

■ 健康・医療戦略推進本部の下で各省が連携し、医療分野の研究開発を政府一体で推進。

健康・医療戦略※1、医療分野研究開発推進計画※2の実現を図る。 ※1:平成26年7月閣議決定 ※2:平成26年7月健康・医療戦略推進本部決定

	28年度			27年度
		要求	要望	
日本医療研究開発機構対象経費	1,515億円 (文704、厚599、経212)	1,136億円 (文533、厚427、経177)	379億円 (文171、厚173、経35)	1,248億円 (文598、厚474、経177)
インハウス研究機関経費	781億円 (文235、厚454、経92)	695億円 (文180、厚423、経92)	85億円 (文55、厚30、経一)	723億円 (文211、厚429、経84)

▶ 上記経費に加え、内閣府に計上される「科学技術イノベーション創造推進費(平成28年度概算要求額 500億円)」の一部を医療分野の研究開発関連の調整費として充当。

※ 精査により計数に異動が生じる場合がある。

主な取組

1. 医薬品・医療機器開発への取組

- ① オールジャパンでの医薬品創出 297億円<機構253億円、インハウス44億円>
  - 革新的医薬品創出に向けた研究開発の充実を図るとともに、創薬ターゲットの同定等に係る研究等を推進する。
    - －画期的なシーズの創出・育成に向けた研究開発の推進
    - －創薬支援ネットワークの支援機能の強化
    - －疾患登録情報を活用した臨床開発インフラの整備
- ② オールジャパンでの医療機器開発 171億円<機構>(一部再掲)
  - 新たに競争力を有した世界最先端の革新的医療機器の開発・事業化を開始するとともに、医療機器開発の企業人材育成等も着実に推進する。
    - －ものづくり力を結集した日本発の優れた医療機器等の開発・事業化の推進
    - －臨床現場における実践的な人材の育成

2. 臨床研究・治験への取組

- ③ 革新的医療技術創出拠点プロジェクト 112億円<機構>
  - 医療法に基づく臨床研究中核病院を積極的に活用し、革新的な医薬品等の開発を推進する。その他の革新的医療技術創出拠点においても、シーズ開発を更に推進する。
    - －基礎段階から実用化までシーズの育成
    - －臨床研究計画の作成等を支援する生物統計家及び臨床研究を実施する医師の育成
    - －国際共同臨床研究・治験の推進

3. 世界最先端の医療の実現に向けた取組

- ④ 再生医療の実現化ハイウェイ構想 170億円<機構>(一部再掲)
  - 安全性確保に向けた研究開発、臨床研究・治験の活性化、臨床品質の細胞ストックの整備等を実施し、企業等による製品化を支援し、実用化を促進する。
    - －臨床研究段階への移行(対象疾患の例:角膜上皮疾患、心不全)
    - －細胞製造技術の開発など実用化に向けた産業基盤の整備
- ⑤ 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト 161億円<機構135億円、インハウス26億円>
  - ゲノム医療実現推進協議会が示した方針※に則った取組を開始する。 ※ ゲノム医療実現に向けた推進対象の設定と知見の蓄積等
    - －既存のバンク等を利活用したプラットフォーム構築及び対象疾患の設定等の目標を見据えた研究開発の推進
    - －臨床ゲノム情報を統合管理するデータベースの構築
    - －臨床ゲノム情報を活用した臨床研究の促進
    - －臨床ゲノム情報を活用した診断支援システムの整備

4. 疾病領域ごとの取組

- ⑥ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト 185億円<機構>(一部再掲)
  - 医療分野研究開発推進計画の下、「がん研究10か年戦略」に基づき、患者や社会のニーズに合ったがん研究を推進する。
    - －アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤の開発
    - －ライフステージやがんの特性に着目した重点研究の推進
    - －患者に優しい新規医療技術開発の推進
    - －がんの予防法や早期発見手法に関する研究の推進
- ⑦ 脳とこころの健康大国実現プロジェクト 91億円<機構>
  - 認知症・精神疾患等の克服に向けた取組を加速する。障害に対する脳の機能回復等を可能とする技術開発等を推進する。
    - －臨床と基礎研究の連携強化による精神・神経疾患の克服
    - －BMI※技術と生物学の融合による治療効果促進技術の開発
    - －認知症研究における登録・連携体制や大規模臨床共同研究体制の構築
    - －精神医療の診療方法の標準化及び治療方法の開発
- ⑧ 新興・再興感染症制御プロジェクト 68億円<機構50億円、インハウス18億円>
  - エボラ出血熱等の一類感染症等に関する研究を含む新たな診断薬、治療薬及びワクチンの開発に資する研究を推進する。
    - －インフルエンザ、
    - －デング熱、
    - －薬剤耐性菌、
    - －下痢症感染症、
    - －エボラ出血熱等の新興・再興感染症
- ⑨ 難病克服プロジェクト 101億円<機構>(一部再掲)
  - 医師主導治験及び治験移行を目的とした非臨床試験を推進する。疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明等に係る研究開発を一層推進する。
    - －医師主導治験及び治験移行を目的とした非臨床試験の推進
    - －疾患特異的iPS細胞を活用した創薬等の研究の推進

※ 予算編成過程において、要求・要望内容が変更される可能性があること等に留意

# 平成28年度概算要求における 重点プロジェクトの概要

## (目次)

1. オールジャパンでの医薬品創出	.....	P. 1
2. オールジャパンでの医療機器開発	.....	P. 3
3. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト	.....	P. 5
4. 再生医療の実現化ハイウェイ構想	.....	P. 7
5. 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト	.....	P. 9
6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト	.....	P. 11
7. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト	.....	P. 13
8. 新興・再興感染症制御プロジェクト	.....	P. 15
9. 難病克服プロジェクト	.....	P. 17

# 1. オールジャパンでの医薬品創出

日本医療研究開発機構対象経費  
平成28年度概算要求額 253億円

インハウス研究機関経費  
平成28年度概算要求額 44億円

創薬支援ネットワークの構築により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。また、創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援する。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

創薬・基盤技術開発

その他

支援基盤

■ 文科省、■ 厚労省、■ 経産省

● **革新的先端研究開発支援事業**  
基礎研究段階で成果が出つつある優れたアカデミア発シーズからの革新的医薬品創出に向けた取組を支援  
平成28年度概算要求額：7.8億円

● **革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発**  
次世代バイオ医薬品創出基盤技術開発の実施、企業等への移転  
平成28年度概算要求額：12.5億円

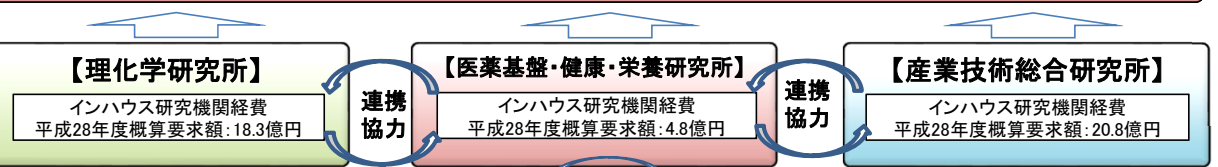
● **次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発**  
糖鎖利用による革新的創薬技術開発、高品質バイオ医薬品製造、高効率医薬品シース探索、低侵襲サンプリング診断  
平成28年度概算要求額：73.7億円

● **創薬基盤推進研究事業**  
● **医療技術実用化総合研究事業(臨床研究・治験推進研究)**  
臨床研究・治験の推進及びコンパニオン診断薬、ドラッグリポジショニング等の創薬の基盤研究の推進  
平成28年度概算要求額：73.0億円

● **審査の迅速化、質の向上と安全対策の強化(医薬品等規制調和・評価研究事業)**  
最先端技術を用いた革新的医薬品について、その適切な評価方法を開発し、実用化への道筋を明確化すること等に資する研究を推進  
平成28年度概算要求額：15.1億円

● **創薬支援ネットワーク：創薬支援ネットワーク協議会による強固な連携・協力体制を形成し、大学等の基礎的研究成果を革新的医薬品として実用化に導くため、新薬創出に向けた研究開発を支援。**  
平成28年度概算要求額：34.0億円

● **創薬支援推進事業** 創薬支援上の課題を解決し、創薬支援ネットワークによる支援機能を強化



● **創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業【創薬連携研究機関】**  
創薬等の研究に資する高度な技術や施設等を共用する創薬・医療技術支援基盤を構築  
大学・研究機関等による創薬等の研究を支援  
平成28年度概算要求額：37.0億円

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

企業/ベンチャー等による開発の推進

実用化(市販・医療現場への普及等)

