



日本医療研究開発機構のミッションと展望

日本医療研究開発機構
理事長 末松 誠

戦略推進部が他の5事業部との「縦横連携」:ゲノム医療をまず「難病」と「がん」から推進 Medical R&Dの全体最適化の試金石



戦略推進部

7つのプロジェクト

医薬品
研究課

再生医療
研究課

がん
研究課

脳と心の
研究課

難病
研究課

感染症
研究課

研究
企画課

産学連携部

産学連携等実用化へ向けた支援

国際事業部

戦略的国際研究の推進

バイオバンク事業部

バイオバンク等研究開発基盤の整備支援

臨床研究・治験基盤事業部

質の高い臨床研究・治験への支援

創薬支援戦略部

創薬支援ネットワークによる支援

5事業部

NEWS STOKE & STAFFORDSHIRE

Syndrome without a name: Living without a diagnosis

SWANの患者の母親の言葉

検査を受けても、受けても、全部「異常なし」との結果が戻ってくるばかりで、結局どの医師も答えを教えてくれることはできませんでした。

検査を受けるたびに、私たち夫婦は打ちのめされ、「自分たち家族はいつ終わるともしれないジェットコースターに一生乗り続けなければならないのか」と、とてもやるせない気持ちになるのです。

“Diagnostic Odyssey”

未診断疾患イニシアチブ

【目的】

希少 (Rare)・未診断 (Undiagnosed) 疾患患者に対して

- ・体系的に診療する医療システム
- ・患者情報を収集蓄積し、開示するシステムを確立すること

【成果】

- ・全国の各地方における希少・未診断疾患診療施設設置、体制構築
- ・患者への診断フィードバック
- ・未診断疾患患者に関する新規疾患概念の確立
- ・国際連携可能な国内データネットワーク・解析コンソーシアムの設立等

IRUD診療体制

診断困難な患者さん

受診

IRUD診断連携

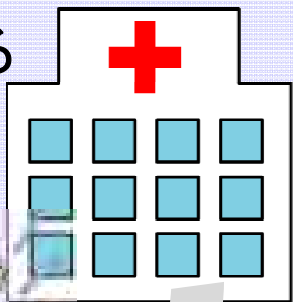
・IRUD診断委員会は地域の拠点病院等に配置し、全国配備を目指す



フォローアップ



IRUDに参加する
拠点病院
(総合病院)



紹介受診



地域での
密接な連携

エントリーシート
(臨床・検査データ)



IRUD 解析コンソーシアム

IRUD解析センター

- ・依頼された検体についてエクソーム解析等の遺伝学的検査を行う
- ・遺伝学的検査以外の検査や遺伝子変異の機能解析も検討する

解析結果

検査依頼

IRUD診断委員会

- ・幅広い診療科の医師で構成
- ・臨床遺伝専門医を中心として臨床カンファレンスを開催
- ・地域の臨床医と積極的に連携し地域をあげて取り組む

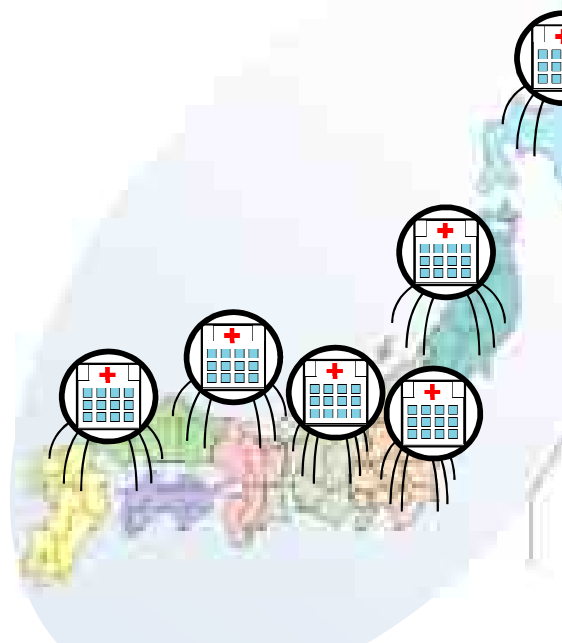
データ

IRUD データネットワーク

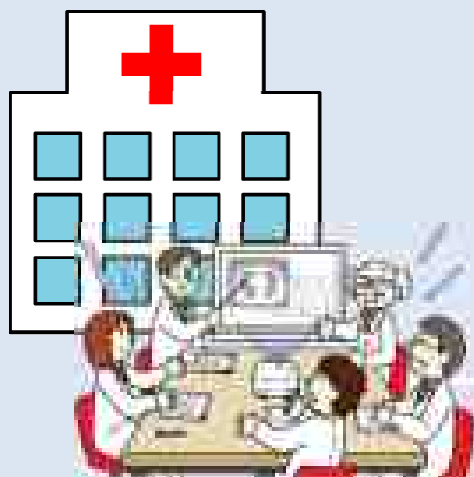
AMED データセンター

- ・登録システムの構築・運営
- ・データベースの構築・運営
- ・国際ネットワークとの連携

臨床専門分科会と診断委員会による支援体制 3年かけてIRUD診断連携の全国整備を目指す



IRUDに参加 する拠点病院



IRUDに参加する
拠点病院が全国に
設置されるよう体制
整備を支援していく

IRUD 臨床専門分科会

- ・疾患エキスパートによる専門分科会
- ・IRUD診断委員会による依頼を受け、専門的な症例検討を追加する
- ・必要に応じてIRUDに参加する拠点病院で直接診療

