

各省連携プロジェクトの工程表

平成27年4月17日

文部科学省

厚生労働省

経済産業省

オールジャパンでの医薬品創出

主な取組	2014年度	2015年度	2016年度	2017年度	2018年度	2019年度	2020年度	達成目標
	支等ネ 援のツ 薬基 盤	創 業 ト ワ ク	創 業 ト ワ ク	創 業 ト ワ ク	創 業 ト ワ ク	創 業 ト ワ ク	創 業 ト ワ ク	
技術開発基盤	創薬に係る各省事業と連携しつつ、関係省の協力や民間研究開発受託機関への委託等により、企業への導出（ライセンスアウト）まで切れ目なく支援							
	工程例	シーズ収集	創薬支援	導出判断	企業への導出			
		医薬基盤・健康・栄養研究所、理化学研究所、産業技術総合研究所、文部科学省「創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業」						
	臨床研究・治験の推進及びコンパニオン診断薬、ドラッグリポジショニング等の創薬の基盤に係る研究の推進（厚生労働省 医療技術実用化総合研究事業（臨床研究・治験推進研究）、厚生労働省 創薬基盤推進事業）							
	(イメージ) 非臨床試験	非臨床試験	治験 新たな課題を随时採択		薬事承認申請			【2015年度まで】
	先進B	先進医療の実施	企業による第Ⅲ相試験 新たな課題を随时採択	薬事承認申請				・相談・シーズ評価 累計400件
	医師主導治験	第I / II相医師主導治験	企業による第Ⅲ相試験 新たな課題を随时採択	薬事承認申請	※ 本事業において支援する範囲			・有望シーズへの 創薬支援 累計40件
								・企業への導出 (ライセンスアウト) 1件
	革新的な医薬品等の開発（文部科学省 革新的先端研究開発支援事業）				企業等への導出			【2020年頃まで】
	次世代バイオ医薬品技術の開発（文部科学省 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業）			企業等への導出				・相談・シーズ評価 累計1,500件
その他	医薬品探索・製造基盤技術の開発（経済産業省 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業）							・有望シーズへの 創薬支援 累計200件
	◆バイオ医薬品製造技術開発 天然化合物の生理活性評価技術の開発	個別要素	要素技術の融合、全体製造システムの構築・実証		企業への導出			・企業への導出 (ライセンスアウト) 累計5件
	技術開発	抗体生産細胞株の最適化	他 低侵襲サンプリング診断技術開発、医薬品シーズ探索技術開発					・創薬ターゲットの同定 10件
	希少疾患治療薬等の開発支援（先駆的医薬品・医療機器研究開発支援事業）							
	審査の迅速化、質の向上と安全対策の強化（厚生労働省 医薬品等規制調和・評価研究事業）							
(イmage) 課題A	最先端技術を用いた医薬品の品質・有効性・安全性を評価するまでの課題に対して適時適切に対応 実用化するまでの 課題の特定	評価ツールの開発	バリデーション	ガイドラインの整備 国際標準化				
	課題B 例：核酸医薬（架橋型核酸医薬の安全性評価）、（核酸医薬の薬物送達システムの評価基準策定）							
	課題C	副作用バイオマーカーの同定・検証						
	精神活性物質の迅速検出方法の開発							

オールジャパンでの医療機器開発

主な取組

2014年度 2015年度 2016年度 2017年度 2018年度 2019年度 2020年度

達成目標

日本発の優れた医療機器の開発

(1)

医療機器開発

世界最先端の医療機器開発

- ・文部科学省 「医療分野研究成果展開事業(先端計測分析技術・機器開発プログラム、研究成果最適展開支援プログラム、戦略的イノベーション創出推進プログラム、産学共創基礎基盤研究プログラム)」
- ・経済産業省 「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」
- ・厚生労働省 「医療機器開発推進研究事業」



【2015年度まで】

- ・医療機器開発・実用化促進のためのガイドラインを新たに10本策定
- ・国内医療機器市場規模の拡大 2.7兆円

【2020年頃まで】

- ・医療機器の輸出額を倍増(平成23年約5千億円→約1兆円)
- ・5種類以上の革新的医療機器の実用化
- ・国内医療機器市場規模の拡大 3.2兆円

中小企業の技術力を活用した医療機器開発

- ・経済産業省 「医工連携事業化推進事業」
- ものづくり中小企業と医療機関が連携した医療機器の開発

オールジャパンでの医療機器開発

主な取組	2014年度	2015年度	2016年度	2017年度	2018年度	2019年度	2020年度	達成目標
日本発の優れた医療機器の開発								
医療機器開発支援体制の整備								
人材育成等を通じた医療機器開発の支援								
・厚生労働省「国産医療機器創出促進基盤整備事業」 ・経済産業省「医工連携事業化推進事業」(再掲)								
医療機器開発支援機関の連携体制の整備・運用、人材育成・活用								
医療機器開発支援ネットワーク								
医療機器開発支援ネットワーク構築に向けた調査								【2015年度まで】 ・医療機器開発・実用化促進のためのガイドラインを新たに10本策定 ・国内医療機器市場規模の拡大 2.7兆円
審査の迅速化・質の向上と安全対策の強化								【2020年頃まで】 ・医療機器の輸出額を倍増(平成23年約5千億円→約1兆円) ・5種類以上の革新的医療機器の実用化 ・国内医療機器市場規模の拡大 3.2兆円
高生体適合性人工足関節等の開発ガイドライン策定 (2015年までに10本)								
医療機器A								
医療機器B								
医療機器C								
:								

