

# 次期医療分野研究開発推進計画について

## 1. これまでの課題について

## 2. 次期プロジェクトの検討状況

### 1) エビデンス

- ① アンケート調査
- ② 論文分布調査
- ③ JST 研究開発戦略センター報告書

### 2) 次期プロジェクト(案)

## 3. 疾患取りまとめ

### 1) DALYsによる2040年度推計

### 2) 疾患取りまとめ

## 4. 今後の予定

# 1. これまでの課題について

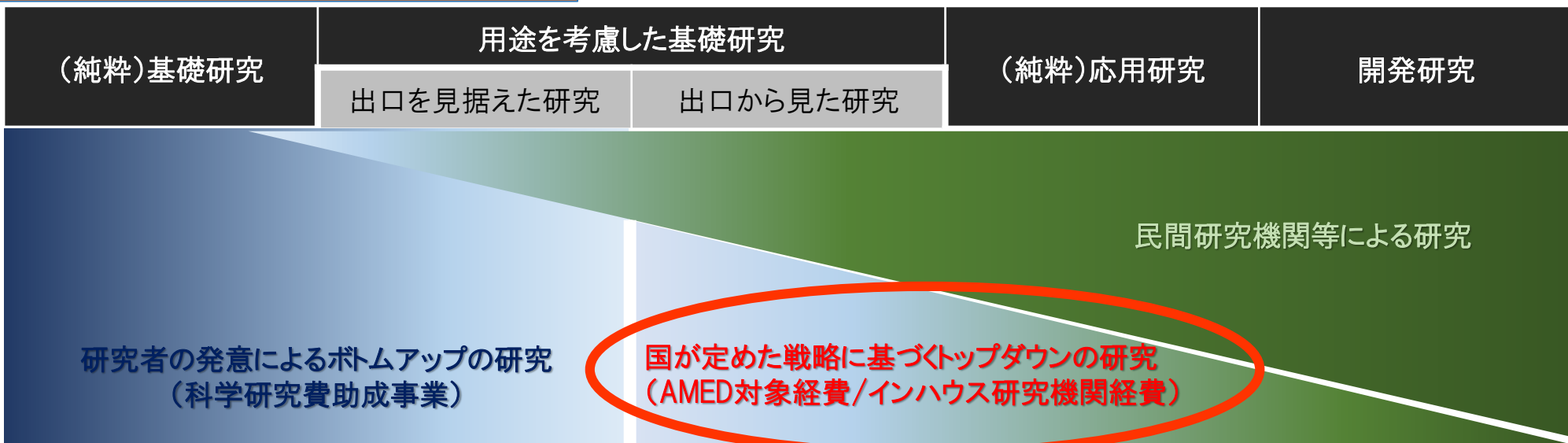
# 健康・医療戦略等に基づく医療分野の研究開発の構造

## 健康・医療戦略推進本部の下で推進する医療分野の研究開発の内容

「世界最高水準の医療」の提供に資する医療分野の研究開発並びにその環境の整備及び成果の普及（健康・医療戦略推進法第1条抜粋）

「先端的な科学技術を用いた医療」 「革新的な医薬品等を用いた医療」 「その他の世界最高水準の技術を用いた医療」

## 我が国の医療分野研究開発予算の構造



用語	定義
（純粋）基礎研究	特別な応用、用途を直接に考慮することなく、仮説や理論を形成するため、又は現象や観察可能な事実に関して新しい知識を得るために行われる理論的又は実験的研究
用途を考慮した基礎研究	根本原理の追求と社会的・経済的価値の創造の追求が表裏一体となった基礎研究
出口を見据えた研究	研究者が主体となり、研究の進展等により実現しうる未来社会の姿を見据えて実施される研究
出口から見た研究	プログラム・マネージャー（PM）やプログラム・ディレクター（PD）が主体となって、現在直面する具体的課題の解決を目的とし、新たな「知」の創造に加え、目的に応じた既存の「知」の動員も含めた研究
（純粋）応用研究	基礎研究によって発見された知識を利用して、特定の目標を定めて実用化の可能性を確かめる研究や、既に実用化されている方法に関して、新たな応用方法を探索する研究
開発研究	基礎研究、応用研究及び実際の経験から得た知識の利用であり、新しい材料、装置、製品、システム、工程等の導入又は既存のこれらのものの改良をねらいとする研究