【2015年度までの達成目標】

○相談・シーズ評価	400件
○有望シーズへの創薬支援	40件
○企業への導出(ライセンスアウト)	1件

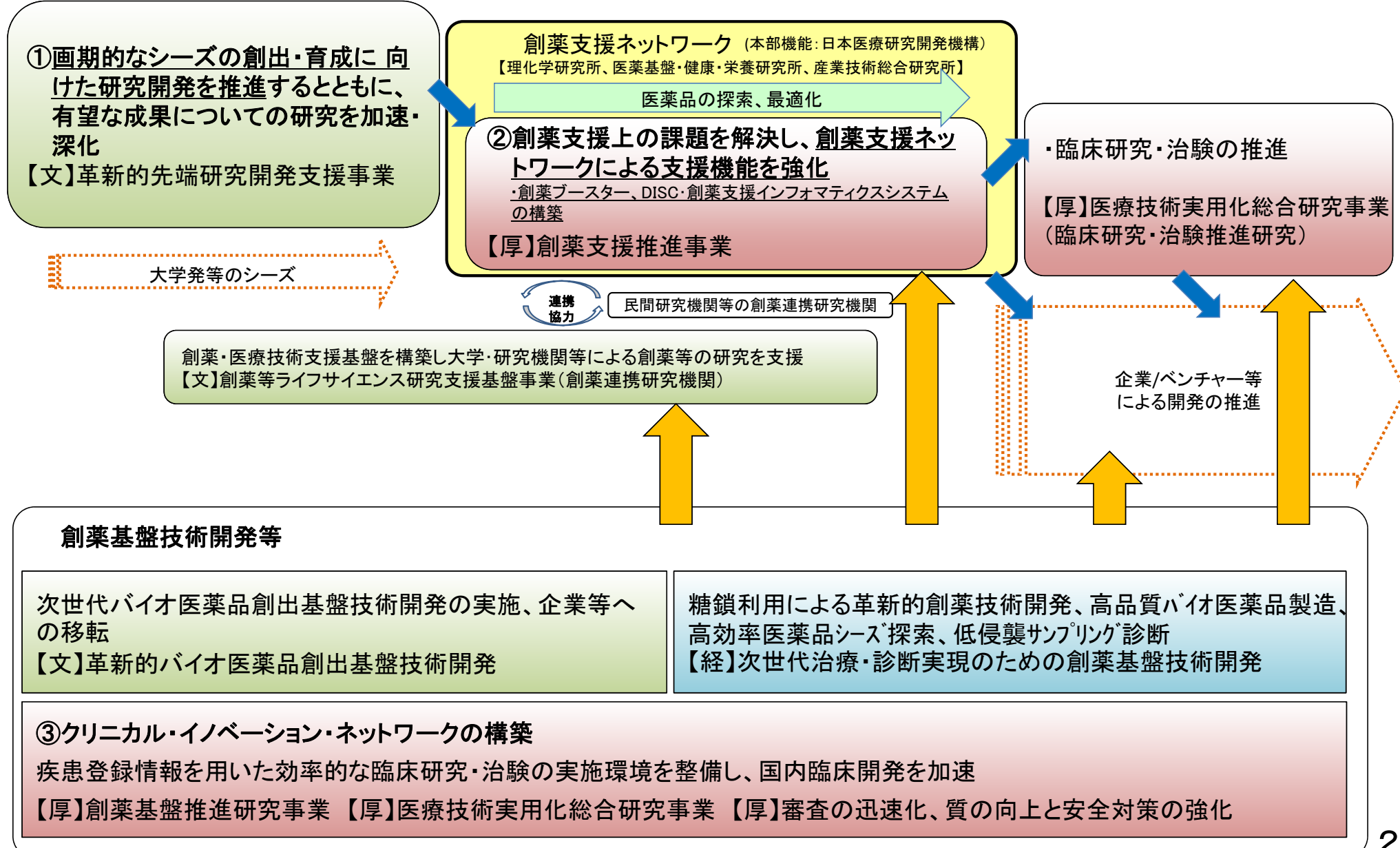
【2020年頃までの達成目標】

○相談・シーズ評価	1500件	○創薬ターゲットの同定	10個
○有望シーズへの創薬支援	200件		
○企業への導出(ライセンスアウト)	5件		



# 1. オールジャパンでの医薬品創出 平成28年度 概算要求のポイント

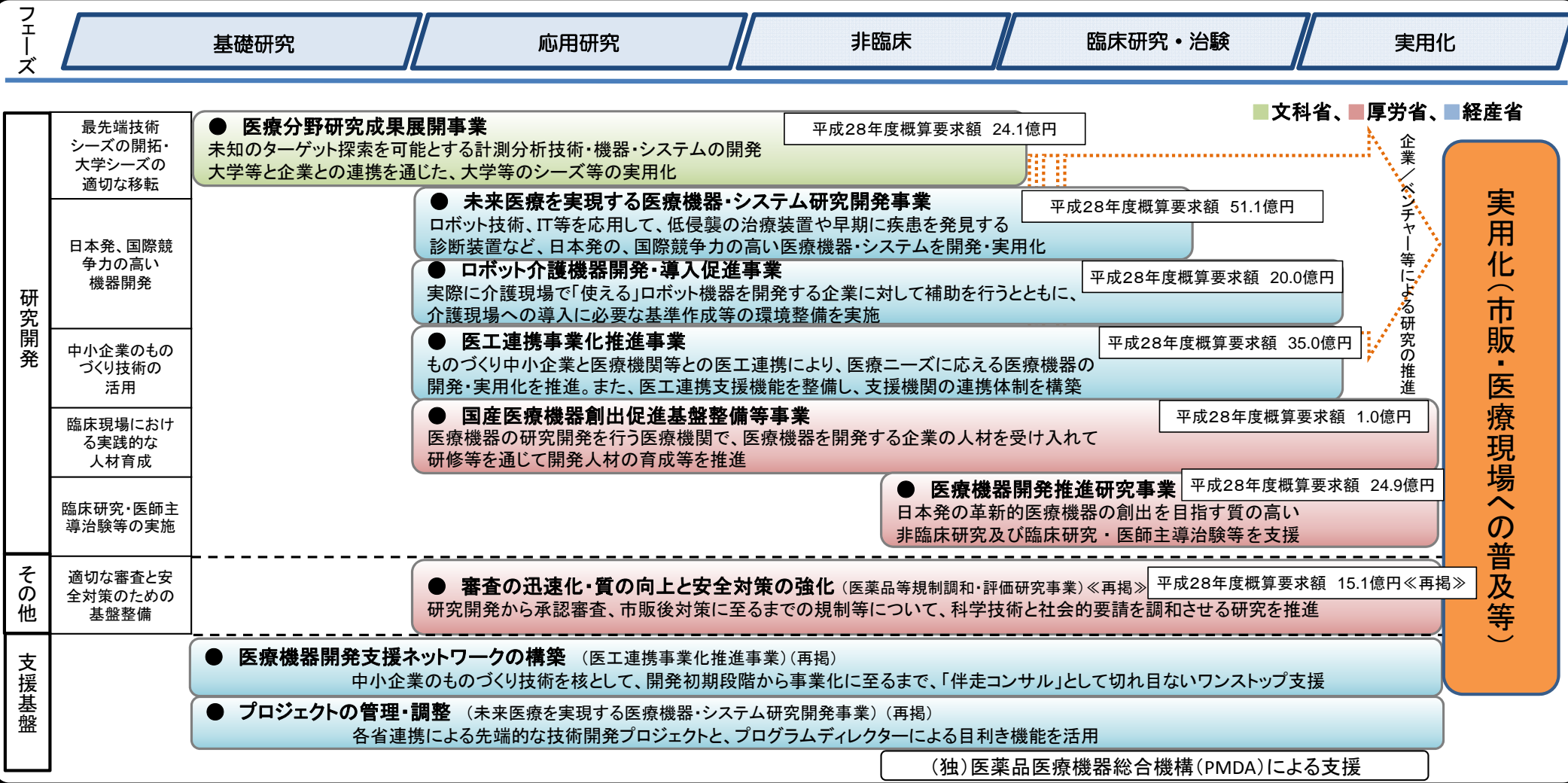
- ① 画期的なシーズの創出・育成に向けた研究開発を推進する。
- ② 創薬支援ネットワークによる支援機能を強化し、アカデミアの基礎研究成果を実用化に結び付ける。
- ③ 疾患登録情報を活用した臨床開発インフラを整備し、産学連携による臨床研究・治験の推進等を行う。



# 2. オールジャパンでの医療機器開発

日本医療研究開発機構対象経費  
平成28年度概算要求額 171億円(一部再掲)

医工連携による医療機器開発を促進するため、複数の専門支援機関による開発支援体制(医療機器開発支援ネットワーク)を構築し、我が国の高い技術力を生かし、技術シーズの創出と医療機器・システムの実用化へとつなげる研究開発を行う。また、医療機器の承認審査の迅速化に向けた取組や、研究開発人材の育成も行う。



## 【2015年度までの達成目標】

- 医療機器開発・実用化促進のためのガイドラインを新たに10本策定
- 国内医療機器市場規模の拡大(平成23年2.4兆円→2.7兆円)

## 【2020年頃までの達成目標】

- 医療機器の輸出額を倍増(平成23年約5千億円→約1兆円)
- 5種類以上の革新的医療機器の実用化
- 国内医療機器市場規模の拡大 3.2兆円

## 2. オールジャパンでの医療機器開発 平成28年度 概算要求のポイント

○文科省、厚労省、経産省が連携し、AMEDを通じて、ものづくり力を結集した日本発の優れた医療機器等の開発・事業化  
医療ニーズを踏まえた医療の質と効率性の向上・健康寿命の延伸と、医療機器産業の活性化を実現するべく、オンリーワンの世界最先端の革新的医療機器の開発・事業化について、重点分野を定めた上で、総合的に促進し、その果実を国民に還元する。

【文】医療分野研究成果展開事業

《先端計測分析技術・機器開発プログラム》

シーズ開発・技術支援

《産学連携医療イノベーション創出プログラム》

【継続課題】

《研究成果最適展開支援プログラム(A-STEP)、戦略的イノベーション創出推進プログラム(S-イノベ)、産学共創基礎基盤研究プログラム(産学共創)》

試作機等  
成果の活用

医療機器・技術動向等  
情報提供

技術シーズの提供

開発・実証・事業化

医療機器・技術動向等  
情報提供

### 【医工連携による医療機器開発】

中小企業のものづくり技術を核として、関係各省や関連機関、企業、地域支援機関が連携し、開発初期段階から事業化に至るまで、「伴走コンサル」として切れ目ないワンストップ支援を行う「医療機器開発支援ネットワーク」の構築

