



ライフ・イノベーションの一体的な推進に向けて

平成25年度 特別重点要求  
医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

厚生労働省

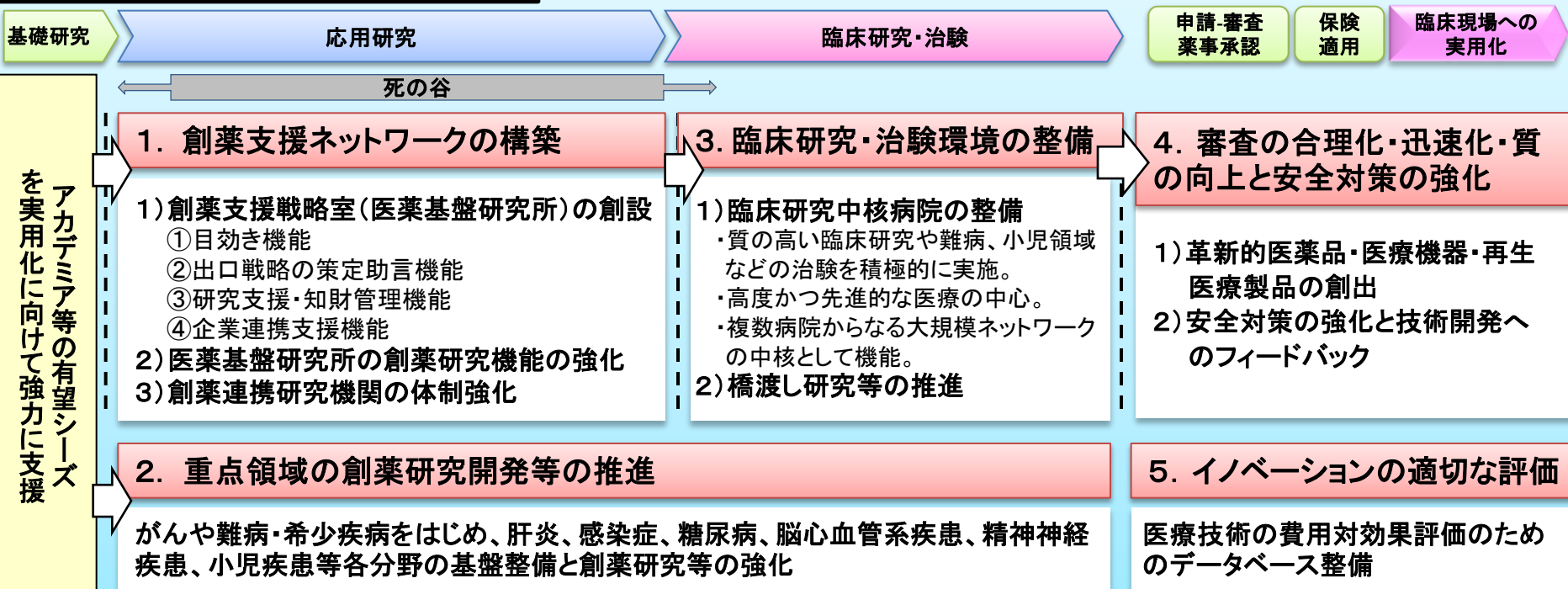
要求額:411億円



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

日本再生戦略のライフ成長戦略において「医療イノベーション5か年戦略の着実な実施」が求められていることから、国民が安心して利用できる最新の医療環境を整備するとともに、日本のものづくり力をいかし、日本発の革新的医薬品・医療機器や再生医療製品などを世界に先駆けて開発し、医療関連市場の活性化と我が国の経済成長を実現し、積極的に海外市場へ展開することを目指す。

## I 革新的医薬品・医療機器の創出



## II 世界最先端の医療実現

### 6. 再生医療の推進

- 1) 臨床研究の基盤整備及び個別研究の支援
- 2) iPS細胞等を用いた創薬等研究の支援
- 3) 安全性等評価法開発支援及び患者の登録システム構築

### 7. 個別化医療の推進

※個別化医療: 個々人に適応した医療

- 1) 個別化医療推進のためのインフラ整備及び研究の推進
- 2) 個別化医療に資する医薬品開発の推進



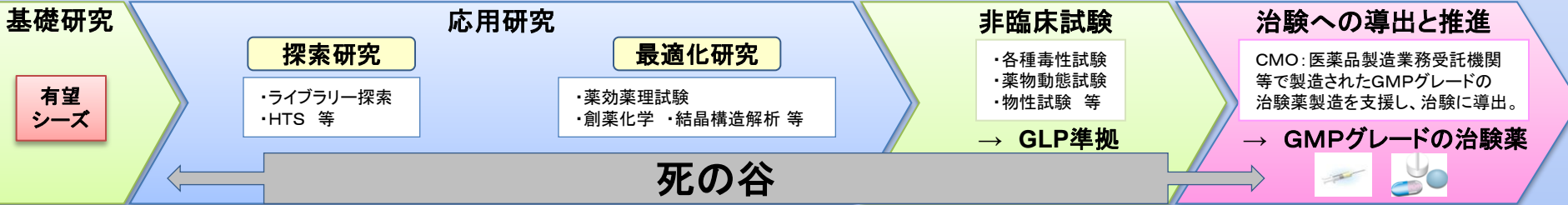
# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## I 革新的医薬品・医療機器の創出

### 1. 創薬支援ネットワークの構築

41億円

アカデミア等の優れた基礎研究の成果を確実に医薬品の実用化につなげるため、**医薬基盤研究所**が中心となって本部機能を担い、理研や産総研、大学等の創薬研究機能をもつ関係機関で構成する「**創薬支援ネットワーク**」を構築し、「**死の谷**」と呼ばれる**応用研究**（特に**最適化研究**）～**非臨床試験**～**治験**に対して、**がんをはじめとする8つの重点領域**における有望なシーズを中心に切れ目のない実用化支援を行い、治験への導出等を図る。



目効き機能

出口戦略の  
策定・助言機能

研究支援  
知財管理支援

企業連携  
支援機能

### ◇ 創薬支援ネットワークによる実用化支援

厚労省

#### 【医薬基盤研究所】 創薬支援戦略室(本部機能)

(平成25年度設置)

- ・有望シーズの調査、評価、選定
- ・出口戦略の策定、助言
- ・応用研究、知財管理等の支援
- ・研究開発費の投入(助成)
- ・企業連携支援 等

文科省

#### 【理化学研究所】

SACLA、SPring-8、スーパーコン  
ピュータ「京」等の研究基盤を利用した  
探索研究および最適化研究の支援



連携  
協力

連携  
協力

経産省

#### 【産業技術総合研究所】

計測基盤技術・ツールを用いた  
探索研究および最適化研究の実施



#### 【創薬連携研究機関】

大学、民間研究機関等

創薬に必要な研究プロセスを支える研究関係機関が参加し、  
強固な連携のもと、創薬支援ネットワーク機能を担う。

医療イノベーション推進室

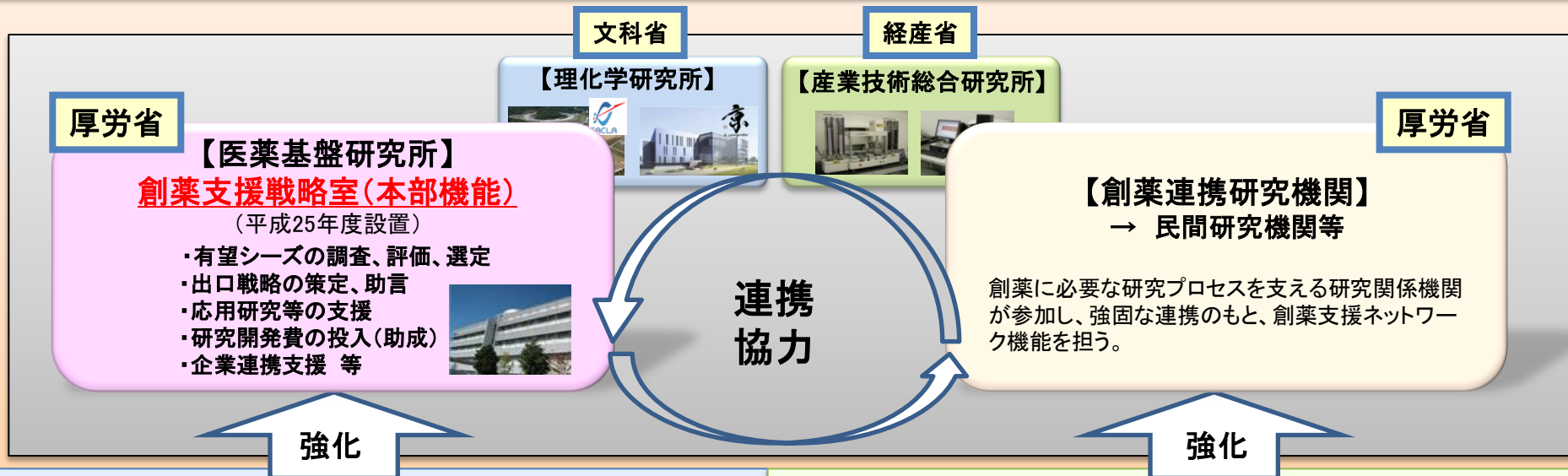
※創薬支援NW協議会・実務者会議  
による強固な連携協力体制を形成



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## 1. 創薬支援ネットワークの構築

41億円



### 【医薬基盤研究所の機能強化】

#### 1) 創薬支援戦略室(本部機能)の創設

- ① 目効き機能
- ② 出口戦略の策定助言機能
- ③ 研究支援・知財管理機能
- ④ 企業連携支援機能

大幅な人員配置

#### 2) 創薬基盤研究の設備整備等

- ① 探索～最適化研究設備等の強化
- ② 非臨床試験設備の強化

設備投資

### 【創薬連携研究機関の体制強化】

対象:

