

国立研究開発法人

日本医療研究開発機構の取組について

日本医療研究開発機構
理事長 末松 誠

AMEDと研究開発プロジェクト

- AMED（日本医療研究開発機構）は、国の医療分野の研究費を集約して、基礎から実用化まで切れ目のない研究支援を行うため、平成27年4月に設立。
- 関連する研究開発事業を、5つの「横断型」と4つの「疾患領域対応型」の統合プロジェクト等にまとめ、連携させて推進している。

疾患領域対応型統合プロジェクト

がん

ジャパン・キヤンサー
リサーチ・プロジェクト

脳とこころ

脳とこころの健康大国
実現プロジェクト

感染症

新興・再興感染症
制御プロジェクト

難病

難病克服
プロジェクト

疾患領域対応型事業

横断型統合プロジェクト

医薬品・医療機器
開発への取り組み

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

臨床研究・治験への
取り組み

革新的医療技術創出拠点プロジェクト

世界最先端医療の
実現に向けた取り組み

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化プロジェクト

横断型事業

(ICT関連研究基盤構築・研究開発、革新的先端研究開発、産学官連携による
研究開発・研究基盤整備、生物資源等の整備、国際展開 他)

AMED創成期(平成27年、28年度)の改革骨子

(1)3省バラバラだった予算ルールの一元化と調整費の「二刀流」の活用

(2)グローバルな医療研究開発推進のための連携強化

見えなかった日本から見える日本へ＝AMEDの存在感の発揮

- 生物医学研究を支援する海外のファンディング機関が参画する会合での貢献
- 米国:NIH(アメリカ国立衛生研究所)、NSF(全米科学財団)
- 英国:MRC(英国医学研究会議)、NIHR(英国国立衛生研究所)
- シンガポール:A*STAR(シンガポール科学技術研究庁)
- 国際コンソーシアム:IRDiRC(国際希少疾患研究コンソーシアム)、GloPID-R(感染症のアウトブレイクに対する国際連携ネットワーク) JPIAMR(薬剤耐性に関するプログラム連携イニシアティブ) GA4GH(ゲノミクスと健康のためのグローバル・アライアンス)

(3)「補助金配分制度の改革」「調整費の効果的運用」「省庁関連事業のシームレスな運用」「研究成果の社会実装」のためのPilot Projectの実施
(例 IRUD(未診断疾患イニシアチブ) x 疾患iPS事業等)

(4) 若手研究者の育成

(「がん」「感染症」「脳とこころ」「再生医療」「難病」などに年1000万円程度で各10～20の若手枠、国研リサーチレジデント制度等)

(5) “心電図予算”の克服のための民間資金(PPP)の活用

(GAPFREE(産学官共同創薬研究プロジェクト)、生物統計家育成事業等)

(6) データとリソースの共有による課題の克服(着手)

(まず「創薬(DISC:産学協働スクリーニングコンソーシアム)」

「未診断疾患イニシアチブ(IRUD)」

「がん(SCRUM-Japan)」から)

(7) AMED全課題を俯瞰し、予算の効果的運用を促進する戦略をデータに基づいて策定するための課題管理データベースの立ち上げ

AMED Management System (AMS):JST(科学技術振興機構)との連携協定に基づき運用

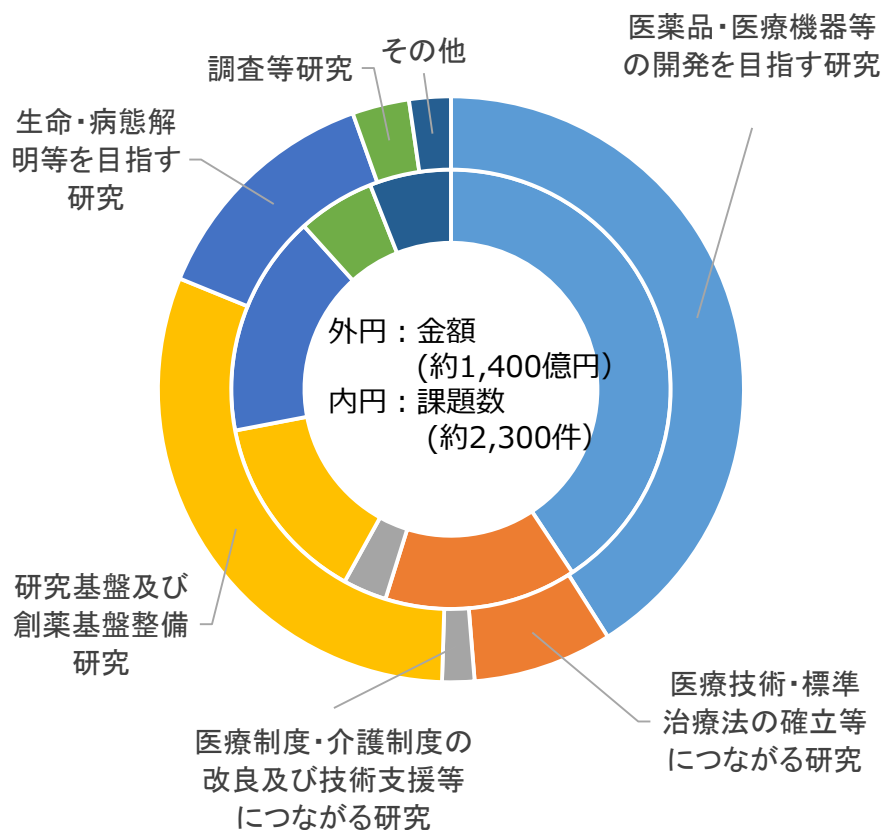
AMEDが支援する研究の概況(研究の性格や対象疾患)

