

# 医療分野研究開発推進計画の実行状況と 今後の取組方針 2019

令和元年6月20日  
健康・医療戦略推進本部決定

## (目次)

<u>I. はじめに</u> . . . . .	2
<u>II. これまでの実行状況と今後の取組方針</u> . . . . .	3
1. 2018年度終了時点における推進計画のフォローアップ . . . . .	3
2. 推進計画の主要な施策に関する取組方針	
① AMEDが果たすべき機能 . . . . .	5
・医療研究開発体制の整備	
・研究費の機能的運用	
・研究開発マネジメント等に資するデータベースの構築	
・国際化への取組	
・政府出資を活用した産学連携等の取組への支援	
・知的財産のマネジメントへの取組	
② 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施 . . . . .	8
・オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト	
・オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト	
・革新的医療技術創出拠点プロジェクト	
・再生医療実現プロジェクト	
・疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト	
・ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト	
・脳とこころの健康大国実現プロジェクト	
・新興・再興感染症制御プロジェクト	
・難病克服プロジェクト	
③ その他 . . . . .	14
・人材育成	
・公正な研究を行う仕組み及び倫理・法令・指針遵守のための環境整備	
・共通基盤の整備・利活用	
・基礎的かつ先端的な研究開発の推進	
<u>III. 推進計画に基づく施策の推進</u> . . . . .	16

## I. はじめに

### <成長戦略>

○ 我が国は、世界最高水準の平均寿命を達成し、人類誰もが願う長寿社会を現実のものとした。今後は、世界に先駆けて超高齢社会を迎える我が国にあって、国民がさらに健康な生活及び長寿を享受することのできる社会（健康長寿社会）を形成することが急務となっていること等から、2013年6月、閣議決定された成長戦略「日本再興戦略 -JAPAN is BACK-」において、医療分野の研究開発の司令塔機能を創設することとされ、以下の措置を講ずることが明記された。

- ① 医療分野の研究開発等の司令塔の本部として、内閣に、内閣総理大臣・担当大臣・関係閣僚から成る推進本部の設置
- ② 基礎から実用化まで切れ目ない研究管理の実務を行う独立行政法人の創設等

### <健康・医療戦略関連2法>

○ 医療分野の研究開発を戦略的に推進していくためには、しっかりとした司令塔機能を創設する必要があるため、政府は、健康・医療戦略関連の2法案（「健康・医療戦略推進法案」及び「独立行政法人日本医療研究開発機構法案」）を第186回通常国会に提出した。この2法案は、国会での審議を経て、2014年5月に成立した。

### <健康・医療戦略推進本部>

- 健康・医療戦略推進法（以下「推進法」という。）に基づき、2014年6月、内閣に内閣総理大臣を本部長とし、全ての閣僚が本部員となる健康・医療戦略推進本部（以下「推進本部」という。）が設置された。
- 同年7月、推進本部は、政府が総合的かつ長期的に講ずべき健康・医療に関する先端的な研究開発及び新産業創出に関する施策の大綱などを定めた「健康・医療戦略」の案を作成し、閣議決定された。
- また、同年7月、推進本部は、健康・医療戦略に即して、政府が講ずべき医療分野の研究開発並びにその環境の整備及び成果の普及に関する施策（以下「医療分野研究開発等施策」という。）の集中的かつ計画的な推進を図るため、「医療分野研究開発推進計画」（以下「推進計画」という。）を決定した。
- 2017年2月、推進本部は、中間年度にあたる2016年度において、基本的な構成を維持しつつ、これまでの取組状況や社会情勢の変化等を踏まえた中間的な見直しを行い、一部変更された推進計画を決定するとともに、同戦略の一部変更案を作成し、閣議決定された。

### <推進計画>

○ 推進計画は、2014年度から、10年程度を視野においた2019年度までを対象としており、日本医療開発機構が果たすべき役割をはじめ、以下に記載する9つの統合プロジェクトを中心とする、医療分野の研究開発において推進すべき取組等が示されたものとなっている。

- ① 日本医療研究開発機構が果たすべき役割
- ② 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

【9つの統合プロジェクト】

『横断型統合プロジェクト』

- ・ オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト
- ・ オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト
- ・ 革新的医療技術創出拠点プロジェクト
- ・ 再生医療実現プロジェクト
- ・ 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト

『疾患領域対応型統合プロジェクト』

- ・ ジャパン・キanserリサーチ・プロジェクト
- ・ 脳とこころの健康大国実現プロジェクト
- ・ 新興・再興感染症制御プロジェクト
- ・ 難病克服プロジェクト

