

「平成30年度 医療分野研究開発の主な成果」

平成31年 4月 26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)	6
III. 特許申請・登録等	10
IV. 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施	13

<参考資料>

① 平成30年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例)	17
② 平成30年度に行われた承認申請・承認等(例)	24
③ 平成30年度に行われた特許申請・登録等(例)	27
④ 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施例	33

I. 臨床研究・治験への移行等①

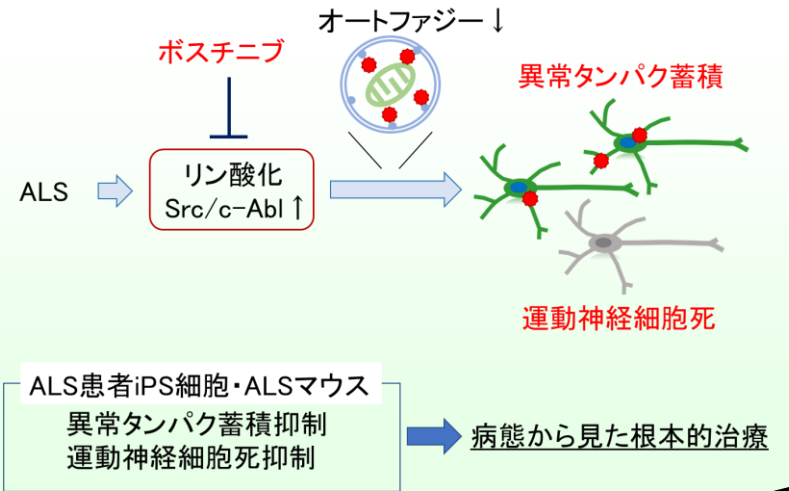
1. 筋萎縮性側索硬化症患者におけるボスチニブの安全性試験 (オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト)

(1) 研究開発の進捗状況

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。(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(継続中)。

(2) 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。



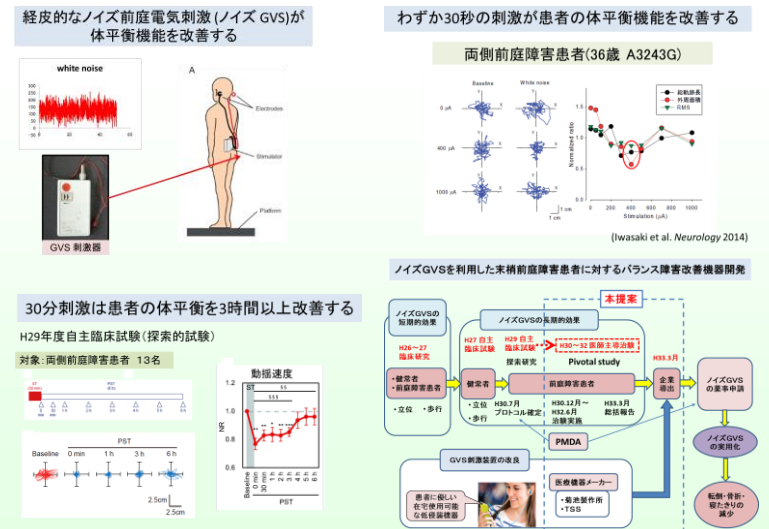
2. 重度のふらつきを有する難治性前庭障害患者における経皮的ノイズ前庭刺激によるバランス改善効果と安全性を検証するための医師主導治験開始 (オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

(1) 概要

重度のふらつきを有する難治性前庭障害患者に対し、耳後部に貼付した電極から経皮的に感覚閾値以下の微弱なノイズ前庭電気刺激(GVS)を加えることによるバランス改善効果を確認するために、50例の難治性前庭障害患者を対象に医師主導治験を実施する。医師主導治験のIRB申請、治験計画届を提出し、2019年2月より被験者の組み入れを開始。

(2) 今後の予定

2020年3月: 治験終了
 2021年3月: 上市予定



I. 臨床研究・治験への移行等②

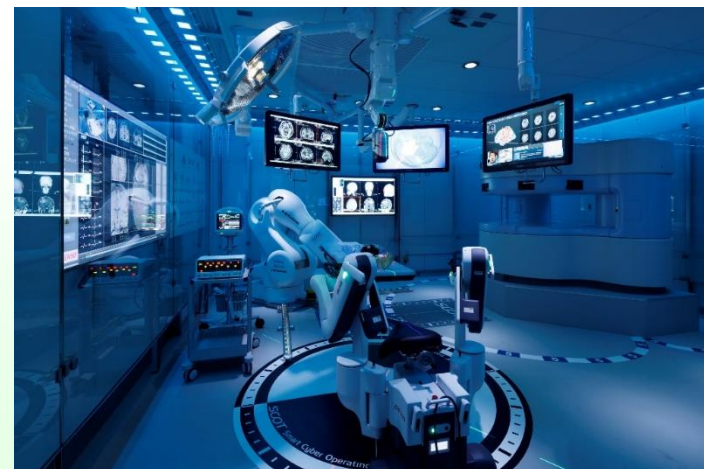
3. スマート治療室(ネットワーク化インテリジェント手術室)のスタンダードモデルが情報統合による手術の効率性、安全性検証の臨床研究開始 (オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

(1) 概要

手術室内の医療機器等(MRI、生体情報、麻酔状況、電気メス等)を時間同期・統一的にオンライン管理し、情報を時系列的に統合・収集・蓄積し、1画面に表示するシステム。このシステムを活用することにより、リアルタイムな情報分析が可能となり、手術の精度や安全性の向上、医療従事者の負担軽減につながる。

(2) 今後の予定

医療機器同士をネットワーク化した標準版SCOTを2020年に上市予定。また、ロボット化した機器とAI開発基盤を実装した高機能版を2021年に上市予定。



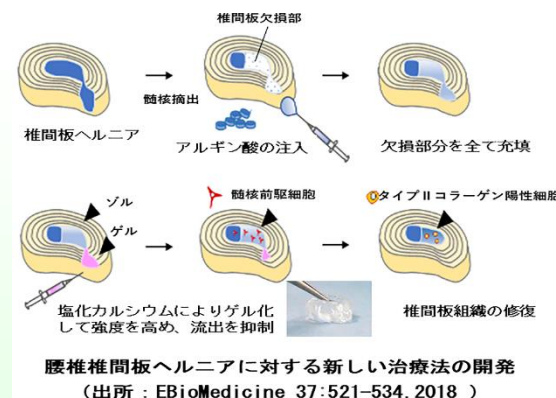
4. 椎間板再生治療における組織修復材の開発 (革新的医療技術創出拠点プロジェクト)

(1) 概要

2018年9月に治験計画届を提出し、20~49歳の腰椎椎間板ヘルニア患者のうち、1椎間(1か所の椎間板)のみにヘルニアがあり、痛みが強く手術が必要と診断された患者を対象として、腰椎椎間板ヘルニア摘出術後にアルギン酸ゲルを埋植する医師主導治験を開始した。2018年度末までに当初計画通りの10症例登録し、順調に進捗している。

(2) 今後の予定

2019年度は2018年度に引き続き治験を実施する。探索的治験後には企業にライセンスアウトし、検証的企業治験へ移行する。組織修復効果が明らかになれば腰椎椎間板ヘルニアに対する世界的な標準術式になることが期待される。



I. 臨床研究・治験への移行等③

5. イフェンプロジル投与による覚せい剤依存症の治療効果検証試験

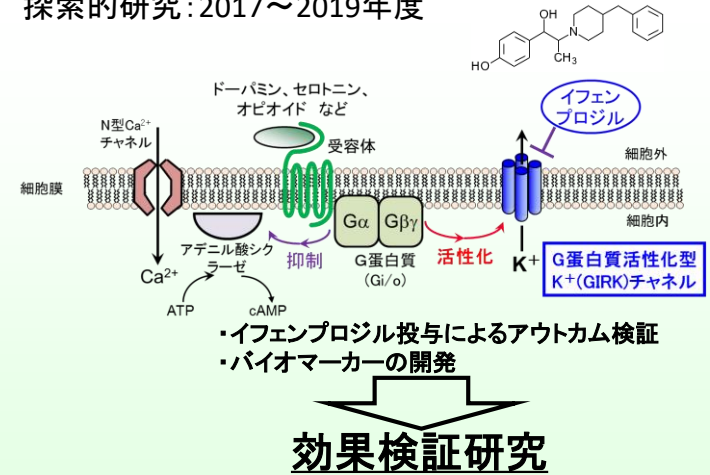
(1) 概要

依存症治療薬としてイフェンプロジルの保険適応拡大を行うための臨床的知見の獲得と依存症のバイオマーカー開発を目的に、覚せい剤依存患者にイフェンプロジルあるいはプラセボ投与を行い、二重盲検ランダム化比較試験により効果を探的に検証する。現在は解析準備中である。(2019年3月)

(2) 今後の予定

2019年度に採択された「臨床研究・治験推進研究事業」において治療効果検証試験(医師主導治験)に向けたプロトコール作成を進める予定である。

探索的研究: 2017~2019年度



障害 東医研・池田先生

6. IROOP研究から認知症リスク因子の解明

(脳とこころの健康大国実現プロジェクト)

(1) 概要

認知症の発症予防を目指したインターネット健常者登録システムIROOPに登録されたデータから、認知機能へ関連している因子および半年経過後の認知機能の変化に影響している因子を解析した。日常生活活動が低下すること、抑うつ、がん・糖尿病の既往、慢性的な痛みの有無、および聴力損失、等が認知症の危険因子として抽出された。

(2) 今後の予定

今後さらに経時的なデータの解析を進めていくことにより、認知症予防に貢献。

IROOP: Integrated Registry of Orange Plan
(認知症予防のための健常者向け情報登録システム)



I. 臨床研究・治験への移行等④

7. 多剤耐性結核に対する新規治療用DNAワクチンの開発

(新興・再興感染症制御プロジェクト)

(1) 概要

多剤耐性結核に対する新規治療用DNAワクチンについて、安全性に係る非臨床試験が完了し、国立病院機構を中心とした3施設医師主導治験実施の準備のため、大阪大学IRB申請を行い、PMDAへ治験計画届出を行った(平成31年2月)。

(2) 今後の予定

2019年度は、First In Human にて第 I 相医師主導治験を実施する予定。

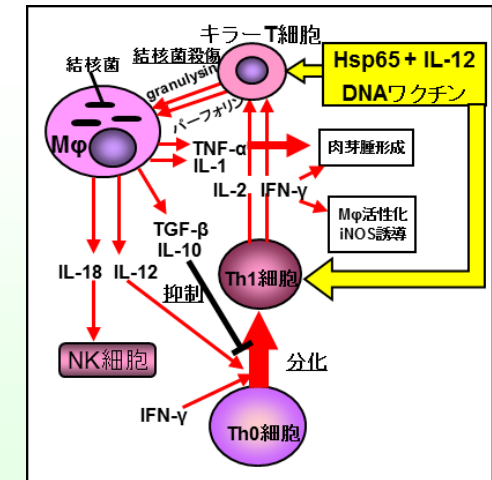


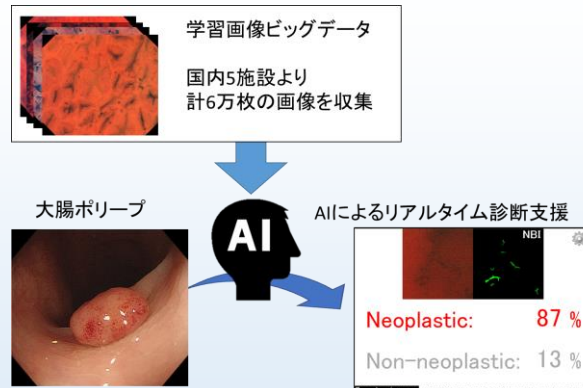
図: ワクチンの薬理効果メカニズム

II. 承認・実用化(承認申請・承認)①

1. 大腸がん抑制を可能とする、人工知能に基づく内視鏡診断支援ソフトウェアの薬事承認取得(オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

