

令和2年度（2020年度）研究事業実施方針（案） の概要 【AMED研究】

旧オールジャパンでの 医薬品創出プロジェクト

事業概要(背景・目的)

○ 我が国は、世界に冠たる平均寿命の長い国となる中、疾病の予防、早期診断、早期治療に関する国民の期待は大きく、質の高い医療の提供を通じて「健康寿命」の延伸に向けた取組が重要。医薬品の創出の迅速化を目指すためには、医薬品の開発過程を迅速化・効率化するための基盤技術に係る研究の推進が必要。このため、本事業では、創薬の基盤技術に関する研究を支援する。

※骨太方針2019(令和元年6月閣議決定): (医療・介護制度改革)(iv)診療報酬・医薬品等に係る改革イノベーションの推進を図ること等により、医薬品産業を高い創薬力を持つ産業構造に転換するとともに、「薬価制度の抜本改革に向けた基本方針」に基づき、国民負担の軽減と医療の質の向上に取り組む。
 ※「健康・医療戦略」(平成26年7月閣議決定、平成29年2月一部変更)
 臨床現場で見出した課題を基礎研究に戻すリバーSTRやヒト由来の臨床検体等を使用した基礎医学研究等や臨床研究を含む「循環型研究開発」を推進することとされている ⇒平成27年度より、産学官協同創薬研究プロジェクト(GAPFREE)を実施

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	2,352,400
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
研究開発基礎基盤	0
計	2,352,400

2020年度概算要求のポイント

- GAPFREEの取組として、引き続き、産学官の技術を連携させ、革新的新薬の開発に向けた創薬研究の振興を図る。参画企業も一定の研究費を拠出し、産学連携による創薬研究を支援する。特に、「製薬協 政策提言2019」でも示されているとおり、製薬企業等の強いニーズを踏まえ、バイオバンク等を活用して企業を含め産学官が創薬に活用できる仕組みを構築し、アカデミアにおける臨床情報やオミックス情報等を活用した創薬ターゲットやバイオマーカーの探索等に資する研究を支援する。併せて、産学官連携のニーズを把握し、企業保有のアセットも活用し実用化へ導くハブ機能を有する基盤を構築する。
- 近年、急速に開発が進んでいる中分子医薬品等の新たなモダリティについて、実用化可能な段階に引き上げる必要があることから、非臨床POC取得のための新たな評価系技術開発、製造・品質管理等に関する基盤的技術の研究開発を支援する。

これまでの成果概要等

- ドラッグ・リポジショニングに資する研究開発等の支援により、希少難病の進行性骨化性線維異形成症(FOP)患者から疾患特異的iPSを樹立し、薬剤候補物質を探索した。その結果、シロリムスが異所性骨化を抑制すること確認し、iPS細胞を活用した創薬研究としては世界で初めての医師主導治験を開始するなどの成果が得られた。
 - ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末) 0件
 - ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末) 0件
 - ③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末) 集計中(5月末×報告書で最終集計予定)
 - ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末) 1件

具体的な研究内容等

① GAPFREE(産学官共同創薬研究プロジェクト) 増額

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

- ・ 創薬研究プラットフォーム構築プロジェクト:別紙
- ・ 産官学共同rTRプロジェクト
- ・ 産学官共同創薬技術活用プロジェクト
- ・ 薬用植物国産化・利活用促進プロジェクト

② 創薬デザイン技術開発研究

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

③ 医薬品の開発過程の迅速化・効率化等の創薬基盤技術の開発

創薬の基盤となる技術開発等に係る研究等を支援

- ・ ドラッグデリバリーシステム(DDS)技術、イメージング技術、特殊製剤化技術等の革新的な創薬基盤技術の開発
- ・ 創薬ターゲットの同定に係る研究
- ・ 生物資源の基盤整備に関する研究 等

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

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、その妥当性と有効性を検証するための系の構築が課題となっていることから、これらの検証を可能とする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

⑤ 薬用植物の新たな育種、栽培、生産技術等に関する研究 増額

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

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【医薬品】

医薬品の創出の迅速化を目指すためには、創薬の基盤を整備し、医薬品の開発過程を迅速化・効率化するための研究の推進が必要であるため、本事業において創薬の基盤技術に関する研究を支援し、製薬企業等における革新的な医薬品の創出につなげる。

(医薬品)臨床研究・治験推進研究事業

2020年度要求額

3,455,000 千円

事業概要(背景・目的)

- 有望な医薬品シーズがアカデミアや企業で見いだされても、その後の臨床研究や治験を効率的に実施しなければ、実用化に繋がらない。※基礎研究の段階から臨床研究へ進めるもの:約1万分の1以下の割合
- このため、**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、革新的な医薬品を創出するため、科学性及び倫理性が十分に担保され得る質の高い臨床研究・医師主導治験等を支援。**

※骨太方針2019(令和元年6月閣議決定):**(医療・介護制度改革)(i)医療・福祉サービス改革プランの推進**
データヘルス改革を推進し、被保険者番号の個人単位化とオンライン資格確認の導入、「保健医療データプラットフォーム」の2020年度の本格運用開始、クリニカル・イノベーション・ネットワークとMID-NETの連携、AIの実装に向けた取組の推進、栄養状態を含む高齢者の状態やケアの内容等のデータを収集・分析するデータベースの構築、AIも活用した科学的なケアプランの実用化に向けた取組の推進などの科学的介護の推進等を行う。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	3,250,000
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
データ基盤・医療技術	0
研究開発基礎基盤	205,000
計	0

2020年度概算要求のポイント

- 業界等からの要望等を踏まえ、疾患登録システムを活用した事業等、効率的な臨床研究・治験に関する研究を拡充する。
 - アカデミア等が保有するシーズを**産学連携により早期実用化を目指す**研究の拡充をする。特に医師主導治験においては、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POC等のエビデンスが不十分シーズ」や「市場性が低いシーズ」について支援をする。
- ※製薬協 政策提言2019 「イノベーションの追求と社会課題の解決に向けて」(平成31年1月24日)
創薬研究用・臨床開発用データベースの構築と二次利用
・クリニカル・イノベーション・ネットワークの整備・強化(企業ニーズを取り入れたレジストリ構築、中央支援機関によるガバナンス強化等)
※次期「健康・医療戦略」、「医療分野研究開発推進計画」の策定に向けた提案(平成31年1月24日 日本製薬工業協会)
臨床開発促進のための健康医療ビッグデータ活用
クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)等の疾患レジストリの整備・拡充や、MID-NET等の既存RWDの拡充により、治験の迅速化や開発コストの低減が期待される。

これまでの成果概要等

①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)12件

- ・患者レジストリを活用した筋萎縮性側索硬化症治療薬開発のための医師主導治験

筋萎縮性側索硬化症患者に対するボスチニブ内服による治療法を開発するため、医師主導治験を開始。

※「患者レジストリを活用した筋萎縮性側索硬化症治療薬開発のための医師主導治験」井上治久 京都大学 iPS細胞研究所

②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)3件

- ・痙攣性発声障害に対するA型ボツリヌス毒素(ボトックス)の甲状披裂筋/後輪状披裂筋内局所注入療法の有効性と安全性に関する研究(平成30年5月に適応追加の承認取得)
- ・硬膜動静脈瘻に対するOnyx液体塞栓システムを用いた塞栓術の安全性と有効性に関する研究(平成30年4月に適応追加の承認取得)
- ・造血細胞移植における肝中心静脈閉塞症(VOD)に対する本邦未承認薬defibrotideの国内導入のための研究:第I相および第II相試験(平成30年10月に承認申請)

