

# 令和2年度第3回医療分野の研究開発関連の 調整費(理事長裁量型経費)について

---

令和2年11月17日

日本医療研究開発機構

理事長 三島良直

# 三島イニシアティブ ～第1弾～

## 世界最高水準の医療の提供に資するデータ利活用推進基盤の構築



質の高い医療をお届けするため、デジタル社会における医療研究開発を推進するプラットフォーム構築に取り組みます。

### 日本におけるゲノム医療の実現 【個別化医療に向けた研究等の着実な推進】

#### ● 三大バイオバンクを中心にバイオバンク連携を推進

- 既存試料の横断的利活用を推進する体制整備
- 試料の情報化（全ゲノム解析等）を推進し安定した利用を実現
- 前向きの詳細な臨床情報を持ち、包括的研究利用およびリコンタクト可能な日本人全ゲノム解析データの利活用を推進

#### ● 大規模ゲノム解析基盤を整備

- 拠点スパコンの能力を最大化し運用を効率化するクラウド化
- プライバシー保護を実現する高セキュリティ解析環境
- バイオインフォマティクス研究者の育成

#### ● AMED組織改編によるデータ利活用体制を構築

- 個人ゲノム・臨床情報を対象としたデータシェアリングを推進
- データ利用審査委員会の設置
- 産学官民が連携したデータ利活用を推進



国立研究開発法人  
日本医療研究開発機構  
理事長 三島良直

#### 6つの統合プロジェクト

①医薬品PJ

②医療機器・ヘルスケアPJ

③再生・細胞医療・遺伝子治療PJ

④ゲノム・データ基盤PJ

⑤疾患基礎研究PJ

⑥シーズ開発・研究基盤PJ

ゲノム・データ基盤PJを中核に、全プロジェクトで推進

# 令和2年度第3回医療分野の研究開発関連の調整費 (理事長裁量型経費)の重点化方針

## 1. 日本におけるゲノム医療実現のための大規模データ解析基盤の整備

三大バイオバンク<sup>※</sup>の連携強化と試料の情報化（全ゲノム解析等）を進めるとともに、このゲノム情報を臨床情報と合わせてデータシェアリングができ、データのプライバシーを保護しつつ大規模解析ができるプラットフォームを整備することにより、日本における個別化医療・個別化予防を実現し、社会貢献を具現化する取組を重点的に支援。

※ 三大バイオバンク・・・東北メディカル・メガバンク（TMM）、バイオバンク・ジャパン（BBJ）、ナショナルセンター・バイオバンク・ネットワーク（NCBN）

## 2. 新型コロナウイルス感染症対策のための研究開発の重点的加速・強化

新型コロナウイルス感染症対策のうち、補正予算や調整費等にて既に成果が得られている研究開発を重点的に加速・強化するため、①新型コロナウイルス感染症から回復された者の免疫細胞等の詳細解析や全ゲノム解析を行うことにより、特定の患者が重症化するメカニズム等を明らかにする研究開発や、②新型コロナウイルス感染症の新規治療薬開発を加速するための追加試験等を重点的に支援。

## 3. 成果をいち早く社会還元するための研究開発の一層の加速

上記2. の新型コロナウイルス感染症対策に限らず、基礎から実用化までの一貫した支援の中で、国際競争力、日本発等の観点で成果が期待でき、いち早く研究成果を社会に還元するため、現時点で加速・充実すべき研究開発を重点的に支援。

