェーズ 3:** 商業化に先立って、SBIR で開発された技術・サービス・製品の試験と評価を行なう。SBIR プロジェクトからの派生品があれば、SBIR では研究開発が直接的に支援されていない派生品についても SBIR の試験・評価は適用される。ここで想定される商業化とは、民間市場での商業化、政府調達、並びに、政府による民間委託事業での利用があるが、SBIR フェーズ 3 が取り扱う内容 (商業化に向けた試験・評価) は、政府調達と

NIHによる中小企業支援 (SBIR・STTRプログラム)

政府による民間委託事業での利用であり、完全に民間市場での契約に進むプロジェクトに関しては SBIR プログラムでの試験・評価は行なわれない。ただし、フェーズ 3 においては、SBIR 以外の連邦資金を獲得した中小企業の場合、SBIR の枠組みで研究開発を続けることは可能である。また、SBIR の枠外で連邦資金の助成事業（例：NIH グラント）で開発された製品を、フェーズ 3 の段階で SBIR のプロセスに参入させ、製品の評価と試験を実施し、SBIR による政府の承認を与えて、その後の商業化を補佐することも可能である。

SBIR・STTR の両プログラムに関して注目すべき点は、商業化に関する企業のリスクである。特にフェーズ 3 の目的の 1 つに、政府による調達（製品の買い取り）により商業化を達成する受け皿がある。これにより、企業はリスクを取ってプロジェクトを開始・推進することができると考えられる。米国におけるベンチャー事業に企業が参入しやすい背景には政府調達という強みがある。

今後、政府は SBIR・STTR における政府調達の枠組みをさらに拡大する戦略目標を立てている。2012 年 9 月 18 日付の SBIR・STTR「政策令」は、全米科学アカデミー（NAS）に対して、4 年以内に、政府調達に関する調査報告書の作成と議会への提出を委託している<sup>116</sup>。

## 8.4 NIH における SBIR 制度に関する課題と対策

これまで、NIH による SBIR プログラムに関して議論されてきた内容の 1 つとして、図表 41 の最終項目にある中小企業の参加資格要件が挙げられる。その背景は、連邦中小企業庁（SBA）による 2002 年の政策令であり、そこでは SBIR 申請資格要件として 51% の資本（支配権）を、米国籍（若しくは永住権）を有する「個人」が所有する必要があるとされた点である。問題は、ベンチャー・キャピタル（投資会社）や親会社などに対して「個人」としての法人格が認められるかどうかという点であった。2003 年、ユタ州の Cognetix 社が SBA により SBIR の申請を拒否された際、その理由として、投資会社（若しくは親会社）には SBIR の資格要件の「個人」としての法人格を認めないという判決を下した<sup>117</sup>。この判例により、投資会社（若しくは親会社）が支配権を有する中小企業は SBIR への申請要件を持たないことが示された。

この判例には賛否両論が示されている。まず、賛成意見であるが、そもそも SBIR で支援が必要な早期プロジェクト（大学発ベンチャーなど、研究者個人が中心となっている中小企業）は民間投資を得ることが難しいため、公費を投入することで企業化の足場を作る事ができる。ゆえに、既に投資会社や親企業が企業の支配権を有するような、資金調達が有利な中小企業が SBIR に申請することで、本当に資金が必要な個人・企業の申請を阻害してしまう恐れがあると指摘する<sup>118</sup>。一方、米バイオテクノロジー産業協会（BIO）、全米ベンチャー・キャピタル協会（NVCA）、並びに製薬企業などは、上記の判例に反対意見を示している。その理由は、現実的には、早期の民間投資のみでベンチャーを商業化に導くのは容易ではなく、医薬品の上市を目指す場合などは、SBIR など、利用可能なあらゆるリソースを利用しなければ成功できないと主張し、医薬品研究開発の難しさを主張している。

これら 2002 年の政策令及び、2003 年の判例が研究開発に与えた影響の分析も行なわれている。図表 43 が示すように、2004 年以降 SBIR グラントに対する申請数が下降傾

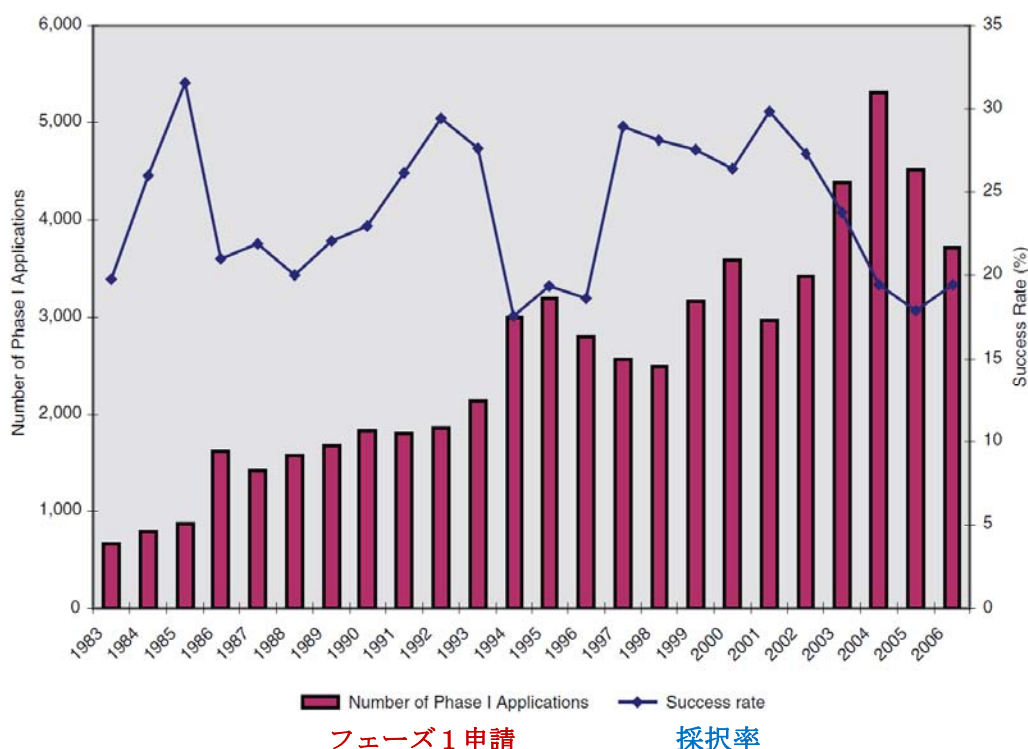
<sup>116</sup> SBIR Policy Directive: <http://www.sbir.gov/about/sbir-policy-directive>

<sup>117</sup> Venture Funding at the NIH SBIR Program: [http://www.nap.edu/catalog.php?record\\_id=12543](http://www.nap.edu/catalog.php?record_id=12543)

<sup>118</sup> Venture Funding at the NIH SBIR Program: [http://www.nap.edu/catalog.php?record\\_id=12543](http://www.nap.edu/catalog.php?record_id=12543)



向にある。米バイオテクノロジー産業協会（BIO）はその理由が、2002年の政策令にあると主張する。それによりSBIRに対する申請が2005年には11.9%、2006年には14.6%そして2007年までには、およそ21%減少したことになる、その悪影響を指摘した。一方、全米研究評議会（NRC）も、SBIRプログラムへの申請数が減少している理由を検討するためにサーベイ調査を実施し、BIOとは異なるデータを紹介している。サーベイでは、2002年の政策令が示された後、SBIRに申請を行っていない研究主催者（PI）に対して、なぜ2002年以降に申請を行なわなかったのか、その理由が質問された（回答数2,051名）。そこで最も大きな理由は、SBIRの競争率の高さと、申請からグラント助成開始までのスピードの遅延であった。SBIRへの参加資格に関する2002年度の政策令は、SBIRグラントに申請しなかった理由としては最も関連性の低い理由の1つであると報告されている<sup>119</sup>。ただ、NRC報告書は、この問題に関してはどちらの立場の意見も過熱気味で、調査結果のデータは必ずしも冷静な議論の成果ではないと注記している。



【図表43】 NIHに対するSBIR申請とグラント採択率

資料：Venture Funding at the NIH SBIR Program: [http://www.nap.edu/catalog.php?record\\_id=12543](http://www.nap.edu/catalog.php?record_id=12543)より抜粋

これまでの議論をふまえ、NIH所長室（OD）科学的管理評価委員会（SMRB）は、2013年の報告書にて、SBIR改革のいくつかの提言を行なっている。まず、研究者がSBIRへ申請を行わない最も大きな理由の1つとして挙げた、「申請からグラント助成開始までのスピードの遅延」の改善である。そして、研究者に対する企業化へのコンサルティングの強化、並びに、これまでNIHで実施されたSBIRプログラムの成功事例の共有が重点課題であると指摘した<sup>120</sup>。

<sup>119</sup> Venture Funding at the NIH SBIR Program: [http://www.nap.edu/catalog.php?record\\_id=12543](http://www.nap.edu/catalog.php?record_id=12543)

<sup>120</sup> Report on Optimizing the NIH Small Business Innovation Research and Small Business Technology Transfer Program: [http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/SBIRSTTR\\_03192013.pdf](http://smrb.od.nih.gov/documents/reports/SBIRSTTR_03192013.pdf)



今後、SBIR・STTR プログラムともに 2017 年までの予算化が決定されているが、両プログラムの予算が今後漸増している点は特筆に値する。2017 年度には、所外研究費予算全体の 3.65% を SBIR・STTR プログラムに配分することとなる（図表 44）。本 CRDS 報告書の冒頭でも指摘したとおり、2017 年までの連邦研究開発予算は自動削減が決まっているが、削減される予算の中で、SBIR・STTR プログラムの予算割合の漸増が決定されているということは、今後の連邦研究開発においてベンチャーの役割を重視する米国の姿勢の現れであると言える。

【図表 44】NIH による SBIR・STTR プログラムの予算割合の推移 (2011 年から 2017 年まで)

	FY2011	FY2012	FY2013	FY2014	FY2015	FY2016	FY2017
SBIR	2.5%	2.6%	2.7%	2.8%	2.9%	3.0%	3.2%
STTR	0.30%	0.35%	0.35%	0.40%	0.40%	0.45%	0.45%
合計	2.80	2.95	3.05%	3.20%	3.30%	3.45%	3.65%

資料：STTR Policy Directive: <http://www.sbir.gov/about/about-sttr> 及び

SBIR Policy Directive: <http://www.sbir.gov/about/sbir-policy-directive>

## 9 NIHによる倫理・社会問題への対応

### 9.1 研究公正局(ORI)

1992年、科学公正局(OSI)と科学公正審査局(OSIR)の統合により、医療担当次官補事務局(OASH)内部に公正研究局(ORI)が設立した。その目的は、米国保健福祉省に属する研究公正の指揮、監督であり、米国公衆衛生局(NIHなど)の研究が主な対象である。予算は約900万ドル<sup>121</sup>。具体的に次の取り組みを行なっている。

- 研究不正の検出、調査、防止や責任ある研究活動に関わる方針、手順、規制の作成
- 研究不正の調査の見直しとモニタリング
- HHS 上訴委員会に対して不正事例に関する説明を行う際 HHS 内の法務委員会(OGC)を支援
- 次官補へ研究不正の調査結果と行政処分を勧告
- 研究不正の申し立てに対応する機関への技術支援を提供
- 研究の責任ある行動の教育、研究公正の推進、研究不正の防止、研究不正の申し立て処理の改善に関する活動やプログラム
- プログラム管理：制度的保証の維持、内部告発に対する報復の申し立てへの対応
- 学内外方針と手続きの承認、情報公開法及び個人情報保護法の要求への応答

米国における研究不正に対する連邦機関の取り組みに関しては、平成24年日本学術振興機構(JSPS)『国際学術交流研修海外実務研修報告集』に詳しく記載されている<sup>122</sup>。

### 9.2 NIHによるデュアルユース問題への対応

科学技術の社会的影響の1つとして、近年、生命科学のデュアルユース問題(科学技術の「平和的な利用」と、利用者の意図とは関係なく結果として、ヒト・動物・植物の生命システムに対する「破壊的行為(テロ・犯罪・生物兵器)につながる可能性のある利用」)に対する説明責任が国際的に議論されている<sup>123</sup>。米国においてはデュアルユース問題に対する科学技術のガバナンス基盤として、2004年にバイオセキュリティ国家科学諮問委員会(NSABB)が設立され、NIH 所長室(OD)直轄のNIH 科学政策室(OSP)、バイオテクノロジー研究活動室(OBA)に管理・運営されている(図表45)<sup>124</sup>。NSABBはデュアルユース問題に関するガイドライン策定、教育戦略の開発、並びに論文公表の際のデュアルユースリスクの評価ガイドラインなどを継続的に検討している。

わが国においても、2013年1月に日本学術会議が科学者の行動規範を改定し、デュアルユース問題への対応を科学者の社会責任の一部であると明言し<sup>125</sup>、JST 研究開発戦略センター(CRDS)からも我が国としてのガバナンスのあり方が提言されている<sup>126</sup>。

<sup>121</sup> Department of Health and Human Services Fiscal Year 201

<http://www.hhs.gov/budget/fy2014/secretary-congressional-justification.pdf>

<sup>122</sup> 平成24年度日本学術振興会国際学術交流研修海外実務研修報告集:

[http://www.jst.go.jp/j-kaigai-center/data/kenshu/h24\\_report.pdf](http://www.jst.go.jp/j-kaigai-center/data/kenshu/h24_report.pdf)

<sup>123</sup> 生命科学とバイオセキュリティ:デュアルユースジレンマとその対応:

<http://www.toshindo-pub.com/category/nature-science/syousai2013.html>

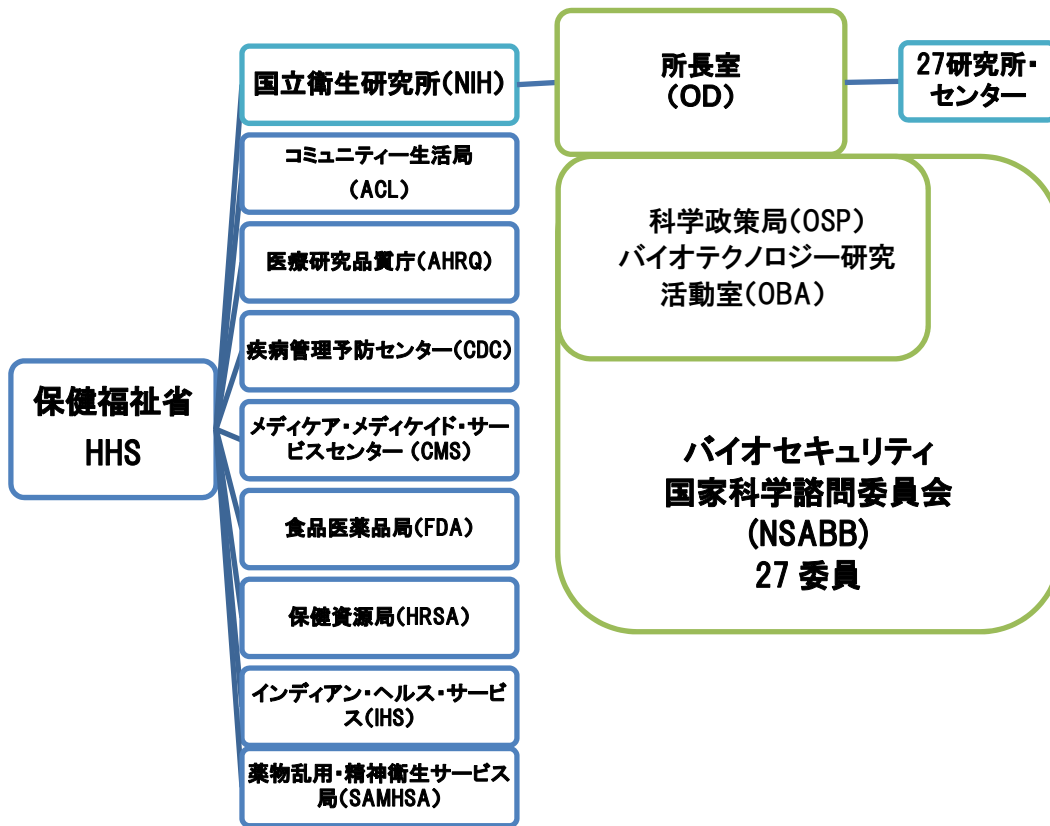
<sup>124</sup> About NSABB: [http://oba.od.nih.gov/biosecurity/about\\_nsabb.html](http://oba.od.nih.gov/biosecurity/about_nsabb.html)

<sup>125</sup> 科学のデュアルユースに関する検討報告: <http://www.sci.go.jp/ja/info/kohyo/pdf/kohyo-22-h166-1.pdf>

<sup>126</sup> ライフサイエンス研究の将来性ある発展のためのデュアルユース対策とそのガバナンス体制整備:

<http://www.jst.go.jp/crds/pdf/2012/SP/CRDS-FY2012-SP-02.pdf>

【図表 45】米バイオセキュリティ国家科学諮問委員会の組織図



デュアルユース問題を効果的に議論するため、省庁横断型の委員構成となっている。

## 10 米国ライフサイエンス・臨床医学分野における研究開発のまとめ

ここまで、NIH 組織概要、ライフサイエンス・臨床医学研究推進に関する取り組みと課題、そしてその成果に注目してきた。年間 300 億ドルを超える予算を有し、多様なグラント・プログラムと臨床施設を駆使し、NIH は保健医療に関する米国の国家利益の体現を常に目指してきた。その歴史は、NIH 発の論文数、特許数というエビデンスに示されている。