※AMED研究開発マネジメントシステム(AMS)により集計

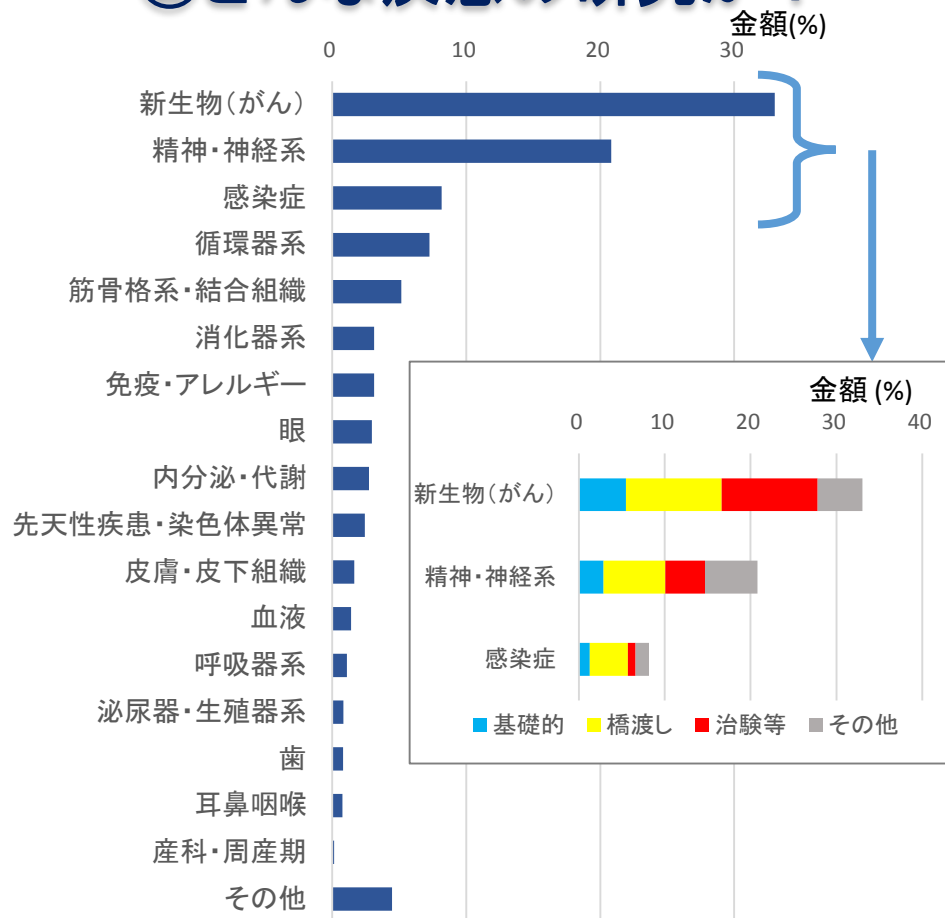
予算一元化に対応した研究開発実施状況を俯瞰

⇒ 研究開発項目や重点課題の検討に活用

①どんな研究の内容か？



②どんな疾患の研究か？



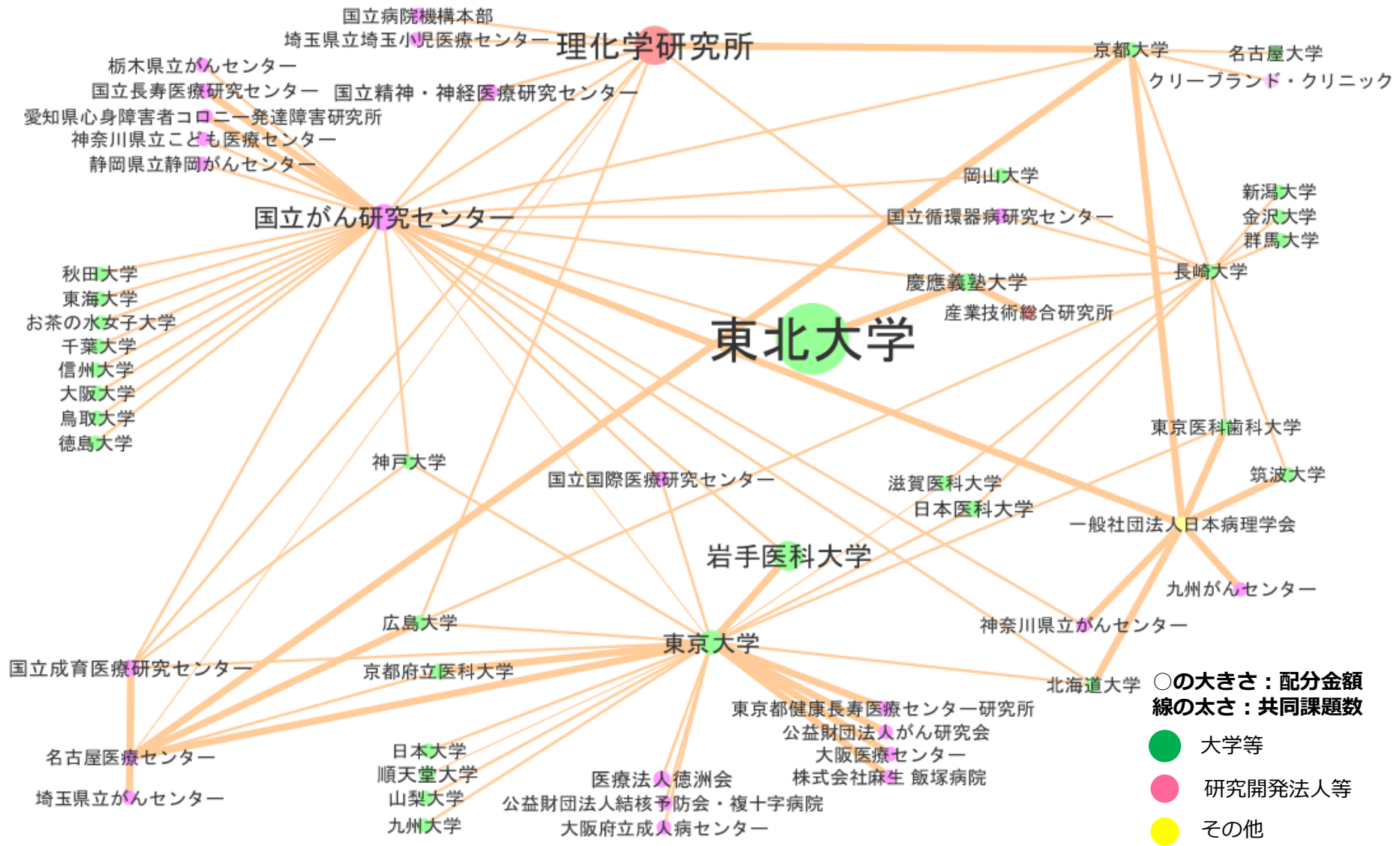
注：平成28年度分(11月までの速報値による)

※左の課題のうち対象疾患が明らかな約2/3について集計

機関間ネットワーク図 (平成28年度疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト)

