

「医療分野研究開発推進計画」の
実行状況について
～統合プロジェクト～

平成31年 4月 26日
内閣官房 健康・医療戦略室
文部科学省
厚生労働省
経済産業省

目次

1.	オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト	...	2
2.	オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト	...	11
3.	革新的医療技術創出拠点プロジェクト	...	21
4.	再生医療実現プロジェクト	...	27
5.	疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト	...	32
6.	ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト	...	39
7.	脳とこころの健康大国実現プロジェクト	...	45
8.	新興・再興感染症制御プロジェクト	...	52
9.	難病克服プロジェクト	...	58

I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト①

創薬支援ネットワーク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及び基礎研究から医薬品としての実用化につなげるまでの切れ目のない支援を推進する。

【統合プロジェクト】

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。

【達成目標】

【2020年までの達成目標】

- ・ 相談・シーズ評価 1,500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

【平成30年度(2018年度)の主な成果】

1. 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業
 - ・ 新たに前立腺がん、脳腫瘍、骨軟部腫瘍、認知症について、マイクロRNA診断マーカセットを見出し、性能の高い解析アルゴリズムを開発した。また、臨床有用性を検証するための前向き臨床研究について、肺がん・乳がんを筆頭に検体収集と解析を進めた。
 - ・ 抗体医薬を始めとするバイオ医薬品の高度製造基盤技術に係る、高生産オリジナルCHO細胞の開発、高度製造を見据えた連続生産に向けた灌流培養培地の開発、培養装置、ダウンストリーム、品質管理の開発等を行った。
2. 遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業
 - ・ 遺伝子・細胞治療の実用化のためのベクター製造技術・技術基盤の整備のため、国内に点在する多様な要素技術を結集させ、中核となる遺伝子・細胞治療用ベクター大量製造技術の開発拠点確立を目指す体制とした。更に遺伝子・細胞治療のシーズ開発促進のため、アカデミア・研究機関及び医療機関を一体化した拠点を整備し、それらがベクター大量技術拠点とコンソーシアムを形成し、ネットワークの構築を図る体制として平成30年10月よりスタートした。
3. 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業
 - ・ アカデミアの優れた技術シーズを用いて基盤的な技術開発を推進し、最終年度までに40件の企業導出などの成果が創出された。一例として、医療応用可能なゲノム編集ツールとして従来の方法に比べ使いやすかつ正確に目標部位を切断する「スーパーCas9」を開発した。更に遺伝子疾患治療研究では、SCIDマウスの造血幹細胞をゲノム編集で修復後に移植し治療に成功するとともに、SCIDブタでも移植後に末梢血中に修復細胞を確認。
4. 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業
 - ・ PS・POがヘッドクォーター機能を担い、課題間・5つのユニット内外での連携を図る体制を構築。稼働したクライオ電子顕微鏡ネットワークからエピジェネティクス研究などの高度な成果が表れている。
5. 臨床研究・治験推進研究事業
 - ・ 運動ニューロンの細胞死を防ぐ物質として同定されたボスチニブの筋萎縮性側索硬化症患者に対する安全性を検討する医師主導治験を開始した。
6. 創薬支援推進事業
 - ・ 創薬支援ネットワーク支援課題のうち2課題(累積6課題)の企業導出を実現した。
 - ・ 創薬支援ネットワークにおいて、民間リソース等を活用した創薬支援推進ユニットが本格稼働し、効率的な支援を実施した。
 - ・ 創薬支援インフォマティクスシステム構築において、成果の商用化が決定した。

I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト②

創薬支援ネットワークの活用等により、基礎研究から医薬品としての実用化につなげるまでの切れ目ない支援、企業への導出(ライセンスアウト)は概ね順調に進捗している。

達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
【2020年までの達成目標】				
・ 相談・シーズ評価 1,500件	1,376件 (1,138件)	A (A)	大学等の研究者から医薬品開発に関する相談等に応じるとともに、医薬品としての実用化の可能性の高い基礎研究の成果について目利き評価・相談を1,376件行った。	
・ 有望シーズへの創薬支援 200件	117件 (83件)	B (B)	創薬支援ネットワークによる創薬支援を117件実施した。	
・ 企業への導出(ライセンスアウト) 5件	162件/ うち創薬支援ネットワーク:6件 (80件/うち4件)	A (A)	製薬企業等への円滑な導出による早期の医薬品としての実用化を図るため、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、製薬企業等への導出を162件行った。	
・ 創薬ターゲットの同定 10件	33件 (11件)	A (A)	平成28年度までの11件に加え、新たに22件の創薬ターゲット(がん4件、インフルエンザ18件)を同定した。	

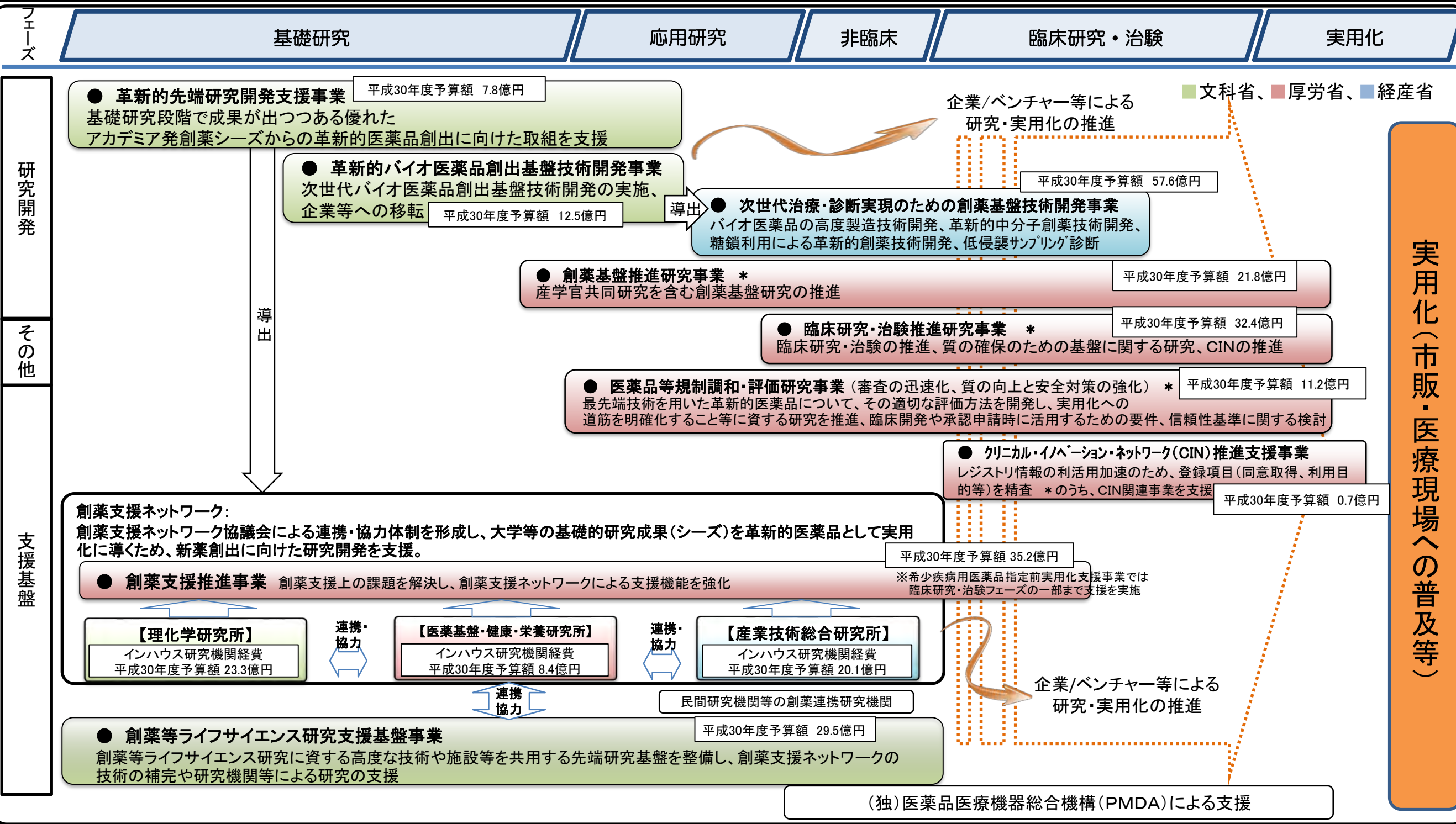
※ 「最新の数値」は、2019年3月31日時点の計数、進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難、()は昨年度 **3**

I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト<参考1>

日本医療研究開発機構対象経費
平成30年度予算額 209億円

インハウス研究機関経費
平成30年度予算額 52億円

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. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト <参考2-①>

1. 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

国立がん研究センター 落谷 孝広

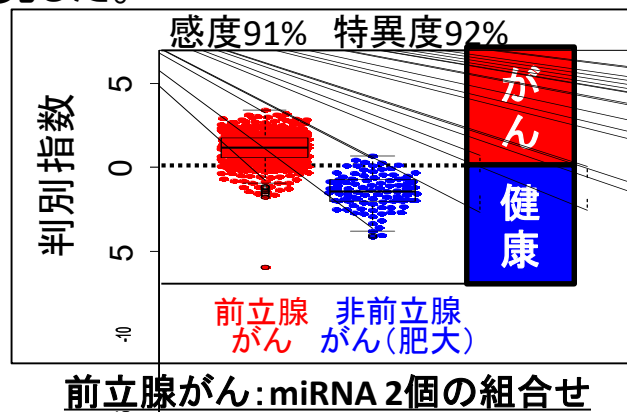
蓄積された膨大な臨床情報とバイオバンクの検体を活用して、血液中マイクロRNA発現データベースを構築し、網羅的に解析する。これにより、乳がんや大腸がんなど13種類のがんや認知症の早期発見マーカーを見出し、低侵襲で高感度なマルチマーカーによる診断システム技術として世界に先駆け実用化することを目指す。

研究成果

当初予定していた13種のがん(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、脳腫瘍、骨軟部腫瘍、卵巣がん、膀胱がん)に2種の希少がん(眼腫瘍、子宮肉腫)を加え、53,000検体以上の血清を網羅的に解析した。平成30年度は新たに前立腺がん、脳腫瘍、骨軟部腫瘍で診断性能の高い解析アルゴリズムを開発した。また、これまで開発した解析アルゴリズムの臨床有用性を検証するための前向き臨床研究について、肺がん・乳がんを筆頭に検体収集を進め、解析を開始した。

さらに、三大認知症(アルツハイマー病、血管性認知症、レビー小体型認知症)を高感度かつ特異的(感度73-93%、特異度66-87%)に判別可能な予測アルゴリズムを開発した。

平成30年度は、新たに前立腺がん、針生検を必要とする患者とそうでない患者を高い精度で見分ける解析アルゴリズムを開発した。



今後、がんについては、前向き臨床研究で収集した血清の解析を行い、臨床有用性を検証することで、参加企業による体外診断用医薬品の開発、薬事申請と上市により、社会実装を目指す。

抗体医薬品の連続生産の基盤技術開発を開始

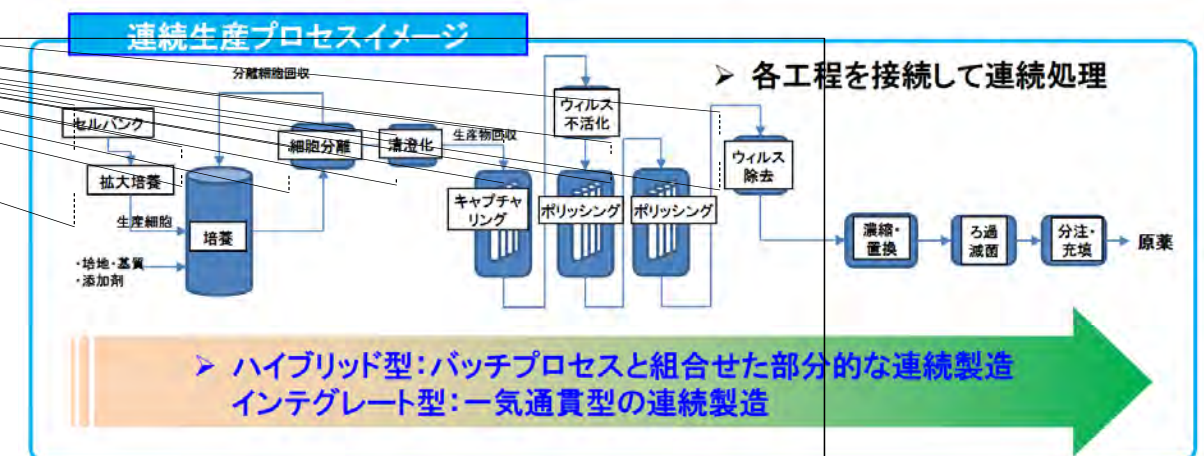
研究概要

次世代バイオ医薬品製造技術組合 大政 健史

企業、大学、機関が参加している「次世代バイオ医薬品製造技術研究組合(MAB)」と他大学・機関が連携し、高度なバイオ医薬品製造技術として、特に注目されている抗体医薬品の連続生産等に関わるアップストリーム(細胞構築、生産)からダウンストリーム(分離精製、品質管理)までの要素技術や、それらのプラットフォーム化技術を一貫して開発することにより、バイオ医薬品の連続生産等に関わる基盤技術を通じた高度生産技術の確立を目指す。

研究成果

ハイブリッドまたはインテグレート型のバイオ医薬品連続生産に関わる個々の要素技術開発と、それらを統合化したプラットフォーム技術・部分的連続生産システムを構築するための技術開発を行った。高性能な国産CHO細胞株(CHO-MK)、灌流培養、培地開発、分離精製に関する各要素技術については重要度に応じたラボレベルでの性能検証を通じてプラットフォーム化の準備を行うとともに、インテグレート/ハイブリッド型連続プロセス構築に向けて要素技術の部分的接続方法検討と接続検証、また統合化に向けたプロセスシミュレーションの準備、品質を含む管理戦略の立案について、他課題と連携しながら実施した。



今後、国内アカデミア等発のバイオ医薬シーズの実製造に向けて、既存開発技術のみならず、開発中の高度製造技術の応用を行う。

I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト <参考2-②>

2. 遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業

H30年度調整費により、10月より新規事業として開始した。

事業の概要

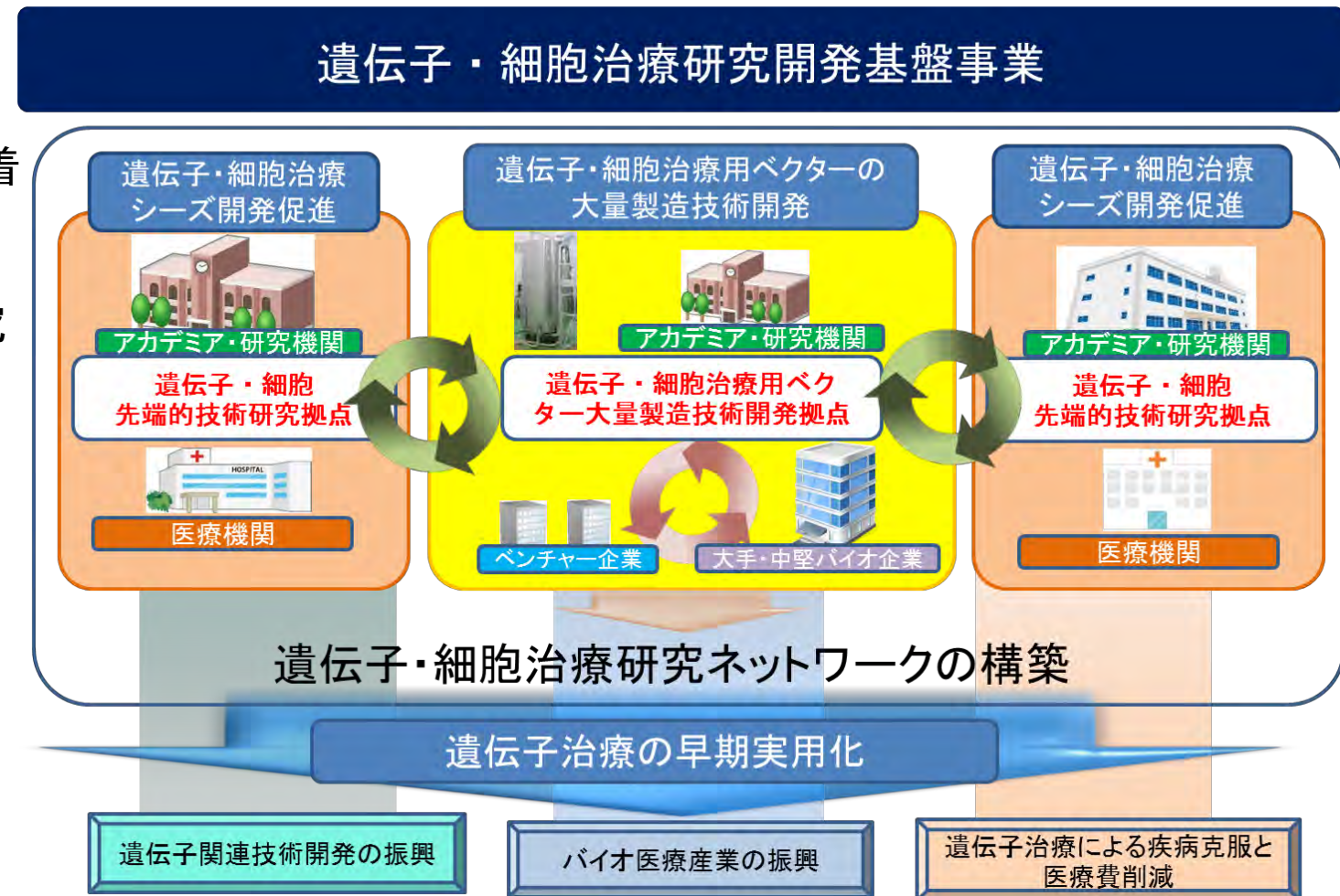
・遺伝子・細胞治療の実用化のためのベクター製造技術・技術基盤の整備のため、国内に点在する多様な要素技術を結集させ、中核となる遺伝子・細胞治療用ベクター大量製造技術の開発拠点確立を目指す体制とした。また、遺伝子・細胞治療のシーズ開発促進のため、アカデミア・研究機関及び医療機関を一体化した拠点を整備し、それらがベクター大量技術開発拠点とコンソーシアムを形成し、大量製造拠点をオープンラボとして使用できる体制をとってネットワークの構築を図る。

本年度推進事項

・わが国に点在する多様な各要素技術をプラットフォーム化して、一気通貫で開発するオープンラボの整備に着手した。
・本事業の中で、大量製造技術開発の基盤整備、品質検査技術の開発、有効性・安全性の評価のための研究開発、臨床試験の実施体制の整備等を進めている。

今後の予定

・オープンラボの活用などを通して、事業内の課題間の連携に加え、遺伝子治療の個別のシーズ研究を行っている他事業の疾患領域プロジェクト等とも連携を図り、横断型統合プロジェクトの役割を担っていく。
・「創薬基盤推進事業」における、ウイルスベクターの生産技術に関する人材育成に資する教育プログラム作成を行う課題とも連携を図る。



I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト <参考2-③>

3. 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業

新規CRISPR-Cas9システムセットの開発とその医療応用

東京大学大学院理学系研究科 濡木 理

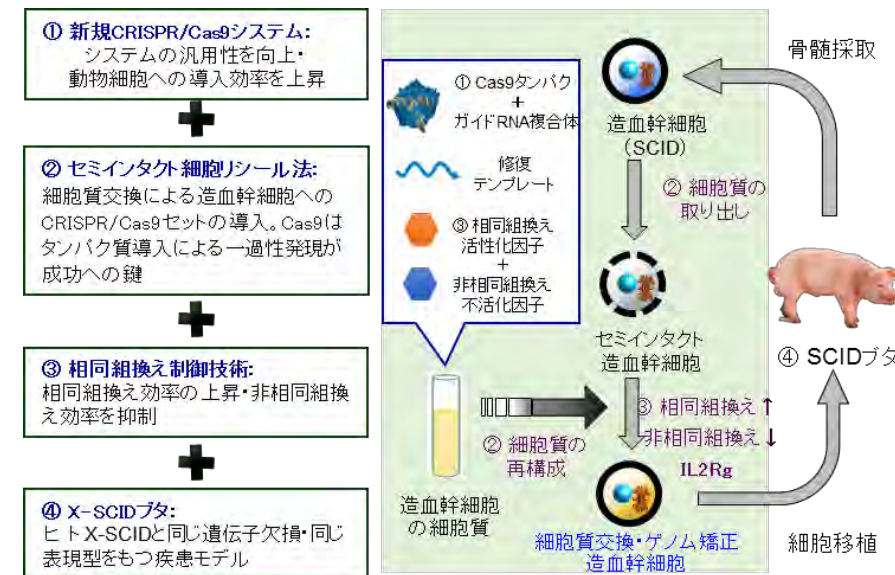
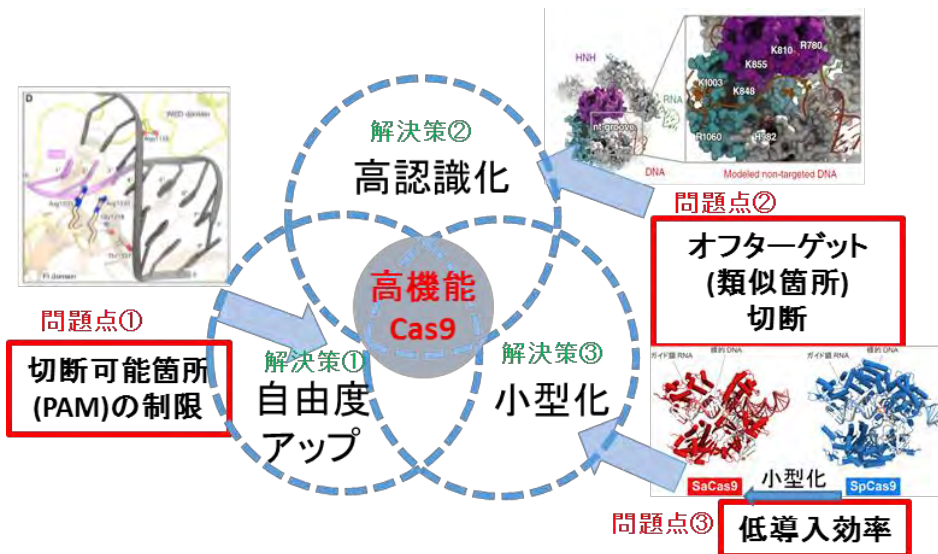
研究概要

ゲノム編集ツールとして脚光を浴びているCRISPR-Cas9に焦点を当て、現行システムが抱えるいくつかの課題を克服した新規CRISPR-Cas9システムセットと医療応用に向けた技術開発を推進し成果を得た。

研究成果

- Cas9複合体を結晶構造解析し、多様なゲノム配列を切断できる新規ゲノム編集システムセットを開発

- 医療応用を目指し、セミインタクト細胞リシール技術、オフターゲット評価法、相同組換え効率改善、ヒト遺伝病モデルブタを用いたゲノム矯正治療法を開発



- グアニン1塩基だけをPAMとするSpCas9変異体を創出しゲノム編集適用範囲大幅拡張に成功 (Science, 2018)
- 本研究の成果をベースとして、CRISPR創薬ベンチャーEdiGENEを設立、遺伝子治療を開発中

今後の予定

- 今回の成果を活用し、さらに使いやすいゲノム編集ツールの開発を目指す。

I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト <参考2-④>

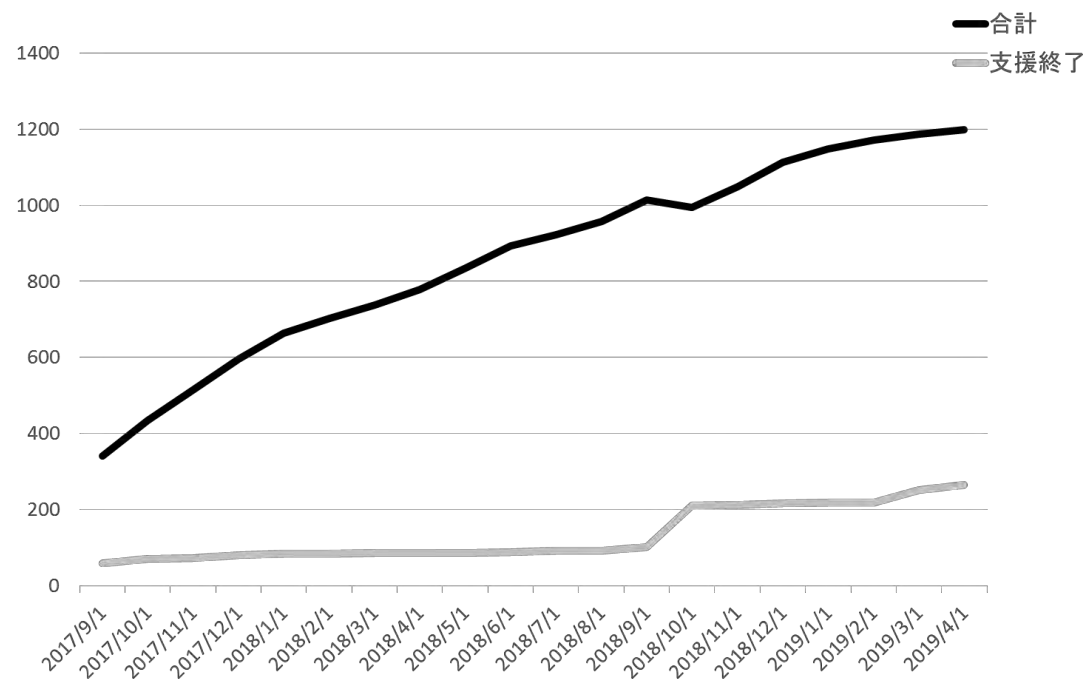
4. 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業

