

令和6年度研究事業実施方針（案）の概要  
【AMED研究】

研究事業名	AMED 6プロジェクト					
	PJ1	PJ2	PJ3	PJ4	PJ5	PJ6
創薬基盤推進研究事業	●					
臨床研究・治験推進研究事業	●					●
医薬品等規制調和・評価研究事業	●					
創薬支援推進事業	●					
医療機器開発推進研究事業		●				
開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業		●				
再生医療等実用化研究事業			●			
ゲノム創薬基盤推進研究事業				●		
革新的がん医療実用化研究事業	●	●	●	●	●	
認知症研究開発事業				●	●	
障害者対策総合研究開発事業（精神障害分野）				●		
障害者対策総合研究開発事業（身体・知的・感覚器）				●		
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	●					
難治性疾患実用化研究事業	●	●	●	●	●	
地球規模保健課題解決推進のための研究事業（国際課分）						●
地球規模保健課題解決推進のための研究事業（厚生科学課分）						●
循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業		●		●	●	
女性の健康の包括的支援実用化研究事業				●	●	
腎疾患実用化研究事業	●				●	
免疫アレルギー疾患実用化研究事業	●			●	●	
移植医療技術開発研究事業				●		
慢性の痛み解明研究事業					●	
エイズ対策実用化研究事業					●	
肝炎等克服実用化研究事業	●			●	●	
長寿科学開発研究事業					●	
「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業				●		
医工連携・人工知能実装研究事業				●		
メディカルアーツ研究事業				●		

# 創薬基盤推進研究事業

令和5年度予算額 2,124,345千円

## 事業概要(背景・目的)

- わが国における健康長寿社会実現に向けて、世界最高水準の医療の提供に資する医薬品研究開発を進める必要がある。そのためには、医薬品創出に資する基盤技術研究を実施し、医薬品の開発過程の迅速化・効率化を推進することが求められる。
- 革新的な医薬品を創出するため、日本で生み出された基礎研究の成果を薬事承認につなげるとともに、創薬の基盤技術を確立するための研究を推進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	2,124,345
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	2,124,345

## 令和6年度概算要求のポイント

- GAPFREEの取組として、企業・アカデミアのニーズとそのタイミングに柔軟に対応するため、産学官として取り組むべき課題を提示し双方のマッチングを実施するスキームを継続することで、革新的新薬の開発に向けタイムリーな創薬研究を推進する。
- これまでに構築したDDS(薬物送達技術)評価基盤を幅広く活用することでシーズ開発を加速するとともに、医薬品開発の迅速化に向けた創薬基盤技術の底上げを図るため、多様な学問領域との異分野融合を推進し、ヒト外挿性を伴う新たな評価技術の開発、代替動物モデル開発、生物資源を活用したシーズライブラリの構築、医薬品製造技術の高度化等を支援する。

## これまでの成果概要等

- GAPFREEの取組において参画企業(3社)の要望も取り入れた上で、精神障害患者から得たゲノム情報等と紐付いたiPS細胞を使用した病態メカニズムの解明、スクリーニング系や動物モデルの開発を進め(非競合フェーズ)、精神疾患発症に強く関わるリスクゲノムバリエーションに基づいた創薬体制を構築した。この成果に基づき、参画企業と共同研究(競合フェーズ)を開始した。(共同研究4件に移行)
- ヒト腫瘍環境における網羅的免疫ゲノム解析結果を基に、計算科学的解析により高機能ヒト抗体へ改変し、様々なヒト腫瘍に対して抗腫瘍効果を呈する抗体薬物複合体(ADC)の開発を実現した。(特許1件出願済、企業導出1件)

### 【医薬品】

- <アウトプット> ・新モダリティ・先進手法に関する採択課題割合(令和2~4年度) 59%
- <アウトカム> ・創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数(令和2~4年度) 19件 (R2: 8, R3: 3, R4: 8)

## 具体的な研究内容等

### ① GAPFREE(産学官共同創薬研究プロジェクト)

Funding for Research to Expedite Effective drug discovery by Government, Academia and Pivate partnership

参画企業も一定の研究費を拠出し、産学連携による創薬標的探索・バイオマーカー探索等のための基盤を整備し、創薬研究を支援

- ・ 産学官共同臨床情報活用創薬プロジェクト
- ・ 産学官共同Mission-oriented(MO)型rTRプロジェクト
- ・ 産学官共同創薬技術活用プロジェクト
- ・ 産学官共同Mission-oriented (MO) 型創薬技術研究プロジェクト
- ・ 薬用植物国産化・利活用促進プロジェクト

### ② 創薬デザイン技術開発研究

医薬品の開発や製造過程の効率化によるコスト低減や安全性予測の向上を目的として、生物学的・計算科学的データ解析を利用したバイオ医薬品のデザイン技術開発、既存の抗体医薬品等に置き換わる作用をもつ低分子医薬品等の開発等に関する研究や中分子研究等を支援

### ③ 医薬品の開発過程の迅速化・効率化等の創薬基盤技術の開発

創薬の基盤となる技術開発等に係る研究等を支援

- ・ オンデマンドな送達技術の応用展開に関する研究
- ・ 創薬ターゲットの同定に係る研究 等

### ④ 新たなモダリティの医薬品等の評価系技術及び製造・品質管理技術等に関する研究

核酸や特殊ペプチド等を含む中分子医薬品や、細胞治療薬等の新たなモダリティについて、その妥当性や有効性の検証系の構築が課題となっていることから、これらに対する新たな評価系技術の開発、及び医薬品レベルでの製造・品質管理に係る基盤技術等の実用化を目指す研究開発を支援

### ⑤ 薬用植物の新たな育種、栽培、生産技術等に関する研究

薬用植物の国内自給率の向上により漢方薬の安定供給を図るため、薬用植物の育種、栽培、生産技術等に関する研究を支援

## 期待されるアウトプット、アウトカム

### ○期待されるアウトプット

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

- ・新モダリティ・先進手法に関する採択課題割合 40%

### ○期待されるアウトカム

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

- ・創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 6件

## 事業概要(背景・目的)

- 有望な医薬品シーズがアカデミアや企業で見いだされても、その後の臨床研究や治験を効率的に実施しなければ、早期の薬事承認に繋がらない。
- 日本で生み出された基礎研究の成果を薬事承認につなげ、革新的な医薬品を創出するため、科学性及び倫理性が十分に担保され得る質の高い臨床研究・治験を推進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	2,883,810
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	586,346
計	3,470,156

## 令和6年度概算要求のポイント

### 【医薬品プロジェクト】

- 医薬品の小児適応に係る研究開発は、ニーズは高いが採算性が低く、企業による開発が進みにくい。医療安全の観点からも、小児での有効性・安全性が確立していない医薬品についてエビデンス構築が求められていることから、小児を対象とした臨床研究・医師主導治験を促進する。
- デジタルデバイス、オンライン診療等の新しい技術や訪問診療等を活用することで、被験者の安全性やデータの信頼性を担保しつつ、被験者や関係者の負担を軽減し得る新しい手法(Decentralized Clinical Trial等)を活用した患者中心の臨床研究・医師主導治験を推進する。

### 【シーズ開発・研究基盤プロジェクト】

- 生物統計家育成推進事業  
生物統計家育成拠点(東京大学大学院と京都大学大学院)が製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基とし、産学官が一体となって臨床研究・治験の質の向上に繋がる生物統計家育成のための環境整備を強化する。
- アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業  
令和2年度第1次補正予算にて開始した「アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業」において整備した基盤の継続性の確保及び更なる拠点の整備を推進するとともに、臨床研究中核病院を中心とした国内における臨床研究支援人材育成強化に取り組むことにより、日本主導のアジア地域における国際共同臨床研究・治験の実施体制の強化を図る。

## これまでの成果概要等

### 医薬品プロジェクト

#### <アウトプット>

- ・非臨床POCの取得件数(令和2～4年度) 1件【0】
- ・臨床POCの取得件数(令和2～4年度) 8件【3】

※【 】は、令和4年度のみ件の数

➢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(令和3年度終了) 他

#### <アウトカム>

- ・シーズの企業への導出件数(令和2～4年度) 9件【3】

➢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比較試験(令和3年度終了) 他

- ・薬事承認件数(新薬、適応拡大)(令和2～4年度) 10件【0】

➢シロリムス錠:難治性リンパ管異常の効能で薬事承認取得(令和3年9月27日承認)

➢トラスツズマブ注:HER2陽性の根治切除不能な進行・再発の唾液腺癌の効能で薬事承認取得(令和3年11月25日承認) 他

- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行件数(令和2～4年度) 7件【0】

➢難治性甲状腺がんに対する標的アルファ線核医学治療の医師主導治験(令和5年度終了) 他

### シーズ開発・研究基盤プロジェクト

#### ○ 生物統計家育成推進事業(旧:生物統計家育成支援事業)

平成28年度に生物統計家育成拠点として、「東京大学大学院」と「京都大学大学院」を各々核とする2つの拠点を選定、製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基として、産学官が一体となった環境整備事業を開始した。

令和3年度以降は、卒後教育を加えた一貫した育成プログラムを実施することで、生物統計家育成の推進を図っている。

- 2018年度入学 合計22名
- 2019年度入学 合計19名、2019年度修了 合計20名(約8割がアカデミアに就職)
- 2020年度入学 合計18名、2020年度修了 合計17名(約8割がアカデミアに就職)
- 2021年度入学 合計11名、2021年度修了 合計19名(約8割がアカデミアに就職)
- 2022年度入学 合計14名、2022年度修了 合計12名(約8割がアカデミアに就職)

#### ○ アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業

令和2年度にアジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築のため、感染症分野から「国立国際医療研究センター」、そして、非感染症分野から「国立がん研究センター中央病院」および「京都大学」の合計3事業を採択し、グローバルな臨床研究・治験実施体制の構築を開始した(令和3年～5年度は、「国立国際医療研究センター」及び「国立がん研究センター中央病院」を採択)。整備している基盤を活用し、「国立国際医療研究センター」では15課題、国立がん研究センターでは5課題の国際共同試験を実施中。

日本で生み出された基礎研究の成果を薬事承認につなげ、革新的な医薬品を創出するため、科学性及び倫理性が十分に担保されうる質の高い臨床研究・医師主導治験等を支援する。

### <支援に係る主なコンセプト>

#### 臨床研究・治験の推進

##### ①患者ニーズの高いもの

疾患の希少性、不採算性等を総合的に考慮し、公益性の高い特定臨床研究・医師主導治験を支援

- 臨床研究・医師主導治験のプロトコール作成
- 特定臨床研究の実施
- 医師主導治験（新有効成分、新効能、新用量医薬品）の実施
- 小児を対象とした特定臨床研究・医師主導治験の実施

##### ②疾患登録システム（患者レジストリ）等の活用

疾患登録システムを、薬事承認申請に利用可能な比較対照群等に利活用する、特定臨床研究・医師主導治験の実施を支援

##### ③ Decentralized Clinical Trial (DCT) 等の新しい手法の活用

デジタルデバイス、オンライン診療等の新しい技術や訪問診療等を活用し、被験者の安全性やデータの信頼性を担保しつつ、被験者や関係者の負担を軽減し得る臨床試験（Decentralized Clinical Trial；分散型臨床試験）等の新しい手法を活用した特定臨床研究・医師主導治験のプロトコール作成、実施を支援

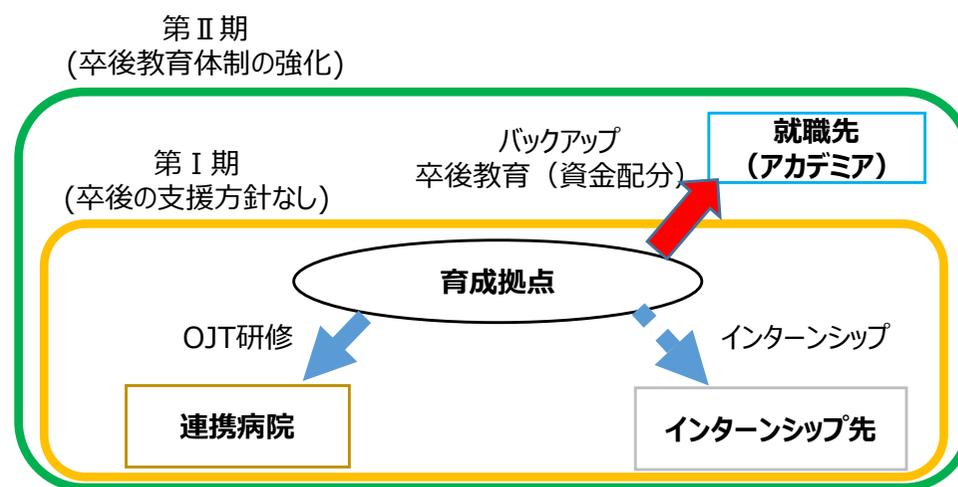
当面優先して議論する課題 令和2年度まとめ（令和3年3月29日医薬品開発協議会）抜粋

Ⅱ. 本協議会で指摘された課題や現状認識 2. 新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制  
創薬基盤の技術として、(略)リアルワールドデータ(RWD)の活用、(略)Virtual Clinical Trial、AI創薬など、世界的にも非常に競合の激しい新規の技術や開発手法が登場している。これらの新たなテクノロジーや開発手法を活用するためには、従来の化学系・生物系の研究者や企業のみではなく情報工学などを含めた学際的な研究チームや新規モダリティに対応可能な製造体制等の検討が必要となってくる。

Ⅳ. 今後の検討について 2. 新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制  
RWDについては、CINによるレジストリの構築や利用に向けた基盤整備、MID-NETの安全対策への活用などが進んでいるが、引き続きデータ基盤の構築及びデジタルヘルステクノロジーを活用していく手法の開発や課題について検討を進めると共に、市販後調査等を含め企業資金（利用料等）を活用したデータ利活用の体制を作ることが必要である。

### 生物統計家育成推進事業

- 製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基として、産学官が一体となった環境整備事業
- 生物統計に係る修士号を付与できる大学院から、東京大学と京都大学を育成拠点として選定
- 座学に加えて病院のOJTカリキュラムの追加を必須とし、また就職先候補も兼ねインターンシップ機関とも連携
- 令和3年度以降(第Ⅱ期)から取り組んでいる課題
  - ① 卒後教育体制の強化および定員の適正化  
(2022年入学から定員を各拠点10名→5名以上へ)
  - ② 社会人入試(Uターン人材の確保)



大学院 (座学)	東京大学大学院	京都大学大学院
分担機関 (実地研修)	東京大学医学部附属病院 国立がん研究センター	京都大学医学部附属病院 国立循環器病研究センター
インターンシップ機関	東京医科歯科大学、岡山大学病院、九州大学病院、新潟大学病院、北海道大学、聖路加国際大学、順天堂大学、東邦大学、国立国際医療研究センター	京都大学病院、国立循環器病研究センター、北海道大学病院、大阪大学病院
学位の種類・分野	修士(学際情報学)	社会健康医学修士(専門職)
学生数	2018年度入学 11名 2019年度入学 8名 2020年度入学 9名 2021年度入学 7名 2022年度入学 11名	2018年度入学 11名 2019年度入学 11名 2020年度入学 9名 2021年度入学 4名 2022年度入学 3名
修了生の進路	2019年度 修了人数:10名、アカデミア就職者:8名 2020年度 修了人数: 8名、アカデミア就職者:8名 2021年度 修了人数: 9名、アカデミア就職者:8名 2022年度 修了人数: 7名、アカデミア就職者:5名	2019年度 修了人数:10名、アカデミア就職者:7名 2020年度 修了人数: 9名、アカデミア就職者:5名 2021年度 修了人数:10名、アカデミア就職者:7名 2022年度 修了人数: 5名、アカデミア就職者:5名

アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業

- アジア諸国における国際的な技術水準を確保する治験実施拠点整備の必要性については、「アジア医薬品・医療機器規制調和グランドデザイン」(令和元年6月20日健康・医療戦略推進本部決定)及び同実行戦略(令和2年7月14日同本部決定)においても言及されてきたところであるが、今般のCOVID-19拡大に伴い、迅速かつ質の高い、グローバルな臨床研究・治験体制構築の必要性が改めて明らかとなった。
- これを受け、日本主導の国際共同治験を実施し、治療薬等の開発・供給の加速を目指すため、アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築を進めているところ(アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業(臨床研究・治験推進研究事業))。
- 令和5年度については、特に「ワクチン開発・生産体制強化戦略」(令和3年6月1日閣議決定)において、日本発の国際共同治験が迅速に実施可能となるよう、アジア地域における臨床研究・治験ネットワークを充実させることとされている。
- 一方、ワクチン開発については、試験対象者が健康成人であることや、治療薬に比べて必要症例数が格段に多い(数千例から数万例規模)といった特殊性がある。
- こうしたことから、これまで感染症治療薬の領域で構築した基盤等を活用・発展させる必要があり、ワクチンに特化した研修の実施等により、円滑なワクチン開発に寄与する基盤へと充実を図る。

アジア地域の臨床研究・治験体制整備の推進



日本主導の国際共同治験の強化



治療薬等の開発・供給の加速



## 期待されるアウトプット、アウトカム

### ○ 期待されるアウトプット

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

#### 【医薬品プロジェクト】

・臨床POCの取得件数 10件

#### 【シーズ開発・研究基盤プロジェクト】

・臨床研究・治験実施件数 2件

・生物統計家育成推進事業 育成学生数 10～20名

### ○ 期待されるアウトカム

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

#### 【医薬品プロジェクト】

・シーズの企業への導出件数 10件

・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 10件

・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況 40件

#### 【シーズ開発・研究基盤プロジェクト】

・生物統計家育成推進事業

質の高い生物統計家の育成を継続して行い、修了生の半数以上がアカデミアへ就職することにより、質の高い臨床研究・治験の実施へつなげる。

・アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業

アジア諸国での医薬品・医療機器等の承認に繋がる事例 2件

## 事業概要(背景・目的)

最先端技術を用いた革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品等について、その**適切な評価方法を開発し、実用化への道筋を明確化**するなど、研究開発から承認審査、市販後安全対策に至るまでの規制等に関する、**科学技術と社会的要請を調和させる研究**（レギュラトリーサイエンス）を推進する。本事業においては、企業やアカデミアにおける開発の道標となるとともに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）における医薬品等に係る治験相談、承認審査、安全性情報収集等に活用することを目的として、革新的医薬品等の品質・有効性・安全性に係る各種試験系・評価系の開発・標準化や、データ収集システム等の環境整備に関する研究等を実施している。また、開発された試験系・評価系の薬事規制における活用や、各種評価に携わる人材の育成、システム等の環境整備等も実施している。

当事業の研究成果を活用し、**評価指針の整備及び国際的な規制調和を推進することにより、革新的な医薬品等の開発の効率化や国際展開に寄与**することが期待される。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	1,077,530
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	1,077,530

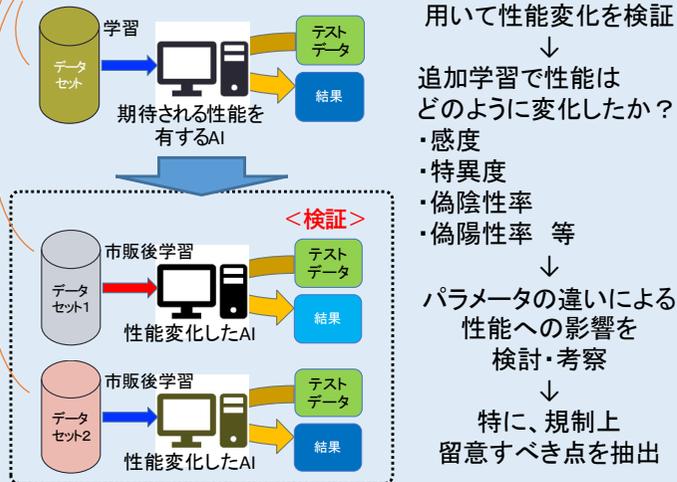
## 令和6年度概算要求のポイント

最先端技術を用いた革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品等の品質、有効性、安全性の評価手法の開発に関する研究を推進しつつ、令和6年度は以下の点を重点項目とする。

- 新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究
- 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究
- 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究

## 人工知能等の先端技術を利用した医療機器プログラムの薬事規制のあり方に関する研究 (平成31年度～令和3年度)

### 全例オプトインでデータ収集



- 性能の可塑性を有する医療機器プログラム（SaMD）の社会実装時に想定される薬事上の課題を、研究開発分担者が設立した医療機器業界団体関係者で構成されるWGが抽出し、当該課題に対する解決策案を作成した。また、変更計画確認手続制度を運用する上で学術的観点からその詳細な記載が望ましいと想定される事項、並びに薬事上の留意点等について討議を行い整理した。
- 実証研究では、市販後学習による性能変化には医療施設における撮影対象患者の背景や医療施設の違い等が影響する一方、アノテーション作成に関する医療従事者の特性の影響は少ないことが示唆される結果を得た。
- 得られた成果を「AI等を利用したSaMDに対する薬事規制のあり方に対する提言」としてまとめ、規制当局に提出した（令和4年3月）。

## 細胞加工製品の製造工程の変更に伴う同等性／同質性評価のあり方に関する研究（平成31年度～令和3年度）

- 従来の医薬品等の製造工程変更前後の同等性／同質性の考え方、及び再生医療に用いられる細胞加工製品における同等性／同質性評価の考え方に関して、国内外の規制当局・関連企業団体等の動向を文献及びインタビュー等によって調査し、細胞加工製品の品質・安全性・有効性に対して製造工程の変更が有害な影響を及ぼさないことを立証するためのデータや情報の収集方法に関するガイドライン案を作成した（令和4年3月）。

## 医薬品が自動車運転技能に与える影響の評価手法の開発（平成31年度～令和3年度）

- 医薬品が自動車運転に与える影響を評価するための、信頼性および妥当性を有し、健常者のみならず患者群に対しても実施可能な評価系を確立し、医薬品が自動車運転技能に与える影響を評価するためのガイドライン案を作成した。また、自動運転シミュレータを用いてこれまで海外のみ実施可能であった自動車運転技能の評価を、日本国内においても実現できる可能性を提示した。これらの内容に言及したガイドライン案を作成し、令和4年12月に厚生労働省から通知が発出された。

# 具体的な研究内容等

## 課題・背景

- 「医療分野研究開発推進計画（第2期）」では、「医療現場のニーズに応える医薬品の実用化」のため、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行うことが求められている。具体的には、各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法、製造技術等の開発を行う、とされている。
- ガイドラインの国際協調を図ることは、グローバルな医薬品承認のタイムラグを最小化する上で極めて重要な要因であり、日本が主導して評価法を開発し、国際動向をリードする必要がある。
- 高品質な医薬品等の安定供給のため、各種先進技術の医薬品等製造・管理技術の開発が期待されている。

## 令和6年度研究の概要

### 新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究

mRNA関連標準物質を用いた各種評価法の分析能力、限界、精度、妥当性等を検証し、mRNAモダリティの品質評価及び管理に用いる各種評価法の特徴、具体的な評価手順、留意点等を明らかにする。この他、AIによる画像情報処理技術を用いた、細胞加工製品における細胞の状態の識別や不純物混入の判定等を非破壊的に解析可能な評価系の最適化またはバリデーションを行う。また、AI画像解析技術とオミクス技術等を融合させた、細胞加工製品の品質判別・予測を可能とする評価系の開発、その評価系を活用することによる新たな性能予測因子の探索・同定を行う。

### 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究

種々の抗がん剤を用いてヒトiPS細胞由来心筋細胞による大規模な国際検証試験を行うことにより、評価法の再現性や予測性を明らかにし、ガイドラインに資する科学的根拠を取得する。AIモデルの性能評価を行い、その妥当性を明らかにする。また、実験データとAIモデルの組み合わせにより、予測性が向上するのかを検討する。

### 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究

新治療機器の市販後の効果的使用法やリスク低減に関する知見の取得、改良・新治療機器の効率的な開発に資する非臨床実験系・評価系の研究開発を行う。

## 研究の成果・活用

- mRNAの品質評価・管理に関するガイダンスを活用することで、当該分野の開発がより一層促進される。
- 細胞加工製品の品質評価技術の正確性と迅速性の向上により、製造コストの削減、開発促進、製品の普及拡大。
- ヒトiPS細胞由来心筋細胞とAIによる統合的な評価法により、抗がん剤による心毒性を非臨床で予測でき、評価法の国際標準化、被験者の安全性確保、医薬品開発の促進。
- 新治療機器の市販後適正使用の速やかな推進。

## 最先端技術を用いた革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品等の実用化を促進

## 期待されるアウトプット、アウトカム

### 【アウトプット】

新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合を75%にすることで、革新的な物も含めて医薬品等の品質・有効性・安全性に係る各種試験系・評価系の薬事規制における活用や、各種評価に携わる人材の育成、システム等の環境整備等に資するエビデンスを得る。

### 【アウトカム】

革新的な医薬品等の承認審査における留意点が明確化することによる開発の効率化・予見性の向上並びに国際的な規制調和の推進によるわが国発の医薬品等の国際展開への寄与が期待される。

# 創薬支援推進事業

令和5年度予算額 3,455,677千円

## 事業概要(背景・目的)

大学や公的研究機関等の研究者が保有する優れた創薬シーズを医薬品としての実用化につなげるため、創薬支援ネットワークが行う技術支援(評価系の構築、ヒット・リード化合物の探索、リード化合物の最適化(合成展開・コンピュータ創薬))、バイオマーカー探索、非臨床試験、知財管理等に関する支援や基盤整備を推進し、創薬シーズの早期実用化を図る。また、創薬基盤技術等の開発や希少疾病用医薬品等の開発支援を行うなど、研究開発期間の短縮と革新的医薬品の創出確率の向上を図る。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	3,455,677
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	3,455,677

## 令和6年度概算要求のポイント

「当面優先して議論する課題 令和2年度まとめ」(令和3年3月29日医薬品開発協議会決定)において、アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み、新規モダリティ、in silico、AI創薬等の新たなテクノロジーを活用した研究や希少疾病領域の開発等の推進の必要性が指摘されている。医薬品開発協議会での議論も踏まえ、以下の取組を推進する。

- 創薬支援ネットワークを中心とした創薬支援を引き続き推進する。また、モダリティの多様化(特に、抗体、遺伝子治療、細胞治療等)に対応するほか、従来のアカデミアからの企業へのシーズ導出だけでなく、企業導出後の創薬コーディネーターの支援拡大、支援中における企業からの人材・技術等の提供により産学官連携の取り組みを含めた対応を強化する。(拡充・新規課題の採択)
- 産学連携による次世代創薬AI開発事業(DAIIA)において、引き続き創薬AIの実用化に向けて、3Dシミュレーションを用いた予測手法の確立等を行う。
- 引き続き、国が主体的に支援するべき領域である希少疾病領域の医薬品の開発を支援する。(拡充・採択課題数の増)
- 引き続き、創薬総合支援事業(創薬ブースター)において、医師主導治験への橋渡しを含む更なる医薬品の実用化に向けて、文部科学省の事業である橋渡し研究プログラムと連携し、創薬シーズの収集を強化する。(拡充・採択課題数の増)

## これまでの成果概要等

○企業への導出(ライセンスアウト) (令和5年3月末時点)

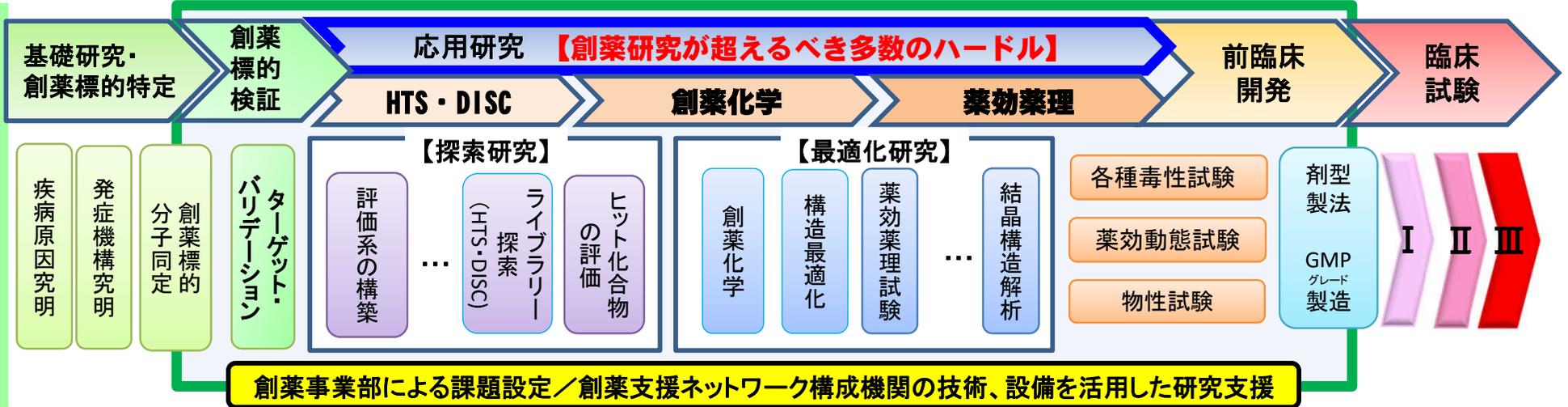
課題番号	課題名	研究者	導出時期	種類	備考
DNW-15002	硫酸抱合型尿毒症物質の産生阻害による腎障害治療薬の探索	齋藤 秀之 (熊本大学)	2020年4月	低分子化合物	DISC活用
DNW-19012	脂質代謝経路を標的としたがん免疫療法の探索	大多 茂樹 (慶應義塾大学)	2020年9月	低分子化合物	
DNW-18005	新規のNrf2活性化メカニズムに着目した扁平上皮がん治療薬の探索	鈴木 裕之 (筑波大学)	2020年10月	低分子化合物	DISC活用
DNW-17015	GM1-ガングリオシドーシス脳病態に有効な新規低分子シャペロン治療薬の探索	檜垣 克美 (鳥取大学)	2021年6月	低分子化合物	
DNW-17018	癌代謝制御ハブ分子の新規阻害剤の探索	中山 敬一 (九州大学)	2022年3月、6月	低分子化合物	DISC活用
DNW-19023	細胞内コレステロールに作用する新規ニーマン・ピック病C型治療薬の探索	田村 篤志 (東京医科歯科大学)	2022年9月	高分子プロドラッグ	

【医薬品】  
 <アウトカム>  
 ・シーズの企業への導出件数(令和2年度～令和4年度)7件  
 ・希少疾病用医薬品指定件数(令和2年度～令和4年度)1件  
 ・DAIIAにおいて、製薬企業18社の提供データに基づく予測AIの構築が進捗し、予測精度の向上を確認  
 ・DISCにおいて、中分子ライブラリーを構築し、BINDSと連携

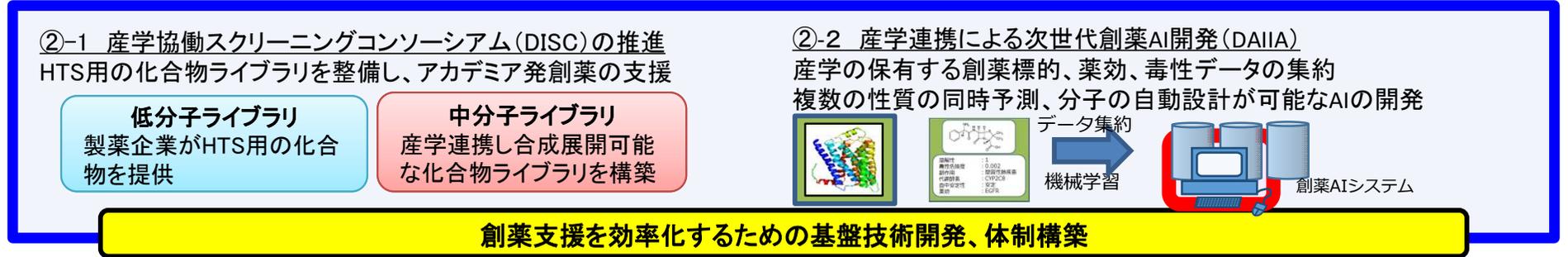
DISC(産学協働スクリーニングコンソーシアム): 会員企業から提供される化合物ライブラリー等を利用したHigh-throughput Screening(迅速に創薬候補化合物を検索する技術)を実施

# 具体的な研究内容等

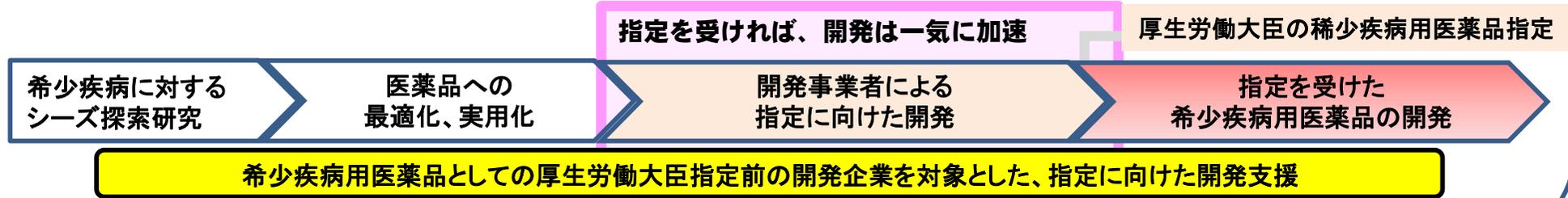
## ① 創薬総合支援



## ② 創薬支援 効率化



## ③ オーファン 指定前支援



# 期待されるアウトプット、アウトカム

- 期待されるアウトプット: 支援能力を向上させた創薬支援ネットワークにより、大学等の創薬シーズの開発を促進し、企業導出につなげる(令和2~6年度で10件) 希少疾病用医薬品指定申請に必要な試験の完遂
- 期待されるアウトカム: 大学や公的研究機関等の研究者が保有する創薬シーズの医薬品としての実用化 希少疾病用医薬品を含む革新的医薬品の創出効率向上

# 医療機器開発推進研究事業

令和5年度予算額

1,201,818千円

## 事業概要(背景・目的)

○ わが国の医療機器の開発や製品化は、欧米に遅れを取ることが多く、先駆け審査指定制度等により開発を促進させる取組を実施している。今後、国際競争力・効率性の高い医療機器の開発を、重点分野を定めた上でより一層促進するためには、産学官連携による医療機器開発や、開発リスクが高い分野への参入促進を図る必要がある。

○ 予後改善につながる診断の一層の早期化、医療従事者の業務の効率化・負担軽減に資する医療機器等の重点分野※や小児領域のアンメットメディカルニーズに対応した医療機器について、基礎研究の成果を薬事承認につなげ、日本発の革新的な医療機器の創出を図るため、産学官連携による革新的医療機器の開発を推進するとともに、疾患登録システム等を活用した革新的医療機器の開発等を支援する。

※「国民が受ける医療の質の向上のための医療機器の研究開発及び普及の促進に関する基本計画」の変更について  
(令和4年5月31日 閣議決定)

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	1,201,818
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	1,201,818

## 令和6年度概算要求のポイント

○近年、AI等を活用したプログラム医療機器の開発が進展するとともに、臨床現場から得られた既存の診療情報等のリアルワールドデータ(RWD)を活用した性能評価試験の取扱いの明確化※も進められている。

そのため、RWDを教師データとして活用するAIによるプログラム医療機器の開発や、プログラム医療機器を含めた各種の医療機器の有効性評価におけるRWDの活用を推進するなど、RWDを活用した医療機器開発を加速させる。

※ 追加的な侵襲・介入を伴わない既存の医用画像データ等を用いた診断用医療機器の性能評価試験の取扱いについて  
(令和3年9月29日付け 薬生機審発0920第1号 厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知)

## これまでの成果概要等

- ・アテロコラーゲン半月板機能修復材を用いた半月板修復術の治療の実用化に向け、先進医療Bでヒト臨床研究を終了した。、検証的治験プロトコルについてPMDAと合意した。
- ・結節性硬化症(TSC)に伴う腎血管筋脂肪腫(AML)の患者に対して、凍結療法の適用承認を得るための有効性、低侵襲性及び安全性に関するデータを収集するため、15例を対象として先進医療Bを適用した特定臨床研究を令和4年11月に完了した。