# 平成31年度 医療分野の研究開発関連予算のポイント

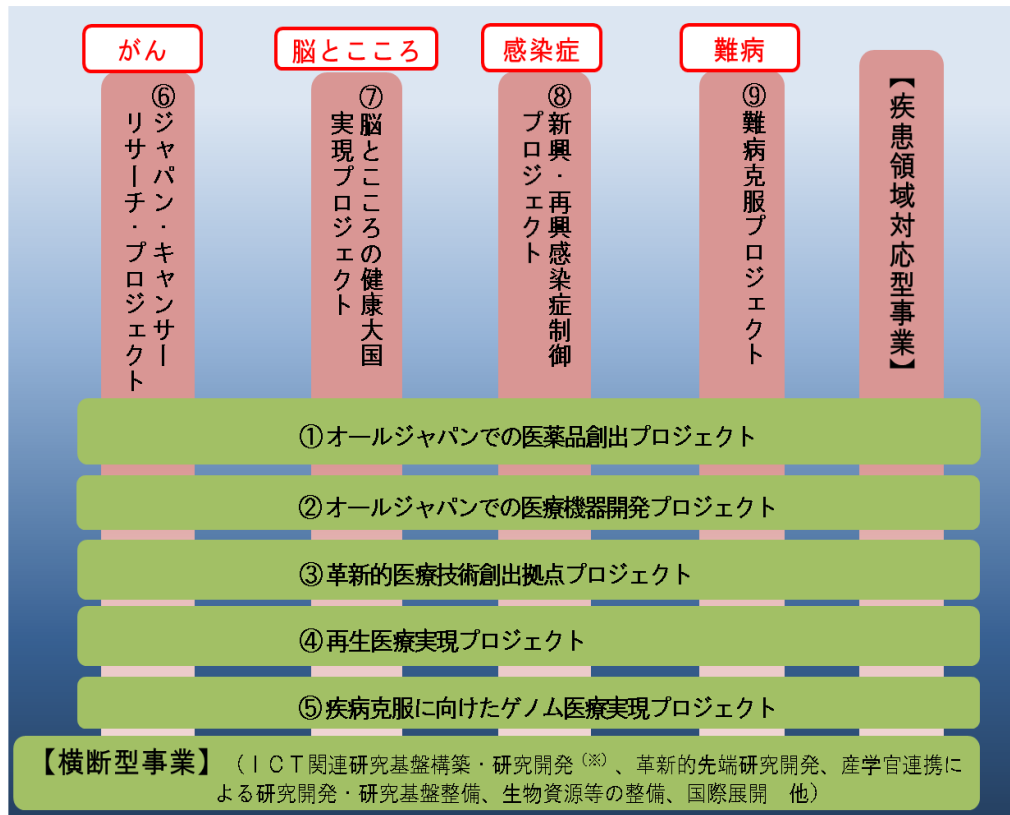
## 1. 横断型統合プロジェクト

- ① オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト 265億円<AMED214億円、インハウス51億円>
  - 革新的医薬品創出に向けた研究開発の充実を図るとともに、創薬標的やモダリティの多様化に対応するための開発環境等を整備する。
- ② オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト 124億円<AMED>(一部再掲)
  - 競争力を有する世界最先端の革新的医療機器の開発・事業化を推進するとともに、医療機器開発の企業人材育成等も着実に推進する。
- ③ 革新的医療技術創出拠点プロジェクト 89億円<AMED>
  - 医療法に基づく臨床研究中核病院、橋渡し研究支援拠点を活用し、革新的な医薬品等の開発や人材育成を推進。
- ④ 再生医療実現プロジェクト 147億円<AMED>(一部再掲)
  - 安全性確保に向けた研究開発、臨床研究・治験の活性化、臨床品質の細胞ストックの整備、iPS細胞等を活用した創薬研究等を実施し、企業等による製品化を支援し、実用化を促進する。
- ⑤ 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト 116億円<AMED98億円、インハウス18億円>(一部再掲)
  - ゲノム医療実現推進協議会の方針に基づいた取組を推進する。

## 2. 疾患領域対応型統合プロジェクト

- ⑥ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト 163億円<AMED>(一部再掲)
  - 医療分野研究開発推進計画の下、「がん研究10か年戦略」に基づき、基礎研究から実用化まで一体的に推進し、患者や社会のニーズに合ったがん研究を推進する。
- ⑦ 脳とこころの健康大国実現プロジェクト 90億円<AMED>(一部再掲)
  - 国内外の連携やコホートを活用し、精神・神経疾患の克服に資する研究開発を推進する。
- ⑧ 新興・再興感染症制御プロジェクト 74億円<AMED57億円、インハウス17億円>(一部再掲)
  - エボラ出血熱等の一類感染症等に関する研究を含む新たな診断薬、治療薬及びワクチンの開発等に資する研究を推進する。
- ⑨ 難病克服プロジェクト 126億円<AMED>(一部再掲)
  - 希少難治性疾患領域の克服にむけて、既知の難病における治験(ステップ2)や治験準備(ステップ1)など治療法開発を目指す研究課題を推進する。画期的な臨床効果が期待できる遺伝子治療等の開発を目指す研究課題を、特に重点的に推進する。

# これまでの統合プロジェクトに関する課題



【疾患領域対応型統合プロジェクト】

疾患別PJ

共

通

- 社会的課題である認知症や糖尿病・循環器疾患等の慢性疾患が立てられていない等、疾患領域PJ設置根拠が明確ではないのではないか。

- 同一PJの構成省庁において、継続的かつ統一的なエビデンスに基づいた戦略的かつ効果的な予算配分を目指してはどうか。
- 同種の研究課題が複数のPJに散見・重複する等、PJ名と実質的予算配分の乖離を見直せないか。
- 「予防/診断/治療/予後・QOL」といった開発目的別の技術アプローチが必要ではないか。