しかし、NIH が直面する課題も大きい。政府が緊縮財政にある中、今後 5 年間の自動的歳出削減措置は、その他の連邦機関と例外なく NIH にも適用される。その中で、肥大化した NIH 組織の効率的な管理、研究者によるグラント採択率低下（特に若手研究者の採択率の低下）、臨床研究費の増加、そして最先端のライフサイエンス・臨床医学分野における分野横断型研究の必要性への対応など、NIH が直面する課題群の解決は容易ではない。

近年の NIH の改革には、そのような背景が色濃く反映されている。そこでは、NIH がリーダーシップを発揮し、時には議会が国立科学アカデミー（NAS）に調査・提言を要請し、それらの政策実施を通じて国家が一丸となり NIH 改革を進めてきたことも前述の通りである。2006 年 NIH 改革法により、所長室（OD）の権限を強化し、科学的な管理評価委員会（SMRB）の設立を通じて組織改革を検討し、分野横断型の研究グラントである共通基金（CF）を OD 直轄の戦略室に設置し、ハイリスク研究を主導している。

特にその関係で重要なのが、2012 年に設立された新組織 NCATS であり、大学、企業、そして臨床現場が橋渡し研究において協力可能なプラットフォームの整備を行なうために CTSA プログラムを管轄していることも紹介した。ここでは、分野横断型の基盤技術・研究モデルを構築し、多くの NIH 研究所・センターが協力的に利用可能な取り組みを目指している。NCATS は CTSA プログラムのほかにも、CAN におけるドラッグ・リポジショニングなど、これまで NIH や企業が持っているリソース（化合物ライブラリ）も最大限活用し、橋渡し研究を進める姿勢が確認できた。そして、分野横断研究と橋渡し研究を実現する際に欠かすことのできない、臨床試験の現場として、臨床センターの所外研究者への開放や若手研究者の教育が 2012 年以降進んでいる。

政府としても、2017 年までの予算削減措置の実施が決定されているにもかかわらず、2017 年までの SBIR や STTR といったベンチャー支援の予算割合の拡大を決定し、緊縮財政の中で、早期リスク型研究を国として支援する姿勢も示している。

このような重層的な組織改革を経て、NIH は次世代のライフサイエンス・臨床医学研究を進める努力を続けている。今後、NIH がどのような研究開発分野に注目し、戦略計画を立てているのかは、次章で紹介する。

## 11 米国ライフサイエンス・臨床医学分野における今後の連邦戦略計画

本章では、今後 NIH の研究所・センターがどのような戦略計画の下に研究開発を進めていくのか、その動向に注目する。2006 年の NIH 改革法によって、NIH 所長による議会への隔年報告書の提出が義務付けられているが<sup>127</sup>、その中には、各 NIH 研究所・センターによる戦略計画が添付されている<sup>128</sup>。これらの戦略計画は、NIH ポートフォリオ・オンライン報告ツールのウェブサイトにより、「NIH 戦略計画とビジョン」でも示されている<sup>129</sup>。これらの戦略計画の公表年度は各研究所で異なり統一されていないが、研究所・センターによっては、5 カ年・10 カ年計画など、比較的中・長期的な研究計画を示している（図表 46）。

また、米国におけるライフサイエンス・臨床医学分野の戦略動向をより包括的に俯瞰するため、医療分野（NIH）に加え、基礎生命科学分野およびグリーン分野における連邦機関の研究開発戦略動向にも注目する。基礎生命科学分野に関しては、全米科学財団（NSF）、そしてグリーン分野に関してはエネルギー省（DOE）、農務省（USDA）、海洋大気庁（NOAA）、環境保護庁（EPA）、並びに地質調査所（USGS）の公式報告書を参照する（図表 47）。

ここで紹介されている研究開発分野は、全ての連邦機関が実施を目指すライフサイエンス・臨床医学研究を網羅しているわけではないが、将来の米国における重点投資の特徴を把握する目的で情報を紹介する。また、これらの戦略報告書の特徴として、個別具体的な研究テーマを紹介している報告書がある一方、研究内容ではなく政策的取り組みを紹介している報告書もあり、その様式は各報告書によって異なる。

ライフサイエンス・臨床医学分野の今後の戦略計画のトレンドとして、各研究所において引き続き基礎研究を重要視しつつも、得られた成果を着実に社会へ還元するために橋渡し研究（臨床試験も含む）への取り組みも加速させている。特に、異なる疾患に関する遺伝子要因、バイオマーカーの同定、動物モデルの開発、ヒト臨床への応用、疫学及び行動科学アプローチの利用などを通じて、新規治療法の開発を計画している。また、ゲノム技術や、ビッグデータなど、分野横断研究に不可欠な基盤技術の利用といった技術的なトレンドがそれぞれの戦略報告書で示されている点も重要である。これらを支える政策面としては、2006 年の NIH 改革法の影響もあり、分野横断型の研究の実現に向けた組織改革や研究プログラムの設置などが研究所・センターの個別戦略目標にも反映されている。特に、臨床センター（CC）の所外研究者への施設の開放、橋渡し加速のための NCATS における CTSA プログラムとの協力の重要性が示されており、NCATS の戦略目標においても CC 並びに、創薬プロセス加速の目的で FDA との連携が重要視されている。

また、ライフサイエンス・臨床医学分野のみならず、分野横断型研究の政策的重要性と、それを支える基盤技術の利用は、グリーン分野においても欠かすことのできない今後の戦略目標となっている。モデル植物・モデル微生物を用いた分子・生化学的機能、代謝経路群、タンパク質間相互作用、細胞内局在性に関する理解を深め、同時に解析データを統合し、データベースの基盤整備が重要視されている。政策面では、米国内の環境・生態系に限定せず、エコシステムに関する研究開発を実施するための国際協力が提言されている。

<sup>127</sup> Biennial Report of the Director NIH FY 2010&2011: <http://report.nih.gov/biennialreport/>

<sup>128</sup> Biennial Report of the Director NIH FY 2010&2011 Appendix B Priorities and Plans for the IC Program Offices in the Office of the Director: [http://report.nih.gov/biennialreport/appendices/NIH\\_Appendix\\_B.html](http://report.nih.gov/biennialreport/appendices/NIH_Appendix_B.html)

<sup>129</sup> NIH Strategic Plans and Visions: <http://report.nih.gov/strategicplans/index.aspx>



【図表 46】 NIH の主な研究所の戦略計画・プログラム（ライフ・臨床医学分野）

NIH 研究所	戦略計画・プログラム
国立がん研究所 (NCI)	『がんによる苦痛と死の廃絶に向けた NCI 戦略計画』 (2006) <sup>1</sup> 『国立がん計画：国家の研究ポートフォリオ管理』 (2013) <sup>2</sup>
国立アレルギー・感染症研究所 (NIAID)	『NIAID：21 世紀への計画（更新版）』 (2008) <sup>3</sup> 『発見の最前線：NIAID ポートレイト』 (2009) <sup>4</sup>
国立心肺血液研究所 (NHLBI)	『未来研究の計画：NHLBI 戦略計画』 (2007) <sup>5</sup>
国立総合医科学研究所 (NIGMS)	『発見への投資：NIGMS 戦略計画 2008-2012』 (2008) <sup>6</sup>
国立糖尿病・消化器・腎疾病研究所 (NIDDK)	『糖尿病研究の進展と機会：戦略報告書』 (2011) <sup>7</sup>
国立神経疾患・脳卒中研究所 (NINDS)	『戦略的プライオリティと原則』 (2010) <sup>8</sup>
国立精神衛生研究所 (NIMH)	『NIMH 戦略計画』 (2008) <sup>9</sup>
国立老化研究所 (NIA)	『21 世紀における長寿と健康：老化研究戦略目標』 (2007) <sup>10</sup>
国立環境衛生科学研究所 (NIEMS)	『2012-2017 戦略計画：科学の進歩と医療の改善：環境衛生科学研究戦略計画』 (2012) <sup>11</sup>
国立ヒトゲノム研究所 (NHGRI)	『基礎から臨床へ：ゲノム医療の進路変更』：Nature 誌、Vol. 470 (2011) <sup>12</sup>
国立画像生物学・生物工学研究所 (NIBIB)	『戦略計画：現在のビジョン、明日のヘルスケア』 (2012) <sup>13</sup>
国立関節炎・骨格・皮膚疾患研究所 (NIAMS)	『NIAMS 長期計画 2010-2014：科学を通じた医療の改善』 (2010) <sup>14</sup>
国立先進トランスレーショナル科学研究所 (NCATS)	『NIH における CTSA プログラム：臨床及び橋渡し研究推進の機会』 (2013) <sup>15</sup> 『発見の加速：研究室から臨床へ進捗報告書 2009-2011』 (2011) <sup>16</sup>
臨床センター (CC)	『臨床センター戦略年次運用計画』 (2013) <sup>17</sup> 『NIH 臨床センター：所長年次報告書』 (2013) <sup>18</sup>
国立医学図書館 (NLM) 所長室 (OD)	『NLM 長期計画 2006-2016』 (2006) <sup>19</sup> 『共通基金戦略計画報告書 2013』 (2013) <sup>20</sup>

1. The NCI Strategic Plan for Leading the Nation to Eliminate the Suffering and Death Due to Cancer: [http://strategicplan.nci.nih.gov/pdf/nci\\_2007\\_strategic\\_plan.pdf](http://strategicplan.nci.nih.gov/pdf/nci_2007_strategic_plan.pdf)
2. The National Cancer Program: Managing the Nation's Research Portfolio: [http://www.cancer.gov/aboutnci/budget\\_planning\\_leg/plan-archives/NCI\\_Plan\\_2013.pdf](http://www.cancer.gov/aboutnci/budget_planning_leg/plan-archives/NCI_Plan_2013.pdf)
3. NIAID: Planning for the 21st Century: <http://www.niaid.nih.gov/about/whoWeAre/Documents/niaidstrategicplan2008.pdf>
4. The Edge of Discovery A Portrait of the National Institute of Allergy and Infectious Diseases: <http://www.niaid.nih.gov/about/whowere/documents/niaidedge.pdf>
5. Shaping the Future of Research: A Strategic Plan for the National Heart, Lung, and Blood Institute: [http://www.nhlbi.nih.gov/about/strategicplan/documents/StrategicPlan\\_Plain.pdf](http://www.nhlbi.nih.gov/about/strategicplan/documents/StrategicPlan_Plain.pdf)
6. Investigating in Discovery National Institute of General Medical Sciences: Strategic Report 2008-2012: <http://publications.nigms.nih.gov/strategicplan/strategicplan.pdf>
7. Summary and Future Research Directions: [http://www2.nidDK.nih.gov/NR/rdonlyres/8462F598-A916-437E-BC29-2902BECC7844/0/DSP2011\\_1\\_SummaryFutureDirections\\_508.pdf](http://www2.nidDK.nih.gov/NR/rdonlyres/8462F598-A916-437E-BC29-2902BECC7844/0/DSP2011_1_SummaryFutureDirections_508.pdf)
8. NINDS Strategic Priorities and Principles: [http://www.ninds.nih.gov/about\\_ninds/plans/Strategic\\_Plan\\_2010.pdf](http://www.ninds.nih.gov/about_ninds/plans/Strategic_Plan_2010.pdf)



9. NIMH Strategic Plan:  
<http://www.nimh.nih.gov/about/strategic-planning-reports/nimh-strategic-plan-2008.pdf>
10. Living Long and Well in the 21<sup>st</sup> Century: Strategic Directions for Research on Aging:  
[http://www.nia.nih.gov/sites/default/files/strategic\\_plan108.pdf](http://www.nia.nih.gov/sites/default/files/strategic_plan108.pdf)
11. 2012–2017 Strategic Plan: Advancing Science, Improving Health: A Plan for Environmental Health Research: [http://www.niehs.nih.gov/about/strategicplan/strategicplan2012\\_508.pdf](http://www.niehs.nih.gov/about/strategicplan/strategicplan2012_508.pdf)
12. Charting a Course for Genomic Medicine from Base Pairs to Bedside:  
<http://www.genome.gov/Pages/About/Planning/2011NHGRIStrategicPlan.pdf>
13. Today's Vision, Tomorrow's Health Care: The 2012–2016 Strategic Plan of the National Institute of Biomedical Imaging and Bioengineering:  
<http://www.nibib.nih.gov/about-nibib/strategic-plan/html#sp-content-index>
14. NIAMS Long-Range Plan for FY 2010–2014:  
[http://www.niams.nih.gov/About\\_Us/Mission\\_and\\_Purpose/long\\_range.pdf](http://www.niams.nih.gov/About_Us/Mission_and_Purpose/long_range.pdf)
15. CTSA Program at NIH: Opportunities for Advancing Clinical and Translational Research:  
[http://www.nap.edu/catalog.php?record\\_id=18323](http://www.nap.edu/catalog.php?record_id=18323)
16. Progress Report 2009–2011: [http://www.ncats.nih.gov/ctsa\\_2011/](http://www.ncats.nih.gov/ctsa_2011/)
17. 2013 National Institutes of Health Clinical Center Strategic and Annual Operating Plan:  
[http://clinicalcenter.nih.gov/about/\\_pdf/2013CCOperatingPlan.pdf](http://clinicalcenter.nih.gov/about/_pdf/2013CCOperatingPlan.pdf)
18. NIH Clinical Center Director's Annual Report: No Other Hospital Like It:  
[http://www.cc.nih.gov/about/profile/pdf/Profile\\_2013.pdf](http://www.cc.nih.gov/about/profile/pdf/Profile_2013.pdf)
19. NLM Long Range Plan 2006–2016:  
<http://www.nlm.nih.gov/pubs/plan/lrp06/report/planfor20062016.html>
20. Common Fund Strategic Planning Report 2013:  
[https://www.commonfund.nih.gov/pdf/Rnd2a\\_2013\\_Strategic\\_Planning\\_Rept\\_NIH.pdf](https://www.commonfund.nih.gov/pdf/Rnd2a_2013_Strategic_Planning_Rept_NIH.pdf)

【図表 47】米国の主な連邦機関の戦略計画・プログラム（ライフ基礎・グリーン分野）

連邦機関	戦略計画・プログラム
全米科学財団 (NSF)	『発見とイノベーションを通じた国家の強化：NSF 戦略計画 2011–2016 』(2011) <sup>1</sup>
エネルギー省 (DOE)	『ゲノム科学のための DOE 統合ゲノム戦略計画 』(2012) <sup>2</sup> 『気候・環境科学局戦略計画』(2012) <sup>3</sup>
農務省 (DA)	『戦略計画 2010 – 2015』(2009) <sup>4</sup>
海洋大気庁 (NOAA)	『NOAA 次世代戦略計画』(2010) <sup>5</sup>
環境保護庁 (EPA)	『戦略的持続可能性実施計画 2010–2020』(2012) <sup>6</sup>
地質調査所 (USGS)	『明日の課題への挑戦：2007–2017USGS の十年』(2007) <sup>7</sup>

凡例：赤（ライフ・グリーン基礎研究）、緑（グリーン分野）

注：NSF はライフ・グリーン両分野の基礎研究を実施している。

1. Empowering the Nation through Discovery and Innovation: NSF Strategic Plan for FY 2011–2016:  
[http://www.nsf.gov/news/strategicplan/nsfstrategicplan\\_2011\\_2016.pdf](http://www.nsf.gov/news/strategicplan/nsfstrategicplan_2011_2016.pdf)
2. DOE Joint Genome Institute Strategic Planning for the Genomic Sciences Workshop Report:  
[http://science.energy.gov/~media/ber/pdf/DOE\\_JGI\\_StrategicPlanningWkshp.pdf](http://science.energy.gov/~media/ber/pdf/DOE_JGI_StrategicPlanningWkshp.pdf)
3. DOE Biological Environmental Research Climate and Environmental Science Division Strategic Plan: <http://science.energy.gov/~media/ber/pdf/CESD-StratPlan-2012.pdf>
4. Strategic Plan 2010–2015: <http://www.ocfo.usda.gov/usdasp/sp2010/sp2010.pdf>
5. NOAA's Next-Generation Strategic Plan Version 4.0:  
[http://www.nmfs.noaa.gov/ocs/mafacc/meetings/2010\\_06/docs/next\\_generation\\_strategic\\_plan.pdf](http://www.nmfs.noaa.gov/ocs/mafacc/meetings/2010_06/docs/next_generation_strategic_plan.pdf)
6. EPA Strategic Sustainability Performance Plan FY 2010–2020:  
[http://www.epa.gov/greeningepa/documents/sspp2012\\_508.pdf](http://www.epa.gov/greeningepa/documents/sspp2012_508.pdf)
7. U.S. Geological Survey Science in the Decade 2007–2017:  
[http://pubs.usgs.gov/circ/2007/1309/pdf/C1309Text\\_508.pdf](http://pubs.usgs.gov/circ/2007/1309/pdf/C1309Text_508.pdf)

## 11.1 NIH の主な研究所の戦略計画・プログラム

国立がん研究所 (NCI) 『がんによる苦痛と死の廃絶に向けた NCI 戦略計画』(2006)  
『国立がん計画：国家の研究ポートフォリオ管理』(2013)

### がんのリスク要因と発症メカニズムの解明

- 遺伝的感受性とがん発症メカニズムの完全な理解
- がんの発症と進行に関係するマクロ環境の同定と理解
- がんの再発に関係するマクロ環境の同定と理解
- がんのリスク要因：行動要因、環境要因、遺伝要因、エピジェネティクス要因と、それらの相互作用の理解
- がんの発症と進行メカニズム、及び、診断と治療に与える影響の統合的な理解
- がんのリスク要因とその生物学的メカニズムの理解、及び診断技術開発
- がんとその他のヒト疾患の関係の解明