### 【医療機器・ヘルスケア】

＜アウトプット＞ ・クラスⅢ・Ⅳの医療機器の開発を目指す採択課題の割合(令和2～4年度) 43%

＜アウトカム＞ ・クラスⅢ・Ⅳの医療機器の薬事承認件数(令和2～4年度) 2件

・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況(令和2～4年度) 18件

## 具体的な研究内容等

### ○ 医療負担の軽減に資する医療機器等の臨床研究・医師主導治験

疾病の早期診断、適切な治療方法の選択、患者負担の大幅な低減、高い治療効果等により医療費適正化や医療従事者等の負担軽減に資する医療機器・体外診断薬等の臨床研究や医師主導治験を支援

### ○ 小児用医療機器の実用化を目指す臨床研究・医師主導治験

医療ニーズの高い、小児用の小型又は成長追従性の医療機器を開発し、企業への導出を目指す臨床研究・医師主導治験等を支援

### ○ 高齢者向け医療機器の実用化を目指す臨床研究・医師主導治験

在宅医療の推進に資する医療機器等、高齢者に特徴的な疾病に関する医療機器を開発し、企業への導出を目指す臨床研究・医師主導治験等を支援

### ○ 革新的医療機器の実用化を目指す非臨床研究(臨床試験に代わる適切な検証的試験)・臨床研究・医師主導治験

革新的な医療機器等を開発し、企業への導出を目指す非臨床研究・臨床研究・医師主導治験等を支援

## 期待されるアウトプット、アウトカム

### ○ 期待されるアウトプット

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

・クラスⅢ・Ⅳの医療機器の開発を目指す採択課題の割合 50%

### ○ 期待されるアウトカム

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

・クラスⅢ・Ⅳの医療機器の薬事承認件数 4件

## 事業概要(背景・目的)

- 開発途上国・新興国は、日本やその他先進国とは異なる公衆衛生上の課題を抱えており、医療機器に対するニーズも異なるため、先進国向けに開発した医療機器が、開発途上国等で必要とする性能・価格に一致せず思うように売れない等、日本の医療機器メーカーにとって課題となっている。
- そのため、**日本の医療機器が、開発関連企業が途上国等の医療機関の臨床現場にて、バイオデザイン等のデザインアプローチを用いながら現地特有のニーズを把握し、開発途上国向け製品の研究開発及び現地での事業展開を実施する方法を開発**する。
- 同時に本研究事業の成果を通じて相手国の日本に対する信頼を高め、「アジア・アフリカ健康構想」等で掲げているユニバーサルヘルスカバレッジ(UHC)と健康長寿社会の実現に貢献する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	297,777
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	297,777

## 令和6年度概算要求のポイント

デザインアプローチを活用し相手国ニーズを十分に踏まえた製品の研究開発を行い日本の医療技術・医療機器の国際展開を図る。

【課題名】アフリカ向け医療機器等の実用化支援に特化した研究概要(仮):

- (新規) 令和6年度は、令和4年度までの研究課題や令和5年度実施のアフリカ向け研究課題(単年度:実行可能性調査)における経験・ノウハウ等を活用し、**新たにアフリカ向け医療機器等の実用化に特化した研究課題(複数年)を実施する。**

【課題名】バイオデザインアプローチを用いた開発途上国・新興国の公衆衛生の課題解決に貢献する医療機器開発サポートシステム「グローバル・バイオデザイン」の確立

- (継続) 開発サポート機関による、開発事業者に対して持続的な支援を実現する為の体制を構築する(最長5年:R3~R7)
  - ✓ (増額要求) **アフリカ向け医療機器等の実用化にかかる支援機能(薬事コンサルティング能力等)を強化する。**
  - ✓ デザインアプローチ等を用いたアジア・アフリカ地域におけるニーズ探索、コンセプト確立、試用機作製・評価等を実施する
  - ✓ アジア・アフリカ地域の現地当局・政府・医療機関とのネットワークを確立・強化する
  - ✓ 現地で保険収載に向けた規制当局への交渉や保険収載に向けた医学的エビデンス構築の為の戦略構築等を行う

# 開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業 これまでの成果概要等

## インドネシア向け新生児蘇生モニタの開発

- ・ 2022年度日本薬事取得
- ・ 2022年度インドネシア現地認可取得済

### Breath Cue



ブレスキュー NRM-1300



PPVアシスト機能

- 心肺蘇生時に適切に空気を送り込むバッグ換気手技の教育を十分に受ける事ができない途上国・新興国においては新生児死亡率の高さが課題であった。
- 当該研究課題において、バイオデザイン手法等を用いて現地ニーズを徹底的に追求し、簡易かつ直感的に正確なバッグ換気ができるデバイスを開発した。
- 2023年度にインドネシアでの販売開始を予定、今後現地における新生児死亡率改善への貢献が期待される。

### 【主な特徴】

- ✓ バッグ換気手技の教育を十分に受けていない医療従事者に対して、陽圧換気アシスト機能(点滅するLEDで視覚的に適切な陽圧換気をサポート)により、簡易かつ直感的に正確なバッグ換気手技の実施を支援。
- ✓ 小型・軽量・乾電池での駆動により、電源事情が不安定といった生活インフラが未整備な途上国地域においても使用可能な機器を実現。

# その他の成果概要等

## 令和4年度までに11課題を実施

①現地認可(薬事)取得済	2課題
②現地・国内薬事申請済	2課題
③現地・国内薬事準備中	6課題
④臨床研究・治験中	2課題
⑤開発中・その他	4課題
⑥特許出願済/準備中	8件

### 【アウトプット】

- ・ クラスⅢ・Ⅳの医療機器開発を目指す  
採択課題の目標割合 25%  
[令和2～4年度実績:0%]

### 【アウトカム】

- ・ クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認目標件数 20件  
[令和2～4年度実績:合計 0件]

### 【その他】

本事業は現地ニーズに基づき研究開発を進める為、クラスⅢ・Ⅳ医療機器に特定した公募は行っておらず、現時点で該当クラスの採択実績はない。一方、統合PJ全体への貢献という観点からは、以下の重点テーマに合致する研究を実施している。

- ・ 検査・診断の簡易化(5件)
- ・ 精度向上・常時計測等の早期化に関する技術(2件)
- ・ 診断・治療の高度化や一体化のための、デジタル化・データ利活用や複数機器・システムの統合化等に関する技術(4件)

# 具体的な研究内容等

## 課題・背景

- 従来、新興国等を対象とし研究開発を推進してきたが、実際に採択された課題において対象国はアジア諸国のみであった。
- 近年、急増する人口や堅調な経済成長などを背景としてアフリカに世界が注目しており、我が国も2019年6月に健康・医療戦略推進本部で「アフリカ健康構想基本方針」を打ち出し同構想の推進に向けた様々な事業を実施している。
- その一環としてこれまでにケニアやザンビア等、アフリカ6カ国とヘルスケア・健康分野における協力覚書(MOC)を締結し、アフリカにおける我が国の医療の展開に資する環境の整備に取り組んできた他、令和4年8月には日本政府主導のアフリカ経済開発に関する国際会議「第8回TICAD」も開催され日・アフリカ間の具体的な協力取り組みが議論された。
- こうした背景を踏まえ、本研究事業においても、アフリカ地域固有のニーズを踏まえた製品の研究開発を促進し、同地域における公衆衛生上の課題を解決すると同時に、日本医療機器メーカーのアフリカへの進出を後押しするだけでなく、アフリカにおけるUHC(ユニバーサルヘルスカバレッジ)の実現に貢献する。

## 令和6年度研究の概要(代表的な課題)

公募研究の例を示す。

### (新規)アフリカ向け医療機器等の実用化支援に特化した研究課題(複数年)を実施

- 令和5年度採択(予定)のアフリカ向け単年度実行可能性調査事業等の経験・ノウハウ等を踏まえ、アフリカ特有の課題解決につながる医療機器等の実用化に特化した支援を実施する。

(継続)開発サポート機関による、開発事業者に対して持続的な支援を実現する為の体制を構築(最長5年:R3~R7)

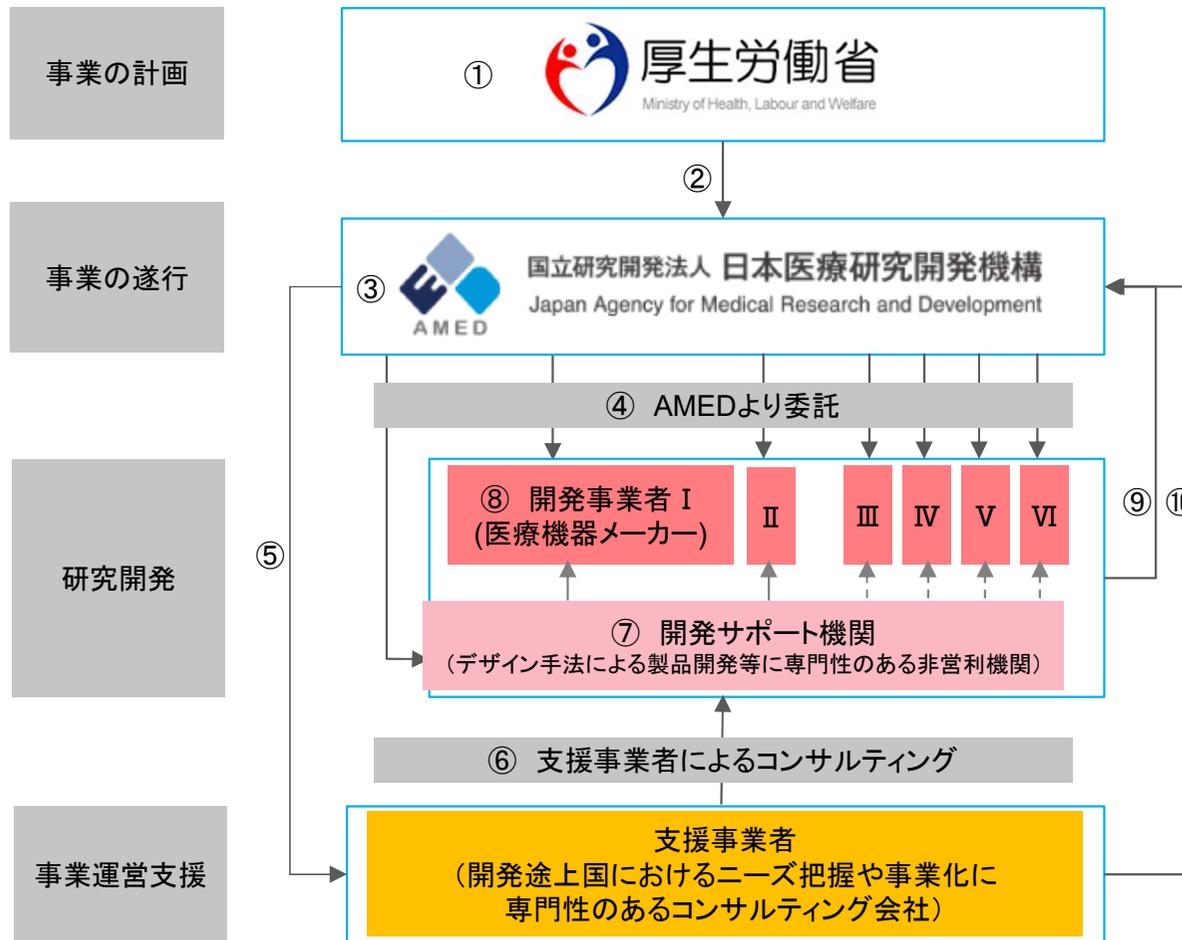
- ✓ (増額要求)アフリカ向け医療機器等の実用化にかかる支援機能(薬事コンサルティング能力等)を強化する。
- ✓ デザインアプローチ等を用いたアジア・アフリカ地域におけるニーズ探索、コンセプト確立、試用機作製・評価等を実施する
- ✓ アジア・アフリカ地域の現地当局・政府・医療機関とのネットワークを確立・強化する

## 研究の成果・活用

- アフリカを対象とした研究課題を推進する事で、アフリカ健康構想基本方針における「アフリカ固有の課題を念頭に置いた持続可能なヘルスケアの構築」に貢献する。
- 研究実施対象地域を、アジアに加えてアフリカ地域へ拡大する事で、アフリカの実情やニーズの把握・現地ネットワーク構築など開発サポート機関の支援能力・体制強化につなげる。
- 研究成果を事業説明会や成果報告会で報告し本事業の周知を図るとともに、研究によって得られた成果および知見(例:国毎・分野毎に中核となる病院やキーパーソンの情報、相手国における独特のニーズや課題等)事例集等として纏め展開する。
- 当該研究を通じて開発した医療機器等について、他の国際展開支援施策の活用等、連携を図る。
- 開発サポート機関により構築された持続的な開発事業者支援プログラムの実践を行う。

相手国のニーズを踏まえた製品の研究開発を行い、医療技術等の実用化を促進

# 参考：開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業の実施体制



- ① 厚生労働省は、「健康・医療戦略」等をふまえ、医療機器における国際展開の方向性を提示
- ② 医療機器分野での国際展開を推進するために、厚生労働省よりAMEDへ補助
- ③ AMEDは、研究開発支援のノウハウを活かし、開発事業者(医療機器メーカー)が開発途上国等へ海外展開するにあたって必要な支援について要件を定義
- ④ AMEDは、開発事業者、開発サポート機関を公募し、研究開発事業を委託
- ⑤ AMEDは、支援事業者を調達
- ⑥ 支援事業者は、開発サポート機関、開発事業者に対して、以下についてコンサルティングを提供
  - ・ 受入れ先病院との契約手続き支援
  - ・ 事業戦略の策定支援
  - ・ バイオデザイン等デザインアプローチによる試作品作製支援
  - ・ 複数の専門家による多面的コンサルティング等々
- ⑦ 開発サポート機関は、開発事業者を事例としてデザインアプローチに基づく開発手法を確立する。**令和6年度はアフリカ向けの支援体制強化を図る。**
- ⑧ 開発事業者は、開発サポート機関と共に、研究開発に取り組む。**令和6年度はアフリカ向け課題を実施する。**
- ⑨ 開発事業者は、医療現場で収集したニーズの内容や、研究の成果を、開発サポート機関は開発手法についての研究成果をAMEDに報告
- ⑩ 支援事業者は、支援業務の結果をAMEDに報告

## AMEDの役割・機能

当該事業において実施する開発途上国・新興国等のニーズを十分に踏まえた医療機器開発については、医療機器開発に係る研究開発を推進しているAMEDにおいて、現地ニーズから製品設計に繋げるデザインアプローチ等を支援する開発サポート機関、コンサルティングを提供する支援事業者を含めて把握することにより、薬事申請に至るまでの開発における知見の活用資することができることから、AMEDにおけるPDCAサイクルの下、開発途上国・新興国等の医療現場における具体的な医療機器へのニーズ把握から試作品作製まで、一貫したマネジメントにより、成果の最大化・最速化を実現することができる。

開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業



具体的な活動

1年目

デザインアプローチ

採択者講習	■ 採択後、現地でのニーズ把握に先立ち、 <b>日本の病院での臨床現場観察実習を含むデザインアプローチ</b> についての講習を実施する。
対象国領域選択	■ 途上国・新興国において進出するメリット・潜在的リスクを洗い出し、進出の可否の判断基準に必要な情報を明確にする。
ニーズ探索	■ <b>臨床現場に入り込み観察</b> を行い、 <b>課題を特定</b> する。 ■ 課題を理解することで <b>ニーズへ落とし込む</b> 。
ニーズ絞り込み	■ <b>洗い出されたニーズを一定基準を設定してふるい分ける</b> 。 ■ 自社の技術・戦略の方向性との比較による <b>ニーズの優先順位づけ</b> を行う。
コンセプト作成	■ <b>プロトタイプを通じて解くべき問いの明確化</b> を行う。 ■ プロトタイプ製作後、ニーズにどれだけ答えられているかで、 <b>コンセプトを評価</b> する。
開発戦略・事業化計画立案	■ 技術的課題の特定と優先順位づけや、臨床的な <b>目的設定・試験モデルの選択・実施</b> などの立案する。



2~3年目

開発・改良臨床評価	■ 必要となるエビデンスの特定や <b>マーケティング・販売戦略</b> の策定を行う。
承認申請	■ 開発・改良や臨床研究を実施する。 ■ 相手国保健省・規制当局等と情報連携
現地上市	■ 現地上市



当該活動フローについて、主にアジア向けの医療機器研究開発課題を対象としてきたが、今般アフリカ向け研究課題を支援するにあたって支援期間等の見直しが必要。

## 事業概要(背景・目的)

再生医療等は、これまでの治療では対応困難であった疾患に対する新たな治療法となり得るものであり、最新の再生医療を世界に先駆けて実用化することを目的として、倫理性及び科学性が十分に担保された臨床研究や医師主導治験等を支援する必要がある。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	2,712,244
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	2,712,244

## 令和6年度概算要求のポイント

- 再生医療等の実用化に向け、細胞移植時のヒト幹細胞の腫瘍化や微生物汚染等のリスクに対する安全性確保のための研究、機能不全となった組織や臓器の治療方法探索のための臨床研究、臨床開発の早い段階から出口を見据え、企業の協力を得ながら品質・非臨床データの取得や医師主導治験の実施を進める研究、再生医療等の品質及び安全性を担保する評価基準策定に向けた研究等を支援し、再生医療等製品・先進医療へ着実に繋げることを目的とする。また、日本国内だけでなく海外にも展開可能な再生医療等技術の確立を目指す研究を重視する。
- 令和6年度は、研究開発の進んでいないin vivo 遺伝子治療の実用化に向け、遺伝子導入、改変等が有効と考えられる疾患の治療方法探索のための臨床開発の早い段階から出口を見据え、企業の協力を得ながら品質・非臨床データの取得や臨床研究・医師主導治験の実施を進める研究を支援し、遺伝子治療製品・先進医療へ着実に繋げることを目的とする。特に、in vivo遺伝子治療の臨床研究・医師主導治験の支援及び、その準備段階の支援については、重点的な支援を行い、着実な実用化を目指す。

## これまでの成果概要等

令和2年度から令和3年度までの研究において、パーキンソン病に対するiPS細胞由来分化細胞を用いた医師主導治験など、5件の臨床研究や医師主導治験が実施された。引き続き、臨床研究又は治験に移行する研究課題を支援することで再生医療等の実用化を推進する。

### 【再生・細胞医療・遺伝子治療(令和2年度から令和3年度まで)】

#### <アウトプット>

- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 38件
- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況 78件
- ・治験に移行した研究課題数 6件
- ・臨床研究に移行した研究課題数 7件

#### <アウトカム>

- ・企業へ導出される段階に至った研究課題数 0件
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況 13件
- ・薬事承認件数 1件

# 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

## 再生医療等実用化研究事業

- 再生医療等の実用化に向け、細胞移植時のヒト幹細胞の腫瘍化や微生物汚染等のリスクに対する安全性確保のための研究、機能不全となった組織や臓器の治療方法探索のための臨床研究、臨床開発の早い段階から出口を見据え、企業の協力を得ながら品質・非臨床データの取得や医師主導治験の実施を進める研究、再生医療等の品質及び安全性を担保する評価基準策定に向けた研究等を支援し、再生医療等製品・先進医療へ着実に繋げることを目的とする。また、日本国内だけでなく海外にも展開可能な再生医療等技術の確立を目指す研究を重視する。
- 令和6年度は、研究開発の進んでいないin vivo 遺伝子治療の実用化に向け、遺伝子導入、改変等が有効と考えられる疾患の治療方法探索のための臨床開発の早い段階から出口を見据え、企業の協力を得ながら品質・非臨床データの取得や臨床研究・医師主導治験の実施を進める研究を支援し、遺伝子治療製品・先進医療へ着実に繋げることを目的とする。特に、in vivo 遺伝子治療の臨床研究・医師主導治験の支援及び、その準備段階の支援については、重点的な支援を行い、着実な実用化を目指す。

### 1) 再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に向けた研究の支援

#### ア. 安全性の確保のための研究

安全性を確保するため、実用化の課題となっている分野（がん化等）に対する研究を支援。



#### イ. 治療方法探索のための研究

再生・細胞医療を用いた、実用化に近い治療方法に係る臨床研究を支援。



#### ウ. 多能性幹細胞の臨床応用に向けた細胞特性解析のための研究

臨床に用いる多能性幹細胞が持つ株ごとの細胞特性を解析し、臨床応用の加速化、コスト削減に繋がる研究を支援。



#### エ. 産学連携による研究

アカデミア発のシーズを、速やかに実用化につなげていくためアカデミアと企業が協力して行う、再生・細胞医療・遺伝子治療に関する研究に対して支援。



#### オ. 臨床研究等における課題解決・新たな治療法の開発に係る研究

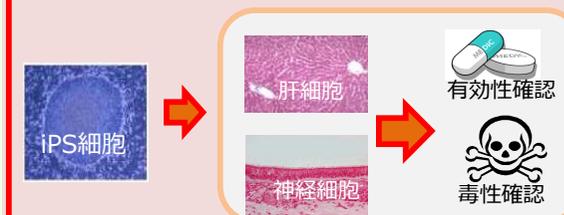
臨床研究や治験における有効性及び安全性の評価に必要な臨床情報のデータ収集等により、再生医療等の臨床開発における課題を解決し、新たな治療法の確立に繋がる研究を支援。



### 2) 創薬応用に向けた研究の支援

#### カ. 多能性幹細胞・体性幹細胞等を利用した創薬応用のための研究

臨床研究・治験の移行段階にある医薬品の候補化合物等について、効果的・効率的な研究の実施に向けた安全性評価法等に関する研究開発を支援。



### 3) 基盤的支援

研究成果をイ、エの個別事業にフィードバック

#### キ. 再生医療等技術の効率化のための研究

再生医療の効率化につながる技術の開発・向上や研究プロセスの刷新を図るための研究を支援。



#### ク. 再生医療等技術の国際展開のための研究

国内での早期実用化を目指して臨床での検証を実施しているところであり、世界的な市場展開も視野に入ってきている段階であるため、製造方法(培養添加物等)や品質管理方法、移送方法(凍結保存液等)の研究を支援。



# 具体的な研究内容等①

令和2年度から令和3年度までの研究において、パーキンソン病に対するiPS細胞由来分化細胞を用いた医師主導治験など、5件の臨床研究や医師主導治験が実施された。引き続き、臨床研究又は治験に移行する研究課題を支援することで再生医療等の実用化を推進する。

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(令和3年度末)5件、②承認申請・承認等に至った研究開発(令和3年度末)0件、③特許申請・登録等に至った研究開発(令和3年度末)7件、④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(令和3年度末)4件

## 網膜色素不全症に対するiPS細胞由来網膜色素上皮(RPE)移植に関する臨床研究

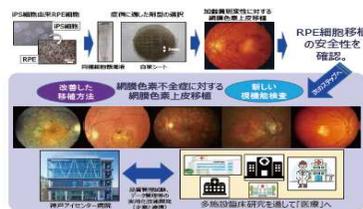
高橋 政代 神戸市立神戸アイセンター病院 研究センター センター長



### 加齢黄斑変性に対するiPS細胞由来網膜色素上皮(RPE)細胞移植

これまで、iPS細胞から作ったRPE細胞を、患者さんの眼の状態に合わせて2種類の移植方法、自家iPS細胞由来RPEシートと同種(他家)iPS細胞由来RPE細胞懸濁液を使用して、主にその安全性を調べることを目的に加齢黄斑変性の患者さんに移植しました。その成果として、移植したRPE細胞からの腫瘍の発生や異常な増殖はみられず、他人の細胞である同種iPS細胞から作ったRPE細胞移植の免疫拒絶反応(移植された細胞に対して患者自身の細胞が排除しようとする仕組み)に対しても、おなじHLAを持つ患者さんに移植することで、免疫拒絶反応を抑えることができることが確認されました。また、移植は患者さんの視力も維持されたことから、次のステップであるiPS細胞由来RPE細胞移植の実用化に向けた準備が整いました。

けではなく、RPE細胞の異常が原因となる様々な病気をひとくりにした網膜色素



### 色素上皮不全症多施設臨床研究の実施

現在、この治療を次の段階に進めるために、加齢黄斑変性だ

上皮不全症に含まれる患者さんを対象とし、有効性を調べる臨床研究を進めています。また、この研究では、移植細胞の広い範囲での均一な生着が期待され、移植方法の改善と新しい高感度の視機能検査を取り入れることで、有効性評価に向けての準備をかため、加えて、企業とも連携し、品質管理試験や臨床データ管理などの実用化技術の開発を進め、より多くの医療機関で臨床研究を行う予定です。

## パーキンソン病に対するヒトiPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞の細胞移植による安全性及び有効性を検討する臨床試験(治験)に関する研究

高橋 淳 京都大学 iPS細胞研究所 教授



パーキンソン病は脳内のドパミン神経細胞が徐々に減少する神経難病で、手足の震えやこわばりから始まり次第に動けなくなってしまいます。そこで細胞移植による治療では、失われたドパミン神経細胞を移植で補って症状の改善を目指します。我々はiPS細胞からドパミン神経細胞を複製する方法を開発し、その安全性と有効性を慎重に検証しました。その結果に基づき、2018年8月に細胞移植の臨床試験(治験)を開始し、同10月に京都大学医学部附属病院において第1例目の手術を行いました。対象となるのは50歳から69歳の7名のパーキンソン病患者で、移植後2年間の経過観察を行い安全性と有効性を評価します。コロナ禍で様々な困難がありましたが、2020年度には5例目までの手術を終え、治験は順調に進んでいます。本治験で安全性と有効性を確認し、細胞移植治療をパーキンソン病に対する



標準治療のひとつとすることによって、より多くのパーキンソン病患者を救うことが我々の目標です。

## iPS細胞由来角膜上皮細胞シートのfirst-in-human 臨床研究

西田 幸二 大阪大学 大学院医学系研究科 教授



本課題では、我々が世界で初めて開発した、iPS細胞から角膜上皮細胞シートを複製する新規再生医療技術のFirst-in-human臨床研究を実施しています。



術後経過を観察しています。また、開発した製品の再生医療等製品としての保険収載を目標に、薬事に関する規制対応も促進しています。本研究事業では、本再生医療等製品の臨床研究を推し進め早期の実用化と普及につなげることで、既存の角膜移植治療におけるドナー不足と拒絶反応という課題の解決を目指します。

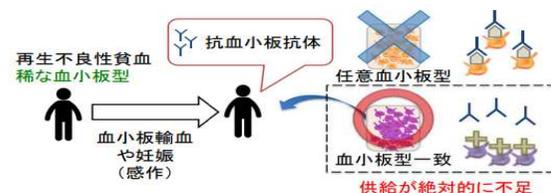
## 自家iPS細胞由来血小板製剤の安全性有効性検証 臨床研究

江藤 浩之 京都大学 iPS細胞研究所 教授



血小板にはHLA(ヒト白血球抗原)クラスIやHPA(ヒト血小板特異抗原)といった型があります。赤血球のABO型と異なり、これらの型が合っていないと通常は問題なく血小板の輸血ができます。しかし、時に自分と異なる型に対する拒絶反応が起こり、輸血しても血小板が増えない状態(血小板輸血不応症)になります。このような場合、型の適合する血小板が輸血に必要ですが、稀な型であると適合する献血ドナーを見つけないことが難しいことがあります。そこで、再生不良性貧血という血小板が減少する病気をもちながら適合する献血者が見つからない1名を対象に、ご本人のiPS細胞から血小板を製造し、実際に輸血して副作用が起こらないかを検証する臨床研究を行いました。安全性の確認ができれば、大量の血小板輸血が実際に必要になった時に、自分のiPS細胞由来の血小板の輸血を安心して受けられることに繋がります。

### 臨床研究計画のコンセプト(自己輸血)



- 自己のiPS細胞から血小板を製造する(唯一の治療手段)
- 用量漸増(初期投与量は輸血剤の1/20)
- 主要評価項目は安全性、副次評価項目は有効性

URL [http://www.cira.kyoto-u.ac.jp/j/research/eto\\_summary.html](http://www.cira.kyoto-u.ac.jp/j/research/eto_summary.html)  
<http://www.cira.kyoto-u.ac.jp/eto/>

# 具体的な研究内容等②

## 亜急性期脊髄損傷に対するiPS細胞由来神経前駆細胞移植の臨床研究

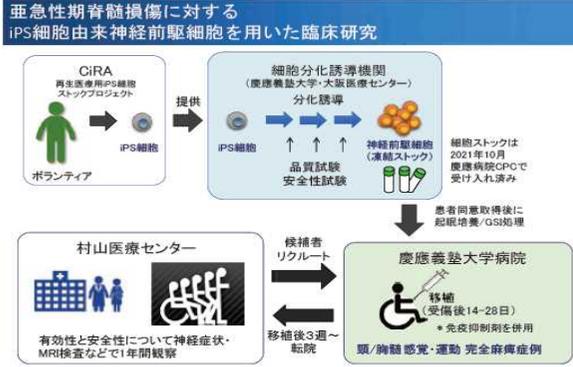
中村 雅也 慶應義塾大学 医学部 教授



私達はこれまで、ヒトiPS細胞から神経前駆細胞を作製することに成功し、亜急性期脊髄損傷モデル動物に対する有効性を報告してきました。2019年度にはこの研究成果を用いて、ヒトiPS細胞由来神経前駆細胞を亜急性期の脊髄完全損傷患者さんの脊髄損傷部に移植する世界初の臨床研究計画が厚生科学審議会承認され、2021年度から患者募集を開始いたしました。

本事業では、品質評価済みのiPS細胞由来神経前駆細胞ストックを用いて、最大4名の頸胸髄完全損傷患者さんに対して受傷後14~28日目に細胞移植を実施します。主要評価項目を安全性、副次評価項目を有効性とし、移植後約1年間の経過観察を実施する計画です。

また臨床研究と並行して、iPS細胞由来神経前駆細胞ストックの凍結後60ヶ月までの長期安定性に関する検証も実施する計画です。



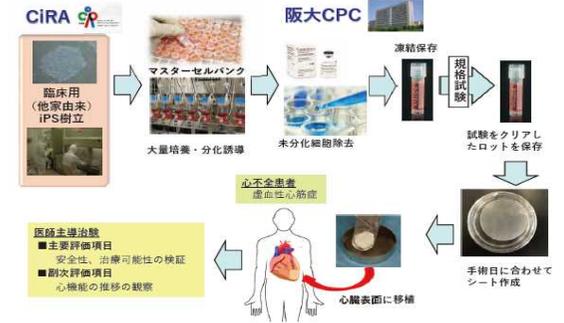
## 虚血性心筋症に対するヒト(同種)iPS細胞由来心筋細胞シートの臨床試験

澤 芳樹 大阪大学 大学院医学系研究科 特任教授



近年重症心不全は高齢化とともに加速度的に増加しつつあり、年間約4万3千人が死亡している重篤な病です。その根本的治療は、心臓移植と人工心臓などの置換型医療ですが、ドナーの不足や人工心臓の耐久性などの多くの課題があり、心筋の再生を目指す治療法の開発が急務とされています。当課題では、京都大学iPS細胞研究所で樹立された臨床使用が可能なグレードのiPS細胞から心筋細胞を大量に効率良く培養し、iPS細胞由来心筋細胞シートの作製法を開発しました。更に、各種動物モデル等を用いてiPS細胞由来心筋細胞シート移植が重症心不全に対し改善効果があることを示し、有効性と安全性を確立しました。2019年11月より虚血性心筋症を対象として医師主導治療を開始し、2020年1月に世界で初めて、iPS心筋細胞シートのヒトへの移植が行われました。2021年8月時点で治療前半の3例の移植および6か月のフォローアップが終了し、医師主導治療後半のコホートが開始されました。

### iPS心筋シートを用いた再生医療の概要

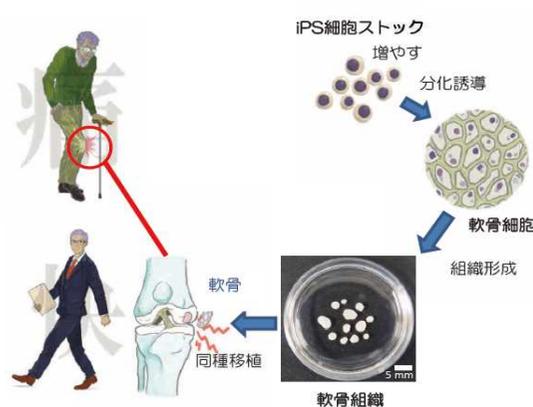


## 同種iPS細胞由来軟骨移植による関節軟骨損傷の再生

妻木 範行 京都大学 iPS細胞研究所/大阪大学 大学院医学系研究科 教授



損傷した軟骨は修復能力に乏しく、修復しても機能が劣る線維性軟骨で置換され、将来的には変形性関節症に移行する場合があります。このため、損傷軟骨は正常な軟骨を移植して修復する必要があります。これまでの、正常な軟骨を大量に用意することは不可能でしたが、我々はiPS細胞から良質な軟骨を大量製造する技術開発に成功しました。さらに臨床応用に向けた製造体制を確立し、その安全性と有効性を確認しました。そして、関節軟骨損傷患者にiPS細胞由来軟骨を移植する実施計画が厚生労働省で承認され、現在臨床研究を実施中です。これまでの関節軟骨損傷に対する細胞移植治療法では、移植細胞自身は修復組織を形成せず、その修復機序は、移植細胞が一過性に産生する修復因子による効果であり、その効果も限定的でした。このような既存の治療法とは異なり、我々は移植軟骨自身が修復軟骨を構成する根拠的な軟骨再生治療法の実現を目指します。



## バイオ3Dプリンタを用いて造形した小口径 Scaffold free細胞人工血管の臨床研究

中山 功一 佐賀大学 医学部附属再生医学研究センター 教授



私たちは、細胞団子を剣山に積層して立体構造物を作製する独自の“バイオ3Dプリンタ”を使い、細胞だけでできた新しい人工血管の開発を行っています。ケガや病気で血管が切れたり詰まったりしたときには、人工血管を使った血管再建手術が行われており、再建したい部位に合わせて様々な太さの人工血管が利用されています。しかし、従来の人工血管は、ポリウレタンやテフロン樹脂などの人工材料からできているため本物の血管に比べて細菌感染に弱い、詰まりやすい、針を刺すと針穴が塞がりにくいなどの課題があります。私たちが開発した人工血管は細胞だけでできており、本物の血管に近い性質をもつため、既存の人工血管のこうした課題を克服できることが期待できます。本研究課題では、この細胞人工血管を実際の患者さんに血管として移植し、安全かどうか？血管として機能するか？を確認するための臨床研究を行います。人工透析を受ける末期腎不



全患者さんのうち、透析を受けるためのバスキュラーアクセス（シャント）に詰まりや瘤などのトラブルを抱える方を対象とします。患者さんご自身の皮膚から採取した細胞から細胞人工血管を作製し、シャントのトラブル箇所を置き換えたり迂回したりする形で移植します。

## 期待されるアウトプット、アウトカム

### ○ 期待されるアウトプット

・「再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト」に基づき、文部科学省事業での推進により、非臨床段階から臨床段階へ移行した課題について、切れ目なく支援を行い、臨床研究又は治験に移行する課題の拡大、再生医療等製品の薬事承認数増加を目指すとともに、iPS細胞等を用いた病態解明等を目指す。

#### 【令和2年度～令和6年度までのKPI】

治験に移行した研究課題数：14件

研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載数(再生医療  
実用化研究事業(厚)、再生医療実現拠点ネットワークプログラム(文)、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(経)合算：400件

### ○ 期待されるアウトカム

・国内で実用化された再生医療等技術の世界的な市場展開も視野に入れた研究支援を行うことで、国際的に発信すべき細胞の安全性評価方法、製造方法や品質管理方法等の確立が期待される。また、産と学の更なる連携により、アカデミア発のシーズから速やかに企業治験(再生医療等製品の開発)につながる研究の増加も期待される。

