

2章 米国

【要 旨】

米国は研究開発においてライフサイエンス分野を国防に次いで重要視している。オバマ大統領の就任後、「米国イノベーション戦略」に基づき、2012年に発表された「全米バイオエコノミー青写真」によってライフサイエンス研究の更なる強化が打ち出され、脳の分野のBRAINイニシアティブや、高精度な個別化医療の促進を目指す精密医療(Precision Medicine)イニシアティブといった革新的な取組が始まっている。

I 背景・戦略

1 米国におけるライフサイエンス研究の位置づけ

米国連邦政府におけるライフサイエンス関連分野の連邦研究開発予算は国防分野に次いで多く、その位置づけは高い⁽¹⁾。2016年度⁽²⁾予算案の編成方針である大統領予算教書⁽³⁾における連邦研究開発予算は、国防総省(Department of Defense: DoD)が約721億ドル(約7兆4000億円)⁽⁴⁾、保健福祉省(Department of Health and Human Services: HHS)が約310億ドル(約3兆2000億円)であり、保健福祉省は連邦研究開発予算の21.3%を占めている⁽⁵⁾。

保健福祉省の中では国立衛生研究所(National Institutes of Health: NIH)の予算が大半を占めている。また、科学技術研究分野別の研究予算においても、ライフサイエンス分野は全体の約50%を占めており、研究分野としての位置づけが高いことが判る。⁽⁶⁾

* 本稿におけるインターネット情報の最終アクセス日は、2016年2月10日である。

- (1) OECD, "Government budget appropriations or outlays for RD in Health." OECD.Stat Website <http://stats.oecd.org/Index.aspx?DataSetCode=GBAORD_NABS2007>
- (2) 米国における会計年度は前年10月1日から当該年9月30日までである。2016年度の場合、2015年10月1日から2016年9月30日になる。
- (3) 「来年度予算案の編成方針を大統領が議会に提出する。米国では議会に予算編成権があり、また行政府には法案提出権がないため、議会が歳入、歳出に関する予算関連法案を独自に作成して審議する。したがって、通常予算教書は議会に対する大統領の提案にとどまり、何ら拘束性を有していない。このように、予算教書は法的には参考資料程度の意味しかないが、実際上は問題のない部分はそのまま受け入れられる。また、議論の余地がある部分についても歳出法案についても大統領が拒否権を行使することができるため、議会とホワイトハウスとの交渉により予算教書の内容を歳出法案にかなり反映させているのが実情である。」「2016年度予算教書」『アメリカ合衆国』2015.2.24. 外務省ウェブサイト <http://www.mofa.go.jp/mofaj/na/na2/us/page22_001840.html>
- (4) 円換算については購買力平価による。"World Economic Outlook Database, October 2015," 5. *Report for Selected Countries and Subjects*. International Monetary Fund Website <<http://www.imf.org/external/pubs/ft/weo/2015/02/weodata/weorept.aspx?pr.x=43&pr.y=9&sy=1980&ey=2020&scsm=1&ssd=1&sort=country&ds=.&br=1&c=924%2C453%2C576%2C172%2C132%2C134%2C158%2C112%2C111%2C542&s=PPPEX&grp=0&a=>>>の当該国、当該年の値を用いて換算。
- (5) Office of Management and Budget, *Analytical Perspectives, Budget of the United States Government, Fiscal Year 2016*, U.S. Government Publishing Office, 2015. <<https://www.whitehouse.gov/sites/default/files/omb/budget/fy2016/assets/spec.pdf>>
- (6) National Science Foundation, National Center for Science and Engineering Statistics, *Federal Funds for Research and Development: Fiscal Years 2013-15*, June 2015, pp.11-13. <<http://www.nsf.gov/statistics/2015/nsf15324/pdf/nsf15324.pdf>>

2 大統領予算教書から見る米国ライフサイエンス研究に係わる科学技術政策の流れ

ジョージ・W・ブッシュ（George W. Bush）政権下の2009年度まで、研究開発に関する大統領予算教書の編成方針である科学技術優先事項覚書⁽⁷⁾では、優先事項は研究分野別に示されていたが、オバマ政権に代わった2009年8月に発表されたオバマ政権初の2011年度同覚書では課題解決型の優先事項が設定された⁽⁸⁾。具体的には、4つの重要課題の1つとして、医療費を削減するとともに、米国人の長寿で健康的な生活を支援するため、生物医科学と情報技術を利用することが示された⁽⁹⁾。2010年2月に発表された2011年度大統領予算教書では、2009年9月の「米国イノベーション戦略」(Strategy for American Innovation: Driving Towards Sustainable Growth and Quality Jobs) (後述)においてライフサイエンス分野が戦略の要とされた⁽¹⁰⁾。