具体的な研究内容等

①医療費適正化に貢献する医薬品の開発

医療費適正化の視点から診療方針の抜本的改善が見込まれる医薬品や、効果のある患者を投与前に診断できる診断薬(コンパニオン診断薬等)の開発を支援

②産学連携による薬事承認申請を目指した医薬品シーズの実用化を推進する研究 **増額**

アカデミアや製薬企業・ベンチャー等の保有シーズの早期実用化を目指し、薬事承認申請に向けた産学連携による早期POC取得や確実な企業導出を目指すための効率的な臨床研究・医師主導治験に関する研究等の支援を増額

③疾患登録システム(患者レジストリ)を活用した臨床研究・医師主導治験 **増額**

・大学・学会・ナショナルセンター等の疾患登録システムを利活用した臨床研究・医師主導治験を支援
・疾患登録情報を薬事承認に活用するためのfeasibility studyを支援

④患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・医師主導治験

・小児用医薬品の開発促進
・先進医療Bとして実施が認められた医薬品に関する臨床研究
・国内未承認又は適応外の医薬品の臨床研究・医師主導治験 等を支援

⑤臨床研究の質の確保のための基盤に関する研究

・生物統計家の人材育成の体制整備に関する研究 等を支援

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【医薬品】【研究開発基礎基盤】

本研究事業を通して、有望な医薬品シーズを効率的に治験・臨床研究に結びつけることにより革新的な医薬品創出へつなげる。具体的には、モダリティの多様化に対応するために、産学と連携した研究開発を支援すると共に、疾患登録システムを活用した臨床研究等を支援することで、効率的な医薬品開発を支援していく。また、生物統計家については、「臨床研究・治験の推進に関する今後の方向性について 中間とりまとめ」にて、生物統計家に対する講座の設置の取組について育成人材の数と質のいずれについても未だ十分でない指摘を受けているところ。これより、継続して生物統計家の育成に取り組む。

事業概要(背景・目的)

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

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

新PJ(モダリティ)区分	要求額[千円]
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	1,674,010
研究開発基礎基盤	0
計	1,674,010

2020年度概算要求のポイント

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しつつ、2020年度は以下の点を重点項目とする。

- ・新技術を用いた医薬品・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
- ・医薬品・医療機器・再生医療等製品等に係る国際的な規制調和を推進するための研究

これまでの成果概要等

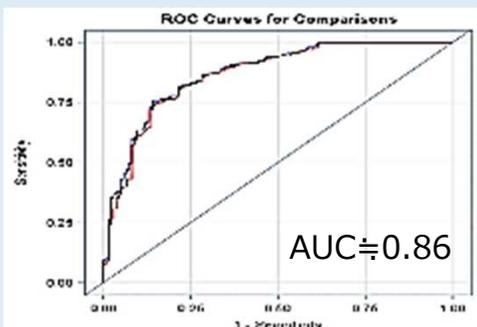
ヒトiPS分化細胞技術を活用した医薬品の次世代毒性・安全性評価試験系の開発と国際標準化に関する研究 (平成27～29年度、平成30～令和2年度)

表1. ヒトiPS細胞由来心筋細胞によるTdPリスク予測

	ヒトでTdP 報告あり	ヒトでTdP報 告なし	
JiCSA高リ スク及び中 間リスクの 薬剤	17	1	□ : 正しい予測 Kanda et al., JPS, 2018
JiCSA低リ スクの薬剤	4	6	
	81%	85.7%	82.1%

- ヒトiPS細胞由来心筋細胞の標準的な分化誘導方法を確立し、その細胞を用いて、医薬品によるTdP（心室性不整脈の一種）の発生リスクの程度を予測できることを実証した。（表1）
- 米国FDAと共同して国際検証試験を行い、ヒトiPS細胞由来心筋細胞を用いた試験法はTdPリスクの予測精度が高いことを実証した。共著で論文を作成して投稿した。（図1）

図1. 国際検証試験におけるTdPリスク予測精度



平成30年度から心収縮評価系の開発に取り組むとともに、多点電極法についても長期曝露やペーシングによる評価系の開発を追加し、国際標準化に向けた提言を令和2年度までに行う。

遺伝子治療におけるカルタヘナ法の第一種使用規程の考え方に関する研究（平成28年度～30年度）

- 複数のウイルスベクターの排出プロファイルや感染性評価データ、海外規制動向調査を基に、カルタヘナ規制運用の考え方を整理した。
- カルタヘナ法の第一種使用規程の申請書作成に資するため、「第一種使用規程承認申請書」作成のためのモック版ならびに「生物多様性影響評価書」作成のためのモック版を作成した。これらのモック版は、関係者との協議内容も踏まえて最終化した後、公開する予定である。

具体的な研究内容等

課題・背景

- ヒトにおける心毒性予測性を高め、治療に用いる各種製品の開発過程の短縮をはかるため、わが国からヒトiPS細胞由来分化細胞を利用した非臨床試験を国際的に提案。
- ウイルスベクターを用いた製品の開発が進んでおり、製品の製法/設計変更前後の同等性をどのように評価するのか課題となっている。
- 医薬品開発において、事前・早期診断に利用可能なバイオマーカーが必要とされている。

2020年度研究の概要

• ヒトiPS細胞分化心筋細胞を用いた心毒性評価系の開発

- ヒトiPS細胞分化心筋細胞を用いた不整脈リスクや筋収縮力への影響を評価する手法を構築、国際標準化のために必要な科学的根拠を収集する。

• ウイルスベクターを用いた製品の製造/設計方法変更に伴う品質評価に関する研究【新規】

- ウイルスベクターを用いた製品に関し、製法変更時における品質特性の評価手法の開発や増殖性ウイルス出現の低減化法の開発を行う。

• 複数の重篤副作用に関する臨床バイオマーカーの開発とその副作用機序との関連性解明【新規】

- 日本人を対象とした重篤副作用バイオマーカーについて临床上の実用化を目指して、当該バイオマーカーの適格性確認研究及び副作用発生メカニズムの解明に向けた研究を行う。

研究の成果・活用

- 2020年度までにヒトiPS細胞分化心筋細胞を用いた心毒性評価の国際標準化の提言
- ウイルスベクターを用いた製品の製法/設計変更前後の同等性評価ガイドラインの策定
- 日本における副作用バイオマーカーの適格性確認等の規制要件策定への応用

最先端技術を用いた革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品等の実用化を促進

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【ゲノム・データ基盤】

新PJでは技術革新に対応した医薬品・医療機器等の評価基盤に向けた研究を行うこととなっており、本事業の目的である革新的な医薬品・医療機器等の評価基盤の構築と合致している。

(事業名)創薬支援推進事業

2020年度要求額

3,850,000千円

事業概要(背景・目的)

大学や公的研究機関等の研究者が保有する優れた創薬シーズを医薬品としての実用化につなげるため、創薬支援ネットワークが行う技術支援(評価系の構築、ヒット・リード化合物の探索、リード化合物の最適化(合成展開・コンピュータ創薬))、バイオマーカー探索、非臨床試験、知財管理等に関する支援や基盤整備費用を負担し、創薬シーズの早期実用化を図るものである。また、創薬シーズの医薬品としての実用化を促進するために、創薬基盤技術等の開発やアンメットメディカルニーズのボトルネックとなっている希少疾病用医薬品等の開発支援を行うなど、その開発するための支援費用を負担し、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ものである。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	3,850,000千円
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
研究開発基礎基盤	0
計	3,850,000千円

2020年度概算要求のポイント

「健康・医療戦略」(平成26年7月22日閣議決定、平成29年2月17日一部変更)を踏まえ、本事業により革新的な創薬を通じた世界最先端の医療等が受けられる社会の実現や健康寿命の延伸を目指すこととする。具体的には、大学や公的研究機関の研究者が保有する優れた基礎研究の成果(創薬シーズ)を医薬品としての実用化につなげるために、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つつ、モダリティとして将来の市場規模の拡大が期待される中分子を強化するために、実用的なライブラリーを構築することで、中分子医薬品の実用化を促進する。