- ③ その他（人材育成、公正な研究を行う仕組み及び倫理・法令・指針遵守のための環境整備、共通基盤の整備・利活用、基礎的かつ先端的な研究開発の推進）

＜「医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2019」の位置づけ＞

- 推進計画については、健康・医療戦略推進本部の下で、PDCA サイクルに基づく進捗管理を行う必要がある。「医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2019」は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）が発足してから4年目にあたる2018年度の実行状況についてフォローアップを行うとともに、2019年度の取組の方針を取りまとめたものである。

**Ⅱ. これまでの実行状況と今後の取組方針**

**1. 2018年度終了時点における推進計画のフォローアップ**

＜「推進計画に盛り込まれた施策の実行状況」＞

- 推進計画に盛り込まれたすべての施策については、2018年度の実行状況を中心にフォローアップを行い、下記の取組方針に反映することとしている。なお、フォローアップの詳細については、別添のとおり「医療分野研究開発推進計画のフォローアップ」及び「医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標(KPI)のフォローアップ」として取りまとめている。
- 今後とも推進計画の着実な実施を図るため、推進本部におけるPDCAサイクルに基づく進捗管理を着実にやっていく。

＜健康・医療戦略推進専門調査会におけるフォローアップ＞

- 健康・医療戦略推進専門調査会は、2014年6月に推進本部が決定した「健康・医療戦略推進専門調査会の設置について」により、推進本部の所掌事務のうち、「医療分野研究開発推進計画の作成及び実施の推進に係る専門的な事項の調査」を任務としている。
- このため、健康・医療戦略推進専門調査会において、推進計画の実行状況についてのフォローアップ（2018年度）を2019年5月に実施しており、結果は以下のとおりとなっている。

■ 健康・医療戦略推進専門調査会で実施した推進計画の実行状況についてのフォローアップ(2018年度)の結果

- 「医療分野研究開発推進計画」について、2020年までの達成目標等の進捗に係る評価は妥当であり、現時点で評価が困難、進捗が不十分となった若干の項目を考慮しても、全体として、順調に進捗しているものと評価する。

**<推進計画の主要な施策に関する取組方針>**

- 推進計画において行うこととしている百を超える施策（Ⅱ. 集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策に掲げられている施策）のうち、主要なもの取組方針は、下記2. のとおりとなっている。

## 2. 推進計画の主要な施策に関する取組方針

### ① AMEDが果たすべき機能

- AMEDには、医療に関する研究開発のマネジメント、臨床研究及び治験データマネジメント、実用化へ向けた支援、研究開発の基盤整備、国際戦略の推進、政府出資を活用した産学連携等の取組に対する支援といった役割が求められている。主要な取組は以下のとおり。

#### ■ 医療研究開発体制の整備

AMED に、医療分野の研究開発関連予算を集約することにより、各省がそれぞれ実施してきた医療分野の研究開発について、

- － 基礎研究、臨床研究及び治験、創薬開発等の豊富な経験を有するプログラムディレクター (PD)、プログラムスーパーバイザー (PS)・プログラムオフィサー (PO) を活用した、基礎から実用化までの一貫した研究管理
  - － 知的財産の専門家による知的財産に関する相談窓口、知的財産取得戦略の立案支援や、臨床研究及び治験をサポートする専門のスタッフ等の専門人材による研究支援
  - － 研究費申請手続きの質問に対して一元的な情報提供をするための対応窓口「AMED Research Compass (AReC)」を AMED のホームページに開設
  - － 株式会社産業革新機構、PMDA と連携した有望シーズの出口戦略の策定・助言や企業への情報提供・マッチング及びワンストップサービスの提供
- 等を図っている。
- ・ 2018 年度においては、評価委員や PD・PS・PO について整備した利益相反マネジメントのルールを適切に運用する等により、研究開発体制における質の向上及び透明性・公正性の確保を図った。また、PD・PS・PO に関する規則について、運用後の実績を踏まえて見直しを行った。
  - ・ 今年度も引き続き PD・PS・PO を活用し、基礎から実用化までの一貫した、かつ、各プロジェクト間の連携も踏まえたマネジメントを行う。また、未知の疾患の解明、関連分野の研究開発の推進、効率的・効果的な研究開発の推進やゲノム医療実現のため、データシェアリング等更なるデータマネジメントを推進する。
  - ・ 更なる評価の質の向上を図るため、公募の評価のプロセスにおける国際レビューアの導入について、2018 年度事業の一部で先行的に実施しており、2019 年度以降も順次拡大していくことを目指す。

#### ■ 研究費の機能的運用

- ・ 推進本部による総合的な予算要求配分調整に基づき、各省の医療分野の研究開発関連予算を AMED に集約して研究支援を一体的に行うとともに、各省の枠を超えて研究の進捗等に応じ調整費を配分するという新たな枠組みの下、AMED を中心に、研究費の機能的運用を進めてきている。
- ・ 2018 年度においては、昨年度に引き続き AMED が配分する研究費に

