

令和5年度研究事業実施方針
【AMED研究】

厚生科学審議会
科学技術部会

令和4年7月14日

目次 AMED研究

創薬基盤推進研究事業 (PJ1)	3
臨床研究・治験推進研究事業 (PJ1、6)	6
医薬品等規制調和・評価研究事業 (PJ1)	12
創薬支援推進事業 (PJ1)	18
医療機器開発推進研究事業 (PJ2)	22
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 (PJ2)	25
再生医療実用化研究事業 (PJ3)	30
ゲノム創薬基盤推進研究事業 (PJ4)	34
革新的がん医療実用化研究事業 (PJ1、2、3、4、5)	38
認知症研究開発事業 (PJ4、5)	47
障害者対策総合研究開発事業 (精神障害分野) (PJ4)	53
障害者対策総合研究開発事業 (身体・知的・感覚器) (PJ4)	58
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 (PJ1)	62
難治性疾患実用化研究事業 (PJ1、2、3、4、5)	73
地球規模保健課題解決推進のための研究事業 うち国際課分 (PJ6)	79
地球規模保健課題解決推進のための研究事業 うち厚生科学課分 (PJ6)	84
成育疾患克服等総合研究事業 (PJ1、4)	88
循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業 (PJ2、4、5)	94
女性の健康の包括的支援実用化研究事業 (PJ4、5)	102
腎疾患実用化研究事業 (PJ1、5)	107
免疫アレルギー疾患実用化研究事業 (PJ1、4、5)	110
移植医療技術開発研究事業 (PJ4)	117
慢性の痛み解明研究事業 (PJ5)	121
エイズ対策実用化研究事業 (PJ5)	124
肝炎等克服実用化研究事業 (PJ1、4、5)	130
長寿科学開発研究事業 (PJ5)	136
「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業 (PJ4)	140
医工連携・人工知能実装研究事業 (PJ4)	145
メディカルアーツ研究事業 (PJ4)	149

【参考】プロジェクト別研究事業一覧

<AMED 研究 統合プロジェクト (PJ) >

PJ1 : 医薬品プロジェクト
PJ2 : 医療機器・ヘルスケアプロジェクト
PJ3 : 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
PJ4 : ゲノム・データ基盤プロジェクト
PJ5 : 疾患基礎研究プロジェクト
PJ6 : シーズ開発・研究基盤プロジェクト

プロジェクト名	医薬品プロジェクト
研究事業名	創薬基盤推進研究事業
主管部局・課室名	医政局研究開発振興課
AMED担当部・課名	創薬事業部 医薬品研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
		2,182,724	2,182,724

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

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。

【事業目標】

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。

【研究の範囲】

①GAPFREE（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 Private 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、創薬研究を支援する。

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を支援する。

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する。

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、これらの新たな評価系技術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する。

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する。

【期待されるアウトプット】

新モダリティ・先進手法に関する採択課題割合 40% (令和2～6年度)

【期待されるアウトカム】

創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 6件 (令和2～6年度)

(2) これまでの研究成果の概要

短鎖核酸の導入により標的 mRNA の高次構造を変化させる RNA hacking (RNAh) 技術で、遺伝子発現を抑制する核酸医薬技術を開発した。(特許2件を出願済)

一般的な培養法では菌の発育に影響を与えないが、感染部位などの生体内の特定部位で菌の発育・生存に必須となる細菌因子(*vivo*EF)を阻害する抗菌剤開発手法を確立し、候補化合物を見いだした。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

新モダリティ・先進手法に関する採択課題割合 (令和2～3年度) 55%

創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 (令和2～3年度) 11件

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの(増額要求等するもの)

「①GAPFREE (産学官共同創薬研究プロジェクト)」では、産学官として取り組むべき課題を複数カテゴリーとして設定し、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ことで、企業とアカデミアのマッチングを促し、革新的新薬の開発に向け迅速な創薬研究の振興を図る。

「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」では、これまでに薬物動態評価のためのプラットフォームを送達技術横断的に構築している。令和5年度では、新規モダリティ開発における異分野融合を推進し、評価基盤を活用した有用性評価により、送達技術を活用したシーズの迅速な開発を支援する。

(2) 新規研究課題として推進するもの

該当なし。

(3) 令和5年度の研究課題(継続及び新規)に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

送達技術とシーズ開発の異分野融合を促進するために、AMED がマッチング機能を発揮し、技術開発およびシーズ開発の推進に貢献する。

GAPFREE において、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、オープンイノベーションによる研究開発の推進を図る。

II 参考

1 研究事業と各戦略(新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略)との関係

【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)

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

(4) 再生・細胞医療・遺伝子治療等

③治療薬・ワクチンの開発

世界的に医薬品市場が成長を続ける中、我が国においても、創薬を成長産業とすべく取組を進める。特に、今後の感染症危機に備えるため、治療薬やワクチンの開発に取り組む。

【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）

第 4 章 中長期の経済財政運営 2. 持続可能な社会保障制度の構築

（社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進）

（略）経済安全保障や医薬品産業ビジョン 2021 等の観点も踏まえ、医薬品の品質・安定供給の確保とともに創薬力を強化し、様々な手段を講じて科学技術力の向上とイノベーションを実現する。

【健康・医療戦略】（令和 2 年 3 月 27 日閣議決定）

4. 具体的施策

4. 1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進

○ 6 つの統合プロジェクト

① 医薬品プロジェクト

・医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。このため、新たなモダリティの創出から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、製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

○ 文部科学省、経済産業省研究事業との関係

本研究事業では、主にアカデミア等が実施する臨床研究を支援し、文部科学省では基礎研究を、経済産業省では企業支援を主に実施することにより、革新的な医薬品等の実用化に向けた切れ目のない支援を実施する。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、シーズ開発・研究基盤プロジェクト
研究事業名	臨床研究・治験推進研究事業
主管部局・課室名	医政局研究開発振興課
AMED 担当部・課名	創薬事業部 規制科学推進課、 シーズ開発・研究基盤事業部 拠点研究事業課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	3,180,447	3,586,068	3,470,156

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

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。基礎研究の段階から臨床研究へ移行できるシーズは、約1万分の1以下の割合にとどまっているという問題がある。

【事業目標】

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た質の高い臨床研究・医師主導治験等を推進する

【研究の範囲】

- ・アカデミア等が保有するシーズに対して、産学連携により早期実用化を目指す研究を支援する。また、臨床研究部会中間取りまとめの議論を受け、国と企業との役割を明確にし、特に希少疾病や小児領域等で患者ニーズや社会的ニーズは高いものの企業が参入しない領域において、臨床研究・医師主導治験を支援する。
- ・疾患登録システム（患者レジストリ）やDecentralized Clinical Trial（分散化臨床試験）を活用した効率的な臨床研究・治験を支援する。
- ・実務家としての生物統計家の育成を目的とし、座学的教育を実施する大学院と実践的研修を実施する病院が一体となった人材育成体制を、産学官が一体となり整備する。
- ・「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」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し、日本主導の国際共同臨床研究・治験の強化を図る。

【期待されるアウトプット】

【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】

【医薬品プロジェクト】

研究成果を企業への導出・早期承認につなげ、一日も早く革新的医薬品を患者に届ける。

・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・治験への移行件数 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

(2) これまでの研究成果の概要

【医薬品プロジェクト】

「期待されるアウトプット」に対する研究成果（令和 2～3 年度）

○非臨床 POC の取得件数 1 件

- ・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治験開始に向けて（令和 2 年度：終了）

○臨床 POC の取得件数 5 件

- ・子宮頸部上皮内腫瘍（CIN）治療薬に関する研究開発（令和 2 年度：終了）
- ・福山型先天性筋ジストロフィー患者における内服ステロイド薬の治験（令和 3 年度：終了）

「期待されるアウトカム」に対する研究成果（令和 2～3 年度）

○シーズの企業への導出件数 8 件

- ・自閉スペクトラム症中核症状に対する初の治療薬を開発するための医師主導多施設治験（令和 2 年度：終了）
- ・手術中に腭液漏を描出する蛍光イメージング技術の開発（令和 4 年度：継続）
- ・三叉神経痛に対する五苓散の効果を検討する臨床試験のための患者の診察・観察を目的とする超高品質な遠隔システムの POC 研究（令和 4 年度：継続）
- ・「肺非結核性抗酸菌症に対する GM-CSF 吸入療法」の開発に向けた特定臨床研究（令和 4 年度：継続）
- ・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 4 年度：継続）

○薬事承認件数（新薬、適応拡大） 6 件

- ・シロリムス錠（対象疾患：難治性リンパ管異常）（令和 3 年 9 月 27 日承認）
- ・トラスツズマブ注（対象疾患：HER 2 陽性の根治切除不能な進行・再発の唾液腺癌）（令和 3 年 11 月 25 日承認）
- ・トラスツズマブ注用のコンパニオン診断薬（令和 3 年 11 月 11 日一部変更承認）

○研究成果を活用した臨床試験・治験への移行件数 7 件

- ・小児がんレジストリを用いた転移性肝芽腫に対する薬剤開発戦略としての国際共同臨床試験（令和 3 年度：終了）
- ・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 4 年度：継続）

【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 つの拠点を選定し、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。

- 第一期生 合計 21 名（令和 2 年 3 月修了、約 8 割がアカデミアに就職）
- 第二期生 合計 19 名（令和 3 年 3 月修了、約 8 割がアカデミアに就職）
- 第三期生 合計 18 名（令和 2 年 4 月入学）
- 第四期生 合計 11 名（令和 3 年 4 月入学）

○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 年度及び令和 4 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）

（3）これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

○薬事承認取得状況：令和 3 年度 3 件

- ・シロリムス錠が、難治性リンパ管異常の効能で薬事承認を取得した（令和 3 年 9 月 27 日）。
- ・トラスツズマブ注が、HER 2 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を取得した（令和 3 年 11 月 25 日）。また、並行して開発していたトラスツズマブ注用のコンパニオン診断薬が、一部変更承認を取得した（令和 3 年 11 月 11 日）。

○生物統計家育成推進事業について

卒後教育を含めた生物統計家の育成を通じ、当該人材をアカデミアに輩出することで、臨床研究・治験の質の向上に貢献した。

2 令和 5 年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

○Decentralized Clinical Trial 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 Decentralized Clinical Trial 等の新しい手法が注目されている。これらを活用した臨床試験を支援することによって、患者中心の臨床試験を推進する必要がある。

○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、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。

(2) 新規研究課題として推進するもの

○小児を対象とした臨床研究・医師主導治験

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。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

○臨床研究・医師主導治験の実施を支援

疾患の希少性、低採算性等を総合的に考慮し、臨床研究・医師主導治験の実施を支援する。得られた研究成果が企業への導出・早期承認につながることで、一日も早く革新的医薬品を患者に届けることに貢献する。

○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

アジア地域における日本主導の国際共同臨床研究・治験の強化を図り、治療薬等の開発・供給の加速を目指す。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

Ⅲ. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

（4）再生・細胞医療・遺伝子治療等 ③治療薬・ワクチンの開発

世界的に医薬品市場が成長を続ける中、我が国においても、創薬を成長産業とすべく取組を進める。特に、今後の感染症危機に備えるため、治療薬やワクチンの開発に取り組む。

【フォローアップ】（令和4年6月7日閣議決定）

I. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

（4）再生・細胞医療・遺伝子治療等 （医療・医薬品）

・新型コロナウイルス感染症を含めた新興・再興感染症への対応として、以下の取組などにより、検査体制・治療体制や治療薬・ワクチン等の開発、情報収集及び人材育成を抜本的に強化する。

－「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）に基づき、今後のパンデミックに備えてワクチンを研究・開発するため、日本医療研究開発機構（AMED）の基金等により、新たな創薬手法による産学官の出口を見据えた研究開発支援や世界トップレベルの研究開発拠点形成等を、2022年秋までに開始する。

－臨床研究中核病院での治験環境の整備・拡充のため、臨床研究中核病院間での臨床試験データの共有ネットワークシステムの構築や在宅治験（患者が医療機関へ来院しな

くても投薬や観察を受けられる臨床試験手法)の導入支援を2022年度に開始する。

【経済財政運営と改革の基本方針2021】(令和3年6月18日閣議決定)

第1章 4. (1) 感染症に対し強靱で安心できる経済社会の構築

(略)引き続き、効果的な治療法、国産治療薬の研究開発・実用化の支援及び国産ワクチンの研究開発体制・生産体制の強化を進めるとともに、新たな感染症に備え、国内のワクチン開発・生産体制の強化のため、「ワクチン開発・生産体制強化戦略」を着実に推進する。そのために必要な取組の財源を安定的に確保する。

【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1章 2. 科学技術・イノベーション政策の3本の柱

(3) 先端科学技術の戦略的な推進 (戦略的に取り組むべき応用分野)²¹

健康・医療

- ・ 医療分野の研究開発の環境整備として、臨床研究中核病院における体制や仕組みの整備、生物統計家等の専門人材及びレギュラトリーサイエンスの専門家の育成・確保、研究開発におけるレギュラトリーサイエンスの普及・充実等を推進する。
- ・ 「ワクチン開発・生産体制強化戦略²⁴」に基づき、今後のパンデミックに備えて、感染症の有事にいち早く、安全で有効なワクチンを研究・開発するため、AMEDに措置された基金等により、新たな創薬手法による産学官の出口を見据えた研究開発の支援、世界トップレベルの研究開発拠点形成、創薬ベンチャーの育成、デュアルユースのワクチン製造拠点の整備等の取組を2022年秋までに順次開始する。

【健康・医療戦略】(令和2年3月27日閣議決定)

4. 1 (1) 研究開発の推進

① 医薬品プロジェクト

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。このため、新たなモダリティの創出から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、製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

4. 2. 2 国際展開の促進

「アジア医薬品・医療機器規制調和グランドデザイン」(2019年6月20日推進本部決定)に基づき、アジアにおける医薬品、医療機器等のアクセス向上に向け、厚生労働省・PMDAとの海外当局との協力関係の強化、アジアにおける臨床研究・治験ネットワークを構築するための拠点整備及び人材の育成を行うこと等によりアジア各国との規制調和を推進する。

4. 4. 1 データ利活用基盤の構築(データヘルス改革の推進)

臨床研究・治験をはじめとする医薬品等の開発を効率的に行うため、クリニカル・イノベーション・ネットワーク構想において、疾患登録システムの利活用等を進めるとともに、リアルワールドデータを活用した効率的な臨床研究・治験を推進するため、国内外の連携を想定しつつ、医薬品・医療機器の研究開発拠点である臨床研究中核病院における診療情報の品質管理・標準化及び連結を進める。さらに、ヘルスケアサービスや各種バイオバンクとの連携により、健康から医療まで切れ目のない情報の連結を図りつつ、

リアルワールドデータを蓄積する。また、国内外の連携を図りつつ、リアルワールドデータからリアルワールドエビデンスを抽出する際の我が国としてのフレームワークを検討し、薬事承認申請のエビデンスとして活用するためのルールの整備を行い、効率的な臨床研究・治験を推進する。

4. 4. 2 (1) 先端的研究開発の推進のために必要な人材の育成・確保等
生物統計家などの専門人材及びレギュラトリーサイエンスの専門家の育成・確保等を推進するとともに、研究者等に対してレギュラトリーサイエンスや知的財産等の実用化に必要な教育を推進する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

○文部科学省、経済産業省研究事業との関係

本研究事業では、主にアカデミア等が実施する臨床研究を支援し、文部科学省では基礎研究を、経済産業省では企業支援を主に実施することにより、革新的な医薬品等の実用化に向けた切れ目のない支援を実施する。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト
研究事業名	医薬品等規制調和・評価研究事業
主管部局・課室名	医薬・生活衛生局総務課
AMED 担当部・課名	創薬事業部 規制科学推進課
省内関係部局・課室名	医薬・生活衛生局医薬品審査管理課、医療機器審査管理課、監視指導・麻薬対策課、医薬安全対策課、血液対策課

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	1,061,075	1,121,075	1,091,091

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

企業及びアカデミアによる革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品等（以下、「医薬品等」）を安全かつ迅速に国民に提供するためには、製品の開発と併行して、医薬品等の品質、有効性及び安全性の評価手法の開発・標準化を行い規制に適用するとともに、市販後安全対策に有効な手法を早期から開発、導入することにより規制システムを充実させる必要がある。

【事業目標】

最先端技術を用いた医薬品等について、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。

【研究の範囲】

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

【期待されるアウトプット】

医薬品プロジェクトの KPI「新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%」を実現し、革新的な医薬品等の品質・有効性・安全性に係る各種評価系の開発や、先進手法を用いた評価技術の標準化等を通じて、これら技術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。

【期待されるアウトカム】

革新的な医薬品等の承認審査における留意点を明確化することによって、開発の加速化・効率化及び予見性の向上、並びに国際的な規制調和の推進が可能となり、わが国発の医薬品等の国際展開への寄与が期待される。

(2) これまでの研究成果の概要

○次世代型中分子ペプチド医薬品の開発効率化に資するレギュラトリーサイエンス研究（平成30年度～令和2年度）

細胞外タンパク質を標的とした環状ペプチドをモデルとして、ペプチド製造において特異的に生成する類縁物質や不純物について検討することで、重要品質特性になり

得る不純物や重要工程のパラメーターを明らかにした。さらに製造したペプチド、不純物、劣化資料、代謝物などの構造解析や生物活性評価により、ペプチド医薬品の品質管理戦略や安全性評価法の確立を行った。

- バイオ医薬品等の品質管理・安全性評価とガイドライン策定に関する研究（平成 30 年度～令和 2 年度）

「バイオ後続品の品質・安全性・有効性確保のための指針、薬食審査発第 0304007 号、平成 21 年 3 月 4 日」に関し、検討班（分科会）を設け、議論と改訂作業を行った。

- 抗悪性腫瘍薬の臨床評価ガイドラインに関する研究（平成 31 年度～令和 2 年度）

平成 17 年の改訂以降、変更されていなかった「抗悪性腫瘍薬の臨床評価に関わるガイドライン」に関して、近年の抗悪性腫瘍薬の開発・審査を巡る状況を踏まえ、がん遺伝子検査に基づいた希少なサブタイプを対象とした分子標的薬の開発や免疫チェックポイント阻害薬の開発等の内容に言及したガイドラインを作成した（令和 3 年 3 月）。

- 医薬品の品質管理・製造法管理及び変更管理の新たな手法の評価法に関する研究（平成 30 年度～令和 2 年度）

化成品については、エストリオール錠の定量法を例として軽微変更届出事項とすることが可能な項目の抽出と記載例の作成を行った。

バイオ医薬品については、欧米における承認後変更管理実施計画書（PACMP）の実施例を調査し、国内で PACMP に盛り込むべき事項等を検討し、記載案を作成した。

また、規格及び試験方法欄の記載の合理化について、オリゴ糖プロファイルと細胞応答性試験を例に検討し、抗体医薬品に関する製造販売承認申請書の記載例の作成を行った。

- 医療用医薬品の生物学的同等性評価手法の開発及びガイドライン案の作成に関する研究（平成 31 年度～令和 3 年度）

主薬特性、製剤特性及び *in vitro* 試験の情報に基づき二製剤間の生物学的同等性（BE）を保証する手法は医薬品規制調和国際会議（ICH）のトピックとして議論されてきたが、手法の開発及び国内実装に向けた研究を行い、当該ガイドラインの最終化及び Q&A 作成に貢献した。令和元年 11 月に ICH-M9 において国際的な最終合意（step 4）に到達したことを受け、和文版の作成を行い令和 2 年 12 月の国内実装（step 5）に供した。

- 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）

人工知能を利用した医療機器プログラムについて、実証研究によってプログラムに性能に影響を及ぼす因子を解析し、変更計画確認手続制度を利用するにあたり留意すべき事項を提言として取りまとめた。

（3）これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- 次世代型中分子ペプチド医薬品の開発効率化に資するレギュラトリーサイエンス研究

モデルペプチドの試験的製造・品質特性解析・非臨床安全性評価に関する研究成果と、国内外の医薬品情報・開発動向・規制動向に関する調査結果を踏まえて「中分子ペプチド医薬品の品質・非臨床安全性評価に関する留意点」をまとめた文書を作成した（令和 3 年 3 月）。

- バイオ医薬品等の品質管理・安全性評価とガイドライン策定に関する研究

「バイオ後続品の品質・安全性・有効性確保のための指針」及びその Q&A の案を作成し、令和 2 年 2 月に厚生労働省より発出された。

○抗悪性腫瘍薬の臨床評価ガイドラインに関する研究

「抗悪性腫瘍薬の臨床評価方法に関するガイドライン」案が、パブリックコメントを経て令和3年3月に厚生労働省より発出（薬生薬審発 0331 第1号）された。

○医薬品の品質管理・製造法管理及び変更管理の新たな手法の評価法に関する研究

「医薬品の品質に係る承認事項の変更に係る取り扱い等について（平成30年3月9日医薬品審査管理課、監視指導麻薬対策課通知）」で示された製造販売承認申請書における規格及び試験方法欄の記載について合理化できる旨、厚生労働省より事務連絡として発出された（令和元年9月）。

○医療用医薬品の生物学的同等性評価手法の開発及びガイドライン案の作成に関する研究

ICH-M9がstep4に達したことを受け、国内実装（step5）に供し、令和2年12月に「Biopharmaceutics Classification System (BCS) に基づくバイオウェーバーガイドラインについて」及び「Biopharmaceutics Classification System (BCS) に基づくバイオウェーバーガイドラインについて」に関するQ&Aについて」が厚生労働省より発出された。

○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

令和元年の薬機法改正に伴い導入された変更計画確認手続制度（IDATEN）の活用を促進するため、当該制度を利用する際に承認申請書や変更計画に記載すべき事項について整理し、Q&A作成の参考とした。

2 令和5年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

【再生医療等製品】

○ヒト幹細胞加工製品の原料としての幹細胞及び最終製品中の加工細胞の品質評価に関する研究（令和3年度開始）

ヒト多能性幹細胞（hPSC）の特定の細胞系譜への分化傾向を予測するマーカーの探索とその機能解析を実施し、hPSC株の細胞加工製品の原料としての品質試験法を開発することを目標としている。近年、hPSCから特定の臓器に類似した組織構造かつ機能性も有する三次元（3D）組織構造体（オルガノイド）を作製する研究が活発に展開されており、hPSCから腸管オルガノイドの再現性の高い作製系を確立し、オルガノイドの品質管理や試験法の確立、国際標準化が急務となっている。

（2）新規研究課題として推進するもの

○新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究

・「遺伝子改変動物由来の臓器・組織の品質・安全性に関する研究」

令和4年1月、米国において、世界で初めて免疫拒絶に関わる遺伝子等を人為的に欠損させたブタの心臓が末期心臓病患者に移植された。近年、このような遺伝子を改変した動物の臓器・組織をヒトに移植する研究が世界中で活発化しており、国内でも異種移植の臨床試験の開始に向けた動きが本格化している。遺伝子改変動物由来の臓器・組織を患者への適用を目的として製造・販売する場合には、その品質・安全性の確保に関して、①最終製品へのウイルス等の感染因子（特に新興人獣共通感染因子）の混入防止、②最終製品の免疫原性（異種移植による拒絶反応）の評価、③動物飼育管理、④遺伝子改変動物胚の製造管理・品質管理など、検討が必要な課題が存在する。これらの課題に対して、評価要件、規制要件等を整理し、遺伝子改変動物由来の臓器・組織の品質・安全性に関するガイドライン案を作成することを目指す。

○医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究

・「セラノスティクス対応放射性医薬品の試験要件についての評価研究」

診断薬によって適応可否を判断し、次いで新たな分野であるアルファ線/ベータ線を利用した治療に繋げる、いわゆる診断と治療を融合させたセラノスティクスの研究開発が国際的に加速している。当該分野は薬事だけではなく放射線規制も関与し、海外各国の規制環境がそれぞれ異なることから、研究開発から市販後までの課題・必要な要件を明らかにする必要がある。研究開発から市販後までの課題を整理し、放射性医薬品の品質試験に求められる要件（試験精度、試験数、実施時期など）について、最新の科学的知見を踏まえながら、見直し案を作成する。

・「革新的放射線治療機器の承認審査迅速化と早期普及を目指した次世代国際標準評価法の開発研究」

ホウ素中性子捕捉療法（BNCT）は従来の放射線治療と原理を異にする画期的な治療であり、本邦において令和2年3月に BNCT 装置および線量計算プログラムが世界に先駆けて医療機器製造販売承認された。現在、国内ではさらに複数の他社製 BNCT が開発・設置されつつあり、且つ世界各国でも BNCT 製品の開発が進められている中、世界のトップランナーを維持し続けるためにはその評価システムの向上が必要である。そこで、①照射性能評価のための基準線量測定系の構築、②標的臓器や近接するリスク臓器を含む臨床画像を模擬した基準 CT 画像のデータセットの構築、③測定結果及び基準 CT 画像線量計算結果の評価システムの構築、④審査基準の策定などを目指す。

○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

・「ナノ粒子製剤の品質確保に向けた高機能添加剤の技術要件明確化に関する研究」

新型コロナウイルス感染症に対する mRNA ワクチンに代表されるように、脂質ナノ粒子やリポソームなどナノ粒子製剤化は、新規モダリティの有効成分を体内・細胞内の目的部位に送達し、機能させるために不可欠なドラッグ・デリバリー・システム（DDS）技術として開発が活発化している。多くの新モダリティ医薬品や DDS 製剤の実生産に向けたスケールアップ時に起こる障害の原因として、添加剤の品質問題が指摘されている。そこで、ナノ粒子製剤に用いられる高機能性添加剤の開発状況や最新の分析技術を調査するとともに、脂質ナノ粒子製剤などモデル製剤を作製し、製剤の製造工程・保管・使用において、有効成分及び製剤の有効性や安定性に寄与する添加剤の重要品質特性を評価し、必要に応じて新たな分析手法を開発する。

（3）令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

○新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究

新規モダリティ医薬品（ペプチド医薬品・核酸医薬品・バイオ医薬品・再生医療等製品）等の品質・有効性・安全性評価手法の確立を通じて、当該評価手法に関するガイドライン案を策定する。また各種基準等の改正に必要なエビデンスを提供する。

○医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究

国際的に協調可能な新規品質・安全性評価試験法の開発を通じて、これら評価法や国際規格に関する国内外の規制調和や規格実装のための基盤整備を行い、我が国のプレゼンスを高めるほか、迅速・効率的なグローバル開発環境の実現に資する。

○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

先進的な品質管理・製造工程管理技術としての連続生産等、また、先進技術を用いた医薬品等の品質・有効性・安全性の評価手法を確立し、当該評価手法に関するガイドライン案策定に資するエビデンスを構築する。また先進技術の導入や開発の迅速化に係る各種基準等の改正に必要なエビデンスを提供する。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【フォローアップ】（令和4年6月7日閣議決定）

- I. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資
 2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資
 - (4) 再生・細胞医療・遺伝子治療等
(医療・医薬品)
- ・「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」（令和4年5月31日閣議決定）に基づき、医療機器の研究開発等での人材育成や起業支援、早期実用化に向けた薬事承認制度・審査体制の構築、安定供給の確保等を行う。
 - ・プログラム医療機器の実用化の促進のため、2022年度中に、革新的なプログラム医療機器を指定し優先的に承認審査を行う制度を試行的に導入する。

(サイバーセキュリティ)

- ・医療機関を標的としたサイバー攻撃による重大事案の発生を踏まえ、医療機関を取り巻く関係者も含め医療全体の防衛体制を強化するため、2023年度までに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）等において医療機器のサイバーセキュリティ対策を確認するため、最新の知見を踏まえ、医療機器の薬事承認等の要件を改定する。また、薬事承認後の医療機器のサイバーセキュリティに関する情報収集や評価の方法を具体的に検討し、その内容を周知する。あわせて、医療機器の管理・運用やインシデント対応の手引き等を2022年度中に策定する。

【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）

第1章 我が国を取り巻く環境変化と日本経済

2. 短期と中長期の経済財政運営

- (1) コロナ禍からの回復とウクライナ情勢の下でのマクロ経済運営
(経済社会活動の正常化に向けた感染症対策)

ワクチン、検査、経口治療薬の普及等により、予防、発見から早期治療までの流れを強化して新型コロナウイルス感染症の脅威を社会全体として可能な限り引き下げる。

【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1章 総論（新しい資本主義における「成長」と「分配」の好循環を支える科学技術・イノベーション）

2. 科学技術・イノベーション政策の3本の柱

- (3) 先端科学技術の戦略的な推進

- ① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

(戦略的に取り組むべき応用分野) 健康・医療

医療分野の研究開発の環境整備として、臨床研究中核病院における体制や仕組み

の整備、生物統計家等の専門人材及びレギュラトリーサイエンスの専門家の育成・確保、研究開発におけるレギュラトリーサイエンスの普及・充実等を推進する。

第2章 Society 5.0 の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

4. 官民連携による分野別戦略の推進

(戦略的に取り組むべき応用分野) (5) 健康・医療

国際的な規制調和を前提とした医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する研究の支援、審査ガイドラインの整備、審査員に対する専門的知識の向上等を通じて、研究開発におけるレギュラトリーサイエンスを普及・充実。

【健康・医療戦略】(令和2年3月27日閣議決定)

4. 具体的施策

4. 1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進 ① 医薬品プロジェクト

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。このため、新たなモダリティの創出から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、製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。

○レギュラトリーサイエンスの推進

・国際的な規制調和を前提とした医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する研究の支援、審査ガイドラインの整備、審査員に対する専門的知識(新たなモダリティとしてのデジタルセラピューティクス分野とデータ連携に必要な法、技術、倫理及びサイバーセキュリティの知見を含む)の向上等を通じて、研究開発におけるレギュラトリーサイエンスを普及・充実させる。

4. 4. 研究開発及び新産業創出等を支える基盤的施策

4. 4. 1. データ利活用基盤の構築

(医療情報の利活用の推進)

また、厚生労働省、PMDAにおいては、医療機器規制の国際調和活動におけるサイバーセキュリティやSaMD 関連の議論・ガイダンス策定に関与して国際的な連携強化に努める。

2 他の研究事業(厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業)との関係

○厚生労働科学研究との関係

医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス政策研究事業では薬事行政における規制・取締等の見直しや制度設計、政策の立案・実行等に資する調査・研究を実施している。一方、本AMED研究事業では、革新的医薬品等の開発に資する、各種試験系・評価系の開発やデータ収集システム等の環境整備に関する研究を実施している。

○AMED内研究事業との関係

「医薬品等規制調和・評価研究事業」と「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(再生医療技術を応用した高度な創薬支援ツール技術開発)」では連携して、医薬品等の安全性評価の動物代替法として開発が進んでいるMPS(Microphysiological system:生体模倣システム)に関する公募を行い、試験法の国際的な規格化・標準化や規制等への活用に向けた研究を開始した。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト
研究事業名	創薬支援推進事業
主管部局・課室名	大臣官房厚生科学課
AMED 担当部・課名	創薬事業部創薬企画・評価課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
		3,550,642	3,550,642

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、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、効率よく実用化につなげる必要がある。

「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、医薬品の研究開発全般における課題の一つに「アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み」が挙げられ、「創薬支援推進事業（創薬支援ネットワーク）の取組を継続するとともに、創薬ブースターの支援課題をより導出に近づけるための産学連携の取組を推進すべきである」と指摘されている。また、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。

【事業目標】

創薬支援ネットワークにより、創薬標的検証段階から応用研究、前臨床段階までの研究開発を支援し、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早期実用化を図る。また、創薬基盤技術の開発や希少疾病用医薬品等の開発支援を行い、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。

【研究のスコープ】

①創薬総合支援事業

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。

②創薬支援効率化事業

産学官が連携して、HTS（ハイスループットスクリーニング）ライブラリー構築及び化合物最適化に関する AI 創薬基盤の構築を進め、創薬支援ネットワークの支援能力を向上させ、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。

③希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業

希少疾病用医薬品の指定を目指す企業による開発を支援し、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。

【期待されるアウトプット】

①② 創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出件数 10 件（令和 2

～6年度)

③ 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

(2) これまでの研究成果の概要

(令和3年度)

①創薬総合支援事業

- ・ 創薬総合支援事業（創薬ブースター）で支援した創薬シーズ2件を導出した。

②創薬支援効率化事業

- ・ 「産学連携による次世代創薬 AI 開発事業」において、製薬企業18社からデータ提供等をうけて、統合創薬 AI プラットフォーム構築を目指して研究機関と企業の連携体制を構築した。
- ・ 革新的医薬品の創出確率向上のため、「産学協働スクリーニングコンソーシアム事業（DISC）」において令和2年度より中分子ライブラリー構築を開始し、令和3年度からは文部科学省生命科学・創薬研究支援基盤事業（BINDS）と連携し、同事業における中分子ライブラリーの利活用が可能となった。

(令和2年度)

①創薬総合支援事業

- ・ 創薬総合支援事業（創薬ブースター）で支援した創薬シーズ3件を導出した。

③希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業

- ・ 支援した課題1件が、希少疾病用医薬品として指定された（課題名「遠位型ミオパチーに対するN-アセチルノイラミン酸の開発」（平成27～29年度））。

(平成31年度/令和元年度の主な成果)

①創薬総合支援事業

- ・ 創薬総合支援事業（創薬ブースター）で支援した創薬シーズ3件を導出した。

②創薬支援効率化事業

- ・ 「創薬支援インフォマティクスシステム構築事業」として、薬物動態・心毒性・肝毒性に関する統合解析プラットフォーム（無償版、商用版）について、各システム（データベース構築、予測モデル）の構築を進め、無償版をWeb上で公開した。

③希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業

- ・ 支援した課題1件が、希少疾病用医薬品として指定された（課題名「組換えヒトHGF蛋白質による脊髄損傷急性期治療薬」（平成28～30年度））。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

令和2年度以降、創薬総合支援事業（創薬ブースター）で支援した創薬シーズ5件を導出した。

また、これまでに支援した希少疾病領域の医薬品2件が希少疾病用医薬品に指定された。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

- ・ モダリティの多様化（特に、抗体、遺伝子治療、細胞治療等）に対応するために、創

薬支援ネットワークにおける創薬支援をさらに推進する必要がある。

- ・産学連携による次世代創薬 AI 開発事業では、創薬 AI の実用化のさらなる推進が求められていることから、富岳等を活用した 3D シミュレーションによる予測手法の確立等を重点的に行う必要がある。
- ・希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業については、希少疾病領域の医薬品の開発は企業の参入が困難であるため、国による支援のさらなる充実と課題数の増加が必要である。
- ・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さらなる医薬品の実用化が求められており、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し、課題数を増加させる必要がある。

（2）新規研究課題として推進するもの

- ・感染症、難病、希少疾病に対するアカデミア発シーズについては、企業の参入が困難であるため、創薬ブースターでは支援後の導出先企業の発掘が大きな課題となっている。また企業に導出できたとしても開発を中断する例もある。このような状況を踏まえ、企業導出後も AMED が研究計画の立案等に携わることや他の事業への橋渡しを推進することなどによりアカデミアと企業との連携を活性化する。

（3）令和 5 年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

「医療分野研究開発推進計画」（令和 2 年 3 月 27 日）において定められた医薬品プロジェクトの成果目標の一つである「令和 6 年度（2024 年度）末までに創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出件数 10 件」を達成するために、創薬支援ネットワークにおける支援課題数の増加、モダリティの多様化の推進を図る。

特に令和 5 年度は、橋渡し研究支援機関における創薬シーズを創薬ブースターにより支援することにより、医師主導治験の実施又は企業導出につなげる。

また、希少疾病用医薬品指定前の医薬品の開発を支援することにより、希少疾病領域の医薬品開発を加速させる。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【フォローアップ】（令和 4 年 6 月 7 日閣議決定）

I. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

（2）AI 実装

- ・医薬品開発での AI の利活用や AI 開発のための保健医療・介護データの利活用の方策について検討し、2022 年度中に取りまとめる。また、アジアをはじめとする海外の医療機関等と提携し、本邦で開発された AI 技術等の海外展開や国内外での AI 技術等の集積を行う。

【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 Society 5.0 の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

4. 官民連携による分野別戦略の推進

（戦略的に取り組むべき応用分野）

（5）健康・医療

<医療分野の研究開発の推進>

- ・他の資金配分機関、インハウス研究機関、民間企業とも連携しつつ、AMEDによる支援を中核として、医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進。また、基金や政府出資を活用して中長期の研究開発を推進。【健康医療、総、文、厚、経】

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

4. 具体的施策

4. 1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進

① 医薬品プロジェクト

- ・医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法や製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

本事業は、AMEDが実施する各省連携プロジェクトのうち、「医薬品プロジェクト」を構成する事業の1つであり、関係省庁は内閣府、経済産業省、文部科学省である。文部科学省「創薬等ライフサイエンス研究支援基盤構築事業」とともに創薬研究開発に必要な支援基盤の構築を実施するが、当該文部科学省事業は創薬等のライフサイエンス研究に資する高度な技術や、最先端機器・施設等の先端研究基盤を整備・強化するとともに、共用を促進することにより、大学等の研究を支援するものであり、創薬支援に特化した本事業に比べ、より基礎研究側に重点をおいている。

プロジェクト名	医療機器・ヘルスケアプロジェクト
研究事業名	医療機器開発推進研究事業
主管部局・課室名	医政局研究開発振興課
AMED 担当部・課名	医療機器・ヘルスケア事業部 医療機器研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	1,234,845	1,234,845	1,201,818

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

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。

【事業目標】

手術支援ロボット・システム、人工組織・臓器、低侵襲治療、イメージング、在宅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する医療機器について、わが国の基礎研究の成果を薬事承認につなげ、革新的な医療機器の創出を図る。

【研究の範囲】

①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する。

②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する。

③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する。

④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する。

【期待されるアウトプット】

健康・医療戦略における本事業の成果目標を「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%（令和2～6年度）」と設定している。

【期待されるアウトカム】

健康・医療戦略における本事業の成果目標を「クラスⅢ・Ⅳの医療機器の薬事承認件数 4件（令和2～6年度）」と設定している。

(2) これまでの研究成果の概要

- ・麻酔の3要素（鎮静、鎮痛、筋弛緩）を自動制御するロボット麻酔システムの有効性と安全性を評価する医師主導治験において、123例を対象とした検証を完了し、治験結果を開発企業に移管した（令和2年度：終了）。
- ・乾燥同種培養表皮を用いた皮膚再建治療の特定臨床研究において、熱傷による皮膚欠損患者6例で安全性を確認し、治験プロトコールを確定した。令和3年度後半より企業治験を開始している。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況 9件（令和2～3年度）