また、「次期「健康・医療戦略」、「医療分野研究開発推進計画」の策定に向けた提案」(日本製薬工業協会、2019年1月24日)においては、「データ駆動型創薬に資する企業間のデータシェアリングの推進」として、製薬企業が保有する薬効、ADMET(薬物動態-毒性)、化合物最適化に関するデータを共有し、データシェアリングとAI活用基盤構築が求められている。本事業の成果である革新的医薬品の創出により、我が国における長寿社会の形成に資する産業活動の創出と経済成長に貢献する。

これまでの成果概要等

シーズ評価と創薬支援(2018年度末時点)

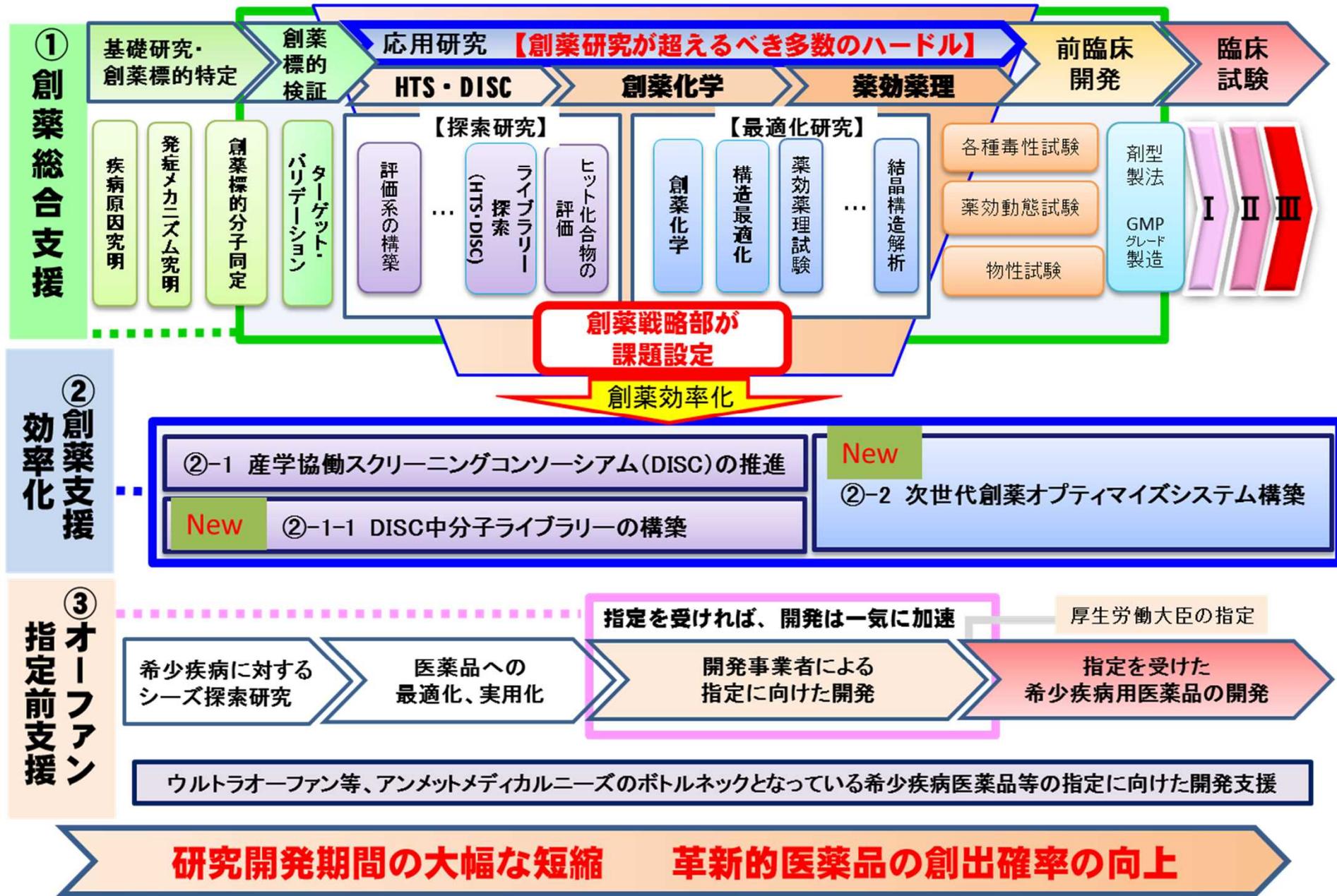
- ・相談・シーズ評価 1,376件
- ・有望シーズへの創薬支援 117件
- ・企業への導出(ライセンスアウト) 6件

○企業への導出(ライセンスアウト) (2018年度末時点)

課題番号	課題名	主任研究者	モダリティ	導出時期
DNW-15001	新規がん免疫アジュバントの探索	松本 美佐子 (北海道大学大学院医学研究科)	低分子化合物	平成29年3月
DNW-14015	がん間質を標的とした抗体・薬物複合体の開発	松村 保広 (国立がん研究センター 先端医療開発センター)	抗体-薬物複合体	平成29年3月
DNW-14006	がん細胞DNA脱メチル化酵素を分子標的とするFirst-in-classのがん治療薬の探索	辻川 和文 (大阪大学大学院薬学研究科)	低分子化合物	平成29年9月
DNW-15003	NF-κB標的遺伝子の発現を阻害する抗がん剤の探索	伊庭 英夫 (千葉大学真菌医学研究センター)	低分子化合物	平成30年3月
DNW-14012	味覚・食感を損ねない長時間作用型口内炎疼痛緩和薬の開発	上園 保仁 (国立がん研究センター研究所)	低分子化合物	平成30年9月
DNW-14025	HSVワクチンの探索	川口 寧 (東京大学医科学研究所)	ワクチン	平成31年3月

創薬支援推進事業の全体像

具体的な研究内容等



研究内容と新PJ (モダリティ)との関係

【医薬品】
 本研究事業では、創薬支援ネットワークが行う技術支援等、創薬基盤技術の開発、希少疾病用医薬品等の開発支援を実施することにより、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目指している。

旧オールジャパンでの 医療機器創出プロジェクト

事業概要(背景・目的)

- 我が国へ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、我が国での開発を促進させる取組を実施してきている。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総合的に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。
- 本事業では、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アンメットメディカルニーズの対策に資する医療機器について、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、革新的な医療機器の創出を図る。このため、産学官連携による革新的医療機器の開発を推進するとともに、疾患登録システム等を活用した革新的医療機器の開発等を支援。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	1,475,548千円
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
研究開発基礎基盤	0
計	0

2020年度概算要求のポイント

- 小児用の小型又は成長追従性の医療機器等については、開発への要望が大きいかもかわらず、日本では欧米と比較してその開発が遅れる傾向にある。このようなアンメットメディカルニーズに対応するための医療機器の実用化に資する臨床研究や医師主導治験を支援する。
- 高齢化の進展に伴い、診断や治療だけでなく、重篤化の予防や治療後の生活の質向上の観点からも、在宅医療分野における医療ニーズに対応することがますます重要となっている。このため、在宅医療機器等の研究開発を支援し、健康長寿社会の実現に資する医療機器の実用化を目指す。

これまでの成果概要等

- 非臨床試験・臨床研究・医師主導治験の支援により、大腸がんの抑制を可能とする、人工知能に基づく診断支援のためのプログラムの薬事承認取得など、革新的医療機器等の実用化につながる成果が得られた。
 - ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末) 20件
 - ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末) 5件
 - ③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末) 15件
 - ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末) 8件