## 横断的PJ

- データの基盤構築・利活用、ゲノム・遺伝子医療、中・高分子医薬やDDS等、特定の疾患に分断されることなく開発を推進すべきではないか。

# 健康・医療戦略における目標からみた新たなアプローチへの転換

未来

世界に先駆けて超高齢社会を迎える我が国にあって、課題解決先進国として、健康長寿社会の形成に向け、世界最先端の医療技術・サービスを実現し、健康寿命(健康上の問題で日常生活が制限されることなく生活できる期間)を更に伸ばす

## C. 疾患領域

- ①がん、②生活習慣病(循環器、糖尿病等)、③精神・神経疾患、④老年医学・認知症、⑤成育、⑥難病 ⑦感染症(AMR含む) 等

## B. モタリティ領域

- ①医薬品、②医療機器・ヘルスケア、③再生・細胞医療、遺伝子治療、④ゲノム・データ基盤、⑤研究開発基礎基盤

## A. 開発目的

### 健康増進・予防

- (例)
- コホート研究による疾患発症機序の解明と予防
  - ビッグデータ利活用
  - 認知症発症の発症機序の解明と予防 等

### 診断

- (例)
- 遺伝子解析等による個別化診断 等

### 治療・介入

- (例)
- 革新的医薬品等開発
  - 医療機器等開発(リハビリ含む)
  - 細胞・遺伝子・再生医療 等

### 老化、予後、QOL改善

- (例)
- 介護・生活支援ロボット
  - BMI技術、IT技術開発
  - 感覚器疾患治療・補助療法
  - 緩和医療・ケア 等

民間企業の参入・市場創出

現状

①平均寿命の延伸

②平均寿命と健康寿命の差の縮小

平均寿命

80.98

健康寿命

72.14

8.84年

## 2. 次期プロジェクトの検討状況

### 1) エビデンス

- ① アンケート調査
- ② 論文分布調査
- ③ JST 研究開発戦略センター報告書

### 2) 次期プロジェクト(案)





## 2-1) エビデンス

### ① アンケート調査(2)

#### 目的

2030～2040年頃の人口動態を踏まえた医療実用を想定し、研究開発を推進した結果、こういった先端技術（以下、モダリティ等）がいずれの疾患研究へ貢献し得るかについて関係性を把握する。

#### 方法

2018年9月から10月にかけて下記の学術・民間の各セクターを対象に我が国の健康寿命に貢献すると考えられる技術領域、そのうち特に我が国が強い（他国と比較して科学的知見が高い、技術的に優れている等）技術領域についてアンケートを実施。

#### 対象

学術、民間の各セクターに区分される下記団体、業界等を対象に実施し、回答を得た。

- ・ 日本医学会連合加盟学会 (129学会中69学会\*より回答)
- ・ 日本製薬工業協会 (会長・副会長会社等8社より回答)
- ・ 一般社団法人 日本医療機器産業連合会 (連合会として1回答)
- ・ 一般社団法人 再生医療イノベーションフォーラム (フォーラムとして1回答)
- ・ 日本バイオテック協議会 (13社より回答)
- ・ ベンチャーキャピタル (2社より回答)
- ・ コンサルティングファーム (4社より回答)

#### 解析手法

1. 以下の手法により回答データを集計し、上位モダリティ等、およびその適用疾患の抽出を行った。
  - ・ 得られた回答をスコア換算して団体ごとに集計。
    - ✓ 医学会連合については専門分野等に鑑みグルーピングした上でスコア換算。
    - ✓ 日本バイオテック協議会とベンチャーキャピタルは、当該団体等の特質に鑑み「ベンチャー」として一回答に統合。
  - ・ 民間企業については、製薬協、医機連、FIRM、ベンチャーの平均値を集計。
  - ・ 学術団体と民間企業の比を1:1として各団体の集計を総計。  
(※コンサルティングファームの回答は、業種の特殊性に鑑み、参考情報として取り扱った。)
2. 上記集計結果を「全モダリティ等」「上位20モダリティ等の適用可能性疾患」を散布図にプロット  
(※回答が多岐にわたり評価が困難となることから、以下の集計結果では上位20モダリティ等に限定して表示した。)