研究概要

- わが国の優れたライフサイエンス研究の成果を医薬品等の実用化につなげることを目的として、『創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム(BINDS)』を整備。
- 放射光施設(SPring-8、Photon Factory)のビームライン、クライオ電子顕微鏡、化合物ライブラリー、次世代シーケンサーなどの大型ファシリティを整備・維持し、積極的に外部開放(供用)。
- 構造解析、タンパク質生産、ケミカルシーズ・リード探索、構造展開、ゲノム解析、インシリコスクリーニングなどの技術を有する最先端研究者の支援により、外部研究者の研究推進を強力にバックアップ。

支援状況

- 支援課題数の累積は、2019年3月末で、1,465件(支援中、支援完了の合計)。
- 181件の放射光施設共用や234件の化合物提供等の支援を実施(平成30年度)。

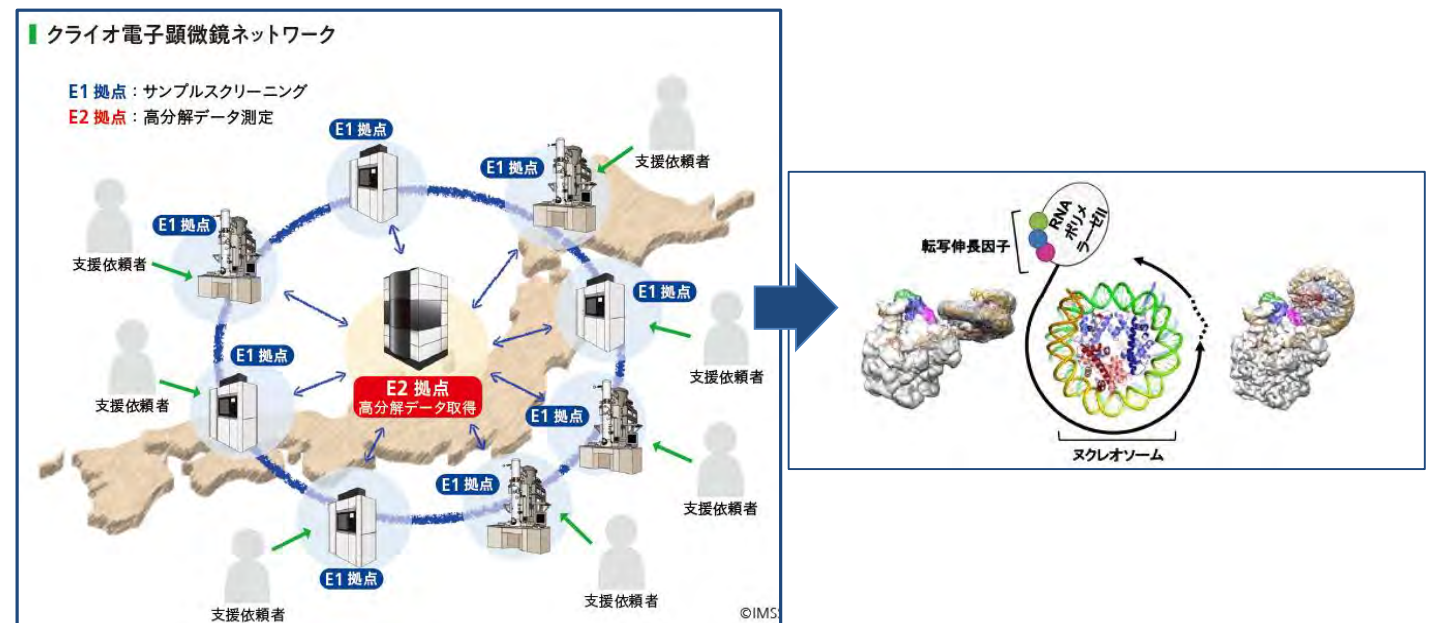


支援件数推移(全課題)

2018/10/1のところで、支援件数が急に減少し、支援終了件数が急に増加しているのは、90日毎の「支援研究進捗報告」を義務づけたことによる。

代表的研究成果

クライオ電子顕微鏡を利用することにより、RNAポリメラーゼIIがヒストンタンパク質によって折りたたまれたDNAを段階的に引き剥がしながら読み取る姿(構造)が解明された(Science 2018.10, 2019.2)。従来のX線解析ではわからなかった構造変異を明らかにすることができるようになったという、クライオ電子顕微鏡の新たな可能性を示す画期的な成果である。がん、精神神経疾患、メタリックシンドロームなどについて、この技術を応用した新たなターゲットの発見とそれを標的とした医薬品開発が一層活性化することが見込まれる。



I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト <参考2-⑤>

5. 臨床研究・治験推進研究事業

筋萎縮性側索硬化症患者におけるボスチニブの安全性試験

京都大学iPS細胞研究所 井上 治久

研究概要

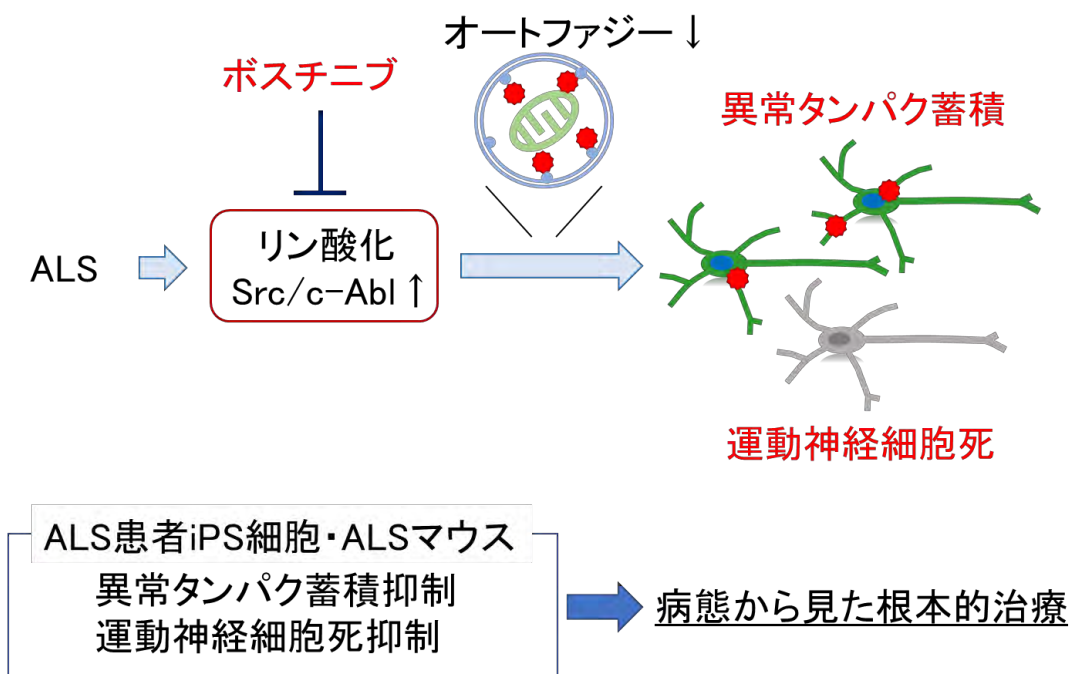
筋萎縮性側索硬化症患者に対するボスチニブ内服による治療法を開発する。最終目標である薬事承認の達成に向けて、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令下において探索的臨床試験としての医師主導治験を行い、ボスチニブの筋萎縮性側索硬化症に対する安全性を調べる。慢性骨髄性白血病治療薬であるボスチニブは、疾患iPS細胞を用いた研究で運動ニューロンの細胞死を防ぐ物質として井上らによって同定し報告された。

研究成果

- 平成30年7月に対面助言を実施、31年2-3月にIRB審査を終了、同年3月に治験計画届を提出し、4施設による多施設共同医師主導治験を開始した。(目標24症例)。
- 全国家族性ALS患者調査を行い、症例のエントリーを促進させる。現在、アンケート調査中を実施した(継続中)。

今後の予定

- 患者レジストリを活用して症例登録を行う
- 平成32年度までに本治験を完了し、総括報告書の提出を行う。

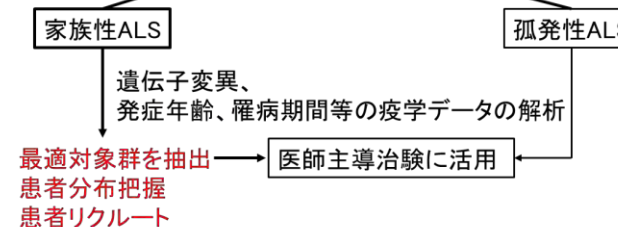


患者レジストリ

神経変性疾患領域における基盤的調査研究班

TOP	本研究班は、脳脊髄系の原因不明の難病について疫学・臨床・原因解明・治療に取り組んでいます。
研究代表者	
研究班の目的	【対象疾患】筋萎縮性側索硬化症 (ALS)、脊髄性筋萎縮症 (SMA)、原発性側索硬化症 (PLS)、球脊髄性筋萎縮症 (SBMA)、Parkinson病 (PD)、進行性核上性麻痺 (PSP)、大脳皮質基底核変性症 (CBD)、Huntington病 (HD)、神経有棘赤血球症 (NA)、脊髄空洞症、前頭側頭葉変性症 (FTLD)、Charcot-Marie-Tooth病 (CMT)、ジストニア、脳内鉄沈着症 (NBIA)、紀伊ALS/Parkinson認知症複合 (紀伊ALS/PDC)、特発性基底核石灰化症 (IBGC)、脊髄髄膜瘤
ワークショップ	
班会議	
班共同研究	

(<http://plaza.umin.ac.jp/neuro2/index.html>)



I. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト <参考2-⑥>

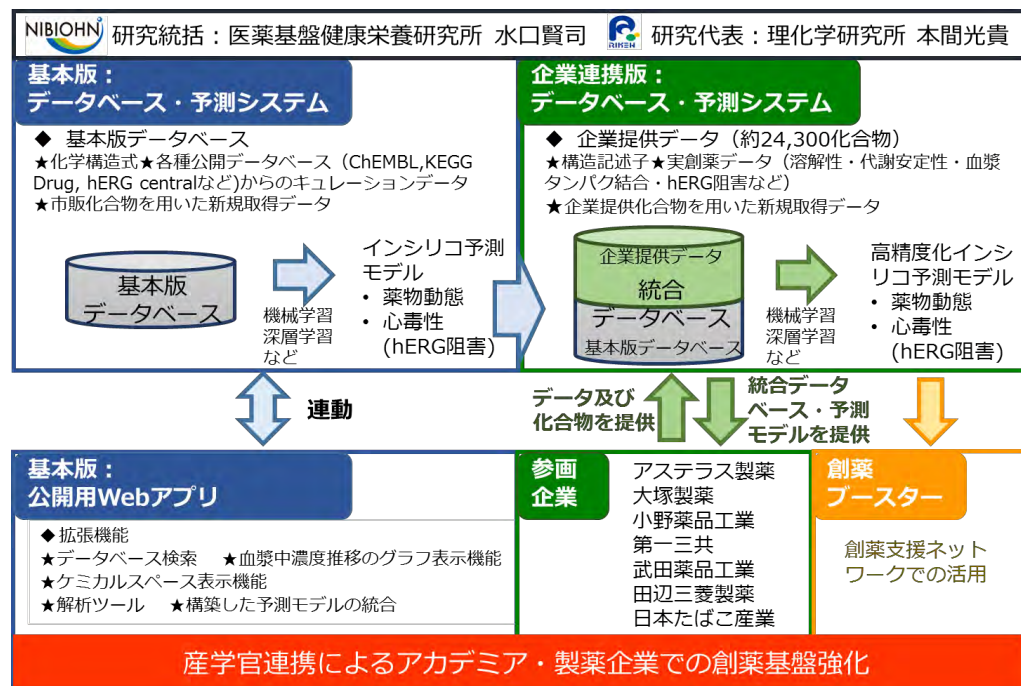
6. 創薬支援推進事業

創薬支援ネットワーク導出課題

課題番号	課題名	主任研究者	モダリティ	導出時期
DNW-15001	新規がん免疫アジュバントの探索	松本 美佐子 (北海道大学大学院医学研究科)	低分子化合物	平成29年3月
DNW-14015	がん間質を標的とした抗体・薬物複合体の開発	松村 保広 (国立がん研究センター 先端医療開発センター)	抗体-薬物複合体	平成29年3月
DNW-14006	がん細胞DNA脱メチル化酵素を分子標的とするFirst-in-classのがん治療薬の探索	辻川 和丈 (大阪大学大学院薬学研究科)	低分子化合物	平成29年9月
DNW-15003	NF-κB標的遺伝子の発現を阻害する抗がん剤の探索	伊庭 英夫 (千葉大学真菌医学研究センター)	低分子化合物	平成30年3月
DNW-14012	味覚・食感を損ねない長時間作用型口内炎疼痛緩和薬の開発	上園 保仁 (国立がん研究センター研究所)	低分子化合物	平成30年9月
DNW-14025	HSVワクチンの探索	川口 寧 (東京大学医科学研究所)	ワクチン	平成31年3月

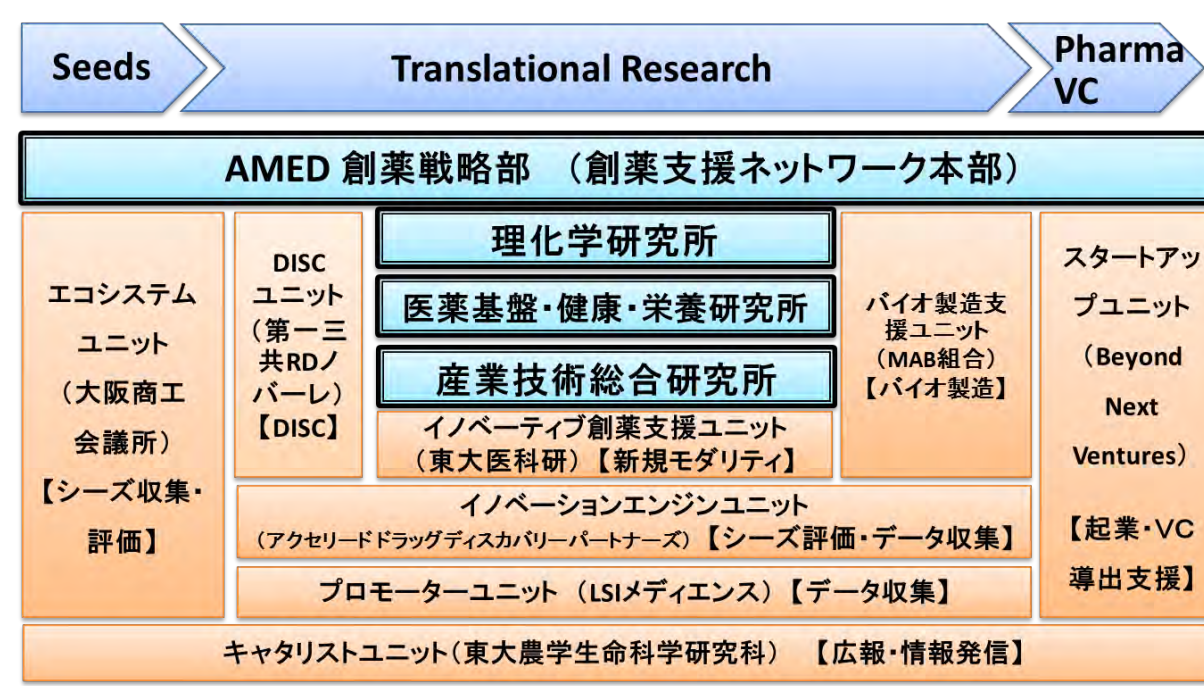
創薬支援インフォマティクスシステム構築の進捗

AIを活用した創薬の加速化を実現するため、国内主要製薬企業の化合物情報を取り込んだ大規模データベースを構築し、体内動態、代謝、毒性を含めた高精度予測システムの開発を進めている。企業連携版システムを商用化し、一部利益を原資とすることで、事業終了後の基本版システムの維持・運用を目指している。



創薬支援推進ユニットの本格稼働

創薬支援ネットワーク機能を更に強化する目的で、創薬支援推進事業・創薬シーズ実用化支援基盤整備事業として整備された8つの創薬支援推進ユニットは、創薬支援ネットワーク支援課題で直面する様々な問題に対して、保有する高度な『人材・技術・知識』を提供することで解決を図る。



Ⅱ. オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト①

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。

【統合プロジェクト】

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(産業技術総合研究所、公益財団法人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。

【達成目標】

【2020年までの達成目標】

- ・ 医療機器の輸出額を倍増
(2011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

【平成30年度(2018年度)の主な成果】

1. 医療分野研究成果展開事業
 - ・ 心筋梗塞時に迷走神経を電氣的に刺激することで後の心不全を防ぐことができるカテーテルを開発。薬事承認を目指し非臨床試験を実施。
2. 未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業
 - ・ スマート治療室、軟性内視鏡手術システム等、平成30年度に30プロジェクトの技術開発を実施。
3. 医療機器開発推進研究事業
 - ・ 昭和大学等で実施した人工知能(AI)内視鏡画像診断支援ソフトウェアの研究開発の成果に基づき、平成30年12月に薬事承認を取得し、平成31年3月に国内販売を開始した。
4. 開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業
 - ・ 新興国・途上国等の公衆衛生上の課題と医療ニーズに基づいて、タイ、ベトナム、インドネシアにおいて製品開発を進めた。
 - ・ タイにおいて、厚生労働省・AMEDとタイ保健省当局との意見交換や、開発事業者・厚生省・AMEDと現地大学の有識者との意見交換を行い、官レベル・アカデミアレベルの交流を行った。
5. 国産医療機器基盤整備等事業
 - ・ 開発、医療現場見学に当たっての体制の整備(病院内での明確なルールの策定等(留意点、個人情報保護、知的財産など))
 - ・ 医療機器開発を促進するための、研究開発、事業化に関する助言や指導體制の構築
6. 医療機器開発支援ネットワーク
 - ・ 平成26年10月末に立ち上げ。平成30年度の相談件数は約170件、このうち伴走コンサル件数は約140件。(開始当初からの累計:相談件数は約1,520件。うち、伴走コンサル件数は約630件。)
7. ロボット介護機器開発・標準化事業
 - ・ 新たに重点分野として追加された1分野5項目のロボット介護機器について、開発を実施したところ。また、効果測定・評価、安全基準の策定のためのデータ取得等を開始。

Ⅱ. オールジャパンでの医療機器プロジェクト②

革新的な医療機器等の開発・実用化、審査の評価指標と連携した「開発ガイドライン」の検討・策定、「医療機器開発支援ネットワーク」等を通じた事業化支援などを通じて、ガイドラインの策定件数や市場規模、人材育成は、順調に進捗している。

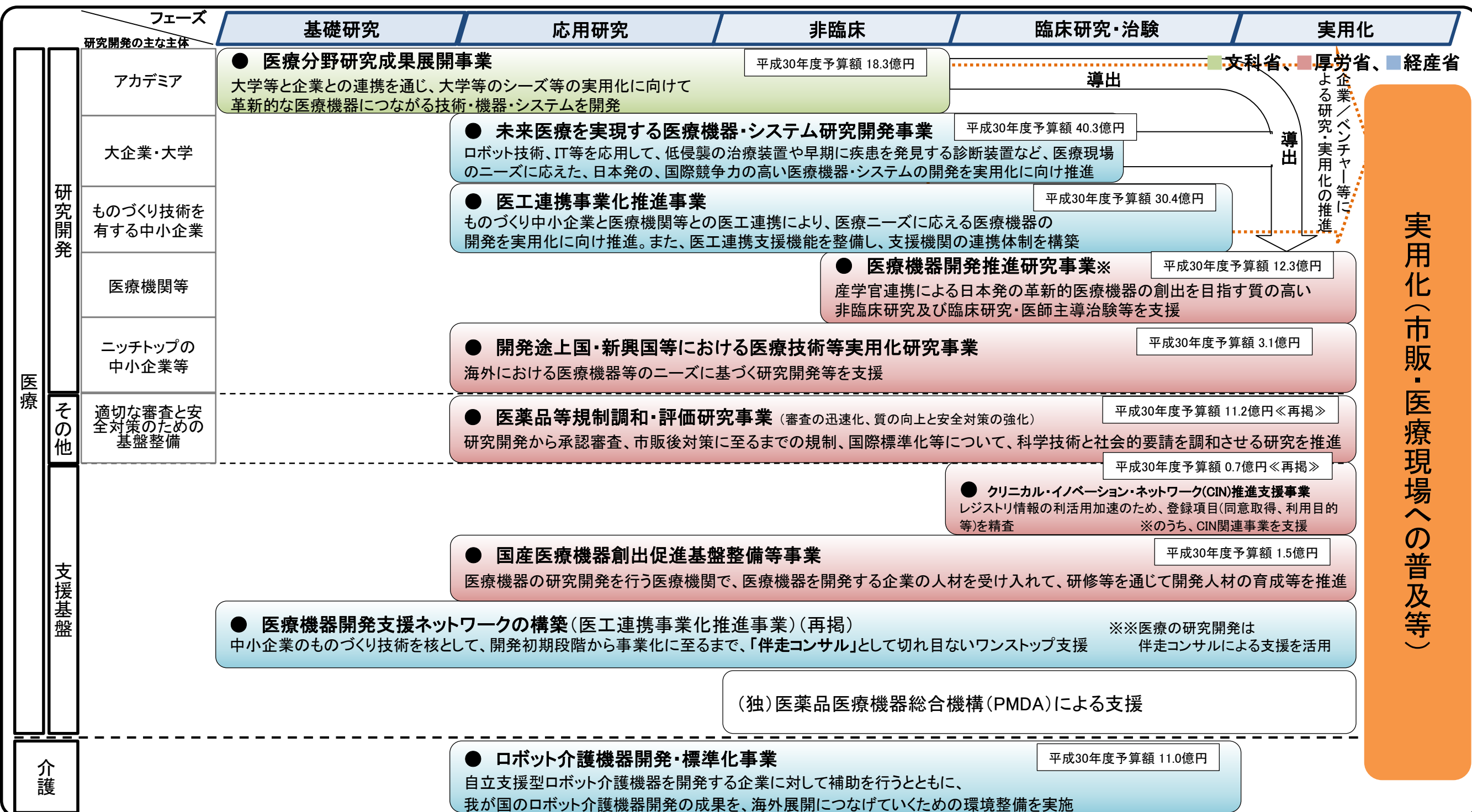
達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項 等)
【2020年までの達成目標】				
・ 医療機器の輸出額を倍増(2011年約5千億円→ 約1兆円)	6.2千億円:2017年 (5.8千億円:2016年) (6.2千億円:2015年)	B (B)	輸出額は2011年と比べて増加。 医療機器開発支援ネットワークにおける伴走コンサル等、海外展開の支援を加速しており、目標達成に向けて取り組んでいるところ。	
・ 5種類以上の革新的医療機器の実用化	複数種類の革新的医療機器を開発中 (同上)	A (A)	12種のテーマ(平成31年3月現在)で事業を実施、各テーマにて複数の機器開発を予定しており、着実に執行していくことで、目標達成の見込み。	
・ 国内医療機器市場規模の拡大 3.2兆円	3.02兆円:2017年 (2.88兆円:2016年) (2.75兆円:2015年)	A (A)	2017年の市場規模は、3.02兆円。年々増加傾向にあり、目標達成に向けて取り組んでいるところ。	

※ 「最新の数値」は、2019年3月31日時点の計数、進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難、()は昨年度

Ⅱ. オールジャパンでの医療機器プロジェクト <参考1>

日本医療研究開発機構対象経費
平成30年度予算額 129億円(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。



【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

Ⅱ. オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト <参考2-①>

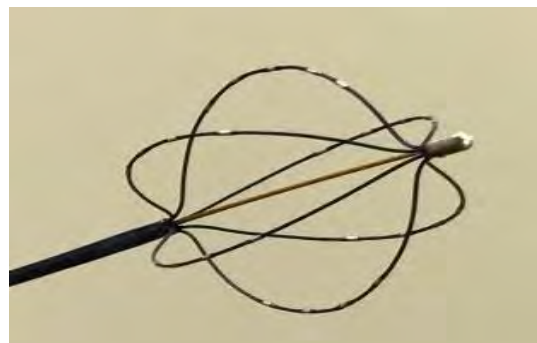
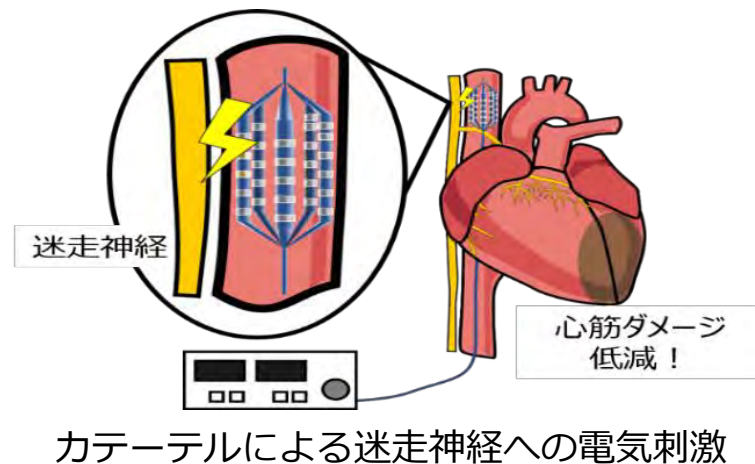
1. 「医療分野研究成果展開事業」における30年度の成果例

概要：

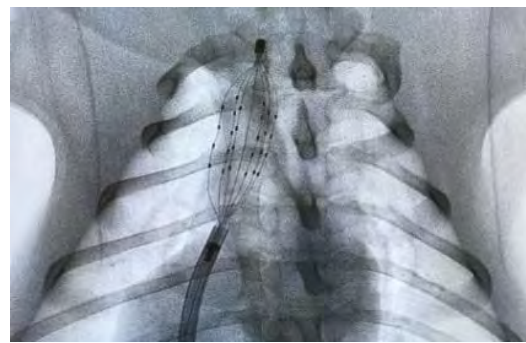
心不全は一度発症すると、心筋がダメージを受けるために予後不良な疾患であるが、カテーテルによる再灌流療法と同時に、迷走神経を電氣的に活性化させることで、心筋ダメージが著明に抑えられることが近年明らかとなっている。本開発では、上大静脈に並走する迷走神経を安定かつ安全に刺激できるバスケット型カテーテルの開発に成功。特許戦略や薬事戦略などを併行して進めて実用化を目指し、現在は薬事承認を目指した非臨床試験を進行中。