【中小企業のものづくり技術の活用】

【経】《医工連携事業化推進事業》

オンリーワンの世界最先端の  
革新的医療機器の開発・事業化

- 1.手術支援ロボットシステム
- 2.人工組織・臓器
- 3.低侵襲治療
- 4.イメージング(画像診断)
- 5.在宅医療機器

### 【世界最先端の医療機器開発】

先端的な技術開発プロジェクトの実施と、PDによる目利き機能を活用したプロジェクトの管理・調整

【日本発、国際競争力の高い機器開発】

【経】《未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業》

【経】《ロボット介護機器開発・導入促進事業》

臨床研究の実施  
人材・ニーズ提供  
評価方法等の整備

臨床研究・人材育成・事業環境整備

国際標準化、国際展開、知財戦略

開発情報提供

現場ニーズの提供  
評価方法等の整備

【臨床研究・医師主導治験等の実施】

【厚】《医療機器開発推進研究事業》

【臨床現場における実践的な人材育成】

【厚】《国産医療機器創出促進基盤整備等事業》

【適切な審査と安全対策のための基盤整備】

【厚】《審査の迅速化・質の向上と安全対策の強化》

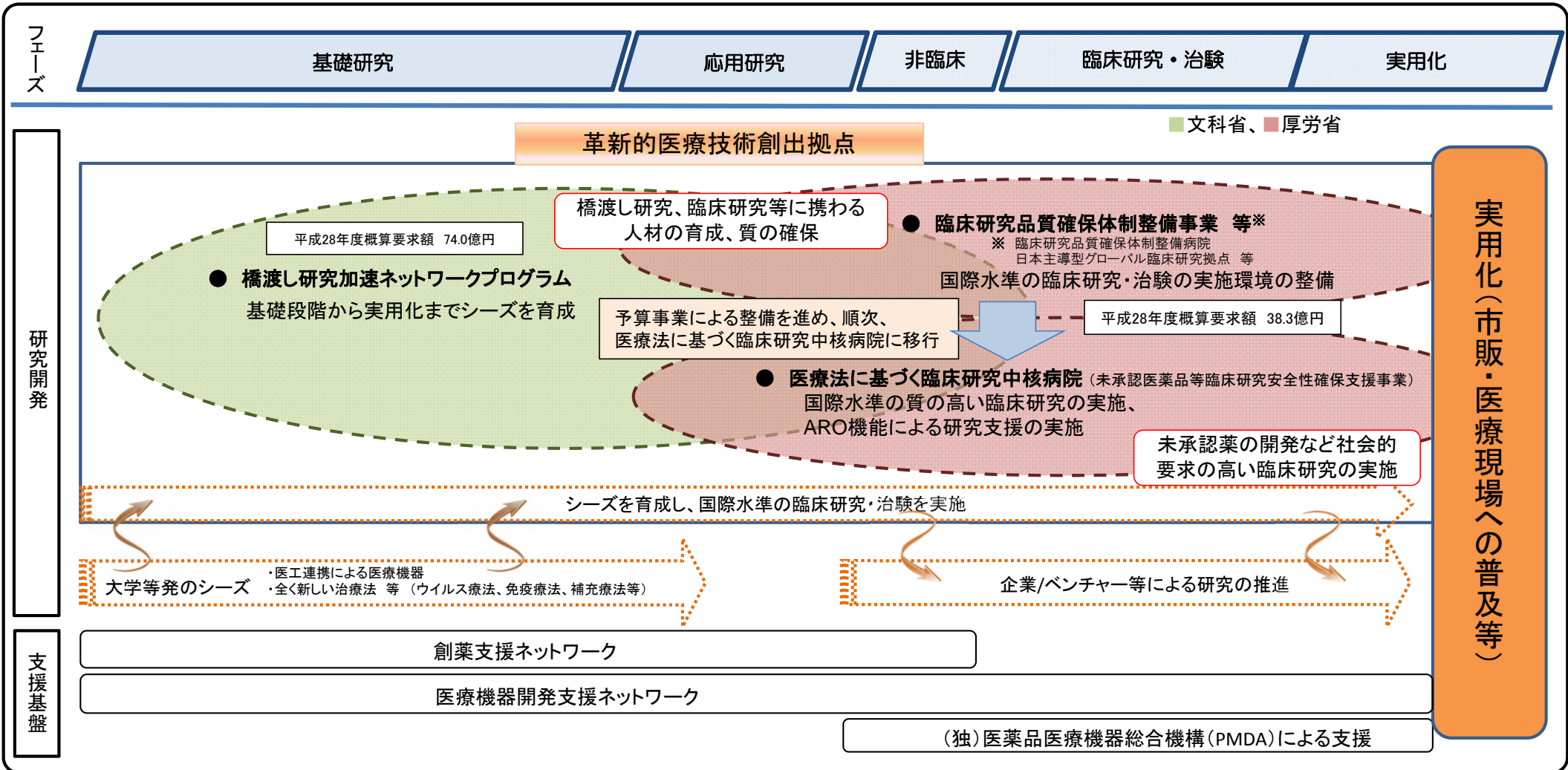


# 3. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
平成28年度概算要求額 112億円

大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、橋渡し研究支援拠点と臨床研究中核病院等の一体化を進める。また、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化、ネットワーク化、シーズの拡大等をさらに推進する。さらに、ICH-GCP準拠の質の高い臨床研究や治験を実施するとともに、ARO※機能を活用して多施設共同研究の支援を行うなどの体制の整備を進める。

※ARO：Academic Research Organizationの略、研究機関、医療機関等を有する大学等がその機能を活用して医薬品開発等を支援する組織



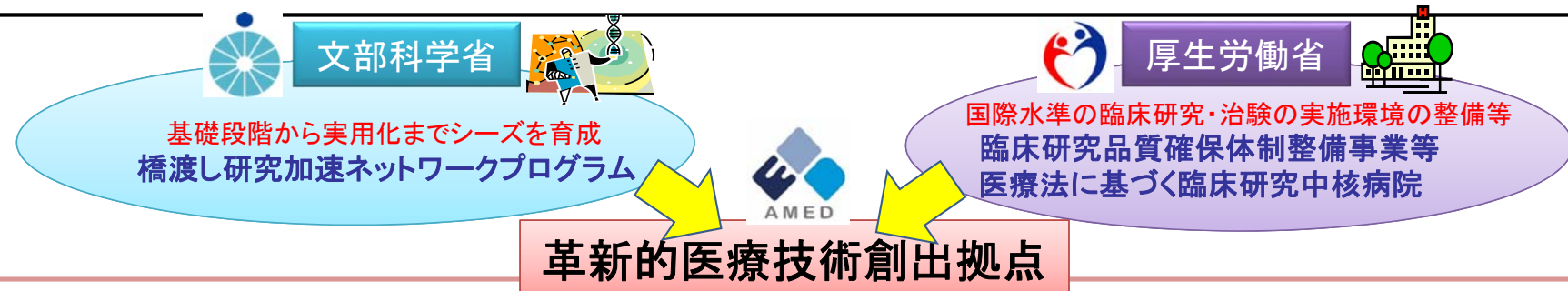
## 【2015年度までの達成目標】

- 医師主導治験届出数 年間21件
- First in Human(FIH)試験(企業治験含む) 年間26件

## 【2020年頃までの達成目標】

- 医師主導治験届出数 年間40件
- FIH 試験(企業治験含む) 年間40件

### 3. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト 平成28年度 概算要求のポイント



#### 両省事業の一体化による拠点の機能強化及び充実

医療法に基づく臨床研究中核病院も含め、両省事業で相互利用が可能な設備、人材等を合理化、共有化するとともに、シーズへの支援を基礎研究段階から実用化までシームレスに一貫して実施できる体制を構築することにより、効率的な開発を図るほか、以下の取組を実施

#### ○ 革新的医薬品・医療機器等の研究開発のさらなる推進

##### クリニカル・イノベーション・ネットワークとの連携

国立高度専門医療研究センター等の疾患登録情報を活用し、医療法に基づく臨床研究中核病院を中心とした臨床研究・治験を推進

##### 革新的医療技術創出拠点を中心としたオールジャパンでのシーズの開発を更に推進

橋渡し研究を推進するニーズは高まってきており、引き続き革新的医療技術創出拠点を中心としたオールジャパンでのシーズの開発を更に推進

#### ○ 人材育成

臨床研究の信頼性を確保し、質を向上させるためには、人材育成や教育・研修の重要性であることが指摘されているため、以下の取組を実施

- 臨床研究計画の作成や統計解析を支援する生物統計家の育成を推進 (新規)
- 臨床研究を実施する医師の育成を推進するとともに、臨床研究を支援する臨床研究コーディネーター(CRC)等の育成を推進
- 橋渡し研究を支援する人材の充実や教育訓練等をさらに強化

