

「平成27年度 医療分野研究開発の主な成果」

平成28年6月6日
内閣官房 健康・医療戦略室

(目次)

I. 臨床研究・治験への移行等	2
II. 承認・実用化(承認申請・承認)	4
III. 特許申請・登録等	5
IV. 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施	6

<参考資料>

① 平成27年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例)	8
② 平成27年度に行われた承認申請・承認等(例)	19
③ 平成27年度に行われた特許申請・登録等(例)	22
④ 各省連携による切れ目のない支援の実施例	26

I. 臨床研究・治験への移行等①

1. コメ型経口ワクチン（革新的医療技術創出拠点プロジェクト）

(1) 研究開発の進捗状況

主に発展途上国の居住者や旅行者に発症する腸管下痢症に対するコメ型経口ワクチンの実用化に向け、平成26年度のGLP対応製造体制の確立に続き、平成27年5月には医師主導FIH治験が開始された。

(2) 今後の予定：

平成28年度までに第1相治験を終了し、第2相治験の実施へ移行後、早期の薬事承認取得を目指す。

※ GLP:Good Laboratory Practice、FIH:First in human、GMP:Good Manufacturing Practice



2. 逸脱を伴う半月板損傷に対する再生医療（再生医療の実現化ハイウェイ構想）

(1) 研究開発の進捗状況

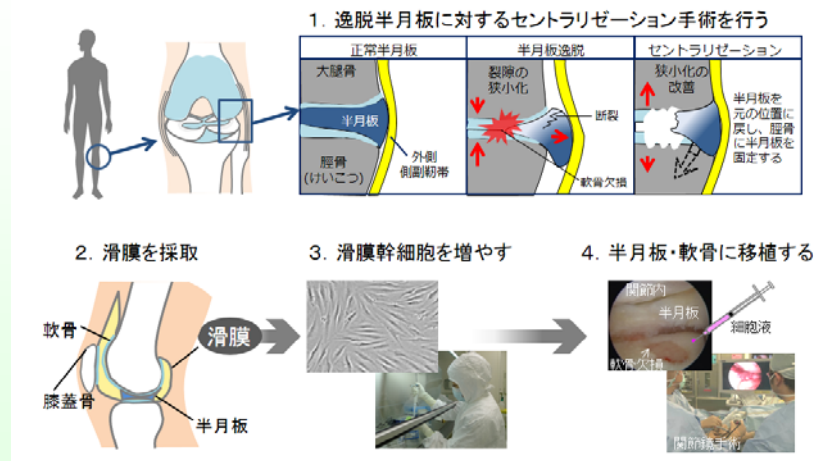
臨床研究「逸脱を伴う膝半月板損傷の滑膜幹細胞による治癒促進」を平成27年7月に開始した。

平成27年12月までに全10例の投与が終了し、現在、術後観察期間。

(2) 今後の予定：

平成28年度中に臨床研究を終了予定。

臨床研究「逸脱を伴う膝半月板損傷の滑膜幹細胞による治癒促進」の概要



I. 臨床研究・治験への移行等②

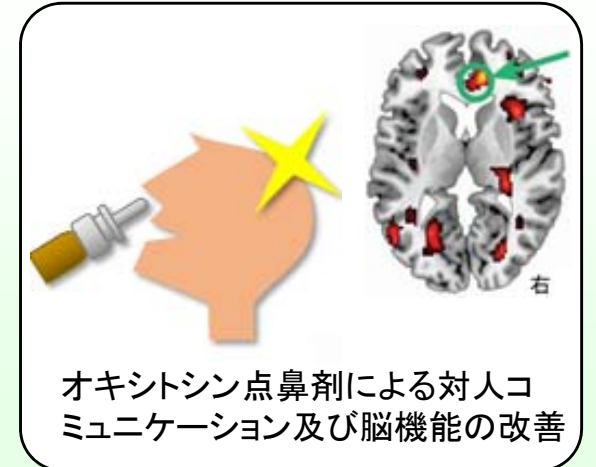
3. 自閉スペクトラム症の治療法開発 (脳とこころの健康大国実現プロジェクト)

(1) 研究開発の進捗状況

自閉スペクトラム症の中核症状である対人場面でのコミュニケーションの障害が、オキシトシン点鼻剤の連続投与によって改善すること、及び、脳機能の改善を伴うことを世界で初めて実証した(平成27年9月)。

(2) 今後の予定:

東京大学、名古屋大学、金沢大学、福井大学の4大学が連携し、被験者数を増やして効果や安全性を確認する臨床研究を継続して進める。
また、新規改良製剤の開発を進める。



4. 不活化経鼻インフルエンザワクチンの開発 (新興・再興感染症制御プロジェクト)

(1) 研究開発の進捗状況

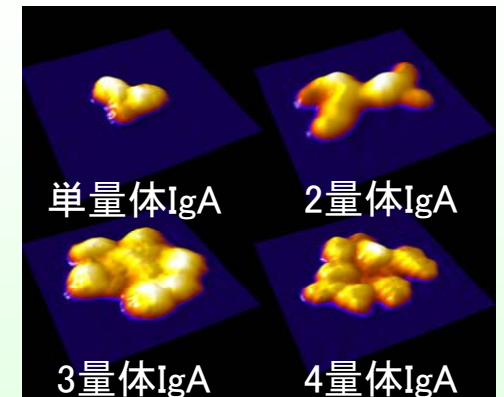
(一財)阪大微生物病研究会により国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチン第I相臨床試験を開始した(平成27年10月)。

多量体IgA抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した(平成27年6月)。

(2) 今後の予定

ワクチン製造方法やアジュバントの最適化、宿主免疫応答の解析、第2相及び第3相臨床試験における有効性評価等の検討を行いワクチンの実用化を進める。

新型インフルエンザA(H5N1)、A(H7N9)に対応できる経鼻インフルエンザワクチンの開発を目指す。



Ⅱ. 承認・実用化(承認申請・承認)

1. 老視(老眼)の定量的診断機能付き前眼部撮影装置 (オールジャパンでの医療機器開発)

(1) 概要

レーザー(波長1575nm)による光弾性波で水晶体の弾性を測定し、老視の進行度合を判定する機器を開発し、平成27年5月に、クラスⅡの「眼撮影装置」として医療機器の認証を取得。

(2) 今後の予定

波長385nmのレーザーの方が300倍以上測定効率が高いことが判明。このため、平成28年7月頃から慶応大学医学部において、本効果の確認実験を行い、試作機の仕様を検討する予定。

・平成29年中に製品試作機を完成させ、平成30年中に再度認証申請を行い、その後国内への上市を予定。並行して海外へ承認申請も予定。



2. 「HAL医療用下肢タイプ」の承認・保険適用 (難病克服プロジェクト)

(1) 概要

ロボット治療機器「HAL医療用下肢タイプ」について、「難治性疾患実用化研究事業」において適応症の拡大に向けた医師主導治験を実施した(平成27年4月)。

また、平成27年11月25日付けで製造販売承認を取得、平成28年1月27日付けで保険適用が決定した(脊髄性筋萎縮症や筋萎縮性側索硬化症などの患者を対象。)

(2) 今後の予定

「難治性疾患実用化研究事業」において、適応拡大に向けた医師主導多施設共同治験を実施しており、平成28年9月に終了を予定している。



Ⅲ. 特許申請・登録等

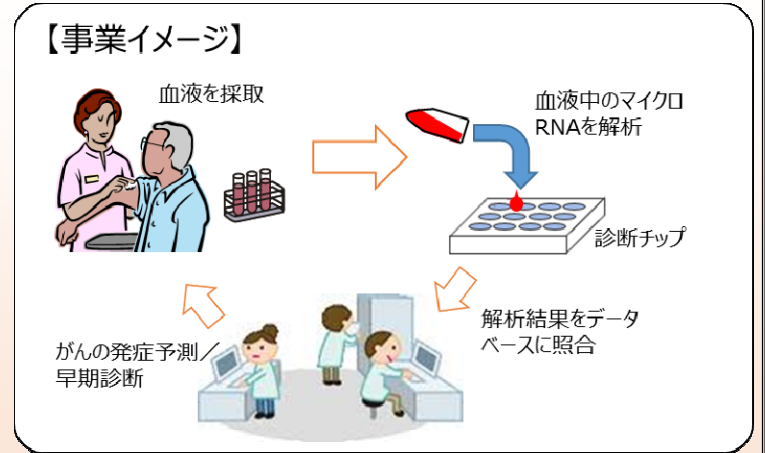
1. 体液中マイクロRNA測定技術基盤開発 (オールジャパンでの医薬品創出)

(1) 概要

13種類のがん及びアルツハイマー病について、採血という低侵襲の手法で早期に発見するためのマーカー(マイクロRNAの組合せ)探索を行い、乳がんや大腸がんの早期診断に有用なマーカーの発見に成功した(平成27年9月)。また、乳がん、大腸がんを含めて9種類のがんについて、特許を出願した(平成27年5月-6月)。

(2) 今後の予定

発見されたマーカー候補のうち、精度の高いものについては実証研究を進め、早期の承認取得を目指す。



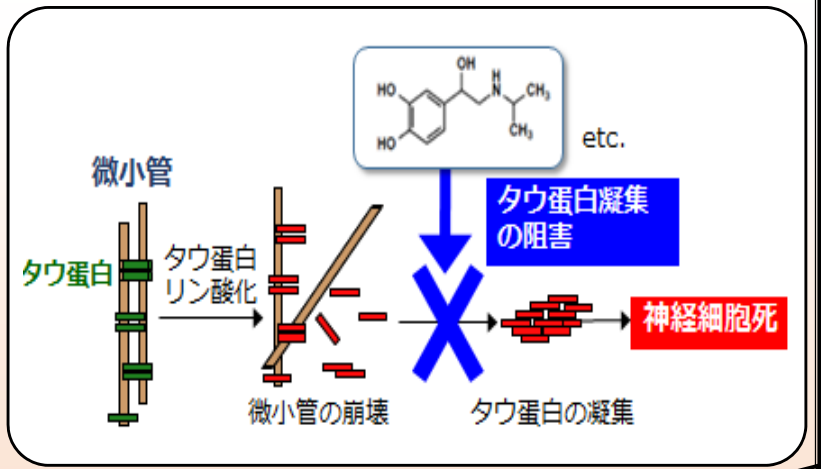
2. 認知症の予防・治療のための化合物群の同定 (脳とこころの健康大国実現プロジェクト)

(1) 概要:

認知症の予防・治療のための組成物として、2-アミノヒドロキノン誘導体、およびタウ凝集阻害剤に関する国際特許を出願した(平成27年9月)。

(2) 今後の予定:

ヒト臨床試験への適用を視野に入れ、最適化合物の選抜や、アルツハイマー病モデル動物での検証、安全性試験等の研究開発を進める。



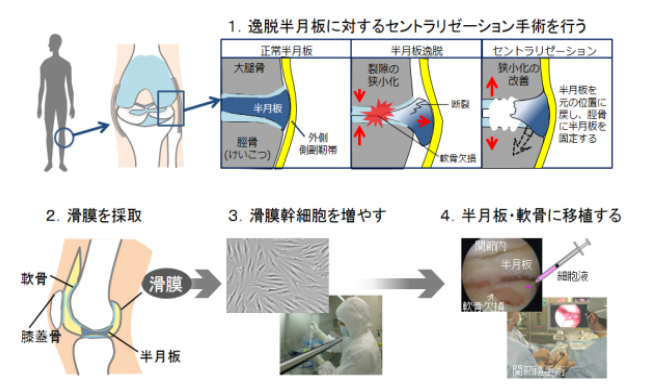
IV. 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施

1. 再生医療の実現化ハイウェイ構想

(1) 平成27年度の取組

非臨床段階から臨床段階の研究開発を連続的に支援できるよう、文部科学省と厚生労働省が協働して、事業の課題推進を実施した。経済産業省事業で得られた基盤技術を文部科学省事業と厚生労働省事業の参画研究機関に技術提供し、評価・検証した。

臨床研究の概要



(2) 具体的事例 (切れ目のない研究支援の実施例)

「滑膜幹細胞による膝半月板再生」東京医科歯科大学 **再掲** 臨床研究「逸脱を伴う膝半月板損傷の滑膜幹細胞による治癒促進」を平成27年7月に開始。

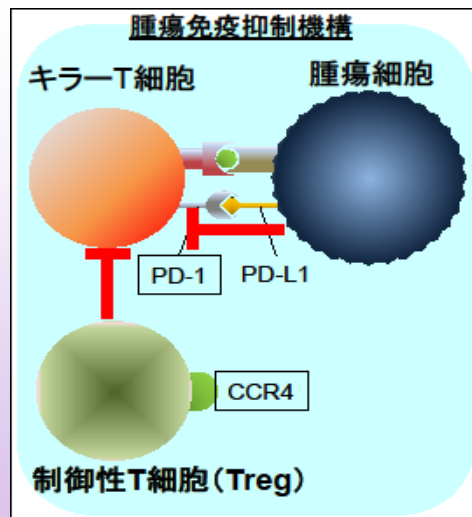
2. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