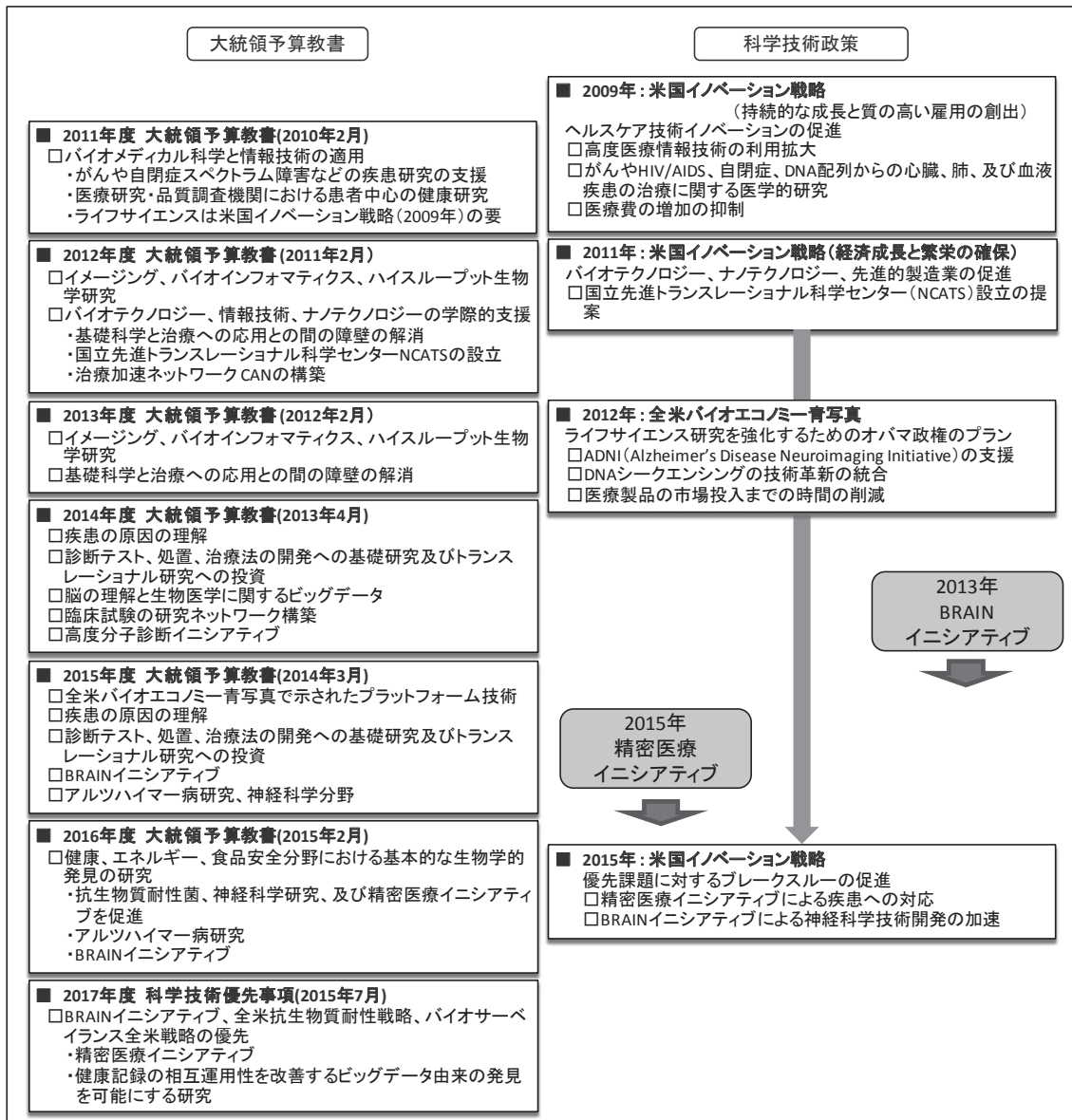
2011年2月に発表された2012年度大統領予算教書では、後述の国立先進トランスレーショナル科学センター(National Center for Advancing Translational Science: NCATS)と治療加速ネットワーク(Cures Acceleration Network: CAN)の設立を通じて、NIHは研究成果から臨床試験までの障害を減らすトランスレーショナル研究⁽¹¹⁾を推進するものと記載されている⁽¹²⁾。2012年4月には、ライフサイエンス研究を強化するための計画として「全米バイオエコノミー青写真(National Bioeconomy Blueprint, 2012年)」(後述)が大統領行政府から発表された。

2015年1月の大統領一般教書演説では、がんや糖尿病などの治療の実現や、個々の国民の健康維持に必要な情報を提供するために、新たに精密医療イニシアティブ(Precision Medicine Initiative) (後述)を開始することが示された⁽¹³⁾。2015年7月に発表された2017年度科学技術優先事項覚書では、特にBRAINイニシアティブ(Brain Research through Advancing Innovative Neurotechnologies Initiative) (後述)等の健康分野に多大な影響をもたらす研究を支援するプログラムの優先実施、精密医療イニシアティブにおける医療記録の運用性の向上や、プライバシー問題への対処、ビッグデータを用いた研究に資金を投入することが示された⁽¹⁴⁾。

-
- (7) 大統領行政府(Executive Office of the President of the United States: EOP) 行政管理予算局(Office of Management and Budget: OMB)と同科学技術政策局(Office of Science and Technology Policy: OSTP)の両局長連名による科学技術関連予算案の編成方針を示す覚書(Memorandum for the Heads of Executive Departments and Agencies)は前々会計年度の7月から8月に発表される。同様の覚書は1994年以降、発行されるようになった。科学技術振興機構研究開発戦略センター「米国科学技術動向報告: 2009年度連邦政府研究開発方針」, 2007.11.15, p.1. <<http://www.jst.go.jp/crds/pdf/2007/FU/US20071115.pdf>>
- (8) 2010年度の科学技術優先事項覚書は発表されていない。
- (9) Office of Management and Budget and Office of Science and Technology Policy, *Memorandum for the Heads of Executive Departments and Agencies: Science and Technology Priorities for the FY 2011 Budget*, August 4, 2009. <https://www.whitehouse.gov/sites/default/files/omb/assets/memoranda_fy2009/m09-27.pdf>
- (10) Office of Management and Budget, *Analytical Perspectives, Budget of the United States Government, Fiscal Year 2011*, U.S. Government Publishing Office, 2010, p.339. <<https://www.gpo.gov/fdsys/pkg/BU DGET-2011-PER/pdf/BUDGET-2011-PER.pdf>>
- (11) トランスレーショナル研究(橋渡し研究)とは、基礎研究で得られた成果を創薬、医療への応用へ結びつけるための研究のことである。
- (12) Office of Management and Budget, *Analytical Perspectives, Budget of the United States Government, Fiscal Year 2012*, U.S. Government Publishing Office, 2011, p.364. <<https://www.gpo.gov/fdsys/pkg/BU DGET-2012-PER/pdf/BUDGET-2012-PER.pdf>>
- (13) Office of the Press Secretary, "Remarks by the President in State of the Union Address | January 20, 2015." White House Website <<https://www.whitehouse.gov/the-press-office/2015/01/20/remarks-president-state-union-address-january-20-2015>>
- (14) Office of Management and Budget and Office of Science and Technology Policy, *Memorandum for the Heads of Executive Departments and Agencies: Multi-Agency Science and Technology Priorities for the FY 2017 Budget*, July 9, 2015, p.3. <<https://www.whitehouse.gov/sites/default/files/omb/memoranda/2015/m-15-16.pdf>>

前出の精密医療イニシアティブと BRAIN イニシアティブについては、2015年10月に改訂された「米国イノベーション戦略」にも、優先課題に対する解決策として新たに追加された⁽¹⁵⁾。以上の政策の流れを図1にまとめた。