具体的な研究内容等

①医療費適正化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師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

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 **増額**

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

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 **増額**

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

④革新的医療機器の実用化を目指す臨床研究・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臨床研究・医師主導治験等を支援

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【医療機器】

日本の基礎研究の成果を革新的な医療機器の実用化につなげるため、本事業において、医療機器の薬事承認等に向けた臨床研究及び医師主導治験等に対する支援を行う。

事業概要(背景・目的)

背景

- 開発途上国は、**日本とは異なる公衆衛生上の課題**を抱えており、そのため、日本とは医療機器に対するニーズが異なる
- 日本の医療機器会社は、海外での事業拡大において課題を抱えている
 - 日本向けに開発した医療機器が、開発途上国で必要とする性能に対して一致せず売上げが伸びない等、**現地のニーズの把握が重要**

本研究の特徴

- 日本の医療機器会社が、**発展途上国の医療機関の臨床現場にて、バイオデザイン等のデザインアプローチ**を用いながら**ニーズを把握し**、開発途上国向けの製品を研究開発
- 厚生労働省とAMEDが、大学や研究所等での交流、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行う。

成果目標

- 相手国の公衆衛生上の課題の解決に貢献**し、日本への信頼を高め、日本の医療の国際展開に貢献
 - 「**アジア健康構想**」で掲げた、ユニバーサルヘルスカバレッジ(UHC)と健康長寿社会の実現に貢献
- 研究開発参加企業は、商品の販売によるビジネスの成功のみならず、海外展開を行うスキルを獲得
 - 健康医療戦略に掲げる、**医療機器の輸出額**(2020年までに1兆円)、**海外市場規模の獲得**(2030年までに5兆円)に貢献

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	436,090
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
研究開発基礎基盤	0
計	436,090

2020年度概算要求のポイント

- デザイン手法を活用してニーズを把握しながら、途上国等のニーズを十分に踏まえた医療機器を開発する課題を実施する。
- これまで当事業の研究開発に携わった事業者の成功事例集や、医療機器会社が新興国に展開する際に必要な情報をとりまとめた資料を作成し、日本の医療機器会社の国際展開に資するエビデンスの構築に取り組む。

これまでの成果概要等

- 新興国・途上国等の公衆衛生上の課題と医療ニーズに基づいて、その課題を解決する医療機器開発に取り組み、初年度(2017年度)に研究開発をはじめた事業者の製品の上市の目途がたった。
 - 厚生労働省とAMEDは、相手国規制当局との対話等の官レベルの普及活動を行い、AMEDと研究開発事業者は、完成した製品を普及させるため、大学や研究所等での交流等の、アカデミアレベルの普及活動を開始し、さらにAMEDは外郭団体等との連携の検討を進めている。
- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末) なし
 - ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末) なし
 - ③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末) なし
 - ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末) なし

具体的な研究内容等

採択事業者 (研究開発期間)	課題名	相手国における 公衆衛生上の課題 (カテゴリー)	研究開発時に 想定したニーズ(仮説)	開発実施国
シミックホールディングス 株式会社 (2017～2018年度)	開発途上国・新興国のニーズに合わせた、 日本発バイオマーカーの簡易診断キット開発	急速に広がるNCD への対策 不十分な医療インフラ下での医療提供	途上国・新興国に頻発する重症化リスクの高い腎疾患を、特別な設備を要しない尿検査によって鑑別することで早期治療介入につなげるための医療提供	ベトナム
日本光電株式会社 (2017～2019年度)	安全なバッグ換気のためのモニタ	不十分な医療インフラ下での医療提供	新生児の15%は自発呼吸が確立できず何らかの蘇生処置を必要としているが、途上国・新興国では新生児蘇生の手技・医療環境が不十分であるため、新生児死亡率が高く、これを改善したい	インドネシア (タイ、ベトナム、マレーシア)
株式会社メラン (2017～2019年度)	ベトナム国向け High-flow nasal cannula機器の開発	不十分な医療インフラ下での医療提供	呼吸管理が必要な患者に、安全安心で低コスト維持できる high-flow nasal cannulaを普及させる	ベトナム
株式会社 日本医療機器開発機構 (2018～2020年度)	虚血性心疾患のプライマリヘルスケアに対応するウェアラブル心電計診断システムの開発	急速に広がるNCD への対策 不十分な医療インフラ下での医療提供	地方部など医師が不足している地域において、心疾患の既往歴のある患者や、ハイリスク患者が、胸痛を感じた時、あるいは、遠隔の定期診察を受ける時、心電図を装着し、専門医が遠隔で迅速に診察できるようにする。	タイ
栄研化学株式会社 (2018～2020年度)	マラリア原虫感染者発見率向上のための種特異的超高感度遺伝子検査システム開発研究	NTDをはじめとした感染症対策	既存の検査方法では検出できない原虫感染患者を高感度により多く検出する検査システムにより、重症化を含む症状の悪化や二次的感染を予防する。更に将来的にマラリアを排除する。	タイ

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【医療機器】

- 日本の医療技術等の国際展開をするため、新興国・途上国等における保健・医療課題を解決しつつ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新興国・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。

旧革新的医療技術創出拠点 プロジェクト

革新的医療シーズ実用化研究事業

2020年度要求額

735,000千円

事業概要(背景・目的)

革新的医療技術創出拠点等で創出されたシーズの更なる実用化促進(切れ目のない一体的な推進)が求められていることから、引き続き、FIH(First in Human)試験やICH-GCP準拠の臨床研究・治験を支援し、日本発の医薬品等の開発を加速させるとともに、拠点のARO機能を更に強化し、国内外共に支援できる体制を構築する。

※ ICH-GCP：医薬品の臨床試験にかかる国際的な実施の基準。

ARO:Academic Research Organizationの略。大学・病院等における医薬品開発等を支援する組織。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	735,000
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
研究開発基礎基盤	0
計	735,000

2020年度概算要求のポイント

革新的医療技術創出拠点等で創出されたシーズの更なる実用化促進(切れ目のない一体的な推進)が求められていることから、引き続き、FIH試験やICH-GCP準拠の臨床研究・治験を支援するほか、企業導出をより強く見据えたスキームを提示・支援することで、日本発の医薬品等の開発を加速させると共に、拠点のARO機能を更に強化し、国内外共に支援できる体制を構築する。

2020年度要求における研究課題は以下のとおり。

- (A) 臨床研究中核病院のARO機能を活用した自施設、他施設、国際共同臨床研究・医師主導治験の推進(継続)
- (B) 企業導出を見据えたPOC取得を目的とした研究の推進(継続)

これまでの成果概要等

- ・革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいて発掘・育成されたシーズ等を対象として、臨床研究中核病院のARO機能を最大限に活用し、効率的・効果的な研究開発を推進することで、シーズの実用化に繋がる企業導出等を目指している。
- ・(A)については、2019年度においては、2017年度からの継続9課題と2018年度からの継続1課題の、合計10課題にて実施中。
- ・(B)については、2018年度からの継続6課題を実施中。
 - ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)10件
 - ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)1件

具体的な研究内容等

○臨床研究中核病院のARO機能を活用した自施設、他施設、国際共同臨床研究・医師主導治験の推進

- 革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいて推進している各事業において創出されたシーズを切れ目なく次のフェーズの臨床研究や医師主導治験として実施し、基礎研究成果を一貫して実用化に繋ぎ、迅速な企業への導出等を目指す。
- 更に、拠点以外が実施する臨床研究や医師主導治験も対象に支援するほか、「国際共同臨床研究実施推進プログラム」とも連携することで、拠点のオープンアクセス化を更に推進し、ARO機能を広く国内で活用する基盤として位置づけるとともに、国内の質の高い臨床研究や医師主導治験の実施を推進する。