(1) 平成27年度の取組

文部科学省「次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム」の中で進捗が良好な3研究課題について、平成27年度途中に厚生労働省「革新的がん医療実用化研究事業」に導出した。このように、年度の終了を待つことなく、研究開発の局面に応じた適切な支援制度で研究開発を推進した。

(2) 具体的事例 (導出した課題例)

- がん免疫療法における適切なバイオマーカー等を検証し、消化器がんに対する複合免疫療法の医師主導治験の準備に着手した。
- 難治性乳がんモデルに対して慢性肝炎治療薬を投与する非臨床試験を実施し、医師主導治験に導出した。
- 腫瘍内低酸素を標的とする抗腫瘍性融合タンパク質製剤を開発し、臨床応用に向けた製剤開発に着手した。



<参考資料>

① 平成27年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 1/7

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
オールジャパンでの医薬品創出	
デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)に対するエクソン53スキップ治療薬(NS-065/NCNP-01)の早期探索的臨床試験	企業治験と並行して平成28年度中に臨床機能評価項目を探索するアウトカムメジャー研究等も実施し、早期の承認申請を目指す。
PAI-1阻害に基づく新規放射線障害治療薬の臨床開発	平成28年度中に臨床POCを取得後、速やかに企業治験(第3相試験)へ導出予定。 ※POC: Proof of Concept
胃癌腹膜播種に対する5-アミノレブリン酸を用いた光学的診断	平成28年度は引き続き探索試験を実施し、安全性、有効性、薬物動態を評価、至適投与量を決定する。
急性脊髄損傷患者に対する顆粒球コロニー刺激因子を用いたランダム化、プラセボ対照、二重盲検並行群間比較試験第3相試験	関連機関と連携して医師主導治験を継続して実施する。平成30年度に薬事承認申請を目指す。
小児の再発・難治性ホジキンリンパ腫(HL)及び未分化大細胞リンパ腫(ALCL)に対するブレンツキシマブベドチン(遺伝子組換え)の開発	平成28年度は引き続き日本小児白血病リンパ腫研究グループ(JPLSG)のネットワークを使用し早期の被験者登録を目指す。
高リスク胚芽腫に対するイリノテカン、ビンクリスチン、テムシロリムス併用療法の有効性に関する国際共同臨床試験	平成28年度中に本邦での症例登録を継続し、奏効率を検討する中間解析を実施する。

① 平成27年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 2/7

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
オールジャパンでの医療機器開発	
麻痺した運動や知覚の機能を回復する医療機器・システムの研究開発	平成28年度治験開始予定
注視点検出技術を活用した発達障がい診断システムの開発	平成29年度治験開始予定
生体多光子励起イメージング技術を利用した新規低侵襲・高解像度がん診断装置の開発	平成28年度に臨床研究の対象を他のがん種試料へ拡大予定
食道の良性狭窄に対する生分解性ステントの研究開発	平成28年7月に企業治験開始予定
磁気刺激による疼痛治療装置の研究開発	平成29年度内に医師主導治験終了
ステントレス僧帽弁の研究開発	平成29年度内に先進Bにおける全手術(25例)完了
革新的医療技術創出拠点プロジェクト	
腸管下痢症コメ型経口ワクチンの治験	平成28年度も継続して医師主導治験・FIHを実施
復帰変異モザイクを応用した先天性難治性皮膚疾患に対する自家培養表皮シート療法	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
PAI-1阻害活性に基づく臍帯血移植後の造血機能改善薬の開発	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
低侵襲・高効率な歯周治療実現のための局所制御型ラジカル殺菌治療器の開発	平成28年度も継続して医師主導治験を実施

① 平成27年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 3/7

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
骨格筋修復促進剤の治験	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
HSP105ペプチドワクチンの治験	平成28年度も継続して医師主導治験・FIHを実施
腹圧性尿失禁に対する構造再生医療の開発	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
抗HIV-1核酸系逆転写酵素阻害薬アバカビルの成人T細胞白血病への適応拡大に関する臨床研究	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
多剤不応進行再発食道癌に対するFTD/TPI合剤(TAS-102)の有効性及び安全性に関する第2相臨床試験	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
特発性大腿骨頭壊死症におけるbFGF含有ゼラチンハイドロゲルによる壊死骨再生治療の開発	平成28年度も継続して医師主導治験・FIHを実施
血管新生作用を有する新規ペプチドの虚血性潰瘍への応用	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
骨髄間葉系幹細胞動員因子を用いた末梢循環不全に伴う難治性皮膚潰瘍治療薬開発	平成28年度も継続して医師主導治験・FIHを実施
角膜上皮幹細胞疲弊症に対する自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植法の多施設共同臨床試験	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
結節性硬化症の皮膚病変に対する有効で安全性の高い治療薬の開発と実用化	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
化学療法抵抗性の悪性胸膜中皮腫患者を対象としたGEN0101の有効性検討(HVJエンペロープベクター)	平成28年度も継続して医師主導治験を実施

① 平成27年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 4/7

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
難治性疼痛に対する経頭蓋磁気刺激装置の開発	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
ドラッグデリバリーシステムを用いた急性心筋梗塞治療薬の開発	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
再発非小細胞肺癌における発癌遺伝子の網羅的検索同定と特定遺伝子異常(HER2)を有する患者への個別化治療確立を目指した基礎臨床橋渡し研究	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
放射線抵抗性表在癌に対する半導体レーザーを利用した温熱療法の機器開発とその臨床応用	平成28年度も継続してFIHを実施
軟骨再生治療用注射製剤の開発と臨床応用	平成28年度も継続してFIHを実施
弁置換術後 弁周囲逆流に対する経カテーテル的閉鎖術の安全性を検討する単施設探索的臨床試験	平成28年度も継続してFIHを実施
経カテーテルペーシングシステムの臨床試験	平成28年度も継続してFIHを実施
がん治療関連開発2件(企業治験により詳細非公表)	平成28年度も継続してFIHを実施
偏心モーターを用いた高齢者に優しい歯石除去装置の開発	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
重症急性膵炎に対する蛋白分解酵素阻害薬膵局所動注療法の有効性と安全性に関する研究	平成28年度も継続して医師主導治験を実施
再生医療の実現化ハイウェイ構想	
逸脱を伴う膝半月板損傷の滑膜幹細胞による治癒促進	平成28年度中に臨床研究終了の予定

① 平成27年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 5/7

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト	
がん免疫療法における抗CCR抗体によるTreg除去療法－抗体単独療法から複合免疫療法への医師主導治験	平成28年3月より第1相試験開始(18例予定)
トリプルネガティブ乳がんの転移後増殖をターゲットとした新規抗がん剤の開発	平成28年3月より第1相試験開始
脳とこころの健康大国実現プロジェクト	
自閉スペクトラム症の治療法開発	被験者数を増やして臨床研究を継続、及び新規改良製剤の開発を開始(平成28年度より)
自閉スペクトラム症の視線計測装置(Gazefinder)を用いた診断法の研究開発	治験対応機器とするための精度向上や治験プロトコル確立を目指し多施設共同臨床試験を実施(平成31年度まで)
新興・再興感染症制御プロジェクト	
経鼻インフルエンザワクチンの研究開発	平成28年度 第1相試験終了予定。

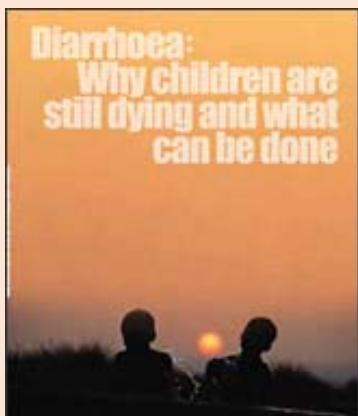
① 平成27年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 6/7

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
難病克服プロジェクト	
表皮水疱症に対する新たな医薬品の実用化に関する研究	平成28年9月 第1相試験終了予定
多系統萎縮症の治療法開発研究	平成28年6月 第1相試験終了予定
角膜上皮幹細胞疲弊症に対する自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植の医師主導治験	平成28年12月 治験終了予定
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	平成28年3月 薬事承認申請予定
希少難治性脳・脊髄疾患の歩行障害に対する生体電位駆動型下肢装着型補助ロボット(HAL-HN01)を用いた新たな治療実用化のための多施設共同医師主導治験の実施研究	平成28年9月 適応拡大治験(HAM等痙攣性対麻痺)終了予定
創修復作用を有する新規抗菌ペプチドを用いた遺伝的早老症患者の難治性潰瘍治療薬の開発	平成28年9月 第1、2a相試験終了予定
薬事申請をめざした治療法のない神経線維腫症 I 型のび慢性神経線維腫に対する有効で安全な局所大量療法薬開発のための医師主導治験	平成29年6月 治験終了予定
HAMに対する日本発の革新的治療となる抗CCR4抗体の実用化研究	平成28年12月 第1、2a相試験終了予定
多発性硬化症に対する新規免疫修飾薬の実用化に関する研究	平成28年7月 第2相試験開始予定

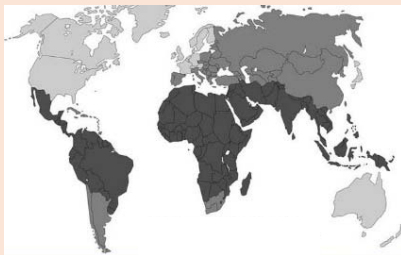
① 平成27年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 7/7

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
遠位型ミオパチーにおけるN-アセチルノイラミン酸の第2/3相試験	平成29年6月 第2、3相試験終了予定
小児期発症脊髄性筋萎縮症に対するバルプロ酸ナトリウム多施設共同医師主導治験の実施研究	平成29年6月 治験終了予定
肝細胞増殖因子(HGF)による筋萎縮性側索硬化症の治療法開発	平成30年3月 第2相試験終了予定
難治性炎症性腸疾患を対象としたアドレノメデュリン製剤による医師主導治験の実施	平成28年7月 第1相反復投与試験開始予定
重症肺高血圧症の予後と生活の質を改善するための安心安全のナノ医療製剤(希少疾病用医薬品)の実用化臨床試験	平成28年4月 第2a相試験開始予定
中性脂肪蓄積心筋血管症に対する中鎖脂肪酸を含有する医薬品の開発	平成29年1月 第2a、2b相試験開始予定
タウリンによるMELAS脳卒中様発作再発抑制療法の実用化	平成29年9月 長期投与試験投与終了予定
重症心筋症患者の生命予後改善・人工心臓離脱を目指した新規オキシム誘導体徐放性製剤による体内誘導型再生治療法の開発と実践	平成29年9月 第1、2a相試験終了予定
特発性大腿骨頭壊死症におけるbFGF含有ゼラチンハイドロゲルによる壊死骨再生治療の開発	平成30年3月 医師主導治験終了予定

主に発展途上国の居住者や旅行者に発症する腸管下痢症に対し、保存性や衛生面での利便性を飛躍的に向上させたコメ型経口ワクチンの医師主導FIH治験が開始となった（平成27年5月）。



下痢による死亡
約10万人(コレラ)



旅行者下痢症
約1000万人

解決

コメ型経口ワクチン



ワクチン遺伝子導入

GMP対応栽培システム

腸管粘膜免疫誘導



ワクチン
冷蔵保存困難



医療用廃棄物
処理困難



<参考2> 逸脱を伴う半月板損傷に対する再生医療 (再生医療の実現化ハイウェイ構想)

「滑膜幹細胞による膝半月板再生」 実施機関:東京医科歯科大学

- 文部科学省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」の成果について、厚生労働省「再生医療実用化研究事業」において、切れ目のない研究支援を実施
- 平成27年度前半に半月板損傷に対する臨床研究(5例)が完了。
- 平成27年7月からは、半月板が逸脱して機能が低下した患者に対して、半月板を元の位置に戻す操作(セントラリゼーション)を行い、滑膜幹細胞を移植することにより、膝関節の機能改善を期待する臨床研究を開始。
(国内で初めて受理された第2種再生医療等提供計画)