### がんの予防促進

- 効果的ながん予防の基盤となる生物学的な理解に資する、学際的なシステムアプローチの開発
- 禁煙、食生活改善、運動、体重管理、がん診断、そして、過度のアルコール摂取の回避に注目した、がんのリスクを低減する行動学的アプローチの開発と試験研究
- がんのリスク要因に対する生活環境への政策的介入の効果研究
- がんの発症と進行を抑制する治療法の開発
- 発がん性物質やその他のがんリスク要因と、エピジェネティクスとの関係についての定期的・体系的評価方法の開発と支援
- 公衆衛生および臨床現場における、エビデンスに基づいたがん予防法の導入を加速するための、新たな知見や成功事例の展開
- エビデンスに基づく予防法の、宣伝・普及プログラムに関する評価システムの開発と推進
- がん予防の研究と教育に必要な原則、方法論、実践法に関する科学者・臨床医・医療従事者のスキル向上

### 早期発見と診断法の改善

- 橋渡し研究の全範囲をカバーする、積極的な研究推進
- 早期診断バイオマーカーの科学的エビデンスを構築するための学際的研究の推進
- がん診断が最も必要な患者の発見に資する、がんリスク要因に関する統計データの構築
- 診断検査法の開発と研究者教育の提供
- 早期発見、リスク評価、再発に関するより良い診断・検診技術の開発
- がん研究者コミュニティに対する研究結果の公開
- 研究開発を通じて構築された科学的エビデンスの、公衆衛生・臨床現場への橋渡し

### 効果的で効率的な治療方法の開発

- がんの転移における分子・細胞の決定因子の同定
- がんの診断、転移、治療反応、進行に関するバイオマーカーの同定
- 前臨床・臨床研究の統合による、がん治療の潜在的ターゲットや治療戦略の特定、開発並びに試験研究の実施
- がん治療におけるバランスの良い毒性管理方法の開発

- 最も有効な治療法の優先的な発見、臨床試験の迅速な実施、臨床医による情報とリソースの活用を可能にする臨床試験インフラの統合

#### がん闘病の理解促進

- 標準化されたがん治療結果測定法の開発
- がん治療と転帰への影響に関する研究データベースの構築
- がんの転帰に影響する行動・社会・文化的要因の理解
- がん治療アクセスに影響する社会要因の理解
- がん転帰研究を支援する持続的なコミュニティ基盤の構築
- 多様な患者集団、医療従事者、並びに国民による、エビデンスに基づいたがん治療の推進と研究成果の普及

#### がん治療の質の向上

- がん治療法と治療結果に関する科学的エビデンスの活用促進
- 将来の研究開発に有益な情報提供および臨床に有用な、先進的な電子医療データシステムの整備
- 症状管理と緩和ケア研究による、終末期の患者と生存者の QOL 改善への橋渡し
- 連邦、州、並びにプライベートセクターにおけるがん治療の意思決定に際して、最も優れた科学的エビデンスによる治療法の評価を実現するための情報提供
- 患者に対する、がん予防、治療、並びにフォローアップに関する情報提供
- がん治療の質向上に向けた取り組み評価方法の基盤強化

#### がん患者・生存者・家族の QOL 向上

- 疾患・治療・回復への反応に影響を与える生物的、物理的、心理的、社会的要因の相互作用の理解の促進
- がん治療を通じた患者と家族の QOL 評価法の開発とその利用の拡大
- がんによる後期疾病率・死亡率を低減する治療法の研究開発の加速
- 患者と家族の医療ニーズを充足するための新情報、治療法、成功事例の確実な提供

#### がん医療格差の是正

- がん医療格差の原因解明
- 十分ながん医療サービスを受けていない患者集団との協力を通じ、患者集団ごとの個別的な医療ニーズをターゲットとした介入方法を開発
- 十分ながん医療サービスを受けていない患者集団に対するがん医療サービスの強化に向けた、基盤的知識の提供と介入法の開発
- がん医療の格差に効果的な対応が可能な研究者と臨床医のトレーニング
- 十分ながん医療サービスを受けていない集団に対して、革新的かつ教育的で、文化的に妥当な方法で、研究成果の普及を実施
- がん医療格差の低減と廃絶における医療政策の役割評価

国立アレルギー・感染 『NIAID：21世紀への計画（更新版）』（2008）

症研究所（NIAID） 『発見の最前線：NIAID ポートレート』（2009）

#### 基礎免疫学

- 免疫細胞の生化学と構造生物学、新生児・小児免疫システム、粘膜免疫学、先天性免疫システム

#### 遺伝的要因による免疫不全疾患

- 遺伝的要因による免疫不全疾患全患者の登録
- 免疫疾患患者への分子診断法の導入推進

- 免疫疾患に関する未発見の遺伝子・染色体位置の同定

#### 移植

- 免疫寛容と免疫移植片拒絶・異種移植・移植片拒絶の関係の理解、サロゲート（代理）バイオマーカーの同定

#### 喘息とアレルギー性疾患

- 免疫グロブリン E 阻害寛容原性と関連アプローチの開発
- アレルギー・喘息性炎症における、サイトカイン・ケモカイン発現、並びに、T 細胞発生調節に関する研究
- アレルギー・喘息炎症における細胞内のシグナル経路の同定、喘息・アレルギー疾患の一次的予防

#### 免疫寛容

- 複数研究機関による共同研究の加速に向けた新臨床試験インフラの構築
- 非ヒト霊長類での臨床研究、基礎研究の加速

#### 自己免疫疾患

- 免疫疾患ワクチン、自己免疫疾患の臨床試験、自己免疫遺伝子、性別と免疫
- 自己免疫疾患の環境要因と感染性因子、免疫反応と神経内分泌免疫の相互作用

#### 効果的なヒトワクチンの免疫学的根拠

- 感染症に対する防護免疫、ワクチンアジュバントと免疫刺激戦略の理論的デザイン、慢性感染症治療ワクチン、媒介性免疫疾患用ワクチンの開発

#### 慢性的な免疫介在性感染症の理解

- 疫学、疾患初期の研究

#### 疫学

- HIV のリスク要因と感染メカニズムの理解
- 循環器疾患、糖尿病、代謝性合併症、日和見感染、並びに、その他の感染症との併存疾患などの、健康転帰の発生率と有病率の同定
- HIV 感染、症状の進行、並びに免疫反応への感受性に関する宿主遺伝子の役割の同定
- 薬剤耐性 HIV 有病率と疾患との関係の理解
- 治療を受けた患者の疫学データと、国内・国際的な人口集団における、感染症の罹患率、死亡率のデータの比較を通じた、治療効果の評価および予防的介入の必要性の検討

#### 病原性

- 感染の初期ターゲット部位、ウイルスの遺伝子系・表現型、並びに、HIV 感染に必要な被ばく量の理解
- 細胞・組織群における HIV 持続性メカニズム、潜伏ウイルスの再活性化メカニズム、並びに感染性の低レベルウイルス複製の影響の定義
- 直接的・間接的な T 細胞枯渇メカニズムの解明と免疫再構築
- 成人・小児治療における代謝異常の原因論と病態生理学

#### 治療

- 前治療の HIV 患者のための抗レトロウイルス剤投与法の最適化
- 組織群および潜伏感染した細胞における、HIV の発現を阻害する化合物・治療戦略の開発と評価

#### ワクチン

- 成人、新生児、胎児の HIV 防護免疫メカニズムと宿主防衛メカニズム、並びに免疫反応の評価法の開発
- 個別別的もしくは複合的な新ワクチン戦略の開発と試験研究

- 治療を受けた患者の疫学データと、国内・国際的な人口集団における、感染症の罹患率、死亡率のデータの比較を通じた、治療効果の評価および予防的介入の必要性の検討

#### 非ワクチン予防戦略

- HIV 用殺ウイルス剤、体系的な抗レトロウイルス剤などの予防戦略の選択
- 血液、組織、その他の液体の封じ込めに関する研究
- 発展途上国・先進国において、母体から胎児への HIV の垂直感染の抑止と、母乳・非母乳集団における介入戦略の検討

#### 微生物学とベクター生物学

- 微生物がより高い病原性を獲得する、適応メカニズムの研究
- 分子進化や宿主の範囲に関する遺伝的根拠、毒性の遺伝的根拠、微生物間相互作用・微生物競争・宿主病原性相互作用の影響、新規遺伝要因の獲得

#### 診断と発見

- サーベイランスとスクリーニングに用いる遺伝子プローブの開発に資する、大規模微生物ゲノム解析プロジェクトの支援
- 微生物や病原性因子に対する血清反応や、T 細胞プロファイリングといった新手法を用いた、病原体同定の間接的評価法の開発

#### 治療

- ウイルス性、細菌性、そして寄生性病原体機能に不可欠な分子メカニズムと生物化学経路の探索研究
- 微生物生理学、比較医療、ゲノミクス、バイオインフォマティクス、並びに、医療技術の橋渡し（例：臨床疫学、臨床試験、生物統計学）に関する教育の推進

#### 薬剤耐性・殺虫剤抵抗性

- 薬剤耐性の分子的根拠の同定とサーベイランスに用いる診断技術の開発、新治療と予防戦略の研究開発支援を目的としたゲノム研究の拡大
- 薬剤耐性の進行、もしくは発生しうる局所管理法の効果を評価するための疫学・モデル研究の推進

#### グローバルヘルス

- 潜伏、並びに再活性化のメカニズム研究
- 病原体分子擬態や抗体変異といった宿主免疫の回避メカニズムに関する研究

### 国立心肺血液研究所 『未来研究の計画：NHLBI 戦略計画』（2007） (NHLBI)

#### 研究テーマ

- 健康・疾患に関する分子メカニズムの解明
- 臨床的に意義のある疾患サブタイプの選定や、予防と診断へ応用できる分子ターゲットが特定可能なバイオマーカーの発見
- 基礎研究から臨床研究・臨床試験への橋渡しを加速し、臨床研究で得られた科学的知見を再び基礎研究へフィードバック
- 心疾患、肺、並びに血液疾患に関する早期かつ正確なリスク層別化と診断の実現
- 心疾患、肺、並びに血液疾患に関するオーダーメイド予防法、及び発症後の治療法の開発

#### 基盤的な科学研究の実施とアクセス支援

- ゲノミクス、プロテオミクス、化学、及び RNAi スクリーニング、小動物イメージング、その他の技術に関する研究開発と、研究コミュニティに対する支援



- 大規模再解析プロジェクトで利用可能な、より安価な新型 DNA シークエンシング法の採用

#### 新技術・器具・リソースの開発

- ゲノミクス、プロテオミクス、メタボロミクス、バイオインフォマティクス（特に統合的シミュレーション技術）、対象のレベルに応じたイメージング標識化（動物全身、細胞、並びに特定分子レベルにおける研究）、ナノ技術、細胞工学、ノックアウト・ノックイン・ノックダウン動物モデル、並びに、遺伝子・細胞治療に関する研究開発

#### NHLBI による集団データベースと結果研究の活用

- 表現型データの共有に利用可能な用語体系と、情報学の水準設定
- 複合的疾患の横断的研究に必要なデータの収集・分類・共有フォーマット化

#### 臨床研究のための研究リソースの共同開発と拡張

- 疾患重視の研究推進と、橋渡し研究の加速に必要な研究リソースの開発
- 有望な橋渡し研究及び臨床研究におけるネットワーク型アプローチの促進

#### 臨床研究のためのインフラ拡張

- 大規模臨床試験の実施に向けた優先課題の包括的な決定
- 個人研究者、専門家委員会、産業、その他の連邦機関（例：公的保険制度運営センター、FDA）、患者、並びに専門分野の医師を含む広範囲な利害当事者からアドバイスを収集

#### 分野横断的研究チームの設立と発展

- 臨床医や生化学者が、数学・物理学・工学といった定量的学問における専門知識を必要としており、NHLBI のミッション達成に向けて、全研究分野の横断的研究協力を推進

#### 人材開発と維持

- NHLBI と心臓・肺・血液研究コミュニティにおける、若手研究者の確保

#### 知識ネットワークを通じた基礎研究と医療の間のギャップ是正

- エビデンスに基づいた公衆衛生改善に向けた、研究者間の協力を推進する新たなネットワークアプローチの探索

### 国立総合医科学研究所 『発見への投資：NIGMS 戦略計画 2008-2012』（2008） (NIGMS)

#### 競争的研究資金への支援を通じた基礎医学研究事業の強化

- 医学研究におけるキャリアパスの支援
- 潜在的に高い医療効果が期待される、革新的ハイリスク医学研究の支援

#### より調整された研究プログラムを通じた、科学的需要と機会の創出

- 横断型・学際的研究を可能にするチーム型サイエンスの支援
- 科学者コミュニティにとって、価値・洞察・応用性の最も高い、大規模研究プログラムの開発

#### 包括的で効果的な科学技術人材の開発と教育の推進

- 参加型の医学研究を支援し、多様な若手研究者へのグラント機会の創出
- 将来の人材育成に向けてシステム化されたアプローチを導入し、政策と業務の両面において所内教育を実施し、人材の多様性を確保

#### 基礎研究事業の価値、要件、そして潜在的な効果に関する意識啓発と理解の促進

- 進歩する科学トレンドや新たな科学研究の機会に関する科学コミュニティとの開かれた対話を継続

- 基礎医学研究の価値とインパクトに関する国民の意識啓発と理解の促進

### 国立糖尿病・消化器・腎疾病研究所 (NIDDK) 『糖尿病研究の進展と機会：戦略報告書』 (2011)

#### 1 型糖尿病、2 型糖尿病、肥満、並びにそれらの合併症の遺伝的根拠

- 遺伝と経路、遺伝子間相互作用、遺伝子・医療格差
- 疾患リスクのエピジェネティクス要因、遺伝子研究の橋渡し、薬理遺伝学/薬理ゲノム学

#### 多元的疾患としての 2 型糖尿病

- 2 型糖尿病遺伝子と環境相互作用の理解、糖尿病の代謝・ホルモン調節
- 炎症と小胞体ストレス、インスリンシグナルとグルコース代謝への影響
- ミトコンドリア代謝、グルコース恒常性における栄養素の役割、過剰栄養メカニズムと組織機能不全
- 代謝管理における新要素：脳と消化管の役割、分子表現型による 2 型糖尿病サブタイプの定義

#### 1 型糖尿病と自己免疫

- ヒト 1 型糖尿病試験（予防/反転/移植）、1 型糖尿病におけるベータ細胞機能：自己免疫攻撃と回復の可能性、ヒト 1 型糖尿病の自然史と原因論
- 原因論から治療への動物モデル・橋渡し研究、膵臓病変の免疫メカニズム

#### 肥満

- 肥満、炎症、インスリン抵抗性、マクロファージ機能、熱発生に関する中枢神経管理
- 肥満感受性の遺伝的・子宮内決定因子の同定
- 脂肪組織生物学、肥満防止と治療、臨床研究技術の改善

#### β 細胞

- 統合的な膵島生理学、β 細胞機能不全、糖尿病予防・治療
- 糖尿病の細胞補充療法、膵島イメージング

#### 臨床研究と臨床試験

- 2 型糖尿病の予防、糖尿病原因論とその複雑性、治療、合併症

#### 糖尿病合併症

- 代謝・生物化学・シグナル経路、ジェネティクスとエピジェネティクス
- 組織・内臓システム損傷、組織修復と再生
- バイオマーカー、イメージング、並びにバイオインフォマティクス

#### 高血糖症治療改善に向けた、生物工学的的手法による人工膵臓の開発

- グルコースセンサー、遠隔治療、
- *In Silico*/シミュレーションモデルによるアルゴリズム開発
- インスリン輸送・処方設計の改善、組織工学による膵島交換、糖尿病の病態生理学
- 行動学的特徴臨床試験と臨床転帰のデザイン

#### 民族特定型研究の需要

- 民族格差、妊娠と子宮内環境、小児・若年者糖尿病、高齢者糖尿病
- 異なる民族集団における糖尿病と精神疾患の理解

#### 臨床研究と医療：橋渡し研究

- 2 型糖尿病の予防、糖尿病臨床ケア、患者中心の治療、医療格差、ケアシステム

#### 糖尿病対策のリソースとインフラ需要

- 研究トレーニングと人材開発、糖尿病研究リソース、新技術、方法論、研究評価

- 糖尿病・肥満研究の動物モデル、ヒトのデータと生体試料の流通と共有、官民間国際パートナーシップ

### 国立神経疾患・脳卒中 『戦略的プライオリティと原則』 (2010) 研究所 (NINDS)

#### 神経疾患内・間における、主要な科学的テーマと公衆衛生上の需要を発見するためのデータ駆動型研究アプローチの構築

- 科学的機会の体系的な評価法として、疾患マップの試験的作成
- 疾患マップを用いた公衆衛生上のインパクト、未達成の科学的機会、現行の研究、そして、NIH やその他の機関が管轄する特定の疾患や関連する神経疾患に関する時系列データの体系的な収集と分析
- 現在の生物学的理解に基づき、神経疾患をダイナミックに分類・分析する新手法の開発（例：複数の疾患に横断的に共有されるメカニズムの同定は、新たな共同研究の潜在的なシーズとなる）
- 提案された臨床試験の潜在的な公衆衛生のインパクトを予測するコンピュータモデルの開発

#### 研究リソースと、新発見をもたらす技術進歩の支援

- 血液脳関門を横断した治療を実施可能な効果的な方法論の開発を通じた、多くの神経疾患治療に対する新規治療法の可能性を開拓
- 有望な低分子化合物の研究利用を促進する医薬品化学
- 動物モデルによるヒト疾患の新たな理解の促進と医療技術開発
- 創薬・臨床試験時に測定可能な方法としてのバイオマーカー

#### 国民及び医療研究者との交流と協力

- 国民と医療研究にかかわる官・民・非営利機関による横断的な関係の維持により、NINDS ミッションの達成を加速

#### 堅牢で多様な神経科学研究者の訓練

- 多様で良く訓練された労働力の確保

#### 全ての NINDS プログラムの継続的な評価・改善文化の醸成

- 新事業展開における論理的なプロセスの採用に加え、既存の全事業の効果を観察し、厳格な評価に基づいて、改正、修正、もしくは停止を決定
- たとえ現在成功している事業であっても、科学技術の環境変化に伴いその継続の見直しを実施