ついて、研究計画の最適化が図られるよう年度途中で研究費の増額又は減額を行い、予算配分を効率化するとともに、「競争的資金における使用ルール等の統一について」（2015年3月31日関係府省連絡会申し合わせ）等を踏まえ、研究費の合算使用、購入した研究機器の有効活用、年度末までの研究期間の確保、研究費の費目間の流用制限の緩和等に取り組んだ。また、研究開発の円滑化並びに研究機関における事務手続きの軽減等を目的とし、概算払の一括払基準額を見直した。

- ・ 2018年度も、AMEDが研究機関の事務処理担当者向けの説明会を開催したが、今後についても引き続き周知を図る。

#### ■ 研究開発マネジメント等に資するデータベースの構築等の基盤整備

- ・ 効果的な研究開発を行う上で、研究開発に係る情報の集約及び分析、それに基づく研究開発マネジメントが重要であることから、AMEDが保有する研究開発に関する情報を一元的に集約するデータベース（AMS:AMED研究開発マネジメントシステム）を開発し、論文・特許等の成果情報を取り込み、分析基盤の構築を進めるとともに、情報分析企画室においてデータを付与したAMED研究開発タグを活用して、2016年度および2017年度における医療研究開発の概況を取りまとめ、公表した。また、AMSを活用した俯瞰的な分析手法について、事業課とともに検討したほか、健康・医療分野の国内外の動向をAMEDの事業に反映させるための参考情報の収集と整理、AMSの課題情報との複合的な分析手法等について調査を実施した。
- ・ さらに、国の健康医療戦略予算に係る16機関が実施している研究開発課題を統合したデータベースの簡易版を構築した。2019年度に本格版データベース構築について検討を進める予定である。
- ・ 2018年度においては、PubMed型の用語辞書によるキーワードや分類コードを試行的に付与し、分析手法の開発を試行した。また、健康・医療分野の国内外の動向をAMEDの事業に反映させる分析体制構築の検討に資する参考情報の収集と整理等に関する調査を実施した。
- ・ 引き続き、PubMed型の用語辞書のキーワード等による分析手法実現に向けたシステム機能改善を行うと共に手法開発等をすすめる。

#### ■ 国際化への取組

- ・ 国際共同研究を推進し、国際協力が欠かせない感染症研究の推進や、希少疾患、未診断疾患等に関する研究などでの協力体制を構築するため、米国国立衛生研究所（NIH）等、世界の主要なファンディング機関との連携構築等を進めた。また、2016年度に3か所（ワシントンDC、ロンドン、シンガポール）の海外事務所を設置した。
- ・ その成果として、2016年1月に米国国立衛生研究所（NIH）と、同年3月にシンガポール科学技術研究庁（A\*STAR）と、2017年2月に英国医学研究会議（MRC）と、同年3月にリトアニア保健省と、同年4月にスペイン王国 経済・競争力省 調査・開発・イノベーション担当総局（SEIDI）（当時）他、計7つの研究支援機関等と研究と研究協力に関する覚書をそれぞれ締結した。また、国際希少疾患研究

コンソーシアム（IRDiRC）、薬剤耐性研究の国際連携イニシアティブ（JPIAMR）や感染症のアウトブレイクに対する研究支援の国際連携（GloPID-R）等の国際コンソーシアム等に計9件参加した。

- ・ 2018年度においては、加えて、TT（Translational Together）といった医療分野におけるTranslational Research推進のための国際連盟に加盟するなど、更に国際化に向けて海外機関との連携を深めた。
- ・ こうした国際連携の取組により、国内外でのデータの共有が可能となり、日本のデータベースではカバーできなかった希少疾患の研究開発の推進や未診断疾患の解析・確定診断を実現した。
- ・ 引き続き、医療研究開発の情報の収集・分析、ファンディング機関等との連携を強化する。また、海外事務所を活用し、共同研究の推進・調整や情報収集・分析・発信を可能にする。

#### ■ 政府出資を活用した産学連携等の取組の支援

- ・ 政府出資を活用し、革新的な医薬品・医療機器等の研究開発及び研究環境整備について、産学連携等の取組を支援する。具体的には、医療分野の研究開発または医療分野の環境整備を推進することを目的とした「医療研究開発革新基盤創成事業（GiCLE）」について、2016年度第2次補正予算で措置した550億円、2017年度補正予算で措置した300億円の出資金を基に、これまで3回の公募を行い計31課題の採択を行った。さらに、2018年度第2次補正予算で250億円を追加措置し、2019年3月に第4回の公募を開始した。なお、2018年に行った第3回の公募からは、創業間もないスタートアップ型のベンチャー企業を支援するViCLE枠を設けた。