(1) 概要

超拡大内視鏡で撮影された大腸の内視鏡画像情報をコンピュータ処理し、画像から腫瘍および非腫瘍の可能性を数値として出力する機能を有している、医師による病変の診断予測を補助するソフトウェア。AIの一種である機械学習手法(サポートベクターマシン)に基づき、約6万枚の内視鏡画像を学習し、臨床性能試験では専門医に匹敵する正診率98%、感度97%の精度で腫瘍性ポリープと非腫瘍性ポリープを識別し、非専門医の正診率を上回っていた。



(2) 今後の予定

2018年12月6日に医薬品医療機器等法に基づく承認を取得。
2019年3月8日に発売、順次臨床導入の予定。

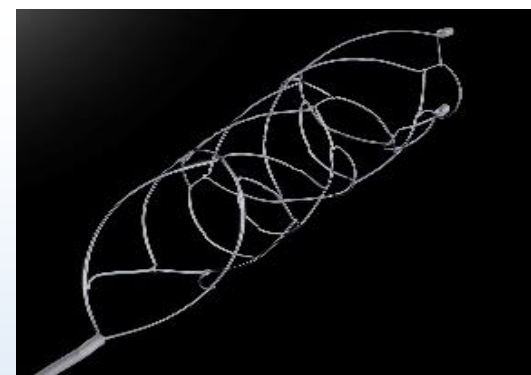
2. 脳血管血栓除去マイクロステントシステム製造に向けた研究開発(オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

(1) 概要

従来、治療困難であった末梢血管領域の治療のため、独自の**特殊ステント構造**を採用した世界最小・最細径の血栓除去デバイスを開発。

(2) 今後の予定

2018年12月に薬事承認取得、2019年4月から販売を開始予定。



II. 承認・実用化(承認申請・承認)②

3. 自己骨髄間葉系幹細胞(STR01) (革新的医療技術創出拠点プロジェクト)

(1) 概要

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。札幌医科大学・本望修教授と山下敏彦教授を中心とするチームは、自身の基礎研究の成果を基に、橋渡し拠点の支援及び本事業の研究費支援を受けながら、2013年12月より脊髄損傷患者を対象とした医師主導治験を実施して2017年2月に治験を終了した。2018年6月に共同開発を進めるニプロ株式会社より、再生医療等製品「ステミラック®注」として製造販売承認申請を行い、2018年12月に、厚生労働省から「条件及び期限付承認」を取得。



(2) 今後の予定

ステミラック®注を用いた脊髄損傷に対する診療については、当該製品の供給体制が整い次第、開始される予定。

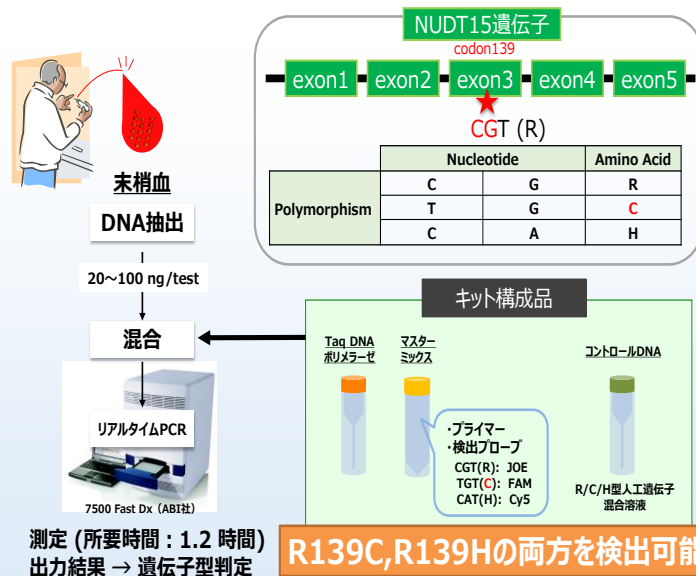
4. NUDT15 R139C遺伝子多型検査キットの開発 (疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト)

(1) 概要

炎症性腸疾患、白血病、リウマチ性疾患、臓器移植後の治療におけるチオプリン製剤の重篤な副作用の予測に有用な *NUDT15* (Nudix Hydrolase 15) 遺伝子多型を検出するキット(製品名:MEBRIGHT *NUDT15* キット、以下「本キット」)を開発し、世界で初めて体外診断用医薬品として製造販売承認(平成30年4月6日)を取得し、同年7月2日に発売した。さらに、平成31年1月に保険収載され、2月から保険適応となった。

(2) 今後の予定

NUDT15 (Nudix Hydrolase 15) 遺伝子検査を副作用の予測以外に、投与量の設定など個別化医療のツールとして活用する方法を開発する。



II. 承認・実用化(承認申請・承認)③

5. オンコパネルの開発 (疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト)

(1) 概要

「NCCオンコパネル」は、先進医療Bを経てコンビネーション医療機器として製造販売承認を取得した(平成30年12月)。「Todaiオンコパネル」は、先進医療Bを実施中である。

(2) 今後の予定

血液がん領域においては、造血器腫瘍の遺伝子パネル等の開発を目指す。

TOP-GEAR-CS: 初のがん遺伝子パネル検査として薬事承認
OncoGuide™ NCCオンコパネルシステム 承認番号: 23000BZX00398000 販売: シスメックス社



変異・増幅を検査する遺伝子 (114)				融合を検査する遺伝子 (12)	
ABL1	CBR1	IDH1	IF1	RAC1	ALK
ACTN4	CREBBP	IGF1R	NOTCH1	NFE2L3/42RAD51C	AXT2
AKT1	CTNWB1/B-catenin	IGF2	NOTCH1	RAF1/CRAF	BRAF
ARX	CUL5	IKZF1	NOTCH1	RET	ERBB4
ARX	DOR2	JAK1	NOTCH1	RET	FGFR2
ATF	ESRR	JAK2	NRAS	SHC4	FGFR3
APC	ENO1	JAK3	NRG1	ROS1	NRG1
ARAF	EP300	KDM3A/UTX	NTRK1	SETBP1	NTRK1
ARID1A	ERBB2/HER2	SEAF1	NTRK2	SETD2	NTRK2
ARID2	ERBB3	KIT	NTRK3	SMAD4	PDGFRA
ATM	ERBB4	IKZF1	NRX1	SMARCA4/BRG1	RET
ATM	ESR1/ER	MAP2K1/MEK1	PALB2	SMARCB1	ROS1
AXIN1	ESR2/ER	MAP2K2/MEK2	PBRM1	SMD	
AXL	ESR2	MAP2K4	POGFR	STAT3	
BARD1	FBXW7	MAP3K1	POGFR	STK11/LAR1	
BCG1/1/BN	FGFR1	MAP3K2	POGFR	TP53	
BRAF	FGFR2	MAP3K4	PUSCA	TSC1	
BRCA1	FGFR3	MDM2	PKR31	TSC1	
BRCA2	FGFR4	MDM4	PKR32	VHL	
BRCA2	FLT3	MEK	POLD1		
CCND1	GNA11	MLH1	POLD1		
CD274/PD-L1	GNAQ1	MTOR	PRK1		
CD44	GNAS	MSH2	PTCH1		
CDKN2A	HRAS	MTFC	PTEN		
CHK2	IDH1	MYC1	RAC1		

平成31年度早々にも保険診療として
全国のゲノム中核拠点病院・連携病院で
検査が可能となる予定

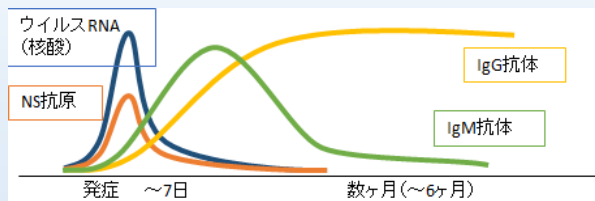
6. ジカウイルス感染症の迅速診断法開発 (新興・再興感染症制御プロジェクト)

(1) 概要

平成27-28年に中南米で流行したジカウイルス感染症について、ウイルスRNAを検出するRT-LAMP法を応用した簡便で迅速な診断キットを開発し、ブラジルでの臨床性能試験を実施後、平成30年6月に製造販売承認を取得した。

(2) 今後の予定

今後は国内での普及を目指す。



ジカウイルス検出用診断キットの一部
(等温増幅蛍光検出装置)

Ⅱ. 承認・実用化(承認申請・承認)④

7. ミトコンドリア病 MELASに対する既存薬タウリンのドラッグ・リポジショニングの承認

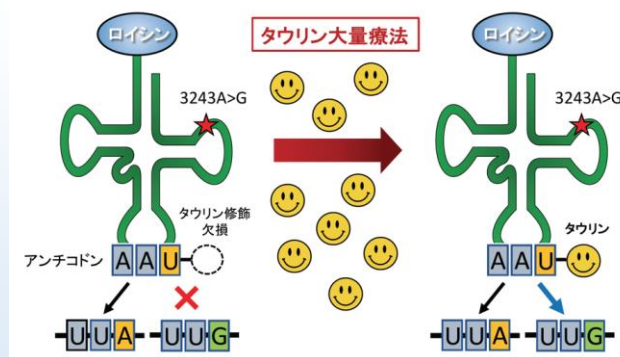
(難病克服プロジェクト)

(1) 概要

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月製造販売承認された。

(2) 今後の予定

平成31年度に製造販売される。



Ⅲ. 特許申請・登録等①

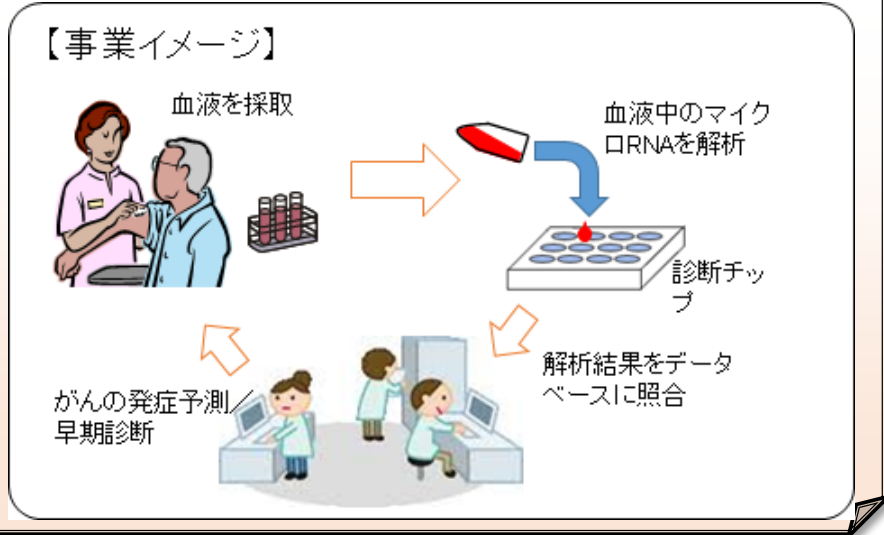
1. 体液中マイクロRNA測定技術基盤開発 (オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト)