#### ○ 国際共同研究の推進

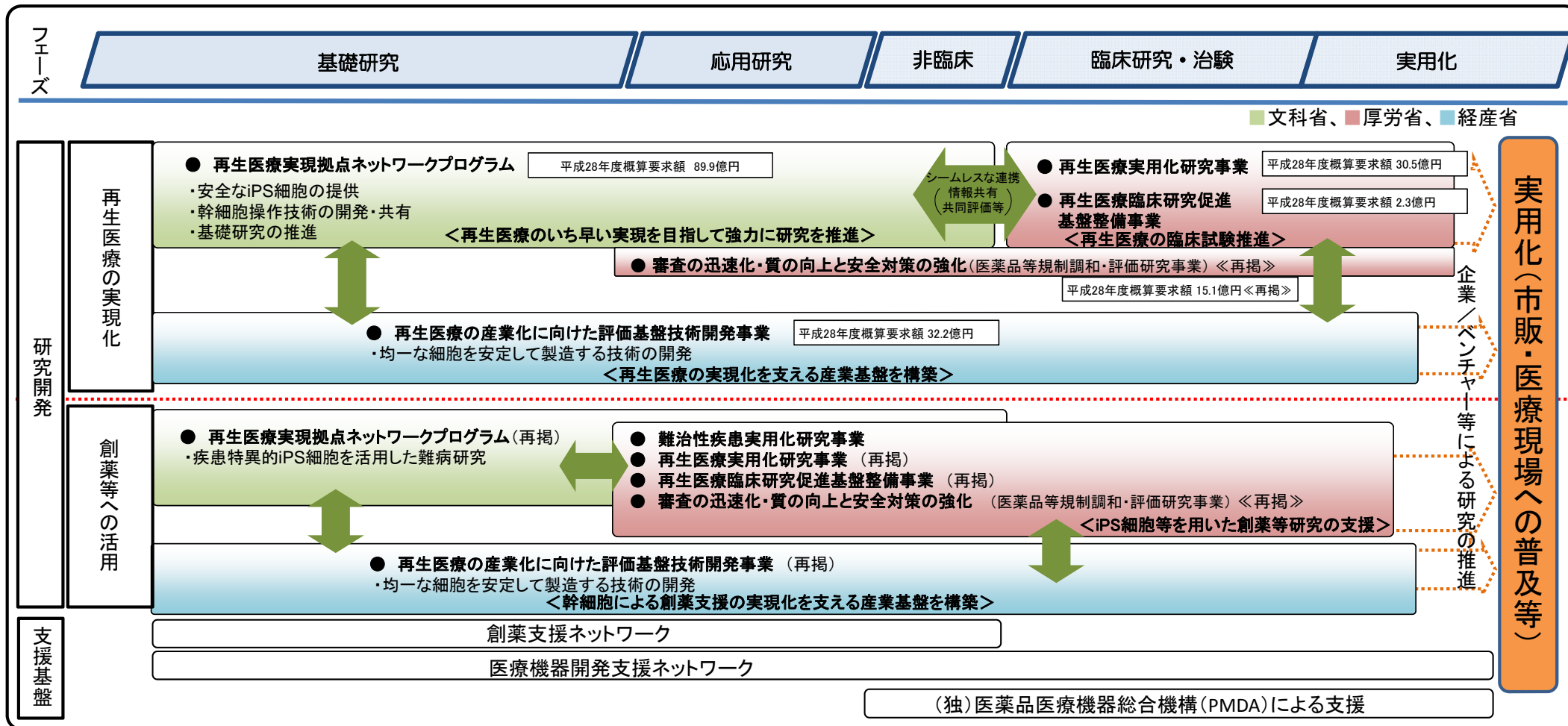
医療法に基づく臨床研究中核病院における国際共同臨床研究・治験を推進するとともに、他施設における国際共同治験等を支援する体制を構築 (新規)



# 4. 再生医療の実現化ハイウェイ構想

日本医療研究開発機構対象経費  
平成28年度概算要求額：170億円（一部再掲）

基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備ならびに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。



## 【2015年度までの達成目標】

- ヒト幹細胞等を用いた研究の臨床研究又は治験への移行数 約10件 (例: 加齢黄斑変性、角膜疾患、膝半月板損傷、骨・軟骨再建、血液疾患)
- iPS細胞を用いた創薬技術の開発

## 【2020年頃までの達成目標】

- iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用
- 再生医療等製品の薬事承認数の増加
- 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 約15件\*
- 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化
- iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言

※ 2015年度達成目標の10件を含む

再生医療の実現化について、安全性確保等に配慮しつつ、着実に推進

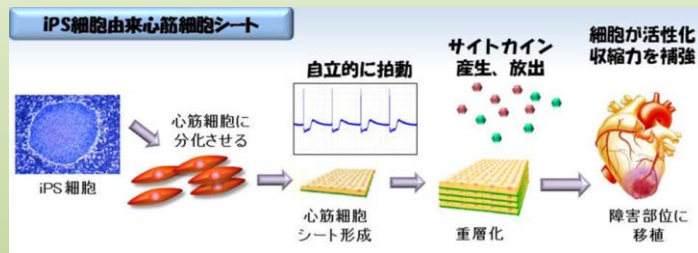
(日本医療研究開発機構)

PDの配置等によって事業間で進捗管理や課題評価の視点を共有するとともに、事業間の情報交換により研究者間の連携を促進することによって、研究段階から臨床段階へ研究開発を加速し、成果の実用化を促進する。

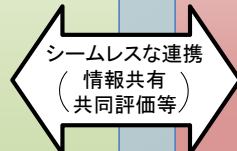
【文】

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

- 平成28年度末までに、さらなる研究課題を臨床研究段階に移行させることを目指し、着実に研究を推進。  
(対象疾患の例：角膜上皮疾患、心不全)



- 腫瘍化リスクの少ないiPS細胞の作製方法の確立 等。



【厚】再生医療実用化研究事業

- 文部科学省事業での推進により、非臨床段階から臨床段階へ移行した課題について、切れ目なく支援を行い、臨床研究を開始する。

【厚】再生医療臨床研究促進基盤整備事業 (新規)

- 人材育成や、データベース整備等の臨床研究基盤を整備することにより、再生医療の実用化促進を図る。

【厚】審査の迅速化・質の向上と安全対策の強化 (医薬品等規制調和・評価研究事業) 《再掲》

ゲノム編集技術を用いた再生医療等製品の実用化のための安全性評価に関する研究 等。

【経】再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業

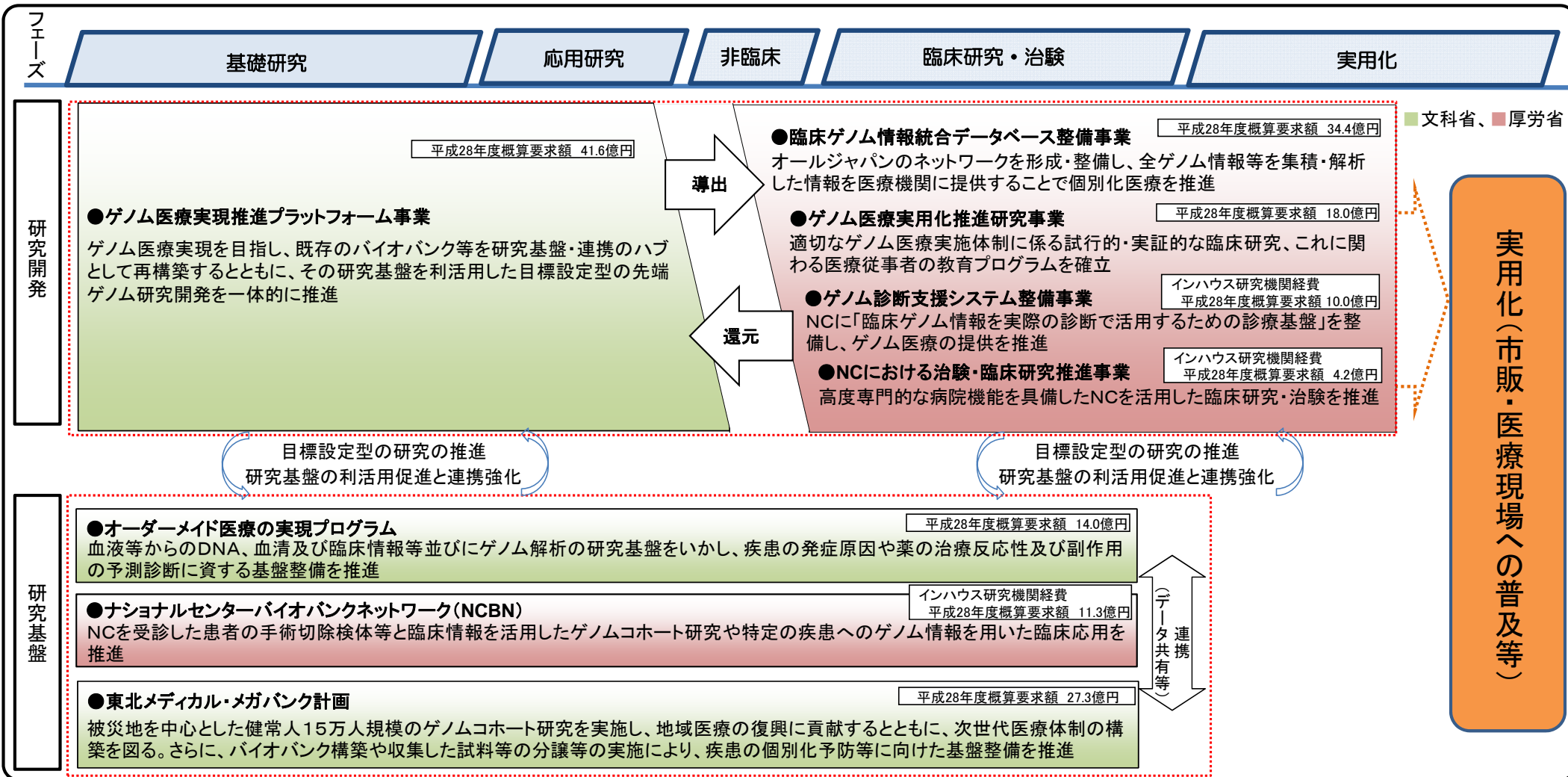
再生医療等に必要となる細胞製造技術の開発など実用化に向けた産業基盤を整備し、再生医療製品の上市の支援を行う。

