

令和元年度 医療分野研究開発の主な成果

令和2年6月19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)

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)	7
III. 特許申請・登録等	11
IV. 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施	15

<参考資料>

① 令和元年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例)	17
② 令和元年度に行われた承認申請・承認等(例)	27
③ 令和元年度に行われた特許申請・登録等(例)	29
④ 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施例	36

I. 臨床研究・治験への移行等①

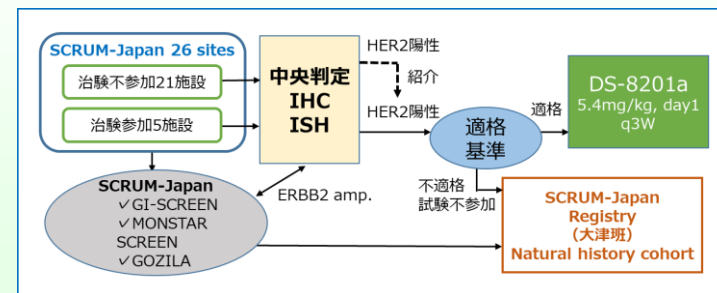
1. 産学連携全国がんゲノムスクリーニング(SCRUM-Japan)患者レジストリを活用した HER2陽性の切除不能または再発胆道癌に対する医師主導治験 (オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト)

(1) 概要

SCRUM-Japanによる消化器がんのゲノムスクリーニングシステム及びSCRUM-Japan患者レジストリの基盤を利用して希少フラクションであるHER2陽性胆道癌に対する医師主導治験を行う(JMA-IIA00423、資金:AMED、第一三共株式会社)。また、本研究内で得られたデータをSCRUM-Japan患者レジストリに還元することでHER2遺伝子増幅を有する胆道癌患者のヒストリカルデータを作成するとともに、レジストリデータのさらなる充実をはかる。現在までの成果として、平成30年12月に対面助言を実施、31年4月にIRB審査を終了、同月に治験計画届を提出し、多施設共同医師主導治験を開始した。(目標24-32症例)。

(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とともに、ヒストリカルデータを作成する。
- 令和3年度までに本治験を完了し、総括報告書の提出を行う。



2. 先天性心疾患患者における心・血管修復パッチの臨床試験 (オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

(1) 概要

平成31年2月に初回治験計画届の提出後、同年4月にIRB(Institutional Review Board/治験審査委員会)審査で治験実施の承認、令和元年5月に世界で初めてヒトへの埋植を実施した。同年9月に施設を追加し、前向き多施設共同単群試験を実施中。(目標30症例)。日本小児循環器学会で設置した治験プロジェクトチームが、症例のエントリー促進等を行い支援を実施中。

(2) 今後の予定

令和2年度内に本治験を完了し、先駆け総合評価相談を活用し、令和3年度に承認申請を行う。



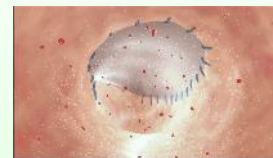
狭窄した肺動脈



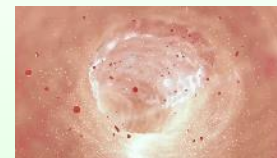
肺動脈を切開
手術例



パッチ(OFT-G1)
を補綴



手術直後の血管内



手術後数週間で
自己組織化
組織修復の想像図



体の成長に合わせた
パッチ部の伸長を期待

I. 臨床研究・治験への移行等②

3. 視線計測装置及び視線計測装置用診断プログラム(GF01)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 (オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

(1) 概要

自閉スペクトラム症(ASD)診断が疑われる被験者及び定型発達者(ASDを含む発達障害および精神神経疾患の診断がない者)に対して、視線計測装置及び視線計測装置用診断プログラム(GF01)を用いた診断評価を行い、ASD診断面接の結果と比較した診断能・安全性を確認するため、多施設共同医師主導治験を実施する。2019年5月より被験者の組み入れを開始。



視線計測装置及び視線計測装置用診断プログラム(GF01)

(2) 今後の予定

2021年2月: 治験終了
2021年11月: 企業導出

4. 三次元導管(Bio 3D Conduit)を用いた末梢神経再生法の開発 (革新的医療技術創出拠点プロジェクト)

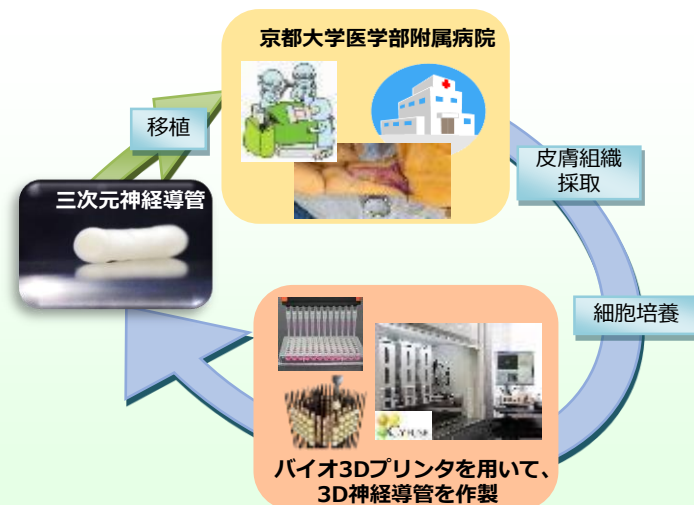
(1) 概要

自身の皮膚組織から細胞を単離・培養し、バイオ3Dプリンタにより三次元神経導管を作製、神経損傷部位に移植することで神経再生を促す新規再生医療等製品としての開発を目指している。

本製品により、現在行われている「自家神経移植」による神経採取部の知覚障害を残す等といった術後後遺症を避け、神経再生が可能となることが期待される。

(2) 今後の予定

2020年3月には、非臨床POC取得と治験届を提出し、2020年5月には医師主導治験開始する予定である。



I. 臨床研究・治験への移行等③

5. てんかん診断薬の多施設共同医師主導治験

(脳とこころの健康大国実現プロジェクト)

(1) 概要

- 脳機能を担うAMPA受容体を可視化する陽電子断層撮影(PET)用のトレーサーを開発し、てんかん患者の病巣にAMPA受容体の量が増加していることを見出した。
- てんかん診断薬候補として多施設共同で医師主導治験を開始。
- 精神・神経疾患の病態解明や、革新的な診断・治療法の開発が飛躍的に進むことが期待される。

(2) 今後の予定

令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定

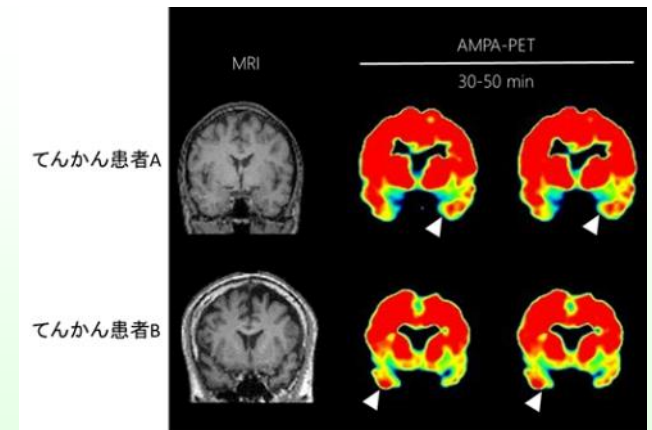


図: てんかん患者の病巣へのAMPA受容体の集積

6. 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ワクチンについて治験審査委員会(IRB)の承認を得た。目標登録被験者数は6例、治験実施期間は2019年4月～2021年3月。1例目の被験者に対し11月にワクチン接種を開始した。

(2) 今後の予定

1例目の安全性・忍容性の評価、予備的有効性評価としてこの抗結核効果、結核免疫増強効果を解析、ならびに2例目以降の治験を引き続き行う。

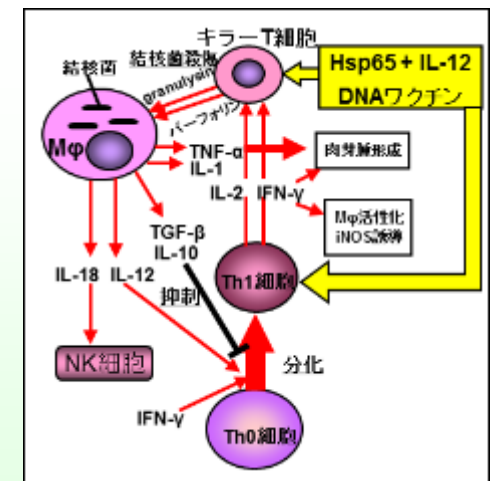


図: ワクチンの薬理効果メカニズム

I. 臨床研究・治験への移行等④

7. エボラ出血熱に対する新規ワクチンの開発【治験】

(新興・再興感染症制御プロジェクト)

(1) 概要

エボラワクチンiEvac-Zの安全性及び有効性評価のための第I相臨床試験について、東京大学認定臨床研究審査委員会へ書類を提出し、数回の審議を経て、令和元年9月末に本臨床研究の承認を得、同年12月に本エボラワクチンのヒトへの初回投与を開始した。

(2) 今後の予定

第1回目の第I相臨床試験解析、投与量を増加した第I相臨床試験、ならびにiEvac-Zを接種した被験者における宿主応答解析を行う。

増殖性を抑えたΔVP30ウイルス

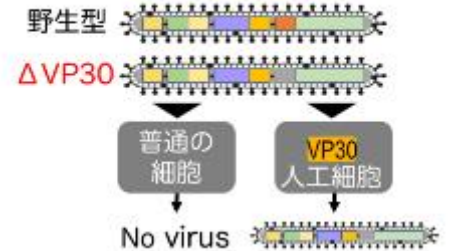


図 エボラウイルス遺伝子がコードする転写活性化因子VP30は、エボラウイルスの増殖に必須の蛋白質。エボラΔVP30ウイルスは、VP30をコードする遺伝子を欠損させ、人工的に作製した遺伝子組換えウイルス。普通の細胞では増えず、VP30を発現する人工細胞でのみ増殖可能。

8. ジカウイルスワクチンの開発

(新興・再興感染症制御プロジェクト)

(1) 概要

不活化ジカウイルス全粒子ワクチンのワクチンシーズについて、First in humanにて第I相企業治験を実施した(令和元年6月より開始)。

(2) 今後の予定

将来の流行に備えてシードワクチンの保存を行う。



I. 臨床研究・治験への移行等⑤

9. 全粒子インフルエンザワクチンの開発

(新興・再興感染症制御プロジェクト)

(1) 概要

不活化インフルエンザウイルス全粒子ワクチンの第 I / II 相臨床試験を完了、現在免疫原性試験を継続中。

(2) 今後の予定

被験者の各群の中和抗体価等を比較解析して、PMDAに不活化インフルエンザウイルス全粒子ワクチンの第 III 相試験につき相談する予定。



II. 承認・実用化(承認申請・承認)①

1. デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)に対するエクソン53スキップ治療薬による早期探索的臨床試験 (オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト)

(1) 概要

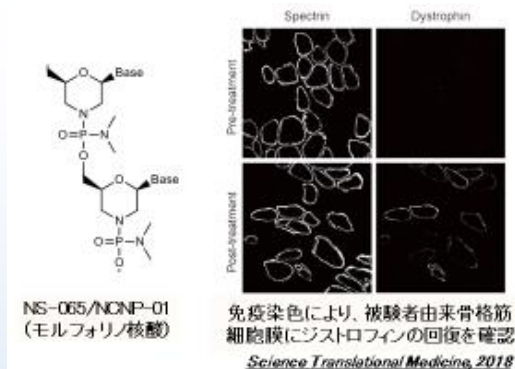
- NS-065/NCNP-01は、国立精神・神経医療研究センター(NCNP)と日本新薬の共同研究を通して開発されたエクソン・スキップ作用を有する核酸医薬品で、ジストロフィン遺伝子のエクソン53スキップに応答する遺伝子変異を有するDMD患者に対する治療薬として期待されている。
- 本件は基礎研究から臨床応用に至るまで、NS-065/NCNP-01の研究開発を継続的に行った。NS-065/NCNP-01のFIHは、NCNPによる医師主導治験として実施され、安全性について問題がなく治療効果が期待できることが示唆された。本医師主導治験においては、NCNPが構築した神経筋疾患のナショナルレジストリー(Remudy)を用いて効率的に被験者を集積することができた。
- 以上の結果等を踏まえて、共同開発先である日本新薬による企業治験が実施され、医師主導治験及び企業治験の成績に基づき、NS-065/NCNP-01の製造販売承認申請がなされた。