(1) 概要

平成30年度は、膀胱がん・前立腺がん・認知症等について、マーカーの特許出願を5件行うとともに、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4件行った。この結果、主要がん13種と認知症マーカーの特許出願を終えたこととなり、周辺技術と併せて、当プロジェクトでの特許出願数は計51件となった。

(2) 今後の予定:

臨床有用性を確認するために実施中のがんを対象とした前向き臨床研究を完遂し、薬事申請を目指す。



2. 低侵襲・高解像度がん診断装置に係る画像処理方法及び画像処理プログラム(特許出願)

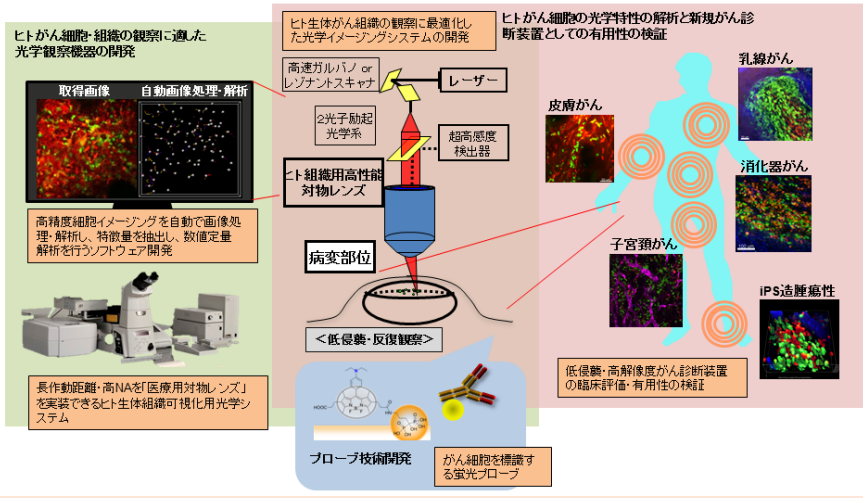
(オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

(1) 概要:

がんの部位に関する大まかな画像診断だけでなく、局所での微細な浸潤・転移やがん細胞の性状を、ヒト組織に内在する蛍光物質を用いて、化学処理を行わずに組織の深部まで可視化できる非侵襲イメージング観察系の開発。

(2) 今後の予定:

2022年度薬事申請
2023年度上市予定



Ⅲ. 特許申請・登録等②

3. 認知症の早期診断に係る画像処理プログラム(特許出願) (オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

(1) 概要:
認知症の重症度の診断の為、MRIに後付けする撮像システム及び、撮像した画像から認知症の重症度の診断支援を行うプログラムの開発。



3テスラ超電導MRIシステム
「TRILLIUM OVAL Cattleya」

(2) 今後の予定:
2019年1月に撮像システムを搭載したMRIの販売を開始。2017年度に開始した臨床研究を重ね診断支援プログラムの承認を目指す。

4. 精神障害患者の客観的睡眠評価方法

(脳とこころの健康大国実現プロジェクト)

(1) 概要

睡眠ポリグラフ検査は、重要な精神症状である睡眠状態を客観的に評価出来る有用性を有するが、多数のセンサを装着した上で、医療機関の睡眠検査室で実施する必要がある。即ち在宅で、拘束感なく、本来の睡眠状態を、かつ頻回に計測することは不可能である。一方後頸部導出の小型脳波計は、無拘束、在宅環境で反復記録が可能である。今回、睡眠ポリグラフ検査との併存妥当性検証の結果、当該機器による精神障害患者の客観的な睡眠評価を可能とした。



多くのセンサや電極装着が必要
通常の睡眠環境と異なる睡眠障害の早期検出・予防、治療経過観察に不適

(2) 今後の予定:

精神障害における睡眠評価、睡眠ポリグラフ検査前および治験実施時の睡眠スクリーニング評価にも応用可能である。



後頸部導出の小型脳波計
無拘束・在宅で可能
通常の睡眠環境と同じ条件反復記録可能で、経過を経時的に把握可能



スマホサイズ

障害 名大・尾崎先生

Ⅲ. 特許申請・登録等③

5. ペア型レセプターを標的にした新たな感染症制御法の開発

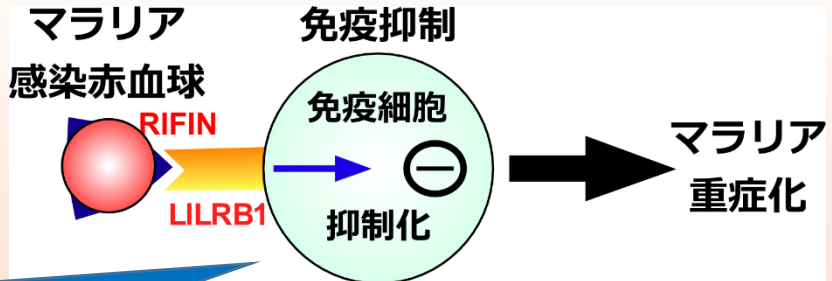
(新興・再興感染症制御プロジェクト)

(1) 概要:

マラリア治療薬、マラリアの治療方法、マラリア治療用候補物質のスクリーニング方法、マラリア重症化マーカー、マラリアの重症化の危険度を試験する方法および試験試薬に係る特許を申請 (2018年11月)

(2) 今後の予定:

新たな感染症制御法開発を進める。



マラリア重症化の仕組みに着目、治療薬開発に係る特許を申請中

6. 低容量抗CCR4抗体を用いたHTLV-1関連脊髄症の予防又は治療剤

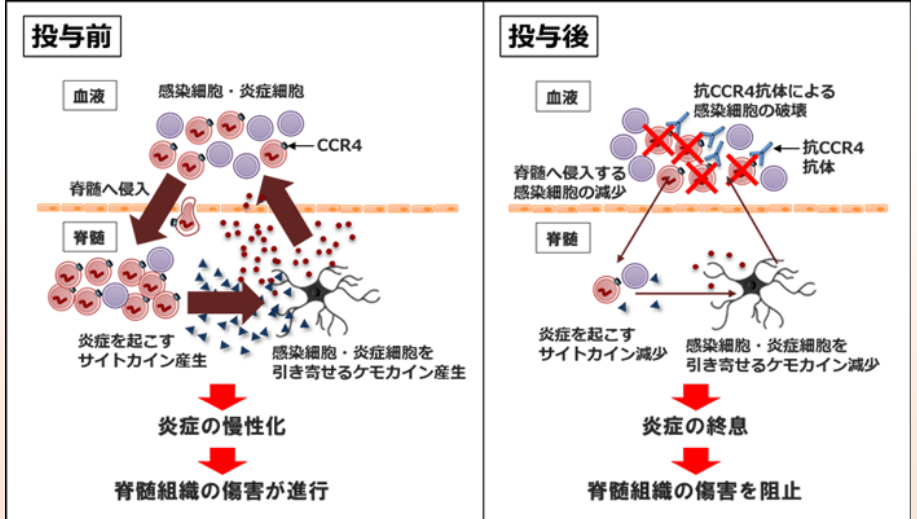
(難病克服プロジェクト)

(1) 概要:

抗CCR4抗体の投与により、末梢血液中のHTLV-1プロウイルス量 (HTLV-1感染細胞数) の減少のみでなく、髄液中のHTLV-1プロウイルス絶対量の減少も認められた。これにより、抗CCR4抗体が「HTLV-1感染細胞を標的としてHAM患者脊髄の炎症を改善させる」という新しい作用メカニズムを持つ世界初のHAMの根本的治療薬となる可能性が示された。

(2) 今後の予定:

現在、多施設共同の検証的試験 (第3相) が企業主導で開始されている。



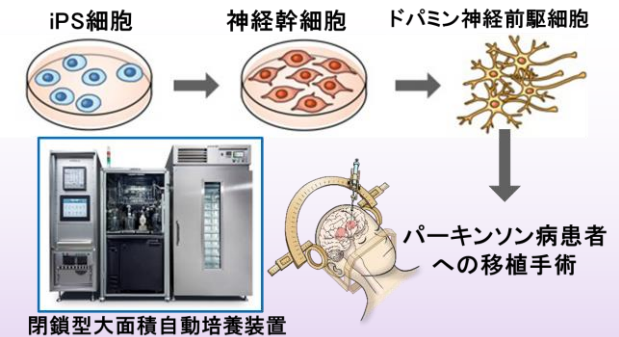
IV. 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施①

1. 再生医療実現プロジェクト

(1) 平成30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。



大量培養 培養の自動化 安全性・有効性評価

(2) 具体的事例

「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」に引き続いて支援している「再生医療実用化研究事業」において、平成30年8月よりパーキンソン病患者に対する他家iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞を用いた再生医療の治験を開始した(京都大学病院)。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」において、閉鎖型大面積自動培養装置を開発し、製品化に至った。

IV. 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施②

2. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

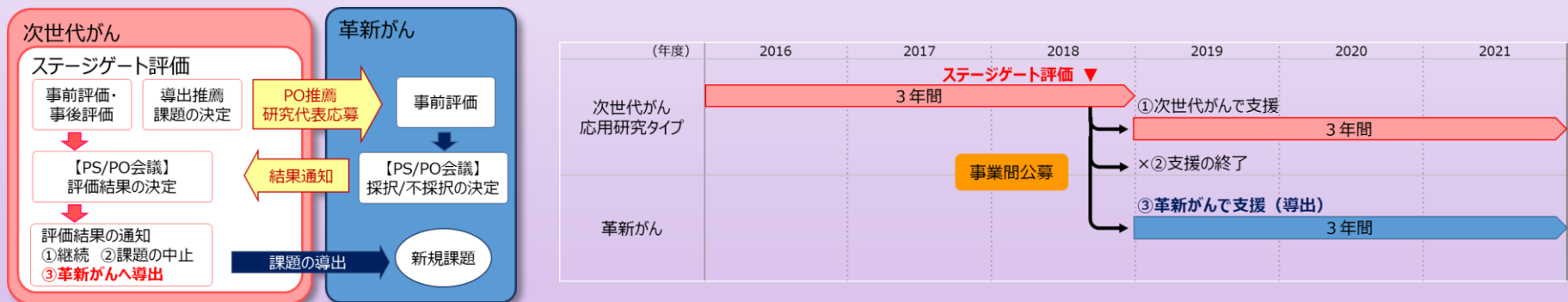
(1) 平成30年度の取組

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医療創生研究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的がん医療実用化研究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。

(2) 具体的事例

次世代がん医療創生研究事業の応用研究タイプを対象に、POの推薦を受け、評価委員会の承認を得た研究開発課題を、革新的がん医療実用化研究事業の評価委員会で審査し、PS/PO会議を経て3課題を導出した。

- 固形がんに対するIL-7/CCL19産生型CAR-T細胞療法の研究開発(実施機関:山口大学)
- 進行性大腸がんに対する革新的治療薬としてのタンキラーゼ阻害剤の開発(実施機関:がん研究会)
- ホウ素中性子捕捉療法(BNCT)への適用を指向した18FBPA-PET診断技術の開発研究(実施機関:大阪府立大学)



IV. 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施③

3. 新興・再興感染症制御プロジェクト

(1) 平成30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の拡充により、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。

(2) 具体的事例

- ・ 4大重点疾患(インフルエンザ・デング熱・下痢症感染症・薬剤耐性菌)において、各病原体のゲノムデータ共有の拡充をさらに進めた。
- ・ カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノム情報について、論文の発表時に順次公開を進めた。
- ・ J-PRIDEにおいて異分野連携や斬新な発想を重視した若手研究者中心の課題を支援。合宿型合同班会議(平成30年6月)、第2回日英ワークショップ(平成31年1月)を開催。
- ・ AMED、厚生労働省、文部科学省が連携して、新興・再興感染症制御プロジェクト3事業の合同シンポジウムを開催。

