

# 医療分野研究開発推進計画 に基づく取組について

## <目次>

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2017(ポイント)(案).....	2
①オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト.....	3
②オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト.....	8
③革新的医療技術創出拠点プロジェクト.....	14
④再生医療実現プロジェクト.....	17
⑤疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト.....	23
⑥ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト.....	30
⑦脳とこころの健康大国実現プロジェクト.....	34
⑧新興・再興感染症制御プロジェクト.....	40
⑨難病克服プロジェクト.....	44
⑩その他.....	47

# 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2017(ポイント)(案)

平成28年度時点における推進計画のフォローアップ

PDCAサイクルの一環として、健康・医療戦略推進専門調査会が平成28年度推進計画実行状況のフォローアップを実施(平成29年4月及び6月)。全体として順調に推移していると評価。

課題解決に向けて求められる取組

平成28年度の主な実行状況・成果

## 基礎研究成果を実用化につなぐ体制の構築

臨床研究等の実施・支援を行う拠点の整備を推進するとともに、日本の臨床研究や医師主導治験の中心的役割を担う臨床研究中核病院をこれまでに11病院承認。

## 世界最先端の医療の実現に向けた取組

再生医療等製品の臨床研究又は治験への移行数が累計で28件。他家iPS細胞由来の網膜色素上皮細胞移植の臨床研究を開始。がん患者等のゲノム情報と臨床情報の関連を検証し、医療現場で活用できる臨床ゲノム情報統合データベースの構築やデータシェアリングを促進。

新たな医療分野の研究開発体制が担うべき役割

## AMEDが果たすべき機能

- プログラムディレクター(PD)等への利益相反マネジメントルールを整備
- 研究開発課題情報のデータベース(AMS)の一部運用開始
- 国際的取組(ワシントンDC、ロンドン、シンガポール事務所設置等)

## 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクト

各省連携プロジェクトを5つの「横断型統合プロジェクト」(医薬品、医療機器、革新的な医療技術創出拠点、再生医療、ゲノム医療)と4つの「疾病領域対応型統合プロジェクト」(がん、精神・神経疾患、感染症、難病)に整理し、連携させて推進

平成29年度以降の主な取組方針

国内における臨床研究環境の更なる向上に向けて、引き続き臨床研究中核病院を支援。臨床で見出した課題を基礎研究に戻すリバーstransレーショナルリサーチにより循環型研究開発を充実。

再生医療に関して、産学官ナショナルコンソーシアムで臨床研究基盤を整備。再生医療技術を用いた医薬品候補の評価基盤(創薬応用)技術開発を開始。ゲノムに関してデータシェアリングを促進する。

- 研究開発体制における質の向上、透明性・公正性の確保の推進
- 既存データベースとの連携等データベース(AMS)の充実化
- 海外のファンディング機関等との連携強化等

# ①オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト

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。

## I 平成28年度の主な実行状況・成果

- ・ 「創薬支援ネットワーク」、「GAPFREE2」、「次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発」などのアカデミア等の優れた基礎研究の成果を確実に医薬品の実用化につなげるための切れ目のない支援を実施できる体制整備に加え、次世代創薬シーズライブラリ（PPI阻害ライブラリ）の構築、日本初の共用最新型クライオ電子顕微鏡施設を本格稼働するなど、支援基盤の充実も行った。こうした取組の結果、主要がんのマイクロRNA診断マーカー等の選定、抗体医薬品製造のマザー工場での実証実験開始、これまでに15件（平成28年度11件）の企業導出をするなどの成果を創出した。

## II 平成29年度以降の主な取組方針

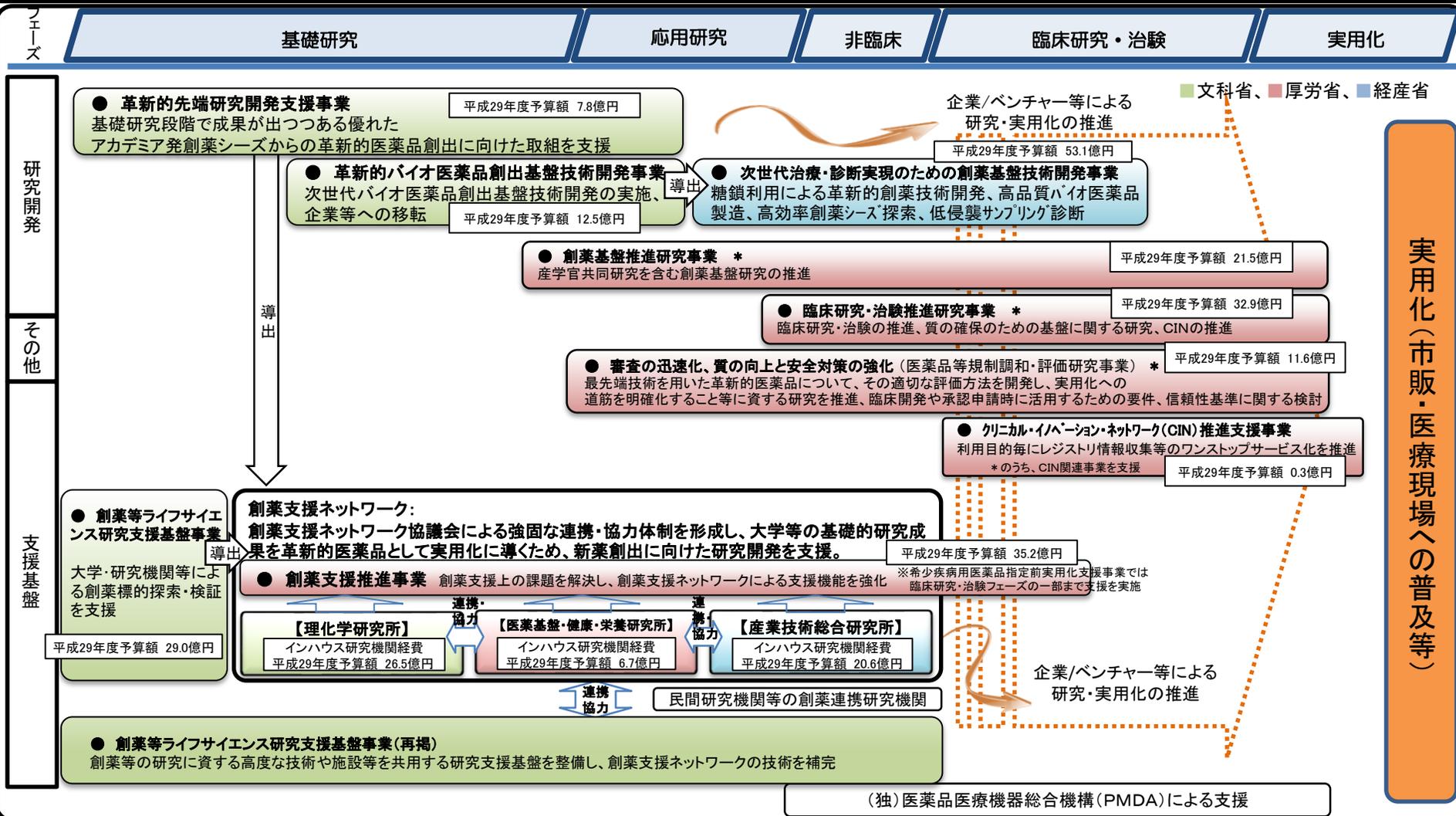
- ・ 「創薬支援ネットワーク」の更なる機能充実、「創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業」における支援体制強化、「クリニカル・イノベーション・ネットワーク推進支援事業」等における患者レジストリ情報の収集・情報提供等のワンストップ・サービス拠点の整備やレギュラトリーサイエンスに基づいた医薬品等の患者レジストリの構築などにより、KPIの達成に向けた取組を着実に推進し、アカデミア等の優れた成果の実用化の更なる加速を図る。

# オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
平成29年度予算額 204億円

インハウス研究機関経費  
平成29年度予算額 54億円

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。



## 【2020年までの達成目標】

- 相談・シーズ評価 1500件
- 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
- 創薬ターゲットの同定 10件

# 1. 平成28年度の主な実行状況・成果

## 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業

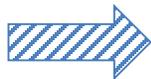
### 主要がんのマイクロRNA診断マーカー等を選定

#### 研究概要

蓄積された膨大な臨床情報とバイオバンクの検体を活用して、血液中マイクロRNA発現データベースを構築し、網羅的に解析する。これにより、乳がんや大腸がんなど13種類のがんや認知症の早期発見マーカーを見出し、低侵襲で高感度なマルチマーカーによる診断システム技術として世界に先駆け実用化することを目指す。

#### 研究成果

がん、認知症等の37000検体以上の血清を網羅的に解析し、主要がんをほぼ網羅する11のがんについて診断マーカーと解析アルゴリズムを選定した。これらの臨床有用性を検証するため、PMDAの助言を受けながら、前向き臨床研究の基盤整備とサンプル収集を行っている。また、実用化を確実にするため、これまで32件の特許出願を行った。



マーカーセット	症例数	感度(%)	特異度(%)	AUC
乳がん	1206	97	83	0.97
大腸がん	564	80	95	0.91
肝臓がん	205	99	95	1.00
胃がん	650	100	99	1.00
食道がん	259	99	98	1.00
神経膠腫	51	98	94	n.d.
膵臓がん	463	99	94	0.99
胆道がん	206	98	99	1.00
卵巣がん	434	97	100	1.00
肺がん	1868	100	100	1.00
骨軟部腫瘍	120	93	81	0.95

平成28年度は、新たに6の主要がんの高い性能の診断マーカーセット・解析アルゴリズムを見いだした。

今後薬事申請をにらんで、臨床有用性を確認するため、前向き臨床研究を実施する。

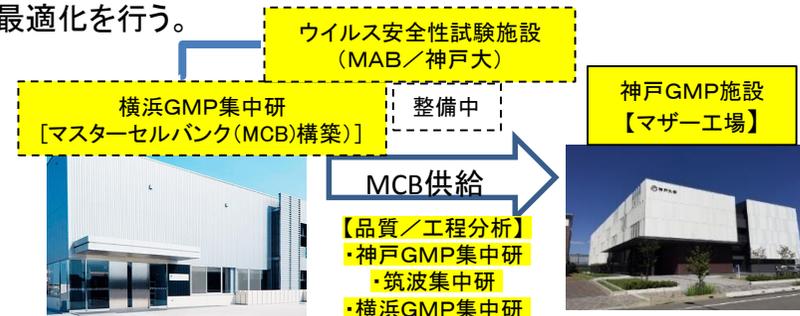
### 抗体医薬品製造のマザー工場での実証試験開始

#### 研究概要

国内のバイオ医薬品製造技術を開発している25企業、2大学、3機関が参加の「次世代バイオ医薬品製造技術組合(MAB)」と他大学法人が連携し、抗体製造に係わる以下のような各種製造基盤技術を開発する:①オリジナルなCHO細胞を用いたマスターセルバンク、②ハイスループットな細胞構築システム(装置)、③培養槽シミュレーション技術を利用した培養槽、④高性能な分離材、⑤糖鎖解析および凝集体解析技術、⑥ウイルスクリアランス試験、⑦開発した技術評価体系の整備

#### 研究成果

プラットフォーム基盤としてのGMP準拠のバイオ医薬品(抗体)のマザー工場が本格稼働し、抗体医薬品候補を用いた実証試験を行った結果、個別条件設定に成功した。今後事例を増やし最適化を行う。



GMP準拠の抗体医薬の製造施設を活用し、抗体医薬品候補を用いた実証生産を継続して実施し、製造検討及び品質管理技術のプラットフォーム化を進める。並行して開発中の生産設備・技術の実証を目的としたテストランを行う。

## 2. 平成28年度の主な実行状況・成果

### 創薬基盤推進研究事業

#### 産官学共同rTRプロジェクト（GAPFREE2）

##### 概要

●平成27年度にGAPFREEにて、有望なテーマが採択され、産官学の研究が開始された。

●さらに、産業界からの要望があり、平成28年度からは、既存薬をツール化合物として、これを用いた臨床研究から創薬研究を開始し、臨床研究データを創薬基礎・応用研究にフィードバックすることにより、臨床予測性を飛躍的に向上させ、革新的医薬品の開発につなげる産官学共同rTRプロジェクト(GAPFREE2)を立ち上げた。

##### GAPFREE2採択課題

##### 個別疾患研究

イマチニブをツールとした自己免疫性水疱症における創薬基盤開発研究

【研究開発代表者】  
京都大学  
梶島 健治

アカデミア



参画企業



田辺三菱製薬

抗PD-1抗体治療患者における個別免疫担当細胞レベルにおける免疫応答の解析研究

【研究開発代表者】  
国立がん研究センター  
土井 俊彦

アカデミア



参画企業



ホシトロンCTで脳内炎症が確認された患者に対するマイクロリア活性化抑制薬の有効性検証

【研究開発代表者】  
理化学研究所  
渡邊 恭良

アカデミア



参画企業



##### 調査研究

産官学共同創薬プロジェクトの在り方に関する調査研究  
【研究開発代表者】 東京大学 小野俊介



#### 次世代PPI阻害ライブラリ

##### 概要

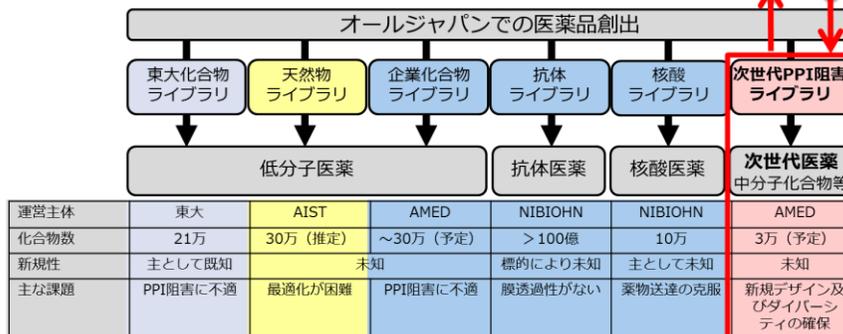
●従来の低分子・天然物・抗体医薬の抱える課題を解決できる次世代PPI阻害ライブラリーの構築を目指す。

●平成28年度は、「次世代創薬シーズライブラリー構築プロジェクト」において、スクリーニングの実施体制を構築する上で必須となる3,000化合物×2件を予定通り合成し、創薬支援NWが活用できる仕組みを構築した。

「オールジャパンでの医薬品創出」分野のミッション

大学等で生み出された優れた成果を実用化に結びつけるための創薬基盤の整備

次世代医薬	従来の低分子・天然物・抗体医薬の抱える課題を解決できる次世代PPI阻害ライブラリーを構築	活用	支援
ベンチャー	次世代PPI阻害ライブラリーの構築に当たっては、ベンチャー企業の有するノウハウ・創薬技術を活用	創薬支援NW	医薬品研究課
連携施策	ファンディング機能を有する医薬品研究課が次世代PPI阻害ライブラリー構築プロジェクトを公募採択し、構築したライブラリーを創薬支援NWが活用		



従来の低分子・天然物・抗体医薬等が抱えていた課題を解決

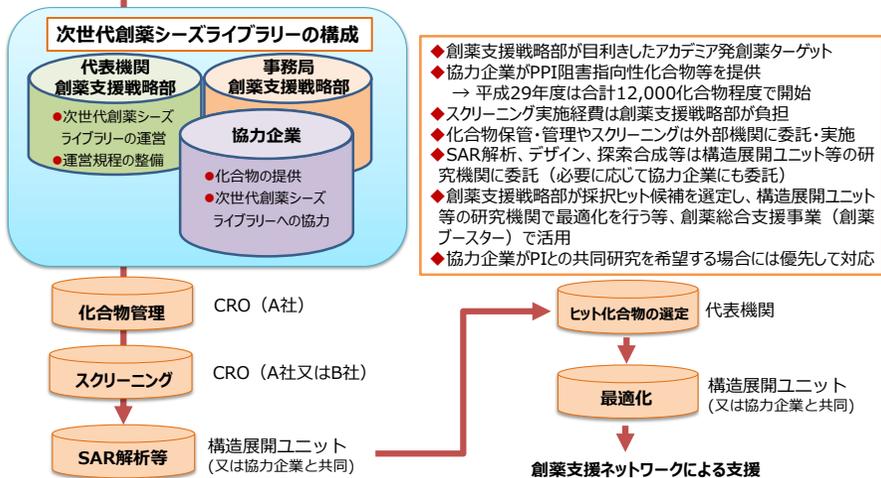
### 3. 平成29年度以降の主な取組方針

#### 創薬支援ネットワーク

##### 概要

●革新的医薬品の創出に向けて、タンパク質間相互作用を阻害する作用が期待される化合物群を用いて医薬品候補となる化合物探索に関する取組を開始し、成果の最大化を図る(次世代創薬シーズライブラリー構築プロジェクト)。

##### 創薬支援ネットワークによるアカデミア発創薬シーズの支援



#### 臨床・イノベーション・ネットワーク推進支援事業 臨床研究・治験推進研究事業

●疾患登録システム(患者レジストリ)を活用した医薬品等の研究開発を促進する臨床・イノベーション・ネットワーク(CIN)構想の加速を図る。

#### 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業

##### 概要

●事業全体を俯瞰するマネジメント機能を強化し、本事業内におけるユニット間連携や創薬支援ネットワークとの連携等を促進することにより、事業成果の最大化を図る。

●昨年度、日本初の共用最新型クライオ電子顕微鏡施設を本格始動させた。今後、多数の研究者がクライオ電子顕微鏡を有効かつ効率的に利用できるよう、共用ネットワークの構築と強化を行う。さらに、放射光解析や分子動力学計算等と組み合わせた最先端構造解析を可能とする創薬研究支援基盤を構築する。