症例検討
依頼

検討結果
フィードバック

IRUD診断委員会

- ・幅広い診療科の医師で構成
- ・臨床遺伝専門医を中心として臨床カンファレンスを開催
- ・地域の臨床医と積極的に連携し、地域をあげて取り組む

IRUD診断連携におけるマトリックス構造

医師会の先生方の御協力が不可欠



IRUD臨床専門分科会

IRUD診断委員会/拠点病院

科 地域	主幹	血液	免疫	内代	神経筋	循環器	呼吸器	消化器	腎	皮膚	骨	視覚	聴覚
北海道	☆ ★ (医師会)	○	○	○		◎	○		○	○		◎	
東北	☆ ★ (医師会)							◎	○		○	○	
関東	☆ ★ 医師会	○	◎	○	○	○		○		◎	○		○
中部	☆ ★ (医師会)	○		○	◎					○	◎		
⋮	⋮	⋮	⋮	⋮	⋮	⋮	⋮	⋮	⋮	⋮	⋮	⋮	⋮

モデル事業として医療機関、医師会等と連携し、体制全体へのフィードバックを行う

◎専門分科会リーダーが
○専門分科会メンバーの登用を支援し、各地域の担当者が専門分科会への依頼を担う

Clinical Outcomeの提出・報告

国立、公立、私立大学、医師会等から幅広く登用されたオールジャパン体制を段階的に構築し、3年で「日本のどこに住んでいても等しく難病等の最新の情報共有が医療スタッフや患者さんの間でできるような体制」を構築する

※メンバー構成は仮想のものです

バリエーションのフィルタリングをしてRとUを決める～ Phenotype is everything

エクソーム由来全バリエーション(例)

必要な
リソース

アミノ酸配列への影響 (+)
(frameshift, missense, splicing異常など)

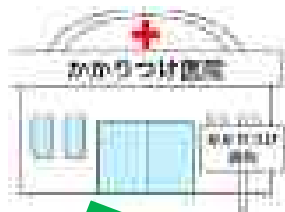
正常日本人 3%未達

(1万人に一人くらいのものを決める)

世界の成人多因子遺伝病研究
エクソーム6万人分になし



ヒト疾患原因遺伝子内の
バリエーションを除外 (39)