#### 【令和2年度～令和6年度までのKPI】

企業へ導出される段階に至った研究課題数：5件

薬事承認件数(新薬、適応拡大)：1件

# ゲノム創薬基盤推進研究事業

令和5年度予算額 319,812千円

## 事業概要(背景・目的)

- ゲノム解析技術等が著しく進展し、ゲノム情報を活用した医療への取組が急速に進みつつある。わが国でも、がんや難病の分野を中心に、ゲノム医療(個人のゲノム情報等に基づく、その人の体質や症状に適した医療)を推進しているが、今後もゲノム医療の実用化をより一層進める観点から、オールジャパン体制で取組を強化する必要がある。
- ゲノム医療の推進に係わる諸課題の解決、ゲノム医療の実用化の推進のための基盤的な研究を行う。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	319,812
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	319,812

## 令和6年度概算要求のポイント

データベースやバイオバンクに集積されているゲノム情報・臨床情報等を活用し、ファーマコゲノミクス研究やVUS(臨床的意義が不明な変異)の機能解析を行うことで、遺伝子変異・多型と疾患との関連等を明らかにし、ゲノム医療・個別化医療を推進するとともに、創薬につなげる。特に、疾患D3Gデータベース及びバイオバンクの管理・運営体制をさらに充実させる。また、がん、難病を中心に日本人集団のゲノム配列解析が推進されている中、VUSは急増しており、この解決はゲノム解析結果を個人に返却する上で深刻な障壁となっている。他方、シングルセル解析や空間トランスクリプトーム解析に代表される新しいVUS機能解析技術が、米国を中心に一気に普及し欧米人集団を対象とした大規模データセットが整備されつつある。このように、VUSの機能解析は現在、世界中が注目する領域となっており、本邦においても本事業でこの取組を継続するとともに、取組の成果をゲノム医療に繋げるために、若手の人材育成を重点化して、ゲノム医療の国民還元を加速していく。

## これまでの成果概要等

- バイオバンクの利活用によってアカデミア・産業界において再現可能で多様な研究開発が実施できるようにするため、バイオバンクの現状の課題を抽出し解決策を記載した「バイオバンク利活用促進のための調査報告書」及び「バイオバンク利活用ハンドブック<試料編>」を作成した(令和5年3月)。
- 核酸医薬品創製のためのゲノムDNA・RNA総合データベースD3G(Database for Drug Development based on Genome and RNA)にアカゲザルを追加搭載したことで、これまでカニクイザルで行われてきた核酸医薬品の薬効試験及び安全性試験が、アカゲザル(カニクイザルと同等のヒトゲノム相同性を有し、かつ、カニクイザルに続き2番目の使用頻度である)まで拡充することができるようになり、カニクイザル供給不足による核酸医薬創製に遅れを生じることなく、かつさらなる製品としての信頼性・精度向上が期待できるようになった(令和5年3月)。
- ミトコンドリア病関連ミトコンドリア遺伝子VUSの機能的ハイスループットスクリーニングをおこなった結果、Pathogenic variantとして新規なミトコンドリア病発症遺伝子ndufv2バリエーションを発見した(令和5年1月)。

### <アウトプット>

- ・非臨床POCの取得件数 (令和2~4年度) 3件
- ・臨床POCの取得件数 (令和2~4年度) 1件
- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 (令和2~4年度) 21件
- ・新たな疾患発症メカニズム解明件数 (令和2~4年度) 5件
- ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 (令和2~4年度) 17件
- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況 (令和2~4年度) 60件

### <アウトカム>

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 (令和2~4年度) 2件
- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 (令和2~4年度) 2件
- ・疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 (令和2~4年度) 5件

## 具体的な研究内容等

### A. ゲノム創薬研究の推進に係る課題解決に関する研究

ゲノム創薬研究においては、研究者が各種バイオバンクの検体等を有効に利活用することが重要である。そのため、国内の各バイオバンクの利活用を妨げている要因を特定し、それを取り除くための具体的な方策を提案する。また、生体試料の向上に向け、生体試料の処理方法と品質との関係を実際に生体試料を用いた研究で調べ、生体試料ごとのミニマム共通SOPを作成する。

### B. ゲノム情報を活用した新規創薬ターゲットの探索等の基盤整備に関する研究

RNA構造(スプライシングバリエーション及び非コードRNAを含む)に関するデータを解析し、高い有効性・安全性を有する医薬品シーズ(主に核酸医薬品)を効率よく探索・同定するためのデータベースを構築する。

### C. 網羅的生体情報を活用したゲノム診断・ゲノム治療に資する研究

#### 1) ファーマコゲノミクスにより効果的・効率的薬剤投与を実現する基盤研究

ゲノム検査で得られるデータとその他の客観的な臨床データを解析することで得られる新たな知見を用いて、効果的・効率的で安全な薬剤投与を実現する基盤技術に関する研究を行う。

#### 2) 遺伝性疾患のゲノム解析で得られたVUS(\*)への機能的アノテーションに資する基盤研究

遺伝性疾患において、疾患との関連性が明らかでない遺伝子変異の機能を、高精度かつ効率よく解析する手法の開発に関する研究を行う。

(\*) VUS: Variant of Uncertain Significance (臨床的意義が不明な変異)

## 期待されるアウトプット、アウトカム

### ○ 期待されるアウトプット

<令和2年度～令和6年度までのKPI>

- ・非臨床POCの取得件数 3件
- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 60件
- ・新たな疾患発症メカニズム解明件数 3件
- ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 6件
- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況 60件

### ○ 期待されるアウトカム

<令和2年度～令和6年度までのKPI>

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 4件
- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 3件
- ・疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 3件

## 事業概要(背景・目的)

本研究事業では、文部科学省・経済産業省と連携し、基礎的・基盤的研究成果を確実に医療現場に届けるため、主に応用領域後半から臨床領域にかけて予防・早期発見、診断・治療等、がん医療の実用化をめざした研究を「健康・医療戦略」及び「がん研究10か年戦略」に基づいて強力に推進し、健康長寿社会を実現するとともに、経済成長への寄与と世界への貢献を達成することをめざす。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	2,211,506
医療機器・ヘルスケア	190,494
再生・細胞医療・遺伝子治療	1,335,227
ゲノム・データ基盤	4,442,288
疾患基礎研究	1,048,188
シーズ開発・研究基盤	0
計	9,227,703

## 令和6年度概算要求のポイント

第4期がん対策推進基本計画およびがん研究10か年戦略に基づき、がんゲノム医療、小児・AYA世代のがん、高齢者のがん、難治性がん、希少がん等に関する研究や治療法の開発を行うとともに、がんの治療に伴う副作用・合併症・後遺症に対する予防とケア(リハビリテーションや支持療法等)といった患者のQOL向上に資する研究等を重点的に支援する。

がん患者のより良い医療の推進のため、特に、難治性小児がん治療薬の開発、遺伝子改変免疫細胞(CAR-T)および遺伝子治療・細胞治療に係る医師主導治験の加速、術後サーベイランス(再発の有無の検査頻度)や高額な医療資源の再配分に関する研究、働く女性のがん予防と対策に関する研究、高齢がん患者の「健康寿命」に着目した臨床試験、臨床画像データ・AIを活用した臨床研究、発がん要因のゲノム作用機序に基づく予防あるいは超早期診断、がんの進化・進展におけるゲノム異常の本態理解に基づく先制医療の開発研究を推進する。

「がん研究10か年戦略」に掲げられた戦略目標を着実に成し遂げ、将来にわたり持続的な事業展開を図るため、次世代を担う人材を育成するための取り組みを実施する。

## これまでの成果概要等

がんの生物学的本態解明に迫る研究開発や、患者のがんゲノム情報等の臨床データに基づいた研究開発、個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発、免疫療法や遺伝子治療等をはじめとする新しい治療法の開発等を実現してきた。(令和5年3月時点)

### ①医薬品プロジェクト

#### 【アウトプット】

- ・非臨床POCの取得件数 実績 5件
- ・臨床POCの取得件数 8件

#### 【アウトカム】

- ・シーズの企業への導出件数 15件
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行 1件
- ・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 3件

### ②医療機器プロジェクト

#### 【アウトプット】

- ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する課題採択 1件

#### 【アウトカム】

- ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認 0件

### ③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

#### 【アウトプット】

- ・治験に移行した研究課題数 5件  
(うち、遺伝子治療 5件)

#### 【アウトカム】

- ・企業へ導出される段階に至った研究課題数 4件  
(うち遺伝子治療の件数 4件)
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行 4件
- ・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 1件

### ④ゲノム・データ基盤プロジェクト

#### 【アウトプット】

- ・臨床POCの取得件数 11件
- ・研究成果の科学誌への論文掲載状況(インパクトファクター5以上) 745件
- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載 617件

### ⑤疾患基礎研究プロジェクト

#### 【アウトカム】

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出 2件

## 具体的な研究内容等

## プロジェクト①(医薬品)

難治性神経芽腫に対するIL2、CSF併用ch14.18 免疫療法の国内臨床開発(H28~R2)  
大阪市立総合医療センター 原 純一

### 研究内容

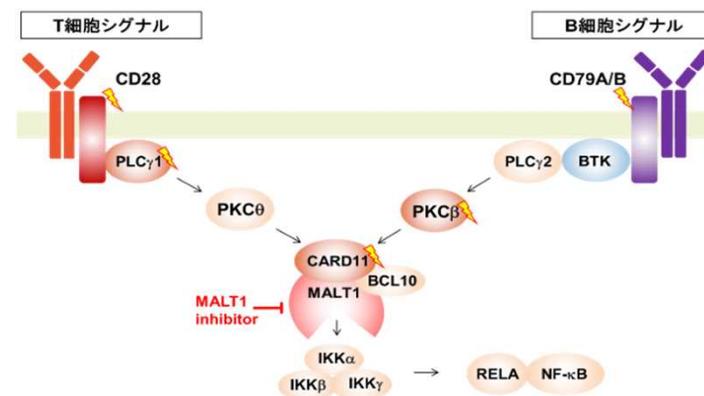
代表的な小児がんである神経芽腫に対して、抗GD2抗体ジヌツキシマブの「大量化学療法後の神経芽腫」の治療薬として医師主導治験を実施した。本結果に基づき、薬事申請を行い、令和3年6月薬事承認を受けた。同時に、併用薬であるフィルグラスチム、テセロイキンの神経芽腫に対するジヌツキシマブの併用薬としての適応拡大の承認申請が行われ、令和3年6月薬事承認を受けた。



難治性リンパ腫に対するMALT1阻害剤の開発(H30~R2)  
国立大学法人京都大学 小川誠司

### 研究内容

リンパ球系血液細胞のシグナル伝達に關与するMALT1に対する選択的な阻害剤の研究開発を行った。具体的には、①MALT1臨床開発候補化合物の創生、及び当該化合物を用いての治験薬申請に必要な非臨床試験、②MALT1阻害剤を適応すべき難治性リンパ腫種の特異、及び患者層別化バイオマーカーの同定・検出系の確立を行った。本結果を基に国内企業への導出が完了した。



## 期待されるアウトプット、アウトカム

①医薬品プロジェクト【期待されるアウトプット、アウトカム】令和4年度末迄の達成状況(括弧内は令和6年度までの達成目標)

### 【アウトプット】

- ・非臨床POCの取得件数 5件(5件以上)
- ・臨床POCの取得件数 8件(1件)

### 【アウトカム】

- ・シーズの企業への導出件数 15件(3件以上)
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行 1件(-)
- ・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 3件

## 具体的な研究内容等

## プロジェクト②(医療機器)

先天性巨大色素性母斑を母地とした悪性黒色腫に対する予防的低侵襲治療方法の開発～高圧処理新規医療機器の研究開発(H26～R4)  
京都大学 森本尚樹

### 研究内容

先天性巨大色素性母斑に対して、切除母斑組織を高圧処理により不活化させ、自家真皮再生に再利用できることを明らかにした。本治療に用いる高圧処置装置の医療機器承認を目指した医師主導治験を行い、終了している。  
承認申請を見据え、PMDAと協議中であり、日本発の新規医療機器と新規治療法の高圧処理・組織再移植治療を世界へ発信することを目指す。



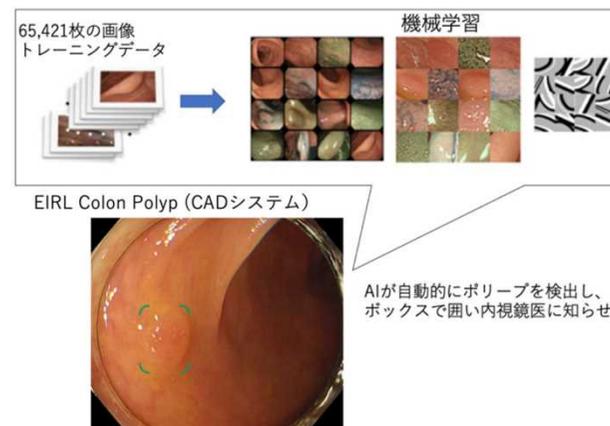
高圧処理装置

深層学習アルゴリズムを活用した大腸内視鏡用診断支援プログラムの実用化研究(R2～R4)

慈恵大学 炭山和毅

### 研究内容

大腸内視鏡の画像情報(動画)からAIを用いて、大腸ポリープ候補の『検出』を支援するソフトウェアを開発し、深層学習を活用したプログラム医療機器(医療機器クラス分類Ⅱ)として、2022年4月に申請し、11月に薬事承認を取得した。  
ポリープの見落としを減らすことで、将来の大腸癌発生リスク低減が期待される。  
更に、今後は『鑑別』を支援するソフトウェアについてもPMDAと協議中であり、今後、申請予定である。(こちらは医療機器クラスⅢを想定している。)



## 期待されるアウトプット、アウトカム

②医療機器プロジェクト【期待されるアウトプット、アウトカム】令和4年度末迄の達成状況(括弧内は令和6年度までの達成目標)

【アウトプット】

・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する課題採択 1件(-)

【アウトカム】

・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認 0件(-)

## 具体的な研究内容等

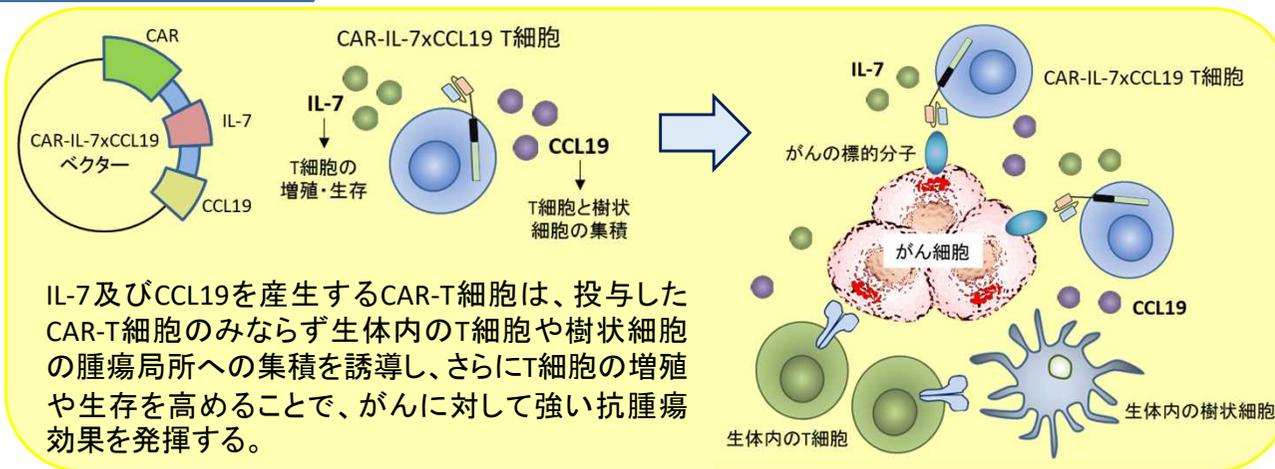
## プロジェクト③(再生・細胞医療・遺伝子治療)

### 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(R1~R3)

国立大学法人山口大学 玉田耕治

#### 研究内容

研究代表者らは、固形がんに対するCAR-T細胞療法の標的分子として、CAR発現効率及び腫瘍増殖抑制作用の高い分子を見出した。また、当該分子を認識するCARに加え、IL-7及びCCL19を組み込んだCARを発現するCAR-T細胞を開発し、非臨床試験及びGMP製造体制の構築を行った。本結果をもとに国内企業へ導出され、以後の臨床開発は企業のもとで行う予定である。

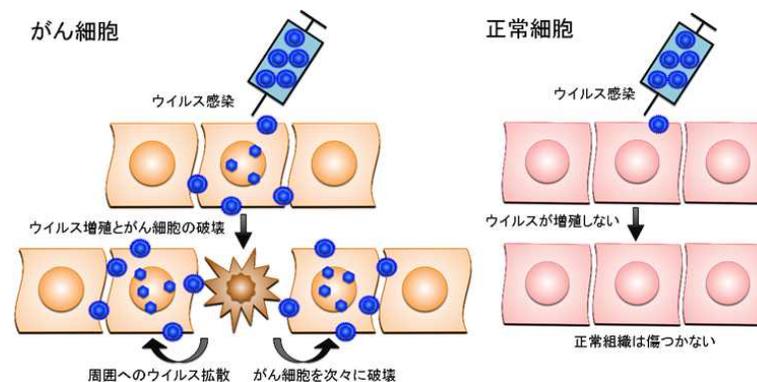


### 革新的抗がんウイルス療法の実用化臨床研究(H27~R2)

国立大学法人東京大学 藤堂具紀

#### 研究内容

第三世代のがん治療用ヘルペスウイルス G47Δを用いて、悪性脳腫瘍の一種である膠芽腫の医師主導治験を実施し、1年生存率84.2%と高い有効性を示した（標準治療の1年生存率は14%）。本結果をもとに国内導出先企業とともに、令和2年12月に製造販売承認申請を行い、令和3年6月に製造販売承認された。



## 期待されるアウトプット、アウトカム

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト【期待されるアウトプット、アウトカム】令和4年度末迄の達成状況(括弧内は令和6年度までの達成目標)

#### 【アウトプット】

・治験に移行した研究課題数 5件 (うち、遺伝子治療 5件) (5件 (うち、遺伝子治療 1件))

#### 【アウトカム】

・企業へ導出される段階に至った研究課題数 4件 (うち遺伝子治療の件数 4件) (2件 (うち遺伝子治療の件数 1件))

・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行 4件(-)

・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 1件(1件以上)

# 具体的な研究内容等

# プロジェクト④(ゲノム・データ基盤)

世界初・日本発：超音波検査による乳がん検診のランダム化比較試験～若年女性への乳がん検診の標準化と普及へ向けて～(H27～継続中)  
 東北大学大学院医学系研究科/東北大学・ 特任教授/名誉教授 大内憲明

## 研究内容

若年女性に対する乳がん検診での乳房超音波検査の有効性を検証する目的で、ランダム化比較試験を76,169人の協力を得て実施。乳房超音波検査がマンモグラフィのがんを検出できない欠点を補う有力な検査法であることが示された。乳がん検診に関する大規模RCTは世界初であり、40歳代の乳がん罹患率の高い日本を含むアジア地域では特に重要な成果と言えます、世界で増え続ける乳がん対策の重要な礎となることも期待される。

### 研究の概要

厚生労働省/日本医療研究開発機構 (AMED)  
 乳がん検診における超音波検査の有効性を検証するための比較試験

1-STARTは2007年度から研究参加者募集開始

1. 世界初乳がん検診、乳がん検診のランダム化比較試験
2. 検診の標準化を完了させたマンモグラフィのみであるが、超音波検査も併用が広い
3. 超音波検査が多いアジア人および若年層にはマンモグラフィの特長が強い
4. 超音波検査による乳がん検診は標準化されていない
5. 超音波検査による乳がん検診はRCTが実施されておらず検証されていない

超音波検査による乳がん検診の標準化と普及  
 大規模臨床試験(RCT)による有効性の検証

40歳代女性 (対象76,169人)  
 無作為化割付 (RCT)

超音波+マンモグラフィ群      マンモグラフィ群

プライマリエンドポイント：検出率、特異率、がん罹患率  
 セカンダリエンドポイント：検出後がん罹患率

乳がん死亡率の減少効果の有無 (検診の科学的根拠)

マンモグラフィ  
 ・全乳野の記録性・再現性あり  
 ・読影標準が確立されている  
 ・読み取られた癌→GDM

超音波  
 ・2次元で記録性再現性に問題  
 ・読影標準が確立されていない  
 ・読影者による読影が広い

### 乳房濃度別の感度

乳房濃度別の感度

検査法	検出乳がん数				
	介入群 (MG+US, n=9705)		非介入群 (MG, n=9508)		
MG	US	高濃度	非高濃度	高濃度	非高濃度
+	-	12	12	-	-
+	+	12	8	-	-
-	+	17	7	-	-
+	N/A	-	-	22 (+2*)	14
-	N/A	3	2	10	9
Total		44	29	32 (+2*)	23

感度

検査法	高濃度	非高濃度
MG 単独	24/44=55%	20/29=70%
US 単独	29/44=66%	15/20=75%
MG+US 併用	41/44=93%	27/29=93%

MG: マンモグラフィ, US: 超音波検査

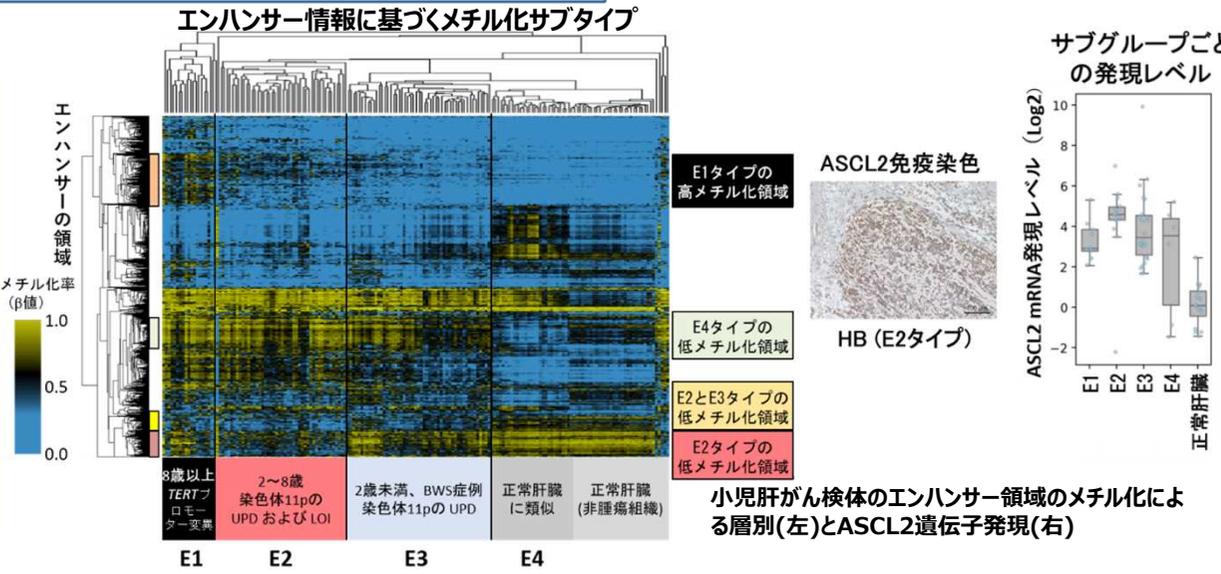
1. マンモグラフィ検診では乳房濃度別による検出率の差が大きい  
 2. 乳房濃度の併用により、マンモグラフィの検出率を向上させることができる

JAMA Network Open, 2021

## 難治性小児悪性固形腫瘍における診断バイオマーカーの同定と新規治療法の開発に関する研究(R2～R4) 国立大学法人広島大学 自然科学研究支援開発センター 檜山英三

## 研究内容

全国多施設共同臨床試験JPLT-2 試験に登録され治療された症例の治療開始する前の検体163例を用いて、統合的にゲノム・エピゲノム・プロファイリングを行った。その結果肝芽腫には性質が異なるいくつかのサブグループが存在し、小児に多く見られる典型的な肝芽腫では、腸管上皮の幹細胞で重要な転写因子であるASCL2の遺伝子発現が亢進していることが明らかとなった。さらに、肝芽腫症例の予後予測に有用である新しいメチル化マーカー-DLX6-AS1を見出した。今回の研究結果は、小児肝がん(肝芽腫)の発がんに関わる重要な遺伝子を明らかにし、肝芽腫症例の診断や予後予測の重要な指標となることが期待される。



## 期待されるアウトプット、アウトカム

④ゲノム・データ基盤プロジェクト【期待されるアウトプット、アウトカム】令和4年度末迄の達成状況(括弧内は令和6年度までの達成目標)  
 【アウトプット】

- ・臨床POCの取得件数 11件(5件)
- ・研究成果の科学誌への論文掲載状況(インパクトファクター5以上) 745件(150件)
- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載 617件(-)

(論文数集計のデータ出典)  
 R2年度:「クラリベイト Journal Citation Reports」  
 R3年度・R4年度:「クラリベイト InCites Benchmarking」

# 具体的な研究内容等

# プロジェクト④(ゲノム・データ基盤)

## 非浸潤または小型非小細胞肺癌に対する機能温存手術の確立に関する研究 (H27～継続中)

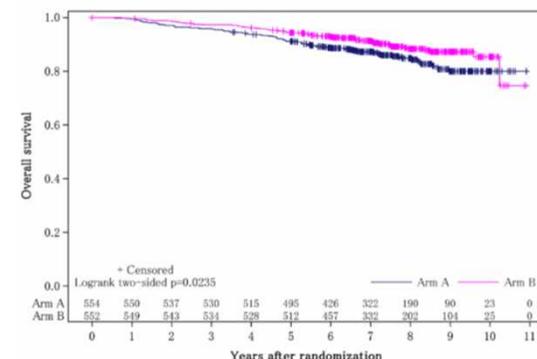
国立研究開発法人国立がん研究センター 渡辺俊一

### 研究内容

肺野末梢小型非小細胞肺癌に対する肺葉切除と区域切除のランダム化第III相試験 JCOG0802/WJOG4607L  
臨床病期IA 期の肺野末梢小型非小細胞肺癌 (最大腫瘍径2 cm 以下かつ、C/T 比> 0.5) を対象として、試験治療である区域切除が、現在の国際的標準治療である肺葉切除に比べて全生存期間において非劣性であることをランダム化比較試験により検証する。

Primary endpointは全生存期間であり、肺葉切除に対する区域切除の非劣性試験であったが、非劣性のみならず区域切除の優越性が証明され、同対象に対する標準治療は区域切除となった。

## 肺野末梢小型非小細胞肺癌に対する標準治療が区域切除となった—The Lancetに論文発表—



## 胆道がんに対する治療法の確立に関する研究(H27～R3)

国立研究開発法人国立がん研究センター 小西 大

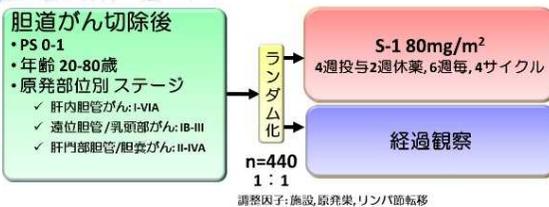
### 研究内容

根治切除後胆道癌に対する術後補助療法は、いまだエビデンスをもって有効とされる治療法が確立していない。術後補助療法としてのS-1療法の第III相試験 (JCOG1202)は、根治切除例を対象として、術後S-1療法の手術単独療法に対する優位性の検証を行うことを目的として実施

結果から、S-1補助療法が胆道がん根治手術後の標準治療となる。日本だけでなく海外のガイドラインでも標準治療に書き換えられ、胆道がん患者さんにさらに有効な治療が提供されることが期待される。

## S-1補助療法が胆道がん根治手術後の標準治療となることを証明—The Lancetに論文発表—

### 試験デザイン



主要評価項目: 全生存期間  
副次評価項目: 無再発生存期間, 有害事象など

### 全生存期間



S-1群で有意に良好な生存期間が示されました

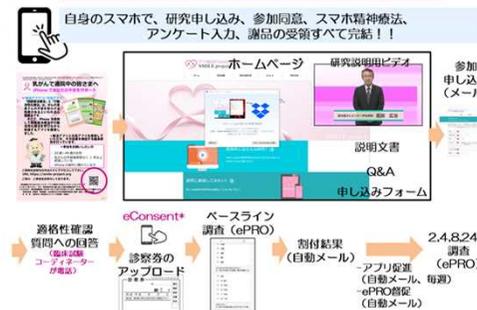
## 乳がん患者の再発に対する恐怖をスマートフォンアプリを用いて軽減することに世界で初めて成功(H29～R2)

名古屋市立大学 大学院医学研究科 教授 明智龍男

### 研究内容

患者が、スマートフォンで遠隔的に臨床研究に参加できる分散型臨床試験の基盤を患者市民参画で開発し、認知行動療法のアプリを用いて、世界で初めて、乳がん患者の再発に対する恐怖感を軽減することに成功した。本成果により、医療機関に来院することなく、自分のスマートフォンからアプリを使って場所や時間を選ぶことなく苦痛を和らげる医療を受けることが可能となり、「精神心理的苦痛の緩和が不十分」という現状の問題解決への加速と、患者個々の特性に対応したスマートフォン精神療法のPrecision Medicineの実現が期待される。

### 分散型臨床試験のシステム-参加者からみた流れ



### 解決アプリ



※「乳がん患者の再発に対する恐怖をスマートフォンアプリを用いて軽減することに世界で初めて成功」(特許2020-126375) (特報2020-126375)

# 具体的な研究内容等

# プロジェクト⑤(疾患基礎研究)

## 国際共同研究に資する大規模日本人がんゲノム・オミックス・臨床データ統合解析とゲノム医療推進に向けた知識基盤構築 (R2~R4)

国立研究開発法人国立がん研究センター 柴田龍弘

### 研究内容

国際的がん研究コンソーシアム (ICGC-ARGO並びにMutographs) に参加し、本邦・アジアにおいて克服が強く望まれるがん (膵・胆道がん・食道がん・低分化胃がん)、及び生活習慣病関連がん (大腸がん・腎臓がん・肝臓がん) について、大規模日本人がんゲノム・オミックス・臨床データを取得し、他国データと比較検討することにより、各がん種の多様なゲノム異常や変異シグネチャーを明らかにした。特に、低分化胃がんにおいて、日本人症例で特徴的に認められるドライバーを同定した。今後、国際共同研究における日本のプレゼンスを高めるとともに、新たなドライバーを標的とした治療あるいは発がん要因に基づく予防に関する臨床研究への戦略的導出が期待される。

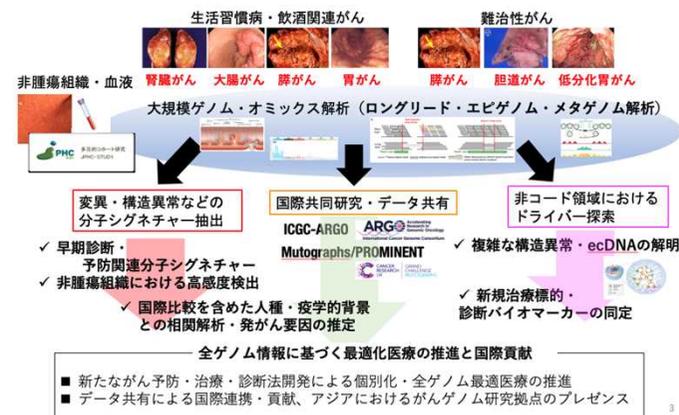
## 血管免疫芽球性T細胞リンパ腫における微小環境ネットワークの標的治療開発 (R2~R4)

国立大学法人筑波大学 坂田(柳元) 麻実子

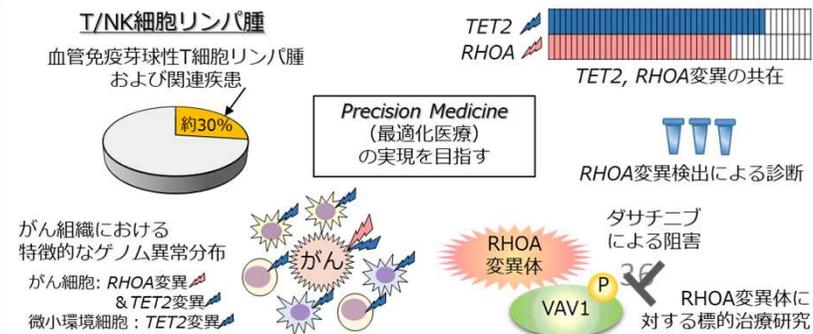
### 研究内容

血管免疫芽球性T細胞リンパ腫のがん細胞および微小環境細胞に特有なゲノム異常を同定し、がん細胞-微小環境細胞の相互作用による分子病態を解明することで、新たな治療標的を同定した。また、加齢に伴うクローン造血において造血幹細胞に特有の遺伝子変異が加わることで前がん細胞となり、ここから分化・発生した炎症細胞が、がん細胞を支持する微小環境細胞として働くことを明らかにした。本研究成果は、難治がんである血管免疫芽球性T細胞リンパ腫に対する微小環境ネットワークを標的とした革新的な治療法開発に繋がるものと期待される。

### 国際連携による統合ゲノミクス解析から日本人症例に特徴的な発がんメカニズムを発見



### 体細胞変異のある炎症細胞は、がん細胞を支持する微小環境細胞として働く



## 期待されるアウトプット、アウトカム

⑤疾患基礎研究プロジェクト【期待されるアウトプット、アウトカム】令和4年度末迄の達成状況 (括弧内は令和6年度までの達成目標)

【アウトカム】

・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出 2件(-)

## 事業概要(背景・目的)

令和5年6月14日に成立した「共生社会の実現を推進するための認知症基本法」においては、基本的施策の一つとして研究等の推進等が掲げられ、認知症の本態解明、予防、診断及び治療などの基礎研究及び臨床研究等を進めその成果の活用を進めることと規定されている。本研究事業では発症前の先制治療の可能性について追求しながら、大規模遺伝子解析や国際協働も目的とした高品質なコホートを全国に展開し、臨床研究の推進に寄与する支援体制を強化し、根本的治療薬や効果的な症状改善法、有効な予防法の開発に繋げ、さらに認知症の人が容易に登録できるような研究の仕組みを構築する。認知症大綱においては「共生」と「予防」を両輪として施策推進していくこととしており、予防に向けた取組の一つとして認知症の発症や進行の仕組の解明や予防法・診断法・治療法等の研究・開発を強化する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	860,743
疾患基礎研究	243,853
シーズ開発・研究基盤	0
計	1,104,596

## 令和6年度概算要求のポイント

PJ4としては、令和3年度より「大規模前向きコホートデータを基盤とした認知症のゲノム・脳画像研究」(継続)、「プレクリニカル期」・「軽度認知障害期」・「発症後」と、アルツハイマー病(AD)の各ステージに焦点を当てた研究を推進している(継続)。また、令和4年度より「認知症疾患コホートを活用したゲノム統合解析による認知症層別化と脳内病態メカニズムの解明(継続)」、令和5年度より遺伝性認知症を対象としたコホート構築研究を開始した(継続)。そして、令和6年度より①「認知症研究プラットフォーム構築研究」、②「DCT (Decentralized Clinical Trials) の概念を活用した臨床研究体制構築構築研究」(新規)、③「アルツハイマー病の疾患修飾薬等の社会実装に伴う効果的な診断・治療方法の確立と普及を目指す研究」(新規)を推進し、認知症研究の基盤を整備する。(新規)

PJ5としては、「ヒト由来生体試料を対象とする病態解明研究」を引き続き推進(継続)し、また、ターゲット分子の異なるかたちでのシナプス機能障害(脱落)と神経細胞死を引き起こすメカニズムを明らかにするための研究開発を進めていく(継続)。令和6年度より、ADおよび非AD認知症において、客観的で簡便な早期診断法・治療効果測定法に資するバイオマーカーの探索、開発・検証を行う「認知症診療に資するバイオマーカー開発研究」を進める(新規)。