○企業導出を見据えたPOC取得を目的とした研究の推進

- これまでの本プロジェクトにおける実績やベンチャーサミット2017において課題とされた、POC取得にかかるアカデミアと導出企業のニーズのずれを解消し、早期企業導出を行うため、臨床研究中核病院のARO機能及びベンチャー支援部門の活用により医療シーズの早期導出に必要なPOCを取得するための研究を実施する。

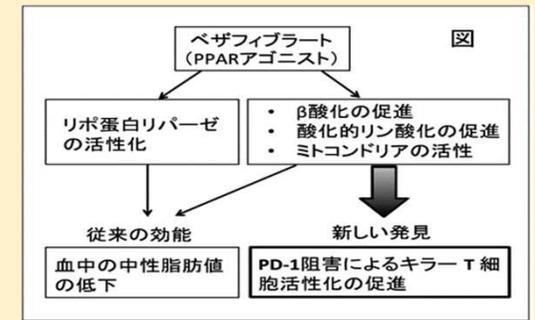
・がん遺伝子プロファイリング検査の実用化に向けた研究

先進医療Bで開発を進め、日本人のがんで多く変異が見られる114個の遺伝子を調べる事が可能な遺伝子パネル検査システムの製造販売承認を取得した(2018年12月25日)。



・PD-1阻害抗体の抗腫瘍効果を増強するミトコンドリア活性化剤を用いた新規併用治療法の開発

既治療進行非小細胞肺癌患者に対する抗PD-1抗体治療におけるベザフィブラートの併用による抗腫瘍効果の増強を実証するため、第I相試験を実施中(2017年11月開始)。



研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【医薬品】

革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいて推進している各事業において創出されたシーズを切れ目なく次のフェーズの臨床研究や医師主導治験として実施し、基礎研究の成果を一貫して実用化に繋ぎ、迅速な企業への導出等を目指す。

旧再生医療の実現プロジェクト

事業概要(背景・目的)

再生医療は、今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、我が国において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うる臨床研究や医師主導治験等について支援を行う。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	3,100,000
ゲノム・データ基盤	0
研究開発基礎基盤	0
計	3,100,000

2020年度概算要求のポイント

「再生医療実現プロジェクト」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、臨床研究を推進する。

2020年度は、増加している非臨床段階から臨床段階へ移行した課題について、予算の拡充を行うことで臨床研究及び治験の実施に係る細胞加工物の製造、品質管理等について十分な支援を行う。

これまでの成果概要等

臨床研究や治験への移行数は42件となり、2020年までのKPI(35件)を達成した。また、28年度には、第1例目となる同種iPS細胞から作製した網膜細胞の移植手術を実施するなど、顕著な成果も得られた。

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)42件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)6件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末)70件
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末)17件

具体的な研究内容等

1) 再生医療の実用化に向けた研究の支援

ア. 安全性の確保のための研究

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



造腫瘍性、免疫拒絶



体内動態把握

ウ. iPS細胞等の多能性幹細胞の臨床応用に向けた細胞特性解析のための研究

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



イ. 治療方法探索のための研究

iPS細胞や体性幹細胞等を用いた、実用化に近い治療方法に係る臨床研究を支援。



○再生医療等技術と最先端リハビリテーションとの融合（課題）

再生医療技術と最先端リハビリテーション技術を組み合わせ、相乗的な効果の促進を目指す研究を支援。



2) 創薬応用に向けた研究の支援

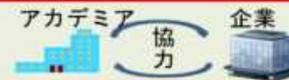
カ. iPS細胞を利用した創薬等のための研究

ヒトiPS細胞分化誘導細胞を用いた医薬品の安全性評価法の開発研究や、候補化合物を見つけ出すスクリーニング等を実施する研究を支援。



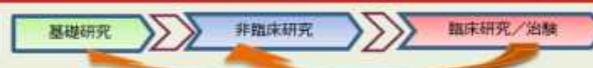
エ. 産学連携による研究

アカデミア発のシーズを、速やかに実用化につなげていくため、アカデミアと企業が協力して行う研究に対して支援。



オ. 臨床研究等の実施中に生じた課題解決のための研究

臨床研究や治験等を実施する中で発生した課題について、課題解決のための研究を支援。



3) 基盤的支援

キ. 再生医療等技術の効率化のための研究

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



研究成果をイ、エの個別事業にフィードバック

ク. 再生医療等技術の国際展開のための研究(新規)

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



研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【再生・細胞医療・遺伝子治療】

iPS細胞等を用いた再生医療等の迅速な実現に向けて、安全なiPS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・共有等を実施する。

また、再生医療の臨床研究及び治験の推進を行う。

旧疾病克服に向けたゲノム医療実現 プロジェクト

(ゲノム)ゲノム創薬基盤推進研究事業

2020年度要求額

450,000千円

事業概要(背景・目的)

○ ゲノム解析技術等が著しく進展し、ゲノム情報を活用した医療への応用に係る取組が欧米を中心に急速に進みつつある。我が国でも、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)を推進する取組を進めているが、今後も、ゲノム医療の実用化をより一層進める観点から、オールジャパン体制で取組を強化する必要がある。

○ ゲノム医療をより一層推進する観点から、ゲノム医療の推進に係わる諸課題の解決、ゲノム医療実用化を推進するための基盤的な研究を行う。

※ゲノム医療実現推進協議会 中間とりまとめ(平成27年7月公表)抜粋

諸外国等において既に実装されている疾患関連遺伝子について、遺伝子変異・多型を持つ日本人のリスク評価・治療法及び予防法開発を目的とした観察研究及び介入研究の実施や、ファーマコゲノミクスに基づく患者の薬剤応答などを医療現場において簡便に確認するための検査法の開発、ガイドライン作成などの実証研究の実施も必要となる。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	430,000
研究開発基礎基盤	20,000
計	0

2020年度概算要求のポイント

○ モダリティの多様化に伴い、ゲノム情報等を医薬品等の開発へつなげる環境整備が望まれている。これより、**高い有効性・安全性を有する医薬品シーズ等を効率よく探索・同定するための基盤的な研究**を行う。

○ 個別化医療推進のために、データベースやバイオバンクに集積されている**ゲノム情報等を活用し、ゲノム診断・ゲノム治療に資する研究等を実施**する。

これまでの成果概要等

○ RNA創薬研究の基盤となる、霊長類のデータベース構築に先立ち、既存データを活用したヒトPre-mRNA/mRNA及びDNAデータベース(テスト版)を構築し公開した(平成30年7月)。

○ ゲノム検査を実施した患者に対して、ゲノム情報を含む検査結果を伝達する際に留意すべき事項等を取りまとめて公表した。

①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)0件

②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)1件

炎症性腸疾患、白血病、リウマチ性疾患、臓器移植後の治療におけるチオプリン製剤の重篤な副作用の予測に有用なNUDT15(Nudix Hydrolase 15)遺伝子多型を検出するキット(製品名:MEBRIGHT NUDT15 キット、以下「本キット」)を開発し、世界で初めて体外診断用医薬品として製造販売承認(平成30年4月6日)を取得し、同年7月2日に発売した。

③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末)1件

スプライシング異常に起因する遺伝性疾患のための医薬組成物及び治療方法

④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末)0件

具体的な研究内容等

A.ゲノム医療の推進に係る課題解決に関する研究

ゲノム医療実現推進協議会の議論を受け、バイオバンクの運営体制に係わる課題等、ゲノム医療の推進に係る課題解決に関する研究を行う。

B.ゲノム情報を活用した新規創薬ターゲットの探索等の基盤整備に関する研究

増額

創薬探索基盤整備課題

ゲノム情報等に基づく研究を医療現場で活用するために、RNA等を標的とする医薬品を開発するための環境整備が望まれる。本研究では、高い有効性・安全性を有する医薬品シーズを効率よく探索・同定するための基盤的な研究を行う。