##### 創薬支援ネットワークやAMED事業、製薬企業やベンチャー等との連携協力



幅広いライフサイエンス研究者による基礎研究

## ②オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

我が国発の優れた医療機器について、医療ニーズを確実に踏まえて、日本の強みとなるものづくり技術もいかながら、開発・実用化を推進し、研究開発から実用化につなげる体制整備を進める。

### I 平成28年度の主な実行状況・成果

- ・「医療機器開発支援ネットワーク事業」を通じ、相談約1200件、伴走コンサル約400件を実施。また、当該事業の機能を強化すべく、医療現場ニーズの収集や公開（40件）、製品評価サービスの試行運用を実施。
- ・「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」においてスマート治療室、軟性内視鏡手術システム等を開発。また「医療分野研究成果展開事業」において平成25年度から27年度に実施した開発成果をもとに新たな早期大腸癌診断法を開発。
- ・「国産医療機器創出促進基盤整備等事業」を11の医療機関において実施し、ニーズ抽出、薬事・知財・事業戦略などの講義を約810件実施。医療機関及び企業との連携数はのべ800件。

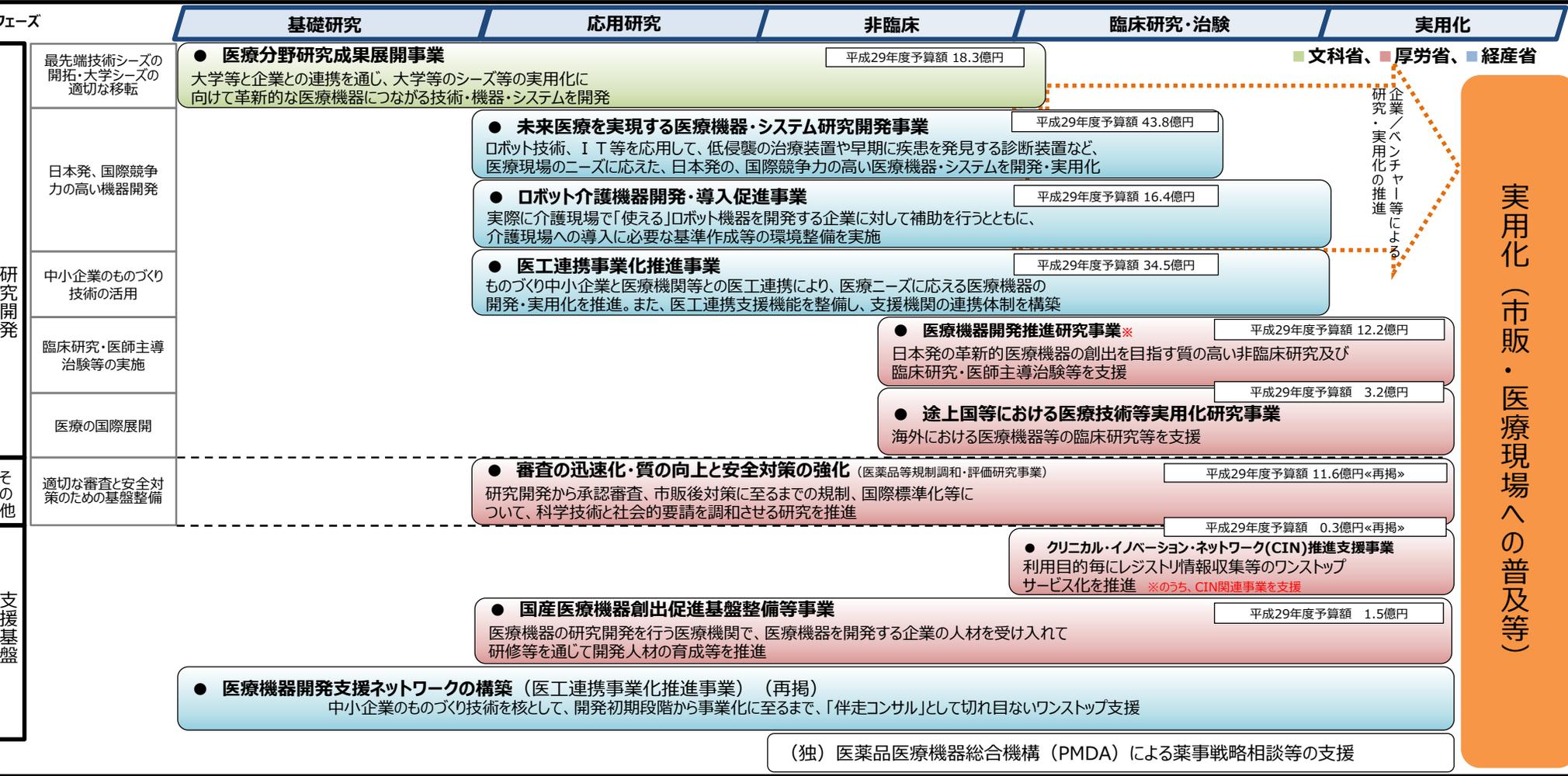
### II 平成29年度以降の主な取組方針

- ・製品評価サービスの本格運用や伴走コンサルの地方開催の強化等を通じた「医療機器開発支援ネットワーク事業」の強化により、異業種を含む各メーカー、医療従事者、販売事業者、金融機関、専門機関等の連携によるオープンイノベーションを促進。
- ・ICT技術を活用した臨床価値に基づく医療技術等の見える化の促進をはじめ、基礎的な研究開発やその成果の活用を強化。また、効率的な臨床開発を進めるため、疾患登録システム等の環境整備を推進。
- ・出口戦略を見据えたコーディネータやリーダー、開発の人材育成と併せて、育成した人材を開発支援策同士の有機的な連携に活用。

# オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
平成29年度予算額 142億円（一部再掲）

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（産総研、医療機器センター等）・地域支援機関・医療機関・学会等の連携による開発支援体制（医療機器開発支援ネットワーク）を強化し、我が国の高い技術力を生かし、医療機器の開発・事業化を加速。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。



実用化（市販・医療現場への普及等）

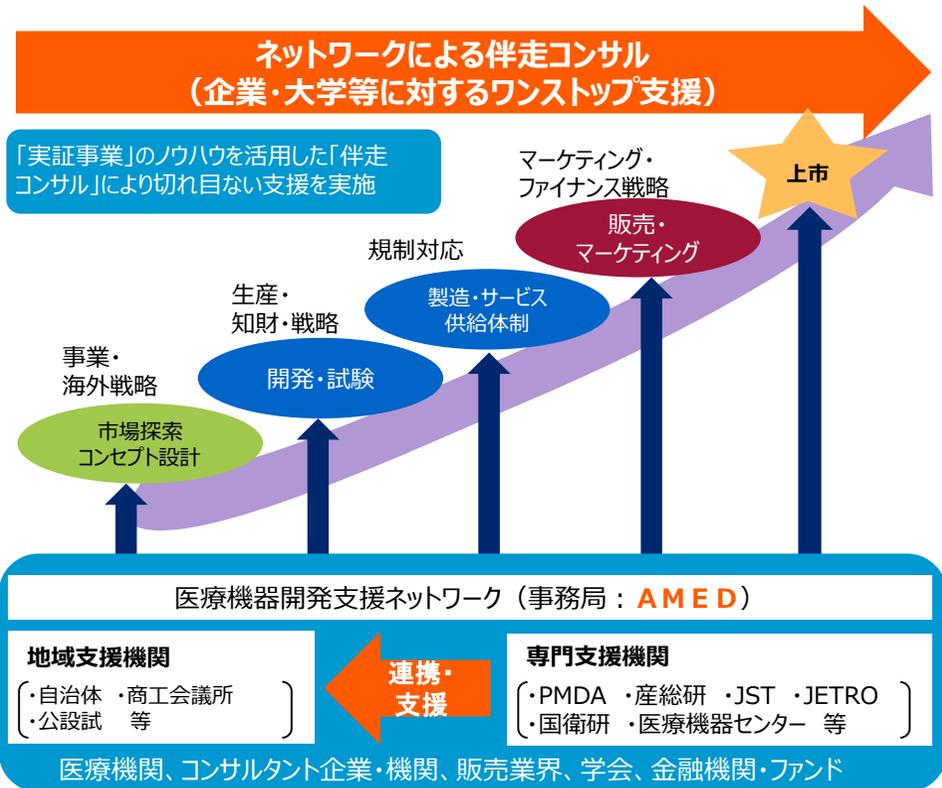
## 【2020年までの達成目標】

- 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

# オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト <参考1>

## 「医療機器開発支援ネットワーク」における28年度の成果

- 相談件数は約1200件と大きな反響。うち、伴走コンサル件数(予定含)は約400件。  
(異業種(化学・素材・光学・電機電子・自動車部品・製薬)から相談。約2割は大企業。)
- 地域支援機関と連携し、伴走コンサルの地方開催(秋田、仙台、群馬、つくば、京都、三重、鳥取等)も実施。
- 医療現場のニーズを収集し、企業へ橋渡しを行う医療機器アイデアボックスのリニューアル。(40件公開)
- 医療従事者の声を製品開発へ反映させる製品評価サービスの試行運用開始。  
(協力3病院による試行運用を基に、運用体制の構築及び利用マニュアル案を作成。)
- 医療機器開発をサポートする伴走コンサル人材育成セミナーの実施。(合計4回:62名受講)



### 主な地域支援機関

#### 【北海道・東北地区】

- 北海道立総合研究機構 ○青森県
- いわて産業振興センター ○秋田県
- インテリジェント・コスモス研究機構
- 山形県産業技術振興機構
- ふくしま医療機器産業推進機構

#### 【近畿地区】

- ふくい産業支援センター
- 滋賀県産業支援プラザ
- 京都産業21 ○大阪商工会議所
- 先端医療振興財団
- 奈良県地域産業振興センター
- わかやま産業振興財団

#### 【中国地区】

- 鳥取県産業振興機構
- しまね産業振興財団
- 岡山県産業振興財団
- ひろしま産業振興機構
- 山口県産業技術センター



革新的な医療機器開発・評価指標及び開発ガイドライン策定に関する28年度の成果

## <スマート治療室の開発>

- 治療室内の主要な医療機器（電気メス、MRI、手術台等）を一元的に管理することで、医師の手術中の意思決定を支援。治療の安全性と効果を向上させる。

（平成26～30年度）

- 28年度は、広島大学に基本仕様モデル機を設置し、臨床現場での実証を行った。



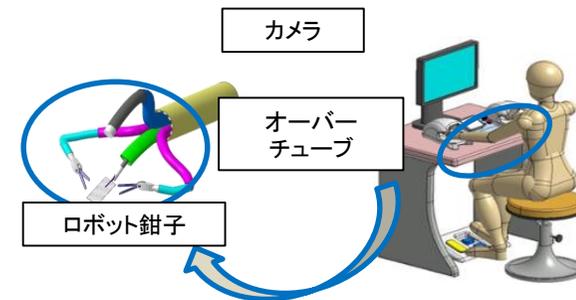
## <軟性内視鏡手術システムの開発>

- 患部を俯瞰しながら直感的に操作可能な内視鏡システムを開発。

同システムの特徴として、①撮像部と処置具とを独立して操作、②近赤外線と可視光とを同時撮像可能等。

（平成26～30年度）

- 28年度は、動物実験を通じてロボット鉗子の性能向上を進めるとともに、カメラ部分のプロトタイプ作成および動作確認を完了した。



## <評価指標及び開発ガイドラインの策定>

### <医療機器開発ガイドライン(手引き)>

開発の際に考慮すべき工学的評価基準等を作成。

- 28年度の成果として、3本のガイドライン(手引き)及び3種類の機器を対象とした評価指標を策定。（評価指標）

- ①細胞加工に特化した工程資材の要求事項に関するガイドライン
- ②再生医療等製品の製造所における顕微鏡の設置と維持管理に関するガイドライン
- ③ 三次元積層造形技術を用いた歯科補綴装置の開発ガイドライン



### <次世代医療機器評価指標>

審査時に用いる評価指標をレギュラトリーサイエンスに基づいて作成。

- ①ヒト軟骨細胞又は体性幹細胞加工製品を用いた関節軟骨再生
- ②iPS(様)細胞加工製品を用いた関節軟骨再生
- ③生体吸収性血管ステント

# オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト <参考3>

「国産医療機器創出促進基盤整備等事業」における28年度の成果

## 【事業内容】



企業の人材



研修への参加等による  
医療機器開発人材の育成



医療機関



医療ニーズを満たした  
国産医療機器の開発

医療機器産業の  
**ボトムアップ**

## ○医療機関における企業の開発人材を育成

- ◆ 医療機器開発者等の研修：医療現場において、医療機器開発の企業人材育成を行う。
- ◆ 臨床現場との行き来：企業人と臨床医との対話・ディスカッション等を通じ、医療ニーズの発見と機器開発へ導く機会を与える。
- ◆ 医療ニーズの集約：医師の観点からのニーズを整理するための会議等を開催
- ◆ 医療機器開発・交流セミナー：シンポジウムを開催し、医療機関内の取組について発表・討議し、企業の開発関係者との交流を促進。

## 11の医療機関にて実施



## 【28年度の実績】

- ・講習数(延べ)： **約810講義**
- ・参加人数(延べ)： **約2,500人**
- ・臨床現場等見学者数(延べ)： **約2,400人**
- ・医療機関及び企業との連携数(延べ)： **約800件**

## 【28年度の内容】



### 【研修内容】

「ニーズ抽出・選定」、「薬事戦略」、「知財戦略」、「事業戦略」、「保険償還」等

講師として、医療機器開発経験者、審査経験者、弁理士、大学教授 等



### 【臨床現場との交流事例】

- さまざまな診療科の臨床現場(手術等)の見学
- 臨床現場見学後に医療従事者とディスカッション 等

### 【シンポジウム等の開催】

- シンポジウム、セミナー等の開催 等



### 【医療ニーズを見出す方法】

- 最新のファシリテーション理論を活用したワークショップ
- ニーズを整理するための関係者によるブレインストーミング
- 交流セミナー・シンポジウム開催による医療ニーズの探索・収集・マッチング 等

## 「医療分野研究成果展開事業」における28年度の成果例

開発課題名：「全自動超早期大腸がんスクリーニング診断システムの実用化」(H25~27)  
(島津製作所、神戸大学医学研究科消化器内科、国立がん研究センター)

### 1) 開発の背景 (医療ニーズ)

大腸がんは、男性では3番目、女性では1番目に多い死因となっているが、早期治療が有効で、ほぼ100%寛解することが知られている。

広く普及している便潜血を用いた大腸がん検診は特異度が低く、偽陽性が多いため、より正確で、非侵襲的な早期大腸がん検査法の開発が必要である。



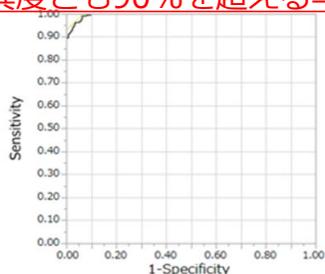
早期大腸がん → ほぼ100%寛解

現在の日本人全体の検診受診率  
⇒ 約18-20%

### 2) 成果の概要

神戸大 吉田准教授らが構築した臨床メタボロミクス解析手法を、島津製作所の独自技術である高速スキャン制御技術(ASPP)と多成分を含む試料(血漿など)の中から分析したい対象を効率的に分析する技術(Smart MRM)を組み合わせ、血漿中に含まれる複数の代謝物を従来法よりも高精度に自動で定量できる全自動超早期大腸がんスクリーニング診断システムを開発した。

この手法で国立がん研究センター保有の臨床情報の明らかな600以上の検体を分析し、8種類の代謝物データに基づいてステージ0~IIでも感度、特異度とも90%を超える早期大腸がん診断法を開発した。



Model	Coefficient	S.E.	p-value	VIF
(Intercept)	-8.99	2.32	<0.0001	
X1: Pyruvic acid-meto-TMS	19.38	2.76	<0.0001	1.63
X2: Glycolic acid-2TMS	82.33	13.20	<0.0001	1.37
X3: Tryptophan-3TM(/SI)	-6.86	1.80	<0.0001	1.69
X4: Palmitoleic acid-TMS	-67.48	18.79	<0.0001	1.30
X5: Fumaric acid-2TMS(/SI)	296.32	63.38	<0.0001	1.52
X6: Ornithine-4TMS(/SI)	9.69	2.12	<0.0001	1.67
X7: Lysine-4TMS	-5.76	1.63	<0.0001	1.79
X8: 3-hydroxyisovaleric acid-2TMS	-24.99	5.65	0.0030	1.16

		ステージ0/ I / II
感度 <sup>1)</sup> (%)	診断式	99.3
	CEA <sup>3)</sup>	18.1
	CA19-9 <sup>4)</sup>	9.3
特異度 <sup>2)</sup> (%)	診断式	93.8
	CEA	96.0
	CA19-9	95.6