#### ■ 知的財産のマネジメントへの取組

- ・ AMED 内に設置した知的財産管理・相談窓口に常駐する知財コンサルタントのほか、全国8ブロックに配置した知財リエゾンにより、研究機関における知的財産管理や特許取得戦略立案等に関する機動的な支援を行った（相談件数 315 件）。また、アカデミア発のシーズと企業のニーズを早期にマッチングし、研究開発の促進を図る Web システム「AMED ぷらっと®」の提供や、商談会への出展支援等を通じて、アカデミア発シーズを早期に製薬企業等とマッチングする支援を実施した。
- ・ 研究機関の知財セミナーに知的財産部員を講師として派遣（35 回）したほか、医療分野の研究成果導出や契約交渉に関するコース研修、研究者と産学連携担当者が実際の課題を持ち寄り、企業パートナーリング戦略を具体的に立案する「パートナーリング塾」を実施すること等により、研究機関における知財意識の普及啓発及び知的財産人材の育成を行った。
- ・ 引き続き、研究機関が有するシーズの早期実用化に向け、知的財産管理・相談窓口、知財リエゾンによる知財戦略立案等の機動的な支援、「AMED ぷらっと®」や商談会への出展支援等を通じたマッチング機会



の提供などを進めるほか、知的財産に関する知識の普及啓発、知財人材育成を図る。

② 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

- 各省の関連する研究開発プログラムを統合的に連携し、基礎研究からの優れたシーズを見出し、これを実用化へ一貫してつなぎ、具体的な成果を目指す9つの統合プロジェクトを実施する。

各プロジェクトにおける主要な取組は以下のとおり。

■ オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト

- ・ 本施策は、①「創薬支援ネットワーク」の構築や創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業などの医薬品創出のための支援基盤の整備により、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の強化を図ること及び②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病治療薬等の開発を支援することを目的とした取組である。同プロジェクトの成果として、製薬企業等の重点開発領域等やニーズを基に活動を行い、これまでに製薬企業等への導出を162件（シーズ41件、抗体生産47件、その他技術74件）行った。
- ・ 産学連携について、民間資金の活用・AMEDによるマッチングを通じた産学連携スキームGAPFREE1（オミックス創薬）、GAPFREE2（rTRからの創薬）に加え、2018年度は新たに2つのGAPFREE型産学連携プロジェクト（薬用植物国産化、創薬技術）を立ち上げた。また、クライオ電子顕微鏡等の大型機器について、アカデミアで共有して効率的に活用する仕組みとして、BINDS（創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業）を整備し、これまでの2年間で約1,500件の支援実績を達成、2018年度は製薬協協力の下「BINDS企業利用ルール」を策定した。個別の研究成果としては、筋萎縮性側索硬化症患者におけるボスチニブの多施設共同医師主導治験の開始や、国内製薬企業から提供された大規模データによる、創薬研究効率化を目的とした薬物動態と毒性の予測システムの開発等があった。
- ・ 引き続き、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の創薬ターゲットの同定や、患者層別化マーカー探索技術等を推進するとともに、遺伝子治療、中分子などの新たなモダリティに対する基盤技術開発を実施する。また、GMP準拠の抗体医薬の製造環境を利用し、柔軟かつ効率的に製造可能なバイオ医薬品の連続生産技術について、開発を行う。

■ オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

- ・ 本施策は、医療機器促進法に基づく医療機器基本計画を着実に実行するため、また医工連携による医療機器開発を促進すべく、AMEDを通じて、各省・専門支援機関・地域支援機関・医療機関・学会等の開発支援体制を強化し、我が国の高い技術力をいかし、医療機器の開発・事業化を加速する。また、医療機器の承認審査の迅速化に向けた取組

や、事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進めるプロジェクトである。

- ・ 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）を構築した（相談件数は約1,540件。うち、伴走コンサル件数(予定を含む。)は約640件)。2018年度は、伴走コンサル機能強化のため、人材育成セミナーを開催（約40名が受講）するとともに、医療現場のニーズを抽出し、開発企業へ橋渡しする「アイデアボックス」を引き続き運用した（新たに約40件公開）。また、医療機器開発において、ユーザーである医療従事者の声を反映した製品開発が重要であるとの観点から、製品開発の各段階において、医療従事者の評価を収集できる「製品評価サービス」の提供を開始した（6件実施、協力病院：34病院）。
- ・ 最先端診断・治療機器技術開発等の推進にあたっては、2018年度は、合わせて31件の研究開発を実施した。また、人材育成では、大学におけるイノベーション人材育成及び産業人材育成を行った。
- ・ 個別の研究成果としては、人工知能に基づく内視鏡診断支援ソフトウェアの薬事承認や脳血管血栓除去マイクロステントの薬事承認があった。
- ・ 引き続き、更なる医療機器の開発・事業化の推進を目指して、国際展開を含む出口戦略を見据えた人材育成を今後進め、事業者に対する支援を強化する。
- ・ 「国民が受ける医療の質の向上のための医療機器の研究開発及び普及の促進に関する法律（2014年法律第99号）」第7条第1項に基づく、医療機器の研究開発及び普及の促進に関する施策についての基本的な方針、研究開発をはじめとして、政府が総合的かつ計画的に実施すべき施策などを盛り込んだ「国民が受ける医療の質の向上のための医療機器の研究開発及び普及の促進に関する基本計画」を2016年5月に閣議決定した。引き続き、この基本計画に定められた目標の達成その他医療機器の研究開発及び普及の促進に関する施策の効果的な推進を図る。