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

近年、AIを利用した画像診断に代表されるような、プログラム医療機器の提案が急速に増加している。そのため、AI等を活用したプログラム医療機器の薬事承認取得を目指す、実用化への見込みが高い臨床研究、医師主導治験を推進する。

(2) 新規研究課題として推進するもの

該当なし。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

AI等を活用した医療機器等の開発を支援することで、疾病の早期診断、適切な治療方法の選択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等の実用化を促すことができる。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

(2) AI実装

（略）AI技術を基にした実践・試行錯誤の蓄積が重要であり、ディープラーニングを重要分野として位置付け、企業による具体的ニーズを念頭に置き、その実装・開発を推進する。この際、気候変動や防災関連等に加えて、物理・化学や機械等、日本が強みを有する分野とAIの融合を図り、競争力の高い製品やサービスを生み出していく。

【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）

第2章 新しい資本主義に向けた改革

1. 新しい資本主義に向けた重点投資分野

(2) 科学技術・イノベーションへの投資

社会課題を経済成長のエンジンへと押し上げていくためには、科学技術・イノベーションの力が不可欠である。特に、量子、AI、バイオものづくり、再生・細胞医療・遺伝子治療等のバイオテクノロジー・医療分野は我が国の国益に直結する科学技術分野である。

【統合イノベーション戦略 2022】（令和 4 年 6 月 3 日閣議決定）

（3）先端科学技術の戦略的な推進

① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

（戦略的に取り組むべき基盤技術）

AI 技術

「AI 戦略 2019」のフォローアップを経て更新された「AI 戦略 2021」に基づき、関係府省が連携し、教育改革、研究体制の再構築、社会実装、データ関連基盤整備、倫理等に関する各施策を着実に推進してきた。その成果の上に立ち、より良い社会経済や国民生活を早期に実現・実感できるよう、AI の社会実装の推進強化に加え、首都直下地震、南海トラフ地震等の大規模地震や富士山も含む大規模火山噴火、気候変動等の影響により激甚化・頻発化する大雨といった大規模災害等、差し迫った危機への対処に重きを置いた「AI 戦略 2022」を 2022 年 4 月に策定した。

【健康・医療戦略】（令和 2 年 3 月 27 日閣議決定）

1. 総論

4. 具体的施策

4. 1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進

○ 6 つの統合プロジェクト

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

・ AI・IoT 技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化のための医療機器・システム、医療現場のニーズが大きい医療機器や、予防・高齢者の QOL 向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。また、医療分野以外の研究者や企業も含め適切に研究開発を行うことができるよう、必要な支援に取り組む。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED 内、他省庁研究事業）との関係

○ 文部科学省、経済産業省研究事業との関係

本研究事業では、主にアカデミア等が実施する臨床研究を支援し、文部科学省研究事業では基礎研究を、経済産業省研究事業では企業支援を主に実施することにより、革新的な医薬品等の実用化に向けた切れ目のない支援を実施する。

プロジェクト名	医療機器・ヘルスケアプロジェクト
研究事業名	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
主管部局・課室名	医政局総務課医療国際展開推進室
AMED担当部・課名	医療機器・ヘルスケア事業部 医療機器研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	305,960	305,960	297,777

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

第2期健康・医療戦略（令和2年3月27日閣議決定）では、「各国の自律的な産業振興と裾野の広い健康・医療分野への貢献を目指した我が国産業の国際展開」が求められている。また、アジア・アフリカ等の開発途上国・新興国等（以下「途上国等」という。）については、「潜在的市場として諸外国が積極的なアプローチを行う中で、より戦略的な取組を行わなければ市場確保に遅れをとる」との課題が指摘されている。

途上国等においては、日本とは異なる医療・事業環境や公衆衛生上の課題を抱えており、医療関連産業の国際展開を図る上では、それらの課題を解決しつつ、相手国のニーズを十分に踏まえた医療技術・医療機器を開発することが求められる。日本企業は自社シーズ・自社技術に基づいて製品開発を行うが、そのように開発された製品では現地でのニーズを満たすことができない場合が多い。日本企業が潜在市場として期待の高い途上国に進出し、相手国への貢献と市場創出の成果目標を達成するためには、企業が日本と異なる医療・事業環境や公衆衛生上の課題を深く理解し、相手国でのニーズや価格水準に基づいた医療機器等を開発するとともに、その方法論を企業間で共有していく必要がある。

他方で日本企業が相手国ニーズに応じた製品を開発し上市を図る上で、デザインアプローチ実施能力の構築、現地ネットワークの拡大といった個社努力では解決が困難な課題があるため、その仕組みを構築するための支援が必要である。

また、新型コロナウイルス感染症の影響により、現地の医療現場への渡航が難しい状況の中、遠隔における医療現場との連携や製品開発の方法も検討し、日本企業へ知見として広めていく必要がある。

【事業目標】

日本の医療機器メーカーが途上国等の医療機関の臨床現場において、バイオデザイン等のデザインアプローチを活用し、相手国のニーズを十分に踏まえた製品開発が実施できるよう支援を実施する。そして得られた知見を日本の医療機器産業界で共有し、相手国の公衆衛生上の課題を解決しつつ、医療の国際展開を図る。

また、開発した製品を普及させるために、大学や研究所などでの交流、相手国のガイドラインでの採用等のアカデミアレベルの普及活動や相手国規制当局との対話等の官レベルの普及活動を推進する。日本の医療の国際展開に資するエビデンスを構築するための、①官レベル・アカデミアレベルの交流、②当事業の研究開発に携わった事業者の成功事例集の作成、③医療機器メーカーが途上国等に展開する際に必要な情報をとりまとめた資料の作成、④医療機器メーカーが継続的にデザインアプローチを活用するための支援体制の構築、をポストコロナ（コロナ共生時代）においても対応可能な方法で推

進する。

【研究のスコープ】

- ①途上国等のニーズを十分に踏まえた医療技術・医療機器の開発と、日本の医療技術等の途上国等への展開に資するエビデンスの構築を推進する。具体的には、デザインアプローチを活用して、アジア・アフリカ地域におけるニーズを把握しながら、医療機器の研究開発を推進する。
- ②日本の医療機器メーカーの国際展開に資するエビデンスの構築に取り組むために、
 1. 官レベル・アカデミアレベルの交流、
 2. 当事業の研究開発に携わった事業者の成功事例集の作成、
 3. 医療機器メーカーが途上国等に進出するにあたって有益な情報を取りまとめた資料の作成、
 4. 医療機器メーカーが継続的にデザインアプローチを活用するための支援体制（開発サポート機関）の構築、を実施する。

【期待されるアウトプット】

- 医療機器の開発に関する指標
 - ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題の割合 25%への貢献

【期待されるアウトカム】

- 医療機器の開発に関する指標
 - ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数への貢献
 - ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況への貢献
- 製品導入による定性的効果
 - ・安全かつ低コストでの呼吸管理の手法の導入、腎疾患スクリーニング効率向上、マラリア原虫感染者発見効率向上によるマラリアの効率的な治療、新生児蘇生成功率の向上、骨関節機能障害低減によるQOL改善、感染症予防接種率向上、予防可能な失明と視力障碍の低減、X線装置を用いたAI診断による肺感染症診断率向上、医療現場における新型コロナウイルス変異株の簡易検出による診断効率向上

（2）これまでの研究成果の概要

- ①バイオデザイン等のデザインアプローチを活用した製品開発の推進
 - ・令和3年2月に1製品がベトナムにて上市した。令和3年に2件、令和4～5年に6製品の日本・相手国における薬事申請を予定している。
 - ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行は6件であった。（内、4件は完了済、2件が継続中）
 - ・新型コロナウイルス感染症による渡航制限がある中でも、リモート環境下でのリアルタイムでの現場観察や現地医療従事者へのヒアリングを通じて、現地ニーズの特定を行うことができた。リモート環境下でのニーズ探索は、コロナ共生時代においても有効であり、渡航制限有無に関わらず効果的に活用できることを確認した。
- ②日本の医療機器メーカーの国際展開に資するエビデンスの構築
 - ・医療機器メーカーがデザインアプローチによる製品開発を推進できるよう人材育成プログラムを策定し、企業向けセミナーも実施した。
 - ・新興国向けの医療機器開発を推進するため、タイ、ベトナム、インドネシア、マレーシア等において、各国保健省当局との意見交換や、現地大学・病院の有識者との意見交換会等、官レベル・アカデミアレベルの交流を実施した。
 - ・現地での販売に向けた準備のため、商工会など外郭団体等との意見交換とともに、医療機器展示会の参加を実施した。
 - ・医療機器メーカーの国際展開を推進する為、デザインアプローチを活用した持続可能な支援体制の構築実現に向けて、開発サポート機関による支援体制の検討・実証を開始した。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- ・技術者向けのデザインアプローチ習得のための人材育成プログラムを作成し、企業向けにセミナーを実施した。これは令和4年5月31日閣議決定された「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「国際展開に積極的に取り組む日本企業の増加」の「総合的かつ計画的に実施すべき施策」における、「日本企業が相手国の医療の実情やニーズを十分に把握・理解できる機会の充実に引き続き取り組み、先進国とともに新興国・途上国の医療ニーズに適した医療機器の研究開発・展開につなげる」に資する活動である。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

○「開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究」

令和5年度については、下記(2)に示すように、アフリカを対象とした課題の採択を新たに2件程度行う予定。これに伴い、開発サポート機関の業務増が発生するため増額を要求する。

(※) 開発サポート機関の主な支援内容は以下の通り。

- ・デザインアプローチ等を用いたニーズ探索、コンセプト確立、試用機作製・評価等を実施
- ・現地当局・政府・医療機関とのネットワークを確立・強化
- ・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

(2) 新規研究課題として推進するもの

○「開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究」

近年、急増する人口や堅調な経済成長などを背景に「最後のフロンティア」とも呼ばれるアフリカに世界が注目しており、我が国も令和元年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3年12月グローバルヘルス戦略中間とりまとめにおいて、具体的な取り組みに挙げられた「二国間協力の推進」においてガーナがパートナーシップ国として選定されている。さらに令和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 (Tokyo International Conference on African Development)」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る予定となっている。

こうした背景を踏まえ、令和5年度は新たにアフリカ地域を対象とした課題の公募を行う。

(※) アフリカ地域6カ国との覚書締結：

ケニア 2021年12月

ガーナ・ザンビア・ウガンダ・タンザニア・セネガル 2019年8月

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

アフリカを対象とした研究課題を推進することによって、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。

毎年の研究課題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、我が国や先進国では見られなかった独特のニーズの例、展開先国の医療従事者の意見、その他途上国独自の課題等）を、医療機器関連の業界団体等を通して医療機器メーカーへ周知するべく、事例集等としてとりまとめて展開する。

また、デザインアプローチを体得する企業向けのセミナーも引き続き実施することで日本の医療機器メーカーの開発途上国・新興国等における現地の医療現場ニーズに沿った製品の研究開発能力の向上と、開発された製品の海外での事業展開のために活用される。

上述に加えて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。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【フォローアップ】（令和4年6月7日閣議決定）

5. グローバルヘルス（国際保健）

・「アジア健康構想」及び「アフリカ健康構想」の下、医療・ヘルスケアに関する製品・サービスの国際展開を進める。

【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）

第2章 新しい資本主義に向けた改革

1. 新しい資本主義に向けた重点投資分野

(2) 科学技術・イノベーションへの投資

社会課題を経済成長のエンジンへと押し上げていくためには、科学技術・イノベーションの力が不可欠である。特に、量子、AI、バイオものづくり、再生・細胞医療・遺伝子治療等のバイオテクノロジー・医療分野は我が国の国益に直結する科学技術分野である。このため、国が国家戦略を明示し、官民が連携して科学技術投資の抜本拡充を図り、科学技術立国を再興する。

【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. 官民連携による分野別戦略の推進 (5) 健康・医療

・新産業創出及び国際展開として、公的保険外のヘルスケア産業の促進等のための健康経営の推進、地域・職域連携の推進、個人の健康づくりへの取組促進などを行うとともに、ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ（UHC）の達成への貢献を視野に、アジア健康構想及びアフリカ健康構想の下、各国の自律的な産業振興と裾野の広い健康・医療分野への貢献を目指し、我が国の健康・医療関連産業の国際展開を推進する。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

2. 2第I期の健康・医療戦略の成果と課題

(2) 健康長寿社会の形成に資する新産業創出及び国際展開の促進等に係る成果と課題

○ 国際展開に係る課題

高齢化が進むアジアや、急増する人口を背景に高い経済成長を遂げているアフリカは潜在的市場として大きな魅力があり、諸外国が積極的なアプローチを行う中、我が国がより戦略的な国際展開を行わなければ市場確保に後れを取る可能性がある。

3. 2 健康長寿社会の形成に資する新産業創出及び国際展開の促進等に係る基本方針

○アジア・アフリカにおける健康・医療関連産業の国際展開の推進

UHCの達成への貢献を視野に、アジア健康構想及びアフリカ健康構想の下、各国の自律的な産業振興と裾野の広い健康・医療分野への貢献を目指し、我が国の健康・医療関連産業の国際展開を推進する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

以下に記す他事業において開発された製品や研究結果を活かしつつ、本研究事業においては、対象とする開発途上国・新興国等での新たな公衆衛生上の課題に対応する製品開発と改良を支援し、企業の海外進出を後押しする。（他事業終了課題に対するシームレスな開発や海外展開支援を提供する位置づけ）

- 地球規模課題対応国際科学技術協力プログラム（感染症研究分野）「開発途上国のニーズを踏まえた感染症対策研究」（平成 25～30 年度;NCGM）
- 経済産業省ものづくり戦略的基盤技術高度化支援事業
「超精密マイクロ成型に対応した微細金型にかかる技術開発：樹脂製微量採血用穿刺針」（平成 19～20 年度）
「患者負担の軽減と環境対策に対応した医療機器（血液検査用単回使用セーフティランセット）の開発」（平成 22 年度）
「ワクチン投与用針の植物由来性樹脂を用いた調精密射出成形加工」（平成 24～26 年度）
- JST 研究成果最適展開支援 「未来型運動器インプラントの 3 次元手術支援部材およびシステム」（平成 21～25 年度）
- NEDO 環境・医療分野の国際研究・実証プロジェクト「パーソナライズド人工関節の機能・安全性評価基準の国際標準化への提案」（平成 26～29 年度）
- 「医工連携イノベーション推進事業（開発・事業化事業）ベンチャー育成」（令和 2 年度）
- 「革新的がん医療実用化研究事業」（平成 28 年度～令和元年度）
- 「ウイルス等感染症対策技術開発事業（基礎研究支援）」（令和 2 年度）

プロジェクト名	再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
研究事業名	再生医療実用化研究事業
主管部局・課室名	医政局研究開発振興課
AMED担当部・課名	再生・細胞医療・遺伝子治療事業部 再生医療研究開発課
省内関係部局・課室名	健康局難病対策課、健康局がん・疾病対策課

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	2,786,778	2,786,778	2,712,244

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

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。

【事業目標】

再生医療等に関して、基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、高品質な臨床用 iPS 細胞、体性幹細胞等の安定的な供給に向けた取組等、必要な基盤を整備する。また、iPS 細胞等を用いた病態解明、創薬研究及び創薬支援ツール等の産業化に向けた汎用性のある製造技術の基盤の開発・整備により、新薬開発の効率性の向上を目指す。

【研究の範囲】

- ・ヒト幹細胞の腫瘍化リスクなど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の探索のための研究
- ・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
- ・産学連携による研究（臨床研究の早い段階から出口を見据えて企業の協力を得ながらプロトコルを組む研究）・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
- ・臨床研究等における課題解決・新たな治療法の開発に係る研究（実用化時点における課題を解決するために必要な臨床情報のデータ収集等による有効性の確立・新たな治療法等の開発につなげる研究）
- ・再生医療等技術・遺伝子治療の効率化のための研究・再生医療等技術の効率化や国際展開のための研究

【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、iPS 細胞等を用いた病態解明等を目指す。

【令和2～6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、さらなる産学連携により、アカデミア発のシーズを速やかに企業治験（再生医療等製品の開発）につなげる研究の増加も期待される。

【令和2～6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

(2) これまでの研究成果の概要

令和2年度から令和3年度までに、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、13件の臨床研究や医師主導治験が実施された。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

令和2年度から令和3年度までに本事業の支援によって薬事承認されたものが1件ある。今後、再生医療等製品として上市されることが見込まれる。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

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）において、「再生・細胞医療・遺伝子治療については、新たな医療技術の臨床研究・治験の推進、これらの医療技術の製品化に向けた研究開発」を進めるとされたことを踏まえ、令和5年度は、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。

(2) 新規研究課題として推進するもの

- ・ in vivo 遺伝子治療等のウイルス安全性等の確保のための研究
- ・ in vivo 遺伝子治療等の遺伝子導入・改変等が有効と考えられる疾患の治療方法探索に係る臨床研究
- ・ アカデミアと企業等が協力し、知財戦略・出口戦略を見据えた遺伝子治療の産学連携による研究
- ・ 遺伝子治療研究の効率的推進につながる課題解決や研究プロセスの刷新等を図るための研究
- ・ 国際展開に向けた遺伝子治療の製造方法（培養添加物等）や品質管理方法、移送方法（凍結保存液等）の確立に向けた研究

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

再生医療等製品又は再生・細胞医療・遺伝子治療に用いる医療機器としての薬事承認申請を目指した医師主導治験の実施を促進することで、より多くのアカデミア発のシーズが実用化されることが期待される。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

III. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

（4）再生・細胞医療・遺伝子治療等

①再生・細胞医療・遺伝子治療

再生・細胞医療・遺伝子治療については、新たな医療技術の臨床研究・治験の推進、これらの医療技術の製品化に向けた研究開発、治療に用いる細胞・ベクター（ウイルスなど細胞へ遺伝子を導入するための媒介）の製造基盤強化、人材育成等を進め、有効な技術を実用化につなげる。再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い、遺伝子治療におけるゲノム編集技術を再生・細胞医療に応用するなど一体的な研究開発や臨床研究拠点の整備を進める。

【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）

第2章 新しい資本主義に向けた改革

1. 新しい資本主義に向けた重点投資分野

（2）科学技術・イノベーションへの投資

社会課題を経済成長のエンジンへと押し上げていくためには、科学技術・イノベーションの力が不可欠である。特に、量子、AI、バイオものづくり、再生・細胞医療・遺伝子治療等のバイオテクノロジー・医療分野は我が国の国益に直結する科学技術分野である。このため、国が国家戦略を明示し、官民が連携して科学技術投資の抜本拡充を図り、科学技術立国を再興する。その上で、研究開発投資を増加する企業に対しては、インセンティブを付与していく。

【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1章

2. 科学技術・イノベーション政策の3本の柱

（3）先端科学技術の戦略的な推進

① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

健康・医療

- 再生・細胞医療・遺伝子治療について、これまでの基礎研究の成果をベースに、次世代の医療として、治療法の開発や創薬など実用化開発を進める。具体的には、再生・細胞医療・遺伝子治療に関する新たな医療技術の臨床研究・治験の強力な推進、これら医療技術の製品化に向けた研究開発、ベンチャー企業等の新規市場開拓支援、治療に用いる細胞・ベクター（ウイルスなど細胞へ遺伝子を導入するための媒介）の製造基盤強化、人材育成等を進め、有効な技術をしっかり実用化につなげる。さらに、その先を見据えて、ゲノム編集技術に加え、分化効率が高い又は拒絶反応が低い次世代iPS細胞、それぞれの人の特性に合った薬効等を試験できるオルガノイド（試験管内で人工的に作られるミニ臓器）、細胞から分泌されるエクソソームの病気の診断や治療への活用に向けた研究開発など、革新的な研究開発・基盤整備を進める。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日 閣議決定）

（再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト）

- ・再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床・臨床研究や製造基盤技術の開発、疾患特異的 iPS 細胞等を活用した難病等の病態解明・創薬研究及び必要な基盤構築を行う。また、遺伝子治療について、遺伝子導入技術や遺伝子編集技術に関する研究開発を行う。さらに、これらの分野融合的な研究開発を推進する。
- ・再生医療の基盤を整備することで、単独での臨床研究を実施できない研究機関や医療機関、ベンチャー企業等に対しての技術的支援、人材交流等により、人材の育成・確保を推進する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

- 再生医療実現拠点ネットワークプログラム（文部科学省）
- 再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業（経済産業省）

再生医療の迅速な実現化に向けて、基礎から臨床試験、さらに実用化まで、それぞれの研究段階に応じて3省が適切かつ一貫した支援を実施している。
- ・安全な細胞の提供に向けた取組、幹細胞操作技術等の iPS 細胞等の実用化に資する技術の開発・共有、再生医療の基礎研究・非臨床試験の推進等を実施する。（文科省）
- ・再生医療の臨床研究及び治験の推進や再生医療等製品の安全性評価手法の開発等を行う。さらに、再生医療の実現化を支える基盤を構築する。（厚労省）
- ・iPS 細胞等の大量培養・分化誘導技術の開発を推進するとともに、開発した技術の統合化を行い、再生医療関連の周辺産業基盤を構築する。また、iPS 細胞等から分化誘導した各種臓器の細胞を応用し、医薬候補品の薬物動態や安全性の評価基盤技術を構築し、幹細胞の創薬応用の促進を図る。（経産省）

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	ゲノム創薬基盤推進研究事業
主管部局・課室名	医政局研究開発振興課
AMED 担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部 ゲノム医療基盤研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
		308,051	308,051

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

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。

【事業目標】

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。

【研究の範囲】

- ・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
- ・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

【期待されるアウトプット】

- ・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】

- ・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

(2) これまでの研究成果の概要

- ・東北メディカル・メガバンク機構が同定した全ゲノム解析情報等を活用して、主要な 14 種類の薬物代謝酵素に見られる遺伝子多型（382 種）を対象に代表的な基質薬物に対するパラメーター（Km, Vmax, CLint）を解析し、jMorp（Japanese Multi Omics Reference Panel）に公開した（令和 3 年 9 月）。（令和 3 年度：終了）
- ・バイオバンク・ジャパンが保有する 14 種のがん患者とその対照群の合計 10 万人以上の検体及び臨床情報を用いて、世界最大規模のがん種横断的ゲノム解析を行った。その結果、BRCA1/2 遺伝子は既に関連が知られている 4 がん種（乳がん、卵巣がん、前立腺がん、膵がん）に加えて、新たに胃がん、食道がん、胆道がんの発がんリスクを

高めることを発見した。(令和3年度:終了)

【期待されるアウトプット】に対する研究成果(令和2~3年度)

- 非臨床 POC の取得件数 2 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 13 件
- 新たな疾患発症メカニズム解明件数 4 件
- 新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 16 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 43 件

【期待されるアウトカム】に対する研究成果(令和2~3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 2 件
- 臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 1 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 5 件

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

これまでに1(2)に記載した研究成果があり、期待されるアウトカムに貢献した。特に、「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」については、令和2~6年度のKPI目標である3件を上回る5件の成果を既にあげている。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの(増額要求等するもの)

個別化医療を一層推進させるためには、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)の機能解析研究等、本領域の採択課題数を増やす必要があり、増額要求する。

(2) 新規研究課題として推進するもの

該当なし。

(3) 令和5年度の研究課題(継続及び新規)に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

ファーマコゲノミクス研究やVUSの機能解析研究により、遺伝子変異・多型と疾患との関連等を明らかにすることで、疾患の発症・重症化予防、早期診断、治療等に資するゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。

II 参考

1 研究事業と各戦略(新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略)との関係

【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)

Ⅲ. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

(4) 再生・細胞医療・遺伝子治療等 ②ゲノム医療の推進

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。

【フォローアップ】（令和4年6月7日閣議決定）

1. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

（4）再生・細胞医療・遺伝子治療等（医療・医薬品）

- ・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。

【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）

第4章 2. 持続可能な社会保障制度の構築（社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進）

（略）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¹⁵⁰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。

【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1章 2. 科学技術・イノベーション政策の3本の柱

（3）先端科学技術の戦略的な推進（戦略的に取り組むべき応用分野）²¹

健康・医療

「健康・医療戦略²²」及び「医療分野研究開発推進計画²³」に基づき、以下の取組を強力に推進する。

（略）

- ・「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。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

4. 4. 1. （1）研究開発の推進

④ゲノム・データ基盤プロジェクト

- ・健常人及び疾患のバイオバンク・コホート等の情報に加え、臨床研究等を行う際のコホート・レジストリ、臨床情報等を統合し、研究開発を推進するために必要なデータ基盤を構築する。また、一人ひとりの治療精度を格段に向上させ、治療法のない患者に新たな治療を提供するといったがんや難病等の医療の発展や、個別化医療の推進など、がんや難病等患者のより良い医療の推進のため全ゲノム解析等実行計画を実施する。特にがんの全ゲノム解析は、臨床実装を見据え、がんの再発分野等の課題を明確に設定した上で推進する。また、細胞のがん化過程をシームレスに追跡できるよう健常人コホートからがん患者の発生を追跡できる研究について検討する。
- ・その際、詳細で正確な臨床情報等が得られる検体を重点的に解析するとともに、個人情報等に配慮しつつ研究開発や創薬等に活用できるデータシェアリングを進め、特に、AMEDで行う研究開発については、研究成果として得られたデータを共有する。
- ・ゲノム・データ基盤の整備を推進するとともに、全ゲノム解析等実行計画等の実行により得られるデータの利活用を促進することで、ライフステージを俯瞰して遺伝子変異・多型と疾患の発症との関連等から疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資す

る研究開発を推進し、病態解明を含めたゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。
・また、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行う。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

○文部科学省、経済産業省研究事業との関係

本研究事業では、主にアカデミア等が実施する臨床研究を支援し、文部科学省は基礎研究を、経済産業省は主に企業支援を実施することにより、革新的な医薬品等の実用化に向けた切れ目のない支援を実施する。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、医療機器・ヘルスケアプロジェクト、再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト、ゲノム・データ基盤プロジェクト、疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	革新的がん医療実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局がん・疾病対策課
AMED 担当部・課名	疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課、創薬事業部 医薬品研究開発課、医療機器・ヘルスケア事業部 医療機器研究開発課、再生・細胞医療・遺伝子治療事業部 遺伝子治療研究開発課、ゲノム・データ基盤事業部 医療技術研究開発課、ゲノム・データ基盤事業部 ゲノム医療基盤研究開発課
省内関係部局・課室名	医政局研究開発振興課

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
		8,673,021	9,013,021

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

平成30年3月に閣議決定された「第3期がん対策推進基本計画」（以下「基本計画」という。）の全体目標として「がん患者を含めた国民が、がんを知り、がんの克服を目指す」ことが掲げられ、「がん予防」、「がん医療の充実」、「がんとの共生」を三本の柱として設定し、がん研究はその基盤として位置づけられた。基本計画に基づいて策定された「がん研究10か年戦略」にしたがって、文部科学省・経済産業省と連携し、がん研究を着実に前進させ、その成果を患者やその家族、医療従事者等に届けることによって、わが国のがん対策全体の一層の充実を図る必要がある。

【事業目標】

基礎・基盤領域の研究成果を確実に医療現場に届けるため、非臨床領域の後半から臨床領域を中心とした、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」に基づいて強力で推進し、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。

【研究の範囲】

がん研究10か年戦略のうち下記項目を対象とする。

- ・がんの本態解明に関する研究
- ・がんの予防法や早期発見手法に関する研究
- ・アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究
- ・患者に優しい新規医療技術開発に関する研究
- ・新たな標準治療を創るための研究
- ・ライフステージやがんの特性に着目した重点研究

【期待されるアウトプット】

本研究事業では、令和6年度までに以下を達成することを目標としている。

①医薬品プロジェクト

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

②医療機器プロジェクト

- ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する課題採択

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

- ・治験に移行した研究課題数 5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

- ・臨床 POC の取得件数 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) 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

【期待されるアウトカム】

本研究事業では、令和6年度までに以下を達成することを目標としている。

①医薬品プロジェクト

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

②医療機器プロジェクト

- ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認

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 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
- ・薬事承認件数 (新薬、適応拡大) 1件以上

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

(2) これまでの研究成果の概要

- ・ウイルス療法は、がん細胞に感染させたウイルスが増えることによって直接がん細胞を破壊する手法で、革新的ながん治療法として期待される。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%と高い有効性を示した (標準治療の1年生存率は14%)。本治験でG47Δの高い有効性が確認されたことを受けて、国内導出先企業とともに、悪性神経膠腫 (膠芽腫を含む悪性脳腫瘍の種類) を適応症としたG47Δの製造販売承認申請を行い、令和3年6月に承認、同年11月に製品化した。
- ・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。
- ・成人で大腸が温存されている家族性大腸腺腫症 (以下FAP) 患者104人に対してランダム化比較試験を実施した。低用量アスピリン服用によりポリープの増大を有意に抑制することを明らかにした。大腸がんの高危険群で大腸全摘出術が標準治療とされて

いる FAP 患者にとって、低用量アスピリン服用により大腸癌の発生を予防・遅延できれば、新たな治療法の選択肢となる。

- ・小児の脳半球に生じる悪性腫瘍である「テント上上衣腫」で、これまで機能が知られていなかったヒト C11orf95 遺伝子が様々な遺伝子と融合した複数の異常遺伝子 (C11orf95 (ZFTA) 融合遺伝子) を発見し、小児悪性脳腫瘍の WHO 分子分類名が変更となる国際的な影響をもたらした。これらの融合遺伝子が腫瘍形成に与える影響について、独自の腫瘍モデル動物を作出して解析を行った結果、いずれの融合遺伝子産物も脳に腫瘍を誘発する活性をもつことを明らかにし、そこで働くがんシグナルとして他の脳腫瘍や基底細胞がん細胞増殖を担う分子である GLI 2 が主要な原因因子であることを突き止めた。更に、腫瘍モデル動物に GLI 2 の機能阻害剤として知られる三酸化ヒ素 (ATO: 製品名トリセノックス) を投与することで、腫瘍進展が抑制される効果が確認された。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

1 (2) で取り上げた、革新的ながん治療法として、悪性脳腫瘍の一種である膠芽腫に対する第三世代のがん治療用ヘルペスウイルス G47 Δ の製造販売承認及び製品化、また、代表的な小児がんである神経芽腫に関して「大量化学療法後の神経芽腫」の治療薬として抗 GD 2 抗体ジヌツキシマブの薬事承認などの取組を実施。

1 (1) に記載したアウトカムについて達成状況は以下のとおり。

①医薬品プロジェクト

- ・シーズの企業への導出件数 6 件
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行 3 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

- ・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

- ・企業へ導出される段階に至った研究課題数 3 件 (うち遺伝子治療の件数 0 件)
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行 6 件
- ・薬事承認件数 (新薬、適応拡大) 1 件

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 1 件

2 令和 5 年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの (増額要求等するもの)

第 3 期がん対策推進基本計画に基づき、がんゲノム医療、免疫療法、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、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 (支持療法) 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。

医薬品分野、再生・細胞医療・遺伝子治療分野では、個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発や免疫療法等をはじめとする新しい治療開発を推進し、がん免疫 (細胞) 療法等の非臨床研究や医師主導治験等を実施する必要がある。

新たな標準治療に向けて、より精度の高い診断に基づく有効な、あるいは低侵襲なり

キッドバイオプシーや、ロボット手術等を用いた標準治療確立のための多施設共同臨床試験、科学的根拠に基づくがんの支持・緩和医療の開発に関する研究を推進する必要がある。また小児・AYA 世代のがん、高齢者のがん、難治性がん、希少がん等に対して、新規治療法及び診断法の開発や、治療法確立・適応拡大を推進するための臨床試験・医師主導治験を支援する必要がある。

ゲノム・データ基盤分野では、難治性のがんの早期発見を可能とする技術、より低侵襲治療を可能とする根治性の高い治療等のために、全ゲノム解析等実行計画に基づいてがんの再発分野等の課題を明確に設定した上で全ゲノム解析を着実に遂行し、日本人のがん全ゲノム配列データベースの構築および臨床実装を推進する必要がある。

(2) 新規研究課題として推進するもの

- ・個別化医療に資するコンパニオン診断薬の研究・開発及び新たながん治療薬の非臨床試験、医師主導治験 (PJ①)

個別化医療の推進に向けて、遺伝子スクリーニング研究結果を基にしたコンパニオン診断薬の研究・開発を加速させるとともに、有効かつ安全性の高い新たながん治療薬の非臨床試験、医師主導治験の支援を強化し、企業との連携強化による企業導出・薬事承認件数の更なる増加を図る。

- ・新規・診断治療における医療機器開発の推進 (PJ②)

がんの早期発見、早期診断においては、低侵襲で効果的、効率的な医療機器の開発、早期実用化が求められていることから、最新の技術を実装した医療機器の薬事承認や企業導出を見据えた臨床研究の支援を行う。特に医療機器クラス分類のⅢ、Ⅳの実用化を目指す医療機器の有効性や安全性が明らかとなる臨床研究を重点的に推進する。

- ・遺伝子改変免疫細胞 (CAR-T) による難治性がんを対象とした医師主導治験 (PJ③)

FITC で標識したがん認識抗体と FITC を認識する CAR-T 細胞による難治性 B 細胞性悪性リンパ腫を対象とした第 I 相医師主導臨床試験においては、使用する抗体を外部 CMO と協力して GMP 製造を終え、既に治験が開始されている。これまでに投与された被験者においては重篤な副作用もみられず、がんの縮退といった優れた抗腫瘍効果が確認されており、今後は実用化にむけて、製薬企業とのマッチング支援等の強化を図ることが必要となる。

- ・がん・難病全ゲノム解析等実行プログラムの立ち上げ、推進 (PJ④)

難治性疾患実用化研究事業との事業間連携により新たにプログラム (仮称：がん・難病全ゲノム解析等実行プログラム) を新設する予定であり、令和元年 12 月に策定した全ゲノム解析等実行計画 (第 1 版) の遂行に必要な研究開発、つまり、①全ゲノム解析等の実施や臨床情報の収集、②その解析、患者還元、③解析結果データ等の集約的管理と統一的なルールに基づく利活用に係る実践的検討に必要な研究を行う。

- ・子宮頸がんワクチン (キャッチアップ接種) の有効性と安全性評価に関する研究 (PJ④)

子宮頸がんワクチンは平成 25 年 4 月より 12 歳～16 歳の女性に対して定期接種が開始されたが、平成 25 年 6 月に因果関係不明な持続的な疼痛の発生等が明らかとなり、積極的接種勧奨が中止となった。そして第 27 回厚生科学審議会予防接種・ワクチン分科会において子宮頸がんワクチンの安全性に特段懸念がない事、有効性が副反応のリスクを明らかに上回ることが認められ、令和 4 年 4 月から 3 年間接種の機会を

逸した対象者にキャッチアップ接種を行う事となった。これは本来の対象年齢以外を対象としたワクチン接種であるため、キャッチアップ接種対象者を追跡・評価することにより我が国におけるワクチン接種率の向上につながる重要なエビデンスを得られる可能性があり、子宮頸がんの予防に繋がることが期待される。

- ・非翻訳領域におけるゲノム異常の臨床的意義付けと新規医療シーズ開発に資する研究 (PJ⑤)

現行のがん遺伝子パネル検査の結果によって個々の患者に適した分子標的治療薬が届く割合は10%程度であり、有効治療薬の選択肢の拡充のための新薬開発や既存薬の適応拡大が重要である。全ゲノム解析等実行計画による質の高い全ゲノム・臨床データの利活用を介した、非翻訳領域におけるゲノム異常の臨床的意義付け等による本態解明と、それに基づく新規医療シーズの開発に関する研究を推進する。

- ・がん研究の未来を担う若手研究者の育成支援 (PJ①、PJ②、PJ③、PJ④、PJ⑤)

「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、将来にわたる持続的な事業展開を図るためには、次世代を担う人材を積極的かつ実践的に育成することが必須である。そのため、専門技術や研究者間の連携機会等の提供を行い、異分野融合等によって新たな切り口を創生する挑戦的で意欲的な若手研究者の支援と育成に資する新しい仕組み《若手育成プログラム(仮称)》を構築し、運用推進にあたる。

(3) 令和5年度の研究課題(継続及び新規)に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

全ゲノム解析等のデータについて、個人情報等への十分な配慮がなされる体制のもと、臨床情報と併せたデータベースを構築するなど、データシェアリングが可能となるよう整備を進め、創薬につなげていく。

臨床現場等から得られた情報をもとに、がん組織を構成する病理学的特性、生化学・代謝系特性、免疫学的特性、幹細胞等を含む多様性・可塑性等の生物学的特性を、がんと宿主(患者)の相互作用の観点を交えて明らかにする。それにより、がん組織をより深く理解し、がんの発生・浸潤を強力に制御することのできる予防法や治療法の開発につなげる等、日本発となる新たながんの治療法・診断法等の確立を目指す。また、引き続き、臨床試験等を通じ、革新的ながん治療薬の創出や小児がん、難治性がん、希少がん等に関する治療薬の実用化等を目指すとともに、得られた研究成果のガイドラインへの反映等を通じ、がん治療の向上と均てん化を更に進めていく。

II 参考

1 研究事業と各戦略(新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略)との関係

【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)

III. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

(4) 再生・細胞医療・遺伝子治療等

①再生・細胞医療・遺伝子治療

再生・細胞医療・遺伝子治療については、新たな医療技術の臨床研究・治験の推進、これらの医療技術の製品化に向けた研究開発、治療に用いる細胞・ベクター(ウイルスなど細胞へ遺伝子を導入するための媒介)の製造基盤強化、人材育成等を進め、有効な技術を実用化につなげる。再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い、遺伝

子治療におけるゲノム編集技術を再生・細胞医療に応用するなど一体的な研究開発や臨床研究拠点の整備を進める。

②ゲノム医療の推進

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。

【フォローアップ】（令和4年6月7日閣議決定）

1. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

（4）再生・細胞医療・遺伝子治療等（医療・医薬品）

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。

【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）

第4章 中長期の経済財政運営

2. 持続可能な社会保障制度の構築

（社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進）

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。

【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1章 2. 科学技術・イノベーション政策の3本の柱

（3）先端科学技術の戦略的な推進

① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

（戦略的に取り組むべき応用分野）

健康・医療

○医療分野の研究開発の推進として、他の資金配分機関、インハウス研究機関、民間企業とも連携しつつ、AMEDによる支援を中核として、医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進する