- 1) 「病気に罹っている人」が検査で「異常あり」と判定される割合。
- 2) 「病気に罹っていない人」が検査で「異常なし」と判定される割合。
- 3) 消化器系がんの腫瘍マーカー「がん胎児性抗原」
- 4) 「シリアルルイスA糖類」

### 本技術の分析フロー

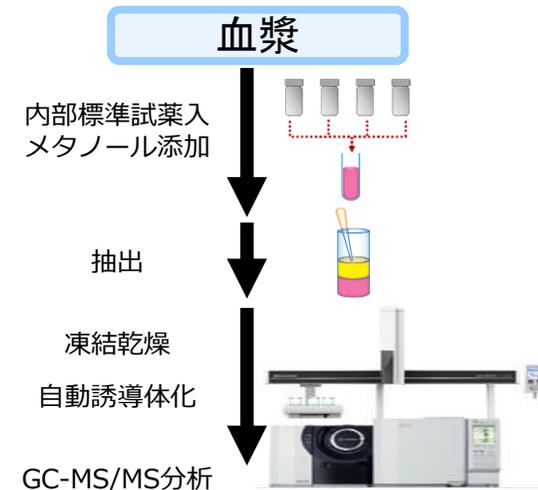


Figure 1. The ROC curve and data for the prediction model

# ③革新的医療技術創出拠点プロジェクト

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

## I 平成28年度の主な実行状況・成果

- 革新的医療技術創出拠点において、文部科学省事業である橋渡し研究支援拠点と、厚生労働省事業である臨床研究中核病院等の一体的整備を推進するとともに、シーズの開発、質の高い臨床研究や治験を推進した。
- この際、全体会議（平成28年6月）、拠点調査（平成28年9月～12月）及び成果報告会（平成29年3月）を各省共同で実施した。また、プロジェクト連携シンポジウム（平成28年9月～平成29年1月）を計4回実施し、革新的医療技術創出拠点と他の連携プロジェクトとの連携を推進した。
- 上記の取組を行った結果、以下の成果が得られた。
  - ①7がミ7発医療技術である、DARTS人工手関節が実用化（平成28年10月薬事承認取得）
  - ②革新的医療技術創出拠点における医師主導治験を23件開始
  - ③革新的医療技術創出拠点におけるFIH試験を24件開始 等

## II 平成29年度以降の主な取組方針

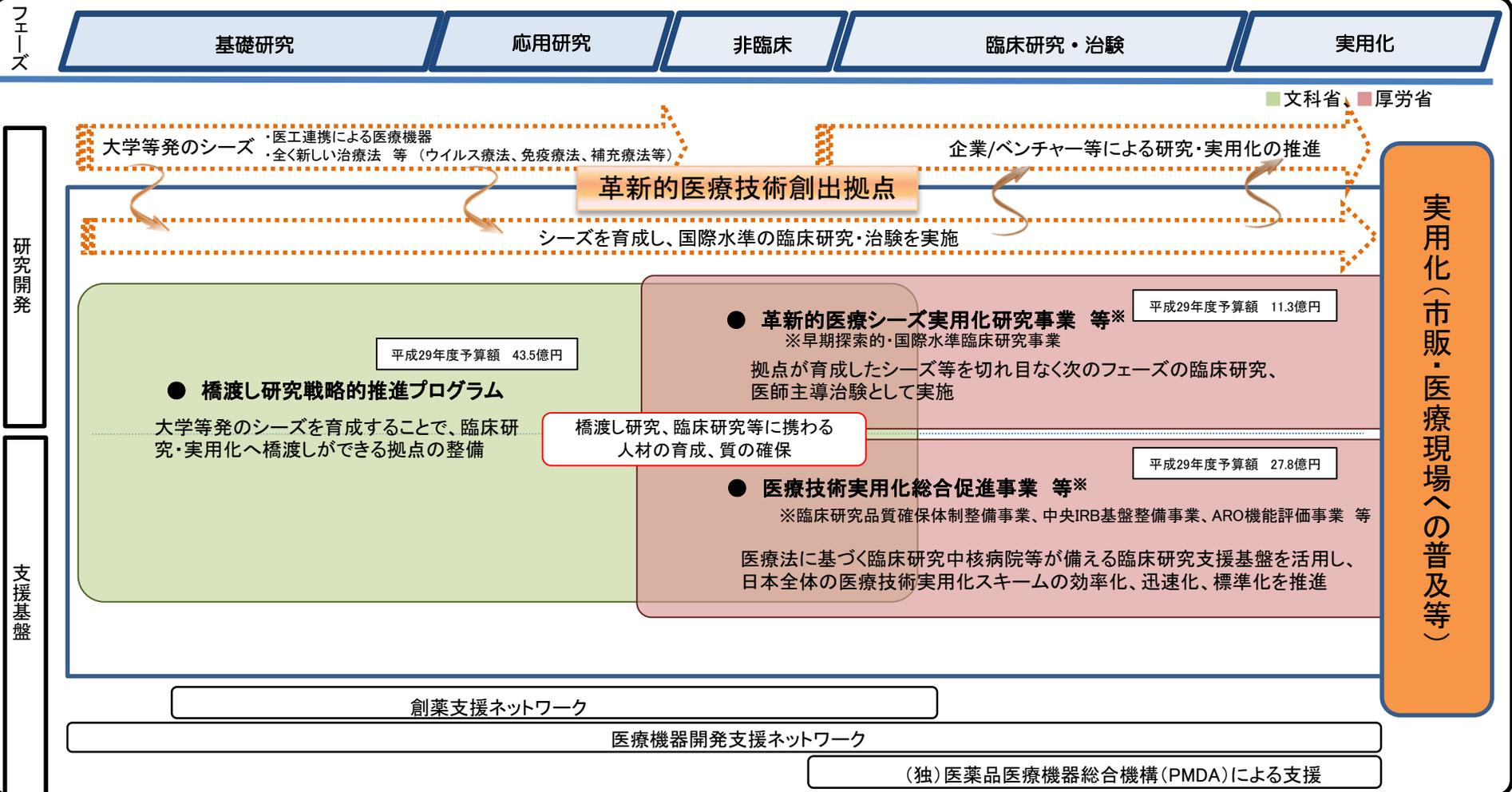
- 革新的な医療技術の実用化の推進に向けて、医師主導治験、FIHの更なる実施件数の増加が課題であり、拠点調査においても、各拠点の支援シーズの登録後の進捗把握・助言等の管理を強化するとともに、拠点以外の機関への支援機能の強化等、拠点機能の強化に向けた一体的整備を更に推進する。
- 引き続き、臨床研究中核病院の承認申請があった際には、医療法の規程に基づき承認審査を行い、革新的医療技術の開発を推進すると共に、国内における臨床研究環境の更なる向上を目指す。
- 中央治験・倫理審査委員会の活用を推進するため、平成28年度よりモデル事業を開始。当該事業の成果も活用しつつ、今後は、更なる基盤整備を行うことで、審査の質的均一化や効率化、スピードの向上を目指す。

# 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29年度予算額 83億円

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



## 【2020年までの達成目標】

○医師主導治験届出数

年間40件

○First In Human (FIH) 試験(企業治験を含む。)

年間40件

## 1. 革新的医療技術創出拠点における研究成果

<アカデミア発医療技術実用化(薬事承認)の例>

人工手関節が薬事承認を取得(DARTS人工手関節、2016年10月)。国内初、臨床で使用可能な全人工手関節として実用化された。手関節を完全に固定せず、手関節を滑らかに動かすことを可能とした。関節リウマチ等を原疾患とし、機能不全に陥った手関節と置換することにより、手関節の代替として機能する。



## 2. 革新的医療技術創出拠点の整備等

これまでに承認されていた8病院に加え、平成28年度は、新たに、千葉大学医学部附属病院、京都大学医学部附属病院、岡山大学病院の3病院が医療法に基づく臨床研究中核病院として承認された。(平成29年3月)

○平成29年3月末時点で、下記の11病院が臨床研究中核病院として承認されている。

国立がん研究センター中央病院	京都大学医学部附属病院
国立がん研究センター東病院	大阪大学医学部附属病院
東北大学病院	岡山大学病院
千葉大学医学部附属病院	九州大学病院
東京大学医学部附属病院	慶應義塾大学病院
名古屋大学医学部附属病院	

## ④再生医療実現プロジェクト

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。

### I 平成28年度の主な実行状況・成果

- 再生医療等製品の原料等となる細胞等について製造工程に関する評価手法等に関する研究、及び特定細胞加工物及び再生医療等製品の品質確保に関する研究を推進した。
- 再生医療等製品の臨床研究又は治験へと新たに7課題が移行した。特に、加齢黄斑変性患者を対象に、他家iPS細胞から作製した網膜色素上皮細胞を移植する臨床研究を開始した。
- 学会を中心としたナショナルコンソーシアムを構築し、再生医療臨床研究に係る技術支援や人材育成、臨床研究データベースの整備を開始した。



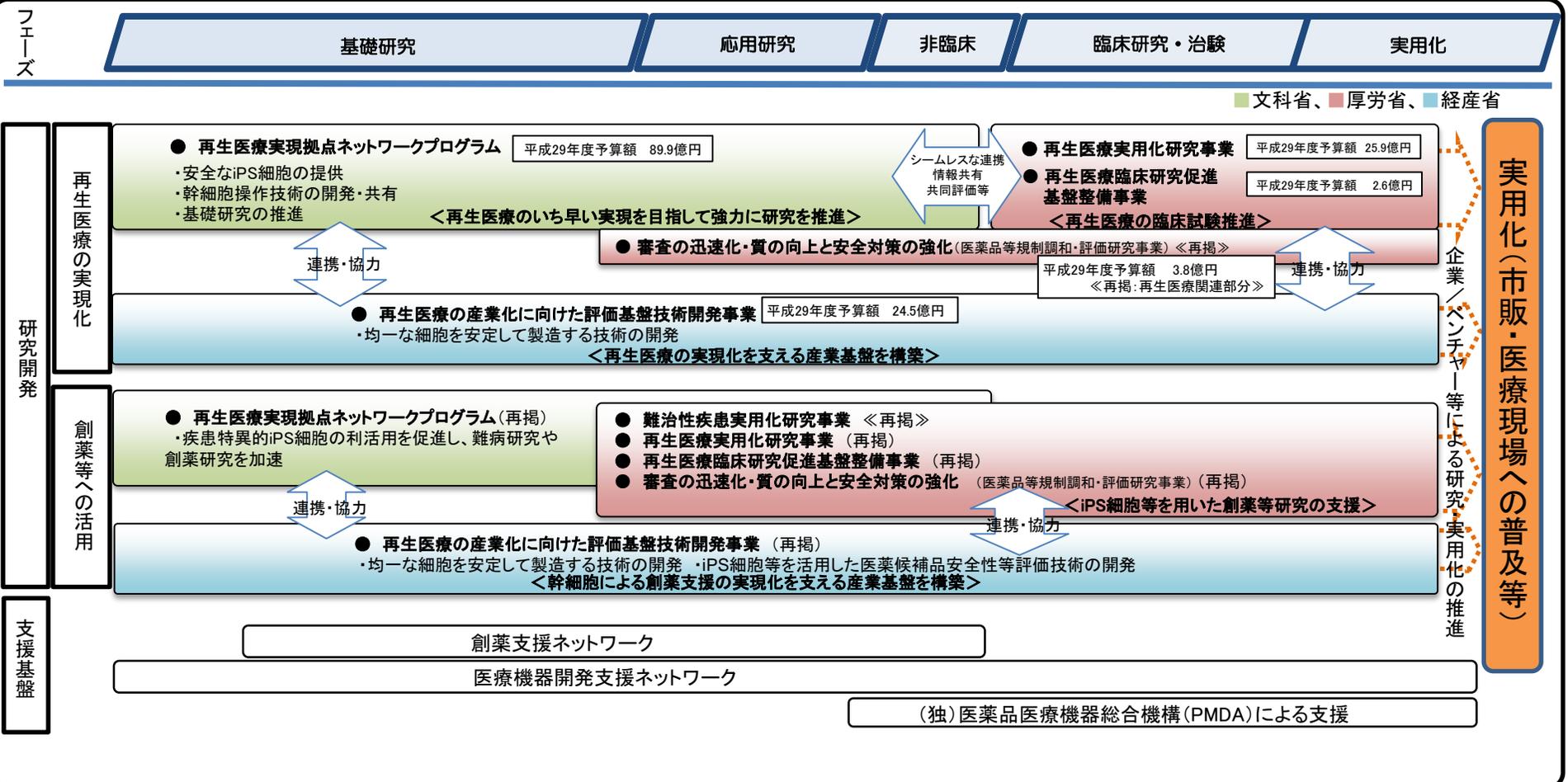
### II 平成29年度以降の主な取組方針

- 引き続き、各省が連携して、再生医療の実現化に向けた取組や、創薬等への活用を促進するとともに、再生医療とコンピューター技術等の科学技術との融合による再生医療とリハビリの相乗的な治療効果増強を目指す研究支援の検討を開始する。
- 再生医療技術を用いた医薬品候補の安全性等を評価する基盤技術の開発（創薬応用促進技術開発）を開始するとともに、国際標準の獲得をめざした再生医療等製品の評価方法の開発を推進する。
- ナショナルコンソーシアムにおいて、技術支援や人材育成、臨床研究データベース整備に加え、知的財産・管理等支援等を行うなど、再生医療臨床研究の基盤を整備し、研究の効率化・標準化等を図る。

# 再生医療実現プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
平成29年度予算額 147億円(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。



## 【2020年までの達成目標】

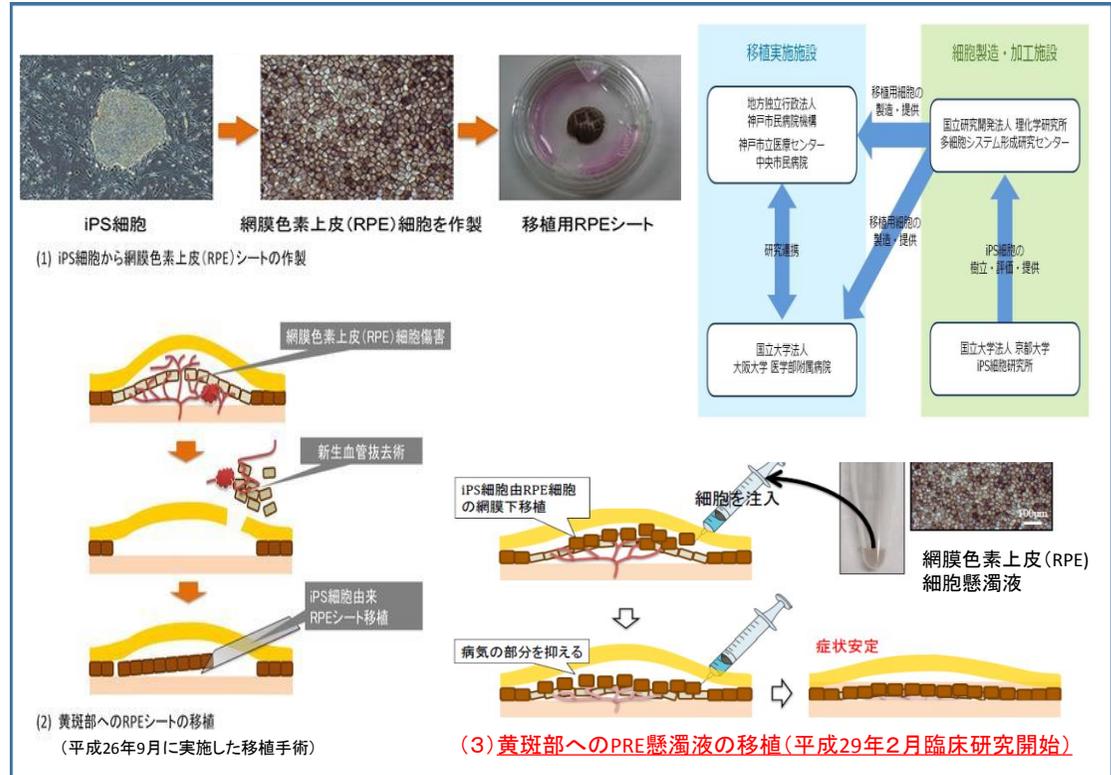
- iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用(臨床研究又は治験の開始)
- 再生医療等製品の薬事承認数の増加
- 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35件
- 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化
- iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言

## 1. 他家iPS細胞を用いた臨床研究の開始

### 研究概要

理化学研究所の高橋政代氏を中心に、神戸市立医療センター中央市民病院・大阪大学・京都大学iPS細胞研究所(CiRA)・理化学研究所の4機関が連携し、平成29年2月より、目の疾患である加齢黄斑変性患者を対象に、他家iPS細胞から作製した網膜色素上皮細胞を移植する臨床研究を開始し、平成29年3月には、第1例目となるヒトへの移植手術を実施した。

なお、高橋氏らは、平成26年9月に、世界初となる自家iPS細胞由来の網膜色素上皮細胞の移植手術を実施している。



## 2. 再生医療関係の周辺機器・装置等の実用化

### 研究概要

成育医療研究センターの開発グループでは間葉系幹細胞が軟骨・骨に分化する性質を測定するキットの開発に成功した。また、大阪大学の開発グループでは再生医療製品製造用自動観察機能付インキュベータの開発に成功した。これらは、今後、実証実験や市場評価を経て、各共同研究企業により製品化される予定である。