新興・再興感染症制御プロジェクト3事業の合同シンポジウム

新興・再興感染症制御プロジェクト 新興再興事業・J-GRID・J-PRIDE 合同シンポジウム

感染症研究連携のフロンティア

日時: 平成31年3月18日(月) 13:00-18:15
場所: 国立感染症研究所 戸山庁舎 共用第一会議室
定員: 120名(参加費無料)

開会挨拶 13:00-13:10
AMED 宮村 達朗, 文部科学省 高城 亮, 厚生労働省 井口 肇

事業紹介 13:10-13:20
* J-GRID, J-PRIDE, 感染症実用化研究事業 神田 忠仁 (AMED)

寄生虫・原虫感染症 13:20-14:20 座長: 久根 一 (国立感染症研究所)
トキソプラズマの寄生虫免疫学から導かれた新たな感染ターゲット 山本 寛裕 (大阪大学)
薬剤耐性マラリア感染に関する研究 岩谷 法朗 (東京医科歯科大学)
新興アヌーバ(新感染症)の特性 児井 文香 (信州大学)

休憩(5分)

HTLV-1 14:25-15:25 座長: 水上 亮郎 (国立感染症研究所)
* HTLV-1 感染病態解明へ向けた感染者血液のサンプルをクラウドプラットフォーム構築 佐藤 真文 (熊本大学)
* HTLV-1 感染細胞の特性解明と診断・予防・治療戦略 松岡 英成 (熊本大学)
* HTLV-1 感染の現状と対策 沢口 功 (国立感染症研究所)



J-PRIDE 第2回日英ワークショップ



在京英国大使館の協力による開催



日英ワーク
ショップ開催
(平成29年12
月)

J-PRIDE 研
究開始
(平成29
年8月)

英国医学
研究会議
(MRC)との
協力覚書

ロンドン事務
所開所(平
成29年2月)

質の高い日英国際
共同研究が進行中

〈参考資料〉

① 平成30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プロジェクト	
がん領域Clinical Innovation Network事業による超希少がんの臨床開発と基盤整備を行う総合研究【治験】	関連機関と連携して医師主導治験を継続して実施予定
産学連携全国がんゲノムスクリーニング(SCRUM-Japan)患者レジストリを活用した BRAF遺伝子変異陽性切除不能進行・再発大腸がんを対象にした医師主導治験【治験】	関連機関と連携して医師主導治験を継続して実施予定
限局性皮質異形成II型のでんかん発作に対するシロリムスの有効性と安全性に関する無対照非盲検医師主導治験【治験】	関連機関と連携して医師主導治験を継続して実施予定
患者レジストリを活用した筋萎縮性側索硬化症治療薬開発のための医師主導治験【治験】	関連機関と連携して医師主導治験を継続して実施予定
IgG4自己抗体陽性の慢性炎症性脱髄性多発神経炎(CIDP)患者を対象としたリツキシマブの有効性と安全性評価に関する多施設共同臨床試験【治験】	関連機関と連携して医師主導治験を継続して実施予定
小児の気道狭窄病変に伴う呼吸不全に対するヘリウム・酸素混合ガス(AW-PD01)の臨床第Ⅱ相試験の治験の調整・管理に関する研究【治験】	関連機関と連携して医師主導治験を継続して実施予定
新生児ヘモクロマトーシスに対する胎内ガンマグロブリン大量静注療法の医師主導治験【治験】	関連機関と連携して医師主導治験を継続して実施予定
心臓カテーテル検査・治療中に生じる難治性冠攣縮に対するRhoキナーゼ阻害薬ファスジルの効能追加に係る医師主導治験【治験】	関連機関と連携して医師主導治験を継続して実施予定
顕微鏡的多発血管炎および多発血管炎性肉芽腫症に対するトシリズマブの有効性、安全性、薬物動態に関する医師主導治験【治験】	関連機関と連携して医師主導治験を継続して実施予定

① 平成30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プロジェクト	
スマート治療室(ネットワーク化インテリジェント手術室)のスタンダードモデルが情報統合による手術の効率性、安全性検証の臨床研究開始【臨床研究】	2019年度中事業化
非線形位置合わせに基づく経時差分画像を用いた骨転移検出支援を行うためのソフトウェアの臨床研究開始【臨床研究】	2020年度承認申請予定
上肢に対する単関節型Hybrid Assistive Limb(HAL)の臨床試験開始【治験】	2019年度中に探索的治験終了予定
脳卒中、神経難病患者に対するロボティックウェア(衣服一体型curara)の臨床研究開始【治験】	2020年度に治験開始予定 2023年度に承認申請予定
重度のふらつきを有する難治性前庭障害患者における経皮的ノイズ前庭刺激によるバランス改善効果と安全性を検証するための医師主導治験開始【治験】	2018年度に治験開始
革新的医療技術創出拠点プロジェクト	
椎間板再生治療における組織修復材の開発【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
AMPA受容体可視化のためのPETプローブ【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
薬剤抵抗性の切除不能膵癌に対する核酸医薬STNM01の超音波内視鏡ガイド下投与の医師主導治験【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
視線計測装置及び視線計測装置用診断プログラム(Gazefinder)による自閉スペクトラム症(ASD)の診断能に関する多施設共同試験【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
FGFR3シグナル抑制による低身長治療薬の開発【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定

① 平成30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
難治性角結膜疾患に対する培養自家口腔粘膜上皮シート移植【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
子宮頸部上皮内腫瘍(Cervical Intraepithelial Neoplasia: CIN)に対するFIT039CT投与による安全性及び血中薬物濃度を検討する第I/II相試験【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
進行性悪性黒色腫患者を対象としたGEN0101腫瘍内局所投与による有効性の検討【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
がん特異的アミノ酸輸送体阻害作用を有する抗がん剤の臨床POC取得【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
再発又は難治性のCD30陽性皮膚原発悪性リンパ腫を対象としたブレンツキシマブ ベドチンの有効性及び安全性を確認する多施設共同第II相医師主導治験【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
歯科患者を対象とした歯科用局所麻酔剤アルチカイン塩酸塩・アドレナリン酒石酸水素塩注射剤の第II相試験【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
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(phaseII 反復投与)【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
C型肝硬変等に対するCBP/ β -カテニン阻害剤を用いた抗線維化治療薬の開発【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
次世代シーケンサーによる網羅的がん関連遺伝子パネル解析を用いたHER2遺伝子変異陽性の進行非小細胞肺癌に対する治療開発を目指した研究【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
ロミプロスチム臍帯血移植【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
アテゾリズマブ膀胱癌【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定

① 平成30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
FITC標識CART細胞【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
認知症に対する経頭蓋超音波治療装置の開発【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
自閉スペクトラム症患者におけるピリドキサミンの有効性及び安全性を評価する医師主導第Ⅱ相試験【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
在宅医療における新規口腔プラーク除去機器の開発【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
網膜中心動脈閉塞症を対象とした経皮膚電気刺激の安全性及び有効性に関する試験【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定
非動脈炎性虚血性視神経症を対象とした経皮膚電気刺激の安全性及び有効性に関する試験【治験】	2019年度も継続して医師主導治験を実施予定

① 平成30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
再生医療実現プロジェクト	
iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞を用いたパーキンソン病治療に関する医師主導治験【治験】	2019年度も継続して治験を実施
重症心筋症に対するヒトiPS細胞由来心筋シート移植による治験法の開発【臨床研究】	2019年度も継続して臨床研究を実施
血小板輸血不応症を合併した再生不良性貧血患者を対象とするiPS細胞由来血小板の自己輸血に関する臨床研究【臨床研究】	2019年度も継続して臨床研究を実施
亜急性脊髄損傷に対するiPS細胞由来神経前駆細胞を用いた再生医療【臨床研究】	2019年度も継続して臨床研究を実施
角膜上皮幹細胞疲弊症に対する他家iPS細胞由来角膜上皮細胞シートのfirst-in-human臨床研究【臨床研究】	2019年度も継続して臨床研究を実施
自家腸上皮幹細胞移植による炎症性腸疾患の粘膜再生治療に関する研究【臨床研究】	2019年度も継続して臨床研究を実施
重症高アンモニア血症を生じる尿素サイクル異常症に対するヒト胚性幹(ES)細胞由来再生医療等製品に関する医師主導治験【治験】	2019年度も継続して治験を実施

① 平成30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
<p>ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト</p>	
<p>難治性神経芽腫に対する分化誘導療法併用下でのエピジェネティック治療開発【治験】</p>	<p>平成31年度も継続して治験を実施予定</p>
<p>がん認識抗体と遺伝子導入T細胞による難治性B細胞性悪性リンパ腫を対象とした第I相医師主導臨床試験【治験】</p>	<p>平成31年度治験開始予定</p>
<p>子宮頸がん予防のためのリスク低減を目的としたヒトパピローマウイルス(HPV)標的粘膜免疫療法の医師主導治験【治験】</p>	<p>平成31年度治験開始予定</p>
<p>難治性肉腫に対するワクチン併用TCR遺伝子改変T細胞輸注療法の多施設共同医師主導治験【治験】</p>	<p>平成31年度も継続して治験を実施予定</p>
<p>次世代シーケンサーによる網羅的がん関連遺伝子パネル解析を用いたHER2遺伝子変異陽性の進行非小細胞肺癌に対する治療開発を目指した研究【治験】</p>	<p>平成31年度も継続して治験を実施予定</p>
<p>脳とこころの健康大国実現プロジェクト</p>	
<p>新規抗うつ薬候補R-ケタミンの臨床治験【治験】</p>	<p>2019年度に第I相臨床治験を実施予定</p>
<p>イフェンプロジル投与による覚せい剤依存症の治療効果検証試験【治験】</p>	<p>治療効果検証試験(医師主導治験)に向けたプロトコル作成予定</p>
<p>IROOP研究から認知症リスク因子の解明【治験】</p>	<p>さらに経時的なデータの解析</p>
<p>新興・再興感染症制御プロジェクト</p>	
<p>多剤耐性結核に対する新規治療用DNAワクチンの開発【治験】</p>	<p>第I相医師主導治験を実施(平成31年3月に開始)</p>

① 平成30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
難病克服プロジェクト	
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【治験】	2020年度 企業導出予定
慢性活動性EBウイルス感染症を対象としたJAK1/2阻害剤ルキシソリチニブの医師主導治験【治験】	2023年 薬事承認取得予定
網膜色素変性に対するBranched chain amino acidsを用いた新規神経保護治療法開発【治験】	2021年度 第2相試験終了予定
進行性骨化性線維異形成症に対する新規治療薬の開発【治験】	2020年 薬事承認取得予定
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【治験】	2019年度 第2a相試験終了予定
網膜色素変性に対する視細胞保護遺伝子治療の医師主導治験【治験】	2020年度 第1/2a相試験終了予定
ナチュラルキラーT細胞活性化による慢性炎症制御に基づく新たな心筋症治療の実用化【治験】	2020年度 第1/2a相試験終了予定