### 国立精神衛生研究所 『NIMH 戦略計画』 (2008) (NIMH)

#### 戦略 1：精神疾患の原因研究加速のための脳と行動科学における発見の推進

##### 精神疾患の理解の基盤となる、基礎的な脳機能の統合的な理解

- 精神疾患に最も関連の深い進行要因、構造的要因、神経経路機能に関する基礎的理解を深める研究の支援
- 脳領域内・間における神経細胞群の理解と、研究基盤技術の開発

##### 精神疾患にかかわる遺伝的要因及び環境要因の同定

- 精神疾患に関わる遺伝的多様性の定義
- 精神疾患に関わる遺伝的要因の生物学的理解

##### 精神疾患にかかわるバイオマーカーや行動指標の同定と統合

- 臨床研究に有効なバイオマーカーや疾患バイオマーカーを形成する行動指標（例：

遺伝子、タンパク質、脳イメージング、行動、もしくはそれらの組み合わせ)の統合化と最適化

- 異なる疾患ステージと回復ステージにおけるバイオマーカーと行動科学的指標の解明研究(例:発症と再発に関するバイオマーカー、リスクと回復に関するバイオマーカー)

#### 観察可能な行動と神経生物学的特徴に基づいて精神疾患を分類する新たな研究方法の開発

- 多くの疾患に関係する根本的な行動要素と、より神経科学に適したアプローチを特定するために、基礎分野から臨床分野までの専門家を集結する取り組みを開始
- 基礎研究と臨床現場で応用できる、精神疾患の根本的要因に関する有効な測定方法の開発

#### 戦略2:いつ、どこで、どのように介入するかを決定するための精神疾患の進行経路マッピング

##### 精神疾患の発展経路の定義

- 成長の異なる時期(胎生期から幼児期、幼児期から青年期、青年期から成人、成人から高齢期)と、リスク発生、症状、緩和、もしくは再発に対して脆弱な期間との関連性を決定
- 健康な成長や疾患リスク・発症に関する遺伝子的・神経学的・行動学的マーカーの同定と、疾患の進行、再発、鎮静、並びに回復の同定方法に関するマーカーと生物学的指標の研究

##### 精神疾患の発展経路に影響しうる文化的多様性の理解

- 疾患の異なるステージにおける行動、神経、並びに遺伝的マーカーの特定を行なう際、年齢、性別、人種、民族、その他の社会的要因も含めた、重要な変数の分析を行なう研究デザインの開発
- 異なる人種・文化集団間の遺伝的、環境、実験、社会行動学的差異に起因する疾患の予防・治療、または回復に与える影響の分析研究

##### 一生涯を通じた精神疾患のリスク要因・保護要因のより正確な定義と同定技術の開発

- 疾患の異なるフェーズにおける可変的なリスク要因の特定、及び、精神疾患の前兆候期、発症、再発、回復におけるリスク要因を理解するための、遺伝子、細胞、システム、行動、感情、社会関係、そして環境といった多様な関係因子の分析
- 疾患の軌跡を確実に変更し、リスク低減につながる革新的な介入法の開発と試験

#### 戦略3:精神疾患患者の多様なニーズと生活環境を考慮した、新しい介入方法の開発 介入研究における革新的技術とデザインの開発

- 異なる患者集団における治療への反応と副作用の緩和・予測要因(例:生物、遺伝子、行動、実験、環境要因)に注目し、新たな精神社会的・医学的治療法の試験的推進
- 疫学研究、並びに臨床研究データに基づいた革新的・包括的な介入研究のデザイン

##### 介入研究をオーダーメイド化するための研究視座の拡大と深化

- 治療効果の指標の作成にむけた、日常生活機能の評価、副作用の存在、並びに治療の順守・その他の回復の兆候といったより広い要素に注目
- 異なる集団(例:年齢、性別、人種、教育バックグラウンド)の異なる疾患に関する精神社会的、医療的介入研究の機能的効果の評価基準の開発

#### 戦略4:患者集団に対する介入実施アプローチと、介入による影響の評価を通じ、多様な事例において精神疾患の医療介入法を強化

- 疾患進行の初期段階から患者家族、親しいコミュニティ、医療提供者による意見を介入研究に反映



**オーダーメイド化された精神疾患治療同定と包括的な研究**

- 患者の意向を反映させた柔軟な精神社会的・医学的治療法の開発
- 異なる患者集団（例：異なる文化・人種・社会経済・年齢集団）に対する治療効果の改善に必要な介入方法の開発と、それらの安全性試験

**戦略5：NIMH 助成研究の公衆衛生上のインパクト強化****医療サービスへのアクセス、質、費用に影響する要因の理解と、新たに発見された効果的な精神疾患介入法の実施を促すような医療方法の開発**

- 異なる患者集団（例：年齢、性別、症状の段階、人種・民族集団、地方、都市部）に対して、最適な精神疾患治療を実施するための、新たな治療モデルと方法の研究開発と試験の実施
- 異なる利益当事者（例：納税者、患者、並びに医療サービス提供者）による医療サービスの利用に際した障壁と欠陥を特定し、より効果的な介入モデルの開発を補佐

**観察と評価を通じた、NIMH による研究と政策実施の改善**

- NIMH のミッションに沿った研究が推進されるように、機関の研究ポートフォリオの厳格な監督
- 医療サービスの利便性・満足度を評価するメトリクス・指標の開発と、異なる利益当事者に対する情報提供過程の監督

**NIMH と所外利害当事者グループとの関係強化**

- NIMH とその所外グループ（例：出資者、サービス提供者、患者、家族、患者の権利擁護集団、専門機関）との関係強化

**国立老化研究所（NIA） 『21世紀における長寿と健康：老化研究戦略目標』（2007）****健康な高齢化、福祉、長寿に関する研究の支援**

- 加齢のペースを決定する分子・細胞因子の発見
- 加齢による分子・細胞基盤の変化が機能低下や疾患に与える影響の解明
- 加齢、加齢変化、並びに疾患に影響を及ぼす、胎生期、生後早期、並びに環境要因の同定

**高齢者に見られる疾患と障害の、原因とリスク要因の解明の加速**

- 年齢に伴った疾患、健康状態、疾患の発症と進行のジェネティクス・エピジェネティクス根拠の発見
- 主要な加齢性疾患リスクを増加させ、病態の進行に伴って治療方法の変更を必要とするような加齢の分子的、遺伝的、並びに細胞要因に関する理解の促進

**基礎的な発見を新たな介入方法につなげるための橋渡し研究の奨励**

- 基礎研究における新知識から治療法の開発までの橋渡し機会の発見と最適化
- 所内研究者間、及び分野横断的な交流の推進

**健康と機能維持、そして、加齢に起因する疾患・失調・障害を予防・削減するための効果的な介入方法の開発**

- 高齢者の健康増進と安全な行動を促進するための費用対効果の良い研究開発
- 加齢性疾患・状態の発症の治療、予防、並びに進行遅延法の開発

**高齢者支援、孤立の削減と老人の虐待予防のための社会機能・人的機能の理解と研究開発戦略**

- 高齢者が社会的に重要な役割と独立性を担保できる方法論の発見
- 家族介護の社会経済的特徴に関する研究の実施、及び、家族・コミュニティにおける患者ケアの効果的な方法の開発と普及

**高齢者の健康と QOL を向上するための意識啓発の推進と医療介入法の導入**



- エビデンスに裏付けされた治療法と医療の進歩に関する健康コミュニケーションと意識啓発

- 異なる患者集団に対する適切な介入法とプログラムの開発

**脳の老化メカニズム解明： 通常の活動における認識の役割、感覚・信号伝達・感情・認知機能の保護的要因、並びにアルツハイマー病 (AD) の原因とその加齢によるその他の精神変性疾患**

- 通常に加齢に伴い発生する神経システムと行動の変化、そして、脳機能の維持と強化に関する理解の促進
- 遺伝子、分子、細胞、並びに環境因子が、高齢者の脳の健康と機能に与える影響を解明
- 労働環境、意思決定、並びに科学技術環境を含む生活における認知機能の役割の理解

**軽度認知症、AD を発症する集団と、通常の脳の老化を有する集団の分類方法の開発**

- 認知不全、軽度認知症、並びに AD の早期発見と、通常の認知的加齢から軽度認知障害と AD までの進行を理解するための神経イメージングと生物学的バイオマーカーの発見
- 認知機能の神経心理学的評価の改善

**年齢と認知・感情・感覚・神経伝達機能 と、AD の原因メカニズムの細胞・分子メカニズムに関する発見の、診断・治療・予防戦略への橋渡し**

- 橋渡し研究の加速
- 新規候補薬物と生物製剤の発見と前臨床開発の橋渡し研究の継続

**AD とその他の認知症を患う患者の特別な介護需要の理解と介入法の研究開発**

- AD やその他の認知症の家族や経済的負担に関する研究の実施
- AD 及び軽度認知症患者の治療と、医師や介護士の負担軽減戦略の開発

**人口の高齢化現象と、高齢者コホートの社会・経済・人口的特徴の変化が、米国その他の国における医療と福祉にもたらす影響の理解**

- 教育の効果とその他の社会的・人口的要因が高齢期の健康・福祉に与える影響の研究
- 家族構成の変化が健康・介護に与える影響評価

**社会的・経済的・保健制度がもたらす高齢者間の医療格差の理解と格差是正の介入**

- 疾患の負担と医療格差の理解を深めるアプローチとしての、国際的な比較や歴史研究の奨励
- 高齢期における健康・疾患の性別間での差異を理解するための、学際的な生物学的統計、医療システム、社会及び経済的分析の奨励

**一生を通じた社会・経済的要因の健康と福祉への影響の理解**

- 高齢者の健康と医療を改善するために、社会保険や医療保険システム(例：社会保障と医療)に関する研究を支援

**国立環境衛生科学研究 所 (NIEMS) 『2012-2017 戦略計画：科学の進歩と医療の改善：環境衛生研究戦略計画』 (2012)**

**根本的に共有されるメカニズムや共通の生物学的経路の発見と理解**

- ゲノム構造と機能に関する環境要因の研究
- 生物学的・病理学的なエピジェネティクス調節における環境要因の研究

**予防の促進と医療費の削減に向けた、環境要因を原因とする慢性・合併症に対する一生を通じた個人の感受性に関する基礎研究とコホート研究**

- 寿命を通じた環境暴露効果への感受性決定要因の理解
  - ヒトの寿命を通じた、環境要因に対する量的感受性の理解
- ヒト暴露に関する理解を深め、生物学的経路と暴露の関係性の統合的な医学研究**
- 暴露評価方法の改善により、個人・集団レベルにおける環境暴露の特徴化を推進
  - エクスポソーム (Exposome) 概念の定義と普及
- 複合的な環境暴露が疾病原因に与える影響の理解**
- 毒性と疾患における化学・非化学ストレス・栄養要素を含む複合的環境障害の評価、及び、それら複合的暴露の相互関係の評価
  - ヒトマイクロバイオームの役割と、その環境衛生への影響、及び、環境暴露に対する反応時のマイクロバイオームの役割の理解
- 地域的・世界規模でのヒトの健康に対する新たな環境脅威の同定と対応**
- 効果的な公衆衛生政策に関する情報の提供を実施し、環境衛生科学研究事業を推進
  - 自然・人口の環境的脅威へ適切に対応するため、公衆衛生パートナーと積極的に協働
- 異なる集団における不均衡な疾患リスクの理解と、公衆衛生における予防策の定義と提示に向けた、環境衛生上の不均衡に関する研究課題設定**
- 文化的能力を活用したコミュニティベースの参加型研究の実施
  - 臨床研究、研究倫理、結果公表などに関わる、環境衛生リスクの倫理的、法的、社会的影響の研究と教育
- 環境・健康・安全 (EHS) コミュニティにおける分野横断的な研究・分析・公表方法を推進するためのデータベース利用と協力的な研究環境の醸成**
- 分野横断型の環境衛生科学研究に応用可能なバイオインフォマティクス、生物統計学、並びにデータ統合技術の開発
  - 環境衛生データ分析・統合技術の開発と公的に利用可能なリソースへの投資
- 科学リテラシーの向上と環境暴露による健康被害に関する意識を啓発するために、幼稚園から専門家までの全てのレベルにおいて EHS 教育とトレーニングの強化**
- より良い健康意思決定に役立つ知識を全ての教育レベルで実施
  - 医師・看護師とのパートナーシップ強化による効果的な環境リスク教育戦略の実施と、教育者の育成
- 変革期にある環境衛生科学を進化させ、多様な科学分野と異なるバックグラウンドから次世代の EHS 指導者を教育するために、多様で高い技術のある科学者の中核を刺激**
- 環境衛生学において議論が不足している横断的研究の推進 (例：情報学、工学、生物行動学)
  - 分野横断的な人材の確保により科学基盤の多様化を推進
- 疾患と障害の予防を通じ、環境毒物への暴露を減少させる政策・施策・行動の経済的な評価の実施と、評価研究プログラムに対する投資**
- 環境暴露による疾患、そして暴露と疾患の予防的介入に関する理解を深めるため、環境衛生経済学における分野横断的研究と教育の実施
  - 衛生経済学の応用による NIEHS 投資の経済的利益と効果の評価

国立ヒトゲノム研究所 『基礎から臨床へのゲノム医療の進路変更』[Nature]Vol. 470 (NHGRI) (2011)

#### 戦略 1 : ゲノム生物学の理解

##### ゲノムデータの包括的カタログ

- 完全なデータセットの構築に向けた、ゲノムシーケンスの定義と解析

- 機能性ゲノムやプロテオームなど、異なるターゲットを利用した包括的なデータ構築

#### データスケールの拡大

- 包括的なデータセットの構築のための(1)大規模で分野横断的なデータの組織化、(2)高質で広範囲なデータ水準の確保、(3)コンピュータ機能の強化

#### 迅速なデータリリース

- 大容量データカタログと分析ツールの共有リソースとしての利用普及(国際化された方法で迅速なデータ発信を実現する政策が必要であるが、データ作成を行なう研究者や関係者の利益を保証することも重要となる)

#### 戦略2: 疾患生物学の理解

##### ゲノムに基づいた診断ルーティーンの実施

- 臨床医師によるゲノム診断知識(ゲノム、エピゲノム、トランスクリプトーム、マイクロバイオーム分析)の獲得や、血液化学診断のような定期的な診断を実現

##### 疾患の遺伝的要因の定義

- 希少なメンデル疾患から一般的な慢性疾患まで、100万人以上の患者のゲノム解析による一般的なゲノム多様性の特定を実現、そのために必要なサンプルの収集と患者の動員

##### がんゲノムの包括的な理解

- 全てのがんに関する包括的なゲノム情報と、個別のがんサブタイプに関する分子的分類と経路解析の理解

##### 臨床ゲノム情報のシステム化

- 疾患リスクと治療に関する数千のゲノム因子の研究

##### 健康・疾患時におけるヒトマイクロバイオームの役割

- 多くの疾患にかかわるヒトマイクロバイオーム群の研究

#### 戦略3: バイオインフォマティクスと計算生物学

##### 初・中等教育の強化

- ゲノム医療の可能性とリスクに関する中・初等教育カリキュラムレベルでの教育導入

##### 医療従事者のゲノム医療に関するスキル獲得

- 全ての医療従事者のゲノム医療に関する理解と、能力の強化

##### 次世代ゲノム研究者の教育

- バイオインフォマティクス・計算生物学を超えて、公衆衛生学、工学、人文学分野に対してゲノム医療の教育を実施

#### 戦略4: ゲノミクスと社会

##### ゲノミクス研究の心理社会的、倫理的問題

- 研究コホートの多様化、ゲノム研究における生物学的祖先マーカーと人種・民族性に注目
- 社会的に脆弱な集団(例: 子供、身体障害者)並びに故人のゲノム研究

##### ゲノム医療の心理社会的、倫理的問題

- 遺伝子検査からの直接的データ解析、ゲノム医療への公正なアクセス確保、ゲノムデータに基づく診断・治療効果の評価
- 行動学的変化をもたらす介入治療へのゲノム情報の利用

##### 法、公共政策上の問題

- ゲノムサービスの保険収載、遺伝子検査の規制、市販遺伝子検査の規制的・非規制的な方法
- 薬理遺伝学とゲノム治療法の規制

### 国立画像生物医学・生 工学研究所 (NIBIB) 『戦略計画：現在のビジョン、明日のヘルスケア』(2012)

複雑な医療問題の解決と健康の増進を目的に、工学と物理学・生命科学との融合により革新的医療技術を開発

- 研究者起案型グラントによるイメージング、工学、保健情報科学、学際科学研究の支援
- 生物学と工学の横断分野に注目する最先端所内研究の推進

焦点化技術、ワイヤレス、そして個人の医療情報技術を駆使し、患者中心の医療を実現

- 福祉の維持と慢性疾患の調和的な管理を実現するため、在宅・移動利用できるセンサーと関連情報技術の開発と改善
- ワイヤレス・モバイル医療技術の進歩と、医療情報システムと焦点化技術の統合
- オーダーメイド医療の実現に向けた、エビデンスに基づく情報収集

分子・細胞レベルでの疾患メカニズムの知識を医療診断・治療へ利用

- 疾患の分子・細胞マーカーの新たな探索モデル・技術の開発
- 疾患を詳細に分類するための正確なバイオマーカーの測定機器の開発
- 一細胞分析のためのイメージングと生物工学技術の開発