創薬連携研究機関・・・民間研究機関等

#### 1) 探索研究関連設備等の整備

- ・化合物、抗体医薬関連ライブラリー等の整備

#### 2) 最適化研究関連設備等の整備

- ・薬効薬理試験、創薬化学、計算化学等の設備整備

#### 3) 創薬支援戦略室との継続的な連携

- ・連携ツールの導入等



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## 2. 重点領域の創薬研究開発等の推進

139億円

### 8つの重点領域

### 概要

### 要望額

#### ①がん

難治性がんや小児がんを含む希少がん等を中心に、抗体医薬等の分子標的薬や核酸医薬、がんペプチドワクチン等の創薬研究に関して、適応拡大も含め、GLP準拠の非臨床試験や国際水準の医師主導治験を強力に推進する。また、早期診断を可能とする革新的な診断方法(診断薬等)の実用化へ向けた研究を推進する。

60.3億円

#### ②難病・希少疾病

革新的な診断・治療法の確立に向けた総合的・戦略的な研究を推進し、医師主導治験などを実施することにより医療への実用化を図る。また、iPS細胞を用いた再生医療技術を応用し、難病の原因解析について取り組むと共に、重篤な患者に対しては、新たな治療法等の開発に向け、適切な遺伝子検査提供体制の構築等に取り組む。

29億円  
(一部再掲)

#### ③肝炎

B型肝炎に対して現在用いられている薬よりも効果が強力で耐性が出現しにくい新規治療薬の開発を目指した研究や、肝硬変に対して肝機能の改善につながる治療薬等の開発を目指した研究等を推進する。  
また肝炎研究の中核施設による先進的な臨床研究を行うことのできる体制整備を行う。

32億円

#### ④感染症

新興・再興感染症等に対する次世代ワクチンの開発等、我が国発のワクチンを世界に向けて展開するため、実用化研究を推進する。また、HIV感染症の克服に向け、エイズ予防ワクチンや革新的な治療薬の創薬研究を推進する。この他、NTD(顧みられない熱帯病)等の開発途上国向け医薬品の開発を推進する。

15.4億円

#### ⑤糖尿病

#### ⑥脳心血管系疾患

合併症発症予防を推進するため、多くの生活習慣病の病態に共通して慢性炎症が関与している点に着目し、慢性炎症や線維化の制御に有効な革新的治療薬の開発するとともに、その効果指標となる分子イメージング技術等の新たなバイオマーカーの開発に取組み、臨床情報の集積を図ることにより創薬研究や治験を推進し、国内外の糖尿病・脳心血管系の疾患の診療技術を飛躍的に向上させる。

7.4億円

#### ⑦精神・神経疾患

発症前の認知症患者に対する根本的治療薬の開発および関連する研究、ならびにパーキンソン病や筋萎縮性側索硬化症(ALS)等の神経変性難病に対する成長因子治療等による画期的治療法の開発を目指した開発研究を推進する。また、うつ病等の気分障害の客観的診断法及び効果的治療法の開発のための臨床研究を推進する。

7億円  
(一部再掲)

#### ⑧小児疾患

小児の先天性疾患について、有効な診断・治療を行うことにより、障害の予防と予後の改善を図るために、遺伝子・細胞治療の基盤整備や母子感染の実態把握及び検査・治療の開発研究を推進する。

3億円





# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## 2. 重点領域の創薬研究開発等の推進

139億円

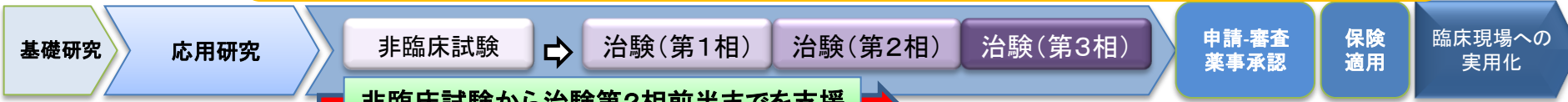
### ① がん

60.3億円

課題と目標:「治療法がない」、「薬があるのに適応外で使えない」\*ががん患者へ薬を早く届けるため、国内の非臨床試験・医師主導型臨床試験を強力に推進し、がん治療薬・診断薬を実用化する。

#### ※患者さんの声

- ・がん治療薬が日本でも外国でも開発されていない。
- ・外国では使える薬なのに日本では使えない。(いわゆる「ドラッグ・ラグ」)
- ・隣の胃がんの患者さんは使えるのに、膵がんの自分には使えない。(いわゆる「適応外薬」)



非臨床試験から治験第2相前半までを支援

#### 研究の事業内容(50億)

##### 【 研究対象とするがん 】

企業が開発を進めにくい希少がんや難治性がん等を対象とする。

(例:年間2000-2500人しか新規患者がいない小児がん、6年間新しい薬が承認されていない胆道がん、がんの中でもっとも死亡者数の多い肺がん、5年生存率の改善が見られない膵がんなど)

##### 【 研究内容 】

##### ①日本発のがん治療薬の非臨床試験・治験

- ・分子標的薬等を中心に効果が高く副作用の少ないがん治療薬を実用化する。
- ・治療薬の効果や副作用を予測するための検査薬の開発も同時に進める。



薬を投与する前に、あらかじめ薬の効く人を選別することで、薬の効かない人や副作用の強く出る人への投与を避けることが可能になる。

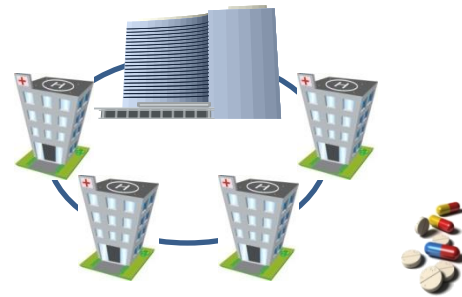
##### ②がん治療薬の適応拡大のための治験

(例:胃がんで承認されている薬を、膵がんにも承認するため効果を確認する)

##### ③早期治療を可能とするがん診断薬等の非臨床試験・治験

#### 研究事業の実施体制

日本における治験・臨床研究体制の整備を進めている早期・探索的臨床試験拠点整備事業、臨床研究中核病院整備事業等と連携し、非臨床試験や医師主導治験を実施する。



#### 血液がん等に対する造血幹細胞移植の最適化の推進 (5.3億)

- 患者の疾病の種類やステージに最適化された早期治療の実践
- 血液がんを含む血液難病に対する有効な3つの治療法(骨髄、末梢血幹細胞、臍帯血)を実践する拠点病院を整備



- 治療成績の向上
- 造血幹細胞移植に関する研究促進基盤の整備

#### 開発・審査体制の充実(5億)

- がん治療薬について審査員と研究員が一体となった実用化推進及びガイドラインを整備する。



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## ② 難病・希少疾病

29億円

難病・希少疾病の革新的診断・治療法開発のため、以下の研究を総合的・戦略的に推進し、治療法を臨床現場に届ける。

- ① 創薬関連研究：医薬品・医療機器開発のための臨床研究・医師主導治験等
- ② 再生医療技術を用いた研究：患者由来のiPS細胞を用いた希少疾患・難病の原因解析や創薬等に係る研究等
- ③ 個別化医療：重篤な疾患の患者の全遺伝子の解析を進め、原因究明や新たな治療法の開発に繋げる研究
- ④ 希少疾病用医薬品等の開発支援：きわめて患者数の少ない疾病の医薬品や医療機器を開発する企業等に対する助成の強化