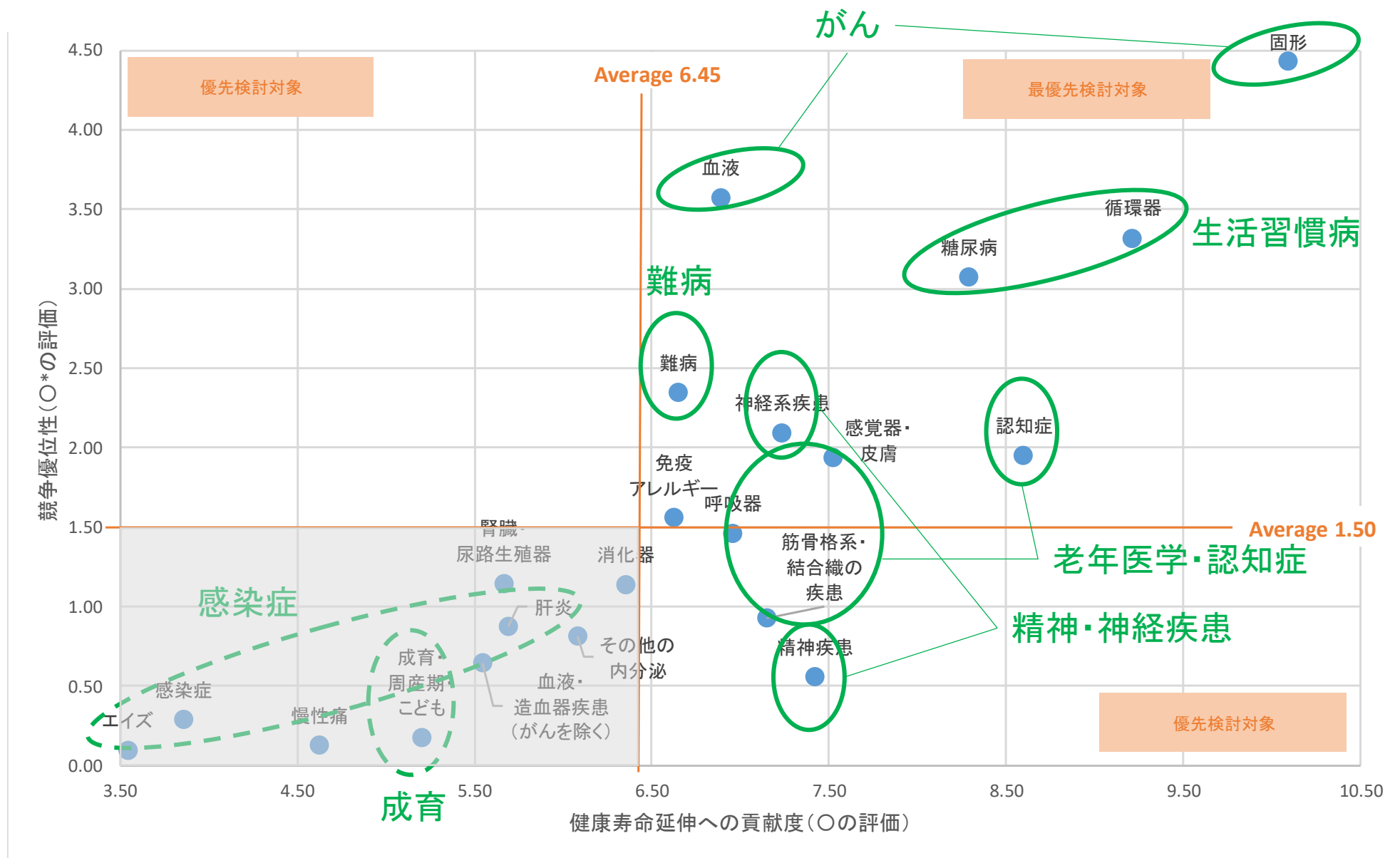
## 2-1) エビデンス

### ① アンケート調査結果(全団体集計)



## 2-1) エビデンス

### ① アンケート調査結果(全団体集計)



## 2-1) エビデンス

### ① アンケート調査結果(まとめ)

#### モダリティ等についてのアンケート調査結果等のまとめ

- プロジェクトとするモダリティ等（技術・手法）として、アンケート調査結果をもとに、次のような研究領域を抽出した。

着目視点	研究開発(技術・手法)領域
健康寿命延伸に貢献が大きく、かつ、わが国に強みがあるもの	再生医療、遺伝子治療、データ基盤、医薬品、医療機器・デジタルヘルス、細胞医療、ゲノム

## 2-1) エビデンス

### ② 論文分布調査

#### 目的

健康・医療分野の各研究領域における国内外の研究開発動向を把握するため、国際的に定評のある学術誌を対象に、わが国、主要国・地域、世界全体の各研究領域において近年出された論文数、優れた論文の状況を定量的に把握する。

#### 方法

疾患とモダリティ等の二つの方向の解析軸からUS NLMのMedical Subject Headings (MeSH)を参考に検索式を作成、これをもとに、PubMed とWeb of Science の二つのデータベースを照合しデータを収集。