課題名：心筋梗塞後心不全を防ぐ迷走神経刺激カテーテル装置開発

研究代表者：朔 啓太（九州大学）



刺激カテーテル先端



カテーテル留置像

【その他の成果例】

- 平成27年度終了課題「個別化血栓止血医療を支援する検査システムの実用化」の成果を血液凝固分析装置として実用化、平成31年3月1日発売開始
研究代表者：林 義人（ソニー（株））
- 平成30年度終了課題「次世代乳癌スクリーニングのためのマイクロ波散乱場断層イメージングシステムの開発」で開発した機器が先駆け審査指定制度の対象に指定
研究代表者：木村 建次郎（神戸大学）

Ⅱ. オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト <参考2-②>

2. 「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」における30年度の成果例

<スマート治療室の開発>

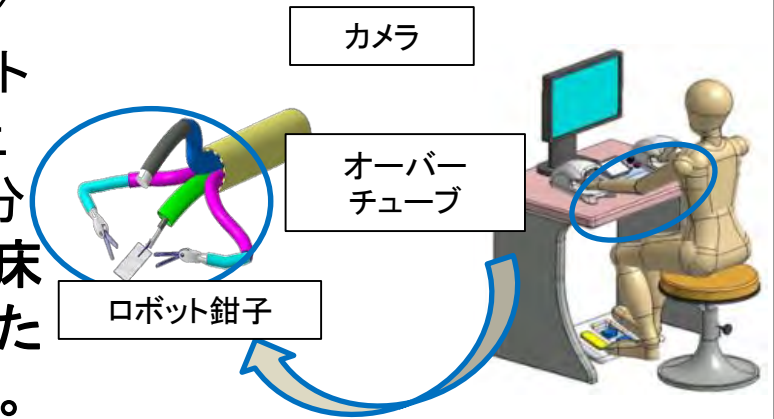
- 治療室内の主要な医療機器（電気メス、MRI、手術台等）を一元的に管理することで、医師の手術中の意思決定を支援。治療の安全性と効果を向上させる。（平成26～30年度）

- 30年度は、信州大学に製品版モデルを設置し臨床試験を開始した。



<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）
- 30年度は、ロボット鉗子の操作性向上とともに、カメラ部分の3D化を行い、臨床での使用を想定した実証実験を行った。



<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。

連携

<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。

- 30年度の成果として、8本のガイドライン(手引き)及び1種類の評価指標を作成。

(ガイドライン)

- ・三次元積層造形技術を用いた椎体間固定デバイスの開発ガイドライン
- ・マグネシウム合金を用いたスーチャーアンカー及び骨接合材料等の整形インプラントに関する開発ガイドライン
- ・in silico評価に関する開発ガイドライン
- ・PDT機器開発ガイドライン
- ・再生医療等製品製造の作業所におけるインキュベータの初期設置と維持管理に関するガイドライン
- ・スマート治療室のシステム構成・運用に関する開発ガイドライン
- ・再生医療等製品の製造所における安全キャビネットの設置と維持管理に関するガイドライン
- ・外科手術用及び内視鏡下手術用(体腔鏡下手術に使用される)低侵襲プラズマ止血装置開発ガイドライン

(評価指標)

- ・ヒト(同種)表皮由来細胞シートに関する評価指標

Ⅱ. オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト <参考2-③>

3. 「医療機器開発推進研究事業」における30年度の成果例

- 昭和大学(工藤 進英 教授)を中心とするグループにより、大腸がんの抑制を可能とする、人工知能に基づく内視鏡診断支援ソフトウェアの研究開発を実施(平成28年度～平成30年度)。
- 平成30年12月に薬事承認を取得。平成31年3月、導出先企業により国内販売開始。

研究目的

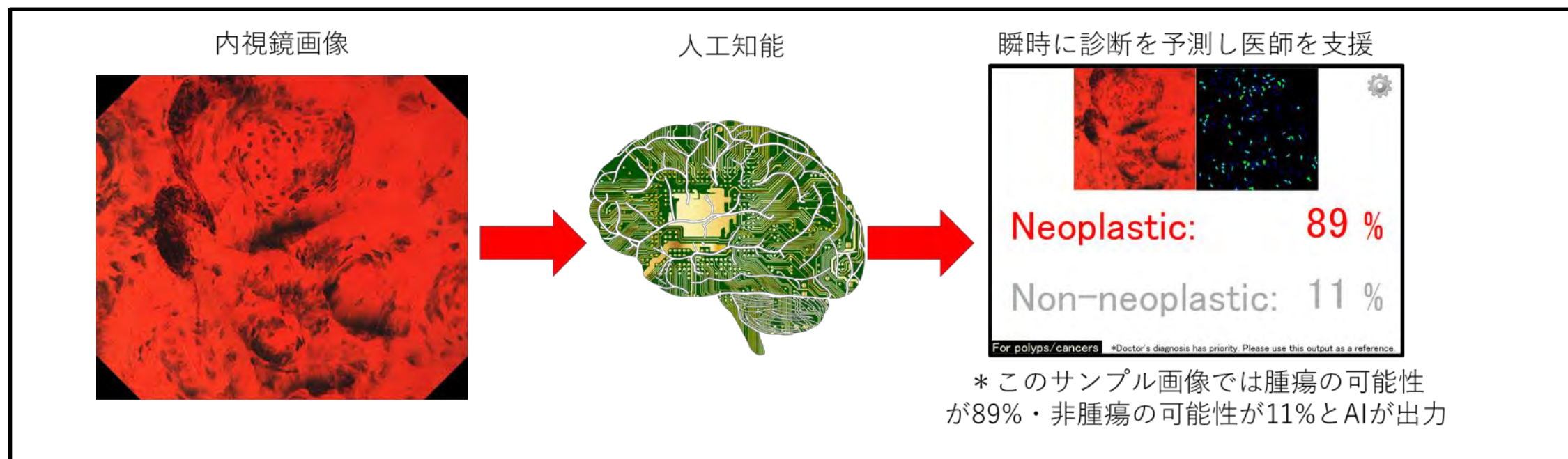
大腸の早期がんや前がん病変である腫瘍性ポリープを内視鏡を使って早期発見・早期治療することは、大腸がん死亡の抑制効果があるとされているが、ポリープの中には切除が必要な腫瘍性と、切除が必要でない非腫瘍性があり、医師は検査中に的確に判別する必要がある。このため、本研究において、医師による診断を支援するソフトウェアの開発を行った。

研究成果

人工知能に基づく内視鏡画像の解析により腫瘍性であるか非腫瘍性であるかを推測し、その可能性とともに提示するソフトウェア「EndoBRAIN[®]」を開発した。平成30年12月に薬事承認を取得し、平成31年3月に導出先のオリンパス(株)において国内販売を開始した。

今後の展望


医師の内視鏡診断を支援することにより、医師の診断精度の向上が期待される。



4. 「開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業」の平成30年度の成果例

- 平成29年度に同定した新興国・途上国等の公衆衛生上の課題と医療ニーズに基づいて、その課題を解決する医療機器開発に取り組む事業者を公募し、以下の取組を行った。
 - ① タイ(2課題)において、デザイン手法を用い、実際に医療現場に入り込み、臨床現場からニーズを抽出し、具体的な製品のコンセプトを作成した。
 - ② ベトナム(2課題)・インドネシア(1課題)において、特定したニーズに基づき作製した試作品を改良し製品開発を進めた。
- 新興国向けの医療機器開発を推進するため、タイにおいて、厚生労働省・AMEDとタイ保健省当局との意見交換や、開発事業者・厚労省・AMEDと現地大学の有識者との意見交換を行い、官レベル・アカデミアレベルの交流を行った。
- 製品開発完了後に確実に現地で製品し課題の解決につなげるよう外郭団体等との意見交換を進めた。

本研究開発事業の特徴

- 1 **開発途上国向けの製品開発**
 - ASEANを中心とした、開発途上国・新興国での開発・上市を想定
 - 市場性(人口規模×所得水準)や日本との関係性を考慮
 - 「日ASEAN健康イニチアチブ」に基づき、ASEANの健康寿命先進地域実現に貢献
 - (参考)日本と2国間の覚書を結んだ25か国*
- 2 **バイオデザイン等のデザインアプローチを採用**
 - バイオデザインとは、デザイン思考に基づいた、革新的な医療技術を生み出すための方法論
 - 戦略的視点に基づき、ニーズの発見、ニーズの選別、コンセプト出し、コンセプト選別を行う
 - 製品開発に際し、試作品(プロトタイプ)製作と臨床現場での仮説検証を繰り返す
 - デザインアプローチ普及のために、日本と開発途上国にて、教育プログラムの開発研究を実施
 - AMEDウェブサイトで公表済
- 3 **発展途上国の医療機関の臨床現場にてニーズを把握**
 - 企業の研究者・技術者が、開発途上国の医療機関にて、数ヶ月活動
 - 企業とバイオデザイン専門のコンサルティング会社との協業体制の構築
- 4 **厚生労働省も事業成功に向けて支援**
 - 企業が開発途上国で上市・事業成功するために、“厚生労働省ならではの”のとりくみを実施
 - 厚労省と相手国の保健省・規制当局等と情報連携し、ニーズ把握、上市支援を行う

新興国等における公衆衛生上の課題と医療ニーズ

- 急速に広がるNCDへの対策
- 感染症対策
- 都市化・産業化に伴う疾病への対応
- 不十分な医療インフラ下での医療提供
- Universal Health Coverageの促進・維持
- 健康危機管理対策

2018年度の進捗・成果

研究課題の開発実施国

開発途上国・新興国のニーズに合わせた、日本発バイオマーカーの簡易診断キット開発		ベトナム
安全なバッグ換気のためのモニタ		インドネシア
ベトナム国向けHigh-flow nasal cannula機器の開発		ベトナム
虚血性心疾患のプライマリヘルスケアに対応するウェアブル心電計診断システムの開発		タイ
マラリア原虫感染者発見率向上のための種特異的超高感度遺伝子検査システム開発研究		タイ

官・アカデミアレベルの普及活動の実施

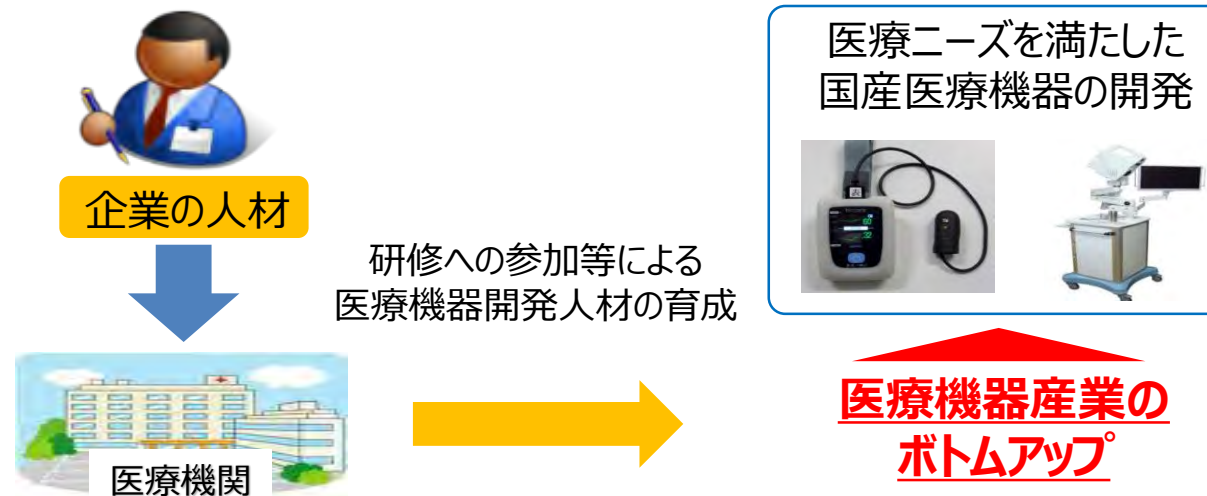
- **タイ保健省・厚生労働省・AMED間で、意見交換を実施(平成30年10月実施)**
- **タイの有識者(医科大学教授等)・研究開発企業・AMEDを交えての意見交換(平成30年10月実施)**

Ⅱ. オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト <参考2-⑤>

5. 「国産医療機器基盤整備等事業」における30年度の成果例

事業内容・目的

- 平成26年度から、医療ニーズを満たす医療機器開発の推進を図るため、医療機器の研究開発の経験が豊富な全国11カ所の医療機関で、企業の開発人材を受け入れて、教育プログラムの立ち上げやセミナーの開催等を実施。
- その成果を活用し、各拠点の連携を強化することに加えて、新規の拠点医療機関の整備を継続的に支援する。



平成30年度の成果

- 人材育成・ニーズの発掘体制の構築
 - ・開発・医療現場見学に当たっての体制整備
 - ✓ 病院内での明確なルールの策定
(留意点、個人情報保護、知的財産など)
 - ・教育プログラム、研修会の実施
 - ✓ 製品開発プロセス、薬事承認・保険適用制度など
- 相談体制の構築
 - ・医療機器開発を促進するための、研究開発、事業化に関する助言や指導体制
- 拠点医療機関での取組の紹介や拠点の整備に必要な事項をまとめたガイドブックの作成



11の医療機関にて実施



Ⅱ. オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト <参考2-⑥>

6. 「医療機器開発支援ネットワーク」における30年度の成果例

○相談件数は約160件。うち、伴走コンサル件数は約120件。

(開始当初からの累計:相談件数は約1,540件。うち、伴走コンサル件数は約640件。)

○海外展開、知財、法務等に関する相談対応の強化を図るため、新たに4名の伴走コンサルタントを追加。

○地域支援機関と連携し、伴走コンサルの地方開催(福島、石川、大阪、福岡等)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運用。(新たに約40件公開)

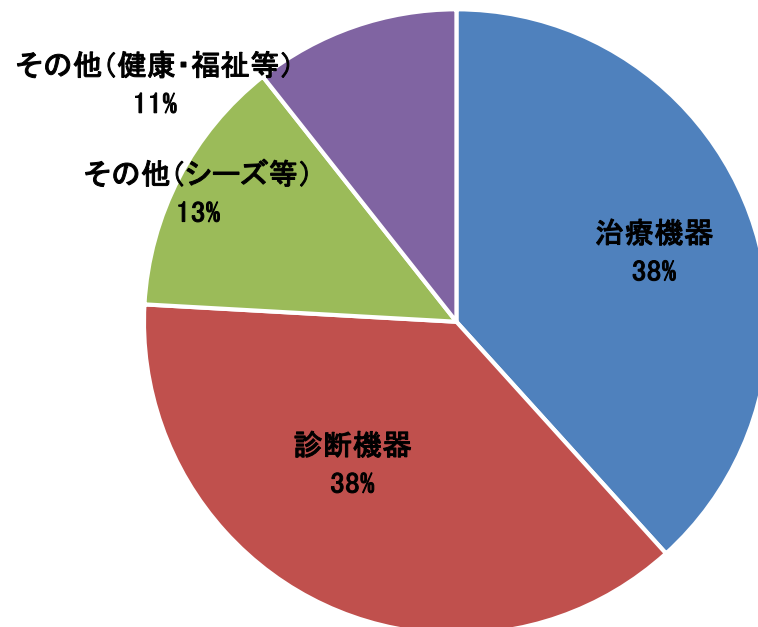
○医療従事者の声を製品開発へ反映させる製品評価サービスの運用。(6件実施)

○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2回:約40名受講)

医療機器開発支援ネットワークによる伴走コンサルの利用状況

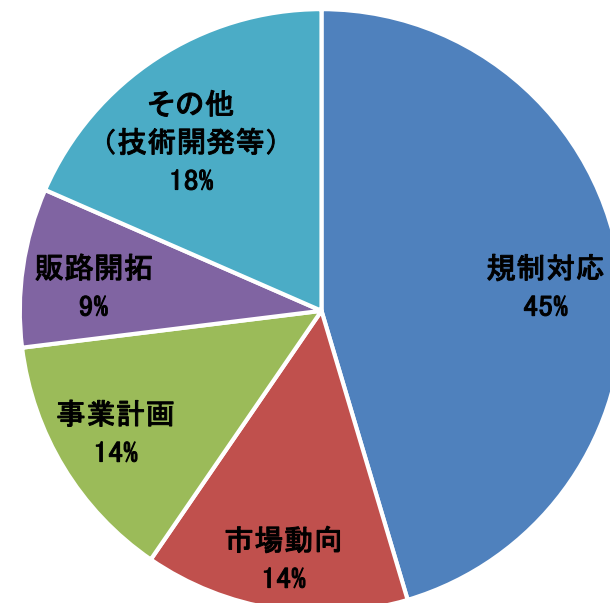
①医療機器の種類

- 「治療機器」、「診断機器」に関する相談が最も多い。(38%)
- 治療機器:呼吸式治療器、バルーンカテーテル、レーザー治療器、ステント等。
- 診断機器:遺伝子解析装置、脳波計、心電図計、電子聴診器、呼吸機能診断等。
- その他:歯科のインプラント等。



②相談の内容

- 「規制対応」に関する相談が最も多い。(45%)
- 規制対応:クラス分類(医療機器か非医療機器かの判断を含む)、申請手続き等。
- 事業計画:事業戦略、事業実施体制等。
- 販路開拓:販売代理店に関する情報収集や海外市場への展開等。



Ⅱ. オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト <参考2-⑦>

7. 「ロボット介護機器開発・標準化事業」における30年度の成果例

【事業内容】

○介護現場の負担軽減及び高齢者の自立支援に資するロボット介護機器の普及に向けて、経産省・厚労省が連携し策定した重点分野(※)に対応した、現場で「使える」ロボット介護機器の開発を支援。

○また、導入に向けて必要となる安全・性能・倫理基準の策定等の環境整備を実施。

※重点分野: 移乗介助(装着、非装着)、移動支援(屋外、屋内)、排泄支援、認知症の方の見守り(施設、在宅)、入浴支援

複雑・高価なロボット
2000万円程度

機能の選択と集中
《ニーズ指向》

①単純・安価だから「使える」

10万円程度《安価に》

②2025年の需要に応える

高齢単身世帯700万

介護職員240万人《大量に》

【平成30年度の実績】

- ・新たに追加した移乗介助等1分野5項目のロボット介護機器について、開発を実施し、順次市場投入予定。
- ・安全評価、効果性能評価等のためのガイドブックや支援ツールを策定。

これまでの成果：

- 平成25年度から29年度に実施したロボット介護機器開発・導入促進事業で開発した介護ロボットについて、18件の上市を実現。
- 平成30年度は、新たに追加した重点分野（1分野5項目）について、7件を採択し、開発を実施中。
- 介護ロボットの効果測定・評価及び安全基準の策定等についても、データ取得を実施中。

【開発した介護ロボットの例】

①



②



③



④



- ①ベッドサイド水洗トイレ (排泄支援)
- ②ラップオン・ブリオ (排泄支援)
- ③Wellsリフトキャリア (入浴支援)
- ④見守りレーダー (在宅見守り)

Ⅲ. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト①

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

【統合プロジェクト】

- 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、当該プロジェクトにおける、橋渡し研究支援拠点、臨床研究中核病院等の一体化を進めるとともに、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更に推進する。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。
- また、ICH-GCP準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO機能を持ち、多施設共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進める。なお、AROの更なる活用のため、各医療機関が有するARO機能について客観的な評価を行う。

【達成目標】

【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

【平成30年度(2018年度)の主な成果】

1. 革新的医療技術創出拠点における研究成果

- ① 脊髄損傷患者を対象とするSTR01(自己骨髄間葉系幹細胞):ステミラック注
• 患者から採取した骨髄間葉系幹細胞を採取して体外で増殖させ、患者に投与することで、脊髄損傷による歩行不全等を改善する画期的な治療法である。「脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善」を効能・効果とする再生医療等製品として製造販売承認(条件及び期限付承認)を取得(2018年12月28日)。
- ② 次世代胎児モニタリング装置
• 胎児状態評価項目である胎児の心拍数モニタリングに関し、母体腹壁から得た生体電気信号から胎児の生体電気信号を抽出する新しい技術を開発・実用化。2018年7月に販売が開始された。
- ③ がん治療用ヘルペスウイルス G47Δの医師主導治験で効果を確認
• がん細胞でのみ増殖可能となるよう設計された人為的三重変異を有する制限増殖型遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス1型(第三世代がん治療用単純ヘルペスウイルス1型)。膠芽腫を対象とした医師主導治験で高い有効性が確認された(2019年2月13日)。

2. 革新的医療技術創出拠点の整備等

- ① 橋渡し研究支援拠点と臨床研究中核病院等の一体的整備の推進
 - 全体会議(2018年6月)
拠点へ文科省・厚労省・AMEDから活動方針、年間スケジュール、及び拠点調査の方針等の情報提供を行うとともに拠点運営における問題点等の抽出・共有・議論を行った。
 - 拠点調査(2018年9月～11月)
本プロジェクトの全拠点において、PD、PS、PO出席の下、拠点としての機能強化やシーズ開発・臨床試験の進捗状況、自立化等について議論を行った。
 - 成果報告会(2019年2月)
2018年度拠点整備の状況およびシーズ育成の成果等として、支援を受けている拠点等からの報告や研究成果の発表等を行った。

Ⅲ. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト②

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画期的な基礎研究成果を一貫して実用化に繋ぐ体制の整備は着実に進んでおり、また、2018年度の実績からも、概ね順調に進捗している。

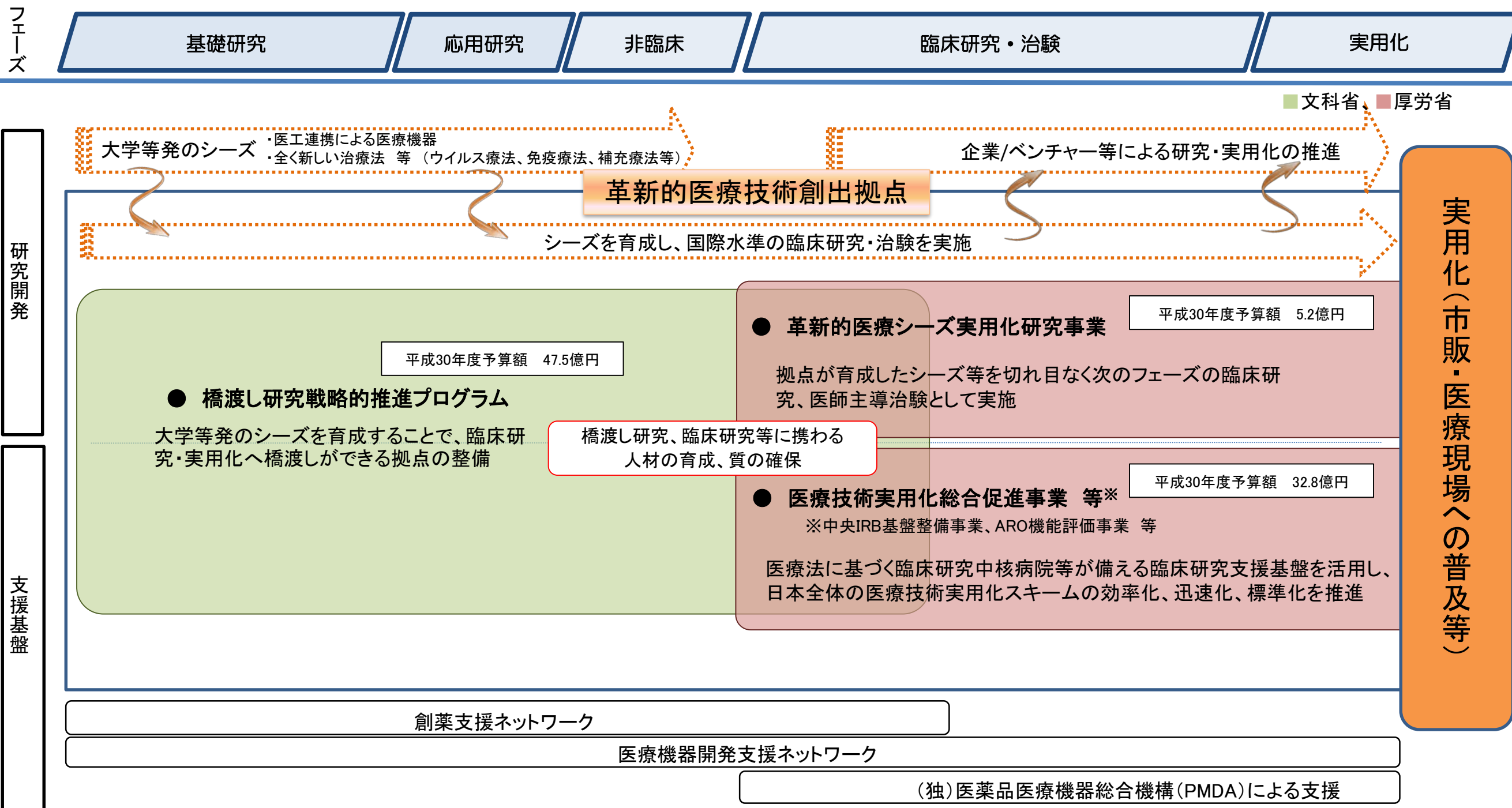
達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
【2020年までの達成目標】				
・医師主導治験届出数 年間40件	36件※ (33件)	A (A)	2018年度の医師主導治験届出数は36件であり、その研究開発の性質を踏まえれば、2018年度も概ね順調に進捗した。	
・First in Human (FIH) 試験 (企業治験を含む。) 年間40件	22件※ (26件)	B (A)	2018年度のFIH試験は22件であり、達成目標の半数程度に留まる。拠点におけるFIH試験(企業治験を含む)の件数として、2020年までのKPIを年間40件に設定していること、FIH試験件数全体では横ばいで推移している中で、2018年度の段階で22件となっている現状を考慮。	