2019年9月26日: NS-065/NCNP-01 製造販売承認申請

2020年3月25日: 製造販売承認取得

(2) 今後の予定

導出先企業において製造販売後に第Ⅲ相試験及び製造販売後調査を行い、更なる有効性及び安全性の検証を行う。



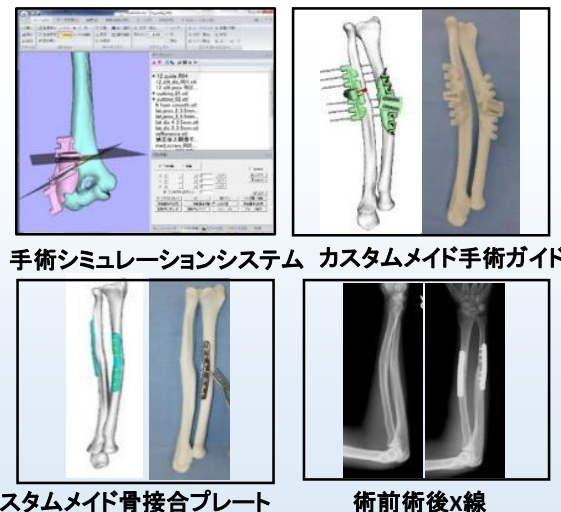
2. カスタムメイド手術ガイド及びカスタムメイド骨接合プレートを用いた上肢骨の変形を矯正するためのデバイス・インプラントの安全性及び有効性に関する臨床試験 (オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

(1) 概要

上肢の骨変形における特徴的骨表面形状に適合するよう、個々の患者のCTデータに基づいてカスタムメイドに設計された、樹脂製手術ガイドおよび金属製骨接合プレート。これらを併用することで術前シミュレーション通りの上肢変形矯正を極めて正確に行うことを可能とする。上肢骨変形を有する16症例を対象とした前向き研究を実施し、変形は1mm、1°未満の精度で矯正された。術後臨床評価も極めて良好であり、被験機器の有効性及び安全性が実証された。令和元年度に医薬品医療機器等法に基づく承認を取得した。

(2) 今後の予定

令和2年度に上市予定。



II. 承認・実用化(承認申請・承認)②

3. マイクロポンプを搭載した医薬品注入器「クーデックエイミーPCA」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

- 自社開発・製造のマイクロポンプを搭載した製品の初号機であり、薬液投与のコントロールや設定確認をスマートフォンのアプリケーションで操作するという新しい医薬品投与システム。このようなイノベーションを医療現場にもたらすことで術後疼痛分野において、より質の高い医療の提供が可能となり、QOLの向上にも寄与する。マイクロポンプの大量生産技術を確立し、医療費削減に貢献する。従来の携帯型ディスプレイ注入ポンプと機械式PCAポンプの有用性に関する医療現場のニーズを捉え、それぞれの特徴を両立したハイブリッド型の製品を開発した。



マイクロポンプ

(2) 今後の予定

2019年12月10日に医薬品医療機器等法に基づく承認を取得。

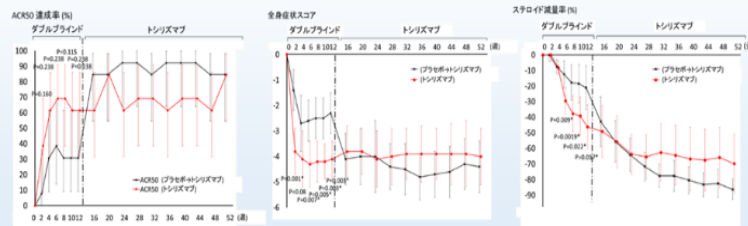
2020年下期に発売予定

4. 成人発症Still病に対する抗インターロイキン6受容体モノクローナル抗体を用いたProof of Concept study

(革新的医療技術創出拠点プロジェクト)

(1) 概要

医師主導多施設共同治験「トシリズマブの成人発症Still病に対する臨床試験」の結果に基づき、トシリズマブ(商品名:アクテムラ)の製造販売元である中外製薬株式会社が申請し、ヒト化抗ヒトIL-6レセプターモノクローナル抗体『アクテムラ®点滴静注用80mg、同200mg、同400mg』の成人スチル病に対する効能・効果追加が、厚生労働省によって薬事承認された。本研究は、成人発症Still病を対象として行われた世界初のプラセボ対照ランダム化二重盲検比較試験で、公的資金提供のもと慶應義塾大学病院を代表拠点とした全国8施設共同で実施され、2019年5月、薬事承認に至った。



(2) 今後の予定

今後、成人発症Still病難治例に対する治療選択肢が大きく広がることが期待される。

II. 承認・実用化(承認申請・承認)③

5. 核酸創薬研究基盤の形成に貢献

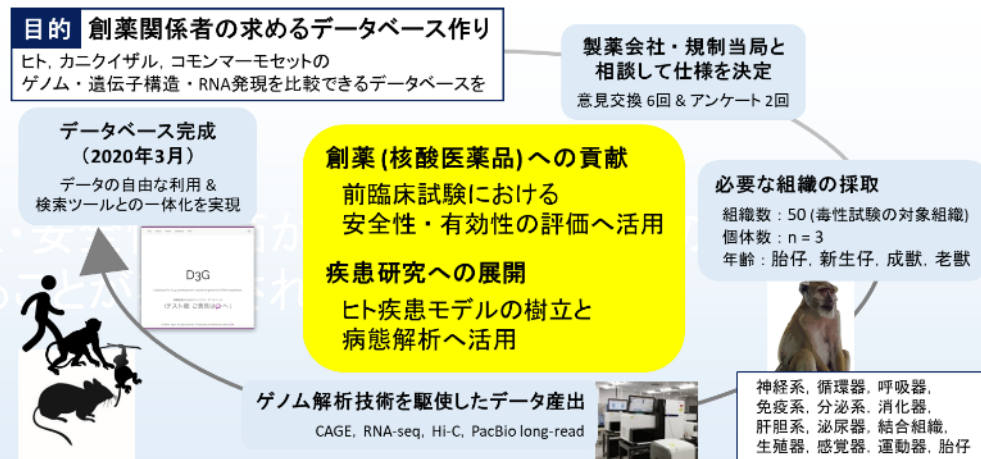
(疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト)

(1) 概要

ヒト・非ヒト霊長類(カニクイザル、マーモセット)に発現するRNA全長構造の種間比較可能な核酸創薬研究基盤を形成し、創薬に資する霊長類のオミックスデータベースD3Gを2020年3月に公開した。本データベースは国内製薬企業で薬事承認に活用されており、今後の医療分野の進展に寄与することが期待される。

(2) 今後の予定

本データベースの利用により、効果的な実験動物選択や有効性・安全性評価が可能になり、薬剤の開発に携わる研究者や規制当局の業務が大きく推進されることが期待されている。



6. 開発した技術を医療現場へ実装

(疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト)

(1) 概要

- クリニカルシーケンスで得られたバリエーションの臨床的意義付け作業を効率化するため開発された、AI技術を活用した支援システムは、東京大学医科学研究所および愛知県がんセンターにおいて、がんゲノム医療の現場に実装された。
- 電子カルテにおける抗がん剤治療に関するデータをデータベース化する「サイバーオンコロジー®」という技術を、異なる電子カルテのデータも統合できるシステムに発展させた成果は、京大とNTTにより事業化(「新医療リアルワールドデータ研究機構株式会社」を設立)された。

(2) 今後の予定

- 医療現場における各技術の利用実績を蓄積する。



II. 承認・実用化(承認申請・承認)④

6. デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬ビルトラルセンの製造販売承認

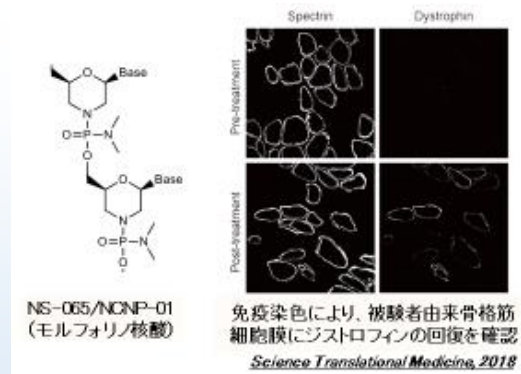
(難病克服プロジェクト)

(1) 概要

国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センターが日本新薬株式会社と共同開発したデュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療薬ビルトラルセンにが2020年3月25日に厚生労働省から条件付き早期承認制度の適用を受け製造販売が承認された。これまで進行を遅らせるステロイドの他に有効な治療がなかったが、ビルトラルセンで疾患進行抑制と疾患状態改善が期待される。

(2) 今後の予定

導出先企業において製造販売後に第Ⅲ相試験及び製造販売後調査を行い、更なる有効性及び安全性の検証を行う。



Ⅲ. 特許申請・登録等①

1. 次世代乳がんスクリーニングに向けた世界初のマイクロ波マンモグラフィの開発・事業化 (オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

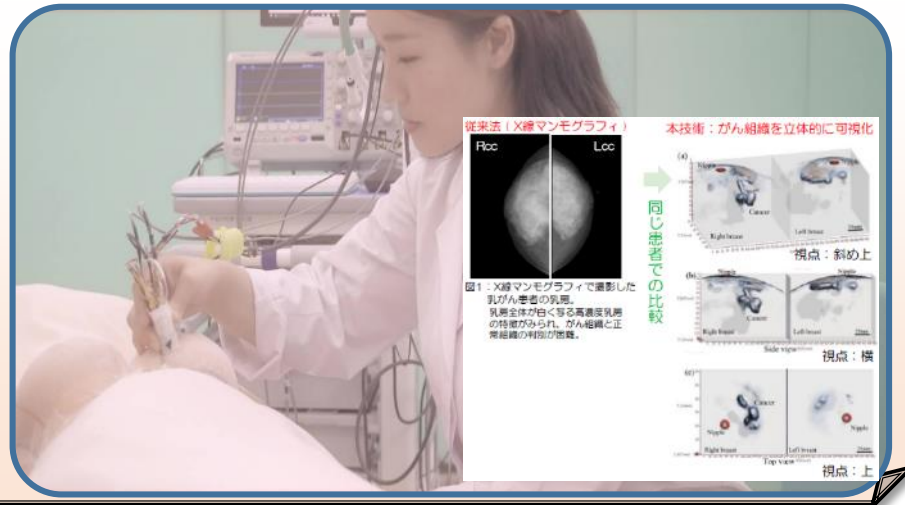
(1) 概要

神戸大学理学部教授 木村建次郎 工博、IGS CEO木村憲明 工博が、世界で初めて解析的に解くことに成功した“波動散乱逆問題”の研究成果および関連研究の成果は、マイクロ波マンモグラフィの実現に生かされ、これまで関連特許14件の出願、公証20件の登録となり、これまでアメリカ、日本、中国、ドイツ、フランス、イギリス、オランダ等の世界26カ国で原理特許が成立している。令和元年度はマイクロ波マンモグラフィに直接関係する2件の特許出願、1件の公証の登録を実施し、今後の全世界での事業展開に向けた着実な知財戦略の策定と事業投資の準備を進めている。

(2) 今後の予定

機器の安全性及び性能を確認するための非臨床試験を実施し、また臨床的な有用性を確認するための臨床研究を完遂し、薬事申請を行う。

マイクロ波マンモグラフィの測定風景



2. 術中の臓器損傷のリスクを低減させる手術支援ロボットの開発・事業化 (オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