地域での
密接な連携

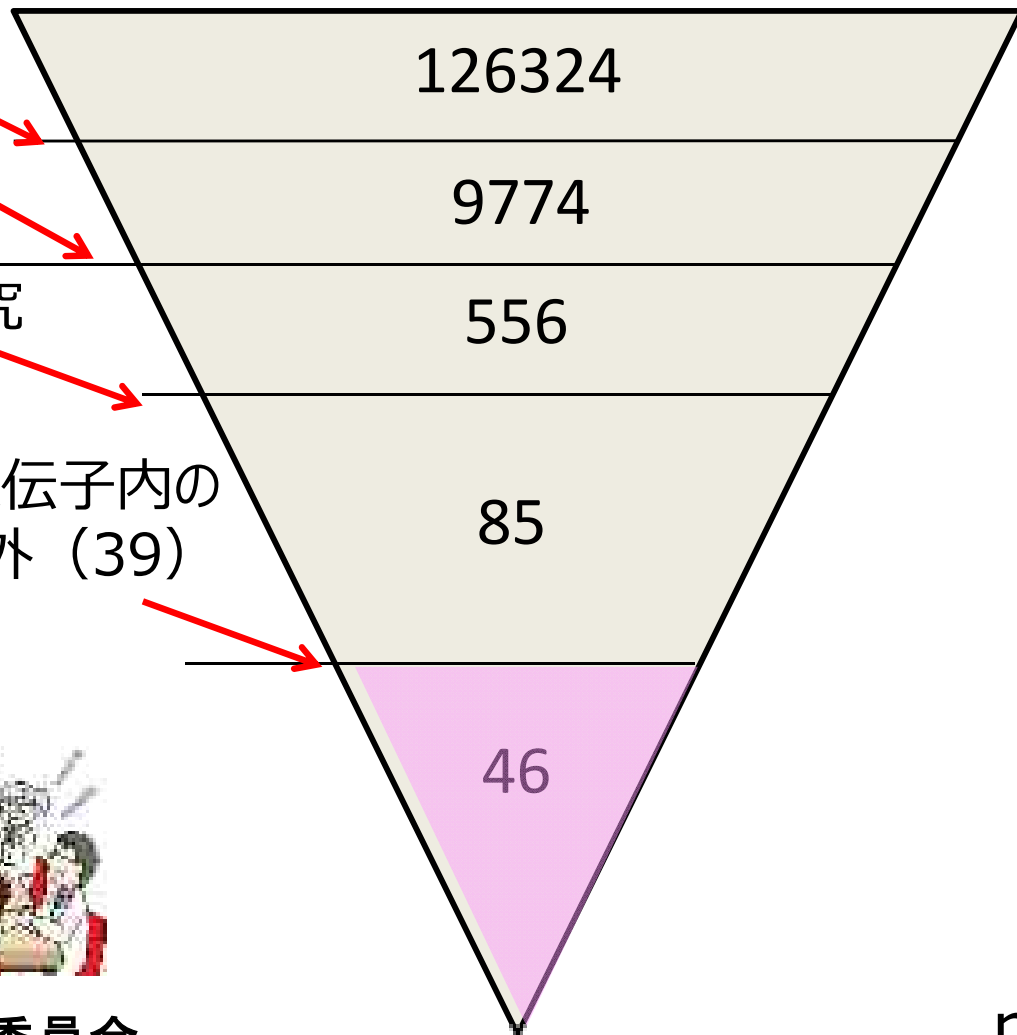


**IRUD
解析コンソーシアム**
IRUD解析センター

・依頼された検体について
エクソーム解析等の遺伝学的
検査を行う

IRUD診断委員会

- ・幅広い診療科の医師で構成
- ・臨床遺伝専門医を中心として臨床
カンファレンスを開催
- ・地域の臨床医と積極的に連携し
地域をあげて取り組む



Bioinfo

日本人
DB

医師の
判断

Case
matching

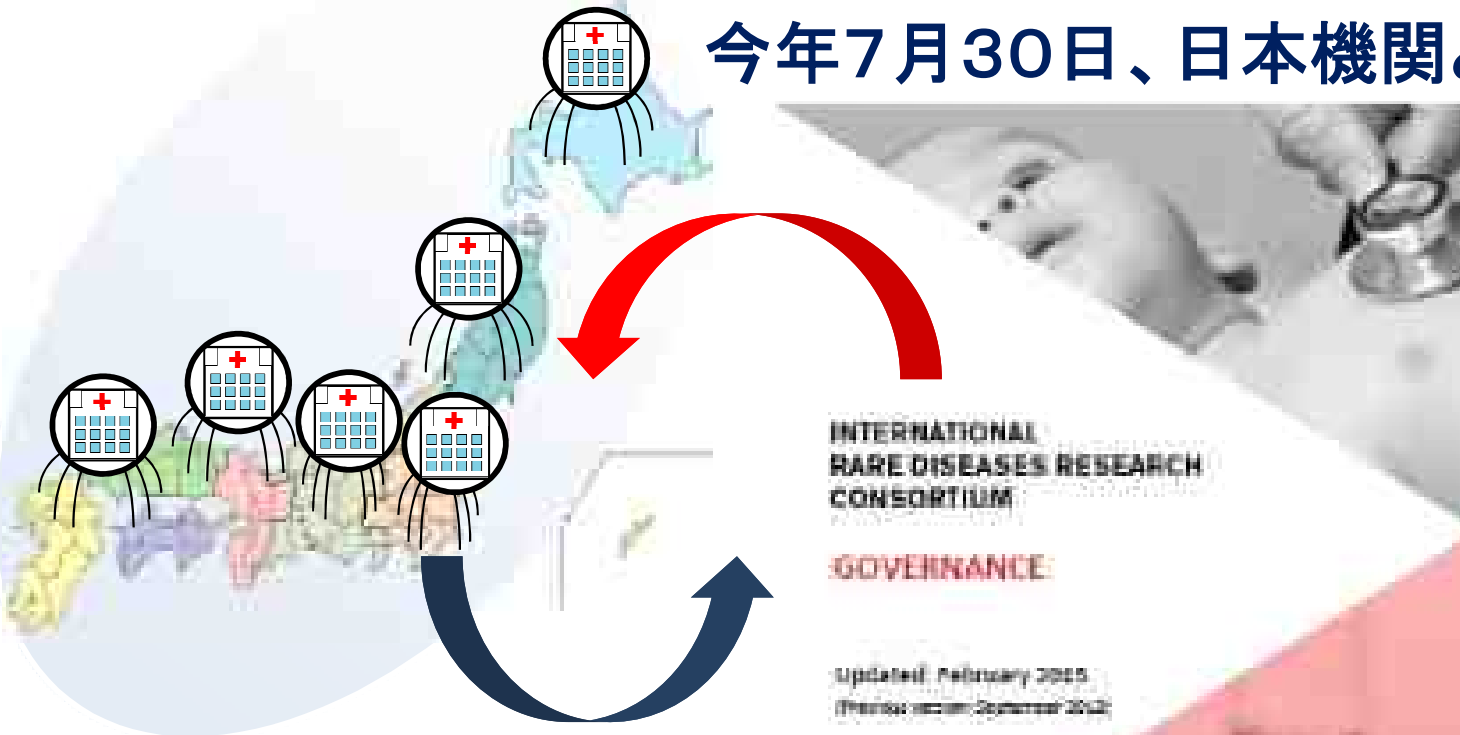
ヒト疾患との関係が不明の
遺伝子内のバリエーション
(臨床医でないと切り込めない)

IRDIRCへの加盟: IRUDの世界への貢献

世界の希少・未診断疾患患者を救うために



今年7月30日、日本機関として初めてAMEDが加盟



The International Rare Diseases Research Consortium (IRDIRC) teams up researchers and organisations investing in rare diseases research in order to achieve two main objectives by the year 2020, namely to deliver **200 new therapies** for rare diseases and means to **diagnose most rare diseases**.

A number of grand challenges are being addressed through collaborative actions to reach these **2020 goals** such as: establishing and providing access to harmonised data and samples, performing the molecular and clinical characterisation of rare diseases, boosting translational, preclinical and clinical research, and streamlining ethical and regulatory procedures.

加盟の加盟だけに終わらせないための挑戦

- ✓ data sharing for patients
- ✓ phenotype coding
- ✓ unified IRB

(同一目的を持ったcommunityで可能)

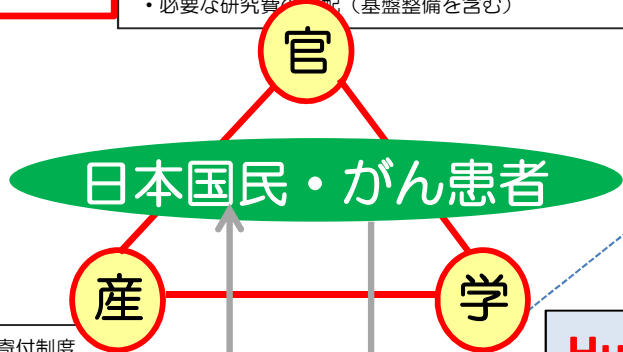
研究者のmindsetや大学間のBalkanismを変革しないと解決できない課題