革新的医療技術創出拠点

主な取組	2014年度	2015年度	2016年度	2017年度	2018年度	2019年度	2020年度	達成目標
革新的医薬品・医療機器の創出	革新的な医薬品・医療機器の創出							①革新的な基礎研究の成果を一貫して実用化に繋ぐ ②国際水準の質の高い臨床研究・治験を実施・支援する体制を整備 ③革新的な医薬品・医療機器等を持続的にかつより多く創出する
	基礎研究の支援	有望なシーズを集める体制整備、専門家による知財戦略策定等によりシーズを増加						
	前臨床試験の支援	専門人材・拠点設備の支援によりPOC取得までを加速					(次頁参照)	
	臨床試験・治験の支援	質の高い臨床試験・治験実施体制等を整備し、試験実施を加速					(次頁参照)	
	拠点の機能強化及び充実							
	人員の定員化、自己収入の充当							
	CPC・PhaseI病床・データセンター等の整備							
	拠点経費・研究費の統合							
	運営体制統合							
	【自己収入の獲得】 ・治験収入 ・シーズ支援による収入 ・企業へのライセンスアウト ・拠点のリソース提供（CPC、PhaseI病床）等							
臨床研究・治験実施環境の向上	TRネットワーク機能の構築							【2015年度まで】
	拠点間ネットワーク・拠点内ネットワークの拡大							
	相互モニタリング・監査体制の整備							
	拠点リソース共有システムの構築							
	拠点外へモニター・監査を提供							
臨床研究・治験実施環境の向上	拠点リソースの有効活用によるシーズ開発の加速							【2020年度まで】
	倫理委員会認定制度構築							
	認定倫理委員会による質の高い倫理審査							
	教育・研修の充実							
臨床研究・治験実施環境の向上	他機関への研修機会の提供							
	モニタリング・監査の充実							