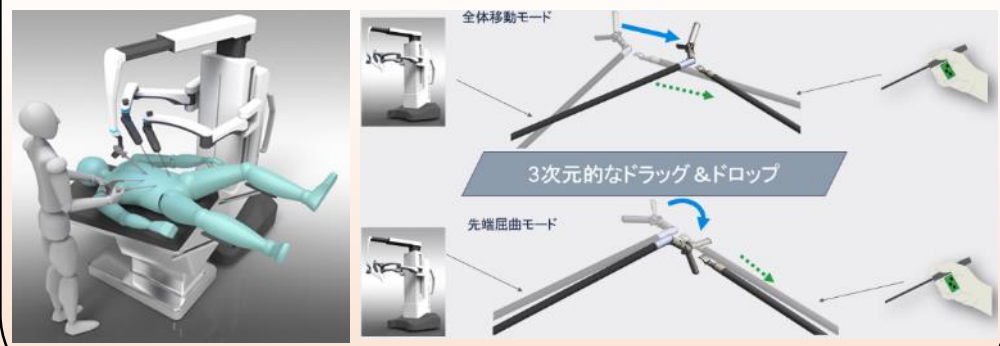
(1) 概要

令和元年度は、受動関節装置について特許出願を1件行った。この結果、既に登録している9件と合わせて、コンソールを必要とせず、ロボットアームを簡便に操作することが可能な手術支援装置に係る特許出願数は計10件となった。なお、一部、特許協力条約(PCT)に基づく国際出願も実施した。

(2) 今後の予定

鉗子関連で新たに特許申請するとともに、追加でPCTに基づく国際出願を実施する予定であり、令和2年度中の薬事申請を目指す。

(特許対象となるロボットとその操作方法のイメージ)



Ⅲ. 特許申請・登録等②

3. 針なし気泡注射器を用いた低侵襲網膜血栓除去新技術(PCT出願)

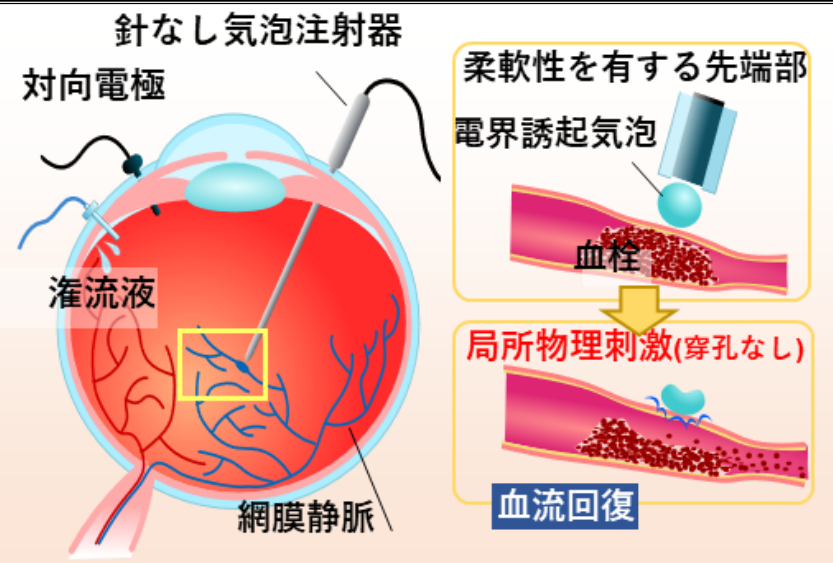
(オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

(1) 概要

網膜静脈分枝閉塞症に対して、網膜静脈血栓部へ気泡による低侵襲物理的
刺激を血管(血栓)へ与えることで血流を回復・改善し、根本的に病態を解決する
技術を開発。

(2) 今後の予定

医工連携イノベーション推進事業による支援に向けて製品開発を進め、2024
年の薬事承認を目指す。



4. 低磁場核偏極による生体分子の超高感度センシング技術の開発(特許出願)

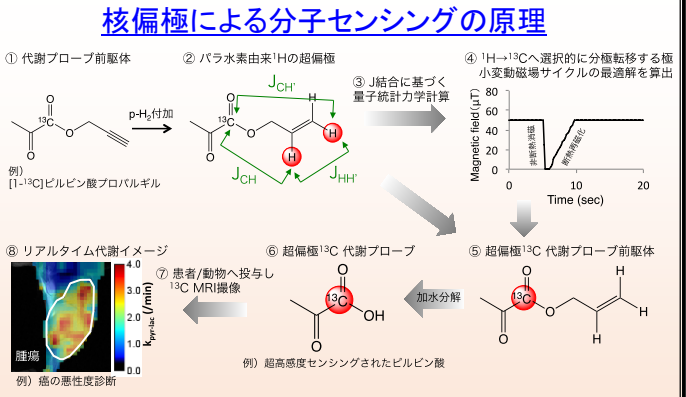
(オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト)

(1) 概要

臨床初期コストを現行法の10分の1に低減可能な、量子状態を揃えた水素ガスを偏極源に用い
る常温・低磁場核スピン偏極で生体分子を超高感度センシングする¹³C励起装置を開発、放射線
被曝の無い「安定同位体PET」擬とも呼べる革新的画像診断を実現。

(2) 今後の予定

医工連携イノベーション推進事業による支援に向けて製品開発を進め、2025年の薬事承認
を目指す。



¹³C標識代謝プローブの不飽和前駆体にパラ水素付加し、超偏極¹Hを誘導。
極小変動磁場により¹³Cへ分極移動後、加水分解により超偏極(MRI信号が
増大)した¹³C代謝プローブを取得。

Ⅲ. 特許申請・登録等③

5. 新規抗結核薬候補物質の開発

(新興・再興感染症制御プロジェクト)

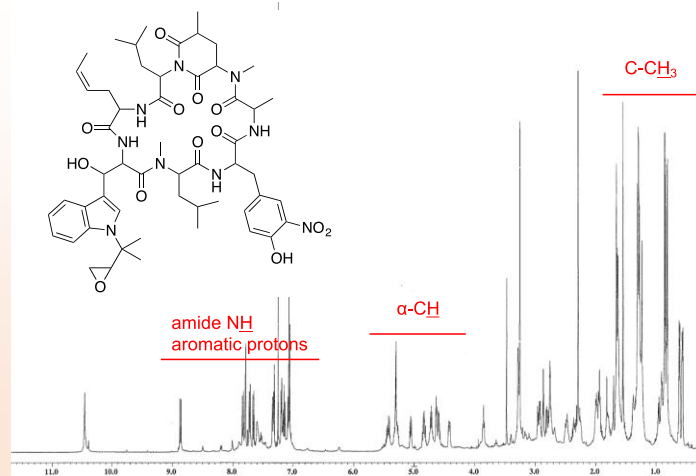
(1) 概要:

多剤耐性結核等の新規治療薬開発において見出された候補化合物について、新規抗結核薬候補物質として特許出願した(2018年日本、2019年PCT)。加えて、国内製薬会社と大量生産に関する覚書を締結した。

(2) 今後の予定:

TBアライアンス(米NY)と連携して、GHIT Fundに応募する。加えて、スクリーニングを継続実施して、第2、第3の開発対象化合物を検索する。

¹H NMR spectrum of K95-5076-1 (in CDCl₃, 500 MHz)



6. 次世代ノロウイルスワクチン開発

(新興・再興感染症制御プロジェクト)

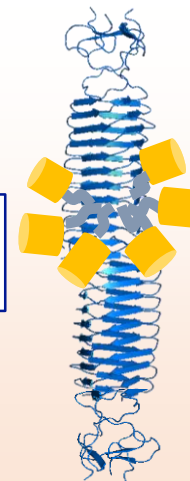
(1) 概要:

ウイルスタンパク質を融合させた分子ニードルを新規ワクチンとして開発する基盤を構築し、特許出願を行った。分子ニードルにノロウイルスタンパク質を融合させた融合分子ニードルを精製し、結晶化・構造解析を行った。

(2) 今後の予定:

ウイルスタンパク質付加分子ニードルの結晶化、構造解析を進め、更なるワクチン開発に還元する。マウスノロウイルスを用いた経口接種、腸管粘膜経由免疫とチャレンジ・プロテクション試験実施に向け、準備を進めている。

分子ニードルにヒトノロウイルス
VPgを融合させ結晶化に成功



Ⅲ. 特許申請・登録等④

7. 独自送達技術開発による筋ジストロフィーに対するゲノム編集治療法の開発

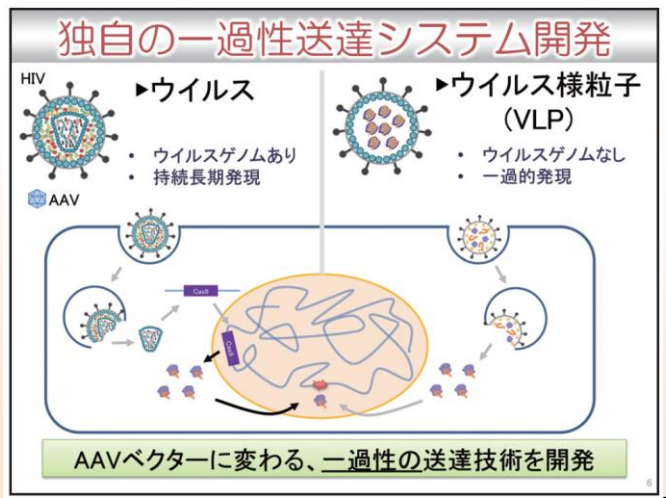
(難病克服プロジェクト)

(1) 概要:

京都大学iPS研究所の堀田秋津主任研究員らはCRISPER-Cas9を用いたゲノム編集技術によりジストロフィン遺伝子変異を修復するデュシェンヌ型筋ジストロフィー治療法の開発を行っている。多くのグループはAAVベクターを用いてCas9を筋組織に発現させる手法を採用しているが、外来遺伝子発現の持続やゲノムへの挿入といった安全性への懸念がある。本課題ではウイルス様粒子(VLP)を用いてCas9蛋白質を送達し、一過性に作用させる独自の技術を開発し、特許のPCT出願を行った。

(2) 今後の予定:

VLP精製の最適化およびマウスモデルでの非臨床POC取得を目指す。



8. 稀少免疫疾患に対する新規高精度ゲノム編集手法を用いた治療技術開発に関する研究

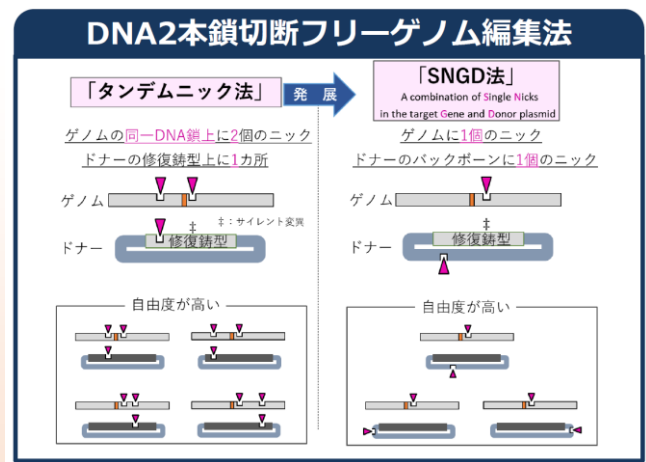
(難病克服プロジェクト)

(1) 概要:

大阪大学の中田慎一郎教授らはゲノム編集法を用いた原発性免疫不全症の治療法開発を行っている。従来法は標的遺伝子のDNA2本鎖に切断を加えるため新たに変異が発生することが避けられなかった。本課題では1本鎖のみを切断することで新たな変異発生を非常に低く抑える手法を開発し、さらに発展させ、外来遺伝子を含まずより高効率でオフターゲット編集が少ない手法を開発し、特許のPCT出願を行った。

(2) 今後の予定:

ヒト細胞およびモデルマウスを用いたゲノム編集手法の最適化を行い非臨床POCを目指す。



IV. 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施

再生医療実現プロジェクト

(1) 令和元年度の取組

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。

(2) 具体的事例

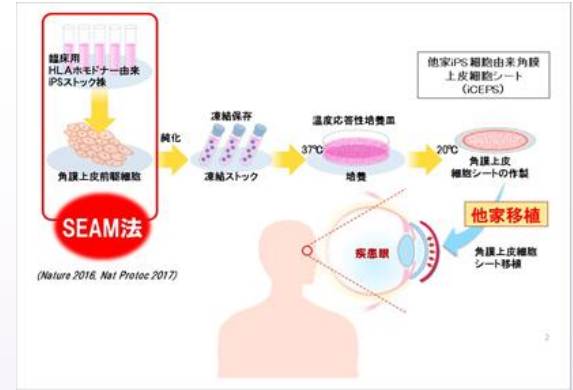
「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」に引き続いて支援している「再生医療実用化研究事業」において、大阪大学では平成31年3月に角膜上皮幹細胞疲弊症の患者を対象に、他家iPS細胞由来の角膜上皮細胞シートを移植する臨床研究を開始した。令和元年7月には、第1例目の移植手術を実施した(①)。