図1 大統領予算教書から見る米国ライフサイエンス研究に係わる科学技術政策の流れ



(注) オバマ政権下の流れをまとめた。
(出典) 各種資料を基にみずほ情報総研作成。

(15) National Economic Council and Office of Science and Technology Policy, *A Strategy for American Innovation*, October 2015. <https://www.whitehouse.gov/sites/default/files/strategy_for_american_innovation_october_2015.pdf>

3 米国イノベーション戦略 (A Strategy for American Innovation、2009年、2011年改訂、2015年改訂)

「米国イノベーション戦略」は、イノベーション創出に向けたオバマ政権の基本方針をまとめたもので、2009年9月に発表され、2011年2月及び2015年10月に改訂されている。

2009年9月に「米国イノベーション戦略」(A Strategy for American Innovation: Driving Towards Sustainable Growth and Quality Jobs)が米国経済会議(National Economic Council: NEC)と科学技術政策局(Office of Science and Technology Policy: OSTP)により発表された。同戦略では、持続的成長と質の高い雇用の創出を目標として、「イノベーション基盤への資金投入」、「競争的市場の促進」、「優先課題への取組」の政策が掲げられた。4つの優先課題のうち、ライフサイエンス分野では、「ヘルスケア技術イノベーションの促進」に関する基本方針が示された。具体的には「高度医療情報技術の利用拡大」、「医学研究への注力」、「医療費の増加の抑制」が挙げられている。⁽¹⁶⁾

2011年の改訂版では、2009年の「米国イノベーション戦略」への取組状況を踏まえ、新たな基本方針が示されている。優先課題として「バイオテクノロジー、ナノテクノロジー、先進的製造業の促進」が追加された。ライフサイエンス分野では、バイオテクノロジーを加速するため、NIHによる国立先進トランスレーショナル科学センター(NCATS)設置を推進・支援する方針が示された。⁽¹⁷⁾

また、2015年の改訂版では、それまでの戦略を踏襲しつつ、優先課題に対する解決策として、患者にとって最も効果的な治療を見出す精密医療イニシアティブと、神経科学の技術開発を加速するBRAINイニシアティブが新たに加えられた。2016年度の予算でそれぞれ2億1500万ドル(約222億円)、3億ドル(約310億円)が充てられている。⁽¹⁸⁾

4 全米バイオエコノミー青写真 (National Bioeconomy Blueprint、2012年)

「全米バイオエコノミー青写真」はライフサイエンス研究を強化するためのオバマ政権の計画であり、2012年4月に大統領行政府から発表された。

2013年7月に発表された2015年度科学技術優先事項覚書では、「全米バイオエコノミー青写真」で示されたプラットフォーム技術(例えば、合成生物学、システム・バイオロジー、ハイスループット・バイオロジー⁽¹⁹⁾)や、バイオサーベイランス全米戦略(National Strategy for Biosurveillance)⁽²⁰⁾、BRAINイニシアティブ、その他の神経科学に関する重点分野を優先するとされた⁽²¹⁾。

(16) National Economic Council and Office of Science and Technology Policy, *A Strategy for American Innovation: Driving Towards Sustainable Growth and Quality Jobs*, September 2009, pp.21-22. <https://www.whitehouse.gov/assets/documents/SEPT_20_Innovation_Whitepaper_FINAL.pdf>

(17) National Economic Council et al., *A Strategy for American Innovation: Securing Our Economic Growth and Prosperity*, February 2011, pp.5, 27-28. <<https://www.whitehouse.gov/sites/default/files/uploads/InnovationStrategy.pdf>>

(18) National Economic Council and Office of Science and Technology Policy, *op.cit.*(16), pp.88-90.

(19) 大量の化合物の中から、短時間で目的とするターゲット分子に親和性を有する化合物の探索を行うハイスループット・スクリーニングなどの技術。

(20) The White House, *National Strategy for Biosurveillance*, July 31, 2012. <https://www.whitehouse.gov/sites/default/files/National_Strategy_for_Biosurveillance_July_2012.pdf>; 連邦、州、地方の各政府、民間企業などが連携して、生物学的脅威の発生に対するバイオサーベイランス(生物学的監視)対応能力を強化することを目標とした戦略。

(21) Office of Management and Budget and Office of Science and Technology Policy, *Memorandum for the Heads of Executive Departments and Agencies: Science and Technology Priorities for the FY 2015 Budget*, July 26, 2013. <<https://www.whitehouse.gov/sites/default/files/omb/memoranda/2013/m-13-16.pdf>>

そこに掲げられた5つの戦略目標は、①バイオエコノミー⁽²²⁾の基盤となる研究開発への資金投入、②トランスレーショナル研究とレギュラトリー・サイエンス⁽²³⁾の支援による研究室から市場への技術移転促進、③審査工程の効率化と精度向上のための規制改革、④バイオエコノミーのための産学連携による学生研修プログラムの刷新、⑤官民連携の促進である。ライフサイエンス分野の官民連携支援としては、アルツハイマー病の早期診断技術のために NIH や食品医薬品局 (Food and Drug Administration: FDA) と 20 以上の製薬企業が参画する Alzheimer's Disease Neuroimaging Initiative (ADNI) のほか、国立標準技術研究所 (National Institute of Standards and Technology: NIST)、FDA、疾病管理予防センター (Centers for Disease Control and Prevention: CDC)、NIH、民間企業による DNA シークエンシングの技術革新の統合が挙げられている。また規制改革として、FDA による医療製品の承認と、メディケア・メディケイド・センター (Centers for Medicare & Medicaid Services: CMS) による公的医療制度であるメディケア (medicare) とメディケイド (medicaid)⁽²⁴⁾の受給者対象審査の時間短縮等が挙げられている。⁽²⁵⁾

II 関連機関とその役割

1 所管官庁

米国の科学技術政策に大きく係わる機関として科学技術政策局がある。また、米国における医薬品・医療機器の承認・審査・安全対策、疾病対策、研究開発等の医療に関する行政を掌る連邦政府機関は保健福祉省である。保健福祉省は医薬品等の審査を行う FDA、疾病対策を行う CDC、医学研究を行う NIH などを傘下に持つ。NIH は米国のライフサイエンス分野の象徴的な機関であり、プロジェクトなどによる資金配分を行うとともに、傘下の研究所内において研究を実施する機関でもある。また、全米科学財団 (National Science Foundation: NSF) は生物科学や BRAIN イニシアティブに関わる研究を支援している。