## これまでの成果概要等

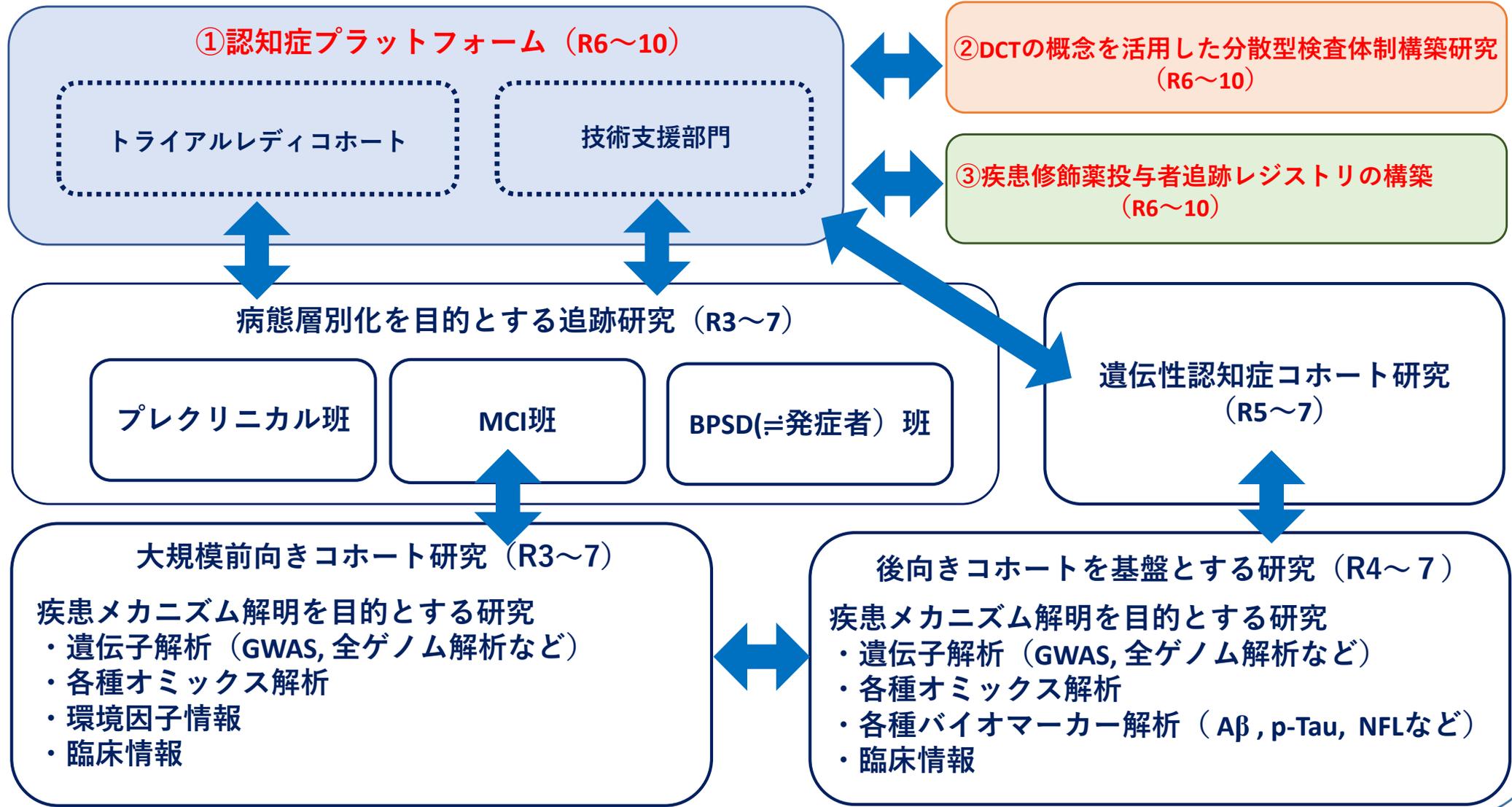
PJ4  
○「認知症プレクリニカル期・プロドローマル期を対象とするトライアルレディコホート構築研究」では、ウェブスタディ(オンラインでの検査)を開始しており(令和元年10月末)、令和5年2月時点で登録者数は12,961名となっている。令和2年7月より、オンサイトスタディ(来院しての詳細な検査)も開始され、令和5年2月までに累計523名を登録した。  
○「健康長寿社会の実現を目指した大規模認知症コホート研究」では、久山町コホート約1,000例の解析から海馬容量に関連する遺伝子候補を見出した(令和3年2月)。

PJ5  
○「アルツハイマー病早期発見に資する新規血液診断マーカーの確立と診断法開発に関する研究」(令和2～4年度)、「反応性アストログリオシスを定量化する新規画像バイオマーカーの研究開発」(令和3年度～)、「非病変蛋白脳画像と液性バイオマーカーを取り入れた早期認知症の層別化研究」(令和3年度～)により、認知症診断や層別化に資するバイオマーカーの開発を推進してきた。

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(令和4年度末)0件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発(令和4年度末)0件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発(令和4年度末)2件
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(令和4年度末)0件

# 具体的な研究内容等(PJ4)

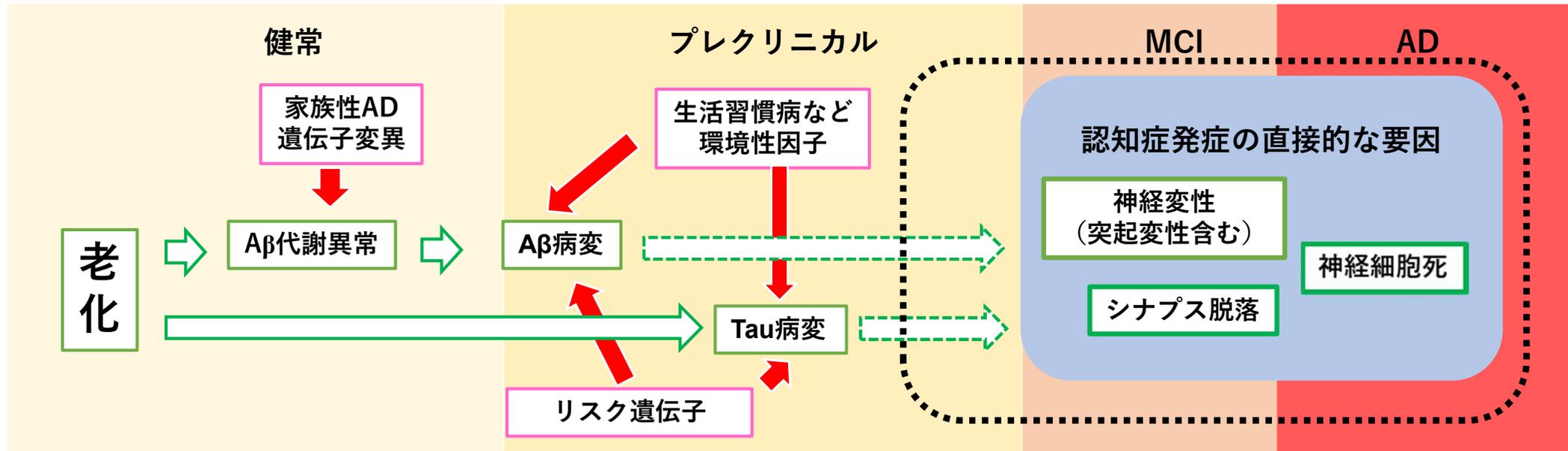
相互協力体制



## 期待されるアウトプット、アウトカム

認知症の超早期から発症に至るまでの進行や病態を層別化することによって、有望なシーズが得られる可能性があり、またそれをスムーズに治験に移行できる体制が構築される。また、遺伝性認知症を登録したコホートを形成して、認知症性疾患の病態解明とその病態に即した臨床治験を推進する研究は、原因蛋白の明らかな認知症病態を詳細に検討し、原因蛋白に適合した適切な臨床治験を推進することが期待される。

## 具体的な研究内容等(PJ5)



- ✓ 先行研究により蓄積された臨床情報やバイオマーカ―をはじめとする各種解析データを活用し、**ヒトおよびヒト由来生体試料を対象とする疾患基礎研究の推進**により、アルツハイマー病をはじめとする認知症性疾患の病態解明につなげる
- ✓ 早期診断法・治療効果測定法に資するバイオマーカ―探索を行い、**客観的で簡便なバイオマーカ―の開発**を目指す。

## 期待されるアウトプット、アウトカム

ヒトから得られた臨床情報をもとに、ヒトを対象とする疾患基礎研究を遂行することで、未だ不明な認知症疾患の発症機序解明と新規薬剤ターゲットの同定を目指す。また、客観的で簡便であるバイオマーカ―の開発を目指す。

# 障害者対策総合研究開発事業(精神障害分野)

令和5年度予算額 383,354千円

## 事業概要(背景・目的)

精神疾患を有する総患者数は約420万人、精神病床の入院患者数が約28万人で、そのうち1年以上の長期入院患者は約17万人にのぼる。このような状況を鑑み、入院医療中心の精神医療から精神障害者の地域生活を支えるための精神医療への改革の実現に向け、精神疾患を発症して精神障害者となっても地域社会の一員として安心して生活できるようにすることが重要だが、国民の理解の深化、精神科医療提供体制の機能強化、地域生活支援の強化が課題となっている。本研究事業では、①精神障害分野の研究を促進するためのデータの利活用の推進、②客観的診断法の確立と治療の最適化、③心の健康づくり等に資する研究開発の推進、④依存症の治療回復に資する研究開発の推進を4本柱として、多様化するニーズ・課題に対応することを目指す。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	383,354
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	383,354

## 令和6年度概算要求のポイント

- ・**精神障害分野の研究を促進するためのデータの利活用の推進**  
精神疾患レジストリの利活用による治療効果、転帰予測、新たな層別化に関する研究を推進するとともに、データ利活用を推進するための臨床データの加工手法と質の確保に関する研究開発を推進する。また、精神疾患レジストリを用いて薬機法申請に資するデータを整備することによって、データシェアリングによるレジストリデータと製薬企業の治験データ等との統合解析を実現し、精神疾患の病態の解明、客観的診断法の開発に加えて、薬事承認を目指した臨床研究を推進する。
- ・**客観的診断法の確立と治療の最適化**  
精神疾患の客観的診断法・障害(disability)評価法及び精神疾患の適正な治療法を確立し、社会実装を可能とする研究を推進する。また、新型コロナウイルス等の新興感染症感染後の精神症状に関連する臨床データを解析し、精神疾患の最適な治療法開発並びに病態解明を促進する。
- ・**心の健康づくり等に資する研究開発の推進**  
新型コロナウイルス感染症等の社会生活環境の変化に伴う国民の精神的ストレスの増大に鑑み、ライフコースの中でも特に思春期・若年成人世代を中心とした精神疾患・発達障害の予防、早期発見、早期治療・支援に資する研究開発並びに遠隔等の汎用性システムの社会実装を促進する。
- ・**依存症の治療回復に資する研究開発の推進**  
アルコール依存症、薬物依存症などの物質使用症やギャンブル行動症などを含む嗜癖行動症等の嗜癖性疾患において、病態解明、早期発見及び治療・支援等に資する研究を推進する。

## これまでの成果概要等

- ・精神疾患レジストリの第1層(症例基本情報)、第2層(臨床評価情報)、第3層(生体試料・情報)からなるデータ収集が1500例を達成した。(令和4年2月)。
- ・新型コロナウイルスによるパンデミック等による社会変動下に即した応急的遠隔対応型メンタルヘルスケアの基盤システム構築と実用化促進にむけた効果検証を開始した(令和3年4月)。
- ・性格による層別化がトリプトファン、セロトニン、キヌレニンなどのうつ病血液バイオマーカーの識別性能を向上させることによって、うつ病の客観的診断法の開発の促進に寄与した(令和2年10月)。
- ・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の探索的検証試験を実施。治療効果検証試験(医師主導治験)に向けたプロトコールを作成した(令和2年2月)。

### 【ゲノム・データ基盤】

<アウトプット> ・臨床POCの取得件数 (令和2～4年度)0件 ・研究成果の科学誌への論文掲載 (令和2～4年度)(IF5以上)31件※、(IF5未満)192件  
 <アウトカム> ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数(令和2～4年度)1件 ※クラリベイト Journal Citation Reportsより集計  
 ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数(令和2～4年度)0件 ・疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数(令和2～4年度)0件

# 具体的な研究内容等

## 精神障害分野の研究を促進するためのデータの利活用の推進

・精神疾患レジストリの利活用による治療効果、転帰予測、新たな層別化に関する研究を推進し、新たな疾患概念の確立とともに、診断と治療の一体化を実現する。特に、レジストリを用いて薬機法申請に資するデータを整備することによって、データシェアリングによるレジストリデータと製薬企業の治験データ等との統合解析を実現し、薬事承認を目指した臨床研究を推進する。 ※下図参照

### 客観的診断法の確立と治療の最適化

「精神疾患の客観的診断法、症状や障害（disability）の評価法や治療法の確立と最適化」を行い、社会実装を可能とする研究を推進する。

### 心の健康づくり等に資する研究開発

新型コロナウイルス感染症等の社会生活環境の変化に伴う国民の精神的ストレスの増大に鑑み、ライフコースの中でも特に思春期・若年成人世代を中心とした精神疾患・発達障害の予防、早期発見、早期治療・支援に資する研究開発を行う。

### 依存症の治療回復に資する研究開発

アルコール依存症、薬物依存症などの物質使用症やギャンブル行動症などを含む嗜癖行動症等の嗜癖性疾患において、病態解明、早期発見及び治療・支援等に資する研究を推進する。

## 精神疾患における疾患異種性の克服、発症メカニズム解明、客観的診断法、適切な治療法の確立、発症予防や重症化軽減の促進

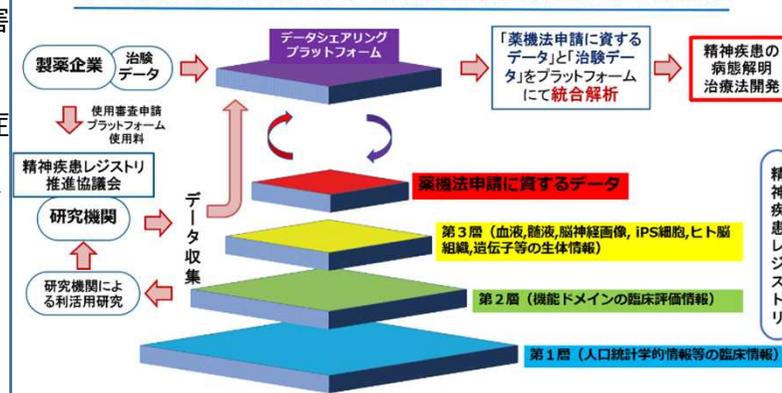
### 【期待されるアウトプット】

- ①精神疾患レジストリの活用を通じた、客観的診断・治療の最適化、予後向上等に資するエビデンスの創出、及び精神障害分野におけるトランスレーショナルリサーチの推進等による、精神保健医療福祉の向上に資する研究基盤の構築
- ②精神疾患の客観的診断法及び障害（disability）評価法の確立、精神疾患の適正な治療法の確立
- ③精神疾患・発達障害の早期発見・早期支援等を図るための介入プログラムの開発等による精神疾患や発達障害の重症化予防
- ④物質使用障害や行動嗜癖等の嗜癖性障害の発症危険因子・重症化予測因子・高リスク群の同定、新規治療法の開発
- ⑤臨床POCの取得件数 1件 ⑥研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載 15件

### 【期待されるアウトカム】

- ①客観的診断方法の確立と治療の最適化、心の健康づくり等に資する研究開発、依存症の治療回復に資する研究開発、精神障害分野の研究を促進するためのデータ利用に関する研究基盤の構築が推進されることによって、精神疾患の発症メカニズムの解明、適切な診断法・治療法の確立の促進
- ②シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件
- ③臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 3件
- ④疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 2件

### データシェアリングプラットフォームによる精神疾患の病態解明・治療法開発



精神疾患レジストリ

## 事業概要(背景・目的)

障害者の地域社会での共生の実現や社会的障壁の除去につながる機能支援機器等の技術等の研究開発を更に推進するとともに、身体・知的・感覚器障害等を招く疾患についての病因・病態の解明、診断、治療法、リハビリテーション、社会参加支援並びに早期介入、進行抑制、重症化軽減等の障害児者への医療、ケア等に資する先進的・実践的な研究・開発を推進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	177,197
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	177,197

## 令和6年度概算要求のポイント

障害者の社会復帰/社会参加に必要な支援プログラムには、障害からの機能回復により社会復帰を目指すリハビリテーションと、先天性疾患等において機能維持による社会参加を目指すハビリテーションが求められる。また、リハビリテーション(ハビリテーション)医学に基づく社会復帰/社会参加支援は、入院中のみならず退院後生活の中でこそ切れ目なく実施される必要があり、こうした医療から福祉までの連続したケアに資するリハビリテーションまたはハビリテーションシステムの開発研究を推進する。

## これまでの成果概要等

- ・次世代シーケンサー(NGS)を応用した新たな難聴の診断法により、多くの新規難聴遺伝子変異を解明し、NGSデータベースと臨床情報データベースを構築して臨床に還元するシステムを開発し、保険収載に貢献。
- ・ロービジョンケア(LVC)を必要とする視覚障害者に適切にLVCが導入可能なように、スマートサイト(啓発パンフレット用い、医師による必要な患者のLVC導入を促進するプロジェクト)を立ち上げ、全国規模でのシステム連携を構築した。
- ・AMPK遺伝子発現抑制が筋細胞膜修復機能の低下に繋がることを発見し、ジスフェルリン異常症等の神経難病の新規治療法開発に寄与した。
- ・ロービジョン支援に重要な視力検査MNREAD(意味のある文章を読んで読みやすい文字の大きさや読書速度を測定)の日本語版を開発し、iPadアプリをリリースした(令和3年3月)。
- ・国内で開発・運用されているリハビリテーションロボット機器について、作用機序、使用方法も含めて体系的に調査した上で、使用者・利用者へのアンケートを踏まえ、専門家集団により運用に関するレファレンスガイドを作成した。

### 【ゲノム・データ基盤】

- ＜アウトプット＞
  - ・臨床POCの取得件数（令和2～4年度）0件
  - ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載（令和2～4年度末）4件
- ＜アウトカム＞
  - ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数（令和2～4年度）0件
  - ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数（令和2～4年度）0件
  - ・疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数（令和2～4年度）0件

# 具体的な研究内容等

## 身体・知的障害分野

医療から福祉までの連続したケアに資するリハビリテーションまたはハビリテーションシステムの開発

障害児・者の社会復帰/社会参加に必要な支援プログラムには、障害からの機能回復により社会復帰を目指すリハビリテーションと、先天性疾患等において機能維持による社会参加を目指すハビリテーションが求められる。また、リハビリテーション（ハビリテーション）医学に基づく社会復帰/社会参加支援は、入院中のみならず退院後生活の中でこそ切れ目なく実施される必要があり、こうした医療から福祉までの連続したケアに資するリハビリテーションまたはハビリテーションシステムの開発研究を推進する。

臨床知見に着眼した障害児・者の医療・支援の質的向上を実現する診断・治療の最適化・層別化研究、並びに病態生理・メカニズムに関する研究

同じ障害の中でもその特徴や効果的な治療・リハビリ法は必ずしも同一ではない。そこで、リハビリや治療における層別化・個別化を図り、個々に適切な医療を提供する。また、層別化や個別化を示す知見から、新たな病態生理を明らかにする。

## 感覚器障害分野

医療から福祉までの連続したケアに資するリハビリテーションまたはハビリテーションシステムの開発

感覚器障害者の社会復帰/社会参加に必要な支援プログラムには、障害からの機能回復により社会復帰を目指すリハビリテーションと、先天性疾患等において機能維持による社会参加を目指すハビリテーションが求められる。また、リハビリテーション（ハビリテーション）医学に基づく支援は、入院中のみならず退院後生活の中でこそ切れ目なく実施される必要があり、こうした医療から福祉までの連続したケアに資するリハビリテーションまたはハビリテーションシステムの開発研究を推進する。

臨床知見に着眼した障害児・者の医療・支援の質的向上を実現する診断・治療の最適化・層別化研究、並びに病態生理・メカニズムに関する研究

同じ障害の中でもその特徴や効果的な治療・リハビリ法は必ずしも同一ではない。そこで、リハビリや治療における層別化・個別化を図り、個々に適切な医療を提供する。また、層別化や個別化を示す知見から、新たな病態生理を明らかにする。

## 【期待されるアウトプット】

- ①障害者の地域生活の向上及び障害者福祉サービスの改善に資するエビデンスを確立する。また臨床知見に着眼した障害児・者の医療・支援の質的向上を実現する。（特許申請・登録3件以上・診療ガイドラインに資するエビデンス創出1件以上）
- ②臨床POCの取得件数 1件
- ③研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載 15件（②③は精神障害との合算）

## 【期待されるアウトカム】

- ①障害児・者の寿命延伸に伴う重度化や二次障害への介入プログラムの開発等。さらに家族や支援者による持続可能な地域包括支援システムの開発。
- ②障害児・者とその家族の機能障害と生活機能の向上を目指した新規介入方法等の開発を目指す。
- ③シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件
- ④臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 3件
- ⑤疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 2件（③④⑤は精神障害分野との合算）

## 事業概要(背景・目的)

新型コロナウイルス感染症(COVID-19)、インフルエンザ、結核、動物由来感染症、薬剤耐性菌、ヒトT細胞白血病ウイルス1型(HTLV-1)等、感染症対策上重要な病原体に対して、基盤的な研究から、診断薬、治療薬、ワクチンの開発等の実用化に向けた開発研究までを一貫して推進する。そのために、「予防接種に関する基本的な計画」、「薬剤耐性(AMR)対策アクションプラン」等を踏まえ、主に5項目(①感染症の総合的な公衆衛生対策に資する研究、②臨床研究の推進、診療体制の確保に資する研究、③ワクチンの実用化及び予防接種の評価に資する研究、④感染症危機対応医薬品等(MCM)に関する研究、⑤国際ネットワーク構築に資する研究)を主軸に据え、開発研究を行う。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	2,087,931
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	2,087,931

## 令和6年度概算要求のポイント

これまで推進してきた5項目(事業概要に記載の下線部①～⑤)を主軸とした重要な研究課題に加え、新たに以下の研究を推進する。

1. 今後の感染症危機に備えた重点感染症に関する総合的な対策に資する研究
2. 薬剤耐性(AMR)に対する新規治療法の開発研究
3. 国内での市中感染が認められる感染症に対する予防・診断・治療法の開発研究

## これまでの成果概要等

- ・ヒトT細胞白血病ウイルス1型(HTLV-1)関連疾患の基盤研究で開発を進めたEZH1/2阻害剤(バレメスタット)が治験に進み、再発又は難治性成人T細胞白血病(ATL)に対する薬事承認を取得した。
- ・インフルエンザ感染症に対するmRNAナノワクチンの開発で非臨床POCを取得した。企業と共同研究開発契約を締結。
- ・COVID-19罹患後症状治療薬(ドラッグリポジショニング)の開発で非臨床POCを取得し、治験を開始。

### 【医薬品】

#### <アウトプット>

- ・非臨床POCの取得件数(令和2～4年度)45件
- ・臨床POCの取得件数(令和2～4年度)7件

#### <アウトカム>

- ・シーズの企業への導出件数(令和2～4年度)32件
- ・薬事承認件数(新薬、適応拡大)(令和2～4年度)5件
- ・創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数20件

## 具体的な研究内容等

新たに推奨する研究について、これまで推進してきた5項目に資する研究を通して国内外の様々な感染症に関する疫学的調査及び基礎研究並びに基盤技術の開発等を実施し、診断薬、治療薬及びワクチン等の創薬研究開発を一体的に推進する

### 新興・再興感染症に対して新たに推進する研究:

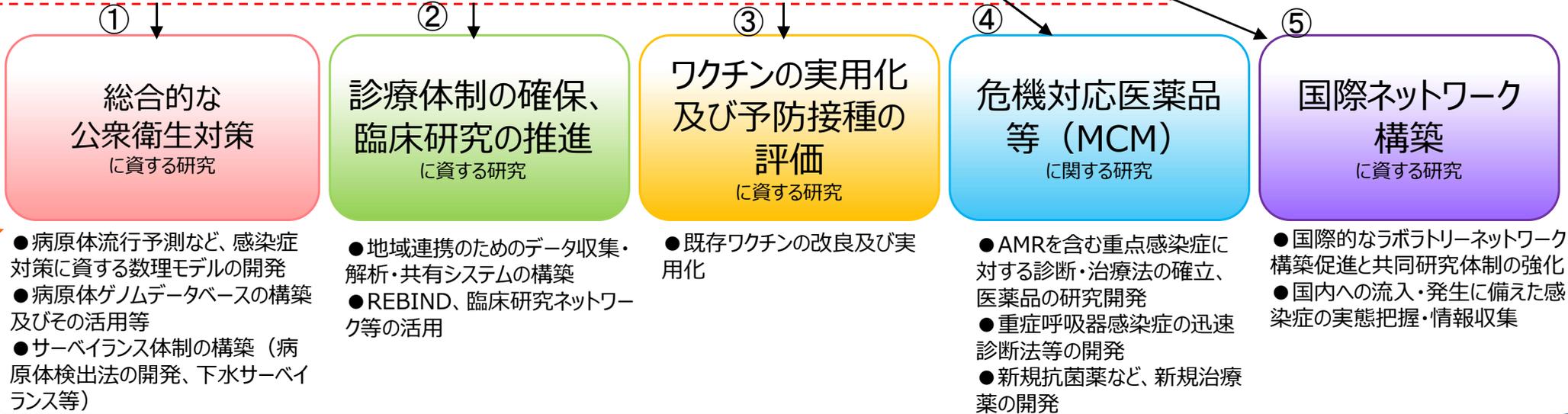
1. 今後の感染症危機に備えた重点感染症に関する総合的な対策に資する研究(危機対応医薬品の研究開発等)
2. 薬剤耐性(AMR)に対する新規治療法の開発研究
3. 国内での市中感染が認められる感染症に対する予防・診断・治療法の開発研究

## 総合的な感染症対策の強化



新興・再興感染症研究基盤創生事業と連携  
海外研究機関との連携

基盤研究  
実用化



## 期待されるアウトプット、アウトカム

### 【期待されるアウトプット】

- 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した、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化
- 既存ワクチンの改良及び実用化、ノロウイルス等の様々な疾患に対応するワクチンに関する臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請
- ワクチンの実用化及び予防接種の評価新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発
- WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成(結核については2050年までの達成目標)
- シーズ研究に関する指標: 非臨床POCの取得件数10件
- 実用化に関する指標: 臨床POCの取得件数1件
- 新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標: 創薬等の効率化に資する先進手法の開発推進

### 【期待されるアウトカム】

上記のような事業成果の導出(アウトプット)により、感染症対策を総合的に推進し、国民の健康を守る。

- 実用化に資する指標  
シーズの企業への導出件数1件/薬事承認件数(新薬、適応拡大)1件/研究成果を活用した臨床試験・治験への移行
- 新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標  
創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数1件

# 難治性疾患実用化研究事業

令和5年度予算額 8,888,553千円

## 事業概要(背景・目的)

当該研究事業は、「希少性」「原因不明」「効果的な治療方法未確立」「生活面への長期にわたる支障」の四要件を満たす希少難治性疾患を対象として、病因・病態の解明、画期的な診断・治療・予防法の開発を推進することで、希少難治性疾患の克服を目指す。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	3,194,787
医療機器・ヘルスケア	333,450
再生・細胞医療・遺伝子治療	856,744
ゲノム・データ基盤	3,901,271
疾患基礎研究	602,301
シーズ開発・研究基盤	0
計	8,888,553

## 令和6年度概算要求のポイント

- ・ゲノム解析技術の進歩などで蓄積されつつある創薬シーズ（候補物）を効率的に選別し、遅滞なく次の創薬ステップ（非臨床試験、治験（臨床試験））に進めるため、シーズに係る研究を推進する。
- ・医療機器分野で治験（臨床試験）に関する研究を実施することで、希少難治性疾患に係る医療機器について実用化を目指す。
- ・再生・細胞医療・遺伝子治療分野で治験（臨床試験）準備に関する研究を実行し、実用化の推進を目指す。
- ・未診断疾患イニシアチブで構築した情報基盤や運営体制の経験から、国策（全ゲノム解析等実行計画2022）を念頭に、未診断疾患においても新規バリエーション候補の機能解析を含め実用化研究への移行を想定した研究を新たに実施する。
- ・疾患レジストリ基盤を用いた実用化研究（ガイドライン作成、承認申請、市販後調査含む）の実例を生み出す研究を実施する。
- ・創薬シーズ開発に繋がる病態解明研究を推進し、基礎研究から実用化研究への橋渡しを実施する。

## これまでの成果概要等

- 未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見件数：累計 117件（R 3年度末）
- 新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大件数：累計 12件（R 4年度末）  
その他治験実施中の課題が多数あり、今後更なる薬事承認（実用化）が期待される。

(参考)

- ・ 臨床研究・治験に移行した研究開発（令和4年度末） 累計 43件
- ・ 承認申請・承認等に至った研究開発（令和4年度末） 累計 12件
- ・ 特許申請・登録等に至った研究開発（令和4年度末） 累計106件

## これまでの成果・概要等 続き

### 【医薬品プロジェクト】

<アウトプット> 令和2～4年度

- ・非臨床POCの取得 19件 (目標 2件)
- ・臨床POCの取得 3件 (目標 3件)

### 【医療機器・ヘルスケアプロジェクト】

<アウトプット> 令和2～4年度

- ・医療機器のクラスIII・IVの医療機器の開発を目指す課題採択率 80% (目標25%)

<アウトカム> 令和2～4年度

- ・医療機器のクラスIII・IVの医療機器の薬事承認件数 1件 (目標 1件)

### 【再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト】

<アウトプット> 令和2～4年度

- ・非臨床POC取得 1件 (うち遺伝子治療1件) (目標 1件 (うち遺伝子治療1件))
- ・治験移行数 1件 (うち遺伝子治療1件) (目標1件 (うち遺伝子治療1件))

<アウトカム> 令和2～4年度

- ・企業へ導出される段階に至った研究課題数1件 (うち遺伝子治療1件、企業へ導出された件数1件)

### 【ゲノム・データ基盤プロジェクト】

<アウトプット> 令和2～4年度

- ・研究成果の科学誌 (インパクトファクター 5 以上) への論文掲載件数 317件 (目標175件)
- ・科学誌 (インパクトファクター5未満等の他の科学誌) への論文掲載状況 ※その他管理指標のため件数目標は設定せず
- ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定 117件 (目標16件)

### 【疾患基礎研究プロジェクト】

<アウトカム> 令和2～4年度

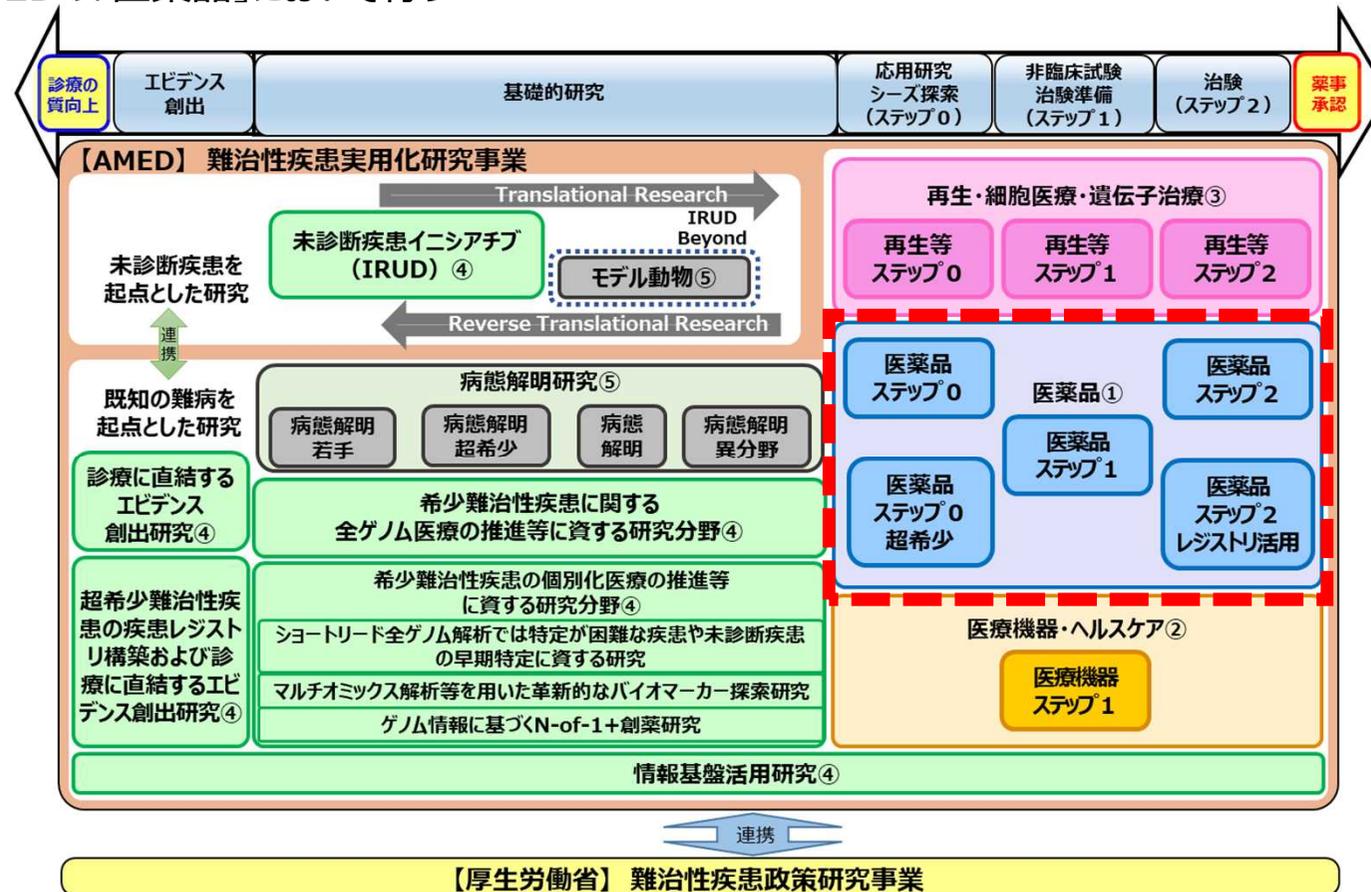
- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 4件 (目標10件)

# 具体的な研究内容等(医薬品)

難治性疾患（難病）は、「希少性」「原因不明」「効果的な治療方法未確立」「生活面への長期にわたる支障」の4要件が特徴であり、今後も企業導出を通じた薬事承認を推進するためには、病態解明研究やエビデンス創出研究等から得られた知見をもとに有望なシーズを創出し、ターゲットプロダクトプロファイルに基づき非臨床試験（薬理試験、薬物動態試験、毒性試験等）を経て治験（臨床試験）への移行を推進する。しかし、全ての研究課題が薬事承認を取得できるわけではないため、研究開発プロセスの重要な段階で、PSPO会議等を行い進捗状況や次ステップへの移行に関する妥当性を評価（Go/No go判断）を個別に実施していく。

※臨床試験前に必要となる研究に関する役割分担は、原則として以下の通り。

- ・疾病の本態解明等理論・知識の探求については、厚生労働科学研究
- ・実用化に向けた基礎研究はAMEDの「疾患基礎研究」
- ・応用研究以降はAMEDの「医薬品」において行う