### 神経難病のALSに対する 周期的な治療薬を完成させる

ALS(筋萎縮性側索硬化症：患者数8,500人)に対する、肝細胞増殖因子(HGF)による治療法

- 治験を実施
- ・第I相臨床試験
  - ・非臨床試験
  - ・原薬・治験薬製造/プロトコル作成

### 神経難病に対する新規治療薬の開発と実用化

多発性硬化症に対する国産治療薬の医師主導治験を行い、安全な経口薬を開発する。  
日本発のオーファン薬として実用化する。

### 難治性呼吸器疾患に対する治療薬に関する 医師主導治験

難治性呼吸器疾患であるリンパ脈管筋腫症に対する、治療薬シロリムスの長期投与の安全性に関する医師主導治験を推進する。

### ロボットスーツによる神経・筋難病患者の リハビリと治療法の確立

筋萎縮と筋力低下が進行する「様々な神経・筋難病患者」に対し、装着型ロボットにより病気の進行を抑制し、回復も期待できるようにする。3年後には疾患用医療機器として薬事承認を取得し、実用化実現を目指す。



難病に対する医療機器



### 失明難病に対する読書が可能な 人工視覚システムの実用化

治療法が無く、失明に至る難病である「網膜色素変性」に対し、人工視覚の開発を進める。2014年度には臨床試験を行う。治験を経て、5年後には読書が可能になる治療として確立する。

文字の認識  
7×7=49 Pixel

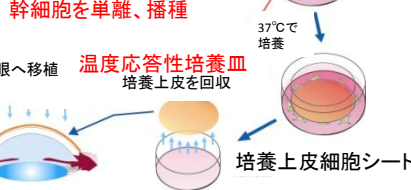


体外システム



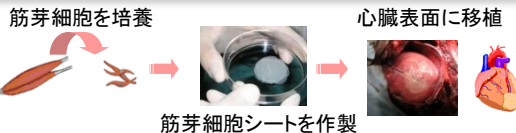
### 失明難病に対する角膜再生治療

難治性角膜疾患に対して、幹細胞を角膜細胞へ分化・誘導させる。さらにシート状に培養し、角膜移植により完治させる再生治療を確立する。



### 成人および小児重症心不全に対する自己骨格筋芽 細胞シート移植による治療法の開発

重症心不全に対する根治的な再生治療法、自己骨格筋芽細胞シート等を移植する根治的な再生細胞治療法を確立する。

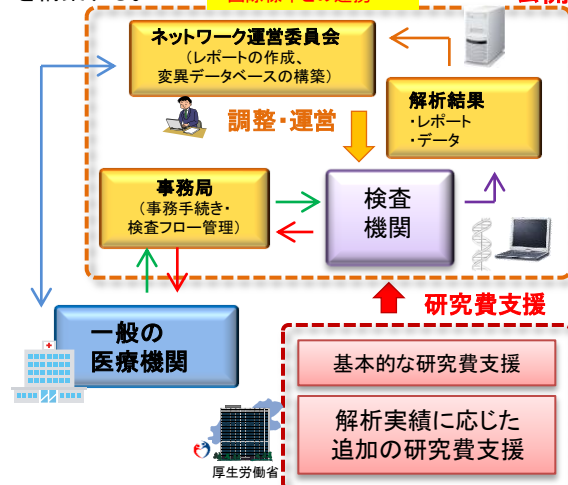


### 疾患特異的iPS細胞を用いた 難病創薬スクリーニング系の開発

文部科学省、厚生労働省が協働して、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進する。

### 難病・希少疾病に対する 遺伝子診断システムの構築

難病・希少疾病について適切な遺伝子検査提供体制を構築する。



### 希少疾病用医薬品等の開発支援

- ・臨床前段階の品質に係る試験や非臨床試験
- ・製造販売承認申請後、承認されるまでの間に実施される患者に供給を前提に行われる継続試験や品質に係る安全性試験 等を支援する。



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

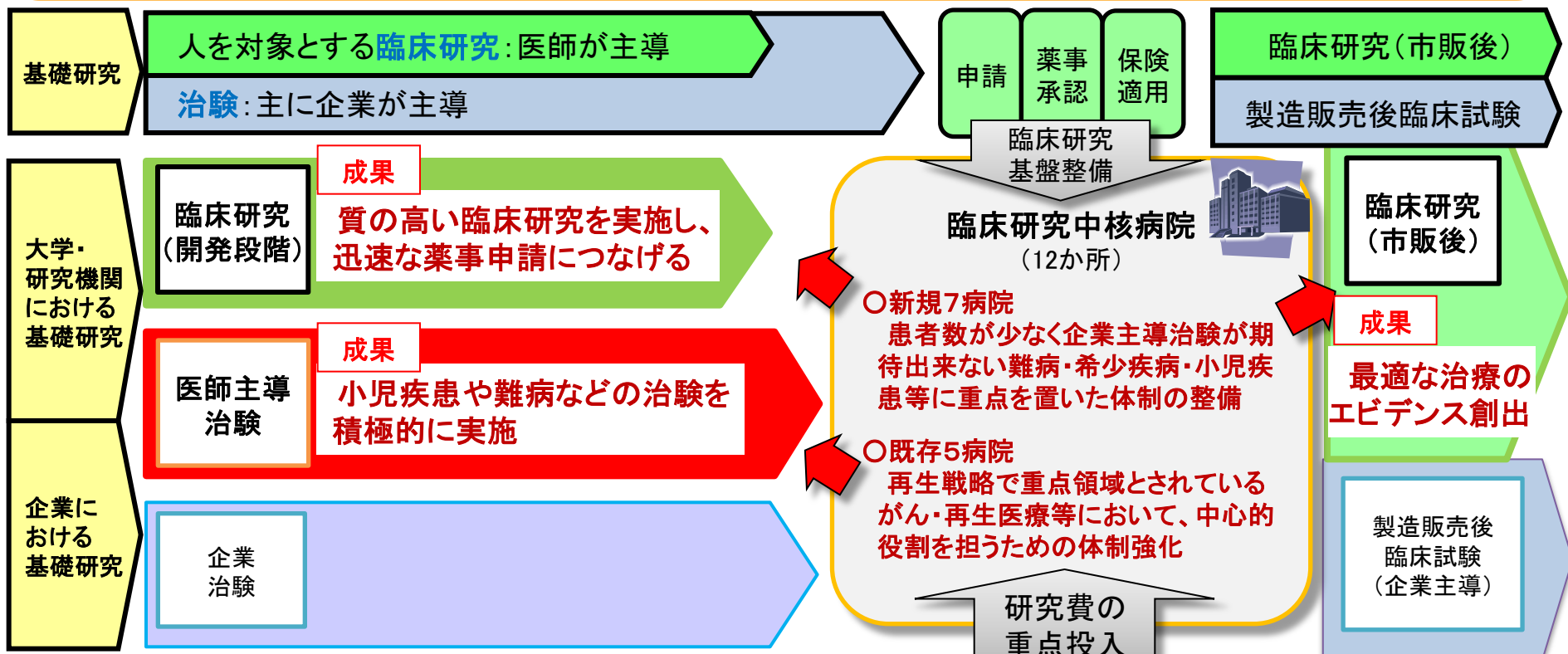
## 3. 臨床研究・治験環境の整備

104億円

### 1) 臨床研究中核病院の整備

61億円

- 臨床研究の質を向上させるため、国際水準(ICH-GCP準拠)の臨床研究や医師主導治験の中心的役割を担う臨床研究中核病院を平成24年度から5か所、平成25年度からは更に7か所整備するとともに、国際水準の臨床研究や医師主導治験等の実施を支援。  
※ 日本再生戦略において、臨床研究中核病院を平成23年度から3年間で15か所程度創設することを明記。
- 平成25年度から新たに7病院を選定し、患者数が少なく企業主導治験が期待出来ない【難病・希少疾病・小児疾患等】の医師主導治験の実施とネットワーク構築に重点を置いた体制を整備。また、平成24年度より臨床研究全般の体制整備を開始した既存5病院について、平成25年度は、日本再生戦略で重点領域とされる【がん】【再生医療】などに係る体制を強化。



整備費: 54億円(既存強化: 18億円 新規整備: 36億円) / 研究費: 7億円





# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## 3. 臨床研究・治験環境の整備

104億円

### 2) 橋渡し研究等の推進

43億円

#### <国立高度専門医療研究センターにおける橋渡し研究等推進事業>

国立高度専門医療研究センター（NC）の機能を活用し、産官学が密接に連携できるよう、実験機器、専門性の高い人材等の整備・確保を行い、企業や海外の研究者の受け入れ等を行うことにより共同研究等を推進し、企業や大学等研究機関との連携を進める。併せて研究所と病院の連携による橋渡し研究を推進する。