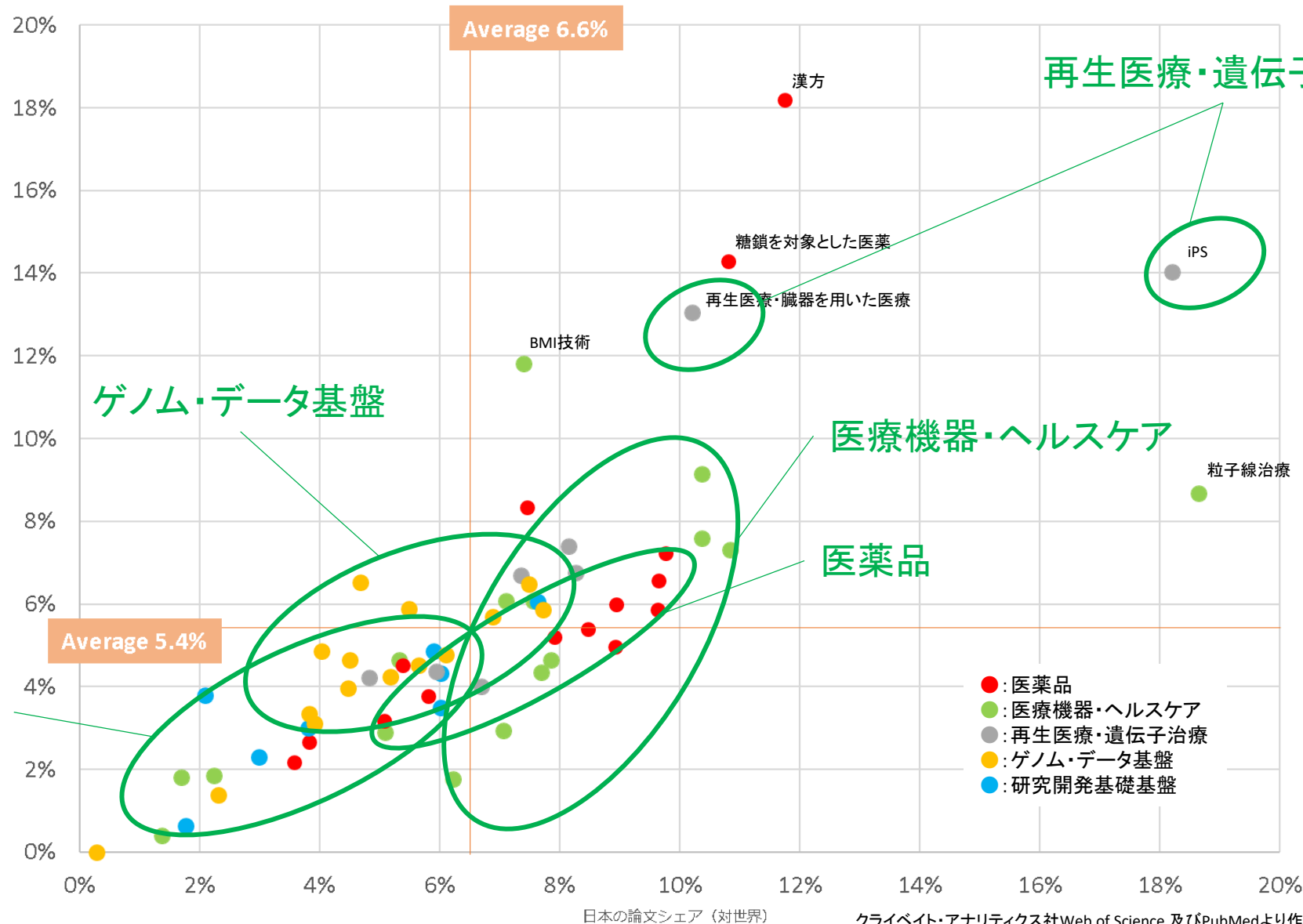
#### 対象

- ・ 2013～2017年に発表された論文について、
  - ✓ 各領域に分類される論文の集中や偏在、引用の集中や偏在、被引用数順位のtop10%論文の集計、直近2年間の論文増加量の集計
  - ✓ 日本、世界、米、欧、中について個別に調査