滑膜幹細胞による半月板再生

① 滑膜幹細胞は半月板に分化する

切除後に再生した半月板 青く染まる移植した細胞が残っている




② 関節内に注射すると滑膜幹細胞は半月板損傷部に接着し修復を促進する

顕微鏡像 蛍光像



臨床研究「逸脱を伴う膝半月板損傷の滑膜幹細胞による治癒促進」の概要

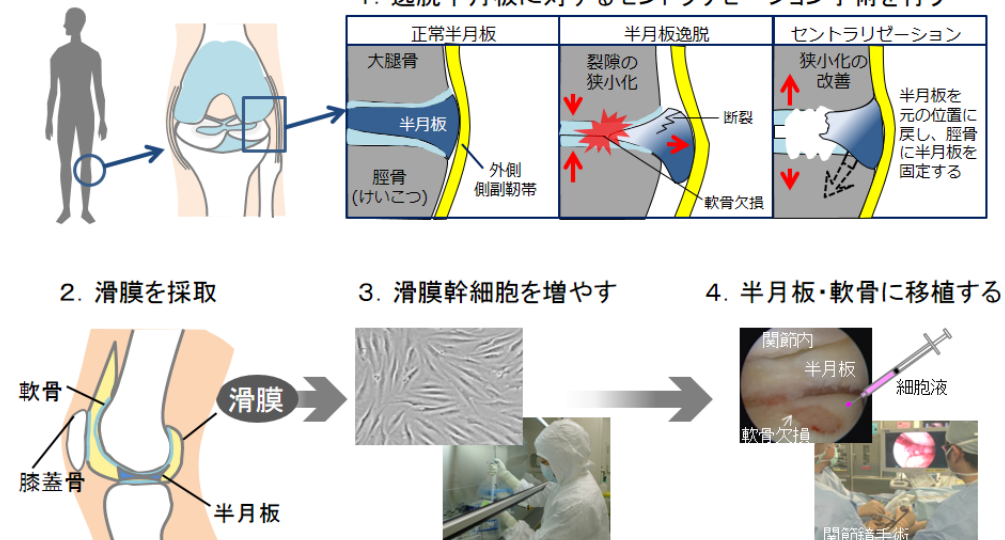
1. 逸脱半月板に対するセントラリゼーション手術を行う

正常半月板	半月板逸脱	セントラリゼーション
大腿骨 半月板 脛骨(けいこつ) 外側側副靭帯	裂隙の狭小化 断裂 軟骨欠損	狭小化の改善 半月板を元の位置に戻し、脛骨に半月板を固定する

2. 滑膜を採取

3. 滑膜幹細胞を増やす

4. 半月板・軟骨に移植する

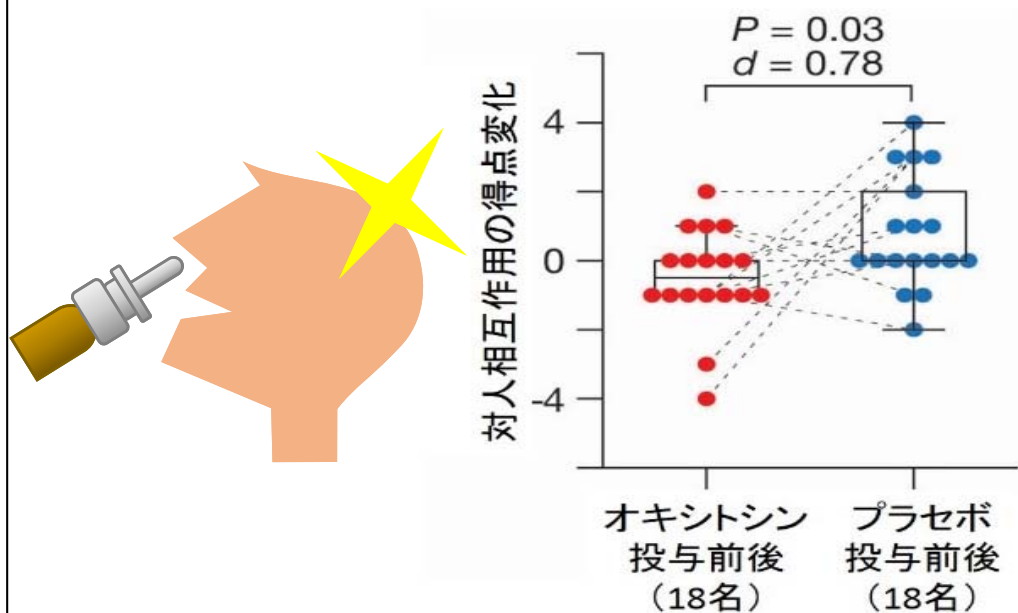


自閉スペクトラム症に対してオキシトシン経鼻剤連日投与が有効 <脳科学研究戦略推進プログラム>

自閉スペクトラム症（ASD）の中核症状である対人場面でのコミュニケーションの障害が、オキシトシン点鼻剤の連続投与によって改善すること、及び、脳機能の改善を伴うことを世界で初めて実証した。

実施機関：東京大学

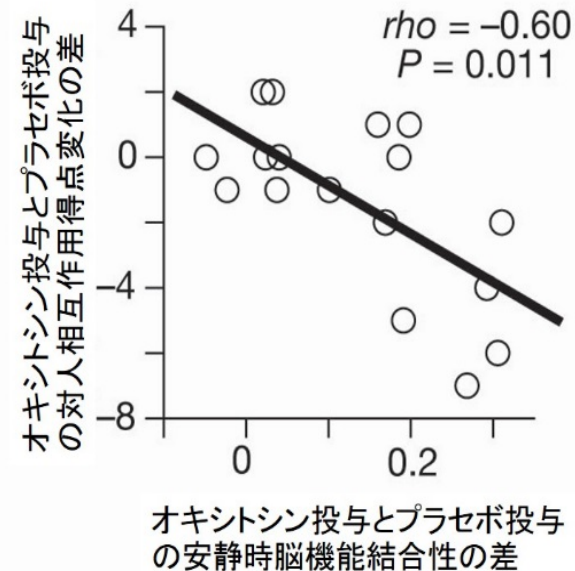
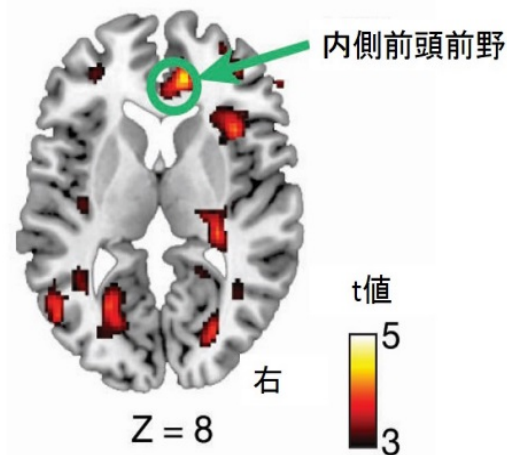
図1. 中核症状の軽減



オキシトシン投与前後では、プラセボ投与前後に比べて、ASDの対人コミュニケーション障害の改善が有意に認められた。

図2. 安静時脳機能結合性の上昇と中核症状の改善

オキシトシン投与とプラセボ投与の安静時脳機能結合性の差



脳の内側前頭前野の機能（安静時機能的結合）が改善し、この脳機能の改善が強い参加者ほど対人コミュニケーション障害の改善効果も強く認められた。

(注)自閉スペクトラム症（ASD:Autistic Spectrum Disorder）：対人相互作用の障害やこだわりなどを特徴とする発達障害。以前は自閉症と、知能障害や言語の障害を伴わないアスペルガー障害に分けられていたが、これら症状には連続性があることから、現在はまとめて自閉スペクトラム症と呼ばれている。

オキシトシン治療：脳の下垂体後葉から分泌されるホルモンの一種のオキシトシンを用いた対人コミュニケーション治療。オキシトシンは他者と信頼関係を築きやすくする効果などが報告され注目されている。

新規経鼻インフルエンザワクチンの開発・実用化に関する研究 （国立感染症研究所）

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

背景

- 季節性インフルエンザにより、本邦では毎年1000万人程度の患者が発生している。現在使用されている注射型のインフルエンザワクチンは感染に伴う重症化の阻止には有効であるが、感染防御には有効ではないため、ワクチン接種を受けてもインフルエンザを発症する場合がある。
- 新規経鼻インフルエンザワクチンは、①インフルエンザの感染を防御し、②多様な流行株にも効果（交差防御能）を有すると示唆されており、③さらに接種が簡便である。この新規経鼻インフルエンザワクチンの開発及び実用化を目指す。

平成27年度の主な研究成果

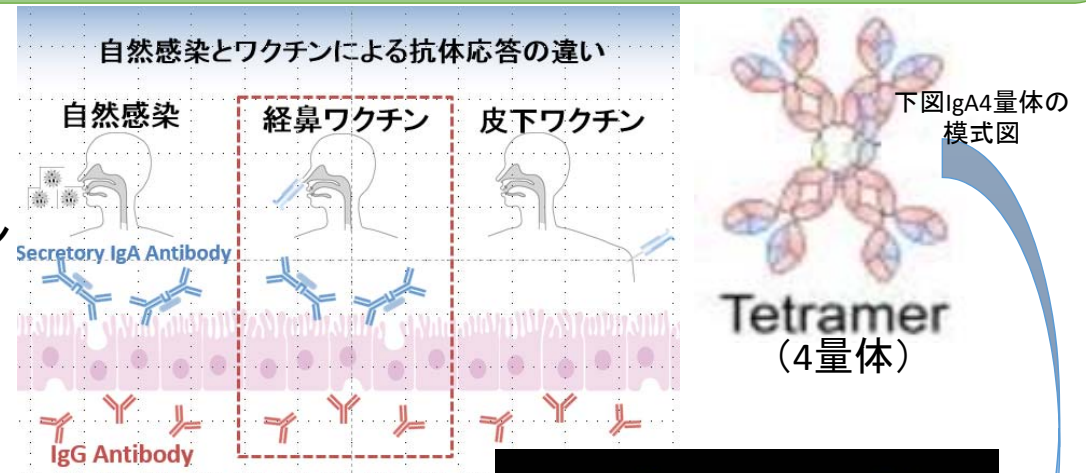
◆ 第I相臨床試験の開始

- 平成27年10月に（一財）阪大微生物病研究会により国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチン第I相臨床試験を開始。

平成27年6月9日
AMEDプレス発表

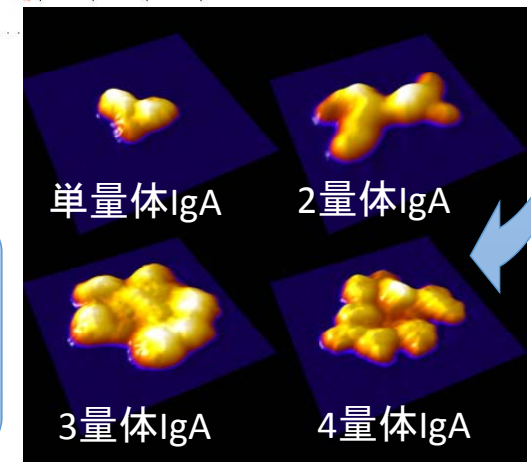
◆ 多量体IgA抗体の存在を確認

- 多量体IgA抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した。（PNAS 2015 Jun 23;112(25):7809-14.）



今後の研究

- (1) ワクチン製造方法やアジュバントの最適化、宿主免疫応答の解析、第II相及び第III相臨床試験における有効性評価等の検討を行いワクチンの実用化を進める。
- (2) 新型インフルエンザA(H5N1)、A(H7N9)に対応できる経鼻インフルエンザワクチンの開発を目指す。



② 平成27年度に行われた承認申請・承認等(例)

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
オールジャパンでの医療機器開発	
水晶体弾性度測定による老視(老眼)の定量的診断機器の開発	平成30年上市予定
革新的医療機器の実用化に関する研究開発: 上部消化管内視鏡術用のデバイス(クラスⅡ)について承認を取得	平成28年度 小規模臨床評価予定
内視鏡下手術において低侵襲且つ術者のスキルによらず正確な皮膚切開創幅と深さを再現できるメスの開発	平成28年1月上市済み
革新的医療技術創出拠点プロジェクト	
骨格筋芽細胞シートが薬事承認を取得	平成28年度 適応拡大のための医師主導治験の終了を目指す
難病克服プロジェクト	
ロボット治療機器「HAL医療用下肢タイプ」	適応拡大に向けた医師主導多施設共同治験を実施中(平成28年度まで)
コンタクトレンズ(対象: スティーヴンス・ジョンソン症候群等の眼後遺症)	治療ガイドラインを作成中(平成28年度まで)

水晶体弾性度測定による老視(老眼)の 定量的診断機器の開発

(株)コーナン・メディカル、理化学研究所、慶應大医学部・SFC研究所

老視の他覚的かつ定量的な診断を行う装置は今まで存在しない

- 老視(老眼)は40代半ば過ぎの誰にでも発症するが、現在は、自覚症状に基づき老視を確定している。水晶体の硬化が一定以上進行しないと自覚症状は現れないため、初期段階での予防的診断方法が求められている。
- 本機器が実用化されれば、眼科での老視診断等に加え、眼鏡店における老視診断市場も期待できる。