#### ■ 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

- ・ 本施策は、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、臨床研究中核病院等の一体化を革新的医療技術創出拠点として進めるとともに、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化、ネットワーク化、オープンアクセス化及びシーズの拡大をさらに推進するプロジェクトである。
- ・ 大学等発の有望な基礎研究成果の臨床研究・治験への橋渡しをさらに加速するため、橋渡し研究戦略的推進プログラム等を実施してきた。また、国際水準の質の高い臨床研究・治験を推進するとともに、ARO<sup>1</sup>機能を活用し、多施設共同試験の支援を行うなどの体制を整備するた

---

<sup>2</sup>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。

め、臨床研究品質確保体制整備病院等の整備を進めてきた他、2015年度に、国際水準の臨床研究等の中心的役割を担う病院を臨床研究中核病院として医療法上に位置づけ、これまで12病院が承認されている。

- ・ 2018年度においては、臨床研究中核病院の2病院において、研究者が国際共同臨床研究・治験を円滑に実施するための体制を構築するとともに、全ての臨床研究中核病院に先進医療の実施や医療系ベンチャーの支援に係る相談窓口を設置した。
- ・ 個別の研究成果としては、患者から骨髄間葉系幹細胞を採取し、体外で増殖させ患者に投与することで脊髄損傷による歩行不全を改善する、再生医療等製品「ステミラック注」の製造販売申請に対し、「条件及び期限付き承認」取得等があった。
- ・ 引き続き、革新的医療技術創出拠点において、アカデミア等における革新的なシーズの実用化に向けて、引き続き優れたシーズの掘り起こしを行うとともに、更なる臨床研究・治験の推進施策を実施する。

#### ■ 再生医療実現プロジェクト

- ・ 本施策は、iPS細胞等を用いた再生医療の迅速な実現に向けて、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並びに、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プロジェクトである。
- ・ 再生医療の実現化については、安全なiPS細胞・ES細胞・体性幹細胞等の提供に向けた取組を推進し、再生医療用iPS細胞ストックの提供を行うとともに、幹細胞操作技術等のiPS細胞等への実用化に資する技術の開発・共有、再生医療の基礎研究・非臨床試験の推進等を実施した。2018年度には再生医療の臨床研究又は治験段階への移行数は11件（累計42件）に達した。他に、iPS細胞技術を活用した新規治療薬候補の臨床応用（医師主導治験3件）、再生医療等製品の薬事承認数の増加（1件）、再生医療関係の周辺機器・装置の実用化及び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を行うことを達成した。
- ・ 2018年度における個別の研究成果としては、パーキンソン病に対して他家iPS細胞から作製したドパミン神経前駆細胞を移植する医師主導治験が世界で初めて実施された。また、同細胞の将来的な製品化および事業化を見据えた工業的な大量製造プロセスの確立を進めており、GCTP省令の適合に必要な機能を有したiPS細胞大量自動培養装置が国内で初めて製品化された。
- ・ 引き続き、安全なiPS細胞等の提供に向けた取組、疾患特異的iPS細胞を利活用した疾病研究・創薬研究、再生医療の基礎研究・非臨床試験の一層の推進、再生医療の産業化に向けた基盤技術の開発等を実施するとともに、臨床段階へ移行した再生医療研究を支援し、再生医療の実用化を推進する。