(1) 科学技術政策局 (Office of Science and Technology Policy: OSTP)

科学技術政策局は大統領行政府 (Executive Office of the President of the United States: EOP) に 1976 年に設置された、大統領とスタッフへの科学技術に関する助言を行うとともに、行政府の科学技術関連業務を調整する組織である⁽²⁶⁾。

ライフサイエンス分野においても、前述の米国イノベーション戦略の策定等の取りまとめの責任機関となっている。また、科学技術政策局局長は行政管理予算局 (Office of Management and Budget: OMB) 局長と連名で科学技術研究開発に関する大統領予算教書の編成方針である科学技術優先事項に関する覚書 (Memorandum for the Heads of Executive

(22) バイオエコノミーとは、バイオテクノロジーの新しい発見や適用から生まれる様々な経済活動を包含する概念である。

(23) レギュラトリー・サイエンスとは、医薬品・医療機器の規制に必要とされる品質、安全性、有効性の評価を客観的に行うための科学を指す。

(24) 米国の医療保険制度は国民皆保険制度ではなく、メディケアとメディケイドの2つの公的医療制度による。メディケアは主に65歳以上の高齢者を、メディケイドは主に低所得者を対象とした公的医療制度であり、連邦政府と各州政府が共同負担し、運営は各州が行っている。

(25) The White House, *National Bioeconomy Blueprint*, April 2012, pp.1-5. <https://www.whitehouse.gov/sites/default/files/microsites/ostp/national_bioeconomy_blueprint_april_2012.pdf>

(26) OSTP の任務は 1976 年に決議された法律 (National Science and Technology Policy, Organization, and Priorities Act of 1976, P.L.94-282) によって定められている。

Departments and Agencies: Science and Technology Priorities) を発表している。

(2) 保健福祉省 (Department of Health & Human Services: HHS)

保健福祉省は米国民の健康福祉の向上と保護を使命としている⁽²⁷⁾。戦略目標は4年ごとに更新され、2014年度から2018年度までの戦略目標は、①ヘルスケアの強化、②科学的知識とイノベーションの促進、③健康・安全・福祉の増進、④プログラムの効率性、透明性、説明責任及び実効性を確保することである⁽²⁸⁾。

組織としては、主に医学研究の実施等を担う NIH、医薬品等の認証審査等を担う FDA 及び疾病予防管理を担う CDC 等の公衆衛生庁 (Public Health Service: PHS) の9機関に福祉サービス2機関を加えた、計11の機関を傘下に擁している⁽²⁹⁾。

2016年度大統領予算教書における保健福祉省の裁量的予算及び義務的予算⁽³⁰⁾を合わせた予算は約1兆930億ドル (約112兆8173億円) であり、そのうちの85%を義務的予算であるメディケア・メディケイド・センターによるメディケア及びメディケイドが占めている。主な機関の2016年度大統領予算教書における予算は、NIHが約305億ドル (約3兆1481億円)、CDCが約75億ドル (約7741億円)、FDAが約27億ドル (約2741億円) である⁽³¹⁾。ここで、保健福祉省の研究開発予算は、約310億ドル (約3兆2000億円) である⁽³²⁾。

(3) 国立衛生研究所 (National Institutes of Health: NIH)

NIHは保健福祉省傘下の医学研究分野における最大の資金配分機関であるとともに、全体で1,200人以上の主任研究者と4,000人以上の博士研究員が在籍する生物医学研究機関でもある⁽³³⁾。その使命は健康増進、長寿命化、及び疾病や身体障害の減少のため、自然や生命システムの基本的な知識を探求することである。機関としての目標は、革新的・創造的な研究戦略・研究開発により、医療及び関連科学に係る知識基盤を拡大し、科学に係る人的・物的資源の開発、維持、刷新を行い、国民の健康を促進及び保護することである。⁽³⁴⁾

NIHは所長室 (Office of the Director: OD) 及び27の研究所やセンターで構成されており、それぞれが独自の研究課題に取り組むとともに、研究資金配分を行っている⁽³⁵⁾。特徴的な機関として、臨床研究に特化した臨床研究病院である臨床センター (Clinical Center: CC) がある。臨床センターは1944年の公衆衛生法 (Public Health Service Act, P.L.78-410) により、1953年に開設された研究病院である⁽³⁶⁾。臨床センターでの治療は無料であるが、研究病院であ

(27) “About HHS.” Department of Health & Human Services Website <<http://www.hhs.gov/about/>>

(28) “HHS Strategic Plan.” Department of Health & Human Services Website <<http://www.hhs.gov/about/strategic-plan/index.html>>

(29) “HHS Agencies & Offices.” Department of Health & Human Services Website <<http://www.hhs.gov/about/agencies/hhs-agencies-and-offices/index.html>>

(30) 裁量的予算とは、議会で毎年可決される歳出法案のなかで金額が決められるものである。義務的予算とは、その経費を支出できる権限を与える法律が立法されると、それ以降の毎年度の歳出が認められるものである。

(31) Department of Health & Human Service, *Fiscal Year 2016 Budgets in Brief: Strengthening Health and Opportunity for All Americans*, pp.14-17. <<http://www.hhs.gov/sites/default/files/budget/fy2016/fy-2016-budget-in-brief.pdf>>

(32) Office of Management and Budget, *op.cit.*(5), p.298.

(33) “Organization and Leadership.” National Institutes of Health Website <<http://irp.nih.gov/about-us/organization-and-leadership>>

(34) “Mission and Goals.” National Institutes of Health Website <<http://www.nih.gov/about/mission.htm>>

(35) “List of NIH Institutes, Centers, and Offices.” National Institutes of Health Website <<http://www.nih.gov/institutes-nih/list-nih-institutes-centers-offices>>

(36) “Our history: Some highlights.” Clinical Center Website <<http://clinicalcenter.nih.gov/about/welcome/hist>>

るため研究に関連する疾病の患者が選ばれている⁽³⁷⁾。

NIH の予算は 2010 年度以降は 300 億ドル前後で推移している。1990 年代前半は 100 億ドル前後であった予算は、1998 年度の約 130 億ドルから 2003 年度の約 259 億ドルに倍増⁽³⁸⁾している。この NIH の予算の急激な変化は、1998 年第 105 議会における NIH の予算を倍増させる決議⁽³⁹⁾の成立によるものである。