* 核酸医薬創薬に資する霊長類RNAデータベースの拡充

「核酸医薬創薬に資する霊長類RNAデータベースの構築」(河合班)において、核酸医薬のオフターゲット評価に活用するためのサル及びヒトのPre-mRNA及びmRNAのデータベース構築を行っているが、今後は、創薬標的を探索するためのスプライシングバリエーション及び非コードRNAも追加したデータベースに拡充する。

C.網羅的生体情報を活用したゲノム診断・ゲノム治療に資する研究

増額

個別化医療推進のために、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等を活用し、ゲノム診断・ゲノム治療に資する研究等を実施する。

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

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

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

次世代シーケンサーを利用する解析が増えるに従い、遺伝子変異が蓄積されるが、その中には疾患との関連性が明らかでない遺伝子変異も多く含まれる。これらの疾患との関連性が明らかでないとする遺伝子変異が、実は病的な遺伝子変異である可能性が懸念されている。そのため、本研究においては、遺伝性疾患において、疾患との関連性が明らかでない遺伝子変異について、正確かつ自動的に検証する手法を確立し、迅速に治療等に資する研究を行う。

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【ゲノム・データ基盤】【研究開発基礎基盤】

ゲノム医療実現に向けて、革新的な治療法や医薬品等に資する研究基盤の整備を推進する。また、ゲノム医療の推進に係る課題解決に関する研究においては、研究開発基礎基盤の整備の推進をする。

事業概要(背景・目的)

○ ゲノム解析技術等が著しく進展し、ゲノム情報を活用した医療への応用に係る取組が欧米を中心に急速に進みつつある。我が国でも、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)を推進する取組を進めているが、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。

※成長戦略フォローアップ(令和元年6月閣議決定):Ⅱ. 全世代型社会保障への改革 5. 次世代ヘルスケア ② ICT、ロボット、AI等の医療・介護現場での技術活用の促進 オ)ゲノム医療の推進
がん・難病等のゲノム医療を推進する。がんについては、その克服を目指した全ゲノム医療の実現に向け、質の高い全ゲノム情報と臨床情報を、患者同意及び十分な情報管理体制の下、国内のがんゲノム情報管理センターに集積し、当該データを、関係者が幅広く創薬などの革新的治療法や診断技術の開発等に分析・活用できる体制を整備し、個別化医療を推進する。難病等については、より早期の診断の実現に向けた遺伝学的検査の実施体制の整備や、遺伝子治療を含む全ゲノム情報等を活用した治療法の開発を推進する。

○ がん、希少疾患、難病等の個々の症例から得られた詳細な臨床情報とゲノム情報等を集積・統合し、遺伝子変異・多型(遺伝子型)が疾患の発症(表現型)とどのように関連づけられるかを日本人を対象に評価・検証するため、これらの情報を格納した「臨床ゲノム情報統合データベース」を構築・公開し、医療機関に提供することで、ゲノム医療の実用化を推進する。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	700,000
研究開発基礎基盤	0
計	0

2020年度概算要求のポイント

- 本事業においてこれまで収集した4領域(①希少・難治性疾患、②がん、③感染症、④認知症その他)の個々の症例から得られた詳細な臨床情報とゲノム情報等を集積・統合した「臨床ゲノム情報統合データベース」(MGeND(Medical genomics Japan Variant Database))を充実させるため、できる限り多くのデータを収集する体制を構築することが求められる。
- しかし、4領域においては解析が終了しているにも関わらず、アノテーション(遺伝子機能等の注釈付け)が進んでいないため、MGeNDでの公開に至っていない多くの症例が存在する。これより、MGeNDでの早期公開を目指すために、解析終了症例におけるアノテーション等の支援をする。
- さらに、AMED「データシェアリングポリシー」に基づきデータ収集を行うとともに、過去に蓄積されていたデータ(レガシーデータ)を掘り起こし、MGeNDへ登録することを進める。また、難病研究におけるデータベース(IRUD等)等の他のデータベースとデータシェアリングを進めることで、臨床情報が付帯した日本人に特有の遺伝子変異等を網羅した質の高い情報をより多く収集し真に使えるDB構築を目指す。

これまでの成果概要等

- 4つの疾患領域(希少・難治性疾患、がん、感染症、認知症・感覚器)を対象に、クリニカルシーケンス等の実施体制及び臨床情報とゲノム情報等を集積したデータストレージとそれらの情報を集約する体制を整備した。
- クリニカルシーケンスにより見いだされた疾患感受性バリエーション情報を疾患横断的に集約した統合データベースMGeNDを構築し、日本人の疾患感受性バリエーション情報を公開した。なお、MGeNDに格納された疾患関連バリエーションの半数以上はClinVarに登録がなく、東アジア人種に特徴的なバリエーションを集約している。
- クリニカルシーケンスの配列データをAGD(AMED genome group sharing database)に登録し、国内の研究者間におけるデータ共有を開始した。
 - ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)0件
 - ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)1件
がん研究班で開発した「NCCオンコパネル」は、先進医療Bを経て体外診断用医薬品・医療機器として製造販売承認を取得した(平成30年12月)。
 - ③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末)0件
 - ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末)0件

具体的な研究内容等

増額

- 我が国の個別化医療を実現するためには、日本人のゲノム変異データベースが必須。ClinVar（ヒトゲノムの多様性と関連する疾患について収集している米NIHが助成するDB）においては38万件（平成30年2月時点）の変異が登録されていることと比較すると、**未だデータが圧倒的に不足**（平成30年度末で約1万）。4領域（希少・難治性疾患、がん、感染症、認知症その他）の個々の症例から得られた詳細な臨床情報とゲノム情報等を集積・統合した「臨床ゲノム情報統合データベース」（MGeND）を充実させることが求められる。

① MGeNDの機能拡充

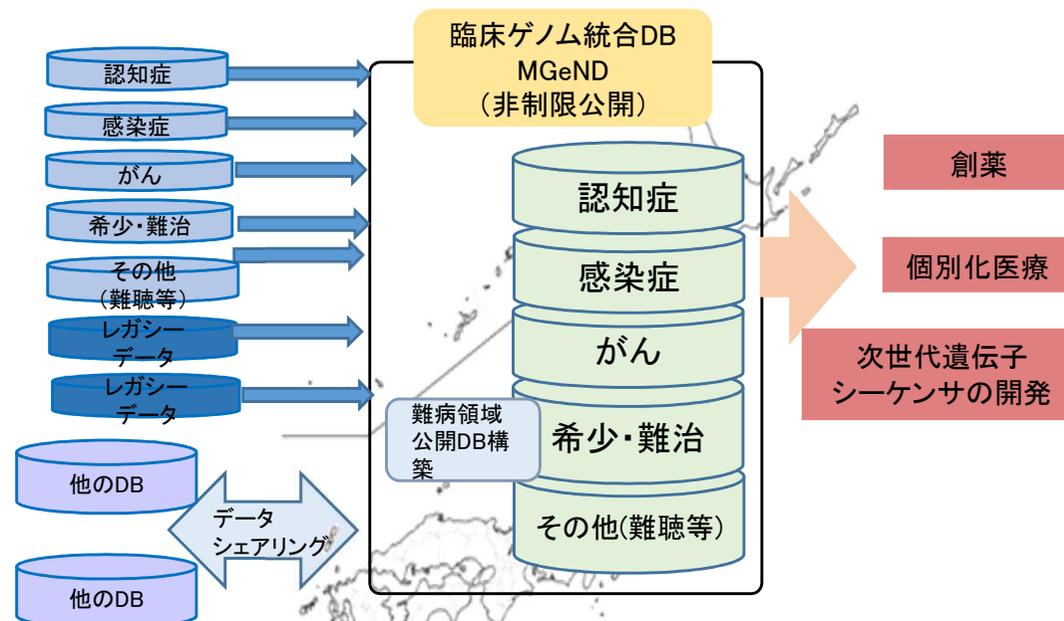
- ・表示機能の拡充
感染症領域におけるウイルスと宿主の変異の関係表示、変異に関する表示、GWASの専用画面 等
- ・検索機能の拡充
疾患を横断して存在する変異の検索機能強化 等
- ・データ登録の機能強化
二重登録データの検出機能強化、データのダウンロード制御機能強化、追加データ登録時の整合性確認等の機能追加 等