骨・軟骨分化ポテンシャルマーカー測定キット



再生医療製品製造用自動観察機能付インキュベータ

## 再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術開発事業

### 事業の内容

#### 背景

- 国内主要製薬会社の研究開発費は約1,200億円/年に昇り、また、医薬品開発において臨床試験には多くのコストがかかりますが、臨床試験で開発中止となる割合は8割近くになります。
- 臨床試験において開発中止となる原因として、前臨床までの試験ではヒト生体内での作用を十分に予測できないことが挙げられます。
- 特に、細胞や組織片などを利用した試験では全身への作用を評価できない、動物実験では種差が存在する、などの問題が指摘されています。

#### 事業の概要と目標

- iPS細胞等から分化誘導された細胞等をマイクロチップ等に実装し、生体環境に近い培養技術（三次元培養技術、灌流培養技術等）を開発することにより、従来期待できなかった、小腸の吸収・代謝機能や肝臓の高次代謝機能などの、臓器、組織特異的機能を発現させます。
- さらに、マイクロチップ上で複数の臓器細胞を連結することにより、医薬品の体内動態を1チップ上で再現します。
- 以上の技術開発により、前臨床試験までにヒト生体内における安全性等を高い信頼性で予測できる革新的な評価技術を確立します。
- 本事業によって開発される評価技術により、幹細胞の創薬応用を促進するとともに、新薬開発の加速を図り、国内製薬産業の活性化に貢献します。
- さらに、世界的に動物実験が禁止されつつある化粧品等においては、本技術が動物実験の有効な代替法となり、革新的な機能性材料の開発の加速が期待され、我が国の関連製品の国際競争力を向上させます。

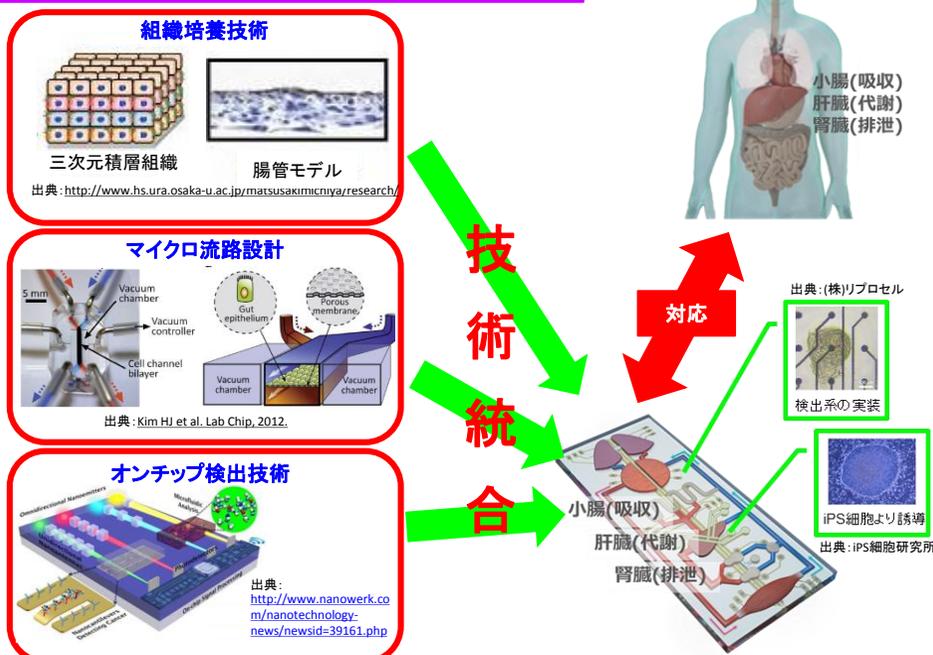
### 事業イメージ

#### 創薬プロセスの課題



臨床試験の予測精度向上が必須

#### チップ等を活用した評価基盤技術の開発



- 医薬品候補化合物の安全性等を評価するプラットフォームとして確立
- 臨床試験における開発中止のリスク低減
- 種差に起因する誤判定による開発中止の回避  
⇒ 幹細胞の創薬応用促進、新薬開発の加速、非医薬化成品等への波及

# 再生医療技術と最先端リハビリテーションの融合

再生医療等におけるリハビリテーション新規技術融合活用研究を推進(研究費の拡充)

再生医療については、世界初の他人のiPS細胞を用いた目の細胞の移植手術が行われるなど我が国は最先端の再生医療の技術を有している。さらに、これまで治療法がなかった心不全や脊髄損傷、パーキンソン病などの治療についても、再生医療技術を用いる研究開発が進められている。

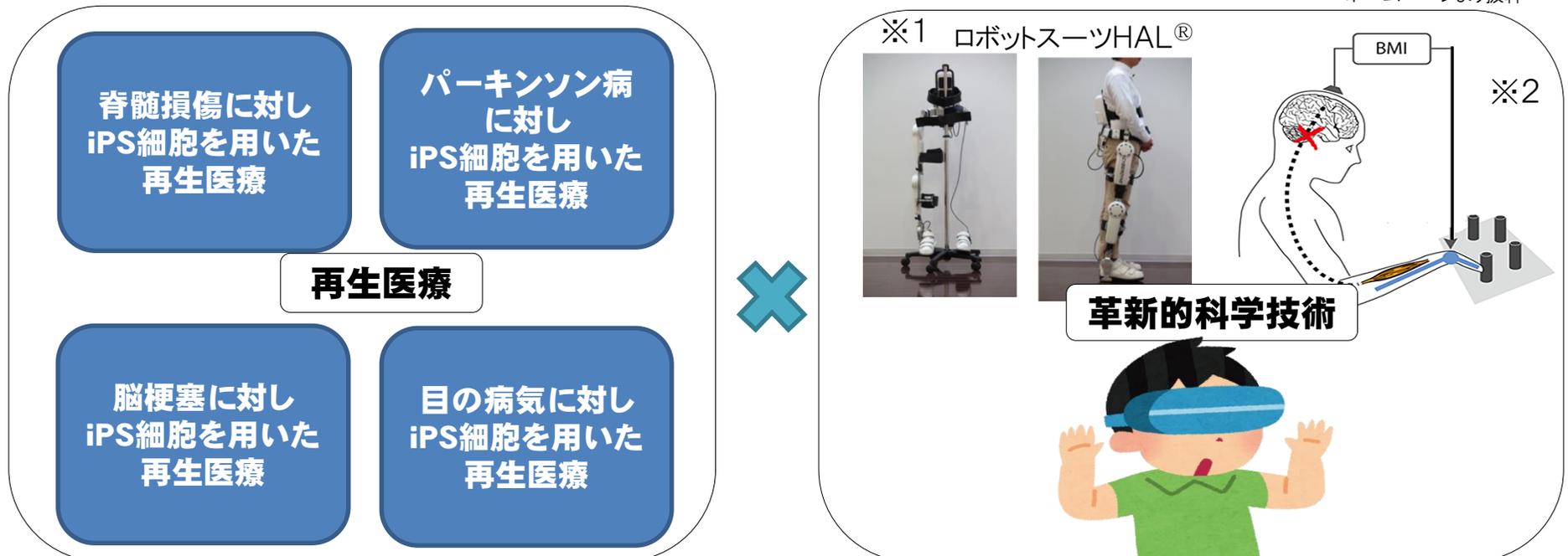
一方で、HALなどに代表される医療用ロボット(※1)や、ブレイン・マシン・インターフェース(BMI)(※2)などのコンピューター技術などの日本が世界をリードする革新的な科学技術の開発も進んでいる。

今後は、再生医療技術に、それらの最先端の革新的科学技術を再生医療治療後のリハビリテーションなどに応用し、組み合わせることにより、相乗的な再生医療の治療効果の増強を促進する研究を支援し、また、同時にレギュラトリーサイエンスの推進を行っていく。

## ○再生医療と革新的科学技術の融合の一例

平成29年4月18日開催の第14回健康医療戦略推進専門調査会の資料より抜粋

日本医療研究開発機構ホームページより抜粋



# 再生医療の実用化を促進するためのナショナルコンソーシアムの構築と拡充

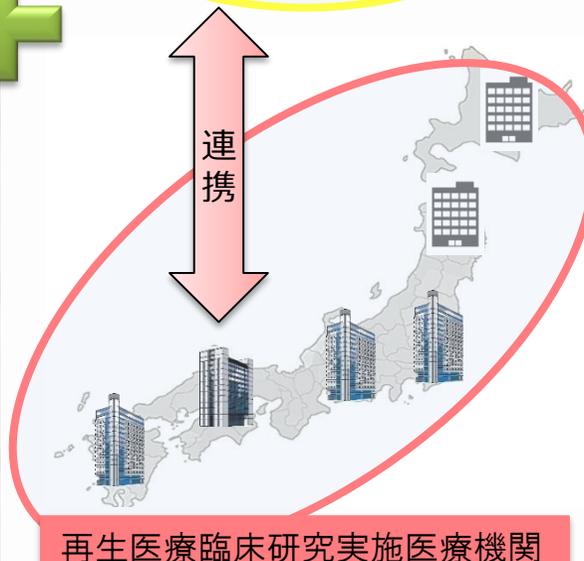
平成28年度



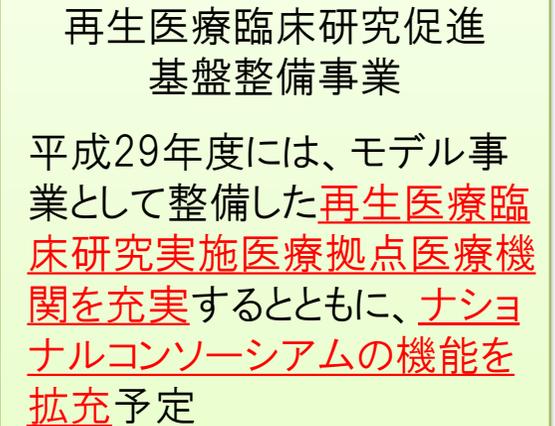
## 【事業内容】

- ①臨床研究計画に対する技術的支援
- ②臨床研究に必要な人材の教育
- ③データベースの整備

IPS細胞等臨床研究推進モデル事業  
(平成28年度調整費)



平成29年度 **拡充**



## ④再生医療臨床研究マッチング支援

単独での臨床研究等を実施できない  
国内外の医療機関や研究機関、ベン  
チャー企業と、多施設共同臨床研究  
等を行うことが可能な国内の医療機  
関とのマッチング等を実施

## ⑤知的財産取得・管理等支援

再生医療分野を専門とする弁理士  
等に、実用化を見据えた特許取得に  
関する戦略的相談等を行なえる環  
境を整備等を行う。

## ⑤疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト

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。

### I 平成28年度の主な実行状況・成果

- ・ 東北地方約2000人分の全ゲノムリファレンスパネルや日本人基準ゲノム配列を一般公開し、ゲノム解析基盤構築を進めた。
- ・ 高質な病理組織の取扱いの講習会の開催やe-Learningのコンテンツ拡充を行った。
- ・ 大規模ゲノム解析による多因子疾患研究や長鎖シーケンス技術を用いた新規解析手法の確立のための基盤技術開発に着手した。また、スパコンの共用やバイオバンク横断検索システムの開発等を開始した。
- ・ がん領域で多遺伝子診断パネルを用いて実臨床に近い形で100名の症例解析を行うなど、クリニカルシーケンスの実用化に向けた試行的・実証的臨床研究を進めた。また、クリニカルシーケンスにおける偶発的所見/二次的所見（IF/SF）について、倫理面からの理論的検討や、国内におけるIF / SFの取扱いの実態調査を実施した。遺伝カウンセリングのスキルアップなど目的として、医療従事者の教育についての実証的研修等を実施した。
- ・ 希少・難治性疾患等の4疾患領域を対象にゲノム解析を行い、臨床ゲノム情報データストレージ整備に着手した。

### II 平成29年度以降の主な取組方針

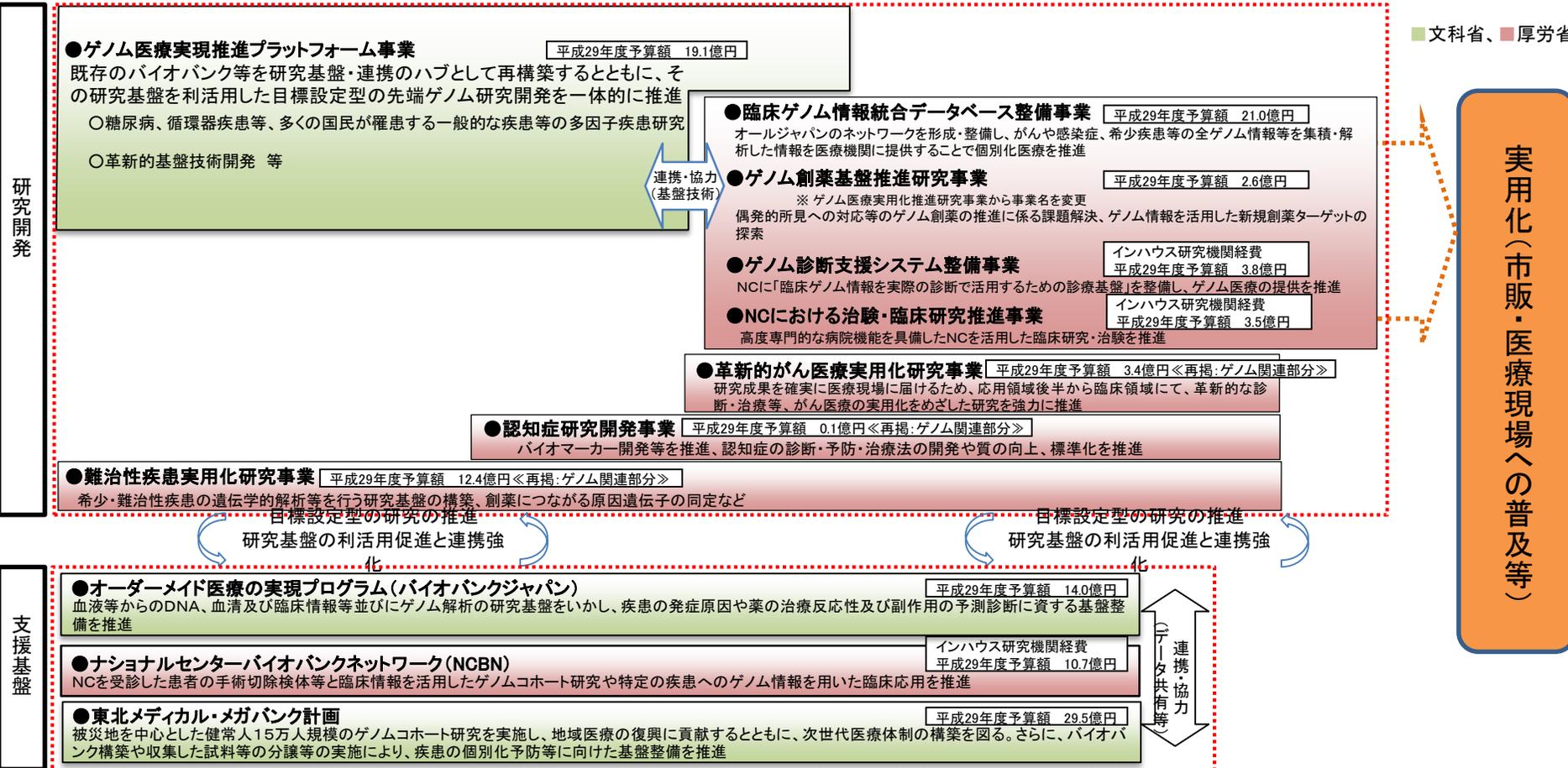
- ・ 3大バイオバンクを研究基盤・連携のハブとして再構築するとともに、その研究基盤を利活用した目標設定型の先端研究開発を一体的に行うことで、多因子疾患のゲノム医療研究を効率的・効果的に推進し、より多くの国民へゲノム医療研究の成果を還元する。
- ・ 引き続き、がん、難病などの疾患領域ごとに患者のゲノム情報と臨床情報との関連を検証し、医療現場において活用することのできる臨床ゲノム情報統合データベースの構築等により、ゲノム医療基盤を整備する。

# 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト

日本医療研究開発機構対経費  
平成29年度予算額 102億円(一部再掲)

インハウス研究機関経費  
平成29年度予算額 18億円

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・希少性疾患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。