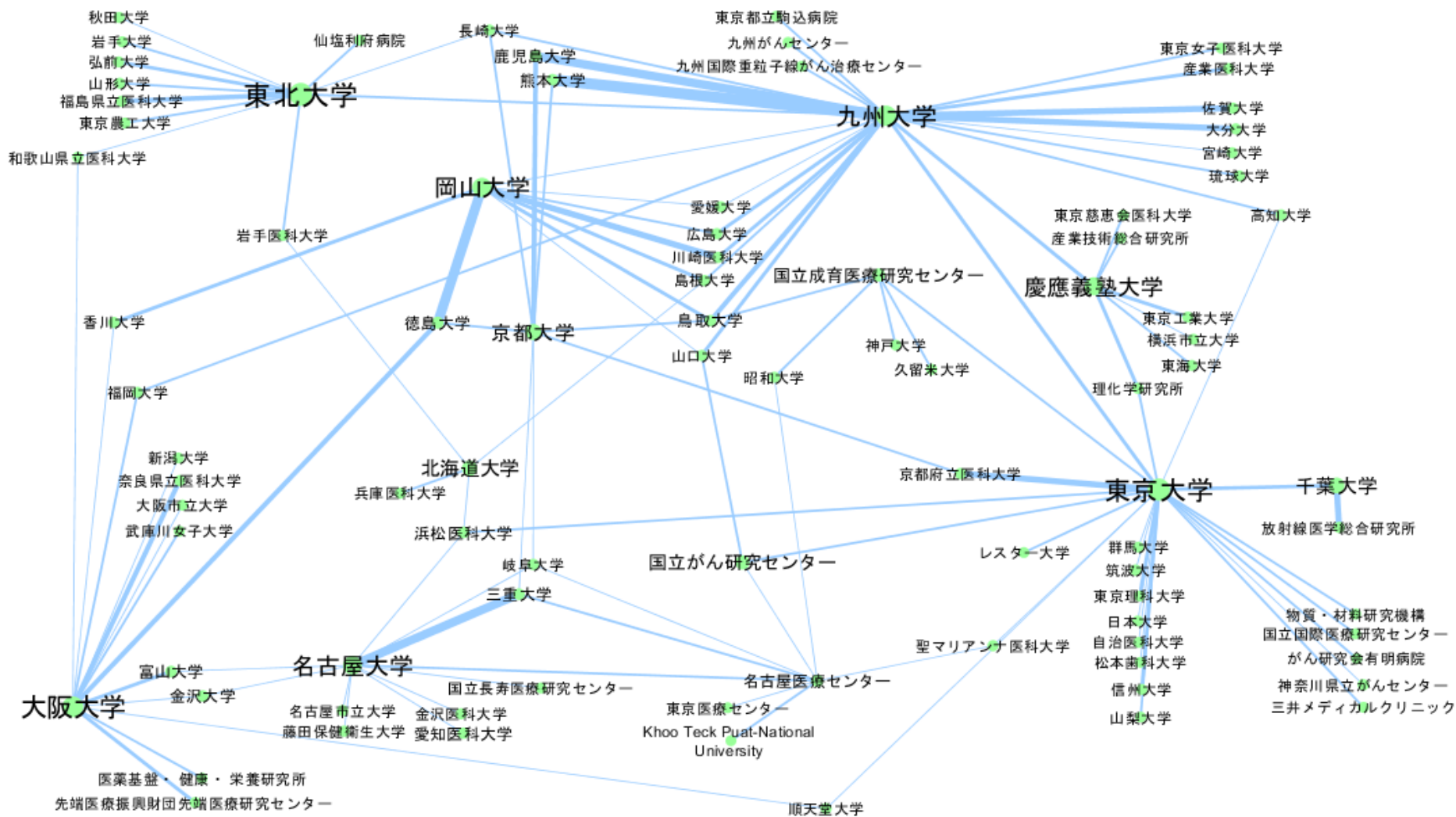
出典元：AMS (契約時の契約項目シート、研究開発者参加者リストより作成)

研究機関間の連携状況を俯瞰 ⇒ 連携の構築や強化の促進に活用



革新的医療技術創出拠点によるシーズ支援ネットワーク図（拠点が拠点外をどう助けたか？）

出典元：拠点プロジェクトにおける「R&Dパイプライン管理システム」（H28.8.1現在）データより作成



○の大きさ：施設支援シーズの総数
線の太さ：支援シーズ数

現場の情報をリアルタイムに入力してもらい、把握する仕組みをAMSと併用することが極めて重要

全研究課に「1課題1000万円」を原則にした若手育成枠を増設 ⇒ 応募数が11.1倍に爆発的に増加

プログラム数

	平成27年度※	平成28年度※
全プログラム数	70事業	80事業
うち若手枠**を設定するプログラム数	7事業	14事業

応募・採択 課題数

	平成27年度※	平成28年度※
全プログラムの応募数	2,741件	3,762件
うち、若手枠**の応募数	44件	490件 (対前年度 11.1倍)
全事業の採択数	515件	796件
(採択率)	(18.8% (515件/2,741件))	(21.2% (796件/3,762件))
うち、若手枠**の採択数	18件	81件 (対前年度 4.5倍)
(採択率)	(40.9% (18件/44件))	(16.5% (81件/490件))

支援課題数(新規採択課題、前年度以前からの継続課題を含む)

	平成27年度※	平成28年度※
総課題数	1,950件	2,246件
うち、若手枠**の課題数	39件	98件 (対前年度 2.5倍)