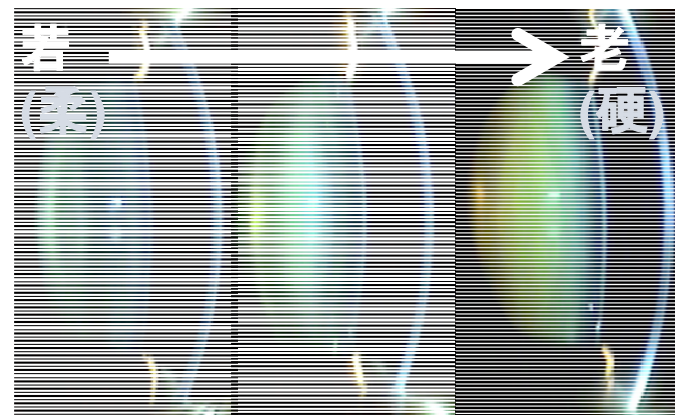
水晶体の弾性測定で老視を判定

- 微弱なパルスレーザーによる光弾性波で水晶体の弾性係数を算出する。
- 水晶体の微小な硬化を検出することにより、老視の予防と治療にとどまらず、白内障の予防的介入へ発展する可能性がある。
- 生活習慣への介入などにより老視の進行を遅らせるとともに、老化に伴うQOLの低下を抑止できる。

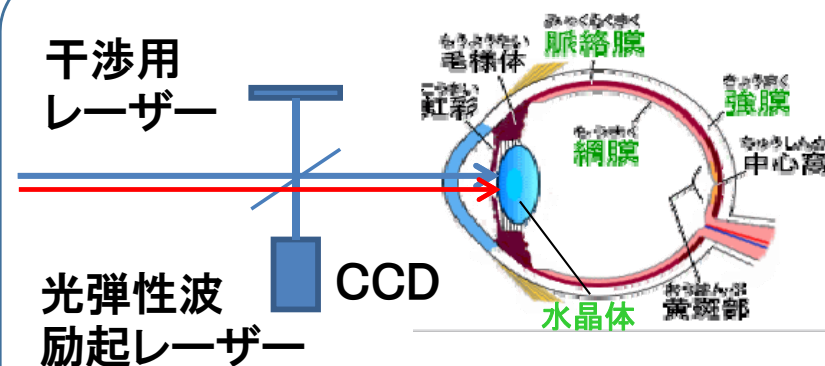
(株)コーナン・メディカル:『見たい』を『見えるに』

スペキュラーマイクロスコープの製造・販売実績世界No.1の技術力・販売力を基に老視診断装置を理化学研究所及び慶應義塾大学と共同開発し、世界へ展開。

(兵庫県西宮市、資本金6,870万円、従業員数55名)



老化による水晶体変化

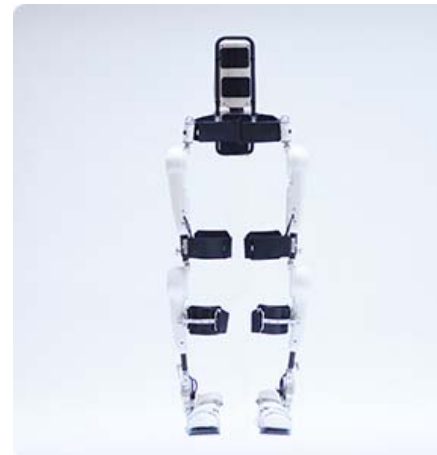


老視診断装置概略。干渉パターンの変化で判定

＜参考2＞「HAL医療用下肢タイプ」の薬事承認（難病克服プロジェクト）

○成果

ALSや遠位型ミオパチー等の希少性神経・筋難病の進行抑制治療における歩行不安定の患者を対象に2分間歩行テストの歩行距離を主要評価項目とした医師主導治験を国立病院機構新潟病院が中心となってい、平成27年3月に医療機器としての薬事承認申請を行った結果、平成27年11月25日付けで承認を取得した。



○承認内容

使用目的

本品は緩徐進行性の神経・筋疾患患者を対象として、本品を間欠的に装着し、生体電位信号に基づき下肢の動きを助けつつ歩行運動を繰り返すことで、歩行機能を改善することを目的として使用する。

対象疾患

脊髄性筋萎縮症(SMA)、球脊髄性筋萎縮症(SBMA)、筋萎縮性側索硬化症(ALS)、シャルコー・マリー・トウス病(CMT)、遠位型ミオパチー、封入体筋炎(IBM)、先天性ミオパチー、筋ジストロフィー

③ 平成27年度に行われた特許申請・登録等(例) 1/2

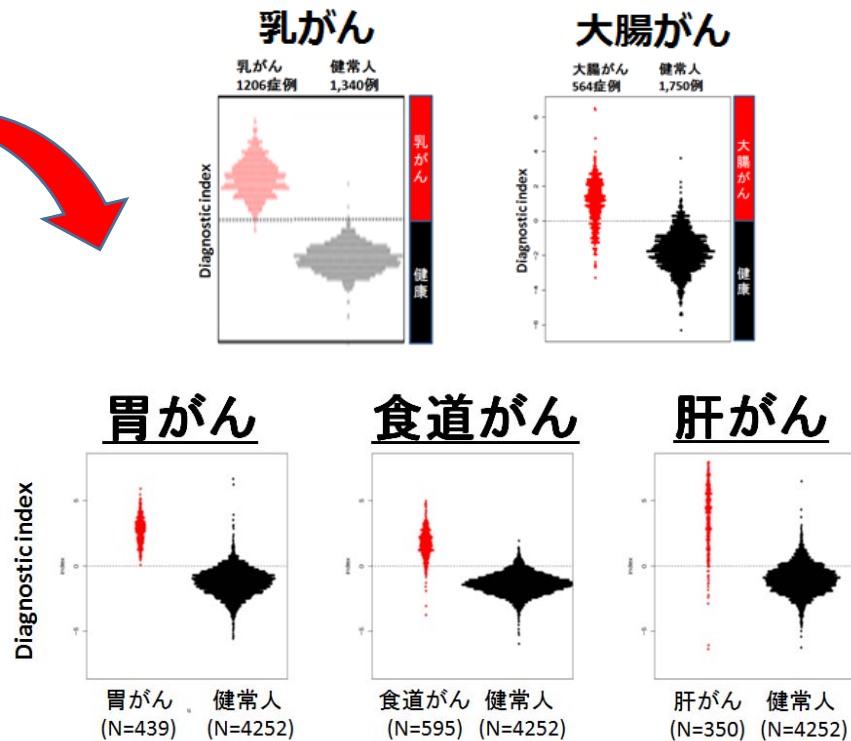
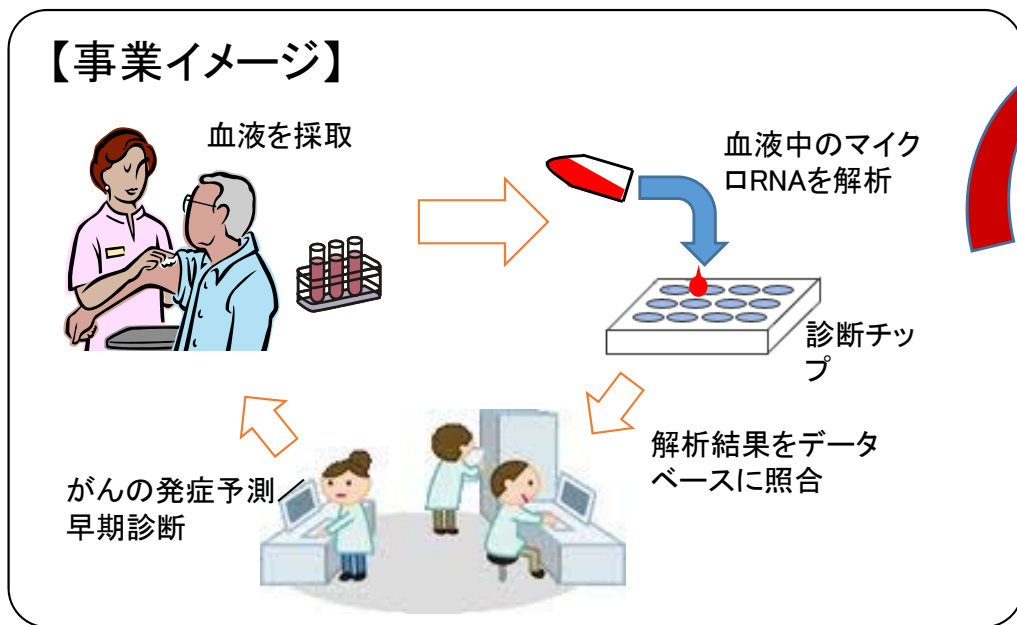
研究開発の概要	今後の主なスケジュール
<h4>オールジャパンでの医薬品創出</h4>	
<p>13種類のがん及びアルツハイマー病について、採血という低侵襲の手法で早期に発見するためのマーカー(マイクロRNAの組合せ)探索を行っており、平成27年9月、乳がんや大腸がんの早期診断に有用なマーカーの発見に成功した。また、乳がん、大腸がんを含めて9種類のがんについて、がんの検査キット又はデバイス及び検出法に関する特許出願を行った(平成27年5月-6月)。</p>	<p>発見されたマーカー候補のうち、精度の高いものについては実証研究を進め、早期の承認取得を目指す。(平成30年度末年度まで)</p>
<h4>オールジャパンでの医療機器開発</h4>	
<p>濾過濃縮処理経験のない医師や看護師が簡単に短時間の実働で処理でき、治療時間短縮による外来治療を可能とする、安価なモバイル型胸腹水濾過濃縮処理装置の開発を行っており、平成27年9月、原液濃縮装置、原液処理装置および循環型処理装置に関する特許を登録。</p>	<p>平成28年度中に、開発した医療機器を更に小型化した第二世代機の開発を開始予定。</p>
<h4>疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト</h4>	
<p>標準リファレンスパネル構築方法に関する特許出願</p>	<p>平成28年度中に2000人に拡張した高精度な標準リファレンスパネルの開発を行う。</p>
<h4>ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト</h4>	
<p>水溶性化合物Xを有効成分として含有する抗腫瘍剤に関する特許出願</p>	<p>平成28年度中に治験非臨床試験を開始する。</p>
<p>本研究に関わる、免疫系の賦活及び評価に有効な技術に関わる特許出願</p>	<p>平成28年度中に介入試験を一部開始する。</p>
<p>分子Xの阻害剤治療における治療抵抗性の予測又は把握をすることができ、更なる治療選択性を付与することができる分子Xの2次変異の検出方法、及び2次変異検出キットに関わる特許出願。</p>	<p>平成28年度末までに試料の確保、解析を行う。</p>

③ 平成27年度に行われた特許申請・登録等(例) 2/2

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
<p>脳とこころの健康大国実現プロジェクト</p>	
<p>認知症の予防・治療のための組成物として、2-アミノヒドロキノン誘導体、およびタウ凝集阻害剤に関する国際特許出願</p>	<p>平成28年度より単回投与薬効試験を開始、次いで反復投与試験に移行予定</p>
<p>気分障害の客観的な診断に有用な脳機能・構造評価システム(磁気共鳴イメージング装置用ファントム)に関する国際特許出願</p>	<p>平成28年度に気分障害患者と健常者の脳画像・血液・臨床データの追加収集・解析を開始</p>
<p>大うつ病性障害と双極性障害の鑑別診断に応用するための測定キットに関する米国特許出願</p>	<p>平成28年度に大うつ病性障害と双極性障害の新規バイオマーカーの探索を開始</p>
<p>バイオマーカーによるうつ病診断方法および検査キットとして、中高年初発うつ病の治療病態マーカー遺伝子を用いたうつ病診断方法に関する特許出願</p>	<p>平成28年度に補助診断マーカーの多施設連携大規模調査を開始</p>
<p>様々なタイプのうつ病患者、及び健常者の血液メタボローム解析により見いだした、抑うつ重症度を反映するバイオマーカーに関する米国特許出願</p>	<p>平成29年度迄に、双極性障害等精神疾患の臨床状態等を反映するマーカー検索を実施</p>
<p>難病克服プロジェクト</p>	
<p>チタンブリッジ(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)に係る特許出願</p>	<p>特許申請済み 平成29年3月に薬事承認申請予定</p>

次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業
(体液中マイクロRNA測定技術基盤開発)