Ⅲ. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト〈参考1〉

日本医療研究開発機構対象経費
平成30年度予算額 86億円

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

Ⅲ. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

○ 脊髄損傷患者を対象とするSTR01(自己骨髄間葉系幹細胞):ステミラック®注

研究代表者: 札幌医科大学医学部附属フロンティア医学研究所神経再生医療学部門 本望 修 教授

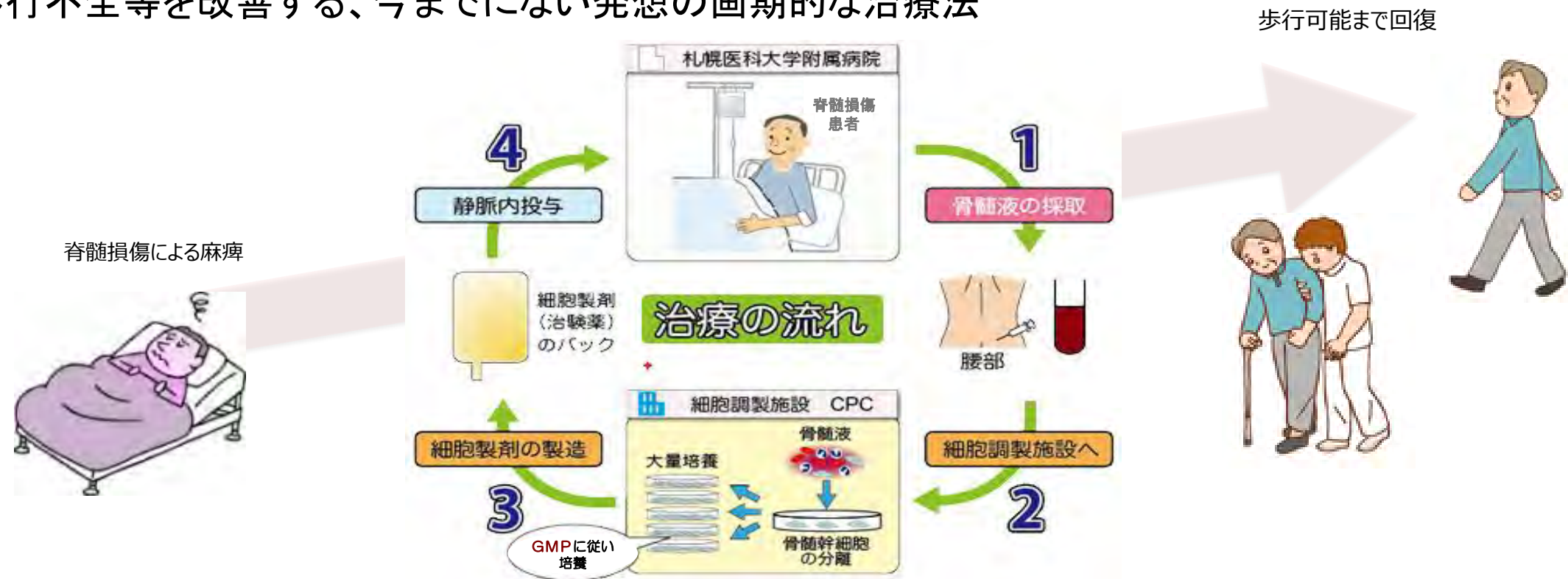
支援拠点: 北海道大学拠点(分担拠点: 札幌医科大学、旭川医科大学)

開発企業: ニプロ株式会社

研究費: 拠点活用A研究(2009~2013)、シーズC(2014~2016)

拠点による支援: 治験薬(細胞)の品質を担保するためのGCP体制整備支援、治験実施に関する学内調整を担当

製品の特徴: 患者から採取した骨髄間葉系幹細胞を採取して体外で増殖させ、患者に投与することで、脊髄損傷による歩行不全等を改善する、今までにない発想の画期的な治療法



2013年12月 脊髄損傷患者を対象とした医師主導治験開始

2014年4月 ニプロ株式会社と「再生医療分野で国内初の細胞医薬品」の事業化へ向けた特許ライセンス契約

2016年2月 厚生労働省より再生医療等製品の先駆け審査指定制度の対象品目の指定

2018年6月 厚生労働省に対し「再生医療等製品」として製造販売承認申請(ニプロ株式会社)

2018年12月 厚生労働省より「**条件及び期限付承認**」取得(ニプロ株式会社)

Ⅲ. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト<参考2-②>

○胎児心拍数モニタリング装置 アイリスモニタ

研究代表者： 東北大学大学院医学系研究科 木村 芳孝 教授

支援拠点： 東北大学

開発企業： アトムメディカル株式会社

研究費： スーパー特区研究(2009～2013)、シーズC(2014～2017)

拠点による支援： 治験相談資料の作成補助・統計解析・薬事申請に関する助言

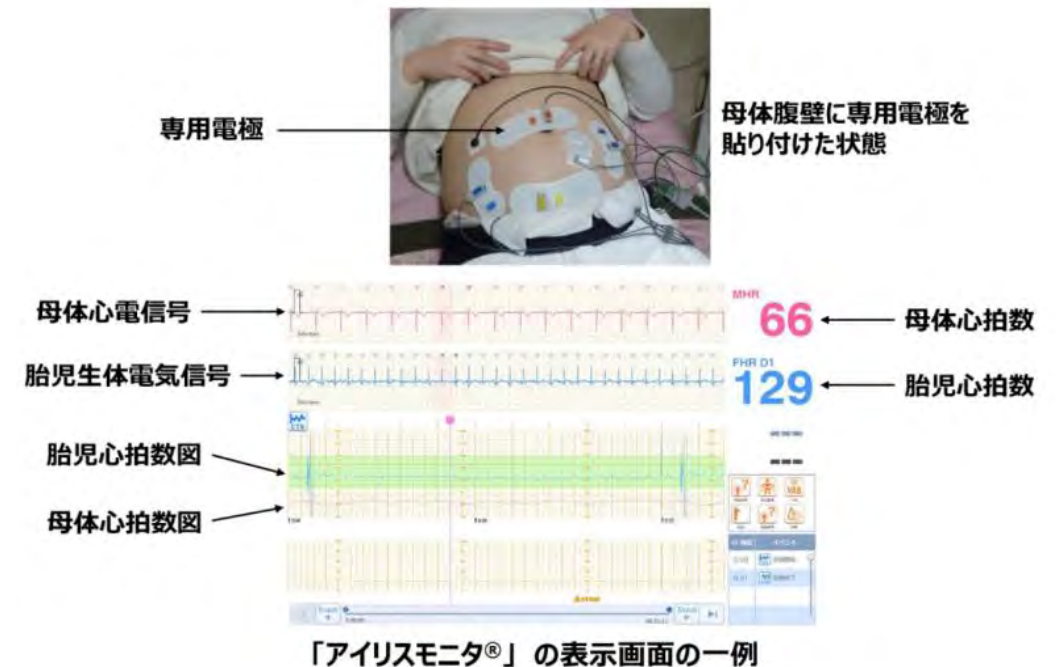
製品の特徴： 胎児状態評価項目である胎児の心拍数モニタリングに関し、母体腹壁から得た生体電気信号から胎児の生体電気信号を抽出する新しい技術を開発・実用化。

胎児に対し非侵襲である上に、妊娠早期から計測可能かつ、心拍数の詳細な変化を捉えることが可能。

2015年8月 医師主導国内多施設共同試験の実施

2017年2月 医療機器製造販売承認を取得

2018年7月 販売開始



○がん治療用ウイルスG47Δ

研究代表者： 東京大学医科学研究所 先端医療研究センター

先端がん治療分野 藤堂 具紀 教授

支援拠点： 東京大学

販売企業： 第一三共株式会社

研究費： 拠点活用A研究(2009～2013)、シーズC(2014～現在)

拠点による支援： データマネジメント・統計解析等にかかる支援(臨床研究)

特徴： がん細胞でのみ増殖可能となるよう設計された人為的三重変異を有する制限増殖型遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス1型(第三世代がん治療用単純ヘルペスウイルス1型)。

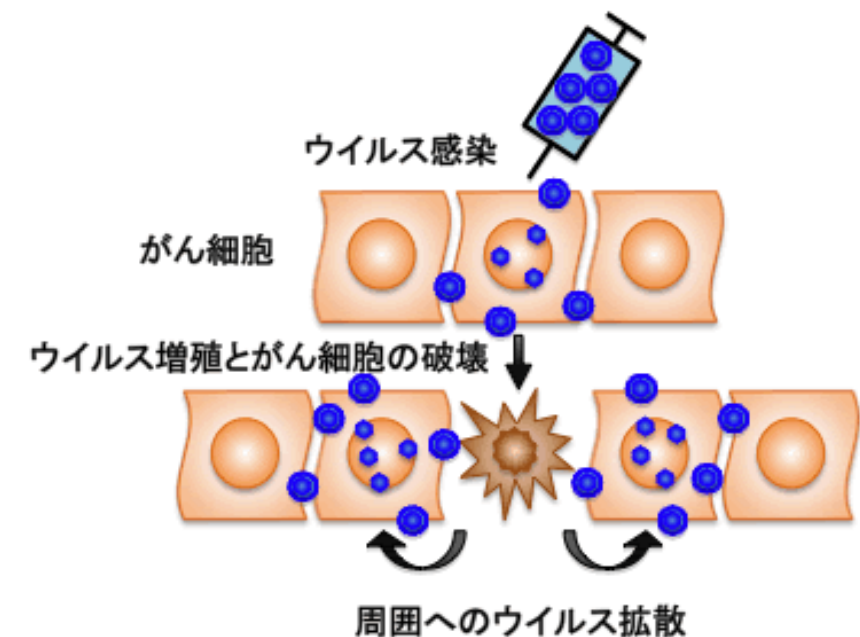
2009年8月 進行性膠芽腫患者を対象としたG47Δの臨床研究(第I-IIa相)

2014年12月 膠芽腫患者を対象とした増殖型遺伝子組換え単純ヘルペスウイルスI型の第II相臨床試験

2016年2月 先駆け審査指定制度の対象品目に指定

2017年7月 希少疾病用再生医療等製品の指定

2019年2月 中間解析の結果、高い有効性を確認



Ⅲ. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト <参考2-③>

- サイトビジットによる拠点調査を実施し、13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) 691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)364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)305件のシーズについて進捗管理を行った。
- 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。
- 橋渡し研究支援拠点の共通課題である知財ならびにプロジェクトマネジメントの担当者による実務者ワーキングを開催した(2018年11月、2019年2月)。
- 臨床研究中核病院の臨床研究の質を向上させ、臨床研究のさらなる安全性の確保をはかるため、病院情報システム内の医療情報データの標準化を図ると共にそのデータを研究等にも利活用できる体制整備を開始した。
- ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット2018にて、臨床研究中核病院6拠点におけるベンチャー支援に関するブースを出展した(2018年10月)。



革新的医療技術創出拠点

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 切れ目ない一貫した支援

基礎研究

前臨床試験

臨床試験

IV. 再生医療実現プロジェクト①

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。

【統合プロジェクト】

- iPS細胞等を用いた再生医療の迅速な実現に向けて、安全なiPS細胞の提供に向けた取組、幹細胞操作技術等のiPS細胞等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する。また、再生医療の臨床研究及び治験の推進や再生医療等製品の安全性評価手法の開発等を行う。さらに、再生医療の実現化を支える産業基盤を構築する。
- また、新薬開発の効率性の向上を図るために、連携してiPS細胞等を用いた創薬等研究を支援する。また、iPS細胞技術を応用した心毒性評価手法の開発及び国際標準化への提案を行う。さらに、幹細胞による創薬支援の実現化を支える産業基盤を構築する。

【達成目標】

【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

【平成30年度（2018年度）の主な成果】

1. 再生医療実現拠点ネットワークプログラム
再生医療実用化研究事業
再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業
 - 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」に引き続き支援している「再生医療実用化研究事業」において、京都大学では平成30年8月よりパーキンソン病の患者を対象に、他家iPS細胞由来のドパミン神経前駆細胞を移植する治験を開始した。平成30年10月には、第1例目の移植手術を実施した。
 - これに関連して、「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」では、iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞の製品化および事業化を見据え、同事業で研究開発された「閉鎖型大面積自動培養装置」が製品化に至った。
2. 再生医療実現拠点ネットワークプログラム
難治性疾患実用化研究事業
 - 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」において、慶應大学では筋萎縮性側索硬化症の患者由来のiPS細胞を用いて、治療薬候補を見出した。
 - 「難治性疾患実用化研究事業」において引き続き支援し、平成30年12月に同薬を用いた治験を開始した。
3. 再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業
 - 細胞製造の各プロセスにおいて、自動化や周辺技術を開発、実用化を達成するとともに、これらを一元管理する「再生医療統合マネジメントシステム」を開発した。作業者の最適割付を行うとともに製造管理、品質管理を統合的に制御することで、製造工程全体の最適化が可能となった。

IV. 再生医療実現プロジェクト②

iPS細胞等を用いた再生医療の迅速な実現、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けて順調に進捗している。

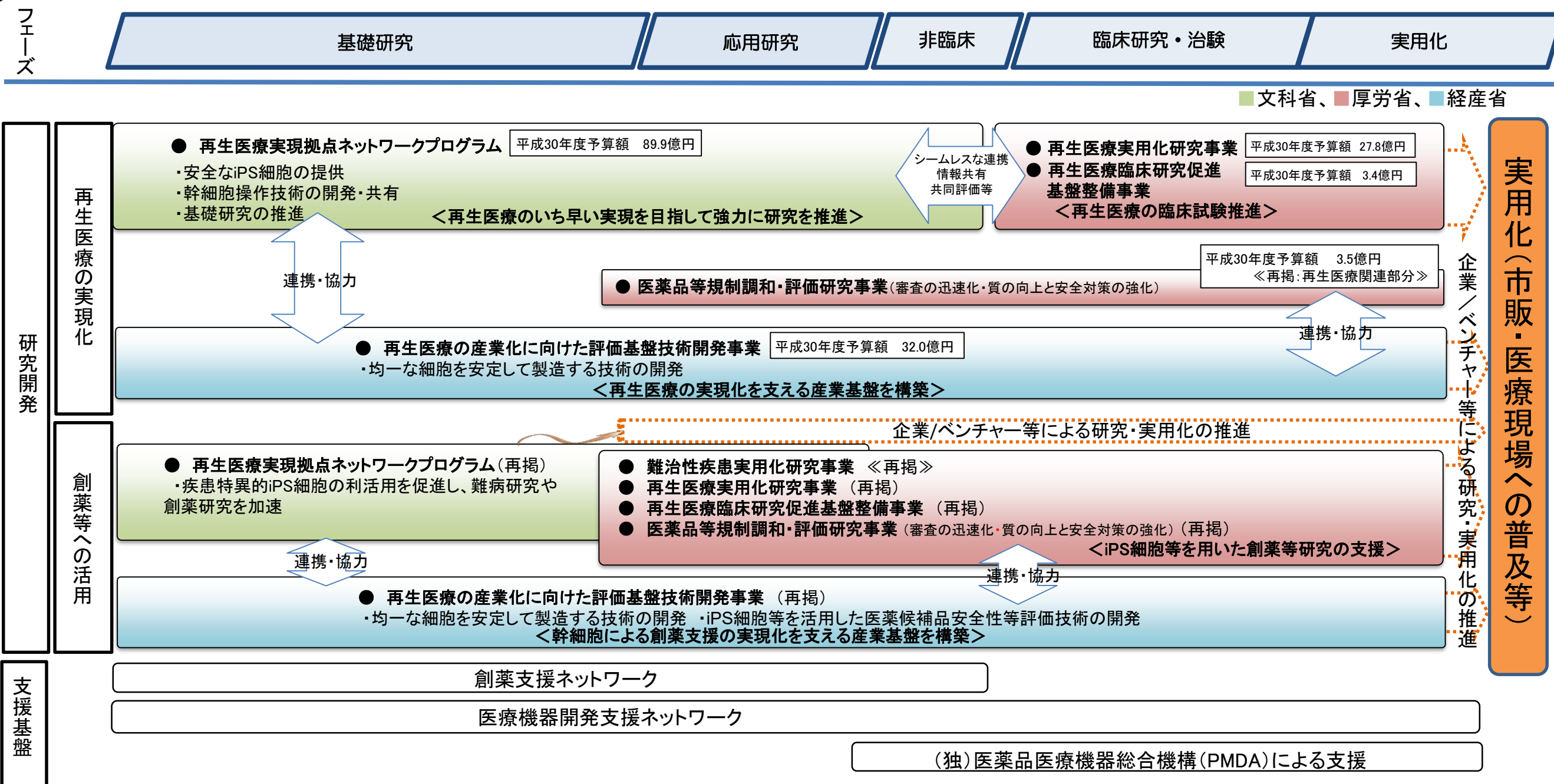
達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
【2020年までの達成目標】				
・ iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用(臨床研究又は治験の開始)	— (—)	A (A)	難病患者由来の血液細胞や線維芽細胞からiPS細胞の樹立が行われ、iPS細胞から様々な細胞を分化誘導する方法が確立されつつある。iPS細胞技術を活用して新規治療薬を創出する研究では、ドラッグ・リポジショニングにより、開発候補品が見出された。平成29年度に1件(進行性骨化性線維異形成症)の医師主導治験、続けて平成30年度には3件(ペンドレッド症候群及び2件の筋萎縮性側索硬化症)の医師主導治験が開始され、iPS細胞が創薬支援のツールとして有効であることを示した。	
・ 再生医療等製品の薬事承認数の増加	2品目 (1品目)	A (A)	平成30年度に薬事承認を受けたAMED支援による再生医療等製品数は1品目。	AMED支援品目の薬事承認数は累計2品目。上記以外を含む薬事承認数は累計7品目。
・ 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35件	42件 (31件)	A (A)	平成30年度はパーキンソン病、心不全、亜急性期脊髄損傷等に対する5件のiPS細胞を用いた研究を含む計11件が、新たに臨床段階に移行した。	「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」及び「再生医療実用化研究事業」等で推進する研究開発について、加齢黄斑変性、パーキンソン病等の42件が臨床研究又は治験へ移行した。
・ 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	— (—)	A (A)	「再生医療の産業化に向けた細胞製造・加工システムの開発」では、細胞を安定的にかつ安価に製造・加工するプロセスにおいて、培養、分化誘導、品質管理、保存、輸送等、多くの個別要素の自動化や培地・基材等の周辺技術を開発、実用化を達成したと共に、開発した製造設備をつないで統合的に制御することで、一貫した製造プロセスを実証した。	
・ 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	達成 (—)	A (A)	CiPA運営委員会における国際的な議論を行い、その結果も踏まえ、ICH(医薬品規制調和国際会議)において、iPS細胞技術を応用した心毒性評価手法の国際標準化への提言を行った。	第7回医薬品規制調和国際会議(ICH)結果概要 1.(2) https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_02529.html

※ 「最新の数値」は、2019年3月31日時点の計数、進捗： A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N 現時点で評価が困難、()は昨年度

IV. 再生医療実現プロジェクト<参考1>

日本医療研究開発機構対象経費
平成30年度予算額 157億円(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

IV. 再生医療実現プロジェクト <参考2-①>

1. 他家iPS細胞を用いたパーキンソン病を対象とする医師主導治験の開始

研究概要

○ 医師主導治験を開始

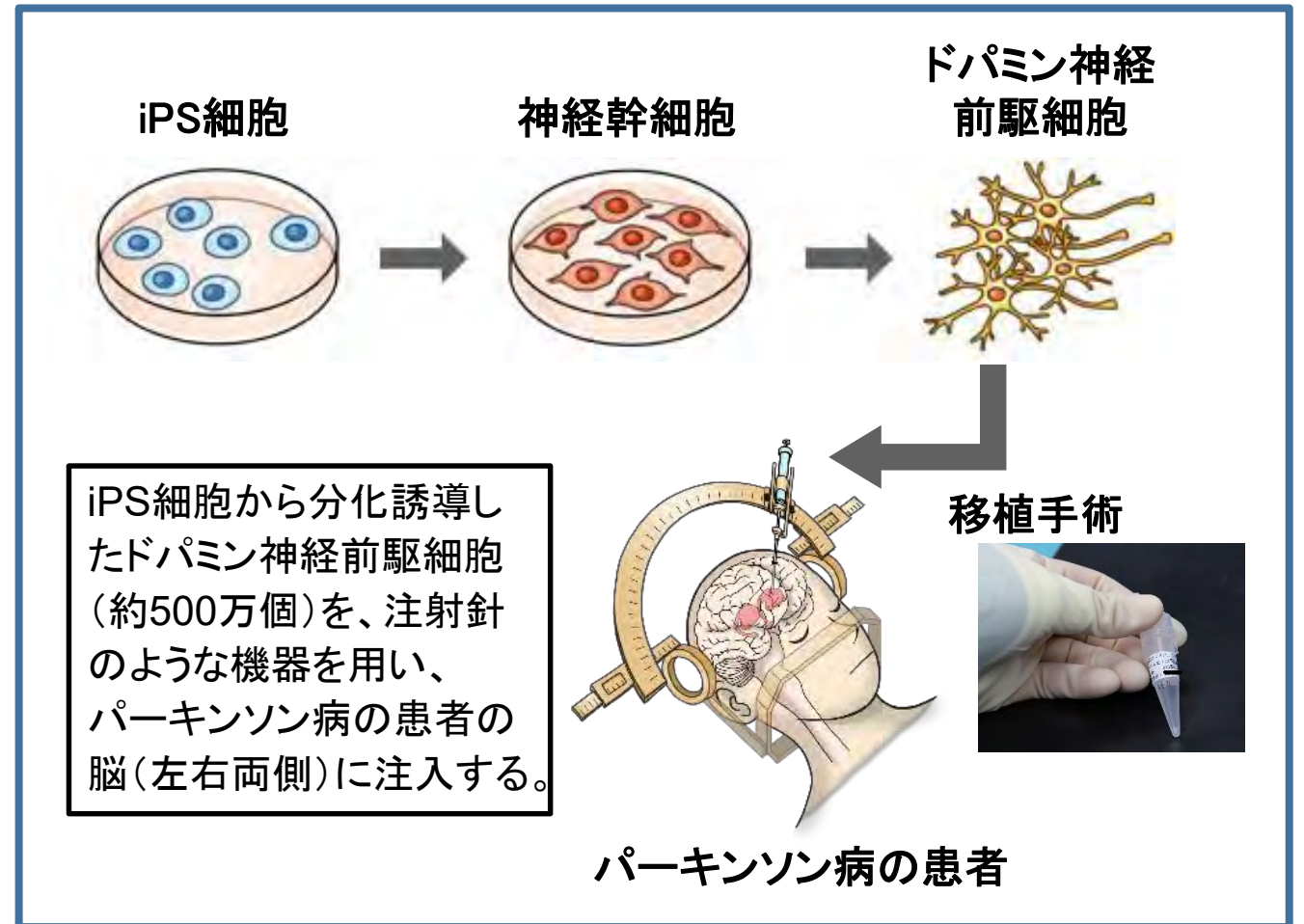
「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」に引き続き支援している「再生医療実用化研究事業」において、京都大学(高橋 淳 教授ほか)で、平成30年8月よりパーキンソン病の患者を対象に、世界初の他家iPS細胞から作製したドパミン神経前駆細胞を移植する医師主導治験を開始した(予定症例数:7例)。

平成30年10月には、第1例目となるヒトへの移植手術を実施した。

○ iPS細胞自動培養装置の開発

「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」では、大日本住友製薬(株)が、高橋 淳 教授らがその樹立法や製造方法を開発したiPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞の製品化および事業化を見据え、工業的な大量製造プロセスの確立を進めている。

同事業において、共同研究者である日立製作所が、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「iACE2」を国内で初めて製品化した。



iPS細胞大量自動培養装置「iACE2」

IV. 再生医療実現プロジェクト <参考2-②>

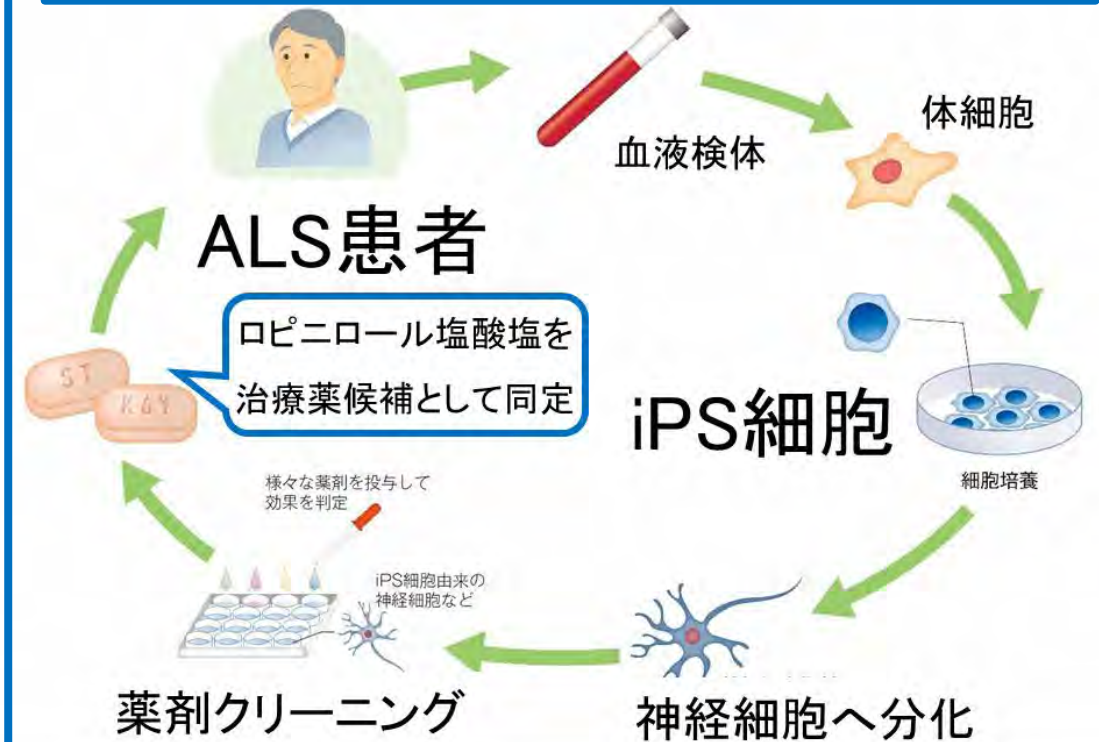
2. iPS細胞創薬に基づいたALSに対する医師主導治験の開始

研究概要

「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」において、慶應大学(岡野 栄之 教授ほか)で、ALS(筋萎縮性側索硬化症)患者由来のiPS細胞を用いて、治療薬候補(ロピニロール塩酸塩)を見出した。