大阪大学では令和元年10月に虚血性心筋症による重症心不全の患者を対象に、他家iPS細胞由来の心筋細胞シートを移植する医師主導治験を開始した。令和2年1月には、第1例目の移植手術を実施した(②)。

また、京都大学では平成31年3月に血小板輸血不応症を合併した再生不良性貧血の患者を対象に、自家iPS細胞由来の血小板を輸血する臨床研究を開始した。令和2年1月には、第1例目の投与を実施した(③)。

さらに、令和2年1月に、京都大学のiPS細胞由来軟骨移植による関節軟骨損傷の再生に関する臨床研究について、再生医療等安全性確保法に定める再生医療等提供基準に適合していることが確認され臨床研究を開始した(④)。

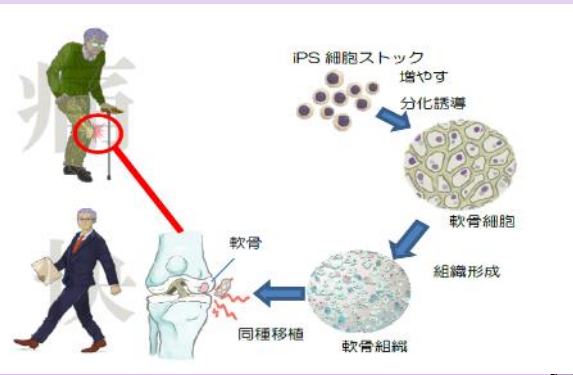
①



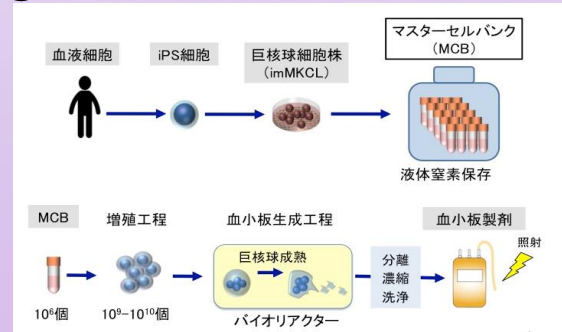
②



④



③



〈参考資料〉

① 令和元年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 1/10

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	
疾患登録システムの効果的活用に基づく筋ジストロフィーの医師主導治験、ならびに医薬品開発に資する臨床研究の実施【治験】	関連機関と連携して臨床研究を継続して実施予定
難治性リンパ管異常に対するシロリムス療法確立のための研究【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HER2陽性の切除不能または再発胆道癌に対する医師主導治験【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
SCRUM-Japan GI-SCREEN基盤を活用した血液循環腫瘍DNAゲノムスクリーニングに基づくHER2遺伝子異常を有する固形がんに対するDS-8201a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
小児・AYAがんに対する国内開発のEZH1/2阻害剤の臨床開発【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
脳梗塞急性期のアドレノメデュリン静注療法の確立【治験】	医師主導治験を継続して実施予定
RSウイルス感染による新生児、乳児及び幼児を対象としたパリビズマブの多施設医師主導治験の推進(新規ハイリスク患者対象)【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
神経線維腫症II型に対するベバシズマブの有効性及び安全性を検討する多施設共同二重盲検無作為化比較治験【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
子宮内膜異型増殖症・子宮体癌妊孕性温存療法に対するメトホルミンの適応拡大にむけた多施設共同医師主導治験【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 令和元年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 2/10

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	
患者レジストリ(Remudy)を活用した筋強直性ジストロフィーに対するエリスロマイシンの安全性及び有効性を検討する多施設共同プラセボ対照二重盲検並行群間比較試験【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
トシリズマブ効果不十分の特発性多中心性キャッスルマン病に対するシロリムスの医師主導治験【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

① 令和元年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 3/10

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	
立体構造が極めて複雑な先天性心疾患患者への3Dモデル診断による術時間削減を実現する、オーダーメイド型超軟質3D精密心臓モデルの開発・事業化	2022年3月 上市予定
術後のQOLを改善させる心・血管修復シートの事業化	2022年11月 上市予定
AVS成功判定システム等の国際的普及とFDA/TGA取得のための開発・海外展開	2021年1月 上市予定
体表面電気刺激による在宅向け排尿障害治療器の開発・事業化	2022年2月 上市予定
非造影拍動追跡型4D Flow MRI解析システムの開発・海外展開	2020年12月 上市予定
乳腺非触知病変摘出のための磁性を用いたピンポイント検出システムの開発・海外展開	2021年7月 上市予定
非侵襲的頭蓋内圧測定モニタの開発・事業化	2021年11月 上市予定
視線計測装置及び視線計測装置用診断プログラム(GF01)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	令和2年度治験継続(95症例、累計195症例程度を目標) 2021年度企業導出予定
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	令和元年度治験継続(9症例) 令和2年度治験終了予定(累計50症例を目標)
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	令和元年度治験継続(9症例) 令和2年度治験終了予定(累計50症例を目標)

① 令和元年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 4/10

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	
局所血流を可視化するウェアラブル多点センサーに関する臨床研究	平成30年度に臨床研究実施(27症例) 令和元年度臨床研究継続
流体解析に基づいた脳動脈瘤治療用セミカスタムメイドステントの医師主導治験開始	平成30～令和元年度検証的治験実施(12症例)及び承認申請予定
脳血管障害による片麻痺患者に対する下肢装着型治療ロボットスーツHALの研究開発	令和元年度治験継続

① 令和元年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 5/10

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	
再発・進行性髄膜種に対する抗PD-1抗体療法の医師主導による多施設共同第Ⅱ相臨床試験	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
Muse細胞を用いた周産期脳障害の新規治療法開発～探索的臨床試験(医師主導治験)～	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
在宅心不全患者の再入院を回避する革新的ICT遠隔モニタリング環境の有用性の検証 －呼吸安定時間 (Respiratory Stability Time: RST) ガイドによる心不全管理－	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
手術後の痛みに対する鎮痛薬の薬効を客観的にモニタリングする機器PMS-1開発のための探索的医師主導治験	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
心臓アセチルコリン感受性カリウムチャネル選択的阻害薬による遺伝性徐脈性不整脈 (KACHチャネロパチー)を対象とした医師主導治験	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定

① 令和元年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 6/10

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
遺伝子治療製品「Ad-SGE-REIC」の悪性脳腫瘍対象第 I / II a相試験	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
薬物抵抗性片頭痛に対する卵円孔閉鎖デバイス(JLL-002)の有効性と安全性を検証する多施設共同・前向き・単盲検・無作為化比較医師主導治験	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
原発性胆汁性胆管炎に対する抗線維化治療薬の開発	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
持続性(二次性)リンパ浮腫患者を対象としたICG蛍光リンパ管造影によるリンパ浮腫診断・治療の有効性及び安全性を評価する単群オープン試験	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
子宮内膜異型増殖症・子宮体癌に対するメドロキシプロゲステロンとメトホルミンの併用妊孕性温存療法の用量反応性試験	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
ダサチニブ濾胞性ヘルパーT細胞リンパ腫	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
ニボルマブ皮膚血管肉腫	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
非切除膀胱癌を対象とした腫瘍溶解性ウイルスの腫瘍内局所投与療法の有効性と安全性に関する医師主導治験	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
バイオ3D プリンタにより作製した三次元神経導管(Bio 3D Conduit)を用いた革新的末梢神経再生法の臨床開発	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定

① 令和元年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 7/10

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】	令和2年度も継続して治験を実施
虚血性心筋症に対するヒト(同種)iPS細胞由来心筋細胞シートの臨床試験【治験】	令和2年度も継続して治験を実施
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】	令和2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】	令和2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】	令和2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】	令和2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】	令和2年度も継続して治験を実施
同種iPS細胞由来軟骨移植による関節軟骨損傷の再生【臨床研究】	令和2年度も継続して臨床研究を実施

① 令和元年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 8/10

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>遺伝性徐脈性不整脈に対する新規責任遺伝子を同定し、それに対する創薬を目指した臨床研究を開始</p>	<p>当該遺伝子の変異を持つ患者を対象としたphaseII試験を医師主導で行う予定(平成29年度以降)。</p>
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>慢性骨髄性白血病におけるチロシンキナーゼ阻害剤との長期併用時のTM5614の安全性・有効性を検討する第II相試験【治験】</p>	<p>令和2年度も継続して治験を実施予定</p>
<p>SCRUM-Japanの基盤を活用した血液循環腫瘍DNAスクリーニングに基づくFGFR遺伝子異常を有する難治性の治癒切除不能な進行・再発固形がんに対するTAS-120【治験】</p>	<p>令和2年度も継続して治験を実施予定</p>
<p>HER2増幅固形癌に対するトラスツズマブ・ペルツズマブ併用療法のバスケットトライアル【治験】</p>	<p>令和2年度も継続して治験を実施予定</p>
<p>ROS1融合遺伝子陽性の進行固形がんに対する治療開発を目指した研究【治験】</p>	<p>令和2年度も継続して治験を実施予定</p>

① 令和元年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 9/10

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
脳とこころの健康大国実現プロジェクト	
新規抗うつ薬候補R-ケタミンの海外企業導出と第一相治験【治験】	令和2年度第二相治験開始予定
AMPA受容体PETトレーサーてんかん診断薬の多施設共同医師主導治験【治験】	令和2年度も継続して医師主導治験を実施予定
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】	探索研究を終了し、結果を基に、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中

① 令和元年度に臨床研究・治験に移行した研究開発等(例) 10/10

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
新興・再興感染症制御プロジェクト	
<p>エボラ出血熱に対する新規ワクチンの開発【臨床試験】 First in humanにて第I相臨床試験を実施(令和元年12月に開始)</p>	<p>第1回目の第I相臨床試験解析、投与量を増加した第I相臨床試験、ならびにiEvac-Zを接種した被験者における宿主応答解析を行う。</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】 First in humanにて第I相医師主導治験を実施(令和元年11月に開始)</p>	<p>1例目の安全性・忍容性の評価、予備的有効性評価としてこの抗結核効果、結核免疫増強効果を解析、ならびに2例目以降の治験を引き続き行う。</p>
<p>ジカウイルスワクチンの開発【治験】 First in humanにて第I相企業治験を実施(令和元年6月に開始)</p>	<p>将来の流行に備えてシードワクチンの保存を行う。</p>
<p>全粒子インフルエンザワクチンの開発</p>	<p>被験者の各群を比較解析して、PMDAに第III相試験につき相談する予定。</p>
難病克服プロジェクト	
<p>A3243Gミトコンドリア耐糖能異常に対するタウリン療法の実用化【治験】</p>	<p>令和2年度 第2相試験終了予定</p>
<p>新規多発性硬化症治療薬OCHの第二相臨床治験【治験】</p>	<p>令和2年度 第2相試験終了予定</p>

② 令和元年度に行われた承認申請・承認等(例) 1/2

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	
重症川崎病患児を対象とした免疫グロブリンと免疫グロブリ+シクロスポリンA併用療法の多施設共同非盲検ランダム化比較試験に関する研究	2020年2月21日製造販売承認取得
デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)に対するエクソン53スキップ治療薬(NS-065/NCNP-01)の早期探索的臨床試験	2020年3月25日製造販売承認取得
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	2019年6月18日製造販売承認取得
小児の再発・難治性ホジキンリンパ腫(HL)及び未分化大細胞リンパ腫(ALCL)に対するブレソキシマブベドチン(遺伝子組換え)の開発	2019年12月20日製造販売承認取得
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	
眼底偏向OCT(薬事認証)	2020年上市予定
AVS成功判定システム(TGA取得)	2019年オーストラリア上市 2021年米国上市
患者管理無痛法用輸液ポンプ、汎用輸液ポンプ、輸液ポンプ用輸液セット(薬事承認)	2020年上市予定
単回使用マイクローム用刃(薬事届出)	2020年上市予定

② 令和元年度に行われた承認申請・承認等(例) 2/2

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	
腹圧性尿失禁用Celution	2019年12月に承認申請を行い、審査中
ブリリアントブルーG250	2019年12月に承認申請を行い、審査中
マーカに基づく4次元画像再構成を可能とするマルチエネルギー2軸CBCT組み合わせ型適合強度変調陽子線治療システム	2020年3月に承認申請を行い、審査中
小径金マーカ	2019年4月に薬事承認取得
SCOLIOMAP脊柱側弯モニタ	2019年9月に薬事承認取得
トシリズマブ	2019年5月に薬事承認取得
自家培養表皮ジェイス	2019年7月に保険医療化
トシリズマブ	2019年5月に保険医療化
AMG0001	2019年9月に保険医療化