② 難病プラットフォーム・IRUD等からのデータ登録

古い変異データについては、必要に応じて配列の再決定を行い、データシェアリングを進めることで、日本人に特有の遺伝子変異等を網羅した質の高い情報を得るDB構築を目指す。

③ データ収集の拡充

MGeNDに集積されていないRNA変異の集積等に加え、昨年度に引き続き、国内に埋もれているデータやDBの調査研究、論文や研究報告書等よりデータを収集し、クレンジング（形式の統一、誤りや不足データの補正、重複データの名寄せ統合）等を実施する。



研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【データ基盤】

ゲノム医療実現に向けて、革新的な治療法や医薬品等に資する研究基盤の整備を推進する。

旧ジャパン・キャンサーリサーチ・ プロジェクト

事業概要(背景・目的)

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

新PJ(モダリティ)区分	要求額(千円)
医薬品	6,105,433
医療機器・ヘルスケア	1,804,811
再生・細胞医療・遺伝子治療	2,040,670
ゲノム・データ基盤	790,260
研究開発基礎基盤	1,317,790
計	12,058,964

2020年度概算要求のポイント

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。

また、2020年度に新たに推進すべき研究課題として、「次世代がん医療創生研究事業」から導出されたシーズを実用化に繋げるための研究や、革新的ながんの新薬・新医療技術開発を強力に支援する包括的rTR研究及びアカデミア創薬研究におけるボトルネック解消に必要な解析、試験を行う研究。

これまでの成果概要等(2018年度)

- ウイルス療法による医師主導治験を行い、再発または残存した脳腫瘍で高い治療効果を確認。
- 日本人に多い卵巣明細胞がんなどでみられるARID1A遺伝子変異がんを対象に、代謝(メタボローム)を標的とした新たながん治療法を開発 等。

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)6件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)0件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末)32件
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末)224件

具体的な研究内容等

「がん研究10か年戦略」に基づいたがん研究開発
(根治・予防・共生 ～患者・社会と協働するがん研究～)

応用領域

臨床領域

革新的がん医療実用化研究事業

サポート機関 ○がんの新薬・新医療技術開発の革新的なスキームを確立するための研究
(新規) ○「次世代がん医療創生研究事業」から導出されたシーズを実用化に繋げるための研究
○革新的ながんの新薬・新医療技術開発を強力に支援する包括的rTR研究及びアカデミア創薬研究
におけるボトルネック解消に必要な解析、試験を行う研究。

研究内容

- 領域1 がんの本態解明に関する研究
- 領域2 がんの予防法や早期発見手法に関する研究
- 領域3 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
- 領域4 患者に優しい新規医療技術開発に関する研究
- 領域5 新たな標準治療を創るための研究
- 領域6 ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域

新PJ(モダリティ)

- ① 医薬品
- ② 医療機器・ヘルスケア
- ③ 再生/細胞医療・遺伝子治療
- ④ データ基盤・メディカルアーツ
- ⑤ 研究開発基礎基盤

次世代がん医療創生研究事業

導出

還元

導出

還元

導出

還元

未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業

次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発

研究支援基盤： 創薬支援ネットワーク、PMDA、がん臨床試験ネットワーク

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

- 【医薬品】 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する研究等。
- 【医療機器・ヘルスケア】 予後を改善する治療法、より安全で、低侵襲な治療法等新たな標準治療の開発の研究等。
- 【再生・細胞医療・遺伝子治療】 がん免疫(細胞)療法、遺伝子治療、ウイルス療法、ゲノム編集技術等の前臨床研究や医師主導治験等。
- 【ゲノム・データ基盤】 難治性のがんの早期発見を可能とするイメージング技術等、より低侵襲治療を可能とする根治性の高い治療や副作用を抑えるドラッグデリバリーシステム等の患者にやさしい医療技術、データ基盤に関わる研究。
- 【研究開発基礎基盤】 患者背景因子、遺伝子異常プロファイル等の情報に基づいた本態解明、がん細胞内外のネットワークを多角的かつ統合的に理解する等により、効果的な治療法の開発や、有望シーズの発見・開発をする研究等。

旧脳とこころの健康大国実現 プロジェクト

(事業名) 認知症研究開発事業

2020年度要求額

2,004,890千円

事業概要(背景・目的)

新オレンジプランでは認知症等高齢者にやさしい地域づくりの構築を目指しており、本研究事業により発症前の先制治療の可能性についても追求しながら、大規模遺伝子解析や国際協働も目的とした高品質・高効率なコホートを全国に展開し、臨床研究の推進に寄与する支援体制を強化しつつ、根本的治療薬や効果的な症状改善法、有効な予防法の開発に繋げ、さらにこれらの研究開発の推進のためにも、認知症の人が研究への参加に際して容易に登録できるような仕組みを構築する。2019年度にとりまとめられた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こととしている。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	1,768,789
研究開発基礎基盤	236,101
計	2,004,890

2020年度概算要求のポイント

従来より進めてきた「大規模認知症コホート研究」「認知症の人等の全国的な情報登録・追跡を行う研究」「薬剤治験に即刻対応できるコホートを構築する研究」はそれぞれ予防因子の同定、検証のための臨床研究、治験の実施等を通して予防戦略の策定に必要であり、大幅拡充を行う。ゲノム研究も病態解明や発症予測に必要であり、拡充を行う。また新規課題として以下のものを新たに推進する。

若年性優性遺伝性アルツハイマー病に関する多元的臨床データ収集と共有化による効率的な病態解明を目指した研究: 遺伝性認知症に対する病態解明を目指した追跡調査を国際的な認知症臨床研究の一環として実施する。

認知症バイオマーカー等の利活用に伴う倫理的課題に関する研究: 近年急速な進歩がみられるバイオマーカー等について、それらの検査の解釈、有用性や限界、結果の開示の是非とその方法などについて整理し、研究におけるそれらの検査の倫理的側面について多様な視点から調査を行う。

認知症診断に資するバイオマーカー開発研究: アルツハイマー病の発症に関連するとされるアミロイドやタウ、神経障害と関連するバイオマーカーを開発し、その有用性について検証を行い、実用化に向けた取組を推進する。

認知症研究の見える化システム構築のための研究: 全国の認知症関連コホート・レジストリを一元的にまとめ公表することで有機的に連携させ、得られるデータの利活用に向けたワンストップ化を促進させる新たなシステムの開発を行う。

既存コホート・レジストリを活用した認知症治験実施に向けた体制構築のための研究: 既存コホート・レジストリと薬剤治験対応コホートとの連携を推進し、認知症治験実施に向けた体制構築を強化する。

超早期認知症を対象とした病態解明および治験対応を目指したコホートを構築する研究: アミロイドPETが陰性であってもわずかにアミロイド蓄積がみられる者(超早期アルツハイマー病)を対象に病態解明を目指した追跡調査および治験対応体制構築を行う。