「難治性疾患実用化研究事業」において、ドラッグ・リポジショニングによるALSに対する医師主導治験を平成30年12月に開始した(予定症例数:20例、うち5例がプラセボ)。

ALS患者由来iPS細胞を用いた治療薬候補の同定



3. 再生医療関係の周辺機器・装置等の実用化

研究概要

細胞製造の各プロセスにおいて、自動化や周辺技術を開発、実用化を達成するとともに、これらを一元管理する「再生医療統合マネジメントシステム」を開発した。

スケジューラ機能により、効率的なスケジュールの作成や設備と作業者の最適割付を行い、また統合制御機能がスケジューラとシームレスに連携することで、設備への工程指示と実績収集を行う。

本システムによりリアルタイムな製造の最適化が可能。また、標準インターフェース(I/F)により他社製の設備も含め制御が可能。



V. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト

急速に進むゲノムレベルの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ともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。その際、ゲノム医療の実現には時間を要することから、長期的視点に立って戦略的に推進する。

【統合プロジェクト】

疾患及び健常者バイオバンクを構築する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、疾患の発症原因や薬剤反応性等の関連遺伝子の同定・検証及び日本人の標準ゲノム配列の特定を進める。また、共同研究やゲノム付随研究等の実施により、難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索を図るとともに、ゲノム情報をいかした革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究を推進する。さらに、ゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備やゲノム医療提供体制の構築を図るための試行的・実証的な臨床研究を推進する。

【達成目標】

【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
- ・ 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
- ・ 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
- ・ 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

【平成30年度(2018年度)の主な成果】

1. 東北メディカル・メガバンク計画
バイオバンクの生体試料・情報分譲の対象を更に拡大した。また、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。
2. ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業
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を行った。また、パソコンの高度化やバイオバンク横断検索システムの開発を推進した。
3. ゲノム研究バイオバンク事業
バイオバンク・ジャパン(BBJ)の試料と情報をユーザーへ効果的に分譲するためのデータベースや検索システムの開発と運用を進め、従来の実績を大きく上回る分譲を行った。
4. ゲノム創薬基盤推進研究事業
RNA創薬研究の基盤となる、霊長類のデータベース構築に先立ち、既存データを活用したヒトPre-mRNA/mRNA及びDNAデータベース(テスト版)を構築し公開した(平成30年7月)。また、ゲノム検査を実施した患者に対して、ゲノム情報を含む検査結果を伝達する際に留意すべき事項等を取りまとめて公表した。
5. 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業
希少・難治性疾患等の4疾患領域を対象に検体収集及びゲノム解析を行い、がんと難聴においては遺伝学的検査の保険収載を実現した。得られたデータを臨床ゲノム情報統合データベースにて一般公開した。

V. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト②-1

ゲノム医療実現に向け、研究基盤を整備するとともに、収集した試料・情報等を活用した研究や、国立高度専門医療研究センター、大学等との連携による共同研究等に取り組み、順調に進捗している。

達成目標	最新の 数値		進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項 等)
【2020年までの達成目標】				
<ul style="list-style-type: none"> 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 	— (—)	A (A)	<p>「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」において、20万人規模の日本人集団の遺伝情報を用いた大規模ゲノムワイド関連解析を行い、2型糖尿病の発症に関わる遺伝子領域を新たに28同定し、日本人と欧米人では異なる仕組みが2型糖尿病の発症に関わることを見出した。</p> <p>本研究の成果は、2型糖尿病の遺伝要因の理解を深めるとともに、将来的には糖尿病の発症予測・発症前予防の応用につながることで期待される。</p>	

※ 「最新の数値」は、2019年3月31日時点の計数、
進捗： A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N 現時点で評価が困難、()は昨年度

V. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト②-2

達成目標	最新の 数値		進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項 等)
<ul style="list-style-type: none"> 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 	— (—)	A (A)	「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、がんゲノム医療の体制整備として患者レポジトリと知識データベースの構築を行い、平成30年6月からの「がんゲノム情報センター(C-CAT)」運用開始に繋がった。 「ゲノム創薬基盤推進研究事業」では、炎症性腸疾患でのチオプリン不耐例を高精度に判別する遺伝子検査キットを開発し、薬事承認を取得、平成31年2月から保険適応となり医療実装された。このキットを用い、個人に最適化されたチオプリンによる免疫調節療法の開発に向けた臨床試験が開始となっている。	
<ul style="list-style-type: none"> 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 	— (—)	A (A)	「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、難聴約3000症例に対してクリニカルシーケンスを実施し、新規原因遺伝子を同定した。若年発症型両側性感音難聴の遺伝学的検査として、平成30年11月より保険適応となり医療実装された。このデータを集積し、効率的な臨床研究や治験の基盤として活用できる。	
<ul style="list-style-type: none"> 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 	— (—)	A (A)	「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、平成28年度から、希少・難病疾患10,000症例を超えるゲノム解析を行い、新規原因候補遺伝子を含む約13,000件の変異データを統合データベースに登録した。このデータベースを活用し、多系統萎縮症や心筋症等に対する臨床試験や治験が開始となっている。	

※ 「最新の数値」は、2019年3月31日時点の計数、
 進捗： A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N 現時点で評価が困難、()は昨年度

V. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト〈参考1〉

日本医療研究開発機構対象経費
平成30年度予算額 104億円(一部再掲)

インハウス研究機関経費
平成30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

研究開発

■ 文科省、■ 厚労省

●ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業(目標設定型の先端ゲノム研究開発)

平成30年度予算額 19.3億円

研究プラットフォームを活用する大規模ゲノム解析やオミックス解析等を実施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等の多因子疾患研究
- 革新的基盤技術開発 等

連携・協力
(基盤技術)

●臨床ゲノム情報統合データベース整備事業

平成30年度予算額 14.4億円

オールジャパンのネットワークを形成・整備し、がんや感染症、希少疾患等の全ゲノム情報等を集積・解析した情報を医療機関に提供することで個別化医療を推進

●ゲノム創薬基盤推進研究事業

平成30年度予算額 2.2億円

ゲノム情報の医療への実利用、創薬の実現を進めるため、ゲノム情報の患者還元課題等の課題解決に関する研究、新規創薬ターゲットの探索等を推進

●ゲノム診断支援システム整備事業

インハウス研究機関経費
平成30年度予算額 3.8億円

NCIに「臨床ゲノム情報を実際の診断で活用するための診療基盤」を整備し、ゲノム医療の提供を推進

●NCにおける治験・臨床研究推進事業

インハウス研究機関経費
平成30年度予算額 3.5億円

高度専門的な病院機能を具備したNCを活用した臨床研究・治験を推進

●革新的がん医療実用化研究事業

平成30年度予算額 23.1億円<<再掲:ゲノム関連部分>>

がんゲノム医療の実用化に向けた技術開発、人材育成やゲノム情報を用いた予防、診断、治療方法の技術開発 等

●認知症研究開発事業

平成30年度予算額 0.2億円<<再掲:ゲノム関連部分>>

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

●難治性疾患実用化研究事業

平成30年度予算額 12.0億円<<再掲:ゲノム関連部分>>

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

研究の推進
研究基盤の利活用促進

●ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業(ゲノム研究プラットフォーム利活用システム)(再掲)

試料・情報のワンストップサービス等により研究基盤の利活用を促進

研究の推進
研究基盤の利活用促進

支援基盤

●ゲノム研究バイオバンク事業(バイオバンクジャパン)

平成30年度予算額 3.5億円

構築した世界最大級の疾患バイオバンクであるバイオバンク・ジャパン(BBJ)の利活用を促進

●ナショナルセンターバイオバンクネットワーク(NCBN)

インハウス研究機関経費
平成30年度予算額 10.7億円

NCを受診した患者の手術切除検体等と臨床情報を活用したゲノムコホート研究や特定の疾患へのゲノム情報を用いた臨床応用を推進

●東北メディカル・メガバンク計画

平成30年度予算額 29.4億円

被災地を中心とした健常人15万人規模のゲノムコホート研究を実施し、地域医療の復興に貢献するとともに、次世代医療体制の構築を図る。さらに、バイオバンク構築や収集した試料等の分譲等の実施により、疾患の個別化予防等に向けた基盤整備を推進

(データ共有等)
連携・協力

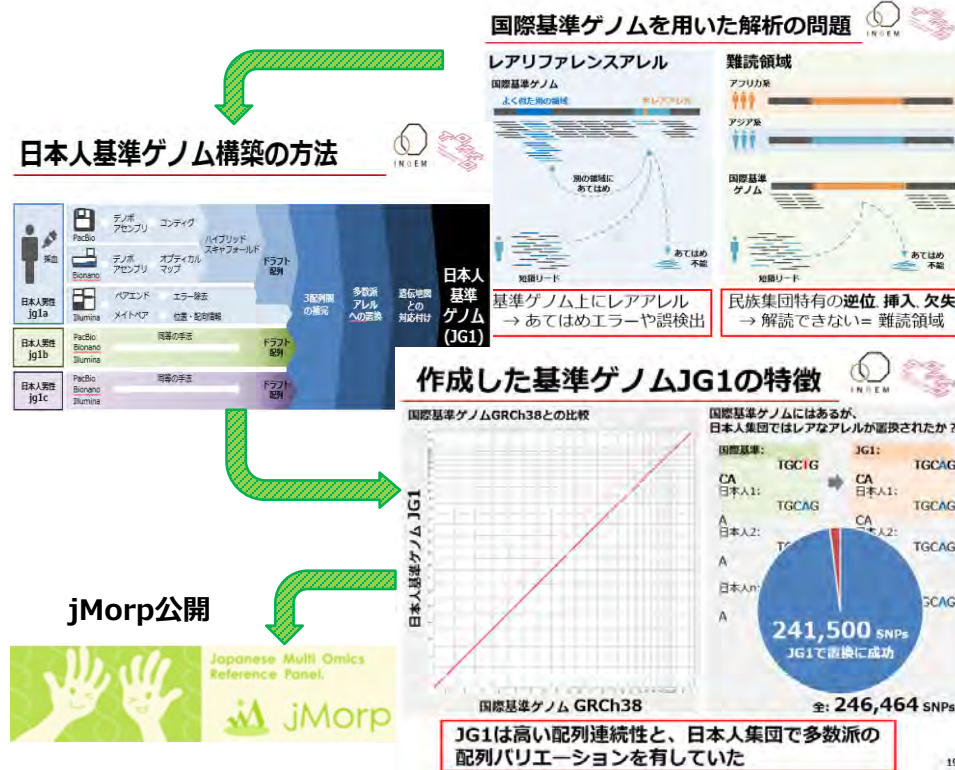
実用化(市販・医療現場への普及等)

【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

V. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト <参考2-①>

1. 【全ゲノムリファレンスパネルの拡充、基準ゲノム配列の決定（東北メディカル・メガバンク計画）】



日本人のゲノム配列は、欧米人と異なるため、ゲノム医療の実現化には日本人の標準的なゲノム配列を明らかにすることが必要

研究成果等

- 日本人約3500人のX染色体・ミトコンドリアゲノム情報を追加更新した日本人リファレンスパネル3.5KJPNv2を一般公開(平成30年6月)、さらに挿入・欠損配列の頻度情報等を追加し新たに公開(平成30年11月)
- 日本人3名に由来するゲノム配列を複数の方法を組み合わせて世界で初めて精密に決定し、国際基準ゲノム利用の問題点を解決した日本人のゲノム解析を行うためのひな型「日本人基準ゲノム配列(JRGA)」初版 JG1 を作成、公開(平成31年2月) (<https://jmorp.megabank.tohoku.ac.jp/999.html>)

⇒国内ゲノム医療研究への貢献

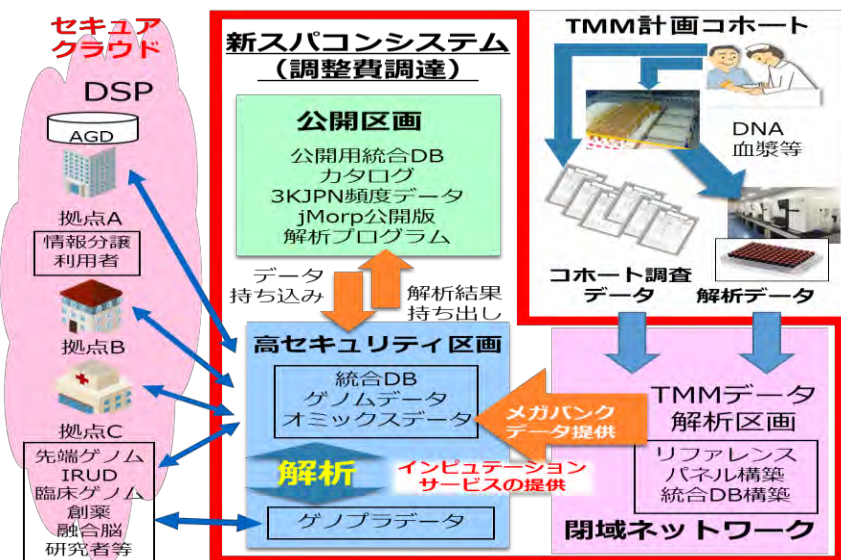
2. 【ゲノム医療研究支援機能の整備等（ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業）】

大規模なデータ解析を伴うゲノム医療研究を推進するためには、研究機関等の連携等が必要

研究成果等

- 東北メディカル・メガバンク機構に設置されているスーパーコンピュータの計算資源の高度化を図ることにより、全国の研究者のゲノム解析や解析データの利活用を促進するためのオールジャパンとしての情報システム基盤を整備(平成29年6月～平成31年3月)。
- 3大バイオバンクを中心とする国内バイオバンク・ネットワークを形成し、バイオバンク試料の利活用促進のための研究開発課題「ゲノム研究プラットフォーム利活用システム」を立ち上げた(平成30年10月)、3大バイオバンクの横断検索システムの運用を開始。

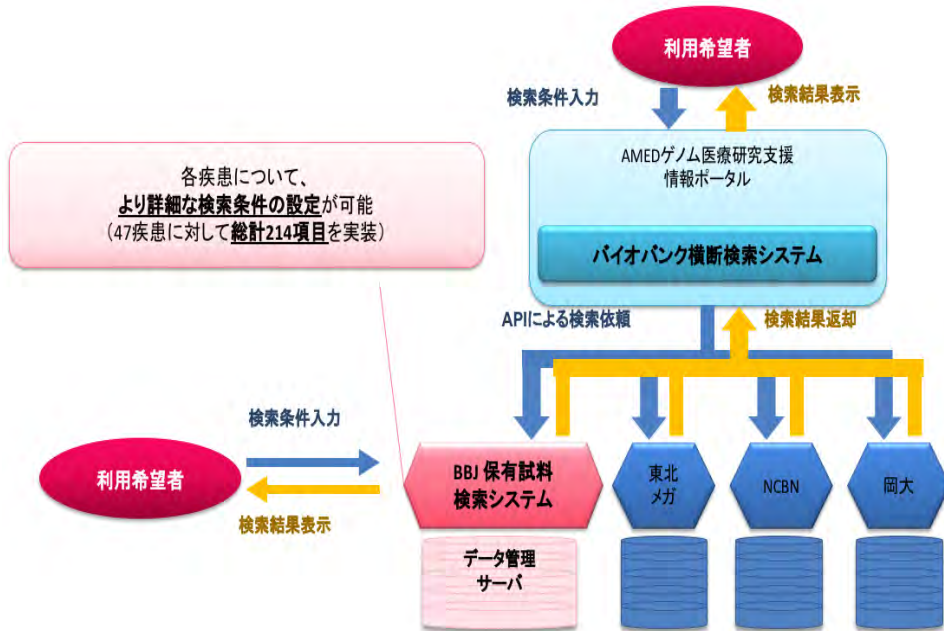
⇒国内ゲノム医療研究への貢献



V. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト <参考2-②>

3. 【試料・情報をユーザーへ効果的に分譲するためのデータベースや検索システムの開発・運用（ゲノム研究バイオバンク事業）】

本事業では、バイオバンク・ジャパン(BBJ)が保有している試料・情報のさらなる利活用促進が求められている。ユーザーへの効果的な分譲を行なうため、データベースや保有試料検索システムの開発と運用が必須。



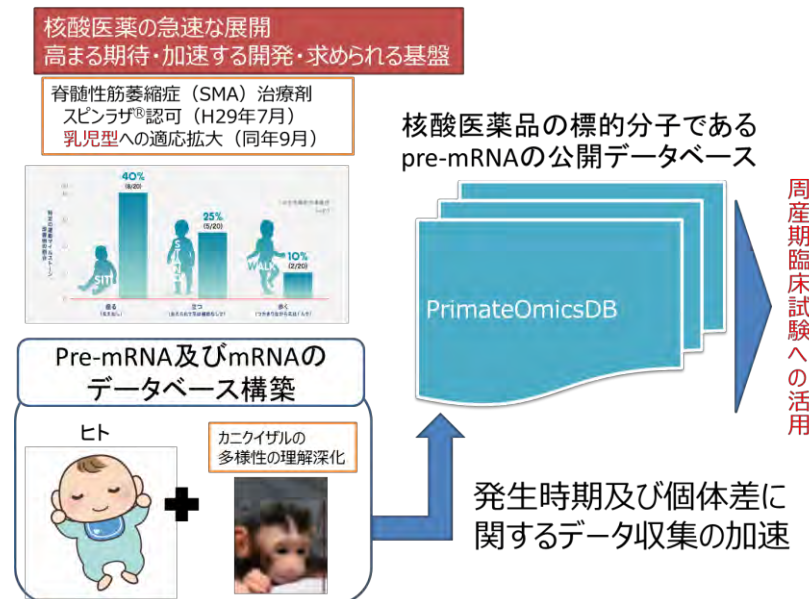
研究成果等

○これまでに構築した疾患バイオバンク:バイオバンク・ジャパン(BBJ)の試料と情報をユーザーへ効果的に分譲するため、試料等利用審査会にWEB審査システムを導入し、効率化を実現。従来の実績を大きく上回る分譲を行った(DNA88,867件、血清3,771件、臨床情報・ゲノム情報27,072件、検索システム利用574件)。また、臨床情報データベースの整備の一環として、登録疾患情報の国際標準化対応(ICD-10導入)を進めている。

⇒国内ゲノム医療研究への貢献

4. 【核酸医薬創薬に資する霊長類RNAデータベースの構築（ゲノム創薬基盤推進研究事業）】

霊長類のゲノムやRNAの研究は少なく、霊長類を用いたRNA創薬研究や前臨床評価に大きな制約となっている。そのため、核酸医薬創薬に資する霊長類RNAデータベース(D3G: Database for Drug Development based on Genome & RNA sequence)の構築・非制限公開が必要となっている(メインユーザーは、アカデミア/PMDA/製薬企業)。



研究成果等

○霊長類のデータベース構築に先立ち、既存データを活用したヒトPre-mRNA/mRNA及びDNAデータベース(テスト版)を構築し公開した(平成30年7月)。また、乳幼児に対する核酸医薬開発が加速している背景から、規制当局からの指摘を受け、成獣カニクイザルに加えて、発生段階にある乳幼児期におけるカニクイザルのpre-mRNA/mRNAのデータベースの構築した。さらに、薬剤応答性の個体差につながる種としての遺伝的な多様性を配慮するために、産地の異なる成獣個体のデータベース構築にも着手し、平成32年度中の公開を目指している。

⇒核酸医薬の創薬研究・社会実装に貢献

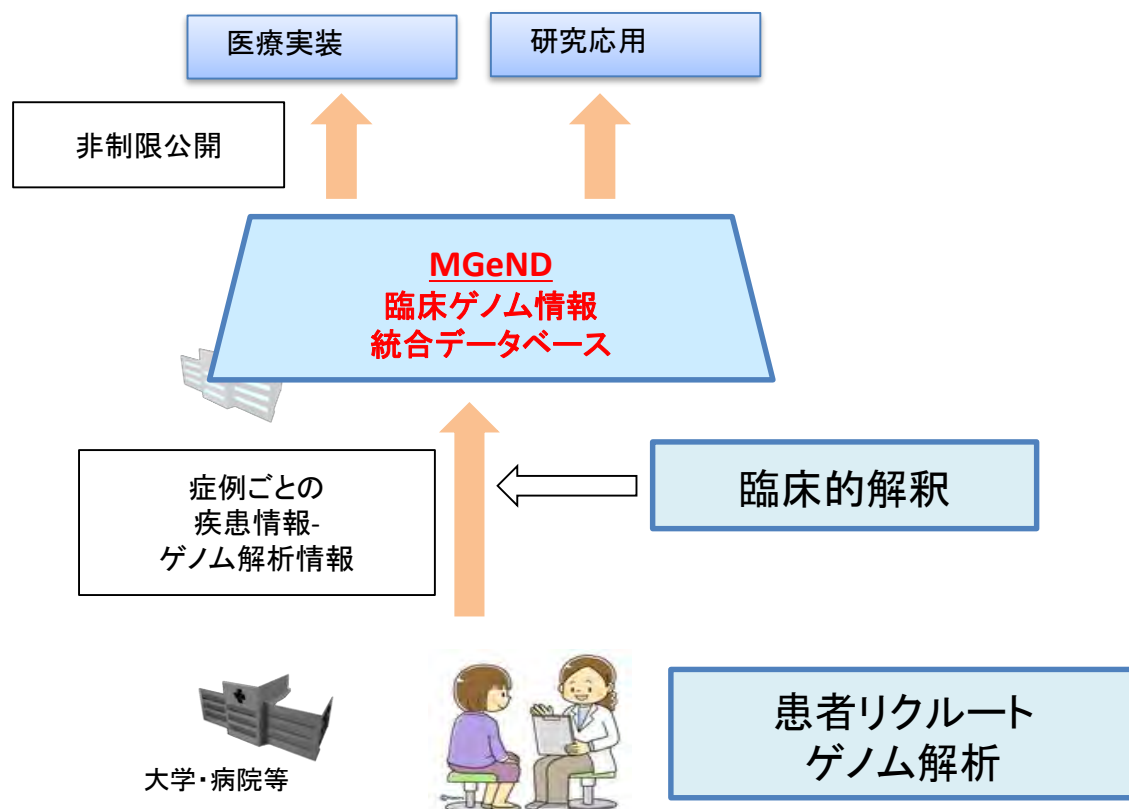
V. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト <参考2-③>

5. 【疾患横断的な臨床ゲノム情報の公開（臨床ゲノム情報統合データベース整備事業）】

ゲノム医療の実現化には日本人における遺伝子変異・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集積したデータベースが必要。

研究成果等

- 4つの疾患領域(希少・難治性疾患、がん、感染症、認知症・感覚器)を対象に、クリニカルシーケンス等の実施体制及び臨床情報とゲノム情報等を集積したデータストレージとそれらの情報を集約する体制を整備した。
- クリニカルシーケンスにより見いだされた疾患感受性バリエーション情報を疾患横断的に集約した統合データベースMGeND (Medical genomics Japan Variant Database)を構築し、日本人の疾患感受性バリエーション情報を公開した。なお、MGeNDに格納された疾患関連バリエーションの半数以上はClinVarに登録がなく、東アジア人種に特徴的なバリエーションを集約している。
- クリニカルシーケンスの配列データをAGD (AMED genome group sharing database)に登録し、国内の研究者間におけるデータ共有を開始した。
- がん研究班で開発した「NCCオンコパネル」は、先進医療Bを経て体外診断用医薬品・医療機器として製造販売承認を取得した(平成30年12月)。
- がん研究班で開発した「Todaiオンコパネル」は、先進医療Bを実施中(平成31年3月時点)。



- がん研究班で開発した患者レポジトリと知識データベースは「がんゲノム情報センター(C-CAT)」のプロトタイプとして導入され、C-CATの平成30年6月1日からの運用に寄与した。
- 若年発症型両側性感音難聴の遺伝学的検査として保険診療でのクリニカルシーケンスを平成30年11月より開始した。
- 認知症班では、J-ADNI等の臨床情報をベースに、ゲノム解析を実施し、日本人を対象とした認知症研究の基盤的なデータを集積した。
- 感染症班では、B型肝炎ワクチン応答性に関わる遺伝的要因、慢性B型肝炎の感染から発がんに転化する遺伝的要因を解明した。
- 難病班では、希少・難病疾患10,000症例を超えるゲノム解析を行い、希少・難治疾患の新たな疾原因遺伝子を同定するとともに、学会やIRUD事業、難プラ事業と連携して既存データのMGeND登録を推進した。

⇒国内ゲノム医療の研究・社会実装に貢献

VI. ジャパン・キヤンサーリサーチ・プロジェクト

がん対策推進基本計画(平成24年6月閣議決定)に基づき策定された「がん研究10か年戦略」(平成26年3月関係3大臣確認)を踏まえ、関係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。

【統合プロジェクト】

我が国でリードすべき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、臨床研究及び治験へ導出すると共に、臨床・ゲノム情報基盤を整備しビッグデータを活用することによって個別化医療の実現、国際的な貢献を果たす。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し、医薬品、医療機器の開発をはじめとするがん医療の実用化を加速する。

【達成目標】

【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)