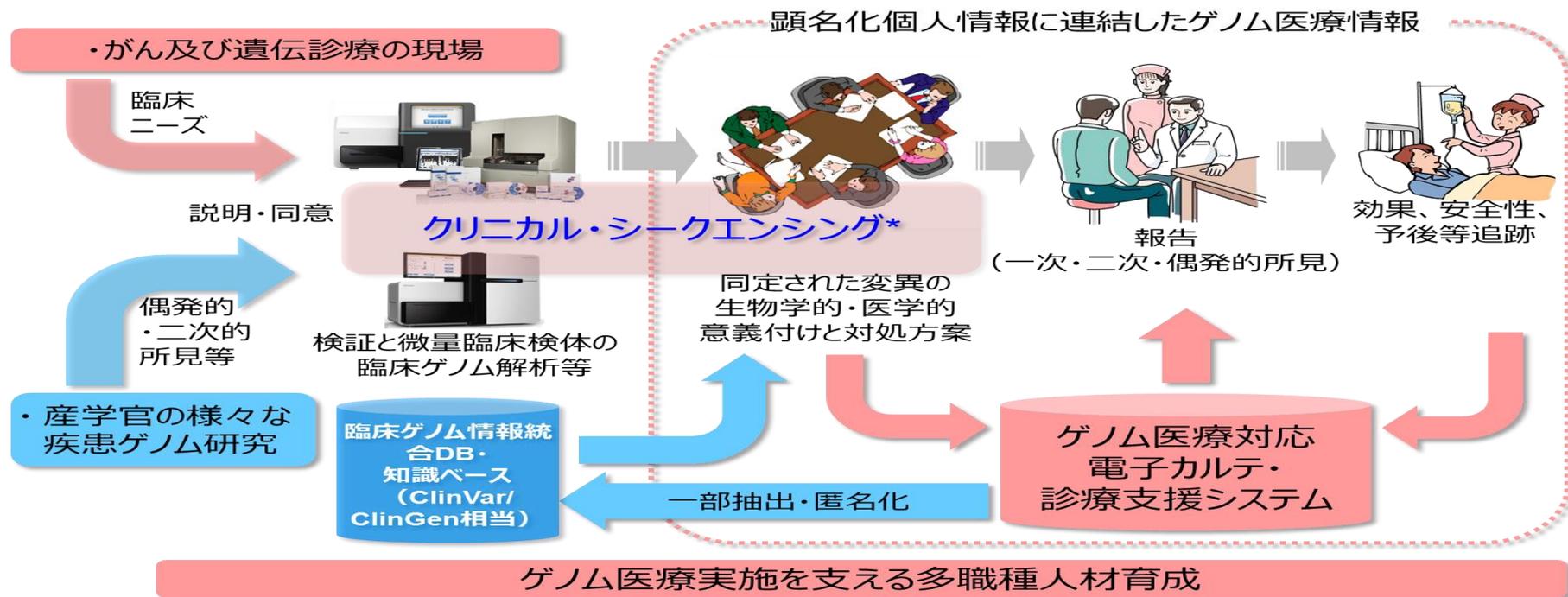
## 【2020年までの達成目標】

- 糖尿病などに関するリスク予測や予防、診断(層別化)や治療、薬剤の選択・最適化等に係るエビデンスの創出
- 認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る臨床研究の開始
- 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・治療法の開発に係る臨床研究の開始



# 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年度の主な成果②

ゲノム医療実施体制の構成要素（ゲノム診断周辺部分を中心に）



\*本研究での定義：担当医の指示で実施し、担当医に報告することを目的として行う塩基配列解析

## 研究成果等

- がん領域については、多遺伝子診断パネルを用いて実臨床に近い形で100名の症例解析を行い、結果を担当医に返すことで、遺伝子異常に基づいた治療選択に貢献することを通じて、システムの実証と改良を行った。同様に、小児遺伝性疾患領域、循環器疾患領域等においても臨床シークエンスの実用化に向けた試行的・実証的臨床研究を進めた。
- ゲノム医療の実用化を進めていく際に、医療現場が直面すると予想されるIF / SFへの適切な対応のため、倫理面からの理論的検討や、国内におけるIF / SFの取扱いの実態調査を実施し、今後、学界等の様々な関係者の中で、広くコンセンサスを形成していく上での問題提起・試案として、IF/SFへの対応のポリシー案をとりまとめた。
- バイオバンク国際標準化 (ISO TC276) の議論への参画を継続し、BBJやToMMoと協働で試料の品質管理の検討を行った。
- 遺伝カウンセリングのスキルアップを目的に、臨床遺伝専門医等を対象として全国14か所でロールプレイ研修会を開催するなど、遺伝カウンセリングに関わる医療従事者の教育についての実証的研修等を実施した。

基礎研究

実用化研究

## 1-1) ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業 P3GM (※1)

19.1億円(19.3億円)\*

### 目標設定型の先端ゲノム研究開発<GRIFIN>

研究プラットフォームを利活用する大規模ゲノム解析を必要とする疾患を対象とした研究等を支援

- 糖尿病、循環器疾患等、多くの国民が罹患する一般的な疾患を対象とした研究開発
- 疾患予防や治療の最適化に向けた発症予測法の確立等

P3GM: Platform Program Promotion of Genome Medicine  
GRIFIN: Advanced Genome Research and Bioinformatics Study to Facilitate Medical Innovation

## 1-2) 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業(※1)

21億円(25.9億円)\*

- 各疾患分野において、検体の収集及びゲノム解析、加えて臨床情報を含めた情報の統合・解析、データストレージの整備、臨床現場への還元
- 疾患横断的利活用を目指し、臨床ゲノム情報統合データベース(MGeND)を整備し、医療現場においてゲノム医療を実装する基盤を構築

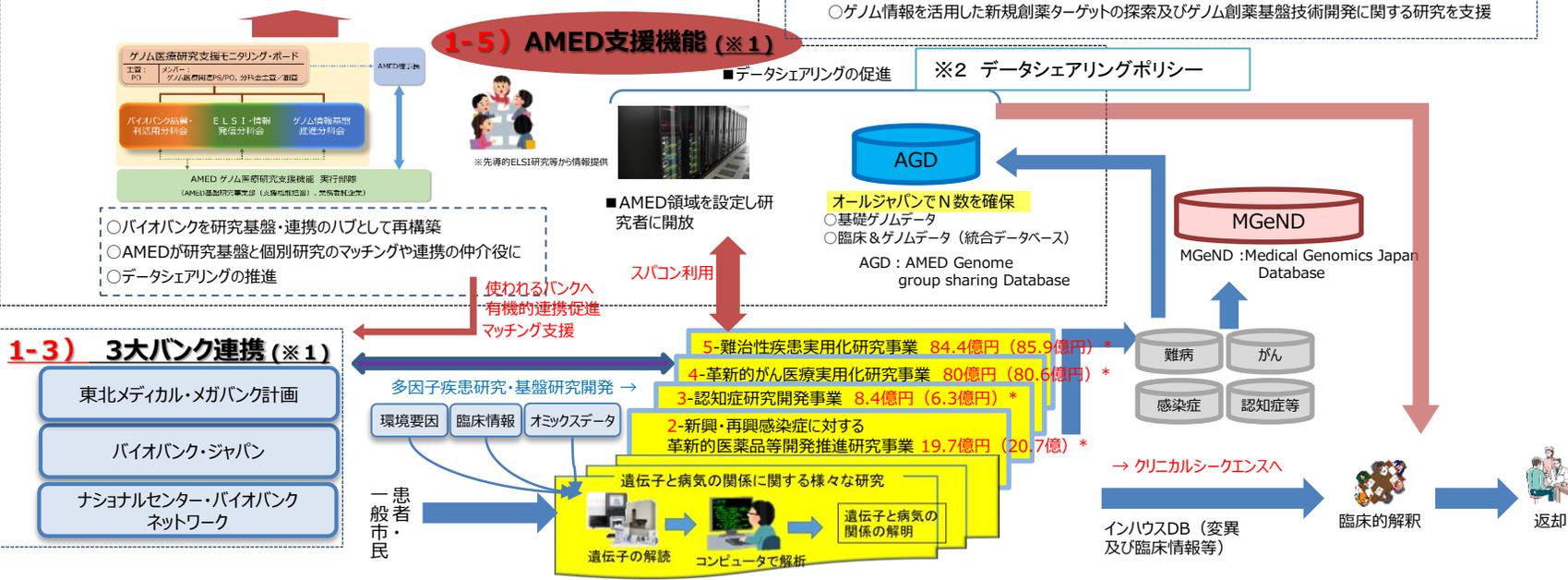
## 1-4) ゲノム創薬基盤推進研究事業

### (~平成28年度)ゲノム医療実用化推進研究事業(※1)

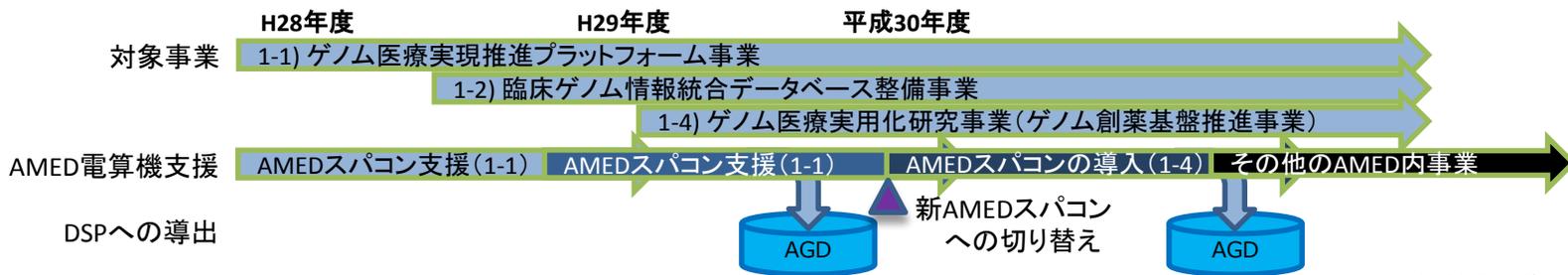
2.6億円(3.7億円)\*

- クリニカルシーケンスの試行、偶発的所見等への対応等
- ゲノム情報を活用した新規創薬ターゲットの探索及びゲノム創薬基盤技術開発に関する研究を支援

研究・基盤整備



データシェアリングポリシー(DSP): オープン・アンド・クローズ戦略及び知的財産の確保等に留意し、「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト」では平成28年度からの公募申請時にデータマネジメントプランの提出を義務化し、順次集積予定。



## 概要

ゲノム医療実現推進協議会の提言\*を踏まえ、ゲノム医療実現を目指し、既存のバイオバンク等を研究基盤・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。

\* 国際的にゲノム科学が急速かつ著しく進展している中、我が国は欧米に先行されており、研究環境の整備及び研究の推進が必要と提言。(平成27年7月15日中間とりまとめ)

- ・個別化予防・個別化医療による国民の健康寿命延伸や経済効果への貢献が大きく、社会的ニーズの高い疾患等に関する研究を実施
- ・大規模なデータを扱うゲノム医療研究における解析支援のニーズ増加に対応するために、スパコン等の解析研究基盤の共用を拡大

### AMEDによるゲノム医療の実現に向けた研究開発のPDCAサイクルの実行

#### 目標設定型の先端ゲノム研究開発

- 研究プラットフォームを利活用する大規模ゲノム解析を必要とする疾患を対象とした研究等を支援

- ① 糖尿病、循環器疾患等、多くの国民が罹患する一般的な疾患等の多因子疾患研究
- ② 革新的基盤技術開発の加速等

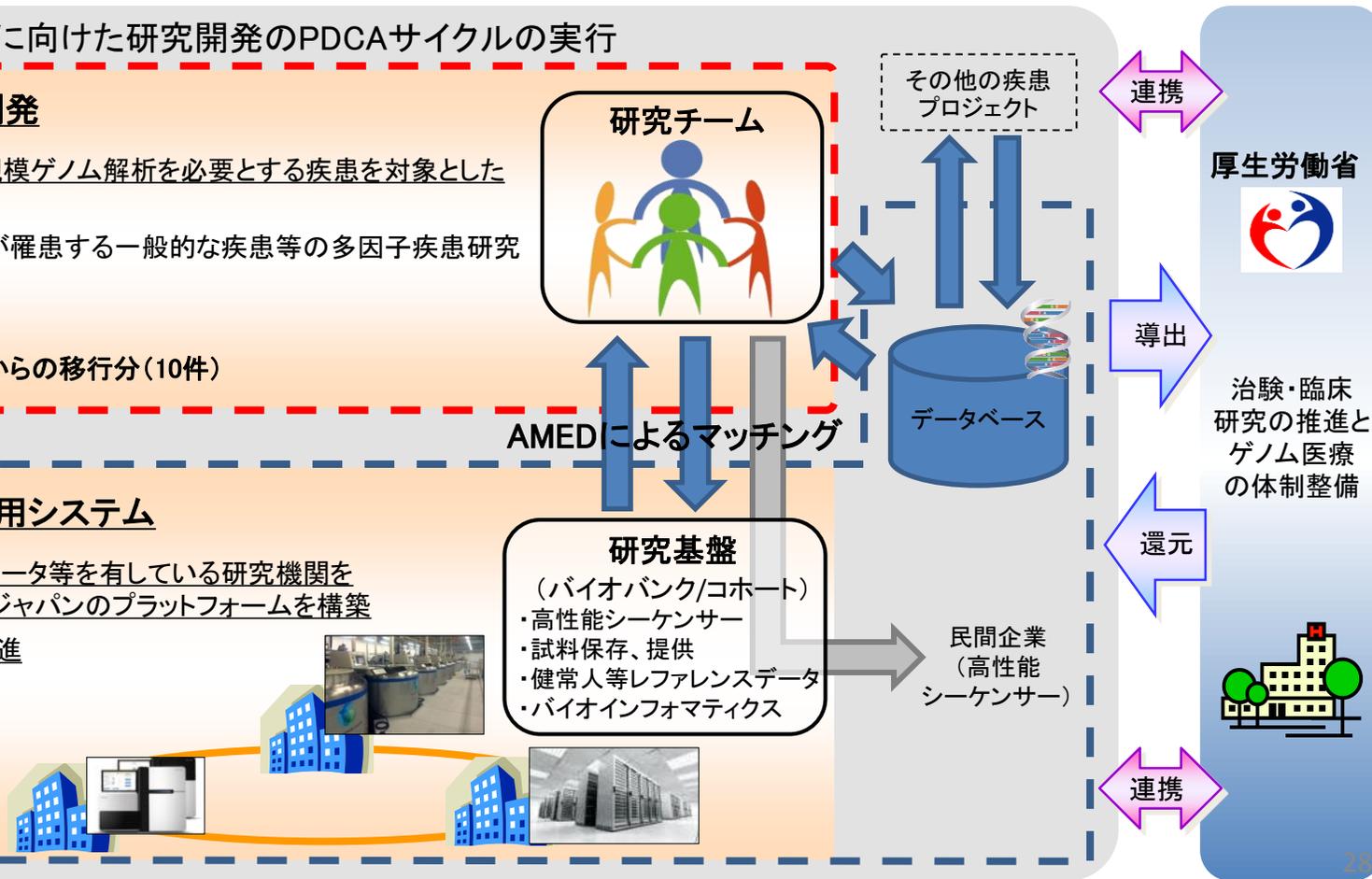
- 平成28年度採択分(8件)
- オーダーメイド医療の実現プログラムからの移行分(10件)

#### ゲノム研究プラットフォーム利活用システム

- 既存のバイオバンク、スーパーコンピュータ等を有している研究機関をネットワーク化することにより、オールジャパンのプラットフォームを構築

- 国内バンクの試料・情報の利活用を促進

- 試料・情報分譲ワンストップサービス
- スパコン等の解析研究設備共用
- 倫理的、法的、社会的課題への対応



## 背景

- 近年ゲノム解析技術等が著しく進展し、ゲノム情報を活用した医療への応用に係る取組が欧米を中心に急速に進みつつある。そのため我が国においても、ゲノム医療（個人のゲノム情報等に基づく、その人の体質や症状に適した医療）の実用化に向け、**オールジャパン体制で取組の強化を図る必要**がある。

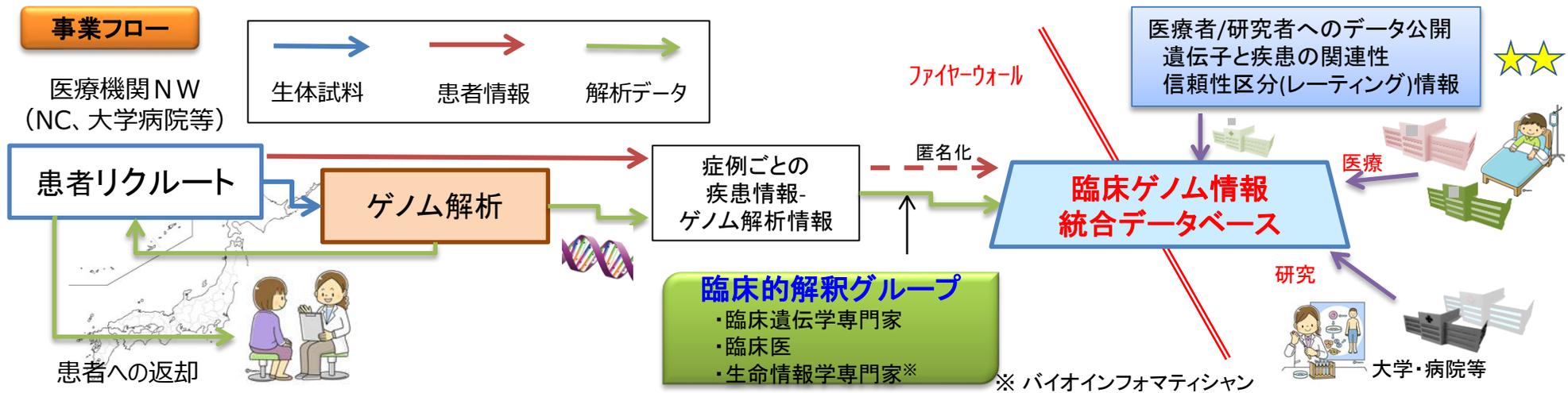
## 事業の目的

- ゲノム情報等を**オールジャパン体制**で集積するため、3大バイオバンク、国立高度専門医療研究センター（NC）、大学病院等の医療機関が連携し、ゲノム情報等の集積拠点を整備する。