# 5. 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
平成28年度概算要求額 135億円

インハウス研究機関経費  
平成28年度概算要求額 26億円

疾患及び健常者バイオバンクの構築と共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患及び薬剤関連遺伝子の同定・検証並びに日本人の標準ゲノム配列の特定を進める。また、共同研究等による難治性・希少性疾病等の原因遺伝子の探索や、ゲノム情報をいかに診断治療ガイドラインの策定に資する研究やゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備及び試行的・実証的な臨床研究を一体的に推進する。



## 【2015年度までの達成目標】

- バイオバンクジャパン、ナショナルセンターバイオバンクネットワーク、東北メディカル・メガバンク等の連携の構築
- 疾患に関する全ゲノム・多様性データベースの構築
- 日本人の標準的なゲノム配列の特定、疾患予後遺伝子の同定
- 抗てんかん薬の副作用の予測診断の確立

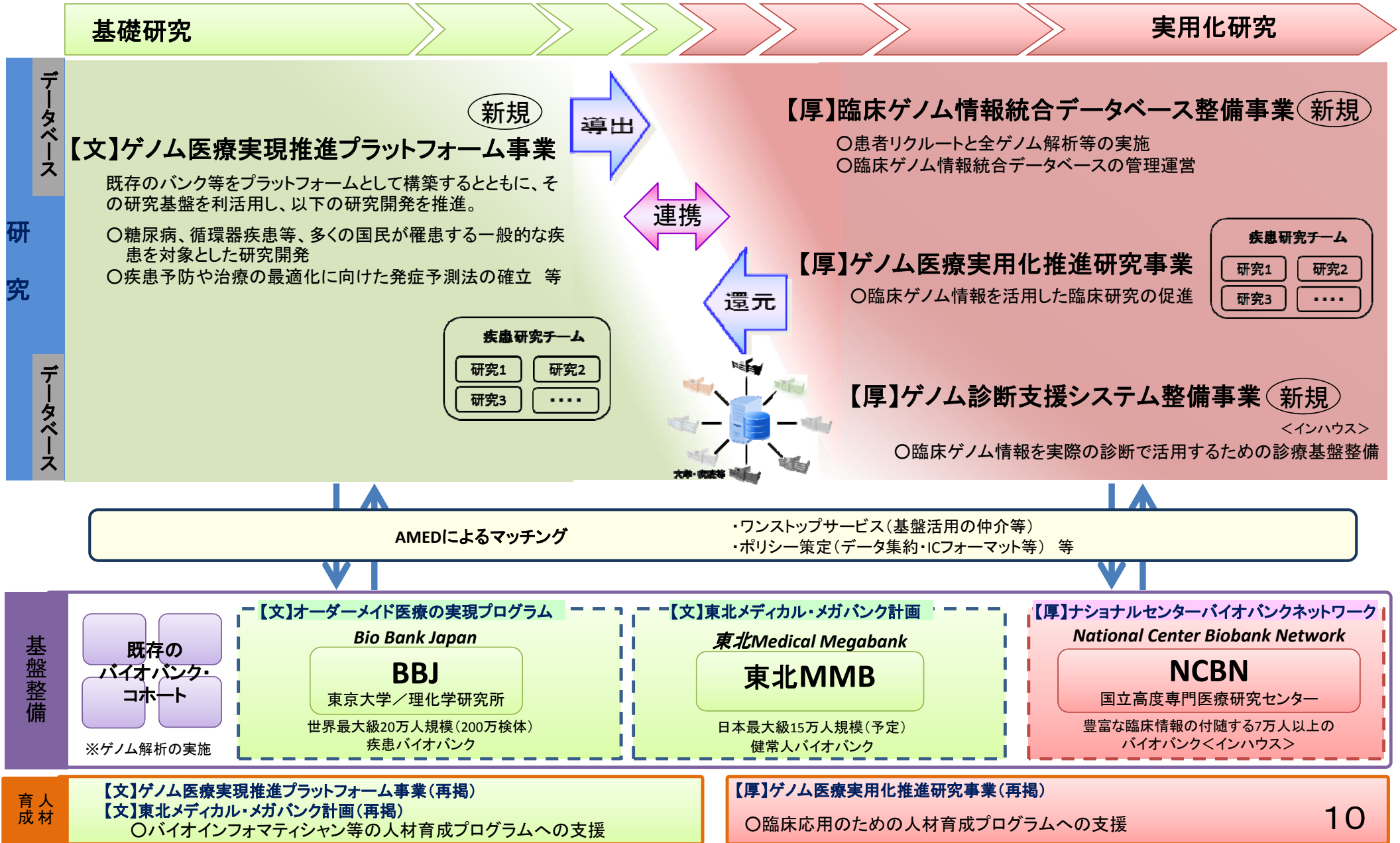
## 【2020-30年頃までの達成目標】

- 生活習慣病(糖尿病や脳卒中、心筋梗塞など)の劇的な改善
- 発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断の確立
- 認知症等のゲノム医療に係る臨床研究の開始
- 神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発



# 5. 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト 平成28年度 概算要求のポイント

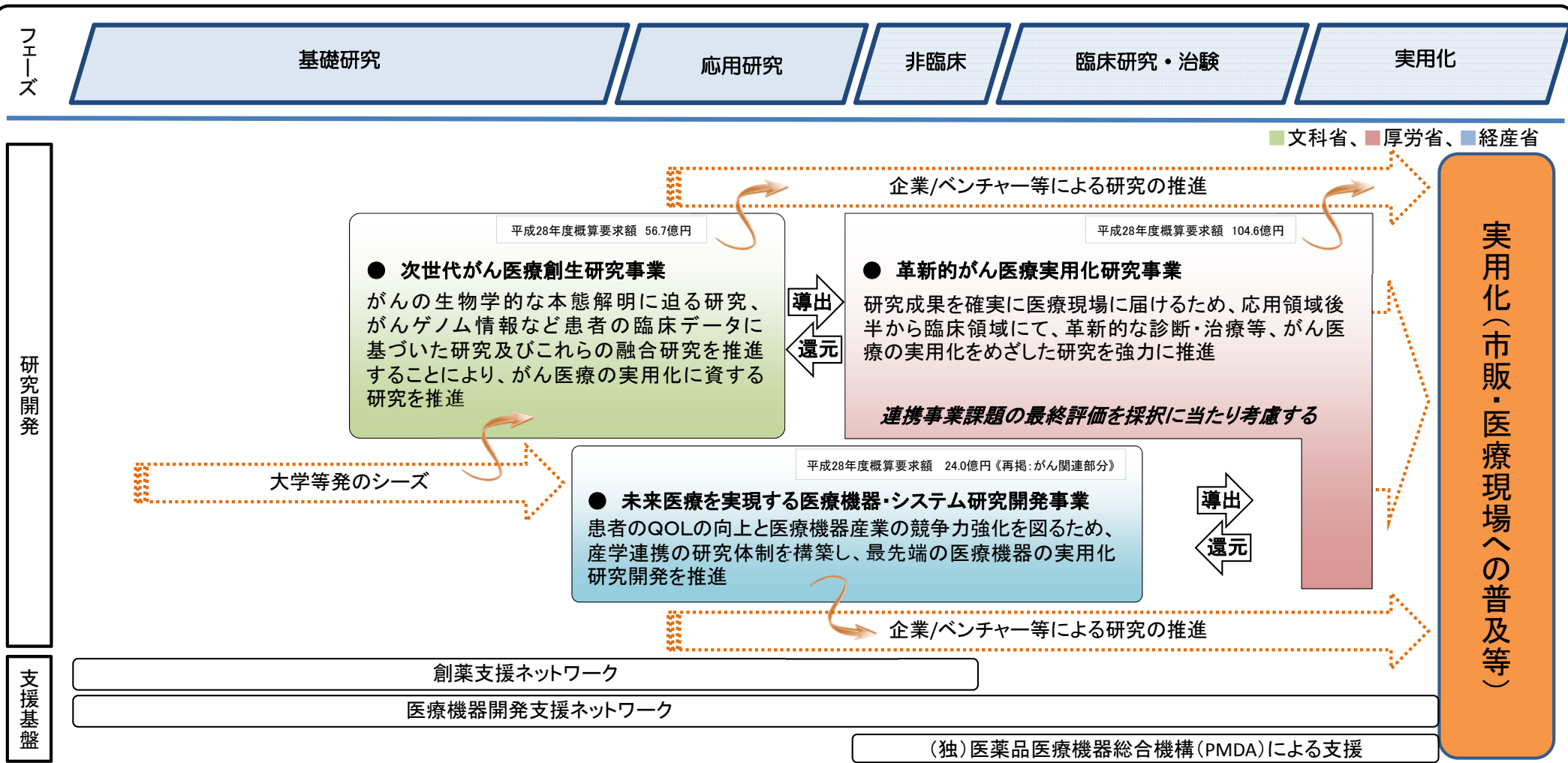
- 出口目標を見すえた研究を本格的に推進
- オールジャパン型の研究開発の推進
- ニーズに応じた研究基盤の構築



# 6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
平成28年度概算要求額 185億円(一部再掲)

基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に向けた医薬品・医療機器を開発する研究を推進し、臨床研究等へ導出する。また、臨床研究で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品・医療機器開発をはじめとするがん医療の実用化を「がん研究10か年戦略」に基づいて加速する。