#### <取組みの三本柱>

- ① 企業・大学等との連携
- ② 海外の研究者・研究機関等との連携
- ③ 研究所と病院の連携

#### <期待される成果>

- 企業・大学等と連携することにより、臨床と研究の橋渡しができる環境を活かして、より早い新薬、新医療機器、新医療技術の開発が可能となる。
- 東アジア等の研究者の受け入れや研修の実施や、共同臨床研究を支援し、東アジア等で多い疾患や共通する課題に海外機関等と連携して対応する。
- 研究所と病院の連携により、革新的な医薬品・医療機器の開発、最先端の治療法の実用化を推進する。



#### ① 企業・大学等との連携

産官学の密接な連携のもと、外科系手術関連機器・手術手技の開発など新たな医療機器、医薬品、医療技術を開発し、患者に迅速に提供できるよう、企業や大学等研究機関との共同研究等を推進する。



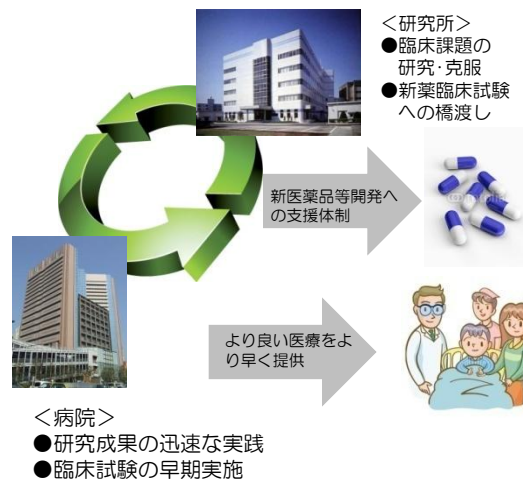
#### ② 海外の研究者・研究機関等との連携

東アジア等で多い疾患や共通する課題である急速な高齢社会に共同して対応していくため、東アジア等の研究者及び医療従事者に対する研修の実施や、共同臨床研究の支援等を推進する。



#### ③ 研究所と病院の連携

研究所と病院の橋渡し研究を基盤として、治療が困難とされている疾患などへの革新的な医薬品・医療機器や先端の治療法の開発を推進する。





# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## 4. 審査の合理化・迅速化・質の向上と安全対策の強化

57億円

- 革新的医薬品・医療機器・再生医療製品の創出のため、
  - ・開発に見通しを与え迅速な実用化を促進するための薬事戦略相談の拡充、開発評価のためのガイドライン作成等を推進する
  - ・中小・ベンチャー企業等に対する相談・承認申請手数料を軽減する。
  - ・医療機器・再生医療製品の特性を踏まえて薬事法等制度改正を行うとともに、諸外国との連携強化を図る。
- 市販後安全対策の強化を図るため、医療情報の安全対策への利活用を推進する。
- 審査の迅速化、市販後安全対策を強化するため、医薬品医療機器総合機構(PMDA)の体制を強化。

### 実用化に向けてのイノベーションの促進が必要 ⇒ 審査基準の明確化 36億円

- 薬事戦略相談の拡充、出張形式の導入
- 医療上必要性の高い未承認薬・適応外薬のアクセス拡充

○開発評価するためのガイドライン整備

|            |                  |          |
|------------|------------------|----------|
| がん<br>(再掲) | 再生<br>医療<br>(再掲) | 医療<br>機器 |
|------------|------------------|----------|

○審査ガイドライン等の最適化、国際標準化に係る研究

中小・ベンチャー企業  
の実用化支援 3億円

- 中小・ベンチャー企業等に対する相談・承認申請手数料の軽減

グローバル化への  
対応 4億円

- 医薬品・医療機器のグローバル対応の充実
- 品質確保対策の推進

実用化を加速するためのPMDAの体制強化

### 医療機器・再生医療製品の特性を踏まえた制度が必要 4億円

⇒ 制度改正による審査の迅速化・高度化

- 後発医療機器の登録認証機関を活用した認証制度の拡大に必要な基準作成
- 登録認証機関による審査の迅速化に資する承認前例データベースの整備

高度化する技術の不確実性を軽減  
⇒ 安全対策の強化と技術開発へのフィードバック 10億円

- 1000万人規模の医療情報データベースの構築及び活用方法の高度化
- がん・生活習慣病等医薬品長期副作用情報の収集・評価

○再生医療製品患者登録システムの構築(再掲)

世界最高水準の医薬品・医療機器を国民へ迅速に提供



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## 5. イノベーションの適切な評価

1億円

### 医療技術の費用対効果評価のためのデータベース整備

1億円

#### 【課題】

- 医療保険制度においては、従来、安全性・有効性を中心に評価を行ってきたが、費用対効果については具体的な判断基準を設けずに、保険収載や保険償還価格を決定してきたため、イノベーションを適切に評価するためにも、今後、**費用対効果も評価し、効果に見合った保険償還を行う仕組み**が必要である。

「革新的医薬品・医療機器の開発のためのインセンティブを高めるため、保険適用の評価に際し、適切にイノベーションを評価する」

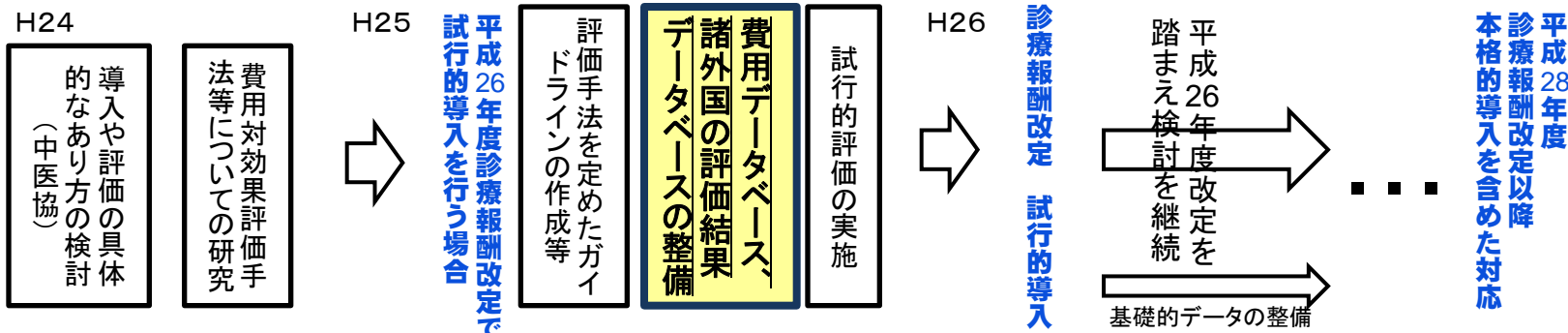
(平成24年6月6日 医療イノベーション5か年戦略)

「保険償還価格の設定における医療経済的な観点踏まえたイノベーションの評価等のさらなる検討を行う」

(平成24年2月17日閣議決定 税と社会保障一体改革大綱)



- **医療技術(医薬品、医療機器及び医療者等の技術(手術、検査等))の費用対効果評価について、中央社会保険医療協議会での検討を開始。**



#### 【事業内容】

- 個別の医療技術の費用対効果を評価する際に必要となる、疾患毎の医療費を計算し、費用データを算出するためのデータベースの整備を行う。
- 海外における費用対効果評価事例を収集したデータベース整備を行う。



- 現在行われている費用対効果の評価に関する検討に資する
- 作業が効率化され、多数の技術を少ない費用で評価可能となる。



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## II 世界最先端の医療実現

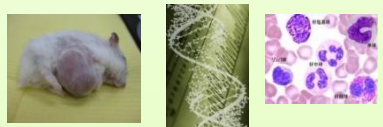
### 6. 再生医療の推進

36. 8億円

- 再生医療の実用化に向け、①臨床研究の効率化を促す臨床研究情報ネットワーク基盤構築、②長期的にヒト幹細胞を保存する体制による臨床研究体制の支援、③安全性確保や治療技術開発に係る直接的研究支援を行う。また、iPS細胞等を用いた創薬研究支援を行う。
- さらに、再生医療製品の実用化を推進するため、PMDAの審査官と研究者が一体となり、最先端の技術の有効性と安全性を評価するためのガイドラインの整備をするともに、市販後安全対策への対応として、患者の登録システムを構築する。