低コスト、効率的、そして万人に利用可能な医療技術の開発

- オーダーメイド医療を可能にする低コスト化研究の支援
- 異なる患者に利用可能な文化的に多様な医療技術の開発

多様な分野横断型研究を担う次世代科学者、生物工学者、医療提供者を教育し、これらの分野の研究価値を相乗的に推進

- チーム型の工学デザイン教育を、卒前・卒後の異なる教育レベルで実施
- 臨床・産業経験（医療規定・製品開発など）が必要な医療研究者への支援
- 物理・工学・生命科学の分野横断研究の重要性に関する国民の意識啓発

### 国立関節炎・骨格・皮膚疾患研究所 (NIAMS) 『NIAMS 長期計画 2010-2014：科学を通じた医療の改善』(2010)

戦略1：関節炎とリウマチ疾患：ジェネティクスとゲノミクス

疾患遺伝子と遺伝子産物の発見

- 疾患リスクを削減する遺伝子座同定の Genomewide Study (GWAS 研究と、異なる特徴を持つと考えられる遺伝子座の詳細なマッピングの追跡調査
- 次世代解析技術及びその他の新技術の応用による、通常変異、希少変異、並びにその他の構造的変異などの疾患を引き起こす変異の同定

遺伝的変異から、疾患の生物学的メカニズムの解明

- 遺伝子型・臨床データベースと大規模コホートの分析を通じた遺伝子発現プロファイリング、及び、複雑な疾患の特徴を説明するネットワークベースもしくは同様のアプローチの探索
- クローン化された量的形質遺伝子座の利用によるヒト疾患遺伝子メカニズムと表現型に関する研究に資するマウスにおける複雑な遺伝子分析

薬理学とオーダーメイド医療

- 医療効果と病原性に関し、個人レベルで薬物反応を生み出す遺伝子・ゲノム変化の同定と SNP 分析の実施
- 治療反応における変化に関する基本的メカニズムの解明と、治療標的の同定

戦略2：疾患メカニズム



### 免疫・炎症メカニズム

- TLRs、炎症、並びに、関連シグナル経路といった、自己免疫疾患の発症と進行に係る先天免疫システム要因に関する研究
- 炎症とリウマチ性疾患の先天的・後天的免疫システム間の交差調整の理解の促進 (例:1 型インターフェロン生産のための TLR 誘引による変異とプラズマサイトイド樹状細胞の活性化、TLR リガンド反応における TLR 発現、B・T 細胞の直接制御活性化)

### 標的器官損傷

- 免疫反応因子 (先天的・後天的) と、健康・病態時の標的組織・器官 (例:リウマチ性関節炎時の滑膜、ループス時の腎臓) との相互関係の理解
- 疾患を引き起こす自己抗体の特徴化と理解

### 痛み

- 集合的に慢性疼痛進行させる、抹消神経系、中枢神経系並びに炎症システム相互作用の研究
- 慢性疼痛引き起こす、一時的・恒久的な生化学変化及び解剖学的変化の同定

### 戦略 3 : 前臨床及び橋渡し研究

#### モデルシステム

- ゲノム規模研究 (GWAS 研究) とその他のヒト遺伝子研究により同定された病原メカニズムの機能的・機構研究に必要な動物モデルの開発
- 新たな動物モデルの構築と、遺伝子導入動物やその他の遺伝子改変動物モデルの利用による関節炎・リウマチ疾患の免疫・炎症メカニズムの研究

#### 治療法開発

- ループス、強皮症、強直性脊椎炎、並びに、その他の脊柱関節症の治療法開発
- 重篤疾患・組織損傷の進行に対する早期介入を視野に入れた、疾患修飾性抗リウマチ薬による、リウマチ性関節炎の効果的治療法の構築
- 関節炎、リウマチ疾患における免疫調節異常を標的とした治療戦略の構築

#### バイオマーカー

- 予後診断、治療、予防に関するオーダーメイド型の医療行為を行なうため、異なるバイオマーカーの情報セット (例:遺伝子・イメージング・血清・並びに患者報告データ) を統合するアルゴリズムを定義し、適切な人口集団においてテストを実施
- 遺伝素因、自己抗体、代謝産物、その他の表現型特徴の複合的利用による、発症前疾患予測バイオマーカーの開発

#### イメージング

- 細胞間相互作用や潜在的な疾患メカニズムに対する新たな洞察を加えることのできる、ウイルス内観察用の顕微法と改良型蛍光色素分子の利用
- バイオマーカーを用いるような、疾患予後・進行の機能性研究における非侵襲性可視化技術の利用

### 戦略 4 : 臨床研究

#### 疫学と公共医療サービス研究

- オーダーメイド化されたスクリーニングと早期介入・予防・リスク発見に資するヒト疾患経路の理解を目指した前臨床戦略の開発と試験研究
- 特定疾患と合併症の有病率に関する疾患の自然史と集団ベースでの疫学研究の統合的分析

#### 臨床試験

- ヒト疾患経路の理解と前臨床戦略の開発と試験研究によりオーダーメイド化されたスクリーニングと早期介入を補佐



**戦略4：皮膚生物学と疾患：生物学と皮膚病の遺伝****分子・細胞生物学**

- ・ 幹細胞、ケラチン生成細胞増殖と分化、毛胞と皮脂腺、メラニン細胞学と色素沈着経路、皮膚の神経内分泌と感覚機能

**進化生物学**

- ・ 細胞型特異性ノックアウトや過剰発現を含む、皮質の形成における特定遺伝子・制御経路と付属器官の研究に利用可能な動物モデルの開発
- ・ マイクロRNAや皮膚のエピジェネティクス変異を含む非コードRNAの研究に向けた高性能、全ゲノム関連技術の応用

**皮膚障壁構造と機能**

- ・ 皮膚透過障壁の構造と機能、アトピー性皮膚炎などの疾患における皮膚の老化の理解と、治療戦略の開発
- ・ アトピー性皮膚炎など、一般的な皮膚病における皮膚障壁欠損起因遺伝子の同定

**戦略5：免疫生物学と免疫介在の皮膚病****免疫器官としての皮膚**

- ・ 皮膚に内在する、もしくは皮膚を移動する、免疫応答性細胞に注目した活性免疫器官としての皮膚研究
- ・ 皮膚AMP（例： $\beta$  デフェンシン）の増加・減少インパクト、病態やワクチン利用時の皮膚マイクロバイオーームに関する研究

**炎症・免疫皮膚疾患**

- ・ 遺伝子研究、病理学

**戦略6：モデルシステムと治療法開発****モデル進化**

- ・ 動物モデル、*in vitro/in silico* モデル

**バイオ治療法及び低分子治療法**

- ・ 遺伝子レベルの研究結果の新規治療法への橋渡し
- ・ FDA 承認薬を含む、大規模な化合物ライブラリのスクリーニングにおける高性能 *in vitro* アッセイの利用
- ・ 細胞における低分子活性作用・阻害作用の理解

**遺伝子治療**

- ・ よく定義された特定の遺伝子欠損を標的とする生体内・生体外遺伝子を利用した皮膚病（異なる種類の表皮水疱症）治療法の開発
- ・ 通常・欠損遺伝子の発現調節を用いた皮膚病治療における低分子干渉RNAの試験研究

**戦略7：臨床研究****臨床試験と結果評価**

- ・ 疾患の発症予測・治療に効果的で、臨床試験の代用評価項目として利用可能な臨床バイオマーカーの開発
- ・ 治療アウトカムのスクリーニングと皮膚病の早期診断のための、非侵襲性の新規イメージング技術とバイオマーカー研究

**疫学と公共医療サービス研究**

- ・ 疾患の自然史と疫学研究との統合的分析
- ・ 皮膚病の関連疾患と合併症における共通経路の理解に向けた GWAS 研究の利用

**戦略8：骨（質）生物学と疾患：生物学と骨の生理学****骨の分子・細胞メカニズム**

- ・ 同化メカニズム：骨芽細胞による骨の形成、骨の浸食作用と骨粗しょう症

**骨折リスクと骨密度のジェネティックスとゲノミクス**

- GWAS 研究、ゲノムと遺伝子発現の関係研究
- 統合生理学と骨の生理学、骨の生理学とエネルギー代謝、骨と神経系、がん、血管系、免疫・造血系

**発生生物学と幹細胞**

- 早期骨格形成と成長、骨格形成の理解
- 間葉系前駆細胞、胚性・多能性幹細胞

**戦略 9：骨質と骨折リスクのイメージングとバイオマーカー****骨質と骨折リスクの非侵襲計測方法**

- 標本の直接研究とモデル分析による骨の機械的機能に影響する構造的・物質要因の分析
- 骨折リスクの臨床評価を改善する、非侵襲計測技術（磁気共鳴、コンピュータ断層撮影法、超音波など）の開発と認可

**結果評価と代理マーカー**

- 唾液や尿といった容易に採取可能な生体試料の利用による骨の強度、骨折リスクに関する生化学マーカーの同定
- 詳細に類型化された臨床コホートにおける、骨密度、骨質、骨折リスクに関するバイオマーカー候補の試験研究

**戦略 10：前臨床と橋渡し研究****病理学的作用**

- 性ホルモン欠乏、ビタミン D 欠乏、慢性炎症、ステロイド薬治療といった通常の病態における骨粗しょう症の分子・細胞メカニズムの特定
- 骨形成不全症といった希少性骨疾患の病理学的生体メカニズムの定義

**治療メカニズム**

- 骨粗しょう症に対して一般的に普及している治療薬・方法の基礎となる生体メカニズムの定義
- 骨以外の組織・器官に関する疾患治療に利用された医薬品が、骨の質・骨折リスクに与える潜在的な影響の同定

**遺伝子治療**

- 再生医療、遺伝子治療方法として、胚性幹細胞・iPS 細胞の潜在的利用可能性の探索
- 遺伝子欠損の補正を目的とした細胞の遺伝子操作、もしくは治療目的による遺伝子発現操作に効果の高い新介入技術の発見

**戦略 11：臨床研究****オーダーメイド医療と臨床試験**

- 追加的・協調的治療効果を達成するための、複数の治療薬の組み合わせによる利用の可能性評価
- より負担の少ない投与経路と投与量、また副作用の軽減方法の開発・試験により臨床試験の安全性の担保

国立先進トランスレーショナル科学研究所 (NCATS) 『NIH における CTSA プログラム：臨床及び橋渡し研究推進の機会』(2013) 『発見の加速：研究室から臨床へ進捗報告書 2009-2011』

NCATS の取り組みの詳細に関しては、本 CRDS 調査報告書内「NCATS」を参照(第 5 章)。  
橋渡し研究一般

- CTSA2.0:CTSA プログラムにおいて臨床・橋渡し研究の全てのステージをカバーし、それぞれの研究機関が柔軟性を持って研究実施を支援
- CTSA 臨床・橋渡し研究の全てのステージにおいて、患者、患者家族、医療サービス提供者、その他すべての医療コミュニティメンバーによる参加を実現
- 子供の健康に関わる臨床・橋渡し研究の推進

#### ドラッグ・リポジショニング（薬の再開発：開発放棄化合物・既存薬の新用途発見）

- 既存化合物の他の目的への利用に向けた安全性の再試験
- NCATS が、企業パートナーのマッチアップを行なうための創薬・データの情報センターとしての役割を果たし、所外研究者による NIH のリソースと専門知識へのアクセスを提供
- ヒト疾患・関連臓器システム・経路・遺伝情報のリスト化
- 化学物質ゲノム学センター (NCGC) の製薬コレクション (NPC) における治験薬データの拡大
- FDA 希少疾患再評価データベース情報の利用
- NIH-FDA リーダーシップカウンシルを通じた FDA との協力強化
- 創薬救済・再評価試験プロジェクトへのグラント助成
- NIH が産業界パートナーからの連絡係を発見し、NIH プロジェクトにとって治験薬が利用可能か相談
- 分野横断型のラウンドテーブルの継続的な開催

#### 細胞外 RNA コミュニケーション (exRNA)

- exRNA の生物学的理解、と疾患への応用
- 所長室 (OD) の共通基金 (CF) を通じた戦略的投資
- がん、骨髄障害、心臓疾患、アルツハイマー、並びに多発性硬化における exRNA の理解
- exRNA バイオマーカーの同定

#### 臨床センター(CC)

『臨床センター戦略年次運用計画』(2013)

『NIH 臨床センター：所長年次報告書』(2013)

臨床センターの取り組みの詳細に関しては、本 CRDS 調査報告書内「臨床センター(CC)」を参照(第6章)。

#### 臨床医学全般

- 所外研究者への施設の開放、U01 グラントの導入(所内・所外共同研究)
- 臨床センターにおける CTSA プログラム(NCATS 管轄プログラム)での役割の明確化
- 「ベッドからベンチ科研費」(B2B) アワードを重点化し、より患者指向(医療現場重視)の研究を進め、バックキャストによる臨床ニーズに基づいた基礎研究を実施
- AIDS、希少疾患、行動・社会科学、マイノリティ医療と医療格差、女性医療、希少疾患創薬、薬理ゲノム学、一般医療
- 医療データの電子化
- 次世代臨床研究者の教育

#### 再生医療

- 幹細胞移植に伴う合併症の新治療方法の開発
- 幹細胞のラベル化と追跡技術の開発
- 患者との同意書のモデル化

#### 放射線・画像学

- 画像技術の導入

**輸血学**

- 免疫細胞収穫、赤色細胞の増加、臍島細胞採取、血小板輸血、輸血感染の研究

**救急医療**

- 鎌状赤血球貧血と痛みの理解

**国立医学図書館 (NLM) 『NLM 長期計画 2006-2016』 (2006)****拡張する生物医学データ、医療知識、医療情報の蔵書への均一で、連続したアクセス**

- 現在と将来の図書への効果的なサービスへと、長期的なアクセスを保証するために、適切な保管場所と環境の確保
- 利用しやすい文献コレクションの維持と、米国・世界における医療情報の包括的な保管戦略への貢献
- 科学的発見の支援、利用者による必要情報の迅速な検索を可能にするための電子情報サービスの構築
- 学習、理解、並びに研究結果の共有を強化するツールとして、対話型情報共有技術の評価
- 災害時の医療情報、図書館、図書館員への継続的なアクセスの確保

**健康リテラシー、健康転帰、医療格差を削減する、信頼できる情報サービスの提供**

- 国内・国外の十分なサービスを受けていない集団に対する NLM による新たな意識啓発プログラムの開発、マイノリティ集団の医療格差の是正
- 電子情報リソースへのアクセスの改善、質の高いローカル学術誌の推進、並びに図書館員への IT 教育など、特別な支援の必要な発展途上国への選択的な支援
- 展示やその他の公開プログラムを通じ、図書サービスに関する情報を普及
- 家庭、学校、図書館、そして職場のどこからでも医療情報へのアクセスを可能にするデジタルインフラ（例：ネットワーク技術、PDA）のテストと評価
- 情報交換と信頼構築を促進するため、認識・文化モデルの応用研究の支援と、患者の治療と健康アウトカムに関する医療情報のインパクト評価の方法論の構築

**科学的発見の医療への橋渡しを加速する生物医学、臨床、公衆衛生情報システムの統合**

- 臨床データ、遺伝情報、並びに環境要因の関係を解明するための統合データベースの構築
- オーダーメイド医療、臨床研究、公衆衛生を補佐するための次世代電子カルテの開発
- 電子カルテと医療知識の先進的な電子データ化技術の開発と利用

**生物医療情報研究、システム開発、革新的サービス提供のための強力で多様な人材**

- 中等・高等教育におけるバイオインフォマティクス及び図書館学の強化教育を通じた労働力の開発と拡大
- 特別な情報サービスへのニーズに応えるための図書館員の教育プログラムの支援
- 分子科学、臨床研究、医療ケア、公衆衛生、並びに危機管理の共通分野を研究できる情報系研究者を増加するために、分野横断的バイオインフォマティクスの教育強化の継続的支援

## 11.2 非医療系ライフサイエンス分野戦略計画・プログラム

全米科学財団 (NSF) 『発見とイノベーションを通じた国家の強化：NSF 戦略計画 2011-2016 』(2011)

### 生態系研究プログラム

- 生物地球化学サイクルと地・水・火・風資源量、一次的・二次的生産性、生態系機能における生物種の役割の理解
- 化学量、気候生態系フィードバック、気候・グローバル環境変化による生態系への影響の理解
- エネルギーと放射活性気体流束、生態系サービス、地形力学など異なるアプローチによる研究推進
- 1) 生態系内・間における物質とエネルギーの流れと変化、2) 生態系システム構造と機能、3) 生態系力学、回復力、並びに、時間の経過による生態系変化の方向性 4) 空間・時間・時空間横断スケールでの生態系の相互関係の理解

### 進化遺伝学プログラム

- ミクロ・マクロレベル進化過程に関する研究と、それらの進化が遺伝子型・表現型へ与える作用など、遺伝的基盤に関する研究の支援
- 集団レベルでの複雑表現型の進化をもたらす要因の定量的な遺伝子検査、遺伝的多様性を維持する過程・変化、集団レベル若しくはそれ以上での遺伝的特徴（数・配列・パターン）の理解
- 遺伝的特徴が進化の過程に与える影響、遺伝子構造の進化、複数生物種間での発展過程の比較

### 進化環境学プログラム

- 生態学的相互作用（個別の生態系内、異なる生態系間、そして非生物的環境との関係）における進化の原因と結果に関する研究の支援
- 非生物的・生物的環境における選択圧と選択圧に対する進化過程の理解
- 寿命レベルでの進化、種間関係の進化(捕食者と被食者、競争、協力、共生、寄生、共生)、及び、進行中の生物多様性の進化、自然・雄雌選択の力学、社会形成の系統樹などの理解