**【2015年度までの達成目標】**

- 新規抗がん剤の有望シーズを10種取得
- 早期診断バイオマーカー及び免疫治療予測マーカーを5種取得
- がんによる死亡率を20%減少(平成17年の75歳未満の年齢調整死亡率に比べて平成27年に20%減少させる)

**【2020年頃までの達成目標】**

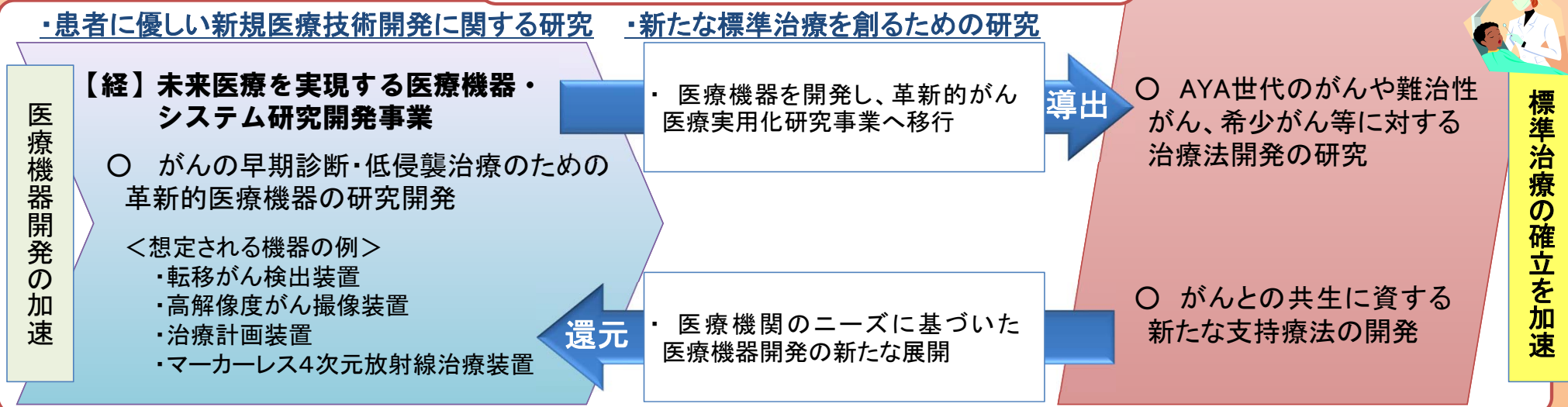
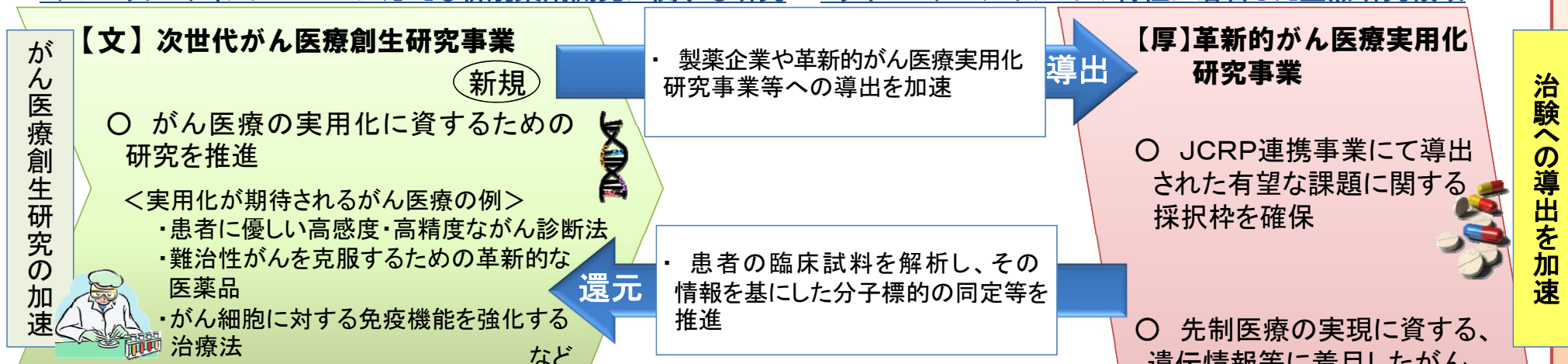
- 5年以内に日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出
- 小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた6種類以上の治験への導出
- 小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加
- いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消
- 小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立(3件以上のガイドラインを作成)

# 6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト 平成28年度 概算要求のポイント

がんの予防や早期発見手法に関する研究、ライフステージやがんの特性に着目した研究、革新的な医薬品・医療機器等の開発など、研究開発が必要とされる分野について重点的に推進していく。

「がん研究10か年戦略」に基づいたがん研究開発（根治・予防・共生 ～患者・社会と協働するがん研究～）

・アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究    ・ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域

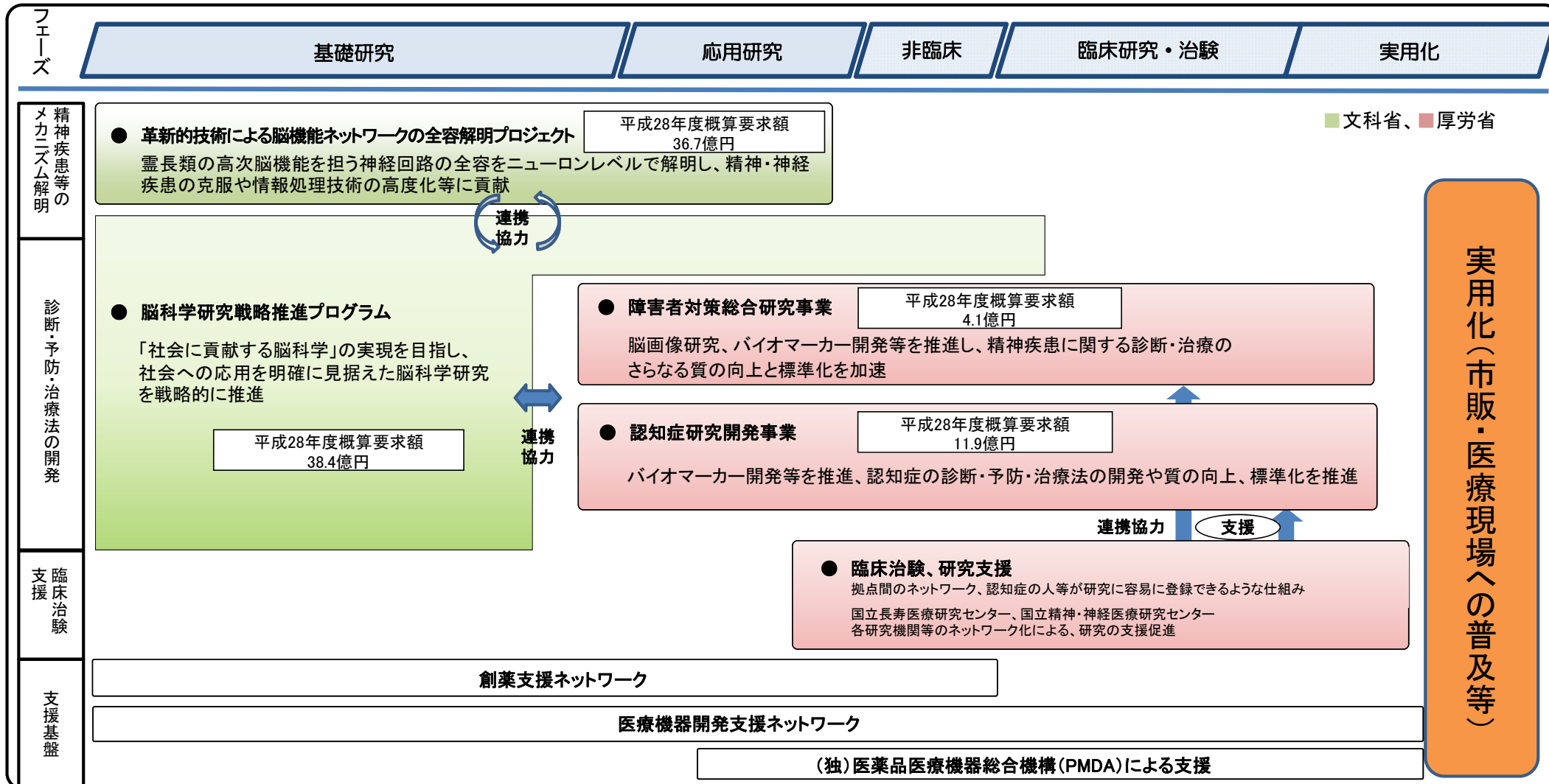




# 7. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
平成28年度概算要求額 91億円

脳全体の神経回路の構造・機能の解明やバイオマーカー開発に向けた研究開発及び基盤整備等を推進するとともに、認知症やうつ病等の精神疾患等の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法の確立を目指す。



## 【2015年度までの達成目標】

- 分子イメージングによる超早期認知症診断方法を確立
- 精神疾患の診断、薬物治療の反応性及び副作用に関するバイオマーカー候補を新たに少なくとも一つ発見し、同定プロセスのための臨床評価を終了