#### 1) 臨床研究の基盤整備及び個別研究の支援 研究費33億円 (※: 難病研究)

**③ヒト幹細胞の安全性確保に関する研究支援**  
 実用化の課題となっている分野に対する研究を支援し早期の安全性確保を図る。

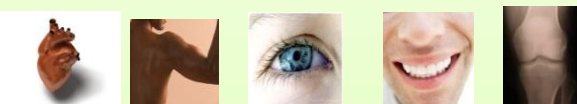


造腫瘍性、遺伝子変化、免疫応答



体内動態把握

**③再生医療の個別治療法開発研究支援**  
 実用化に近い臨床研究及び難病治療を目的とした治療技術開発に対して支援を行う。



「心筋※」、「皮膚」、「角膜※」、「歯・口腔」、「軟骨」

#### 基盤的支援

**①ヒト幹細胞を用いた再生医療の臨床実用化のための研究情報基盤構築に関する研究**  
 再生医療に関する研究開発情報のリアルタイムでの共有によって継続的な研究開発を可能とする。



**②ヒト幹細胞 保管(アーカイブ)の構築に関する研究**  
 移植に用いたヒト幹細胞を長期間保管し、研究開発の支援を行うことで再生医療研究の推進を図る。



保存用タンク

#### 2) iPS細胞等を用いた創薬等研究の支援 研究費1億円 (※: 難病研究)

ヒトiPS細胞から種々のヒト細胞に分化・誘導を行い病因分析、創薬等に用いる細胞を開発。



#### 3) 安全性等評価法策定支援及び患者の登録システム構築 事業費2. 8億円

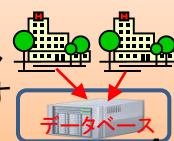
##### 再生医療製品の安全性等評価法策定支援事業

再生医療製品の実用化を推進するため、PMDAの審査官と研究者が一体となり、最先端の技術の有効性と安全性を評価するためのガイドラインの整備をする。



##### 再生医療製品患者登録システム整備事業

再生医療製品の有効性、安全性確保のため、患者の登録システムを構築し、市販後のフォローアップを行う環境を整備する。







# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## 7. 個別化医療(個々人に適応した医療)の推進

32億円

個別化医療とは

患者一人ひとりの体質や病態にあった有効かつ副作用の少ない治療法(オーダーメイド医療)や予防法(個別化予防)のこと

<期待される成果>

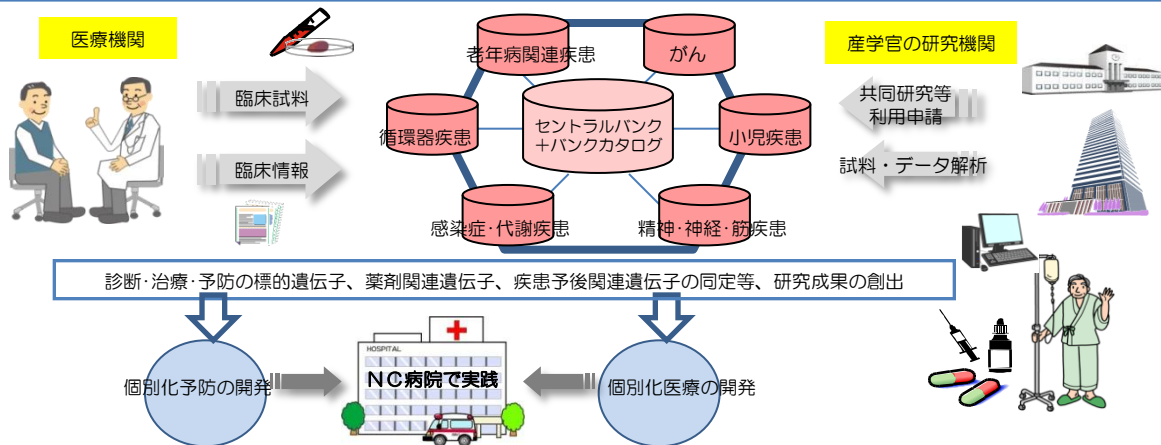
- 先端技術をより安全かつ有効に患者へ提供することができる。
- 医療の質の向上や無駄の削減につながる。
- 医療の国際化が進むことで海外からの需要も期待できる。

## 1) 個別化医療推進のためのインフラ整備及び研究の推進 <患者ゲノムコホート研究推進事業(バイオバンク事業)>

27億円

○ 6箇所の国立高度専門医療研究センター(NC)は、受診患者の血液や組織(病変部位等)などの臨床試料と電子カルテから抽出した精度の高い臨床情報を収集し、データベース(バイオバンク)として整備する。

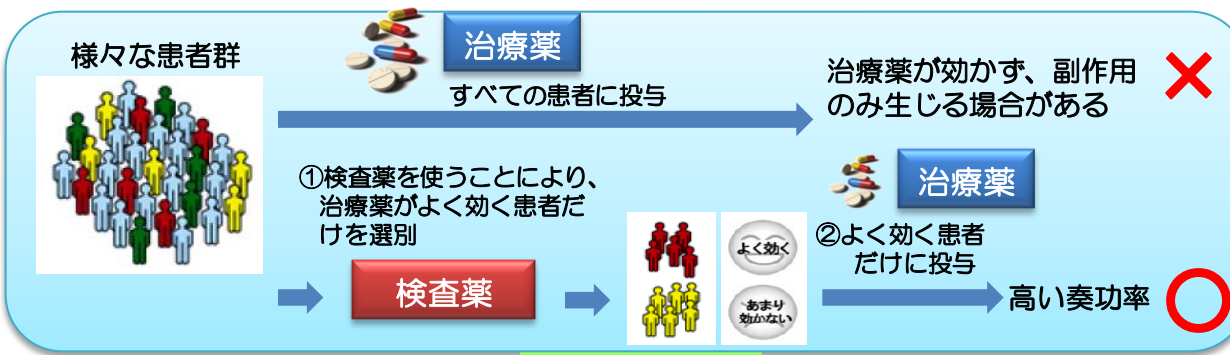
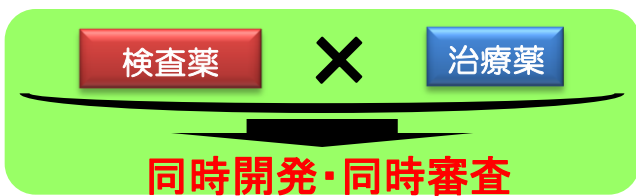
○ バイオバンクの試料・情報は各NCの専門家によって解析されるだけでなく、一定のルールの下で産学官の他施設の研究者にも共同研究等により提供し、医療イノベーションが目標とするナショナルレベルのバイオバンクに貢献する。



## 2) 個別化医療に資する医薬品開発の推進

研究費: 5億円

○ 治療薬の効果や副作用を予測し、治療薬の投与が適切な患者の選定を目的とした検査薬の開発を推進する。特に新薬については、**当該検査薬との同時開発・同時審査を推進**する。



個別化医療の実現

# 参考資料

## I - 2. 重点領域の創薬研究開発等の推進

### 【8つの重点領域】

- ①がん (再掲)
- ②難病・希少疾病 (再掲)
- ③肝炎
- ④感染症
- ⑤糖尿病
- ⑥脳心血管系
- ⑦精神・神経疾患
- ⑧小児疾患



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## 2. 重点領域の創薬研究開発等の推進

139億円

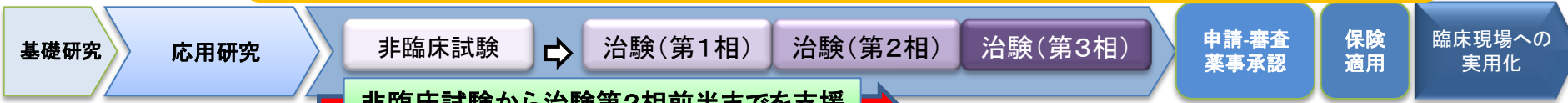
### ① がん

60.3億円

課題と目標:「治療法がない」、「薬があるのに適応外で使えない」\*がんと患者へ薬を早く届けるため、国内の非臨床試験・医師主導型臨床試験を強力に推進し、がん治療薬・診断薬を実用化する。

#### ※患者さんの声

- ・がん治療薬が日本でも外国でも開発されていない。
- ・外国では使える薬なのに日本では使えない。(いわゆる「ドラッグ・ラグ」)
- ・隣の胃がんの患者さんは使えるのに、膵がんの自分には使えない。(いわゆる「適応外薬」)



非臨床試験から治験第2相前半までを支援

#### 研究の事業内容(50億)

##### 【 研究対象とするがん 】

企業が開発を進めにくい希少がんや難治性がん等を対象とする。

(例: 年間2000-2500人しか新規患者がいない小児がん、6年間新しい薬が承認されていない胆道がん、がんの中でもっとも死亡者数の多い肺がん、5年生存率の改善が見られない膵がんなど)

##### 【 研究内容 】

##### ①日本発のがん治療薬の非臨床試験・治験

- ・分子標的薬等を中心に効果が高く副作用の少ないがん治療薬を実用化する。
- ・治療薬の効果や副作用を予測するための検査薬の開発も同時に進める。



薬を投与する前に、あらかじめ薬の効く人を選別することで、薬の効かない人や副作用の強く出る人への投与を避けることが可能になる。

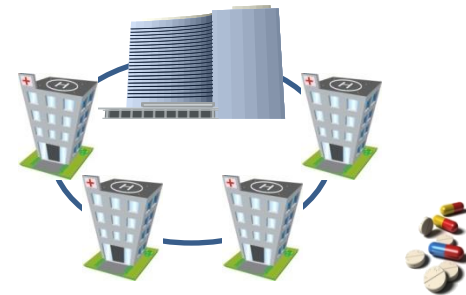
##### ②がん治療薬の適応拡大のための治験

(例: 胃がんで承認されている薬を、膵がんにも承認するため効果を確認する)