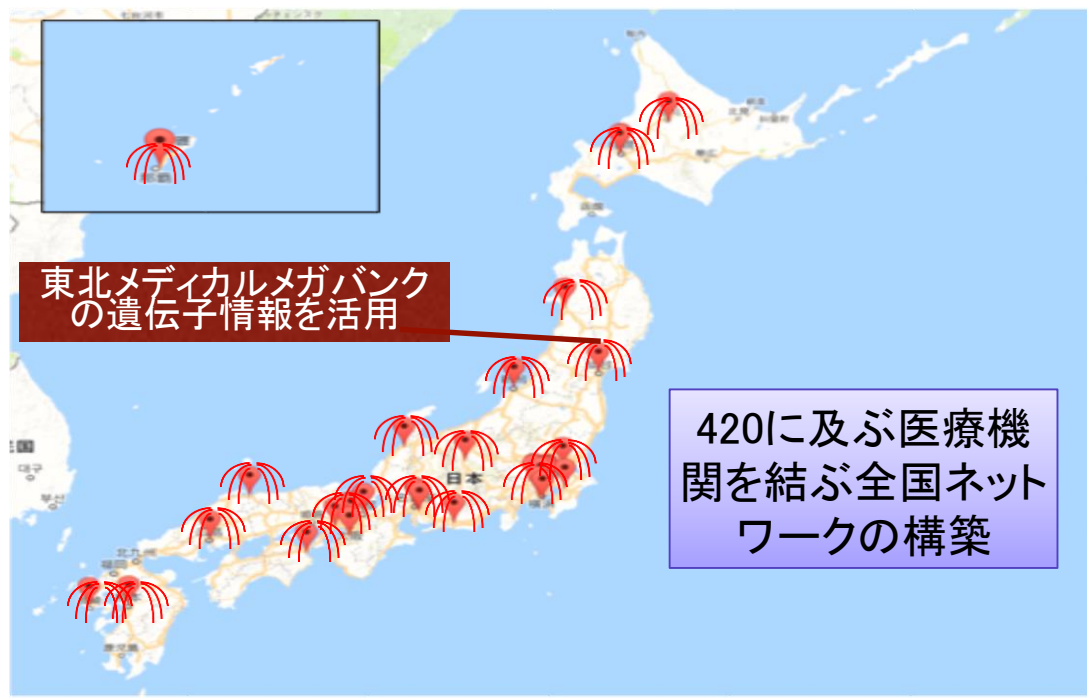
※当該年度予算で公募、契約・交付決定したもの

※若手の定義は、「男性39歳以下、女性45歳以下」、「39歳以下」、「45歳以下」、「39歳以下又は医学部卒業後10年未満」等

未診断疾患イニシアチブIRUD

: Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases (通称: アイラッド)

日本全国の診断がつかずに悩んでいる患者に対し、数少ない難病や、これまで知られていない新しい疾患を診断する取組



長年、病名も判らない患者 (Diagnostic Odyssey)

研究のための遺伝子研究

2,400人以上の未診断患者の登録

- ✓ 遺伝学的解析を含めた臨床検討
- ✓ 約500人の患者の解析結果を半年以内に返却
- ✓ 7例(未公開含め13例)の世界初の疾患

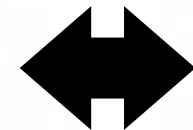
420
拠点・協力病院



データ共有ネットワーク



4
解析センター



集中的な倫理審査

医療現場と研究をつなぎ、症状と遺伝子を結びつけ、データを共有 = 患者のための研究
国際協力も実施 = 日本と米・欧・アジアとが協力して診断

ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト:がん研究の取組

2020年までの達成目標

- 1) 日本発の革新的ながん治療薬の治験への導出数: 目標10種以上 ⇒平成28年度で達成(10種)
- 2) 小児がん、難治性がん、希少がん等に関する未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた治験への導出数: 目標12種以上 ⇒平成28年度で達成(20種)
- 3) 小児がん、希少がん等の治療薬に関して薬事承認・効能追加数: 目標1種以上
- 4) 小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ(開発ラグ)の解消
- 5) 小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン(3件以上)作成

研究開発の成果例

① 膵がん早期診断のバイオマーカーを開発(企業導出)

※開発したバイオマーカーによって早期の膵がんの診断につなげ、膵がんによる死亡率減少に貢献することが期待。

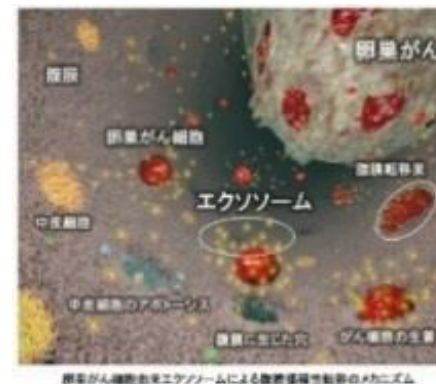
*バイオマーカー: 血液や尿などの体液、あるいはがん組織などに存在する分子で、病気なのか正常なのか、あるいは病気の性質や程度を反映するもの