第2章 4. 官民連携による分野別戦略の推進

（5）健康・医療

今後の取組方針

○「全ゲノム解析等実行計画」を速やかに改定し、がん・難病に関して既存の医療では診断困難若しくは根治の可能性が低いものの、全ゲノム解析等を用いることにより、より精度の高い診断・治療に係る効果が見込まれる患者を対象に、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す。この取組を通じ、全ゲノム解析等の解析結果をより早期に日常診療へ導入していくとともに、新たな個別化医療の提供を実現。さらに、我が国の強みとなる詳細な経時的臨床情報の収集や、全ゲノム解析と併せたマルチオミックス解析の実施といった戦略的なデータの蓄積を進め、蓄積されたデータを用いた研究・創薬等を推進し、がん・難病等の克服に向け、必要な体制を整備。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

4. 4. 1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進

- ・第2期となる本戦略では、モダリティ等を軸とした統合プロジェクトに再編し、横断的な技術や新たな技術を、多様な疾患領域に効果的・効率的に展開する。～中略～
具体的には、統合プロジェクトを①～⑥のとおり再編するとともに、AMEDによる支援を中核として、以下の点に留意しながら研究開発を推進する。
- ・アカデミアによる医療への出口を見据えたシーズ研究を行うとともに、こうしたシーズも活かしつつ産学連携による実用化研究・臨床研究を行うほか、臨床上の課題を基礎研究にフィードバックするリバース・トランスレーショナル・リサーチ（rTR）を行う。さらに、研究開発に対する相談・助言などの伴走支援を行うことで、基礎から実用化までの一貫した研究開発や循環型の研究開発の推進と成果の実用化を図る。
- ・「予防／診断／治療／予後・QOL」といった開発目的を明確にした技術アプローチを行う。これにより、ライフステージを俯瞰し、健康寿命延伸を意識した取組とする。

① 医薬品プロジェクト

- ・医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

- ・AI・IoT技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化のための医療機器・システム、医療現場のニーズが大きい医療機器や、予防・高齢者のQOL向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。

③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

- ・再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床・臨床研究や製造基盤技術の開発、疾患特異的iPS細胞等を活用した難病等の病態解明・創薬研究及び必要な基盤構築を行う。

④ ゲノム・データ基盤プロジェクト

- ・健常人及び疾患のバイオバンク・コホート等の情報に加え、臨床研究等を行う際のコホート・レジストリ、臨床情報等を統合し、研究開発を推進するために必要なデータ基盤を構築する。また、一人ひとりの治療精度を格段に向上させ、治療法のない患者に新たな治療を提供するといったがんや難病等の医療の発展や、個別化医療の推進など、がんや難病等患者のより良い医療の推進のため全ゲノム解析等実行計画を実施する。特にがんの全ゲノム解析は、臨床実装を見据え、がんの再発分野等の課題を明確に設定した上で推進する。また、細胞のがん化過程をシームレスに追跡できるよう健常人コホートからがん患者の発生を追跡できる研究について検討する。～中略～
- ・ゲノム・データ基盤の整備を推進するとともに、全ゲノム解析等実行計画等の実行により得られるデータの利活用を促進することで、ライフステージを俯瞰して遺伝子変異・多型と疾患の発症との関連等から疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進し、病態解明を含めたゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。

⑤ 疾患基礎研究プロジェクト

- ・医療分野の研究開発への応用を目指し、脳機能、免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。

○ 疾患領域に関連した研究開発

- ・特に、2040年の人口動態を見据え、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野に係る研究開発を戦略的・体系的に推進する観点から、がん、生活習慣病（循

環器、糖尿病等)、精神・神経疾患、老年医学・認知症、難病、成育、感染症(薬剤耐性(AMR)を含む)等については、具体的な疾患に関して統合プロジェクトにまたがる研究課題間の連携が常時十分に確保されるよう運用するとともに、統合プロジェクトとは別に、予算規模や研究開発の状況等を把握・検証し、対外的に明らかにするほか、関係府省において事業の検討等の参考にする。

- ・このため、AMEDにおいて、統合プロジェクト横断的に対応できる体制の下で、特定疾患ごとのマネジメントを行う。～中略～その際、難病やがん等の疾患領域については、病態解明等の基礎的な研究から医薬品等の実用化まで一貫した研究開発が推進されるよう、十分に留意する。

(がん)

- ・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・治療薬の開発や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

2 他の研究事業(厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業)との関係

- ・厚生労働科学研究(がん対策推進総合研究事業)との関係

がん対策に関するさまざまな政策的課題を解決するため、「がん研究10か年戦略」で掲げられた以下の2領域について、介入評価研究も含めた調査研究等を中心に推進する。

領域7: 充実したサバイバーシップを実現する社会の構築をめざした研究領域

領域8: がん対策の効果的な推進と評価に関する研究領域

AMEDが実施する革新的がん医療実用化研究事業は、革新的ながん治療薬の開発や小児がん、希少がん等の未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた研究等を目的としている。一方、厚生労働科学研究費で実施するがん政策研究事業は、こうした研究開発の成果を国民に還元するための、がんに関する相談支援、情報提供の方策に関する研究や、がん検診、がん医療提供体制の政策的な課題の抽出とその対応方針を決定するための研究等を実施し、研究成果を施策に反映することを目的としている。

- ・AMED内、他省庁研究事業との関係

(文部科学省)

次世代がん医療加速化研究事業:

がんの生物学的な本態解明に迫る研究、がんゲノム情報など患者の臨床データに基づいた研究及びこれらの融合研究を推進することにより、がん医療の実用化に資する研究を推進している。

(経済産業省)

先進的医療機器・システム等技術開発事業(一部):

先進的な医療機器・システム及び基盤技術を開発し、薬機法における承認審査の迅速化のための開発ガイドラインを策定している。

(総務省)

8K等高精細映像データ利活用研究事業:

8K内視鏡システムを応用し、高精細な8K手術映像データをスムーズに送受信可能とする遠隔手術支援システムの開発及びそれらの有用性等について検証等を行う研究事業。

高度遠隔医療ネットワーク研究事業:

遠隔手術に必要なネットワークやセキュリティといった通信環境の検討・整理に資するため、実際にロボット手術機器やネットワーク等を用いて遠隔手術の概念実証を行う研究開発を実施し、各学会における遠隔手術ガイドラインの策定に寄与する研究事業。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト、疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	認知症研究開発事業
主管部局・課室名	老健局総務課
AMED担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部 医療技術研究開発課 疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課
省内関係部局・課室名	老健局認知症施策・地域介護推進課

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	1,032,927	1,058,097	1,118,502

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

平成27年に策定された認知症施策推進総合戦略（新オレンジプラン）の6本目の柱「認知症の予防法、診断法、治療法、リハビリテーションモデル、介護モデル等の研究開発及びその成果の普及の推進」、また平成31年からは新オレンジプランの後継として策定された認知症施策推進大綱の5本目の柱である「研究開発・産業促進・国際展開」に沿って研究開発を推進している。認知症大綱においては「共生」と「予防」を車の両輪として施策を推進していくこととしており、予防に向けた取組みの一つとして認知症の発症や進行の仕組みの解明や予防法・診断法・治療法等の研究開発を強化する必要がある。

【事業目標】

認知症発症や進行の仕組みの解明、予防法、診断法、治療法、リハビリテーション、介護モデル等、様々な病態やステージの研究開発を推進する。また全国規模で把握した認知症の実態に基づいて、既存のコホートを活用しながら、認知症の人等の研究・治験への参加の仕組みの構築等を推進する。そしてこれらの成果を、認知症の早期発見や診断法の確立、根本的治療薬や予防法の開発につなげる。

【研究の範囲】

- ・ 認知症の病態解明を目指した包括的研究
- ・ 予防法・診断法・治療法・介入法等の開発・検証及びその成果の普及を目指す研究
- ・ 課題解決に資する基礎的知見の収集・臨床研究の支援推進を目的とした全国的なコホート・レジストリ研究

【期待されるアウトプット】

認知症のバイオマーカーの開発・確立および認知症の予防・治療法開発に資するデータベースの構築と実用化、薬剤治験に即刻対応できるコホートの構築などを推進し、以下の成果を目指す。

<ゲノム・データ基盤PJ>（令和2～令和6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 60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（管理指標）
- ・ 新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 1件

【期待されるアウトカム】

認知症の予防法、診断法、治療法、リハビリテーションモデル、介護モデル等に関する

るエビデンスの提供を行うことにより、早期診断・重症度判定に有用なバイオマーカーが得られるとともに、今まで困難を極めていた認知症疾患修飾薬の臨床治験の迅速化が期待される。

(2) これまでの研究成果の概要

- 「脳内アミロイドβ蓄積を反映する血液バイオマーカーの臨床応用に向けた多施設共同研究」(平成28～30年度)では、企業と共同で血液バイオマーカーを開発し、それが脳内Aβ蓄積量と相関し、脳内Aβ蓄積有無の推定に有用であることをオーストラリアの研究グループ(AIBL)との共同研究で明らかにし、Nature誌に発表した(平成30年2月)。その後、国内外大規模コホートの既存サンプルにおいて血液アミロイドβバイオマーカーの測定を行い、血液バイオマーカーがNature誌で平成30年2月に報告した結果と遜色のない検査性能を持つことが確認された(令和元年12月)。
- 「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」(平成28年度～令和2年度)では、全国8地域における地域高齢住民11,957名を対象とした認知症コホート研究のベースライン時における臨床情報、頭部MRI画像情報、食事調査情報、保存生体試料に関するデータベース構築を完了した。
- 「認知症プレクリニカル期・プロドローマル(発病前)期を対象とするトライアルレディコホート構築研究」(令和元年～5年度)においてウェブスタディを構築し、運用を開始した。令和元年10月末にウェブスタディを公開し、令和3年12月の時点で登録者数は7,060名となっている。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- 「脳内アミロイドβ蓄積を反映する血液バイオマーカーの臨床応用に向けた多施設共同研究」(平成28～30年度)の成果である血液バイオマーカーは、認知症の早期診断・早期対応の体制整備に向けて活用できる。
- 「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」(令和元年～5年度)で構築・運用しているウェブスタディは、今後オンサイトスタディを実施する体制を構築することで、治験ニーズに対応する体制が整備される。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの(増額要求等するもの)

- (「血液バイオマーカーを用いた超早期アルツハイマー病コホートの構築」(令和2～5年度)、「画像・バイオマーカー縦断コホート研究によるプレクリニカルアルツハイマー病進行機序の解明」(令和3～7年度)、「多施設連携プラットフォーム(MABB)を基盤にした各種認知症性疾患に対する日本発の包括的な診断・層別化バイオマーカーシステムの確立」(令和3～7年度)、「血液バイオマーカーと神経画像検査によるBPSDの生物学的基盤の解明、および認知症者の層別化に基づいたBPSDケア・介入手法の開発研究」(令和3～7年度)、「疾患修飾薬の実用化を見据えた認知症性疾患の標準的診断方法の標準化と普及を目指す研究」(令和3～5年度))。

代表的な認知症疾患であるアルツハイマー病(AD)患者の脳内には非AD性病態(病変)も混在することが多いため、新規薬剤の治験を行う上で大きな問題となっている。

このため、認知症発症者・予備群の脳内に存在する病態（病変）の層別化、および層別化に必要な各種診断技術の標準化を目的として、上述の研究班が互いに連携しながら研究を実施している。これらの研究班の成果は既存および今後新たに開発される認知症疾患修飾薬の治験に貢献すると同時に、各研究班から得られた自然歴の追跡データは今後の我が国における認知症研究の発展に資するものであることから、連携体制の強化のための増額が必要である。

- 「後向きコホートデータを基盤とした認知症性疾患の層別化と病態機構解明に資する研究」（令和4～7年度）

後向きコホート研究は患者と健常者集団の遺伝子を比較することにより、リスク遺伝子の発見をおこなうものであり、得られたリスク遺伝子候補を検証することによりリスク遺伝子の確度を向上させる必要があり、そのため、各種オミックス解析や先行研究により蓄積されたデータ利活用、さらには前向きコホート研究である「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」との連携体制の強化のための増額が必要である。

（2）新規研究課題として推進するもの

- 「遺伝性認知症を対象としたコホートの構築」

遺伝性認知症の多くは若年性認知症を発症し、心理的にも負担が大きいことから病態解明と治療薬開発を重点的に推進する必要がある。例えば前頭側頭型認知症の原因遺伝子は必ずしも病型に1対1に対応しないため、原因遺伝子の判明した遺伝性認知症のコホートを形成し、病態の解明を促進し、病態に即した臨床治験を進めることが必要である。そのため、遺伝性認知症を対象としたコホートによる認知症性疾患の病態解明と病態に即した臨床治験に資する研究を推進する。

- 「臨床サンプル・データを用いた認知症性疾患の病態解明のための研究」

認知症発症の直接的要因はシナプス機能障害（脱落）とそれに続く神経細胞死であることが明らかである一方、アルツハイマー病（AD）をはじめとする認知症性疾患で認められる病理・病態がどのようなメカニズムで神経細胞の障害を引き起こすのかは不明である。このため、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の遂行が不可欠である。

（3）令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- 「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リアルレディコホート構築研究」を活用し、各層別化研究班（「血液バイオマーカーを用いた超早期アルツハイマー病コホートの構築」、「画像・バイオマーカー縦断コホート研究によるプレクリニカルアルツハイマー病進行機序の解明」、「多施設連携プラットフォーム(MABB)を基盤にした各種認知症性疾患に対する日本発の包括的な診断・層別化バイオマーカーシステムの確立」、「血液バイオマーカーと神経画像検査によるBPSDの生物学的基盤の解明、および認知症者の層別化に基づいたBPSDケア・介入手法の開発研究」、「疾患修飾薬の実用化を見据えた認知症性疾患の標準的診断方法の標準化と普及を目指す研究」が連携して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。

○「遺伝性認知症を対象としたコホートの構築」

遺伝性認知症を登録し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本研究の成果は、若年性認知症者へ希望を与えるという貢献とともに、原因蛋白（ターゲット分子）の明らかな認知症病態を詳細に検討し、（ターゲット分子の適合した）適切な臨床治験を推進する取り組みをおこなう。

○「臨床サンプル・データを用いた認知症性疾患の病態解明を目的とする研究」

従来の認知症を対象とする疾患基礎研究では、認知症患者の脳内で進行する病態を正しく反映していない可能性がある遺伝子改変マウスが用いられてきた。本研究では、ゲノムや各種オミックス解析の結果のみならず、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が期待される。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

III. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

1. 人への投資と分配

（4）子供・現役世代・高齢者まで幅広い世代の活躍を応援

安定的な財源を確保しつつ、以下の取組を進める。

⑥認知症対策充実、介護予防の充実・介護休業の促進等

今後も認知症の方が増加することを踏まえ、認知症に関する総合的な施策を推進することとし、地域包括支援センター等の身近な拠点を活用した認知症の方を含む要介護者及び家族介護者等への伴走型支援や、成年後見・権利擁護支援等について議論を進める。

【フォローアップ】（令和4年6月7日閣議決定）

I. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

1. 人への投資と分配

（4）子供・現役世代・高齢者まで幅広い世代の活躍を応援

（認知症の総合的な施策の強化）

・認知症の共生と予防の実現に向けて、「認知症施策推進大綱」（令和元年6月18日認知症施策推進関係閣僚会議決定）に基づき、日本認知症官民協議会とも連携して認知症に関する施策を進める。官民連携での予防の評価指標・手法の確立と認知症当事者が主体的に関与し製品開発を行う仕組みの運用を2022年度までに行う。また、認知症の予防法や治療法の確立に向けて、2025年度までに認知症のステージ別コホート研究の体制を構築すること等により、認知症研究を強化する

【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）

第2章 新しい資本主義に向けた改革

2. 社会課題の解決に向けた取組

（2）包摂社会の実現

（共生社会）

長生きが幸せと思える社会の実現のため、高齢者の豊富な人生経験が尊重され、心通う拠り所となり、誰もが繋がりあえる地域づくりを推進する。認知症施策推進大綱53に基づ

き、認知症サポーターが地域で活躍できる場の整備等認知症の人や家族に対する支援を推進するとともに、第二期成年後見制度利用促進基本計画54に基づき、成年後見制度を含めた総合的な権利擁護支援の取組を推進する。

(共助・共生社会づくり)

「認知症施策推進大綱」に基づく施策を実施するとともに、成年後見制度の利用を促進する。ヤングケアラーについて、早期発見・把握、相談支援など支援策の推進、社会的認知度の向上などに取り組む。性的指向、性自認に関する正しい理解を促進するとともに、社会全体が多様性を受け入れる環境づくりを進める。

【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1章 総論

3. これまでの取組の評価・課題と重点的に取り組むべき事項

(4) 官民連携による分野別戦略の推進

(戦略的に取り組むべき応用分野)

健康・医療

「健康・医療戦略 22」及び「医療分野研究開発推進計画 23」に基づき、以下の取組を強力に推進する。

- ・ 医療分野の研究開発の推進として、他の資金配分機関、インハウス研究機関、民間企業とも連携しつつ、AMEDによる支援を中核として、医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進するとともに、ムーンショット型研究開発制度において、挑戦的な研究開発を推進し、先端技術の速やかな社会実装を加速する。
- ・ AMEDが支援した研究開発から得られたデータの利活用プラットフォームとして、産学の研究開発において品質管理されたデータを安全・安心かつ効率的に利活用するための仕組みについて検討し、早期の運用開始を目指す。

第2章 Society 5.0の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

4. 官民連携による分野別戦略の推進

(戦略的に取り組むべき応用分野)

(5) 健康・医療

AMEDが支援した研究開発のデータを産学官の研究開発で活用するため、AMEDに構築するデータ利活用プラットフォームを用いて、ゲノム情報の利活用を2022年度中に開始。また、企業によるデータ利活用や複数の研究間でのデータの利活用ができるよう、研究参加者の同意の在り方を関係府省・関係機関連携して整理し、2022年度から順次適用。

【健康・医療戦略】(令和2年3月27日閣議決定)

4. 具体的施策

4. 1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進

○ 疾患領域に関連した研究開発

(老年医学・認知症)

- ・ モデル生物を用いた老化制御メカニズム及び臓器連関による臓器・個体老化の基本メカニズム等の解明
- ・ 認知症に関する薬剤治験対応コホート構築やゲノム情報等の集積及びこれらを活用したバイオマーカー研究や病態解明等
- ・ 認知症に関する非薬物療法の確立及び官民連携による認知症予防・進行抑制の基盤整備

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

厚生労働省科学研究費「認知症政策研究」は政策策定に関係する研究を主に進めており、本研究事業をはじめ AMED の研究で得られた知見を実社会で適応・活用させるためのベースをつくるものである。例えば、AMED で見いだされた病態解明や発病予測などをどのように適正に活用するか、およびどのように重症化防止や支援に用いるかなどを行おうとしている。また、本研究事業は疾患領域として、ゲノムやバイオマーカーによる病態解明については「脳科学研究戦略推進プログラム」、脳画像等については「革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト」、またケア・予防等については「認知症対策官民イノベーション実証基盤整備事業」「認知症対応型 AI・IoT システム研究推進事業」との連携を推進している。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	障害者対策総合研究開発事業（精神障害分野）
主管部局・課室名	社会・援護局障害保健福祉部／精神・障害保健課
AMED担当部・課名	ゲノム・データ基盤 医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
		319,432	367,216

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

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。精神疾患の根本的な病因は未解明であり、また臨床的特徴や脳病態が不均一な患者を対象とするため、薬剤開発の成功率が低く、製薬企業の多くが精神疾患治療薬の開発から撤退している。したがって、精神疾患の病因や根本的治療法の開発とこれらを促進するデータ利活用に関する研究が強く求められている。

【事業目標】

①客観的診断法の確立と治療の最適化、②心の健康づくり等に資する研究開発の推進、③依存症の治療回復に資する研究開発の推進、④精神障害分野の研究促進におけるデータ利活用に関する研究を 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。

【研究の範囲】

① 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）評価法の確立」「精神疾患の適正な治療法の確立」を行い、社会実装を可能とする研究を推進する。
- ・コロナ感染後の精神症状に関連する生物・心理・社会的（BPS（※））な縦断データを解析し、精神疾患の新規治療法の開発並びに病態解明を促進する。

②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、全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・支援を図るための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。

③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・支援等に関する研究を推進する。

④精神障害分野の研究促進におけるデータ利活用に関する研究

- ・精神疾患レジストリを用いた研究創出、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、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（橋渡し研究）に資する研究等を行う。

※BPS：Bio-Psycho-Social

【期待されるアウトプット】

- ①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
- ②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等
- ③物質使用症や嗜癖行動症等の嗜癖性疾患の発症危険因子・重症化予測因子・高リスク群の同定、新規治療法の開発等
- ④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
- 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促進におけるデータ利活用に関する研究構築が推進されることで、精神疾患の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法の確立が促進される。
- 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

(2) これまでの研究成果の概要

- ・統合失調症患者と健常者の末梢血液からヒトリンパ芽球様細胞株を作製して、タンパク質の発現変化を網羅的に解析した結果、統合失調症のバイオマーカー候補となるタンパク質を複数同定した。最適な組み合わせを検証し、予測モデルから統合失調症患者と健常者を高い精度で判別できることを可能にした（平成 31 年 4 月公表）
- ・ひきこもり者の回避状態の評価や精神疾患の除外診断が、診断を困難にさせていたが、これらの有無を問わない独自の国際的に通用する病的な「ひきこもり（hikikomori: pathological social withdrawal）」の診断評価基準を開発した（令和元年 12 月、World Psychiatry に掲載）
- ・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した。そして治療効果検証試験（医師主導治験）に向けたプロトコルを作成した（令和 2 年 2 月）。
- ・精神疾患レジストリのシステム構築を完了し、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を開始した（令和 2 年 7 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を、ヒトとマウスのクロスバリデーション研究にて発見した（令和 2 年 10 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）。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- ・統合失調症のバイオマーカー候補となるタンパク質を複数同定し、最適な組み合わせを検証し、統合失調症患者の客観的診断法の開発に寄与した。
- ・国際的に通用する病的な「ひきこもり（hikikomori: pathological social withdrawal）」の診断評価基準を開発し、ひきこもりの予防や早期支援に向けた新し

い支援体制の構築、国際的な実態把握と介入法開発の進展に寄与した。

- ・覚せい剤依存患者を対象とした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し、依存症の治療回復に資する研究開発の推進に寄与した。
- ・精神疾患レジストリのシステム構築を完了し、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を開始し、今後のデータ利活用研究の推進に寄与した。
- ・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。
- ・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が新型コロナウイルス感染流行下での、メンタル不調者支援法の開発に寄与した。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの(増額要求等するもの)

- 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
 - ・精神疾患レジストリを用いて、縦断的な経過を含む生体情報、臨床情報を基に、精神疾患の治療効果、転帰の予測因子を明らかにするとともに、新たな層別化を行う。特に、日本精神神経学会等の関連学会や日本精神科病院協会と連携して、レジストリデータの収集を促進するとともに、大規模データの解析による質の高い研究利活用を推進する。
- ゲーム行動症における視聴覚刺激による嗜癖行動悪化のメカニズム：アルコール依存症との比較を通じた検証
 - ・行動実験・fMRI (Functional magnetic resonance imaging)・機械学習の技術を組み合わせ、ゲーム行動症におけるゲームを連想させる刺激(cue 刺激)による嗜癖行動悪化メカニズムの解明を推進する。特にDeep Learningの技術を駆使することで、ゲーム障害・アルコール依存症に特異的な表情変化を検出し、ニューロフィードバック等による治療法開発に繋げる。

(2) 新規研究課題として推進するもの

- ① 客観的診断法の確立と治療の最適化
 - 精神医療における客観的診断法の確立と、治療の最適化に関する研究
 - ・現時点である程度臨床で活用できる指標を用いて、プレジジョンメディシン(遺伝情報等に基づく精密医療)に資する研究を行い、疾患異種性を克服しうる、個人の特性を踏まえた、治療法の最適化や治療効果予測を確立する。さらに生物学的観点を踏まえた、新たな客観的診断法の開発や精神疾患の病態解明も目指す。
 - ・精神療法やリハビリ等の心理社会的介入手法は多岐にわたり、一定の効果も検証されているが、どのようにこれら手法を組み合わせることで、就労・就学、QOL向上などの社会的転帰を改善するのか、十分な検証は行われていない。そこで、包括的な治療・介入プログラムを開発し、大規模な検証を行う。
 - ・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生物・心理・社会的(BPS)なデータを解析し、精神疾患の新規治療法の開発並びに病態解明を促進する。
- ② 心の健康づくり等に資する研究開発の推進
 - 精神疾患や発達障害における早期発見、新規治療・支援法等に関する研究プロトコル開発
 - ・精神疾患や発達障害の早期発見や新規治療法に関する研究、並びに当事者やその家族に対する新たな心理社会的治療や介入方法、支援プログラム等の研究プロトコルを開

発する。また、わが国のシステムの中で実装化するため、既存の介入手法等の検証研究を立案する。

③ 依存症の治療回復に資する研究開発の推進

○精神疾患や発達障害における早期発見、新規治療・支援法等に関する研究プロトコル開発

- ・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の嗜癖行動症を含む嗜癖性疾患において、依存形成メカニズム等の病態解明や早期発見及び新規治療法に関する研究プロトコルの開発、並びに当事者やその家族に対する新たな心理社会的治療や介入方法、支援プログラム等の包括的な支援に関する研究プロトコルの開発を行う。

(3) 令和5年度の研究課題(継続及び新規)に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

○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
・精神疾患レジストリを利活用して、縦断的な経過を含む生体情報、臨床情報を基に、精神疾患の治療効果、転帰の予測因子を明らかにするとともに、新たな層別化を行うことによって、治療の最適化を推進できる。

○ゲーム行動症における視聴覚刺激による嗜癖行動悪化のメカニズム：アルコール依存症との比較を通じた検証

- ・行動実験・fMRI・機械学習の技術を組み合わせ、ゲーム障害におけるcue刺激による嗜癖行動悪化メカニズムの解明を行い、根本的治療法の開発を進展できる。

○精神医療における客観的診断法の確立と、治療の最適化に関する研究

- ・疾患異種性を克服しうる、個人の特性を踏まえた、治療法の最適化や治療効果予測を確立し、社会実装を促進する。
- ・精神療法やリハビリ等の心理社会的介入手法を組み合わせた包括的な治療・介入プログラムの社会実装を促進する。
- ・コロナ等の新興感染症感染後の精神症状に関連する生物・心理・社会的(BPS)なデータを解析し、精神疾患の新規治療法の開発並びに病態解明を促進する。

○精神疾患や発達障害における早期発見、新規治療・支援法等に関する研究プロトコル開発

- ・依存形成メカニズム等の病態解明や早期発見及び新規治療法に関する研究プロトコル、並びに当事者やその家族に対する新たな心理社会的治療や介入方法、支援プログラム等の包括的な支援の研究プロトコルを検証研究へと進展させ、依存症の治療回復を促進できる。

II 参考

1 研究事業と各戦略(新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略)との関係

【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)

第2章 新しい資本主義に向けた改革

2. 社会課題の解決に向けた取組

(2) 包摂社会の実現

(共生社会づくり)

障害者の就労や情報コミュニケーション等に対する支援、難聴対策、難病対策等を着実に推進する。感染症による不安やうつ等を含めたメンタルヘルスへの対応を推進する。

第4章 中長期の経済財政運営

2. 持続可能な社会保障制度の構築

(社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進)

医療・介護費の適正化を進めるとともに、医療・介護分野でのDX140を含む技術革新を通じたサービスの効率化・質の向上を図るため、デジタルヘルスの活性化に向けた関連サービスの認証制度や評価指針による質の見える化やイノベーション等を進め、同時にデータヘルス改革に関する工程表にのっとりPHRの推進等改革を着実に実行する。

【健康・医療戦略】(令和2年3月27日閣議決定)

4. 5. 1. 医療分野の研究開発に関するKPI

○ ゲノム・データ基盤プロジェクト

(データ基盤を活用した研究に関する指標)

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 25件
- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 15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 5件

2 他の研究事業(厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業)との関係

本事業で得られた新たな疾患概念、バイオマーカー等を含む客観的診断法、治療効果予測法を含む治療最適化の知見を、厚生労働科学研究における精神疾患等の新たな診療ガイドラインの策定に反映させる。

また、本事業で得られたバイオマーカー等の生物学的指標等の知見を文科省研究事業(脳科学研究戦略推進プログラム・革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト・戦略的国際脳科学研究推進プログラム)等に反映し、精神疾患の発症メカニズム解明等に寄与する。

また、本事業で得られた知見を元に、精神科診療における診断の標準化と診断精度の向上のため、AI等を用いた客観的で高精度な診断技術の開発をAMED関連事業と連携して実現する。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	障害者対策総合研究開発事業（身体・知的・感覚器）
主管部局・課室名	社会・援護局障害保健福祉部 企画課
AMED担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部 医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	老健局高齢者支援課認知症・虐待防止対策推進室

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
		204,749	169,738

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

（1）研究事業の目的・目標

【背景】

わが国では障害者総合支援法に基づいて、難病も含めた障害児・者がその障害種別を問わず地域社会で共生できるための総合的な支援が推進されている。疾患を発症して障害児・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であり、その実現のための障害児・者への医療、ケア等に資する技術開発を推進する必要がある。

【事業目標】

障害児・者に、より質の高い支援をしていくため、障害特性を踏まえた各種ガイドライン等に資するエビデンス創出や、補装具等の開発につなげることを目標とする。また、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・感覚器障害の原因となる疾患や神経・筋疾患等についての病因・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、重症化軽減等の先進的・実践的な研究・開発を推進し、普及可能な技術を確立することで、障害者に対する医療の向上、障害者の生活や就労の向上、障害者の地域社会での共生を進めることを目標とする。

【研究のスコープ】

身体・知的等障害分野においては、障害児・者とその家族への効果的なリハビリ・生活支援システムの開発、災害時における避難及び避難先での生活・健康維持に関する支援方法の開発、AI等の先進技術を用いたリハビリテーション法・機器の開発研究を推進し、さらに障害者家族の高齢化を見据え、独居やグループホーム等で実際に自立生活を可能にするような住居支援に関するデータ集積・技術システム開発研究を推進する。また、身体・知的・感覚器障害分野では、障害特性に合わせて特技や経験を活かす仕事を障害者が主体的に選択し、能動的に社会参加することのできる就労マッチング支援手法に関するデータ集積・技術システム開発研究を推進し、臨床知見に着眼した医療・支援の質の向上を実現する診断・治療の最適化・層別化研究も推進する。

感覚器障害においては、障害者の地域社会での共生の実現に向けた研究や災害時における避難及び避難先での生活・健康維持に関する支援方法の開発、臨床知見に着眼した感覚器障害の医療・支援の質の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を推進し、さらに軽度・中等度を含む難聴児の療育や社会参加の向上を実現するための効果的な補聴器の適応に関する研究も推進する。

【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（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高齢化・重度化（疾病罹患率の上昇や身体・精神機能の低下）や二次障害への介入プログラムの確立や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確立をめざす。

②障害児・者とその家族が直面する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は精神障害との合算）

（2）これまでの研究成果の概要

- ・進行した ALS 患者等を含む障害者のコミュニケーション支援機器の製品モデルを完成させた（平成 30 年度終了課題）。さらに、疾患横断的な有用性を検証し、製品の低コスト化を実現した（令和 2 年度：終了）。
- ・末梢前庭障害に伴うめまい・平衡障害に対する新規治療法を開発し、医師主導治験を実施中である。（平成 30 年度：終了、令和元年度より別事業で実施）
- ・運動想像中の脳活動を用いて、神経機能ネットワークの可塑的变化を誘導する NIRS（近赤外線分光法）ニューロリハシステムの医療機器認証にむけて、脳卒中後歩行障害患者の機能回復促進効果を確認する検証的医師主導治験実施のためのプロトコル開発を行い、治験導出した（令和元年度：終了）。
- ・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（令和 2 年度発表）。
- ・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 年度 3 月）。

（3）これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- ・進行した ALS 患者等を含む障害者のコミュニケーション支援機器の実用化により、尊厳ある自立した生活を営む可能性が開かれた。また、製品の低コスト化を実現し、実用化が促進された。
- ・末梢前庭障害に伴うめまい・平衡障害に対する新規治療法が開発され、医師主導治験を継続し、障害者に対する医療の向上に資する。
- ・NIRS ニューロリハシステムの治験導出により、脳卒中後歩行障害患者の機能回復法の実用化が促進された。
- ・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。
- ・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、ロービジョンケア推進に寄与した。

2 令和 5 年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

- 災害時における身体及び知的障害児・者の避難及び避難先での生活・健康維持に関する支援方法の開発と実用化促進
 - ・災害時に生活機能と健康状態の維持に多様な人的・物的支援が必要な身体障害者への支援計画の策定は喫緊の課題である。特に地域でのボトムアップ型の個別支援手法の確立と共に、行政データを活用したトップダウン型の支援プロセスの提案と実証を推進する。
- 臨床知見に着眼した感覚器障害の医療・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
 - ・医療の発展に伴い、同じ感覚器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。そのため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ことが不可欠である。また、層別化や個別化を示す知見から、重症化予防や進行抑制を積極的に推し進める研究開発も推進する。
- 災害時における感覚器障害者の援助要請手段と効果的な支援提供を実現する双方向連携システムの開発と社会実装にむけた効果検証
 - ・障害者が生活場面において、容易に援助要請できる手段と、支援者が要請に応じて効果的な支援を提供できる、ICT等を駆使した双方向性の情報連携システムとともに、移動手段の確保なども一体化した支援システムの開発を早急に行う必要がある。特に独居生活や高齢家族との生活環境下にある障害者においても容易に利用可能な、汎用性のあるシステムを開発し、実用化を促進する。

(2) 新規研究課題として推進するもの

- 自立生活を可能にするような住居支援及び能動的に社会参加することの出来る就労マッチング支援手法の開発のための研究
 - ・障害者家族の高齢化を見据え、独居やグループホーム等で実際に自立生活を可能にするような支援手法を開発する必要がある。また障害特性に合わせて特技や経験を活かす仕事を障害者が主体的に選択し、体調に合わせた働き方により能動的に社会参加することができる就労マッチング支援手法の開発も重要である。これらを開発・検証することにより、実用化を促進する。
- 軽度・中等度の難聴児に対する効果的な補聴器の適応のための研究
 - ・軽度・中等度難聴児の療育における補聴器の有用性及び効果的な適応については、科学的根拠が十分に明らかにされていないため、補聴器適応に関するガイドライン開発に資する研究を促進する。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- 災害時における身体及び知的障害児・者の避難及び避難先での生活・健康維持に関する支援方法の開発と実用化促進
 - ・災害時における身体及び知的障害児・者の避難支援、及び、避難先の環境下において、生活・健康維持を図るための具体的な支援方法を開発・検証し、実用化を促進する。
- 臨床知見に着眼した感覚器障害の医療・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
 - ・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し、重症化予防や進行抑制を促進する。
- 災害時における感覚器障害者の援助要請手段と効果的な支援提供を実現する双方向連携システムの開発と社会実装にむけた効果検証

- ・災害時、感覚器障害者が生活場面において、容易に援助要請できる手段と、支援者が要請に応じて効果的な支援を提供できる、ICT等を駆使した双方向性の情報連携システムとともに移動手段の確保などの一体化した支援システムの社会実装を促進する。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

骨太の方針 2022 に記載されている、「障害者の就労や情報コミュニケーション等に対する支援」に対応している。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

ゲノム・データ基盤プロジェクト

- ・また、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行う。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

「障害者対策総合研究開発事業」は、病因・病態の解明等の医療分野での研究や、障害者に対する生活支援や社会復帰、就労移行支援に係る技術開発に関する研究を実施する一方、「障害者政策総合研究事業」は障害者政策分野での活用を指向している。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト
研究事業名	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
主管部局・課室名	健康局結核感染症課
A M E D 担当部・課名	創薬事業部創薬企画・評価課
省内関係部局・課室名	健康局健康課予防接種室

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	1,973,030	1,975,172	2,087,931

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

治療薬の発達や予防接種の普及によって、一時は制圧されたかに見えた感染症は、新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の発生を鑑みても、新興・再興感染症として今なお猛威をふるっている現状がある。本研究事業では、新型コロナウイルス感染症をはじめ、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）など、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」、「特定感染症予防指針」、「ストップ結核ジャパンアクションプラン」、「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」（関係閣僚会議決定）及び「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」（同会議決定）、「新型コロナウイルス感染症対策の基本的対処方針」（同会議決定）等を踏まえ、開発研究を行う。

【事業目標】

- ①感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症対策の総合的な強化を目指し、国内外の感染症に関する基礎研究及び基盤技術の開発から、診断法・治療法・予防法の開発等の実用化研究まで、感染症対策に資する研究開発を切れ目なく推進する。
- ②得られた成果は遅滞なく公表（学術誌での発表、ガイドラインの作成等）し、成果の実用化を目指す。

【研究の範囲】

- ①感染症サーベイランス、病原体データベース、感染拡大防止策等の総合的な対策に資する研究
- ②ワクチンの実用化及び予防接種の評価に資する研究
- ③新興・再興感染症の検査・診断体制等の確保に資する研究
- ④感染症に対する診断法、治療法の実用化に関する研究
- ⑤新興・再興感染症に対する国際ネットワーク構築に資する研究
- ⑥COVID-19を含む重点感染症に関する総合的な対策に資する研究
- ⑦薬剤耐性（AMR）に対する新規治療法の開発研究
- ⑧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

【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

- ・ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請
（令和6年度までの成果目標）
- ・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
 - 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

（2）これまでの研究成果の概要

- ・SARS-CoV-2（新型コロナウイルス）に対する診断法の開発
 - 専用の検査装置が不要なハンディタイプのSARS-CoV-2抗原検査キットを開発（製造販売承認を取得）した。
 - 迅速測定が可能な自動化学発光酵素免疫分析装置でSARS-CoV-2抗原を定量的に測定する体外診断用医薬を開発（製造販売承認を取得）した。
 - SARSコロナウイルス抗原キット（イムノアロー SARS-CoV-2）体外診断用医薬品としての製造販売承認（承認番号：30300EZX00039000）を取得し、製造販売を開始した。
- ・SARS-CoV-2に対する治療薬の開発
 - COVID-19に対する治療薬に関して、令和3年度には13件の臨床試験を実施した。
- ・SARS-CoV-2感染者の予後予測法の開発
- ・COVID-19の血清予後予測マーカータンパク質を発見した。
- ・SARS-CoV-2陽性患者の重症化リスクの判定補助検査を開発（適応追加承認取得）した。
- ・COVID-19感染症のAI重症度予測に関する技術の特許ライセンス契約を企業と締結した。
- ・病原体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
 - ウェルシュ菌毒素ならびにコレラ毒素の検出用の抗体の特許申請（令和3年10