##### ③早期治療を可能とするがん診断薬等の非臨床試験・治験

#### 研究事業の実施体制

日本における治験・臨床研究体制の整備を進めている早期・探索的臨床試験拠点整備事業、臨床研究中核病院整備事業等と連携し、非臨床試験や医師主導治験を実施する。



#### 血液がん等に対する造血幹細胞移植の最適化の推進 (5.3億)

- 患者の疾病の種類やステージに最適化された早期治療の実践
- 血液がんを含む血液難病に対する有効な3つの治療法(骨髄、末梢血幹細胞、臍帯血)を実践する拠点病院を整備



- 治療成績の向上
- 造血幹細胞移植に関する研究促進基盤の整備

#### 開発・審査体制の充実(5億)

- がん治療薬について審査員と研究員が一体となった実用化推進及びガイドラインを整備する。



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## ② 難病・希少疾病

29億円

難病・希少疾病の革新的診断・治療法開発のため、以下の研究を総合的・戦略的に推進し、治療法を臨床現場に届ける。

- ① 創薬関連研究：医薬品・医療機器開発のための臨床研究・医師主導治験等
- ② 再生医療技術を用いた研究：患者由来のiPS細胞を用いた希少疾患・難病の原因解析や創薬等に係る研究等
- ③ 個別化医療：重篤な疾患の患者の全遺伝子の解析を進め、原因究明や新たな治療法の開発に繋げる研究
- ④ 希少疾病用医薬品等の開発支援：きわめて患者数の少ない疾病の医薬品や医療機器を開発する企業等に対する助成の強化

### 神経難病のALSに対する 周期的な治療薬を完成させる

ALS(筋萎縮性側索硬化症：患者数8,500人)に対する、肝細胞増殖因子(HGF)による治療法

- 治験を実施
  - ・第I相臨床試験
  - ・非臨床試験
  - ・原薬・治験薬製造/プロトコル作成

### 神経難病に対する新規治療薬の開発と実用化

多発性硬化症に対する国産治療薬の医師主導治験を行い、安全な経口薬を開発する。  
日本発のオーファン薬として実用化する。

### 難治性呼吸器疾患に対する治療薬に関する 医師主導治験

難治性呼吸器疾患であるリンパ脈管筋腫症に対する、治療薬シロリムスの長期投与の安全性に関する医師主導治験を推進する。

### ロボットスーツによる神経・筋難病患者の リハビリと治療法の確立

筋萎縮と筋力低下が進行する「様々な神経・筋難病患者」に対し、装着型ロボットにより病気の進行を抑制し、回復も期待できるようにする。3年後には疾患用医療機器として薬事承認を取得し、実用化実現を目指す。



難病に対する医療機器



### 失明難病に対する読書が可能な 人工視覚システムの実用化

治療法が無く、失明に至る難病である「網膜色素変性」に対し、人工視覚の開発を進める。2014年度には臨床試験を行う。治験を経て、5年後には読書が可能になる治療として確立する。

文字の認識  
7×7=49 Pixel

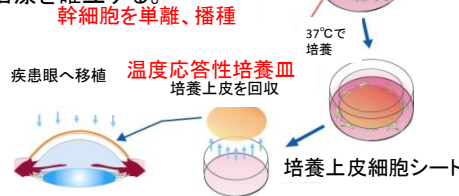


体外システム



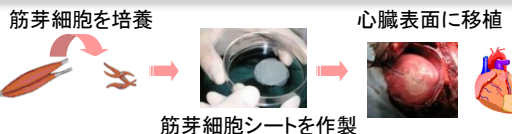
### 失明難病に対する角膜再生治療

難治性角膜疾患に対して、幹細胞を角膜細胞へ分化・誘導させる。さらにシート状に培養し、角膜移植により完治させる再生治療を確立する。



### 成人および小児重症心不全に対する自己骨格筋芽 細胞シート移植による治療法の開発

重症心不全に対する根治的な再生治療法、自己骨格筋芽細胞シート等を移植する根治的な再生細胞治療法を確立する。

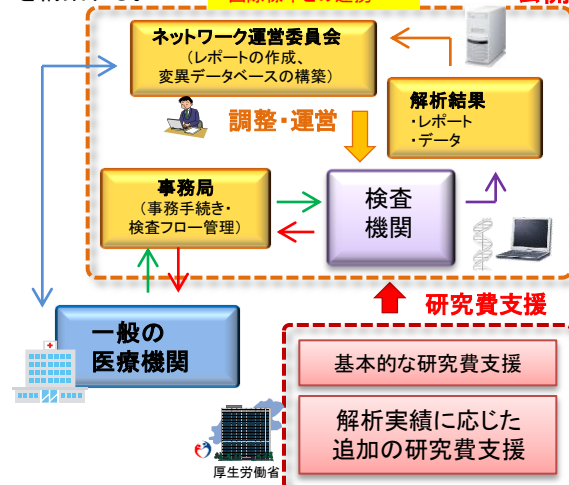


### 疾患特異的iPS細胞を用いた 難病創薬スクリーニング系の開発

文部科学省、厚生労働省が協働して、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進する。

### 難病・希少疾病に対する 遺伝子診断システムの構築

難病・希少疾病について適切な遺伝子検査提供体制を構築する。



### 希少疾病用医薬品等の開発支援

- ・臨床前段階の品質に係る試験や非臨床試験
- ・製造販売承認申請後、承認されるまでの間に実施される患者に供給を前提に行われる継続試験や品質に係る安全性試験 等を支援する。





# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## ③ 肝炎

32億円

### 背景

**B型肝炎患者**は原則一生薬剤を内服する必要があるが、**薬剤耐性**が出現する可能性があることから、新薬の開発は急務である。また、**肝硬変患者**は、ウイルス排除療法を受けられないことも多く、肝移植も十分には普及していないことなどから、**肝機能の改善につながる治療法等の開発**が求められている。さらに、我が国の肝炎研究の中核施設に世界最高レベルの研究を行うことができる基盤整備等を行い、日本の肝炎研究全体の底上げを計ることが必要である。

### B型肝炎に対する新規治療薬の開発

#### 【研究内容】

理化学研究所が有する「京」コンピュータを用いた10億化合物 in silicoスクリーニング、SPring-8(放射光施設)、SACLA(X線自由電子レーザー施設)を用いた構造解析等を駆使して**次世代HBV薬候補化合物を8つ以上同定**し、創薬支援ネットワークを活用しながら、臨床試験・実用化を目指す研究等を推進する。

#### 【期待される成果】

日本発のB型肝炎ウイルス抑制薬の開発。  
B型肝炎患者の治療成績・予後の改善。



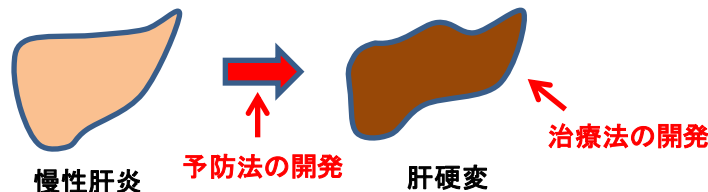
### 肝硬変に対する新規治療法の開発

#### 【研究内容】

**肝硬変患者に対する抗線維化療法の実用化**を目指した臨床研究や、**肝機能を回復あるいは肝硬変の進行を抑制することのできる新規治療法**の開発を目指した基盤研究等を強力に推進する。

#### 【期待される成果】

ウイルス排除療法や肝移植を受けることのできない肝硬変患者の予後の改善。



### 日本に、高度かつ先進的な臨床研究を行うことのできる体制を整備

#### 【内容】

我が国の肝炎研究の中核施設である国立国際医療研究センター（肝炎・免疫研究センター）を統括組織として、全国から患者の情報を収集解析し、追跡を可能とするシステムを確立するとともに、世界トップレベルの研究を行うことのできる**研究基盤体制を整備**する。

#### 【期待される成果】

肝炎患者の治療成績の向上。  
日本全体の研究レベルの底上げと競争力の強化。





# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## ④ 感染症 1

8.4億円

新興・再興感染症等に対する次世代ワクチン(新たな混合ワクチン、万能ワクチン、遺伝子組換えワクチン等)の開発を推進する他、世界初のエイズ予防ワクチンや革新的HIV治療薬及び合併症の治療薬の創薬研究を推進する。また、開発ワクチンの国内外への普及・展開を促進するための実用化研究を推進する。