#### ■ 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト

- ・ 本施策は、急速に進むゲノム解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図ると共に、特定の疾患に対する臨床応用の推進を図るプロジェクトである。
- ・ 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・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とともに、共同研究等による難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索や、ゲノム情報を生かした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してきた。東北メディカル・メガバンク計画については、バイオバンクの生体試料・情報分譲の対象範囲をさらに拡大し、日本人全ゲノムリファレンスパネルや日本人基準ゲノム配列の新バージョンを公開し、ゲノム解析における基盤構築を推進した。
- ・ 2018年度においては、試料等利用審査委員会のWeb化によるバイオバンク・ジャパンの保有試料・情報の利活用環境の整備や、webで公開した統合データベース(MGeND)に4つの疾患領域で解析したゲノム情報の登録を促進した。MGeNDへのアクセス数も増加した。
- ・ 個別の研究成果としては、「NCCオンコパネル」について、製造販売承認や、炎症性腸疾患、白血病等の臓器移植後の治療におけるチオプリン製剤の重篤な副作用の予測に有用な遺伝子多型を検出するキットの製造販売承認等があった。
- ・ 引き続き、3大バイオバンク(バイオバンク・ジャパン、東北メディカル・メガバンク、ナショナルセンターバイオバンクネットワーク)を研究基盤・連携のハブとして再構築するとともに、その研究基盤を利活用した目標設定型の先端研究開発を一体的に行うことで、多因子疾患のゲノム医療研究を効率的・効果的に推進する。また、医療現場において活用することのできる臨床ゲノム情報のデータベースを疾患毎に情報集積等を継続することで拡充するとともに疾患横断的な利用促進に取り組む。

#### ■ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

- ・ 本施策は、「がん研究10か年戦略」(2014年3月関係3大臣確認)を踏まえ、関係省庁の所管する研究関連事業の連携の下、がんの本態解明等に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進するプロジェクトである。
- ・ 基礎研究の有望な成果を厳選し、診断・治療薬に資する試験等に利用可能な化合物等の研究を推進するとともに、研究成果を確実に医療現場に届けるため、革新的な診断・治療等、がん医療の実用化をめざした臨床研究等を強力に推進した。また、患者のQOLの向上と医療機器産業の競争力強化を図るため、産学連携の研究体制を構築し、最先端の医療機器の実用化研究開発を推進した。2018年度は、固形がんの高い治療効果を示す次世代CAR-T細胞の臨床試験実施に向け非臨床薬効データの取得を進め、第三世代のがん治療用へ

ルペスウイルス G47Δ の膠芽腫に対する高い治療効果と安全性を第Ⅱ相医師主導治験において確認し薬事承認申請実施の見通しを得るとともに、ARID1A 機能喪失性変異に対し代謝異常を阻害する合成致死治療法が新たながん治療法になり得ることを示すなどの成果が得られた。

- ・ 引き続き、基礎研究の有望な成果を厳選して研究を加速し、臨床研究及び治験へ導出を促進するとともに、得られた臨床データ等を基礎研究等に還元することにより、がん医療の実用化を目指した研究を強力に推進する。また、「がん研究 10 か年戦略」に基づいて、がんの根治・がんの予防・がんとの共生を念頭において、総合的かつ計画的に患者・社会と協働したがん研究を推進する。

#### ■ 脳とこころの健康大国実現プロジェクト

- ・ 本施策は、脳全体の神経回路の構造・機能を解明し、精神・神経疾患や依存症の予防法、診断法、治療法を確立するためのプロジェクトである。
- ・ 神経活動の測定や神経回路の解析に必要な技術開発を進め、最先端の脳画像解析技術を活用することにより、非ヒト霊長類であるマーモセットの脳構造・機能マップの作成を進め、これまでに 3D 標準脳アトラスなどを公開している。また、精神・神経疾患の病態解明に向けて、マーモセット等でヒトの病態を再現する疾患モデル動物の確立に取り組んでいる。さらに、ヒトやモデル動物で、意思決定や行動選択などの高次脳機能に関与する脳神経回路の同定を進めている。
- ・ 認知症やうつ病などの精神・神経疾患の病態解明研究、バイオマーカー・創薬シーズ開発を行ない、診断・治療法の臨床 POC 獲得やガイドライン策定、治療薬候補化合物の同定等の成果に結びつけてきた。また、全国規模の認知症コホートや大規模臨床研究を可能にする認知症の人等のレジストリの構築、精神疾患の層別化に向けたレジストリ構築など、研究や実用化を加速するための基盤体制整備を進めた。
- ・ 2018 年度は、健常から疾患に至る脳画像の縦断的解析等によりヒト脳機能の神経回路レベルでの解明を目指した研究開発や、ヒト脳神経由来エクソソームを利用した認知症のバイオマーカー開発に着手した。精神疾患や依存症の研究においては、精神疾患の診断法、治療法に関する臨床 POC を 4 件獲得した。
- ・ 個別の成果としては、現在用いられている脳脊髄液や PET イメージングの検査に匹敵する極めて高い精度のアルツハイマー病変（アミロイドβ 蓄積）検出法を確立し、採取が容易な血液（僅か 0.5 mL）でアルツハイマー病変を早期に正確に検出することを可能とした。
- ・ 引き続き上記について取り組む。また、治験即応型の認知症コホートの構築や認知症の予防法やケアに関するサービス・製品等の評価指標を確立するための研究を開始する。