【平成30年度(2018年度)の主な成果】

1. 次世代がん医療創生研究事業(以下、次世代がん事業)
 - 免疫機能をコントロールする能力を付与した次世代CAR-T細胞を開発し、従来のCAR-T細胞療法では効果の得られなかった固形がんに対して極めて高い治療効果を示すことを明らかにした。
2. 革新的がん医療実用化研究事業(以下、革新がん事業)
 - 第三世代のがん治療用ヘルペスウイルスを用いた、膠芽腫に対する第Ⅱ相医師主導治験において、高い治療効果と安全性を確認し、製造販売承認申請を実施する見込みとなった。
 - 多くのがんで見つかる機能喪失性変異による代謝異常と、その代謝異常を阻害することによる合成致死治療法を見つけ出し、代謝異常を標的とした新たながん治療法になり得ることを示した。
3. 有望な研究成果の実用化を加速するため、文科省の次世代がん事業で特に優れた進捗を示す研究開発課題を当該事業内または厚労省の革新がん事業の次のステージへ進める仕組みを構築し、AMEDのマネジメントにより省庁の枠を超えスムーズな課題移行を実現。
4. 研究成果の企業導出を促進するため、次世代がん事業と革新がん事業の研究課題紹介リーフレット集を作成、製薬協等からの案内を通じて登録した数十社の企業関係者に配布し、要望に応じた個別面談サポートなど提携を促す環境を提供した。
5. 全JCRP事業(文科省、厚労省、経産省事業)の5事業合同企画として市民向け成果発表会を開催し、PSPOなどの有識者が指揮をとりポスターを巡る「ポスターツアー」を実施するなど、がん研究をより身近に感じていただくことに成功した。
6. 次世代がん事業、革新がん事業及び他プロジェクトの事業に参加する若手研究者を対象に第4回AMEDがん若手研究者ワークショップを開催し、事業やプロジェクトの枠を超えて、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。

VI. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト②-1

健康・医療戦略で掲げた目標達成に向けて、平成26年3月に策定された「がん研究10か年戦略」に基づき、関係省庁の連携の下、基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進しており、概ね順調に進捗している。

達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項 等)
【2020年までの達成目標】				
<ul style="list-style-type: none"> 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 	14種 (12種)	A (A)	<ul style="list-style-type: none"> 同種移植後再発難治性成人T細胞白血病リンパ腫に対する抗原特異的TCR遺伝子導入Tリンパ球輸注療法 難治性肉腫に対するワクチン併用TCR遺伝子改変T細胞輸注療法 高齢者食道癌に対するペプチドホルモン療法 進行・再発固形がんに対する免疫療法 悪性神経内分泌腫瘍に対する¹³¹I-MIBG内照射療法 肉腫の革新的医薬:独自開発の増殖制御型アデノウイルス 非小細胞肺癌に対する新規ペプチドワクチン維持療法 等 	
<ul style="list-style-type: none"> 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 	26種 (21種)	A (A)	<ul style="list-style-type: none"> 再発膠芽腫に対する適応拡大試験 難治性神経芽腫に対する分化誘導療法 食道扁平癌を対象とした化学放射線療法後の免疫療法の安全性・有効性試験 難治急性リンパ性白血病に対する多剤併用療法 胸腺癌、胸腺腫に対する抗PD-1抗体ニボルマブ(適応拡大) ALK融合遺伝子陽性のⅢ期非小細胞肺癌に対する集学的治療法の開発に関する研究 オリジナル抗原HSP105由来ペプチドワクチン 化学療法に対する抵抗性を克服することを目的とした希少がん(悪性胸膜中皮腫)治療薬 慢性骨髄性白血病に対する根治薬 等 	

※ 「最新の数値」は、2019年3月31日時点の計数、
進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N 現時点で評価が困難、()は昨年度

VI. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト②-2

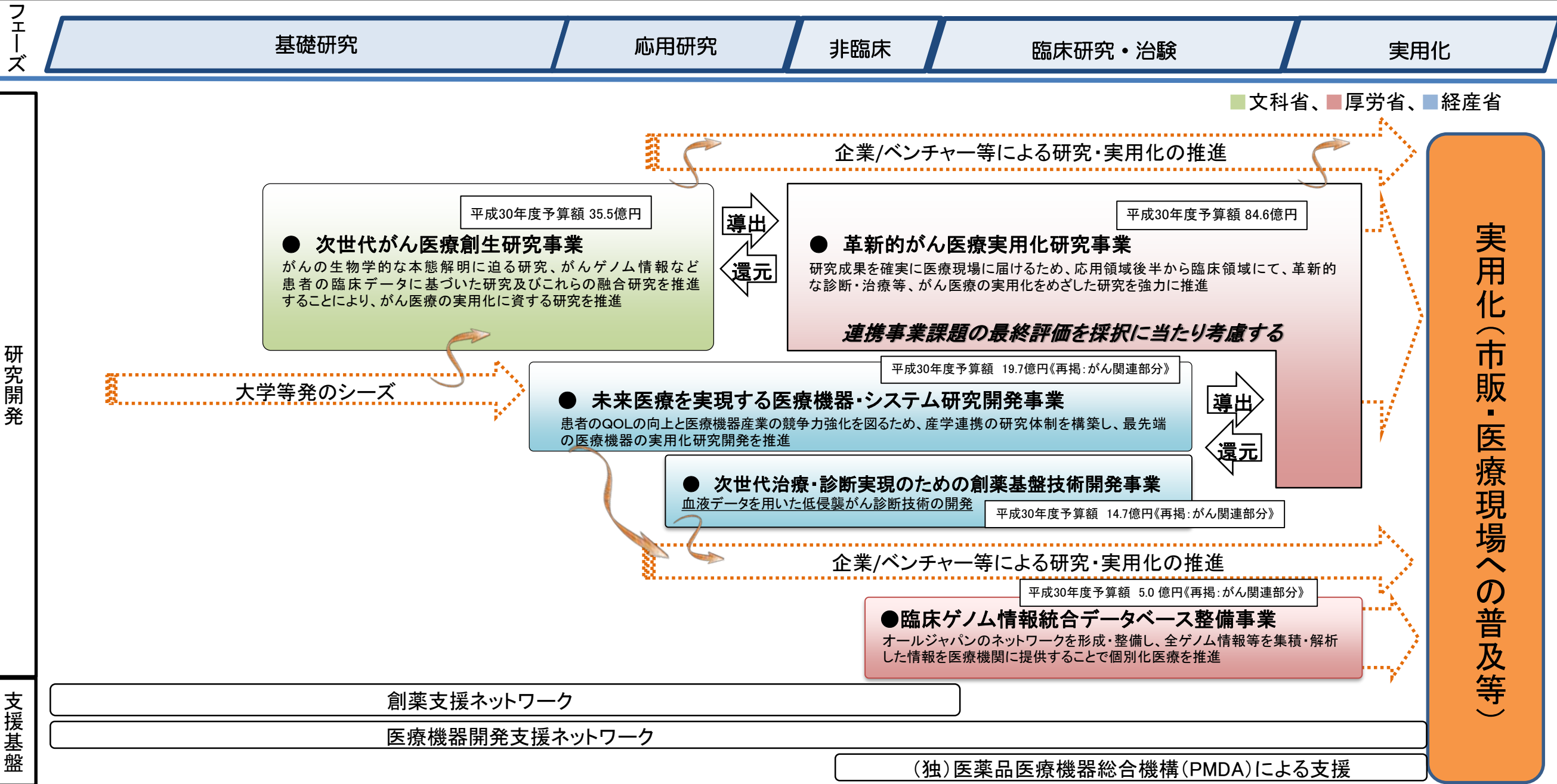
達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項 等)
【2020年までの達成目標】				
<ul style="list-style-type: none"> 小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加 	0種 (0種)	A (N)	目標年度までの薬事承認、効能追加を目指し、医師主導治験等を計42課題、支援した。悪性神経腫瘍を適応症とした第三世代がん治療用ヘルペスウイルスの製造販売承認申請準備中。	
<ul style="list-style-type: none"> いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消 	開発着手ラグ 37.5ヶ月：平成25年度	N (A)	希少がん等に関して新規薬剤開発及び未承認薬の適応拡大を目指した臨床試験を実施した。2019年度中に、ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグに関する適切なデータの取り方も含め検討する。	
<ul style="list-style-type: none"> 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件 (0件)	A (A)	小児・高齢者のがん、希少がん等に関する標準治療確立に資する多施設共同臨床研究等を計50課題(小児がん14件、高齢者がん7件、難治がん12件、希少がん17件)実施し、ガイドライン1件(頭頸部がん診療ガイドライン2018)が作成された。2019年度中にガイドライン2件発行準備中。これにより、腫瘍分類・外科手術・薬物療法等の診断・治療に関する最新のエビデンスが整理され、本邦における頭頸部がん治療の向上と均てん化に寄与した。	

※ 「最新の数値」は、2019年3月31日時点の計数、
進捗： A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N 現時点で評価が困難、()は昨年度

VI. ジャパン・キancerリサーチ・プロジェクト <参考1>

日本医療研究開発機構対象経費
平成30年度予算額 160億円(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)

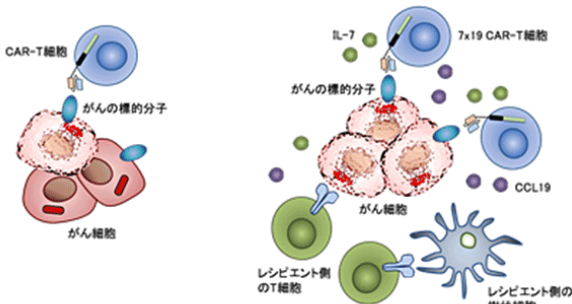
VI. ジャパン・キヤンサーリサーチ・プロジェクト <参考2-①>

1. 固形がんに対して極めて治療効果の高い免疫機能調整型次世代キメラ抗原受容体発現T細胞「Prime CAR-T細胞」の開発

実施機関: 山口大学

従来型のCAR-T細胞療法

今回開発されたPrime CAR-T細胞療法

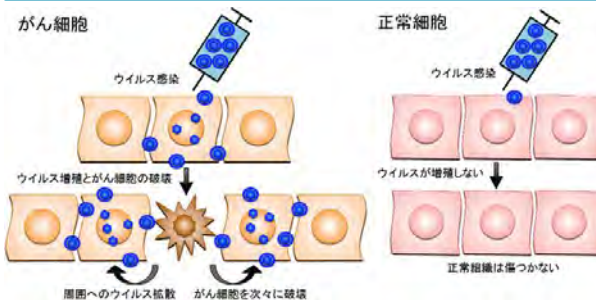


固形がんに対してT細胞や樹状細胞の浸潤が誘導され、強力ながん治療効果を発揮

- キメラ抗原受容体発現T細胞 (CAR-T細胞) 療法は、血液がんにも著明な治療効果を発揮する一方で、固形がんに対して治療効果が得られないという課題を解決するため、免疫機能をコントロールする能力を付与した次世代型のPrime CAR-T細胞を開発し、従来のCAR-T細胞では効果が得られなかったマウス固形がんモデルに対して強力な治療効果を発揮することが示された。
- 臨床試験に向けて、ヒトの腫瘍特異的分子を標的とするとともに、生体から排除可能なシステムを組み入れたPrime CAR-T細胞の製造を行い、非臨床薬効データを取得しており、画期的ながん治療法につながることを期待される。

2. 脳腫瘍に対するウイルス療法の医師主導治験で高い治療効果を確認 —日本初のがん治療ウイルス薬の製造販売承認申請へ—

実施機関: 東京大学

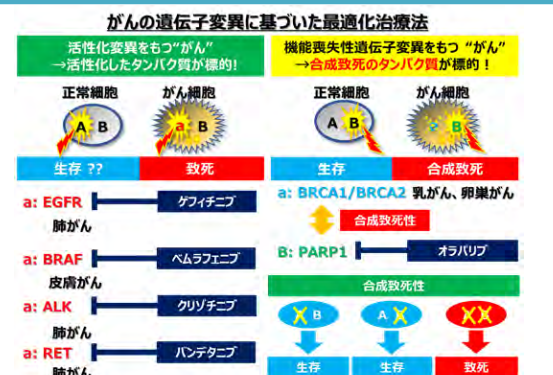


がん細胞だけで増えるように工夫されたG47Δは、感染したがん細胞を次々に破壊するが、正常細胞に感染しても増殖できないため、正常組織は傷つかない

- 単純ヘルペスウイルス1型に人工的に3つのウイルス遺伝子改変を導入した第三世代のがん治療用ヘルペスウイルス G47Δを用いた、膠芽腫に対する第Ⅱ相医師主導治験において、中間解析の結果、高い治療効果と安全性が示された。
- 悪性神経膠腫を適応症としたG47Δの製造販売承認申請の準備を行っており、G47Δは厚生労働省の先駆け審査指定品目に指定されているため、先駆け総合評価相談による事前評価の充実かつ優先審査等により審査期間の短縮が見込まれ、製造販売承認申請から6ヶ月後の承認も期待される。

3. 日本人に多い卵巣明細胞がんなどでみられるARID1A遺伝子変異がんを対象に代謝(メタボローム)を標的とした新たながん治療法を発見

実施機関: 国立がん研究センター



従来の分子標的治療法と機能喪失変異に対する合成致死療法との比較

- 様々ながんで高頻度に見られるARID1A機能喪失性変異による代謝(メタボローム)異常と、その代謝異常を阻害することによる合成致死治療法を見つけ出し、多くのがんで見つかる機能喪失性変異に対して代謝異常を標的とした新たながん治療法になり得ることが示された。
- 分子標的治療法は、がん細胞増殖の鍵となる活性化タンパク質に対する阻害薬(分子標的薬)を用いるが、多くのがんではこのような遺伝子変異は検出されないため、多くのがんで見られる機能喪失性変異に対する合成致死治療法は新しいがん治療の概念として期待される。

VI. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト <参考2-②>



第4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、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及び、脳とこころの健康大国実現プロジェクトの戦略的国際脳科学研究推進プログラムに参加する若手研究者を対象に、第4回AMEDがん若手研究者ワークショップを開催し、事業やプロジェクトの枠を超えて、異分野交流をテーマに、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30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て、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトの5事業(文部科学省事業、厚生労働省事業、経済産業省事業)の合同で開催した。
- 「薬ができるまで」をテーマに研究者5人が研究成果を解りやすく紹介する講演や、30を超えるポスター発表、サポート機関紹介コーナーなど多彩な企画で参加者の理解増進を図るとともに、PSPOなどの有識者が指揮をとりポスターを巡る「ポスターツアー」を実施することで、がん研究をより身近に感じるように工夫した。

ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト研究開発課題紹介リーフレットの企業への配布

- アカデミアシーズへの企業関係者の理解促進を図ることで企業導出を促すため、次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業の研究課題紹介リーフレット集を作成し、製薬協等からの案内を通じて登録した数十社の企業関係者に配布、要望に応じた個別面談サポートなど提携を促す環境を提供した。
- 配布先を対象とした事後アンケートを実施し、企業ニーズを把握することで情報提供のあり方を検討するとともに、リーフレット集配布の効果を調査したところ、企業側の高い関心を確認することができた。

Ⅶ. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト①

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各省連携の下に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。

【統合プロジェクト】

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。

【達成目標】

【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

【平成30年度(2018年度)の主な成果】

1. 認知症研究開発事業

生体脳でタウを可視化するPET技術を用いて遺伝性の前頭側頭型認知症(FTDP-17)で起こる脳内異常を解明した(平成31年2月)。また、新たに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向けた取り組みを開始した(平成30年11月)。

2. 障害者対策総合研究開発事業

職場でのうつ病の早期発見・早期治療のため、社員向け短時間研修プログラムを開発した(平成30年12月)。また、ギャンブル障害、うつ病に対する診断・治療ガイドラインを作成した。

3. 脳科学研究戦略推進プログラム

統合失調症等の精神疾患に関わるゲノム変異の影響が脳各領域へどのように伝播し疾患に関わるネットワークを形成しているかを推定する手法を開発した(平成31年1月)。

4. 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

小型蛍光顕微鏡により自由行動環境下でマーモセット大脳皮質運動野深部の神経細胞活動の計測に成功(平成30年8月)するなど、脳の構造・機能マップ作成に必要な革新的な解析技術を開発した。同プロジェクト内の戦略的国際脳科学研究推進プログラムにおいては、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を開始した(平成30年6月)。

VII. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト②

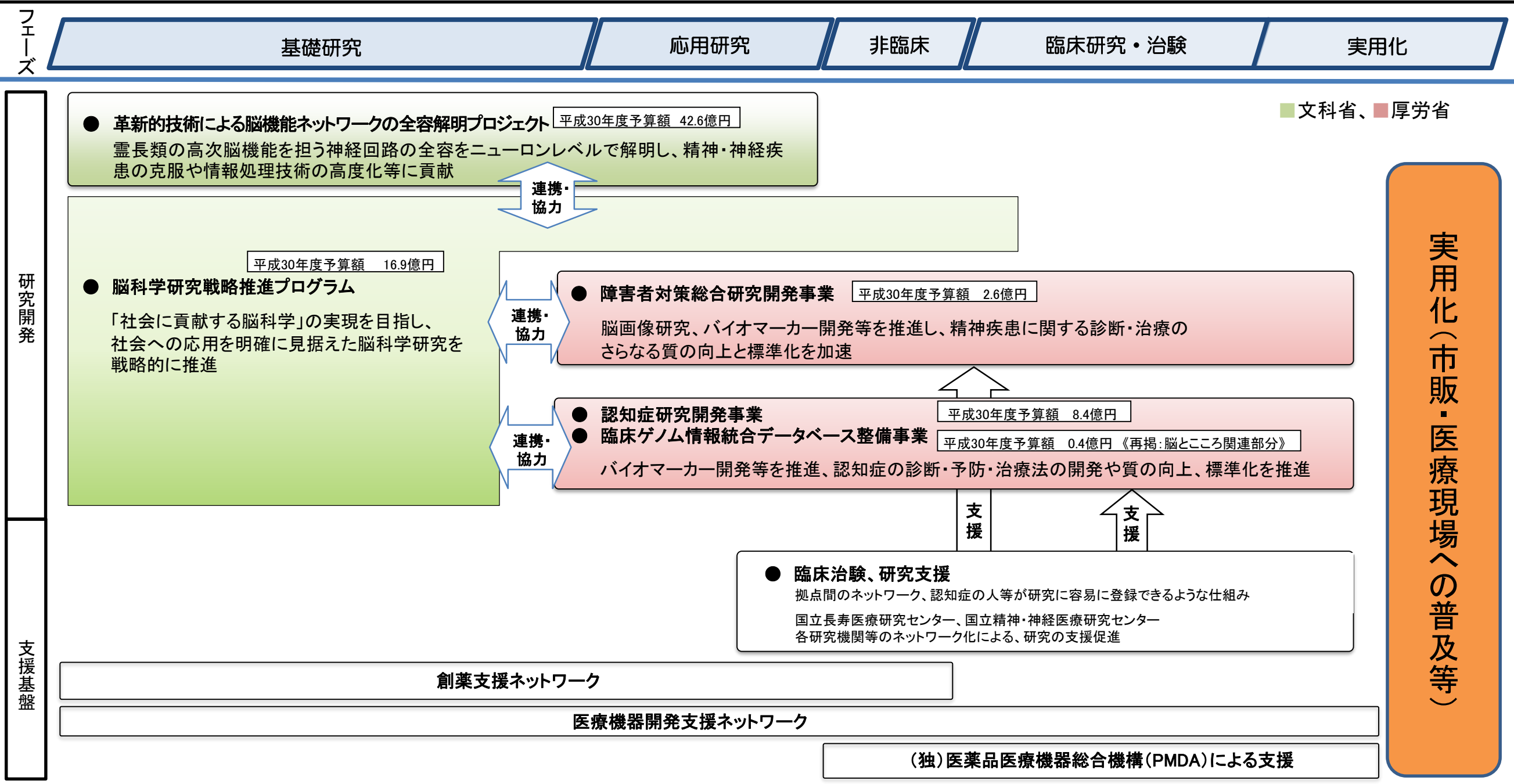
2020年までの達成目標に向け、臨床研究体制の整備や、臨床と基礎研究の連携強化による精神・神経疾患の克服を目指した取組の開始により、疾患メカニズム解明から診断・治療法開発に至る順調な進捗が見られた

達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
【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)	— (—)	A (A)	血液からアミロイドやp-tauを検出する方法の開発に成功しており、一部は実用化に向けて進んでいる。また、生体脳でタウを可視化するPET技術を用いて遺伝性の前頭側頭型認知症(FTDP-17)で起こる脳内異常を解明した(平成31年2月)。さらに、新たに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向けた取り組みを開始した(平成30年11月)。	
・日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始	— (—)	B (A)	オレンジレジストリにおいてバイオマーカー開発研究の推進のためサポート体制の構築を推進した(平成30年5月)。また、国内における認知症の疾患修飾薬候補の治験への即応体制を整えるため認知症前臨床期を対象としたトライアルレディコホートの構築に着手した。	
・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)	臨床POC 1件 (臨床POC 0件) ガイドライン 4件 (ガイドライン 2件)	A (A)	C-11標識AMPA受容体PET薬剤を用いた疾患横断的診断法の開発に向けて、てんかん、うつ病、統合失調症の各疾患を対象に、治験実施施設を拡充し、効率化を図った(平成30年11月)。また、精神疾患に関わる脳内ネットワークを推定するAI手法を開発した(平成31年1月)。さらに、統合失調症、医療観察法・措置入院、危険ドラッグ使用に加えて、ギャンブル障害に関して診療ガイドラインを策定した。	
・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)	臨床POC 3件 (臨床POC 0件) ガイドライン 3件 (ガイドライン 2件)	A (A)	依存症患者におけるイフェンプロジルの治療薬としての有効性を検討するための治験、自閉症スペクトラム症(ASD)の中核症状におけるオキシトシン点鼻薬(TTA-121、剤形改良型)の治験、統合失調症陰性症状に対する活性型ビタミンB6(ピリドキサミン、K-163)の改善効果の治験を開始した。また、発達障害、医療観察法・措置入院、うつ病において、診療ガイドラインを策定した。	
・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成	— (—)	A (A)	小型蛍光顕微鏡を用いて、マーマセット大脳皮質運動野の深部の神経細胞活動を、自由行動環境下で計測することに成功した(平成30年8月)。さらに、超広視野顕微鏡の開発や領野間神経活動の同時計測法の開発など、構造・機能マップ作成に必要な革新的な解析技術を開発した。	

VII. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト<参考1>

日本医療研究開発機構対象経費
平成30年度予算額 71億円(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。



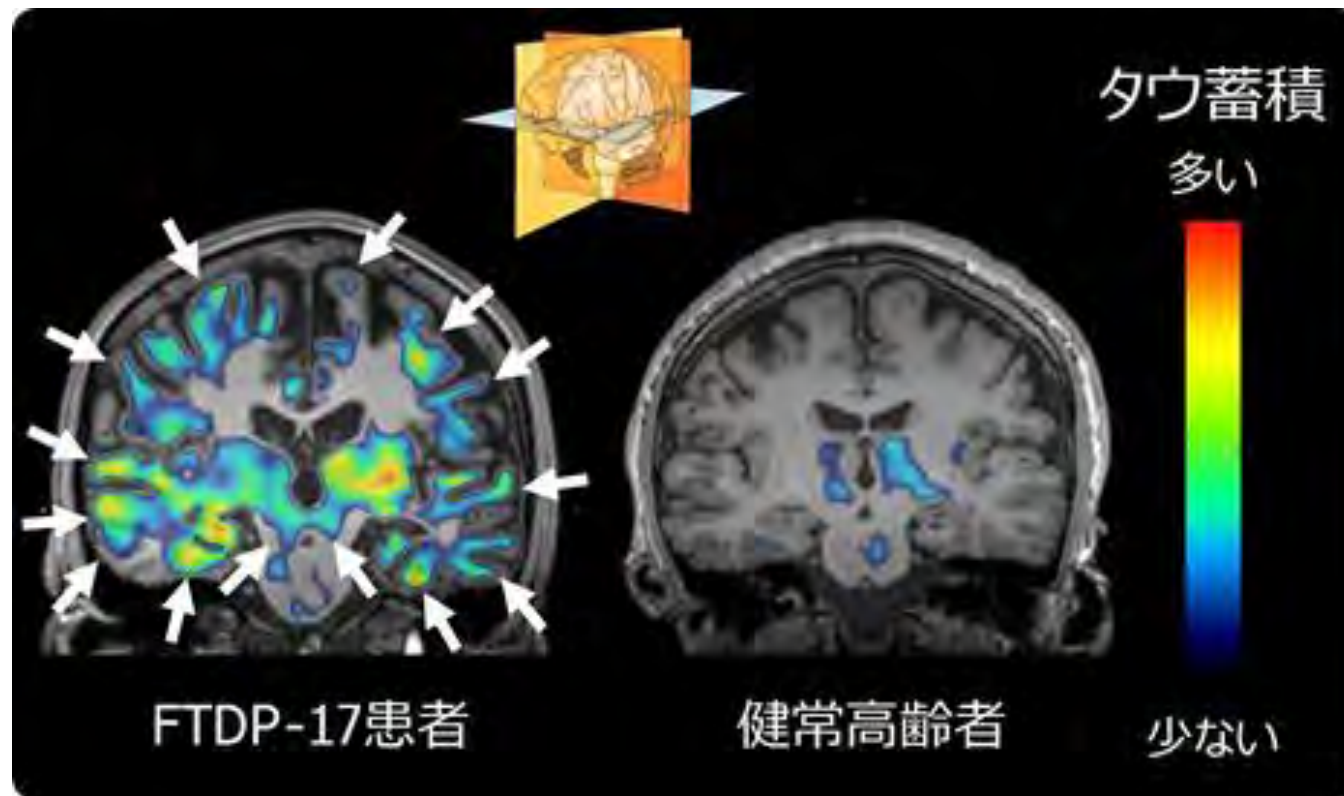
【2020年までの達成目標】

- 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

**若年での発症例が多い遺伝性認知症で起こる脳内異常を解明
—脳内タウ病変を標的に、早期診断と治療薬開発促進につながる成果—**

認知症

- 代表的な前頭側頭型認知症（FTDP-17）患者におけるタウ蓄積



◆ 既に開発している生体脳でタウ*を可視化するPET技術を用いて、遺伝性の前頭側頭型認知症（FTDP-17）患者の生体脳でその量や分布を調べた。

◆ 認知症の原因となる遺伝子異常が同一であっても、タウの脳内蓄積量や分布は患者ごとに多様で、タウの蓄積にはさまざまな遺伝的・環境的要因が影響することがわかった。

◆ タウを生体で可視化する技術は、同様の病気の診断に有用なだけでなく、さまざまな認知症で神経障害に関与するタウの蓄積を抑える治療薬の効果判定にも有用と期待される。