### 人口・コミュニティ環境学プログラム

- 広く定義された集団生態学・群衆生態学における基礎研究の支援
- 単一種における個体群動態、人口統計学と人口・集団・環境に影響を与える基礎的な生態的相互作用の理解
- 人口管理、植物網構造と栄養動態論、競争・捕食・共生・寄生、共生メカニズムと種の多様性維持、社会形成、古生物学、景観生態学、保全・回復生物学、行動生態学、マクロ生態学
- 広範囲な生態系・時間・空間スケールに応用可能な研究の推進

### 生物多様性プログラム

- 生物レベルと進化過程に関する研究
- 異なる生息地における生物種を観察可能にするための生物多様性の探索研究
- 特定の分類群に関する地域的・生態系レベルでのリスト化

### 系統発生システム学

- 系統発生アプローチを用い生物進化の研究
- 生物多様性の起源の研究と生命ヒエラルキーを超えた種間関係の解決



エネルギー省 (DOE) 『ゲノム科学のための DOE 統合ゲノム戦略計画』(2012)  
『気候・環境科学局戦略計画』(2012)

**戦略1：DNA シークエンスの継続****機能解析シークエンス**

- ゲノムの機能アノテーションとメタゲノムデータセットの機能・分類アノテーションに関する研究開発の推進

**サーヴェイシークエンス**

- DOE ミッションに重要な表現型(窒素固定、光合成率、炭素隔離)を利用するため、ファージ、微生物、並びに植物における対立遺伝子変異のライブラリ構築

**リードアウトとしてのシークエンス**

- DNA 解析データの高度な情報内容は、それ自体を発見解析(例：表現型分析(スパーサーRNA 配列と、量的形質座位(eQTL)分析)やハイスループットイースト2ハイブリッド(タンパク質間・タンパク質核酸間相互作用)、セレクションとフェノタイプスクリーニング(遺伝子変異の機能的解析)などの様々な遺伝子表現型の同定手法に対して非常に有益で定量的な情報として利用

**デノボ変異を利用した微生物コミュニティにおける選択圧の推測**

- シークエンス技術の発展による、複雑な群集に埋没している個別種の単一塩基レベルの新しい変異の発見
- 気候変化が微生物群中の炭素循環に与える影響の理解
- 公害防止プロセス操作あるいは生物燃料生産のために微生物コミュニティの構築及び指向進化を促進

**戦略2：DNA アノテーション****コンピュータによる機能アノテーション**

- 遺伝子・ゲノム・メタゲノムに関するデータとそれらの相互関係を統合できる試験的アノテーション技術の開発
- 正確性の高いレファレンス遺伝子・レファレンス・ゲノムデータの構築
- 開発者と購入者の協力による機能的アノテーション技術の開発

**メタゲノムと微生物コミュニティアノテーション**

- シークエンス技術の発展により集められたデータ解析に必要な、新たな実験的・コンピュータ利用によるアノテーション方法の開発

**実験的ゲノムアノテーション**

- スパーサーRNA 配列とその変異(例：デジタル遺伝子表現と世界的ポリアデニル化マッピング)に加え、シークエンスを用いた技術が開発されており、さまざまな機能的情報によるゲノムの説明

**ビッグデータ利用(機会と課題)**

- プログラムに基づいたデータ統合(例：統計モデル・プログラムの利用)、そして、直観的図形ユーザーインターフェースの開発により、データ間の複雑な関係の可視化を実現
- データを可視化する技術としてアルゴリズムアプローチの統合的な活用

**戦略3：DNA 設計と関連技術開発****科学の推進力としてのDNA 合成**

- 個別の対立遺伝子間の相互作用(エピスタシス)に関する研究
- 植物ゲノムの早急な操作と改変能力によって解消することが可能なボトルネックの証明

**分子と生物の設計**

- ・ キロベースやメガベースといった長いデノボ DNA シークエンスの合成に加え、ゲノム編集能力の需要への対応

#### 技術的考察

- ・ 大規模で自動化された DNA 合成とゲノム改変技術の開発

#### 小型化と自動化を通じた高性能実験の実現

- ・ 次世代高性能機能や、システムバイオロジーにおける表現型の評価方法を備える多機能デバイスの開発と並行処理機能の改善
- ・ 指向進化と合成生物学研究に必要とされる斬新な超高性能スクリーニングの実現

#### 研究コミュニティの構築

- ・ ゲノム分野において DOE が直面する課題解決に向けて、研究コミュニティと戦略的パートナーシップを構築し、技術の利用者と交流を拡大

#### 戦略 4：次世代バイオエネルギー作物の開発

##### 統合バイオエネルギー研究所 (JBEI) 以下 JBEI

- ・ リグニンサブユニット間の交差結合の変化に由来する、モデル植物におけるリグニン分解の理解
- ・ リグニンや細胞壁要素間の分解技術や、発酵技術の開発
- ・ 遺伝的变化をスイッチグラスに翻訳

##### バイオエネルギー科学センター (BESC) 以下 BESC

- ・ ポプラ・スイッチグラスにおける植物細胞壁ポリマー間の結合により、荒い化学的全処理の削減・除去方法の開発
- ・ 1 エーカーごとのバイオマス生産の拡大

##### 五大湖バイオエネルギー研究センター (GLBRC) 以下 GLBRC

- ・ モデル植物の改変と潜在的なエネルギー植物の利用により、新型リグニンの生産と、より燃料生産に利用しやすいスターチや油の生産

#### 戦略 5：新規バイオマス分解機能を用いた酵素と微生物の発見と設計

##### JBEI

- ・ バイオマス要素を完全に可溶化・断片化できる新たなイオン液体前処理方法の開発
- ・ 熱帯雨林の地表とその他の環境から収集された酵素の性能と安定性の改善
- ・ 指向進化を通じた、非常に効果の高いセルラーゼ酵素の改変

##### BESC

- ・ 高熱によりバイオマスを効果的に分解・改変することができる酵素と微生物を発見するための自然温泉源の調査
- ・ セルローサム(セルロース分解のための多機能酵素複合体)の理解と改変

##### GLBRC

- ・ 特定タイプのバイオマスを分解するために必要な酵素と前処理法の組み合わせの発見
- ・ トウモロコシとその他の植物の茎と葉におけるバイオマス分解酵素の発見

#### 戦略 6：微生物利用によるバイオ燃料生産戦略

##### JBEI

- ・ エタノール以外の燃料を生産することができる全く新しい生物の生産に向けた、多様な生物組織と経路の結合
- ・ 高濃縮のバイオ燃料生産に向けた生物改変、リグニン分解由来の有益な化合物の抽出

##### BESC

- ・ 微生物のリグノセルロース分解を利用し、その後、エタノール・ブタノール生産技術の導入により生産コストの削減

- 微生物改変を可能にする知識ベースと経路解析技術の開発
- 改変植物における分解微生物の試験

#### GLBRC

- エタノール生成微生物の利用とリグノセルロース分解技術の導入によりバイオ燃料生産コストの削減

#### 気候環境科学局 (CESD) 地下生物地球化学研究プログラム

- 微生物作用の代謝モデルの理解
- 地球化学安定性・種形成・生物地球化学的反応動力学の分子レベルでの理解
- 異なる時空間スケールにおけるシステム反応の特徴的性質の理解
- 地球化学と生物地球化学、環境微生物学と応用ゲノム学、地球物理学と地球水学
- 測定と観察、圃場規模研究
- 高性能コンピュータ利用による、異なるスケール間でのモデリング

#### CESD 陸上生態系科学プログラム

- 生態系機能の変化と気候フォーシングにおける障害の理解
- 地球のカーボンサイクルの表面（地表・水面）作用の役割の機械的理解（例：微生物学、地球化学、根圏、土壌作用）
- 大西洋及び亜熱帯生態系と変動する気候における炭素貯蔵量の重点的調査
- モデル開発と評価のための、長期的生態系観察記録の分析
- これまで認識されてこなかった革新的課題設計プロジェクトの奨励

#### CESD 環境分子生物学研究所 (EMSL)

- 物理・化学・生物学を横断するタイプの学際的研究の実施
- 細胞分離とシステム分析、沈着と微細加工、質量分析
- 顕微鏡法
- 分子化学コンピューティング
- 核磁気共鳴(NMR)と電子常磁性共鳴(EPR)、光分法と回析
- 地中流出と輸送

### 農務省 (DA)

### 『戦略計画 2010 - 2015』 (2009)

#### 戦略 1：水資源の確保と、国有林及び私有遊歩道の保護・修復・補強、並びに国有林、農地、牧場及び草地の修復と保護

- 健全な天然資源の確保と研究開発人材の確保を目的に、地主、州・地方政府、そして連邦機関、先住民、そして民間セクターと協力的に戦略を開発
- 生態系サービスの価値を定量化し、自然保護活動の効果を監督・評価し、農家や地主を市場情報や経済機会などとマッチングできるツールや技術基盤の開発

#### 気候変動の緩和と対応努力の牽引

- 農場経営者・牧場経営者・森林地主への技術的、及び財政的援助の協力の下、CO2 排出の削減と炭素の隔離をもたらす環境保全の実施、栄養素管理、並びに動物の管理
- 温室ガスを削減する肥料・栄養管理システムの開発と実施
- 自然発生の火事によって影響を受けた土地への植林やその他の栄養供給技術による土壌開発
- 気候変動への適応・緩和戦略を企業のマネジメントへ導入し、環境保全の構想、計画、実施の全てのステージで科学的な検知を活用

#### 国家の水資源確保と保護

- 所定の景観における特定の保全需要に関し、最もインパクトの高い効果をもたらす

保全事業と流域改善対策への戦略的投資

- 水資源の確保、保全、管理に資する管理戦略を構築するため、農家、地主、並びに生産者への財政・技術支援を加速
- 水資源の脆弱性に関して政府による評価を実施

### 戦略2：国家の食料安全保障強化に向けた、農産物生産とバイオ技術輸出の推進 米国の農業資源界による世界食料安全保障強化への貢献を保証

- 優先的に援助が必要な国の食料システムの継続的な開発援助
- 一国で完結できる持続可能な農業システムの増加
- 科学技術に基づいた解決法の推進
- 他国に対する開発支援や能力強化を通じ、米国の国家・国際安全保障政策を補佐

### 米国による新技術に基づいた農産物生産と貿易能力強化

- 新たな遺伝子組み換え作物の導入による植物衛生や環境への脅威を削減するため、作物が商業化される前に輸入・国家間移動の規制化、作物の現地試験を実施
- 遺伝子組み換え作物の輸出を支援する協調的戦略の構築
- 環境保護庁（EPA）及び食品・医薬品局（FDA）による、バイオ技術規制に関する責任共有

### 食料不足の国における、持続可能な農産物生産の支援

- 農務省から横断的に農業専門家をアフガニスタンに派遣し同国の農業政策の支援を実施
- 国務省との協力により、アフガニスタンへの農業支援戦略における技術支援、能力強化、並びに農業支援プログラムの実施

### 米国の全ての子供に安全で、栄養価が高く、バランスのとれた食事を保証

#### 栄養価の高い食事供給の強化

- 革新的な事業改善、進歩の評価、並びに、将来の政策、アウトリーチ、並びにパートナーシップ事業のための確実な土台構築に役立つ研究開発への投資
- 所外・所内研究を通じた、栄養素密度と食事に関する研究の拡大

#### 健康な食事と運動の推進

- 米国医学研究所（IoM）の勧告に基づいた、学校給食の栄養水準の改善と更新
- 栄養水準改善に関する規制化が議会で承認された場合、その政策実施に先立ち学校に対する技術的支援を実施

#### 安全な食の確保を通じた公衆衛生の強化

- 大統領府「食の安全作業グループ」により指摘された教育・アウトリーチ・食の安全に関する課題への対応
- 新興感染症の発見と封じ込めの現地活動からのデータ収集とモニター、医療従事者への継続的な情報の更新と対応措置の補佐

### 戦略3：主要な病気や害虫から、安全で豊富な栄養価の高い食料へのアクセスを保護し、農業の発展を保証

- 隔離可能な害虫と重要な経済的損害をもたらす動物感染症の削減と根絶
- 多様な食品、果物、野菜の継続的な供給を確保するため、貿易の推進
- 大学と協力し、懸念されうる害虫・病原体の特定・診断方法の開発

海洋大気庁（NOAA）

『NOAA 次世代戦略計画』（2010）

#### 戦略1：NOAA の科学技術エンタープライズ

#### 継続的で統合的な地球観測システムからの正確で信頼できるデータ

- 持続的な環境測定における正確な測定方法の開発



- 統一的なデータ管理水準の導入と利用によるデータ相互互換性の改善
- 長期管理によるデータへのアクセスの整備と環境データ利用の推進
- 利用可能なデータの統合、重複防止により、研究費用の削減

#### 統合的な環境モデルシステム

- グローバル・国家レベル・地域レベルでの応用が可能な環境分析方法のモデル化
- 環境に対する予測・観察技術の正確性を強化するために NOAA 内・外のアクターとの効果的な協力を推進

#### 環境予測サービスの支援に向けたモデルの利用

- 多様な気候環境に対応できる世界・地域レベルでの気候・海洋・生態系モデルの予測機能の強化
- 異なる範囲（グローバル、国家、地域、地方）におけるデータセットの多様化とデータの統合

#### 戦略2：健康で生産的な生態系を持続するための海洋漁業と、生態、生物多様性資源管理に関する政策決定を補佐するための生態系理解の向上

- 海洋・河口・五大湖・河川系の天然資源に関する政策決定に資する生態系情報の利用（例、統合生態系評価）
- 生態系、気候情報を考慮した次世代水産資源の備蓄評価
- 管理計画・意思決定に資する高質データを利用した海洋資源管理者の教育

#### 海洋・沿岸生物種の回復と保全

- 枯渇してしまった、若しくは絶滅が危惧される生物種の保全強化
- 保護種混獲の防止と保護種の繁殖促進

#### 回復力・活力のある海洋資源・コミュニティを維持できる健康な生息環境

- 活力ある生態系サービスを強化するための生息環境の保護と保全
- 優先順位の高い生息環境の保護と保護すべき生息地の優先的評価プロトコルの設定

#### 健康な国民と、活力あるコミュニティのための持続可能な漁業と安全な水産物

- 乱獲種に分類された水産資源の保全と改善
- 保護種混獲の防止
- 商業的漁業機会の拡大
- 持続可能な水産養殖に関する研究推進
- 持続可能な環境保護に資する水産養殖施設の増加

### 環境保護庁（EPA） 『戦略的持続可能性実施計画 2010-2020』（2012）

#### 生態系の理解と生態系変化の予測：国家の経済と環境の未来を保証

- 生態系構造・機能・過程における基礎・実地研究
- 分類と定量化：（a）生態系における生物学的・非生物学的要素の関係（b）自然・人間由来の多様な生態系多様性（c）生態系生物地球化学と土壌生態学（d）生物多様性保全条件（e）水の生態系需要（f）生態系要素と過程に対する変化の影響（g）侵入生物の生態系、侵入に対する生息環境の抵抗要因、侵入生物の管理と予防方法による環境への影響の最小化（h）異なるレベルの生物組織と時間・空間スケールにおいて、多元的に関係する環境ストレスの影響（i）土地利用・気候変動・汚染・侵入害虫・病原体・競合種といった、環境ストレスに対する国家の生物種と自然群落の脆弱性
- 地形的極相、地学的環境、気候、水文学的状況、生命地球化学、生態系過程、生物的分布などを用いた地理空間的生態系モデルの利用



- 生態系・生物種の多様性・気候変動が生態系に与える潜在的な変化に関するシナリオ作成
- 気候変動モデル、生態系配置モデル、気候変動対策と生態系配置の科学的理解と潜在的な生態系移動の予測

#### 気候変動と可変性：データの正確化と変動結果の評価技術の向上

- USGS 観察ネットワークの形成・拡大・近代化により、気候に直接的・間接的に反応する物理的・生物学的資源の長期的観察
- 気候変動パターンの理解と、将来のシナリオを作成するための気候に関係する生態系・生物的・物理的対応策の再構築
- 気候と生態系の構造と機能が直接的・間接的に生産物に与える物理・化学・生物学的影響の理解

#### 米国の未来のためのエネルギー・鉱物資源：資源安全保障、環境衛生、経済的活力、土地管理のための科学的動機付け

- エネルギーと鉱物資源の探索・採取・利用のライフサイクルと環境への影響の包括的な説明（土地・水・生態系）を可能にする分野横断的評価アプローチの定量的・経済学的観点から開発
- 新たな鉱物資源の利用に伴う発生・起源・リスクの予測・発見・理解の促進
- 炭素管理の政策決定によって影響を受ける土地・水・生態系資源の相互関係の評価
- 生物学的・地学的な炭素隔離資源の観察と評価に関する科学的方法論の構築

#### ハザード、リスク、回復力評価プログラム：長期的健康福祉の保証

- 科学技術の進歩を最大限利用し、信頼足りうる活動を実施するため、USGS による観察・コミュニケーション能力の拡張と近代化
- 海岸浸食・地震・洪水・磁気嵐・火山・火事・人獣共通感染症の原因と結果に関する研究の強化
- 短期・長期的なハザード対策において、地主や危機管理対策者の意思決定を補佐できる予測モデルの開発

#### ヒトの健康に対する環境・野生生物の役割：公衆衛生に対する環境リスクの同定

- 潜在的な環境脅威に関するオンラインデータベースの構築により、USGS データを統合し、研究者・公衆衛生責任者にデータを提供
- 公衆衛生上の脅威に対する国家の早期対応と予測を強化
- 生物、水質、並びに地質情報と地理情報システムの意思決定ツールを統合した、国レベルでの環境衛生に関する情報システムの開発と実施

#### 米国における水資源調査：米国のための水資源の定量化、予測、並びに確保

- 水量・水質の時系的な分析と個別種・種群の生存に必要な物理的な生態環境と生態系機能の関連性に注目し、米国の自然環境とその変化に関する生態系資源を特定
- 水量・水質・水利用の現状とトレンドに関する時系列のデータ収集の強化
- 政策決定者・国民に対して、利用しやすい方法で水資源に関する情報提供を実施

