

令和5年度
国立医薬品食品衛生研究所 研究開発課題評価報告書

1. 研究開発課題評価の対象

今回の研究開発課題評価（以下、「課題評価」という。）は、予算措置された基盤的研究費以外の研究課題（受託研究課題を除く。）を対象に、1 課題の中間評価及び1 課題の事後評価を実施した。

具体的な課題評価の評定事項は、「国立医薬品食品衛生研究所研究評価マニュアル」に基づき、以下の事項を対象とした。

- ・達成度（成果）
- ・継続能力・実現可能性
- ・学術的・国際的・社会的・経済的な意義
- ・行政的観点からの貢献度

2. 課題評価の実施方法

(1) 実施体制として、外部の評価委員 10 名で構成する評価委員会が設置された。

新井洋由（独立行政法人医薬品医療機器総合機構 理事）

今井田克己（国立大学法人香川大学 特命教授、名誉教授）

太田茂（和歌山県立医科大学 薬学部長）

金澤秀子（慶應義塾大学 薬学部 特任教授）

渋谷淳（東京農工大学・大学院農学研究院 教授）

橋田充（京都大学高等研究院 特任教授）

村上ゆり子（公益財団法人東京都農林水産振興財団 理事、東京都農林総合研究センター 所長）

山本弘史（長崎大学病院 臨床研究センター長・教授）

吉村和久（東京都健康安全研究センター 所長）

若林敬二（静岡県立大学 食品栄養環境科学研究院 特任教授、食品栄養環境科学研究院附属食品環境研究センター長）

(2) 評価マニュアルに基づき、当該研究部が作成した研究終了報告書等（事後評価）、及び研究中間報告書等（中間評価）が評価マニュアルと共に資料として事前に各評価委員に配付された。

(3) 令和6年2月16日に川崎市川崎区殿町にある国立衛研の庁舎にて評価委員会が開催された（委員10名中10名出席）。評価委員会では、国立衛研の主任研究者から当該研究課題のそれぞれの研究実施状況の説明を受け、質疑応答を行い、その後、評価委員全員での討議を行った。

- (4) 評価委員は、配付資料ならびに評価委員会での説明内容や討議内容を基に、各自、上記1の評定事項毎に、点数（5点＝非常に優れている、4点＝優れている、3点＝普通、2点＝やや劣っている、1点＝劣っている）を付けるとともに、意見メモを提出した。
- (5) 本評価委員会は、各評価委員が提出した点数や意見メモを基に、各委員の点数の平均（5点満点）をもって総合評点とするとともに、特記事項を今回の報告書にまとめ、国立医薬品食品衛生研究所長に提出するものである。

3. 課題評価の結果

個別の研究開発課題に関する評価結果は次のとおりである。

(1) 中間評価

課題名 AIを用いた化学物質の次世代型健康リスク予測手法に関する基盤的開発研究

[特記事項]

先行研究を受け継いだAI安全性予測プラットフォームの構築に関する研究の取り組みに関して、初年度としてAI最新技術の導入による安全性予測の隘路解決について検討し、予測プラットフォーム拡張仕様を明確化した。今後は早期の段階でそれらについて検証が必要と考えられる。

本研究課題に対する研究推進能力は高いと判断されるが、継続能力・実現可能性の観点からは、専門性の高い人材の確保及びその維持が極めて重要と思われる。

今後の精度検証の結果により、システムの価値が決まってくるものと思われる。AIによる健康リスク予測が実現できれば、規制科学的な意義のみならず、学術的・社会的な意義は非常に大きい。

本研究により、医薬品・食品・化学物質の安全性評価や基準作成などの行政課題への迅速な対応が可能になることが予想される。特に、喫緊の課題であるバイオシミラーに関する市販後安全性調査と品質確保への対応について、安全性予測評価の質向上による関連経費削減が可能となることが期待される。評価の高度化、加速化に繋がる重要な研究であると考えられ、行政的観点からの貢献度は非常に高いと判断される。

[総合評点] 3.90

課題名 ゲノム編集技術を用いた医療及び食品の安全性確保に関する基盤研究

[特記事項]

本研究では、医療分野では in vivo 遺伝子治療用製品のオフターゲット変異

の精度の高い予測システムを構築し、食品分野ではゲノム編集利用食品のゲノムワイドな意図しない変異の精度の高い予測システムを構築するとともに、質量分析による未知代謝物の構造推定システムを構築し、新規アレルゲン予測システム（allerStat）を開発した。

研究成果の発展性に関しては、医療分野では、オフターゲット変異によるがん化等のリスク低減によるゲノム編集治療製品の開発・実用化に寄与すると思われる。また、食品分野では、ゲノム編集技術や合成生物学を利用した食品開発の促進に寄与するとともに、特に、代謝成分の変化、アレルゲン性の効率よい検出により、食品の安全性確保に貢献できるものと思われる。ゲノム編集技術を応用した医薬品、医療製品、食品が今後、多く出現することが見込まれており、安全性確保手法の研究として、本研究をさらに発展させることが期待される。

本研究は、学術的や社会的に意義が大きいと考える。ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療の開発促進・実用化は、国が掲げる重点課題に貢献するものであり、評価法の確立により、患者の安全性の確保に繋がる。また、ゲノム編集食品の安全性の担保は食の安心、安全の確保に重要であり、ゲノム編集を用いた新規の高機能食品開発など、日本発のイノベーション創出に貢献できる。

ゲノム編集技術を用いた医療や食品の安全性確保については、行政的観点から見て、極めて重要な視点である。ゲノム編集細胞製品の臨床開発の促進、審査の迅速化、早期実用化、ドラッグ・ラグの解消に繋がることが期待され、急速に研究開発が進むゲノム編集食品等の新規開発食品に対する安全性評価基準が策定できる。

また、本研究により、リスクを科学的に予測する道筋をつけていることは、今後のリスクコミュニケーションなどに潜在的に貢献し得るものと考えられる。特に食品分野については、どのように展開すべきか、社会・消費者の受容の動向や行政の諸施策とさらに連携を深めることは重要と思われる。

〔総合評点〕 4. 1 0

以 上

令和6年5月2日

国立医薬品食品衛生研究所長 殿

国立医薬品食品衛生研究所
研究開発課題評価委員会
委員長 太田 茂