NIH の 2016 年度予算は総額約 323 億ドル (約 3 兆 3340 億円) であり、80%以上は競争的資金、研究開発契約、人材育成資金として外部に助成されている。2016 年度の予算の 80%以上が大学、医学研究機関、病院を含む 2,500 を超える機関の 30 万人以上の研究者によるプロジェクトに助成金として支給される。⁽⁴⁰⁾

NIH の 2016 年度予算の約 11%は NIH 内部の研究費であり、傘下の研究所やセンターに支給される。2016 年度大統領予算教書において、傘下の研究所やセンターの中では国立がん研究所 (National Cancer Institute: NCI, 50 億 9800 万ドル、約 5262 億円)、国立アレルギー・感染症研究所 (National Institute of Allergy and Infectious Diseases: NIAID, 46 億 1500 万ドル、約 4764 億円)、国立心肺血液研究所 (National Heart, Lung, and Blood Institute: NHLBI, 30 億 7200 万ドル、約 3171 億円)、国立総合医科学研究所 (National Institute of General Medical Sciences: NIGMS, 24 億 3400 万ドル、約 2512 億円) の 4 研究所が全体予算の約半分 (48.6%) を占めている。⁽⁴¹⁾

研究分野別に見ると、NIH の研究予算の約 3 分の 1 が、臨床研究 (Clinical Research) に充てられており、2016 年度には 114 億ドル (約 1 兆 1767 億円) を投じる見込みである⁽⁴²⁾。また、米国における臨床研究件数においても、NIH 傘下の研究所やセンターによるものが多くなっており、米国の臨床研究における NIH の存在は大きい⁽⁴³⁾。

NIH における研究資金の申請は科学審査センター (Center for Scientific Review: CSR) に提出する。NIH の審査は 2 段階で行われる。第 1 段階は CSR による審査であり、案件ごとに科学審査官 (Scientific Review Officer: SRO) が 20 人以上の外部審査委員とともに審査を行う。第 2 段階では、SRO に代わり、NIH を構成する各研究所・センターのプログラム・オフィサーが審査過程を管理する⁽⁴⁴⁾。2014 年度の NIH 全体の採択率は 18.1%であり、2003 年までの約 30%の採択率から 2006 年にかけて採択率が低下し、2006 年以降は 20%前後となっている⁽⁴⁵⁾。

ory.shtml>

(37) “Frequently Asked Questions.” Clinical Center Website <<http://clinicalcenter.nih.gov/about/welcome/faq.shtml>>

(38) “National Institutes of Health, Actual Obligations by Budget Mechanism FY1983-FY1999.” National Institutes of Health Website <https://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/spending_history/Mechanism%20Detail%20for%20Total%20NIH%20FY%201983%20-%20FY%201999.pdf>; “National Institutes of Health, Actual Obligations by Budget Mechanism FY2000-FY2014.” National Institutes of Health Website <<https://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/FY16/Mechanism%20Detail%20for%20NIH%20FY%202000-FY%202014%205%2019%2015.pdf>>

(39) H.Con.Res. 284 (105th): Budget resolution FY1999.

(40) “Budget,” October 14, 2015. National Institutes of Health Website <<http://www.nih.gov/about-nih/what-we-do/budget>>

(41) “FY2016 Budget in Brief – NIH.” Department of Health & Human Services Website <<http://www.hhs.gov/about/budget/budget-in-brief/nih/index.html>>

(42) “Estimates of Funding for Various Research, Condition, and Disease Categories (RCDC),” February 5, 2015. NIH Website <https://report.nih.gov/categorical_spending.aspx>

(43) 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「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」, 2014, p.47. <<http://www.jst.go.jp/crds/pdf/2013/OR/CRDS-FY2013-OR-01.pdf>>

(44) “The Peer Review Process.” Center for Scientific Review Website <<http://public.csr.nih.gov/ApplicantResources/ReceiptReferral/Pages/The-Peer-Review-Process.aspx>>

(45) “Research Project Success Rates by Type and Activity for 2014.” National Institutes of Health Website

(4) 疾病管理予防センター (Centers for Disease Control and Prevention: CDC)

CDC は米国民を健康に対する脅威から守ることを使命とする保健福祉省傘下の機関である。「健康上の脅威の検出と対応」、「死や障害を引き起こす健康問題への取組」、「疾病予防への先進科学技術の適用」、「健康で安全な行動や社会環境の推進」、「公衆衛生に関する指導者育成」及び「健康動向の調査」を役割としている⁽⁴⁶⁾。

CDC は研究開発活動も行っており、24 州、26 大学の予防研究センターからなる全国ネットワークである予防研究センター (Prevention Research Centers: PRC) を組織し、心臓病、肥満、がんなどの慢性疾患のためのリスク回避・対処法を研究している。PRC は予防研究を実施し、健康促進が実証された診療の幅広い実践を奨励する相互依存ネットワークとしての機能を持つ⁽⁴⁷⁾。

2016 年度大統領予算教書における CDC の予算は総額約 70 億ドル(約 7225 億円)である。予算要求における取組テーマとしては、抗生物質耐性菌⁽⁴⁸⁾と薬剤過剰摂取予防が挙げられている。⁽⁴⁹⁾

(5) 食品医薬品局 (Food and Drug Administration: FDA)

FDA は総合的な消費者保護機関⁽⁵⁰⁾であり、ヒト及び動物用医薬品、生物学的製剤、医療機器、食品⁽⁵¹⁾、化粧品、放射線を放出する製品の品質、有効性及び安全性を審査によって保証することで公衆衛生を維持することを責務とする。また、医薬品をより効果的に、より安全、より安価に製造する技術開発を支援することにより、公衆衛生を推進する役割を担う。⁽⁵²⁾

2016 年度大統領予算教書における FDA の予算は総額約 49 億ドル(約 5058 億円)である。そのうち、食品の安全性確保に約 15 億ドル (31.0%、約 1548 億円)、医薬品の安全性確保には約 27 億ドル (54.8%、約 2741 億円)となっている。⁽⁵³⁾

2 資金配分機関

米国連邦政府によるライフサイエンス分野の主な資金配分機関は NIH (前述) である。そのほか、国防総省 (DoD) の国防高等研究計画局 (Defense Advanced Research Projects Agency:

<https://report.nih.gov/success_rates/Success_ByActivity.cfm>

(46) “Mission, Role and Pledge.” Centers for Disease Control and Prevention Website <<http://www.cdc.gov/about/organization/mission.htm>>

(47) “About Program.” Centers for Disease Control and Prevention Website <<http://www.cdc.gov/prc/about-prc-program/index.htm>>

(48) 抗生物質が効かない細菌のこと。最近では多剤耐性菌という多くの抗生物質に耐性を獲得した菌が問題となっている。多剤耐性菌に感染した場合、使える抗菌薬の種類は限定され治療が困難になる。

(49) Centers for Disease Control and Prevention, “Department of Health and Human Services Fiscal Year 2016: Justification of Estimates for Appropriation Committees,” pp.8-9. <<http://www.cdc.gov/budget/documents/fy2016/fy-2016-cdc-congressional-justification.pdf>>

(50) “History.” Food and Drug Administration Website <<http://www.fda.gov/AboutFDA/WhatWeDo/History/default.htm>>

(51) 食肉や鶏卵及びその加工品の安全性、品質、食品表示は農務省 (Department of Agriculture) が所管している。

(52) “About FDA.” Food and Drug Administration Website <<http://www.fda.gov/AboutFDA/WhatWeDo/default.htm>>

(53) U.S. Food and Drug Administration, “FY 2016 President’s Budget: BUDGET HIGHLIGHTS,” February 2015. <<http://www.fda.gov/downloads/AboutFDA/ReportsManualsForms/Reports/BudgetReports/UCM432650.pdf>>

DARPA)、退役軍人省 (Department of Veterans Affairs: VA)、米国航空宇宙局 (National Aeronautics and Space Administration: NASA) においても医療に係るライフサイエンス分野の研究への資金配分は行われているが、NIH を含む保健福祉省に医療に係るライフサイエンス分野の資金配分が集中している。生物科学については、農務省 (United States Department of Agriculture: USDA) や NSF、エネルギー省 (Department of Energy: DOE) の科学局 (Office of Science) でも多くの資金が配分されている。⁽⁵⁴⁾

米国のライフサイエンス分野における研究開発の資金配分については、連邦政府以外の州政府機関や、非営利慈善団体等も重要な役割を担っている。例えば、幹細胞研究や再生医療研究については、カリフォルニア州やニューヨーク州で公的資金助成が行われている。州政府機関であるカリフォルニア再生医療機構 (California Institute for Regenerative Medicine: CIRM) (後述) は大学・研究機関の幹細胞研究を対象として支援を行っている。ニューヨーク州幹細胞科学 (New York State Stem Cell Science: NYSTEM)⁽⁵⁵⁾ はニューヨーク州全体で幹細胞研究を支援するために 2007 年に発足し、累計で 35 の研究機関に 3 億 5400 万ドル (約 365 億円) の助成を行っている⁽⁵⁶⁾。また、民間非営利慈善団体であるハワード・ヒューズ医学研究所も生物医学分野の研究助成機関として重要である。

(1) ハワード・ヒューズ医学研究所 (Howard Hughes Medical Institute: HHMI)

ハワード・ヒューズ医学研究所は、1953 年にヒューズ・エアクラフト社の創業者であるハワード・ヒューズが提供した資金により⁽⁵⁷⁾、人類の利益のため生物医学研究と科学教育の推進をミッションとする科学慈善団体として設立された⁽⁵⁸⁾。

ハワード・ヒューズ医学研究所の研究プログラムはプロジェクト助成ではなく、長期間にわたって高難度の研究に取り組む研究者を直接支援している。また、創造性、共同研究、学際的思考を奨励している。ハワード・ヒューズ医学研究所における研究者は、定期的な公募により全米の研究機関から申請を受け付け、厳正な審査によって選考される。研究者は研究機関に所属しながら、ハワード・ヒューズ医学研究所の支援を受ける。その際には研究室職員の給与を含む研究費がハワード・ヒューズ医学研究所から提供される。また、研究者は、当該機関での教育活動も継続し、他の機関からの追加的な研究支援を受けることもできる⁽⁵⁹⁾。

ハワード・ヒューズ医学研究所は生物医学研究において米国内最大、純資産 186 億ドル (2014 年度、約 1 兆 9025 億円) の民間資金助成機関であり、2005 年以来、累計約 80 億ドル (約 8257 億円) を生物医学研究に助成している。2014 年度では、科学教育の支援に 7700 万ドル (約 79 億円)、米国内の生物医学研究への支援は 7 億 600 万ドル (約 722 億円) であった。⁽⁶⁰⁾

2006 年に開設されたバージニア州にあるジャネリア・リサーチ・キャンパス (Janelia

(54) National Science Foundation, National Center for Science and Engineering Statistics, *op.cit.*(6), pp.64-65.

(55) New York State Stem Cell Science Website <<http://nystem.com>>

(56) “About Us.” New York State Stem Cell Science Website <<http://nystem.com/about-us-0>>

(57) “History.” Howard Hughes Medical Institute Website <<http://www.hhmi.org/about/history>>

(58) “About Us.” Howard Hughes Medical Institute Website <<http://www.hhmi.org/about>>

(59) “Biomedical Research Programs.” Howard Hughes Medical Institute Website <<http://www.hhmi.org/programs/biomedical-research>>; “Investigator Program.” Howard Hughes Medical Institute Website <<http://www.hhmi.org/programs/biomedical-research/investigator-program>>

(60) “2014 Year in Review.” Howard Hughes Medical Institute Website <<http://media.hhmi.org/yearinreview/2014/>>

Research Campus)⁽⁶¹⁾は期限無し、規則無し、予定無し、任期無しの研究施設であり、脳科学とイメージング技術⁽⁶²⁾を重点分野としている。共同研究を推進するため、施設は研究室の内外を問わず分野を越えた交流を促すように設計されている。また、研究者から管理と教育の職務をなくしている。⁽⁶³⁾

ハワード・ヒューズ医学研究所の支援を受けた研究者から、イメージング技術でノーベル賞を受賞した研究者（2014年、エリック・ベツィグ（Eric Betzig）をはじめ、多くのノーベル賞受賞者を輩出している。⁽⁶⁴⁾