#### 地質調査所 (USGS) 『明日の課題への挑戦：2007-2017USGS の十年』 (2007)

##### 廃棄物利用による燃料生産

- 現在のバイオディーゼル生産に由来するグリセロール廃棄物の有害性を低減し、副産物を利用するための新たな研究計画の立案
- 特定のボイラーシステムで利用可能な、バイオディーゼルの燃焼によって生産される廃棄物グリセロールの開発

##### 持続維持のトレードオフ：生態系とバイオ燃料

- 2007 年エネルギー自給安全保障法の規定に基づく燃料用トウモロコシ生産においては、同じ農地における継続的なトウモロコシ生産が実施され（1年でトウモロコシとその他の作物を交換しない場合）、より多くの化学物質を農地で使用することが必要となるため、USDA と協力し、衛生技術を駆使した、適切な農地利用の管理（農薬・殺虫剤利用を含む）の強化

#### 水産物消費におけるハザード

- 水中の化学物質の量は低いレベルであったとしても、生物濃縮により、消費時において毒性化学物質はより高いレベルに達するため、異なる年齢グループで毒性化合物に関するデータ収集・分析の実施
- 出産率、社会経済的ステータス、民族性、市場、魚の細胞汚染等、異なる要因に注目したハザードリスクの分析

#### 浄水場デザインマニュアル

- 2011 年、EPA1983 浄水場デザインマニュアルの改訂に伴い、今後の浄水場では、非常に厳しい環境管理水準を導入し、環境保護とエネルギー節約の観点から、バイオソリッド（水処理施設で生成される下水汚泥）を最小レベルに抑制

#### 廃水施設のバイオリファイナリーへの転換

- アラバマ州における廃水の研究、オゾン滅菌と廃水滅菌の研究
- オゾン滅菌された廃水からオイルの大量生産を目指す微生物研究

## 参考資料: NIH 以外の海外ライフサイエンス・臨床医学系機関

本章では、米国以外の主なライフサイエンス・臨床医学系の研究開発費に注目する。まず、前提として本章のデータにはいくつかの注釈が必要である。まず、調査対象国は欧州を中心としているが、医学研究が盛んなドイツが含まれていない。また、調査対象国においても主に公的ライフサイエンス・臨床医学系 Grant 助成・研究機関に注目したため、公的セクター以外にも研究・Grant 助成を実施している機関が存在する可能性が高く、ここでのデータは必ずしも各国のライフサイエンス・臨床医学を包括的に収集された内容ではない（図表 49）。例えばイギリスに関しては、民間の医学研究助成機関であるウェルカム財団などは、これまで橋渡し研究に 4.3 億ポンド（約 690 億円）を 94 の研究機関と 74 の企業に提供しているが、それらの情報は下記表には含まれていない<sup>130</sup>。次に、運営費全体のみ公開し研究費の内訳の詳細が明らかにしていない機関が多い上に、そもそも基礎と応用の研究フェーズの定義づけが国・機関によって異なるため、本節における基礎、応用の分類については、あくまでも目安として参照されたい。基礎・応用研究費の概算は、図表 50 に示されている。

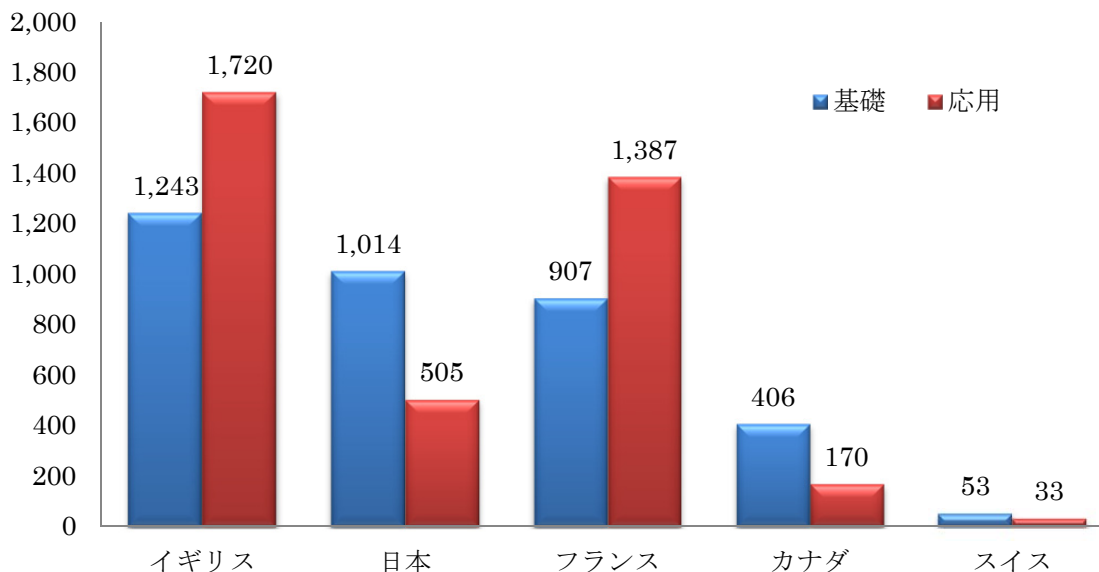
【図表 49】各国の基礎・応用研究開発費の概要

国	基礎	応用
イギリス	<ul style="list-style-type: none"> <li>バイオテクノロジー・生物科学研究会議 (BBSRC) の basic 研究費 (約 353 億円, H24)</li> <li>医学研究会議 (MRC) (約 890 億円, H23)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>BBSRC の applied 研究費 (約 170 億円, H24)</li> <li>MRC (約 320 億円, H23)</li> <li>国立衛生研究所 (NIHR) (約 1,230 億円, H23)</li> </ul>
日本	<ul style="list-style-type: none"> <li>日本学術振興会 (JSPS) (746 億円, H24)</li> <li>科学技術振興機構 (JST) (268 億円, H23)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>新エネルギー産業技術総合開発機構 (NEDO) (37 億円, H24)</li> <li>厚労科研費 (472 億円, H22、所内研究費含む)</li> </ul>
フランス	<ul style="list-style-type: none"> <li>国立科学研究センター (CNRS) (約 750 億円, H24)</li> <li>パスツール研究所 (157.5 億円, H23)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>国立保健医学研究機構 (INSERM) (約 1230 億円, H24)</li> <li>パスツール研究所 (157.5 億円, H23)</li> </ul>
カナダ	<ul style="list-style-type: none"> <li>保健研究機構 (CIHR) の biomedical (約 381 億円, H23)</li> <li>自然科学・工学研究会議 (NSERC) (約 25.6 億円, H23)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>CIHR の clinical (約 169 億円, H23)</li> <li>NSERC (約 9,500 万円, H23)</li> </ul>
スイス	<ul style="list-style-type: none"> <li>国立科学財団 (SNSF) (約 55 億円, H24)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>連邦技術革新委員会 (CTI) (約 33 億円, H24)</li> </ul>

注：為替 - 英 (1 ポンド=168 円)、フランス (1 ユーロ=141 円)、カナダ (1 カナダドル=97 円)、スイス (1 フラン=115 円) 2013 年 12 月 10 日時点 <http://www.oanda.com/lang/ja/currency/converter/>: CRDS 調べ

<sup>130</sup> Funded Projects: <http://www.wellcome.ac.uk/Funding/Technology-transfer/Funded-projects/index.htm>

【図表 50】各国のライフサイエンス分野における基礎・応用研究開発費の概算（億円）



ライフサイエンス・臨床医学分野の研究開発において、日本は、カナダ、スイスは基礎研究に研究費を重点化し、イギリス、フランスは応用研究に研究費を重点化している：CRDS 調べ

## 参考資料1 英国

バイオテクノロジー・生物科学研究評議会 (BBSRC) は、1994 年、農業・食料研究評議会 (AFRC) と、科学技術研究評議会 (SERC) の生物工学・生物科学プログラムを統合し、設立された<sup>131</sup>。その目的は、ライフ・グリーン分野における基礎・応用研究の支援と、大学院教育である。2012-13 年度予算は 4.7 億ポンド（約 710 億円）である<sup>132</sup>。BBSRC のグラントの特徴として興味深い点は、図表 51 が示すように、2009-2010 年度予算では、基礎研究が研究費の約 69% の 2.3 億ポンド（約 353 億円）を占めるが、これらの全ては、目的指向型の基礎研究 (Oriented Basic Research) であり、純粋基礎研究 (Pure Basic Research) には研究費がファンドされていない。応用研究の合計は 1.052 億ポンド（約 170 億円）である。橋渡しに関しては、2011 年に農業・食料分野で調査を実施し、報告書の作成をしているが、BBSRC の中心的投資は、基礎研究である<sup>133</sup>。

<sup>131</sup> Our Organization: <http://www.bbsrc.ac.uk/organisation/organisation-index.aspx>

<sup>132</sup> Spending Overview: <http://www.bbsrc.ac.uk/organisation/spending/spending-index.aspx>

<sup>133</sup> Delivering Innovation from Field to Fork: Understanding the Practical Benefits Arising from the Translation of Research and Knowledge Exchange  
<http://www.bbsrc.ac.uk/organisation/policies/reviews/business-activities/1109-role-translational-research-knowledge-exchange.aspx#motivations>

【図表 51】 BBSRC における基礎・応用研究分類 (億ポンド)

研究分類	研究開発費試算 (1 ポンド約 150 円)		
	2005-2006	2006-2007	2009-2010
純粋基礎研究 (P)	0.0	0.0	0.0
指向型基礎研究 (B)	177.0	203.3	231.6
戦略応用研究 (A)	80.0	82.5	89.4
特定応用研究 (S)	9.3	10.9	15.8

注: (P) Pure Basic Research, (B) Oriented Basic Research, (A) Strategic Applied Research, (S) Specific Applied Research

資料: Delivering Innovation from Field to Fork: Understanding the Practical Benefits Arising from the Translation of Research and Knowledge Exchange

<http://www.bbsrc.ac.uk/organisation/policies/reviews/business-activities/1109-role-translation-al-research-knowledge-exchange.aspx#motivations> より作成

1913 年、英国医学研究会議 (MRC) は当時の英国における唯一の医学研究機関として設立された<sup>134</sup>。その目的は、ヒトの健康促進、有能な研究者の輩出、英国の健康福祉と経済的競争力を向上させる科学技術の進歩と発信、並びに医療研究に関する社会的議論の推進である。

2011・2012 年度予算は、研究費総予算が 7.6 億ポンド (約 1,160 億円) であり、そのうち 3.5 億ポンド (約 541 億円) が MRC ユニット (所内) で実施される 440 を超える研究プログラムで使用されている。また、1,100 を超えるグラントを大学・医療系教育機関・研究所 (所外) に支出 (3.1 億ポンド (約 472 億円)) している。所内・所外研究の 73.6% にあたる 5.589 億ポンド (約 890 億円) を疾患の基盤研究及び原因論 (基礎研究) に利用しており、残りの約 2 億ポンド (約 320 億円) を応用研究に配分している<sup>135</sup>。

基礎・応用研究に関する定義であるが、MRC では 2002 年、経済協力開発機構 (OECD) により提案された『Frascati マニュアル: 研究調査・実験的開発のための行為基準』による定義を採用し、次のような定義をしている<sup>136</sup>。

- 基礎研究: 特定の応用や利用を全く考慮に入れず、現象の基礎や観察可能な事実に関する新の知識の獲得を一義的な目的とした実験、若しくは理論研究
- 応用研究: 新たな知識の獲得を目的とした独自調査であるが、特定の実利的目的・目標に向けて実施される研究

その他の予算の内訳は、大学院奨学金 (1,900 名)・研究奨学金 (400 名) (MRC 所内研究を含む) に 8,600 万ポンド (約 131 億円)、並びに、国際購読費 (文献) に 1,800 万ポンド (約 27 億円) が支出されている<sup>137</sup>。

英国における橋渡し研究の臨床研究・試験段階において中核的な役割を果たしているのが、国立保健サービス (NHS) である。NHS は 1948 年に設立された世界最大の公的医療サービス (病院) である。その目的は全ての国民に、税金による無料の公的医療サービスを提供することで、その予算は保健省に権限化されている。

- 1948 年設立時予算、4.3 億ポンド (約 669 億円・現在価値で約 1 兆 3,800 億円)
- 2012・13 年度予算、1,000 億ポンド (約 16 兆 7,000 億円) は 2012 年国家予算歳

<sup>134</sup> MRC: <http://www.mrc.ac.uk/index.htm>

<sup>135</sup> Annual Report and Accounts 2011/2012:

[http://www.mrc.ac.uk/consumption/idcplg?IdcService=GET\\_FILE&dID=36269&dDocName=MRC008776&allowInterrupt=1](http://www.mrc.ac.uk/consumption/idcplg?IdcService=GET_FILE&dID=36269&dDocName=MRC008776&allowInterrupt=1)

<sup>136</sup> MRC Industry Collaboration Agreement:

[http://www.mrc.ac.uk/Fundingopportunities/Grants/MICA/Specification/index.htm#P67\\_5582](http://www.mrc.ac.uk/Fundingopportunities/Grants/MICA/Specification/index.htm#P67_5582)

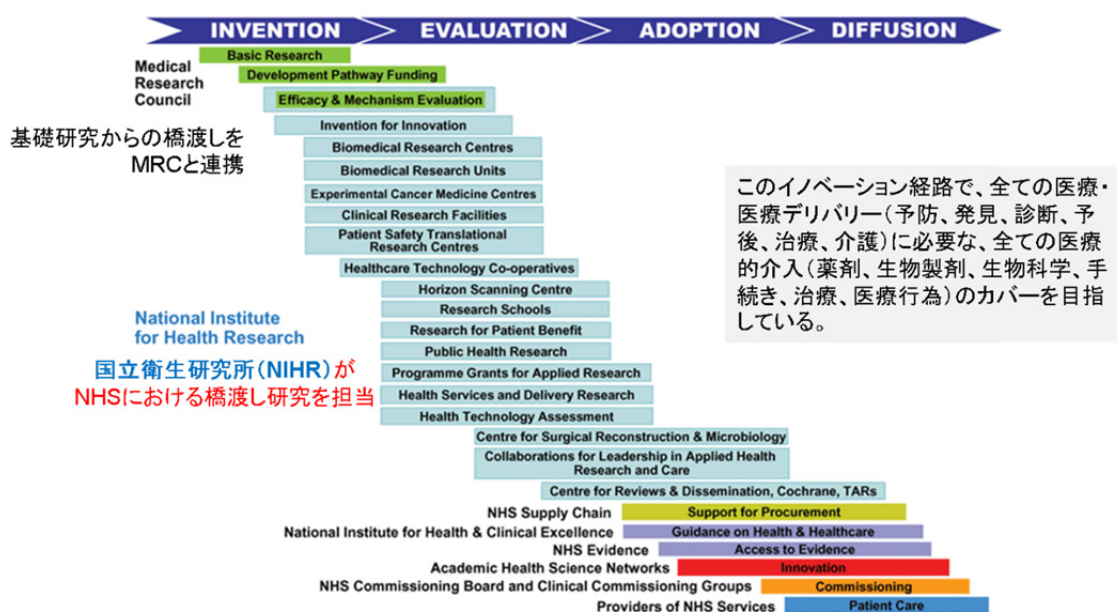
<sup>137</sup> Facts and Figures: <http://www.mrc.ac.uk/About/Factsfigures/index.htm>



出 86 兆 1,900 億円の 2 割

予算の内訳は、650 億ポンド（約 10 兆円）が、地方の Clinical Commissioning Groups (CCGs)（医療委託グループ：医師によって構成され、CCGs が個別の病院に対する医療サービスの調達を実施）、そして、250 億ポンド（約 3.9 兆円）が特別医療サービス、プライマリー・ケア、そして軍による医療サービスに利用される<sup>138</sup>。NHS における臨床研究の定義であるが、NHS における多くの研究はヒトを対象としており、通常「臨床研究」もしくは「医療研究」と呼ばれている。ここでは、臨床試験も含まれており、後者は、「ヒト同士を比較する研究」とされており、対象とされるヒトは患者及び健常者を含むと考えられる<sup>139</sup>。

【図表 52】英国立衛生研究所（NIHR）における橋渡しプロセス



資料：The Central Role of the NIHR Research in the Innovation Pathway:  
<http://www.nihr.ac.uk/research/Pages/default.aspx> より抜粋

そして、医学分野における基礎研究を行なう MRC と臨床研究・試験の中核である NHS を橋渡しする機関が、(英) 国立衛生研究所 (NIHR) である (2010・2011 年度予算は 10 億ポンド (約 1,650 億円))。2011 年 4 月に政府により発表された、「政府の成長計画」において、NIHR 内の臨床研究基盤オフィス (NOCRI) が、医学研究における試験的なプロジェクトを臨床試験につながる長期的な橋渡し研究パートナーシップ (TRPs) として支援し、その権限を管轄することとなった。TRPs では、36 の大学と NHS 研究機関、並びに企業が協力して、主にフェーズ 1・2 の臨床試験を行なう。TRPs の枠組みで、2014 年 7 月向けに準備されている公開資料によると、NIHR により、所内の医療研究所と関連研究所に 8 億ポンド (約 1,230 億円) が投資される。それに加え、保健省から 260 万ポンド (約 4.2 億円) が NOCRI と産業界のパートナーシップに投資される<sup>140</sup>。

NIHR の目的は次の取り組みを含む。

<sup>138</sup> About the National Health Service (NHS): <http://www.nhs.uk/NHSEngland/thenhs/about/Pages/overview.aspx>  
<sup>139</sup> What are Clinical Trials?: <http://www.nhs.uk/Conditions/Clinical-trials/Pages/Definition.aspx>  
<sup>140</sup> NIH Translational Research Partnership: <http://www.nihr.ac.uk/files/pdfs/Briefing%20documents/4.10%20Translational%20Research%20Partnerships.pdf>