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	
デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するエクソン・スキップ治療薬の臨床開発に資するバイオマーカーの探索	2020年3月 製造販売承認

③ 令和元年度に行われた特許申請・登録等(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療機器開発プロジェクト	
在宅皮膚科光線療法支援システム要素技術(海外特許出願)	2020年上市予定
スパイナルドレナージキット用容器(PCT出願)	2020年国内上市予定 2021年海外上市予定
ボーダレス手術システム(海外特許出願)	2020年米国上市予定 2021年欧州上市予定
マイクロ波マンモグラフィ画像再構成法および臨床に関する測定方法、誘電分電の原理、及び生理現象を利用した有効な診断法(特許出願)	2022年国内上市予定 2024年海外上市予定
手術支援ロボット(特許出願)	2021年上市予定
体表面電気刺激による在宅向け排尿障害治療器(特許出願)	2022年国内上市予定 2023年海外上市予定
下顎骨形状に適合し骨結合能を有する新たなレーザー積層造形チタンデバイス(PCT出願)	2021年国内上市予定 2025年海外上市予定
生体情報収集装置、生体情報収集センサユニット、生体情報収集センサ、及び生体情報処理ユニット(国内出願)	2019年国内出願
BLOOD PRESSURE CONTROLLING APPARATUS, NON-TRANSITORY COMPUTER READABLE RECORDING MEDIUM STORING CONTROL PROGRAM OF BLOOD PRESSURE CONTROLLING APPARATUS, AND METHOD FOR CONTROLLING BLOOD PRESSURE(PCT出願)	2019年国際出願
呼吸回数算出装置、呼吸回数算出方法、及びプログラム(国内出願)	2019年国内出願
硝子体手術用照明装置(国内出願)	2019年国内出願

③ 令和元年度に行われた特許申請・登録等(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	
カテーテルおよびそれを備える軟性内視鏡(国内出願)	2019年国内出願
眼内手術用器具ホルダ(PCT出願)	2019年国際出願
磁気プローブについて磁石形状の変更により検知量の温度依存性をなくす方法(PCT出願)	2021年国内上市予定 2022年海外上市予定
気泡噴出方法、気泡噴出用電源装置、および、気泡噴出装置(PCT出願)	2024年上市予定
てんかん発作予測装置、心電指標データの分析方法(PCT出願他1件)	2024年上市予定
パーキンソン病と多系統萎縮症との判別方法および判別キット(PCT出願)	2024年上市予定
分極転移装置(特許出願)	2025年上市予定
核磁気共鳴イメージング装置、核磁気共鳴イメージング方法、及びプログラム(特許出願)	2025年上市予定
移植用臓器の機能評価方法、移植用臓器の機能評価プログラムおよび移植(特許出願)	2026年上市予定
細胞観察システムおよび細胞観察方法(PCT出願)	2026年上市予定
生体電極及び心臓ペースメーカー(PCT出願)	2026年上市予定
腎臓再生促進剤及びその製造方法(特許出願)	2027年上市予定
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(日本・台湾で特許査定)	令和元年度特許登録

③ 令和元年度に行われた特許申請・登録等(例) 3/7

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 令和元年度に行われた特許申請・登録等(例) 4/7

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト	
エピジェティックスを標的とした新規医薬	標的POCを取得し、 <i>in vivo</i> バリデーションを進める
ペプチド及びその使用	企業と実用化の共同開発を進める
PD-1シグナル阻害剤含有薬剤による治療有効性の予測及び／又は判定マーカー	ICIとの併用療法実用化に向けて、モデル系の構築と診断マーカーのPOCを取得する
AタイプCpGオリゴデオキシヌクレオチド含有脂質粒子	多様ながん種に適応可能な腫瘍環境標的型免疫賦活化療法での診断プローブに活用する
大腸がんを予防する化合物のスクリーニング方法	腸内細菌を指標とした大腸がんの早期診断方法の実用化を進める
カルボキシペプチダーゼ活性検出用蛍光プローブ	臨床検体への適用し新がん診断法の実用化技術として検討する
PARP阻害剤に対する癌の感受性の予測方法および相同組換修復不全を有する癌の検出方法	新規治療標的としてのPOCを取得し、治療法・診断法開発に活用する
CAR発現免疫細胞を含む細胞集団の製造方法	医師主導治験開始を目標として非臨床試験を行う
キメラ抗原受容体遺伝子改変リンパ球の調製方法	第 I / II 相医師主導治験を進める

③ 令和元年度に行われた特許申請・登録等(例) 5/7

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
新興再興感染症制御プロジェクト	
次世代ノロウイルスワクチンシーズに係る特許を出願(令和元年7月)	ウイルスタンパク質付加分子ニードルの結晶化、構造解析を進め、更なるワクチン開発に還元する。マウスノロウイルスを用いた経口接種、腸管粘膜経由免疫とチャレンジ・プロテクション試験実施に向け、準備を進めている
新規抗結核薬候補物質の開発	今後、再培養後、確認試験を実施して、第2、第3の開発対象化合物を検索する。
メタロ-β-ラクタマーゼ(MBL)阻害活性が強化された新規化合物への特許を申請(令和元年5月)	さらなる構造展開による高機能化新規化合物の作出を行う

③ 令和元年度に行われた特許申請・登録等(例) 6/7

研究開発の概要	今後の主なスケジュール
難病克服プロジェクト	
ピロロピリミジン化合物を有効成分とする炎症性疾患の予防および／又は治療剤に関する国際出願	新規BAFF受容体阻害剤を用いたシェーグレン症候群の革新的治療薬の開発
シロリムスまたはその誘導体を含有する局所適用外用剤に関する国際出願	薬事申請をめざした治療法のない神経線維腫症I型のび慢性神経線維腫に対する有効で安全な局所大量療法薬開発のための医師主導治験
ウィルス様粒子及びその使用に関する国際出願	独自送達技術開発による先天性筋疾患に対するゲノム編集治療法の開発
再発寛解型多発性硬化症、二次進行型多発性硬化症、非典型多発性硬化症及び視神経脊髄炎類縁疾患の診断方法、並びに診断用バイオマーカーに関する国内出願	多発性硬化症の予防・病態改善・治療を目指した常在細菌叢?免疫系?神経系相互関連の研究
尿管芽先端部細胞の単離方法に関する国内出願	iPS細胞モデルを用いた多発性嚢胞腎に対する創薬シーズの探索
複数のインプリンティング疾患の同時診断のための検査方法および検査薬に関する国内出願	ヒストン修飾酵素異常にともなうDNAメチル化異常の治療薬探索と簡易診断法の開発
Detection of noncoding CGG repeat expansions in neuronal intranuclear inclusion disease, oculopharyngodistal myopathy and an overlapping disease に関する米国国内出願	オミックス解析に基づく希少難治性神経疾患の病態解明
ゲノム編集された細胞を製造する方法に関する国際出願	稀少免疫疾患に対する新規高精度ゲノム編集手法を用いた治療技術開発に関する研究
筋萎縮性側索硬化症を含む神経疾患の予防剤及び／又は治療剤に関する国際出願	神経保護因子Necdinの発現上昇による筋萎縮性側索硬化症の新規治療法の創出

③ 令和元年度に行われた特許申請・登録等(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	
心筋収縮改善治療法および心筋細胞死抑制法の開発剤に関する国内出願	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
HAM/TSP発症リスク判定方法に関する国内出願	希少難治性疾患克服のための「生きた難病レジストリ」の設計と構築
判定装置、判定方法、判定プログラムに関する国内出願	難治性副腎疾患の診療に直結するエビデンス創出
歯の再生治療のためのUSAG-1を標的分子とした中和抗体に関する国内出願 およびUSAG-1を標的とするRNA分子を含む歯の再生治療薬に関する国内出願	希少疾患先天性無歯症治療薬の開発研究—Wntシグナル&BMPシグナルに関連する難治性疾患治療への展開—
色素性乾皮症F群治療薬に関する国内出願 および老化および／又は神経変性モデル動物に関する国内出願	人工核酸・短鎖ペプチドを用いたゲノム不安定性疾患の新規治療薬開発
人工核酸・短鎖ペプチドを用いたゲノム不安定性疾患の新規治療薬開発に関する国内出願	希少難病の高精度診断と病態解明のためのオミックス拠点の構築
急性期の視神経脊髄炎の予防又は治療剤に関する国内出願	多発性硬化症に対する新規抗体治療薬の開発

1. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト

(1) 令和元年度 of 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2,030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、令和元年度だけで63件(次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業:19件、創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業:14件、創薬基盤推進研究事業:12件など)の企業導出などを達成した。

(2) 具体的事例

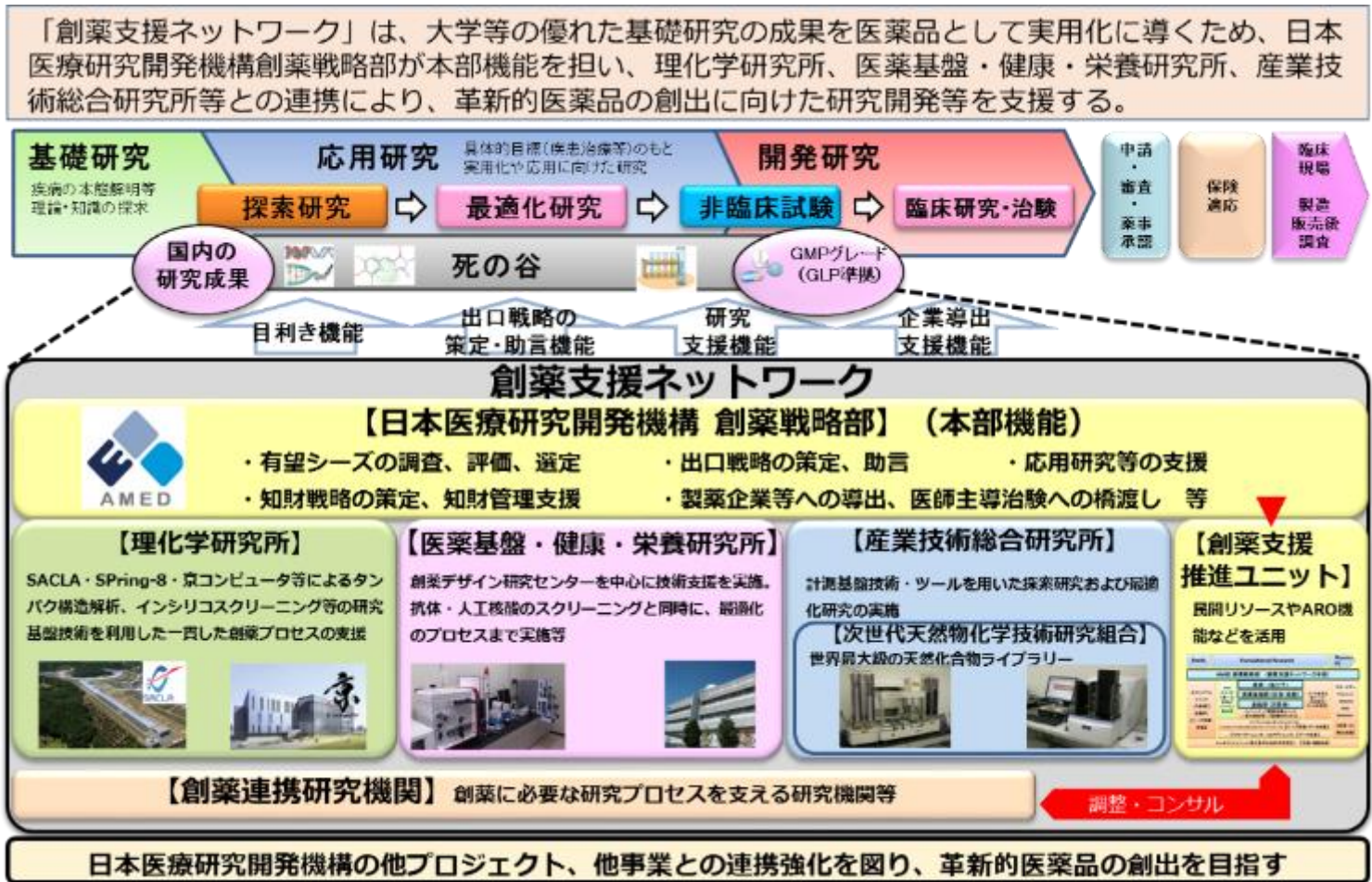
平成29年7月にAMED組織改編により創薬戦略部を立ち上げ、従来の創薬支援ネットワークに加え、創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業、再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業(遺伝子治療製造技術発)などの創薬基盤研究を一体的に進めることを通じ以下の成果を達成した。