#### ■ 新興・再興感染症制御プロジェクト

- ・ 本施策は、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・効果的に診断薬・治療薬・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ための研究を推進  
するプロジェクトである。
- ・ 感染症対策において治療薬等を実用化することに重点を置いた研  
究開発を行うとともに、海外の研究拠点をいかした基礎的知見の収  
集に重点を置いた研究を実施し、これらの研究を一体的に推進する  
ことで、基礎から実用化まで切れ目のない研究開発を推進してき  
た。
- ・ 2018年度は、新規診断薬の製造販売承認1件（ジカウイルス感染  
症に対するRT-LAMP法を応用した迅速診断法）、新規ワクチンの治験  
開始2件（不活化インフルエンザウイルス全粒子ワクチン、多剤耐  
性結核に対する治療用DNAワクチン）を達成した。
- ・ 引き続き、国際的に脅威となる感染症等に関する新たな診断薬・  
治療薬・ワクチンの研究開発等を推進する。また、2016年11月  
に、国際的に脅威となる感染症対策関係閣僚会議において決定され  
た、「長崎大学の高度安全実験施設（BSL4施設）整備に係る国の関  
与について」等を踏まえ、高度安全実験施設を中核とした感染症研  
究拠点の形成を推進する。

#### ■ 難病克服プロジェクト

- ・ 本施策は、希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、患者  
数が希少ゆえに研究が進まない分野において、全ての研究プロジェ  
クトで切れ目ない支援を行うことで、難病の病態を解明するととも  
に、効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を一体的に  
推進するプロジェクトである。
- ・ 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目指す研究を推進するとともに、疾  
患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究等を推  
進してきた。2017年度は、声帯を動かす筋肉が痙攣を起こす原因不  
明の疾患である内転型痙攣性発声障害を対象に開発した「チタンブ  
リッジ」が2017年12月に製造販売承認を取得し、先駆け審査指定  
制度における最初の承認品目となった。また、2018年度までにAMED  
が主導する未診断疾患イニシアチブについて、3,300人以上の未診  
断患者の登録を行い、1000人以上の患者の解析結果を半年以内に返  
却するとともに、16件の新規原因遺伝子・新規疾患の発見を行っ  
た。さらに、難病の病態解明として、家族性のてんかんについて、  
3つの原因遺伝子で、イントロン領域に存在する繰り返し配列の異  
常伸長が発症原因となっていることを解明した。
- ・ 2018年度は新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大（2件）、欧  
米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始（1

件)、未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子、または新規疾患の発見(7件)を達成した。

- ・ 引き続き、難病の克服につながるような、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研究、疾患特異的 iPS 細胞を用いた研究等を推進する。

### ③ その他

#### ■ 人材育成

- ・ 医療分野の研究開発ポテンシャルの向上には、関係する分野における人材の育成、確保が重要である。また、臨床研究及び治験の推進には、生物統計家、レギュラトリーサイエンスの専門家などの育成が必要である。医学部や薬学部の学生等に対し、臨床研究に関する教育を充実するとともに、臨床研究や治験のためのポストの整備など、若手研究者の育成が必要である。

主要な取組は以下のとおり。

#### <臨床研究及び治験の推進のための人材育成>

- ・ 医学教育・薬学教育においては、教育内容の指針であるモデル・コア・カリキュラムにおいて臨床研究及び治験等に関する教育を作成当初より位置付けており、各種会議の場を通じて普及を図った。また、AMED が支援する橋渡し研究戦略的推進プログラムにおいては、専門人材を確保し、教育訓練、講習会等の人材育成に係る取組を実施し、医療技術実用化総合促進事業においては、臨床研究法に基づく質の高い臨床研究・治験を実施すべく、臨床研究中核病院を実施主体とした研修を行うとともに、講義内容について、コア・カリキュラム等を作成し標準化を図った。
- ・ 引き続き、上記コア・カリキュラム等について普及を図るとともに、必要な専門人材の育成をはかる。

#### <バイオインフォマティクス人材等の育成>

- ・ 東北メディカル・メガバンク計画において、他の研究機関とネットワークを形成し、人材が循環する仕組みや、他の機関と連携した教育システムを構築することにより、積極的に人材育成に取り組むこととしている。また、ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業において、研究代表者として主体的に研究を推進できる若手人材の育成を目的として、ゲノム医療実現に資する情報解析技術等の研究開発を行う。

#### <メディカル・イノベーション推進人材の養成>

- ・ 「未来医療研究人材養成拠点形成事業」において各大学が理念や強み、特色、地域性等をいかした教育コースを実施することにより、世界の最先端医療の研究・開発等をリードし、将来的にその成果を国内外に普及できる実行力を備えた人材を養成する取組を 2017 年度まで支援した。