SCRUM-JAPAN : がん患者に最適な薬をいち早く届ける効率的な医療システムを構築中

国家的なP5 medicine 体制の構築

- Multiplex診断薬承認のためのRegulatory Scienceの確立
- 市民・患者への啓蒙活動
- 必要な研究費の確保（基盤整備を含む）

- 病理学会や検査学会などの関連学会—ゲノム医療に資す臨床検体の取扱い手順書の作成および啓蒙活動（ホルマリン固定のガイドライン、各種臨床検体の標準的な取扱いガイドライン、新規診断法精度保証制度など）
- 日本臨床腫瘍学会などの癌関連学会—次世代テクノロジー推進協議会の設立と活動（政策提案を含む）
- 市民・患者への啓蒙活動
- 国際交流



- 個別化医療実現のための寄付制度
- 市民・患者への啓蒙活動のサポート

医療ビッグデータ

Hub-and-Spoke ネットワーク

- TRの基盤整備と機能的な運用（Bankingを含む）
- 臨床とがんゲノムの統合データベースの構築・維持（ビックデータ）と人工知能の投入
- Variant of Unknown Significanceの減少に向けた日本人ゲノムデータ収集
- バイオインフォマティクス
- Big-data based medicineの統計的な手法の確立
- 生命倫理への配慮

基礎研究

- 拠点病院を統制する事務局機能、データセンター、各種相談窓口
- 政策提案
- 国内Central IRBの整備と実践
- 国際交流

国立がん研究センター

臨床・がんゲノム統合データ構築

- 市民・患者への啓蒙活動
- 稀少癌・家族性腫瘍の登録データベース
- コンパシオネットコース・EAPの管理と実践

個別化医療促進のための次世代研究推進

拠点病院の自立と連携

地方自治体

- リサーチナースの配置
- 病理医の配置
- 遺伝カウンセリング部門の整備
- 事務局機能（治験の相談窓口など）

- 市民・患者への啓蒙活動
- 連携病院との連携強化（紹介・逆紹介）
- Central IRB機能
- コンパシオネットコース・EAPの実践
- 治験実施との連携
- 医師主導治験の実施

地方自治体

- リサーチ・ナース
- 病理医
- 臨床遺伝専門医
- 遺伝カウンセリング専属ナース

- リサーチ・ナース
- 遺伝カウンセリング専属ナース
- 臨床遺伝専門医
- 病理医
- 腫瘍内科医
- バイオインフォマティシャン
- 生物統計家、など

大津敦 AMED科学技術顧問より提供

人材育成の教育プログラム

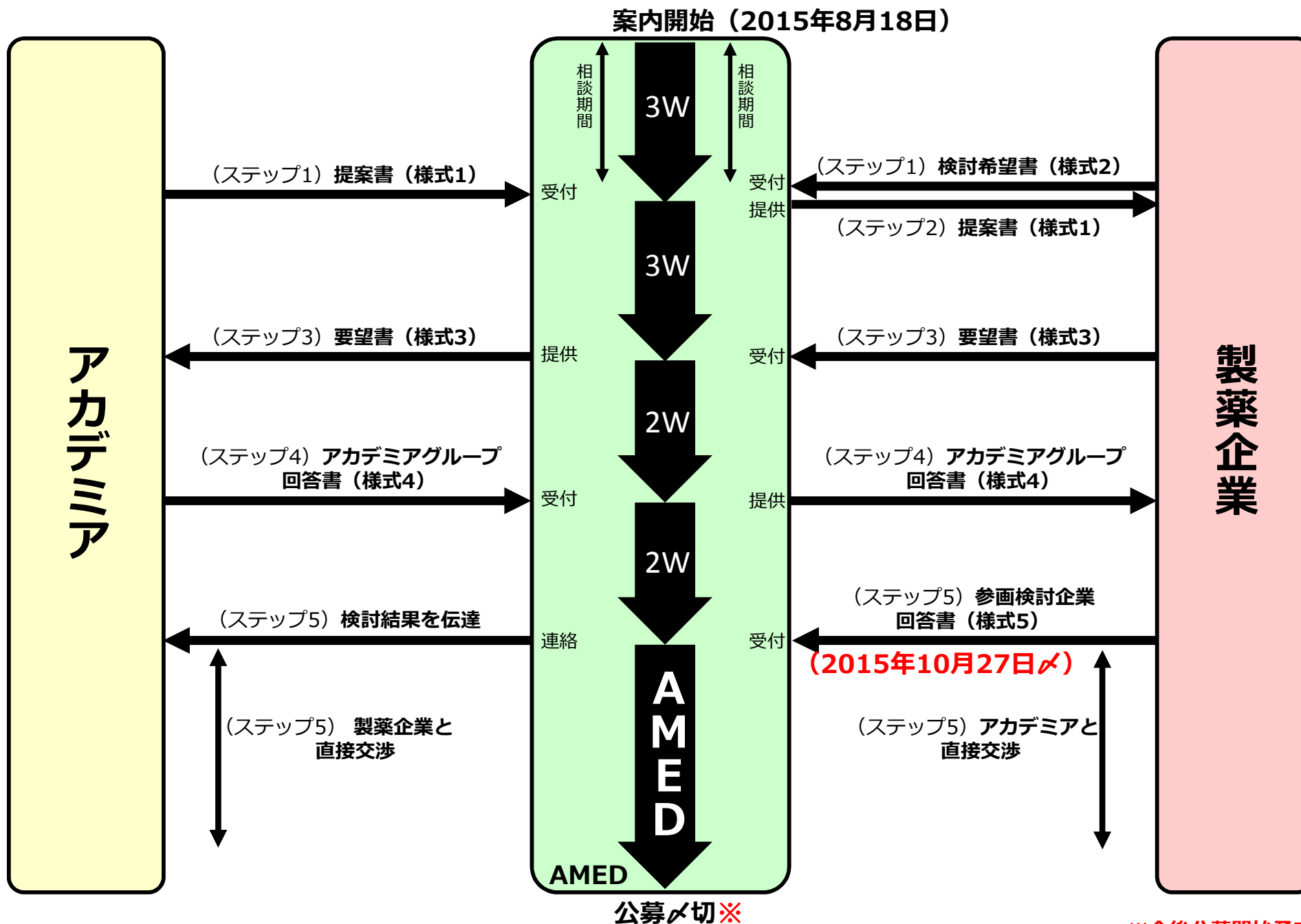
AMEDががん研究者と共にリードしなければならないと 認識している課題

- 病理検体の標準化を中心とした地方拠点構築整備事業
(その運営を支える専門医師、病理専門医の育成)
- 実践をしながらのアノテーション人材の育成
(日本癌学会・病理学会などとの連携によるOJTを包含する研究事業)
- 日本人がんゲノム情報＋詳細な治療情報のデータベース構築
(海外情報系企業などが日本で各施設の一本釣りを開始している)
- 次の創薬に向けた検体二次利用の管理体制の構築
- シーズの枯渇を招かないような**基礎研究**への力点