(2) カリフォルニア再生医療機構（California Institute for Regenerative Medicine: CIRM）

2004年、カリフォルニア州の住民投票⁽⁶⁵⁾ Proposition 71: the California Stem Cell Research and Cures Initiative⁽⁶⁶⁾により、大学・研究機関の幹細胞研究を対象として10年間で最大30億ドルの支援を行うカリフォルニア再生医療機構の設立が承認された。⁽⁶⁷⁾カリフォルニア再生医療機構の使命はアンメットメディカルニーズ⁽⁶⁸⁾のある患者に対する幹細胞治療を促進することである⁽⁶⁹⁾。

2006年から支援が開始され、当初は30億ドル（約3758億円）のうち、約27億5000万ドル（約3445億円）は研究・設備、次世代の幹細胞研究者育成に、残りは助成金支給・管理に配分が予定されていたが、実際には研究機関と企業に14億ドル（約1754億円）が助成されたのみであった⁽⁷⁰⁾。2015年1月には、従来からの「Infrastructure」、「Education」に加えて、「Clinical」が、次いで2015年秋には「Discovery」、「Translational」を加えた合計5つのテーマで新たな研究支援プログラムとしてCIRM2.0がスタートした⁽⁷¹⁾。

3 研究開発実施機関

米国におけるライフサイエンス分野の研究開発（資金配分を含む）は保健福祉省傘下のNIH（前述）を中心に行われている。資金配分機関でもあるNIHから研究助成等を受け、多くの大学、医療研究機関、病院においても研究開発が実施されている。代表例として国立先進トランスレーショナル科学センターを紹介する。

国立先進トランスレーショナル科学センターは、NIHの27の研究所のうちの1つであり、2011年12月に設立された。トランスレーショナル研究のイノベーションを推進する

(61) Janelia Research Campus Website <<https://www.janelia.org/>>

(62) 生きている脳内の各部の生理学的な活動を様々な方法で測定し、それを画像化すること、あるいはそれに用いられる技術のこと。

(63) “Janelia’s Philosophy.” Janelia Research Campus Website <<https://www.janelia.org/janelia-philosophy>>

(64) “Eric Betzig Wins 2014 Nobel Prize in Chemistry,” 2014.10.8. Janelia Research Campus Website <<https://www.janelia.org/news/eric-betzig-wins-2014-nobel-prize-chemistry>>; “Nobel Laureates.” Howard Hughes Medical Institute Website <<http://www.hhmi.org/scientists/nobel-laureates>>

(65) カリフォルニア州では住民投票による立法が行われている。山岡規雄「カリフォルニア州における直接民主制」『レファレンス』国立国会図書館調査及び立法考査局, No.707, 2009.12, pp.104-105. <http://dl.ndl.go.jp/view/download/digidepo_1166419_po_070705.pdf?contentNo=1&alternativeNo=>>

(66) “Proposition 71: the California Stem Cell Research and Cures Initiative,” Text of Proposed Laws, p.147. <https://www.cirm.ca.gov/sites/default/files/files/about_cirm/prop71.pdf>

(67) “History.” California’s Stem Cell Agency Website <<https://www.cirm.ca.gov/about-cirm/history>>

(68) 未だ満足と言える治療法が存在しない疾患のこと。（詳しくは、第I部総論参照）

(69) “Our Mission.” California’s Stem Cell Agency Website <<https://www.cirm.ca.gov/about-cirm/our-mission>>

(70) “Where CIRM Funding Goes.” California’s Stem Cell Agency Website <<https://www.cirm.ca.gov/about/where-cirm-funding-goes>>

(71) “Funding Opportunities.” California’s Stem Cell Agency Website <<https://www.cirm.ca.gov/researchers/funding-opportunities>>

ハブとして機能し、規制機関、大学、研究機関、非営利団体、民間セクター等のパートナーと協力して、効果的な治療法の開発促進を目的としている。

国立先進トランスレーショナル科学センターが主導する革新的なプロジェクトの例としては、NIH、国防高等研究計画局、FDA が共同で実施する最先端チップ技術開発が挙げられる。この新技術を利用することで、研究者は現在の方法よりもはるかに迅速かつ効率的に、安全で効果的な薬物を選び出すことができる⁽⁷²⁾。2016年現在、プロジェクトはフェーズ2（2014-2017年）が実施されている⁽⁷³⁾。

国立先進トランスレーショナル科学センターでは、前臨床研究における医薬品開発プロセスの改善、医薬品の適用拡大、試験予測モデルの研究とともに、臨床研究におけるトランスレーショナル研究及び希少疾患研究をテーマとして、多くのプログラムやイニシアティブが実施されている⁽⁷⁴⁾。

III 研究開発プログラム・制度

本節では、2015年に改訂された「米国イノベーション戦略」において、ライフサイエンス分野のプログラムとして大きく取り上げられている BRAIN イニシアティブと精密医療イニシアティブを取り上げる。

1 BRAIN イニシアティブ

BRAIN イニシアティブはオバマ大統領によって2013年4月に発表された人間の脳機能の解明を目指すプロジェクトであり、オバマ政権におけるグランド・チャレンジの1つとして位置づけられている⁽⁷⁵⁾。全体の目的は、脳の回路をマッピングし、活動の変動パターンを測定し、それらの相互作用が認識・行動の機能にどのように関連しているのかを解明することである⁽⁷⁶⁾。

また、BRAIN イニシアティブのうち NIH が担当する研究開発プログラムについて、目標、スケジュール、コストを検討するワーキング・グループが設置され、2014年に報告書がまとめられた。報告書では、目標として①脳細胞の健康及び疾病時の役割の特定、②脳の神経回路のマッピング、③脳の機能の解明、④脳活動と神経回路の因果関係の証明、⑤脳の基本動作原理の同定、⑥脳の理解と治療への応用、⑦開発された新しい技術の統合の7つを掲げた。2016年度から始まる10年間の計画としては、最初の5年間で技術開発に注力し、残りの5年間では技術を統合することに焦点を合わせるとされた。⁽⁷⁷⁾

予算は2015年度が約2億ドル（約206億円）、2016年度が約3億ドル（約310億円）であ

(72) “NIH establishes National Center for Advancing Translational Sciences,” *News Releases*, December 23, 2011. NIH Website <<http://www.nih.gov/news-events/news-releases/nih-establishes-national-center-advancing-translational-sciences>>

(73) “About Tissue Chip.” National Center for Advancing Translational Sciences Website <<http://www.ncats.nih.gov/tissuechip/about>>