### <医療機器開発における人材の育成>

- ・ 大阪大学、東北大学、東京大学の3大学が日本医療機器産業連合会（医機連）の支援を受けて、スタンフォード大学と連携し、ジャパン・バイオデザイン・プログラム（課題解決型のイノベーションに必要な考え方やスキルを臨床現場のニーズを出発点として実践的に習得するプログラム）を実施している。

### ■ 公正な研究を行う仕組み及び倫理・法令・指針遵守のための環境整備

- ・ 臨床研究における不適正事案の発生を受けて、臨床研究の実施の手続き等を定めることにより、国民の臨床研究に対する信頼の確保を図ることを通じてその実施を推進することを目的とした「臨床研究法案」が2016年5月に国会に提出され、2017年4月に臨床研究法（2017年法律第16号）が成立した。同法の円滑な施行に向け、2017年8月以降、厚生科学審議会臨床研究部会における議論がなされ、2018年2月に、臨床研究法施行規則（2018年厚生労働省令第17号）等を制定した。また、臨床研究や治験等の実施計画を登録するデータベースを構築し、2018年4月に公開した。
- ・ AMEDにおいては、研究公正・法務部を設置し、医療法制等の知識・経験を有する専門的人材を配置するとともに、不正行為等への対応や利益相反管理に関する規則の制定、不正行為等の告発窓口の設置等の体制整備を実施した。2017年7月に、研究公正活動を効率的に推進するため、研究機関の研究公正関係者が情報交換を行う場を提供することを目的とした「RIO（Research Integrity Officer）ネットワーク」を構築した。また、同年9月以降RIOネットワークの参加者に対する最新情報の提供・シンポジウムの開催・少人数の分科会開催等の活動を継続して行っている。
- ・ AMEDでは、2018年度から、非臨床研究における研究データの質・管理の向上を担う指導者の育成を目指し、「研究データの質向上の指導者育成事業」を実施している。
- ・ 引き続き、AMEDの研究事業の公正かつ適正な実施の確保を図るために、研究公正・法務部と他の事業部門との連携強化を図りつつ、研究公正に関する啓発活動を行う。

### ■ 共通基盤の整備・利活用

- ・ 本施策は、希少疾患や難病をはじめとした疾患データベースの維持・構築、各種ゲノムバンクやコホートの連携と利活用等のエビデンスに基づく医療の実現に向けた基盤の確保、ライフサイエンスに関するデータベースの統合を着実に推進するものであり、創薬支援ネットワークを中心としたオールジャパンでの創薬支援基盤の一層の利活用に加え、先端的な大型研究施設、スーパーコンピュータ、先端計測分析機器をはじめとする先端研究基盤を形成する諸施設・設備の産学官の研究者の利用を推進するなど、科学技術共通基盤の利活用を進める。



- ・ これまで、診療画像関連6学会によるデータベース及びAI開発のための共通プラットフォーム構築を進めてきた。2018年度は共通プラットフォーム研究を主導する国立情報学研究所及び関連6学会とでAI開発等について認識の共有化を図るとともに、研究成果の1つとして「AIによる胃生検ダブルチェック支援システム」等を開発しており、今後も引き続き環境整備、研究開発を進めていく。

#### ■ 基礎的かつ先端的な研究開発の推進

- ・ 将来の医薬品、医療機器等及び医療技術の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズを創出するためには、国内外の研究動向を俯瞰し新たな研究シーズに着目した上でそのシーズを育成するための基礎的な研究を行い、社会的・経済的価値の創出に向けた科学的知見の進展・統合を推進することが重要である。このため、客観的根拠に基づき定めた研究開発目標の下、大学等の研究者から提案を募り、組織の枠を超えた時限的な研究体制を構築し、基礎的かつ先端的な研究開発を推進するなど、有望な成果について研究を加速・深化している。引き続き、画期的シーズの創出・育成に向けた先端的な研究開発をさらに強力に推進するとともに、有望な成果に係る研究の加速・深化を行っていく。
- ・ 健康寿命延伸に向けて、ライフステージに応じた健康課題の克服という視点に立って、患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、診断、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進する。特に、子どもの健全な成長と発達を通じて将来の疾患の克服に資する研究開発や、高齢者に特有の疾患や老化・加齢メカニズムの解明・制御についての研究を推進する。

### Ⅲ. 推進計画に基づく施策の推進

- 健康長寿社会の実現は、内閣の成長戦略の柱であり、2014年7月に推進計画が策定されて以降、上記のとおり、推進計画に掲げられた各施策については、着実に推進されてきたところである。2019年度においては、推進計画に掲げられた各施策を、上記の今後の取組方針に従って、政府一丸となって推進していく。
- また、今後も、推進本部の下で、着実に各施策の実施状況をフォローアップしていくとともに、推進計画の実行状況と今後の取組方針について、推進本部で決定することとする。