② 平成30年度に行われた承認申請・承認等(例) 1/3

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プロジェクト	
痙攣性発声障害に対するA型ボツリヌス毒素(ボトックス)の甲状披裂筋/後輪状披裂筋内局所注入療法の有効性と安全性に関する研究	平成30年5月に適応追加の承認取得
硬膜動静脈瘻に対するOnyx液体塞栓システムを用いた塞栓術の安全性と有効性に関する研究	平成30年4月に適応追加の承認取得
造血細胞移植における肝中心静脈閉塞症(VOD)に対する本邦未承認薬defibrotideの国内導入のための研究:第I相および第II相試験	平成30年10月に承認申請を行い、審査中
オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト	
脳血管血栓除去マイクロステントシステム製造に向けた研究開発	2019年4月上市予定
在宅歯科医療における口腔感染症や誤嚥性肺炎の予防機能を有した抗菌性粘膜調整材の開発・事業化	2019年春上市予定
高適合・短時間施術を実現する、3Dモデリング及び3D積層造形を応用したカスタムメイド脊柱変形矯正用インプラントの開発・事業化	2019年3月上市予定
口腔内環境の変化に対応し、長期予後を確立する歯科用インプラントの開発・事業化	2019年9月上市予定
ニューロリハビリ 上肢リハ評価システム (intelligent peg sensor system) 医療機器規格適合試験薬事一変申請	2019年度 上市
磁性マーカ検知器(欧州CEマーク宣言)	2019年度 欧州上市 2020年度 米国上市
超電導磁石式全身用MR装置(一部変更認証)	2018年度 販売開始
大腸がん抑制を可能とする、人工知能に基づく内視鏡診断支援ソフトウェアの薬事承認取得	2019年3月上市予定

② 平成30年度に行われた承認申請・承認等(例) 2/3

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
革新的医療技術創出拠点プロジェクト	
トシリズマブ(成人発症Still病)	2018年5月に承認申請を行い、審査中
SCOLIOMAP脊柱側弯モニタ	2019年3月に承認申請を行い、審査中
ヒト骨髄由来間葉系幹細胞	2019年3月に承認申請を行い、審査中
バイポーラRFAシステム	2019年3月に承認申請を行い、審査中
人工真皮	2018年4月に薬事承認取得
チタンデバイス	2018年4月に薬事承認取得
メラ金属コネクタ	2018年6月に薬事承認取得
経口的ロボット支援手術	2018年8月に薬事承認取得
ペルツズマブTDM1	2018年10月に薬事承認取得
自家骨髄間葉系幹細胞(脊髄損傷)STR01:ステミラック注	2018年12月に薬事承認取得
自家培養表皮ジェイス(難治性皮膚疾患)	2018年12月に薬事承認取得
CVSスパイナルシステム	2018年12月に薬事承認取得
RFIDマーキングシステム	2018年12月に薬事承認取得
AMG0001	2019年3月に薬事承認取得
ラパマイシン(結節性硬化症)	2018年5月に保険医療化
オートタキシン	2018年6月に保険医療化
NUDT15 R139C遺伝子検査キット	2019年2月に保険医療化

② 平成30年度に行われた承認申請・承認等(例) 3/3

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
<p>疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト</p>	
<p>NUDT15 R139C遺伝子多型検査キットの開発</p>	<p>平成30年4月6日 製造販売承認取得 平成31年2月 保険適応</p>
<p>新興・再興感染症制御プロジェクト</p>	
<p>ジカウイルス感染症の迅速診断法開発</p>	<p>平成30年6月製造販売承認 取得し、今後は国内での普 及を目指す</p>
<p>難病克服プロジェクト</p>	
<p>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</p>	<p>平成30年8月 製造販売承認取得</p>
<p>タウリンによるMELAS脳卒中様発作再発抑制療法の実用化</p>	<p>平成31年2月 薬事承認取得</p>

③ 平成30年度に行われた特許申請・登録等(例) 1/6

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プロジェクト	
平成30年度、前立腺がん、認知症について、マーカーの特許出願を5件行うとともに、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4件行った。この結果、主要がん13種と認知症マーカーの特許出願を終えたこととなり、周辺技術と併せて、当プロジェクトでの特許出願数は計51件となった。	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、早期の承認申請を目指す。(平成30年度末まで)
ゲノム編集技術に関する課題では、平成30年度、新規CRISPR-Cas9システムセット開発やエピゲノム編集に関する特許12件を出願した。平成27年度6件、平成28年度10件、平成29年度8件と合わせ、当課題からの特許出願数は計36件となった。	新規システムセットの開発と医療応用を目指した技術の開発

③ 平成30年度に行われた特許申請・登録等(例) 2/6

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プロジェクト	
より安全な鏡視下手術実現のためのカメラ付きトコカールの開発に関する特許登録	平成30年度上市予定
注射液用容器認識システム及び注射液用容器認識方法の海外出願	国内上市済み 海外未定
医療材料認識システムの海外出願	国内上市済み 海外未定
半月板再生基材の出願	2022年4月薬事申請予定
ロッド群、弓状ロッド、S字状ロッド、脊柱安定化システム、およびロッドの製造方法の海外出願	2019年3月国内上市 2024年2月海外上市予定
電動式身体機能回復訓練装具(意匠登録)	2022年上市予定
高温超電導システムに係る超電導マグネット及び重粒子線装置(特許登録)	第5世代重粒子線治療装置の研究開発の継続
機能的な立体組織および立体臓器作製技術に係る成形体の製造方法(特許登録)	製造技術の有効性の確認、立体組織製造方法を基盤として事業化の検討
磁気ナノ粒子による迅速診断法に係る反応促進装置及び反応促進方法(特許登録)	2019年度 欧州上市予定 2020年度 米国上市予定
認知症の早期診断に係る画像処理プログラム(特許出願)	2020年上市予定
人工知能による術中教示システム(特許出願)	2022年上市予定
連続呼吸音モニタリングシステム(特許出願)	2022年上市予定
低侵襲・高解像度がん診断装置に係る画像処理方法及び画像処理プログラム(特許出願)	2023年度上市予定

③ 平成30年度に行われた特許申請・登録等(例) 3/6

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プロジェクト	
発達障がい診断システム(特許出願)	2023年上市予定
内視鏡外科手術における暗黙知のデータベース構築(特許出願)	2019年度「先進的医療機器・システム等技術開発事業」に申請し、研究開発の促進・事業化を推進する予定
精神症状の評価デバイス(特許出願)	2023年上市予定
機能的な立体臓器作製技術(特許出願)	2022年上市予定
量子線手術における診断支援システム(特許出願)	2023年上市予定
気泡噴出方法、気泡噴出用電源装置、および、気泡噴出装置(特許出願)	2024年上市予定(眼科治療機器)
てんかん発作予測装置、心電指標データの分析方法、発作予測コンピュー(特許出願)	2022年上市予定(てんかん予測)
多相ポリマー微粒子を用いた検体物質の検出方法	2020年上市予定(診断機器)
アルドステロン及びレニンの検出方法(特許出願)	2020年上市予定(診断機器)
3次元組織内のグルコース濃度マッピングのための蛍光マイクロ粒子(特許出願)	2023年上市予定(診断機器)
リンカー化合物、ダイヤモンド電極、装置、病原体又はタンパク質の検出方法、及びダイヤモンド電極の製造方法(特許出願)	2023年上市予定(ウイルス検査)
線量分布予測システム、線量分布予測方法及び線量分布予測プログラム(特許出願)	2021年上市予定(粒子線機器)

③ 平成30年度に行われた特許申請・登録等(例) 4/6

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト	
結核菌遺伝系統特異的に結核症発症のリスクを判定する方法に関する特許出願	バイオインフォマティクス情報解析基盤構築と、多因子疾患の新規遺伝因子の探索など
パーキンソン病におけるdabrafenib の神経保護効果に関する特許出願	得られた薬剤候補の検証など。
良性成人型家族性ミオクローヌステんかんの診断法に関する特許出願	医療実装
融合遺伝子及び／又はエクソスキッピングにより生ずる転写産物を検出するためのプローブ及び方法に関する特許出願	医療実装
B型肝炎の慢性化の素因の検出方法に関する特許出願	医療実装
HLA遺伝子のPCRプライマーセット及びそれを用いたシーケンス法に関する特許出願	医療実装

③ 平成30年度に行われた特許申請・登録等(例) 5/6

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
<p>ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト</p>	
<p>CD116陽性骨髄性腫瘍を標的とした非ウイルス遺伝子改変キメラ抗原受容体T細胞の非臨床試験</p>	<p>医師主導治験開始を目標として非臨床試験を行う。</p>
<p>革新的がん遺伝子機能解析法によるプレジジョンメディシンの実現</p>	<p>遺伝子変異の網羅的機能評価を行う。</p>
<p>蛍光分子イメージングにより実現する革新的がん可視化画像診断技術の開発</p>	<p>蛍光分子を用いて動物実験、臨床研究を行う。</p>
<p>染色体反復配列を標的とした革新的がん治療法の開発</p>	<p>非臨床試験に向けた検討を進める。</p>
<p>PD-1シグナル阻害剤の併用療法の開発</p>	<p>他大学と共同で医師主導治験に進めている。</p>
<p>超高感度尿中微量蛋白質解析技術を用いたがん早期診断マーカーの開発</p>	<p>多施設での検証を実施する。</p>
<p>脳とこころの健康大国実現プロジェクト</p>	
<p>精神障害患者の客観的睡眠評価方法</p>	<p>精神障害における睡眠評価、睡眠スクリーニング評価にも応用可能</p>
<p>新興再興感染症制御プロジェクト</p>	
<p>マラリア治療薬開発に係る特許を申請(2018年11月)</p>	<p>新たな感染症制御法開発を進める。</p>

③ 平成30年度に行われた特許申請・登録等(例) 6/6

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	
肺高血圧症の予防又は治療に関する国内国際特許8件を出願	致死性疾患肺高血圧症の全く新しい病因蛋白に着目した治療薬開発
低容量抗CCR4抗体を用いたHTLV-I関連脊髄症の予防又は治療剤に関する特許取得	HAMI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
発声障害治療具及び発声障害治療セットに関する国際特許出願	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
単一のAAVベクターによるゲノム編集を用いた遺伝子治療に関する特許出願	神経筋疾患の原因究明および革新的治療法開発に関する研究
SMNタンパク質の核内構造体の発現解析方法に関する国際特許2件を出願	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
神経筋接合部形成促進薬に関する国際特許1件を出願	神経筋接合部・骨格筋の興奮伝達障害の病態解明と治療法開発研究
内耳細胞の製造法に関する特許出願	GJB2変異難聴患者由来iPS細胞によるギャップ結合複合体崩壊を指標とした遺伝性難聴の病態解明と治療研究
シナプス形成増強剤及び神経変性疾患治療剤に関する特許出願	難治性神経変性疾患に対する神経シナプス形成を促進させるマイクロRNAの補充による新規治療法の開発と確立

1. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト

(1) 平成30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・関係機関が連携した「創薬支援ネットワーク」において、創薬研究の推進に資する貴重な民間リソースやARO機能などを有機的に結びつけた「創薬支援推進ユニット」を有効に活用し、基礎から実用化までの切れ目のない支援を推進した。他にも、創薬等ライフサイエンス支援基盤事業において累積1,465件の支援実施、クライオ電子顕微鏡ネットワークの本格稼働などにより、平成30年度だけで82件（創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業：37件、革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業：16件など）の企業導出、22件の創薬ターゲットの同定などを達成した。

(2) 具体的事例

平成29年7月にAMED組織改編により創薬戦略部を立ち上げ、従来の創薬支援ネットワークに加え、創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業、遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業などの創薬基盤研究を一体的に進めることを通じ以下の成果を達成した。