スピードの遅れは致命傷になる

(走りながらしくみを構築していかなければならない現実をしっかりと認識する) 9

産学官共同創薬研究プロジェクト（PPP：民間資金の活用）



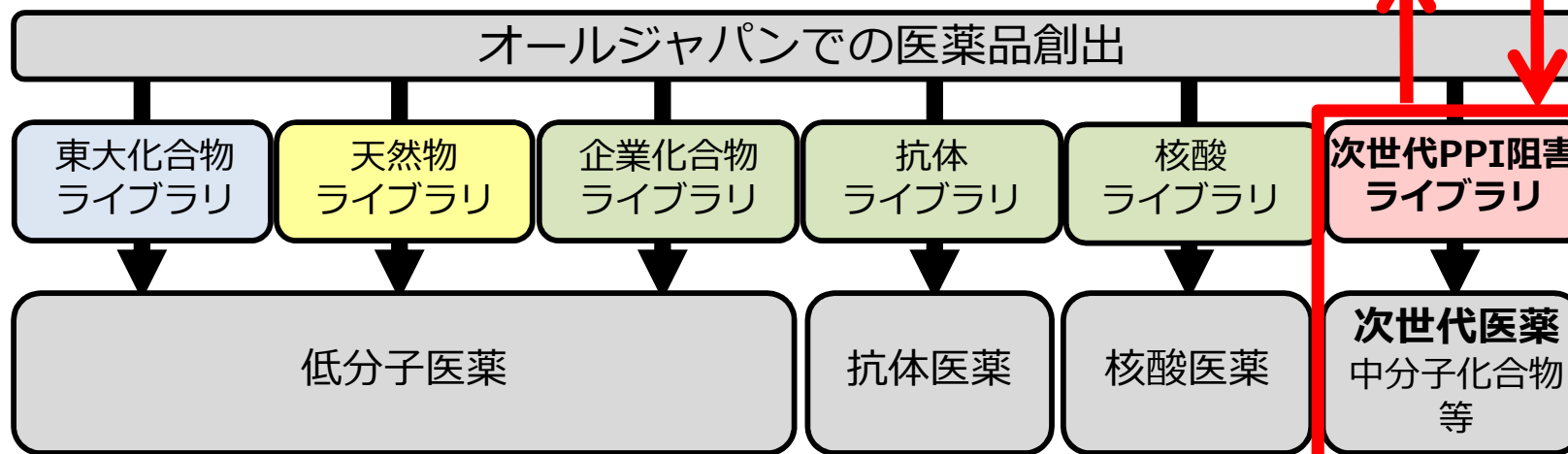
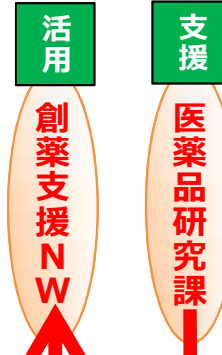
※今後公募開始予定

次世代創薬シーズライブラリーの構築

「オールジャパンでの医薬品創出」分野のミッション

大学等で生み出された優れた成果を実用化に結びつけるための創薬基盤の整備

次世代医薬	従来の低分子・天然物・抗体医薬の抱える課題を解決できる次世代PPI阻害ライブラリを構築
ベンチャー	次世代PPI阻害ライブラリの構築に当たっては、ベンチャー企業の有するノウハウ・創薬技術を活用
連携施策	ファンディング機能を有する医薬品研究課が次世代PPI阻害ライブラリ構築プロジェクトを公募採択し、構築したライブラリを創薬支援NWが活用



運営主体	東大	AIST	AMED	NIBIOHN	NIBIOHN	AMED
化合物数	21万	30万 (推定)	20万	> 100億	10万	1.5万 (予定)
新規性	主として既知	未知		標的により未知	主として未知	未知
主な課題	PPI阻害に不適	最適化が困難	PPI阻害に不適	膜透過性がない	薬物送達の克服	特殊な合成技術