革新的医療技術創出拠点

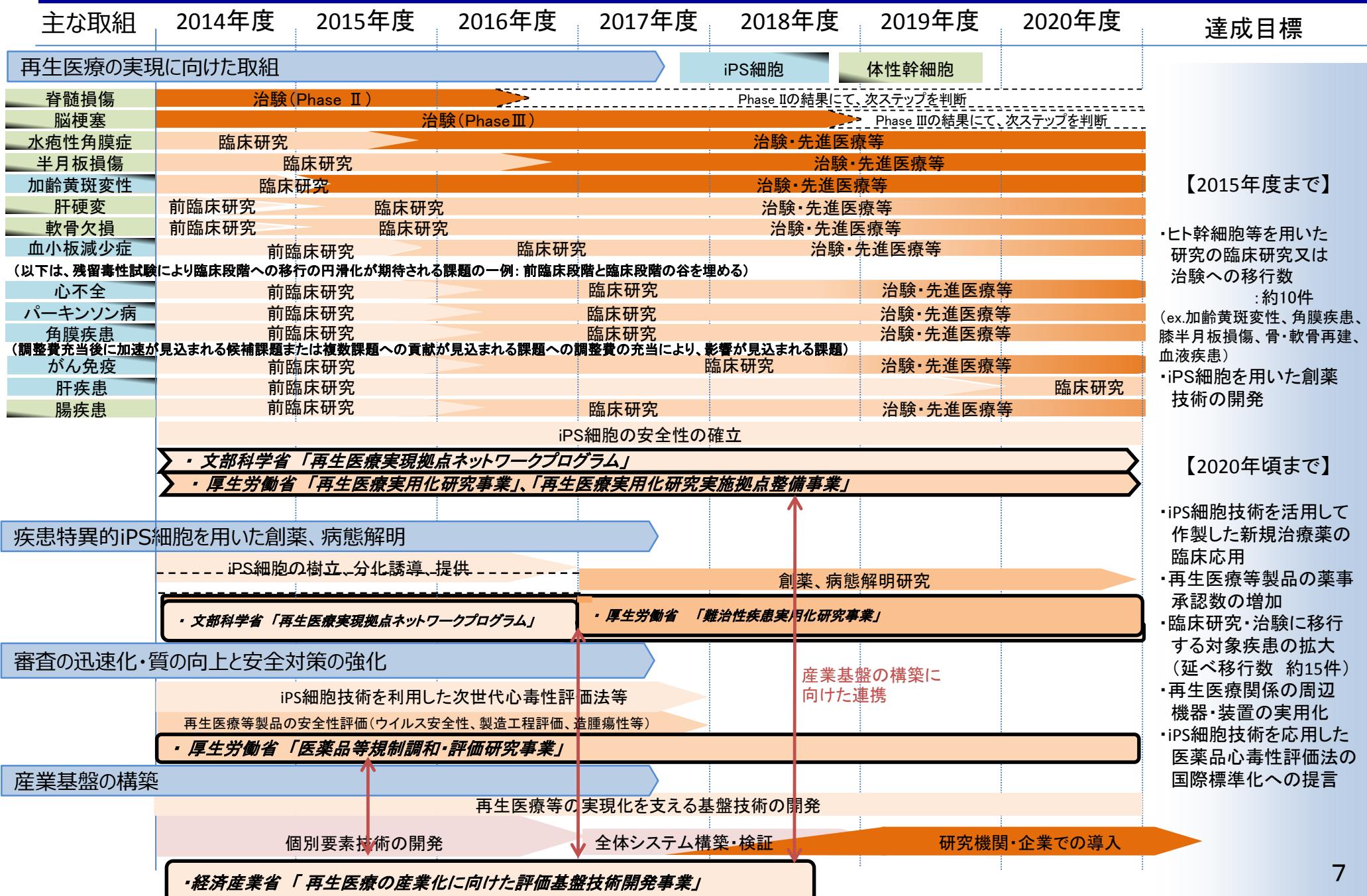
主な取組	2014年度	2015年度	2016年度	2017年度	2018年度	2019年度	2020年度	達成目標
革新的医薬品・医療機器の創出	革新的な医薬品・医療機器の創出							①革新的な基礎研究の成果を一貫して実用化に繋ぐ ②国際水準の質の高い臨床研究・治験を実施・支援する体制を整備 ③革新的な医薬品・医療機器等を持続的にかつより多く創出する
	非臨床試験	治験、臨床試験、企業導出等						【2015年度まで】 ・医師主導治験届出数 21件(年間) ・FIH試験※(企業治験含む) 26件(年間)
	2014年度末までの非臨床POC取得を目指すシーズ; 急性心筋梗塞症治療用ナノ粒子製剤 皮質脳波を用いたワイヤレス運動・意思伝達機能補填装置 超弾性材料を用いた次世代IVRデバイス ヒト精子の質的機能評価法の生殖補助医療への応用 バイオ3Dプリンターを用いた血液透析用シャント 等							【2020年度まで】 ・医師主導治験届出数 40件(年間) ・FIH試験※(企業治験含む) 40件(年間)
	臨床試験	治験、臨床試験、企業導出等						※ FIH(First in Human)試験: ヒトに初めて新規薬物・機器等を投与・使用する臨床試験
	2014年度末までの臨床POC取得を目指すシーズ; 動体追跡陽子線治療 炭素11標識メチオニンによるPET診断 角膜上皮幹細胞疲弊症に対する自己培養口腔粘膜上皮細胞シート移植法 新規脳梗塞治療薬 手術用治療器(パルスウォータージェットメス) 等							5
革新的医薬品・医療機器の創出	非臨床試験	治験、臨床試験、企業導出等						
	2015年度末までの非臨床POC取得を目指すシーズ; 生活習慣病治療薬 キナーゼを標的とした抗ウイルス薬 非接触迷走神経磁気刺激システムによる急性心筋梗塞治療機器 プロバイオティクス由来物質を用いた新規炎症性腸疾患治療薬 新規尿流測定装置 等							
革新的医薬品・医療機器の創出	臨床試験	治験、臨床試験、企業導出等						
	2015年度末までの臨床POC取得を目指すシーズ; 難治性造血器腫瘍に対するT細胞輸注療法 トラベラーズマリアワクチン 脊髄損傷患者に対する細胞療法 等							
					POC; Proof of concept			

革新的医療技術創出拠点

主な取組	2014年度	2015年度	2016年度	2017年度	2018年度	2019年度	2020年度	達成目標
革新的医薬品・医療機器の創出								①革新的な基礎研究の成果を一貫して実用化に繋ぐ ②国際水準の質の高い臨床研究・治験を実施・支援する体制を整備 ③革新的な医薬品・医療機器等を持続的にかつより多く創出する
	革新的な医薬品・医療機器の創出	非臨床試験	治験、臨床試験、企業導出等					【2015年度まで】 ・医師主導治験届出数 21件(年間) ・FIH試験※(企業治験含む) 26件(年間)
		2016年度末までの非臨床POC取得を目指すシーズ；サイクロフィリンAを用いた心血管病の治療薬 歩行可能な人工網膜 失明患者の視機能再建技術 大腸癌検診法の実用化 アミノ酸誘導体によるがん診断技術 アルツハイマー病に対する脳機能改善薬 ニーマンピック病C型の新規治療薬 等						
		臨床試験	治験、臨床試験、企業導出等					【2020年度まで】 ・医師主導治験届出数 40件(年間) ・FIH試験※(企業治験含む) 40件(年間)
		2016年度末までの臨床POC取得を目指すシーズ；がんのウイルス療法 経鼻インフルエンザワクチン 胎児心電図 上肢骨の変形を矯正するデバイス・インプラント 脳梗塞患者に対する細胞療法 腸管下痢症コメ型経口ワクチン 低侵襲ナノ粒子製剤による虚血治療 骨軟骨組織の再生治療 等						
POC; Proof of concept								