## 具体的な研究内容等(医薬品)

### 研究内容

# 全身性強皮症に対するIDEC-C2B8 (リツキシマブ) の医師主導による第II相二重盲検並行群間比較試験 (H29-H31)

東京大学大学院医学系研究科 皮膚科 吉崎 歩

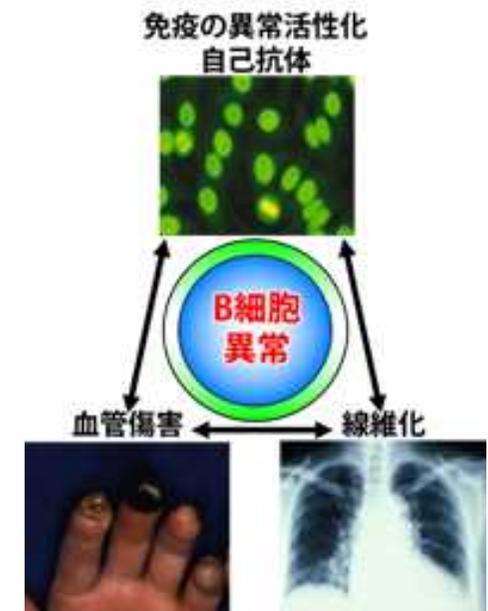
強皮症は皮膚をはじめ内臓を含めた全身に線維化病変を来す膠原病に属する自己免疫疾患で、指定難病に認定されている。

研究グループは、国内の4施設で多施設共同医師主導治験を実施し、主要評価項目として設定された皮膚硬化の指標である修正ロドナンスキンスコアと、副次評価項目として設定された肺線維症の指標である%努力性肺活量において、リツキシマブによる有意な改善が認められた。

さらにこの治験は、過去に行われた臨床研究の結果から、主要評価項目である皮膚硬化に対するリツキシマブの有効性を予め統計学的に予測し、これを検証する形で行われた検証的治験であった。この結果はPMDAの審査でも認められた。

その結果、**リツキシマブは強皮症の合併症に対してではなく、強皮症自体に対する治療薬として、公知申請以外では初めて薬事承認された。**

B細胞は強皮症を引き起こす病態の根元に近いと考えられおり、リツキシマブによるB細胞除去療法は従来療法と比べて、より根本的な新しい強皮症治療薬であり、有用な治療の選択肢として期待されている。

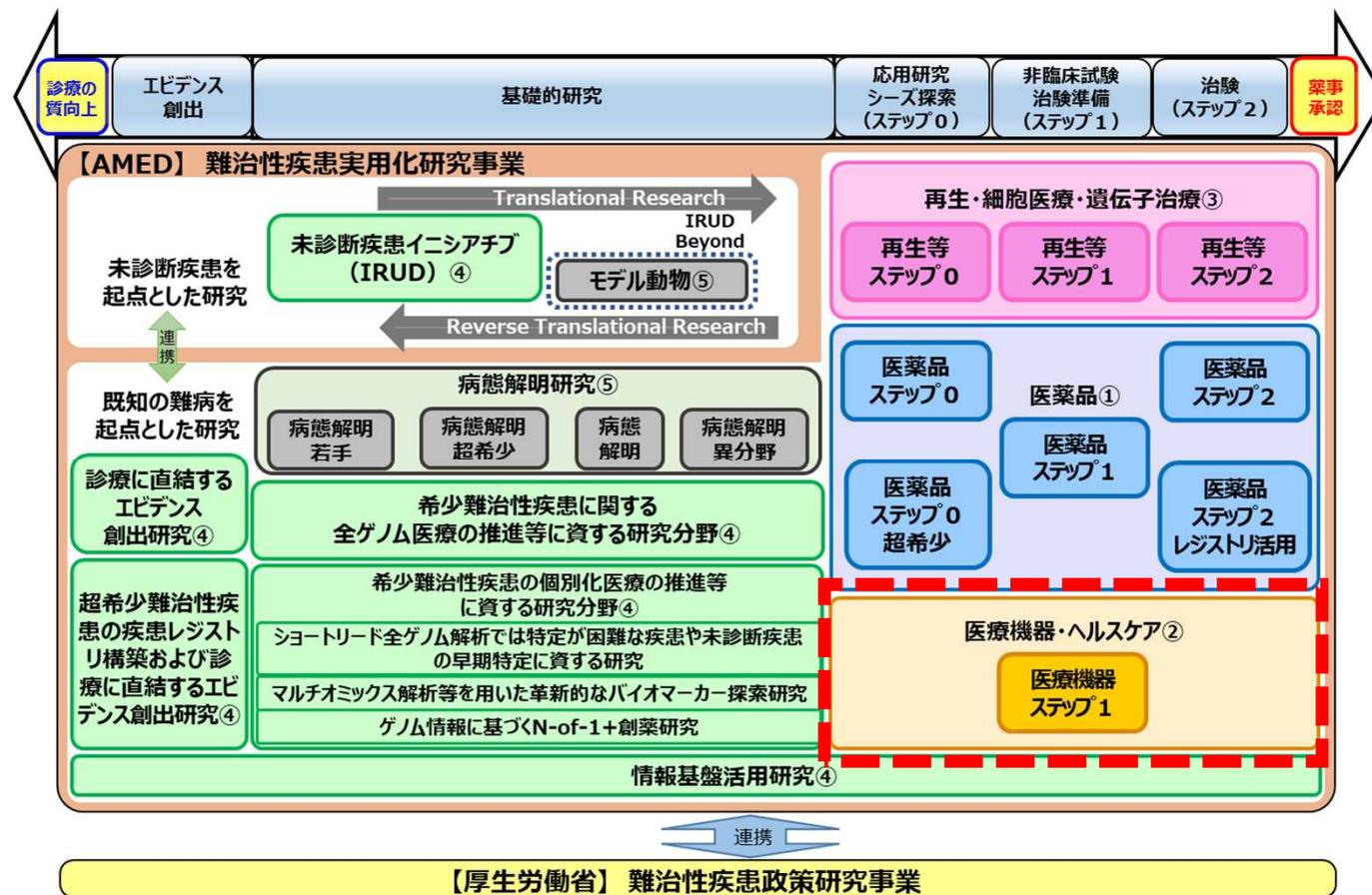


[https://www.amed.go.jp/news/release\\_20211007.html](https://www.amed.go.jp/news/release_20211007.html)

# 具体的な研究内容等(医療機器)

難病における医療機器の開発研究を推進する。なお、医療機器においては薬事承認に至るまでの開発プロセスは必ずしも一様ではなく、プロセスのどの段階においても設計の見直しが可能であり、「開発、検証、改良を繰り返しながら製品化を目指す」といった特性がある。さらに、機器の種類、クラス（Ⅰ～Ⅳ）の違い等によっても様々な開発パターンがあり、開発初期より出口戦略（薬事承認）を意識した研究の実施が重要となる。

しかしながら、全ての研究課題が薬事承認を取得できるわけではないため、研究開発プロセスの重要な段階で、技術的観点及び事業化の観点より、PSPO会議等を行い次ステップへの移行に関する妥当性を評価（Go/No go判断）を個別に実施していく。

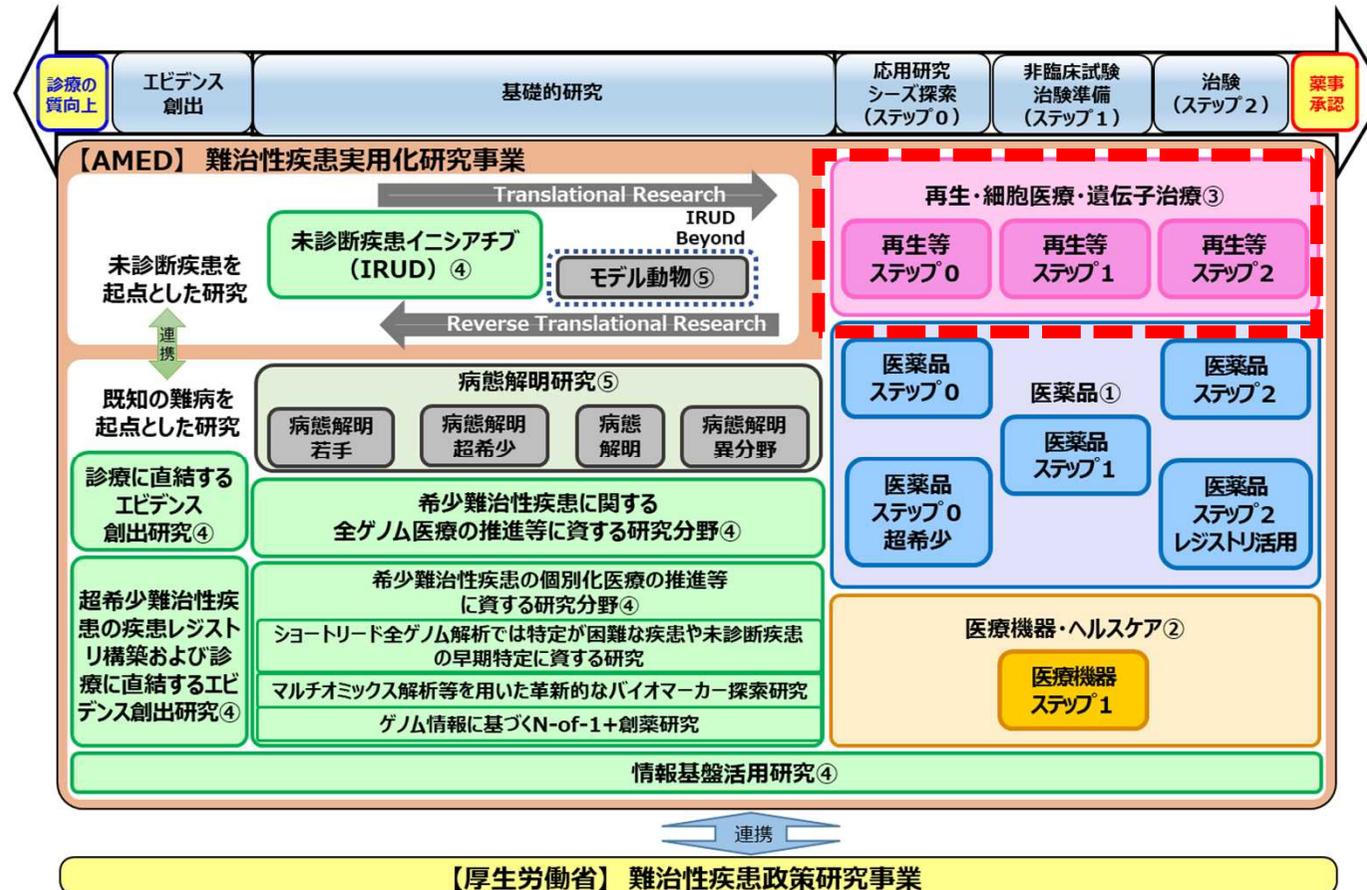


## 具体的な研究内容等(再生・細胞医療、遺伝子治療)

難病には遺伝性疾患が多く含まれ、原因遺伝子が解明されている単一遺伝子疾患に対しては遺伝子治療が根本治療になりえ、世界的に遺伝子治療の研究が加速している。また、iPS細胞や骨髄由来幹細胞等を用いた再生医療等製品に関する治験（臨床試験）も増加している。

引き続き有望なシーズを創出し、非臨床試験にて治験へ移行するためのデータを取得したうえで、治験（臨床試験）により臨床POCを取得することで創出したシーズの企業導出を実現する。

なお、研究の推進にあたり、「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」と連携・協力・情報共有のうえ実施する。



## 具体的な研究内容等(ゲノム・データ基盤)

全ゲノム解析等を推進する研究については、「全ゲノム解析等実行計画2022」に基づき、令和4年度に公募した「全ゲノム解析等実行計画に基づく難病領域全ゲノム解析の実践的研究」において、格納された難病の全ゲノム解析データや臨床情報を新規治療開発等に利活用することで、難病克服に資する質の高い情報基盤を構築している。併せて、より早期の疾患特定による治療可能性の拡大を目的としたゲノム解析技術の向上研究、将来的な発症予測・予防を目指したオミックス解析による医療ビッグデータを用いた革新的なバイオマーカーの探索研究、希少難病の核酸医薬などの治療薬開発研究を実施することで、下図における難病における患者への還元を含めた個別化医療実現を目指している。また、全ゲノム解析で新たに見出された病因性バリエーション候補の機能解析研究を推し進め、治療法実用化の土台となる病態解明研究を支援する。さらに、難病患者の実態と臨床ニーズを十分に把握し、臨床上の疑問を解決するエビデンス創出研究を引き続き支援する。これらの研究を組み合わせることで、企業が参入しにくいとされる難病領域の革新的な治療法実用化を目指す。

### 全ゲノム解析等実行計画の推進（政府方針など）

#### ○経済財政運営と改革の基本方針2022（令和4年6月7日閣議決定）

がん・難病に係る創薬推進等のため、**臨床情報と全ゲノム解析の結果等（※）の情報を連携させ搭載する情報基盤を構築し、その利活用に係る環境を早急に整備する。**がん専門医療人材を養成するとともに、「がん対策推進基本計画」（※※）の見直し、**新たな治療法を患者に届ける取組を推進する**等ががん対策を推進する。

（※）10万ゲノム規模を目指した解析結果のほか、マルチ・オミックス（網羅的な生体分子についての情報）解析の結果等を含む。

（※※）平成30年3月9日閣議決定。

#### ○新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画（令和4年6月7日閣議決定）

がん・難病に係る創薬推進等のため、**臨床情報と全ゲノム解析の結果等の情報を連携させ搭載する情報基盤を構築し、その利活用に係る環境を早急に整備する。**

なお、当該結果等には、**10万ゲノム規模**を目指した解析結果の他、**マルチ・オミックス（網羅的な生体分子についての情報）解析の結果等を含む。**

#### ○新しい資本主義実行計画フォローアップ（令和4年6月7日閣議決定）

がん・難病患者に対し、2022年度から集中的に全ゲノム解析を行い、英国等での**10万ゲノム規模**の取組を目指すとともに、より早期に解析結果を日常診療に導入する。また、**研究・創薬の推進のため、全ゲノム解析結果と併せたマルチオミックス解析結果を我が国の強みである詳細な経時的臨床情報と戦略的に組み合わせたデータとして蓄積する。**

#### ○統合イノベーション戦略2022（令和4年6月3日閣議決定）

第2章 4. (5) 健康・医療

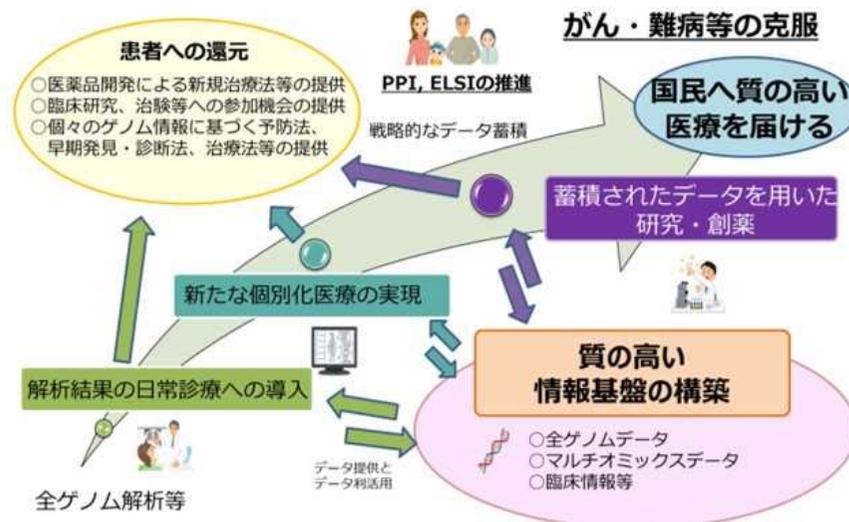
「全ゲノム解析等実行計画」を速やかに改定し、がん・難病に関して、2022年度から集中的に全ゲノム解析等を行い、英国等での**10万ゲノム規模の取組**を目指し、**蓄積されたデータを用いた研究・創薬等を推進する。**

### 「全ゲノム解析等実行計画2022」（令和4年9月30日策定）

#### 全ゲノム解析等の推進によって目指す医療の姿

国民へ質の高い医療を届けるために、戦略的なデータの蓄積を進め、それらを用いた研究・創薬などを促進することで、将来的な「がん・難病等の克服」を目指すことが、全ゲノム解析等の推進によって目指す医療の姿である。

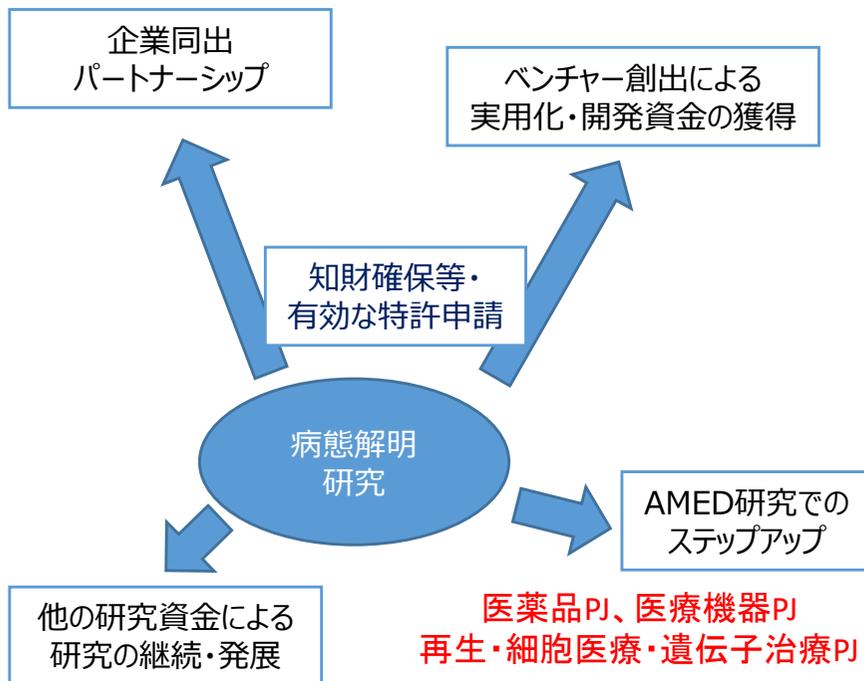
また、解析結果の日常診療への早期導入や、新たな個別化医療の実現についても更に推進する。



## 具体的な研究内容等(疾患基礎研究)

希少難治性疾患の克服を目指した病態解明研究を行う。最終的な臨床応用を目指し、新たな治療・検査方法のシーズ開発、新しい技術の企業導出・特許取得につながる画期的・独創的な研究を実施する。病態解明（若手）では若手研究者の斬新なアイデアと手法で研究開発を推進する。病態解明（異分野）では異分野融合研究を促進する。病態解明研究（超希少）では企業がなかなか開発に手をつけない超希少疾患に対する診断や治療に繋がる病態解明研究支援を強化する。病態解明（PreStep）では、発症メカニズムを解明する中で見いだした創薬標的を確実に臨床に繋げるために、さらに検討の項目が必要な研究開発の支援を行う。具体的には、適切なモダリティの選定と供給方法、薬効・安全性を考慮したメカニズムの妥当性確認、競合との優位性、Drug Repositioningでの企業の巻き込み等を検証し、シーズ探索の計画を立案する。

### 難治事業・病態解明研究のアウトカム



### 若手研究者の連携を意図したPSPOヒアリング

#### ハイブリッド方式

- Webまたは現地参加のどちらかを選択可能
- 口頭発表、ゲスト講演: 実地およびWebex配信
- ポスターセッション: Web開催(Gather Town)など
- 現地参加者はポスターセッション後も交流可能



実施内容: 口頭発表  
ゲスト講演  
ポスターセッション(交流会)

## 期待されるアウトプット、アウトカム

### 【期待されるアウトプット】

令和6年度までに、

#### ①医薬品プロジェクト

・非臨床POCの取得2件・臨床POCの取得3件

#### ②医療機器・ヘルスケアプロジェクト

・医療機器のクラスIII・IVの医療機器の開発を目指す課題採択率25%

#### ③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

・非臨床POC取得1件（うち遺伝子治療1件）、治験（臨床試験）移行数1件（うち遺伝子治療1件）

#### ④ゲノム・データ基盤プロジェクト

・研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数175件、科学誌（インパクトファクター5未満等の他の科学誌）への論文掲載状況 ※その他管理指標のため件数目標は設定せず

・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定16件

### 【期待されるアウトカム】

令和6年度までに、

#### ①医薬品プロジェクト

・研究成果を活用した治験（臨床試験）への移行状況 ※その他管理指標のため件数目標は設定せず

#### ②医療機器・ヘルスケアプロジェクト

・医療機器のクラスIII・IVの医療機器の薬事承認件数1件

#### ③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

・企業へ導出される段階に至った研究課題数1件（うち遺伝子治療1件）（うち企業へ導出された件数1件）

・研究成果を活用した治験（臨床試験）への移行状況 ※その他管理指標のため件数目標は設定せず

#### ⑤疾患基礎研究プロジェクト

・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数10件

本領域における病因・病態解明、診断法や治療法、予防法に関する研究開発を推進することで、難病対策の推進に寄与し、早期診断・早期治療が可能となり、遺伝子パネル等の早期診断法の確立及び質の向上、医薬品等による新たな治療法の確立、診療ガイドラインの向上等、難病の医療水準の向上や患者のQOL向上等につながる。

# 地球規模保健課題解決推進のための研究事業

令和5年度予算額 91,749千円

## 事業概要(背景・目的)

持続可能な開発目標(SDGs)において、改めて保健分野のゴールが設定される等、地球規模の保健課題の重要性は、国際社会において益々高まっている。また、我が国は、国際保健関連の政府方針・戦略を近年相次いで策定するとともに、2016年のG7議長国を務め、より効果的・効率的に国際保健に貢献し、国際社会における存在感を維持・強化することを表明した。本事業では、低・中所得国の健康・医療問題の解決に国際共同研究を通じて貢献し、我が国の保健医療外交戦略、及び我が国の保健医療の国際展開を推進する事を目的とする。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	91,749
計	91,749

## 令和6年度概算要求のポイント

- 1. 低・中所得国の健康・医療改善に資する、医薬品・医療機器・医療技術等の海外での活用に向けた実装・臨床研究公募**  
感染症や慢性疾患など、国際的に公衆衛生上大きな課題となっている疾病の改善に向けて、既に先進国等で有効性が実証されているものの対象国で普及されていない予防・診断・治療にかかる医薬品・医療機器・医療技術等の、低・中所得国の患者に対する実装研究や臨床研究を令和5年度に引き続き公募し、研究を実施する。
- 2. Global Alliance for Chronic Diseases (GACD)と連携した低・中所得国における多疾患併存状態の統合管理: 多疾患併存状態患者の管理とケアを最適化するための介入に焦点を当てた実装研究の国際協調公募(仮)**  
低・中所得国において、生活習慣病をはじめとした慢性疾患による多疾患併存患者を対象とした疾病管理とケアへの介入に関する実装研究を行う。

## これまでの成果概要等

当事業における研究開発成果はこれまでに、ガーナ国境検疫における感染媒介動物と発熱者の分子疫学調査で得られた知見が、Ghana National Action Plan for Health Security 2019 – 2023に反映されるなど、計5件がWHO等の国際機関のガイドラインや対象国における保健政策に反映されている。令和2年度には、新たなアウトプット・アウトカムを設定し、「低・中所得国の健康・医療改善に向けた、医薬品・医療機器・医療技術等の海外での活用に向けた臨床研究」を開始した。

### <アウトプット>

- ・研究対象国における医師主導臨床試験届の提出件数(体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数) (令和2年度～4年度末) 4件

### <アウトカム>

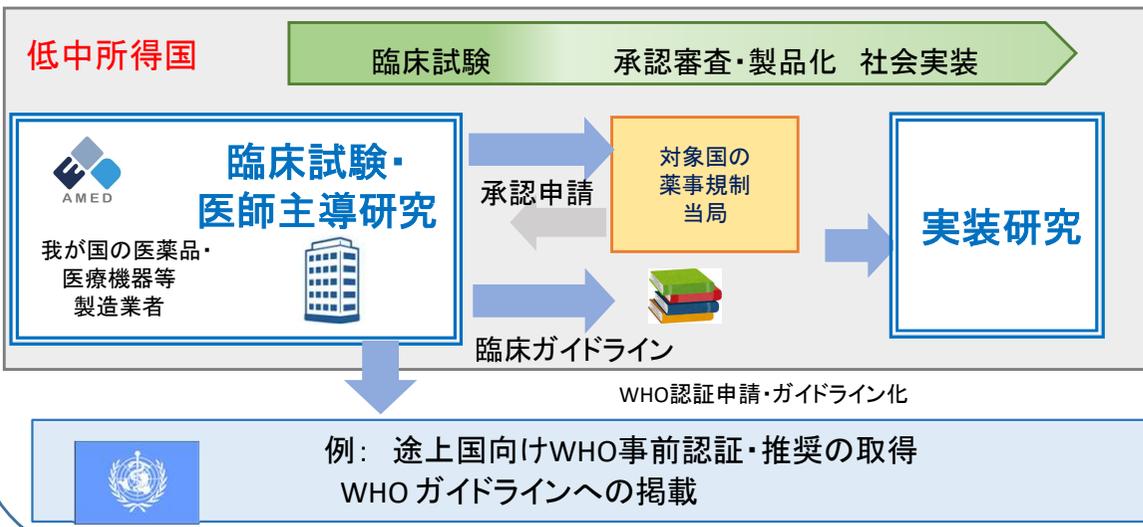
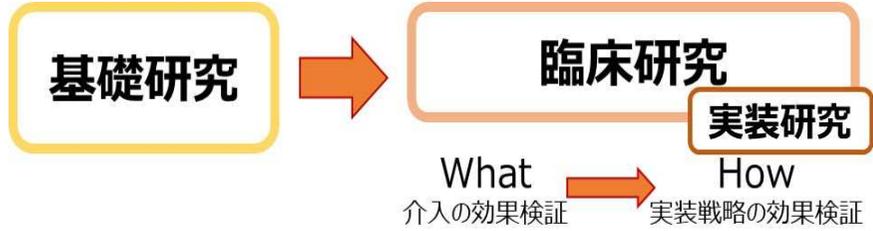
- ・①研究対象国における薬事承認申請件数(令和2年度～4年度末) 0件
- ・②関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況(令和2年度～4年度末) 0件

# 具体的な研究内容等

## 低・中所得国の健康・医療改善に資する、医薬品・医療機器・医療技術等の海外での活用に向けた実装・臨床研究

以下の要素を満たす研究を推進する。

- 国際的に公衆衛生上大きな課題となっている疾病やその治療に資する低・中所得国における国際共同体制での実装・臨床試験の実施。
- 既に先進国等で有効性が実証されているものの対象国で普及されていない予防・診断・治療法を活用を目指す。
- 予防・診断・治療にかかる医薬品・医療機器・医療技術等の、低・中所得国の患者に対する社会実装の可能性や、有効性、安全性等を評価・検証する。
- 更に、医療コスト、持続発展可能性等についても調査し、将来的な実用化・事業化に向けた戦略を策定する。
- 実用化を促進するために、企業からの応募も可能とする。



## Global Alliance for Chronic Diseases (GACD) と連携した低・中所得国における慢性疾患対策に資する実装研究の国際協調研究公募

### ■ 生活習慣病の予防・診断・治療方法の国際共同臨床研究

- GACDと連携した公募課題設定と国際協調公募
  - 2017～2019年 メンタルヘルス (2課題採択)
  - 2018～2022年 高血圧と糖尿病 (2課題採択)
  - 2021～2023年 がん (令和3年度 1課題採択)
  - 2022～2025年 複合疾患 (令和4年度公募、採択なし)
  - 2023～2026年 都市環境 (令和5年度選考中)
  - 2024～2027年 多疾患併存 (令和6年度公募、2課題採択予定)

### ■ 国際アライアンスを活用した研究成果の最大化

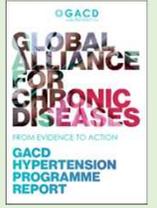
- GACD研究者が参画する12の課題横断的ワーキンググループ活動を通じた、課題横断的な共同研究成果の導出。
  - Multimorbidity研究への提言を2018年にLancetで発表。
- 同分野の研究課題間において、データシェア基盤を構築中。
- ファンディング機関間でのCo-Fundingや、世界銀行のNCDs予防事業資金を活用した研究スキームを有す。
- 2018年9月の国連ハイレベル会合では、第1期高血圧公募の研究成果を発表。

### 研究成果

ベトナムでiCBT (Internet based Cognitive Behavioral Therapy) プログラムを開発し、同国でRCTを実施した。うつ状態の新規発症は、対照群2.4%に比べ介入群では0.7%であり、約70%の相対リスク減少を示した。また、3ヶ月後のうつ状態の頻度は、対照群4.0%に比べ介入群では2.0%と、約50%の相対リスク減少を示した。(東京大学 川上教授)

### Global Alliance for Chronic Diseases

- ・世界の公的医療研究開発資金の80%を扱う機関が加盟。
- ・15加盟機関 (AMED, NIH, EC, UKMRC, CIHR, NHMRC, HRC, SAMRC, CAMS, MINCYT, FAPSEP, ICMR, HSRI, CNPq, INNSZ)
- ・世界66カ国で研究を実施。(総額230億円分の研究)



## 期待されるアウトプット、アウトカム

### <期待されるアウトプット>

研究対象国における医師主導臨床試験届の提出件数

(体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数): 令和4年度～6年度末までに3件

### <期待されるアウトカム>

① 研究対象国における薬事承認申請件数: 令和4～6年度末までに1件

② 関連するWHO等の国際機関や各国政府機関が発行するガイドライン策定への関与:

令和4年度～6年度末までに1件

# 地球規模保健課題解決推進のための研究事業 (厚生科学課：日米医学協力計画)

令和5年度予算額 93,157千円

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	93,157
計	93,157

## 事業概要(背景・目的)

日米医学協力計画は、昭和40年(1965年)の佐藤栄作総理大臣とリンドン・ジョンソン大統領の会談に基づき、アジア地域にまん延している疾病に関して、いまだ未知の分野が多々あり、研究の余地が残されていることに鑑み、これらの疾病に関する研究を、日米両国において協同で行うことを目的としている。

## 令和6年度概算要求のポイント

- 薬剤耐性(AMR)や、COVID-19等の新興感染症への国際的対応がますます重要になっている中、日米医学協力計画を基軸とし、アジア地域等にまん延する疾病研究(新興・再興感染症、薬剤耐性、遺伝的要因と感染予防、栄養と感染等)を引き続き推進する。令和6年度には、例年米国NIHと共同開催している第25回EID国際会議(汎太平洋新興・再興感染症 国際会議)を日米医学協力計画60周年の記念式典として日本主催で開催する予定。
- 日米医学協力計画においてこれまでに培った土台を活用し、日米の若手研究者・女性研究者の育成と、研究者間の将来にわたる関係構築を目的とした共同研究を推進する。これまでに多くの良質な課題が提出されていることから、規模を拡大しつつ(採択数の増加)、「第9回若手・女性育成のための日米共同研究公募」を行う。また、採択者のEID国際会議における成果発表を必須条件とする。更に、若手研究者の活躍機会の創出及び研究者間の共同研究の推進を目的に、若手研究者育成をテーマに令和6年度にネットワーキングの機会のためのワークショップを新たに開催する。

## これまでの成果概要等

- アジア地域等にまん延する疾病(新興・再興感染症等)に対する研究組織の醸成及び国際的な情報共有。
- EID国際会議(汎太平洋新興・再興感染症国際会議)を継続的に開催し、最新の研究成果、及び研究分野を跨ぐ研究者の交流を推進。
- 国際的に活躍できる若手、及び、女性研究者の育成に貢献<定量的な研究成果>
- 令和3年4月の日米首脳会談における共同声明の別添文書「日米競争力・強靱性(コア)パートナーシップ」に明記された「AMED-NIH日米連携強化」に基づき開催されたワークショップにて、日米医学協力計画の日米パネルメンバー間で将来展望に関する協議を実施

- ①学会誌・雑誌等における論文発表:319件
- ②学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表:411件
- ③診療ガイドライン、省令、基準、日本薬局方、添付文書改訂、国の技術文書(通知)等への反映:4件



日米連携ワークショップ:日米医学協力計画セッションでの協議の様子

## 具体的な研究内容等

1. 日米医学協力計画を基軸としたアジア地域等にまん延する疾病等に関する研究推進(各専門部会活動の推進)
2. 若手・女性育成のための日米共同研究公募

### ◆ 各専門部会による米国・アジアと連携した国際共同研究推進

- ・ エイズ: COVID-19の流行に伴うHIVへの影響等
  - ・ 急性呼吸器感染症: ワクチン疫学、AMRの研究等
  - ・ コレラ・細菌性腸管感染症: 腸炎ビブリオ、赤痢菌の研究等
  - ・ 肝炎: アジアにおけるB型肝炎新規治療法の開発等
  - ・ 寄生虫疾患: マラリアワクチン、住血吸虫症の診断法の開発等
  - ・ 栄養・代謝: アジアの生活習慣病、栄養状態の評価法の開発等
  - ・ 抗酸菌症: 罹患感染組織の構造解析、新規抗結核薬の開発等
  - ・ がん: HPV関連がん、感染症関連がんの要因解明等
- (※免疫: 文科省予算で実施)

### ◆ U.S.-Japan Cooperative Medical Sciences Program Collaborative Awards, 2025

- ・ 若手や女性の研究者育成を目指す共同研究公募。日米医学協力計画の枠内で、日米及びアジア地域の研究者が協力し、アジア地域にまん延する感染症に関する研究を推進。
- ・ 日米、米亜、日米亜のチームが提案(AMEDは日本サブチームと契約)。
- ・ 日米サブチームの両方で、若手または女性研究者がサブチームの研究開発代表者となる
- ・ 研究期間: 2年間、研究費: 1チームで総額6万ドル (2年合計)
- ・ 採択予定数: 新規採択課題数、継続課題数併せて12課題程度
- ・ 公募対象分野: 感染性疾患全般、感染症関連がん(米側と調整中)

## 3. 日米医学協力計画60周年記念式典 第25回EID国際会議 (汎太平洋新興・再興感染症 国際会議・それに引き続く専門部会会議) 開催

### ◆ 60周年を迎える日米医学協力計画の記念式典として第25回EID国際会議を日本で開催

- ・ 60周年記念式典として記念シンポジウム、特別講演を実施
- ・ 連携すべき重点研究領域の検討、体制の見直し、次世代を担う若手育成に向けたアクションプランの策定
- ・ 日米医学協力計画を基軸としたアジア地域等にまん延する疾病等に関するワークショップや研究成果報告の実施

### ◆ 若手研究者育成をテーマにネットワーキングの機会のためのワークショップを実施

- ・ 若手・女性育成のための日米共同研究公募の成果報告、Awardの授与、他事業の海外の拠点との連携模索



第23回EID記念講演  
certification授与

## 期待されるアウトプット、アウトカム

### (アウトプット)

- 培った協力関係を基盤に、新興・再興感染症の世界的流行に即時に対応するためのタイムリーな情報共有や、国際共同研究を開始できる。
- 若手・女性研究者育成共同研究プログラムにおいては、将来的に著しい成果が得られる可能性のある研究については、AMED研究における他の統合プロジェクトへの導出につなげる等の成果を得ることができる。

### (アウトカム)

- アジアで蔓延する感染症等の新しい予防・診断・検査・治療法の開発やガイドライン策定等を含む本プログラムの成果は、国際的にも活用されることが期待でき、我が国のプレゼンスの向上にも寄与するもの。
- また、若手・女性研究者育成共同研究プログラムにおいては、上記に加え、日米の研究者間の将来にわたる関係構築も目的としており、国際的な感染症の疾病発生時における迅速な対応等が可能となる協力関係は大きな活用手段となる。