# 1. 日本におけるゲノム医療実現のための大規模データ解析基盤の整備

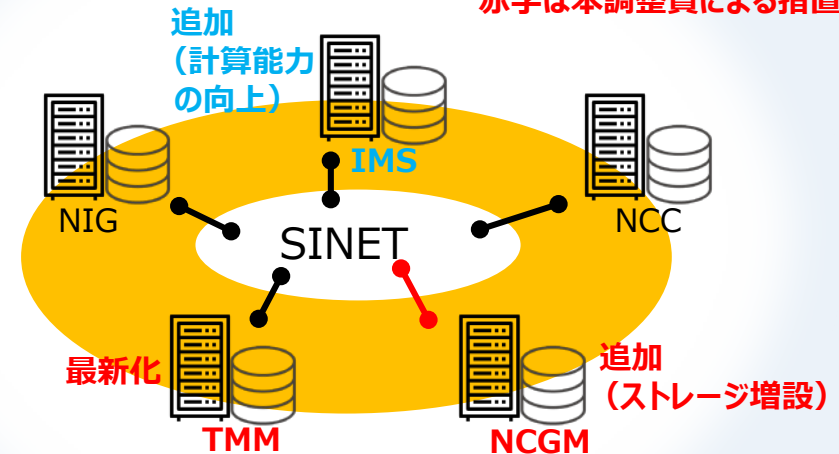
日本における個別化医療・個別化予防を実現するため、バイオバンク試料の全ゲノム解析とそのデータのシェアリングを推進することにより、産学官民が連携した力強い研究、基礎から実用化までの一貫通貫した研究の加速が期待されることから、三大バイオバンクの連携強化・大規模データ解析基盤の構築が急務であり、重点的に支援する。

## ■三大バイオバンクの連携強化と大規模データ解析基盤の構築

- R2年11月6日ゲノム協議会において、全ゲノム解析について、がんや難病のゲノム医療を進めるために必要となる2.8万症例のコントロール群の構築や、三大バイオバンク連携の強化とスパコン連携の増強、解析データの利活用を促進する方針が示された。
- 特に、R3年度より全ゲノム実行計画（がん・難病）が大規模化することに備え、強力な計算能力と高速アクセス可能な大容量ストレージが求められるが、スパコン連携の主要な一極であるTMMスパコンについては最新機種に比較して劣位となっている。TMMスパコンの最新化により計算性能の3~5倍の向上が見込まれており、最新化が喫緊の課題となっている。
- また、全ゲノムデータを共有するためのサーバがNCGMに設置されたことから、このサーバを増強して連結することにより、データ量の課題に対応すると共に、他の全ゲノムデータとの統合利用が可能となり、利便性が向上する。
- 今後、NCGMが解析拠点となる難病全ゲノム実行計画の全ゲノムデータについても、シェアリング時の利便性が図られる。