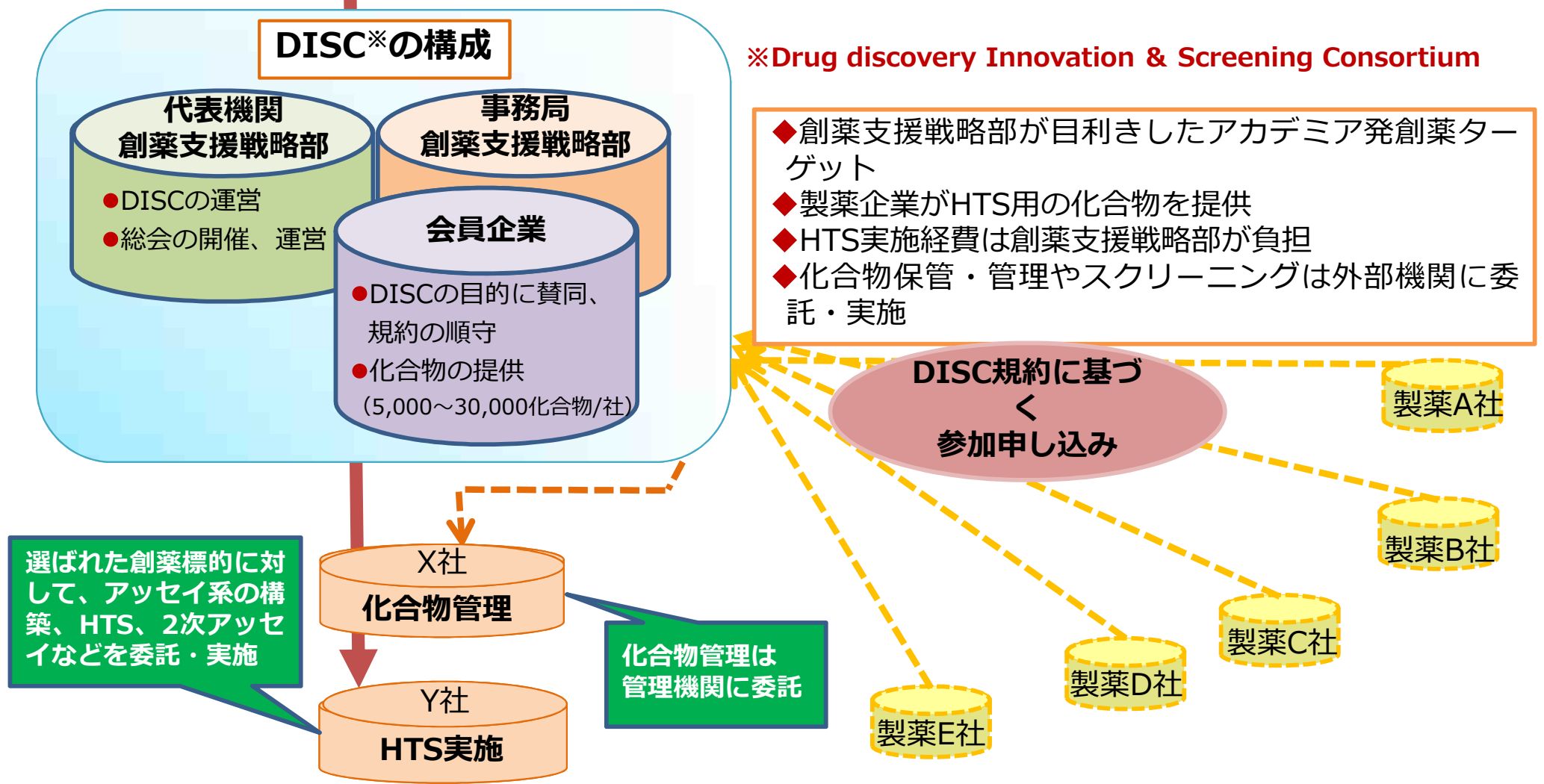
従来の低分子・天然物・抗体医薬等が抱えていた課題を解決



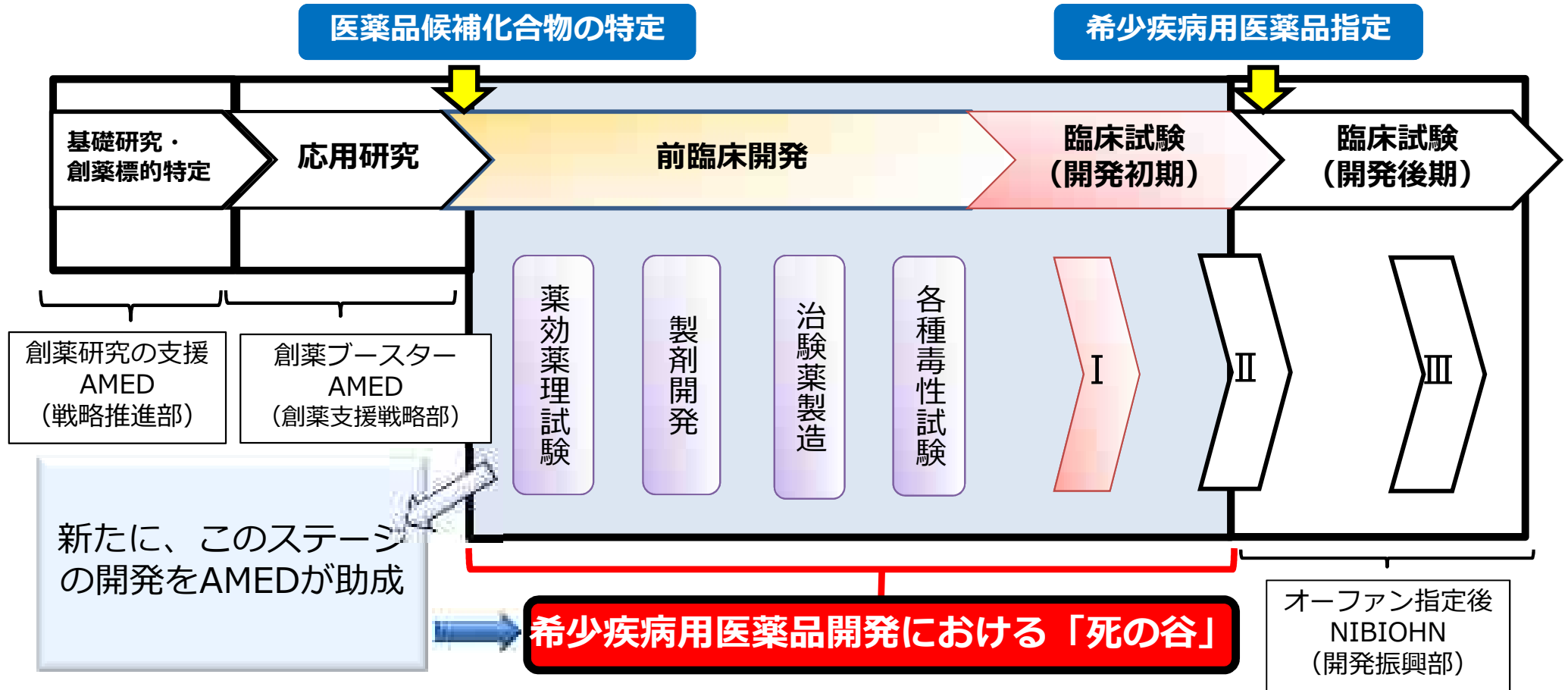
「産学協働スクリーニングコンソーシアム (DISC)」の概要

東京大学（低分子化合物）、医薬基盤・健康・栄養研究所（抗体・核酸）、次世代天然物化学技術研究組合（天然物）の各ライブラリーに加えて、製薬各社が保有するユニークな化合物群を創薬支援ネットワークに活用

創薬支援ネットワークによるアカデミア発創薬シーズの支援



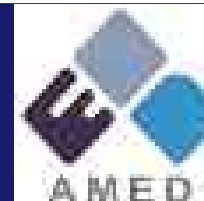
＜オーファン指定前ベンチャー等支援＞ 希少疾病用医薬品指定前研究開発助成金事業



(現状) ・ベンチャー等における希少疾病用医薬品の支援・助成は、オーファン指定後に限定
 ・オーファン指定前においても幅広い開発【非臨床～臨床試験 (P II)】が必要だが、このステージにおける支援・助成の仕組みは存在しない。

- ◆ 平成27年度より、AMEDにおいて、**新たに希少疾病用医薬品指定を受ける可能性のある品目の研究開発費の助成事業を創設**
- ◆ **助成対象には、ドラッグ・リポジジョンの開発も含まれる**

創薬総合支援事業（創薬ブースター）における 「平成27年度 第1回導入希望企業の募集」について



課題番号／ 課題名	DNW-14002／ 筋変性疾患治療薬の探索
主任研究者／ 所属機関	岩田裕子／ 国立循環器病センター研究所 分子生理部 蛋白質機能研究室 室長
概要	<ul style="list-style-type: none">● 伸展開刺激感受性のイオンチャンネルXを創薬標的とする筋変性疾患治療薬の探索● チャンネルX阻害物質が、筋変性疾患モデル動物の病態の改善に有用であることを示し、創薬コンセプトの妥当性を確認● 海外でハイスループット・スクリーニングを実施した後、新規アッセイ法により既知のチャンネルX阻害剤の活性を上回る新規化合物を取得● 網羅的なバイオマーカー探索により、筋変性疾患病態と治療効果を反映するバイオマーカーを同定
公募期間	平成27年7月21日～8月14日

AMED/PMDA 連携協定の締結：薬事相談なくして採択なし



- ◆ 日本発の革新的医薬品・医療機器等の創出に向けて、AMED/PMDAの機能・知識・経験を相互活用する協力体制を構築