### ◇次世代ワクチンの開発・実用化



#### ○混合ワクチン

現在、定期と任意の予防接種全てを単独接種で行うと、小学校入学までに約30回の接種回数が必要となり、子供と保護者に大きな負担を強いる状況となっている。そのため、複数の感染症に対する抗原を含むワクチンを開発することにより、接種による負担の軽減、接種率の向上等を図る。

#### ○万能ワクチン

多様な抗原に対応可能なワクチンの開発により、新型インフルエンザなどのパンデミック時において、国民への迅速な免疫防御効果が期待される。

#### ○遺伝子組換えワクチン

遺伝子組換え技術により酵母や昆虫細胞でvirus like particleを生成させる等して、高い免疫効果に加え、体内でウイルスを増殖させない安全性の期待出来るワクチンを開発する。

### ◇エイズ予防ワクチン・HIV治療薬の開発



世界のHIV感染者数(UNAIDS推計)

世界的なHIV感染の蔓延、HIV感染者数の増加

#### HIV感染症の克服に向けた取り組み

- 予 防** → 国際協力を通じて、日本から世界初となる **エイズ予防ワクチンの開発** を推進
- 治 療** → 革新的な **HIV治療薬や合併症治療薬の創薬研究** を推進



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

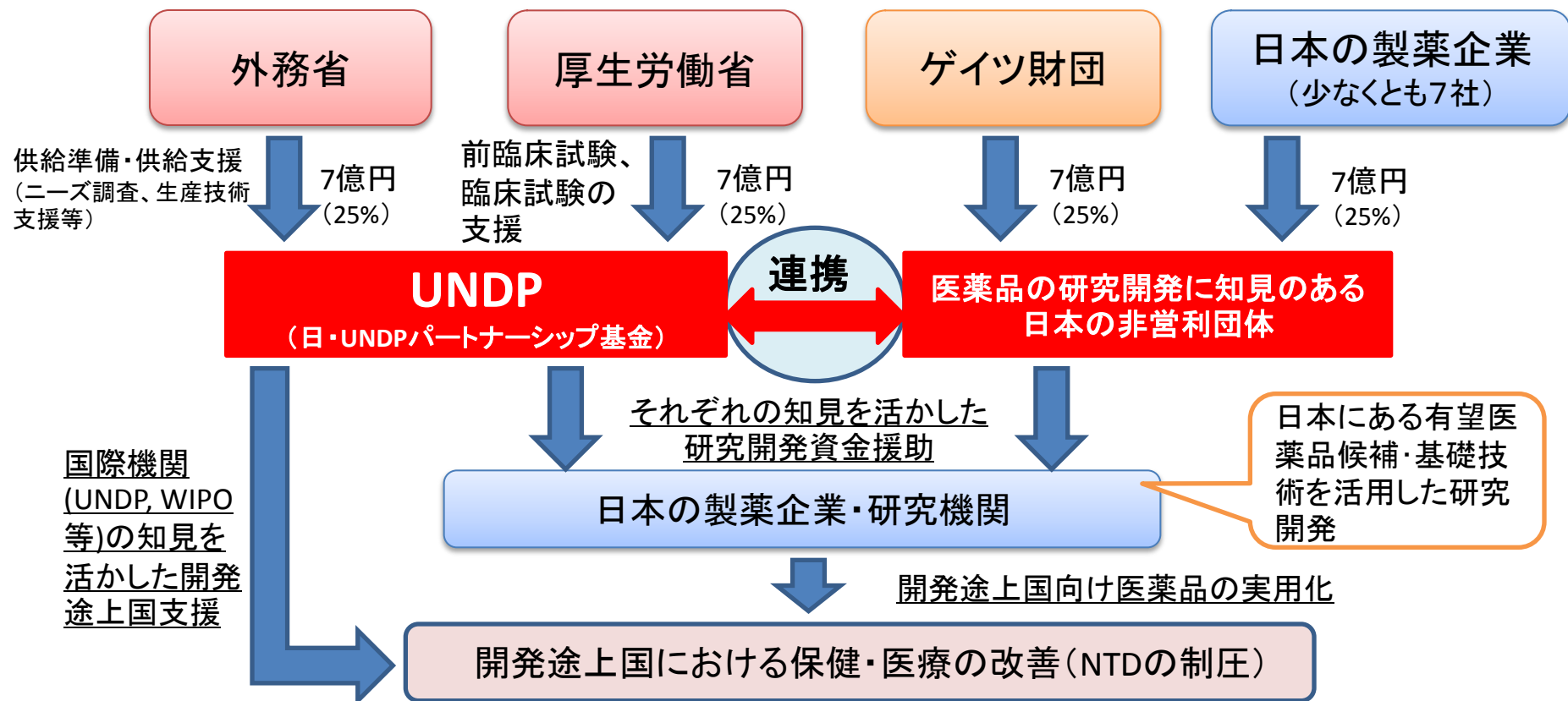
## ④ 感染症 2

7億円

顧みられない熱帯病(NTD)※や結核、マラリア等の開発途上国を中心に蔓延する疾病の治療薬の研究開発は、先進国において需要が少ない等の理由から充分になされておらず、ミレニアム開発目標(MDGs)にも、製薬会社と協力して、開発途上国において人々が安価で必要不可欠な医薬品を入手できるようにすることが掲げられている。

日本の製薬産業の優れた研究開発力を活かして、そうした開発途上国向けの医薬品研究開発と供給支援を、ゲイツ財団も含む官民連携で促進することにより、国際保健分野での貢献を行うとともに、日本の製薬産業の海外進出を下支えすることによって日本の製薬産業の成長・発展を図る。

※ 顧みられない熱帯病(NTD, Neglected Tropical Diseases)の例:リーシュマニア症、シャーガス病、住血吸虫症 など





# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

⑤糖尿病、⑥脳心血管系疾患

7.4億円

合併症発症予防を推進するため、多くの生活習慣病の病態に共通して慢性炎症が関与している点に着目し、慢性炎症や線維化の制御に有効な革新的治療薬の開発するとともに、その効果指標となる分子イメージング技術等の新たなバイオマーカーの開発に取り組み、臨床情報の集積を図ることにより創薬研究や治験を推進し、国内外の糖尿病・脳心血管系の疾患の診療技術を飛躍的に向上させる。



## 生活習慣病の合併症発症を予防



### ①生活習慣病の新規治療薬の開発

(要望額：3億円)

#### ○慢性炎症の制御に着目した治療薬の開発

動脈硬化の進展阻止や、線維化した組織の機能再生をターゲットとする革新的治療薬の開発

#### ○新たなバイオマーカーの開発

動脈硬化の進行状況を可視化する分子イメージング等による治療薬の効果指標及び合併症リスク診断技術の開発

### ②新規治療薬の臨床応用に向けた基盤整備

(要望額：4.4億円)

#### ○診療データベースの構築と治験の推進

糖尿病等を有する患者の血糖管理状況、合併症の発生状況等の臨床情報を集積する機能を持ち、治験等を推進可能な拠点病院の整備

field







# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## ⑦ 精神・神経疾患 1

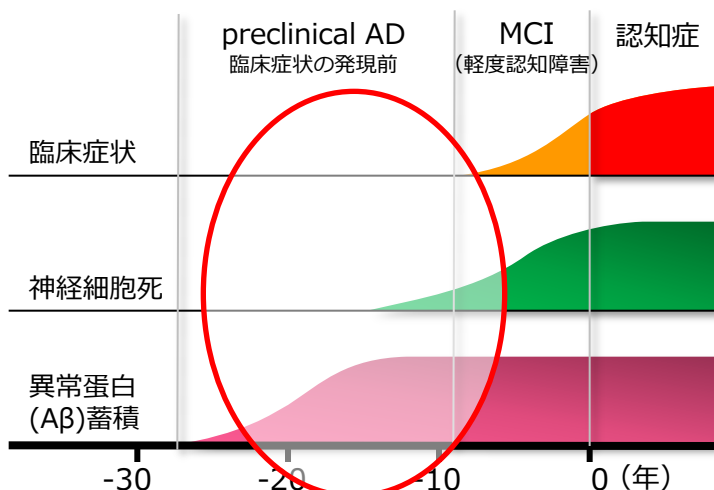
2億円

**発症前の認知症患者に対する根本的治療薬の開発および関連する研究**、ならびにパーキンソン病や筋萎縮性側索硬化症(ALS)等の神経変性難病に対する成長因子治療等による画期的治療法の開発を目指した開発研究を推進する。また、うつ病等の気分障害の客観的診断法及び効果的治療法の開発のための臨床研究を推進する。

グローバルに展開されてきた**アルツハイマー病** (AD) 根本的治療薬の開発は、近年相次いで困難に直面している。その原因として、ADが進行して認知症症状が顕在化してからの介入では、タイミングが遅すぎるものが指摘されている。