## 事業概要

- がんや難病などの個々の症例から得られた詳細な臨床情報と全ゲノム情報等を集積・統合し、遺伝子変異・多型（遺伝子型）が疾患の発症（表現型）とどのように関連づけられるかを日本人を対象に評価・検証するため、以下の特徴を有する『臨床ゲノム情報統合データベース』を構築し、ゲノム医療の実用化を推進する。
  - † 疾患ごとに患者リクルート等を行う大学病院等からなる医療機関ネットワークを構築（研究の基盤整備等）
  - † 対象疾患ごとに目標症例数を設定し、全ゲノム解析等を実施するとともに、患者の疾患情報と統合（ゲノム医療実現に向けて推進すべき対象疾患等の設定と知見の蓄積等）
  - † 遺伝子と疾患との関連性を検証する大学等の専門家よりなる『臨床的解釈グループ』による検証を実施（ゲノム情報等を用いた医療の実用化に向けた体制等の構築等）

### 事業フロー



臨床的意義付けがなされたゲノム情報等を活用することで、個別化医療等が推進

## ⑥ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

「がん研究10カ年戦略」を踏まえ、文部科学省・厚生労働省・経済産業省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。

### I 平成28年度の主な実行状況・成果

- ・ 文部科学省「次世代がん医療創生研究事業」の中で、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解明することにより、治療標的かつバイオマーカーとなりうるエクソソームを同定した。
- ・ 厚生労働省「革新的がん医療実用化研究事業」の中で、早期睥がんや前がん病変発見のための早期診断バイオマーカーを開発し、キット化及び企業導出した。
- ・ 若手育成枠で採択されている研究者を中心に第2回AMEDがん若手研究者ワークショップを開催し、若手研究者同士や、若手研究者と経験豊かな研究者との交流を促進することや文部科学省、厚生労働省事業の2事業合同企画として企業向け成果発表会を、更に経済産業省事業を加えた4事業合同企画として市民向け成果発表会をそれぞれ開催した。

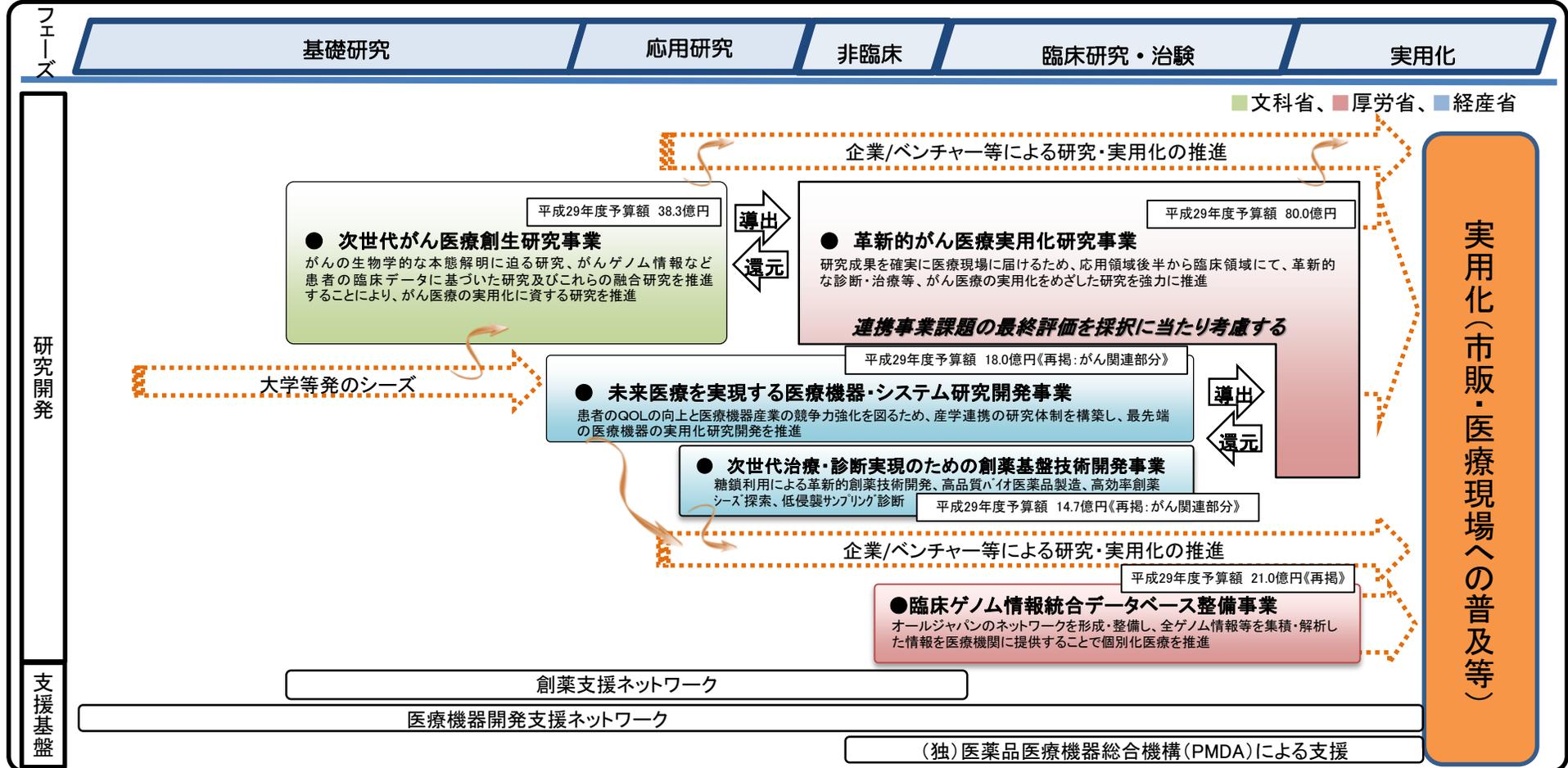
### II 平成29年度以降の主な取組方針

- ・ 「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。
- ・ 基礎研究の有望な成果を厳選、医薬品・医療機器等の開発に資する研究を実施することで、臨床研究及び治験へ導出、また、臨床研究及び治験で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。

# 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29年度予算額 172億円(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。



## 【2020年までの達成目標】

- 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12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)

## 1. 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解明 —バイオマーカーかつ治療標的となりうるエクソソームを同定—

実施機関: 国立がん研究センター

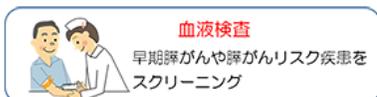


卵巣がん細胞由来エクソソームによる腹膜播種性転移のメカニズム

- 卵巣がん細胞が分泌するエクソソームが腹膜の主要構成細胞である中皮細胞を細胞死へと誘導し、腹膜を破壊することにより、腹膜播種性転移を促進することを証明した。
- 転移に関わるエクソソームが卵巣がん患者腹水中にも存在することを同定し、さらに同エクソソームは早期卵巣がん患者の予後を精度高く予測する有用なバイオマーカーかつ治療標的となりうると期待される。

## 2. 早期膵がんや前がん病変発見のための早期診断バイオマーカーを開発し、キット化及び企業導出した

実施機関: 国立がん研究センター

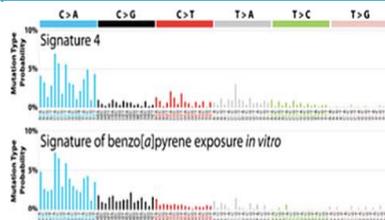


今後の展望(イメージ)

- 早期膵がんや前がん病変発見のための早期診断バイオマーカーを開発し、キット化及び企業導出した。神戸大学と埼玉医科大学において、膵疾患と確定診断された患者検体を用いた検証により、実験的膵がん検診から推定される検出感度が良好であったことから本バイオマーカーの有用性が前向きに検証された。
- 今回のバイオマーカーを単独またはCA19-9と組み合わせて検診として用いることで早期膵がんを含む膵がんリスク集団をスクリーニングし、その後の精密な画像検査等で早期に膵がんの診断を行うことができれば、膵がんによる死亡率減少への貢献が期待される。

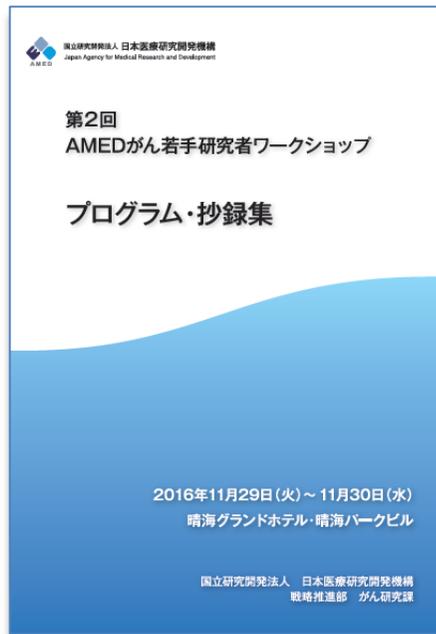
## 3. がんゲノムビッグデータから喫煙による遺伝子異常を同定 —1年間毎日1箱の喫煙によって肺では150個の遺伝子の突然変異が蓄積—

実施機関: 国立がん研究センター



喫煙と相関のあるヒトの細胞とたばこ由来物質で処理した細胞とで遺伝子変異パターンが類似する

- 国際共同研究により、がんゲノムデータ解析を行い、喫煙と遺伝子の突然変異との相関を明らかにし、1年間毎日1箱の喫煙によって肺では150個の遺伝子の突然変異が蓄積されると推計されることなどが分かった。
- 本研究によって、がんの発症において喫煙が全ゲノムレベルで突然変異を誘発していることが再確認され、がんの予防における禁煙の重要性が強調されるとともに、今後喫煙による間接的な突然変異誘発機構の詳細な解明によって、喫煙関連がんの予防や治療が進むことが期待される。



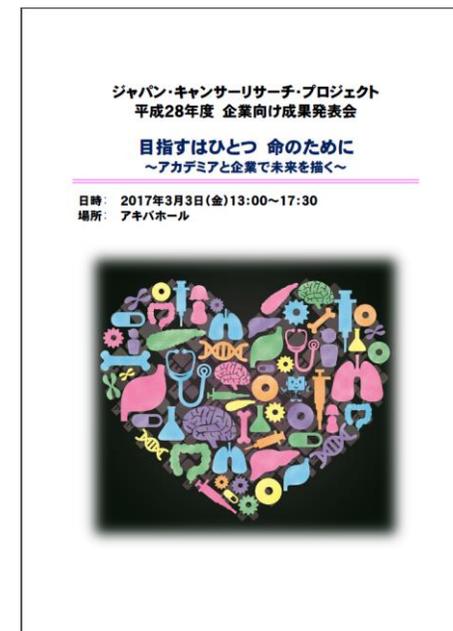
第2回AMEDがん若手研究者ワークショップ

- 次世代がん医療創生研究事業、革新的がん医療実用化研究事業では、公募時に若手研究者育成枠を設けている。
- 若手研究者育成の一環として企画された本ワークショップでは、国際的に実績のある著名な研究者等によるレクチャーや研究課題の事前評価審査を模した模擬評価委員会で、若手研究者の総合的な能力の向上を目指すと共に、事業の垣根にとらわれず、基礎から臨床までの幅広い分野の研究者間の交流を図った。



平成28年度 ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト市民向け成果発表会

- 研究成果のみならず、がん研究の社会的意義について、がん患者を含めた市民の理解を得ることを目的とし、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトの4事業(文部科学省事業、厚生労働省事業、経済産業省事業)合同で、開催した。
- 研究者が各事業での代表的な研究成果等を解りやすく紹介するとともに、患者会、研究者、マスコミ、事業運営担当者による多彩なパネリストが参加するパネルディスカッションやリアルタイムで会場に対するアンケートを行う仕組みを取り入れ双方向でやりとりを行った。



平成28年度 ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト企業向け成果発表会

- 企業がアカデミアシーズの導入を検討する際に重視する点、アカデミアの研究者が企業導出を行うにあたってどのように考えているか等を事前にアンケート調査した。
- 企業担当者に向けて、直接研究者がプレゼンテーションを行い、質疑応答等により企業と研究者とのマッチングのきっかけ作りを行った。また、研究者、事業運営担当者によるパネルディスカッションにより、有望なシーズを臨床現場に届けるまでのフェーズを更に加速するためにどのようにすればよいか、それぞれの立場の考え方などの意見交換を行った。

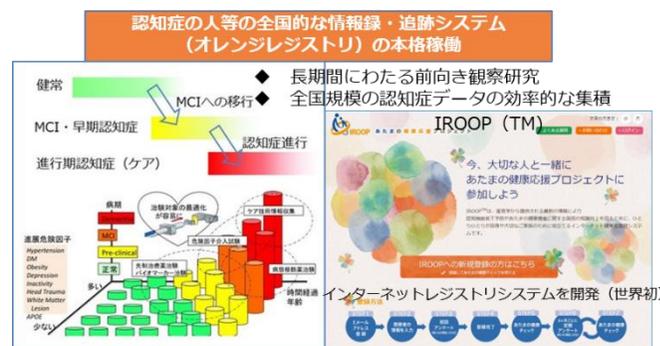
# ⑦脳とこころの健康大国実現プロジェクト

認知症やうつ病などの精神・神経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、精神・神経疾患等を克服する。

## I 平成28年度の主な実行状況・成果

オールジャパン体制で脳科学研究を加速させることにより、精神・神経疾患等を克服するための検討として、発症メカニズムの解明、客観的な診断法や適切な治療法の創出・確立を強力に推進するとともに、脳機能ネットワークを解明して疾患克服や情報処理理論の確立等につなぐための基盤構築を行ってきた。主な成果は以下の通り。

- ・ 認知症患者などの全国的な情報登録・追跡システムであるオレンジレジストリを構築し、平成28年5月から新たに稼働した。
- ・ レビー小体型認知症の疾患修飾薬候補化合物を創製し、平成29年3月に特許出願した。
- ・ 人工知能の判別・予測技術を開発し、脳のMRI画像を用いて自閉スペクトラム症に特徴的な脳回路の機能的結合を特定することにより、自閉スペクトラム症を見分けるバイオマーカーを世界で初めて確立した。



## II 平成29年度以降の主な取組方針

- ・ 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・神経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し、アカデミア創出のシーズを探索・最適化、臨床開発へつなげる連携体制を強化する。
- ・ 意思決定や行動選択、創造性の基盤となる脳機能・神経システムの理解により、環境適応の破綻で生じる疾患の基盤となる脳機能原理を解明する。
- ・ 認知症対策については、早期診断や予防及び治療法の開発を進めるとともに、精神疾患対策については、精神医療の診療方法の標準化及び治療方法の開発を推進する。
- ・ 国民の精神的ストレスの増大に鑑み、心の健康づくりを推進する研究を実施するとともに、薬物依存症、アルコール依存症、ギャンブル等依存症などの依存症対策に資する研究を充実する。
- ・ 米国主導で提案された脳科学研究の国際連携の枠組を活用したデータ共有等により、国際的な基礎脳科学、疾患関連脳科学研究における協力体制の構築を推進する。

# 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29年度予算額 90億円(一部再掲)

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、認知症やうつ病などの精神・神経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。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

● **革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト** 平成29年度予算額 32.2億円  
霊長類の高次脳機能を担う神経回路の全容をニューロンレベルで解明し、精神・神経疾患の克服や情報処理技術の高度化等へ貢献

■ 文科省、■ 厚労省

連携・協力

● **脳科学研究戦略推進プログラム** 平成29年度予算額 25.3億円  
「社会に貢献する脳科学」の実現を目指し、社会への応用を明確に見据えた脳科学研究を戦略的に推進

連携・協力

● **障害者対策総合研究開発事業** 平成29年度予算額 3.0億円  
脳画像研究、バイオマーカー開発等を推進し、精神疾患に関する診断・治療のさらなる質の向上と標準化を加速

● **認知症研究開発事業** 平成29年度予算額 8.4億円  
● **臨床ゲノム情報統合データベース整備事業** 平成29年度予算額 21.0億円《再掲》  
バイオマーカー開発等を推進、認知症の診断・予防・治療法の開発や質の向上、標準化を推進

支援

支援

● **臨床治験、研究支援**  
拠点間のネットワーク、認知症の人等が研究に容易に登録できるような仕組み  
国立長寿医療研究センター、国立精神・神経医療研究センター  
各研究機関等のネットワーク化による、研究の支援促進