### 大規模データ解析基盤

青字は第2回調整費による措置  
赤字は本調整費による措置



IMS : 東京大学医科学研究所  
NIG : 国立遺伝学研究所  
TMM : 東北メディカル・メガバンク

NCC : 国立がん研究センター  
NCGM : 国立国際医療研究センター

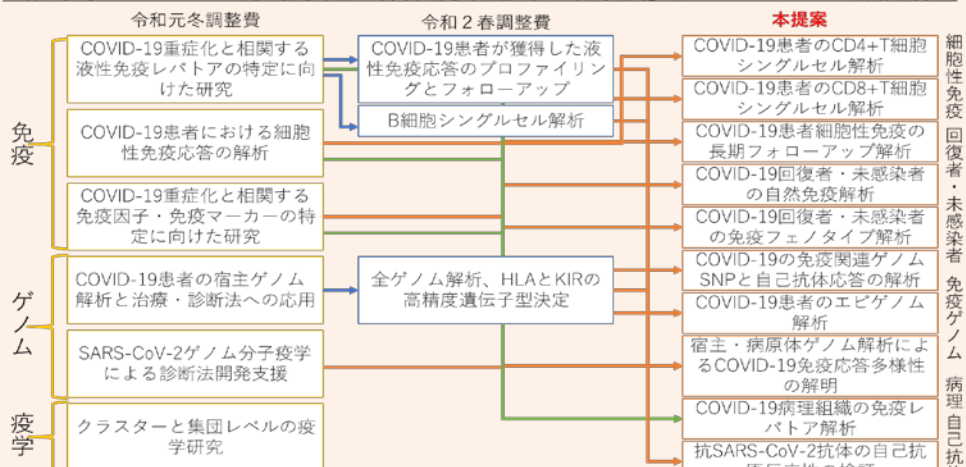
## 2. 新型コロナウイルス感染症対策のための研究開発の重点的加速・強化

新型コロナウイルス感染症対策のための研究開発のうち、既に一定の成果が得られている研究開発課題を重点的に加速・強化する観点から、発症予防・重症化等の解明に関する研究開発や治療薬開発を重点的に支援する。

### ■ COVID-19に対する免疫応答とその背景となるゲノム情報の解明

- 新型コロナウイルス感染者の重症化等の予後を予測する上で、新型コロナウイルスに対する免疫の重要性が示唆されている。本研究課題は、COVID-19患者検体（200例のWGA、一部のレパトア）の解析を行う中で、ケモカイン※の一種であるCCL17が患者の予後予測因子になる可能性を示唆する等の結果を得ている。
- 上述の成果を活用し、日本人検体の免疫及び宿主・病原体ゲノムについて、更に詳細な解析を行うことにより、COVID-19のより詳細な病態解明を行い、創薬起点の発見に繋げる。

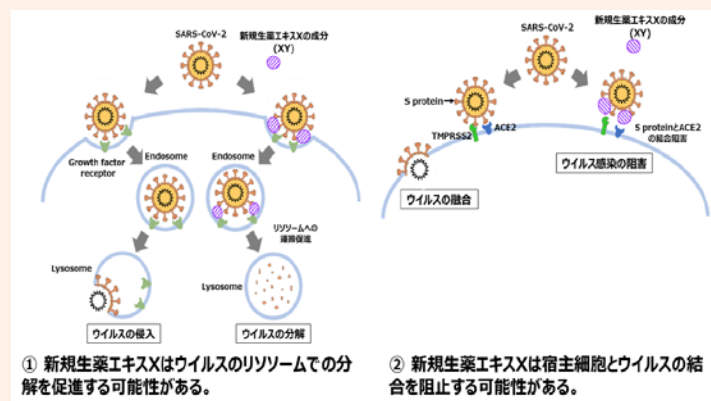
「病理学的アプローチによる先天性感染症・原因不明感染症診断法の開発研究」班におけるCOVID-19研究開発状況



※ケモカイン：白血球が炎症部位へ移動する際の誘引物質など、特定の細胞を引き寄せる効果を持つ蛋白質

### ■ 抗SARS-CoV-2活性を有する新規生薬エキス製剤の開発

- 原料生薬Yから副作用成分を除去した新規生薬エキスXが*in vitro*にて強い抗SARS-CoV-2活性を有することが確認され、COVID-19治療薬として応用できる可能性が高いことが示唆されている。
- 新規生薬エキスXは、ヒトでの実用化が強く求められているが、初期被験者の入院管理下実施、評価基準明確化、ウイルス量測定追加、規格試験方法整備等、PMDAとの面談の結果、より適切な治験計画への大幅変更を求められている。
- 上述の課題を解決し、治験計画、体制の最適化により、治験終了後の円滑な承認審査が可能となり、早期実用化への寄与が期待される。