## 2-1) エビデンス

### ② 論文分布調査(日本の論文の世界の論文に対する比率)

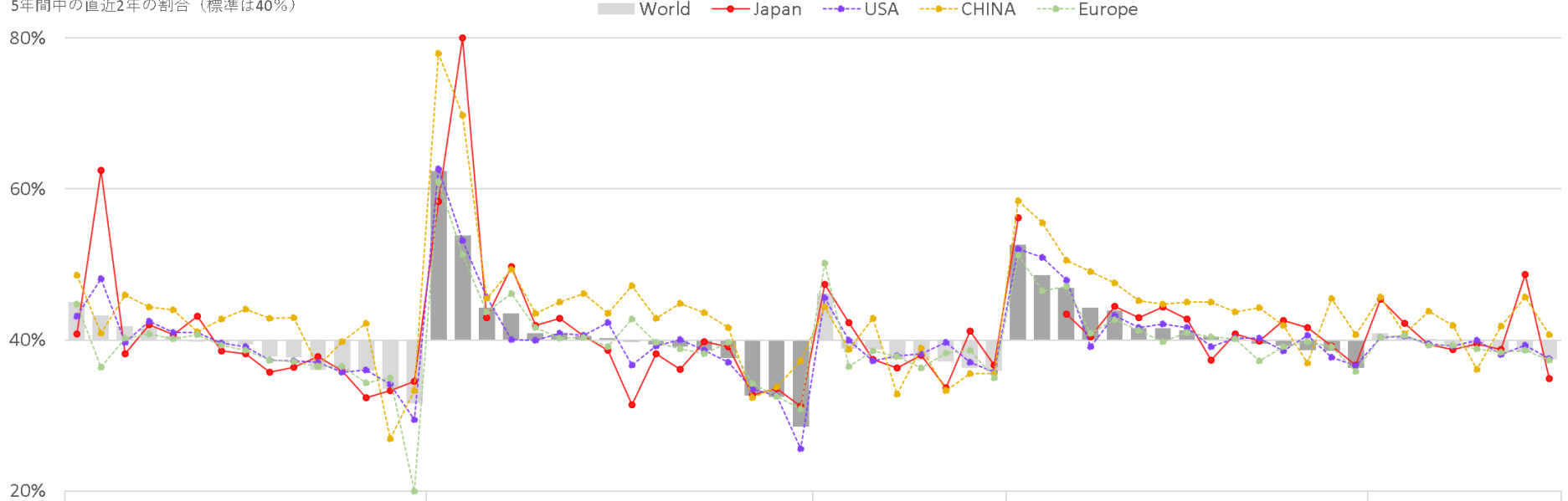
日本のTop10%論文シェア(対世界)



# 2-1) エビデンス

## ② 論文分布調査(2016-17年の2013-17年に対する比率)

5年間の直近2年の割合 (標準は40%)



免疫細胞療法 糖鎖を対象とした医薬 DOST技術 その他中分子 (その他医薬品) 抗体類 予防ワクチン 低分子 ペプチド 蛋白質 治療ワクチン 核酸 緩和医療薬剤 サイトカイン療法 漢方 治療アププリ	ウェアラブルデバイス 遠隔医療機器 粒子線治療 CT/PET 人工臓器 MRI 放射線治療 BMI技術 内視鏡 IoTデバイス (電子デバイス) X-ray 医療機関用診断機器 (放射線等含む) 低侵襲 (カテーテル・内視鏡等) 治療 超音波検査	iPS KOs(RNA/miRNA) 幹細胞 過剰発現ウイルスベクター等 再生医療細胞の移植 (細胞カプセル等含む) KO(CRISPR等) 再生医療・臓器を用いた治療 その他遺伝子治療 マイクロバイオーム デバイスによるモニタリングデータ 核酸 (miRNAなど) メタボローム デバイスによるモニタリングデータ	コホート (データ) 医療情報のデータ収集 (画像含む) コホート トランスクリプトーム ゲノム・オミクス解析データの集積 コホート (前向き・縦断) エビジェネティクス コホート (データ) 医療情報のデータ収集 (画像含む) コホート トランスクリプトーム 核酸 (miRNAなど) メタボローム デバイスによるモニタリングデータ	リハビリ 行動変容・疾病予防 バイオマーカー・病勢評価・診断法・病型分類 規制科学 (レギュラトリーサイエンス) 死体・生体臓器移植 病態・メカニズム解明 ガイドライン・指針の作成、標準治療の確立のための研究 生体分子 (受容体等)
医薬品	医療機器・ヘルスケア	再生医療・遺伝子治療	ゲノム・データ基盤	研究開発基礎基盤



## 2-1) エビデンス

### ③ JST 研究開発戦略センター報告書 (1)

#### 目的

CRDS(研究開発戦略センター)が、研究開発戦略立案の基礎として、ライフサイエンス・臨床医学分野等主要な科学技術分野における研究開発の現状全体像を把握、主要国(日本、米国、欧州、中国、韓国)の国際比較、今後のあるべき方向性の展望を2007年以降、約2年ごとにとりまとめ。

#### 方法

当分野を俯瞰し、科学技術的な変動の大きさ、社会的ニーズ及びインパクトの大きさから以下の35の研究開発領域を抽出、約100名の有識者の協力を得て、各領域についてトレンド、トピックス、国際ベンチマークを調査

#### 対象

##### 健康・医療区分

1. 中分子医薬
2. 高分子医薬(抗体、核酸)
3. AI創薬・創薬インフォマティクス・インシリコ創薬
4. 遺伝子治療・細胞治療
5. 再生医療
6. オルガノイド・臓器チップ
7. 診断技術・バイオマーカー
8. 診断技術・がんゲノム医療
9. 生活習慣病  
(CKD、COPD、NASH)
10. 精神・神経疾患
11. 感染症  
(ワクチン・アジュバント・抗菌薬・抗ウイルス薬など)