➡ 本年8月、AMED/PMDA連携協定を締結

(主な連携内容)

- ✓ AMED採択研究課題のうち実用化段階に移行するもの
→ 原則PMDA薬事戦略相談を受けることを採択条件に
- ✓ AMEDの研究課題評価に、PMDAは薬事戦略相談結果を踏まえて協力
- ✓ AMEDの臨床研究・治験基盤整備に、PMDAは研修講師派遣などで側面的に試験
- ✓ AMEDとPMDAがそれぞれ持つ情報を共有し、それぞれの業務に活用



世界の医療研究開発の動向：めまぐるしい動き HIROs Meetingより (Heads of International Research Organizations)



1. 感染症に対する国際協力と情報共有
エボラ出血熱、MERS、多剤耐性菌問題
2. Precision Medicineの潮流
3. Genome Editing (ゲノム編集技術の光と影)
4. 失敗データのファイリングと利活用
5. 研究者コミュニティのマインドセットの変革
(Data sharing, microattribution, unified IRB)
6. Pre-competitive phaseにおける国際協力によるmedical R&Dの推進



Medical IP Desk (知財相談窓口)

札幌医科大学の石埜正穂教授に大変お世話になっております。



医療分野の知的財産の保護や活用等に関する相談に、医療分野の知財コンサルタント（知的財産部配属の8名）が、研究成果の実用化を見据えながら、具体的な解決策をアドバイス。電話又はメールにて予約。内容に応じて面談も行います。

電話：03-6870-2237

メール：medicalip@amed.go.jp

場所：日本医療研究開発機構 知的財産部内

(東京都千代田区大手町1-7-1 読売新聞ビル23F)

相談例 1

細胞増殖を抑制する物質 A を発見した。実用化に向けライセンスアウトを目指すには、今後どのような実験データを取得したうえで特許出願するのがよいか。

相談例 2

標的臓器に核酸医薬を選択的にデリバリーする技術を開発した。特許の書類をどのような内容にすれば、様々な疾患用の核酸医薬をカバーする強い権利を取得できるか。





研究費の機能的運用について(ver.1)

- ✓ 合算使用(設備・旅費)OK
- ✓ 目的使用をすれば目的外使用OK
- ✓ 直接・間接費による研究補助員雇用OK
- ✓ 年度末までの予算執行OK
(報告は5月末でよい。各省共通)