月6日ならびに令和4年1月17日)、ならびに志賀毒素、カンピロバクター、サルモネラに対する抗体ライブラリーを樹立した。

- ・ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請
 - ノロウイルスワクチンについては、ウイルス様粒子 (VLP) を用いた新規ナノゲル経鼻ワクチンを開発し、動物実験にて中和効果を確認した (継続中)。
 - 経鼻インフルエンザワクチンについては、令和元年度に健康成人及び青少年を対象とした企業治験 (第3相) が完了し、令和3年度に健康小児を対象とした企業治験 (第2相) が完了し、現在健康小児を対象とした第3相を計画中である (AMED 支援分は終了)。
 - ワクチンの実用化及び予防接種の評価エボラウイルスワクチンについては、医師主導治験 (第1相) が完了した (継続中)。
 - 新規組換え BCG ワクチンを開発し、動物実験にて免疫誘導および防御効果を確認した (令和3年度終了)。
 - 副反応を軽減したおたふくかぜワクチンを開発し、特許出願した (支援終了)。
 - 多剤耐性結核 DNA ワクチンを開発し、医師主導治験 (第1相) を実施した (継続中)。
 - 細胞培養インフルエンザワクチンの特定臨床研究を実施した (令和元年度終了)
- ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬および診断薬等の開発
 - 超多剤耐性グラム陰性菌に対する新規抗菌化合物を天然物由来ライブラリーから選定し、高い有効性を示す化合物を見出した (継続中)。
 - ノロウイルスに対しては高い有効性を有するリード化合物を見だし、用途特許出願を行った。誘導體合成展開に向けて薬剤の作用機序を解析中である (継続中)。
 - バンコマイシン耐性腸球菌 (VRE) の小腸定着を阻害する新規化合物を見出した (継続中)。
 - 次世代シーケンサを活用することにより、核酸クロマトグラフィーによる簡便な鑑別方法による抗酸菌の診断方法を確立した (継続中)。
 - *Helicobacter. suis* (H. suis) がヒトに感染し、胃疾患を引き起こすことを見出した (継続中)。
 - 重症熱性血小板減少症候群ウイルス (SFTSV) に対するモノクローナル抗体を用いたイムノクロマトによる SFTSV 抗原検出法を開発し、その感度、特異性の検討を行った (継続中)。
 - ウイルス性の一類感染症全般とニパウイルス感染症について、地方衛生研究所で実施可能な迅速な病原体検出法の確立を行った (継続中)。
 - iPS 細胞を用いた感染症創薬開発用の培養分化細胞方法を樹立した (令和3年度終了)。
- ・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)
 - ポリオの根絶に資する研究の一環として、マイクロニードルを利用した、貼るポリオワクチンの試作品を作成し、中和抗体誘導を検討し、一部の抗原において、十分な中和抗体誘導獲得を目指し製剤方法を改良した (継続中)。
 - 結核低まん延化に資する研究の一環として結核 DNA ワクチンの医師主導治験を実施した (継続中)。
 - 質・規模ともに世界的に類をみない優位性の高い結核菌ゲノムデータベース (GReAT) を構築し、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について薬剤感受性等

の情報を含む全ゲノム配列情報の登録を行った。更に、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌についてデータ公開を行った（継続中）。

- 結核に対する高感度検査法の開発を行った（令和3年度終了）。

（3）これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- ・ SARS-CoV-2（新型コロナウイルス）に対する診断法、診断薬、検査法
 - 新型コロナウイルス感染症の予後予測因子（IFN- λ -3）の同定に成功し、重症化マーカーとしては初の体外診断用医薬品として薬事承認、保険収載され、当省が作成している「新型コロナウイルス感染症（COVID-19）診療の手引き」に掲載された。
 - 感染防御抗体（中和抗体）の迅速測定法の開発を行ったことで、今後は、大規模集団における免疫保有者の迅速スクリーニング検査や、ワクチン評価などに活用されることが想定される。
 - 唾液を検体として使用して新型コロナウイルスの抗原検出が可能な試薬を開発し、令和2年6月に製造販売について承認された。
 - 血清中のIgGを迅速・簡便に検出する検査キットを開発し、令和2年6月に試薬販売が開始された。
- ・ SARS-CoV-2（新型コロナウイルス）に対する基盤技術開発、環境整備等
- ・ 新型コロナウイルス感染症治療薬の開発（非臨床試験）
 - 新型コロナウイルス増殖に不可欠なウイルスプロテアーゼ（Mpro/PLpro）の活性を阻止してウイルスの感染と増殖を強力にブロックする蛋白分解酵素阻害剤を創製した。
- ・ 一類感染症対策
 - ウイルス性の一類感染症全般とニパウイルス感染症の迅速な病原体検出について、地方衛生研究所で実施可能な診断法を整備し、研修や材料配布を通し技術移転を行った。地方衛生研究所のBSL3施設を訪問し、検体の安全な処理のための講義や研修を実施した。
- ・ 呼吸器感染症に対する治療薬開発に資する基盤構築
 - iPS細胞から、肺前駆細胞を経て、段階的分化誘導方法により気道・肺胞を作り分けることにより、気道上皮細胞・肺胞上皮細胞をReady-to-Useの形で提供する呼吸器感染症創薬ツールを開発した。
- ・ 結核に対する診断・予防・治療法開発
 - インドネシアにおいて、結核および健常者より採取した保存血清を用いて、診断候補抗原3種類について、結核患者検出の有用性を血清診断法（ELISA）で検討し、結果を得られた抗原の工業生産的手法を確立するとともに、動物実験で有用性が確認されている別抗原の査定と調整方法の確立を進め、診断抗原の知財化が可能な段階への進展を得た。
- ・ 薬剤耐性（AMR）に対する診断薬・治療薬開発
 - 立体構造情報に基づき改良した新規シーズ化合物が抗生物質処理したマウス小腸でのバンコマイシン耐性腸球菌（VRE）の定着を顕著に阻害することを明らかにした。また新規シーズ化合物と既存抗菌薬との併用によりVREの生育を顕著に阻害できることを見出した。
- ・ 抗酸菌感染症に対する診断・予防・治療法開発
 - 次世代シーケンサーを活用して確立した診断方法（核酸クロマトグラフィーによる簡便な鑑別方法）を令和3年度5月に市販。国内で体外診断薬として申請し、

海外への販売展開も検討中である。

- ▶ 抗酸菌発育を抑制する新規化合物を従来の手法よりも、生体内に類似した状態で、短期間でできる精度の良いスクリーニング法を開発した。

・細胞培養インフルエンザワクチン開発

- ▶ ワクチン中の HA 抗原量を測定するために、一元放射免疫拡散 (SRD) 試験法の改良を行った。エピトープの異なる数種類のモノクローナル抗体を用いた SRD 試験法の確立を行い、現行用いているヒツジ抗血清使用時と同等の HA 抗原量を示した。ヒツジ抗血清の作製には 1 ヶ月半ほど期間を要するなど、ワクチン製造におけるボトルネックの一つとなっているが、本手法を用いることで製造の効率化が達成された。

・ピロリ菌以外のヘリコバクター属菌による感染病態の解明

- ▶ 血清診断法 (ELISA) を用いた H. suis 感染診断について約 100 名の患者血清を用いた評価より、感度 100%、特異度 92.7% で本感染診断法の有用性を示すデータが得られ、本診断法に関する技術の特許を申請した。
- ▶ 胃液からの Non-Helicobacter pylori-Helicobacter (NHPH) 感染診断法の開発について企業との共同研究を開始した胃液からのピロリ菌感染診断法について、先般、医薬品医療機器総合機構 (PMDA) から診断薬としての承認を得ており、同様な技術を用いて共同研究で NHPH 感染診断法を開発する段階に進展した。

2 令和 5 年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの (増額要求等するもの)

- ① 感染症サーベイランス、病原体データベース、感染拡大防止策等の総合的な感染症関連対策に資する研究：

ヒト T 細胞白血病ウイルス 1 型 (HTLV-1) 感染者の QOL 維持において重要な成人 T 細胞白血病 (ATL)、HTLV-1 関連脊髄症 (HAM) の発症リスク判定法を開発し、将来的な HTLV-1 感染者診療に利用可能なデータベースを構築する。

今までの研究支援による基礎的知見の集積等の成果から、発症予測法や予防法について、実用化を目指しての開発を視野に入れて研究開発を行うために増額を要求する。

- ② ワクチンの実用化及び予防接種の評価に資する研究：

ワクチンの品質管理を行う試験法の開発、試験法の精度管理及び有効性の検証方法の確立のための研究を推進する。また免疫原性を改善した万能インフルエンザワクチン、リバーズジェネティクスを応用した第二世代ノロまたはロタウイルスワクチンなど新たなワクチン候補、副反応を抑えるムンプス・デングウイルスワクチン、BCG に替わる結核ワクチン開発、エボラ出血熱に対する次世代ワクチン、ヒト T 細胞白血病ウイルス 1 型 (HTLV-1) 感染・発症予防ワクチンなどの基盤研究を推進する。

新型コロナウイルスワクチン開発の遅れに示される様に、国内におけるワクチン実用化に対する基盤的な研究の底上げが必要で、また新規モダリティのワクチン評価に対しての研究が必要なために増額を要求する。

なお、本研究で実施するものは、感染症法に規定されている感染症のうち、国内での市中感染が認められている感染症を対象に、既に実用化されているワクチンの改良に資する基盤的な研究開発である。

③新興・再興感染症の診療・検査体制等の確保に資する研究：

ヒトに重篤な症状を引き起こす可能性のある動物由来感染症病原体（コリネバクテリアウム・ウルセランス、既存の菌種とは異なるブルセラ属菌と Brucella Suis biovar 5 近縁菌、野兎病に近縁な Francisella 属菌、ダニ媒介性脳炎ウイルスあるいは近縁ウイルスなど）の調査、診断・予防法、サーベイランス強化に資する研究を行う。

明らかになった新規動物由来感染症は、検査・診療体制の確保と共に、基盤となる新たな動物由来感染症へのサーベイランスを強化するために増額を要求する。

④感染症に対する診断法、治療法の実用化に関する研究：

エボラ出血熱等の一類感染症、重篤なニパウイルス感染症、重症熱性血小板減少症候群（SFTS）など、致死率が高く、社会・経済への影響が甚大な一類感染症等の病原体検出法の迅速化、ワクチン開発の推進、ウイルス性出血熱の新たな治療法開発、および新たに分離された病原体による病原性の解明等の解析等を行う。

COVID-19 対応に象徴される様に、有事対応としての感染症対応は、十分とは言い難い。一類感染症対策の整備を加速・強化する必要があるために増額を要求する。

⑤新興・再興感染症に対する国際ネットワーク構築に資する研究：

新型コロナウイルス感染症（COVID-19）をはじめとする国を超えて流行する感染症の対策や薬剤耐性菌の拡散防止のため、各国 CDC 機関等との連携および情報共有ネットワークの構築を推進する。また、インフルエンザ、結核、院内感染対策サーベイランス（JANIS）システムを活用した薬剤耐性菌についての情報共有ネットワーク強化を推進する。さらにネットワークを元に、ワクチン、治療薬の開発の加速、新たな国/地域との研究ネットワーク構築・連携等を発展させ、感染症危機管理対策の強化に資する研究を推進する。また、感染病理分野で先進的な知見・技術を有する欧米の諸外国との連携・協力を進めるとともに、現に感染症例を有するアジア地域を中心とした国々との協力を進める。

感染症は、近隣諸国を初めとする諸外国から持ち込まれる可能性が高い。既存のネットワークを活かした共同研究を行うことにより、協力関係および体制の強化を図る必要があるために増額を要求する。

（２）新規研究課題として推進するもの

①COVID-19 を含む重点感染症に関する総合的な対策に資する研究：

公衆衛生危機管理において、救命、流行の抑制、社会活動の維持等、危機への医療的な対抗手段となる重要性の高い医薬品や医療機器等を確保することが必要な感染症（重点感染症）に対する治療薬等の開発を推進する。重点感染症に対する医薬品等については、平時では、その需要が限られることや発生が少ないためにその効果が十分評価できないこと、一方で、危機発生時には突発的に莫大な需要が発生する。そのため、重点感染症に対する医薬品等の研究開発及び確保については、民間主体の市場原理では対応できず、平時における幅広い病原体に対する研究支援を必要とする。また、開発マイルストーンの評価や危機発生時の緊急時使用と迅速な評価の仕組み、迅速な製造及び調達・配布オペレーション等の確保における科学的なエビデンスの創出についても支援を推進する。

②薬剤耐性（AMR）に対する新規治療法の開発研究：

多薬剤耐性菌の出現と増加への対応策として、平成 28 年 2 月に「国際的に脅威と

なる感染症対策の強化に関する基本計画」、同年4月に「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」が発出され、多剤耐性菌に対する研究体制の強化が打ち出されている。本研究課題では、薬剤耐性菌を含む変貌する病原体集団の時間的、空間的実態を把握し、ゲノムレベルで解析するとともに、得られたデータを共有、活用し、新しい手法による耐性菌早期検出法の開発、種々の特徴有るライブラリーからのスクリーニング系の創出等、多領域を網羅した総合科学的見地からの治療法開発研究を推進する。またファージ療法をはじめとし、既存の抗菌薬とは異なる機序、あるいは異なる標的に対する新規治療薬、治療法の開発を推進する。

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：

いまだ定期接種化がなされていないおたふくかぜワクチン、妊婦へのB群連鎖球菌（GBS）ワクチン接種、潜在性結核を主な発生源とする肺結核に対して予防効果が低いBCGワクチンの開発および疫学情報を取得し、国内市中感染が認められる感染症に対する予防対策に資する科学的な知見の創出を推進する。その他、長期にわたり使用されているワクチンについても、ワクチン接種後の生体反応や有効性・安全性のデータを取得し新たな知見を得ることにより、現状の課題を明確にする研究を推進する。また、治療薬等の開発の遅れを解消するために、幅広い病原体の研究基盤および感染症領域における治験実施体制構築の充実をはかる。また、感染症対策の基本となる予防における、個人用防護具（PPE）や換気等の感染症管理・予防方法について、新たな測定方法、数理学モデルによるシミュレーション等を応用し効果的な感染症管理・予防法確立についての科学的知見の創出を推進する。

（3）令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

＜継続課題＞

- 「ヒトT細胞白血病ウイルス1型（HTLV-1）感染者の診断・治療法開発に資する研究」

本邦には約80万人のHTLV-1感染者が存在し、新規の水平感染が年間約4,000例発生していると推定されており、我が国の重要な社会問題である。成人T細胞白血病（ATL）についてはクローンの動態やATL発症に関与する遺伝子変異の全体像が明らかになりつつある一方で、宿主免疫の減弱によりATLが発症すると極めて難治性となる。免疫原性が高い腫瘍であるATLの発症予測と免疫の賦活化による発症・再発予防法の開発を通じて、治療法の開発、および適切な医療情報・医療プログラムの提供に大きく貢献する。
- 「ワクチンの品質管理試験法の開発および試験の精度管理法に関する研究」

日本脳炎ワクチン、狂犬病ワクチンの力価試験および不活化試験のin vitro化等の動物試験の代替、インフルエンザワクチンの力価試験を肉眼観察から機械化する等の新たに導入が計画されているワクチンの品質管理試験法の確立、ヘモフィルスインフルエンザ菌b型ワクチン（Hibワクチン）を含む混合ワクチンの品質管理試験法の検討等の新たに導入が計画されているワクチンの品質管理試験法の確立を通じて、ワクチン品質管理および精度管理対策に大きく貢献することができる。
- 「一類感染症等の新興・再興感染症の診断・治療・予防法の研究推進」

ウイルスのライフサイクルである宿主細胞への侵入、ゲノムの転写・複製、出芽、ウイルスの増殖に対する生体側の過剰な炎症性応答を治療法の標的として、ウイルス増殖抑制・病態進行抑制法を開発することにより、ウイルス性一類感染症の治療法におけるリード化合物が同定されることが期待される。また持続性向上・経口吸収性向上・副作用低減等により、ウイルス性一類感染症の治療法に有効な薬剤となり、国際

的な人や物の移動の活発化に伴う国内の発生への備えあるいはバイオテロ対策に大きく貢献する。

- 「アジア各国の感染症研究機関との共同研究推進によるラボラトリーレスポンスネットワーク構築に関する研究」

インフルエンザ、結核、薬剤耐性菌について、各国 CDC 機関等との連携および情報共有ネットワークの構築を推進し、感染病理分野で先進的な知見・技術を有する欧米の諸外国との連携・協力を進めるとともに、現に感染症例を有するアジア地域を中心とした国々との協力を進めることで、日本の感染症水際対策に大きく貢献する。

<新規課題>

- 「重点感染症に対応可能な治療薬等の開発に資する研究」、「薬剤耐性 (AMR) に対する新規治療法の開発研究」、「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」について、2 (2) に記載した成果を得ることにより、感染症対策を総合的に推進し、国民の健康を守ることへの貢献が期待される。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

Ⅲ. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

(4) 再生・細胞医療・遺伝子治療等

③治療薬・ワクチンの開発

世界的に医薬品市場が成長を続ける中、我が国においても、創薬を成長産業とすべく取組を進める。特に、今後の感染症危機に備えるため、治療薬やワクチンの開発に取り組む。

【フォローアップ】（令和4年6月7日閣議決定）

Ⅲ. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

(4) 再生・細胞医療・遺伝子治療等

・新型コロナウイルス感染症を含めた新興・再興感染症への対応として、以下の取組などにより、検査体制・治療体制や治療薬・ワクチン等の開発、情報収集及び人材育成を抜本的に強化する。

－「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）に基づき、今後のパンデミックに備えてワクチンを研究・開発するため、日本医療研究開発機構 (AMED) の基金等により、新たな創薬手法による産学官の出口を見据えた研究開発支援や世界トップレベルの研究開発拠点形成等を、2022年秋までに開始する。あわせて、これらに関係省庁・機関で密接に連携して行うため、先進的研究開発戦略センター (SCARDA) で国内外の情報収集・分析を行い、ワクチン研究開発・実用化全体を俯瞰した研究開発支援の方向性を決定する。

－今後のパンデミックに備える上で特別な医薬品開発・確保が必要となる感染症（重点感染症）リストを国内外における流行状況や最新の知見に基づき継続的に更新するとともに、感染症治療薬等の研究開発やワクチンの実証的な研究を戦略的に支援する。

－全国の協力医療機関から臨床情報や血液などの検体を収集するデータバンク（新興・再興感染症データバンク事業ナショナル・リポジトリ）での研究機関への本格的な情報提供を2022年度に開始する。

・(前略)「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」及び「薬剤耐性 (AMR)

対策アクションプラン」を 2022 年度末までを目途に早期に改定するとともに、ワンヘルスアプローチを考慮しつつ、AMR 対策など国際的に脅威となる感染症に対して政府一体で行う感染症対策を強化する。さらに、AMR 対策において市場インセンティブなどの薬剤耐性菌の治療薬を確保するための具体的な手法を包括的に検討した上で結論を出し、国際的な議論において主導的な役割を果たす。

【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）

第 1 章 我が国を取り巻く環境変化と日本経済

2. 短期と中長期の経済財政運営

（1）コロナ禍からの回復とウクライナ情勢の下でのマクロ経済運営

（経済社会活動の正常化に向けた感染症対策）

ワクチン、検査、経口治療薬の普及等により、予防、発見から早期治療までの流れを強化して新型コロナウイルス感染症の脅威を社会全体として可能な限り引き下げる。新型コロナウイルス感染症に関する罹患後症状（いわゆる後遺症）についての実態把握や病態解明等に資する調査・研究を進める。

その上で、これまでの新型コロナウイルス感染症対応を客観的に評価し、次の感染症危機に備えて、本年 6 月を目途に、危機に迅速・的確に対応するための司令塔機能の強化や感染症法の在り方、保健医療体制の確保など、中長期的観点から必要な対応を取りまとめる。

第 3 章 内外の環境変化への対応

（5）対外経済連携の促進

（国際連携の強化）

（前略）薬剤耐性対策において市場インセンティブなどの薬剤耐性菌の治療薬を確保するための具体的な手法を包括的に検討した上で結論を出し、国際的な議論において主導的な役割を果たす。

【統合イノベーション戦略 2022】（令和 4 年 6 月 3 日閣議決定）

2. 科学技術・イノベーション政策の 3 本の柱

（3）先端科学技術の戦略的な推進

① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

（戦略的に取り組むべき応用分野）

健康・医療

「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画 23」に基づき、以下の取組を強力に推進する。

- ・ 「ワクチン開発・生産体制強化戦略 24」に基づき、今後のパンデミックに備えて、感染症の有事にいち早く、安全で有効なワクチンを研究・開発するため、AMED に措置された基金等により、新たな創薬手法による産学官の出口を見据えた研究開発の支援、世界トップレベルの研究開発拠点形成、創薬ベンチャーの育成、デュアルユースのワクチン製造拠点の整備等の取組を 2022 年秋までに順次開始する。
- ・ 感染症有事対応の抜本的な強化として、AMED において新型コロナウイルス感染症や新興・再興感染症に対する有効な治療薬等に関する研究開発を支援する。

4. 官民連携による分野別戦略の推進

（5）健康・医療

2020 年度から 2024 年度を対象期間とする第 2 期の「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」等に基づき、（中略）医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開

発を一体的に推進する。特に喫緊の課題として、国産の新型コロナウイルス感染症のワクチン・治療薬等を早期に実用化できるよう、研究開発への支援を集中的に行う。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

（感染症）

- ・ ゲノム情報を含む国内外の様々な病原体に関する情報共有や感染症に対する国際的なリスクアセスメントの推進、新型コロナウイルスなどの新型ウイルス等を含む感染症に対する診断薬・治療薬・ワクチン等の研究開発及び新興感染症流行に即刻対応出来る研究開発プラットフォームの開発

4. 3.

（AMR 対策の推進）

- ・ 国際的に脅威となる感染症対策関係閣僚会議（2015年9月11日閣議口頭了解）において2016年4月5日に決定された「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」及び2020年度に策定予定の次期アクションプランに基づき、必要な対策を推進する。

（新型コロナウイルス感染症対策の推進）

- ・ 新型コロナウイルス感染症への対策として、「新型コロナウイルス感染症対策の基本方針」（2020年2月25日新型コロナウイルス感染症対策本部決定）など、政府が定める方針のもと、国内外の連携を図りつつ、必要な研究開発等の対策を速やかに推進する。その際、感染症の研究開発に対する多様なインセンティブや医療に係る規制の緊急時の適用の在り方等の課題も念頭において、必要な対策を検討する。

【医療分野研究開発推進計画】（令和2年3月27日健康・医療戦略推進本部決定）

3. 3. 1. (3) ①

- ・ DNA ワクチン等の予防・治療用ワクチン、アジュバント技術

3. 3. 3.

- ・ 国内の研究機関における感染症に係る基礎研究能力の向上及び病原体等の取扱いに精通した人材の育成・確保等を図るため、BSL4 施設の整備等について、必要な支援を行うとともに国、大学及び自治体の地方衛生研究所等との連携を強化する。また、パンデミック対策のみならずバイオセキュリティ強化のため、米国 CDC 等も参考にしつつ我が国の危機管理対応能力の強化を図っていくとともに、緊急時の課題解決のための迅速な研究開発体制を整備する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

○厚生労働科学研究との関係

【新興・再興感染症及び予防接種政策推進研究事業】

感染症及び予防接種行政の課題として、海外からの進入が危惧される感染症及び国内で発生がみられる感染症についての対策や、予防接種施策等を推進すべく、行政施策の科学的根拠等を得るために必要な研究を行っている。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は、適宜本事業の研究成果も踏まえて、特に重要な医薬品等の開発に資する研究を行っている。尚、このうちワクチン開発については、感染症法に規定されている感染症のうち、国内での市中感染が認められている感染症を対象に、既に実用化されているワクチンの改良に資する基盤的な研究開発を行っている。

○AMED内 新興・再興感染症研究基盤創生事業との関係

【新興・再興感染症研究基盤創生事業 海外拠点研究領域】

様々な感染症の流行地により近い文部科学省の海外拠点研究領域の海外拠点と連

携し、感染症に関する国内外での研究を推進している。

【新興・再興感染症研究基盤創生事業 多分野融合研究領域】

BSL4 施設を中核とした感染症研究拠点に対する研究支援や病原性の高い病原体等に関する創薬シーズの標的探索研究等を行う文部科学省の多分野融合研究領域と連携して、わが国における感染症研究機能の強化を図るとともに、感染症の革新的な医薬品の創出を図る。

【ワクチン開発・生産体制強化戦略関連事業】

SCARDA では、将来発生しうる新規感染症の大流行に備え、短期に大量にワクチンを製造する新規モダリティの育成や感染症ワクチンへの応用等の研究開発について、基礎研究から実用化まで産学官が連携して実施する。一方、本事業では SCARDA の対象とならないワクチンの研究開発を主な対象としている。

【橋渡し研究戦略的推進プログラム】

日本全体としてアカデミア等による革新的な基礎研究の成果を一貫して実用化に繋ぐ体制を構築し、自機関だけでなく他機関のシーズ発掘と育成を行っている当該プログラムと連携して、感染症に対する医薬品シーズの実用化を推進する。

【産学連携医療イノベーション創出プログラム・基本スキーム (ACT-M) / セットアップスキーム (ACT-MS) (医療分野研究成果展開事業)】

アカデミア発の感染症に対する医薬品および医療機器シーズを産業界（企業等）に円滑かつ効果的に移転するために連携を推進する。

【AMED 内感染症関連の3研究事業（エイズ、新興・再興、肝炎）の関係】

感染症関連の3研究事業（エイズ、新興・再興、肝炎）においては、AMED 担当課と連携しながら重複無きように調整した上で、公募課題の選定を行っている。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、医療機器・ヘルスケアプロジェクト、再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト、ゲノム・データ基盤プロジェクト、疾患基盤研究プロジェクト
研究事業名	難治性疾患実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局難病対策課
AMED 担当部・課名	創薬事業部創薬企画・評価課（主務課）、医療機器・ヘルスケア事業部医療機器研究開発課、再生・細胞医療・遺伝子治療事業部遺伝子治療研究開発課、ゲノム・データ基盤事業部医療技術研究開発課、疾患基礎研究事業部疾患基礎研究課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
		8,150,809	8,150,809

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

（1）研究事業の目的・目標

【背景】

平成27年1月1日から「難病の患者に対する医療等に関する法律」（平成26年法律第50号）が施行され、令和4年4月現在指定難病が338疾病まで拡大される等、難病対策について、データ収集と治療研究の推進という目的、医療費等の経済的な負担の大きい患者への支援という目的の両面からさらなる充実が図られている。

また「全ゲノム解析等実行計画（第1版）」（令和元年12月）、「全ゲノム解析等実行計画ロードマップ2021」（令和3年6月）等を着実に実施するとともに、健康・医療戦略（令和2年3月27日閣議決定）で明記された厚生労働科学研究とAMED研究の相互連携の強化の方針を踏まえた研究を推進する必要がある。

【事業目標】

「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要件を満たす希少難治性疾患を対象とし、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によって、希少難治性疾患の克服を目指す。

【研究の範囲】

「医薬品」「医療機器」「再生・細胞医療、遺伝子治療」においては、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、非臨床試験（薬理試験、薬物動態試験、毒性試験等）を経て臨床試験（治験）に移行する等、薬事承認等を得ることにより新たな治療法等の確立を目指す。また「医療機器」「再生・細胞医療、遺伝子治療」に関しては、難病領域の医療現場のニーズに応じた早期フェーズを充実させる。

「ゲノム・データ基盤」においては、IRUD（未診断疾患イニシアチブ：Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases）や全ゲノム先行解析および全ゲノム個別課題で得られた知見をふまえ、革新的なゲノム診断・治療技術開発に資する研究等を実施する。そしてIRUD等の研究成果を全ゲノム解析等実行計画に基づく解析研究の着実な実施につなげる。また「診療に直結するエビデンス創出研究」において、厚生労働科学研究と連携し、診療ガイドライン等を作成・改訂に資する実用化を目指したエビデンスの創出、難病の全ゲノム等解析に関する研究、未診断疾患の診断プログラム開発等に関する研究等を実施する。

「疾患基礎研究」においては、実用化につながる治療シーズ発見を見据えた画期的な研究、最先端かつ独創性に富んだ解析技術を活用した研究を実施する。

さらに事業全体として、医療研究開発が進みにくい超希少性難治性疾患に関する研究を充実させる（特に「医薬品」「ゲノム・データ基盤」「疾患基礎研究」）。

【期待されるアウトプット】

本研究事業では、令和6年度までに以下を達成することを目標としている。

- 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】

本研究事業では、令和6年度までに以下を達成することを目標としている。

- ① 医薬品プロジェクト
 - ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況 ※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臨床試験・治験への移行状況 ※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

（2）これまでの研究成果の概要

- 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 85 件（令和2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 7 件（令和2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）

- ① 臨床研究・治験に移行した研究開発（令和2年度末） 累計 38 件
- ② 承認申請・承認等に至った研究開発（令和2年度末） 累計 7 件
- ③ 特許申請・登録等に至った研究開発（令和2年度末） 累計 72 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年度末） 190 件

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

希少難治性疾患は、「少ない患者数、臨床評価法の未確立、進行性で致命的な疾患が少なくない」といった特徴があり、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）を経て臨床試験（治験）への移行を推進する。

全ゲノム解析等実行計画に係る研究課題については、厚生労働省で実施する難病全ゲノム解析等実証事業などと密に連携し、解析研究を進めている。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

①医薬品プロジェクト

各研究課題の予算額が毎年度減額しており、医師主導治験等の実施に支障をきたす可能性があるため、試験等を継続的に遂行するための増額が必要である。

②医療機器・ヘルスケアプロジェクト

ステップ2（臨床試験、治験等）へ移行する課題が少ないため、ステップ1（非臨床試験等）のパイプライン増強を行う必要がある。

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

ステップ2へ移行する課題が少ないため、ステップ0（応用研究等）とステップ1のパイプライン増強を行う必要がある。

(2) 新規研究課題として推進するもの

①医薬品プロジェクト

a) 薬事承認を目指す医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ0、希少難病）（仮題）：希少難治性疾患に対する医薬品シーズ開発を促進する。

b) 希少難病のレジストリ構築と自然歴対照試験（仮題）：希少難治性疾患に対するレジストリ構築と自然歴対照試験を推進し、希少難治性疾患の治療薬開発を促進する。

②医療機器・ヘルスケアプロジェクト

a) 薬事承認を目指す医療機器のシーズ探索研究（医療機器ステップ0）（仮題）：希少難治性疾患に対する医療機器シーズ開発を促進する。

③ゲノム・データ基盤プロジェクト

a) 超希少難治性疾患の診療に直結するエビデンス創出研究（エビデンス創出）（仮題）：超希少難治性疾患に対するガイドラインなどに反映できるエビデンス創出研究を促進する。

b) 希少難治性疾患のエビデンス創出、治療開発に関連するELSI（Ethical, Legal and Social Issues）を解決する研究（仮題）：エビデンス創出や治療開発に関連する希少難治性疾患に関するELSIの問題を解決し、同疾患群の医療の発展を促進する。

c) 革新的なゲノム診断等の技術開発に資する研究（仮題）：オミックス解析、エピゲノム解析などの新しいゲノム分析技術を用いた、革新的医療技術開発につながる研究開発を促進する。

④疾患基礎研究プロジェクト

a) 超希少難治性疾患の病態解明研究（病態解明）（仮題）：超希少難治性疾患への臨床応用を目的とした病態解明研究を促進する。

b) モデル生物の使用に関する課題を解決する研究（仮題）：モデル生物の最適化、臨床研究者とモデル生物研究者のマッチング等、研究上の課題を解決する取り組みを支

援する。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

希少難治性疾患は、「少ない患者数、臨床評価法の未確立、進行性で致命的な疾患が少なくない」といった特徴があり、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）を経て臨床試験（治験）への移行を推進する。

厚生労働省で実施する難病全ゲノム解析等実証事業など、と密に連携し、新しいエビデンス創出、ゲノム診断技術開発、ゲノム治療技術開発の促進に繋げる。

II 参考

1 研究事業と各戦略（成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

Ⅲ. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

(4) 再生・細胞医療・遺伝子治療等

②ゲノム医療の推進

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。

【フォローアップ】（令和4年6月7日閣議決定）

(4) 再生・細胞医療・遺伝子治療等

(医療・医薬品)

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させたデータとして蓄積する。

【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）

第2章 新しい資本主義に向けた改革

2. 社会課題の解決に向けた取組

(2) 包摂社会の実現

(共生社会づくり)

障害者の就労や情報コミュニケーション等に対する支援、難聴対策、難病対策等を着実に推進する。

第4章 中長期の経済財政運営

2. 持続可能な社会保障制度の構築

(社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進)

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¹⁵⁰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。

¹⁵⁰ 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。

【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1章 総論（新しい資本主義における「成長」と「分配」の好循環を支える科学技術・イノベーション）

2. 科学技術・イノベーション政策の3本の柱

（3）先端科学技術の戦略的な推進

① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

（戦略的に取り組むべき基盤技術）

バイオテクノロジー

幅広い領域をカバーするバイオ分野の特徴を生かし、バイオものづくりの中核を担う微生物設計プラットフォーム事業者の育成も念頭に合成生物学を活用した異分野事業者との共同開発や、その基盤技術の開発、拠点形成及び人材育成の加速、「全ゲノム解析等実行計画」の推進、3大バイオバンクの成果の連携・発展、生物遺伝資源関連ビッグデータ利活用プラットフォームや「みどりの食料システム戦略」に基づくスマート育種基盤の充実・強化を図るなど、バイオ起点の異分野融合を加速させる。

（戦略的に取り組むべき応用分野）

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。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

4. 具体的施策

4. 1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進

○ 6つの統合プロジェクト

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

・再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床・臨床研究や製造基盤技術の開発、疾患特異的iPS細胞等を活用した難病等の病態解明・創薬研究及び必要な基盤構築を行う。また、遺伝子治療について、遺伝子導入技術や遺伝子編集技術に関する研究開発を行う。さらに、これらの分野融合的な研究開発を推進する。

④ゲノム・データ基盤プロジェクト

・健常人及び疾患のバイオバンク・コホート等の情報に加え、臨床研究等を行う際のコホート・レジストリ、臨床情報等を統合し、研究開発を推進するために必要なデータ基盤を構築する。また、一人ひとりの治療精度を格段に向上させ、治療法のない患者に新たな治療を提供するといったがんや難病等の医療の発展や、個別化医療の推進など、がんや難病等患者のより良い医療の推進のため全ゲノム解析等実行計画を実施する。

○ 疾患領域に関連した研究開発

・特に、2040年の人口動態を見据え、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野に係る研究開発を戦略的・体系的に推進する観点から、がん、生活習慣病（循環器、糖尿病等）、精神・神経疾患、老年医学・認知症、難病、成育、感染症（薬剤耐

性（AMR14）を含む）等については、具体的な疾患に関して統合プロジェクトにまたがる研究課題間の連携が常時十分に確保されるよう運用するとともに、統合プロジェクトとは別に、予算規模や研究開発の状況等を把握・検証し、対外的に明らかにするほか、関係府省において事業の検討等の参考にする。

- ・このため、AMED において、統合プロジェクト横断的に対応できる体制の下で、特定疾患ごとのマネジメントを行う。特に、現在及び将来の我が国において社会課題となる上記の疾患分野については、それぞれの疾患領域に豊富な知見を有するコーディネーターの下で、疾患ごとのマネジメントを行う。その際、難病やがん等の疾患領域については、病態解明等の基礎的な研究から医薬品等の実用化まで一貫した研究開発が推進されるよう、十分に留意する。
- ・特に、難病については、その種類が多い一方で症例数が少ないという制約の中で病態解明や治療法の開発を行うという特性を踏まえる必要がある。厚生労働科学研究における難病の実態把握、診断基準・診療ガイドライン等の作成等に資する調査及び研究から、AMED における実用化を目指した基礎的な研究、診断法、医薬品等の研究開発まで、切れ目なく実臨床につながる研究開発が行われるよう、厚生労働省と AMED は、患者の実態とニーズを十分に把握し、相互に連携して対応する。

（難病）

- ・ 様々な個別の難病に関する実用化を目指した病因・病態解明、画期的な診断・治療・予防法の開発に資するエビデンス創出のためのゲノムや臨床データ等の集積、共有化
- ・ 上記の取組による病態メカニズム理解に基づく再生・細胞医療、遺伝子治療、核酸医薬などの新規モダリティ等を含む治療法の研究開発

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

AMED の疾患領域に関連した基礎的な研究や診断法・医薬品等の開発は、難病の診断基準の策定、診療ガイドラインの作成・改訂に反映させる。一方で、厚生労働科学研究において実施した遺伝子解析を含めた基礎的研究の成果や、作成した診療ガイドラインの中で、エビデンスレベルの低いクリニカルクエスチョンに関する診断・治療に関する技術の研究開発等を AMED において実施する。また、難病の治療法開発に向けて、厚生労働科学研究においては、AMED の病態解明研究そしてシーズ探索研究（ステップ0）につながり得る疾病の本態理解のための病因等の病態解明に向けた基礎的研究、情報収集等を行う。

プロジェクト名	シーズ開発・研究基盤プロジェクト
研究事業名	地球規模保健課題解決推進のための研究事業（国際課分）
主管部局・課室名	大臣官房国際課
AMED 担当部・課名	国際戦略推進部 国際戦略推進課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	87,887	87,887	92,904

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

持続可能な開発目標 (SDGs) において、改めて保健医療分野のゴールが設定される中、新型コロナウイルスの感染拡大を受け、地球規模の保健医療課題の重要性は、国際社会において益々高まっている。

わが国は、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、平成28年のG7、令和元年のG20では議長国を務め、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。そして、令和5年に再びG7の議長国を務める予定である。

また、わが国は、医薬品、医療機器及び医療技術等の開発を実現し、国内のみならず諸外国の医療の向上への貢献を推進することも表明しており、海外の研究機関と国内の臨床研究実施機関との共同研究の実施及び連携を推進している。