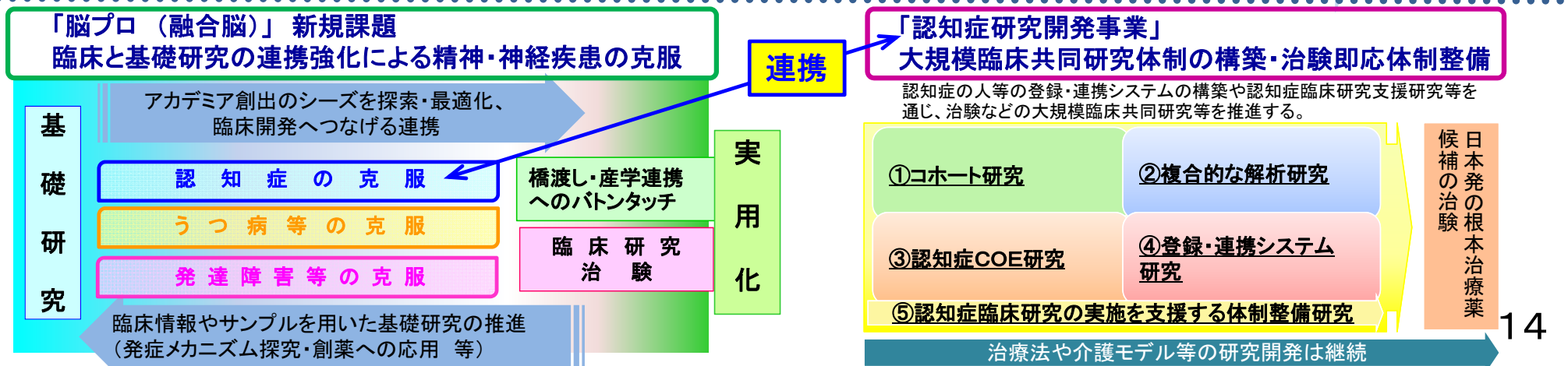
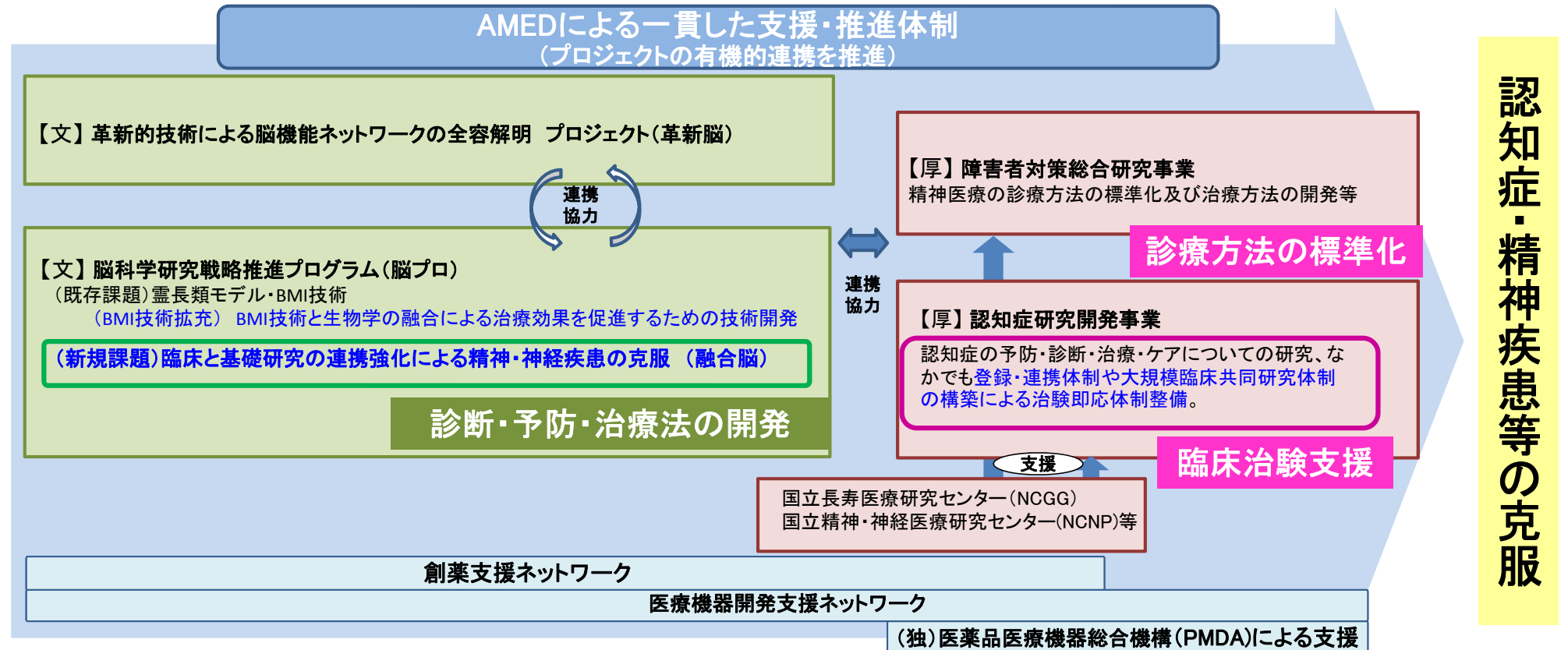
## 【2020年頃までの達成目標】

- 日本発の認知症、うつ病等の精神疾患の根本治療薬候補の治験開始
- 精神疾患の客観的診断法の確立
- 精神疾患の適正な薬物治療法の確立
- 脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成

# 7. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト 平成28年度 概算要求のポイント

## 文部科学省、厚生労働省の連携による認知症・精神疾患等の克服

認知症やうつ病などの精神疾患等の発症に関わる脳神経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を各省連携の強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、認知症・精神疾患等を克服する。

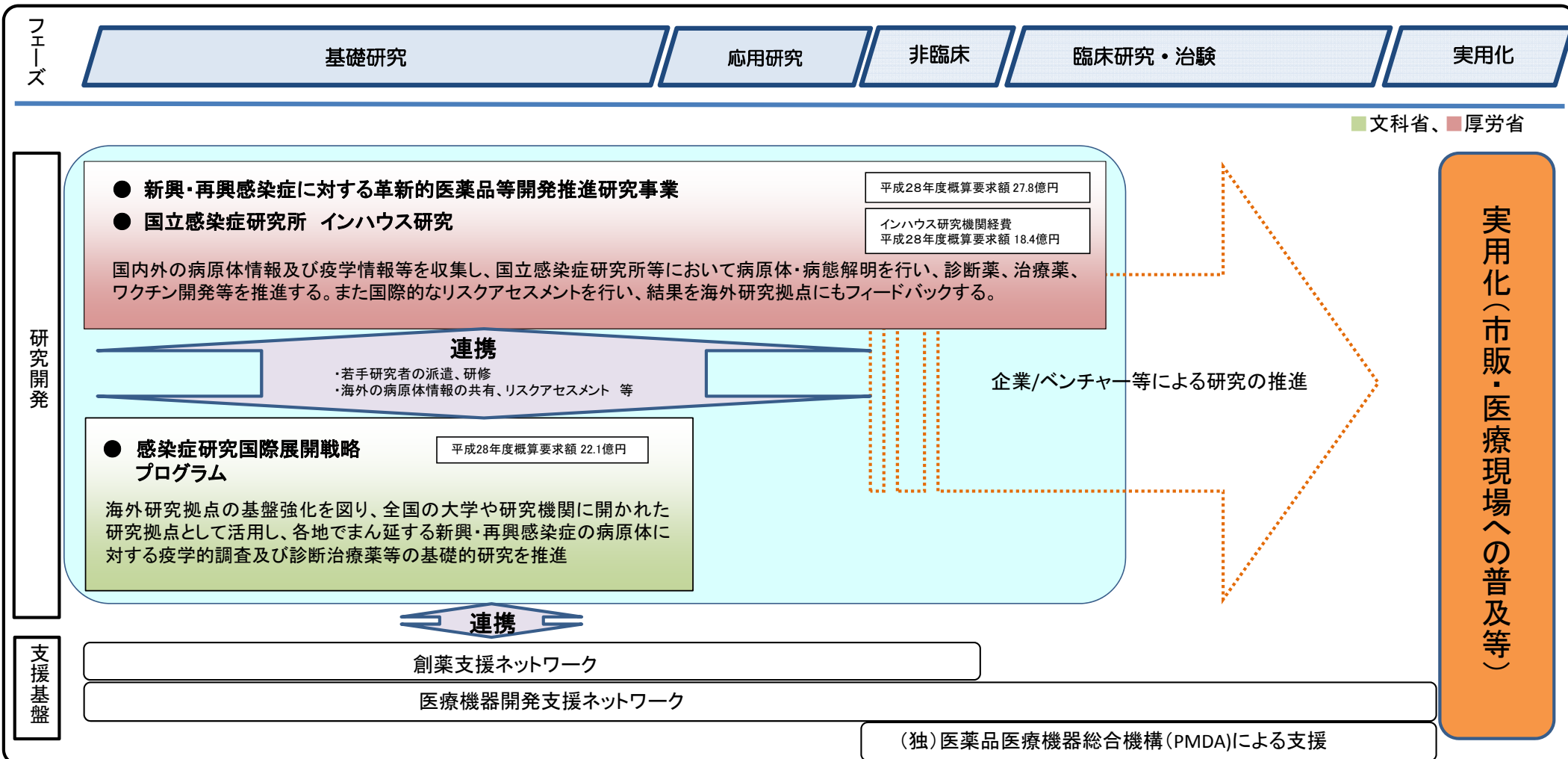


# 8. 新興・再興感染症制御プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
平成28年度概算要求額 50億円

インハウス研究機関経費  
平成28年度概算要求額 18億円

新型インフルエンザ等の感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症に関する国内外での研究を推進するとともに、その成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげることで、感染症対策を強化する。