# 3. 成果をいち早く社会還元するための研究開発の一層の加速①

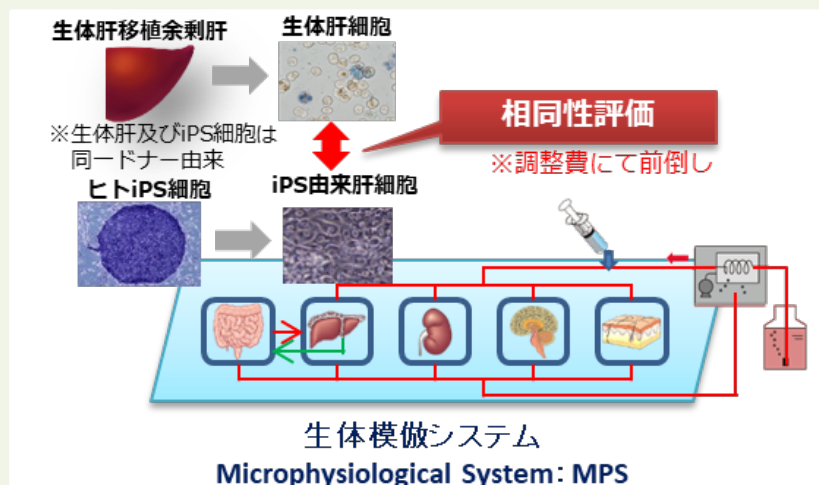
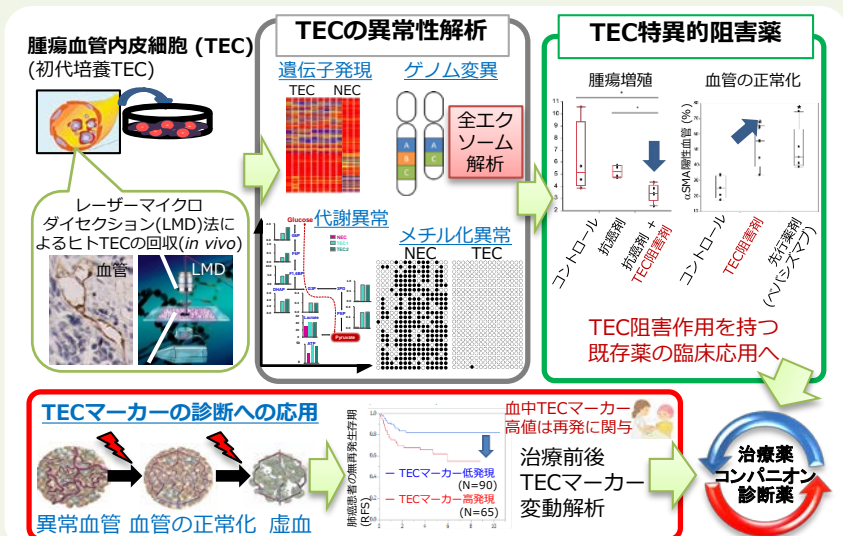
日本発の世界最先端の研究開発や国際的優位性を有する研究開発を一層加速することにより、世界に先駆けて研究成果を社会還元すること等が期待される取組を重点的に支援する。

## ■ 腫瘍血管内皮細胞の分子基盤の解明による腫瘍血管特異的な新規血管新生阻害剤とそのコンパニオン診断薬の開発

- 令和2年7月、抗がん剤治療による炎症性変化が、腫瘍血管内皮細胞に薬剤耐性を誘導することを世界で初めて報告した。
- 新たに特定した腫瘍血管特異的な阻害剤には、先行薬剤の問題である正常血管への障害による臓器障害(肺・消化管・脳等)の所見は一切認められないことを見出した。
- 副作用のない腫瘍血管標的薬の開発が世界的に希求されており、新規治療薬候補について臨床試験を視野に入れ、国際的優位性を確保すべく創薬開発を加速する。