## 事業概要(背景・目的)

本研究事業では、経済財政運営と改革の基本方針2023や健康日本21(第三次)、循環器病対策基本法等で掲げられている「健康寿命の延伸」を目標に、栄養・食生活、身体活動・運動、休養・睡眠、飲酒、喫煙及び歯・口腔の健康等の生活習慣や健診・保健指導、さらには、生活習慣病の病態解明や治療法の確立、生活習慣病患者の生活の質の維持・向上等、幅広いテーマを対象に、がん以外の生活習慣病の新たな対策に直結する研究開発を「健康増進・生活習慣病発症予防分野」と「生活習慣病管理分野」に整理し、推進している。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	38,000
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	380,000
疾患基礎研究	333,855
シーズ開発・研究基盤	0
計	751,855

## 令和6年度概算要求のポイント

栄養、運動、睡眠、たばこ等健康づくりの基礎要素について、ライフステージを意識した新たな知見の収集、生活習慣病発症や重症化に関する病態解明やバイオマーカーの探索等の研究を進めるとともに、新たに、生活習慣病対策を担う保健・医療の現場におけるAIやICT等の新技術の導入等にかかる研究をすすめ、より効果的な生活習慣病対策をモダリティごとに開発する。

本年度は、医療分野研究開発推進計画(第2期)に従い、生活習慣病等の予防のための行動変容を促すデバイス・ソフトウェアの開発、個人に最適な糖尿病等の生活習慣病の重症化予防方法及び重症化後の予後改善、QOL向上等に資する研究開発、AI等を利用した生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法の確立、循環器病の病態解明や革新的な予防、診断、治療、リハビリテーション等に関する方法に資する研究開発を推進する。

## これまでの成果概要等

### 【ゲノム・データ基盤PJ】

- 「診療録直結型大規模糖尿病レジストリを用いた糖尿病合併症抑制のための治療法に関するエビデンス創出のための研究」(令和4年度終了)において、糖尿病の大規模レジストリにより、2型糖尿病患者1万例の合併症発症率を明らかにし、腎症等の合併症リスク因子を明らかにした。
- 「心房細動・重篤合併症予防を実現する多層的・統合的エビデンス創出研究」において、心房細動の新たな疾患関連遺伝子座位を明らかにし、発症・合併症リスクを予測するゲノムリスクスコアを作成した。

<アウトプット> インパクトファクター5以上の論文掲載件数(令和2~4年度) 24件

### 【疾患基礎研究PJ】

- 「脳卒中における循環器病感受性遺伝子の役割解明とゲノム医療の探索」(令和3年度終了)において、もやもや病の疾患関連遺伝子多型をもつ患者由来iPS細胞を用いて、遺伝子多型に関連した蛋白質を同定し、遺伝子治療を実現するための基盤的技術を構築した。

<アウトプット> インパクトファクター5以上の論文掲載件数(令和2~4年度) 92件

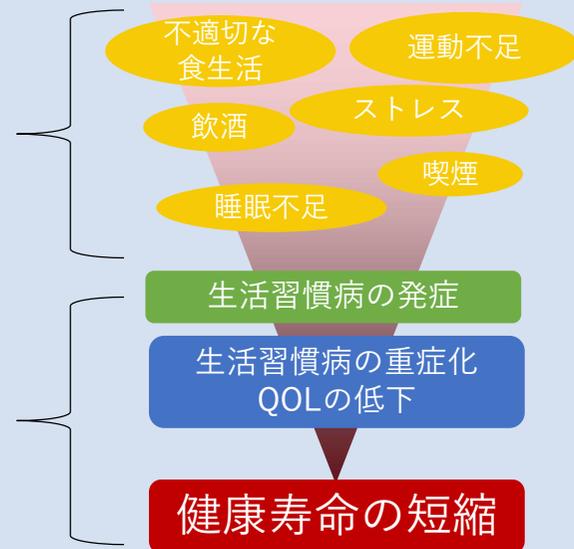
# 健康寿命の延伸・医療の最適化

- ✓ ガイドライン/政策への反映
- ✓ 医薬品・医療器機開発やゲノム医療、再生医療等の事業への橋渡し

## 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

分野1. **健康増進・生活習慣病発症予防分野**  
生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法を確立する分野

分野2. **生活習慣病管理分野**  
個人に最適な生活習慣病の重症化を予防する方法および重症化後の予後改善、QOL向上等に資する方法を確立する分野



基礎研究から臨床研究、実用化までの一貫した研究開発を支援

他事業との連携・協力・情報共有

健康日本21（第三次）

成長戦略

### 循環器病対策基本法

(健康寿命の延伸等を図るための脳卒中、心臓病その他の循環器病に係る対策に関する基本法)

# 具体的な研究内容等

分野1：健康増進・生活習慣病発症予防分野  
生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法を確立する分野

分野2：生活習慣病管理分野

個人に最適な生活習慣病の重症化を予防する方法および重症化後の予後改善、QOL向上等に資する方法を確立する分野

予防

診断

治療

予後・QOL

IoT等の技術を利用し、生活習慣に関する情報を収集し、効果的に行動変容を促すことを目的とした医療機器等を開発を目指す。

医療機器  
ヘルスケア

令和4年度公募 1 課題 (R4~R6)

令和5年度 新規公募なし

令和6年度 新規公募なし

生活習慣、ゲノム情報等のデータを集積・統合することにより生活習慣病の病態解明や発症・重症化予防に資するエビデンスを創出するための研究を推進する。

ゲノム・データ基盤

継続 2 課題 (R4~R6) ※1

※1 「高血圧発症予防に向けた先制保健介入モデルの開発」

継続 3 課題 (R4~R6) ※2

※2 「心房細動・重篤合併症予防を実現する多層的・統合的エビデンス創出研究」

令和5年度公募 12 課題程度 (R5~R7)

令和6年度公募 8 課題程度 (R6~R8)

病態生理学、生物学などの基礎研究や臨床研究からのリバース・トランスレーショナル研究を推進する。

疾患基礎研究

継続 1 課題 (R4~R6)

継続 6 課題 (R4~R6) ※3

※3 「エピゲノム編集とシングルセル解析を統合したシーズ探索による心不全の新規治療法開発」

令和5年度公募 8 課題程度 (R5~R7)

令和6年度公募 8 課題程度 (R6~R8)

## 期待されるアウトプット

### 【ゲノム・データ基盤PJ】

研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 令和6年度単年で4件以上(5年間で20件以上)。  
新たな疾患発症メカニズム解明の件数 令和6年度単年で0~1件(5年間で3件以上)。

### 【疾患基礎研究PJ】

研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 令和5年度単年で4件以上(5年間で20件以上)。

## 期待されるアウトカム

2040年までに健康寿命を男女ともに3年以上延伸し(2016年比)、75歳以上とすることで、誰もがより長く元気に活躍できる社会の実現を目指す。

# 女性の健康の包括的支援実用化研究事業

令和5年度予算額 147,834千円

## 事業概要(背景・目的)

近年、女性の就業率の上昇、初産年齢の上昇、生涯出生数の減少、平均寿命の伸長等に伴い、女性の健康に関わる問題は大きく変化してきている。また、女性の心身の状態は思春期、妊娠・出産期、更年期、老年期といった、ライフステージごとに大きく変化するという特性がある。こうしたことを踏まえ、女性が生涯にわたり健康に生活できるよう、必要な情報提供を行い、ライフステージごとの課題に応じて包括的に支援していく必要がある。本事業では、女性の健康に関する課題解決を目標として、ライフステージの各段階に応じてその心身の状況が大きく変化する女性の生涯を通じた健康や疾患について、心身における性差も加味して多面的かつ包括的にとらえ、エビデンスに基づいた健康増進に資する研究成果の創出とその実用化を推進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	126,504
疾患基礎研究	21,330
シーズ開発・研究基盤	0
計	147,834

## 令和6年度概算要求のポイント

女性がより良い生涯を送るために必要な健康を提供できるな社会創成を視野に入れ、女性の健康や疾患についての問題解決に向けて、エビデンス創出等を実現させる。

### 1. 女性特有の疾病に関する研究について

女性の多様なライフスタイルを踏まえた、女性ホルモン等の影響による健康課題の予防や健康増進に資する研究開発

就労・育児等、女性のライフスタイルに関する多様な因子も考慮し、女性ホルモン等の影響による健康課題の解決に資する研究を推進する。

女性特有の臓器・器官に係る疾病の予防・生活の質向上に資するエビデンスの創出

子宮内膜症・子宮腺筋症・卵巣疾患等の女性特有の疾患の予防や健康増進に資する新たな介入方法を開発する。

若年女性に特有の疾病の予防や健康増進のための研究基盤の構築

若年者を対象とした研究を実施するうえでの課題を踏まえ、若年女性に特有の疾病の予防や健康増進のための介入が、生涯を通じたQOL向上に与える影響を評価するための研究基盤の構築を目的とする。

### 2. 男女共通課題のうち特に女性の健康に資する研究について

性差を考慮した健康課題の予防や健康増進に関する研究

学際的研究やビッグデータに基づき、男女共通の健康課題における性差の多次元的な解明を推進する。

性差による発症メカニズム等の差異に関する研究

性ホルモンの分泌やその感受性等における生物学的な性差要因に着目し、男女の病態の差異を解明することで、予防・健康増進に繋がる新たなシーズを同定する。

## これまでの成果概要等

### 【ゲノム・データ基盤PJ】

#### <アウトプット>

- ・研究成果の科学誌(IF5以上)への論文掲載件数 (令和2~4年度) 17件※
- ・新たな疾患発症メカニズム解明の件数 (令和2~4年度) 1件
- ・研究成果の科学誌(IF5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況 (令和2~4年度) 66件※

### 【疾患基礎研究PJ】

#### <アウトプット>

- ・研究成果の科学誌(IF5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況 (令和2~4年度) 42件※

※クラリベイト Journal Citation Reportsより集計

# 具体的な研究内容等

女性がより良い生涯を選択するための健康を提供できるような社会創成を視野に入れ、女性の健康や疾患についての問題を、心身における性差も加味し、かつライフステージの軸で多面的にとらえた研究事業とその実用化を推進する。  
ゲノム・データ基盤プロジェクトにおいては、レジストリ等の医療データを活用した新たな予防法の実用化に向けた研究を行う。

## 思春期

## 性成熟期

## 更年期

## 老年期

### 1. 女性特有の疾病に関する研究

**1-1. 女性ホルモンが健康に及ぼす影響**  
(月経関連疾患、更年期運動器疾患、就労女性の心身の健康問題等)

子宮筋腫の非侵襲的なサブタイプ判別法の開発  
更年期障害におけるうつ・不安症状の治療法の開発

**継続2課題**  
(R4~6:1課題、R5~7:1課題)

女性の多様なライフスタイルを踏まえた、女性ホルモン等の影響による健康課題の予防や健康増進に資する研究開発  
(就労・育児等の女性の多様なライフスタイルも考慮した研究)

**新規1課題程度**

**1-2. 女性器等に関係する疾病**  
(子宮・卵巣等)

子宮内膜ゲノム情報に基づいた子宮内膜症の病態解明と発症予測モデルの開発

**継続1課題**  
(R4~6:1課題)

女性特有の臓器・器官に係る疾病の予防・生活の質向上に資するエビデンスの創出

**新規1課題程度**

**1-3. 妊娠等に影響する女性に特有の疾患予防に関する包括的ケア方法の確立**  
**若年女性に特有の疾患予防**  
(月経不順、過度のやせ・肥満、生活習慣等の乱れによる健康への影響等)

プレコンセプション期の健康管理最適化実現のためのリアルワールドデータ等大規模データを活用したエビデンス創出

**継続1課題**  
(R4~6:1課題)

若年女性に特有の疾病の予防・健康増進のための研究基盤の構築  
(若年者を対象とした研究を実施するうえでの課題への対応)

**新規1課題程度**

### 2. 男女共通課題のうち特に女性の健康に資する研究

**2-1. 性差に関わる研究**  
(疾患性差、女性の心身の状況を考慮した予防法等の開発等)

性差をみとめる運動器疾患の病態の解明とそれに基づく診断・治療・予防戦略の開発

**継続3課題**  
(R4~6:2課題、R5~7:1課題)

性差を考慮した健康課題の予防・健康増進に関する研究 (学際的なデータを用いた性差の多次元的な解明)

**新規1課題程度**

性差による発症メカニズム等の差異に関する研究 (生物学的性差の解明)

**新規2課題程度**

ゲノム・データ基盤

疾患基礎

## 期待されるアウトプット、アウトカム

### 【期待されるアウトプット】

本事業においては、女性特有の疾患の予防法等の開発や性差に着目した健康増進に係る手法等の開発に向けて、エビデンスの創出から実用化に向けた研究を重点的に取り組んでいる。

### ＜ゲノム・データ基盤プロジェクト＞

- ・研究成果の科学誌(IF5以上)への論文掲載件数 20件
- ・新たな疾患発症メカニズム解明の件数 1件
- ・研究成果の科学誌(IF5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況(管理指標)

### ＜疾患基礎研究プロジェクト＞

- ・研究成果の科学誌(IF5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況(管理指標)

### 【期待されるアウトカム】

女性の健康や疾患についての問題を、心身における性差も加味し、かつライフステージの軸で多面的に捉えた研究事業とその実用化を推進することで、女性がより良い生涯を選択するための健康を提供できるような社会が創成される。

## 事業概要(背景・目的)

生活習慣病の増加や高齢化等により、慢性腎臓病（CKD）患者は増加傾向にあり、約1300万人に達すると推定されている。平成30年7月に腎疾患対策検討会報告書～腎疾患対策の更なる推進を目指して～が取りまとめられ、自覚症状に乏しい慢性腎臓病（CKD）を早期に発見・診断し、良質で適切な治療を早期から実施・継続することにより、CKD重症化予防を徹底するとともに、CKD患者（透析患者及び腎移植患者を含む）のQOLの維持向上を図ることを全体目標とし、地域におけるCKD診療体制の充実や2028年までに年間新規透析導入患者数を35,000人以下（平成28年比で約10%減少）とする等のKPI、さらに、個別対策を進捗管理するための評価指標等が設定された。当事業では上記の報告書に基づき、腎疾患の病態解明や診断法の開発、治療法開発など、新規透析導入患者減少の早期実現等を目的とした研究を推進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	21,818
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	52,983
シーズ開発・研究基盤	0
計	74,801

## 令和6年度概算要求のポイント

医薬品開発に向けた基礎的な研究を推進する。疾患基礎研究PJで見出されたリード化合物（特許取得）を、医薬品PJで開発候補物として最適化（非臨床POC取得）した後に、企業導出もしくは橋渡し研究支援拠点等の他事業への移行することを目指す。

【疾患基礎研究PJ】：腎疾患の根治療法の開発を見据えた病態解明を進めるために、予算規模の拡充を図ることで既存のデータ基盤や最先端技術等を活用した独創的な病態解明研究を展開する。新規課題については以下の開発研究を推進する。

○腎疾患に対する独創的な病態解明研究。

【医薬品PJ】：病態解明研究で得た知見をもとに、現状では存在しない腎機能を改善する画期的な治療法開発を展開する。

## これまでの成果概要等

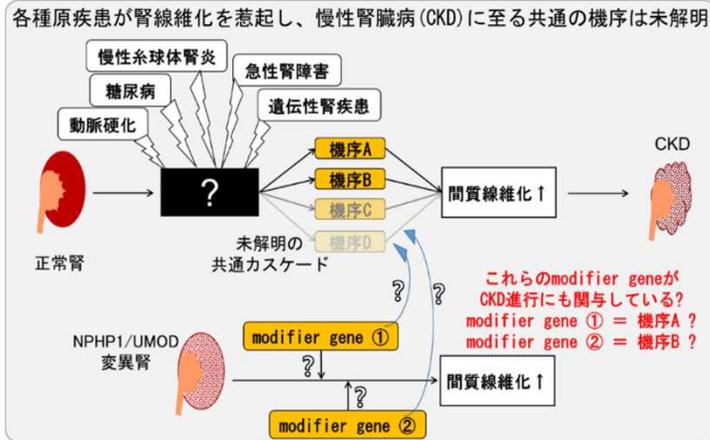
【医薬品PJ】治療標的としてメガリン拮抗薬、メガリン抑制薬になりうる数種類の候補化合物を見出し、創薬研究を現在展開中。

【疾患基礎研究PJ】腎臓病患者のD-アミノ酸の解析を通じて、診断や治療マーカーとなり得ることを見込んでいる。

# 具体的な研究内容等

## 慢性腎臓病進展機序の解明

腎臓オルガノイドを用いた腎線維化修飾遺伝子の探索 (須佐班・東京医科歯科大学) R3~R5



病態解明  
研究

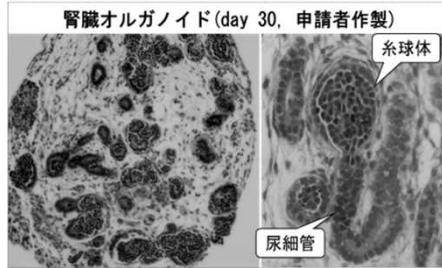
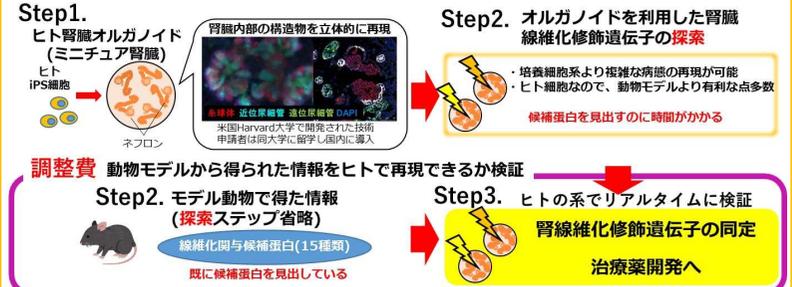
シーズ探索

研究開発パイプライン

治験準備

治験実施

薬事承認



腎臓線維化修飾遺伝子を同定し、線維化抑制治療に応用する

# 期待されるアウトプット、アウトカム

## 【期待されるアウトプット】

- ・ CKDで引き起こされる病因遺伝子の同定、病態機構の解明
- ・ CKDの病態解明に基づく効果的な新規治療薬の開発

## 【期待されるアウトカム】

- ・ 事業成果の導出により、CKD重症化予防の徹底とともに、CKD患者のQOLの維持向上等の腎疾患対策のさらなる推進につながる。
- ・ 具体的には2028年までに年間新規透析導入患者数を35,000人以下 (平成28年比で約10%減少) とする。

# 免疫アレルギー疾患実用化研究事業

令和5年度予算額 708,075千円

## 事業概要(背景・目的)

アレルギー疾患、もしくはなんらかの免疫疾患の罹患者は国民の半数以上に上る。このため、平成26年にアレルギー疾患対策基本法が成立し、基本法に基づき、平成29年に策定された「アレルギー疾患対策の推進に関する基本的な指針」によりアレルギー疾患の本態解明、革新的な治療法の開発に資する研究を推進している。平成31年に「免疫アレルギー疾患研究10か年戦略」が発出され、わが国として目指すべきビジョンと具体的な研究事項が明示された。

本事業では免疫アレルギー疾患の病因・病態の解明等に関する研究や、予防、診断、治療・予後QOLに関する質の高い基礎的研究に立脚した「成果やシーズ」を着実に実用化プロセスに乗せて、新規創薬、層別化に資するデータ・ゲノム基盤等の研究開発を促進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	55,000
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	75,000
疾患基礎研究	578,075
シーズ開発・研究基盤	0
計	708,075

## 令和6年度概算要求のポイント

- (増額) 【医薬品PJ】 重症・難治性・治療抵抗性免疫アレルギー疾患に対する治療薬の実用化に関する開発研究
  - ・重症・難治性・治療抵抗性の免疫アレルギー疾患の治療法のシーズ同定や剤型・投与経路・投与量の設定等に係わる費用を拡充
- 【ゲノム・データ基盤PJ】 将来の予防的・先制的医療の実用化を目指すゲノム・データ基盤研究
  - ・予防・先制的医療による発症予防・重症化予防の重要度は高く、病態解明とシーズ候補の探索準備に係わる費用を拡充
- 【疾患基礎研究PJ】 食物アレルギーの解決に資する研究
  - ・食物アレルギー患者情報、検体・アレルゲン解析、及び食物アレルギーの治療に関する臨床試験等を推進するための費用を拡充
- (新規) 【医薬品PJ】 アンメットメディカルニーズに応える革新的な薬剤開発に関する研究
  - ・アレルギー基本指針に掲げられている、根治療法の発展及び新規開発を推進
- 【疾患基礎研究PJ】 アレルゲン免疫療法の開発に資する研究
  - 移行期・成人期の特性に着目した免疫アレルギー疾患の診療の質向上に資する研究
  - (若手研究者推進領域) 免疫アレルギー疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究・診療の質向上に資する研究
- ・10か年戦略に基づき、アレルゲン免疫療法、及び若手研究者による画期的な免疫アレルギー疾患研究を推進

## これまでの成果概要等

- 【医薬品プロジェクト】
  - (具体的な成果) 高機能性脂質代謝物を用いたアレルギー性皮膚炎制御法の開発を行った。(令和元～3年度)
  - <アウトプット> ・非臨床POCの取得件数(令和2～4年度) 1件
  - <アウトカム> ・シーズの企業への導出件数(令和2～4年度) 1件
- 【ゲノム・データ基盤プロジェクト】
  - (具体的な成果) アジア人集団におけるマイクロRNA発現に影響を及ぼす遺伝的多型(miRNA-eQTL) カタログを作成した。(令和2～4年度)
  - <アウトプット> ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数(令和2～4年度) 9件 ・新たな疾患発症メカニズム解明件数(令和2～4年度) 3件
  - <アウトカム> ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数(令和2～4年度) 0件
- 【疾患基礎研究プロジェクト】
  - (具体的な成果) 日本人の免疫疾患患者および健康人の末梢血から分取した28種類の免疫細胞の遺伝子発現を定量化し、遺伝子多型が遺伝子発現に与える影響をカタログ化した『ImmuNexUT』を作成した。(令和2～4年度)
  - <アウトプット> ・研究成果の科学誌への論文掲載 インパクトファクター5以上(令和2～4年度) 70件
  - <アウトカム> ・シーズの他の統合PJや企業への導出件数(令和2～4年度) 0件

# 具体的な研究内容等

# 医薬品PJ

継続 **2** 課題    新規 **1** 課題程度



## 免疫アレルギー疾患研究10か年戦略(H31年発出)

疾患活動性や生活満足度の見える化、病態の見える化に基づく層別化医療および予防的・先制的医療の実現

厚生労働科学研究と連携しながら、10か年戦略の目標を推進する形で医療開発研究を実施する。免疫アレルギー疾患の病因・病態の解明、予防、診断及び治療に関する質の高い基礎的研究に立脚した「成果やシーズ」を着実に実用化プロセスに乗せて、新規創薬、医療技術、医療機器等の研究開発等を促進する。

- 戦略1：本態解明** 先制的医療等を目指す免疫アレルギーの本態解明に関する基盤研究：多様性と層別化、予防的・先制的医療、宿主因子と外的因子、臓器連関・異分野融合
- 戦略2：社会の構築** 免疫アレルギー研究の効果的な推進と社会の構築に関する横断研究：患者・市民参画、アンメットニーズ、臨床研究基礎基盤、国際連携・人材育成
- 戦略3：疾患特性** ライフステージ等免疫アレルギー疾患の特性に注目した重点研究：母子関連・移行期、成人発症、重症・難治性・治療抵抗性、希少疾患

診療の質の向上に資するエビデンス創出

病態解明治療研究

医薬品・医療機器等開発  
Step 0 / 1 / 2

ゲノム・データ基盤



継続 3 課題

医薬品

疾患基礎研究



継続26課題程度

新規8課題程度

継続 2 課題

新規 1 課題程度

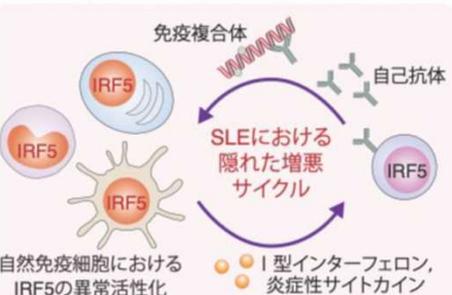
## 全身性エリテマトーデス

転写因子IRF5の阻害が全身性エリテマトーデスの新規治療法となる可能性を実験的に証明

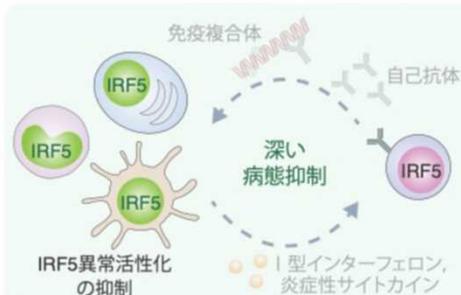
Nature communications 2021

横浜市立大学 田村智彦先生

現行治療法はIRF5異常活性化の抑制が不十分



IRF5阻害剤による新規治療法の効果

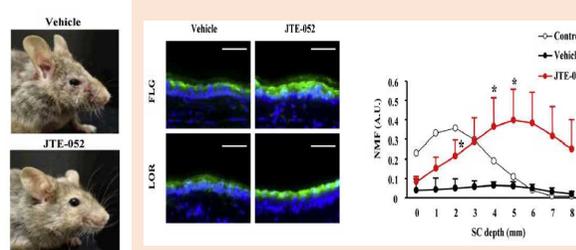


## アトピー性皮膚炎

アトピー性皮膚炎に対する新規メカニズムによる外用薬のシーズを導出

Atopic dermatitis and skin disease

The Janus kinase inhibitor JTE-052 improves skin barrier function through suppressing signal transducer and activator of transcription 3 signaling



J Allergy Clin Immunol 2015

京都大学 梶島健治先生

表皮を標的としたアトピー性皮膚炎の治療の最適化を目指す新規薬剤の開発 (2014-2016年)

↓  
デルゴシチニブ：コレクテム®

世界初の外用JAK阻害剤  
2019年1月薬事申請  
2020年1月製造販売承認

## 期待されるアウトプット、アウトカム

令和2年度～6年度

【アウトプット】・非臨床POCの取得件数：1件以上

【アウトカム】・シーズの企業への導出 1 件以上

# 具体的な研究内容等

# ゲノム・データ基盤

# 継続 3 課題



## 免疫アレルギー疾患研究10か年戦略(H31年発出)

疾患活動性や生活満足度の見える化、病態の見える化に基づく層別化医療および予防的・先制的医療の実現

厚生労働科学研究と連携しながら、10か年戦略の目標を推進する形で医療開発研究を実施する。免疫アレルギー疾患の病因・病態の解明、予防、診断及び治療に関する質の高い基礎的研究に立脚した「成果やシーズ」を着実に実用化プロセスに乗せて、新規創薬、医療技術、医療機器等の研究開発等を促進する。

- 戦略 1 : 本態解明** 先制的医療等を目指す免疫アレルギーの本態解明に関する基盤研究：多様性と層別化、予防的・先制的医療、宿主因子と外的因子、臓器連関・異分野融合
- 戦略 2 : 社会の構築** 免疫アレルギー研究の効果的な推進と社会の構築に関する横断研究：患者・市民参画、アンメットニーズ、臨床研究基礎基盤、国際連携・人材育成
- 戦略 3 : 疾患特性** ライフステージ等免疫アレルギー疾患の特性に注目した重点研究：母子関連・移行期、成人発症、重症・難治性・治療抵抗性、希少疾患

診療の質の向上に資するエビデンス創出

病態解明治療研究

医薬品・医療機器等開発  
Step 0 / 1 / 2

ゲノム・データ基盤



継続 3 課題

医薬品

継続 2 課題

疾患基礎研究



継続26課題程度

新規8課題程度

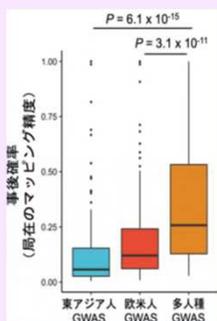
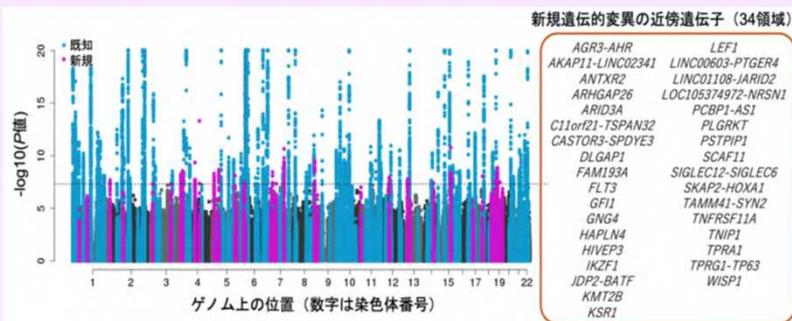
新規 1 課題程度

## 関節リウマチ

Nature Genetics 2022

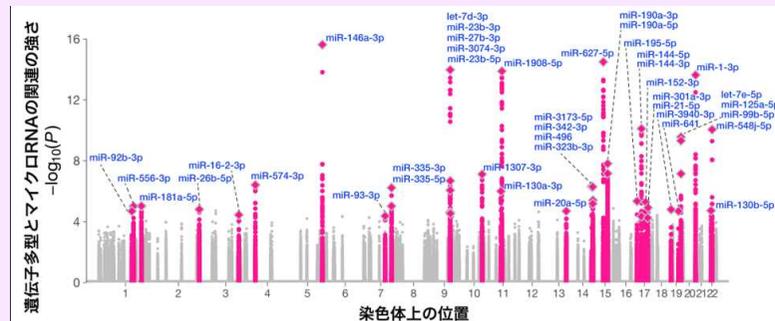
大阪大学 岡田随象先生

国際ゲノム解析により関節リウマチの遺伝的背景を解明  
- 個人のゲノム情報を活用した発症予測の社会実装に貢献 -



## 末梢血単核細胞分画のmiRNA-eQTLのカタログ作成

アジア人集団における遺伝的多型がマイクロRNA発現に及ぼす影響のカタログを作成  
- 多彩なヒト疾患の発症に関連するマイクロRNAを同定 -



Human Molecular Genetics 2021

大阪大学  
岡田随象先生

## 期待されるアウトプット、アウトカム

令和2年度～6年度

【アウトプット】研究成果の科学誌（インパクトファクター 5 以上）への論文掲載件数 8 件以上、新たな疾患発症メカニズム解明件数 1 件以上

【アウトカム】臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数1件以上



## 事業概要(背景・目的)

【背景】臓器・組織移植分野では、脳死下での臓器提供数は年々増加しているが、移植希望者数と比較して十分ではなく、限られたドナーソースを有効に用いることでより多くの臓器提供につなげる必要がある。また、術後早期から長期にわたる移植関連合併症や移植片廃絶が未だ課題としてあげられる。造血幹細胞移植分野では、医療技術の進歩により造血幹細胞移植の予後が改善しているが、感染症、移植片対宿主病(GVHD)等の移植関連合併症や移植後再発の課題は依然として残っている。また、生存している患者についても、移植後合併症のためQOLが低下する等の問題がある。

【目的】移植患者の治療成績向上に資する、原疾患や合併症に対する検査や治療の最適化及び開発のための研究を進める。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	104,563
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	104,563

## 令和6年度概算要求のポイント

- 〈臓器・組織移植分野〉
  - 【増額】HLAエピトープ多型に基づく臓器移植のテーラーメイド医療開発に資する研究  
臓器移植(肝、肺、腎、脾)、造血幹細胞移植において、X、Yの免疫原性を実証するとともにHLAエピトープ解析に基づいた移植後免疫反応に関わる新規バイオマーカー開発を目的とする。
  - 【新規】臓器移植適応判断に資する研究
- 〈造血幹細胞移植分野〉
  - 【増額】遺伝子改変T細胞治療を中心とした細胞療法後の長期寛解を目指した幹細胞移植治療の最適化を目指す研究  
造血器腫瘍に対する細胞治療の件数が増えつつある中、造血幹細胞移植との住み分けや効果的な移植のタイミングについて明らかにする必要がある。細胞治療の効果予測や造血幹細胞移植の適応・タイミング決定のためのバイオマーカー等が確立し、臨床に還元することで、治療成績が向上することが期待される。
  - 【新規】造血幹細胞移植に用いる最適な移植片の選択基準と移植法を確立する研究

## これまでの成果概要等

- 〈臓器・組織移植分野〉  
移植腎慢性拒絶と薬剤性腎障害のIL-6アンプ(過剰NFκB活性化)誘導に関して分析するとともに、尿中エクソソームに着目し、慢性抗体関連拒絶や薬剤性腎障害の新規バイオマーカーとしての有用性を検証した。これにより、タクロリムス毒性に関してIL-6アンプの関与が判明し、ステロイドでの抑制効果が得られた。
- 〈造血幹細胞移植分野〉  
造血幹細胞移植に関しては、移植患者の臨床検体スクリーニングから、移植後急性期におけるナイーブB細胞の回復遅延後の慢性GVHDの発症と関連すること、移植後シクロホスファミドはこのB細胞新生を促進することを示した。GVHDの病態解明と新規予防法確立によって、特に末梢造血幹細胞移植の合併症の一つである慢性GVHDに伴う移植後QOLの低下を克服することが期待される。
- 【ゲノム・データ基盤】
  - 〈アウトプット〉
    - ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)(令和3~4年度)39件※
    - ・新たな疾患発症メカニズム解明件数(令和3~4年度)6件
  - 〈アウトカム〉
    - ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数(令和3~4年度)0件 ※クラリベイト Journal Citation Reportsより集計

# 具体的な研究内容等

## 〈臓器・組織移植分野〉 臓器移植適応判断に資する研究

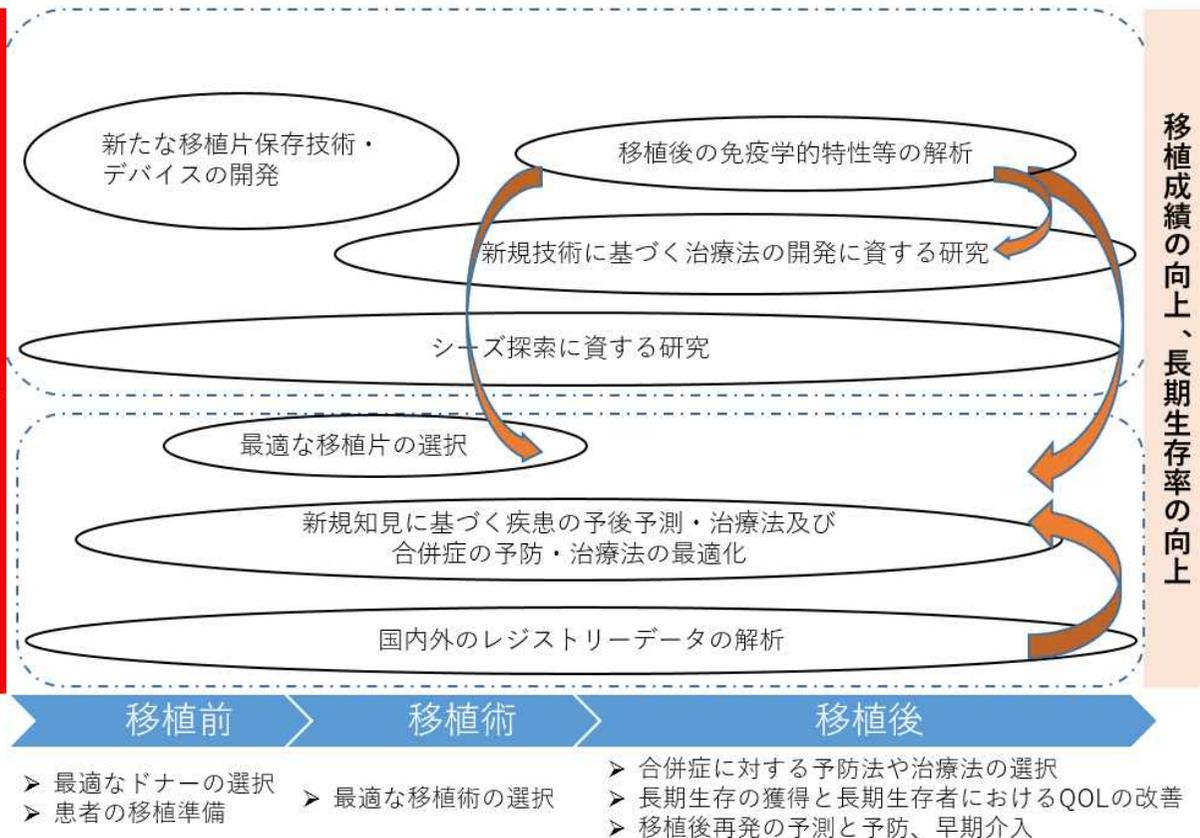
わが国の移植は臓器不足を背景にマージナルドナーの臓器を用いた移植が多くを占めている。しかし、マージナルドナーからの移植可否の判断は、移植施設の経験に基づいて行われており、移植後のレシピエントの予後も明らかではない。臓器移植に係るドナー・レシピエント双方のデータを一貫管理する体制整備や遺伝子情報も組み込んだビックデータの解析を推進し、HLAエピトープ多型に基づくテラーメイド医療の開発やドナー適応基準、レシピエント選択基準の見直しを行う。これらにより、深刻な臓器不足や臓器移植希望登録者の待機期間の短縮への寄与が期待される。