→ 症状顕在化前の超早期からの介入治療に向け、オールジャパン（大規模多施設共同臨床研究）の体制で ① 病理学的に発症しているが症状のない時期のアルツハイマー病（preclinical AD）において治療効果判定が可能な**代理指標**を開発し、② 根本的治療薬による**介入試験**（臨床試験）を成功に導く。

ADの進行過程：症状発現のはるか前から、異常蛋白が蓄積し、神経細胞死が始まっている



この時期における治療を目指す！

### 研究の流れ

認知機能障害のない高齢者から、150人以上のpreclinical ADを同定・登録する（5倍＝約750人の無症状高齢者をアミロイドPET等によりスクリーニングする）

全国30以上の研究施設により、MRI・PET・バイオマーカー等を縦断的に追跡検査（2億×3年以上）

① 臨床症状のない時期（preclinical AD）に治療効果を判定できる**代理指標**を開発

加速のため、成果を公開

② preclinical AD、早期MCIに対する**介入試験**（臨床試験）へ

根本的治療薬 候補薬開発

厚労科研・企業等

アルツハイマー病根本的治療薬の実用化  
→認知症患者の増加による社会・福祉資源への負荷に歯止め



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

⑦ 精神・神経疾患 2

4億円(②難病・希少疾病の内数)

発症前の認知症患者に対する根本的治療薬の開発および関連する研究、ならびにパーキンソン病や筋萎縮性側索硬化症(ALS)等の神経変性難病に対する成長因子治療等による画期的治療法の開発を目指した開発研究を推進する。また、うつ病等の気分障害の客観的診断法及び効果的治療法の開発のための臨床研究を推進する。

## 神経難病のALSに対する画期的な治療薬を完成させる

ALS(筋萎縮性側索硬化症:患者数8,500人)

- 運動神経細胞が次第に消失し、筋肉を動かすことが出来ず、全身の筋肉が失われる原因不明の疾患。
- 手足の麻痺や呼吸困難などの症状が慢性に進行するが、現在のところ、根本的な治療は未確立。

肝細胞増殖因子(HGF)による治療法

- 治験を実施
  - ・第I相臨床試験
  - ・非臨床試験
  - ・原薬・治験薬製造/プロトコル作成

5年後の臨床使用を目指す

・長期投与の安全性データ + 治験薬



【作用】

- ・神経細胞保護効果
- ・軸索形成効果等

HGF

HGF受容体

脊髄

髄腔

ALS患者での有効性確認(POC)

HGFの髄腔内投与

- ・非臨床試験/原薬規格・分析試験
- ・原薬・治験薬製造
- ・プロトコル作成

第I相試験

- ・髄腔内投与の安全性確認
- ・薬物動態データの取得

第II相試験(H26-)

5年後に臨床現場へ

H25年度



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

## ⑦ 精神・神経疾患 3

1億円

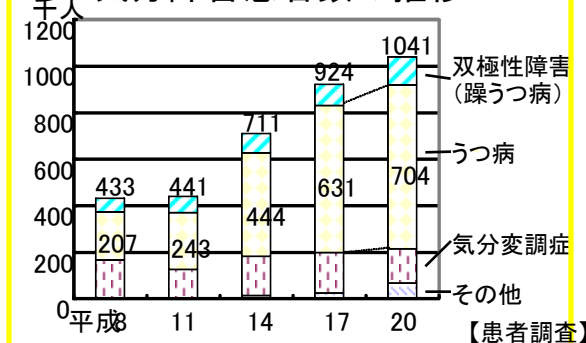
発症前の認知症患者に対する根本的治療薬の開発および関連する研究、ならびにパーキンソン病や筋萎縮性側索硬化症(ALS)等の神経変性難病に対する成長因子治療等による画期的治療法の開発を目指した開発研究を推進する。また、うつ病等の気分障害の客観的診断法及び効果的治療法の開発のための臨床研究を推進する。

### うつ病等の気分障害に関する客観的な診断法及び効果的な治療法を開発・実用化する

#### 現状と課題

- 近年、うつ病を含む気分障害の患者は急増し、平成20年患者調査では100万人を超えている
- 気分障害については、客観的な診断指標が乏しく、効果的な治療法はいまだ確立されていない
- ※ 平成14-18年に行われた疫学調査からの推計では、生涯で何らかの精神疾患にかかる割合は4人に1人(うち、気分障害は15人に1人)

#### 気分障害患者数の推移



#### 研究手法

##### 脳機能画像を用いた診断法の例

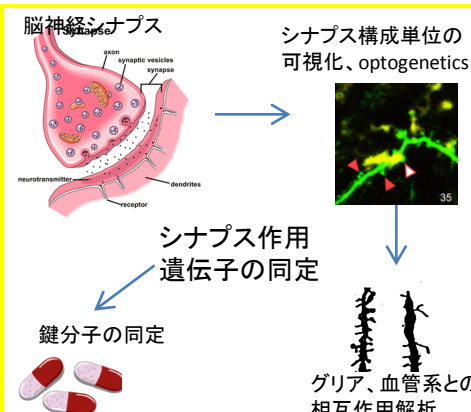
|       | NIRS波形 | 賦活反応性      |
|-------|--------|------------|
| 健常者   |        | 明瞭(賦活に応じて) |
| うつ病   |        | 減衰(初期以降)   |
| 双極性障害 |        | 遅延(大きさは保存) |
| 統合失調症 |        | 非効率(タイミング) |

脳機能画像等を用いた客観的な診断法の開発

病態メカニズムに応じた効果的な治療法の開発

開発後の診断・治療法を加味した診療ガイドライン作成に向けた臨床試験

##### 脳神経細胞に着目した開発のイメージ



※ 客観的な指標による鑑別診断を可能とする

※ 病態メカニズムを考慮した治療法の開発

客観的かつ効果的な診断・治療法の実用化により、うつ病等の気分障害を克服する



# 医療イノベーション5か年戦略の着実な推進

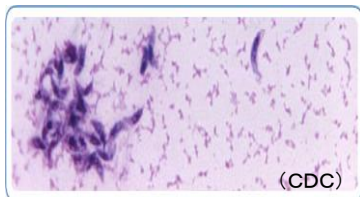
## ⑧ 小児の先天性疾患等

3億円

小児の先天性疾患について、有効な診断・治療を行うことにより、障害の予防と予後の改善を図るために、遺伝子・細胞治療の基盤整備や母子感染の実態把握及び検査・治療の開発研究を推進する。

<成育疾患克服等次世代育成基盤研究事業> これまでに一定の取組がなされ、短期集中的に資源を投入することで、小児の障害の予防と予後の改善の基盤整備が見込まれる以下の研究を行う。

### 母子感染の実態把握及び検査・治療に関する研究



(CDC)



・母子感染(胎内感染)により重篤な障害を引き起こすサイトメガロウイルス、トキソプラズマ等は、検査法や治療法が確立しておらず、感染の実態が分かっていない。



・全国10数か所の拠点病院で、サイトメガロウイルスおよびトキソプラズマの確認検査及び確定検査の開発・標準化、治療の開発・評価を行う。

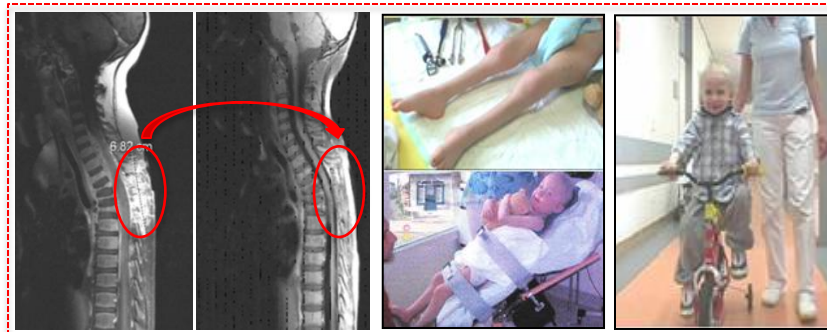


・母子感染のスクリーニング及び事後の対応が可能となる。

トキソプラズマに胎内感染した新生児。水頭症、肝腫大、網脈絡膜炎に罹患。  
(Dubey JP, and Beattie CP. Toxoplasmosis of animals and Man. CRC Press, Boca Raton, Florida, 52, 1988)

### 小児成育疾患に対する遺伝子・細胞治療に関する研究

・小児の重症免疫不全症等の難治性疾患に対する有効な治療として、遺伝子・細胞治療が期待されている。  
・我が国において、遺伝子・細胞治療に必要な全国ネットワークの整備し、効果的に医師主導治験等への展開をめざす。  
・遺伝子治療の多施設研究体制が確立すると、様々な小児希少疾患への応用が期待できる。



慢性肉芽腫症に対する遺伝子治療により真菌性の脊椎炎が治癒し、歩行可能になった症例  
(personal communication from Dr. M. Grez)