##### 食料・農水産業、生物生産区分

1. 環境微生物学・合成生物学
2. 植物・農業
3. 水産
4. 畜産
5. 機能性物質・食品

##### 基礎基盤科学技術区分

###### ■ 分子・細胞

1. 遺伝子発現機構(エピゲノム・RNA)
2. ゲノム編集
3. ケミカルバイオロジー
4. 構造解析技術
5. オミクス(プロテオーム・メタボローム・多階層オミクス)
6. 一細胞解析、細胞系譜・地図技術
7. 細胞外微粒子・エクソソーム

###### ■ 組織(生理・恒常性)

1. 免疫科学
2. 時間科学(体内時計)
3. 老化科学
4. 微生物叢(マイクロバイオーム)
5. 感覚器科学
6. 脳・神経科学

###### ■ 分析・計測技術(医療機器)

1. 電子顕微鏡
2. 光学イメージング
3. 生体イメージング  
(MRI, PET/SPECT, NMR)
4. 生体分子計測技術
5. ヘルスケアIoT  
(バイオ計測、センサー・ウェアラブル)
6. 計測データ解析(AI)

## 2-1) エビデンス

### ③ JST 研究開発戦略センター報告書 (2)

(健康・医療関連を抜粋)

#### 1. 調査結果

##### 世界の研究開発政策の潮流

- ・ ゲノム医療、個別化・層別化医療  
ヘルス・メディカルインフォマティクス、AI医療、AI創薬
- ・ 創薬:がん免疫、中枢神経系、感染症  
大規模な官民パートナーシップによる産学協働型研究
- ・ 細胞治療・遺伝子治療
- ・ 脳神経研究(長期的研究)

##### 世界の技術トレンド: 直近2~3年の大きな技術・研究の変化・進展

- ・ 一細胞オミックス技術の隆盛と細胞社会・不均一性の理解や疾患の理解
- ・ クライオ電顕、超解像顕微鏡等イメージング技術の発展による各生体スケールの解像度の向上
- ・ ゲノム編集技術の精度の向上による医療への展開
- ・ AI・機械学習の生命科学、臨床への着実な浸透
- ・ 新しい創薬等アプローチの出現
- ・ 個別化・層別化医療、精密医療、ゲノム医療・創薬等社会・国民の理解が必要な研究開発の大きな潮流の継続

計測技術やAI・機械学習等をはじめとしたICT技術の急速な進展は、分野の研究のあり方や手法のパラダイムを変えつつある。自動化、大規模化という流れは今後も続いていく

##### 国際ベンチマーク(技術)からみた日本の位置づけ

###### 【日本が強みを有する領域(基礎研究)】

構造化学、細胞外微粒子、光学イメージング、核磁気イメージング、高分子医薬、幹細胞・再生医療、オルガノイド、免疫科学、脳神経科学、生活習慣病、精神・神経疾患

###### 【日本が強みを有する領域(応用研究)】

細胞外微粒子、高分子医薬、幹細胞・再生医療、精神・神経疾患

###### 【世界の潮流だが日本が後塵を拝する領域】

遺伝子・細胞治療、がんゲノム医療

#### 2. CRDSとしての考察

##### 今後の研究の方向性

【社会課題解決型、産業競争力強化型】

個別化・層別化医療

- “ヒト研究”および“データ研究”の戦略的な加速  
**ゲノム、データ基盤**
- 治療用デザイナー細胞(微生物)創出に向けた  
基盤技術開発と医療応用 **再生医療、遺伝子治療**

- 細胞(微生物)・植物による高付加価値物質生産

【サイエンスフロンティア型】

**医薬品**

多次元生命システムにおける時空間階層のブリッジング

- アトミックセルダイナミクス
- ライブセルアトラス
- 理論的・実験的(生物学的)アプローチの融合による  
脳の動作原理の理解

**(基礎研究の出口として) 医薬品、医療機器**

共通して、データ・情報統合型の研究が必要となってきた。数理・情報の研究者を巻き込み、各研究者からのデータ・情報を集約・統合するプラットフォーム(拠点化とネットワーク化の構築)を作り、モデリングをしていくことが必要。

**研究開発基礎基盤**

赤字は新PJとの関係を戦略室で記載

## 2-2) 次期プロジェクト(案)

- アンケート等の結果を踏まえ、新プロジェクトは、開発目的(予防、診断、治療、予後・QOL)毎の特性を生かした技術モダリティ等に基づく5領域(5プロジェクト)とし、その技術等をより効率的に疾患研究に応用・展開することとしたい。

### 調査等結果を踏まえたプロジェクト

1. 医薬品
2. 医療機器・ヘルスケア
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療
4. ゲノム・データ基盤

+

### 政策的に取り上げるプロジェクト

5. 研究開発基礎基盤

### 3. 疾患取りまとめ

- 1) DALYsによるわが国の2040年度推計
- 2) 疾患取りまとめ

## 3-1) DALYsによるわが国の2040年度推計調査 (1)

### 目的

保健政策立案や研究開発の優先順位決定には、死亡と障害の双方を考慮した包括的な健康指標※(DALY)が必要である。最新の疾病負荷研究データを用い、2040年における我が国の疾病負荷を推計する。