## 〈造血幹細胞移植分野〉 造血幹細胞移植に用いる最適な移植片の選択基準と移植法を確立する研究

現在はr-SSO法やNGS-SBT法を用いてドナー・レシピエントのHLA型のタイピングを行い、一定程度適合する造血幹細胞を用いた移植が行われている。更なる治療成績向上のために、より効率的な検査方法や移植成績向上につながるドナー選択基準の確立、適合度に応じた移植法の実施を行う。  
⇒骨髄バンクドナーや臍帯血の選択基準として用いられ、適合度に応じて免疫抑制薬や前処置が最適化される結果、移植成績の向上が期待される。

新規開発

実施体制の最適化



# 期待されるアウトプット、アウトカム

## ○期待されるアウトプット

### 〈臓器・組織移植分野〉

臓器摘出-臓器移植が施行された患者や移植待機中の患者に関する医療情報と、各患者から採取・保存された試料を用いて集積された遺伝子情報等の関連を解析することによって、移植後免疫にかかる病態の解明や摘出臓器の機能障害の進展防止等の基盤となる。

### 〈造血幹細胞移植分野〉

骨髄・末梢血幹細胞・臍帯血それぞれについて、移植に係る医療情報を解析することによって、適切なドナー選択基準や移植後に生じる致命的合併症、移植後再発の予防法、治療法等を開発するための成果を得る。

→令和6年度末までに、インパクトファクター5以上の論文を25報以上、新たな疾患発症メカニズム解明を1件以上報告する。

## ○期待されるアウトカム

臓器・組織移植分野、造血幹細胞移植分野の両分野において、ドナー選択法や新規移植法の開発、また、これらを踏まえた診療ガイドラインの策定及び普及等により、より適切な移植源からの臓器・組織移植、造血幹細胞移植を実施することが可能となり、移植医療の予後改善が期待される。また移植後合併症、移植後再発に対する早期バイオマーカーの創出や予防法・治療法を新規に開発・最適化することによって、依然として高率である合併症等により死に至る患者やQOLの低下に至る患者が減少することが期待される。

→令和6年度末までに、臨床的に実用可能なバイオマーカー等を1件以上開発する。

# 慢性の痛み解明研究事業

令和5年度予算額

63,480千円

## 事業概要(背景・目的)

多くの国民が抱える慢性の痛みがQOLの低下を来す一因となっているという背景から、「今後の慢性の痛み対策について(提言)」(平成22年9月、慢性の痛みに関する検討会)に基づき総合的な痛み対策を遂行している。提言に記載されているような既知の疾患に伴う慢性の痛みや原因や病態が十分に解明されていない慢性の痛み、機能的要因により引き起こされる慢性の痛みについて、病態解明や客観的な評価法や効果的な治療法開発によって、痛みを有する者のQOL向上と痛みによる社会的損失の軽減に繋げることを目的とする。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	63,480
シーズ開発・研究基盤	0
計	63,480

## 令和6年度概算要求のポイント

慢性疼痛に対する適切なコントロールを怠ると、薬剤過剰投与のような生命の危険に晒すことになりかねず、適切な慢性疼痛治療法を選択実践するためには、慢性疼痛のメカニズムを理解し、そのメカニズムに即した治療法を施すことで解決を図ることが可能となると見込める。また疼痛を患うそのレベルを可視化出来れば上記副作用にも注意したうえで疼痛コントロールを適切に図ることが可能となる。継続課題においては、痛みの慢性化機序解明と予防法の開発や慢性疼痛の客観的・定量的評価法の確立に向けたシーズ探索に関する研究を行う。新規課題では下記のような開発研究を推進する。

- ・痛みの慢性化の機序解明と予防法の開発に関する研究
- ・慢性疼痛の客観的・定量的評価法の確立に向けたシーズ探索に関する研究
- ・心理的社会的要因による慢性疼痛に対する効果的な治療法の確立に関する研究

## これまでの成果概要等

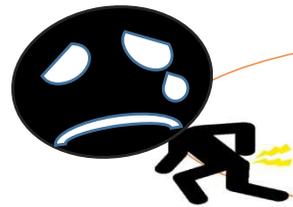
### ○血中長鎖非コードRNAから予測する一次感覚神経の病態分子基盤に基づく神経障害性疼痛バイオマーカーの同定

一次感覚神経培養細胞に対して様々な神経障害誘発刺激を行い、感覚神経の障害時に発現する長鎖非コードRNAを見出した。抗がん剤による末梢神経障害発症の早期予測副作用リスク回避への活用を目指し、令和3年度に特許出願作業(特願2021-179438 令和3年11月2日)を完了した。今後、論文化を進めると共に企業導出を検討する。

## 具体的な研究内容等

・慢性の痛み解明研究事業では、「今後の慢性の痛み対策について（提言）」（平成22年9月）に基づき総合的な痛み対策を遂行している。

・痛みは慢性化するに従い、**罹患部位の器質的異常や身体機能だけの問題ではなくなり**、精神医学的要因、心理学的要因、社会的な要因が複雑に関与して、痛みを増悪させ、遷延させることになる。そのため、痛み診療においては、**診療科の枠組みを超えた総合的かつ集学的な対応**が求められる。



社会的損失  
労働力確保困難  
生きがいの喪失

慢性の痛み  
筋骨格系機能低下

経済活動の  
活性化  
労働力確保  
痛みとの共存

- ・病態解明
- ・痛みの評価の確立
- ・治療法の確立

## 期待されるアウトプット、アウトカム

### 【期待されるアウトプット】

- ・慢性の痛みに対する客観的な指標を用いた診断法の開発
- ・慢性の痛みに対する新たな治療法の開発による疼痛の予防や軽減
- ・慢性の痛みに対する診療ガイドラインの作成や改訂につながるエビデンスの創出

### 【期待されるアウトカム】

成果の導出により、慢性の痛み医療の均てん化、患者のQOLの向上に貢献する。また、慢性の痛みの評価指標の構築および治療の最適化を目指すことで、将来的な慢性の痛みを理由とする労働力の低下防止、障害や疾病の特性等に応じて最大限活躍できる社会の実現につなげる。

## 事業概要(背景・目的)

世界でのHIV感染者は2021年末時点で約3,840万人と推定されており、日本では新規のHIV感染者・エイズ患者が1,057件報告されている。治療薬の進歩により、HIVに感染してもその後のエイズ発症を抑制することが可能となってきたが、HIV感染症自体は治癒することはない、生涯にわたる薬剤服用が必要となる。また治療薬の進歩の一方で、薬剤耐性ウイルスの出現の可能性や、HIV感染者の高齢化に伴う服薬アドヒアランスの確保などの問題もある。さらに、HIV感染症罹患に伴い発生する合併症の制御も課題となっている。上記の課題に対応するべく、新たな治療法等の開発研究を基礎から実用化まで一貫して推進する。併せて、HIV感染症の基礎研究分野における若手研究者を実践的な環境下で育成し、HIV感染症研究の人的基盤拡大を図る。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	538,344
シーズ開発・研究基盤	0
計	538,344

## 令和6年度概算要求のポイント

エイズ対策実用化研究においては、HIV感染症の治癒を目指して根治療法等の開発に繋がる研究を推進する。具体的には、新規ワクチン・治療薬開発、HIV感染の機構解明、HIV関連疾患の病態解明と治療法開発、HIV根治に向けた新たな医薬品探索及び開発、HIVの新たな複製機構の同定および解明、HIVタンパク質と宿主細胞タンパク質の相互作用の解明を推進する。令和6年度は、以下の研究を実施する。

- ・HIVと宿主との相互作用を免疫学的観点から解析し、HIV感染症の効果的な予防・治療、感染拡大の抑制に効果の高い新規ワクチン等免疫療法を開発する。
- ・HIV感染の根治療法創出を目指した基礎から実用化を目指す研究を実施する。
- ・HIV潜伏感染機序の解明、感染機構の解明、HIV感染病態進展の解明、HIV感染と宿主免疫応答の関連解明等を通して、HIV感染症の根治療法に資する新たな知見を創出する。
- ・薬剤耐性や、薬による副作用の問題を解決するため、新たな作用機序を持つ抗HIV薬創出、既存の抗HIV療法の効果を上げるシーズの探索、抗HIV療法の新機軸となる抗HIV薬の開発等を実施する。
- ・服薬アドヒアランス確保に向けた研究として、長期抗HIV作用効果の抗HIV薬等の創出を目指す研究を実施する。

## これまでの成果概要等

- ・日本人の腸内細菌叢と腸内バクテリオファージのゲノム情報同定結果から、HIV感染症は、食習慣、疾患、便形状、薬剤投与などよりも腸内細菌叢と腸内バクテリオファージの構成異常(Dysbiosis)があることを明らかにした。さらに、様々な薬剤種類の中でも抗HIV薬の腸内環境への影響度は高く、腸内細菌叢の構成異常も認めるが、腸内バクテリオファージの影響度がより高いことを解明した。(2022年9月)
- ・新規抗原を用いたCD8陽性T細胞誘導HIVワクチンの経直腸粘膜感染防御効果を動物実験で明らかにした。また、多様性の高い表面蛋白抗原を用いないHIVワクチンで、初めて抗体非依存性の粘膜感染防御効果を示した。(2022年2月)
- ・HIV特異的TCRをヒトiPS細胞に遺伝子導入したHIV-iPS-T(iPS細胞由来HIV特異的CD8+T細胞)を作製し、親CTLクローンよりもin vitroで長く生存し、HIVの複製を抑制できることを明らかにした。(2022年2月)
- ・HIV侵入阻害剤であるCD4ミミックをポリエチレングリコール(PEG)化することにより、抗HIV活性が上昇すること、およびサルでの体内動態が飛躍的に向上することを明らかにした。(2021年1月)

### 【疾患基礎研究】

#### <アウトプット>

- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数:35件(令和2年度10件、令和3年度25件、令和4年度は集計中)

#### <アウトカム>

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数:1件

# 具体的な研究内容等

## エイズ対策における課題

- HIV感染症の根本的治療薬がなく、抗HIV薬の生涯にわたる内服が避けられない
  - 新規ワクチン及びARTとは異なる新規治療法の開発や根治療法の開発を推進するとともに、薬剤耐性ウイルスへの対応が必要
- 抗HIV薬によるエイズ発症抑制、長期生存が可能となったことにより、HIV感染期間自体が長期化
  - 長期HIV感染による合併症への対応、HIV感染者高齢化に対する新たな対応が必要

### 根治療法 の開発

- **新規ワクチン・治療薬の開発**
- **医薬品シーズ探索**

### 基盤的研究 の推進

- **HIV感染の機構解明**
- **HIV関連病態の解明と治療法開発**
- **新たな感染動物モデル開発**

### 令和6年度の研究概要

- ・ ワクチン等の新たな免疫療法の開発
- ・ HIV根治療法の確立を目指した研究
- ・ 薬剤耐性の問題、服薬アドヒアランスの確保等を解決するための新たな作用機序を持つ抗HIV薬の開発
- ・ HIV潜伏感染機序の解明、感染機構の解明を推進
- ・ 薬剤耐性HIVの機構解明及び国内流入等の感染動向把握
- ・ 肝炎ウイルス合併症による肝硬変、血友病、日和見感染症等のHIV感染合併症の病態解明と治療法開発
- ・ 動物モデルの開発の継続

## 期待されるアウトプット、アウトカム

### 【アウトプット】

- 新規ワクチン・治療薬の開発に関する研究  
ワクチンの進展によりHIV感染抑制・複製制御に結びつく機能的抗体の誘導法の開発に繋げる。また、HIVの治癒に向けた新規免疫療法の基盤技術の開発に繋げる。
- 医薬品シーズ探索に関する研究  
シーズ探索と作用機序解明と物質改善を進め、より優れた抗HIV物質を創出する。
- HIV関連病態解明と治療法開発に関する研究  
HIV関連病態解明の発症機序の解明、疫学的検討を行うとともに新たな予防法及び治療法を開発する。またHIV/HCV重複感染患者における肝硬変等の疾患を標的とする治療薬を開発する。
- HIV感染の機構解明に関する研究  
HIV感染、複製、増殖機構を解明し、ウイルスの感染予防、治療につながる成果を獲得する。
- 新たな感染動物モデル開発に関する研究  
リザーバーの形成機序の解明に寄与する知見の獲得、リザーバー排除法の検証モデルへの応用を通じてHIV感染症の根治につながる治療法開発に供する感染動物モデルを構築する。

(令和7年度までに研究成果のインパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載 50件)

### 【アウトカム】

- 新規ワクチン・治療法開発では、予防HIVワクチン実用化により、世界のHIV感染拡大抑制を介して、HIV流行抑制に貢献させる。
- HIV根治を目的とした医薬品開発研究において、駆逐を可能とする治療法の実用化がされた場合、治療終了後は抗ウイルス薬の服用を中止することができ、QOLの向上とエイズ患者の一人あたりの医療費の大幅な削減に繋がる。
- 遺伝子編集技術による血友病治療法の創出により、小児期からの製剤投与が不要となり、高額医療費の問題が解決するとともに、患者のQOLが改善する。また、肝臓の線維化を改善させることにより肝予備能の改善、非代償性肝硬変への進行の抑制、肝がんの発症予防が期待される。さらに非代償性肝硬変に進行している場合でも、蛋白質合成能などの肝機能を改善できれば、合併症の軽減、予後の延長が可能となる。

(令和7年度までにシーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出 1件)

## 事業概要(背景・目的)

B型・C型肝炎ウイルスの感染者は、全国で約200～250万人と推定されており、国内最大級の感染症である。肝炎は放置すると肝がん等の重篤な病態に進行する恐れがあり、肝炎の克服に向けた対策を総合的に推進する目的で平成22年1月に肝炎対策基本法が施行され、同法に基づいて肝炎対策基本指針が制定され、同指針に基づき、これらを研究の側面から効果的に推進するため、肝炎研究推進戦略が策定され、臨床・基礎・疫学・行政研究それぞれにおいて達成すべき成果目標が定められた。本研究事業では、これら成果目標の達成を目指し、肝炎に関する基礎から臨床研究等を一貫して総合的に推進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	758,439
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	105,782
疾患基礎研究	2,644,558
シーズ開発・研究基盤	0
計	3,508,779

## 令和6年度概算要求のポイント

**B型肝炎創薬実用化等研究事業**では、未だウイルスを完全に排除する根治治療法がないB型肝炎の画期的な新規治療薬の開発・実用化を目指して、抗B型肝炎ウイルス(HBV)効果を有するシーズや化合物の探索、創薬ターゲットの探索・同定、より効率的かつ再現性に優れたHBVの持続感染動物モデルの確立、HBV感染症の治療法の開発に資する新たな知見の創出等に関する研究を推進する。

**肝炎等克服緊急対策研究事業**では、肝炎の予防、診断、治療に係る技術の向上及び必要な医薬品等の開発等の研究を推進する。具体的には下記のとおり。

- ・革新的技術を用いた抗線維化療法の開発や、肝再生及び肝機能の改善に資する治療法の開発を推進するとともに、長期経過と予後の把握や、肝線維化の非侵襲的な評価方法や予後予測の基盤研究等を進め、肝硬変の予後改善を図る。
- ・B型肝炎については、HBs抗原の消失を目指した新規治療法の開発や核酸アナログ製剤を安全に中止する方法の開発等に向けた研究を行う。再活性化や再燃については、その重症化機序等の解明を進め発生リスクに応じた適切なフォローアップの方法を研究する必要がある。
- ・非代償性肝硬変を含めたHCV排除後の病態解析と予後の解明や、薬剤耐性獲得例やC型肝炎治療後の病態変化、小児ウイルス性肝炎における病態評価法及び治療法の確立に向けた研究を推進する。
- ・非アルコール性脂肪性肝疾患の機序解明及び治療法や代謝関連肝がんの病態解明に関する研究やA型・E型肝炎ウイルス感染症の制御を目指した研究、肝疾患領域における新たな検査法や治療法等の新規知見の創出等に関する研究等を行う。
- ・上述の慢性炎症等を背景とした肝発がん、その高頻度で起こる肝がん特有の再発に至る機序を解明し再発の予防および治療法の開発や、対策の推進に関する最新の知見の創出を目指す。

## これまでの成果概要等

- |                                                                                                                                                                                            |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                       |                                                                                                                                                                                                                          |
|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <p><b>【医薬品】</b><br/>                 &lt;アウトプット&gt;<br/>                 ・非臨床POCの取得件数(令和2～4年度) 2件<br/>                 &lt;アウトカム&gt;<br/>                 ・薬事承認件数(新薬、適応拡大)(令和2～4年度) 0件</p> | <p><b>【ゲノム・データ基盤】</b><br/>                 &lt;アウトプット&gt;<br/>                 ・研究成果のインパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載(令和2～4年度) 16件<br/>                 ・新たな疾患発症メカニズム解明件数(令和2～4年度) 8件<br/>                 ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数(令和2～4年度) 5件<br/>                 &lt;アウトカム&gt;<br/>                 ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数(令和2～4年度) 6件</p> | <p><b>【疾患基礎研究】</b><br/>                 &lt;アウトプット&gt;<br/>                 ・研究成果のインパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載(令和2～3年) 200件<br/>                 &lt;アウトカム&gt;<br/>                 ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数(令和2～4年度) 4件</p> |
|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|

- (参考)
- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(令和2～4年度) 0件
  - ②承認申請・承認等に至った研究開発(令和2～4年度) 0件
  - ③特許申請・登録等に至った研究開発(令和2～4年度) 77件
  - ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(令和2～4年度) 10件

## 具体的な研究内容等

# 1. B型肝炎創薬実用化等研究事業

肝炎研究推進戦略に基づき実施する。肝炎に関する基礎、臨床及び疫学研究等を総合的に推進し、特にB型肝炎の治療に係る医薬品の開発等に係る研究を促進する。

**課題:** B型肝炎は、

(1) C型肝炎と比較してインターフェロン治療の成績が低い。

(2) 核酸アナログ製剤ではB型肝炎ウイルス(HBV)を完全に排除することは難しく、継続投与により薬剤耐性の出現や副作用のリスクがある。

**目的:** B型肝炎の画期的な新規治療薬の開発

基盤技術の開発を含む創薬研究や、治療薬としての実用化に向けた臨床研究等を総合的に推進する。

**開始時の状況:** ●培養細胞等の実験基盤が確立されていない ●ウイルスの増殖機構が解明されていない ●肝硬変、肝がんへの病態の推移を再現するモデルがない  
**研究課題(H24~28):** ①化合物の探索 ②ウイルス因子の解析 ③宿主因子の解析 ④実験手段の開発 ⑤完全排除を目指した研究

R4年度までの成果のまとめ

- ウイルスが感染する培養細胞、動物モデル等の実験基盤の確立
- 新規治療法の開発に向けたゲノム編集に資する新規技術の開発
- 肝障害進展への自然免疫の関与の解析
- 新規治療薬の開発に向け複数の薬剤ターゲット候補及びシーズの同定

基盤技術の開発・充実

R4度~R6年度の研究概要

- ・ ウイルス生態の解明に資する研究
- ・ ウイルスの感染・増殖に関わる宿主防御機構の解析に資する研究
- ・ ウイルス持続感染実験モデルを用いた病態解明及び新しい治療法の開発に資する研究
- ・ 新規治療薬シーズの探索に資する研究 **【疾患基礎】**
- ・ 新規技術を用いた根治を目指す治療法の開発に資する研究
- ・ 実用化に向けたB型肝炎治療法の開発に資する研究 **【医薬品】**

○基盤技術の更なる進展

- ・ ウイルスの感染複製機構の解析、宿主感染防御系の解析
- ・ 効率かつ再現性の優れた実験系への改良
- 候補化合物をスクリーニングし、順次、候補化合物の評価・最適化
- 前臨床試験の実施

1件の  
企業導出  
又は  
臨床試験の開始

## R6年度までに期待されるアウトプット、アウトカム

**【医薬品】**

<アウトプット>

- ・非臨床POCの取得件数 1件

<アウトカム>

- ・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 1件

**【疾患基礎】**

<アウトプット>

- ・研究成果のインパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載 35件

<アウトカム>

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件

## 具体的な研究内容等

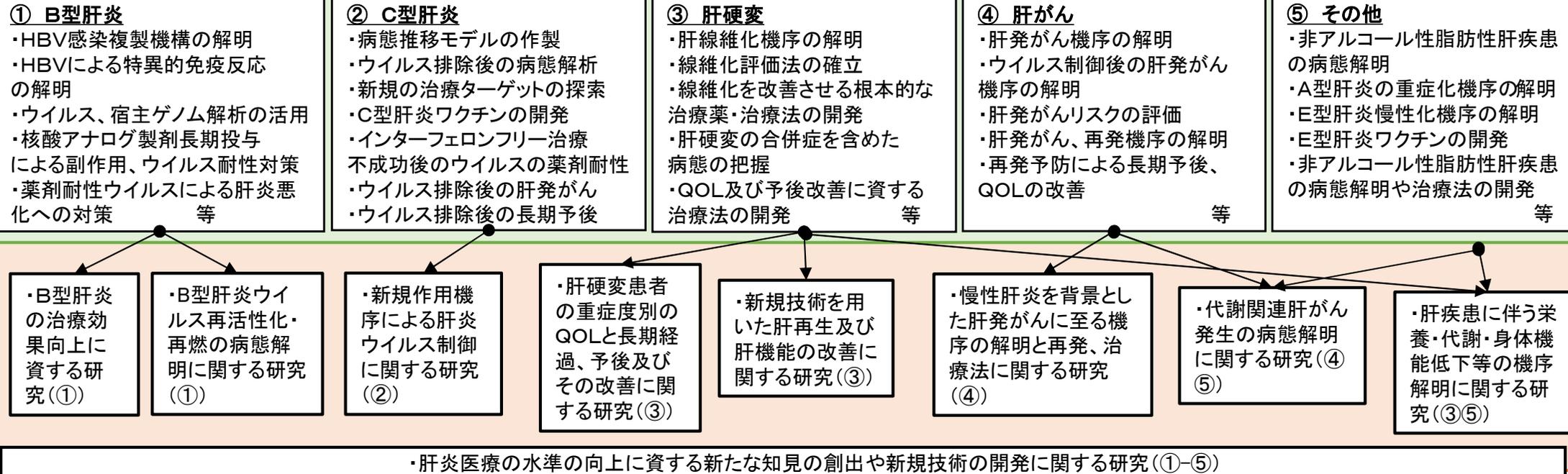
# 2. 肝炎等克服緊急対策研究事業

肝炎研究推進戦略に基づき実施する。肝炎に関する基礎、臨床及び疫学研究等を総合的に推進し、特にB型肝炎、肝硬変の治療に係る医薬品の開発等に係る研究を促進する。

### R4年度までの研究成果

- ・C型肝炎ウイルス(HCV)感染患者のHCVを排除後の肝発がんについて検討することで、ラミニンγ2短鎖が肝発がんのマーカーであることを発見し、フォローアップに有用であることが示唆された。
- ・C型慢性肝疾患患者におけるp53の活性化の指標である肝組織中p21発現量と累積肝発がん率について検討した結果、C型慢性肝疾患患者の肝臓では、p21遺伝子の発現量が、正常肝組織に比べて上昇していることが確認された。
- ・B型肝炎ウイルスの細胞への感染において胆汁酸トランスポーター(NTCP)が重要であることを発見し、構造解析を行うことでB型肝炎ウイルスの感染機序の解明を行った。
- ・NASHが進行したBurned-out NASH(脂肪肝が消失したNASH病態)では、脂質代謝をつかさどる転写因子SREBPの機能が低下し、その結果、脂質合成の低下に加え、生体膜リン脂質の組成に大きな変化が生じ、肝細胞障害や肝癌が起こりやすくなっていることが示唆された。
- ・免疫細胞のNASH線維化修復に与える影響を解析した結果、Resident memory T細胞が、NASH肝線維化修復に重要な働きを担うことが示唆された。

目的：肝炎の予防、診断、治療に係る技術の向上、肝炎医療に必要な医薬品・医療機器の開発



R6年度からの新規研究概要

## R6年度までに期待されるアウトプット、アウトカム

### 【ゲノム・データ基盤】

#### <アウトプット>

- ・研究成果のインパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載 3件
- ・新たな疾患発症メカニズム解明件数 1件
- ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 1件

#### <アウトカム>

- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 2件

### 【疾患基礎】

#### <アウトプット>

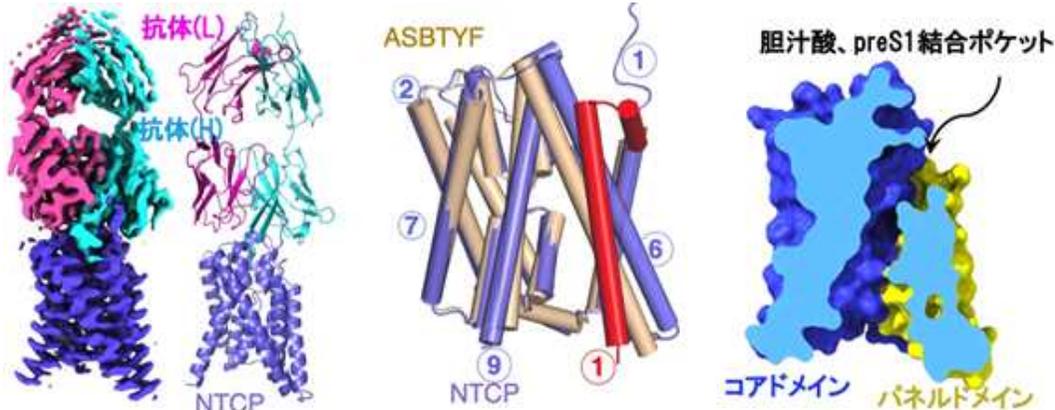
- ・研究成果のインパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載 50件

#### <アウトカム>

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件

## 参考資料(R2年度以降発表の肝炎等克服実用化研究事業の成果)

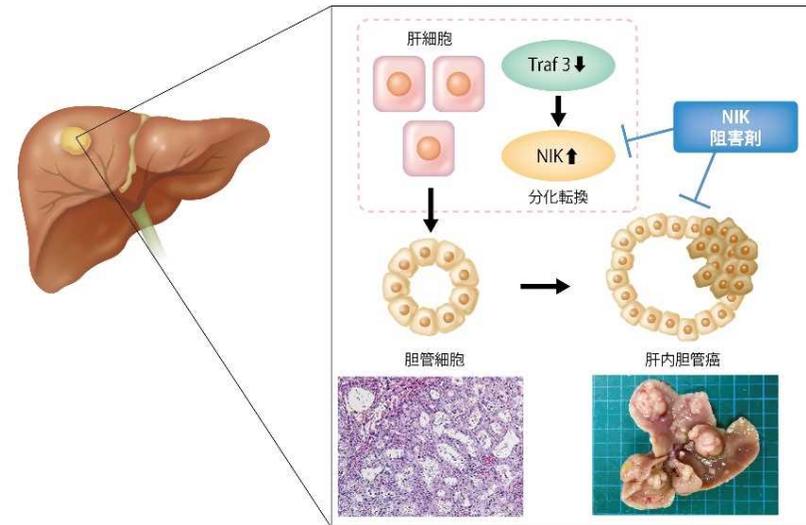
### B型肝炎ウイルスの感染受容体である胆汁酸輸送体(NTCP)の立体構造解明に成功



B型肝炎ウイルス(HBV)の感染受容体である胆汁酸輸送体NTCP(sodium taurocholate cotransporting polypeptide)の立体構造を明らかにした。クライオ電子顕微鏡単粒子解析により抗体フラグメントが結合したHBV感染受容体NTCPの立体構造を既知の胆汁酸輸送体ホモログ(ASBT<sub>YF</sub>)と比較、解析した。NTCPの1、5、6番目の3本の膜貫通ヘリックスが「パネルドメイン」、残りの6本のヘリックスが「コアドメイン」を形成して、各ドメインの相対位置や向きが変化することによって細胞外側からの胆汁酸とナトリウムイオンの共輸送を実現していることが示唆された。立体構造情報をもとに細胞へのHBV感染や胆汁酸輸送に関わる部位が明らかになり、今後HBVの感染機構の解明や、安全な治療薬の開発への貢献が期待される。

Structural insights into the HBV receptor and bile acid transporter NTCP. Nature 2022

### 予後不良な肝内胆管がんの新たな発症機序を解明—治療標的の同定により新規薬剤開発に期待—



網羅的ながん遺伝子の探索により、原発性肝がんの一種である肝内胆管がんの新たながん抑制遺伝子としてTRAF3を同定した。また、肝細胞におけるTRAF3の機能低下によりNIKの活性化が生じ、肝細胞が高い増殖性を持つ胆管細胞へと分化転換され、肝内胆管がんの発生に至るという機序を解明し、予後不良な肝内胆管がんの発症にTRAF3が重要な役割を果たすことを発見した。TRAF3のシグナル伝達経路の下流に存在するNIKが肝内胆管がんの新たな治療標的となる可能性を示し、NIKを標的とした新規治療の臨床応用が期待される。

Traf3 inactivation promotes the development of intrahepatic cholangiocarcinoma via NIK-mediated hepatocyte transdifferentiation. HEPATOLOGY 2022

## 事業概要(背景・目的)

わが国は2040年を見据え、高齢者人口および独居高齢者が増加する一方、生産年齢人口が減少するなど、急激な社会環境変化が生じている。その中で、老いや高齢者特有の機能低下、疾患等を抱えながら、その人らしく生活を送るため、適切な医療・介護が必要である。高齢者が自立して生活を送るためには、介護予防の推進が重要であり、フレイルやサルコペニア（筋肉減少症）など、要介護の原因となる状態や疾患等に対して、国民が自ら予防に取り組める簡易な技術や、その他の予防・重度化防止の手法等の開発が求められている。本事業では、健康寿命延伸に寄与する予防手法、生活の質の維持・向上を図ることができるケアの手法や評価方法を開発し、高齢者の生活に直結する成果や、質の高い医療・介護サービスを提供する社会基盤整備に貢献する成果を産出し、社会実装を推進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	151,391
シーズ開発・研究基盤	0
計	151,391

## 令和6年度概算要求のポイント

健康医療戦略に基づき、健康長寿社会実現へ向け、フレイルへの対策を進め、介護予防・重度化防止を推進し、高齢者医療・介護分野の生産性向上を図る。ICT等が介護現場で活用されるよう、産官学連携による研究を進める。令和6年度は、コホート研究を継続しながら、バイオマーカーの探索研究、超音波を用いた新しい診断方法の開発研究を継続する。そして新規に、実践的効果を得るためのフレイルに対する栄養学的介入研究、および多疾患併存に関する科学的知見を統合した、包括的な高齢者ケア手法を体系的に確立させる。合わせて、新型コロナウイルス感染症の高齢患者死亡においても重視された、基礎疾患に対するマネジメントを強化する研究を推進する。新規課題においては、若手研究者の登用を促す。

- 高齢者を対象に各種老年性疾患の罹患・治療歴、心身機能、リハビリテーションや介護ケア等の介入情報および、血液・尿等のヒト生体試料を用いた生化学的検索等の臨床データを前向きに収集し、領域横断的に解析を行うことが可能な前向きコホートの開発を推進する。【継続】
- 新型コロナウイルス感染症の蔓延に伴う高齢者の不活発やストレスに伴う運動機能低下が懸念されるなか、フレイルの発生リスクや治療効果判定の指標となるバイオマーカーを開発して高齢者の運動機能低下に対する新規治療手法の等開発を推進する。【継続】
- 加齢に伴う疾患の徴候の原因解明と適切・効果的な介入方法の開発研究を推進するため、介護現場への導入が容易で活用性が高い超音波計測機器による骨格筋量測定の実現化に必要な評価アルゴリズムの開発を推進する。【継続】
- **高齢者の生活機能および障害累積型フレイルティ等**を評価し活用する手法を開発する。【新規】
- **サルコペニアを改善させるテーラーメイドの栄養療法**に関する研究を推進する。【新規】
- **多疾患併存 (multi-morbidity)** を考慮した体系的な高齢者のケア手法を開発する。【新規】

## これまでの成果概要等

<アウトプット> 研究成果の科学誌 (IF 5 以上) への論文掲載件数 2 件(令和 4 年度末)  
 <アウトカム> シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1 件(令和 4 年度末)

また、これまで、生体マーカーを用いたサルコペニアの評価手法 (成果事例 1)、遠隔で随時、非侵襲・非接触で確認できるバイタルサイン観察機器 (成果事例 2)、AI/ARを応用した排泄・褥瘡・点滴・スキンケアの技術を自己学習できるシステム (成果事例 3) の他、「フレイル予防を軸とする住民主体活動推進マニュアル」、「呼吸不全のアドバンス・ケア・プランニングの支援ガイド」等を作成した (成果事例 4)。

- (参考) ①臨床研究・治験に移行した研究開発 (令和 4 年度末) 0件  
 ②承認申請・承認等に至った研究開発 (令和 4 年度末) 0件  
 ③特許申請・登録等に至った研究開発 (令和 4 年度末) 1件  
 ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施 (令和 4 年度末) 0件  
 ⑤高齢者の介護予防等に資するマニュアル開発 (令和 4 年度末) 1件

# 成果事例

## (1) 介護予防に質する加齢に伴う機能低下の評価手法に関する開発研究

臨床情報を豊富に有するコホートを対象に大腿部CTを撮像し、骨格筋の量のみならず質（筋内脂肪の蓄積度）とも関連する血中生体分子の探索を進めた結果、クレアチニン・シスタチンC比に加え、新たにレプチン、アディポネクチンが骨格筋の量・質と相関することを発見した。

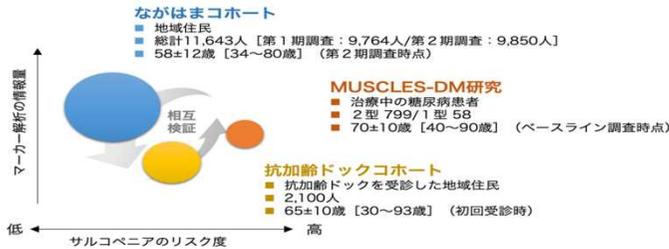
### 研究概要：方法①

地域住民や糖尿病患者集団を対象とした生体試料（血液）の分析と臨床形質との関連解析

身体的フレイルの中核症状であるサルコペニアの潜在的リスクの評価や顕在化後の重症度評価に活用可能な生体マーカーを探索・同定するとともに、当該マーカーをフレイルの増悪の評価や介護予防に適切に活用するための方法について検討・提案する。