【事業目標】

- ①わが国の知見や技術を移転し、低・中所得国の保健医療分野 SDGs の実現に寄与する。
- ②低・中所得国の健康・医療問題改善に資する、わが国発の医薬品・医療機器・医療技術等の海外での活用に向けた実装・臨床研究を推進する。
- ③世界保健機関(WHO) 事前認証の取得、WHO ガイドライン及び途上国向け WHO 推奨医療機器要覧への掲載、国連をはじめとする国際機関の調達への参入や各国の保健医療施策に資する成果の創出を通じて、わが国の保健医療外交戦略を推進する。
- ④Global Alliance for Chronic Diseases (GACD) 等の研究開発資金配分機関 (FA) の国際アライアンスを活用して国際共同研究を実施し、研究開発成果が低・中所得国における保健・医療分野の政策及びサービスにおいて活用されることを念頭に、研究開発を進める。

【研究の範囲】

- 対象国の臨床現場で導入・普及されていない医薬品・医療機器・医療技術等の有効性、安全性、効率性等を評価するための実装・臨床研究
- 開発した保健医療技術を対象国で普及するための研究、及びそれらを実装するための研究
- エビデンスが証明された医療技術等を、リソースの限られた国でも導入できるよう最適化を目指すための実装研究
- 課題解決に資する基礎的知見を収集するための疫学研究

【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5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5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5年度末までに1件

(2) これまでの研究成果の概要

- 「新型コロナウイルス感染症の血清学的診断法の臨床的有用性評価」
(令和2～3年度)
蛍光免疫測定法によるCOVID-19抗体価迅速測定機器の臨床性能をわが国で確認し、コンゴ民主共和国及びエルサルバドルにおける臨床試験を開始した。両国で512検体を収集し血清診断を行い、従来法であるCLIA法を上回る相関性を確認した。
- 「ネパールの遠隔地における糖尿病対策のための健康増進活動によるランダム化比較介入試験」(令和元年～令和4年度)
約290名の2型糖尿病患者の登録を終えた。ベースラインの生活習慣に関する調査を実施中である。
- 「ブータンにおける国家的胃がん予防戦略のための実装および臨床効果の検討」
(令和3～5年度)
対象村で1164名に血液検査を実施し、陽性となった住民に対する除菌治療及び陽性者の一部に対して内視鏡検査を実施した。非対象村の住民にはピロリ菌及び胃がんに関する理解度についてアンケートで調査した。医療従事者に対しては、内視鏡所見の正しい読み方についてオンライン指導を数ヶ月おきに実施中である。
- 「医療資源の限られた環境で有用かつ低価格で導入可能な、簡易保育器、携帯型 High-flow nasal cannula、胃管を含む早産児救命パッケージの開発」(令和3～6年度)
ラオスにおいて研究協力施設を1から4病院に拡大することについて全病院から基本合意書(LOI)を取得した。LOIを元にラオス保健省と国立倫理委員会からは観察研究について、シエラレオネでは、BO Government Hospitalでの臨床研究について承認を得た。
- 「ガーナ国の入国地点における中核的能力整備のための研究」(平成29年度～令和元年度)
ガーナの国境検疫のうち4カ所で感染媒介動物のサーベイランスを行い、西アフリカで初となるリフトバレー熱(RVF)ウイルスを検出した。最終年にはサーベイランスを拡大し、RVFの詳細な分布状況及び遺伝子型を同定した。
- 「ミャンマーとマレーシアにおける高齢者社会疫学調査と地域アセスメントツールの開発」(平成29年度～令和元年度)
ミャンマー及びマレーシアの国家的状況に調整した調査を通じて複数の健康指標に関して客観的に地域間格差を見える化した。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- 「ガーナ国の入国地点における中核的能力整備のための研究」では、ガーナの入国地点におけるサーベイランスで得られた知見が、Ghana National Action Plan for Health Security 2019 - 2023に反映され、ガーナにおける感染症対応の強化に寄与した。この取組は、SDGs 3.3及び3.dの達成に貢献するものである。
- 「ミャンマーとマレーシアにおける高齢者社会疫学調査と地域アセスメントツールの開発」では、ミャンマーの高齢者疫学調査で得られた知見を元に、ミャンマー保健省の高齢者保健医療施策の策定が開始された。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

- 「カンボジアにおける分娩監視装置導入と、その死産・新生児死亡の減少効果に関する研究開発」（令和2～5年度）

導入予定の分娩監視装置が既存機種と比較した結果、低中所得国での保守点検管理および利用において優位性が高いことが明らかとなり、その臨床研究の実施に向けて、カンボジア保健省と国際共同研究の契約書が締結される予定である。最終年度である令和5年度には現地に研究者を派遣し遅延なく社会実装に向けた道筋を立てることが急務となっている。

(2) 新規研究課題として推進するもの

- 「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」

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・医療技術等に関して、低・中所得国の患者に対する実装・臨床研究を行う。

- 「低・中所得国における慢性疾患に及ぼす都市環境と行動変容に関する実装研究の国際協調研究公募（仮）」

Global Alliance for Chronic Diseases（GACD）と連携し、低・中所得国における慢性疾患による疾病負荷の改善のための都市環境と行動変容に関する実装研究を行う。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- 「カンボジアにおける分娩監視装置導入と、その死産・新生児死亡の減少効果に関する研究開発」（令和2～5年度）では、分娩経過中の低酸素による新生児死亡と死産がいまだに多いカンボジアにおいて、リスクがある症例に分娩監視装置を適用する効果を提示するのみならず、医療制度・費用・技術面等からも導入の適否を検討し、学会と共同で教育研修ガイドライン、利用マニュアル、臨床プロトコルの整備を目指す。さらには、SDGsターゲット3.2に掲げられている新生児死亡率の減少へ貢献する。

- 令和5年度の「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」においては、低・中所得国における保健医療分野に関連するSDGsの実現や健康・医療問題の改善に寄与する、移転可能なわが国の知見や技術を幅広い分野から募集し、海外での活用に向けた臨床研究及び事前認証や推奨を通じた国連調達の推進、並びに各国の保健医療施策への活用につなげる。

- 「低・中所得国における慢性疾患に及ぼす都市環境と行動変容に関する実装研究の国際協調研究公募（仮）」では、国際共同研究を通じて都市環境を活かした生活習慣への介入や政策の調査等を実施し、都市の健康を促進するためのエビデンスに基づくツールを開発する。研究成果はSDGsターゲット3.4に掲げられている非感染性疾患（NCD）による早期死亡の減少に寄与するものであるとともに、低・中所得国における保健・医療分野の政策及びサービスに活用されることが期待できる。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、

成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略)との関係

【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)

第2章 1. (2) 科学技術・イノベーションへの投資

…バイオテクノロジー・医療分野は我が国の国益に直結する科学技術分野である。このため、国が国家戦略を明示し、官民が連携して科学技術投資の抜本拡充を図り、科学技術立国を再興する。

・イノベーションの担い手である若い人材に対する支援を強力に推進する。…未来ある研究者の卵たちにキャリアパス全体として魅力的な展望を与え、研究に専念できる支援策を深化させる。…若者の世界での活躍を支援し、コロナ禍で停滞した国際頭脳循環の活性化に取り組む。

第4章 5. 経済社会の活力を支える教育・研究活動の推進

・官民連携による…「第6期科学技術・イノベーション基本計画」及び分野別戦略を着実に実行する。研究開発成果の社会実装と国際市場獲得のため、標準活用戦略を加速する。

・…大型研究施設の官民共同の仕組み等による戦略的な整備・活用の推進、情報インフラの活用を含む研究DXの推進、各種研究開発事業における国際共同研究の推進等により、研究の質及び生産性の向上を目指す。

【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1章 2. (1) ① 10兆円規模の大学ファンドが牽引する異次元の研究基盤の強化と大学改革 (国際化の推進)

・我が国が卓越性の高い研究を生み出すためには、海外の異なる研究文化・環境の下で…そこで、科学技術の国際展開に関する検討結果を踏まえ、国際的に活発に行われている国際共同公募による先端研究支援に我が国が積極的に参画し戦略的に推進するため、各種研究開発事業において国際共同研究を協力を推進するとともに、…魅力ある研究拠点の形成や、学生・研究者等の国際研究ネットワークを構築する。

第2章 2. (1) 多様で卓越した研究を生み出す環境の再構築

・…このため、多くの研究者が、海外の異なる研究文化・環境の下で研さん・経験を積めるようにし、研究者としてのキャリアのステップアップと、海外研究者との国際研究ネットワークの構築を図る。あわせて、世界中から意欲ある優秀な研究者を引き付ける魅力的な研究拠点を形成し、トップレベルの研究者をオンラインを含めて迎え入れる。これらのネットワークを活用した国際共同研究を推進することにより、互いに刺激し合い、これまでにない新たな発想が次々と生まれる環境を整備する。

【健康・医療戦略】 (令和2年3月27日閣議決定)

4. 具体的施策

4. 2. 2. 国際展開の促進

○ アジア健康構想の推進

(具体的事業によるサービス提供)

・我が国の国際的な医療・介護の拠点の、アジアを中心とした海外への更なる進出を支援する。…予防・健康維持や衛生設備等の…我が国の事業者の国際展開を推進する。

(基盤の整備)

・単なる医療機器や医薬品の…の供給にとどまらず、それらの研究開発、製造、流

通、安全規制、適正使用等…を、我が国の企業が関わる形で推進する。

○ アフリカ健康構想の推進（基盤の整備）

- ・…生活習慣の改善や予防接種を通じた疾病予防、…巡回診療といった事業の展開等を通じ、…裾野の広いヘルスケアサービスの実現に必要な基盤の整備を、日本企業が関わる形で推進する。（医薬品・医療機器等）
- ・アフリカにおいて、喫緊の課題である感染症への対応も含め、必要な医薬品・医療機器等の整備を、日本企業が関わる形で推進する。

4. 3. 健康長寿社会の形成に資するその他の重要な取組

（新型コロナウイルス感染症対策の推進）

- ・新型コロナウイルス感染症への対策として、「新型コロナウイルス感染症対策の基本方針」（2020年3月28日新型コロナウイルス感染症対策本部決定、5月25日変更）など、政府が定める方針のもと、国内外の連携を図りつつ、必要な研究開発等の対策を速やかに推進する。その際、感染症の研究開発に対する多様なインセンティブや医療に係る規制の緊急時の適用の在り方等の課題も念頭において、必要な対策を検討する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

- 「地球規模保健課題解決推進のための行政施策に関する研究事業」（厚生労働科学研究）では、厚生労働省の実施する政策の推進のための研究（例：保健関連のSDGsの達成及びそれに向けたモニタリングに関する研究）を行っている。一方、当研究事業は、低・中所得国を研究フィールドとして、わが国発の医薬品、医療技術等の海外での活用に向けた実装・臨床研究や、生活習慣病予防技術を用いた介入研究を行うものである。

これら2つの研究事業は、政策研究の成果から将来の実装研究のシーズが発見され、また実装研究から製品の海外での活用における政策課題が抽出されるような連携が期待される。例えば実装研究である「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」で特定された海外での活用にあたっての障壁が、政策研究である「保健分野における三大感染症等に関する国際機関へのわが国からの戦略的・効果的な資金拠出と関与に資する研究」においてわが国の国際機関への関与について解決策を研究すべき課題として還元され、その結果わが国発の製品が円滑に海外で活用されていくというような相乗効果も期待される。

- 「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」（AMED）は、開発途上国・新興国等におけるニーズを踏まえた医療機器の新規開発を推進するものである。一方、当研究事業で推進する「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」は、わが国等で既に有効性が示された医薬品、医療機器、医療技術等の効果検証のために海外の患者を対象に臨床試験を行うものであり、GACDと連携した慢性疾患対策を目的とした実装研究を行うものである。

「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」で新規開発された医療機器等のうち、臨床試験が更に必要な課題については、当事業で研究発展することが可能である。また、慢性疾患対策を目的に開発された医療機器の実装化を目的に、当事業においてGACDと連携した実装研究を行うことも可能である。更に、当事業で行う疫学研究等から抽出された低・中所得国のニーズを踏まえて、医療機器の新規開発を推進することも期待できる。

プロジェクト名	シーズ開発・研究基盤プロジェクト
研究事業名	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：日米医学協力計画)
主管部局・課室名	大臣官房厚生科学課
AMED 担当部・課名	国際戦略推進部 国際戦略推進課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	87,113	89,236	94,330

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

本研究事業は、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実施される日米医学協力計画に基づいて実施される事業である。日米医学協力計画は、アジア地域にまん延している疾病等に関して、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。

【事業目標】

日米医学協力計画の下には、9つの専門部会（コレラ・細菌性腸管感染症、抗酸菌症、ウイルス性疾患、寄生虫疾患、栄養・代謝、がん、肝炎、エイズ、急性呼吸器感染症）と1つの部門（免疫）が設けられており、日米の関係機関（米国は、米国立衛生研究所（NIH）の米国立感染症・アレルギー研究所（NIAID）及び米国立がん研究所（NCI））、関係の研究者が協力して、アジア地域にまん延している疾病等に関して「医療に関する研究開発」を発展させることを目標としている。

【研究のスコープ】

- 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
- ②日米医学協力計画を基軸とした「若手・女性研究者育成共同研究プログラム」に関する研究

【期待されるアウトプット】

長期に渡り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する。

若手・女性研究者育成共同研究プログラムにおいては、2年間の研究期間で将来的に顕著な成果が得られる可能性のある研究を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。具体的には、令和4年度に、日米共同研究における新しいボツリヌス毒素の神経学的毒性の解析、新たなHIVリザーバーとしての自然免疫に関わるT細胞の同定、日米比泰合同の前向きコホート研究によるCOVID-19の長期的影響等の成果が得られる予定である。

【期待されるアウトカム】

本研究事業によるアジアで蔓延する感染症等の新しい診断法や検査方法の開発などの成果は、国際連合食糧農業機関（FAO）やWHOの国際機関の推薦する世界標準法として活用されることが期待でき、国際的なプレゼンスの向上にも寄与するものである。

若手・女性研究者育成共同研究プログラムでは、優れた人材の育成に加え日米の研究

者間の将来にわたる協力関係の構築も期待され、国際的な感染症の疾病発生時における迅速な対応等に大いに貢献する。

(2) これまでの研究成果の概要

○アジア地域等にまん延する新興・再興感染症、がんに対する研究組織の醸成及び国際的な情報共有を行った。

○汎太平洋新興・再興感染症国際会議(EID)を、以下のとおり毎年度継続的に開催し、最新の研究成果(若手・女性研究者共同公募を含む。)を発表・議論する場を提供した。

第21回EID 平成31年2月開催:ベトナム

「One Health及び細菌性及び寄生虫疾患、栄養・代謝関係」

第22回EID 令和2年2月開催:タイ

「アジアにまん延するウイルス性疾病の病因と防御免疫」

第23回EID 令和5年1～3月頃開催予定 候補地:フィリピン

(微生物及び寄生虫疾患分野)

また、令和3年度は新型コロナウイルス感染症の流行によりEID会議が実施できなかったため、令和4年3月9～11日に新型コロナウイルス感染症やAMRをテーマとしたVirtual Workshop(日米比の合同開催)を開催した。

○国際的に活躍できる若手、及び、女性研究者の育成に貢献した。例として、平成30年度の若手・女性研究者育成共同研究プログラムに採択されていた研究者が、デング熱やジカ熱などの蚊媒介性感染症の伝播様式及び免疫応答解明への貢献が認められ、令和2年12月に第4回AMED理事長賞を受賞した。

○その他にも以下のような研究成果が出ている。

- ・新規選択的CD8陽性T細胞誘導HIVワクチンの粘膜感染防御効果(エイズ専門部会)
- ・治療薬のない重症ウイルス感染症であるアレナウイルス感染症に広範囲に有効な抗ウイルス薬の開発を目標とする課題で、候補化合物を同定した(若手・女性公募研究)

<定量的な研究成果>

○令和3年度

- ・学会誌・雑誌等における論文発表:306件
- ・学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表:411件
- ・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:3件

○令和2年度

- ・学会誌・雑誌等における論文発表:164件
- ・学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表:70件
- ・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:1件

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

日米合同で主催するEID国際会議をアジア地域で年1回開催し、各分野の研究の現状及び今後の方向性について議論し、報告書をまとめ、公表している。また、若手・女性研究者育成共同研究プログラムにより、世界をリードする学術的な実績の積み上げ、強力な指導力の発揮に向けた、若手及び女性研究者が育成された。

さらに、国際的な感染症等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が構築されるとともに、日米のみならずアジア地域の研究者との共同研究を通して、アジア地域における研究推進に貢献している。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

「若手・女性研究者育成共同研究プログラムに関する研究課題」については、応募される研究計画は良質なものが多いこと、「経済財政運営と改革の基本方針 2020」、「統合イノベーション戦略 2021」等においても若手・女性研究者の人材育成が掲げられていることから、課題の採択数を増加する必要がある。

(2) 新規研究課題として推進するもの

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としたネットワーキングの機会創出のためのワークショップを EID 国際会議とは別に、新たに開催し、「若手・女性研究者育成共同研究プログラムに関する研究課題」の成果報告等を行う。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

(1) と同様の寄与を期待するとともに、新たに開催するワークショップにおいて若手・女性研究者の連携がより強化されることとなる。

若手・女性研究者への支援については、将来的に採択者のその後の活躍に関して適宜フォローを行い、AMED 研究における他の統合プロジェクトへの導出を目指す。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

第2章 新しい資本主義に向けた改革

1. 新しい資本主義に向けた重点投資分野

(2) 科学技術・イノベーションへの投資

若者の世界での活躍を支援し、コロナ禍で停滞した国際頭脳循環の活性化に取り組む。

【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 Society 5.0 の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

2. 知のフロンティアを開拓し価値創造の源泉となる研究力の強化

(1) 多様で卓越した研究を生み出す環境の再構築

【あるべき姿とその実現に向けた方向性】

優秀な若手研究者が、時代の要請に応じた「知」のグローバルリーダーとして誇りを持ち、研究に打ち込む時間を十分に確保しながら、自らの人生を賭けるに値する価値を見出し、独立した研究者となるための挑戦に踏み出せるキャリアシステムを再構築する。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

4. 具体的施策

4. 4. 研究開発及び新産業創出などを支える基盤的施策

4. 4. 2. 教育の振興、人材の育成・確保等

(1) 先端的研究開発の推進のために必要な人材の育成・確保等

○ 若手・女性研究者を含めた人材育成

- ・基礎から臨床研究及び治験の各フェーズ、様々なモダリティなどや疾患領域、さらにはそれらの横断領域等の研究の担い手となる優れた研究者を、若手や女性を含めて育成・確保する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

日米医学協力計画の関連研究分野である免疫部門は、文部科学省より予算を受けてAMEDにおいて運用している。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	成育疾患克服等総合研究事業
主管部局・課室名	子ども家庭局母子保健課
AMED 担当部・課名	創薬事業部医薬品研究開発課、ゲノム・データ基盤事業部医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
		443,457	454,263

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

平成30年12月に「成育過程にある者及びその保護者並びに妊産婦に対し必要な成育医療等を切れ目なく提供するための施策の総合的な推進に関する法律」（成育基本法）が成立し、次代の社会を担う成育過程にある者の個人としての尊厳が重んぜられ、その心身の健やかな成育が確保されることの重要性が改めて示された。

令和3年2月9日、「成育医療等の提供に関する施策の総合的な推進に関する基本的な方針」が閣議決定され、社会的要因が子どもの健康に及ぼす影響も含め、妊娠・出産・育児に関する問題や成育過程の各段階において生ずる心身の健康に関する問題に対する調査研究を通じて、成育医療等の状況、施策の実施状況やその根拠となるエビデンス、科学的知見等を収集し、その結果を公表・情報発信することが求められている。

【事業目標】

受精・妊娠から胎児期、新生児期、乳幼児期、学童期、思春期、性成熟期、生殖期それぞれのライフステージと、次の世代を創出し育成する一連のサイクルである「成育サイクル」の観点から健康課題克服に向け、病態の解明と予防および治療のための研究開発とその実用化を推進する。

【研究の範囲】

①先制医療実現に向けた周産期臨床研究開発等の推進

成長とともに様々な健康課題や疾病発症に影響することが明らかとなっている低出生体重児や早産児の予防と適切な管理方法の開発を目指す。また、新生児マスキリーニング候補疾患の選定・評価等を行い、治療・予防可能な疾患に対する先制医療実現を目指す。

②乳幼児・学童・思春期のレジリエンス向上等に関わる効果的な早期介入法の開発

我が国の思春期・若年成人の自殺率は他の先進国と比較して高く、また学童期以降は、医療機関を受診する機会が少ないため、心身の健康実態の把握が重要である。健康課題克服に向けて、困難な状況へ対応する能力を指すレジリエンスの変化の因子の同定や早期介入ポイントの明確化、発達障害の早期発見や効果的な虐待予防法等に関する科学的エビデンスの創出に向けた取り組みを推進する。

③不妊症の解明と質の高い生殖補助医療の開発

現状では、不妊に対する治療は対症療法のみであるため、男性、女性ともに未だ解明されていない不妊・不育に至るメカニズムの理解を深めるとともに、不妊予防・不

妊の状態を改善する介入方法の開発を推進する。

④ ライフコースデータに基づくエビデンス創出

多くの疾患や健康課題は、時間経過によって次第に表面化してくるという視点から、出生コホート連携に基づく胎児期から乳幼児期の環境と母児の予後に関する研究、コホートデータ連携基盤に基づく発展的な新規課題の抽出、公的データベースとのリンケージの推進を行う。

【期待されるアウトプット】

成育疾患におけるゲノム情報や研究開発に必要なバイオリソースの収集・提供基盤と連携し、ライフステージを俯瞰した疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進するために必要なデータ収集およびエビデンス創出に向けた研究を推進し、以下の目標を目指す。

＜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 84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（管理目標）

【期待されるアウトカム】

＜医薬品 PJ＞

- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況（管理目標）

＜ゲノム・データ基盤 PJ＞

- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 1件

周産期臨床研究やデータベースの連携を基盤とした妊娠、出産、育児に関する問題、成育過程の各段階において生ずる心身の健康に関する問題等に関する研究開発を網羅的に推進することによって、エビデンスの蓄積、新たな予防・診断・治療方法の開発が進展し、成育過程にある者等のQOLの改善につながる。

(2) これまでの研究成果の概要

① 先制医療実現に向けた周産期臨床研究開発等の推進

○ 「新生児集中治療室における精緻・迅速な遺伝子診断に関する研究開発」 (令和元年～5年度)

複数の高度周産期医療センターで構成されたネットワークを構築した。従来の検査法では原因を特定することができなかった重症の新生児に対して、ゲノム解析を試みた結果、約半数が遺伝性疾患であることが判明し、そのうちの約半数では検査や治療方針の変更が行われた。

○ 「新生児低酸素性虚血性脳症の生物学的マーカーの実用化に向けた臨床研究」 (令和元年～3年度)

新生児低酸素性虚血性脳症に対する検査法の開発に向けて、sLOX-1をマーカー候補としてカットオフ値や重症度診断の有効性等の検証を行った。

○ 「モザイク型21トリソミーの発症機序の解明」(平成30年度～令和2年度)

ダウン症の2-3%に見られるモザイク型21トリソミーの発症機序の解明に向けて、21番染色体の動態をリアルタイムで追跡可能なシステムを構築した。また、常染色体トリソミー症候群の患者の細胞から樹立したiPS細胞の染色体数は過剰染色体が喪失して正常化することを明らかにした。

- ②乳幼児・学童・思春期のレジリエンス向上等に関わる効果的な早期介入法の開発
- 「被虐待児の脳・エピゲノムに刻まれた傷跡解析による子ども虐待予防・介入法開発」
(令和2～4年度)

虐待などの不適切な養育を受けた子どもは、一般の同年代の子どもに比べて、オキシトシン遺伝子の一部に、化学修飾「DNAメチル化」が多いことを確認した。またDNAメチル化が多いほど、脳注意ネットワーク内の容積の低下、報酬系ネットワーク内の脳活動の低下が認められた。さらに、DNAメチル化は、特に5-8歳時のマルトリートメントや身体的虐待と関係があった。

- 「学童・思春期のこころの客観的指標と連携システムの開発」
(平成30年度～令和3年度)

学童・思春期における心の健康問題に関する実態把握を目的として学童・思春期の子どもたち10,611名を対象に抑うつ症状の重症度評価を行った結果、ほとんど症状がないと評価された児は61.0%、軽症と評価された児は22.4%、中等度と評価された児は8.7%、中等から重症と評価された児は3.6%、重症と評価された児は1.6%、欠損は2.7%であった。この他、攻撃性の指標、不安症の指標、QOLの指標を収集し、メンタルヘルスの重要指標の標準値を得た。

- ③不妊症の解明と質の高い生殖補助医療の開発

- 「不妊症、産科異常に関わるネオ・セルフ抗体の研究開発」(令和元年～3年度)

全国5つの大学病院で不妊症女性227人に対し、新しい自己抗体(ネオ・セルフ抗体)を測定した結果、全体の約1/4で陽性となり、さらに従来検査では原因不明となっていた患者の約1/5で陽性であることが判明した。

- 「不妊症の原因解明、予防治療に関する研究」(平成28～30年度)

日本人6,556例の不妊症臨床データベースを構築した上で不妊症リスク因子の頻度や治療成績を明らかにした。

- ④ライフコースデータに基づくエビデンス創出

- 「周産期・小児領域における高品質臨床研究推進のための臨床研究コンソーシアム」
(令和元年～5年度)

関連学会と連携して、人材育成や大規模多施設共同研究の実施基盤の構築を目指して、「周産期・小児臨床研究コンソーシアム」を結成した。さらに、生殖・周産期・小児に関わるリンケージデータベースの構築や研究支援等を推進している。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

<研究成果の政策等への活用>

- ・思春期の集団向けのメンタルヘルスアプリケーションを開発した。(「学童・思春期のこころの客観的指標と連携システムの開発」(平成30-令和3年度))
- ・「不妊症管理に関する提言2019」をとりまとめた他、不妊症の方々の精神的ストレスを緩和するためのTender loving careの実践DVDを作製して全国規模で配布した。(「不妊症の原因解明、予防治療に関する研究」(平成28～30年度))

<実用化に向けた取組>

- ①先制医療実現に向けた周産期臨床研究開発等の推進

新生児集中治療室における精緻・迅速な遺伝子診断に関する研究開発や、新生児低酸素性虚血性脳症の早期重症度診断法の開発等、妊娠期・小児期における各種バイオマーカーの確立により、新生児等の重症化予防や治療につながる。

- ②乳幼児・学童・思春期のレジリエンス向上等に関わる効果的な早期介入法の開発
被虐待児の脳・エピゲノムに刻まれた傷跡解析や、学童・思春期における心の健康問題に関する実態把握により、子ども虐待やレジリエンス等の予防・介入法開発へつなげていく。
- ③不妊症の解明と質の高い生殖補助医療の開発
新しい自己抗体（ネオ・セルフ抗体）の研究開発により、従来の検査で原因不明となっていた患者の不妊に至るメカニズムの理解を深めるとともに、不妊症を改善する介入方法の開発を推進する。
- ④ライフコースデータに基づくエビデンス創出
「周産期・小児臨床研究コンソーシアム」の結成を行い、人材育成、大規模多施設共同研究の実施基盤の構築、生殖・周産期・小児に関わるリンケージデータベースの構築や研究支援等により、周産期・小児領域における高品質な臨床研究を推進させる。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

妊婦や小児に関する臨床研究は、1施設当たりの分娩数及び新生児管理数が少ないことから施設単位の臨床研究は限りがあり、利益やリスクの問題から民間企業が参入しにくい状況である。このような状況においても、予防・診断・治療技術の開発及び実用化を推進するとともに、ライフステージ縦断的なデータベースの基盤を構築しエビデンスの創出を充実させる必要があることから、特に下記課題について推進する。

- ① 先制医療実現に向けた周産期臨床研究開発等の推進
—「症候性先天性サイトメガロウイルス感染症を対象としたバルガンシクロビル治療の開発研究」（令和元年～5年度）
- ④ライフコースデータに基づくエビデンス創出
—「周産期・小児領域における高品質臨床研究推進のための臨床研究コンソーシアム」（令和元年～5年度）
—「出生コホート連携に基づく胎児期から乳幼児期の環境と母児の予後との関連に関する研究」（令和元年～5年度）

(2) 新規研究課題として推進するもの

- ①先制医療実現に向けた周産期臨床研究開発等の推進
妊娠から乳幼児期の早期ライフステージをターゲットとした新規医薬品等の開発は、採算性やリスクから企業主導では困難であるため、国内未承認の有効成分を含有する医薬品又は国内既承認の医薬品の新たな効能・効果等での薬事承認を目指した研究を推進する。また治療・予防可能な疾患に対する先制医療実現を目指した臨床研究を行う。
- ②乳幼児・学童・思春期のレジリエンス向上等に関わる効果的な早期介入法の開発
既存のコホートやアプローチ方法を用いて学童・思春期の健康課題を明確化し、健康問題に関する予防・診断プログラムの開発や学童・思春期における将来の疾病リスクの軽減につながる検査・診断法、システムの開発を行う。

③不妊症の解明と質の高い生殖補助医療の開発

本邦の生殖補助医療（ART）出生児数は令和元年度には 6.1 万人となり、不妊治療のみならず少子化対策の重要方策として位置づけられるようになってきた。しかし、ART の治療方法は多様であり、また生殖を人工的に行う特殊な医療行為であることから、安全性を維持・改善することが課題である。本課題では、生殖補助医療技術の有効性・安全性に関するエビデンスを創出し、不妊治療の検査・治療法の確立および不育症に関する診断・治療法の開発を行う。

（3）令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- ・母子の将来の疾病負荷を軽減するための医薬品の開発や学童・思春期に発症する疾患の予防・診断法の開発等により、母子感染症、乳幼児期の感覚器障害、学童期・思春期における疾病の早期発見や適切な支援につながる。
- ・生殖補助医療および不育症に関する研究開発により、不妊症、不育症のメカニズムや要因を明らかにし、効果的な診断・治療につながる。
- ・周産期・小児領域における高品質臨床研究推進のための臨床研究コンソーシアム、出生コホート連携に基づく胎児期から乳幼児期の環境と母児の予後との関連に関する研究等のリンケージにより、周産期領域から始まるライフコースにおける自然歴や問題点、介入ポイントを把握することができ、周産期・小児期における対策の基礎資料として活用できる。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

健康・医療戦略（令和2年3月27日閣議決定）において、2040年の人口動態を見据え、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野に係る研究開発を戦略的・体系的に推進する観点から、成育領域等については、具体的な疾患に関して統合プロジェクトにまたがる研究課題間の連携が常時十分に確保されるよう運用するとともに、統合プロジェクトとは別に、予算規模や研究開発の状況等を把握・検証し、対外的に明らかにするほか、関係府省において事業の検討等の参考にとすることとされた。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

- ・AMED 研究事業である成育疾患克服等総合研究事業においては、特に臨床的な成育疾患の予防方法・治療方法開発についての研究を推進している。一方、厚生労働科学研究費補助金で実施する健やか次世代育成総合研究事業では成育疾患克服のための体制作りや倫理的な課題など保健・行政的アプローチを主としており、相補的な連携関係にある。
- ・AMED が実施する女性の健康の包括的支援実用化研究事業では性成熟期、更年期または老年期など生涯を通じた女性の健康課題についての病態の解明と予防及び治療開発とその実用化を目的としている。一方、成育疾患克服等総合研究事業においては、受精・妊娠に始まり、胎児期、新生児期、乳児期、学童期、思春期までのライフステージに応じた健康課題克服、また、生殖補助医療・母胎疾患・分娩等に関する病態解明、診断・治療技術の開発、実用化にフォーカスをおいている。
- ・AMED 成育疾患克服等総合研究事業で打ち出された「ライフステージに応じた健康課題

の克服」という構想に基づいて立案された、文科省所掌の革新的先端研究開発事業の新規研究開発目標「健康・医療の質の向上に向けた早期ライフステージにおける分子生命現象の解明」（早期ライフステージ）が平成 31 年度に設定されることとなった。本戦略目標に基づき運営される AMED-CREST、PRIME と適切に連携することにより、各事業から創出される成果の最大化を目指すことになった。

プロジェクト名	医療機器・ヘルスケアプロジェクト、ゲノム・データ基盤プロジェクト、疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局健康課
AMED 担当部・課名	疾患基礎研究事業部疾患基礎研究課 ゲノム・データ基盤事業部医療技術研究開発課 医療機器・ヘルスケア事業部ヘルスケア研究開発課
省内関係部局・課室名	健康局がん・疾病対策課

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	703,071	720,204	761,320

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

がん、循環器病、糖尿病、COPD などの生活習慣病は世界の死亡者数の約 6 割を占めている。我が国においても生活習慣病は医療費の約 3 割、死亡者数の約 6 割を占めており、急速に進む高齢化、社会保障の維持のためにも、生活習慣病の発症予防や重症化予防について、早急な対策が求められている。

循環器病、糖尿病等のがん以外の代表的な生活習慣病は、様々なライフステージを含んだ長い経過の中で、不適切な生活習慣が引き金となり発症し、重症化していくことが特徴である。また、生活習慣病は、我が国の主要な死亡原因であるとともに、特に循環器病に関しては、介護が必要となる主な原因でもある。そのため、人生 100 年時代における、国民の健康寿命の延伸および生涯にわたった生活の質の維持・向上に向けて、包括的かつ計画的な対応が求められている。

生活習慣病の発症予防・重症化予防には、すべてのライフステージにおける栄養・食生活、身体活動・運動、休養・睡眠、飲酒、喫煙及び歯・口腔の健康といった個人の生活習慣の改善、健康づくりが重要である。それと同時に、健診・保健指導の利活用による 1 次、2 次予防の推進、生活習慣病の病態解明や治療法の確立、治療の質の向上等による生活習慣病患者の 2 次、3 次予防の推進によって、誰もがより長く元気に活躍できる社会の実現を目指す。

なお、循環器病については、令和元年 12 月に施行された「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」に基づき、令和 2 年 10 月に循環器病対策推進基本計画が策定され、これに基づいて研究を推進する。

【事業目標】

生活習慣病対策においては、①生活習慣病の発症を予防し、発症したとしても早期発見・早期治療を行うこと、②生活習慣病を適切に管理することで生活習慣病の重症化を予防することが重要であることを踏まえ、「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、生活習慣病対策の研究を推進する。

具体的には、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。

【研究のスコープ】

「健康増進・生活習慣病発症予防分野」において

- ・栄養、運動、睡眠、たばこ、飲酒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を収集するとともに、適切な介入方法を確立する。
- ・個人の状態に応じた効果的な健診・保健指導の手法を開発する。
- ・AI や ICT 等を用いた次世代健康バロメーターの開発や、個々人に適した健康づくり支援法を開発する。
- ・生活習慣病の予防のための行動変容を促すデバイス・ソフトウェアを開発する。

「生活習慣病管理分野」において

- ・生活習慣病発症や重症化に関する病態の解明やバイオマーカーの探索を行い、新たな診断・治療方法を開発する。
- ・患者のライフステージや臨床経過に応じた、個人に最適な重症化予防法及び重症化後の予後改善法・QOL 向上法を確立する。

【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5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5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。

(2) これまでの研究成果の概要

【医療機器・ヘルスケアPJ】

「心血管疾患に対する、乳酸測定ウェアラブルデバイスを用いた運動強度の自己管理システムの開発」（令和元年～3年度：終了）において、心血管疾患の予防・治療に対する、乳酸測定ウェアラブルデバイスによる運動強度の自己管理システムを開発した。

【ゲノム・データ基盤PJ】

「発症時刻不明の急性期脳梗塞に対する適正な血栓溶解療法の推進を目指す研究」（平成29年度～令和元年度：終了）において、国内での低用量を用いた静注血栓溶解療法が一定のサイズを超える梗塞巣を呈した発症時刻不明脳梗塞患者への超急性期治療として有効であることを解明した。

「血糖変動と心血管イベント発症の関連性を検討する前向き観察研究」（平成30年度～令和2年度：終了）において、2型糖尿病患者の日内血糖変動をしっかりとコントロールすることにより血管硬化進展の抑制に繋がる可能性を示した。

「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2～4年度：継続）において、本邦の2型糖尿病患者1万例の合併症の状況を明らかにした。

「糖尿病性腎症、慢性腎臓病の重症化抑制に資する持続的・自立的エビデンス創出システムの構築と健康寿命延伸・医療最適化への貢献」（令和2～4年度：継続）において、SGLT2阻害薬は蛋白尿の有無に関わらず、糖尿病患者における腎保護効果があることを見いだした

【疾患基礎研究PJ】

「血管病変の指標となるバイオマーカーの開発」（令和元年～3年度：終了）において、大動脈瘤を対象とした新規バイオマーカーを開発した。

「東アジア特有の高血圧・脳梗塞リスク RNF213p. R4810K 多型の迅速判定法の確立と判定拠点の構築」(令和元年～3年度：終了)において、RNF213. R4810K 多型保有者は、脳卒中治療時の再閉塞率の危険性が有意に高まり、遺伝子診断の有用性を示した。

「DNA 損傷応答・核形態の機械学習による心不全の予後・治療応答予測モデルの構築」(令和元年～3年度：終了)において、心不全患者の予後や治療応答性を高精度で予測する手法を開発した。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【医療機器・ヘルスケアPJ】

「心血管疾患に対する、乳酸測定ウェアラブルデバイスを用いた運動強度の自己管理システムの開発」(令和元年～令和3年度：終了)では、乳酸測定ウェアラブルデバイスによる運動強度の自己管理システムでは、企業と連携しPMDA相談、Feasibility試験を実施し、実用化に向けた開発を進めた。

【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2～4年度：継続)において、本邦の2型糖尿病患者1万例の合併症の状況を明らかにし、将来のガイドラインの改訂において必要となる基盤的なエビデンスを創出した。

「糖尿病性腎症、慢性腎臓病の重症化抑制に資する持続的・自立的エビデンス創出システムの構築と健康寿命延伸・医療最適化への貢献」(令和2～4年度：継続)において、SGLT2阻害薬は蛋白尿の有無に関わらず、糖尿病患者における腎保護効果があることを見だし、将来のガイドラインの改定等に資するエビデンスを創出した。

【疾患基礎研究PJ】

「血管病変の指標となるバイオマーカーの開発」(令和元年～3年度：終了)において、大動脈瘤を対象とした体外診断法を開発し、我が国で発見された新規バイオマーカーとして、世界各国の臨床応用に向けた測定技術として展開していく。

「東アジア特有の高血圧・脳梗塞リスク RNF213p. R4810K 多型の迅速判定法の確立と判定拠点の構築」(令和元年～3年度：終了)において、遺伝子変化と脳卒中治療後の再発率の関連を示すとともに唾液血液からの簡便な検査法の確立を進め、遺伝子検査を脳卒中診療に導入する取り組みを展開していく。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの(増額要求等するもの)