- 臨床開発や、新治療法の開発の最適化につながる世界レベルの橋渡し研究の実施
- 主導的高等教育機関、NHS 研究機関、そして生命科学産業による本質的な協力の推進
- 生命科学産業と橋渡し研究に従事する研究者の間の、迅速で効果的な協力の推進
- 世界レベルの橋渡し研究機関としての評価の維持
- 公募による参加研究機関の選考

本目的を達成するために、これまでの研究開発プロトコルの経験、病態生理学・疾病メカニズムにおける専門知識、モデリング技術、イメージング、バイオバンク、実験室施設、実現技術、そして、臨床研究開発に活用可能なコホートを融合した取り組みを進めている。

## 参考資料2 フランス

国立科学研究センター (CNRS) は、国民教育・高等教育・研究省 (MESR) により管轄されており、2012 年度予算は 33 億ユーロ (約 4,300 億円) であった。そのうち、5.8 億ユーロ (約 750 億円) が生物化学研究所 (INSB) へ配分される<sup>141</sup>。国立保健医学研究所 (INSERM) は、厚生省と国民教育・高等教育・研究省 (MESR) によって共同管轄されており、2012 年度予算 9.5 億ユーロ (約 1,230 億円) である。318 ある INSERM の研究ユニットの 80% は、大学病院、もしくはがん研究所に設置されている。INSERM の生物学研究センター (BRCs) はバイオバンクであり、ヒト生体試料を保管している。2011 年度、INSERM 推進による臨床試験は、161 件 (120 件が受理、内 41 件実施済み・実施中) である<sup>142</sup>。同年、フランスにおける国内トップ 1% 以内の臨床研究分野の論文の 32% が INSERM 論文である<sup>143</sup>。パスツール研究所は、基礎研究で強力なプレゼンスを示している。2011 年度予算は 2.4 億ユーロ (約 315 億円) である<sup>144</sup>。

## 参考資料3 カナダ

カナダにおける国民の保健医療政策は、「ヘルス・ポートフォリオ」という枠組みにより、カナダ保健相の権限の下、次の 6 機関を通じて実施される。ヘルス・ポートフォリオの年間総予算は、38 億カナダドル (約 3,600 億円) であり、常勤職員は 12,000 人である<sup>145</sup>。

- カナダ保健省 (DH)
- カナダ保健研究機構 (CIHR)
- カナダ公衆衛生庁 (PHAC)
- 有害物質情報評価委員会 (HMIRC)
- 特許医薬品価格評価委員会 (PMPRB)
- ヒト生殖補助庁 (AHPA)

このうち、主な医学研究グラントは CIHR 及び DH が支出している。CIHR は国際的な

<sup>141</sup> Sixty Years of Basic Research: <http://www2.cnrs.fr/en/9.htm>

<sup>142</sup> Key Figures: <http://english.inserm.fr/what-s-inserm/the-institute-missions/key-figures>

<sup>143</sup> INSERM Scientific Activity 2011: <http://editions.inserm.fr/zh5/94346#p=3&z=0>

<sup>144</sup> Institut Pasteur Fights Claims of Financial Mismanagement: <http://news.sciencemag.org/people-events/2013/05/institut-pasteur-fights-claims-financial-mismanagement>

<sup>145</sup> 2011-2012 Departmental Performance Report (DPR): <http://www.hc-sc.gc.ca/ahc-asc/performance/estim-previs/dpr-rmr/2011-2012/report-rapport-eng.php#a221>

科学的卓越性の水準で新たな知識を創出し、国民へより良い医療、より効果的な医療サービス・製品、そしてより堅牢なカナダ医療ケアシステムへの橋渡しの加速を目的に2000年に設立された。13のCIHR研究所を通じて次の4つの主要テーマに取り組んでいる（予算は2011年度）<sup>146</sup>。

- 医療：約442億円（基礎）
- 臨床：約126億円（応用）
- 医療システム・サービス：約55億円
- 社会・文化・環境・公衆衛生：約87億円

DHからは、保健システム（生命科学研究開発費を含む）に約4億カナダドル（約381億円）、薬剤・医療機器に1.8億カナダドル（約169億円）が配分されている。橋渡し研究を担う機関の1つに、自然科学・工学研究会議（NSERC）がある。NSERCによる科学研究費助成予算（科学全分野）は、約10億カナダドル（約970億円）であり、そのうち基礎研究（Discovery）に4.2億カナダドル（約405億円）、イノベーション分野（橋渡しを含むと考えられる）に3.2億カナダドル（約306億円）を支出し、基礎から橋渡しを強く意識している。ライフサイエンス分野においては、バイオシステム・機能研究に、1,000万カナダドル（約9.7億円）、当該分野の研究ツール・機器（工学研究）に、約400万カナダドル（約3.8億円）、遺伝子・細胞・分子研究に、900万カナダドル（約9.1億円）、そして機器研究に300万カナダドル（約2.9億円）を計上し、ライフサイエンス分野合計で、約2,600万カナダドル（約25.6億円）の予算が確保されている<sup>147</sup>。NSERCの橋渡しは、100万カナダドル（約9,500万円）が支出されている<sup>148</sup>。

ヘルス・ポートフォリオの枠組み以外にもライフサイエンス分野の研究は行われている。2009年「ライフサイエンスの研究開発状況（カナダ）」『NEDO海外レポート』によると、国立研究機構（NRC：The National Research Council Canada）は「カナダ最大のバイオテクノロジー研究機関であり、NRCの職員、学生、国外からの客員研究者、企業からの派遣研究員など800人以上の科学者が、ヘルス、バイオプロセス、環境の3分野について、産業界との協力のもとに研究開発を実施している」<sup>149</sup>。また、ゲノム・カナダ（Genome Canada）は、「ゲノミクスおよびプロテオミクス研究においてカナダを世界的なリーダーとするために1999年に設立された非営利法人であり、カナダ政府から補助金を受けており、農業、環境、漁業、林業、および医療などの主要分野や、ゲノミクスの社会的、法的、倫理的な側面にかかわるプロジェクトおよびプラットフォームに対して資金提供を行っている。ゲノム・カナダによって5つのクラスターが設置され、これらを管理している」<sup>150</sup>。

## 参考資料4 スイス

スイス国立科学財団（SNSF）はスイスの研究政策および研究活動において主要かつ中心的な役割を果たしており、連邦政府の科学技術関連予算の運用・割り当てを実施している。2012年度、SNSFによるグラント予算は、7.6億スイスフラン（約797億円）であり、そのうち、生物学・医学分野予算は、約4割にあたる3.1億スイスフラン（約328億円）である<sup>151</sup>。そこから実際の研究費に利用されるのは、約1.2億スイスフラン（約127億円）である。生物学、医学の双方において、基礎研究費が中心である<sup>152</sup>。ま

<sup>146</sup> CIHR Annual Report The Measure of Success: <http://www.cihr-irsc.gc.ca/e/45774.html>

<sup>147</sup> Facts and Figures: [http://www.nserc-crsng.gc.ca/NSERC-CRSNG/FactsFigures-TableauxDetailles\\_eng.asp](http://www.nserc-crsng.gc.ca/NSERC-CRSNG/FactsFigures-TableauxDetailles_eng.asp)

<sup>148</sup> Facts and Figures: [http://www.nserc-crsng.gc.ca/NSERC-CRSNG/FactsFigures-TableauxDetailles\\_eng.asp](http://www.nserc-crsng.gc.ca/NSERC-CRSNG/FactsFigures-TableauxDetailles_eng.asp)

<sup>149</sup> ライフサイエンスの研究開発状況(カナダ): <http://www.nedo.go.jp/content/100105666.pdf>

<sup>150</sup> ライフサイエンスの研究開発状況(カナダ): <http://www.nedo.go.jp/content/100105666.pdf>

<sup>151</sup> 2012 Research Funding in Figures: [http://www.snf.ch/SiteCollectionDocuments/por\\_fac\\_sta\\_kurz\\_jb12\\_e.pdf](http://www.snf.ch/SiteCollectionDocuments/por_fac_sta_kurz_jb12_e.pdf)

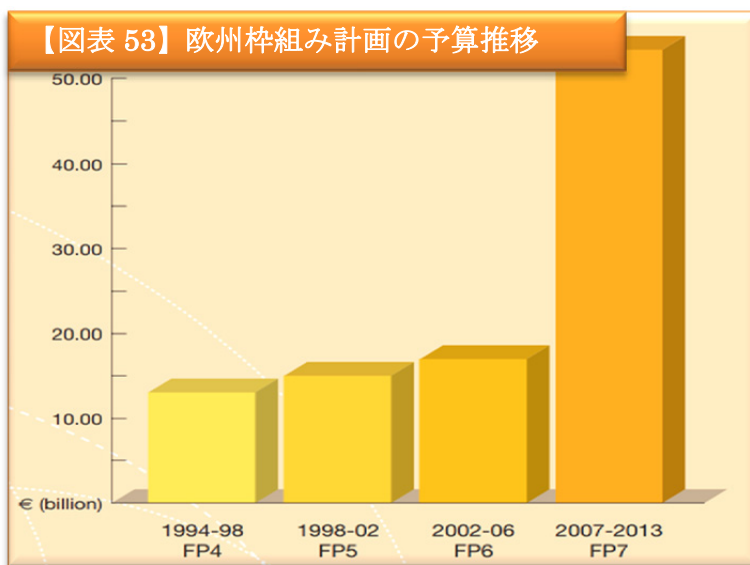
<sup>152</sup> 2012 Research Funding in Figures: [http://www.snf.ch/SiteCollectionDocuments/por\\_fac\\_sta\\_kurz\\_jb12\\_e.pdf](http://www.snf.ch/SiteCollectionDocuments/por_fac_sta_kurz_jb12_e.pdf)

た、橋渡し研究を支援する技術革新委員会（CTI）は、橋渡しに関するグラント助成、早期企業家の教育、ネットワーキングを行なっており、2012年度のCTIの生命科学分野予算は3,100万スイスフラン（約33億円）であり、応用研究と開発段階のプロジェクトが中心的に支援されており、年間100件を超える申請が行なわれている<sup>153</sup>。

## 参考資料5 欧州(EU)

欧州委員会は、『世界で最も活力と競争力に満ちた知的経済』となるためには、欧州域内の研究活動を域内GDPの3%に伸ばすとともに、この分野における能力を有効に活用し、科学成果を新しい製品・プロセス・サービスに具体化しなければならない<sup>154</sup>とし、7年間（2007年～2013年まで）にわたる、FP7（第七次研究枠組み計画）を実施中である。その目的は、欧州研究領域（ERA）を足場とする形で知的社会の構築であり下4項目の計画（協力、構想、人材、能力）を通じて、科学技術研究分野の能力をさらに高い水準に高めていく。その中で10の研究領域のうち、その第一・第二領域が、(1)保健、(2)食品、農業、バイオテクノロジーとされている。

全10分野の6年間の予算は、530億ユーロ（約7兆円）であり、研究開発費には、320億ユーロ（約4.2兆円）が配分される<sup>155</sup>。FP7予算では、FP6から63%の予算拡大が達成されている（図表53）<sup>156</sup>。



資料：The Seventh Framework Programme (FP7) Taking European Research to the Forefront：  
[http://ec.europa.eu/research/fp7/pdf/fp7-brochure\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/research/fp7/pdf/fp7-brochure_en.pdf) より抜粋

FP7の研究開発プログラム（Cooperation）には、320億ドル（約4.2兆円）が支出され、分野別予算によると、医療では60億ユーロ（約8,000億円）、食料、農業、水産、生物学では19億ユーロ（約2,500億円）、そして、ナノ科学では35億ユーロ（約4,600

<sup>153</sup> Leading Research for Better Quality of Life:

<http://www.kti.admin.ch/projektfoerderung/00032/00033/index.html?lang=en>

<sup>154</sup> EUの第七次研究枠組み計画(FP7): <http://www.euinjapan.jp/programme/fp7/>

<sup>155</sup> Cooperation in FP7: [http://ec.europa.eu/research/fp7/index\\_en.cfm?pg=cooperation](http://ec.europa.eu/research/fp7/index_en.cfm?pg=cooperation)

<sup>156</sup> The Seventh Framework Programme (FP7) Taking European Research to the Forefront:  
[http://ec.europa.eu/research/fp7/pdf/fp7-brochure\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/research/fp7/pdf/fp7-brochure_en.pdf)

億円) が支出される<sup>157</sup>。FP7 の後続プログラムであるホライズン 2020 (2014～2020) では、800 億ユーロ (約 10.5 兆円) の予算化が決定されている。欧州委員会のアンドゥルラ・バシリウ委員 (教育・文化担当) は、欧州イノベーション工科大学院 (EIT) の戦略的イノベーション・アジェンダを発表した。EIT はホライズン 2020 において 28 億ユーロの資金を受け取ることになる。これと平行して、アントニオ・タヤーニ副委員長が中小企業における競争力とイノベーションの強化を図る新たな補足的プログラムに、25 億ユーロの追加計上を発表した<sup>158</sup>。

ホライズン 2020 では、研究開発費として 6 つの研究分野に、317 億ユーロ (約 4.17 兆円) が決定されており、FP7 と比較すると、324 億ユーロ (約 4.2 兆円) 若干減少した傾向がある。ライフサイエンス分野としては、医療、人口変化、福祉、及び食料安全保障、持続可能な農業、海洋研究、生物ベース経済がある<sup>159</sup>。

<sup>157</sup> The Seventh Framework Programme (FP7) Taking European Research to the Forefront:  
[http://ec.europa.eu/research/fp7/pdf/fp7-brochure\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/research/fp7/pdf/fp7-brochure_en.pdf)

<sup>158</sup> ホライズン 2020——欧州委員会、成長と雇用の促進のため 800 億ユーロの研究・イノベーション投資を提案:  
<http://www.euin-japan.jp/media/news/news2011/20111130/110000/>

<sup>159</sup> The EU Framework Programme for Research and Innovation:  
[http://ec.europa.eu/research/horizon2020/index\\_en.cfm?pg=h2020](http://ec.europa.eu/research/horizon2020/index_en.cfm?pg=h2020)



## 謝辞

本調査報告書の作成にあたって、以下の有識者の方々に多数の貴重なご意見をいただき、また国内外の最新の研究動向や医療政策の動向などについて情報提供をいただきました。ここに深く御礼申し上げます。

- 犬塚 隆志 JST 再生医療研究推進部 企画調整グループ 調査役
- 大濱 隆司 JST ワシントン事務所 所長
- 北場 林 JST-CRDS 海外動向ユニット フェロー
- 篠原 加寿子 全米科学財団 (NSF) 東京事務所 科学担当官
- 福士 珠美 公益財団法人 先端医療振興財団 再生医療実現拠点ネットワークプログラム (JST) 主任研究員

(五十音順、敬称略、所属・役職は本報告書作成時点)

## ■ 報告書作成メンバー ■

浅島 誠	上席フェロー	(ライフサイエンス・臨床医学ユニット)
峯畑 昌道	フェロー	(ライフサイエンス・臨床医学ユニット)
西村 佑介	フェロー	(ライフサイエンス・臨床医学ユニット)
辻 真博	フェロー	(ライフサイエンス・臨床医学ユニット)

※お問い合わせ等は下記ユニットまでお願いします。

**CRDS-FY2013-OR-01**

**調査検討報告書**

# NIHを中心にみる米国のライフサイエンス・臨床医学 研究開発動向

平成 26 年 1 月 January 2014

独立行政法人 科学技術振興機構 研究開発戦略センター  
ライフサイエンス・臨床医学ユニット

Life Science / Clinical Research Unit, Center for Research and Development Strategy  
Japan Science and Technology Agency

---

〒102-0076 東京都千代田区五番町 7 番地

電 話 03-5214-7481

ファックス 03-5214-7385

<http://crds.jst.go.jp/>

©2013 JST/CRDS

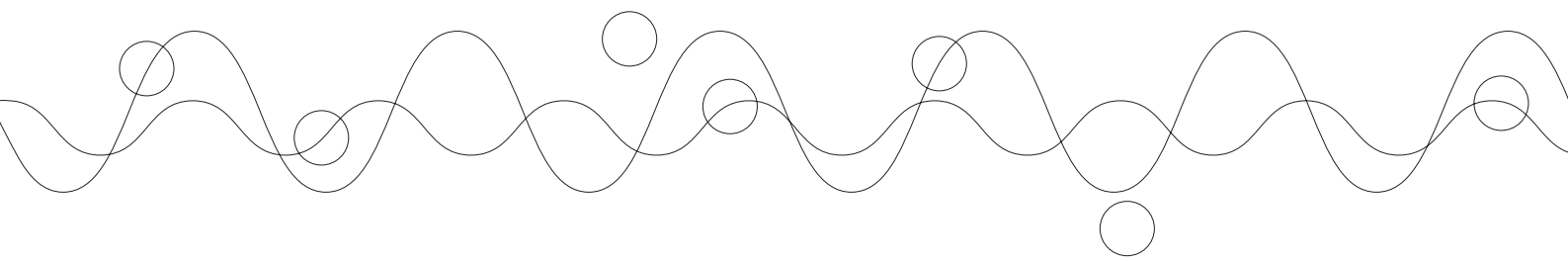
許可無く複写／複製することを禁じます。

引用を行う際は、必ず出典を記述願います。

No part of this publication may be reproduced, copied, transmitted or translated without written permission.

Application should be sent to [crds@jst.go.jp](mailto:crds@jst.go.jp). Any quotations must be appropriately acknowledged.

---



NIHを中心にみる米国のライフサイエンス・臨床医学研究開発動向

平成26年1月

JST/CERS