※ FIH(First in Human)試験：ヒトに初めて新規薬物・機器等を投与・使用する臨床試験

再生医療の実現化ハイウェイ構想



疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト

主な取組	2014年度	2015年度	2016年度	2017年度	2018年度	2019年度	2020年度	達成目標	
	疾患メガバイオバンクの構築とこれを活用したゲノム医療の実現								
疾患メガバイオバンクの構築とこれを活用したゲノム医療の実現	<疾患バイオバンク>文部科学省:オーダーメイド医療の実現プログラム(BBJ) 厚生労働省:ゲノム医療実現化推進研究事業、NCバイオバンク事業(NCBN)、治験・臨床研究体制	CGCの連携基盤構築 精神・神経領域 ・大規模ゲノム解析を行う連携基盤の構築(NGS利活用、人材育成等) NC・国立病院機構・JCCG・JCOGとの連携 ・小児がんを含むがん、神経・筋難病、小児先天性疾患等、特定の疾患に関する原因遺伝子解析等、共同研究基盤の整備 ・食道がん、大腸がん、肝がん、乳がん等におけるゲノム解析等、共同研究基盤の整備 MGCの連携基盤構築 ・ゲノム情報の応用を目指した病院組織基盤の整備 等 ゲノム医療実施体制に関する試行的・実証的臨床研究 ・偶発的所見(IF)等に関する臨床研究の実施、ゲノム医療研究により得られる患者等情報や知的財産の管理手法、ゲノム情報相談員の養成等	精神・神経領域 ・遺伝性筋肉疾患をはじめとした神経・筋難病の原因遺伝子の同定 小児領域 ・小児先天性疾患、アレルギー性疾患、妊娠合併症等の原因遺伝子の同定 がん領域 ・抗がん剤の治療反応性や副作用予測等、臨床応用可能な関連遺伝子の同定 治療最適化研究、イミュノジエネティクス研究 等	同定遺伝子の実証性検証	同定された遺伝子情報を用いた診断・治療法の介入型臨床研究の実施 治療反応性や副作用予測等、関連遺伝子情報を用いた診断・治療法の介入型臨床研究の実施 等	(2020年以降) ゲノム解析情報に応じた疾患の病型分類や診療ガイドラインの改定等、新たなゲノム医療の実現 等	MGCへの導出	【2015年度まで】 ・バイオバンクジャパン、ナショナルセンターバイオバンクネットワーク、東北メディカルメガバンク等の連携の構築 ・疾患に関する全ゲノム多様性データベースの構築、日本人の標準的なゲノム配列の特定、疾患予後遺伝子の同定 ・抗てんかん薬の副作用の予測診断の確立	【2015年度まで】
バイオバンクのコホート研究	パーソナルMBBの連携基盤構築 ・BBJやNCBN等で有する生体試料や臨床情報の共有・共用体制の構築 ・抗てんかん薬の副作用関連遺伝子を用いた臨床研究 メタボリック・シンдром関連疾患の発症・重症化関連遺伝子の同定 <健常者バイオバンク>文部科学省:東北メディカル・メガバンク計画 ・コホート調査(ペースライン調査)の実施 ・追跡調査による臨床情報等の補完 ・コホート調査結果等の回付に向けた検討・実施 ・コホートデータの応用研究等への利用に向けた、各コホート事業等の検体や情報の相互補完方法の検証 ・バイオバンク運営(検体や情報の管理、外部利用の実施) ・症例対照研究リファレンスとなる健常者データの収集 ・日本人の標準的なゲノム配列の特定	15万人規模のバイオバンクの構築(ペースライン調査完了)	同定した遺伝子情報を用いた発症・重症化のリスク評価法、診断法の介入型臨床研究の実施 疾患データと健常者データを基にした日本人の全ゲノム多様性データベースの構築	【2020～2030年頃まで】 ・生活習慣病(糖尿病や脳卒中、心筋梗塞等)の劇的な改善 ・発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断の確立 ・うつ、認知症の臨床研究の開始 ・神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発	【2020～2030年頃まで】				

※CGC:セントラルゲノムセンター
※NC:国立高度専門医療研究センター
※MGC:メディカルゲノムセンター
※MBB:メガバイオバンク

ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

がんに対する革新的な診断・治療等の開発

文部科学省

【次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム】

- 基礎研究の有望な成果を厳選し、革新的な診断・治療薬に資する日本発の新規化合物等「有望シーズ」の開発を戦略的に推進

【新規領域の推進】(1有望シーズのプロセス)