- 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。221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。累積1659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):アカデミア研究者の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。有望シーズに対して累積142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によるヘッドクォーター機能と事業内課題の連携強化により、120件の構造解析(放射光施設、クライオ電子顕微鏡など)や206件の化合物提供等の支援を実施。また、支援課題DBからPS, POにより有望と認定されたPJを「BIND重点PJ」として強化する仕組みを構築、この中から「概日時計タンパク質CRY1およびCRY2に作用する低分子化合物の高活性化」など成果が創出された。平成30年度から本格稼働したクライオ電子顕微鏡ネットワークでは、新たな人材育成の仕組みとして「滞在型人材育成プログラム」を開始した。
- ⑤ 遺伝子・細胞治療用ベクター等の大量製造に対応するため、治療用ベクター製造施設(オープンラボ)を整備、高規格な遺伝子ベクター培養/精製技術開発を開始した。また、製造したベクターの動物実験用サルの非臨床試験設備を整備した。

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」における令和元年度の成果

- これまでに、相談・シーズ評価を1659件、有望シーズへ創薬支援を142件を実施し、導出を9件達成した。
- 支援開発段階は、標的実用化検証やスクリーニングといった早期段階のシーズが大半だが、リード最適化や非臨床開発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。
※令和2年3月末までの累計数



2. オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

(1) 令和元年度 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知財リソースの乏しい機関(大学、ベンチャー企業など)に対し、各種の補足調査や、AMED知財リエゾンを通じて事業化を意識した知的財産コンサルテーションを行うことにより、出口戦略の支援を実施。その結果、潜在的な競合の把握、客観的な知財ポジションの明確化及び各機関に相応しい知的財産戦略の立案などに貢献した。

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)

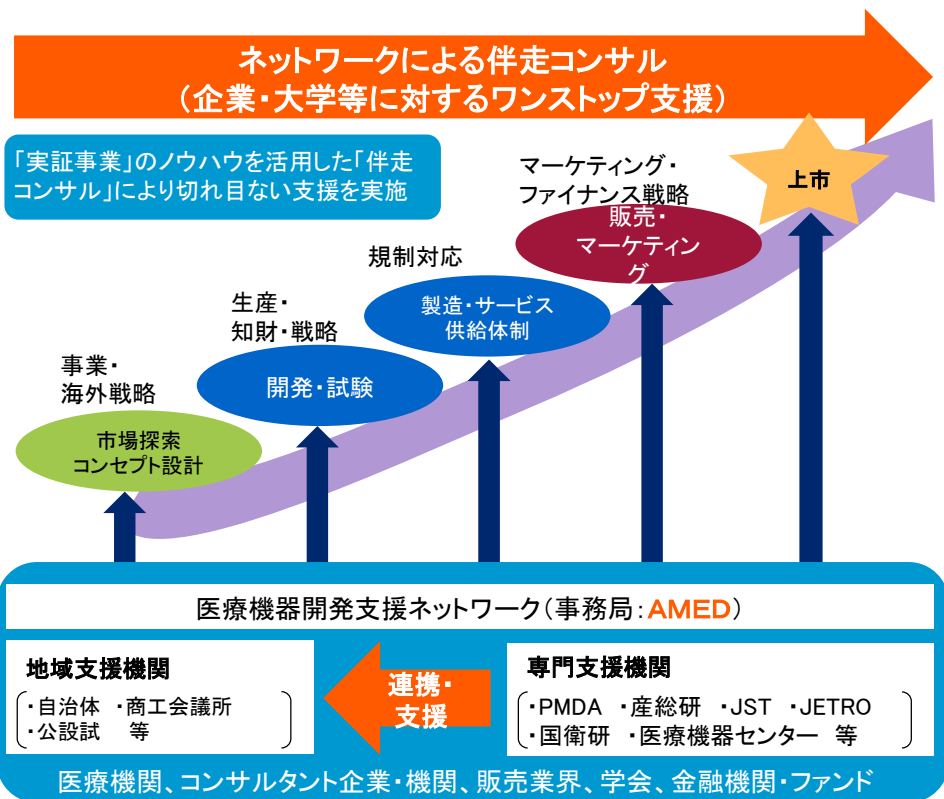
(実績例)

—医療機器を開発中のベンチャー企業から、資金調達のために作成した事業計画書の妥当性を評価してほしいとの相談があった。伴走コンサルにおいて計画の妥当性を精査すると共に、法規制の観点から製品のコンセプトに関する助言を行った。その後、開発の進捗に応じて随時相談を受けている。

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」における令和元年度の成果

- 相談件数は約1,720件と大きな反響。うち、伴走コンサル件数は約800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2割はベンチャー企業)
- 海外展開、知財、法規制等に関する相談対応の強化を図るため、新たに5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、静岡、福岡)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13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。(3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60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】

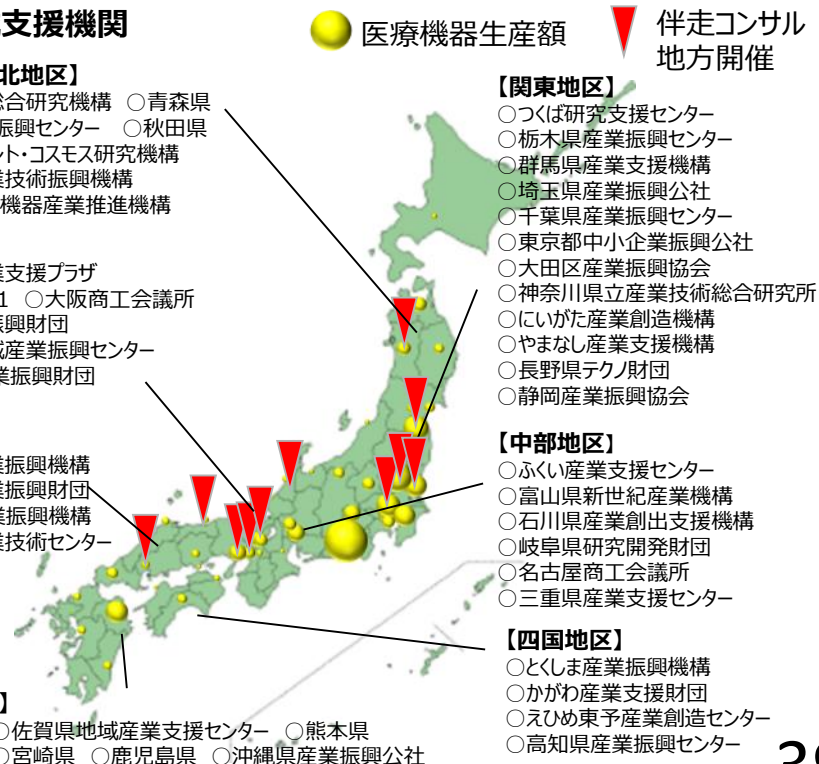
- 鳥取県産業振興機構
- 岡山県産業振興財団
- ひろしま産業振興機構
- 山口県産業技術センター

【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) 令和元年度の取組

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(2019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(2019年9月～12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(2019年5月、2019年7月、2020年1月、2020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行った。
- ・ ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット2019にて、臨床研究中核病院12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(2019年10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)745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)379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)303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(2019年5月、2019年7月、2020年1月、2020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行った。
- ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット2019にて、臨床研究中核病院12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(2019年10月)。



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) 令和元年度 of 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。

令和元年9月に3省事業の事業実施者の研究交流会を継続開催するなど、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、大阪大学では平成31年3月に角膜上皮幹細胞疲弊症の患者を対象に、他家iPS細胞由来の角膜上皮細胞シートを移植する臨床研究を開始し、令和元年7月に第1例目の移植手術を実施した。また、大阪大学では令和元年10月に虚血性心筋症による重症心不全の患者を対象に、他家iPS細胞由来の心筋細胞シートを移植する医師主導治験を開始し、令和2年1月に第1例目の移植手術を実施した。さらに、京都大学では平成31年3月に血小板輸血不応症を合併した再生不良性貧血の患者を対象に、自家iPS細胞由来の血小板を輸血する臨床研究を開始し、令和2年1月に第1例目の投与を実施した。

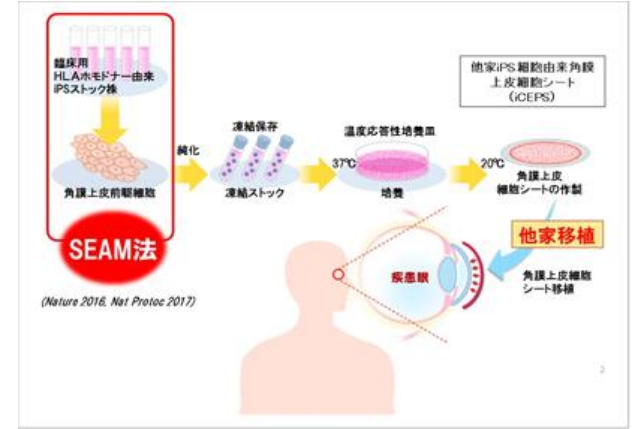
そのほか、令和2年1月には、京都大学のiPS細胞由来軟骨移植による関節軟骨損傷の再生に関する臨床研究について、再生医療等安全性確保法に定める再生医療等提供基準に適合していることが確認され、臨床研究を開始した。

4. 再生医療実現プロジェクト<参考>

1. iPS細胞を用いた臨床研究・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、
 - ①大阪大学では平成31年3月に角膜上皮幹細胞疲弊症の患者を対象に、他家iPS細胞由来の角膜上皮細胞シートを移植する臨床研究を開始し、令和元年7月に第1例目の移植手術を実施した。
 - ②大阪大学では令和元年10月に虚血性心筋症による重症心不全の患者を対象に、他家iPS細胞由来の心筋細胞シートを移植する医師主導治験を開始し、令和2年1月に第1例目の移植手術を実施した。
 - ③京都大学では平成31年3月に血小板輸血不応症を合併した再生不良性貧血の患者を対象に、自家iPS細胞由来の血小板を輸血する臨床研究を開始し、令和2年1月に第1例目の投与を実施した。
 - ④令和2年1月に、妻木範行教授(京都大学)のiPS細胞由来軟骨移植による関節軟骨損傷の再生に関する臨床研究について、再生医療等安全性確保法に定める再生医療等提供基準に適合していることが確認され臨床研究を開始した。