【ゲノム・データ基盤PJ】

- 「慢性腎臓病を合併した冠動脈疾患ベリハイリスク患者の心血管イベント抑制を目的とした冠動脈MRプラークイメージングの有効性を検証する多施設前向き無作為化対照試験」(令和3～5年度：継続)

造影剤が不要な冠動脈の新規画像診断法の確立を目指す研究である。従来造影剤の使用が困難であった慢性腎臓病の患者においても冠動脈疾患のリスク層別化のエビデンス創出を目指す。高齢化に伴い、慢性腎臓病と心疾患の合併患者は激増することが予測され、新規診断法確立に向けた本研究の推進が必要である。

- 「ダイナミック・コンセントを実装する先進的糖尿病デジタルデバイスの開発研究」(令和3～5年度：継続)

電子同意取得・データ利活用により、オンライン妊娠糖代謝異常治療の有効性を検証する研究である。「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」の令和3年度の改定により、電磁的方法によるインフォームド・コンセントが可能になった。

本研究は比較的若年で電磁的手法に親和性の高い妊娠糖代謝異常において、新しい同意取得方法を実証する研究であり、研究の推進が必要である。

- 「心不全が不治であることの病態解明と治療標的の同定」（令和3～5年度：継続）
心不全を増悪させるメカニズムとして骨髄内の造血ニッチのリモデリングに着目した研究である。心不全パンデミックといわれる高齢心不全患者が激増することが予想される本邦において、新規のメカニズムの同定し、重症化予防・治療につなげることは不可欠であり、その病態解明を推進する。
- 「運動効果模倣薬の開発を目指した運動による生活習慣病改善機構の解析」（令和3～5年度：継続）
骨格筋リモデリング機序に着目し、制御因子を同定し、運動効果を模倣する薬剤の開発基盤を構築する研究である。骨格筋低下によるサルコペニアは多くの生活習慣病の予後を増悪させることが知られており、画期的な治療標的となりうる骨格筋リモデリング制御、代謝改善作用について病態解明を推進する。

（2）新規研究課題として推進するもの

- 「生活習慣病等の予防、早期発見や発症リスク評価のためのデバイス・ソフトウェアの開発」
スマートフォンやウェアラブルデバイス等の普及や、循環器病対策推進基本計画において予防・早期介入法（医療機器等）の開発が求められていることを鑑み、運動、睡眠、口腔衛生、栄養・食生活、喫煙、飲酒などの生活習慣や身体情報のモニタリングや、循環器病等のリスク因子などの入力により、循環器病を含めた生活習慣病の、発症予防や早期診断につなげることや、発症リスクや予後を自動的に予測することを可能とするデバイスやソフトウェアを開発する。
- 「生活習慣病の予防・診療の質向上に資するエビデンス創出研究」
 - ①ゲノムデータやビッグデータ等を活用し、循環器病等の生活習慣病の予防法・診断法・早期介入法・リハビリテーションを含む治療法・重症化予防・予後・QOLの改善に資する新規エビデンスを創出する。
 - ②AI等を利用した生活習慣への積極的な介入（栄養指導・保健指導など）が、生活習慣病の発症・重症化に及ぼす影響に関する前向き研究を実施し、新規診断・治療エビデンスを検証する。
 - ③既存のコホートデータを利用して高血圧、糖尿病、脂質異常症以外の循環器病等の残存リスク因子の解明や、大規模データに基づくゲノム・オミックス解析やAIを活用して、循環器病等に対する革新的な診断法や治療法を開発を行う。
- 「生活習慣病領域におけるデータの利活用のための研究」
 - ①ライフステージを俯瞰して生活習慣病の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進するため、ゲノム・データ基盤の整備・利活用の促進を進める。
 - ②バイオバンク等を利用し、詳細な診療情報に裏打ちされた生体試料などを収集・解析することで、循環器病等の予防・診療の質向上に資するエビデンスを創出する。
 - ③保健師等が実施する健康作り施策を推進するため、ICT等によるデータを利活用し、評価指標の開発を行う。
- 「生活習慣病の病態解明研究」および「生活習慣病の予防・診断・治療のためのシーズ探索研究」
生活習慣病の既存の危険因子以外の新たな危険因子の同定に繋がる分子機序等を解明し、病態解明を行うことで、予防、診断、治療法の開発につなげる。解明した機序をもとに、循環器病等（心血管疾患、心不全、脳卒中等）に対するバイオマーカーの探索など、新規予防・診断・治療法の開発につながるシーズを探索し、その有用性を検証する。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【ゲノム・データ基盤PJ】

「慢性腎臓病を合併した冠動脈疾患ベリハイリスク患者の心血管イベント抑制を目的とした冠動脈 MR プラークイメージングの有効性を検証する多施設前向き無作為化対照試験」(令和3～5年度：継続)において、心血管イベント抑制のための画像診断法として非造影 MR プラークイメージングの有用性を示し、新規診断法の確立し、ガイドラインへの収載を目指す。

「ダイナミック・コンセントを実装する先進的糖尿病デジタルデバイスの開発研究」(令和3～5年度：継続)において、画期的同意取得法として帯端末を用いた電子同意取得を実用化する取組を進める。

「生活習慣病領域におけるデータの利活用のための研究」(新規)において、ICT等によるデータを保健師が活用し、自治体・企業等が利用可能なプラットフォーム基盤の整備・開発を進める。

【疾患基礎研究PJ】

「心不全が不治であることの病態解明と治療標的の同定」(令和3～5年度：継続)において、新しい心不全治療法として造血システムに対する治療標的を同定し、実用化にむけた基盤を構築する。

「運動効果模倣薬の開発を目指した運動による生活習慣病改善機構の解析」(令和3～5年度：継続)において、メカノセンサーが骨格筋リモデリングと代謝改善に及ぼすメカニズムの解明し、運動効果模倣薬の非臨床 POC の取得と新規治療薬開発につなげる。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

III. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

1. 人への分配と投資

(4) 子供・現役世代・高齢者まで幅広い世代の活躍を応援
(予防・重症化予防・健康づくりの推進)

・2024年度の次期国民健康づくり運動プランの開始に向けて、2023年度の地方公共団体の健康増進計画の策定・公表を支援する。

4. GX 及び DX への投資

(2) DX への投資

(医療の DX)

・マイナポータル等を通じた個人の健診・検診情報の提供として、「データヘルス改革に関する工程表」に基づき、学校健診及び40歳未満の事業主健診情報の提供を2023年度までに進める。

・質の高いPHRサービスの創出のため、データの標準化やポータビリティ・セキュリティの確保に向けたガイドラインの策定等を行う事業者団体の2023年度早期での設立を支援する。

【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）

第4章 中長期の経済財政運営

2. 持続可能な社会保障制度の構築

(社会保障分野における経済財政一体改革の強化・推進)

- ・医療・介護費の適正化を進めるとともに、医療・介護分野でのDXを含む技術革新を通じたサービスの効率化・質の向上を図るため、デジタルヘルスの活性化に向けたデジタルヘルス製品の質の見える化やイノベーション等を進め、同時にデータヘルス改革に関する工程表に則りPHRの推進等改革を着実に実行する。オンライン資格確認について、保険医療機関・薬局に、令和5年4月から導入を原則として義務付けるとともに、導入が進み、患者によるマイナンバーカードの保険証利用が進むよう、関連する支援等の措置を見直す。令和6年度中を目途に保険者による保険証発行の選択制の導入を目指し、さらにオンライン資格確認の導入状況等を踏まえ、保険証の原則廃止を目指す。「全国医療情報プラットフォームの創設」、「電子カルテ情報の標準化等」及び「診療報酬改定DX」の取組を行政と関係業界が一丸となって進める。そのため、政府に総理を本部長とし関係閣僚により構成される「医療DX推進本部(仮称)」を設置する。経営実態の透明化の観点から、医療法人・介護サービス事業者の経営状況に関する全国的な電子開示システム等を整備するとともに、処遇改善を進めるに際して費用の見える化などの促進策を講じる。医療・介護サービスの生産性向上や医療DXの推進を図るため、タスク・シフティングや経営の大規模化・協働化、オンライン診療の活用を推進する。

【統合イノベーション戦略2022】(令和4年6月3日閣議決定)

(戦略的に取り組むべき応用分野)

(5) 健康・医療

〈医療分野の研究開発の推進〉

- ・他の資金配分機関、インハウス研究機関、民間企業とも連携しつつ、AMEDによる支援を中核として、医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進。また、基金や政府出資を活用して中長期の研究開発を推進。
- ・2040年までに、主要な疾患を予防・克服し、100歳まで健康不安なく人生を楽しむためのサステナブルな医療・介護システムを実現するための挑戦的な研究開発を引き続き推進する。

【健康・医療戦略】(令和2年3月27日閣議決定)

2. 現状と課題

2. 1 健康・医療をめぐる我が国の現状

我が国では、2040年には100歳以上の人口が30万人以上になると予想され、「日本では、2007年に生まれた子供の半数が107歳より長く生きる」とも言われるなど、人生100年時代の到来が世界に先駆けて間近に迫っている。平均寿命は年々延びて男女ともに世界最高水準に達しており、1994年に14%、2007年に21%を超えた高齢化率(65歳以上人口割合)は、2018年には28.1%に達するなどますます高齢化が進展している。健康寿命と平均寿命との差、すなわち疾病などの健康上の理由により日常生活に制限のある不健康期間は、2010年から2016年の間に男女ともに約0.3年が短縮されたものの、依然として10年近くの期間を占めており、更なる短縮に向けた取組が望まれる。我が国の疾病構造は、医科診療医療費を見ると、がん、糖尿病、高血圧疾患などの生活習慣病が全体の3分の1を占め、筋骨格系、骨折、眼科などの運動器系・感覚器系や、老化に伴う疾患、認知症などの精神・神経の疾患が続いている。健康寿命を延伸し、平均寿命との差を短縮するためにはこうした疾患への対応が課題となる中、診断・治療に加えて予防の重要性が増すと同時に、罹患しても日常生活に出来るだけ制限を受けずに生活していく、すなわち、疾病と共生していくための取組を車の両輪として講じていくこと

が望まれている。予防については、二次予防（疾病の早期発見、早期治療）、三次予防（疾病が発症した後、必要な治療を受け、機能の維持・回復を図るとともに再発・合併症を予防すること）に留まらず、一次予防（生活習慣を改善して健康を増進し、生活習慣病等を予防すること）も併せて取り組むべきであることが指摘されている。

3. 基本方針

3. 2. 健康長寿社会の形成に資する新産業創出及び国際展開の促進等に係る基本方針
○予防・進行抑制・共生型の健康・医療システムの構築・公的保険外のヘルスケア産業の活性化や公的保険サービスとの連携強化により、「予防・進行抑制・共生型の健康・医療システム（多因子型の疾患への対応を念頭に、医療の現場と日常生活の場が、医療・介護の専門家、産業界、行政の相互の協働を得て、境目無く結び付き、個人の行動変容の促進やQOLの向上に資するシステム）」の構築を目指す。

4. 具体的施策

4. 1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進

6つの統合プロジェクト

②医療機器・ヘルスケアプロジェクト

- ・AI・IoT技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化のための医療機器・システム、医療現場のニーズが大きい医療機器や、予防・高齢者のQOL向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。また、医療分野以外の研究者や企業も含め適切に研究開発を行うことができるよう、必要な支援に取り組む。

④ゲノム・データ基盤プロジェクト

- ・健常人及び疾患のバイオバンク・コホート等の情報に加え、臨床研究等を行う際のコホート・レジストリ、臨床情報等を統合し、研究開発を推進するために必要なデータ基盤を構築する。また、細胞のがん化過程をシームレスに追跡できるよう健常人コホートからがん患者の発生を追跡できる研究について検討する。
- ・その際、詳細で正確な臨床情報等が得られる検体を重点的に解析するとともに、個人情報等に配慮しつつ研究開発や創薬等に活用できるデータシェアリングを進め、特に、AMEDで行う研究開発については、研究成果として得られたデータを共有する。
- ・ゲノム・データ基盤の整備を推進するとともに、全ゲノム解析等実行計画等の実行により得られるデータの利活用を促進することで、ライフステージを俯瞰して遺伝子変異・多型と疾患の発症との関連等から疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進し、病態解明を含めたゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。
- ・また、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行う。

⑤疾患基礎研究プロジェクト

- ・医療分野の研究開発への応用を目指し、脳機能、免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。
- ・これらの研究開発成果を臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付けるとともに、臨床上の課題を取り込んだ研究開発を行うことにより、基礎から実用化まで一貫した循環型の研究を支える基盤を構築する。

○疾患領域に関連した研究開発

(生活習慣病)

- ・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

4. 2. 健康長寿社会の形成に資する新産業創出及び国際展開の促進等

4. 2. 1. 新産業創出(1)公的保険外のヘルスケア産業の促進等

○適正なサービス提供のための環境整備

データ等を活用した予防・健康づくりの健康増進効果等に関するエビデンスを確認・蓄積するための実証を行う。

- ・生活習慣病等との関連について最新の科学的な知見・データを収集し、健診項目等の在り方について議論を行う。また、特定健診については実施主体である保険者による議論も経て、健診項目等の継続した見直しを行う。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

本研究事業では健康づくり、健診・保健指導、生活習慣病対策等について、患者及び臨床医等のニーズを網羅的に把握し、臨床応用への実現可能性等から有望なシーズを絞り込み、研究開発を進めている。こうした研究の成果を国民に還元するため、厚生労働省が実施する「循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策総合研究事業」において、施策の見直しや制度設計、政策の立案・実行等につなげる研究を実施している。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト、疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	女性の健康の包括的支援実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局健康課
AMED 担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部・医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
		138,242	141,611

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

「第5次男女共同参画基本計画」（令和2年12月25日閣議決定）第2部Ⅱ第7分野に記載の通り、近年は、女性の就業等の増加、生涯出産数の減少による月経回数増加、晩婚化等による初産年齢の上昇、平均寿命の伸長など様々な要因により女性の健康を脅かす疾病構造が変化している。また人生100年時代を見据え、更なる女性の活躍や健康寿命の延伸のために、治療方法に関する周知も含め、更年期前後からの健康支援が重要である。そのため、国民のヘルスリテラシー（健康について最低限知っておくべき知識）を向上させるとともに、年代ごとの課題や健康を阻害する社会的要因への対応等、近年の女性の健康に関わる問題変化に応じた支援が必要である。

これらを踏まえて、女性の身体的・精神的な健康及び女性医療に関する調査・研究を進め、女性の健康を脅かす社会的問題の解決を含めた包括的な健康支援施策の推進が求められている。

【事業目標】

女性の健康に関する課題解決を目標とし、人生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、かつライフステージの軸で多面的に包括的にとらえ、エビデンスに基づく「予防／診断／治療／予後・QOL」についての研究開発と、その実用化を推進する。

【研究の範囲】

- ・女性特有の疾病に関する疫学・臨床・基礎研究
- ・男女共通課題のうち特に女性の健康に資する疫学・臨床・基礎研究

【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診断、治療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 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（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（管理目標）

<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未満等の他の科学誌）への論文掲載状況（管理目標）

【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開発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。

(2) これまでの研究成果の概要

- ・ビッグデータの解析により日本人女性の月経周期と基礎体温に新知見：世界的に前例のない規模の日本人女性 31 万人、600 万月経周期のビッグデータを解析し、平均月経周期は 23 歳で最も長く、45 歳にかけて徐々に短くなり、その後また長くなる年齢変化を示した。また、基礎体温は低温期が年齢によらず一定である一方、高温期が年齢により変化し、30 代で最も高いことが明らかとなった。〈令和 3 年度終了〉
- ・子宮腺筋症のゲノム解析から発症と子宮内膜症併発に関連する遺伝子変異を発見：子宮腺筋症と子宮内膜症を併発した患者のゲノム解析を行い、臨床情報を照合した結果、子宮腺筋症がゲノム異常を伴う多クローン性増殖疾患であることを初めて明らかにするとともに、子宮内膜症を併発する患者の約 4 割で、子宮内膜症の要因でもあるがん関連遺伝子の変異が存在することを確認した。〈令和 3 年度終了〉
- ・多面的アプローチによる子宮内膜症の治療開発を推進：子宮内膜上皮を用いた網羅的遺伝子解析のデータを用いて、新規子宮内膜症上皮マーカーや間質マーカーを同定し、その有用性を示した。また、血清ビタミン D 値は子宮内膜症患者のコホートでも日照時間や食事摂取に比例すること、副甲状腺ホルモンと逆相関すること、ビタミン D 投与により血中濃度は上昇することを見出した。〈令和 2 年度終了〉
- ・ビタミン E の骨粗鬆症発症機構への酸化ストレスの可能性を確認：ホルモン補充療法や骨粗鬆症治療薬による治療を行っていない 157 人（閉経前女性 46 人および閉経後女性 111 人）の腰椎骨密度と 43 種類の主要栄養素との関連について横断的な解析を行い、閉経前女性において α -トコフェロール摂取量と骨密度との間に有意な正の相関があることが明らかとなった。〈令和 2 年度終了〉
- ・冠動脈疾患が疑われる場合の CT 検査の意義に性差を確認：冠動脈硬化評価を目的とした冠動脈 CT 検査の医療技術評価に関するシステマティックレビューを実施したところ、性差を目的とした質の高い臨床研究は認められず、わが国における性差を加味した冠動脈 CT 検査の医療技術評価の必要性が明らかとなった。冠動脈硬化指標のうち、形態評価として内腔情報である有意狭窄および血管壁情報である冠動脈石灰化に関しては、心血管イベントとの関係に性差があることを証明した。〈令和元年度終了〉

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

①研究成果の政策等への活用

- ・厚生労働科学研究「女性の健康の包括的支援政策研究事業」と連携し、女性の健康を支援するため、月経、子宮関連疾患等のエビデンスに基づく情報発信による社会啓発を実施。
- ・若年女性の健康支援に向けた教育・養成プログラムの開発と研修の実施。
- ・女性特有の疾患についての健診の創設。

②実用化に向けた取組

- ・性差に基づく疾患解明、予防・治療方法の確立。
- ・子宮内膜症、月経前症候群、骨粗鬆症など各女性ホルモンによる疾患の病態解明と予防法・治療法の確立。

2 令和 5 年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

- 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
子宮内膜が子宮内膜症・子宮腺筋症の発生源である分子生物学的エビデンスを創出し、子宮内膜ゲノム情報に基づいてそれらの発症リスクを予測することができれば、新規予防法を提案することで、女性のQOL向上に繋げることができる。予測モデルの精度を高めるために、ゲノム解析を充実させる必要がある。
- 妊孕性低下予防・妊娠合併症リスク予防等プレコンセプションケアの質の向上に資するエビデンスの創出
女性の高学歴化や社会進出によって晩婚化が進む現代社会において、妊娠年齢の高齢化による妊孕性の低下やハイリスク妊娠の増加が懸念されている一方で、それらの予防に資するエビデンスが不足している。妊孕性低下予防・妊娠合併症リスク予防等、プレコンセプションケアの質の向上につなげるエビデンスの創出を充実させる必要がある。
- 性差を認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
高齢化が急速に進展している中、加齢に伴う運動器疾患として骨粗鬆症、サルコペニア、フレイルの病態解明及び診断・治療に資するエビデンスの創出が求められる。さらに、介護予防を目指した地域検診や実臨床の場での応用に向けて、性差を考慮した運動器疾患予防プログラムを開発することが必要である。

(2) 新規研究課題として推進するもの

- 女性ホルモンの影響による健康課題の予防、診断及び治療に資する研究開発
女性のライフステージごとの健康課題について、ホルモンやライフスタイルの変化、女性特有の心理・行動・認知等に視点を置いた病態解明と予防および治療開発が求められている。本研究課題では、年齢とともに大きく変化する要因である女性ホルモン等生殖関連要因と女性のライフステージごとの健康課題との関連を明らかにし、疾病の予防、診断及び治療に資する研究を推進する。
- 若年女性に特有の疾病予防に資するツールの開発
近年増加傾向にある若年女性の痩せ等は、月経異常や早産等のリプロダクティブヘルスに関わる重要な要因であり、早期の介入によるQOL向上が期待できる。本研究課題では、若年女性に特有の疾病に着目した疾病の予防に資するツールの開発を推進する。
- 性差を考慮した疾病の予防、診断及び治療に関する研究
循環器系や老年期の運動器系、若年期の栄養・摂食等男女共通の健康課題のうち、特に女性に大きく影響するものがあるが、性差の観点からのメカニズムは解明されていない。本研究課題では、疾患発症、経過、治療奏効性等の性差に着目した病態の差異を解明するとともに、予防、診断及び治療に資する研究を推進する。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- ・女性特有の疾患等の予防・診断・治療法の開発や性差を考慮した疾病の予防・診断・治療法の開発の検討につなげることで女性のQOL向上を目指す。
- ・妊娠前の女性が、将来、妊孕能低下さらに妊娠した際の合併症を起こすリスクを低減させるため、エビデンスの創出および情報発信を行い、女性の健康、特に妊娠前の女性の健康管理に関する国民のヘルスリテラシーの向上を目指す。
- ・男女共通課題のうち、ホルモン等の生体内の環境に起因する生物学的性差を考慮した疾病の予防、診断及び治療の開発の検討につなげることで女性のQOL向上を目指す。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【女性活躍・男女共同参画の重点方針（女性版骨太の方針）2022】（令和4年6月3日閣議決定）

II 女性が尊厳と誇りを持って生きられる社会の実現

（5）女性の健康

① 「生理の貧困」への支援

経済的な理由で生理用品を購入できない女性がいるという「生理の貧困」は、女性の健康や尊厳に関わる重要な課題である。このため、地域女性活躍推進交付金により、地方公共団体が、女性への寄り添った相談支援の一環として行う生理用品の提供を支援する。また、地域子供の未来応援交付金により、地方公共団体が、子ども食堂や学習支援といった子供の居場所づくりなどの事業を行う中で、支援対象の貧困家庭の子供に生理用品の提供を行うことを支援する。さらに、「生理の貧困」に係る取組の横展開に資するよう、各地方公共団体における取組を調査し、情報提供を行う。

② フェムテックの更なる推進

産官のワーキンググループにおいて、フェムテック関連製品について、「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律」上の位置付けと必要な規制の詳細等について議論を行うとともに、必要に応じて薬事規制への該当性や審査のカテゴリーに関する個別企業の相談に応じる。また、働く女性の月経、妊娠・出産、更年期等、女性特有のライフイベントに起因する望まない離職等を防ぐため、フェムテック企業と導入企業、医療機関、地方公共団体等が連携して、フェムテックを活用し、働く女性の健康課題を解消するためのサポートサービスを提供する実証事業を実施することにより、働く女性の就業継続を支援する。さらに、フェムテック製品・サービスに関連して消費者等から情報提供があった場合は、関係府省庁間で情報を共有し、適切に対応する。

【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

〈医療分野の研究開発の推進〉

- ・他の資金配分機関、インハウス研究機関、民間企業とも連携しつつ、AMEDによる支援を中核として、医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進。また、基金や政府出資を活用して中長期の研究開発を推進。
- ・2040年までに、主要な疾患を予防・克服し、100歳まで健康不安なく人生を楽しむためのサステナブルな医療・介護システムを実現するための挑戦的な研究開発を引き続き推進する。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

【4. -4.1-（1）】研究開発の推進

○疾患領域に関連した研究開発

2040年の人口動態を見据え、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野に係る研究開発を戦略的・体系的に推進する観点から、（中略）、成育、（中略）等については、具体的な疾患に関して統合プロジェクトにまたがる研究課題間の連携が

常時十分に確保されるよう運用するとともに、統合プロジェクトとは別に、予算規模や研究開発の状況等を把握・検証し、対外的に明らかにするほか、関係府省において事業の検討等の参考にする。

(成育)

- ・周産期・小児期から生殖期に至るまでの心身の健康や疾患に関する予防・診断、早期介入、治療方法の研究開発
- ・月経関連疾患、更年期障害等の女性ホルモンに関連する疾患に関する研究開発や疾患性差・至適薬物療法など性差に関わる研究開発

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

女性の健康の包括的支援実用化研究事業では、女性特有の疾病に関する研究、男女共通課題のうち特に女性の健康に資する研究等を行っている。一方、厚生労働科学研究費補助金で実施する女性の健康の包括的支援政策研究事業は、こうした成果を国民に還元するため、女性の健康に関する社会環境の整備に関する研究等を実施し、研究成果を施策に反映することを目的としている。

AMEDが実施する成育疾患克服等総合研究事業においては、受精・妊娠に始まり、胎児期、新生児期、乳児期、学童期、思春期までのライフステージに応じた健康課題克服、また、生殖補助医療・母胎疾患・分娩等に関する病態解明、診断・治療技術の開発、実用化にフォーカスをおいているが、女性の健康の包括的支援実用化研究事業では性成熟期、更年期または老年期まで含めた女性の健康課題についての病態の解明と予防及び治療開発とその実用化を目的としている。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	腎疾患実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局がん・疾病対策課
AMED 担当部・課名	疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課 創薬事業部 医薬品研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	69,948	71,652	75,743

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

「今後の腎疾患対策のあり方について」（平成20年3月 腎疾患対策検討会）に基づく10年間の対策（①普及啓発、②医療提供体制の整備、③診療水準の向上、④人材育成、⑤研究開発の推進）により、年齢調整後の新規透析導入患者数の減少を達成するなど、着実な成果を上げているが、平成29年末における慢性透析患者数は約33万人と未だ減少傾向には転じておらず、今後も生活習慣病の増加や高齢化の進行に伴い慢性腎臓病（CKD）患者の増加も予想されることから、腎疾患対策のさらなる推進が必要である。

そこで、平成30年7月に新たな腎疾患対策検討会報告書（以下、新報告書とする。）が取りまとめられ、「CKD重症化予防の徹底とともに、CKD患者のQOLの維持向上を図る」等を全体目標とし、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。

本事業では、新報告書に基づき、腎疾患の病態解明や診断法の開発、治療法開発、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。

【事業目標】

- ① 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、新報告書に基づく対策のKPI達成に寄与する。
- ② 腎疾患対策に資する研究を実施し、研究成果の効果的な普及や国際展開を行う。

【研究の範囲】

- ・CKDの病態解明研究
- ・腎臓そのものをターゲットにした腎機能を改善する治療法の開発研究

【期待されるアウトプット】

- ・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】

上記の様な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。

(2) これまでの研究成果の概要

「治療法の開発」においては、平成28年度から分子「メガリン」を創薬ターゲットとし、平成29年度に腎毒性薬剤が「メガリン」を入り口として腎臓に取り込まれるこ

とを明らかにした。平成 30 年度にはこの「メガリン」を阻害する候補物について特許出願済みであり、令和元年度以降は「メガリン」を介した溶血関連腎症や造影剤腎症発症機序を明らかにし(論文投稿中)、また「メガリン」の立体構造を明らかにし、インシリコ創薬を進め、新規メガリン拮抗薬開発を目指している。

「炎症の収束に着目した腎疾患の病態解明」研究では、腎疾患の進展機序として炎症収束遅延が病因の一つであり、この炎症の収束に重要な鍵分子として新規 long coding RNA (lncRNA)を同定した。この内容はPNASに論文発表され、lncRNAは新規な創薬標的になる可能性を示すとともに、ミクログリアのなかに炎症収束させるサブタイプを同定し、腎疾患に対する新たな治療アプローチを見出した。(令和3年度終了)

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

「メガリン」や「NMN(nicotinamide mononucleotide)」に関連した医薬品開発を進め、未だ実現されていない慢性腎臓病治療薬(治療法)の実用化を目指した研究を推進した。また、「D-アミノ酸」や「炎症」がCKDや急性腎障害(AKI)へ与える影響のメカニズムを解明することにより、新たな治療戦略の創出を推進した。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの(増額要求等するもの)

腎領域では対症療法が行われている場合が多いため、治療効果が高く、かつ根治を目指すための治療法の開発が急務である。そのため、「慢性腎臓病に対するリアノジン受容体安定化薬併用療法の開発」「日本発の特異的かつ可逆的 Keap1 阻害薬開発に繋がる腎病態改善アプローチの探索」「腎臓オルガノイドを用いた腎線維化修飾遺伝子の探索」において新たなシーズの同定につながる腎疾患の病態解明研究を推進する必要がある

(2) 新規研究課題として推進するもの

・「腎臓をターゲットにした画期的治療法の開発「シーズ最適化・非臨床 POC 確認」

CKDの原因としても重要なAKIの予防・治療にも活用可能なエビデンスを創出する。また、治療標的分子などを確立し、新規腎疾患治療技術の実用化につなげる。さらに、疾患基礎研究事業で発見したシーズを創薬事業で最適化、非臨床 POC 確認を目指す。

(3) 令和5年度の研究課題(継続及び新規)に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

「慢性腎臓病に対するリアノジン受容体安定化薬併用療法の開発」「日本発の特異的かつ可逆的 Keap1 阻害薬開発に繋がる腎病態改善アプローチの探索」「腎臓オルガノイドを用いた腎線維化修飾遺伝子の探索」の成果を、治療効果の高い、かつ根治を目指すための治療法の確立に向けて活用する。

II 参考

1 研究事業と各戦略(新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略)との関係

【経済財政運営と改革の基本方針2021】(令和3年6月18日閣議決定)

第3章 感染症で顕在化した課題等を克服する経済・財政一体改革

2. 社会保障改革

(1) 感染症を機に進める新たな仕組みの構築

また、がん、循環器病及び腎臓病について、感染拡大による診療や受療行動の変化の実態を把握するとともに、健診・検診の受診控え等に関する調査の結果を踏まえ、新しい

生活様式に対応した予防・重症化予防・健康づくりを検討する。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

4. 具体的施策

4. 1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進

疾患領域に関連した研究開発

（生活習慣病）

- ・慢性腎臓病の診断薬や医薬品シーズの探索及び腎疾患の病態解明や診療エビデンスの創出に資する研究開発

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

○厚生労働科学研究との関係

厚生労働科学研究「腎疾患政策研究事業」では診療体制の構築や普及啓発、人材育成等を実施し、AMED 研究「腎疾患実用化研究事業」においては病態解明、診断法や治療法の開発やデータベースを活用したエビデンス構築等を実施している。腎疾患実用化研究事業で得られたエビデンスや診断法、新規治療法等の成果を腎疾患政策研究事業に活用し、新規透析導入患者減少の全体 KPI 管理のために役立てる。

○循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業との関係

平成 28 年度に腎疾患実用化研究事業および循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業で「心腎連関による新規治療法開発」として合同公募を実施し、事前評価および進捗管理、事後評価を合同で行った。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、ゲノム・データ基盤プロジェクト 疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	免疫アレルギー疾患実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局 がん・疾病対策課
AMED担当部・課名	疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課、創薬事業部 医薬品研究開発課、ゲノム・データ基盤事業部 医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	662,133	678,267	716,989

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

本事業は、アレルギー疾患（アレルギー疾患：気管支ぜん息、アトピー性皮膚炎、アレルギー性鼻炎、アレルギー性結膜炎、花粉症、食物アレルギー、その他アレルゲンに起因する人体に有害な局所的または全身的反応に関わる疾患）、免疫疾患（関節リウマチや皮膚・粘膜臓器（腸管、気管、生殖器等）の異常に起因する疾患等）を対象とする。

現状、免疫アレルギー疾患を有する患者は国民の半数以上に上り、増加傾向にあるとされる。免疫アレルギー疾患の病態は十分に解明されておらず、予防的な治療法、根治的な治療法も確立されておらず、罹患患者の長期的なQOL低下を招いている。

アレルギー疾患については、平成26年に「アレルギー疾患対策基本法」が成立し、平成29年に「アレルギー疾患対策の推進に関する基本的な指針」（以下、基本指針）が策定され、令和4年3月に一部改正された。基本指針の中で、研究については、アレルギー疾患の本態解明、革新的なアレルギー疾患の治療に関する方法の開発に資する研究を促進するとともに、成果が活用されるよう必要な施策を講じることとされている。また免疫アレルギー疾患研究の総合的な推進を目指して、平成31年1月に発出された「免疫アレルギー疾患研究10か年戦略」（以下、10か年戦略）では、①免疫アレルギー疾患の本態解明、②本領域研究の効果的な推進と評価に関する横断的な研究、③免疫アレルギー疾患に特徴的であるライフステージ等の特性に注目した研究戦略が策定され、10年後を見据えた目標が設定されている。10か年戦略では、産学官民の連携と患者の参画に基づいて、免疫アレルギー疾患に関して「発症予防・重症化予防によるQOL改善」と「防ぎ得る死の根絶」のために、「疾患活動性や生活満足度の見える化」や「病態の見える化に基づく層別化医療及び予防的・先制的医療の実現」を通じて、ライフステージに応じて、安心して生活できる社会を構築することを目指している。

【事業目標】

本事業は、厚生労働科学研究と連携しながら、10か年戦略の中で特に戦略1「本態解明」と戦略3「疾患特性」において必要な研究開発を推進する。具体的には、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、診断及び治療法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移行して、創薬、医療技術、医療機器等の研究開発等を促進する。

【研究のスコープ】

【医薬品プロジェクト】

・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

新規薬事承認のための治験準備や遂行に巨額の資金が必要となり、また小児アレルギーを対象とする開発にリスクが伴うこと等、製薬会社の経営判断により免疫アレルギー疾患治療薬の開発が不足する可能性が指摘されている。新たな薬事承認を目指すリード物質同定や非臨床又は臨床試験を支援し、予防、QOL 改善や予後向上に資する成果導出を図る。

【ゲノム・データ基盤プロジェクト】

- ・疾患多様性理解と層別化に資する基盤的ゲノム・データ研究

免疫アレルギー疾患を層別化するための臨床情報・検体収集システム及び体制を整備し、検体・データ収集対象等を拡大展開するとともに、時系列情報の添付、HLA 遺伝型を推定するインピュテーション情報付加や、疾患に関連する細胞や組織における発現解析やエピゲノム解析などゲノムデータ解析をさらに高度化する。また、患者の経時的情報や多数のフェノタイプ情報（ディープフェノタイピング）を付与した臨床情報を統合的に解析し、疾患の多様性理解と層別化に基づく医療開発を促進する。

【疾患基礎研究プロジェクト】

- ・病態解明研究分野（病態解明研究）（若手研究者推進）

免疫アレルギー研究においては多数の基礎的発見がなされており、優秀なシーズを世界に先駆けて創出していくために、難治性、再発性、治療抵抗性の疾患の遺伝性要因の解明及び様々な外的因子との相互作用の解明などの基礎的な疾患研究を継続する。また、「10 か年戦略」にも示されている「国際的な人材の育成」に関して、若手研究者が代表者となる画期的な病態解明研究を推進し、彼らが将来のキャリアにおいて世界に飛躍するため、また実用化研究の端緒となる成果を創出するための支援を行う。

- ・ライフステージ等免疫アレルギー疾患の経時的特性解明を目指す研究

免疫アレルギー疾患の発症に周産期から発達期の年齢特異的免疫環境が大きく関係する一方、高齢期には免疫学的老化過程が大きく関わる。この特性に沿った病態理解と予防・治療戦略の構築・最適化を推進する。

【期待されるアウトプット】

【医薬品プロジェクト】

免疫・アレルギー疾患の革新的な診断法・治療法となる医療技術（医薬品、医療機器等）の薬事承認に向けた、治験準備、医師主導治験、企業導出。もしくは、適応拡大が期待される既存薬に関する臨床試験（医師主導治験）の開始及び承認、企業への導出。

（非臨床 POC の取得件数 1 件以上）

【ゲノム・データ基盤プロジェクト】

免疫アレルギー疾患の特性に立脚してデザインされた、国際連携可能な標準化疾患データベースの整備、血液、皮膚、粘膜、尿、便等の検体収集・保管態勢の整備、層別化された患者群ごとにエンドタイプを反映するバイオマーカーやディープフェノタイピングの統合的解析を実装化し、個別化治療プログラムにつながるシステムを確立する。これにより病態解明の成果や革新的予防法・診断法・治療法の開発に寄与するシーズ同定につなげる。

（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）

【疾患基礎研究プロジェクト】

エビデンス創出を行う研究を重点的に取り組み、本事業の成果を利用して作成されたガイドライン等、もしくはガイドラインに引用された論文報告、革新的な病態機序

解明研究、医師主導治験にステップアップした、もしくは企業導出につなげる。
(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 100件以上)

【期待されるアウトカム】

【医薬品プロジェクト】

シーズの企業への導出 1件以上

【ゲノム・データ基盤プロジェクト】

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

【疾患基礎研究プロジェクト】

シーズの他の統合PJや企業への導出件数 1件以上

(2) これまでの研究成果の概要

【医薬品プロジェクト】

- ・「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」においてシーズ開発が行われた免疫アレルギー疾患のバリア機能亢進とかゆみ制御化合物が、国内で初めての JAK1 阻害剤を使用したアトピー性皮膚炎の外用剤として、2019年1月に薬事申請された。(平成28年度終了課題)
- ・アマニ油やエゴマ油に含まれるオメガ3脂肪酸がヒト腸内細菌によって代謝され、 α KetoA が産生され、動物モデルにて α KetoA が、免疫細胞マクロファージに作用しアレルギー性接触皮膚炎や糖尿病の病態形成を抑制することを発見した。(令和3年終了課題)
- ・IRF5 阻害物質が SLE に対し治療効果を認めることをマウスモデルで示し、また、IRF5 が SLE の病態形成を引き起こす機序として、I 型 IFN 以外にも重要な経路があることを示した。(令和4年度継続課題)

【ゲノム・データ基盤プロジェクト】

- ・関節リウマチにおける間質性肺炎リスク遺伝子領域を同定した。(令和4年度継続課題)
- ・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4年度継続課題)。
- ・スギ花粉症の治療法「舌下免疫療法」の治療効果を予測する遺伝子型を発見した。(令和4年度継続課題)