② 卵巣がんの腹膜播種性転移のメカニズムを世界に先駆け説明(臨床研究中)

※卵巣がん細胞が分泌するエクソソームが関わる転移のメカニズムを説明することにより、バイオマーカーかつ治療標的となることが期待。

*エクソソーム: 生体内で細胞外に放出される直径約30~100ナノメートル程度の超小型の膜小胞



③ 若手研究者の育成・国際交流を促進

※若手がん研究者のワークショップを、事業の枠を超えて開催し、若手同士やベテラン研究者との交流を促進。さらに、ワークショップの受賞チームを海外に派遣し、研究者間の国際交流を促進。

産学官連携による全国規模のがん治療開発のための 遺伝子スクリーニングプログラム: SCRUM-Japan (スクラム-ジャパン)

SCRUM-Japan

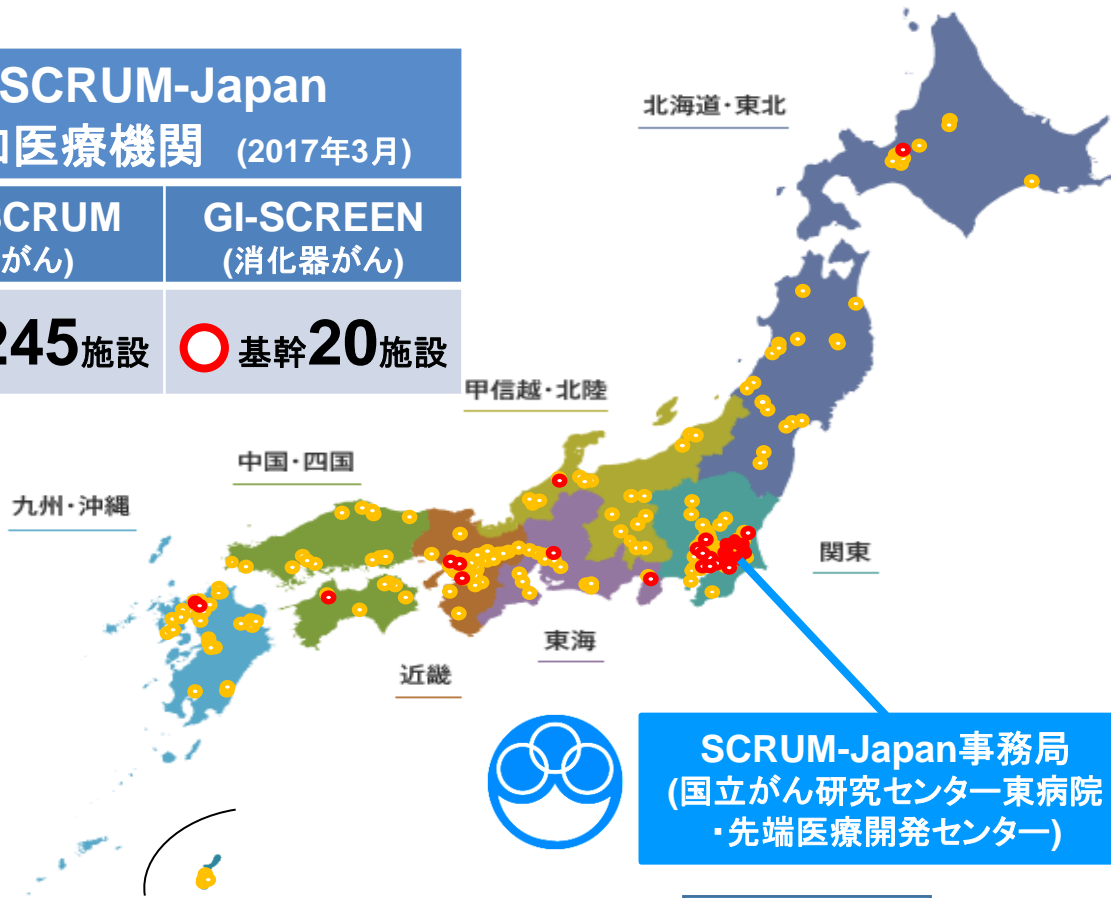
参加医療機関 (2017年3月)

LC-SCRUM
(肺がん)

GI-SCREEN
(消化器がん)

○ 245施設

○ 基幹20施設



疾患別登録数
(SCRUM全体: 2015/02-2017/3末時点)

	登録数
肺がん	2,133
非扁平非小細胞がん	1,887
扁平上皮がん	246
消化器がん	2,672
食道がん	241
胃がん	760
小腸がん	50
大腸がん	1,011
肝細胞がん	52
胆道がん	168
膵臓がん	271
NET	39
GIST	57
その他	23
合計	4,805