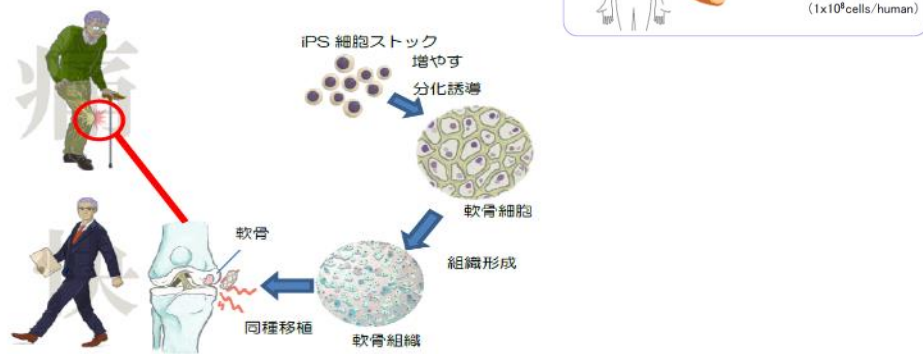
①



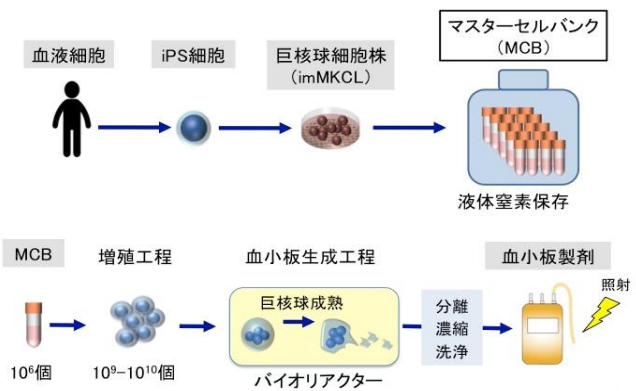
②



④



③



5. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト

(1) 令和元年度 of 取組

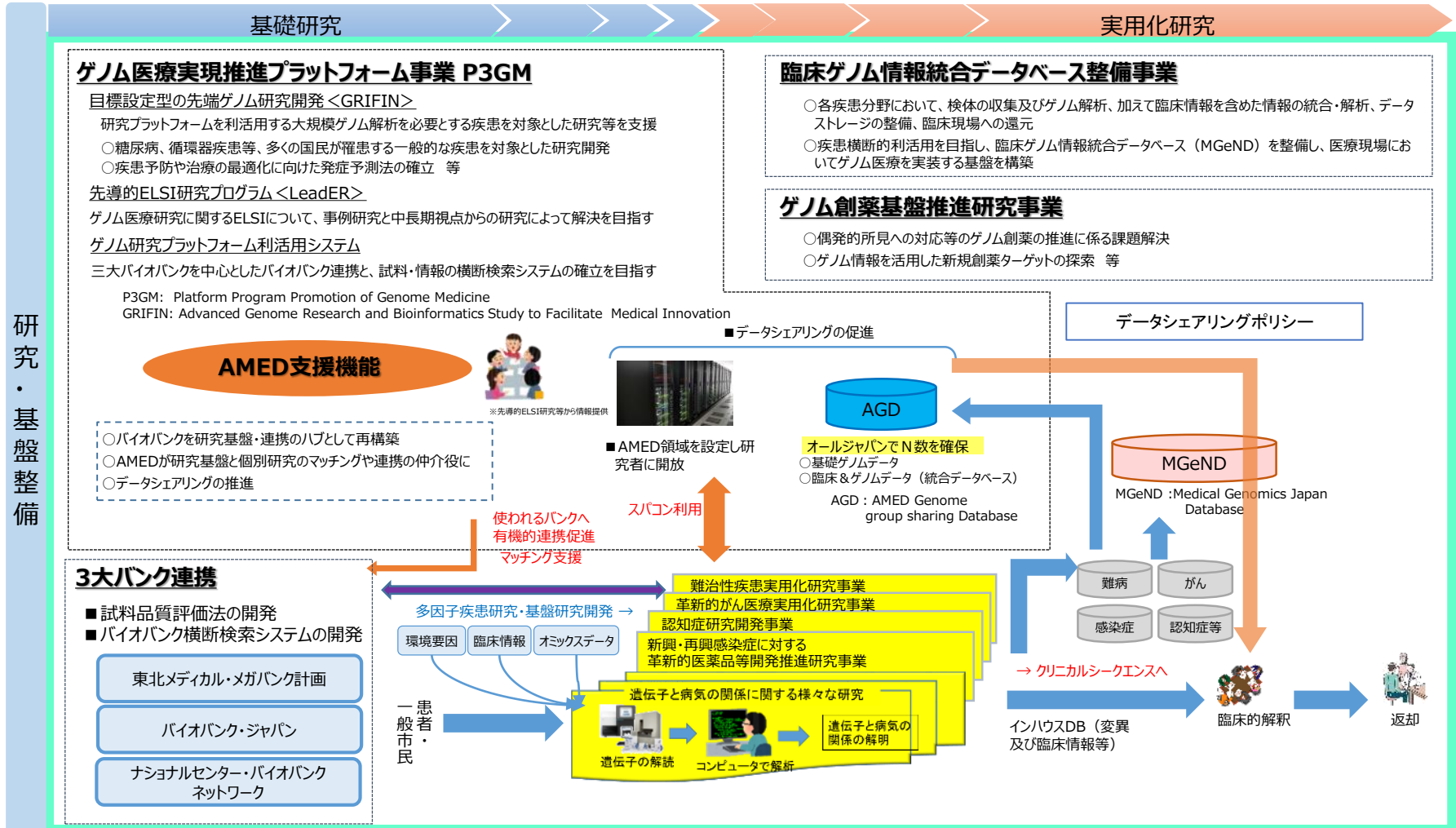
「ゲノム医療実現推進協議会」のもと、中間取りまとめにおいて位置付けられた各項目の進捗状況を平成29年度報告及び中間取りまとめに対する最終報告書を取りまとめ、今後の課題について整理を行うなど、ゲノム医療の実現に向けて、関係省庁が一体となった連携体制の推進を図った。

(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整備を引き続き行った。
- 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)」において、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システムの運用を開始した。
- 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、科学技術振興機構(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実施している。
- 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。



6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

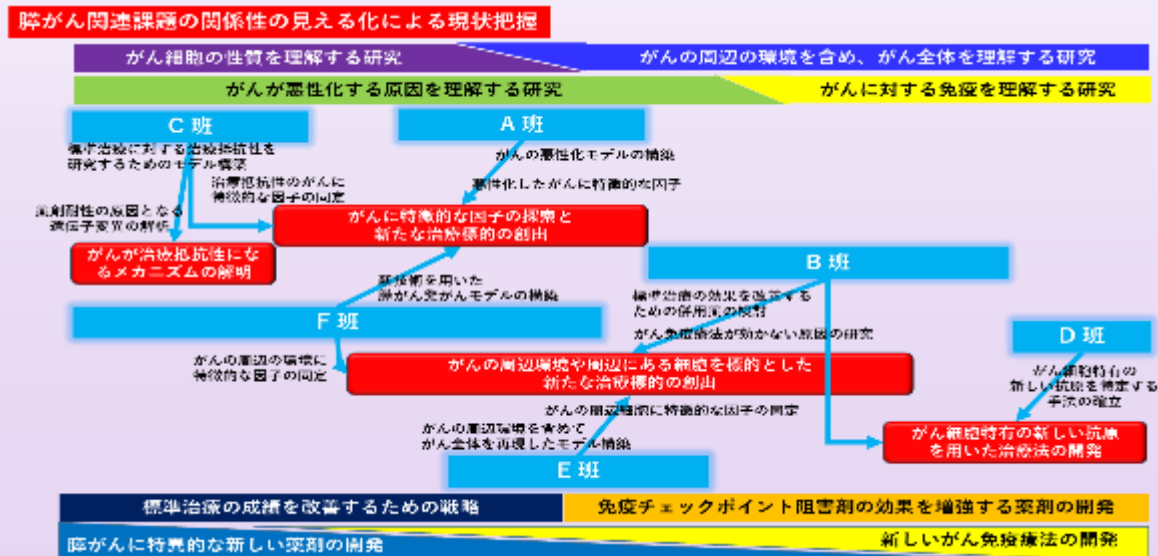
(1) 令和元年度の取組

がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善(隣がん研究の横断的な議論の場の設置に向けた検討)

基礎から実用化まで研究開発をスムーズにつなげるため、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトのがん関連事業が合同で年3回のPD/PS/PO会議等を開催し、今後の効果的な支援や連携方法の方針を議論・決定するなど、がんプロジェクトの一体的な運用と事業運用改善を実施。

(2) 具体的事例

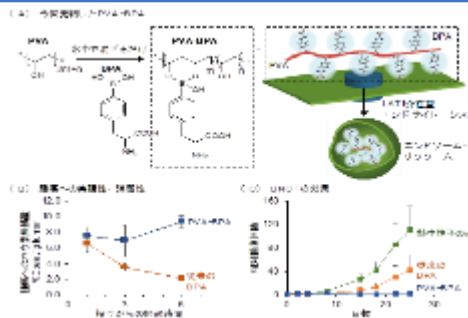
「がん研究10か年戦略」の推進に関する報告書(中間評価)において、難治性がんの研究は、診療・研究に携わる医療従事者が限られていることを踏まえ、研究体制の支援等を含め、戦略的に中長期的な研究支援を行うべきであると指摘されている。難治性がん研究を加速するためのモデルケースとして、次世代がん事業と革新的がん事業のサポート機関が協力して、両事業で支援している隣がん関連課題の相互関係を分析した俯瞰図を作成し、全体像を把握した上で、PD/PS/PO会議において、今後の効果的な支援や連携に向けた検討を行い、今後、本事業が事務局として、隣がん研究を実施している研究者が集まり、情報共有・意見交換等をおこなう会議を開催する等、事業の枠を超えた横断的な議論の場の設置を進める方針を取り纏めた。



6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト〈参考1〉

1. 「スライムの化学」を利用した第5のがん治療法 ～液体のりの主成分でホウ素中性子捕捉療法の効果を一挙に向上～

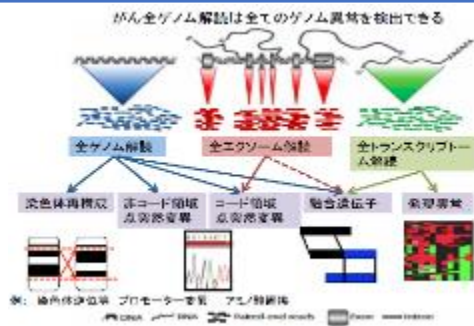
実施機関：国立大学法人東京工業大学



- スライムの合成に用いられる化学反応を利用して、中性子捕捉療法でがん細胞の殺傷に用いられるホウ素化合物に、液体のりの主成分であるポリビニルアルコールを結合させたところ、がん細胞に効率よく取り込まれ、その滞留性を大きく向上できることを発見するとともに、マウスの皮下腫瘍に対して根治に近い治療効果が得られることが示された。
- スライムを作るように容易な製造方法で顕著な治療効果の向上が得られることから実用性に優れ、企業の協力のもと実用化に向けた検討が進められており、今後従来の方法では治療困難ながん種に対する革新的治療法として臨床応用が期待される。

2. 世界規模の国際ネットワークによる最大のがん種横断的全ゲノム解読～日本人症例での解析を進めることで日本人に最適な臨床開発への発展を期待～

実施機関：国立研究開発法人国立がん研究センター



- 国際がんゲノムコンソーシアムICGCが主導するがん種横断的な全ゲノム解析プロジェクトに参加し、38種類のがん種、2,658症例という過去に例のない巨大ながん全ゲノム解読データの統合解析によって、ヒトゲノムの約99%を占める非遺伝子領域における新たな異常、突然変異や染色体構造異常に見られる特徴的なパターンの解明など、ヒトがんゲノムの多様な全体像の詳細が明らかにされた。
- ヒトがんゲノムの全貌解明による新たな診断法・治療法の開発や、現在のゲノム医療で用いられている遺伝子パネルの追加・更新、日本人に多い症例の大規模全ゲノム解析による日本人に最適な臨床開発への展開など、成果の幅広い応用が今後期待される。

3. ALK阻害剤アレクチニブが再発・難治性ALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対し薬事承認を取得

実施機関：国立病院機構 名古屋医療センター

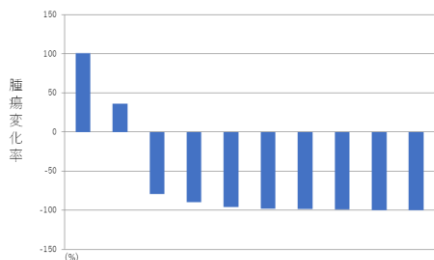
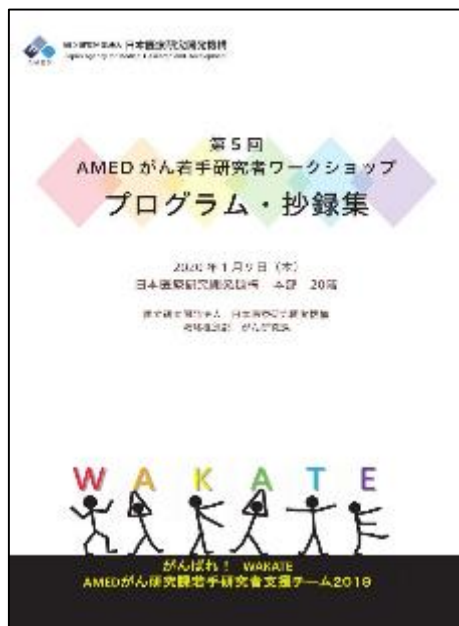