(74) National Center for Advancing Translational Sciences, *National Center for Advancing Translational Sciences: 2014 Report*, pp.3-18. <http://ncats.nih.gov/files/NCATS_2014_report.pdf>

(75) “BRAIN Initiative: Brain Research through Advancing Innovative Neurotechnologies.” White House Website <<https://www.whitehouse.gov/BRAIN>>

(76) National Institutes of Health, *The BRAIN Initiative*, September 2014. <http://www.braininitiative.nih.gov/pdf/BRAIN_brochure_508C.pdf>

(77) *BRAIN 2025: A Scientific Vision*, June 5, 2014, pp.5-8. <http://braininitiative.nih.gov/pdf/BRAIN2025_508C.pdf>

る。2016年度からは、国防高等研究計画局、NIH、NSF、FDAに、米国情報長官官房（Office of Director of National Intelligence: ODNI）傘下のセンターであるインテリジェンス高等研究計画活動（Intelligence Advanced Research Projects Activity: IARPA）が加わり、参画する政府機関は全部で5機関となった。また、官民パートナーシップとして、神経科学関連の民間研究所や財団との研究提携を行うことが示され、ハワード・ヒューズ医学研究所、アレン脳科学研究所（Allen Institute for Brain Science）、及びカブリ財団（The Kavli Foundation）を含めた財団や民間研究機関は BRAIN イニシアティブに総額2億4000万ドル（約248億円）以上の支援をしている。⁽⁷⁸⁾

2 精密医療イニシアティブ

2015年のオバマ大統領による一般教書演説において、精密医療イニシアティブを立ち上げることが述べられた⁽⁷⁹⁾。「平均的な患者」のためにデザインされた従来型の医療（one-size-fits-all型医療）から、精密医療によって遺伝子、環境、ライフスタイルの個人差を考慮した予防と治療を行うイノベーティブなアプローチへ変えることが見込まれている⁽⁸⁰⁾。NIH所長であるフランシス・コリンズ（Francis Collins）博士は、近年の大規模生物学的データベースの構築、患者を特徴づける手法及び解析ツールの技術向上を背景として、精密医療イニシアティブは高精度医療への創造的なアプローチを促進する研究プログラムであるとしている。⁽⁸¹⁾

精密医療イニシアティブの目標は、がん治療法、研究コホート⁽⁸²⁾の創設、プライバシー保護への取組、規制の近代化、官民パートナーシップの強化を目指している。精密医療イニシアティブでは健康情報技術及びゲノミクスを活用して、プライバシーの保護に配慮しながら、大規模なデータセットを分析する。そのため、NIHとともにFDAと全米保健IT調整官室（Office of the National Coordinator for Health Information Technology: ONC）が取り組むこととされた。2016年度大統領予算教書では、精密医療イニシアティブに保健福祉省傘下の機関であるNIH、FDA、全米保健IT調整官室に2億1500万ドル（約222億円）の資金配分が示された。そのうち、NIHに対しては100万人以上のボランティアからなる研究コホートの創設のために1億3000万ドル（約134億円）、がん細胞のゲノム情報からがんに関与する遺伝子（ドライバー遺伝子）を発見する技術の拡大に7000万ドル（約72億円）が投入される。⁽⁸³⁾

また、NIHは100万人以上からなる大規模な研究コホートを推進するため、専門家によるワーキング・グループを設置した⁽⁸⁴⁾。2015年9月に発表されたワーキング・グループに

(78) Office of Science and Technology Policy, “Obama Administration Proposes Over \$300 Million in Funding for The BRAIN Initiative,” *White House Office of Science and Technology Policy*, February 2015. <https://www.whitehouse.gov/sites/default/files/microsites/ostp/brain_initiative_fy16_fact_sheet_ostp.pdf>

(79) Office of the Press Secretary, *op.cit.*(13)

(80) Office of the Press Secretary, “Fact Sheet: President Obama’s Precision Medicine Initiative,” January 30, 2015. White House Website <<https://www.whitehouse.gov/the-press-office/2015/01/30/fact-sheet-president-obama-s-precision-medicine-initiative>>

(81) Francis S. Collins and Harold Varmus, “A New Initiative on Precision Medicine,” *The New England Journal of Medicine*, 372(9), February 26, 2015, pp.793-795. <<http://www.nejm.org/doi/pdf/10.1056/NEJMp1500523>>

(82) 研究コホートとは特定の集団（コホート）を対象として長期的に経過を追跡する調査手法である（詳しくは、第Ⅲ部3章医療データ等の利活用 参照）。

(83) Office of the Press Secretary, *op.cit.*(80)

(84) “NIH forms team of experts to chart course for the President’s Precision Medicine Initiative research network,” March 30, 2015. National Institutes of Health Website <<http://www.nih.gov/news-events/news>>

よる研究コホートの計画に関する報告書では、研究コホートを促進することで、期待される成果として、①環境因子・遺伝的因子及びそれらの相互作用を総合的に考慮した疾患リスクの定量的予測、②一般的な治療法の効果に個人差が生じる原因の特定、③疾患リスクの増大を感知できるバイオマーカーの発見、④健康状態と相関する生理学的データ・環境因子の計測のための携帯型健康技術（mHealth）の利用、⑤機能喪失型変異⁽⁸⁵⁾が及ぼす影響の特定、⑥疾患の分類及び疾患どうしの関連性の新規策定、⑦データによる研究参加者の健康増進、⑧研究参加者の個別化治療臨床試験への登用を挙げた。このように、精密医療イニシアティブは、コホート研究などを駆使して疾患の精密な類型化を基に治療や予防を行うことを目指している。個別化医療、個別化予防の新しいステージ、新しいアプローチを目指すものと言える。⁽⁸⁶⁾

みずほ情報総研株式会社 サイエンスソリューション部 シニアマネジャー

いりえ やすろう
入江 康郎

-releases/nih-forms-team-experts-chart-course-presidents-precision-medicine-initiative-research-network>

(85) 遺伝子変異が生じた時に、遺伝子の働きが失われる変異である。

(86) Precision Medicine Initiative Working Group, *The Precision Medicine Initiative Cohort Program – Building a Research Foundation for 21st Century Medicine*, September 17, 2015, pp.14-18. <<http://www.nih.gov/sites/default/files/research-training/initiatives/pmi/pmi-working-group-report-20150917-2.pdf>>