※ Disability Adjusted Life Years: 1990年にハーバード大学により開発され、今では世界保健機関(WHO)をはじめ、英国、米国、中国、インド、メキシコなど政府レベルでも政策への活用が行われている。

### 方法

- 最新の世界の疾病負荷研究(Global Burden of Disease: GBD2017)より、1990-2017年の我が国の疾患別DALYsのデータを使用
- 標準的な時系列解析手法であるARIMA(自己回帰和分移動平均)モデルを用いて、2040年までの将来の疾患別DALYsを予測した
- DALYsに影響しうる変数として、社会人口指数(socio-demographic index: 出生率・教育歴・所得の複合指数)、体格指数(BMI)、喫煙率、飲酒率を考慮した

DALYsの一般的な計算方法:

$DALY(\text{障害調整生命年}) = YLL(\text{早死損失年数}) + YLD(\text{障害共存年数})$  ※1DALY = 1年間の健康生活が失われること

$YLL(\text{Years of Life Lost}) = N(\text{死亡数}) \times L(\text{死亡時の平均余命})$

$YLD(\text{Years Lived with Disability}) = I(\text{有病人数}) \times DW(\text{障害ウェイト } 0\sim 1) \times L(\text{死亡までの平均余命})$

### 対象

GBD2017で対象とする全169疾患

### 3-1) DALYsによるわが国の2040年度推計調査 (2)

#### 169疾患別のDALYs上位20疾患, 2040年推計 (DALYは死亡と障害の両方を鑑みた包括指標)

	2040年	DALYs per 100,000人	2015年*からのDALYs rate 変化率 (不確実性の領域)	疾患の分類
慢性疾患	1 アルツハイマー病	3048.9	52.2 (47.4 to 56.7)	老年医学・認知症
	2 腰痛	2141.3	10.8 (-20.7 to 35.9)	老年医学・認知症
	3 虚血性心疾患	1951.8	29.4 (25.3 to 33.3)	生活習慣病
	4 脳卒中	1543.0	-7.7 (-20.3 to 4.8)	生活習慣病
	5 老人性難聴	1323.5	39.9 (17.6 to 57.7)	老年医学・認知症
	6 転倒	1179.7	26.7 (3.9 to 45.0)	傷害
	7 下部呼吸器感染症	1093.0	27.6 (23.3 to 31.3)	感染症
	8 糖尿病	919.2	35.7 (13.0 to 54.8)	生活習慣病
	9 うつ病	723.6	20.4 (-7.5 to 44.2)	精神・神経疾患
	10 気管支および肺のがん	675.0	-36.6 (-42.9 to -30.5)	がん
感染症	11 肝硬変	580.6	29.3 (22.6 to 35.7)	消化器
	12 口腔疾患	578.2	39.9 (8.0 to 63.0)	その他非感染症
	13 頸部痛	575.1	9.7 (-26.1 to 37.1)	老年医学・認知症
	14 大腸がん	552.8	-25.7 (-33.3 to -18.6)	がん
	15 視覚障害	512.7	33.8 (6.1 to 55.3)	老年医学・認知症
傷害	16 膀胱がん	500.6	18.7 (15.7 to 21.3)	がん
	17 頭痛	489.5	-17.1 (-74.1 to 24.2)	精神・神経疾患
	18 慢性腎臓病	475.2	-8.4 (-23.2 to 5.6)	生活習慣病
	19 新生児の障害	433.9	14.2 (-10.8 to 35.0)	成育
	20 慢性閉塞性肺疾患	425.4	-47.4 (-68.2 to -28.4)	呼吸器

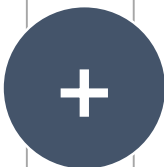
東京大学大学院 国際保健政策学教室 (論文未発表データを含む) \* GBD 2017. *Lancet* 2017; 392(10159): 1859-922.

### 3.ー2) 疾患とりまとめ

- プロジェクトと併せて、わが国において社会課題である疾患分野に係る研究開発の状況を把握する観点から、以下の7疾患について予算規模等を確認することとしたい。
- その際にも、モダリティ等のみならず、開発目的(予防、診断、治療、予後・QOL)を明確化することとしたい。

#### 調査等結果を踏まえた疾患

1. がん
2. 生活習慣病(循環器、糖尿病等)
3. 精神・神経疾患
4. 老年医学・認知症
5. 難病



#### 政策的に取り上げる疾患

6. 成育
7. 感染症 (AMR含む)

## 4. 今後の予定



## 4. 今後の予定

### 2019年

4月26日(金) 専門調査会

5月17日(金) 専門調査会

5月中 参与会合

5月～6月 健康・医療戦略推進本部  
(2020年度資源配分方針を決定)

秋頃～ 専門調査会、参与会合における検討

### 2020年

3月末まで 健康・医療戦略推進本部にて次期戦略・計画の決定

4月 次期戦略・計画開始