新薬開発を目指した世界最大規模のゲノムスクリーニング・コンソーシアムにおいて、ゲノム情報のリアルタイムでの共有等を図り、希少な変異を含めて患者を見つけ出すことで、新薬開発の臨床試験を推進中。

2020年までの達成目標

- 1) 認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立(臨床POC取得1件以上)
- 2) 日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始

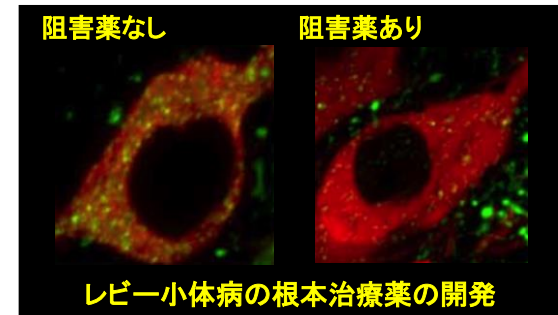
※POC: Proof of Concept

※疾患修飾薬: 疾患の根本(原因)に介入し、その進行を止めたり遅らせたりする治療薬

研究開発の成果例

①レビー小体型認知症の治療薬候補を同定(特許申請)

※レビー小体型認知症の発症原因となるタンパク質凝集体(レビー小体)の形成を抑制する治療薬候補化合物(阻害薬)を創製し、特許申請。



②認知症早期診断のためのバイオマーカー開発を推進(臨床研究中)