実施機関: 国立研究開発法人国立がん研究センター 等



これまでに、9種類※のがんについて、診断マーカー候補を発見(平成27年9月)し、特許出願を行った(平成27年5-6月)。

※9種類のがん: 肺がん、食道がん、肝臓がん、胃がん、膵臓がん、大腸がん、前立腺がん、乳がん、胆道がん

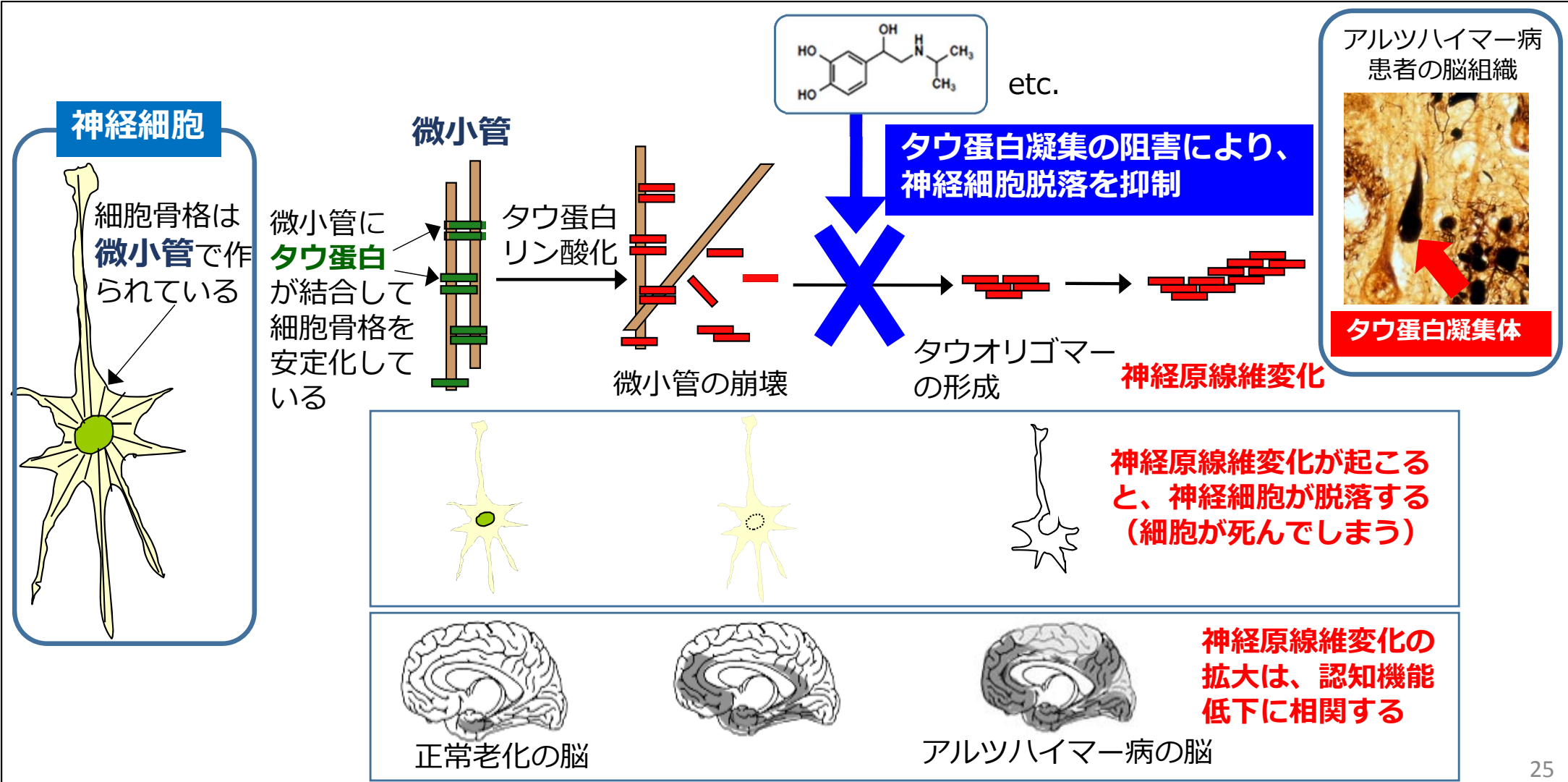
特許出願を基盤に、5種類のがん(乳がん・大腸がん・胃がん・食道がん・肝がん)について早期診断技術を開発、実用化を進めている

<参考2> 認知症の予防・治療のための化合物群の同定 (脳とこころの健康大国実現プロジェクト)

認知症の治療薬開発に道拓<脳科学研究戦略推進プログラム> 実施機関: 国立研究開発法人国立長寿医療研究センター 等

認知症の予防・治療のための組成物として、2-アミノヒドロキノン誘導体、およびタウ凝集阻害剤に関する国際特許出願を行った。

アルツハイマー型認知症の原因となる「神経細胞脱落」を抑制する化合物群を発見



1. オールジャパンでの医薬品創出

(1) 平成27年度の取組

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、関係府省・関係機関が連携して「創薬支援ネットワーク」を構築した。それにより、今まで公的機関では実施できていなかった応用研究の段階を中心に、基礎から実用化までの切れ目のない支援を実施できる体制が整備された。特に、次世代創薬シーズライブラリ(PPI阻害ライブラリ)の構築やリード化合物創出に向けた構造展開ユニットを整備した。

(2) 具体的事例

平成27年度に医薬基盤研究所から創薬支援機能が日本医療研究開発機構に移管され、「創薬支援ネットワーク」の本部機能となる創薬支援戦略部を設置し、製薬企業出身者等の創薬エキスパートを配置。国内有数の研究機関である理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所等との連携により、総合コンサルテーションと技術支援を実施。

- ① 創薬研究の相談窓口(創薬ナビ): 創薬エキスパートがアカデミア研究者に創薬上のポイントを幅広くアドバイスすることにより、アカデミア研究者の創薬研究に関する理解を促進した。28件の相談を実施した。
- ② 企業目線を踏まえた目利き: 創薬エキスパートが「創薬コンセプトの妥当性」、「アンメットメディカルニーズ充足性」、「先行技術検査」、「技術的実効性」、「潜在リスク分析」等の検証を行い、企業導出の可能性が高い創薬シーズを見極めた。134件の相談・シーズ評価を実施した。
- ③ 総合的な創薬支援(創薬ブースター): アカデミア研究者が保有する創薬シーズに関して、研究開発計画の立案や応用研究を実施するなど、戦略・技術・資金も含めた総合的な支援を実施。有望シーズに対する44件の支援を実施した。
- ④ 創薬基盤技術開発事業では、「次世代創薬シーズライブラリー構築プロジェクト」として、タンパク-タンパク間相互作用阻害剤(PPI)が期待される独自の中分子化合物ライブラリーの構築を目指すプロジェクトを開始した。
- ⑤ 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業では、アカデミアでは難しかった化合物最適化研究を可能とするため、東京大学及び大阪大学に、①eye ball(合成可否・有用性の見極め)、②structure design(構造展開)、③synthesis(合成)からなる構造展開を一体的に行える「構造展開ユニット」を設置した。

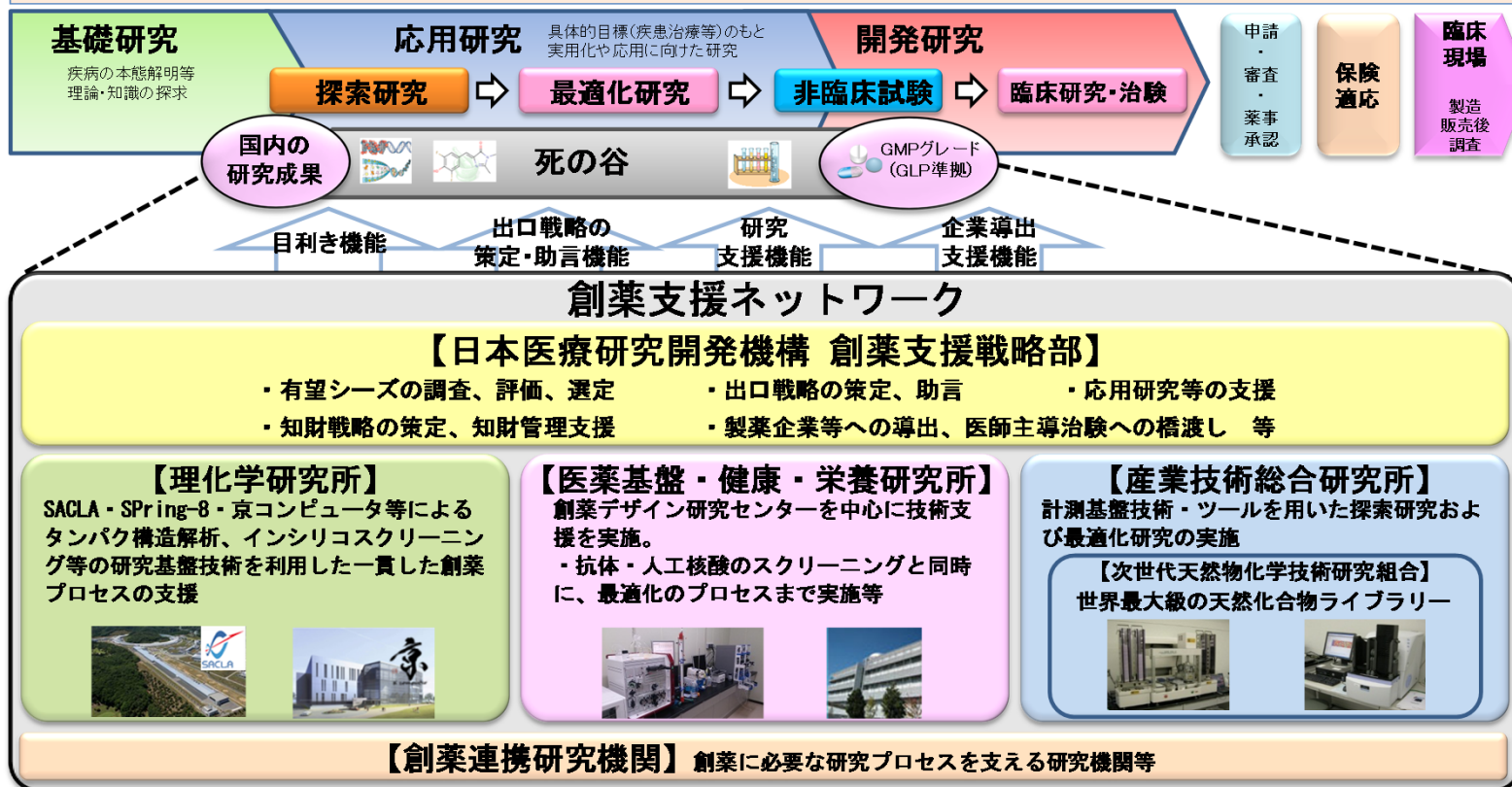
1. オールジャパンでの医薬品創出<参考>

「創薬支援ネットワーク」における平成27年度の成果

- 相談・シーズ評価を421件実施し、有望シーズへ創薬支援を44件実施。
- 支援開発段階は標的実用化検証(15件)やスクリーニング(19件)といった早期段階のシーズが大半だが、リード最適化(7件)や非臨床開発(3件)といった後期段階のシーズ支援も実施。
- 支援シーズの疾患領域としては、がんが最も多く、他に脳・心血管疾患、感染症、精神疾患、難病・希少疾患等の支援も実施。

平成28年3月末までの累計数

「創薬支援ネットワーク」は、大学等の優れた基礎研究の成果を医薬品として実用化に導くため、日本医療研究開発機構創薬支援戦略部が本部機能を担い、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所等との連携により、革新的医薬品の創出に向けた研究開発等を支援する。



日本医療研究開発機構の他プロジェクト、他事業との連携強化を図り、革新的医薬品の創出を目指す

2. オールジャパンでの医療機器開発

(1) 平成27年度の取組

医療機器の開発支援をワンストップで提供する「医療機器開発支援ネットワーク」を通じて、医療機器の開発・事業化に取り組む企業・大学等に対して、医療現場のニーズに関する情報提供や、開発段階における諸課題に関するアドバイスの実施といった切れ目のない支援を実施した。

(2) 具体的事例

日本医療研究開発機構(AMED)を事務局として、事務局サポート機関及び71の地域支援機関(自治体・商工会議所・公設試)にワンストップ窓口を設置。関係機関より、下記の具体的成果を得ることができた。

1. 科学技術振興機構(JST)、AMED事業の情報提供(文科省)

(実績例)

—医療機器開発支援ネットワークに対して、JSTが実施してきたA-Step事業、AMEDが実施する医療分野研究成果展開事業等の情報やこれまでの採択課題の情報を提供した。

2. 医薬品医療機器総合機構(PMDA)薬事戦略相談の地域での実施(厚労省)

(実績例)

—愛知県、富山県、広島県、福岡県、その他地方自治体等主催による出張個別面談の実施。結果として、事業者等による薬事申請の課題の明確化や解決に繋がった。

3. 医工連携事業化推進事業の伴走コンサルの取組(経産省)