創業支援ネットワーク

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

研究開発

支援基盤

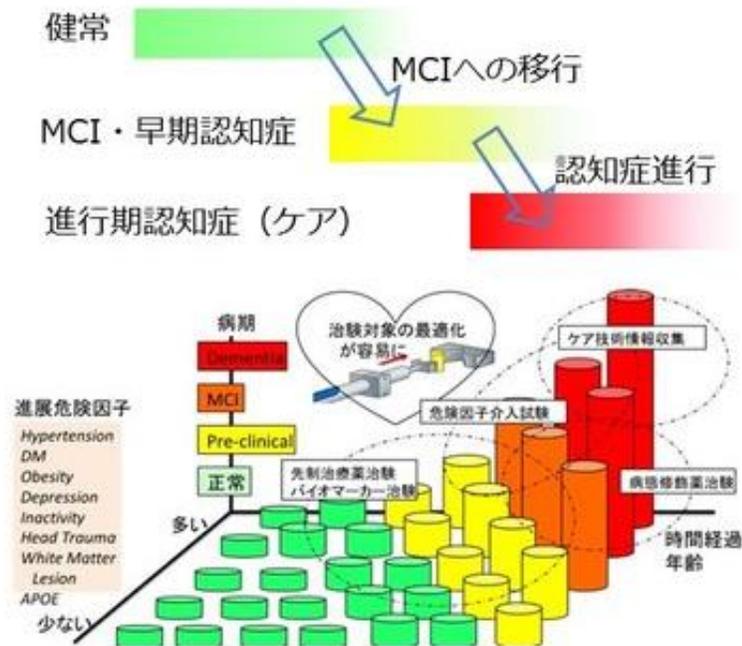
実用化(市販・医療現場への普及等)

## 【2020年までの達成目標】

- 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)
- 日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始
- 精神疾患の客観的診断法の確立(臨床POC取得4件以上、診療ガイドライン策定5件以上)
- 精神疾患の適正な治療法の確立(臨床POC取得3件以上、診療ガイドライン策定5件以上)
- 脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成

臨床治験にスムーズに登録できるよう認知症の人等（前臨床期、MCI、軽度・中等度・進行期）の全国的な情報登録・追跡システムであるオレンジレジストリを本格稼働した。

### 1. 長期間にわたる前向き観察・介入研究



健常者から、前臨床期、MCI、軽度認知症、中等度認知症、進行期認知症の方まで様々な人の情報を集め、認知症の治療方法やケア手法を明らかにする。

### 2. 認知症予防のための健康人データの効率的な集積

#### IROOP (TM)



認知症予防を目的とする40歳以上の健康人を対象とした数万人規模のインターネットレジストリシステムを開発（世界初）、運用を開始した。

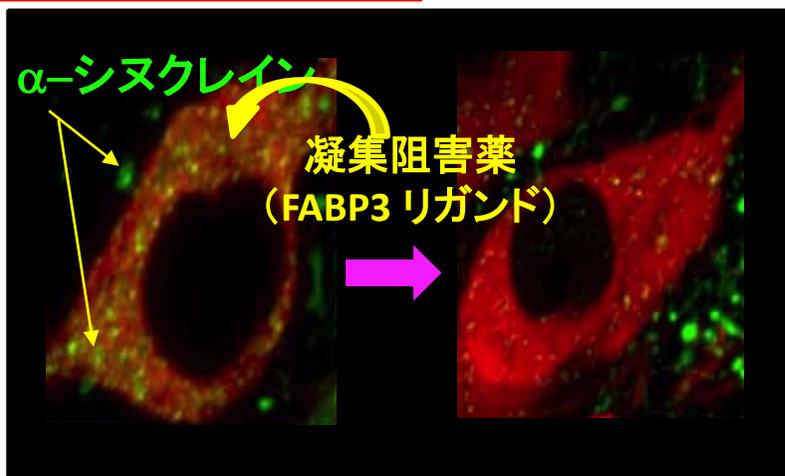
認知症が発症する前の症状をとらえ、認知機能の改善が期待される医薬品開発のための臨床研究や治験促進を図る。

## 認知症の治療薬候補の創出

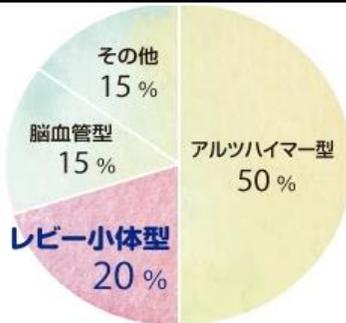
<脳科学研究戦略推進プログラム>

レビー小体型認知症の疾患修飾薬候補として、 $\alpha$ -シヌクレインの凝集抑制作用を有する化合物を創製し、特許出願した。

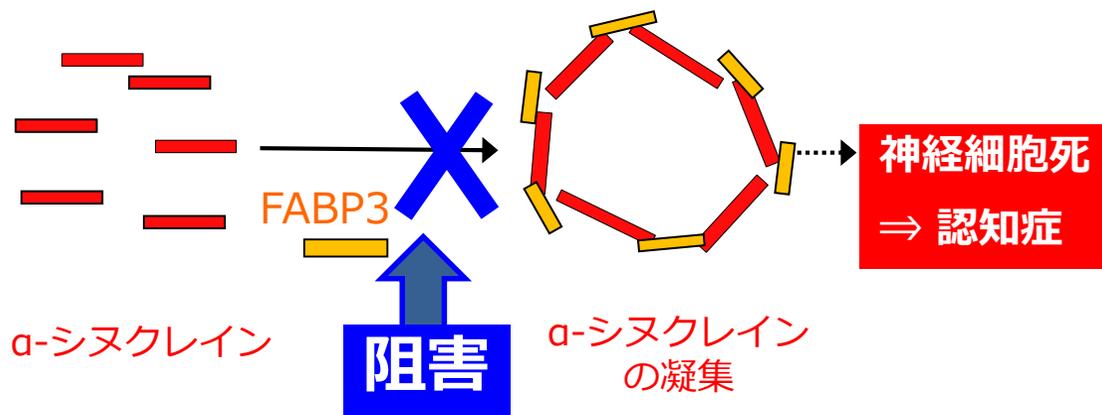
### レビー小体型認知症



認知症の発症比



- ◆ 黒質ドパミン神経細胞および大脳皮質神経細胞に高発現する脂肪酸結合蛋白質3 (FABP3) が $\alpha$ -シヌクレインと結合し、凝集体形成を促進、神経細胞死を誘発することを発見。
- ◆ さらに、FABP3 の機能を阻害する低分子化合物を創製し、 $\alpha$ -シヌクレインとの結合を阻害することによってその凝集を抑制することを確認、特許出願した。



今後、化合物の効率的な合成法の確立や、非臨床毒性試験を予定

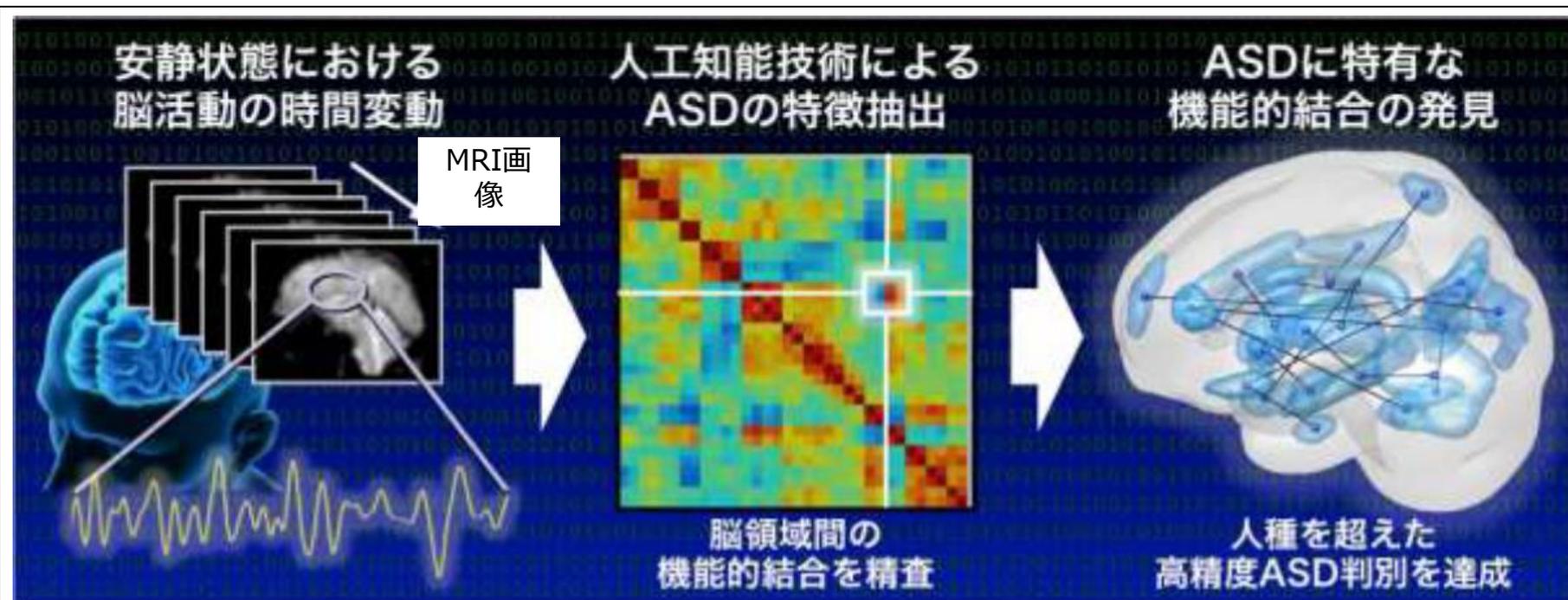
(注) レビー小体型認知症：

アルツハイマー病に次いで発症数が多い認知症で、脳血管性認知症とともに「三大認知症」の一つとされる。脳の脳大皮質や脳幹の神経細胞に $\alpha$ -シヌクレインというタンパク質が凝集した「レビー小体」という円形の物質が多く現れ、神経変性を起こす疾患。アルツハイマー型認知症は女性に多く、もの忘れや徘徊などが目立つのに対し、レビー小体型認知症は男性に多く、幻視やパーキンソン病に似た症状等が現れる。

# 脳とこころの健康大国実現プロジェクト

脳科学研究戦略推進プログラム 自閉スペクトラム症(ASD)

精神疾患の客観的診断法の確立等を目指し、人工知能の学習のためのサンプル数が少ない場合でも正しく判別・予測できる先端技術を開発し、自閉スペクトラム症(ASD)を脳のMRI画像を用いて脳回路から見分けるバイオマーカーを世界で初めて確立した。



- ◆ 国や人種を超えたASD 当事者・定型発達者（非当事者）の高精度な判別に成功。
- ◆ 本研究によって同定された機能的結合を治療の対象とする臨床研究を推進中。

人工知能技術を複数の精神疾患に応用し生物学的観点からの再定義や、発見した回路の変位を有する動物モデル等を作成し疾患メカニズムの解明や診断・治療法の開発にも期待。

# 脳とこころの健康大国実現プロジェクト

## 脳科学研究戦略推進プログラム(脳プロ)

### 融合脳 (臨床と基礎研究の連携強化による精神・神経疾患の克服)

認知症、うつ病等、発達障害等の克服

・認知症等の革新的治療法を指向したシーズ探索および実証的研究

従来とは異なる仮説による治療法を創出するためのシーズ探索研究、および臨床データ等から有望視される萌芽的治療法の有効性検証等の実証的研究を実施

### 環境適応脳 (行動選択・環境適応を支える種を超えた脳機能原理の抽出と解明)

依存症、PTSD、睡眠障害等の社会的要請の大きい疾患の基盤となる脳機能原理を解明するために、柔軟な環境適応を可能とする意思決定・行動選択の神経システムの研究を実施

### BMI技術

- ・BMI技術を用いた自立支援、精神・神経疾患等の克服
- ・BMI技術と生物学の融合による治療効果を促進するための技術開発

### 霊長類モデル

- ・霊長類モデル動物の創出・普及体制の整備

『社会に貢献する脳科学』の実現へ

脳の情報処理理論の確立と応用

ヒトの高次脳機能とその障害としての精神・神経疾患の理解と治療戦略

## 革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト(革新脳)

中核拠点、臨床研究グループ、技術開発個別課題

### 認知症研究開発事業

### 認知症対策

＜認知症の行動心理症状 (BPSD) の包括的な治療指針の作成に関する研究＞

・BPSD に関して、実臨床に即した包括的治療指針を作成する。

＜認知症と精神・神経疾患の鑑別診断に関する簡易診断支援システム等の開発＞

・認知症と精神・神経疾患を簡便に鑑別できるような仕組み作りの構築する。

＜若年性認知症の実態把握とレジストリに資する多元的なデータの共有化・効率化を行うための研究＞

・若年性認知症の実態を調査と若年性認知症のレジストリシステムを構築する。

新規

＜コホート研究＞、＜レジストリ研究＞、＜臨床研究実施支援する研究＞、  
＜治療法や介護モデル等の研究開発＞などは引き続き継続 等

認知症の克服を目指し、予防法、診断法、治療法、リハビリテーションモデル、  
介護モデル等の研究開発を推進

### 障害者対策総合研究開発事業 (精神分野)

### 精神保健医療

#### 研究の方向性

#### ① 精神医療の診療方法の標準化及び治療方法の開発

・「精神疾患の客観的診断法の確立」「精神疾患の適正な治療法の確立」を目指して研究を推進

#### ② 心の健康づくりの推進

・社会生活環境の変化等に伴う国民の精神的ストレスの増大に鑑み、精神疾患の早期発見・早期支援を図るための介入プログラムの開発を目指して研究を推進

#### ③ 依存症対策の推進

・薬物依存症、アルコール依存症、ギャンブル等依存症などの依存症対策に資する研究を充実

拡充

精神疾患の診療ガイドライン策定等を推進し、精神疾患に関する  
診断・治療のさらなる質の向上と標準化を加速

## ⑧新興・再興感染症制御プロジェクト

国内外の様々な病原体に関する疫学的調査及び基盤的研究並びに予防接種の有効性及び安全性の向上に資する研究を実施し、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等を一体的に推進する。

### I 平成28年度の主な実行状況・成果

- ・ マウスノロウイルスの感染受容体が細胞表面上に存在する特定のタンパク質CD300lf、CD300ldであることを明らかにし、感染の仕組みを解明した。
- ・ 流行性耳下腺炎の原因ウイルスであるムンプスウイルスの細胞表面受容体への結合構造を解明した。
- ・ 中東呼吸器症候群（MERS）の原因ウイルス（MERSコロナウイルス）感染の最初の過程であるウイルス外膜と細胞膜との融合を簡便かつ定量的に評価できるハイスループット測定系を開発し、感染を効果的に阻害する薬剤を同定した。
- ・ 薬剤耐性菌のゲノムデータベース「GenEpid-J」の探索により、日本にも存在することが明らかとなったコリスチン耐性因子*mcr-1*を簡便・迅速に検出する試験法の構築を目指し、MCR-1を阻害する物質を見出した。
- ・ H5N1ウイルスに濃厚に暴露しているインドネシアの生鳥市場従業員の血清を調べ、インフルエンザ発症歴の無い従業員101人のうち84%に抗H5N1ウイルス抗体を検出（不顕性感染）した。
- ・ ジカウイルス感染症について、発症初期に血中で増加するウイルスRNAを簡便かつ迅速に検出する診断キットを開発し、さらにブラジルでの臨床性能試験を開始した。

### II 平成29年度以降の主な取組方針

引き続き薬剤耐性菌を含む病原体全ゲノムデータベースの拡充を推進し、薬剤ターゲット部位の特定及び新規抗菌薬・迅速診断法等の開発・実用化を推進する。また、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を行うなど、新たな診断薬、抗菌薬・抗ウイルス薬、ワクチンの開発等に資する研究開発を推進し感染症対策を強化する。

# 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29年度予算額 65億円(一部再掲)

インハウス研究機関経費  
平成29年度予算額 17億円

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。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

## ● 感染症研究革新イニシアティブ

平成29年度予算額 7.2億円

感染症の革新的な医薬品の創出を図るため、病原性の高い病原体等に関する創薬シーズの標的探索研究、BSL4施設を中核とした感染症研究拠点に対する研究支援及びそれを支える研究者の育成等を行う。

## ● 新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業

平成29年度予算額 19.7億円

- 公衆衛生上の観点から、国内外の様々な病原体に関する疫学的調査及び基盤的研究並びに予防接種の有効性及び安全性の向上に資する研究を実施し、感染症対策及び診断薬・治療薬・ワクチン開発等を一体的に推進する。
- 国内外の病原体に関する全ゲノムデータベースを構築することで、病原体情報をリアルタイムに共有し、感染症の国際的なリスクアセスメントを可能とする。また、集積された情報を分析することで、重点的なサーベイランスを実施するなど、感染症流行時の迅速な対応の促進に貢献する。

## ● 国立感染症研究所 インハウス研究

インハウス研究機関経費  
平成29年度予算額 17.2億円

## ● 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業

平成29年度予算額 21.0億円<<再掲>>

### 連携・協力

- 若手研究者の派遣、研修
- 海外の病原体情報の共有、リスクアセスメント 等

## ● 感染症研究国際展開戦略プログラム

平成29年度予算額 17.3億円

海外研究拠点を活用し、各地でまん延する感染症の疫学研究及び診断治療薬等の基礎的研究を推進する。

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

■ 文科省、■ 厚労省

企業/ベンチャー等による  
研究・実用化の推進

実用化(市販・医療現場への普及等)