図 アレクチニブ投与による個々の症例における腫瘍量の変化各バーが1症例を表します。全10例中8例に奏効を認めました。

- 希少疾患である再発・難治性のALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対する、標準的な化学療法に代わる分子標的療法として、ALK阻害剤アレクチニブの有効性と安全性を評価する医師主導治験を実施。10例中8例で奏効が認められ、そのうち6例は完全奏効が得られるなど高い有効性が確認され、アレクチニブの再発・難治性ALK陽性未分化大細胞リンパ腫患者に対する効能・効果追加が薬事承認された。
- ALK阻害剤がALK陽性未分化大細胞リンパ腫に保険適用されるのは世界初であり、標準的な治療法が確立されていなかった再発・難治症例ALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対して、有望な治療選択が増えたことは、本疾患における今後の治療に大きく寄与することが期待される。

6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト〈参考2〉



第5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、若手研究者対象とした公募等を実施した。
- 次世代がん医療創生研究事業及び革新的がん医療実用化研究事業において、若手リサーチレジデントを83人採用、若手育成枠101名を採択した。また、若手ワークショップを計5回開催し、のべ166人の若手研究者が参加した。さらに、計29人の若手研究者を海外研究へ派遣し海外研究者との交流を実現した。このような取り組みを通じ、若手研究者育成を進めた。



令和年度ジャパン・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3事業(文部科学省事業、厚生労働省事業、経済産業省事業)の合同発表会を計画・準備した。本発表会では、「がん研究が未来を変える」をテーマに、ゲノム医療や新しい免疫療法など最近注目されているがん研究を、講演やポスター発表、治験紹介ブースなど多彩な企画を通して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工夫を計画した。コロナ感染防止対策のため、開催は中止となったが、参加予定者に研究成果をまとめた要旨集の配布をおこない、がん研究への理解増進を進めた。



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をおこなった。
- BioJapan2019への出展などを通じ、産業界への積極的な情報発信により、研究成果の企業導出を促進した。

7. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト

(1) 令和元年度の取組

精神・神経疾患の克服を目指して、適切に文部科学省、厚生労働省ならびに経済産業省との役割分担と連携を行い、基礎から臨床に至る研究開発、特に認知症について治験対応コホート研究の開始など、成果の社会への還元を見据えて効率的な事業運営の推進を継続した。

(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。事業間での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。
 - 文部科学省事業：モデル動物またはヒト試料を用いた病態や発症メカニズムの解明を目指した基礎研究を継続した。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課題の新規公募・採択により、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強化した。
 - 厚生労働省事業：バイオマーカー開発研究の基盤となるコホート研究や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、サポート体制の強化を図った。令和元年度からは、前臨床期と前認知症期を対象として、縦断的な観察研究と被験者のリクルートの両立を目的とした国内最大規模の治験即応『トライアルレディコホート(J-TRC)』を開始した。
 - 経済産業省事業：認知症のリスク低減・早期検知・ケア等の領域において、企業・自治体等と連携し、質の高い技術・サービス・機器等の社会実装に資する研究を推進した。

7. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト<参考>

認知症への取り組み



AMEDの支援体制の下、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

「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

臨床研究

連携

・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の継続

協力・連携

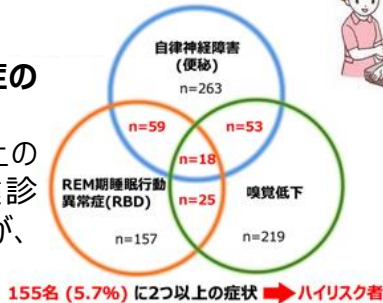
「認知症対策官民イノベーション実証基盤整備事業」
評価手法・指標の確立など有用な介入法の実証基盤の整備

主な成果

レジストリの活用による
パーキンソン病・認知症のリスク評価

パーキンソン病と
レビー小体型認知症の
リスク評価

日本人の50歳以上の
自覚症状がない健診
受診者のうち5.7%が、
ハイリスク者と判明



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



介入法の実証基盤



縦断的な観察研究と被験者の
リクルートの両立を目的とし
た国内最大規模の治験即応
『トライアルレディコホート (J-
TRC) を開始

大学・医療機関・民間企業等コンソーシアムへの委託

8. 新興・再興感染症制御プロジェクト

(1) 令和元年度の取組

- ・ 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。

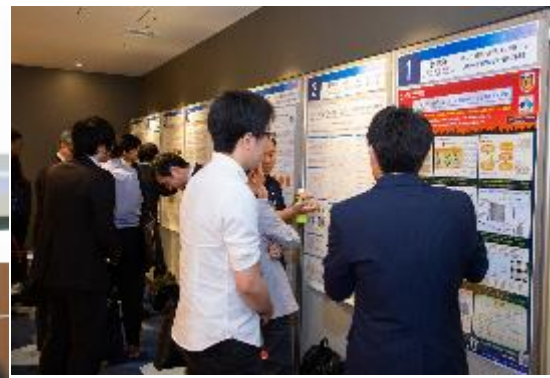
(2) 具体的事例

- ・ 薬剤耐性(AMR)研究の国際連携、JPIAMR(Joint Programming Initiative on Antimicrobial Resistance)の活動として、アジアAMRワークショップ(2019年12月)、Hacking AMR(2019年12月)等に研究者を派遣して日本の研究者を海外ネットワークにつなげ、数学やAIなど新たな視点によるAMR研究推進の取り組みにも貢献した。
- ・ J-GRID国際フォーラム(Asian-African Research Forum on Emerging and Reemerging Infections)の開催
アジア・アフリカ9拠点及び国内から研究者200名以上が2019年9月に北海道大学において、コレラ菌等の不顕性感染者発見、迅速診断キット・多剤耐性結核治療薬開発等の最先端の研究成果の発表(口頭40件、ポスター97件)や意見交換を2日間行い、拠点を越えたグローバルな研究ネットワーク形成を探る有意義な機会となった。
- ・ 2019年GloPID-R総会ホスト、同時開催のデータシェアリングに関するサイドイベントを企画開催した。さらに、GloPID-Rの”Joint funding Mechanism”検討ワーキンググループに参加して、共同研究の可能性を探った。また新型コロナウイルスに関して、WHOとGloPID-Rが共同で開催したフォーラムに参加し、研究開発ロードマップをまとめた。

8. 新興・再興感染症制御プロジェクト〈参考〉

AMRシンポジウム開催による情報共有および意見交換

- ・ 今般、薬剤耐性(AMR)は依然として世界中の大きな問題となっていることから、薬剤耐性問題の克服に向けて、国、医療者、患者等様々なプレイヤーが本課題に真剣に取り組を進めることに向けて、第2回目AMRシンポジウムを開催した。今回は、英米両政府から専門家を招きAMR創薬に係るPush/Pull Incentiveなどについての情報提供を受けると共に、前回同様アカデミアや企業等の研究者間の情報共有、さらには産学連携の機会促進を図り、関連団体や研究機関から講演者を招き、意見交換を行った。



J-GRID「アジア・アフリカ リサーチフォーラム2019」にて 9拠点から研究成果発表・意見交換

- ・ J-GRIDのアジア・アフリカ9拠点及び国内から200名以上の研究者が北海道大学に集まり(約1/3が海外から参加)、2日間、ノロウイルスやコレラ菌の不顕性感染発見、デング熱迅速診断キット開発、多剤耐性結核治療薬候補など最先端の研究成果の発表(口頭40件・ポスター97件)と意見交換を行った。新たな視点の示唆や拠点間の人脈形成を通じて、グローバルな研究ネットワーク形成を探る有意義な機会となり、令和2年度新規事業の海外拠点研究や海外拠点活用研究へのステップアップが期待される。



9. 難病克服プロジェクト

(1) 令和元年度 of 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。

また「糖鎖利用による革新的創薬技術開発事業」と連携する「糖鎖異常が関連する希少難治性疾患の克服研究分野」を創設しシーズ探索研究課題(糖鎖ステップ0・糖鎖検査ステップ0)の公募を行った。

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、希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究分野では若手研究者について別の公募枠での公募採択を引き続き実施し、若手研究者の育成を含む研究開発支援を行った。

(2) 具体的事例

- ・ 難治性疾患実用化研究事業において、課題採択においては公募毎に専門性を有する評価員や科学技術調査員を拡充し、専門性毎に分科会を設置の上、システムにより評価領域の最適化を実施した。また課題管理においては研究費の規模や社会的インパクト、開発上の懸念や問題の予想可否(Risk)により分類し、課題管理の時期や関与度合いを最適化するとともに、指標も定量的又は定性的な手法を使い分けた上で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。さらに基礎から実用化への移行するに従い、ターゲットプロダクトの厳格な適応や、研究体制に毒性評価やPK/PD、薬事担当者を求める等、切れ目のない最適な研究が実施できるよう、公募要領の規定やPSPOの課題管理での支援を実施した。
- ・ 若手研究開発代表者を対象としたPSPOヒアリングを実施し、課題管理のみならず外部識者による講演および互いの研究開発に対する意見交換の場を提供した。

糖鎖異常が関連する希少難治性疾患の克服研究

- 先天性疾患において糖鎖異常が病因に関わるとの知見の集積が急速に進んでいる。
- 未診断疾患イニシアチブ（IRUD）による解析等により糖鎖異常が関連する新規疾患の発見も増加している。
- 我が国ではこれまで糖鎖に関する世界レベルの基礎研究技術を開発しており、近年AMEDの「糖鎖利用による革新的創薬技術開発事業」においても糖鎖をターゲットとした創薬技術開発が進められている。

「糖鎖利用による革新的創薬技術開発事業」と連携した「糖鎖異常が関連する希少難治性疾患の克服研究分野」の創設と公募（糖鎖ステップ0・糖鎖検査ステップ0）

経産省PJ

糖鎖利用による革新的創薬技術開発

国立研究開発法人日本医療研究開発機構
AMED
平成28年度予算額:8億円(新規)

事業の背景

○分子標的薬の開発では創薬標的の枯渇が深刻な問題となっており、タンパク質以外の創薬標的として糖鎖の可能性に期待が高まっている。

○これまでの糖鎖研究事業の成果として、レクチンアレイや質量分析、糖タンパク質合成、糖鎖関連データベース、糖鎖遺伝子ノックアウトマウスなど、世界レベルの基礎研究技術を開発し、技術の一部は、肝臓腫瘍マーカーをはじめとする診断マーカーの開発に繋がった。

○しかし、これらの技術は創薬技術としては統合されてこなかったため、これまでの創薬開発には十分に活用されていなかった。

事業の目的

○糖鎖に関する我が国の基礎研究技術を創薬標的の探索という方向に束ねて支援する

○国際的にも競争力のある、糖鎖標的の探索のための基盤技術を確立する。

事業の波及効果

糖鎖を標的とする創薬の可能性を上げ、国内発の新たな分子標的薬の創出を支援する

事業内容

○創薬標的になりうる糖タンパク質等(糖鎖標的)を特定し、創薬標的としての意義を解明するため、以下の[1]～[5]の研究開発課題項目を設定。それらを有機的に統合し、創薬標的探索のための技術基盤開発を行う。

研究開発項目

[1] 低数量の糖鎖標的を抽出、検証

[3] 糖鎖標的を製造

[2] 糖鎖標的を精密に構造解析

[4] 糖鎖標的に対する阻害分子作成

↓
[5] 発見された糖鎖標的の創薬意義解明

事業の目標

- 企業が求める、糖鎖を標的とした創薬を推進するための技術基盤を確立
- 各要素技術の開発成果は、糖鎖創薬に関わる受託製造・受託解析等にも使用

製薬企業等の意見やニーズを反映

2016/4/15

糖鎖利用による革新的創薬技術開発公募説明会

厚労省PJ

C.糖鎖異常が関連する希少難治性疾患の克服研究分野

研究開発課題名	代表機関	研究開発代表者	役職
C-1 糖鎖異常関連疾患に関する医薬品のシーズ探索研究(糖鎖ステップ0)			
福山型筋ジストロフィーおよび筋弱の糖鎖異常型筋ジストロフィーに対する糖鎖補充療法の開発	神戸大学	金川 基	講師
T細胞上のコアフコスを標的とするクローン病治療薬の開発	大阪大学	深瀬 浩一	教授
C-2 糖鎖異常関連疾患に関する体外診断用医薬品のシーズ探索研究(糖鎖検査ステップ0)			
糖鎖異常関連疾患のフリストップ検査体制の構築と関連診断法の開発	京浜大学	西原 祥子	教授
低レクチンアレイ解析を用いた腎臓疾患診断キットの開発	岡山大学	和田 洋	教授