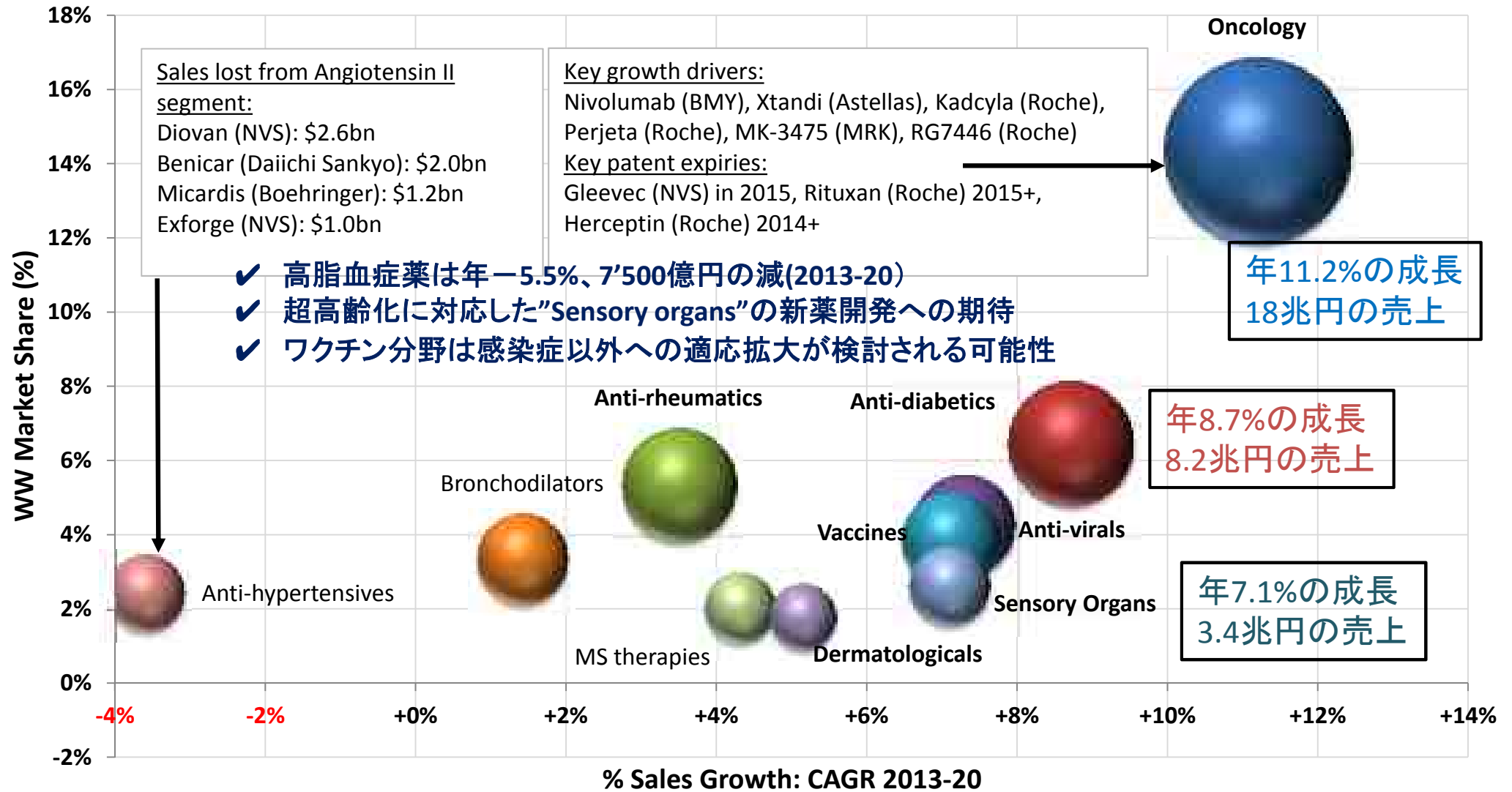
AMED HPより

- Coming soon**
- ✓ 間接経費の弾力的運用と透明化
(各大学・研究機関が本当に研究インフラ・環境の充実に使っているか?)
 - ✓ 採択から契約完了までのスピードアップ
 - ✓ 明許繰越制度の運用
(各省バラバラのルールを最適化。できることの明文化)

現場の研究者の皆さんの意見で大学・研究機関の管理体制を改革し、Medical R&Dの加速を図る必要性: AMEDは応援します。

創薬データベースによる2020治療分野の市場シェア・成長率

～前向きコホート・臨床DBに基づいた日本人の疾患発症動態とアンメットニーズの正確な解析が求められる～



抗凝固薬は11位、年10.4%成長し2020年の売上は2.1兆円

AMED 平成28年度以降のビジョンと課題（私見）



1. 重点を置くべき研究領域：
 - (A) Sensory Medicine/Motor Medicineの研究開発強化
 - (B) 実績のあるデータベースを活用した日本独自の臨床研究の推進
(医療ICT協議会、健康医療戦略室、3省との緊密な連携の下に進める)
 - (A)は「3つのLIFE(生命・生活・人生)を包含する研究」を支援することによってQOLを向上させる上で不可欠な研究領域である。
 - 既存の学問領域ではなく、広い視野から疾病の克服や生命機能の解明などを行う研究を支援。
 - Databaseの利用には常にupdateされるしくみが不可欠。
そのためには医療現場のmotivationに繋がる研究開発の振興を推進。
 - 若手の研究費が「小粒」にならない最大限の配慮。
 - 基盤整備は、オールジャパンの観点からAMEDが中心的役割を担う。
2. 補助金予算に基づく事業運営・大学や研究機関のさらなる改革
 - 初年度でほぼ達成した「研究費の効果的運用」のしくみを研究機関や現場の研究支援センターなどへ周知(研究者が声を上げることによって「大学のしくみ」を変革する必要がある。)
3. 臨床研究を活性化するためのAROの構築・民間資金の活用とData baseによる戦略策定の実現
(学内、関連病院などの連携強化とシーズ・ニーズ情報の集約とupdateのしくみを構築)
4. 研究評価・課題管理の人員確保の施策、多様な観点からの評価を行いうる課題評価体制の構築