研究開発

支援基盤

## 【2020年までの達成目標】

- 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

## 1. マウスノロウイルス感染受容体（レセプター）の発見

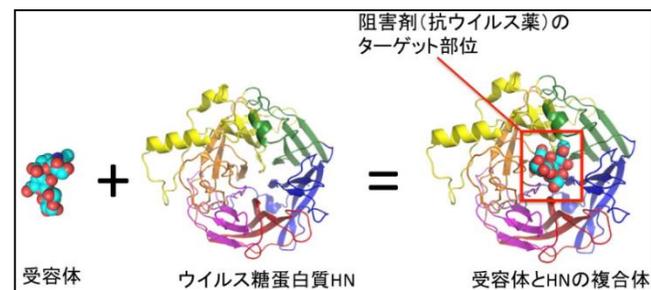
### 研究概要

- ・ これまでノロウイルス感染の中心的な役割を果たすレセプターは、血液型を決定する糖鎖（HBGA）やシアル酸などの分子（レセプター）などの糖鎖と考えられてきた。
- ・ マウスノロウイルスのレセプターが、細胞の表面にあるタンパク質CD300lf、CD300ldであることを発見し、ノロウイルスの細胞への侵入、感染機構が初めて明らかにした。（PNAS, 113 41:E6248-E6255 2016.）

## 2. 流行性耳下腺炎（おたふくかぜ）の原因ウイルスの受容体構造を解明

### 研究概要

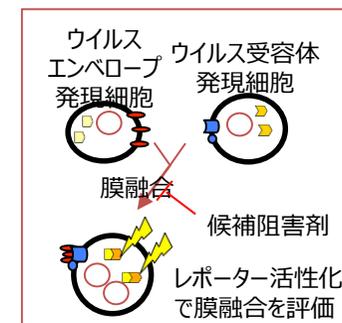
- ・ ムンプスウイルス感染が原因である流行性耳下腺炎（おたふくかぜ、ムンプス）は、日本だけでも小児を中心に毎年数十万人の患者が出ている重要な全身性ウイルス感染症であり、無菌性髄膜炎、感音性難聴、脳炎、精巣炎、卵巣炎、膵炎など種々の合併症を引き起こす。
- ・ ムンプスウイルスがヒトに感染するために利用する受容体の構造を解明し、ウイルス糖蛋白質と結合した状態を原子レベルの分解能で可視化することに成功した。（PNAS 113 41:11579-11584. 2016）



## 3. 中東呼吸器症候群（MERS）コロナウイルスの感染阻害剤の同定

### 研究概要

- ・ 2012年に初例が報告された中東呼吸器症候群（MERS）は、特異症状を欠き、初期の確定診断が困難かつ有基礎疾患患者では40%の致死率を持つとされる。
- ・ 原因ウイルス（MERSコロナウイルス）の膜融合をウイルスを使用せずに再現し、その候補阻害剤を高効率にスクリーニングできる測定系（右）を構築し、ウイルス感染初期過程を効果的に阻害する薬剤nafamostatを見出した。（Antimicrobial Agents and Chemotherapy, 60 11 6532-6539, 2016）



#### 4. 特異的阻害物質を用いたMCR-1産生株の簡便迅速検査法の開発

##### 研究概要

・「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業」において、重要な抗菌薬として位置付けられるコリスチンの耐性因子である*mcr-1*を簡便・迅速に検出する試験法の構築に向けた研究を行い、コリスチン耐性因子*mcr-1*を簡便・迅速に検出する試験法の構築に必要な物質\*を発見した。

\* *mcr-1* 遺伝子産物の阻害剤



#### 5. 病原性鳥インフルエンザH5N1ウイルスに対する抗体保有調査

##### 研究概要

・H5N1ウイルスでは、呼吸器疾患の発症を伴わない不顕性感染を含んだ感染者あたりの発症率及び致死率が未だ明らかにされていない。本研究では2012年より5年間に渡るインドネシア生鳥市場従業員における鳥インフルエンザウイルス感染の疫学調査を行い、多数の不顕性感染者が存在することを明らかにした。本知見は、今後の新型インフルエンザ対策の策定において考慮すべき重要な新知見である(J Infect Dis. 214, 12 1929-1936, 2016)。



インドネシア  
生鳥市場家禽  
**高病原性H5N1ウイルス**  
↓  
従業員84%感染  
**不顕性感染**

#### 6. ジカウイルス感染症の迅速診断法開発

##### 研究概要

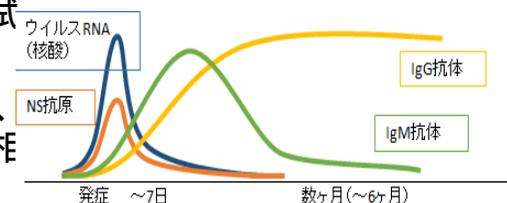
・平成27-28年に中南米で流行したジカウイルス感染症について、RT-LAMP法を応用した簡便で迅速な診断キットを開発し、平成28年12月よりブラジルでの臨床性能試験を開始した。

・引き続き、臨床性能試験等、薬事承認申請に必要なデータの収集を行うとともに、得られたデータの解析により必要な製品の改良を図る。平成29年度もPMDAとの相談を実施し、早期の薬事承認申請を目指す。



媒介蚊  
(ネツタイシマカ)

出典: 国立感染症研究所HP



## ⑨難病克服プロジェクト

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、各省が連携して全ての研究プロセスで切れ目ない援助を行うことで、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。

### I 平成28年度の主な実行状況・成果

#### 1. 難病の病態解明

- ・ 網羅的遺伝子解析により筋肉の障害や筋力低下をきたす難病である先天性ミオパチーの新たな責任遺伝子(MYPN)を発見した。
- ・ 原発性免疫不全症の診断困難例において、責任遺伝子であるSTAT1遺伝子の変異の病的意義を高精度に予測するツールとして、網羅的アラニンスキャンニングを用いた参照データベースを確立した。

#### 2. 効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等

- ・ 今後更なる医薬品、医療機器等の薬事承認（実用化）が期待される24課題で医師主導治験を実施した。

#### 3. その他の事例

- ・ 血液検査で早期にミトコンドリア病と特定することが可能な画期的な診断バイオマーカーGDF15を発見し、ミトコンドリア病が診断可能となった。
- ・ 内転性痙攣性発声障害を対象とした、平成27年度に先駆け審査指定制度の品目に指定されたチタンブリッジを用いた甲状軟骨形成術2型の効果について、平成28年度に医師主導治験を実施し、総括報告書の作成に至った。

### II 平成29年度以降の主な取組方針

- ・ 引き続き、難病の克服につながるような、医薬品や医療機器の実用化を目指した医師主導治験等を推進するとともに、疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・治療法開発研究を推進していく。
- ・ 未診断疾患イニシアチブ（IRUD）で得られた成果を発展させて、国際連携の推進や、診断率の向上、原因遺伝子の機能解析等を通じて治療法開発につなげる研究（IRUD Beyond）や、ゲノム編集技術を活用した画期的な治療法開発につながる研究を推進していく。

# 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29年度予算額 142億円（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

## ● 難治性疾患実用化研究事業

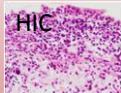
平成29年度予算額 84.4億円

■文科省、■厚労省

### ・ 病態解明研究・IRUD beyond(仮)・シーズ創出研究・治験準備研究・治験実施研究

医薬品・医療機器等の医療技術の実用化を目指した病態解明、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）

・ハンナ型間質性膀胱炎の新規治療法開発に関する研究



・重症薬疹における特異的細胞死誘導受容体をターゲットにした新規治療薬開発



・細胞内シグナル伝達異常による先天奇形症候群の病態解明と治療法開発



・網膜色素変性に対するウノプロストン徐放デバイス



・痙攣性発声障害に対するチタンブリッジを用いた形成術



・ALSに対するHGF髄腔内投与



### ・ 未診断疾患イニシアチブ(IRUD)・遺伝子解析拠点・生体試料バンク

希少・難治性疾患の遺伝学的解析等を行う研究基盤の構築、創薬につながる原因遺伝子の同定など

連携・協力、情報共有

平成29年度予算額 21.0億円<<再掲>>

連携・協力、情報共有

## ● 臨床ゲノム情報統合データベース事業

## ● H29年度～『疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム』

平成29年度予算額 10.5億円<<再掲:難病関連部分>>

疾患特異的iPS細胞の利活用を促進するとともに、病態解明、創薬研究等を加速

創薬・新規治療法開発

導出

難病患者への還元

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

連携・協力、情報共有

## ● 再生医療実用化研究事業

平成29年度予算額 25.9億円<<再掲>>

連携・協力、情報共有

企業ベンチャー等による研究・実用化の推進

実用化（市販・医療現場への普及等）

研究開発

支援基盤

国際希少疾患研究コンソーシアム(IRDiRC)における国際連携

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

## 【2020年までの達成目標】

○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、遠位型ミオパシーなど）

○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

○未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を5件以上達成

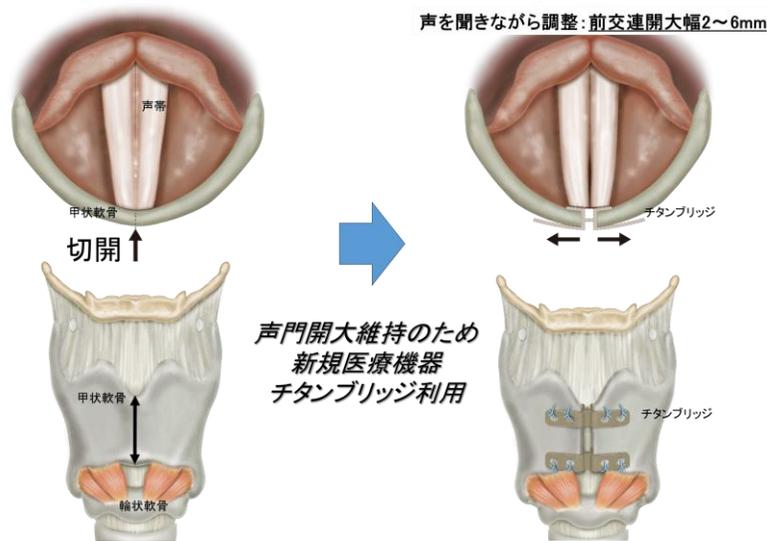
## ● チタンブリッジ(対象:内転型痙攣性発声障害)

### 研究概要

チタンブリッジ(甲状軟骨形成術2型)が、平成28年2月10日付けで先駆け審査指定制度の対象品目に指定された。現在、AMED委託費「難治性疾患実用化研究事業」で実施している研究開発課題「内転型痙攣性発声障害に対するチタンブリッジを用いた甲状軟骨形成術2型の効果に関する研究」において、製造販売承認を目的とした医師主導治験を実施し、総括報告書の作成に至った。

## チタンブリッジを用いた甲状軟骨形成術2型

コンセプト:発声時の声門過閉鎖の防止



# ⑩その他（健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発等）

複数の疾患領域における研究基盤的性質を有する研究開発の横断的な取組（横断型事業）や、社会的・臨床的に医療上の必要性・重要性が高い疾患領域に関する取組（疾患領域対応型事業）を推進する。

## I 平成28年度の主な実行状況・成果

### ①生活習慣病、循環器疾患、呼吸器系疾患、筋骨格系・結合組織疾患、泌尿器系疾患に関する研究

- 全国的な循環器病のデータベースに基づいた診療の質評価を行い「見える化」し、循環器病診療の質均てん化・向上
- **高脂肪食動物モデル(マウス)によるメガリンを介した腎障害メカニズムの解明**

### ②小児・周産期の疾患に関する研究

- ジカウイルスによる母子感染の問題に対して迅速に対応し、国内の診療体制構築を確立し、ジカウイルス感染症に関するQ&Aを作成
- 日本赤十字社の献血血液が研究に活用可能となったことを受け、公募課題を設定し、性差に基づく薬物療法の有効性・安全性の評価研究を開始

### ③身体機能障害や高齢者のQOLを低下させる疾患に関する研究

- ロービジョンケアのための地域ネットワーク・システム開発と日本版スマートサイトの開発
- **微弱なノイズ電流により、高齢者の体のバランスが持続的に改善させる方法を開発**

### ④免疫アレルギー疾患等に関する研究

- 喘息等の重症アレルギー疾患に関わる蛋白質MyI9/12を同定し、発症のメカニズムを解明
- 食物(卵)アレルギー予防にアトピー性皮膚炎治療と、原因食物の早期摂取が重要である旨を報告

### ⑤エイズ及び肝炎対策に資する研究

- HIV感染症の抗体治療薬・ワクチン・化学療法薬に係る企業導出へ向けた非臨床試験の加速 等
- C型肝炎からの発がんに関する因子の探索と検査キットの開発の加速 等

### ⑥医療分野研究成果展開事業(ACT-M、A-STEP)

- 日本オリジナルの無電源・完全埋め込み型の新規聴覚機器(人工聴覚上皮)の開発の推進(ACT-M)
- 医薬品利用を指向したリボヌクレオチド関連化合物の大量合成技術の開発(A-STEP)

### ⑦ICTに関する研究

- **3学会(日本病理学会、日本医学放射線学会及び日本消化器内視鏡学会)をとりまとめ、将来展望を見すえた悉皆性のある画像等データベースを構築する研究等に着手**

### ⑧革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST、PRIME、LEAP)

- 喘息や好酸球性副鼻腔炎などの難治性のアレルギー疾患発症の鍵となるタンパク質を発見し発症のメカニズムを解明
- **ラット体内に作製したマウス多能性幹細胞由来膵臓で糖尿病マウスの治療に成功**

### ⑨メディカルアーツに関する取り組み

- AMED発の取り組みとして、メディカルアーツ(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)の開発及び普及に関する研究を立ち上げ。機構が継続的に推進すべきとして、健康・医療戦略等に位置付けられた

## ○医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)

- 政府出資を活用して革新的な新薬・医療機器等の創成に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発および環境整備を促進するため、リバーストランスレーションリサーチ基盤の形成・強化、医療分野のオープンイノベーション基盤の形成・強化、医療分野の実用化開発等を行う。第1回の公募を平成29年3月に開始

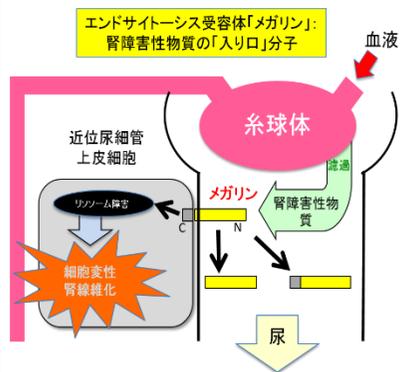
## II 平成29年度以降の主な取組方針

- ・引き続き、健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発等について推進する。

# [平成28年度の主な実行状況・成果について]

## メガリンを標的とした腎機能温存・再生療法の開発【①】

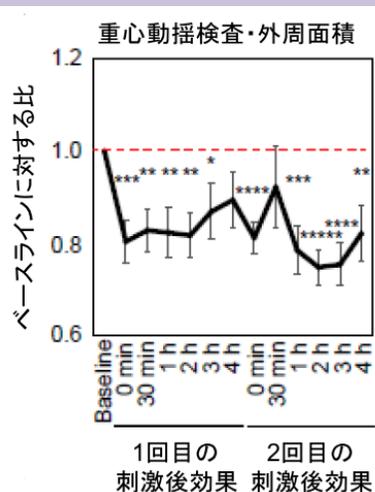
メガリンを「入り口」とした腎障害のメカニズム



➤ 糖尿病性腎症などの慢性腎臓病および、薬剤性腎症などの急性腎障害の病態に関連する分子「メガリン」について、早期診断や予後予測の新規バイオマーカーとしてだけでなく、有望な治療標的としての意義を見出した。

＜難治性疾患等克服研究事業  
(腎疾患実用化研究事業)＞

## 微弱なノイズ電流により、高齢者の体のバランスが持続的に改善【③】



➤ 耳の後ろに装着した電極より微弱なノイズ電流を加える、経皮的ノイズ前庭電気刺激(nGVs)を30分間行うことにより、身体バランスの著明な改善が、刺激を停止した後も数時間にわたり見られた。

＜障害者対策総合研究事業  
(身体・知的障害分野)＞

## 異なる3学会の悉皆性のある画像等データベースを構築する研究等に着手【⑦】

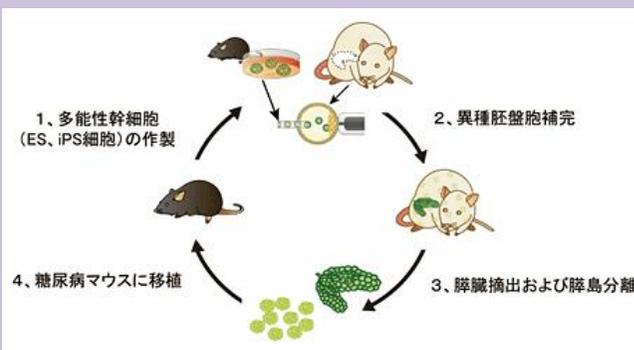


➤ 病理・内視鏡・放射線の学会ごとに集約される画像データを共通データベースへ集積するため、データの標準化等の観点から課題解決等も含めた研究に着手

＜臨床研究等ICT基盤構築研究事業＞

## ラット体内に作製したマウス多能性幹細胞由来膵臓で糖尿病マウスの治療に成功【⑧】

➤ 膵臓欠損ラット体内にマウス多能性幹細胞由来の膵臓を作製し、膵島を糖尿病モデルマウスに移植したところ正常血糖値を維持させることに成功



➤ 異種動物体内で作製した臓器を利用した移植治療の有効性と安全性、概念を実証

＜革新的先端研究  
開発支援事業＞