- 新規標的候補同定
- 妥当性検証
- アッセイ系構築
- 化合物探索・絞込み
- リード化合物同定
- リード化合物最適化
- 家族性がん、小児がん等の検体収集・調製
- 候補遺伝子変異の探索・同定、網羅的解析
- 同定遺伝子変異の実用性の検証

研究支援基盤による支援(HTS支援、POC支援、情報解析、DDS技術支援、分子イメージング技術による薬物動態研究支援等)

【研究成果】

- 新規抗がん剤の有望シーズを10種取得
- 早期診断バイオマーカー及び免疫治療予測マーカーを5種取得

- 日本発の創薬に資する有望シーズの更なる取得(新規化合物、核酸医薬、抗体医薬等10種)
- 早期診断バイオマーカー及び予後マーカー等、更に5種取得

2015年度までに導出が期待される新規抗がん剤の有望シーズ例

(2011年度から開始)

厚生労働省の連携事業や企業等への導出

- ・多発性骨髄腫の幹細胞の表面分子を標的とした抗体
- ・グリオーマにおけるDNA修飾を標的とする低分子化合物
- ・難治がんをはじめとするがんの増殖環境を破壊する低分子化合物
- ・大腸がんのポリ(ADP-リボシリル)化酵素を標的とする低分子化合物
- ・乳がんの転移後増殖環境を破壊する低分子阻害化合物
- ・メラノーマや腎がんにおける食食細胞-がん細胞相互作用を制御する抗体
- ・慢性骨髄性白血病の幹細胞を標的とする低分子化合物
- ・脳腫瘍におけるがん幹細胞の維持機構を標的とする低分子化合物
- ・胃がん等の固形がんにおける制御性T細胞の免疫抑制を解除する低分子化合物
- ・細胞増殖シグナル経路を標的とする低分子化合物による小細胞肺がんの治療法開発

2015年度までに導出が期待されるマーカー例

(2011年度から開始)

厚生労働省の連携事業や企業等への導出

- ・肺がんの診断・術後予後予測のためのバイオマーカー
- ・急性白血病の新規標的分子の同定とバイオマーカー
- ・大腸がん、乳がん、膀胱がん、肝細胞がんの早期診断バイオマーカー
- ・DNAメチル化解析による胃がん・大腸がんリスク予測マーカー
- ・肺がん、胃がん、大腸がんの早期診断・再発予測のためのバイオマーカー

※ その他のシーズは順次導出

厚生労働省

【革新的がん医療実用化研究事業】

達成目標

【2015年度まで】

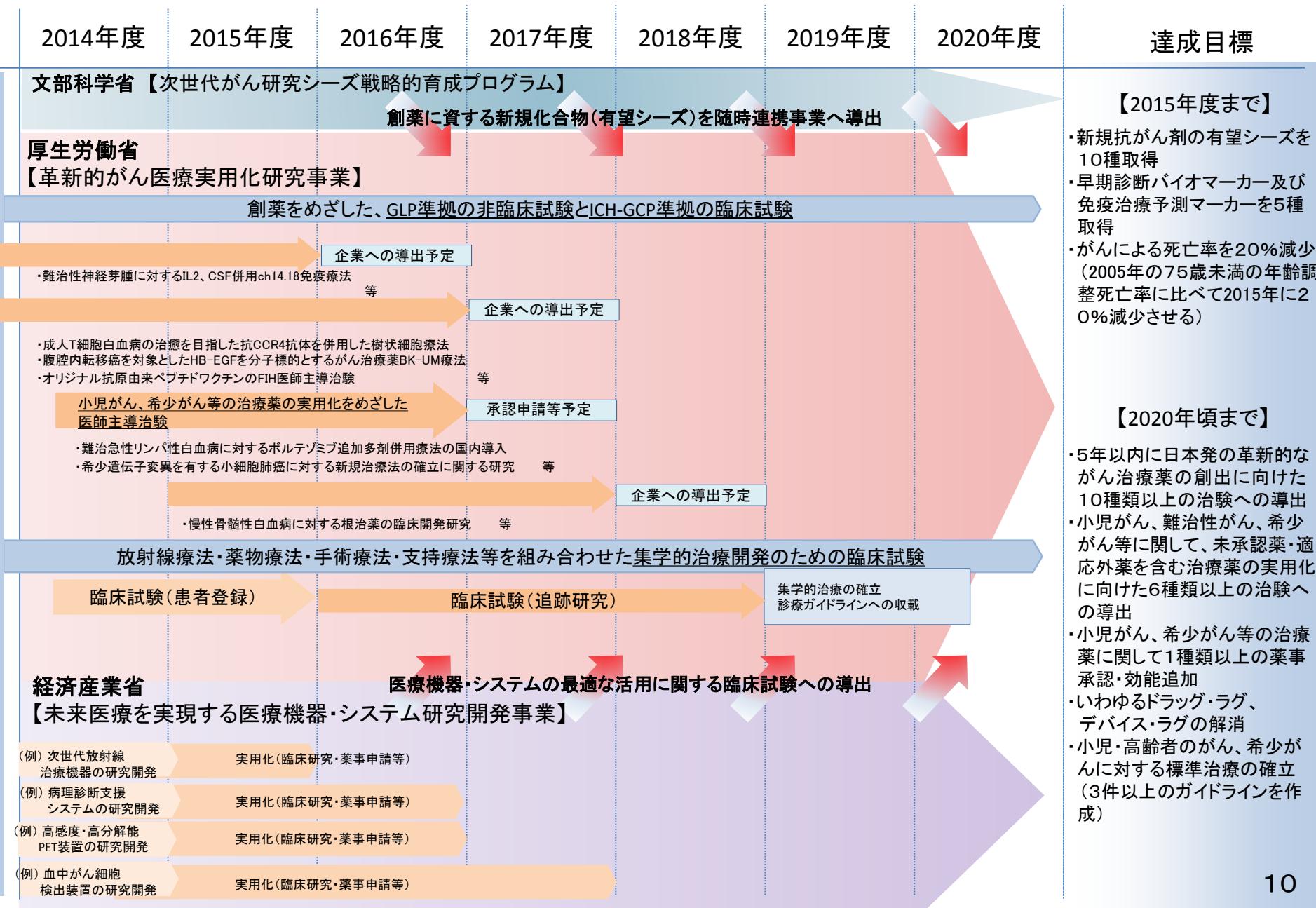
- ・新規抗がん剤の有望シーズを10種取得
- ・早期診断バイオマーカー及び免疫治療予測マーカーを5種取得
- ・がんによる死亡率を20%減少(2005年の75歳未満の年齢調整死亡率に比べて2015年に20%減少させる)