※脳内のアミロイドβ蓄積を反映する血液バイオマーカーについて、臨床研究へ移行。



③認知症の予防法や治療法、ケア手法等の研究開発を推進

※認知症の人等(健常者、MCI、軽度・中等度・進行期認知症)の全国的な情報登録・追跡システムを構築(IROOP、オレンジレジストリ)、新たに稼働。

→認知症が発症する前の症状をとらえ、ゲノム解析を行い、医薬品開発のための臨床研究や治験促進を目指す

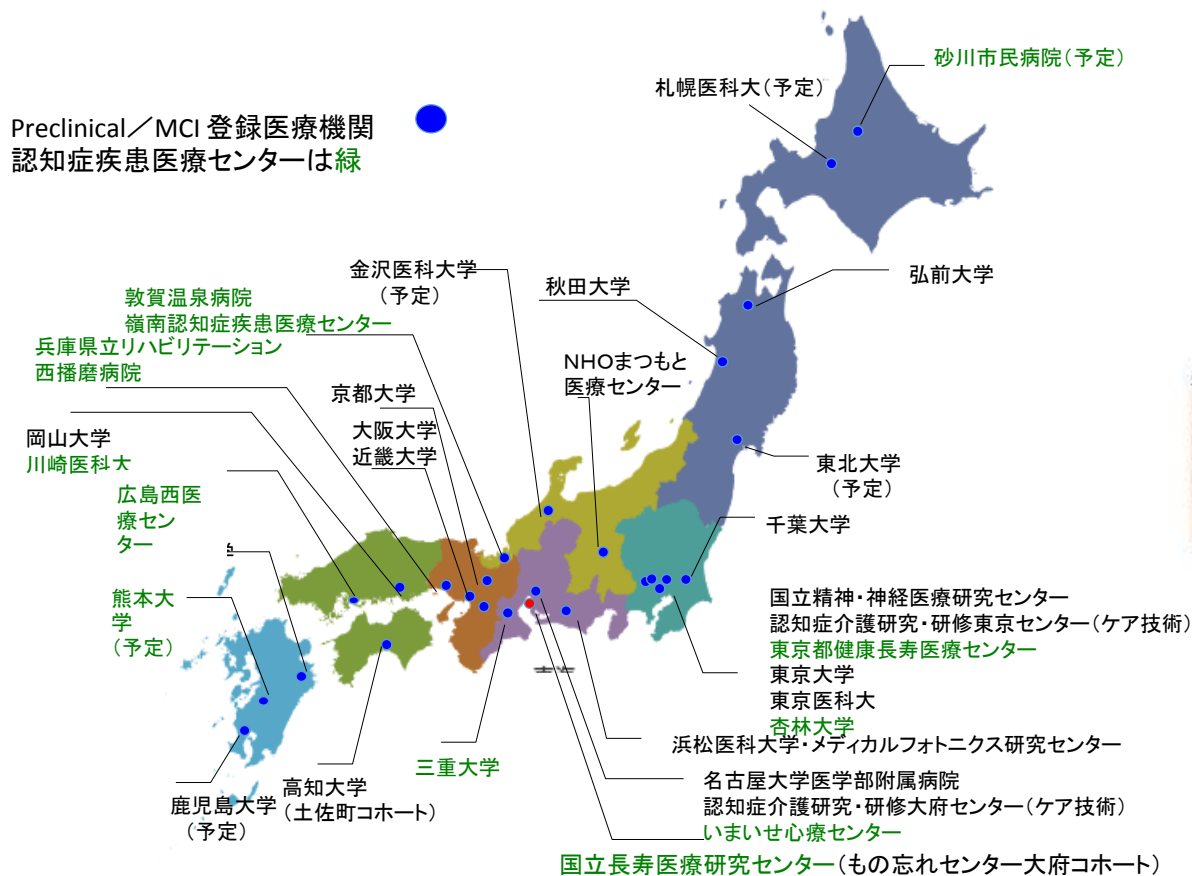
*MCI: 軽度認知障害

認知症の人等^(※)の全国的な情報登録・追跡システムの構築 (オレンジレジストリ)

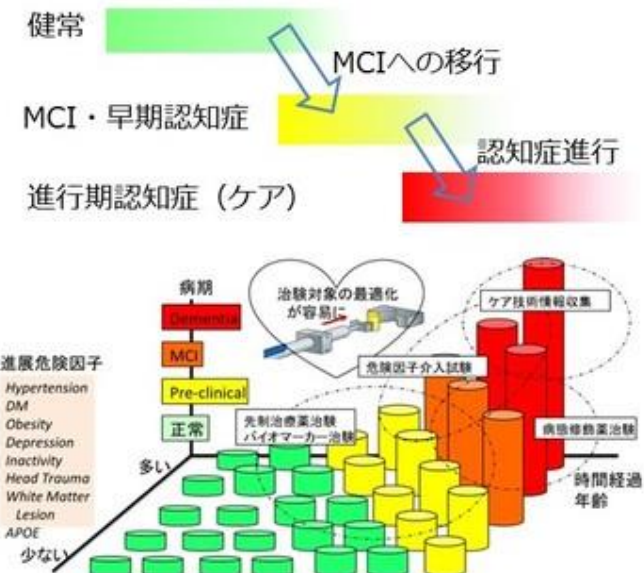
(※) 健常者、MCI、軽度・中等度・進行期認知症

All Japan体制の構築: 全国規模の認知症データの効率的な集積

Preclinical/MCI 登録医療機関
認知症疾患医療センターは緑



各ステージからの縦断登録システム



健常者から、軽度認知障害(MCI)、認知症の方々まで、様々な人の情報を収集・登録。

目標 健常者: H32年度までに6000人
MCI: H32年度までに1500人

レジストリの活用により、治験の促進、ゲノム解析による認知症の原因・病態解析及びバイオマーカー開発や、新たな臨床研究につなげる。

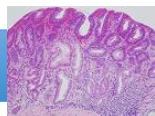


スマート治療室

診療画像等ナショナルデータベースの構築 (ICT技術や人工知能(AI)による利活用を見据えたインフラ整備)

日本病理学会

理事長: 深山 正久
病理専門医数:
2,300名