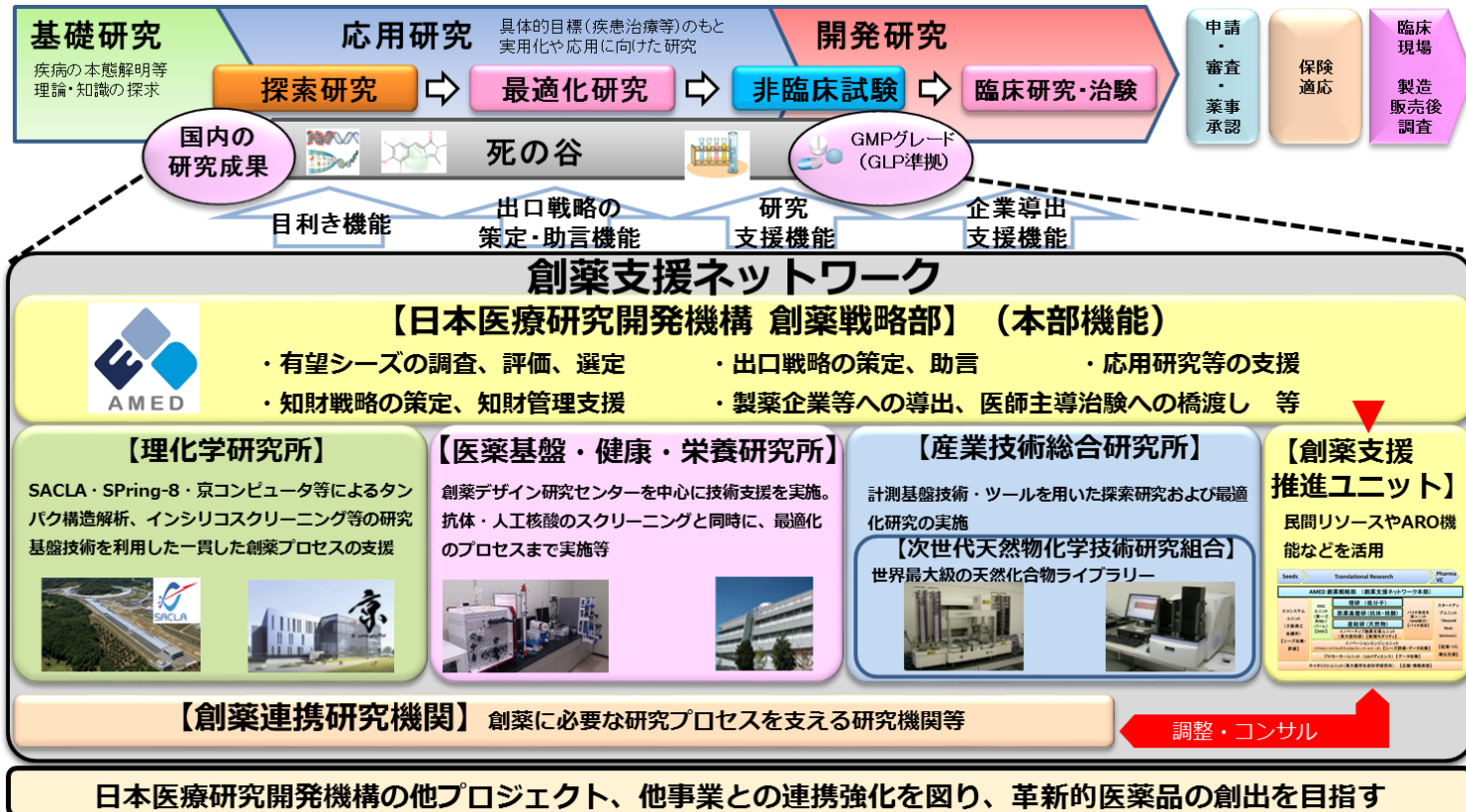
- ① 創薬研究の相談窓口（創薬ナビ）：創薬エキスパートがアカデミア研究者に創薬上のポイントを幅広くアドバイスすることにより、アカデミア研究者の創薬研究に関する理解を促進した。192件の相談を実施した。
- ② 企業目線を踏まえた目利き：創薬エキスパートが「創薬コンセプトの妥当性」、「アンメットメディカルニーズ充足性」、「先行技術検査」、「技術的実効性」、「潜在リスク分析」等の検証を行い、企業導出の可能性が高い創薬シーズを見極めた。1,376件の相談・シーズ評価を実施した。
- ③ 総合的な創薬支援（創薬ブースター）：アカデミア研究者が保有する創薬シーズに関して、研究開発計画の立案や応用研究を実施するなど、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117件の支援を実施した。
- ④ 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業では、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により、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。さらに、各地の研究機関に設置されている数少ないクライオ電子顕微鏡を結集し、アカデミアや企業における創薬等ライフサイエンス研究に活用できるように共用ネットワークを構築し、平成30年度から本格稼働した。ヒストンタンパク質によって折りたたまれた染色体構造中のDNAを読み取る姿（構造）をクライオ電顕を用いて世界で初めて解明する（Scienceに掲載）などの成果が創出された。

1. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト<参考>

「創薬支援ネットワーク」における平成30年度の成果

- これまでに、相談・シーズ評価を1,376件、有望シーズへ創薬支援を117件を実施し、導出を6件実現した。
 - 支援開発段階は標的実用化検証(66件)やスクリーニング(37件)といった早期段階のシーズが大半だが、リード最適化(9件)や非臨床開発(5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、他に感染症、循環器、精神・神経、難病・希少疾患等の支援も実施。
- 平成31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。



2. オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

(1) 平成30年度 of 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77の地域支援機関(自治体・商工会議所・公設試等)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. AMED事業における企業支援(文科省)

(実績例)

—AMEDが実施する医療分野研究成果展開事業等で採択されている研究課題に参画している企業(特にベンチャー企業)に対し、医療機器開発支援ネットワークの伴走コンサルを通じた、出口戦略のコンサルティングという形で支援を実施。その結果、ベンチャー企業と大企業が役割分担をしながら実用化を目指すモデルの構築に繋がった。

2. 医薬品医療機器総合機構(PMDA)レギュラトリーサイエンス(RS)総合相談の地域での実施(厚労省)

(実績例)

—愛知県、福岡県、福島県、北海道など、地方自治体等主催による出張RS総合相談(2017年4月に薬事戦略相談個別面談から改称)を実施。事業者等による薬事申請等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)

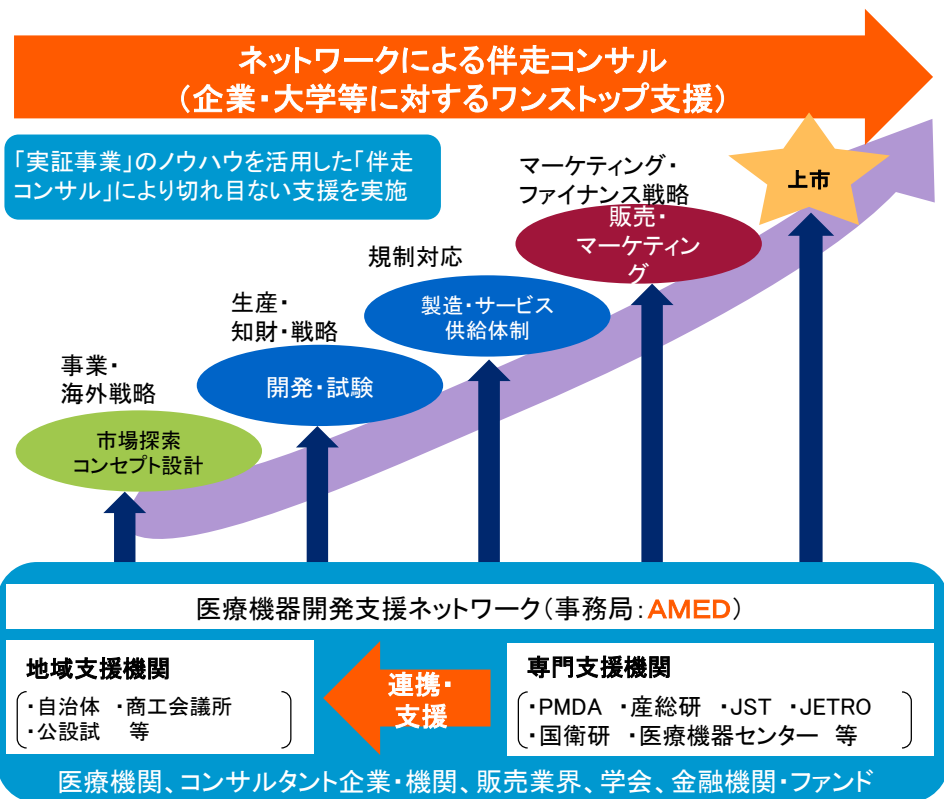
(実績例)

—新規参入を目指すベンチャー企業(電機・電子分野)から、規制対応の観点から開発計画の妥当性を評価して欲しいという相談があった。伴走コンサルにおいては現状の課題を再整理するとともに、マーケティング戦略の観点から助言を行った。結果として、開発計画を見直し、製品コンセプトの再検討を行うこととした。

2. オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト<参考>

「医療機器開発支援ネットワーク」における平成30年度の成果

- 相談件数は約1,540件と大きな反響。うち、伴走コンサル件数は約640件。
(異業種(化学・素材・光学・電機電子・自動車部品・製薬等)から相談。約3割は大企業。)
- 海外展開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開始。(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)



主な地域支援機関

【北海道・東北地区】

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

【近畿地区】

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

【中国地区】

- 鳥取県産業振興機構
- 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

【九州地区】

- 福岡県 ○佐賀県地域産業支援センター ○熊本県
- 大分県 ○宮崎県 ○鹿児島県 ○沖縄県産業振興公社

● 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) 2018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、PD・PS・POを中心に成果活用支援の請負業者等の協力も得ながら推進を行った。特に本プロジェクトは文部科学省事業及び厚生労働省事業の融合であることを鑑み、全体会議、拠点調査、成果報告会等についてAMEDにおいて一体的に管理、運営を行った。

(2) 具体的事例

- ・ 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、全体会議を開催した(2018年6月)。
- ・ 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臨床研究中核病院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、PD・PS・POが一体となって、両省が整備する13の全拠点に対して、サイトビジットによる拠点調査を行うとともに、シーズの進捗管理を実施した(2018年9月～11月)。
- ・ 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が医療イノベーション創出に向け更に飛躍することを目指し、実用化に至った成果を報告するとともに今後の展望について広く議論するため、成果報告会を開催した(2019年2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、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

4. 再生医療実現プロジェクト

(1) 平成30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、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30年9月に3省事業の事業実施者の研究交流会を開催するなど、事業実施者間の情報交換、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が実施され、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」において、産業化に向けた技術開発が加速された。

「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」に引き続いて支援している「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)では、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、10月には、第1例目となるヒトへ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。

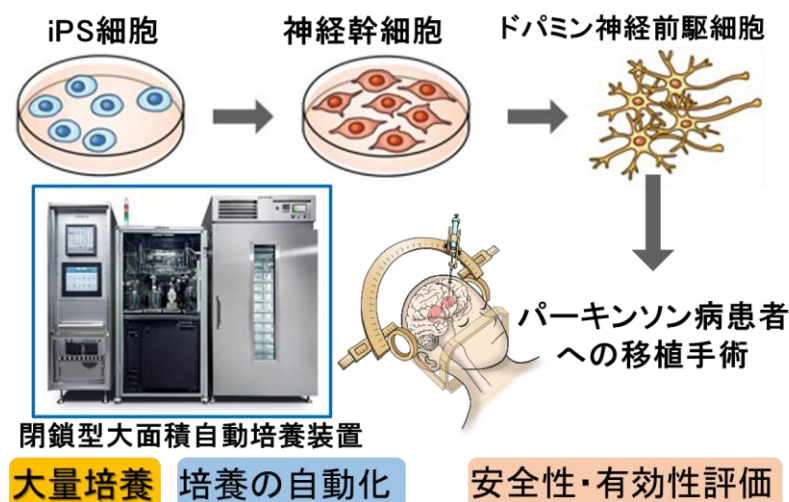
- ・ 文部科学省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」の成果について、厚生労働省「難治性疾患実用化研究事業」において、切れ目のない研究支援を実施。