### 研究概要：方法②

- サルコペニアのリスクレベルが異なる3つの集団を対象とする。
- 異なるアプローチからのマーカー探索と結果の相互検証から、確度の高い成果を得ることを目指す。



「特性の異なる集団における幅広い生体マーカー探索と結果の相互検証によるサルコペニアの評価手法の開発と応用研究」（田原康ら、令和2年～4年度）

## (3) 技術自己学習支援システムの開発

ロボット技術を応用して看護教育システムを構築し、AI（Artificial Intelligence）/AR（Augmented Reality）を応用した人的介入を必要としない動作支援プログラムの開発による看護師教育の省力化・効率化の向上を目的とし、排泄ケア・褥瘡ケア・スキンケア・点滴ケア技術について教育システムの開発評価を行い、このシステムを用い、訪問看護師を対象に介入研究を実施する。

### 本研究の提案：新たな看護技術教育法：必要な技術の自動選択（AI）と手技の3次元提示（AR）

- ・提供すべきケアを3Dで確認し、エキスパートの目線で熟達した手技をトレース
- ・在宅領域における看護技術教育の効率化（エキスパートの同行訪問不要、一人で反復可能）

- Level 1** AR: MRモデルを用いた事前学習/自己反復学習
- Level 2** AR 通信: ARと通信を用いた効率的な同行訪問/指導（エキスパートによる遠隔コンサルテーション）
- Level 3** AI AR: AI/ARによるベッドサイド技術実践支援
  - Step 1: エキスパート手技の3D保存
  - Step 2: AIによるコンテツク選択・提示
  - Step 3: ARゴーグルへの3DARの提示



フィジビリティテスト・各技術の開発ごとに実施

Level 1, 2, 3を合わせ、教育プログラムの実装・評価

### 本研究の成果：

- ・教育の効率化：ARを用いて看護師/介護職がエキスパートの同行を必要とせず一人で学び、高度なケア技術を提供可能に
- ・在宅看護の質の向上：安全、効果的なエキスパートレベルのケア提供により、在宅療養者のQOL向上、再入院率低下
- ・教育コンテンツの普及：現任教育、学会による評価を経てガイドライン化、教育プログラム化

「AI/ARを活用した排泄ケア・褥瘡ケア・スキンケア・点滴ケア技術自己学習支援システムの開発」（真田弘美ら、令和3年～5年度）

## (2) 遠隔からのモニタリングによる疾患等の管理を可能とする基盤整備

- RGB（赤緑青）ネットワークカメラのストリーミングビデオ信号から、4つのバイタル指標を同時かつリアルタイムで計測するアルゴリズムを開発し、リアルタイム数値表示のアプリケーションソフトウェアを製作
- 照明環境補正アルゴリズムを開発し、ヒトを対象とした計測で動作確認を完了
- 意図された生体指標計測性能を有しているかを検証するためのプロトコル設計を行い、ヒトを対象とした計測で動作確認を完了
- 対象の測定部位に関心領域（ROI）を自動で設定し、対象の動作に合わせてROIをトラッキングする技術を新規開発し、動作確認を完了



「WEBカメラを用いた脈拍・呼吸・酸素飽和度の非接触型遠隔リアルタイムモニタリングシステムの開発」（西館泉ら、令和2年～4年度）

## (4) その他

「フレイル予防を軸とする住民主体活動推進マニュアル」、「呼吸不全のアドバンス・ケア・プランニングの支援ガイド」等の作成)

### (1) フレイル予防を軸とする住民主体活動推進マニュアルの作成

「地域高齢者のエンパワメントによるフレイル予防推進と健康長寿のまちづくり」（飯島勝矢ら、平成31年～令和2年度）



「呼吸不全に対する在宅緩和医療の指針に関する研究」（三浦久幸ら、平成31年～令和3年度）

# 具体的な研究内容等

## A. 加齢に伴う機能低下及び変化に着目した研究基盤整備

課題 1. 高齢者における要介護状態の発生・進行メカニズム解明を目的とする前向きコホート研究 (R5~R9)

**課題 2. 【新規】高齢者の生活機能および累積型フレイルティ等を評価し活用する手法開発 (R6~R7)**

要介護状態の発生および進行メカニズムを解明するため、罹患・治療歴、心身機能、介入情報および、血液・尿等の生化学的検査等の臨床データを収集し、前向きコホートの開発を推進する。産官学連携によるリアルワールドデータ及び臨床データを活用した研究を推進するための基盤を整備し、介護予防・要介護状態の維持改善に資するエビデンスを創出するとともに、産業への橋渡しを目指した成果の導出を図る。また、高齢者の傷病や生活機能障害等を総合的に評価し、共有する手法を開発する。医療および介護の場において、後向き研究および前向き研究を実施し、累積型フレイルティの定量的な評価手法を確立し、外来診療サマリーや入院時評価、診療情報の提供、介護のサマリー等において、多職種で共有し活用される手法を開発する。

## B. 介護予防・重度化防止のための手法開発

課題 3. 高齢者のフレイルに対する評価指標と新規介入手法の確立に資するバイオマーカー開発 (R4~R6)

**課題 4. 【新規】サルコペニアを改善させるテーラーメイドの栄養療法に関する研究 (R6~R8)**

フレイルのバイオマーカーを開発し、介入手法の確立に向け研究を推進する。サルコペニアへの対策として、栄養療法について研究し、急性の病態にある者や、多疾患併存 (multi-morbidity) の者を含め、個々の病態に応じたテーラーメイドの栄養学的レジメンの確立を目指す。

## C. 高齢者特有の疾患・病態・徴候に対する適切な医療・介護手法の開発

課題 5. 高齢者に対する最適なリハビリテーションと栄養管理のための、超音波による簡易的骨格筋量評価アルゴリズムの開発 (R4~R6)

**課題 6. 【新規】多疾患併存 (multi-morbidity) 等を考慮した体系的な高齢者ケア手法に関する研究 (R6~R8)**

超音波機器によって骨格筋の量的、質的評価を行うアルゴリズムを開発し、高齢者に対する最適なリハビリテーションと栄養管理に活用する手法について研究する。また、高齢者における多疾患併存等について研究し、プロブレムリスト (問題志向型診療録にて用いられる傷病名等) や高齢者の状態等から、推奨されるケアの方法等が示される仕組みを開発するとともに、医療職が少ない介護の現場でも利用できるケアの手引き等を作成する。

## 期待されるアウトプット、アウトカム

### 【アウトプット】

- 加齢に伴う変化および機能低下を解明するコホート研究基盤を拡充する。
- フレイル・サルコペニア等の評価、診断、介入に関する知見を得る。
- 多疾患併存、ポリファーマシー等を適切に評価し、介入を行う手法を開発する。
- 健康長寿を推進し、高齢者のQOLを高める研究知見として、国際誌に発表する。

**K P I : 科学誌 (インパクトファクター5以上) への論文掲載件数 2件以上**

### 【アウトカム】

- 加齢に伴う変化および機能低下を明らかにする。
- フレイル等の適切な評価・介入を、継続的に行う社会体制を整備する。
- 健康長寿を推進し、高齢者のQOLを高める。
- 高齢者に対する在宅医療・介護の領域の生産性を高める。
- 科学的根拠が限られる介護分野において、先進的知見を得て、わが国としてリーダーシップを発揮する。
- バイオマーカーや超音波診断法、ケアのノウハウ等、本事業で得た知的財産を活用した産業を創出・拡大する。

**K P I : シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件以上**

加齢に伴う機能低下および変化の評価系の開発及び解明疾患領域である老年医学における新たなエビデンス構築

**老年医学領域における研究推進のための基盤整備**

エビデンスに基づいた産官学連携を促進重症化防止/QOLの向上

**高齢者医療・介護のための予防・医療・介護手法の整備**

体系的なケア手法の確立

**健康寿命延伸  
健康長寿社会への貢献  
新産業創出への貢献**

## 事業概要(背景・目的)

「統合医療」については、多種多様であり、科学的根拠が乏しいものが含まれているとの指摘もあることから、これまで厚生労働科学研究費等において、実態の把握と新たな知見の創出のための研究が進められてきた。統合医療とは「近代西洋医学を前提として、これに相補・代替療法や伝統医学などを組み合わせてさらに QOL(Quality of Life: 生活の質)を向上させる医療であり、医師主導で行うものであって、場合により多職種が協働して行うもの」(平成24年3月『「統合医療」のあり方に関する検討会』)と定義されている。統合医療は、その療法は多種多様であるがゆえに、患者・国民や医療界において未だ共通認識が確立していない状況にあるため、安全性・有効性等に関する科学的知見の集積を図り、必要な情報を広く発信し、患者・国民及び医療者が各種療法を適切に選択できるようにすることなどが求められている。

本事業において、国民の健康保持や治療・予防法の選択肢、及び医療従事者が選択しうる治療等の範囲を拡大するとともに、医療の質の向上を図ることを目的として、統合医療における漢方、鍼灸及び各種療法に関する各研究を推進することによって、安全性・有効性等の観点から科学的根拠に基づく新たな質の高い臨床研究への展開に資する知見を創出し、その成果を患者・国民及び医療従事者などに還元することを目標とする。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	112,515
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	112,515

## 令和6年度概算要求のポイント

### 【継続研究課題のうち優先的に推進するもの】

- 当該分野については、臨床研究の不慣れ・研究者の人材不足等から相互育成・醸成が難しいことなどが課題となっており、より質の高い臨床研究の推進、及び新たなテーマの科学的根拠の収集と知見の創出などに向けては、プロトコール作成研究の増枠等によって、プロトコール作成研究(または基礎的研究)から臨床研究へと切れ目のない継続した支援体制を強化した公募設計を行う必要がある。
- 科学的根拠の収集と知見の創出を効率的に行い、効果的に研究開発を推進するため、これまでに蓄積されていないオンライン形式等の非接触の介入に関してエビデンスの構築を目的とし、また、患者の試験参加の負担軽減や利便性の向上のため、Decentralized Clinical Trial(分散化臨床試験)の手法を取り入れたプロトコール研究や臨床研究などを推進していく。

### 【新規研究課題として推進するもの】

- 統合医療のうち、特に漢方については、漢方専門科に限らず、内科(総合診療科等)、婦人科、泌尿器科等の幅広い診療科で広く処方されている実状であるが、それら領域を横断した使用実態の全体・詳細及び処方にあたっての診断・対象となった病態や症状等の体系整理はされていない。また、東洋医学特有の理論体系が活用されておらず、またこれまでの研究等でも十分に客観化されていないのが現状である。本研究では、漢方の処方実態など統合医療の臨床における領域横断的な使用実態や体系整理に向けた研究の推進、さらに東洋医学特有の理論体系である「証」を活用した臨床研究を推進する。
- 統合医療の推進にあたっては、多職種協働によるチーム医療・タスクシェア、及び統合医療や研究開発を担う人材育成が重要となる。当事業では、漢方や鍼灸等の統合医療に関して、適正かつ体系的な情報把握や実践的かつ十分な学びの機会が得られることによって、漢方等を処方する医師や統合医療を受ける患者を取り巻く医療関係職種が十分な知識・理解のもとに対応・支援できるよう、データ基盤の整備・構築、漢方等の専門医ではない医師による適正かつ安全な処方・使用のためのアルゴリズム作成やガイドラインへの掲載、さらには実践的な教育プログラムの開発などに向けた研究を推進していく。

## これまでの成果概要等

厚労省「統合医療」情報発信サイト(e-JIM)への科学的根拠資料の公表  
「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業(AMED)」

### 【研究開発成果報告書の公表】

年度	平成28	平成29	平成30	令和元	令和2	令和3	令和4
件数	12	15	15	11	13	13	13

### 【ゲノム・データ基盤】

#### <アウトプット>

- ・非臨床POCの取得件数(令和2～3年度) 0件
- ・臨床POCの取得件数(令和2～3年度) 0件

#### <アウトカム>

- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数(令和2～3年度) 1件

#### <モニタリング>

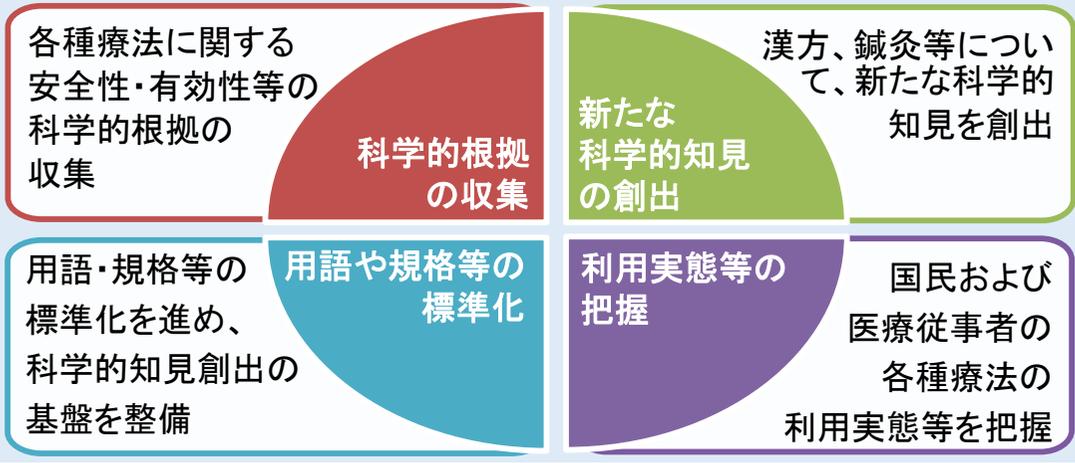
- ・研究成果の科学誌(IF5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況(管理目標)

# 具体的な研究内容等

## AMED

「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業(研究事業)

【概要】国民及び医療従事者の健康保持や疾病治療・予防の選択肢を増やし、医療の質の向上をはかることを目的として、統合医療における漢方、鍼灸及び各種療法に関する各研究を推進することによって、安全性・有効性等の観点から科学的根拠に基づく新たな質の高い臨床研究への展開に資する知見を創出し、将来的に患者・国民及び医師などに還元することを目標とする。 ※平成27年度よりAMEDにおいて研究事業として開始。



成果の掲載

## 厚生労働省

「統合医療」の情報発信事業(eJIM)(予算事業)

【概要】患者・国民及び医療者が「統合医療」に関する適切な情報を入手するためのウェブサイト構築し、安全性・有効性等の情報を発信。  
※平成25年度より開始。

- ・専門家からなる文献調査委員会を設置し、国内外の学術論文等を収集し、文献要旨の翻訳・エビデンスレベルの付与等を行う。
- ・文献調査委員会が整理・加工した情報をホームページ等を用いて、国民および医療従事者が利活用しやすい形で情報発信する。

次代の研究開発の人材の育成・確保

試験参加の負担軽減や利便性の向上による効率的・効果的な研究開発の推進

電子カルテ等情報の標準化や活用等の動向とも連携

効果的かつ持続可能な科学的な根拠の収集と知見の創出の体制強化

健康保持や疾病治療・予防の選択肢の増加による、医療の質の向上  
統合医療の発展や国内産業の競争力強化のための土壌形成

## これまでの主な研究開発課題

- 「統合医療」に関する科学的知見の創出に関する研究
  - ・漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するためのプロトコール作成研究
  - ・漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するための基礎研究(若手育成枠)
  - ・漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するための臨床研究
- 「統合医療」についての安全性・有効性等の評価手法に関する研究
  - ・「統合医療」に関する科学的知見の創出に向けた安全性・有効性等の評価手法に関する調査研究
- 「統合医療」の情報発信、実態把握、基盤整備に関する研究
  - ・統合医療の社会モデルに基づくプログラムの社会的実装のための基盤を構築する研究
  - ・「統合医療」の国際標準化などの基盤整備に関する研究

## 期待されるアウトプット、アウトカム

- ＜アウトプット＞
- ・非臨床POCの取得件数(令和2～6年度)3件
  - ・臨床POCの取得件数(令和2～6年度)2件
- ＜アウトカム＞
- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数(令和2～6年度)5件
- ＜モニタリング＞
- ・研究成果の科学誌(IF5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況

## これまでの成果例

- 「科学的知見を創出するためのプロトコール作成研究」については、科学技術調査員（生物統計家）の伴走支援のもと、統合医療における3領域（漢方、鍼、リハビリテーション）の臨床試験実施計画（プロトコール）を作成し、その後の「科学的知見を創出するための臨床研究」の実施へとつながるような公募枠を設定し、継続した研究支援を実施している。  
参考）臨床研究・治験に移行した研究開発（令和3年度末） 23件

- 次世代の統合医療領域の研究開発の人材の育成・確保と、新たな発想による研究開発の活性化のため、これまで「科学的知見を創出するための基礎研究」などに「若手育成枠」を設定し若手研究者への支援を行ってきた。  
参考）「若手育成枠」による採択課題：累計4件（令和4年度公募まで）

- AMEDで支援した研究開発課題の研究成果の科学誌への論文掲載  
直近の掲載例）2020年度：2件

- ・Kainuma M, Funakoshi K, Ouma S, Yamashita KI, Ohara T, Yoshiiwa A, Murata M, Tsuboi Y. The efficacy and safety of hachimijiogan for mild Alzheimer disease in an exploratory, open standard treatment controlled, randomized allocation, multicenter trial: A study protocol. *Medicine (Baltimore)*. 2020, Sep 18;99(38):e22370. doi: 10.1097/MD.「軽度アルツハイマー型認知症を対象とする八味地黄丸の認知機能に対する有効性と安全性を確認する探索的オープン標準治療対照無作為化割付多施設共同試験」
- ・Nishiyama N, Matsuda Y, Fujiwara N, Ariyoshi K, Oyamada S, Narita K, Ishii R, Iwase R. The efficacy of specialised rehabilitation using the Op-reha Guide for cancer patients in palliative care units: protocol of a multicentre, randomised controlled trial (JORTC-RHB02). *BMC Palliative Care*. 2020, 19, 164, doi: 10.1186/s12904-020-00670-6.「終末期がん患者に対するリハビリテーションの有効性検証のための多施設共同ランダム化比較試験」

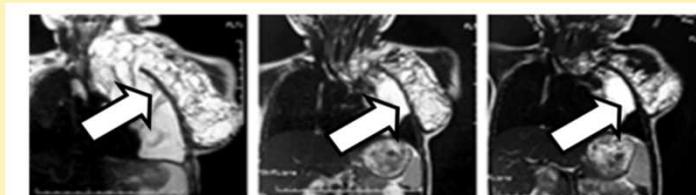
- プロトコール作成研究において、臨床試験実施計画の作成から臨床研究の実施へと支援

### 事例

過年度のプロトコール作成のための研究開発課題において、「リンパ管奇形に対する越婢加朮湯の効果を評価するための臨床試験実施計画書（プロトコール）」が作成され、PMDAのRS戦略相談の対面助言を経て、当事業の支援のもと、特定臨床研究が行われている。

※令和3年度～現在、臨床研究課題として継続中。

図：縦隔リンパ管奇形の漢方投与による経時的变化



『リンパ管奇形に対する越婢加朮湯の効果を評価する治験のプロトコール作成（令和2年度採択課題）』ならびに『リンパ管奇形に対する越婢加朮湯の効果を評価する臨床研究（令和3年度採択課題）』



## 事業概要(背景・目的)

AIの活用が期待される健康・医療分野において、膨大なデータを収集、解析し、個々に最適な健康管理・診療・ケアを実現するためには、アカデミアのみならず、産業界等と連携したシステム開発が必要である。「AI戦略2019」(令和元年6月11日統合イノベーション戦略推進会議決定)において、厚労省が取り組むべき施策の一つに「AIを活用した病気の早期発見・診断技術の開発」が挙げられている。「保健医療分野AI開発加速コンソーシアム 議論の整理と今後の方向性」(令和元年6月28日)において、AI開発を進めるべき領域を重点6領域の1つとして「介護・認知症」の領域が選定され、本事業では、特に客観的な評価指標が乏しい精神及び神経・筋疾患の早期診断を目的としたAI技術の開発を支援している。

「AI戦略2022」(令和4年4月22日統合イノベーション戦略推進会議決定)ではAIの活用が期待される分野として「医療アクセスの改善や個別化医療のためのテレメディシンやAI診断支援、教育へのアクセス拡大と個別支援」が挙げられ、どこでも安心して最先端・最適な医療を受けられる環境を整備することが掲げられている。具体的には「革新的な医療機器の創出を目指す質の高い臨床研究、医師主導治験等を実施」や「AIを活用した医療機器の開発・研究における患者データ利用の環境整備」の実施に取り組むべきとされており、今後の高齢化率の上昇等によってD to P等のニーズの増加が見込まれる一方で、専門診療に対応可能な医療従事者が不足しており、医療従事者の負担の軽減等のためにもオンラインやAI等を用いたD to P等の遠隔医療体制の構築が不可欠である。また、昨今の新型コロナウイルス感染症によって遠隔医療の重要性が再認識されたところであり、様々な疾患の診療において、遠隔においても専門診療が可能なD to P等の診療体制を構築するために、また適切な診療提供と医療従事者の負担軽減に繋げるために、医工連携によるAI技術開発、および開発されたAI技術を実装するための基盤整備が求められる。

PJ(モダリティ)区分	予算額 (千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	591,537
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	591,537

## 令和6年度概算要求のポイント

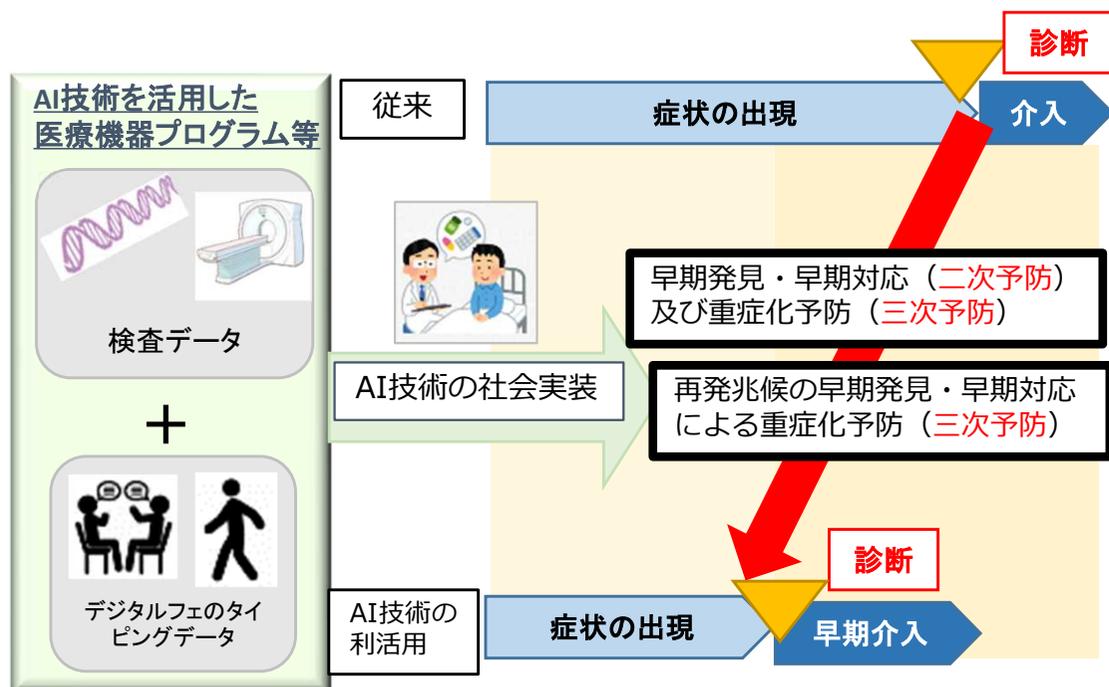
- 令和3年度より精神疾患及び神経・筋疾患における早期診断に資する医療機器プログラム等の研究課題を6課題、令和4年度より、日本全地域の心不全診療連携を最適化するAI実装 D to Dシステムの開発と実用化、および、D to Dの遠隔ICUテレメディシンサービスの実装研究について1課題ずつ研究を開始したところであるが、令和5年度年度末には企業治験及び社会実装の可能性について評価を行う中間評価を実施する予定である。  
これを受け、事業達成に向け、令和6年度より順次臨床試験を開始する必要がある。
- D to Pの遠隔医療体制については、オンライン診療で活用する医療機器等の普及を進めるため、効果的かつ質の高い臨床応用の手法の開発に向けて、具体的な活用場面を想定しつつ、エビデンスの蓄積に向けた研究を行う必要がある。

## これまでの成果概要等

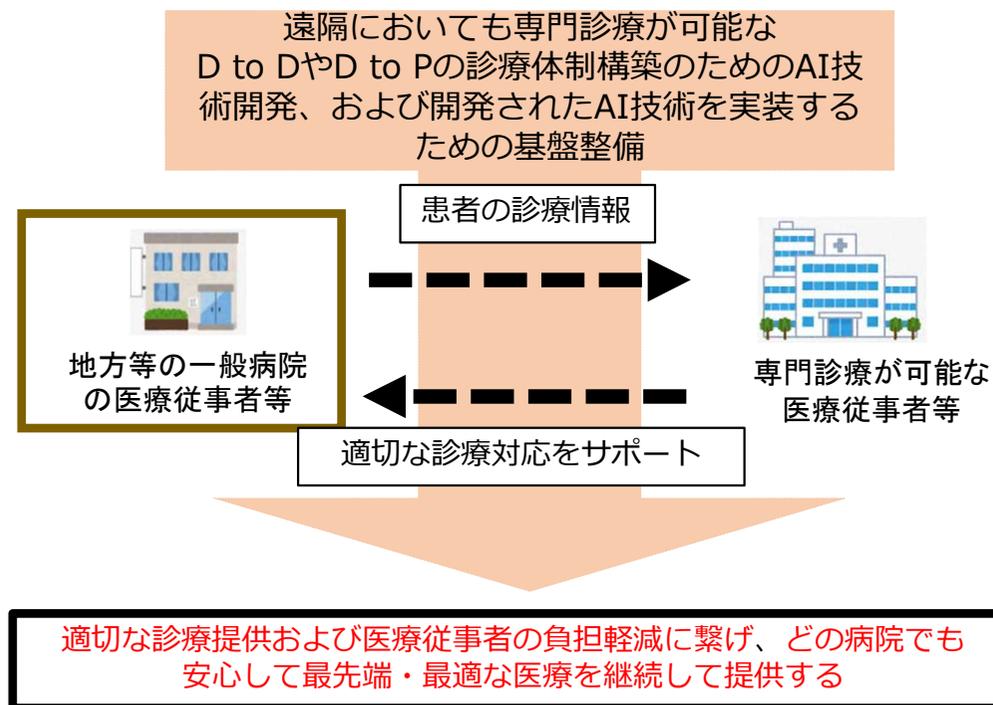
「リストバンド型ウェアラブルデバイスデータを用いてうつ病スクリーニングおよび重症度評価を可能とするソフトウェア医療機器の開発」及び「心拍変動解析によるてんかん発作予知AIシステムの研究開発」の2件について、令和5年3月にプログラム医療機器に係る優先的な審査等の対象に指定された。

## 具体的な研究内容等

- 個人の健康・医療分野における、検査データと、デジタルフェノタイピングデータを組み合わせた解析を行い、身体所見等と合わせて診断に用いることで、精神疾患及び神経・筋疾患の早期診断に資するエビデンスを創出し、AI技術を活用した医療機器プログラム等を開発する。【継続】



- 医療従事者の負担軽減に資する、AI技術を活用したD to DやD to Pを対象としたテレメディシン・サービスの開発、評価、社会実装を推進し、疾患領域や診療科を問わず、どこの医療機関においても安心して最先端・最適な専門医療を継続して提供できるよう研究開発を進める。【継続】



## 期待されるアウトプット、アウトカム

### <期待されるアウトプット>

- ◆ AI技術を活用して精神疾患及び神経・筋疾患の発症や進行の仕組みを明らかにし、症状が明らかになる前の早期段階から、早期診断につながるエビデンスを創出する。
- ◆ 様々な疾患の診療において、遠隔においても専門診療が可能なD to DやD to Pの診療体制構築を可能とするAI技術を活用した基盤整備を行う。

### <期待されるアウトカム>

- ◆ 精神疾患及び神経・筋疾患において、早期診断が可能となるAI技術を活用した医療機器プログラム等を開発し、早期から適切な医療・介護支援・療養等の介入を実現することで、予後の改善や生活の質が維持される。
- ◆ 様々な疾患の診療において、遠隔においても専門診療が可能なD to Dの診療体制を実現するAI技術を活用した基盤を実装し、どの病院でも安心して最先端・最適な医療を継続して提供し、医療の質を確保した上で医療従事者の負担を軽減する。

# メディカルアーツ研究事業

令和5年度予算額 48,663千円

## 事業概要(背景・目的)

革新的な医薬品・医療機器を医療現場へ効果的に導入するためには、従来の医薬品・医療機器の開発に加え、医療者の経験や知識に頼りがちであった、外科的手技や術中管理、医師が患者の状況を判断して行う診察などの無形の医療技術をデータ化し、それを用いた新たな医療技術を開発する必要がある。

特に、本邦における深刻な問題である外科医不足の解決に向けた、効率的かつ効果的な若手外科医の教育・技術向上・働き方改革の推進において、外科医の優れた手術手技等のデータ化や創出されたデータを他外科領域へ横展開するための基盤整備は重要である。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	48,663
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	48,663

## 令和6年度概算要求のポイント

令和2年度に採択された4課題の全てが、対象とする外科領域における無形の医療技術のデータ化を完了し、作成したアルゴリズムを用いた外科的手技の評価システム等を開発した。令和5年度からは、より幅広い外科領域へ事業対象を拡大するとともに、外科的手技のデータ等を対象外の外科領域へ横展開するための基盤整備に関して研究支援を開始した。令和6年度も外科医の支援を主軸としつつ、各診療科をまたいだ横断的な外科領域の研究推進を行い、優れた外科的手技の次世代への伝承を目指す。

## これまでの成果概要等

本研究事業は令和2年9月より開始し、各外科領域の関連学会と提携して、多施設共同研究を実施し、優れた外科的手技(手術器具の振動、加速度、移動量、軌跡パターン等)をAI画像解析等を用いてトレース、定量化した。得られた各パラメータにより手術技能評価法を作成し、手術指導ガイドラインや手術手技支援プログラム等へ収載・反映する予定である。

### 【ゲノム・データ基盤】

<アウトプット> インパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載(令和2~4年度)0件※  
非臨床POCの取得件数(令和2~4年度)2件

<アウトカム> シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数(令和2~4年度)0件

# 具体的な研究内容等

## メディカルアーツの研究範囲

### 医療現場の無形の医療技術

- 手術手技
- 術中管理
- 状態を判断する診療技術
- 医療者の経験による手技等

収集

- 定量化
  - データ化
  - デジタル化
- 評価・検証
- 体系化

最適な  
アルゴリズムの  
作成等

技術開発/構築

関連事業

(医薬品)  
医療機器

医療の改革、  
新技術の開発

診療ガイドライン  
マニュアル

人材育成プログラム

AMED

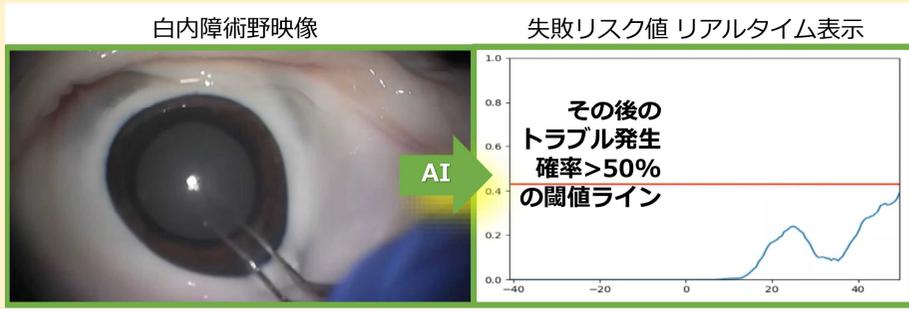
厚労科研

…成果物

## 具体的な研究内容等

### 手術動画解析AIを用いた「熟練の技」の教育と手術支援システムの開発

- ウェブベースの白内障手術動画レポジトリの構築を行い、得られた動画から手技動作の評価システムと共に、AIによる白内障手術失敗リスク値をリアルタイムに算出する評価システムを開発した。



研修医と指導医に対して開発した評価システムを検証したところ、危険指標、核処理の過程、いずれにおいても指導医の方が有意に良好という結果を得た。本評価システムは、日本眼科AI学会等と連携し、手術指導ガイドラインに反映予定である。

### 内視鏡外科手術におけるAI自動技術評価システムの開発

- 日本内視鏡外科学会との連携により1,650例の技術認定医試験の手術動画、技術評価点数結果に基づくAI自動評価システム構築を行った。
- 本評価システムは、日本内視鏡外科学会技術認定審査における高得点群、低得点群、当該術式の経験症例数5例以下の術者群の3コホート比較においていずれも有意差を認め、評価システムとして有用であることが実証された。学会推奨教育ツールとしての活用を目指している。

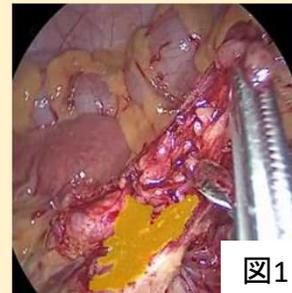


図1

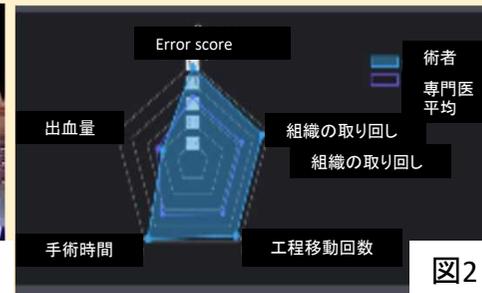


図2



図3

図1: 出血認識モデルによる手術手技評価。黄色はAIにて認識された出血部を示す

図2: AI技術評価システムの各指標の点数化

図3: ユーザーインターフェース開発のイメージ

## 期待されるアウトプット、アウトカム

<令和2年度～令和6年度までのKPI>

- ◆ インパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載を3本以上
- ◆ 非臨床POCの取得件数1件以上
- ◆ シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 2件以上

# プロジェクト別研究事業一覧

## PJ1: 医薬品プロジェクト

- ・創薬基盤推進研究事業
- ・臨床研究・治験推進研究事業
- ・医薬品等規制調和・評価研究事業
- ・創薬支援推進事業
- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・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
- ・難治性疾患実用化研究事業
- ・腎疾患実用化研究事業
- ・免疫アレルギー疾患実用化研究事業
- ・肝炎等克服実用化研究事業

## PJ4: ゲノム・データ基盤プロジェクト

- ・ゲノム創薬基盤推進研究事業
- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・認知症研究開発事業
- ・障害者対策総合研究開発事業(精神障害分野)
- ・障害者対策総合研究開発事業(身体・知的・感覚器)
- ・難治性疾患実用化研究事業
- ・循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業
- ・女性の健康の包括的支援実用化研究事業
- ・免疫アレルギー疾患実用化研究事業
- ・移植医療技術開発研究事業
- ・肝炎等克服実用化研究事業
- ・「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業
- ・医工連携・人工知能実装研究事業
- ・メディカルアーツ研究事業

## PJ2: 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

- ・医療機器開発推進研究事業
- ・開発途上国・新興国における医療技術等実用化研究事業
- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・難治性疾患実用化研究事業
- ・循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

## PJ5: 疾患基礎研究プロジェクト

- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・認知症研究開発事業
- ・難治性疾患実用化研究事業
- ・循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業
- ・女性の健康の包括的支援実用化研究事業
- ・腎疾患実用化研究事業
- ・免疫アレルギー疾患実用化研究事業
- ・慢性の痛み解明研究事業
- ・エイズ対策実用化研究事業
- ・肝炎等克服実用化研究事業
- ・長寿科学開発研究事業

## PJ3: 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

- ・再生医療等実用化研究事業
- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・難治性疾患実用化研究事業

## PJ6: シーズ開発・研究基盤プロジェクト

- ・臨床研究・治験推進研究事業
- ・地球規模保健課題解決推進のための研究事業(国際課分)
- ・地球規模保健課題解決推進のための研究事業(厚生科学課分)