## 【2015年度までの達成目標】

○グローバルな病原体・臨床情報の共有体制の確立を基にした、病原体に関する全ゲノムデータベースの構築、生理学的及び臨床的な病態の解明、及びアジア地域における病原体マップの作成(インフルエンザ・デング熱・下痢症感染症・薬剤耐性菌について、公衆衛生対策能力向上を図るため)

## 【2020年頃までの達成目標】

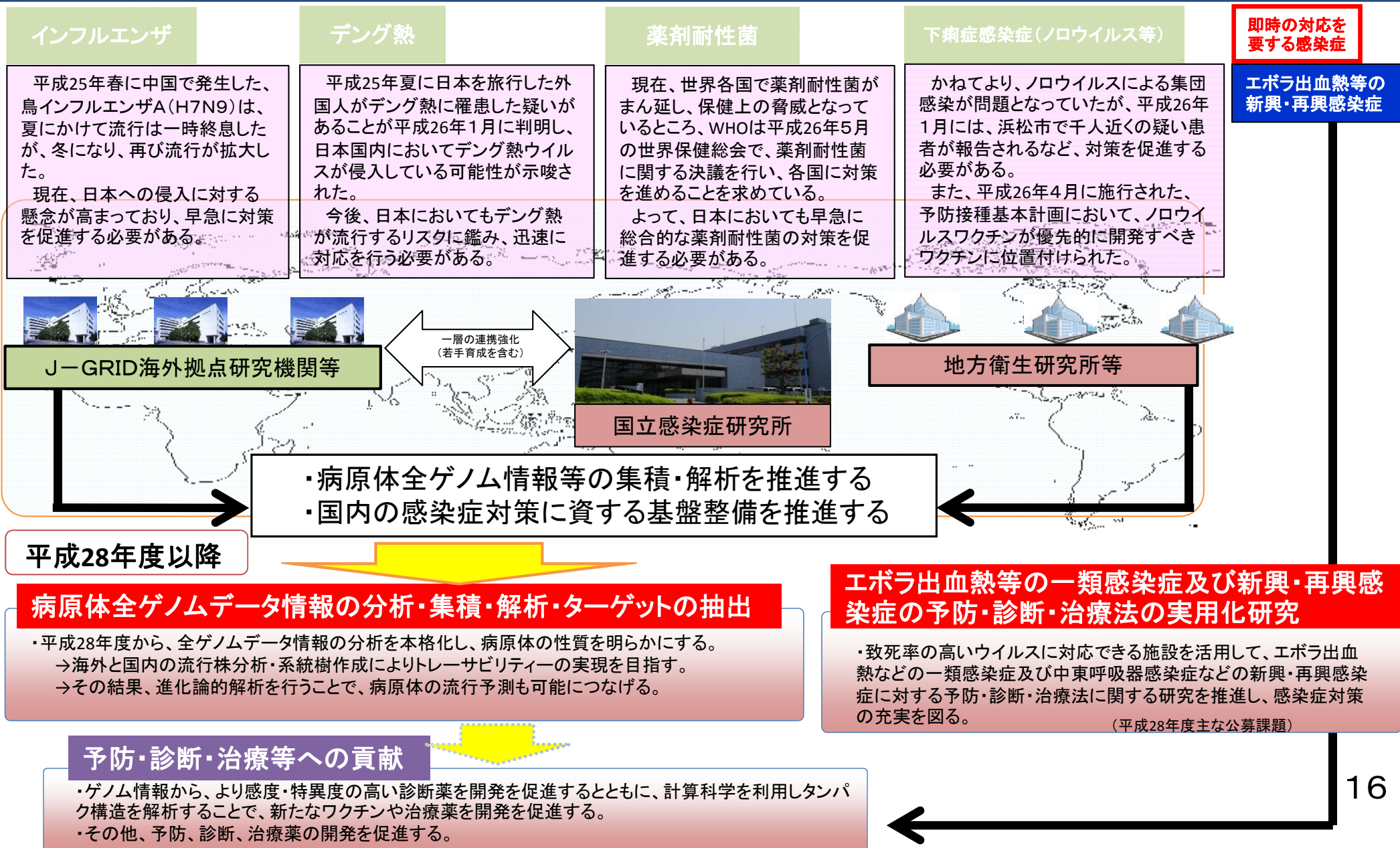
○得られた病原体(インフルエンザ・デング熱・下痢症感染症・薬剤耐性菌)の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化

○ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する臨床試験及び治験の実施及び薬事承認の申請



# 8. 新興・再興感染症制御プロジェクト 平成28年度 概算要求のポイント

健康医療戦略の中で、特に重要な位置づけとなっている病原体を中心に、病原体全ゲノム情報や疫学情報等の集積・解析等を一層推進し、以て薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発に繋げる。



即時の対応を要する感染症

エボラ出血熱等の新興・再興感染症

# 9. 難病克服プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
平成28年度概算要求額 101億円(一部再掲)

希少・難治性疾患(難病)の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品・医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発をめざす研究を推進する。また、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

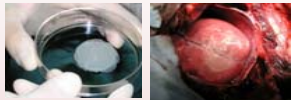
■ 文科省、■ 厚労省

## ● 難治性疾患実用化研究事業

遺伝子治療及び医薬品・医療機器等の医療技術の実用化を目指した臨床研究、医師主導治験等の推進(新規治療法の開発・既存薬剤の適応拡大等)

平成28年度概算要求額 90.8億円

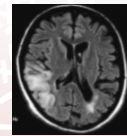
・小児重症拡張型心筋症への骨格筋芽細胞シートを用いた再生治療等



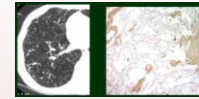
・難治性脳・脊髄疾患の歩行障害に対し、思い通りの動きをアシストする生体電位駆動型ロボット(HAL: Hybrid Assistive Limb)を用いた治療の実用化



・ミトコンドリア脳筋症に対するタウリン療法



・リンパ脈管筋腫症に対するシロリムス内服



・難治性潰瘍を伴う免疫疾患に対する体外衝撃波治療法等



・ALSに対するHGF髄腔内投与



・プリオン病に対する低分子シヤペロン治療薬の開発  
・遠位型ミオパチーに対するNアセチルノイラミン酸の開発  
・HAMの革新的な治療法となる抗CCR抗体療法の実用化

## ● 疾患特異的iPS細胞を樹立、分化誘導、解析する技術を有する拠点の整備

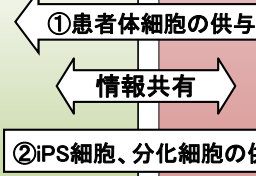
H24年度~『疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究』  
iPS細胞を活用した基礎研究から実用化研究まで一貫した研究体制の構築による早期の治療法開発

平成28年度概算要求額 10.5億円(再掲: 難病関連部分)

疾患特異的iPS細胞の樹立・分化に関する技術の普及や、疾患特異的iPS細胞を用いた研究を個別機関と共同で実施



樹立した疾患特異的iPS細胞を細胞バンクに寄託、公開



疾患特異的iPS細胞から分化誘導された細胞を用いた治療法の開発研究



共同研究  
製薬企業との共同研究を実施

企業・ベンチャー等による研究の推進

実用化(市販・医療現場への普及等)

支援基盤

創薬支援ネットワーク

医療機器開発支援ネットワーク

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

### 【2015年度までの達成目標】

- 薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上の達成(重症肺高血圧症、クロイツフェルト・ヤコブ病等のプリオン病など)

### 【2020年頃までの達成目標】

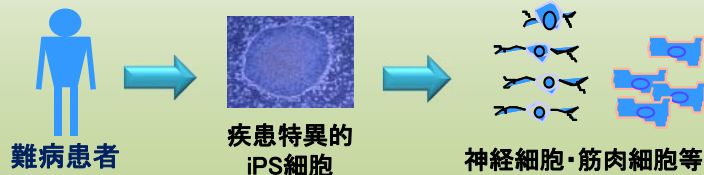
- 新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11件以上達成(ALS、遠位型ミオパチーなど)
- 欧米等のデータベースと連携した国際共同治験等の推進

## 難病克服プロジェクト

平成26年5月23日に難病の患者に対する医療等に関する法律が成立  
 法律の中で、難病の発病の機構、診断、治療方法に関する調査・研究を国が推進することと規定  
 → 今後もより一層の推進が求められる

### 【文】疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究

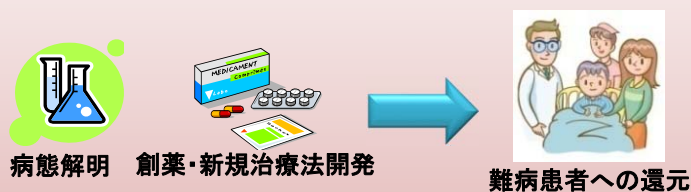
厚労省難病班から供与された患者試料を元に、難病研究に資する高品質な疾患特異的iPS細胞を樹立し、難病班をはじめとした病態解明研究を行う者に提供する



### 【厚】難治性疾患実用化研究事業

#### ・病態解明治療研究分野

文科省共同拠点により樹立された疾患特異的iPS細胞を用いる 病態解明・治療開発研究をより推進する



#### ・医薬品等開発研究分野

医師主導治験、および治験移行を目的とした非臨床試験の推進

平成27年4月現在

- ・約35の研究班で疾患特異的iPS細胞の研究が進行中

KPI記載事項につき

- ・15件の治験が進行中
- ・1件の薬事承認