タウ蓄積を認める多くの認知症や神経難病において、多様な臨床症状をもたらす脳の病態解明が進むと期待

*タウ： 神経系細胞の骨格を形成する微小管に結合するタンパク質。細胞内の骨格形成と物質輸送に関与している。アルツハイマー型認知症をはじめとする様々な精神神経疾患において、タウが異常にリン酸化して細胞内に蓄積することが知られている。

うつ病早期支援のための社員向け短時間研修プログラムの開発 —職場でのメンタルヘルス不調の早期発見・早期介入に一步前進—

精神疾患

2時間の社員向けプログラム 概要

導入(15分)

- DVDを視聴し、メンタルヘルスの不調をもつ人に関わる難しさを議論する

講義(50分)

- 職場のメンタルヘルスの問題についての知識を学ぶ
- 5つのMHFAステップ「リ・は・あ・さ・る」を学ぶ

ロールプレイ(45分)

- 傾聴体験:相手の話を批判せずに聴くコツを習得
- DVD視聴後、メンタルヘルスの不調をもつ人へ適切に対応するシナリオを使って、具体的な対応法を習得

質疑・全体のディスカッション(10分)



◆オーストラリアで市民向けに開発されている「メンタルヘルス・ファーストエイド (MHFA) *」を基に、一般企業の社員がメンタルヘルスの不調を抱える同僚や部下に適切に関わるための教育研修プログラムを独自開発。

◆パイロット試験として一般企業の会社員83名が受講し、プログラムの前後と1ヶ月後でアンケートへ回答してもらった結果、特に「メンタルヘルス不調者へ対応するスキル」と「不調者へ関わる上での自信」の向上を認め、その効果は1ヶ月後も継続。

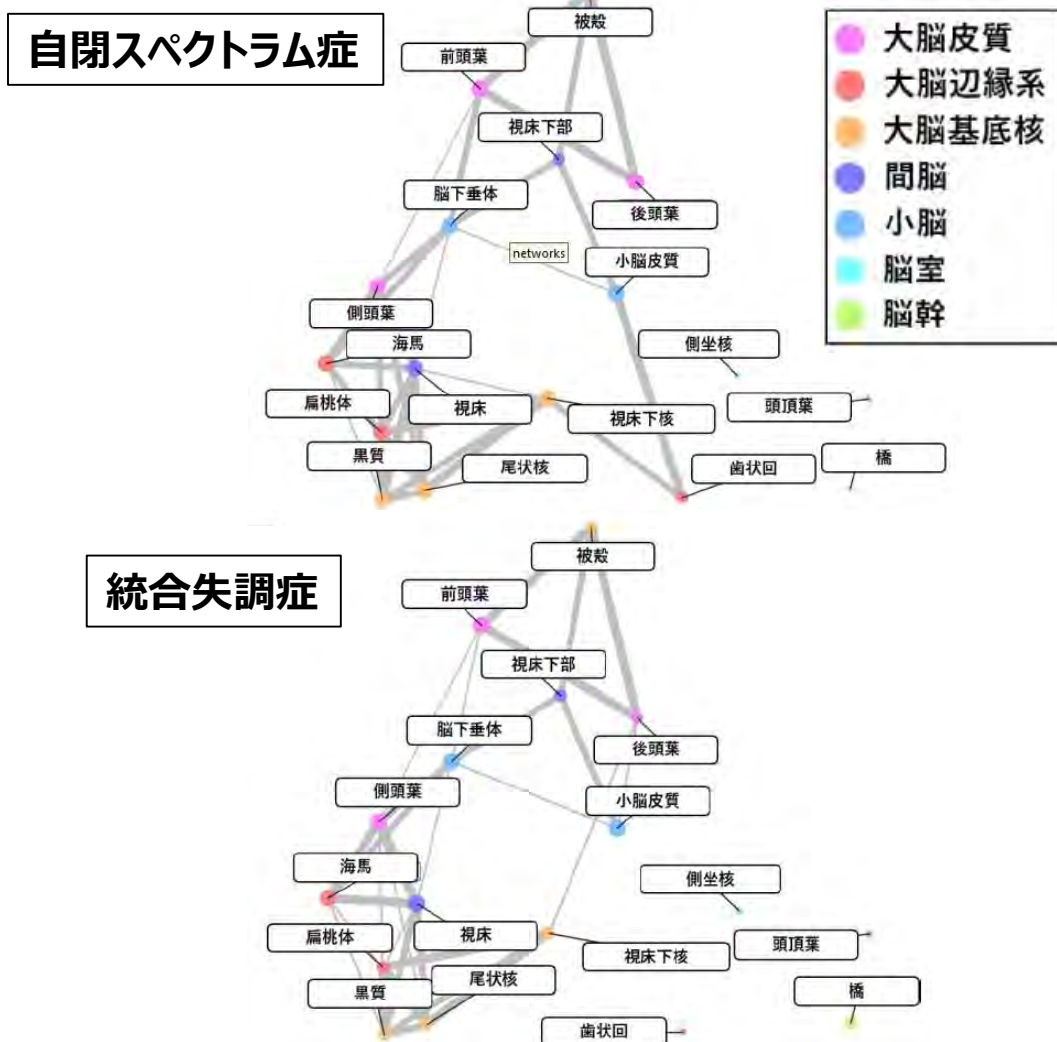
職場でのうつ病の早期発見・早期治療につながる可能性が高まり、休職や離職など産業保健における課題克服に貢献すると期待

*メンタルヘルス・ファーストエイド (Mental Health First Aid : MHFA) : 専門家に相談するまでの間、家族や友人、同僚など身近な人がメンタルヘルスの問題を抱える人に対して行う「こころの応急処置」を実践的に学ぶ教育研修プログラム。2000年にオーストラリアで12時間プログラムとして開発され、世界中に広まりつつある。講義だけでなく、スモールグループでの議論、ロールプレイなど体験型学習によって、具体的な対処法を習得することができる。

精神疾患に関わる脳内ネットワークを推定するAI手法を開発

精神疾患

● 疾患の発症に関わる可能性のある脳領域間の関係性



- ◆ 自閉スペクトラム症（ASD）^{*1}や統合失調症^{*2}の発症に関わる可能性のある脳領域間の関係性（脳内ネットワーク）を推定するために、機械学習^{*3}の手法を開発した。
- ◆ 開発した機械学習の手法を用いて、自閉スペクトラム症や、統合失調症に関わるゲノム変異の影響が脳の各領域へどのように伝播するかを推定し、疾患に関わる脳内ネットワークのモデルを構築した。
- ◆ ゲノム変異の影響は脳の様々な領域に伝播し、ASDと統合失調症の脳内ネットワークは約80%の確率で類似性があることを確認した。

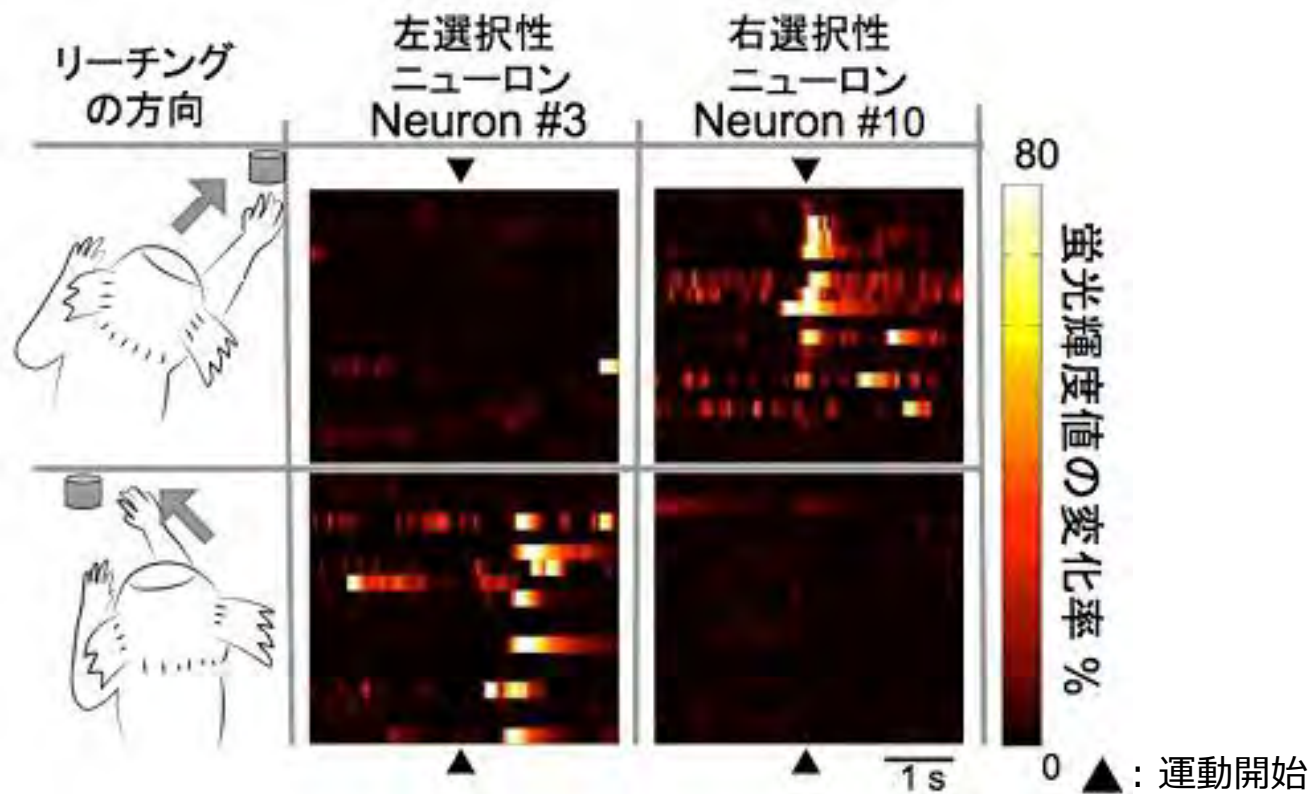
個々のゲノム情報に基づいた新たな診断法や治療法の開発の基盤になることを期待

*1 自閉スペクトラム症（ASD）： 社会的コミュニケーションの障害と「限定された興味」などを特徴とする神経発達症。遺伝的要因が発症に関与している。
 *2 統合失調症： 幻覚・妄想・意欲低下・認知機能障害などを特徴とする精神障害。遺伝的要因が発症に関与している。
 *3 機械学習： 人工知能（AI）の技術の1つで、データが持つ潜在的な特徴をコンピュータに学習させて識別や予測などを行う。

世界初・自由行動環境下における霊長類の大脳皮質深部の多細胞活動の計測に成功

計測技術

- 神経細胞ごとに異なる運動野神経細胞の方向選択性



- ◆ 小型蛍光顕微鏡を用いて、マーモセットが自由に行動している状況における大脳皮質運動野^{*1}の神経細胞の活動を多細胞で同時に計測・解析することに成功。

- ◆ 計測された個々の神経活動のパターンにもとづき、マーモセットが右側、あるいは左側のどちらに手を伸ばすか行動を予測することができた。

- ◆ この観察手法は、大脳基底核^{*2}や海馬^{*3}などより脳の深部の領域における観察にも応用が可能。

精神・神経疾患モデルマーモセットに適用することで、ヒトの精神・神経疾患の新たな治療へ展開されると期待

*1 大脳皮質運動野： 運動の計画や実行に関わっている領域。脳卒中などで障害を受けると運動麻痺が生じる。

*2 大脳基底核： 大脳の深部に位置する神経細胞集団で、大脳の活動を調節している。大脳基底核に異常が生じると、パーキンソン病やジストニアなどのさまざまな運動障害が生じる。

*3 海馬： 記憶や空間学習能力に関わる脳の部位。

VIII. 新興・再興感染症制御プロジェクト

新型インフルエンザなど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各省連携して推進するとともに、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。

【統合プロジェクト】

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、病原体情報の共有、感染症の国際的なリスクアセスメント、感染症流行時の迅速な対応、新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を実施する。

若手の感染症研究者の研修プログラムを実施する。

結核に関する研究を推進する。

2020年の東京オリンピックに向け、研究を促進する。

【達成目標】

【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研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請

【2030年までの達成目標】

- ・新たなワクチンの開発
- ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発
- ・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成(結核については2050年までの達成目標)

【平成30年度(2018年度)の主な成果】

1. 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

- ・ウイルス様中空粒子(VLP)用いたノロウイルスワクチンの開発を行い、“ノロウイルスワクチンシーズ”(ノロウイルスVLP組換えバキュロシードウイルスとノロウイルスVLPを特異的に認識するモノクローナル抗体産生ハイブリドーマ)の企業導出を行った(平成30年10月)。
- ・インフルエンザの予防に重要な分泌型IgA(SIgA)抗体について、四量体型SIgA抗体を作製する技術を新規開発し、単量体や二量体、四量体のIgA抗体を人工的に作製することに成功した。本技術を用いることで、SIgA抗体は四量体化すると単量体では不活化できないウイルスも不活化できることが明らかになった(平成31年1月)。
- ・ヒトロタウイルスのリバースジェネティクスによる人工合成に世界で初めて成功した(平成31年2月)。

2. 感染症研究国際展開戦略プログラム

- ・フィリピンでの疫学調査によって、以下の成果が得られた。
 - ・RSウイルス(Respiratory Syncytial Virus)に再感染した4名の小児から検出されたウイルスから、抗原タンパク(FタンパクとGタンパク)の特定の部位にアミノ酸置換が見出された。(平成30年5月)。
 - ・アデノウイルス・インフルエンザウイルス・パラインフルエンザウイルス・ライノウイルスに感染した小児は、その後呼吸器感染症に罹患するリスクが高まることがわかった。(平成30年9月)。

3. 感染症研究革新イニシアティブ

- ・次世代シーケンサーを使った新規臨床データの遺伝子解析によって、慢性活動性EBウイルスが血液がんを引き起こすメカニズムを解明した(平成31年1月21日付)。

VIII. 新興・再興感染症制御プロジェクト

様々な新興・再興感染症に対する治療薬・ワクチンについて、非臨床試験や臨床試験をすでに実施しており、実用化が近づいている。また、第1世代ノロウイルスワクチンシーズについては企業導出が完了、診断薬についてはジカウイルスの迅速診断キットの製造販売承認の取得など達成目標に向け順調に進捗している。

達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意 事項等)
【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、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	— (一)	A (A)	<ul style="list-style-type: none"> カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノム情報について、大阪大学が国立国際医療センター研究所、国立感染症研究所と連携し、論文の発表時に順次公開を進めている。 ジカウイルスについては、LAMP法用いた迅速診断キットの製造販売承認を平成30年6月に取得。 	
・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非臨床試験・臨床試験の実施及び薬事承認の申請	— (一)	A (A)	<ul style="list-style-type: none"> 第1世代ノロウイルスワクチンシーズについては、平成30年10月に企業とライセンス契約締結(企業導出)。 経鼻インフルエンザワクチンについては、平成29年度中に企業治験(第II相)が完了し、現在企業治験(第III相)を実施中。 	
【2030年までの達成目標】				
・新たなワクチンの開発	— (一)	A (A)	<ul style="list-style-type: none"> インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、PMDA RS戦略相談を経て治験届を提出し、第I/II相臨床試験として治験を開始。 エボラウイルスワクチンについて、候補ワクチンの製造を完了し、非臨床試験を実施中。 ジカウイルスワクチンについては、治験薬の製造、非臨床試験を完了し、企業治験にむけた準備を実施(2019年2月にPMDA対面助言実施)。 	

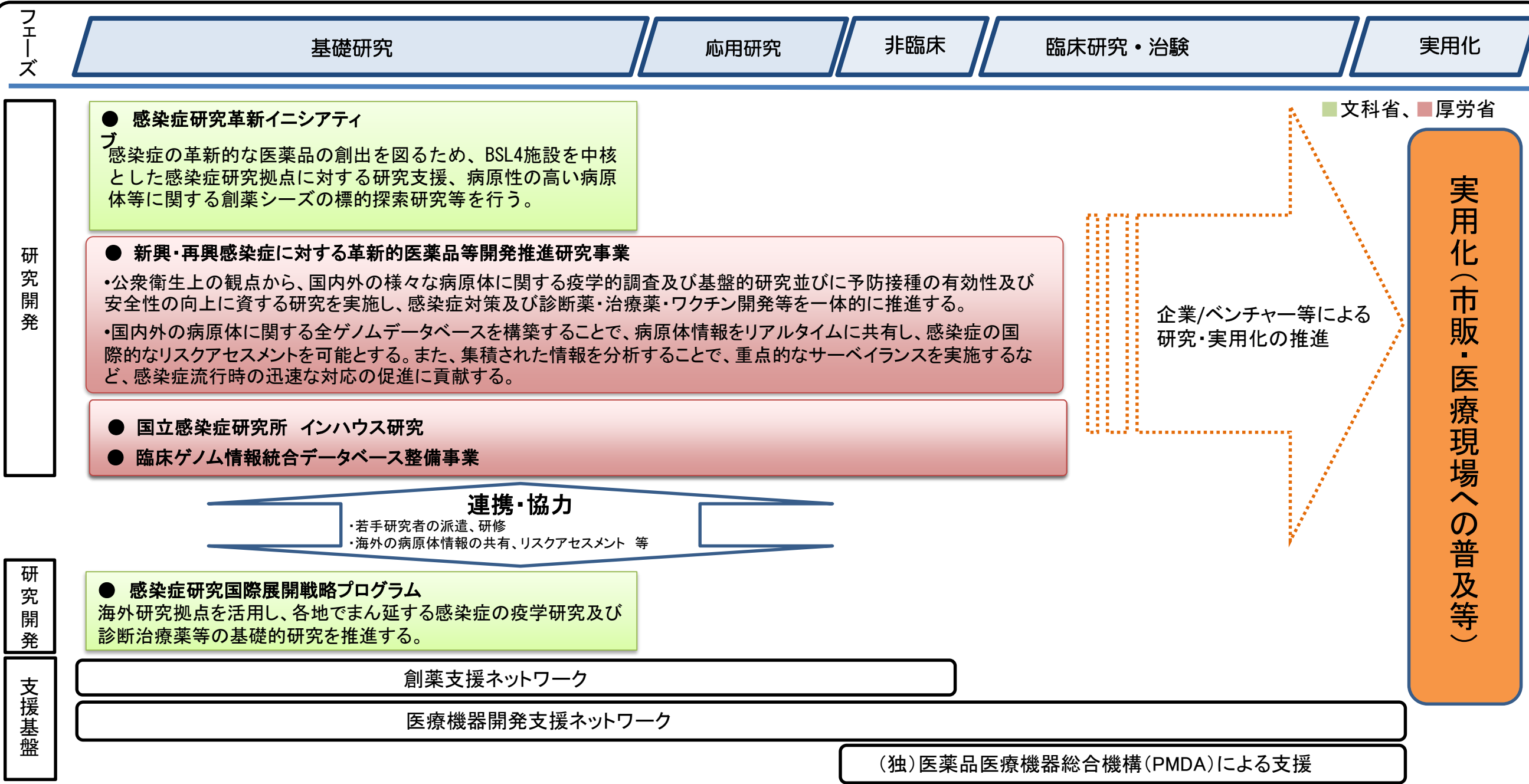
VIII. 新興・再興感染症制御プロジェクト

達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
【2030年までの達成目標】				
・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発	— (—)	N (N)	<ul style="list-style-type: none"> ・深海微生物由来物質のスクリーニングからメチシリン耐性黄色ブドウ球菌及びバンコマイシン耐性腸球菌に対して抗菌活性のある新規物質を発見し、構造決定を進行中。 ・多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を複数発見。そのうち最適化合物については構造解析を終了し、特許出願済み。 ・デングウイルス増殖阻害剤開発研究について、北里大学天然化合物ライブラリーより高い抗デング活性を示す熱処理に安定な候補物質を数種類見出し、分子構造の解析を実施中。 	
・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹等の感染症の根絶・排除の達成(結核については2050年までの達成目標)	— (—)	A (A)	<ul style="list-style-type: none"> ・ポリオの根絶に資する研究として、ワクチン量を低減可能な新規デバイス(マイクロニードル)を利用したポリオ貼るワクチンの開発支援を行い、動物実験による有効性評価を実施中。また、セービン不活化ポリオウイルスワクチンの有効性の検証、品質管理の国際標準化、ならびにエンテロウイルスD68型感染症も含めた急性弛緩性麻痺のサーベイランス体制の構築の準備など、広範な試みも継続して実施。 ・麻しんについては、排除認定の維持に向けた取組みを引き続き支援。既存検査法の改良、検査体制強化等、国内サーベイランス体制の強化支援に寄与。 ・結核低まん延化に資する研究として、結核DNAワクチンの医師主導治験の準備完了(2018年12月大阪大学IRB申請、2019年2月治験届提出)し、結核の根絶・排除に向けた取組を継続中。 ・平成29年度までに構築した質・規模ともに世界的に類をみない優位性の高い結核菌ゲノムデータベースの拡充を図り、平成30年度は国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について登録株の約4分の1(900株程度)についてデータを公開。 	

※ 「最新の数値」は、2019年3月31日時点の計数、進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難、()は昨年度

VIII. 新興・再興感染症制御プロジェクト<参考1>

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。



【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

【2030年までの達成目標】

- 新たなワクチンの開発
- 新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発
- WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹等の感染症の根絶・排除の達成(結核については2050年までの達成目標)

1. ノロウイルスワクチンシーズの企業導出

研究概要

- ウイルス様中空粒子 (VLP) 用いたノロウイルスワクチンの開発を行い、複数の「ノロウイルスVLPを作出可能な組換えバキュロシードウイルス」とそれぞれの「ノロウイルスVLPを特異的に認識するモノクローナル抗体を作出するハイブリドーマ」から構成される“ノロウイルスワクチンシーズ”の企業導出を行った。
- 同グループが開発・公開したノロウイルスの流行予測プログラム“NoroCast”を用いて、シーズン毎の流行遺伝子型を予測し、その遺伝子型のVLPを“ノロウイルスワクチンシーズ”から選択し、混合するワクチンの開発が可能となる(2018年10月)。

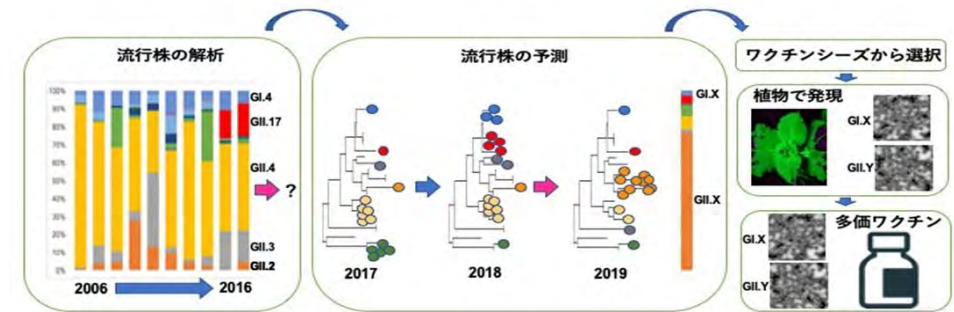


図. ワクチンシーズ利用の模式図(一般的な利用方法)

2. 新規開発の四量体SIgA抗体作製技術を用いた分泌型IgA抗体のインフルエンザウイルス不活化機構に関する研究

研究概要

- インフルエンザの予防に重要な分泌型IgA(SIgA)抗体について、四量体型SIgA抗体を作製する技術を新規開発し、単量体や二量体、四量体のIgA抗体を人工的に作製することに成功した。本技術を用いることで、SIgA抗体は四量体化すると単量体では不活化できないウイルスも不活化できることが明らかになった。本研究結果により臨床開発の一層の加速が期待されるとともに、本技術は新たな抗体医薬のプラットフォームとしても応用が期待される(PLOS Pathogens., DOI: 10.1371/journal.ppat.1007427 2019)。

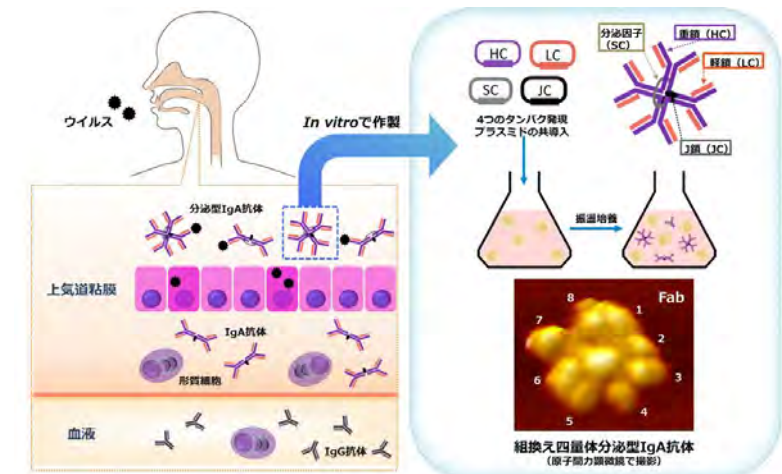


図. 四量体SIgA抗体作製技術

3. ヒトロタウイルスの人工合成に関する研究

研究概要

- ヒトロタウイルスのリバーシジェネティクスによる人工合成に世界で初めて成功した。自然なヒトロタウイルスの感染、増殖の機構を再現できるため、ヒトに対する安全性に優れた次世代ワクチンや治療薬開発への応用が期待される(Journal of Virology, JVI.02207-18 2019)。