【2020年頃まで】

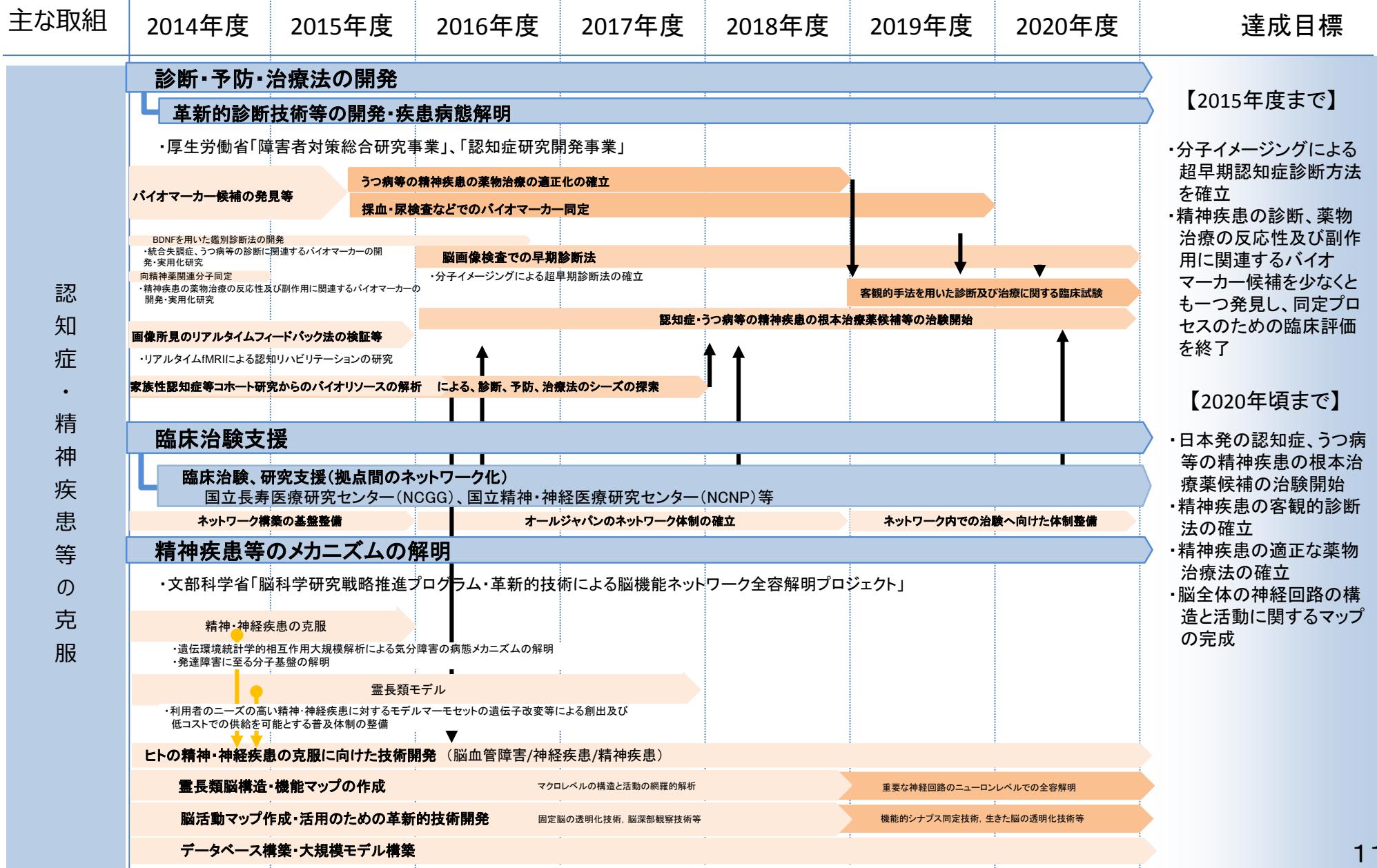
- ・5年以内に日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出
- ・小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた6種類以上の治験への導出
- ・小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加
- ・いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消
- ・小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立(3件以上のガイドラインを作成)

ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

が
ん
に
対
す
る
革
新
的
な
診
断
・
治
療
等
の
開
発



脳とこころの健康大国実現プロジェクト



新興・再興感染症制御プロジェクト

主な取組

2014年度

2015年度

2016年度

2017年度

2018年度

2019年度

2020年度

達成目標

新
た
興
な
・
迅
速
診
断
法
等
に
の
開
す
る

文部科学省

「感染症研究国際展開戦略プログラム（J-GRID）」※2014年度は「感染症研究国際ネットワーク推進プログラム（J-GRID）」を実施。

アジア・アフリカに整備した海外研究拠点を活用し、各地で蔓延する感染症の病原体に対する疫学研究、診断治療薬等の基礎的研究を推進し、感染制御に向けた予防や診断治療に資する新しい技術の開発、高度専門人材の育成を図る。また、全国の大学・研究機関との共同研究体制を強化するとともに、海外研究拠点における研究課題の重点化及び研究基盤の強化を推進する。

厚生労働省

「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」

近年、新たにその存在が確認された感染症（新興感染症）や、既に制圧したかに見えながら再び猛威をふるう可能性がある感染症（再興感染症）が世界的に注目されている。このような新興再興感染症から国民及び世界の人々を守るために、国内の感染症研究機関とJ-GRIDの海外研究拠点が連携して予防・診断・治療法等を確立するための基盤となる研究を推進することで、ワクチン、診断薬、治療薬の開発等を行い、国内外における総合的な感染症対策の強化を図る。

【緊急を要する感染症への対策】

- エボラ出血熱に対する治療薬、診断薬及びワクチン等の開発

【データベース構築等によるリアルタイムな情報共有体制の整備、及びワクチン等医薬品開発の連携】

- 検体収集 調査研究 基盤強化
- ゲノム解析 基盤強化

- ・病原体のゲノム解析
- ・病原体の高感度検出 技術開発

- 文科省
・検体収集
- 厚労省
・検査技術向上

- 地方衛生研究所等の 検体収集・検査技術向上

- 検体収集・検査技術向上

- 各國へ分析結果のフィードバック

- データベース登録に係るネットワークシステムの構築、強化

- ワクチン研究開発の促進（ノロウイルスワクチン、経鼻インフルエンザワクチン）

- J-GRID拠点における研究受入プログラムの策定

- ・機関集中型・複数機関連携型等
- 拠点派遣前プログラムの策定

- 各研修プログラムのtest pilot studyの実施

- データベース登録に係るネットワークシステムの構築
- 病原体遺伝情報及び疫学情報の集積

- 病原体全ゲノム情報及び疫学情報の集積

- 得られた病原体解析情報を分析し、薬剤のターゲットを特定

- 新たな迅速診断法等のプロトタイプの作成

- 実用化試験

- 非臨床試験・臨床試験を実施

- ワクチン研究開発の促進（ノロウイルスワクチン、経鼻インフルエンザワクチン）

- J-GRID拠点における実地研修の実施

- 感染研での研修プログラムへの参加

- 合同研究報告会の開催 等

- J-GRIDの若手研究者を国立感染症研究所に受け入れ、技術指導を行う。

- 感染研に若手研究者を配置し、J-GRIDの海外拠点等に派遣する等により、連携の深化を図る

- 継続的な取組

【2015年度まで】

一グローバルな病原体・臨床情報の共有体制の確立を基にした

- ・病原体に関する全ゲノムデータベースの構築
- ・生理学的及び臨床的な病態の解明

・アジア地域における病原体マップの作成（インフルエンザ・デング熱・下痢症感染症・薬剤耐性菌について、公衆衛生対策能力向上を図るため）

【2020年度まで】

- 一得られた病原体（インフルエンザ・デング熱・下痢症感染症・薬剤耐性菌）の全ゲノムデータベース等を基に、
- ・薬剤ターゲット部位を特定
- ・新たな迅速診断法等を開発・実用化

一ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する非臨床試験・臨床試験の実施及び薬事承認の申請

【若手研究者の育成】

J-GRID

共同開催

感染研

（定期開催）

- 各J-GRID拠点における実地研修の実施
- 感染研での研修プログラムへの参加
- 合同研究報告会の開催 等

継続的な取組

難病克服プロジェクト

主な取組	2014年度	2015年度	2016年度	2017年度	2018年度	2019年度	2020年度	達成目標
								【2015年度まで】
								・薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上
								【2020年度まで】
								・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大が11件以上 ・欧米等のデータベースと連携した国際共同治験等の推進
拡張型心筋症			iPS細胞を用いた拡張型心筋症の病態解明研究		iPS細胞の樹立、分化誘導、提供	病態解明研究		・厚生労働省難治性疾患実用化研究事業で実施
先天性ミオパチー			iPS細胞を用いた先天性ミオパチーの病態解明研究		iPS細胞の樹立、分化誘導、提供	病態解明研究		・文部科学省再生医療実現拠点ネットワークプログラムで実施
筋チャネル病			iPS細胞を用いた筋チャネル病の病態解明研究		iPS細胞の樹立、分化誘導、提供	病態解明研究		
ALS			ALSを含む神経筋疾患に対するロボットスーツHAL-HN01の研究		医師主導治験	医療機器承認申請		
血小板減少性紫斑病			血小板減少性紫斑病に対するリツキシマブの第Ⅱ相医師主導治験（適応拡大）		医師主導治験（第Ⅱ相）	薬事承認申請		※研究の進捗は疾患毎に異なり、例示した疾患以外にも多くの疾患について研究を実施
結節性硬化症			結節性硬化症の皮膚病変に対する安全性の高い治療薬の開発と実用化		医師主導治験（第Ⅰ／Ⅱ相）	企業主導治験（第Ⅲ相）	薬事承認申請	

難病克服プロジェクト

主な取組	2014年度	2015年度	2016年度	2017年度	2018年度	2019年度	2020年度	達成目標
HAM								HAMの革新的な治療法となる抗CCR4抗体療法の実用化 医師主導治験 (第Ⅰ/Ⅱ相) 企業主導治験 (第Ⅱ/Ⅲ相) 薬事承認 申請
遠位型 ミオパチー								【2015年度まで】 ・薬事承認を目指した新たな治 験導出件数7件以上
priオン病								遠位型ミオパチーに対するNアセチルノイラミン酸の開発 医師主導治験 (第Ⅰ相) 医師主導治験 (第Ⅱ/Ⅲ相) 薬事承認 申請
拡張型 心筋症								priオン病に対する低分子シャペロン治療薬の開発 非臨床研究 医師主導治験 (第Ⅰ相) 医師主導治験 (第Ⅱ/Ⅲ相) 薬事承認 申請
網膜色素 変性症								小児重症拡張型心筋症に対する自己骨格筋芽細胞シートの開発研究 非臨床研究 医師主導治験(第Ⅱ相) 薬事承認 申請
ALS								網膜色素変性治療をめざした経強膜ウノプロストン徐放法の開発 非臨床研究 医師主導治験(第Ⅰ相) 医師主導治 験(第Ⅱ相)
脊髄性 筋萎縮症								ALSに対するHGF髄腔内投与の研究 非臨床研究 医師主導治験(第Ⅱ相) 企業主導治験(第Ⅲ相)
								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医師主導治験準備研究 非臨床 研究 医師主導治験(第Ⅱ相) 企業主導治験(第Ⅲ相)

厚生労働省
難治性疾患
実用化研究事
業で実施

※研究の進捗は疾患毎に
異なり、例示した疾患以外
にも多くの疾患について
研究を実施

難病克服プロジェクト

主な取組	2014年度	2015年度	2016年度	2017年度	2018年度	2019年度	2020年度	達成目標
	難治性潰瘍性大腸炎に対象としたアドレノメデュリン製剤の作成							
潰瘍性 大腸炎	非臨床研究	医師主導治験 (第Ⅰ相)	医師主導治験 (第Ⅱ/Ⅲ相)		薬事承認 申請			【2015年度まで】 ・薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上
肺 高血圧症	非臨床研究	医師主導治験 (第Ⅰ相)	医師主導治験 (第Ⅱ/Ⅲ相)		薬事承認 申請			【2020年度まで】 ・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大が11件以上 ・欧米等のデータベースと連携した国際共同治験等の推進
心筋 血管症	非臨床研究	医師主導治験 (第Ⅰ相)		医師主導治験 (第Ⅱ/Ⅲ相)				
拡張型 心筋症	非臨床研究	医師主導治験 (第Ⅰ相)		企業主導治験(第Ⅲ相)		薬事承認 申請		・厚生労働省 難治性疾患 実用化研究事業で実施
								※研究の進捗は疾患毎に 異なり、例示した疾患以外 にも多くの疾患について 研究を実施