「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。

4. 再生医療実現プロジェクト<参考>

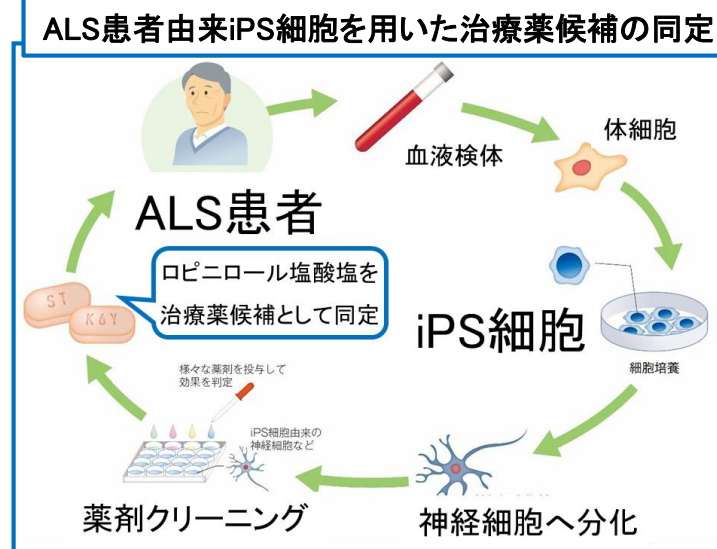
1. 製品化を見据えたiPS細胞を用いた医師主導治験を開始

- 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」に引き続いて支援している「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。
- 「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」では、高橋 淳 教授らとその樹立法を開発した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、同事業で研究開発したGCTP省令の適合に必要な機能を有した「閉鎖型大面積自動培養装置」が製品化に至った。



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

- 「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)。



5. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト

(1) 平成30年度 of 取組

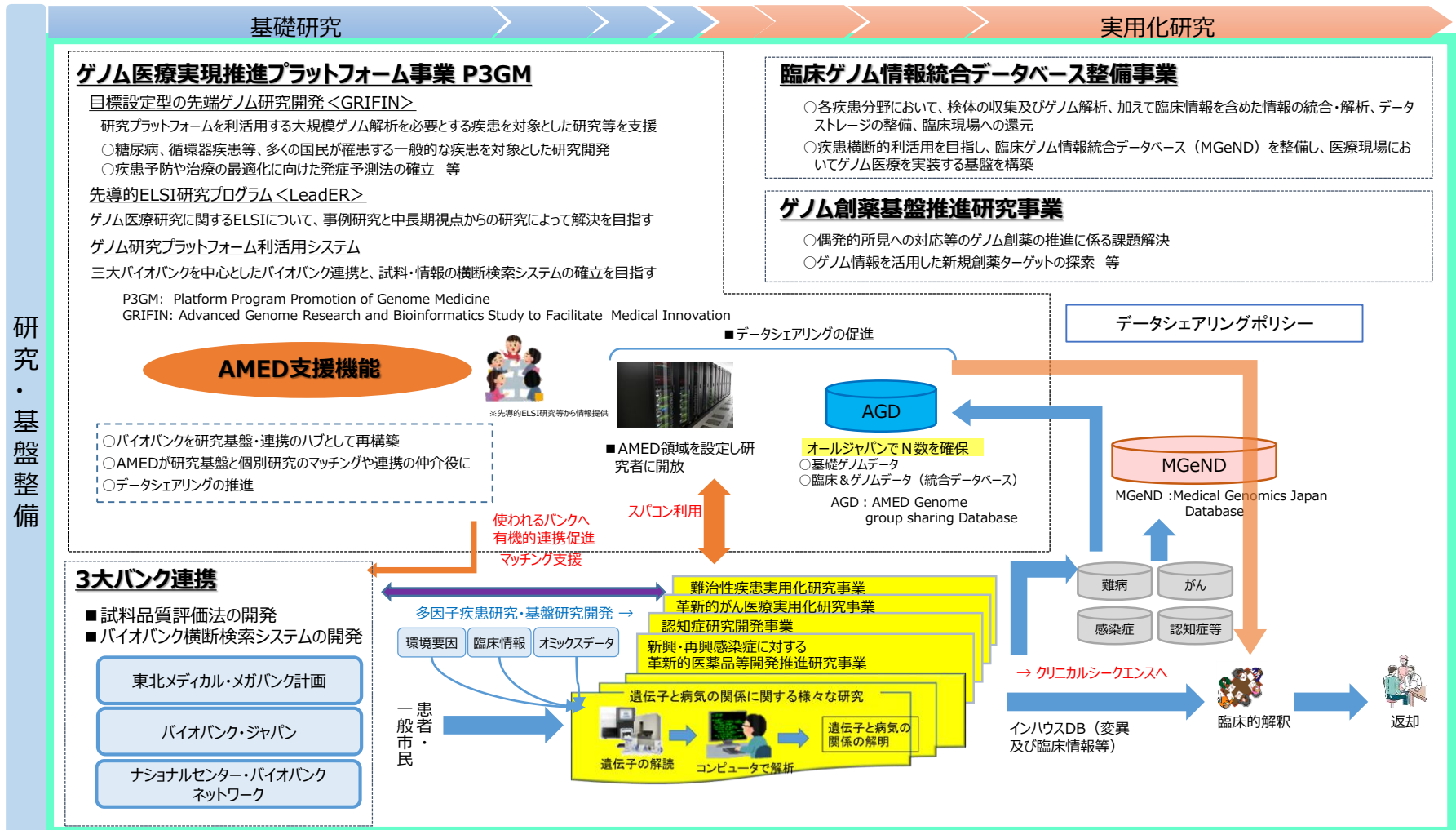
「ゲノム医療実現推進協議会」のもと、中間取りまとめにおいて位置付けられた各項目の進捗状況を平成29年度報告としてとりまとめるとともに、今後の課題について整理を行い、ゲノム医療の実現に向けて、関係省庁が一体となった連携体制の推進を図った。

(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及び平成29年度報告を踏まえて、文部科学省と厚生労働省の事業間の連携を強化するために、AMEDにゲノム医療研究支援機能を置き、基礎から実用化まで一体的な研究開発を行う体制を整備した。
- 1. 個別のゲノム医療研究とバイオバンクや電算資源等の研究基盤とのマッチングを図る活動を展開するとともに、ゲノム医療研究の効率的・効果的推進支援を目的に開設した情報ポータルサイトを通じた情報発信や、バイオバンクと研究者が一堂に会したバイオバンク連絡会によるコミュニティーのネットワーク形成を進めている。
- 2. 3大バイオバンクをはじめとする既存のバイオバンクの連携を図ることにより、試料・情報の利活用を促進する環境を整備し、オールジャパンのプラットフォームの構築を目指した「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)」を立ち上げ、国内のバイオバンクに保管されている試料・情報について検索できる3大バイオバンク横断検索システムによる運営を開始した。
- 3. 研究者間でのより早い段階からのデータ共有により研究推進を促進するため、JSTバイオサイエンスデータベースセンター(NBDC)および国立遺伝学研究所(DDBJ)の協力の下、ゲノムデータの制限共有が可能なデータベース「AGD(AMED Genome group sharing Database)」を運用するなどし、ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシーに基づいたデータ登録とデータ共有を進めている。
- 4. 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、計算資源の一部をAMED研究事業課題採択者に拡大して供用するなどのサービスをしている。
- 5. 臨床・研究双方に利用可能なデータシェアリングモデルを目指した「GEM Japan」プロジェクトを通じて、GA4GH(The Global Alliance for Genomics and Health)等とも歩調を合わせたゲノム情報の共有・公開を推進することとしている。

5. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト<参考>

- ゲノム医療実現推進協議会の中間とりまとめを踏まえて、文部科学省と厚生労働省の事業間の連携を強化するために、AMEDにゲノム医療研究支援機能を置き、基礎から実用化まで一体的な研究開発を行う体制を整備した。
- ゲノム医療研究支援機能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。



研究・基盤整備

6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

(1) 平成30年度の取組

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医療創生研究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的がん医療実用化研究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。

(2) 具体的事例

(代表課題例)

- 「固形がんに対するIL-7/CCL19産生型CAR-T細胞療法の研究開発」等、次世代がん医療創生研究事業の3課題を革新的がん医療実用化研究事業へ導出し、基礎から臨床までの研究推進に対するシームレスな支援を実施した。
- 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し、日本初のがん治療ウイルス薬の実用化に向けて製造販売承認申請に着手した。
- 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、固形がんに対して極めて高い治療効果を確認し、企業と協力し臨床試験の準備を開始した。

(その他の取組事例)

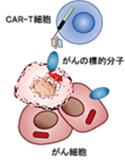
- 研究成果の企業導出を促進するため、次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業の研究課題紹介リーフレット集を作成し、製薬協等からの案内を通じて登録した数十社の企業関係者に配布し、要望に応じた個別面談サポートなど提携を促す環境を提供した。
- 全JCRP事業(文科省、厚労省、経産省事業)の5事業合同企画として市民向け成果発表会を開催し、PSPOなどの有識者が指揮をとりポスターを巡る「ポスターツアー」を実施するなど、がん研究をより身近に感じていただくことに成功した。(平成31年2月)
- 若手育成枠で採択されている研究者を中心に、異分野交流をテーマにした第4回AMEDがん若手研究者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。(平成31年1月)

6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト<参考1>

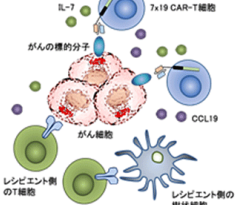
2. 固形がんに対して極めて治療効果の高い免疫機能調整型次世代キメラ抗原受容体発現T細胞「Prime CAR-T細胞」の開発

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

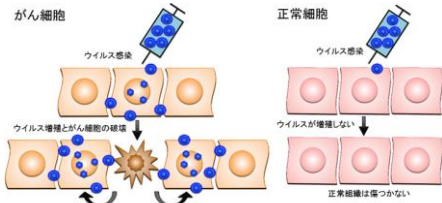


固形がんに対してT細胞や樹状細胞の浸潤が誘導され、強力ながん治療効果を発揮

- キメラ抗原受容体発現T細胞(CAR-T細胞)療法は、血液がんに着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細胞では効果の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。

1. 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



がん細胞だけに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、正常組織は傷つけない

- 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

がんの遺伝子変異に基づいた最適化治療法



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。

6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト〈参考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。

7. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト

(1) 平成30年度 of 取組

精神・神経疾患の克服を目指して、適切に文部科学省、厚生労働省の役割分担と連携を行い、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認知症の対策は喫緊の課題となっている。文部科学省、厚生労働省の事業間で役割分担と連携により、2020年までの認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立、及び日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始を目指す体制を強化した。バイオマーカーの探索では、これまでのコホート研究やレジストリ研究で集積した生体試料や情報を活用しつつ、新たな標的分子同定や測定法、診断技術の開発等の検証を継続する。
 - 文部科学省事業： モデル動物またはヒト試料を用いて病態や発症メカニズムの解明を目指した基礎研究を推進するとともに、革新的な診断法・治療法を指向し、脳画像の縦断的解析やシーズ探索研究、臨床データ等から有望視されている萌芽的な治療方法の実証的研究等を推進した。
 - 厚生労働省事業： バイオマーカー開発研究の推進のため、オレンジレジストリにおいて生体試料の回収システムの構築や複数施設でのシステム作動を検証するなど、サポート体制の構築を推進した。また、国内における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。