## ■ 創薬スクリーニング用iPS細胞由来肝細胞の開発加速

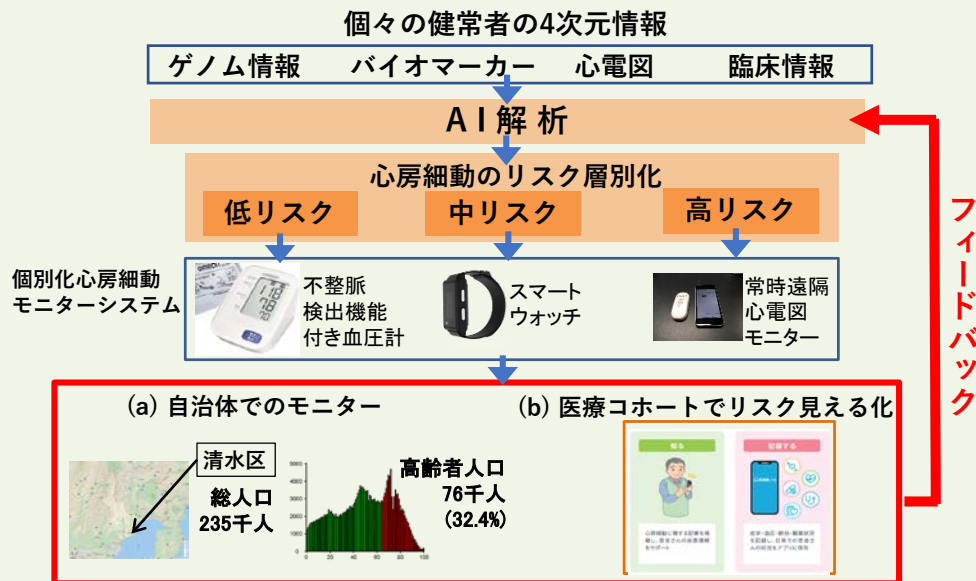
- 本課題では、iPS細胞から分化させた細胞等をプラスチック製チップ上に搭載することで、薬剤を投与した際の人体反応をシミュレーションできるデバイス【生体模倣システム(MPS)】の開発を目指している。
- 令和2年8月、細胞への「ステルスRNA」の導入によりわずか2μl(通常は数十ml)の血液から高品質・高均質のiPS細胞が作製可能となった。これにより、短期間でのiPS細胞の作製が可能となり、生体肝移植時の残余肝と同ドナーから得られるiPS細胞の作製が完了した。
- 調整費においては、上記の生体肝とiPS由来肝細胞との比較試験(相同性評価)を前倒しで実施し、我が国技術のデファクトスタンダード化を確実に進める。



# 3. 成果をいち早く社会還元するための研究開発の一層の加速②

## ■ インテリジェント心房細動予防・検出インフラの構築

- 本課題では、自覚症状のない健常者における心房細動リスク予測のAIアルゴリズムを開発し、心房細動のリスクに応じた先制医療のインフラを構築して、心房細動に起因する脳梗塞の予防を目指している。
- 心房細動のリスク予測AIアルゴリズム精度について、予定を上回る研究の進捗があり、ハイリスク健常者や実際の患者での心電図解析が達成できれば、予測AIも医療の場で検証することが可能となることが明らかになった。
- 調整費により、(a)ウェアラブルデバイスを用いた心房細動早期検出を自治体における医療の場で行うとともに、(b)医療コホートで心房細動リスクの見える化を図り利便性を上げ、(a)、(b)の検証結果を研究開発にフィードバックすることで、医療機器としての製造販売承認申請に値するAI予測精度を確保する。



## ■ 心不全の発症要因である力学的ストレスを標的とした治療法の開発

- 本課題においては、心不全の原因分子（細胞が放出する情報伝達物質やたんぱく質など）の特定を行い、治療薬が存在しないタイプの心不全（症例全体の半数以上）を標的とした新たな治療法の確立を目指している。
- 令和2年8月、心不全の原因分子が想定外に多い（想定5~6種類が60種類）ことや心不全との関連が見られていなかった分子（ドーパミン受容体など）が原因となっていることが明らかになった。
- 調整費では、解析対象を同定した60全分子に広げた上で、一個体から複数の遺伝子機能を解析できる世界初のシステムを用いて、分子や遺伝子の網羅的解析を前倒しで完了させることで、新規治療標的の特定を加速させる。