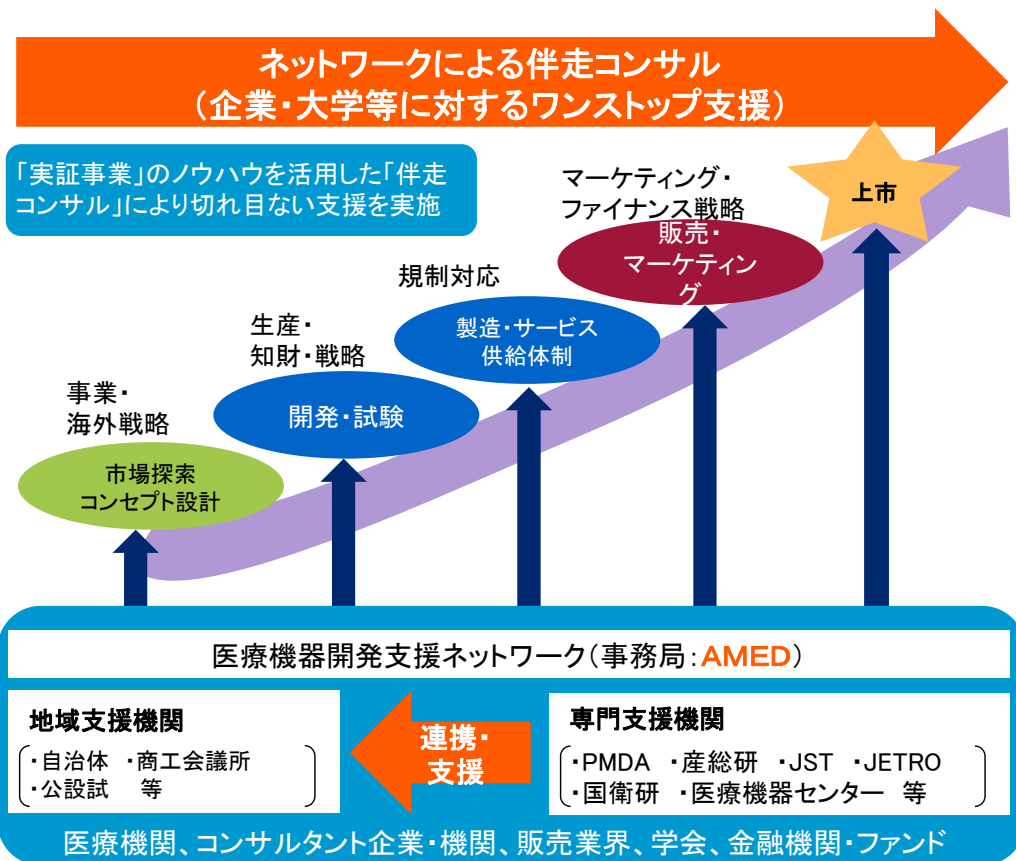
(実績例)

—新規参入を目指すものづくり中小企業(電機・電子分野)から、開発機器が医療機器に該当するか相談があった。伴走コンサルにおいて、市場性の観点から非医療として進めることを助言。結果として、非医療機器として事業化を決定し、早期の上市につながった。

2. オールジャパンでの医療機器開発<参考>

「医療機器開発支援ネットワーク」における平成27年度の成果

- 平成26年10月31日に、「医療機器開発支援ネットワーク」を立ち上げ、業務開始。
- 日本医療研究開発機構(AMED)を事務局として、事務局サポート機関及び71の地域支援機関(自治体、公設試、商工会議所等)にワンストップ窓口を設置。
- 「伴走コンサル」を通じて、機器の開発段階に応じた切れ目ない支援を提供。
- 相談件数は937件と大きな反響。うち、伴走コンサル件数(予定含)は287件。
(異業種(化学・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、広島等)も開始。



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 ○インテリジェント・コスモス研究機構 ○秋田県 ○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

【信越・北陸地区】

○にいがた産業創造機構 ○富山県新世紀産業機構
○石川県産業創出支援機構 ○ふくい産業支援センター

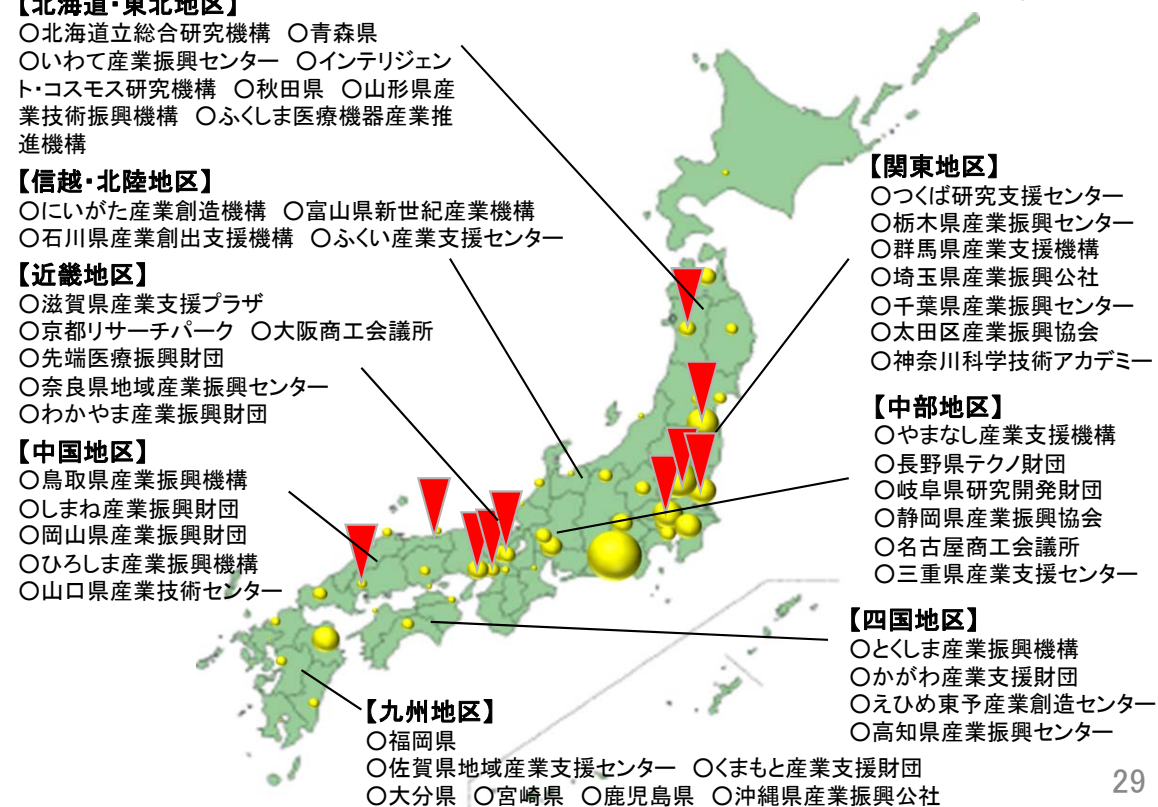
【近畿地区】

○滋賀県産業支援プラザ
○京都リサーチパーク ○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

● 医療機器生産額
▼ 伴走コンサル地方開催



3. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

(1) 平成27年度の取組

アカデミア等による革新的な基礎研究の成果を一貫して実用化に繋ぐ体制を構築するため、PO、PD、サポート機関等の推進体制及び全体会議、拠点調査を一元化し、人件費、設備維持費等の拠点経費及び研究費を統合し、拠点の組織・機能を一元化することにより、一体的な運営を行った。

(2) 具体的事例

- ・ 文部科学省事業による橋渡し研究支援拠点と厚生労働省事業による早期・探索的臨床試験拠点等の一体的整備を推進するため、文部科学省、厚生労働省、日本医療研究開発機構、PO、PD、サポート機関が一体となって、両省が整備する14の全拠点に対して、サイトビジットによる拠点調査を行い、パイプライン管理システムを用いた進捗状況の管理を行った(平成27年9月～12月)。
- ・ 事業・拠点間連携を推進するため、橋渡し研究・臨床研究の推進基盤である革新的医療技術創出拠点と他の連携プロジェクトが連携することによって、優れた基礎研究の成果を滞りなく速やかに臨床応用へと繋げ、アカデミア発の革新的な医薬品・医療機器等の創出を加速させることを目的として、他の8プロジェクトとの「プロジェクト連携シンポジウム」を行った(平成27年11月～平成28年2月)。
- ・ 革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおける全ての実施拠点間の連携推進等のために、重要課題の確認・協議、情報共有等を行うことを目的に、全体会議を設置した(平成27年3月)。

3. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト<参考>

- サイトビジットによる拠点調査を実施し、14拠点において、関連特許出願を目指す基礎研究シーズ(シーズA) 340件、非臨床POC取得及び治験届提出を目指すシーズ(シーズB)252件、治験又は高度・先進医療を実施し、ヒトPOC取得を目指すシーズ(シーズC)273件のシーズについてパイプライン管理システムによる進捗管理を行った。
また、平成26年度に実施した拠点調査で浮かび上がった問題点を確認するため、7拠点に対して、フォローアップの拠点調査を実施することで切れ目のない支援を強化している。
- アカデミア発の革新的な医薬品・医療機器等の創出を加速させるため、「プロジェクト連携シンポジウム」を計8回実施し、96件のシーズについて、プロジェクト間の連携を推進した。
- 革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおける全ての実施拠点間の連携推進等のために、重要課題の確認・協議、情報共有等を行うことを目的に、全体会議を設置し、拠点における好事例の共有や、重要課題について議論を深めた。



大学等発のシーズ
 ・医工連携による医療機器
 ・全く新しい治療法 等

革新的医療技術創出拠点として一体化しシーズ育成機能をさらに強化
 文部科学省・厚生労働省それぞれから支援している拠点の基盤整備費や研究費を、日本医療研究開発機構から一体的に配分

- ・基礎研究段階から実用化まで一貫して支援する人材・体制を整備し、強力かつ切れ目のない効率的な開発を実施
- ・橋渡し研究支援拠点で育成したシーズの開発を、国際水準の臨床研究・治験の実施環境において実施・支援

・治験、先進医療
 ・企業への知的財産の移転

**医療として
 実用化**

革新的シーズのより太いパイプライン 切れ目のない一貫した支援



4. 再生医療の実現化ハイウェイ構想

(1) 平成27年度の取組

非臨床段階から臨床段階の研究開発を連続的に支援できるよう、日本医療研究開発機構においても、連携(文部科学省と厚生労働省が協働した事業の課題採択及び評価の実施、文部科学省事業で支援を受けていた研究を厚生労働省事業で優先的に採択可能とする取組、経済産業省事業で得られた基盤技術を文部科学省事業の拠点に技術提供し、評価・検証する取組)を継続した。

平成28年1月に3省事業合同でシンポジウムを開催するなど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した。

(2) 具体的事例

- ・ 文部科学省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」の成果について、厚生労働省「再生医療実用化研究事業」において、切れ目のない研究支援を実施。

「滑膜幹細胞による膝半月板再生」 東京医科歯科大学

臨床研究「逸脱を伴う膝半月板損傷の滑膜幹細胞による治癒促進」を平成27年7月に開始。

- ・ 経済産業省「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」の成果について、文部科学省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」や厚生労働省「再生医療実用化研究事業」の参画研究機関に技術提供し、切れ目のない研究支援を実施。
 1. 京都大学で開発された配向性ナノファイバーによる心筋組織片を大阪大学(再生医療実現拠点ネットワークプログラム「iPS細胞を用いた心筋再生治療創成拠点」)に技術提供し、評価・検証した(平成28年2月)。
 2. 成育医療研究センターらの開発グループで開発中の一連の細胞製造システムにおいて作製された軟骨細胞を東海大学(再生医療実用化研究事業「関節治療を加速する細胞シートによる再生医療の実現」)に技術提供し、評価・検証した(平成27年12月)。

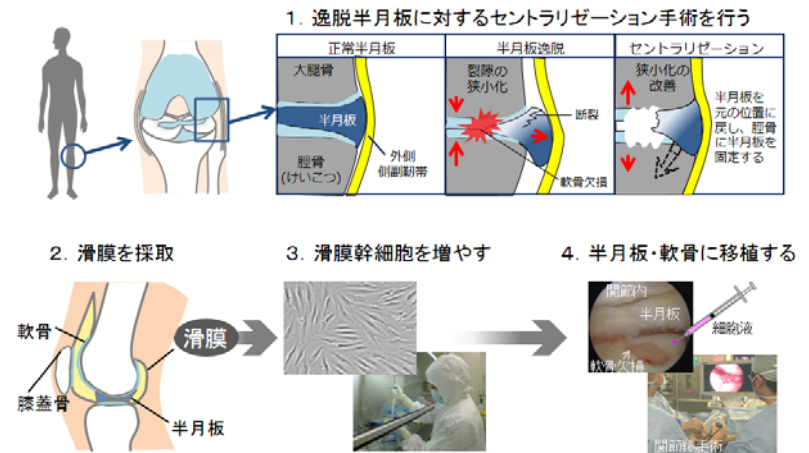
4. 再生医療の実現化ハイウェイ構想〈参考〉

1. 滑膜幹細胞による膝半月板再生

実施機関: 東京医科歯科大学

臨床研究「逸脱を伴う膝半月板損傷の滑膜幹細胞による治癒促進」の概要

- 平成27年度前半に半月板損傷に対する臨床研究(5例)が完了。
- 平成27年7月からは、半月板が逸脱して機能が低下した患者に対して、半月板を元の位置に戻す操作(セントラリゼーション)を行い、滑膜幹細胞を移植することにより、膝関節の機能改善を期待する臨床研究を開始。
(国内で初めて受理された第2種再生医療等提供計画)