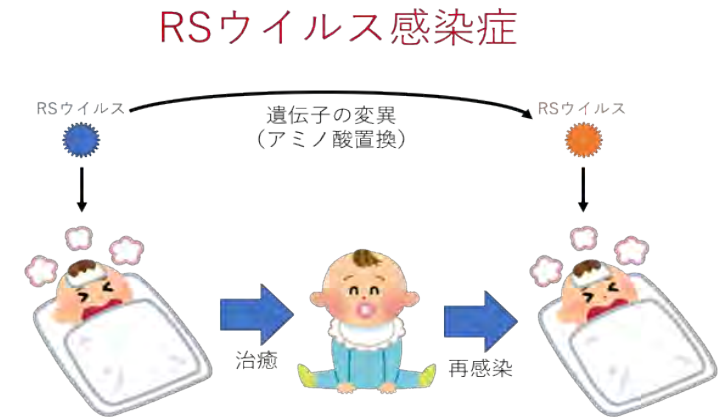


図. ヒトロタウイルスのリバーシジェネティクス

4. RSウイルスの再感染で抗原部位にアミノ酸置換を発見

研究概要

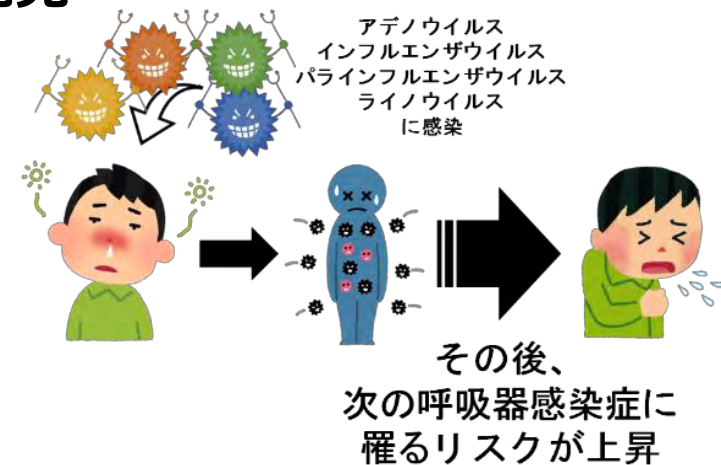
- フィリピンでの疫学調査によって、RSウイルス (Respiratory Syncytial Virus) に再感染した4名の小児から検出されたウイルスから、抗原タンパク (FタンパクとGタンパク) の特定の部位にアミノ酸置換が見出された。FタンパクとGタンパクのアミノ酸置換により抗原性が変化したウイルスが再感染を引き起こした可能性がある。Fタンパクのアミノ酸置換部位はRSウイルスのワクチン開発等で現在最も注目されている部位であり、抗ウイルス抗体製剤やワクチン等の抗ウイルス効果に影響を及ぼす可能性がある (Journal of Infectious Diseases、平成30年5月2日付)。



5. 特定のウイルスに感染した後、呼吸器感染症のリスクが上昇することを発見

研究概要

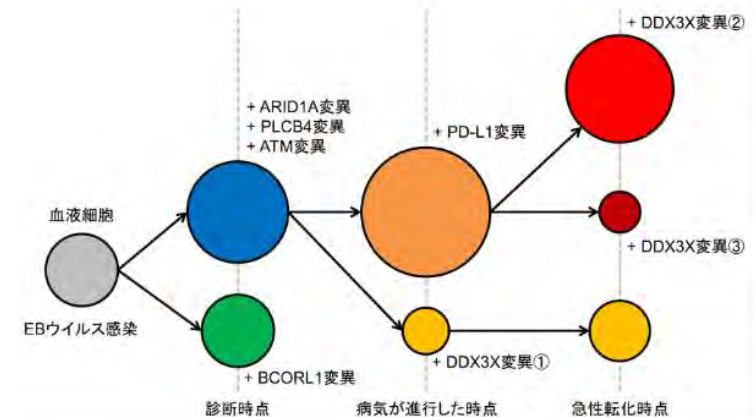
- フィリピンでの疫学調査によって、アデノウイルス・インフルエンザウイルス・パラインフルエンザウイルス・ライノウイルスに感染した小児は、その後呼吸器感染症に罹患するリスクが高まることがわかった。これらのウイルスに感染した小児に対する重点的なケアの必要性や、これらのウイルスに対するワクチン戦略を考えるうえで、重要な知見である (Journal of Infectious Diseases、平成30年9月5日付)。



6. 慢性活動性EBウイルスが血液がんを引き起こす仕組みを解明

研究概要

- 次世代シーケンサーを使った新規臨床データの遺伝子解析によって、慢性活動性EBウイルスが血液がんを引き起こすメカニズムを解明した。発がんの仕組みが明らかにされたことで、様々な合併症を引き起こす難病である慢性活動性EBウイルス感染症の治療法開発の進展が期待される。若手を中核としたチームによる異分野連携に基づく成果の創出 (Nature Microbiology、平成31年1月21日付)。



EBウイルス感染細胞に生じた突然変異(一例)

IX. 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。

【統合プロジェクト】

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目指す研究を推進するとともに、未診断疾患に対する全国規模の診断体制を構築するための研究を推進する。

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。

【達成目標】

【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、遠位型ミオパチー等）
- ・ 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

【平成30年度（2018年度）の主な成果】

1. 医薬品・医療機器等の医療技術の実用化を目指した研究
 - ・ 「新規治療標的分子LRGの炎症性腸疾患における役割の解明と創薬への応用」：炎症性腸疾患について、ロイシンリッチ α 2グリコプロテイン(LRG)が疾患活動性マーカーとなることを発見し、2018年8月21日付で製造販売承認取得した。
 - ・ 「タウリンによるMELAS 脳卒中様発作再発抑制療法の実用化」：ミトコンドリア病のMELASの治療薬として、既存薬タウリンが、2019年1月に厚生労働省薬事・食品衛生審議会医薬品第一部会において承認が了承された。
 - ・ 「iPS細胞創薬に基づいた新規筋萎縮性側索硬化症(ALS治療薬であるロピニロール塩酸塩の実用化第1/2a相試験」神経難病ALSに対して、iPS細胞モデルを駆使したドラッグスクリーニングの手法により、既存薬ロピニロール塩酸塩を有望な候補として同定し、2018年11月より医師主導治験を開始した。
2. 診療に直結するエビデンス創出研究
 - ・ 「HAM・HTLV-1陽性難治性疾患の診療ガイドラインに資する統合的レジストリの構築によるエビデンスの創出」：腎移植におけるHTLV-1感染症のリスクを明らかにし、ドナーとレシピエントのHTLV-1感染状態を踏まえて腎移植の可否を判断するため、腎移植前にHTLV-1感染検査を実施することの重要性を示した。

IX. 難病克服プロジェクト②

国際共同臨床研究及び治験、新規原因遺伝子又は新規疾患の発見については、いずれも2020年までの目標を達成した。薬事承認については2020年に向け、順調に進捗している。

達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
【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(筋萎縮性側索硬化症(ALS)、遠位型ミオパチーなど)	6件 (4件)	A (A)	下記6品目が薬事承認を取得している。 ラパマイシン(リンパ脈管筋腫症) HAL医療用下肢タイプ(SMA、SMBA、ALS等) サンコン Kyoto-CS(SJS、TEN) チタンブリッジ(痙攣性発声障害) ロイシンリッチα2グリコプロテイン(LRG)(炎症性腸疾患) タウリン(ミトコンドリア病 MELAS)	
・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 (1件)	A (A)	・HTLV-1関連骨髄症(HAM)に対するステロイド製剤:ステロイド製剤の国際共同治験では、治験届を提出し(2016年7月27日)、患者の登録を開始して29例で同意を取得し、20例で投与を開始する等、順調に進行している。	
・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	16件 (9件)	A (A)	① 武内-小崎症候群: CDC42遺伝子 ② 小崎Overgrowth症候群: PDGFRB遺伝子 ③ 無巨核球性血小板減少症を伴うとう尺骨癒合症: EVI1遺伝子 ④ Schimmelpenning-Feuerstein-Mims症候群: BRAF遺伝子 ⑤ ZTTK症候群: SON遺伝子 ⑥ Bosma arhinia microphthalmia症候群: SMCDH1遺伝子 ⑦ Hydranencephaly-like severe form of cortical dysgenesis: TUBA1A遺伝子 ⑧ Intellectual disability with seizures and hypotonia: PIGG遺伝子 ⑨ West症候群: WDR45遺伝子	

IX. 難病克服プロジェクト②

国際共同臨床研究及び治験、新規原因遺伝子又は新規疾患の発見については、いずれも2020年までの目標を達成した。薬事承認については2020年に向け、順調に進捗している。

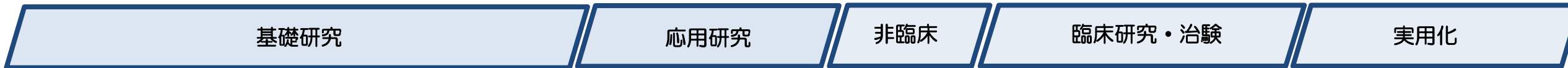
達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
【2020年までの達成目標】				
<ul style="list-style-type: none"> 未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を5件以上達成 	16件 (9件)	A (A)	⑩ Clinical features of SMARCA2 duplication overlap with Coffin-Siris Syndrome: SAMRCA2遺伝子 ⑪ Pontocerebellar hypoplasia: TOE1遺伝子 ⑫ Gabriele-de Vries syndrome症候群: YY1遺伝子 ⑬ 難治性てんかんと多発奇形症候群の異なる②疾患: PPP3CA遺伝子 ⑭ ステロイドに反応性を示す一次性ネフローゼ症候群: ITSN2遺伝子 ⑮ 新規ガラクトース血症 (Type IV): GALM遺伝子 ⑯ 口蓋裂を伴う知的障害: NCOR1遺伝子 * その他: 2019年3月時点で未公表段階の情報 a) 短瞼裂+先天性心疾患+知的障害: 遺伝子名未公開 b) 大頭症+胸郭変形+知的障害: 遺伝子名未公開 c) 痙性対麻痺、知的障害、脳形成異常を持つ新規奇形症候群: 遺伝子名未公開	

IX. 難病克服プロジェクト<参考1>

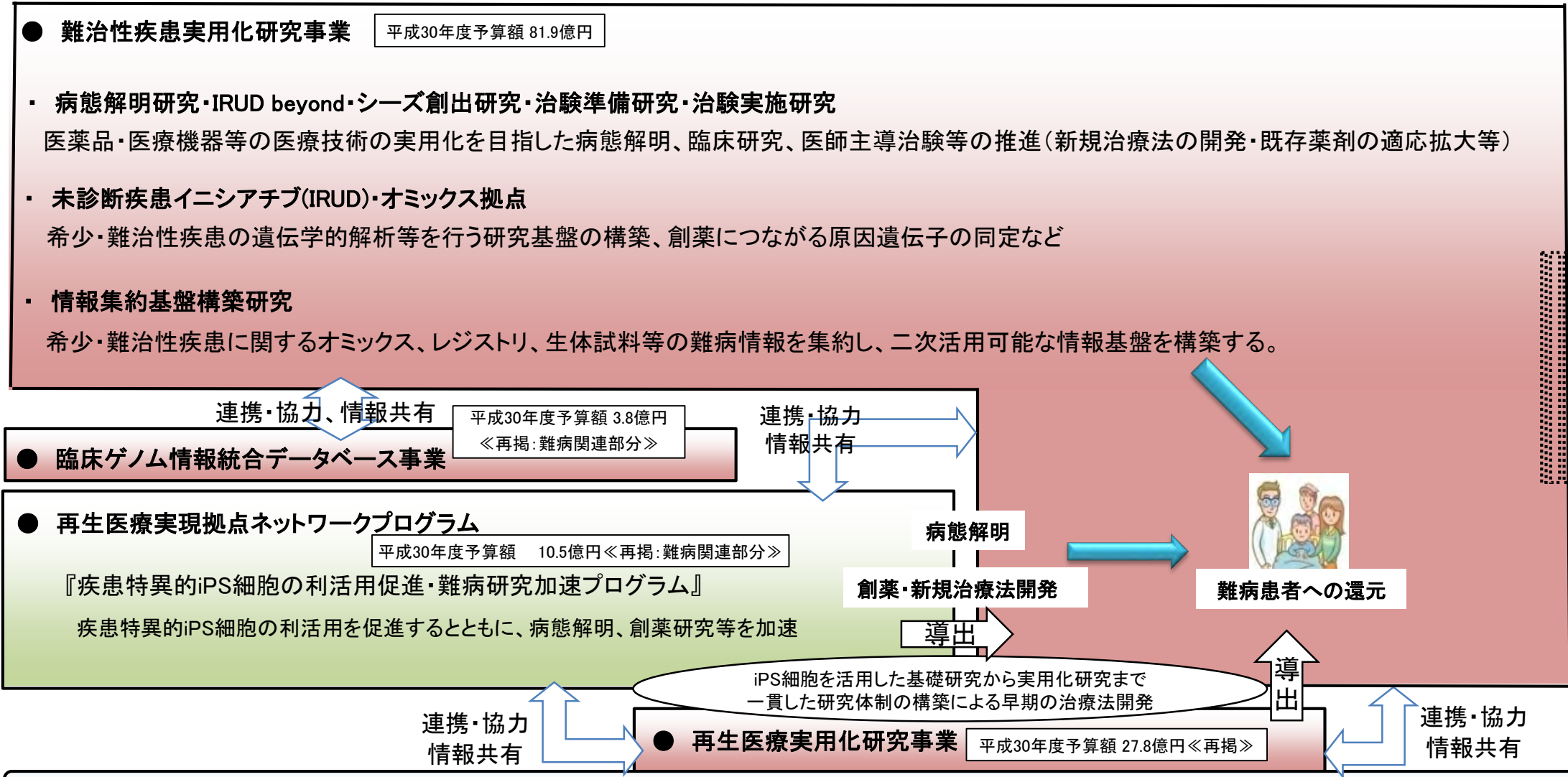
日本医療研究開発機構対象経費
平成30年度予算額 124億円 (一部再掲)

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



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】

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

免疫炎症性難病である炎症性腸疾患の疾患活動性を迅速に評価する 血清バイオマーカー（LRG）の実用化

国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所の仲哲治招聘プロジェクトリーダー（高知大学医学部教授）らのグループは、炎症性腸疾患について、ロイシンリッチα2グリコプロテイン（LRG）が疾患活動性マーカーとなることを発見し、2018年8月21日付で製造販売承認取得した。

炎症性腸疾患は腸管に慢性・再発性の炎症を引き起こす原因不明の難病で、潰瘍性大腸炎とクローン病に大別され、厚生労働省により医療費助成対象疾病（指定難病）に定められている。現在の治療指針としては、各種薬剤を適切に組み合わせ、粘膜治癒をもたらすことが病勢のコントロールと再燃予防に重要とされているが、粘膜病変の活動性を反映する有用なバイオマーカーが無いことが、炎症性腸疾患の治療において大きな障壁となっている。

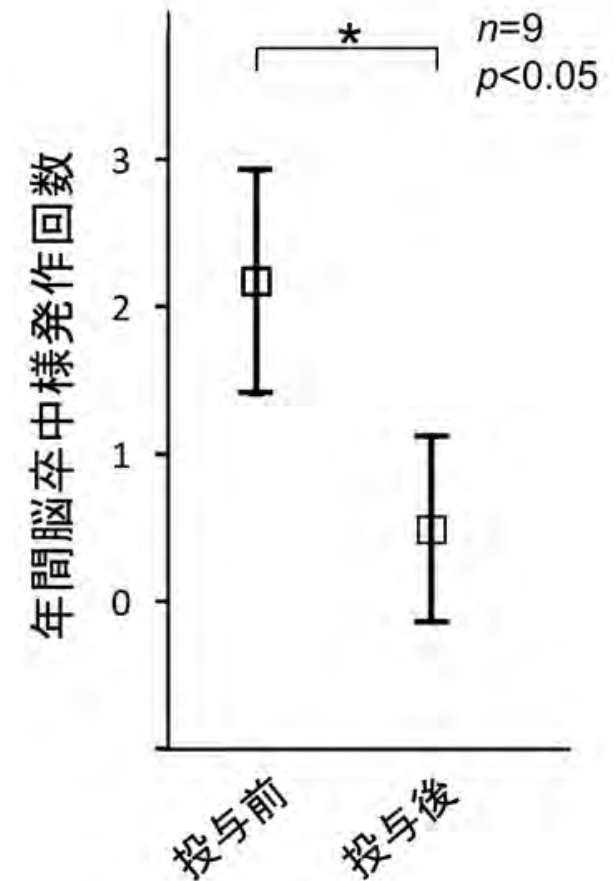
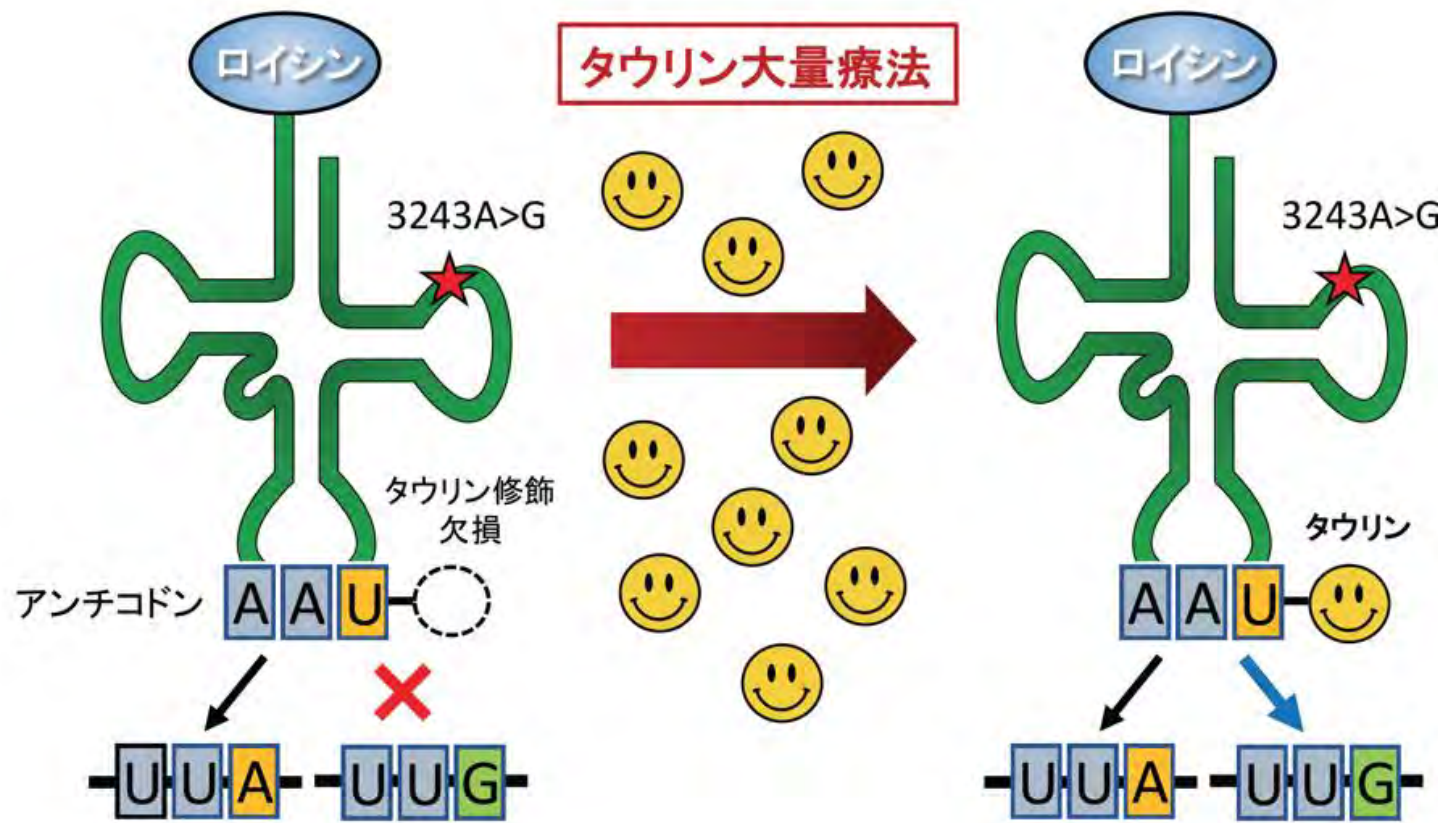
治療に伴う疾患活動性の変化を簡便かつ適切に評価でき、不要な内視鏡検査を回避することや治療薬の増減や変更を判断することが容易になり、医療の質を高めるのみならず、医療費削減にも繋がることも期待される。



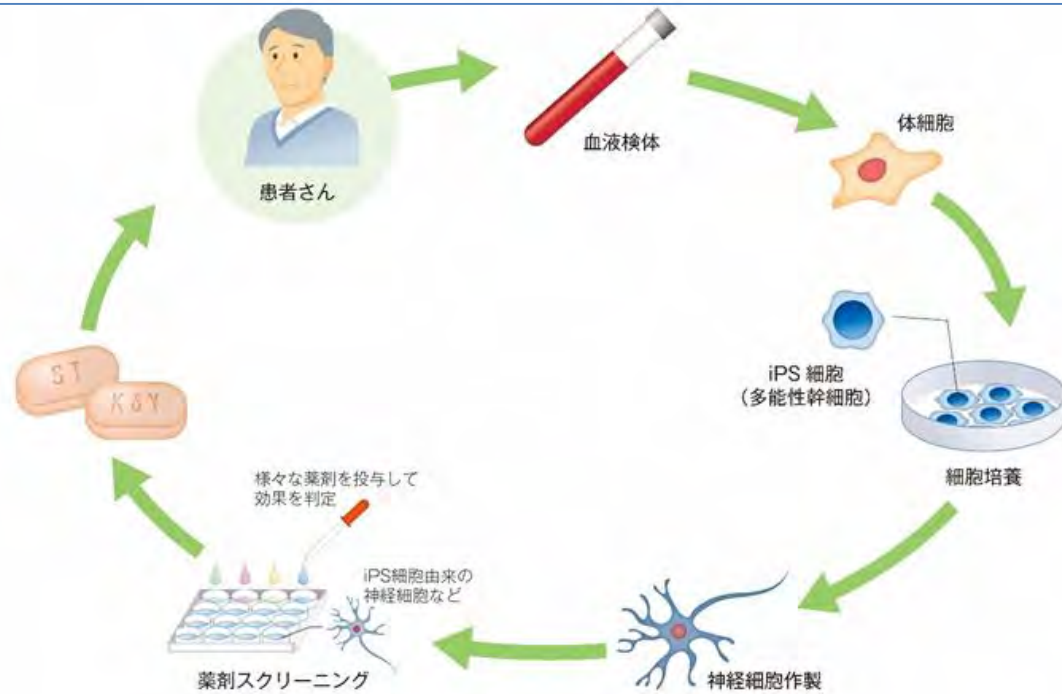
医師主導治験を経て、既存薬タウリンのドラッグ・リポジショニング ミトコンドリア病の世界初の薬事承認

～「タウリン散98%の「MELASにおける脳卒中様発作の抑制」の効能・効果および用法・用量追加に係る一部変更承認取得」～

川崎医科大学の砂田芳秀教授らの研究グループは、ミトコンドリア病 MELAS（ミオパチー・脳症・乳酸アシドーシス・脳卒中様発作）の基本病態である転写後 tRNA 修飾欠損を是正するタウリン大量療法の医師主導治験を実施。2017年治験が終了し、企業による薬事申請が行われ、本年2月末の承認が決定した。

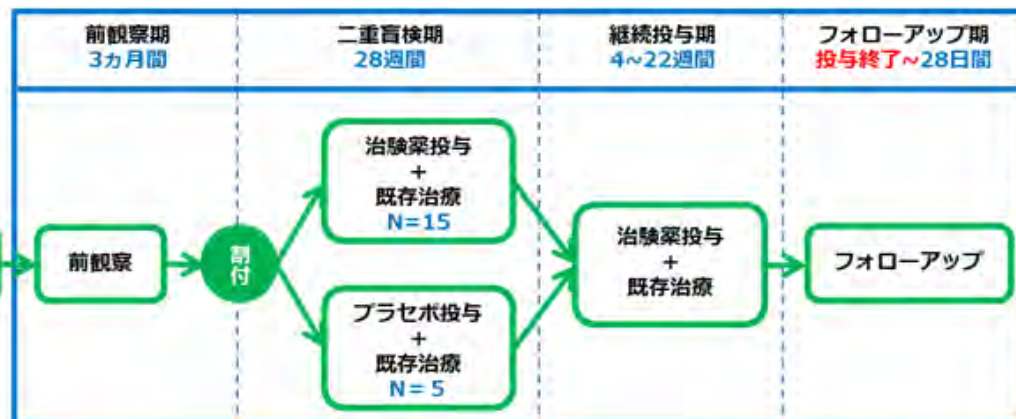


筋萎縮性側索硬化症（ALS）に対するiPS細胞創薬に基づいた 医師主導治験を開始



慶應義塾大学の中原仁教授らは、岡野栄之教授らとともに疾患特異的iPS細胞を用いた創薬技術を応用し新たに見出したALS治療薬の候補、ロピニロール塩酸塩（本治験薬）の安全性・有効性を評価するための第I/IIa相医師主導治験を開始した。本治験は、有効な治療法に乏しいALS患者さんを対象に慶應義塾大学病院にて実施中である。

岡野教授のグループは、患者さん由来のiPS細胞モデルを駆使した革新的なドラッグスクリーニングの手法を開発し、有望なALS治療薬の候補を同定した。



腎移植でHTLV-1ウイルスに感染すると、関連難病を発症するリスクが高いことが判明
—ヒトT細胞白血病ウイルスI型 (HTLV-1) に感染したドナーから腎移植を受けた非感染者は
高頻度で難病HAMを発症することが判明—

聖マリアンナ医科大学の山野嘉久教授らの研究グループは、腎移植におけるヒトT細胞白血病ウイルスI型（以下、HTLV-1）感染症の危険性に関する全国調査を行った。HTLV-1感染者は日本に約100万人いると言われ、大変感染者の多いウイルスで、HTLV-1に感染していない移植を受けるレシピエントが、HTLV-1に感染しているドナーから腎移植を受けた場合、高い頻度でHTLV-1に感染し、更に神経難病であるHTLV-1関連脊髄症（HAM）を移植後早期に高い頻度で発症する危険性があることがわかった。一方で、既にHTLV-1に感染しているレシピエントは、腎移植を受けても

HAMを発症する危険性は高くないことも示された。

ドナーとレシピエントのHTLV-1感染状態を踏まえて腎移植の可否を判断することが、腎移植後のHAMの発症を予防し、より安全な腎移植の実施に重要であることがわかった。