【疾患基礎研究プロジェクト】

- ・「アトピー性皮膚炎の慢性掻痒を引き起こす末梢神経変化の解明」の研究班が、アトピー性皮膚炎の皮膚バリアの減弱により起こされる痒みのメカニズムを解明し、更に TRPA1 というイオンチャンネルを阻害することで、感覚神経の異常な活性化と痒みの両方が抑制されることを発見した。(令和3年度終了課題)
- ・日本人の免疫疾患患者および健常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4年度継続課題)
- ・バセドウ病における抗甲状腺刺激ホルモン受容体抗体産生機構を解明した。(令和4年度継続課題)
- ・スマホアプリを活用し、花粉症のある人の特徴と花粉症症状の強さと関連する特徴を解明した。(令和3年度終了課題)
- ・CD34+THY1+滑膜線維芽細胞サブセットが高い骨芽細胞・軟骨細胞分化能を有することを発見した。(令和3年度終了課題)
- ・日本のアレルギー性気管支肺真菌症の症例では、従来の診断基準による診断が難しい等の問題点があったため、新たに極めて高い精度で診断が可能な「アレルギー性気管支肺真菌症の新しい診断基準」を作成した。(令和2年度終了課題)

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【医薬品プロジェクト】

- ・ JAK 阻害剤を使用したアトピー性皮膚炎の外用剤（デルゴシチニブ：コレクチム®）が令和2年に世界で初めて日本で承認・販売された。
- ・ α KetoA の産生を担う腸内細菌の同定や食事との関係等を明らかにし、病態と結びつけることで、層別化医療の実現が期待される。

【ゲノム・データ基盤プロジェクト】

- ・ 関節リウマチに合併する間質性肺炎の病態解明への寄与が期待される。
- ・ 作成された miRNA-eQTL カタログを利用することで、アジア人集団における疾患感受性多型の背後に潜む分子メカニズムの解明が加速することが期待される。
- ・ スギ花粉症の治療法「舌下免疫療法」の治療効果を予測する遺伝子型を発見し、今後バイオマーカーとしての臨床応用が期待される。

【疾患基礎研究プロジェクト】

- ・ 「アトピー性皮膚炎の慢性掻痒を引き起こす末梢神経変化の解明」の研究班による成果は、新規メカニズムによる新たな治療法の開発に貢献すると期待できる。
- ・ アレルギー性気管支肺真菌症にかかわる研究班の成果により、気管支・肺の破壊が進行する前の適切な治療の提供が期待できる。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

【医薬品プロジェクト】

- ・ 「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」

免疫アレルギー疾患では、長期間にわたり患者の QOL を大きく損ねる重症・難治性・治療抵抗性のケース、あるいはアナフィラキシーのように急速かつ重篤な症状をきたし致命的となるケースも珍しくないため、これらに関する研究開発課題について、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する必要がある。

【ゲノム・データ基盤プロジェクト】

- ・ 「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」

本疾患領域ではゲノム・データ研究に対する需要が強く、開発成果も強く期待されている。このためゲノム情報やエピゲノム情報取得等の検体解析、及びデータ解析結果に基づ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する必要がある。

【疾患基礎研究プロジェクト】

- ・ 「アレルゲン免疫療法の開発に資する研究」

アレルゲン免疫療法はアレルギー患者の自然歴に介入することのできる唯一の治療法であるが、我が国では製薬企業等による開発が十分でない状況にあるため、重点的に推進する必要がある。

- ・ 「食物アレルギーの解決に資する研究」

食物アレルギーは患者の長期的な QOL 低下につながるばかりか、アナフィラキシー等により致命的な転帰を取ることもあり、その解決が患者及びその家族や関係者等から強く求められていることから、重点的に推進する必要がある。

- ・ 「免疫アレルギー疾患における宿主因子と外的因子の関係に着目した病態解明研究」

免疫アレルギー疾患の発症や経過には、ヒト自身が持つ様々な宿主因子に外的因子が関連して影響を及ぼすことが明らかとなってきたため、微生物、気候、大気汚染、食品、化粧品、住宅、ヘルスケアなど専門家との連携を拡充・強化し、発症や増悪に影響する病態解明を疾患予防や治療法に導出するための研究をさらに推進する必要

がある。

(2) 新規研究課題として推進するもの

【医薬品プロジェクト】

- ・「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は、小児期発症のアナフィラキシーを繰り返すような重症食物アレルギーや抗炎症療法を常時必要とする重症アトピー性皮膚炎や、成人期発症のアスピリンぜん息、アレルギー性気管支肺真菌症等、日常生活に支障を来す疾患も少なくない。このため、重症・難治性・治療抵抗性の免疫アレルギー疾患の治療法を開発することは重要であり、10か年戦略中にも戦略3-3として明記されている。これに基づき、本プロジェクトで新規課題を採択し、研究を推進する。

【ゲノム・データ基盤プロジェクト】

- ・「疾患多様性理解と層別化に資する基盤的ゲノム・データ研究」

免疫アレルギー疾患は多様性があり、遺伝学的・分子生物学的な解析等を含めた詳細な解析による、病態の「見える化」を通じて、患者を層別化し、それぞれのグループに最適な医療を導入することが求められている(10か年戦略の戦略1-1)。これに基づき、本プロジェクトで新規課題を採択し、研究を推進する。

【疾患基礎研究プロジェクト】

- ・「患者・市民参画による双方向性の免疫アレルギー疾患研究の推進に関する研究」

免疫アレルギー疾患の多くは長期的な疾患管理が必要となるが、それを効果的に行うためには、患者の視点を反映させた診療ガイドラインや教育資料の策定が必要である。また免疫アレルギー疾患の管理・治療には、薬物療法等と並行して、衣食住を含む生活上の管理、及び社会的な理解と対策が必要である(10か年戦略の戦略2-1)。さらに令和4年3月に一部改正された基本指針にも「患者の視点に立った」研究の推進が必要であることが追記されていることから、本課題の推進を行う必要がある。

- ・「ライフステージ等免疫アレルギー疾患の経時的特性解明を目指す研究」

研究フェーズの異なる課題を「ライフステージ」という一つの軸のもとに積極的に連携して推進することでアレルギーマーチ(乳児期にアトピー性皮膚炎として発症したアレルギー疾患が小児期に経時的に食物アレルギーや気管支ぜん息など別の疾患に罹患する、など)の抑制メカニズム等の解明(発症予防)による免疫アレルギー領域にかかる医療費の削減および、成人発症免疫アレルギー疾患の免疫学的病態と発症誘因の解明に伴う上記疾患の発症予測を目指す。

- ・(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」

基礎研究、臨床研究の分野共に、免疫アレルギー疾患研究を志す若手研究者が減少しており、今後国際競争力を高めるためには、国際的に活躍できる研究者を育成するとともに、人材育成の基盤を構築することが必要である。physician-scientist等の育成を推進するため、若手研究者を対象とした研究課題を推進していく必要がある。

(3) 令和5年度の研究課題(継続及び新規)に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【医薬品プロジェクト】

(継続・新規)「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」

- ・基本指針における、根治療法の発展及び新規開発を推進することで、重症・難治性・治療抵抗性の免疫アレルギー疾患における根治に資する治療薬の実用化が期待される。

【ゲノム・データ基盤プロジェクト】

(継続)「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

- ・本分野の成果は10か年戦略により2030年までに、「標準化された免疫アレルギー疾患データベースの利活用に基づく層別化医療」、「疾患発症前・早期発症段階での適切な予防及び治療法選択」を実現する目的で利活用される。また、本事業で得られたシーズは企業等との連携を通じて実用化プロセスに移行し、医療応用を目指した次の開発へステップアップさせる。国内外の連携強化を通じ、本領域におけるわが国の国際競争力の向上につなげる。

【疾患基礎研究プロジェクト】

(継続)「宿主因子と外的因子の関係に着目した病態解明研究」

- ・免疫アレルギー疾患患者に寄与する新規知見や革新的予防法・診断法・治療法の開発に寄与するシーズを、大学等と企業等との連携を通じて着実に実用化プロセスに移行し、また創薬支援ネットワーク等と積極的に連携し、次の開発へステップアップさせる。有効な環境整備法や宿主微生物叢への介入方法を開発する中で、住居・寝具・家電・食品・飲料・化粧品メーカー等との共同研究開発につなげ、新規産業創出への展開を目指す。

(継続)「アレルギー免疫療法の開発に資する研究」

- ・アレルギー疾患の基本指針における、根治療法の発展及び新規開発を推進することで、免疫アレルギー疾患患者の生活の質の維持向上、死亡者数の減少に寄与する。

(新規)「ライフステージ等免疫アレルギー疾患の経時的解明特性を目指す研究」

- ・本分野の成果は10か年戦略の最終段階において、特にリスク素因を持つ国民に対しライフコースにおける適切な介入時期・方法のエビデンスに基づいた免疫アレルギー疾患発症予防法について、生活の中で実践可能な方法を含めて提案するためのエビデンスとして利活用される。患者に寄与する病態解明の成果や革新的予防法・診断法・治療法の開発に寄与するシーズを医薬品等として実用化につなげ、関連する企業/医師主導治験へ導出する

(新規)「患者・市民参画による双方向性の免疫アレルギー研究の推進に関する研究」

- ・10か年戦略中と基本指針で求められている「患者の視点にたった」研究を行う体制の構築を推進することは、慢性疾患である免疫アレルギー疾患患者における、治療満足度や疾患管理の質の向上に寄与する。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【経済財政運営と改革の基本方針2019】（令和元年6月21日閣議決定）

第3章「経済再生と財政健全化の好循環」2. 経済・財政一体改革の推進等

(2) 主要分野ごとの改革の取り組み① 社会保障（予防・健康づくりの推進）

(iii) 健康増進に向けた取組、アレルギー疾患・依存症対策

「アレルギー疾患の重症化予防と症状の軽減に向けた対策を推進する」

【統合イノベーション戦略2020】（令和2年7月17日閣議決定）

第6章 戦略的に取り組むべき応用分野

(3) 健康・医療② 目標達成に向けた施策・対応策<医療分野の研究開発の推進>

5) 疾患基礎研究プロジェクト

医療分野の研究開発への応用を目指し、脳機能、免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。

【健康・医療戦略】（令和3年4月9日一部変更）

4. 具体的施策

4.1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進

○ 疾患領域に関連した研究開発

(生活習慣病)

- ・免疫アレルギー疾患の病態解明や予防、診断、治療法に資する研究開発

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

- ・AMEDが実施する免疫アレルギー疾患実用化研究事業は、革新的な免疫アレルギー疾患治療薬の開発やデータ基盤の構築、実用化に向けた病因・病態解明、適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた研究等を目的としている。一方、厚生労働科学研究費で実施する免疫アレルギー疾患政策研究事業は、こうした研究開発の成果を国民に還元するための免疫アレルギー疾患に関する情報提供の方策に関する研究や免疫アレルギー疾患医療提供体制のあり方に関する研究等を実施し研究成果を施策に反映することを目的としている。
- ・免疫アレルギー疾患研究10か年戦略は、内容的に政策的な部分もあるため、厚生労働研究事業とAMED研究が互いに補完し合いながら、AMED事業が特に医療開発研究を担当する形で全戦略を推進する。
- ・AMED女性の健康の包括的支援実用化研究事業との連携のもとに、日本赤十字社から毎年廃棄される保管検体をバイオリソースとして活用するためのfeasibility studyを推進し、地域的、時間的に網羅された500万人規模の大規模な検体を活用することで、アレルギー性気管支肺真菌症の全国における感作状況が判明する等、具体的な成果が生まれている。
- ・AMED循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業との合同にて、COVID-19感染による血栓症・血管炎の病態解明研究の公募を行い、合計4課題を採択、研究を開始した。翌年度には1課題をコラボレーターとして追加し、事業間・課題間連携を深めた。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	移植医療技術開発研究事業
主管部局・課室名	健康局難病対策課移植医療対策推進室
AMED担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部 医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	97,778	100,161	105,879

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

【臓器・組織移植分野】

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】

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。

【事業目標】

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。

【研究の範囲】

- ・新たな移植片保存法、増幅法、デバイス等の技術開発
- ・国内外のレジストリデータの検証や移植後免疫学的特性の解析に基づく原疾患と合併症の病態解明と予防・治療法の開発
- ・新規技術による移植法の改良や移植後合併症、再発の予防・治療法の開発及び最適化

【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、移植後再発への予防法や治療法等を開発するための成果を得る。

この結果、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】

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。

(2) これまでの研究成果の概要

【臓器・組織移植分野】

- 臓器移植を革新する免疫プロファイリングによる個別化医療の開発

(令和 3 年度終了)

臓器移植の免疫関連分子の遺伝子多型の包括的解析を実施し、T 細胞、B 細胞、自然免疫関連分子の遺伝子多型を解析し、臓器移植後の特殊な病態で優位となる免疫関連ゲノム情報を抽出した。

- 遺伝子関連情報を基軸にした効率的免疫抑制管理による革新的長期管理ロジック開発 (令和 4 年度終了予定)

先行研究で構築したレジストリ症例の臨床情報を収集し、解析が完了している遺伝子多型との関連解析を行い、移植後長期予後改善にむけたデータベースを構築し、診療指針を作成している。

- IL-6 アンブに基づいた移植腎慢性拒絶と薬剤性腎障害の早期バイオマーカーおよび治療標的の同定のための研究 (令和 4 年度終了予定)

移植腎慢性拒絶と薬剤性腎障害の早期バイオマーカーとして、尿エクソソーム内の炎症アンブに関わる遺伝子を同定し、特許を取得した。

【造血幹細胞移植分野】

- 非血縁者間末梢血幹細胞移植における新規慢性 GVHD 予防法と持続型 G-CSF による幹細胞動員の開発研究 (令和 2 年度終了)

移植片対宿主病に対する新規予防法として、少量サイモグロブリン投与、移植後シクロホスファミドの有用性を示した。また、健康成人を対象として、持続型 G-CSF 製剤を用いた造血幹細胞の末梢血中への動員効果を評価する臨床試験を行った。

- マルチオミクス解析による移植後免疫再構築の解明と GVHD を予測する分子遺伝学的バイオマーカーの開発研究 (令和 4 年度終了予定)

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 細胞の回復遅延が後の慢性 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。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【臓器・組織移植分野】

免疫モニタリングや炎症アンブを用いたバイオマーカーを活用し、慢性拒絶反応や移植臓器機能悪化の早期診断と治療介入を推進する。また遺伝子多型のデータベースとそれに基づく診療指針の作成、さらにそれらを活用する人材育成を行うことで、移植長期予後改善につなげる。

【造血幹細胞移植分野】

GVHD の病態解明と新規予防法確立によって、特に末梢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。また、持続型 G-CSF 製剤によって、末梢血幹細胞採取ドナーの入院期間を短縮することによって利便性を改善する。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

【臓器・組織移植分野】

- 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

移植ドナーとレシピエントの間での特定の HLA エピトープ不適合に基づき、移植後の免疫担当細胞の活性化を予測できる。さらに個々のケースにおける細胞内シグナリングの活性化を予測することで、免疫抑制療法のテーラーメイド化が可能となる。さらに 個々のケースにおける細胞内シグナリング予測することで、テーラーメイド型免疫抑制療法の開発に向けた創薬対象の特定が期待できることから、増額を要求する。

【造血幹細胞移植分野】

- 造血細胞移植レジストリデータを用いた、造血細胞移植後亜急性期合併症の予防・治療の最適化に資する機械学習研究

造血細胞移植後の合併症は多彩であり、その発症には原疾患だけでなく、移植幹細胞の種類、前処置や維持療法に用いる薬剤等の様々な要素が複合的に影響する。本研究は、機械学習の手法を用いて、サイトメガロウイルス再活性化予測モデル、移植片対宿主病の予測因子モデル、臍帯血ユニットの選択基準等を構築することを目指しており、移植後亜急性期合併症の予防と治療を最適化し、移植患者の予後改善に直結する内容であることから、増額を要求する。

(2) 新規研究課題として推進するもの

【臓器・組織移植分野】

- 脳死下および心停止後臓器移植における臓器保存、移植適応評価のための研究

限られたドナーソースを有効に活用するため、脳死下および心停止後臓器提供における摘出臓器の機能維持・改善や適応拡大に関する検討を行うことによって、移植可能な臓器数の増加を目指す。

- 移植臓器長期生着に資する遺伝子関連データベースを基軸にした移植後フォローアップ体制の確立を目指す研究

慢性抗体関連拒絶の解決策として、遺伝子関連情報を基軸にしたデータベースを活用して、長期管理戦略の構築とテーラーメイド医療の確立を目指す。

【造血幹細胞移植分野】

- 移植後再発に対する包括的研究

造血細胞移植の治療関連死が減少している一方で、移植後再発は未解決である。そのため、網羅的遺伝子解析によって、疾患リスクや移植適応を判断するだけでなく、移植後の適切な維持療法等の治療法を開発する。また前処置に関して、新規抗体薬や分子標的治療薬を組み込んだ工夫や、移植後合併症を予防できる方法についても開発する。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【臓器・組織移植分野】

継続課題については、遺伝子関連情報の解析により、免疫抑制療法の最適化等の個別化治療の確立や、長期的な合併症発症のリスクに応じた個別化フォローアップの確立により、術後長期管理体制を整備する。新規課題については、摘出臓器の機能維持・改善に関する検討を行い、新たな機器の開発につなげる。また、限られたドナーソースを有効に活用することが可能となる。

【造血幹細胞移植分野】

継続課題については、個々の患者に適切なタイミングで適切な造血幹細胞を提供し（個別化医療）、移植関連合併症を早期に診断し治療介入することによって、予後の改善が見込まれる。新規課題については、移植後合併症だけでなく、移植後再発を予防・治療できるような治療法の開発が期待でき、全生存期間、無増悪生存期間の改善に特に寄与することが期待できる。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

第4章2 （略）また、移植医療を推進する。（略）

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

本研究事業では、臓器・組織移植及び造血幹細胞移植について、提供者の意思を最大限尊重し、安全かつ長期的に良好な成績が期待できる新規移植療法の開発、最適な移植療法の確立、及び効率的な移植実施体制の実現を目指している。厚生労働科学研究の「移植医療基盤整備研究事業」は、AMED で開発された技術・解明されたメカニズムに基づき、臓器・組織や造血幹細胞の提供にかかる基盤整備並びに普及啓発やガイドライン作成等を実施している。

プロジェクト名	疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	慢性の痛み解明研究事業
主管部局・課室名	健康局難病対策課
A M E D 担当部・課名	疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
		59,362	60,809

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

厚生労働省の国民生活基礎調査によれば、多くの国民が慢性の痛みを抱えており、それが生活の質の低下を来す一因となっている。医療従事者が痛みを訴える患者に接する際に、その痛みの程度を推し量ることが難しい場面にしばしば遭遇する。痛みは主観的な体験の表現であるために客観的な評価が困難であるため、標準的な評価法や診断法は未確立である。

帯状疱疹後神経痛や脊髄の障害による痛み等の神経障害性疼痛では適切な疼痛コントロールが困難な場合があり、客観的な疼痛評価法および適切な治療法を確立することが急務である。したがって慢性の難治性疼痛の病態機序を解明するとともに、痛みの客観的な評価法や新規疼痛治療法を開発し、各個人が抱える痛みの問題を解決に導き、生活の質を向上させる必要がある。

【事業目標】

- ①「今後の慢性の痛み対策について（提言）」に記載された3種類の慢性の痛み、すなわち、「患者数の多い既知の疾患に伴う慢性の痛み」、「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、病態の解明等の基礎的な研究や評価法等の開発につなげる研究を行い、客観的な評価法や効果的な治療法を開発を行う。
- ②慢性の痛みについて分野・領域横断的な研究開発を行い、エビデンスの創出、構築を推進し、労働力の維持・向上、共助社会・共生社会づくり等の一端を担う研究開発を行う。

【研究の範囲】

- ・慢性の痛みに対する客観的な評価法の開発
- ・慢性の痛みに対する効果的な治療法の開発
- ・慢性の痛みに対するエビデンス構築
- ・慢性の痛みに対するトランスレーショナルリサーチによる病態の解明

【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
- 慢性の痛みについて、痛みの発症、薬剤感受性に寄与する客観的な指標を用いた診断法、治療法の研究開発、および慢性の痛みの病態解明に寄与する研究開発を推進する。
- ・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
- 疾患データベースを構築し、慢性の痛み患者を層別化することによって、疾患発症前もしくは早期発症段階での、個々の患者に適した適切な予防・治療法選択を実現する。

【期待されるアウトカム】

上記の事業成果の導出により、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を防止し、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。

(2) これまでの研究成果の概要

- 条件づけに由来する痛みの視覚化および画期的慢性疼痛治療薬に向けた研究開発
痛み刺激を与えた2週間後にマウスを「以前に痛みを与えられた環境」に晒すと再び痛み様行動を示した。同じ環境に晒すだけで再発するこの痛みは、慢性疼痛の一因になる可能性があり、海馬が関与している可能性が高いことも明らかになった (Neuroreport. 2021, 32(5):386-393.)。(令和2年度)
- 脊髄損傷後疼痛の発症にかかわる中枢神経系の機能的・構造的変化の探索
脊髄損傷後神経障害性疼痛において、脊髄後角の神経細胞の不活性化が損傷部位に細胞内 ATP の蓄積を引き起こし、その後の感覚刺激が細胞外への ATP の放出を喚起し、アロディニアを引き起こすという新たな知見をマウスモデル実験で見出した (Brain Commun. 2021; 3(2), fcab058)。(令和2年度)

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

疼痛に関する記憶回路や疼痛細胞の ATP 放出機構の解明で得た知見や成果をもとに新たな治療戦略の創出に貢献した。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

- ・「新規シナプス分子に着目した神経障害性疼痛の病態機序の解明とその予防および治療薬創出を目指した研究」
新規シナプス分子に関連する疼痛因子に対する候補治療薬実験を想定以上に行わねばならぬ場合の研究規模の拡充。
- ・「侵害可塑性慢性疼痛の脳内成立機構解明とその予防戦略の神経基盤探索」
侵害可塑性慢性疼痛解明のためのモデル動物薬効評価実験や、研究法の企業導出のためのデータ追加を必要とする場合の研究規模の拡充。
- ・「AMPA 受容体密度を指標とした慢性疼痛患者の痛み定量化バイオマーカー開発研究」
得られた結果を検証するための PET イメージング研究規模の拡充。

(2) 新規研究課題として推進するもの

- ・「侵害受容性疼痛としての特徴を持つ慢性疼痛における、物理的刺激に対する応答変容の機序解明に向けた研究」
物理的刺激の受容・調節および刺激受容後の神経伝達や細胞内シグナル伝達等の機序を解明する。
- ・「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」
痛みは主観的な感覚であるため、診察所見と自覚症状が乖離することを是正するために客観的指標を確立する。
- ・「慢性疼痛に影響する複合的要因の分析に基づく効果的な治療法や介入法の確立に向けた研究」
慢性化する痛みについて、基礎的な研究を実施するとともに、個々のライフステージも俯

瞰した複合的要因を分析し、先進の基礎・臨床・疫学研究で検証すること等により、慢性疼痛の効果的な治療法や介入法の確立を目指す。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- ・AMPA受容体定量撮影技術が痛みの客観的指標確立に繋がれば、鎮痛薬投与量の調節や投薬種類の選択に大いに貢献することや、鎮痛薬中毒患者を減ずることも可能となる。
- ・遷延性術後痛患者から得たデータを身体表現性障害や線維筋痛症と比較することで、これら疾患に共通する病態メカニズムを解明するとともに、客観的診断マーカーの確立を目指し、診療水準の向上に貢献する。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【経済財政運営と改革の基本方針2019】（令和元年6月21日）

5. 重要課題への取組

(7) 暮らしの安全・安心

⑤ 共助・共生社会づくり

ガイドラインの作成や診療体制の充実などの慢性疼痛対策に取り組む。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

4. 具体的施策

4. 1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進

疾患領域に関連した研究開発

(精神・神経疾患)

- ・可視化技術導入等による慢性疼痛の機序解明、QOLの向上に資する治療法や、画期的な治療法開発に向けた慢性疼痛の定量的評価の確立に資する研究開発

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

○厚生労働科学研究との関係

慢性の痛み政策研究事業では、診療体制の構築、普及啓発活動、疫学研究、診療ガイドライン等の作成・改訂、データベース構築への協力やAMED研究を含めた関連研究との連携やとりまとめ等を行っている。

○AMED内事業との関係

他事業において慢性の痛みを対象とする公募の有無、当事業で対象とする慢性疼痛に関わる課題が採択された場合は情報共有し、研究成果の確度の向上にむけて協働している。

プロジェクト名	疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	エイズ対策実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局結核感染症課エイズ対策推進室
A MED 担当部・課名	疾患基礎研究事業部疾患基礎研究課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	503,415	515,682	545,122

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

世界での HIV 感染者は 2020 年末時点で約 3,760 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 1,095 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く、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。

【事業目標】

HIV 根治を目的とした医薬品開発、薬剤耐性 HIV に対応が可能な新規治療戦略（ワクチン・治療薬、医薬品シーズ探索等）、それを支える基盤的研究（HIV 感染の機構解明、HIV 関連病態の解明と治療法開発、持続感染動物モデル開発等）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育成し、HIV 感染症研究の人的基盤拡大を図る。

【研究の範囲】

○新規ワクチン・治療薬の開発に関する研究

HIV と宿主とのインタラクションを免疫学的観点から解析し、HIV 感染症の効果的な予防・治療法、感染拡大の抑制に効果の高いワクチン等免疫療法を開発する。また、薬剤耐性の問題を解決するため、新たな作用機序を持つ抗 HIV 薬等の創出を行う。

○HIV 感染の機構解明に関する研究

国内における HIV の流行を耐性変異の面から解析し、伝播性薬剤耐性変異の動向に加えて、国内流行 HIV の伝播クラスター解析に有用なデータや、感染者の臨床指標のデータの蓄積を行う。また、潜伏感染時のウイルスリザーバーやウイルスの増殖・持続に関する基盤的研究の推進及び抗 HIV 薬の潜伏感染ウイルスへの有効性の評価を実施する。

○医薬品シーズ探索に関する研究

これまでに到達していない HIV 根治に向けた HIV 潜伏感染の機構解明に関する知見の創出と、それに付随する新たな治療標的シーズの創出を行う。

○持続感染動物モデル開発に関する研究

HIV 潜伏感染霊長類モデルを用い、HIV 感染症の根治療法に関する前臨床評価によ

る有効性評価を実施する。

○HIV 関連病態解明と治療法開発に関する研究

HIV 関連病態としての血友病の根治を目指した次世代治療法・診断法の創出や ART (anti-retroviral therapy) の早期化と長期化に伴う日和見感染症への対処に関する研究を推進する。また、肝炎ウイルス合併症による肝硬変等の HIV 感染合併症の病態解明と治療法開発を推進する。

【期待されるアウトプット】

○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。

○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。

○医薬品シーズ探索に関する研究

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。また、創薬シーズ創出の情報・論理・技術基盤を強化し、新しい候補物質の同定に繋げる。

○持続感染動物モデル開発に関する研究

HIV 感染症の根治療法に関する前臨床評価による有効性評価、問題点や至適条件の抽出、それらに基づく最適化等の評価するための動物モデルを構築する。

○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。また肝硬変等の HIV 感染合併症を標的とする治療薬を開発する。

(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)

【期待されるアウトカム】

○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 流行抑制に貢献する。

○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。

○HIV 根治を目的とした医薬品開発研究において、駆逐を可能とする抗 HIV 併用療法の実用化がされた場合、治療終了後は抗ウイルス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。

(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)

(2) これまでの研究成果の概要

- 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。(研究継続中)
- 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。(研究継続中)
- 新規 PKC 活性化剤 10-Methyl-aplog-1 (10MA-1) とブロモドメインおよびエクストラターミナルドメインモチーフの阻害剤 JQ1 との併用により、強力かつ相乗的に潜伏感染 HIV を再活性化することを見出した。(研究継続中)
- HIV-1 の 5'末端における G の残基数が一つの場合と、二つ以上の場合で、構造の安定性が大きく異なり、ゲノム RNA 構造に与える影響を解明した。また 5'末端に G が一つの場合は 5'-UTR の一部分で安定な構造が形成されること、およびその立体構造を明らかにした。(研究継続中)

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- 多様性の高い表面蛋白抗原を用いない設計は、各種ウイルスベクターなどを含むワクチンシーズにも応用が可能であり、新規抗原設計を導入した HIV ワクチンは、HIV の多様性に対して交差性の高い有効なワクチンとして、臨床試験有効性評価段階に進展させる。
- iPSC-CTL がウイルス複製に対して抑制的圧力を持続的に発揮する可能性を示したことにより、HIV 特異的 CTL を LRA と組み合わせた養子細胞移入は、HIV の治癒/寛解のための新たなエイズの治療に繋がる。
- 高濃度の 10MA-1 単独では、副作用として CD25 発現および初代 CD4+T リンパ球における炎症性サイトカイン産生によって定義されるグローバル T 細胞活性化を誘発したが、JQ1 は用量依存的に 10MA-1 誘発副作用を効率的に抑制できている。10MA-1 は、ブリオスタチン 1 やプロストラチンに比べて合成に要する工程が少なく、入手しやすいことから、10MA-1 と JQ1 の組み合わせは、“shock and kill”療法の臨床応用に有望な LRA の組み合わせとなる。
- G1G (5'末端に G が一つの場合) の立体構造は、生体内に潜む HIV-1 の増殖を制御する新しい創薬のターゲットとなる。また、近年急速に進展している RNA をターゲットとした創薬にもつながる。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの(増額要求等するもの)

○新規ワクチン・治療薬開発

獲得見込みの抗体誘導 HIV ワクチン候補については、本研究期間終了後、国際共同臨床試験に向けての進展が期待されるが、ブースト法の確立がされていないことから、中和抗体誘導過程・機序の解明を進め、プロトコル至適化を推進させる必要がある。

○HIV 根治に向けた医薬品シーズ探索

現在、HIV 根治に向けた“shock and kill”戦略におけるエフェクター強化としての iPS 細胞技術を用いた新規免疫細胞療法の開発が進められ、臨床応用も視野に入っているが、大型動物を用いた安全性、有効性確認実験については十分にデータを得る必要がある。

○HIV 感染の機構解明

HIV 感染症完治には潜伏感染ウイルスを排除することが必須であるため、潜伏感染時のウイルスリザーバーやウイルスの増殖・持続に関する基盤的研究の推進及び抗 HIV 薬の潜伏感染ウイルスへの有効性を評価することが必要となる。

○HIV 関連病態解明と治療法開発

血友病患者が薬害エイズとして国による恒久的保証の対象であるため、血友病克服に向けた研究は重点的に推進する必要がある。また、HIV に重複感染した C 型慢性肝炎例は、HCV 単独感染例に比べ線維化の進行が 1.5 倍速く、肝硬変への進行例が多いと報告されている。HIV/HCV 重複感染の肝硬変は門脈圧亢進症を伴いやすく、食道静脈瘤からの出血が臨床上問題となっている。HIV 感染症の予後が抗 HIV 治療薬の開発で著明に改善した一方で、最近の HIV 感染症の死亡例は HCV 感染などによる肝疾患に起因する症例が増加しているため喫緊の課題である。

(2) 新規研究課題として推進するもの

○ヒトの HIV 感染における感染モデル研究

HIV 感染症の根治が確立できていない一因として、HIV 感染を支持・再現できる適切な動物モデルがないことが挙げられる。このことから、新たなヒト HIV 感染を模式する動物モデルの確立や、ヒト免疫反応を模式する HIV 感染モデルを確立し、HIV ワクチン等の評価への応用を目指す。

○服薬アドヒアランス確保に向けた新たな抗 HIV 療法創出のための研究

経口製剤のみの抗 HIV 療法は、患者 QOL の低下、HIV 感染者の高齢化、認知症合併等に対する服薬アドヒアランスの確保が大きな課題となることが予想される。このため既存の経口製剤に代わる非経口的投与方法による抗 HIV 療法の確立や、長期抗 HIV 作用効果の獲得に繋がる研究を推進する。

○HIV 感染における新たな治療戦略の創出に資する研究

ART 治療の進歩により HIV 感染症の予後は著しく改善されたが、潜伏感染細胞に存在する HIV を完全に排除することはできない。このため新たな潜伏感染機序の解明を進めるとともに、克服へ向けた新規薬剤標的探索を行い、新たな治療戦略を創出する。

(3) 令和 5 年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

○服薬アドヒアランス確保に向けた新たな抗 HIV 療法創出のための研究

治療薬の非経口的投与方法について、長期作用効果を持つ薬剤を用い、患者に負担の少ない投与方法を確立することで、患者 QOL の大幅な向上に繋げることが可能となる。また、非経口的投与方法を用いた抗 HIV 療法により、認知症を合併する高齢者等、服薬アドヒアランス確保の困難な症例に対し、確実な抗 HIV 療法の実施が可能となる。

○新規ワクチン・治療薬開発

抗体誘導 HIV ワクチン候補は国際共同臨床試験に向けての進展が期待され、ワクチン開発の加速に貢献する。

○HIV 根治に向けた医薬品シーズ探索

HIV 完治を目指して、HIV リザーバーに対して HIV 潜伏感染細胞活性化剤 (LRA) を用いて潜伏感染を活性化させ治療する方法 (“shock and kill”)により駆逐を可能とする抗 HIV 併用療法の実用化がされた場合、治療終了後は抗ウイルスの服用を中止することができ、現在のエイズ治療と比べ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。

○HIV 感染の機構解明

HIV 感染機構について最新の知見を得ることは、新たな抗 HIV 療法の確立に重要な情報となる。HIV 感染機構の解明により、HIV 根治療法に繋がる新たな知見の創出に資する。

○HIV 関連病態解明と治療法開発

血友病治療ゲノム編集技術の開発を推進することにより、QOL 向上、医療費の削減につながる。また、HCV 肝硬変、特に Child-Pugh (CP) score B 以降の非代償性肝硬変に対する線維化を標的とする治療薬の開発によって、有効な治療法がない血友病合併 HIV/HCV 肝硬変患者にとって新たな治療の選択肢の一つとなる。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

Ⅲ-2-(4)-③

治療薬・ワクチンの開発

【フォローアップ】（令和4年6月7日閣議決定）

I-2-(4)

再生・細胞医療・遺伝子治療等

【経済財政運営と改革の基本方針2021】（令和3年6月18日閣議決定）

第2章-5-(3)

若手研究者の活躍の促進

【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1章-2-(3)-①-（戦略的に取り組むべき応用分野）

-健康・医療

再生・細胞医療・遺伝子治療等及びワクチン開発

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

4-1-(1) 疾患領域に関連した研究開発-

(感染症)

感染症に対する診断薬・治療薬・ワクチン等の研究開発

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

○厚生労働科学研究との関係について

エイズ行政の課題を解決する研究のうち、HIV感染症を対象とした診断法・治療法・予防法の開発に関わるものはAMED対象分の研究事業となるが、AMEDの成果として開発された医薬品等を診療ガイドラインに反映させる。

○他の研究事業との関係について

感染症関連の3研究事業(エイズ、新興・再興、肝炎)においては、AMED担当課と連携しながら重複無きように調整した上で、公募課題の選定を行っている。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、ゲノム・データ基盤プロジェクト、 疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	肝炎等克服実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局がん・疾病対策課肝炎対策推進室
AMED担当部・課名	疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課、創薬事業部 創薬企画・評価課、ゲノム・データ基盤事業部 ゲノム医療基盤研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	3,281,119	3,361,073	3,552,951

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

B型・C型肝炎は国内最大級の感染症であり、適切な治療を行わないまま放置すると肝硬変、肝がんといった重篤な病態に進行する恐れがある。肝炎の克服に向けた対策を総合的に推進するため施行された肝炎対策基本法に基づき、肝炎対策基本指針が制定され、同指針に基づき、肝炎研究推進戦略（肝炎研究10カ年戦略の見直し）が策定された。現状の課題として、B型肝炎ではウイルスを完全に排除する治療法がないこと、C型肝炎ではインターフェロンフリー治療不成功時の薬剤耐性ウイルス出現症例や非代償性肝硬変に対するインターフェロンフリー治療によるウイルス排除率の改善やウイルス排除後の肝発がん等の病態が不明であること、肝硬変では線維化を改善させる根本的な治療がないこと、肝がんの5年生存率が低いこと、等が挙げられ、これらを改善するために臨床・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ている。

【事業目標】

肝炎研究推進戦略で定められた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。

(i) B型肝炎創薬実用化等研究事業

B型肝炎の画期的な新規治療薬の開発を目指した基礎研究や、治療薬としての実用化に向けた臨床研究等を一貫して推進することにより、B型肝炎患者の治療成績の向上につながるような成果の獲得を目指す。

(ii) 肝炎等克服緊急対策研究事業

肝炎の最新の治療法を含めた治療の標準化や難治例に対する治療法に関する研究、肝線維化の機序を解明し治療に結びつける研究や再生医療など新たな技術を利用した肝硬変に対する根治治療に関する研究、発がん機構・発がん抑制やがん再発の抑制に関する研究等を推進する。また基礎研究として、ウイルス培養細胞系及び感染動物モデルを応用した病態の進行のメカニズムの研究、肝炎ウイルス感染後の病態の解明に関する研究等を推進する。

【研究の範囲】

- ・ B型肝炎の新規治療法の開発等に関する研究
- ・ ウイルス性肝炎の新規治療法の開発や長期予後改善等に関する研究
- ・ 肝硬変の病態解明及び線維化改善、肝再生等に関する研究
- ・ 代謝性肝疾患の病態解明等に関する研究

- ・肝発がんの予防等に関する研究

【期待されるアウトプット】

- ・医薬品プロジェクト
非臨床 POC の取得件数 1 件
- ・ゲノム・データ基盤プロジェクト
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 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
- ・疾患基礎研究プロジェクト
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：85 件

【期待されるアウトカム】

- ・医薬品プロジェクト
薬事承認件数（新薬、適応拡大）1 件
- ・ゲノム・データ基盤プロジェクト
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 2 件

(2) これまでの研究成果の概要

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発（令和 2～3 年度）0 件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発（令和 2～3 年度）0 件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発 31 件
* 期間平成 31 年 4 月～令和 2 年 12 月
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施（令和 2～3 年度）5 件