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年までに認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立、及び日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始を目指す研究開発を推進した。

「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

連携

「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

認知症の克服

うつ病等の克服

発達障害等の克服

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)

橋渡し
産学連携

診断法・治療薬候補の創出

診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立
認知症の疾患修飾薬候補の治験開始

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。

大規模臨床研究への
即応体制の構築

適時適切な医療・ケアを目指した、認知症の人等の全国的な情報登録・追跡を行う研究

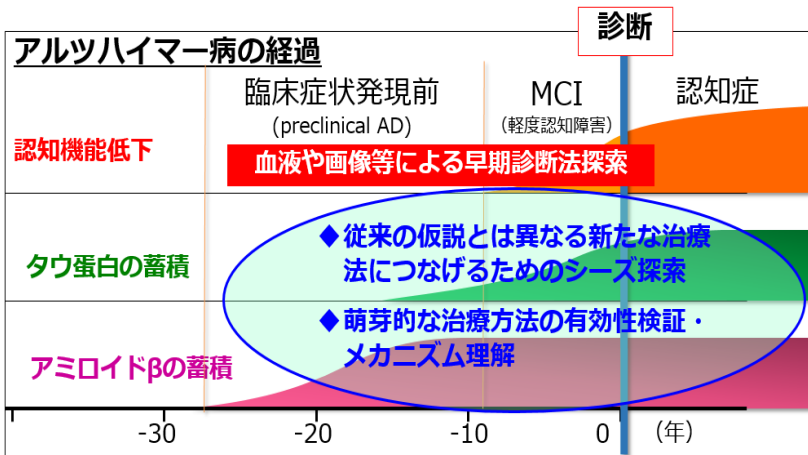
健康長寿社会の実現を目指した大規模認知症コホート研究

プレクリニカル期におけるアルツハイマー病に対する客観的画像診断・評価法の確立を目指す臨床研究

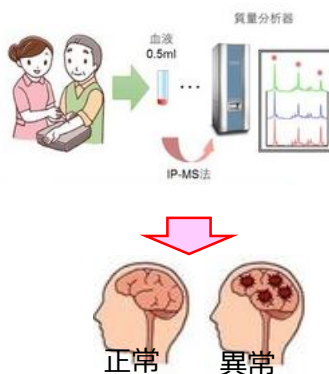
認知症疾患修飾薬の大規模臨床研究を効率的に推進するための支援体制と被験者コホートの構築に関する研究

治療法や介護モデル等の研究開発は継続

早期診断法・治療法候補の創出



早期診断法の開発



認知症の人等の全国的な情報録・追跡システム (オレンジレジストリ) の本格稼働

データの利用・
解析・症例集積等



- ◆ 長期間にわたる前向き観察・介入研究
- ◆ 認知症予防のための健常人データの効率的な集積

8. 新興・再興感染症制御プロジェクト

(1) 平成30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の拡充により、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。

(2) 具体的事例

- ・ 4大重点疾患(インフルエンザ・デング熱・下痢症感染症・薬剤耐性菌)において、国立感染症研究所の研究者(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等)及び北海道大学・長崎大学・岡山大学・大阪大学の研究者(J-GRID)が研究開発代表者となって各病原体サンプル収集・解析・ゲノムデータ共用の拡充をさらに進めた。
- ・ 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た。
- ・ J-PRIDEにおいて異分野連携や斬新な発想を重視した若手研究者中心の課題を支援。合宿型合同班会議(平成30年6月)、第2回日英ワークショップ(平成31年1月)を開催した。
- ・ AMED、厚生労働省、文部科学省が連携して平成31年3月に国立感染症研究所において新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業・J-GRID・J-PRIDE合同シンポジウムを開催した。

8. 新興・再興感染症制御プロジェクト<参考>

1. 国内外の病原体に関する全ゲノムデータベースの拡充

- ・ 4大重点疾患(インフルエンザ・デング熱・下痢症感染症・薬剤耐性菌)において、国立感染症研究所の研究者(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等)及び北海道大学・長崎大学・岡山大学・大阪大学の研究者(J-GRID)が研究開発代表者となって各病原体サンプル収集・解析・ゲノムデータ共有の拡充をさらに進めた。
- ・ 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た。

DDBJ BioProject Search	
Project Detail : PRJDB6372	
Accession	PRJDB6372
Project type	Umbrella project
Project data type	
General info	
Project title	AMED CRE Consortium: Carbapenem-resistant Enterobacteriaceae in Asia
Project Description	Carbapenem-resistant Enterobacteriaceae (CRE) are spreading throughout the world. The resistant organisms are already endemic in many Asian countries. Through support from AMED, we sequenced the genomes of CRE isolated in Asian countries, providing the basis for understanding the epidemiology of CRE and their resistance mechanisms. This information may contribute to the establishment of preventive measures, and to the development of novel drugs and detection/diagnostic systems for CRE infections.
Release date	2017-09-14
Relevance	Other
Relevance description	Medical and Environmental
External Link 1	
URL	https://www.amed.go.jp/en/
Description	Japan Agency for Medical Research and Development (AMED)

2. 第2回日英ワークショップを東京で開催、新たな日英共同研究の開始や既存の共同研究発展の可能性を探った。

概要

- ・ 在京英国大使館の協力による、AMEDとMRCの共催。
- ・ 日本(J-PRIDE)側から12名、英国側から12名の感染症研究者が参加。
- ・ 2017年12月に英国で行われた第1回ワークショップに続く2回目の開催。
- ・ 2019年1月の安倍首相訪英後の日英共同声明に、「2017年に署名されたMOCに基づく国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)と英国医学研究会議(MRC)の間の協力並びに特に2019年に開始された感染症及び再生医療分野に関する協働を歓迎する。」との文言が盛り込まれた。



3. 新興・再興感染症制御プロジェクト 新興再興事業・J-GRID・J-PRIDE 合同シンポジウムの開催

概要

- ・ AMED、厚生労働省、文部科学省が連携して平成31年3月に国立感染症研究所において、新興再興感染症事業に対する革新的医薬品等開発推進研究事業(新興再興事業)・感染症研究国際展開戦略プログラムJ-GRID・感染症研究革新イニシアティブJ-PRIDEの合同シンポジウムを開催し、各研究代表者や若手研究者を含めて約100人が参加した。
- ・ 新興・再興感染症制御プロジェクトで推進している研究のうち、寄生虫・原虫感染症、HTLV-1、結核・非結核性抗酸菌、人畜共通感染症に関するテーマ演題を設定し、各課題責任者を中心とした発表・質疑応答を行いプロジェクト全体の連携を確認した。

新興再興感染症制御プロジェクト 新興再興事業・J-GRID・J-PRIDE 合同シンポジウム

感染症研究連携のフロンティア

日時：平成31年3月18日(月) 13:00-18:15
場所：国立感染症研究所 戸山庁舎 共用第一会議室
定員：120名(参加費無料)

開会挨拶 13:00-13:10
AMED 野村 達男、文部科学省 高城 亮、厚生労働省 井口 豪

事業紹介 13:10-13:20
J-GRID、J-PRIDE、感染症実用化研究事業 神田 忠仁(AMED)

寄生虫・原虫感染症 13:20-14:20 座長：久枝 一(国立感染症研究所)

- ・トキシプラズマの寄生虫学から導かれた新たな創薬ターゲット 山本 雅裕(大阪大学)
- ・薬剤耐性マラリア原虫に関する研究 岩永 史朗(東京医科歯科大学)
- ・赤痢アヌーバ(食肉販賣代理)の特殊性 見市 文彦(佐賀大学)

9. 難病克服プロジェクト

(1) 平成30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。遺伝子治療の研究開発促進を目的として、新規に立ち上げられた創薬戦略部による「遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業」と連携し、新規にPO委嘱、評価委員会の体制を整備した上で、新規シーズ探索の公募を実施した。

(2) 具体的事例

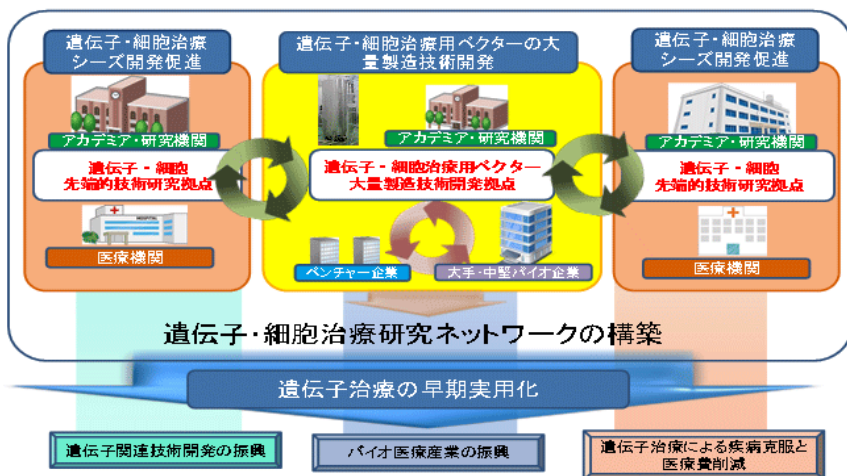
- ・ 難治性疾患実用化研究事業において、ヒアリングやサイトビジットを実施して開発案件の進捗状況を把握するとともに、必要に応じて開発体制への懸念事項を指摘し改善を促した。
- ・ 特許面で明確な根拠を有し、企業との提携を求める「医薬品候補」開発を目指しているものについて、知的財産部が主導する平成28年度開催マッチングイベントへの参加に加わるべく調整を行った。

難治性疾患に対する遺伝子治療製品の研究開発の推進

- 遺伝子・細胞治療は、明確な原因遺伝子介入により、様々な疾患で根本治療となり、高い奏効率が期待される新しいモダリティの一つ。
- 最近、がん領域を含み欧米では相次いで遺伝子治療薬が実用化されている。
- 第7回ゲノム医療実現推進に関するアドバイザリーボードにおいて取りまとめられた「遺伝子治療の研究開発の推進について」においても、難病・希少疾患、がんについて、遺伝子治療の研究開発の重点的な支援が必要とされている。
- AMEDでは、「遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業」に係る公募を通じて、ベクター製造技術の開発・技術基盤の整備を行うと共に、これら技術を活用することを視野に入れた難病・希少疾患の治療法開発に関する研究を推進する。

経産省PJ

遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業



1. 希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究 難治性疾患に対する遺伝子治療製品の研究開発の推進（ステップ0）

厚労省PJ

研究開発課題名	代表機関	研究開発代表者
ファブリー病および拡張型心筋症に対する心臓標的AAVベクターによる遺伝子治療法の開発	大阪大学	朝野 仁裕
STAT3変異高IgE症候群に対する新規遺伝子治療法の開発	国立成育医療研究センター	小野寺 雅史
内耳遺伝子治療法による遺伝性難聴の根本的治療法の開発	順天堂大学	神谷 和作
重症劣性栄養障害型表皮水疱症に対する非侵襲性かつ高効率な間葉系幹細胞遺伝子治療法の開発	大阪大学	玉井 克人
新規AAVベクターによる肝臓をターゲットにした先天代謝異常症の遺伝子治療開発	自治医科大学	村松 一洋