2. 開発した細胞製造技術により作製した細胞の有効性評価に関する連携

- 京都大学では、これまでに開発した大量培養に適した無攪拌浮遊培養方法により作製したiPS細胞由来の心筋細胞を用いて、配向性ナノファイバーによる心筋組織片を製造し、大阪大学(再生医療実現拠点ネットワークプログラム「iPS細胞を用いた心筋再生治療創成拠点」)に技術提供し、有効性等を評価・検証した(平成28年2月)。
- 成育医療研究センターらの開発グループで開発中の一連の細胞製造システムにおいて作製された軟骨細胞を、東海大学(再生医療実用化研究事業)に技術提供し、新たに作製したヒト細胞評価用の免疫抑制したXeno評価モデルを利用し、評価・検証した(平成27年12月)。



細胞製造技術の開発



技術連携

再生医療実現拠点
ネットワークプログラム
【大阪大学】

ラット心筋梗塞モデル
における有効性評価

再生医療実用化研究
事業
【東海大学】

臨床出口を見据えたヒト細胞Xeno評価モデルの確立

5. 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト

(1) 平成27年度の取組

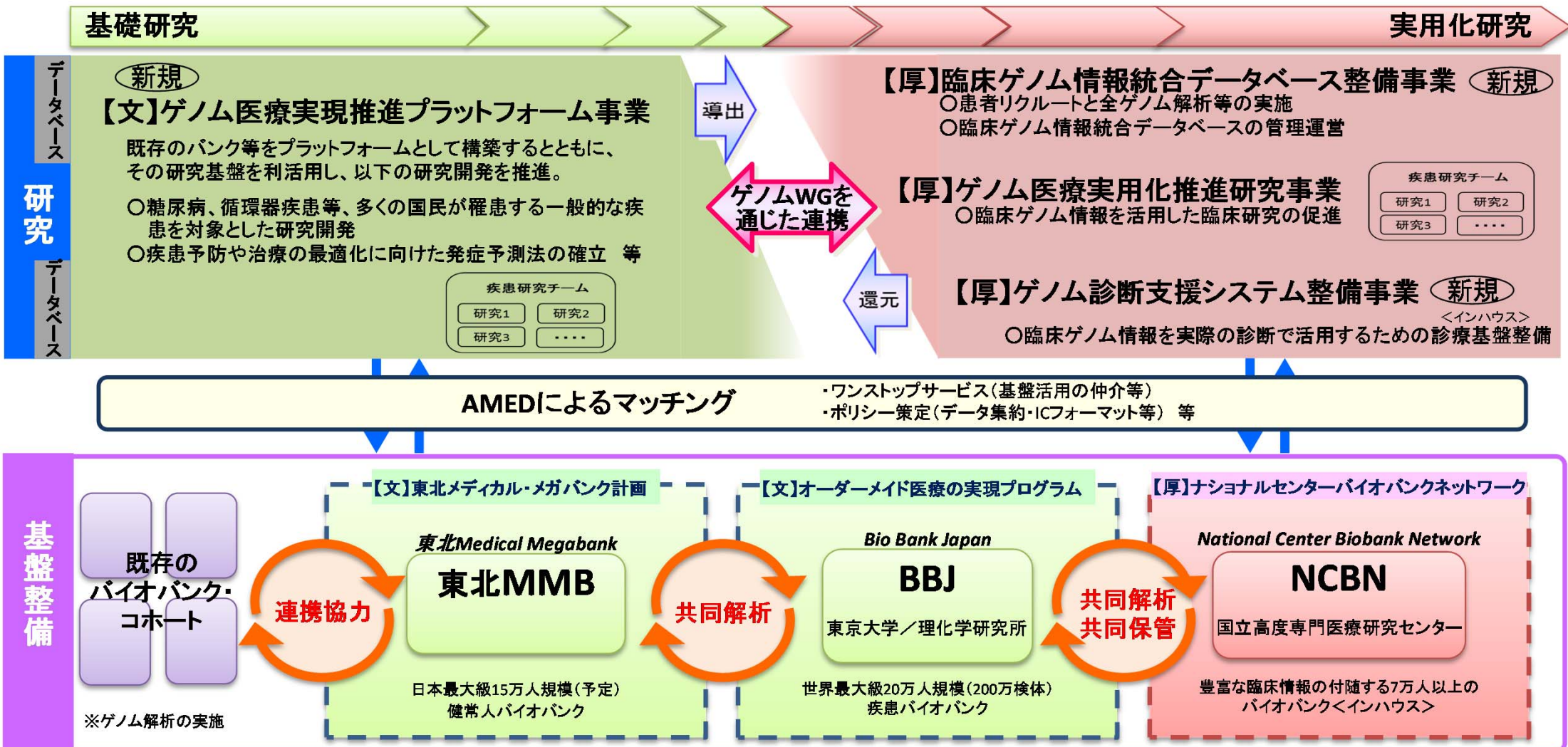
「ゲノム医療実現推進協議会」(平成27年1月)のもと、計4回の協議を重ねることで、現状と課題、求められる取組について整理を行い、ゲノム医療の実現に向けて、関係省庁が一体的となった連携体制の推進を図った。

(2) 具体的事例

- ・ ゲノム医療実現推進協議会の中間とりまとめ(平成27年7月)を踏まえて、文部科学省・厚生労働省の事業間の連携を進めるために、両省が参画する形で日本医療研究開発機構のもとに「ゲノム医療研究推進ワーキンググループ」(平成27年10月)を設置し、計4回の協議の末、平成28年2月に今後のゲノム医療研究の推進方策を報告書としてとりまとめた。
- ・ 文部科学省と厚生労働省の事業間の連携を強化することで、3大バイオバンク等の生体試料の共同解析や共同保管等を推進し、基礎から実用化まで一体的な研究開発を行う基盤体制を整備した。
 1. バイオバンクジャパン(BBJ)、東北メディカル・メガバンク計画、日本多施設共同コホート研究、多目的コホート研究の連携により、健常人約3.4万人、一人当たり約90万塩基多型(SNP)の日本人一般集団SNPデータセットを構築(平成26年6月)し、ナショナルセンターバイオバンクネットワークで収集した臨床検体の解析コントロールとすることで、抗がん剤ハーセプチンによる心毒性の副作用のバイオマーカー候補となる遺伝子多型を8つ同定した(平成27年9月)。
 2. BBJと日本病理学会の連携により、ゲノム研究に不可欠な、病理組織検体の至適取扱方法を定めた「ゲノム解析用病理組織検体取り扱い規定」を策定すると共に、質の高い病理組織検体の取り扱い方法を周知するセミナーを実施した(平成28年3月)。
 3. 品質保証下(CLIA準拠)でがん組織の多遺伝子パネル解析を実施し(平成28年1~3月)、臨床ゲノム診断における患者への早期返却を可能とする変異検出プログラム及びレポート作成プログラムを開発し(平成28年3月)、ゲノム医療の実用化を推進した。

5. 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト<参考>

- ゲノム医療実現推進協議会の中間とりまとめ(平成27年7月)を踏まえて、文部科学省・厚生労働省の事業間の連携を進めるために、両省が参画する形で日本医療研究開発機構のもとに「ゲノム医療研究推進ワーキンググループ(ゲノムWG)」(平成27年10月)を設置し、計4回の協議の末、平成28年2月に今後のゲノム医療研究の推進方策を報告書としてとりまとめた。
- 文部科学省と厚生労働省の事業間の連携を強化することで、3大バイオバンク等の生体試料の共同解析や共同保管等を推進し、基礎から実用化まで一体的な研究開発を行う基盤体制を整備した。
- 平成28年度以降は、平成27年度に構築した基盤体制を基に、新規事業を中心とした連携により、基礎研究から実用化研究まで切れ目のない支援を目指す。



6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

(1) 平成27年度の取組

文部科学省「次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム」の中で進捗が良好な3研究課題について、平成27年度途中に厚生労働省「革新的がん医療実用化研究事業」に導出し、切れ目のない研究支援を実施することができた。

(2) 具体的事例

(導出課題例)

- ・ がん免疫療法における適切なバイオマーカー等を検証し、消化器がんに対する複合免疫療法の医師主導治験の準備に着手。
- ・ 難治性乳がんモデルに対して慢性肝炎治療薬を投与する非臨床試験を実施し、医師主導治験に導出。
- ・ 腫瘍内低酸素を標的とする抗腫瘍性融合タンパク質製剤を開発し、臨床応用に向けた製剤開発に着手。

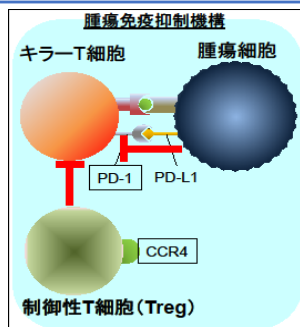
(その他の取組事例)

- ・ 若手育成枠で採択されている研究者を中心に第一回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した。(平成27年11月)
- ・ 文部科学省、厚生労働省、経済産業省それぞれの研究事業の合同企画として、「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報告会」を行った。(平成28年3月)

6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト〈参考1〉

1. がん免疫療法における適切なバイオマーカーや評価法を検証し、医師主導治験の準備に着手した。

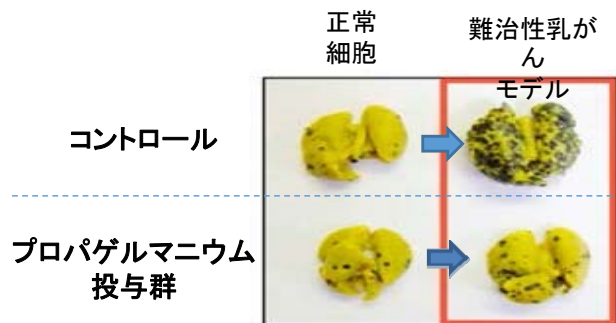
実施機関: 大阪大学



- がん免疫療法における適切なバイオマーカー等を検証し、医師主導治験の準備に着手した。
- 今後、消化器がんを対象として、抗CCR4抗体による制御性T細胞(Treg)除去と抗PD-1抗体を併用する複合免疫療法の医師主導治験を実施していく予定である。

2. 難治性乳がんモデルに対して慢性肝炎治療薬を投与する非臨床試験を実施し、医師主導治験に導出した。

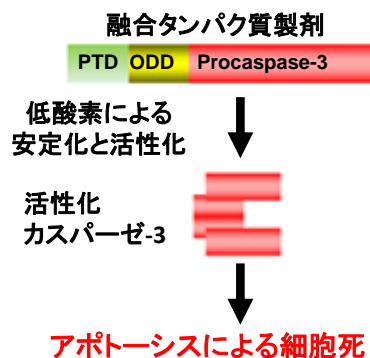
実施機関: 九州大学



- マウスモデルを用いた非臨床試験において、プロパゲルマニウム(既にB型慢性肝炎治療薬として臨床的に使用されている既存薬)は、がん転移を強力に抑制した。
- 今後、難治性乳がんを対象として、本薬剤の安全性と有効性を評価する医師主導治験を実施していく予定である。

3. 腫瘍内低酸素を標的とする抗腫瘍性融合タンパク質製剤を開発し、臨床応用に向けた製剤開発に着手した。

実施機関: 東京工業大学



- 低酸素状態にある細胞に特異的に蓄積して、細胞死を誘導する融合タンパク質製剤を開発し、抗腫瘍効果を確認した。
- 今後、機能性タンパク質の製造方法の確立と品質規格を検討し、GMPタンパク質製剤として製造方法を確立し、非臨床試験へ展開する。

6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト〈参考2〉

平成27年度 市民向け成果発表会

AMED

すすむがん研究 変わる未来

— がん研究者たちの挑戦 —

日時 平成28年3月19日(土) 13:30～17:00 (13:00開場)

会場 品川フロントビル会議室 JR品川駅より徒歩3分
東京都港区港南2-3-13 品川フロントビル地下1階

定員 先着300名 無料 対象：一般の方
(事前申込制 / 定員になり次第締切)

プログラム AMED ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト概要説明
文部科学省事業からの成果
 ■「がん細胞の「アキレス腱」を狙い撃ちしてがんの増殖を封じる」
 増喜 健吉 (国立がん研究センター)
 ■「今は薬の効かないのがん患者さんをいかに見つけていかに治すか？」
 矢野 聖二 (金沢大学)
厚生労働省事業からの成果
 ■「乳がんをもっと早期発見するために～超音波検査が巧く新たながん検診～」
 大内 黎明 (東北大学)
 ■「高圧処理で腫瘍をなくす～色素性母斑 (黒あざ) の再生医療」
 森本 尚楼 (関西医科大学)
経済産業省事業からの成果
 ■「患者さんががん治療法を選択するためのナビゲーションシステム」
 白土 博樹 (北海道大学)
パネルディスカッション「がん研究の今後の方向性」
 堀田 知光 (AMED プログラム・ディレクター)
 吉澤 浩平 (AMED プログラム・スーパーバイザー)
 野田 哲生 (がん研究会)
 天野 慎介 (全国がん患者団体連合会)
 本田 麻由美 (読売新聞社) ほか