- ・ヒト肝前駆細胞（hCLiPs）から作製したヒト肝細胞を用いた抗 B 型肝炎ウイルス（HBV）薬の安全性・毒性評価系を構築し、HBV 感染の受容体である NTCP の発現を確認した。また、CLiP 細胞を用いてキメラマウスを作製、新規 HBV 持続感染モデルを構築し、hCLiPs に由来する肝細胞は、胆管細胞と連結し、胆汁輸送の機能を果たすことを確認した（令和 3 年度終了）。
- ・HBV を検出する新しい検査法「高感度 HBV コア関連抗原定量検査法」を開発した。本検査法では、検体処理工程の改良により前処理にかかる時間を短縮し、また、コア関連抗原に対する血中抗体の不活化と同時に、3 種類の異なる構造を持つコア関連抗原をより均質化し同時に測定できるようにしたことにより従来法で検出できなかった低濃度域の測定に成功した（令和 3 年度終了）。
- ・C 型肝炎ウイルスがウイルス増殖に利用する因子のシグナルペプチドペプチダーゼに、免疫関連タンパク質の MHC クラス I 分子を成熟させる機能があることを発見した（令和 3 年度終了）。
- ・肝臓が様々な原因により急性または慢性の炎症を起こしている時に、コラーゲンなど線維化分子を生成する星細胞内に発現するサイトグロビンを静脈注射することで、マウス肝線維化の進行が抑えられることを確認した（令和 3 年度終了）。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- ・「実用化に向けた B 型肝炎新規治療薬の探索及び最適化」（平成 29 年度～令和 3 年度）では、全自動化による迅速測定が可能であり、外来通院中の B 型慢性肝炎症例の核酸

アナログ製剤治療効果判定に活用されることが期待できる高感度 HBcrAg 定量検査法の実用化が期待される。また、HBV 再活性化のモニタリングにおいて、高感度 HBcrAg 定量検査法は血中 HBV DNA の代わりとなりうる HBV マーカーとなりうる。

- ・「リコンビナント Cytoglobin を用いた脱肝線維化治療薬開発に関する研究」（平成 31 年度～令和 4 年度）では、脱線維化剤として臨床で使用できる治療薬がないなか、サイトグロビンの肝線維化治療薬としての応用に向けた有効性や安全性の確認が行われた。ヒト型組換えサイトグロビンの投与やサイトグロビンの発現誘導剤を用いた肝線維化に対する新たな治療法開発が期待される。

2 令和 5 年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

(i) B 型肝炎創薬実用化等研究事業

● B 型肝炎創薬実用化等研究事業

これまで、化合物の探索、ウイルス因子の解析、宿主因子の解析、B 型肝炎ウイルス (HBV) 持続感染実験モデルの開発、B 型肝炎根治に向けた新規治療法の開発に関する研究を推進し、HBV の感染培養系や感染動物モデル等の実験基盤の整備やウイルスの感染・複製機構に関与する因子の同定、抗ウイルス活性をもった化合物等の成果が得られているが、いまだ治療薬の実用化に至っていない。そのため、多角的なアプローチから、新たなシーズの同定及び化合物の構造解析、候補化合物の作用機序のさらなる解明、スクリーニング系の構築を加速し、早期の臨床試験の実施や企業導出を目指す必要がある。

(ii) 肝炎等克服緊急対策研究事業

● 肝炎に関する基礎・臨床研究

・ウイルス制御下における肝発がん機構を含む病態変化の解明と予防に関する研究

近年、ウイルス排除後やウイルス制御下の発がん症例は多発しており、発がんに係るウイルス因子や宿主因子も含めた肝発がん機構の解明と、発がん・再発の予防薬・予防法及び、発がん・再発の予測のための検査法・診断法の開発を目指した研究をさらに推進する必要がある。さらに、線維化の進展や肝がんに関わる因子の同定、肝がんの早期発見につながる新規バイオマーカーの探索と臨床応用に向けた検証が必要である。

● 肝線維化・肝硬変に関する研究

・革新的技術を用いた抗線維化療法の開発に資する研究

肝硬変の唯一の根治的な治療法は肝移植のみであるが、患者、ドナー双方に負担が大きいため、より非侵襲的な治療法の開発が喫緊の課題である。そのため、抗線維化薬の開発や再生医療の活用による根治的な治療法を開発するために、治療効果のある化合物の探索を継続しつつ、実用可能性の高い化合物の検証を行う必要がある。

● 肝発がん等に関する基礎研究

・肝炎の個別化医療を目指したゲノム解析に関する研究と肝炎データストレージの充実に資する研究

B 型肝炎におけるウイルス因子、宿主因子などの関連因子の同定や因子同士の相互作用、発がんに係る新たな発症メカニズムの解明、及び発症関連遺伝子の同定のためには多数の患者サンプルを網羅的に収集し、大量データを統合的に解析する必

要がある。また肝炎データストレージをさらに充実させ、多施設の利活用を促進する必要がある。

(2) 新規研究課題として推進するもの

(i) B型肝炎創薬実用化等研究事業

新規課題なし。

(ii) 肝炎等克服緊急対策研究事業

●肝炎に関する基礎・臨床研究

C型肝炎については、インターフェロンフリー治療の登場により治療成績の改善がもたらされたが、治療が不成功になると、薬剤耐性変異が出現し、さらに治療困難になることから、ウイルスの薬剤耐性が病態に及ぼす変化を解明することが必要である。また、小児のウイルス性肝炎患者の治療選択や安全性も含めた研究やA型肝炎、E型肝炎に対する治療法開発等の研究も課題である。

- ・ C型肝炎における薬剤耐性症例の病態変化及びその治療に関する研究
- ・ 小児のウイルス性肝炎の経過及び治療選択に関する研究
- ・ 経口感染によるウイルス性肝炎（A型及びE型）の感染防止、病態解明、治療等に関する研究
- ・ B型肝炎における病態進展抑制に資する研究

●肝線維化・肝硬変に関する研究

ウイルス性肝硬変患者に関して、重症度別のQOLと長期経過を把握し、予後の改善に資する研究を実施することによってし、肝硬変患者の治療方針を決定するための基礎的な知見を得る。また肝線維化の進行度を正確に評価し、それに応じた適切な治療を行うために、バイオマーカー、診断薬などを開発するとともに、肝線維化の機序や肝硬変への進展メカニズムを解明する。

- ・ 肝硬変患者の重症度別のQOLと長期経過、予後及びその改善に関する研究
- ・ 肝線維化の非侵襲的評価法や肝線維化の機序解明及び肝硬変患者の治療法の開発に関する研究

●肝発がん等に関する基礎研究

C型肝炎の治療成績はインターフェロンフリー治療によって改善されたが、ウイルス排除（SVR）後に肝線維化の進展や発がんする症例も報告される等SVR後の病態については不明な点が多く、非代償期まで進展した肝硬変におけるSVR後の病態も含めて解明が必要である。またわが国では非アルコール性脂肪性肝疾患（NAFLD）の有病率は高いことから、NAFLDの現状や、NAFLDから肝硬変、肝がんへの病態進展機序を解明し、NAFLDの病態を把握するための新規検査法や治療等に関する研究を行う。

- ・ 非ウイルス性肝疾患（NAFLD/NASH等）の病態解明や発がん危険群の予測、治療等に関する研究
- ・ C型肝炎の治療跡の病態解析とその長期経過・予後に関する研究
- ・ 肝炎医療の水準の向上に資する新たな知見の創出や新規技術の開発に関する研究

(3) 令和5年度の研究課題(継続及び新規)に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- ・「インターフェロンフリー治療がC型肝炎患者の予後を含めたアウトカムに与える影響を明らかにする研究」(令和4～6年度)では、非代償性肝硬変症に対するインターフェロンフリー治療の治療効果・予後等について検討することにより、治療における医療費助成の適正化や、肝硬変患者の治療後の予後についての基盤となるデータを得ることができ、今後の患者動向予測や、肝炎対策の方向性について検討するための資料となる。

II 参考

1 研究事業と各戦略(新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略)との関係

【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 Society5.0の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

4. 官民連携による分野別戦略の推進(戦略的に取り組むべき応用分野)

(5) 健康・医療

今後の取組方針

<医療分野の研究開発の推進>

2040年までに、主要な疾患を予防・克服し、100歳まで健康不安なく人生を楽しむためのサステナブルな医療・介護システムを実現するため、挑戦的な研究開発を推進し、先端技術の速やかな社会実装を加速。

【健康・医療戦略】(令和2年3月27日閣議決定)

4. 具体的施策

4. 1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進

① 医薬品プロジェクト

・医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。(中略)
また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

④ ゲノム・データ基盤プロジェクト

・ゲノム・データ基盤の整備を推進するとともに、(中略) 遺伝子変異・多型と疾患の発症との関連等から疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進し、病態解明を含めたゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。

⑤ 疾患基礎研究プロジェクト

・医療分野の研究開発への応用を目指し、(中略) 様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。
・これらの研究開発成果を臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付けるとともに、臨床上の課題を取り込んだ研究開発を行うことにより、基礎から実用化まで一貫した循環型の研究を支える基盤を構築する。

2 他の研究事業(厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業)との関係

○厚生労働科学研究(肝炎等克服政策研究事業)との関係

肝炎総合対策についての課題を解決する研究のうち、肝炎総合対策の推進に資する疫学研究、行政研究については、厚生労働科学研究(肝炎等克服政策研究事業)で行

っている。本研究事業は、それ以外の肝炎を対象とした基礎研究、臨床研究及び創薬研究等を行っている。

○AMED内感染症関連の3研究事業（エイズ、新興・再興、肝炎）の関係

感染症関連の3研究事業（エイズ、新興・再興、肝炎）においては、AMED担当課と連携しながら重複無きように調整した上で、公募課題の選定を行っている。

プロジェクト名	疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	長寿科学研究開発事業
主管部局・課室名	老健局総務課
AMED 担当部・課名	疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課
省内関係部局・課室名	老健局老人保健課

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	141,568	145,018	153,297

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

わが国は、2040年を見据え、増加し続ける高齢者人口とともに労働生産人口が急減する局面を迎えている。また、人口構造とともに世帯構成の変化も顕著であり、独居高齢者の増加も懸念されている。高齢者が来たる社会環境の中で、老いや高齢者特有の疾患・等を抱えつつも、その人らしく生活を送るためには、適切な医療・介護による支援が必要である。今後、医療・介護人材の確保がさらに難しくなることが予想され、労働力としての制約が強まる中で、限られた人材・資源によって効率的かつ質が担保された医療・介護の提供が求められている。高齢者が自立して生活を送るためには、介護を要する状態の予防策の推進も重要であり、介護を要する状態の原因となる疾患等に対して、国民が自ら予防に取り組める簡易な技術、手法及び重度化を防止する方法等の開発が求められている。

【事業目標】

1. 高齢者に特有の疾患・病態・徴候（例：フレイル、サルコペニア等、以下「疾患等」という。）に着目し、老年医学の観点から健康寿命延伸に寄与する予防手法を開発する。
2. 加齢に伴う身体機能の低下や日常的に高頻度に罹患する疾患等により介護を要する状態であっても、生活の質の維持、向上が図れるケアの手法や評価方法を開発する。
3. 質の高い医療・介護サービスが普遍的に提供できる社会基盤の整備に貢献する研究成果を創出する。
4. 高齢者の生活に直結する研究成果を意識し、研究成果の社会実装を推進する。

【研究の範囲】

○加齢に伴う機能低下及び変化に着目した研究基盤の整備

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、産業界への導出を図る。

○医療や介護を必要とする状態の予防手法の開発

生活習慣病の発病に関連するリスク因子と介護を要する状態との関連性を踏まえた中長期的な予防方策の開発、介護予防行動を促進する方策の開発、産官学連携による ICT・IoT 技術を活用した基盤整備等を行う。また、予防策を効果的に行うため、コミュニティの醸成につながる要因の解明や体制構築方法の提案など、包括的な介入手法開発する。

○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

重度化防止、QOL 向上を目的としたフレイルやサルコペニアといった加齢に伴い疾患との関連性が証明されている徴候の原因解明と適切・効果的な介入方法の開発を行

う。また、心不全や肺炎といった高齢者に典型的な疾患・病態を簡易に把握・測定する支援機器等、適切な医療・介護の提供方法を確立する研究を推進する。

【期待されるアウトプット】

- 加齢に伴う機能低下及び変化を解明するためのコホート研究やデータベースの開発を通じて、エビデンスを創出すると共に、産業創出を図る。
- 介護予防に資する実践的手法を開発し、地域での研究成果の即時活用など社会実装が可能な方法を提案する。
- 高齢者医療・介護の現場において、主に医学的管理を要する疾患や症状に関連した管理方法や簡易に心身の状態を把握する機器等を開発し、臨床で即時的に活用できる研究成果を創出する。

—具体的な KPI—

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 2 件

【期待されるアウトカム】

- 高齢者数がピークを迎える 2040 年頃を見据え、研究成果の政策活用も含めた早期の社会実装を促し、介護を要する状態の予防をつうじて健康寿命の延伸を図る。
- 高齢者に対する在宅医療・介護の領域の生産性向上が図られる。

—具体的な 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 1 件

(2) これまでの研究成果の概要

- 地域住民や糖尿病患者集団を対象とした特徴のある複数のコホートから得られた生体試料（血液）の分析と臨床情報との関連解析から、筋量と筋質の両方を反映するマーカーを見いだした。（継続課題「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」）
- 医療従事者が随時確認できる非侵襲・非接触で経皮的なバイタル指標観察機器の開発を行い、バイタル指標のリアルタイム計測アルゴリズムを構築し、評価試験を実施した。（継続課題「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」）
- 地域住民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を目的とした課題解決型実証研究（アクションリサーチ）を推進し、①全国の住民主体活動の類型化、②住民主体活動の促進・阻害要因の同定、③住民を地域のフレイル予防コーディネーターとして戦略的にエンパワメントする方法論の整理、④整理した方法論に基づく介入とその効果の検証、⑤住民と自治体が活用できる「住民主体活動推進マニュアル」を作成した（令和 2 年度終了、「市民主導の新たな包括的フレイル予防プログラムを通じた快活なまちづくりのモデル構築に関する研究」）。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- 「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」
筋量と筋質の両方を反映するマーカーであるクレアチニン・シスタチン比は、筋への脂肪蓄積（筋質）を反映することや、特殊で高価な機器を必要としないため、生体インピーダンス法を代替する評価手法として期待できる。
- 「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」
新しい遠隔 IoT 医療システムとして、遠隔リアルタイムバイタルモニタリング診断

システムのプロトタイプ製作を行い、直接的な計測（市販の接触型ベッドサイドモニタ装置で計測する脈拍、呼吸、SpO2 および StO2）との比較による同等性、安全性、有用性を明らかにすることで、遠隔リアルタイムバイタルモニタリングを可能とするシステムの製品化が期待される。

- 「市民主導の新たな包括的フレイル予防プログラムを通じた快活なまちづくりのモデル構築に関する研究」

フレイルチェックの実績（累計の参加者数 6,900 名、フレイルサポーター数 1,000 名）を踏まえて開発した、参加者に「気づき」から積極的な行動変容に促す予防プログラムは全国自治体への展開が期待される。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

該当なし。

(2) 新規研究課題として推進するもの

- 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コホート研究
要介護状態の発生には生活習慣や各種老年性疾患の罹患・治療歴が影響するほか、既に要介護状態にある高齢者は現在受けている介護サービス内容も要介護状態の進行や予後に影響する可能性がある。

本研究では、要介護状態の進行メカニズムの解明のため、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て領域横断的に解析を行うことが可能な前向きコホート観察研究を実施し、高齢者における要介護状態の発生・進行に寄与する危険因子を同定する。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

- 高齢者における要介護状態の進行メカニズム解明を目的とするコホート構築研究
要介護状態の進行メカニズムの解明により、高齢者の疾患・病態・徴候に対する新規評価パッケージの提案と普及、医療・介護手法の革新、効率的・効果的なアプローチによる科学的介護情報システム（LIFE）データを補完する自立支援・重度化防止の取組の促進が期待できる。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

Ⅲ. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

1. 人への投資と分配（4）子供・現役世代・高齢者まで幅広い世代の活躍を応援

⑥認知症対策充実、介護予防の充実・介護休業の促進等

在宅高齢者について、医療・介護連携体制の強化等、地域全体でのサービス基盤を整備していくとともに、介護予防や社会参加活動の場の充実の観点から、地域全体での活動を支援していく。

【フォローアップ】（令和4年6月7日閣議決定）

I. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

1. 人への投資と分配 (4) 子供・現役世代・高齢者まで幅広い世代の活躍を応援
(介護負担の軽減、予防支援)
- ・自立支援等の効果を科学的に裏付けできる介護を促すため、高齢者の状態やケアの内容等を収集・分析できるデータベース (LIFE) を用いた本格的な分析を行い、分析結果を介護報酬改定やベストプラクティスの策定等に活用する。

【健康・医療戦略】(令和2年3月27日閣議決定)

3. 2. 健康長寿社会の形成に資する新産業創出及び国際展開の促進等に係る基本方針
○予防・進行抑制・共生型の健康・医療システムの構築

- ・公的保険外のヘルスケア産業の活性化や公的保険サービスとの連携強化により、「予防・進行抑制・共生型の健康・医療システム(多因子型の疾患への対応を念頭に、医療の現場と日常生活の場が、医療・介護の専門家、産業界、行政の相互の協働を得て、境目無く結び付き、個人の行動変容の促進やQOLの向上に資するシステム)」の構築を目指す。

4. 4. 研究開発及び新産業創出等を支える基盤的施策

4. 4. 1. データ利活用基盤の構築

(データヘルス改革の推進)

- ・レセプト情報・特定健診等情報データベース(NDB)や介護保険総合データベース(介護DB)の連結解析を2020年度から本格稼働し、行政、保険者、研究者、民間事業者など幅広い主体の利活用を可能とする。2019年度以降、関係する他の公的データベースとの連結の必要性についても検討し、法的・技術的・倫理的課題が解決できたものから順次連結解析を実現する。

2 他の研究事業(厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業)との関係

当事業は高齢化という社会問題に則して、主に高齢者の在宅医療・介護の分野において直面する課題に対し、老年医学的観点からヒト(生体試料を含む)を対象とした研究に取り組み、解決に導く技術及び手法等の開発を目的としている。厚生労働科学研究が、行政における課題を解決するための研究を推進するのに対し、本事業では高齢者の生活やケア提供者に即時活用可能な成果を創出し、社会実装を促すことを目指す。そして、AMEDで開発された技術等の成果を各種ガイドラインに反映させるなどにより政策へも還元するとともに、政策研究で得られたニーズを開発シーズとし、開発研究により解決へと導く循環型の関係となっている。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業
主管部局・課室名	医政局総務課
AMED 担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部 医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	105,215	107,779	113,932

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

「統合医療」については、科学的根拠が十分でないものが含まれているとの指摘もあることから、これまでも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。このような中、平成24年3月から開催された『『統合医療』のあり方に関する検討会』において、平成25年2月にとりまとめられた「これまでの議論の整理」では、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」と位置づけられている。

統合医療は、その療法が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・国民及び医療従事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。

【事業目標】

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。

【研究の範囲】

・科学的根拠の収集

漢方、鍼灸および各種療法に関する安全性・有効性等の科学的根拠を収集する。

・新たな科学的知見の創出

漢方、鍼灸および各種療法に関する新たな科学的知見を創出し、バイオマーカー等の開発などを推進する。また、質の高いエビデンスの構築に結びつくPOCの取得を目指した研究を支援する。

・用語や規格等の標準化

用語・規格等の標準化を進め、科学的知見の創出に向けた基盤整備を推進する。

・利用実態等の把握

国民および医療従事者の各種療法の利用実態などを把握し、漢方、鍼灸および各種療法の実用化を推進するための基礎資料を得る。

【期待されるアウトプット】

- ・非臨床 POC の取得件数 3 件
- ・臨床 POC の取得件数 2 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（管理目標）

【期待されるアウトカム】

- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 5 件

(2) これまでの研究成果の概要

「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」の研究成果として、「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」（令和 2 年度採択課題）に係る試験計画（プロトコール）が作成され、臨床研究実施計画・研究概要公開システムに特定臨床研究として登録された。（jRCTs041210007）。

「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」の研究成果として、「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」、並びに「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」の 2 課題（令和 3 年度終了）の臨床研究の試験実施計画書（プロトコール）論文が英文誌に収載された。

『統合医療』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」における「不登校児におけるヨガの有効性・安全性の臨床研究」（平成 31 年度採択課題）、及び「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」における「着床障害患者の子宮内細菌叢に対する乳酸菌サプリの有効性・安全性を検証するランダム化比較試験」、並びに「慢性腎臓病患者に対する酒粕を用いた食事療法による血中の尿毒症物質の減少効果を明らかとする臨床研究」（令和 3 年度採択課題）に係る試験計画（プロトコール）が作成された。

また、『統合医療』の国際標準化などの基盤整備に関する研究」に関して、漢方、鍼灸および各種療法における国内産業の競争力強化のため、国際標準化の推進が求められているが、「国際規格策定に資する科学研究と調査および統合医療の一翼としての漢方・鍼灸の基盤研究」（令和 3 年度採択課題）において、ISO/TC249 の各会議への参画等を通じ、日本の舌診規格 2 案件を国際規格とした（ISO/TS 204983:2020、ISO/TS 204984:2020）。

その他、当該事業で研究開発を実施していた研究開発代表者が、その後、別分野の事業で研究開発を継続的に実施されたこともある。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

令和 2 年度に「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」に係る試験計画（プロトコール）が作成され、引き続き令和 3 年度より当事業の「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」において、特定臨床研究を実施している。（令和 3 年度採択課題）

「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」（令和 3 年度採択の上記課題）の研究成果を用いて、引き続き令和 4 年度より、当事業の「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」において、ランダム化比較試験を実施する予定である。（令和 4 年度採択課題）。

2 令和 5 年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

「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」

これまで基礎研究課題に関して若手研究者への支援を行ってきたが、次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、臨床研究課題等においても「若手育成枠」を設定する必要がある。

また、新型コロナウイルス感染症後症候群（Long COVID）による罹患後症状の持続、社会全体の生産性の低下が問題となっているため、漢方や鍼灸および各種療法の介入による症状緩和等に関する有効性・安全性の検証について、引き続き推進する必要がある。

（２）新規研究課題として推進するもの

これまで漢方、鍼灸および各種療法では、主に対面による治療介入が行われてきたが、社会・医療の情勢やニーズ等の変化に対応し、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ル研究や臨床研究などを推進する。それにより、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研究方法を検討していく。

また、①これまで『統合医療』の国際標準化などの基盤整備に関する研究で得られた成果等について、体系化や更なる活用・普及の方法を検討するとともに、②ICD-11等の漢方・鍼灸等にも関連する国際的に標準化されたコード等を用いることにより、統合医療に関する正確な有効性の測定や効果修飾因子の特定に向けて、より精緻化された臨床研究デザインの研究開発課題を検討することなどによって、効果的かつ持続可能な科学的根拠の収集と知見の創出の体制強化を推進する。

（３）令和５年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

若手育成枠の拡充は、統合イノベーション戦略 2021（令和３年６月 18 日閣議決定）「若手の育成活躍を後押しし、持続可能な研究体制を構築する」の取組に資する。

新型コロナウイルス感染症等の健康危機に伴う社会・医療情勢やニーズの変化に合わせた新たな研究開発課題を引き続き支援することで、統合医療に係る安全性・有効性に関する科学的知見の集積を加速させる。これは、骨太方針（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）「新型コロナウイルス感染症に関する罹患後症状（いわゆる後遺症）についての実態把握や病態解明等に資する調査・研究を進める」の取組に資する。

さらに、国際的に標準化されたコード等を用いることにより、統合医療に関する正確な有効性の測定や効果修飾因子の特定に向けて、より精緻化された臨床研究デザインの研究開発課題を検討することで、効果的かつ持続可能な科学的根拠の収集と知見の創出の体制強化を推進し、電子カルテ等情報の標準化や活用等の動向とも連携することへつなげ、これらは統合医療の発展や国内産業の競争力強化のための土壌を形成することへも資する。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）
・「初期の失敗を許容し長期に成果を求める研究開発助成制度の奨励と若手の支援（略）さらに、若手の支援が重要である。（略）プログラム選抜者同士の人事交流、評判を形

成する効果等が考えられる。我が国でも、一部に試みがあるが、国家規模への拡大を検討すべきである。」

→「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的研究」を若手育成枠としている。

・医療のDX「全国医療情報プラットフォームの創設、電子カルテ情報の標準化等及び診療報酬改定に関するDXの取組を行政と関係業界が一丸となって進めるとともに、医療情報の利活用について法制上の措置等を講ずる」

→国際的に標準化されたコード等を用いること等により、電子カルテ等情報の標準化や活用等の同項と連携することへつなげられるよう検討している。

【フォローアップ】（令和4年6月7日閣議決定）

・「漢方について、生薬の国内生産を支援するとともに、国内産業の競争力強化に資する国際標準化を進める。」

→「『統合医療』の国際標準化などの基盤整備に関する研究」にて実施している。

【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）

・「新型コロナウイルス感染症に関する罹患後症状（いわゆる後遺症）についての実態把握や病態解明等に資する調査・研究を進める」

→「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」にて推進していく。

・「EBPMの取組を強化するため、エビデンスによって効果が裏付けられた政策やエビデンスを構築するためのデータ収集等に予算を重点化する」

→科学的根拠の収集は本研究事業の目的であり、各研究によって得られた成果は漢方、鍼灸および各種療法による介入、社会モデルに基づくプログラム実装、国際標準化などの基盤整備に活かされている。

・「全国医療情報プラットフォームの創設」、「電子カルテ情報の標準化等」及び「診療報酬改定DX」の取組を行政と関係業界が一丸となって進める」

→「『統合医療』の国際標準化などの基盤整備に関する研究」にて検討している。

・「イノベーションの担い手である若い人材に対する支援を強力に推進する。」

→「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的研究」を若手育成枠としている。

【統合イノベーション戦略2022】（令和4年6月7日閣議決定）

・「我が国の研究力向上のためには、若手を中心とした優秀な研究者を確保し、腰を据えて研究に打ち込める環境を作り出すことが重要である。（略）若手の育成・活躍を後押しし、持続可能な研究体制を構築する。」

→「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的研究」を若手育成枠としている。さらに、次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、臨床研究課題等においても「若手育成枠」を設定する必要がある。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

- ・「継続的かつ包括的な保健事業を推進するために、情報の共有及び分析、地域における健康課題の明確化や保健事業の共同実施及び相互活用等、地域・職域連携の具体的な展開を図る。」
→「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」にて実施している。

- ・「データ等を活用した予防・健康づくりの健康増進効果等に関するエビデンスを確認・蓄積するための実証を行う。」
→本研究事業の主な目的である。

- ・「基礎から臨床研究及び治験の各フェーズ、様々なモダリティ等や疾患領域、さらにはそれらの横断領域等の研究の担い手となる優れた研究者を、若手や女性を含めて育成・確保する。」
→「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的研究」を若手育成枠としている。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

当事業では、厚生労働省『「統合医療」に係る情報発信等推進事業』が運営する「統合医療」情報発信サイト（eJIM）との連携を行い、国民に対して統合医療に関するエビデンス（科学的根拠）を提供している。具体的には、eJIMへの当事業の研究開発課題に関する情報掲載と、AMED研究開発課題データベース（AMED find）との連携を行っている。

また、今後は『「統合医療」の情報発信、実態把握、基盤整備に関する研究』等の更なる推進・発展などに向けて、その他研究・事業間での連携強化の方法も検討する必要がある。

本研究事業では「統合医療」の基礎・臨床研究、基盤整備等に関する研究を推進しているが、効果的かつ持続可能な科学的根拠の収集と知見の創出の体制強化に向けては、経済産業省等で行われる産業・企業を支援する研究や人材育成制度等と連携を図ることなどにより、切れ目のない支援を実施する。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	医工連携・人工知能実装研究事業
主管部局・課室名	大臣官房厚生科学課
AMED 担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部 健康・医療データ研究開発課
省内関係部局・課室名	老健局認知症施策推進室、社会・援護局障害保健福祉部精神・障害保健課、医政局医事課

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
	567,967	566,634	598,983

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

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。

特に客観的な評価指標が確立していない精神・神経疾患においては、早期段階から介入することで予後の改善が期待できることが指摘されており、「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）においても、AI 開発を進めるべき重点6領域の一つとして「介護・認知症」が選定された。そのため精神疾患及び神経・筋疾患の早期診断を目的とした AI 技術の開発を支援し、医療現場への導入を早急に進める必要がある。

また、「AI 戦略 2021」（令和3年6月11日統合イノベーション戦略推進会議決定）では「AI を活用した医療機器やテレメディシン・サービス（D to D）の開発、及びその評価等、社会実装に向けた基盤整備」も取り組むべき施策として挙げられ、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。今後の高齢化率の上昇等によって D to D 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 D の遠隔診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診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 D 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。

【事業目標】

精神疾患及び神経・筋疾患において、個人の検査データ（画像・血液・脳波等）とデジタルフェノタイピングデータ（発話・表情・動作・重心・位置情報等）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、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の研究開発を支援する。

また、様々な疾患の診療において遠隔でも専門診療が可能な D to D の診療体制を構築するため、適切な診療提供および医療従事者の負担軽減に繋げる AI 技術を医工連携により開発し、開発された AI 技術を実装するための基盤整備を進め、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できるように研究を推進する。

【研究のスコープ】

- ・精神疾患及び神経・筋疾患の早期診断を可能にする AI 技術を活用した医療機器プログラム等の開発
- ・遠隔による専門診療を可能にする AI 技術を活用した D to D の診療体制の構築

【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 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・筋疾患の早期診断を可能にする医療機器プログラムを開発することによって、早期から適切な医療・介護支援・療養等の介入を実現し、予後の改善や生活の質の維持を図る。
- ・様々な疾患の診療において、遠隔で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整備を実装し、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。

(2) これまでの研究成果の概要

精神疾患（認知症、うつ病等）及び神経・筋疾患（てんかん）における早期診断・早期介入を目指して、医療機器プログラム等の研究開発を令和3年度より開始し、現在も継続支援中である（令和3～7年度）。

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を令和4年度より開始した（令和4～8年度）。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

どちらの研究も開始したところであり、研究の進捗を確認しつつ、実用化につなげる。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

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課題開始したところであるが、薬事申請に向けた臨床試験（治験）等の準備を行うため、研究費の増額が必要である。

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、実用化に向けて大規模な基盤整備が必要となるため、研究費の増額が必要である。

(2) 新規研究課題として推進するもの

該当なし。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

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用いることで、適切な医療・介護支援・療養等の早期介入の実現や、予後の改善や生活の質の維持に繋げるため、研究成果については、薬事承認を前提とし

て臨床試験を行うこととし、実用化を目指す。

遠隔においても専門診療が可能な D to D 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においては、医療現場において広く実用化するため、臨床系の学会の研究への参画を促進し、学会を通じて開発された AI 技術などの医療現場への普及も行い、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なテレメディシン・サービスを実現し、支援医療従事者の負担軽減に繋げる。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【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）

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

(2) AI 実装

AI 技術は、社会実装段階へ入り、産業化に向けた開発が活発化しているが、日本企業における導入割合は米国企業に比して低い。

AI 技術を基にした実践・試行錯誤の蓄積が重要であり、ディープラーニングを重要分野として位置付け、企業による具体的ニーズを念頭に置き、その実装・開発を推進する。この際、気候変動や防災関連等に加えて、物理・化学や機械等、日本が強みを有する分野と AI の融合を図り、競争力の高い製品やサービスを生み出していく。

また、大学等や国の機関が保有するデータは、それぞれの機関に分散し、データ形式もバラバラとなっているが、他のデータ基盤との接続を可能とし、民間企業等の利活用を進める。

データをできるだけ多く利用できる環境を整えるべく、プライバシー等の理由により秘匿化された情報について、秘匿化したままで機械学習の処理を行うことができるよう、技術開発を推進する。

グローバルに多額の投資がされており、継続して発展しつつある AI の技術について、民間企業による実践を通じた AI の実装を促すため、国立研究所等は積極的に技術情報の提供を行う。また、国立研究所等における AI の研究開発について、体制の見直しを行いながら、充実を図る。

【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）

第1章 我が国を取り巻く環境変化と日本経済

2. 短期と中長期の経済財政運営

(1) コロナ禍からの回復とウクライナ情勢の下でのマクロ経済運営

(経済社会活動の正常化に向けた感染症対策)

医療DXを推進し、医療情報の基盤を整備するとともに、G-MISやレセプトデータ等を活用し、病床確保や使用率、オンライン診療実績など医療体制の稼働状況の徹底的な「見える化」を進める。

第2章 新しい資本主義に向けた改革

1. 新しい資本主義に向けた重点投資分野

(2) 科学技術・イノベーションへの投資

社会課題を経済成長のエンジンへと押し上げていくためには、科学技術・イノベーションの力が不可欠である。特に、量子、AI、バイオものづくり、再生・細胞医療・遺伝子治療等のバイオテクノロジー・医療分野は我が国の国益に直結する科学技術分野である。

【統合イノベーション戦略 2022】（令和 4 年 6 月 3 日閣議決定）

（3）先端科学技術の戦略的な推進

① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

（戦略的に取り組むべき基盤技術）

AI 技術

「AI 戦略 2019」のフォローアップを経て更新された「AI 戦略 2021」に基づき、関係府省が連携し、教育改革、研究体制の再構築、社会実装、データ関連基盤整備、倫理等に関する各施策を着実に推進してきた。その成果の上に立ち、より良い社会経済や国民生活を早期に実現・実感できるよう、AI の社会実装の推進強化に加え、首都直下地震、南海トラフ地震等の大規模地震や富士山も含む大規模火山噴火、気候変動等の影響により激甚化・頻発化する大雨といった大規模災害等、差し迫った危機への対処に重きを置いた「AI 戦略 2022」を 2022 年 4 月に策定した。同戦略に基づき、以下の方針に沿った取組を重点的に推進する。なお、AI に関しては、経済安全保障の観点からの取組も始まることを踏まえ、政府全体として効果的な重点化が図られるよう、関係施策の調整を行っていく。

- ・ AI の社会実装の更なる推進のため、画像認識、自然言語処理等での広範かつ効果的な活用が期待されるディープラーニングを重要分野として位置付け、企業による実装を念頭に置きつつ、AI の信頼性向上、AI 利活用を支えるデータの充実、AI を巡る人材や技術情報、データ取扱いルール等の追加的な環境整備、政府における AI 利活用の推進、我が国が強みを有する分野と AI との融合に力点を置いて取り組む。

【健康・医療戦略】（令和 2 年 3 月 27 日閣議決定）

4. 2. 健康長寿社会の形成に資する新産業創出及び国際展開の促進等

4. 2. 1. 新産業創出

(1) 公的保険外のヘルスケア産業の促進等

○適正なサービス提供のための環境整備

（イノベーションの社会実装）」

- ・ ICT、AI、ロボットなどの新たな技術の医療・介護現場への導入やヘルスケアサービスへの実装を図る。（総、文、◎厚、経）

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED 内、他省庁研究事業）との関係

厚生労働科学研究「臨床研究等 ICT 基盤構築・人工知能実装研究事業」は医療の質の向上、均てん化等の政策的課題に対応している。一方で、AMED 研究は恒常的にデータを利活用するための基盤を構築・活用しながら新規の製品・サービスの社会実装を目指すものである。また、データ収集体制の一部については、省内関係部局・課室の事業と連携し、互いの研究に活用することを想定している。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	メディカルアーツ研究事業
主管部局・課室名	大臣官房厚生科学課
AMED 担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	無し

当初予算額（千円）	令和2年度	令和3年度	令和4年度
		50,000	50,000

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

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、当該医療機器等の性能等を十分に発揮する手技等を分析し、その結果を踏まえた新たな医療技術を開発する必要がある。

また、これまで医療者の知識や経験に頼りがちであった、手術の手技、移植技術、患者の状況を判断して行う診断などの無形の医療技術や、その個別の診断法、治療法、分析法等の体系的な組合せを伴うシステム^{*}の開発が求められている。

※ 医療の有効性、安全性、効率性のための技術又はシステム

【事業目標】

医療の改革・新技術の創出につながる医療技術に関する知見を獲得し、医療技術のノウハウのデータ化と定量的評価にかかる研究開発の推進、及びその成果の社会実装により、医療に関する総合的な技術力の向上を図り、健康寿命の延伸、超高齢化社会の課題克服を目指す。

【研究の範囲】

より効果的な（あるいは新たな）手術方法等の研究

外科領域において、医療者の知識や経験に基づいて実施されている手術手技や術中管理等の技術を定量化し、統計的手法等を用いた評価及び検証を行うとともに体系化することにより、手術等の最適なアルゴリズムやエビデンスに基づいた革新的な技術を構築する。

【期待されるアウトプット】

- ・インパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載を3本以上
- ・非臨床POCの取得件数1件以上

【期待されるアウトカム】

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 2件以上

(2) これまでの研究成果の概要

本研究事業は令和2年9月より開始し、日本眼科AI学会、日本内視鏡外科学会などの関連学会と提携して、多施設共同研究を実施し、手術手法の定量化に必要なデータの蓄積を行った。また、アノテーションや動画学習モデル開発が開始された（令和2～4年度（4課題）、令和3～5年度（1課題））。

(3) これまでの研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

成果物である「最適なアルゴリズム」は新たな医療機器や医療技術の開発を念頭に、AMED 医療機器・ヘルスケア PJ が所管する研究事業等へ移行される方針である。

2 令和5年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進するもの（増額要求等するもの）

令和2年度に開始した4課題は手術手技の評価手法の開発を目的とした研究を、令和3年度以降は手術手技の技術伝承に資する最適なアルゴリズムの作成、及びそれに基づく新たな医療技術の開発を目的とした研究を、それぞれ実施してきた。令和5年度は令和2年度の4課題で確立された評価手法を用いて、アルゴリズムの作成、医療技術開発を目的とした研究に発展させる必要がある。また、これまで本事業で取り組まれてこなかった乳腺外科、泌尿器科、婦人科等、より幅広い外科領域に拡大して課題数を増加させる必要がある。

(2) 新規研究課題として推進するもの

該当なし。

(3) 令和5年度の研究課題（継続及び新規）に期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

専門性が求められる外科診療において、医療機器等の開発に資するアルゴリズムの作成や効果的な（あるいは新たな）手術技術の構築が期待される。また、それら成果物がAMED 医療機器・ヘルスケア PJ の所管する研究事業等へ移行されることも期待される。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定）

4. 1. 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進

(1) 研究開発の推進

○ 6つの統合プロジェクト

④ゲノム・データ基盤プロジェクト

「また、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行う。」

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

成果物である「最適なアルゴリズム」が、新たな医療機器や医療技術の開発に繋がることから、厚生労働科学研究（診療ガイドライン、マニュアル等の開発など）および医療機器・ヘルスケア PJ 等への移行が考えられる。

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
- ・成育疾患克服等総合研究事業
- ・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

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・新興国等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

PJ3：再生・細胞医療・遺伝子治療

プロジェクト

- ・再生医療実用化研究事業
- ・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

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
- ・成育疾患克服等総合研究事業
- ・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

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
- ・長寿科学研究開発事業

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）