診療画像等データベース プラットフォームの形成



- ・疾患レジストリとの連携
- ・人材育成
- ・**広域連携・分散統合型のプラットフォーム**

国立情報学研究所 (NII)

- ・AI解析等による
診療支援ソフトや
診断補助システムの
開発

日本消化器内視鏡学会

理事長: 田尻久雄
消化器内視鏡
専門医数: 16,200名



日本医学放射線学会

理事長: 本田 浩
放射線科専門医数:
6,300名



臨床研究中核病院等



- ・効率的な臨床研究・治験への応用

今後の取組のポイント

(1) 省庁連携施策の見直し

(2) 外部有識者による課題評価(Peer review)体制の改革(全課題の
共通評価システム、国際化)

(そのためのAMED全課題のデータベース管理(AMS)とデータに基づく将来設計)

(3) 中央倫理・治験審査委員会(Central IRB)の整備(将来的な
ゲノム医療の社会実装に不可欠)

(4) 産学連携による創薬・医療機器開発推進とreverse TR※の活性化

※リバーストランスレーショナルリサーチ(reverse TR)は、臨床及び臨床研究で得られた知見・情報を基礎研究にフィードバックする研究。

「産in学」のスキームによって臨床現場からニーズを抽出し、創薬・医機器開発を加速すると共に、reverse TRの推進により新たな基礎研究の探索を推進する体制を整備することが肝要。

(5) 医療ICTの整備と並行した「データ共有による研究開発空間」の整備

(6) データシェアリングの水平展開(他事業への応用、評価軸への導入)

(7) メディカルアーツ※の創成

※医療の有効性、安全性及び効率性の観点から医療に変革をもたらすための技術やシステム