申込・問合せ ①WEB: <https://www.researchgrant.jp/amed0319>
 ②電話: TEL 03-6438-2852 平日10時～19時 成果発表会運営事務局 (医療ネットワーク支援センター内)
 ※お問合せはメールでも可 amed0319@medical-bank.org (営業時間外はTEL 090-4596-3986)

主催 国立研究開発法人 日本医療研究開発機構 (AMED) AMED 検索

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development
AMED

第1回 AMEDがん若手研究者ワークショップ

プログラム・抄録集

2015年11月4日(水)～5日(木)
国立オリンピック記念青少年総合センター

戦略推進部 がん研究課

平成27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3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。
- 具体的には、研究者が各事業での代表的な研究成果等を専門用語を極力用いず解りやすく紹介するとともに、患者会、側と研究者、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で意見交換を行った。

第1回AMEDがん若手研究者ワークショップ(革新的がん医療実用化研究事業)

- 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によるレクチャー、研究課題の事前評価審査を模した模擬評価委員会によって、若手研究者の総合的な研究能力の向上を目指した。
- ポスターセッションや懇親会を通して、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した。

7. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト

(1) 平成27年度 of 取組

精神・神経疾患の克服を目指して、適切に両省の役割分担を行い、基礎から臨床に至る研究開発、さらには患者のケア体制の構築など、成果の社会への還元を見据えて効率的な事業運営を推進した。

(2) 具体的事例

- 我が国の急速な高齢化に伴い喫緊の課題となっている認知症の対策について、文部科学省と厚生労働省の事業間で役割分担・連携し、2020年頃までに根本治療薬候補の治験開始を目指す体制を整えた。
 - 文部科学省事業： 基礎研究における小動物から霊長類にわたるモデル動物またはヒト試料を用いた病態の解明・発症メカニズムの探究や、創薬等の革新的な治療法の開発、バイオマーカー探索や画像解析等の早期診断法・疾患鑑別法の開発などを実施した。
 - 厚生労働省事業： 新オレンジプランを受け、認知症の人やその前段階（前臨床期・軽度認知障害等）の人の全国的なレジストリ体制や、認知症の評価・検査方法の標準化等による臨床研究の実施支援体制の整備などにより、治療薬等の大規模臨床研究への即応体制の構築を開始した。
- 文部科学省と厚生労働省の事業に関係する研究者が一同に会し、研究成果を発表する「脳とこころの研究 ー公開シンポジウムー」（平成28年2月27日）をAMED主催で開催し、患者団体や一般の方を含む400名弱の聴講者を得た。事業のアウトリーチ活動とともに、精神・神経疾患の克服に向けて分野横断的な議論の場を提供し、研究者の交流・融合を促進した。

7. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト<参考>

認知症への取り組み



AMEDの支援体制の下で文部科学省と厚生労働省の事業間で役割分担・連携し、2020年頃までに根本治療薬候補の治験開始を目指す体制を整備した。

「脳科学研究戦略推進プログラム（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

「認知症研究開発事業」
大規模臨床共同研究体制の構築・治験即応体制整備

連携

認知症の克服

うつ病等の克服

発達障害等の克服

橋渡し
産学連携

診断法・治療薬候補の創出

基礎研究

臨床研究

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

臨床情報やサンプルを用いた基礎研究の推進
(発症メカニズム探究・創薬への応用 等)

日本発の根本治療薬候補の治験開始

大規模臨床研究への即応体制の構築

認知症の人等の登録・連携システムの構築や認知症臨床研究支援研究等を通じ、治験などの大規模臨床共同研究等を推進する。

①コホート研究

②複合的な解析研究

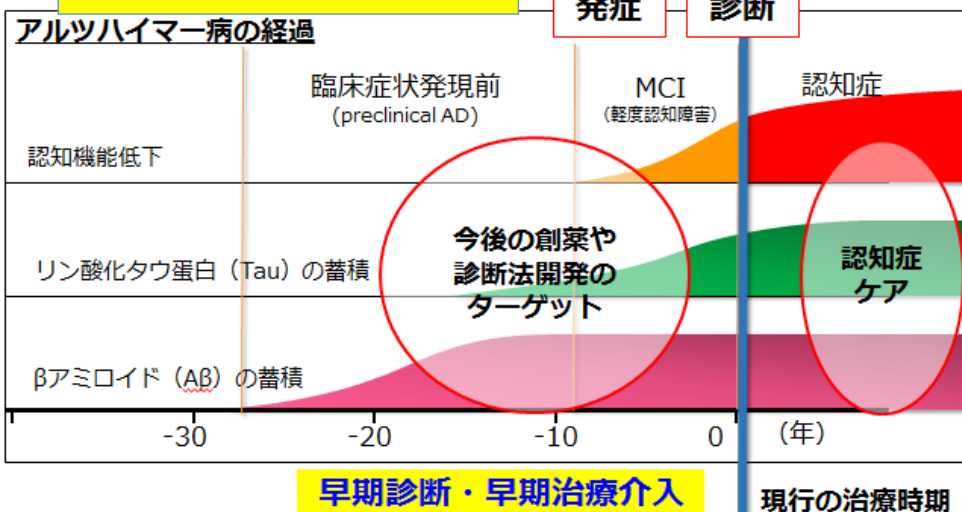
③認知症COE研究

④登録・連携システム研究

⑤認知症臨床研究の実施を支援する体制整備研究

治療法や介護モデル等の研究開発は継続

診断法・治療法候補の創出



All Japan 大規模臨床研究への即応体制の構築

ORANGE
認知症の人やその前段階(前臨床期・軽度認知障害等)の人の全国的なレジストリ構築を開始

ちえのわnet
ICTを用いた行動心理症状に対する対応法等の情報を収集し、適切な対応法と不適切な対応法の抽出、結果を広く公開するシステム構築を開始

認知症の評価方法や検査方法の標準化、データ共有プロトコル等の確立により、治験等の大規模多施設共同研究の支援体制構築を開始

8. 新興・再興感染症制御プロジェクト

(1) 平成27年度の取組

インフルエンザ、結核、動物由来感染症、薬剤耐性菌、HTLV-1(ヒトT細胞白血病ウイルス1型)など、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を一体的に推進した。

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実施基盤を整備した。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を図った。

さらに、予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針及びストップ結核ジャパンアクションプラン等を踏まえ、病原体の薬剤ターゲット部位を同定すること等を通じ、新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を推進した。

(2) 具体的事例

- ・ 基盤的研究として、経鼻ワクチンによって誘導される分泌型IgA抗体が多量体を形成し、交差防御能が高いことを示した。経鼻インフルエンザワクチンの実用化に向けて平成27年10月に第I相臨床試験を開始した。
- ・ 数理モデルを使用したジカウイルスの流行予測を行い、国民への情報提供を行った。
- ・ 疫学的調査の一環として、薬剤耐性ゲノムデータベース(GenEpid-J)を用いてコリスチンに対する耐性遺伝子を日本で初めて確認した。
- ・ 平成26年度に構築した病原体(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を利用し、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・実用化に向けた基盤整備を行った。
- ・ 国内の感染症の診断体制を整備するとともに、アジア地域との連携するための基盤整備を開始した。

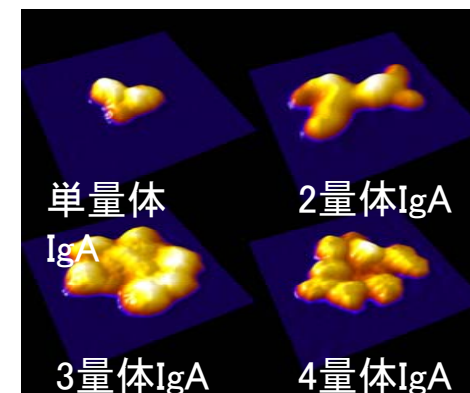
8. 新興・再興感染症制御プロジェクト〈参考〉

新興再興感染症に対する経鼻ワクチンの開発・実用化に関する研究



研究概要

- ・ 新規経鼻インフルエンザワクチンは、インフルエンザの感染防御に有効であり、現在使用されている注射型ワクチンと比べ多様な流行株にも効果を有すると示唆されている。
- ・ この新規経鼻インフルエンザワクチンについて、国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチンの第I相臨床試験を開始した。
- ・ また、多量体IgA抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した。(PNAS 2015 Jun 23;112(25):7809-14.)



薬剤耐性菌に関する疫学的研究

研究概要

- ・ WHOが極めて重要と位置づける抗菌薬コリスチンに対する薬剤耐性菌の出現が、近年世界的な問題となっている。
- ・ このコリスチンの耐性遺伝子 *mcr-1* は、すでに中国、ヨーロッパ、アジア、アフリカ等で確認されていたが、これまで日本では確認されていなかった。
- ・ 今回、本プロジェクトで整備を進めている薬剤耐性菌のゲノムデータベース「GenEpid-J」を探索し、国内で収集された家畜由来株が *mcr-1* を有するプラスミドを持ち、さらにそのプラスミドが中国で報告されたプラスミドと極めて類似した遺伝子配列を持つことを世界で初めて確認した。(Lancet Infect Dis. 2016 Mar;16(3):284-5. doi: 10.1016)

数理モデルを使用したジカウイルスの流行予測

研究概要

- ・ 平成27年ジカウイルスの流行が中南米を中心に発生し、平成28年2月WHOより「国際的に懸念される公衆衛生上の緊急事態(PHEIC)」が宣言された。さらに、平成28年6月にはリオデジャネイロオリンピック・パラリンピック開催によるジカウイルス流行地への渡航者の増加等が予測され、引き続き国内への流入・感染拡大が危惧されている。
- ・ このジカウイルスについて、数理モデルを用いて感染症流行動態を予測し、その感染力がデング熱と同等であることを世界で初めて明らかにした。(J Infect Dis. 2016 Feb 26;45:95-97.)



出典: 国立感染症
研究所HP

9. 難病克服プロジェクト

(1) 平成27年度の取組

難病克服プロジェクトの難治性疾患実用化研究事業においては、「研究開発パイプライン」として、「革新的な医薬品等の開発を促進させる研究(ステップ0)」、「希少難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究(ステップ1)」、「希少難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究(ステップ2)」を設定し、基礎から実用化までの切れ目のない支援が行われてきたところであり、引き続き、この体制を維持した。

その他、「診療の質を高める研究」において、ガイドライン作成のためのエビデンス創出等を行い、難治性疾患政策研究事業との連携を図った。また、「疾患特異的iPS細胞を用いた難治性疾患の病態解明及び治療法開発に関する研究」において、樹立した疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等の推進を図った。

(2) 具体的事例

- ・ 難治性疾患実用化研究事業において、サイトビジットを実施して開発案件の進捗状況を把握するとともに、必要に応じて開発体制への懸念事項を指摘し改善を促した(3課題)。
- ・ 特許面で明確な根拠を有し、企業との提携を求める「医薬品候補」開発を目指しているものについて、知的財産部が主導する平成28年度開催マッチングイベントへの参加に加わるべく調整を行った。

9. 難病克服プロジェクト<参考>

疾患特異的iPS細胞を用いた難病研究・創薬の加速

再生医療実現拠点ネットワークプログラム「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」の共同研究拠点において樹立した疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明、創薬・新規治療法の開発

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

文科省

厚労省

再生医療実現拠点
ネットワークプログラム

連携

難治性疾患実用化研究事業

追加交付

日本医療研究開発機構
(AMED)

新規公募

共同研究拠点

難病研究班

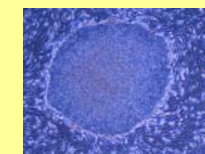
疾患特異的iPS細胞を樹立、分化誘導
解析する技術を有する拠点の整備

疾患特異的iPS細胞から分化誘導された
細胞を用いた病態解明
治療法の開発研究の促進

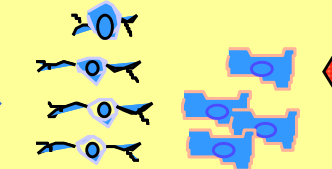
①患者体細胞の供与

情報共有の促進
技術的サポートの充実

②iPS細胞、分化細胞の供与



疾患特異的
iPS細胞

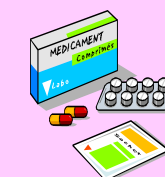


神経細胞・筋肉細胞等

樹立した疾患特異的iPS細胞を
細胞バンクに寄託、公開



病態解明



創薬
新規治療法開発



難病患者への
還元



AMEDが研究資金を一元的に管理し、拠点と難病班が協働することで治療薬創出が加速