これまでの成果概要等

「適時適切な医療・ケアを目指した、認知症の人等の全国的な情報登録・追跡を行う研究」では、日本発の認知症疾患修飾薬候補の治験開始の実現に向けて臨床治験にスムーズに登録できるよう認知症の進行段階毎の患者登録・追跡システムであるオレンジレジストリを本格稼働し、健常および前臨床期登録合計8,215名、MCI1,276名(平成30年11月現在)の登録を行っている。

「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」では株式会社島津製作所・田中耕一記念質量分析研究所と共同でアルツハイマー病病変である脳内アミロイドβ蓄積を反映する血液バイオマーカーの確立を行った。認知症施策推進総合戦略(新オレンジプラン)で進める取り組みの一つである認知症の早期診断・早期対応に繋がる重要な成果である。

具体的な研究内容等

I. 認知症臨床研究の中心となるコホート・レジストリ

これらのコホート・レジストリは利活用による治験・臨床研究の推進や予防戦略の同定に繋がるもので認知症臨床研究の中心的な位置を占めるものである。

① 大規模認知症コホート研究(既存・優先的に推進)

コホートによる臨床データに、様々なオミックスデータや頭部画像データ等の生体情報を融合させ、認知症の新たな危険因子及び防御因子を同定し、その病態を解明する。

② 認知症の人等の全国的な情報登録・追跡を行う研究(既存・優先的に推進)

認知症の各段階(前臨床期、軽度認知障害、認知症)において情報登録システム(レジストリ)を構築してきた。登録者リクルート、検査標準化、データセンター整備、行動心理症状(BPSD)に対するケア技術など介護に関するデータ収集等を更に推進し臨床研究等を実施するプラットフォームとして活用する。

②-1. 認知症研究の見える化システム構築のための研究(新規)

認知症関連コホート・レジストリの有機的な連携および得られるデータの利活用に向けたワンストップ化を促進させるシステムを開発する。

③ 薬剤治験に即刻対応できるコホートを構築する研究(既存・優先的に推進)

認知症前臨床期を対象とした治験ニーズに即応できるコホートを構築し、治験実施に向けた体制構築を行う。並行して関連学会や製薬企業と連携し産官学連携による認知症創薬に向けた取組を推進する。

③-1. 既存コホート・レジストリを活用した認知症治験実施に向けた体制構築のための研究(新規)

既存コホート・レジストリと薬剤治験対応コホートとの連携を推進し、認知症治験実施に向けた体制構築を強化する。

③-2. 超早期認知症を対象とした病態解明および治験対応を目指したコホートを構築する研究(新規)

薬剤治験対応コホートでコホート組み入れに用いられるアミロイドPETで陰性だがアミロイド蓄積がみられる者(超早期認知症)を追跡するコホートを構築し、病態解明および超早期における治験ニーズに対応する。

II. バイオマーカー研究

認知症に対するアプローチを生物学的なものにするために、研究だけでなく臨床上也バイオマーカーが必要とされる。

④ 認知症診断に資するバイオマーカー開発研究(新規)

アルツハイマー病の発症に関連するとされるアミロイドやタウ、神経障害と関連するバイオマーカーの開発、検証を行う。

III. 病態解明を目指した研究

⑤ 認知症ゲノム研究(既存・優先的に推進)

サンプル集積、多面的解析を行い日本人認知症に特有の遺伝子変異の同定等を通して病態解明やリスクモデル作成に繋げる。

⑥ 若年性優性遺伝性アルツハイマー病者に対する研究(新規)

若年性優性遺伝性アルツハイマー型認知症の方の追跡調査を行い、経過を明らかにすることで病態解明に繋げる。

⑦ 認知症バイオマーカー等の利活用に伴う倫理的課題に関する研究(新規)

バイオマーカー等の急速な進歩に伴って生じた研究実施における倫理的諸問題を整理し、検討を行う。

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【ゲノム・データ基盤】

主にコホート・レジストリ研究に該当。利活用による治験・臨床研究の推進や予防戦略の同定に繋がる研究であり、プラットフォームとしての機能が期待される。

【研究開発基礎基盤】

認知症の病態解明や診断に資するバイオマーカー開発を目指した研究を行う。

事業概要(背景・目的)

精神疾患を有する総患者数は約420万人、精神病床の入院患者数が約28万人で、そのうち1年以上の長期入院患者は約17万人にのぼる。このような状況を鑑み、入院医療中心の精神医療から精神障害者の地域生活を支えるための精神医療への改革の実現に向け、精神疾患を発症して精神障害者となっても地域社会の一員として安心して生活できるようにすることが重要だが、国民の理解の深化、精神科医療提供体制の機能強化、地域生活支援の強化が課題となっている。本研究事業では、①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資するデータベース等研究基盤の構築を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。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	616,519千円
研究開発基礎基盤	0
計	616,519千円

2020年度概算要求のポイント

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状況を受け、精神疾患の病因・病態の解明や根本的治療法の開発とその研究基盤の整備が強く求められている。そのため、「精神疾患のレジストリ構築・統合に資する研究」等、**精神障害分野の研究促進に資するデータベース等の研究基盤の構築**を推進する必要がある。さらに精神疾患における障害(disability)評価法の確立とともに病態解明と疾患の層別化を進めることで、**客観的診断法の確立と治療の最適化**を推進する。アルコール、薬物などの物質使用障害やギャンブル障害等の嗜癖性障害についても対策の重要性が増している国内外の社会情勢を踏まえ、これらの疾患群における病因・病態解明を進め、**依存症の治療回復に資する研究開発**を推進する。また、社会生活環境の変化等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AYA(思春期・若年成人)世代における精神疾患や発達障害の早期発見・早期支援等が求められていることから、AYA世代の精神疾患高リスク群・発達障害等を対象として病態解明・治療法の開発を行い、**心の健康づくり等の推進**を図る。

これまでの成果概要等

- うつ病の客観的診断法の確立等を目指し、重症度、および「死にたい気持ち(自殺念慮)」に関連する血中代謝物を同定し、自殺念慮の有無や強さを予測するアルゴリズムを開発した(平成28年12月、AMED プレスリリース)。
- 統合失調症を発症する前段階の症例(発症高リスク群)を対象に、磁気共鳴画像(MRI)を用いてを調べたところ、のちに発症する群は、発症しない群と比較して、左後頭葉の脳回の過形成を示すことを明らかにした(平成29年7月、AMED プレスリリース)。
- 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ている。2019年度からは、治療効果検証試験(医師主導治験)に向けたプロトコール作成を進める。
 - ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)1件
 - ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)0件
 - ③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末)6件
 - ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末)0件

具体的な研究内容等

精神障害分野の研究促進に資するデータベース等の研究基盤の構築

- 「精神疾患のレジストリ構築・統合に資する研究」、「精神障害分野におけるトランスレーショナルリサーチに資する研究」等を推進

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」を目指して研究を推進

心の健康づくり等の推進

- 社会生活環境の変化等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AYA世代を中心とした精神疾患・発達障害の早期発見・早期支援を図るための介入プログラム等の開発を目指して研究を推進

依存症の治療回復に資する研究開発

- アルコール依存症、薬物依存症などの物質使用障害、ギャンブル障害などを含む嗜癖性障害の治療回復に資する研究を充実

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

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【ゲノム・データ基盤】

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、そのデータベース等の研究基盤の構築が強く求められている。さらに、多様化するニーズ・課題に対応するために実施する種々の研究開発課題の成果を社会実装につなげるためには、それらを集約して効率的に活用できる仕組みも整備する必要がある。

旧新興・再興感染症制御プロジェクト

事業概要(背景・目的)

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、新興・再興感染症として今なお猛威をふるう可能性を有している。本研究事業では、インフルエンザ、結核、動物由来感染症、薬剤耐性菌、HTLV-1(ヒトT細胞白血病ウイルス1型)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)等を踏まえ、主に5項目(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)を主軸に据え、開発研究を行う。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	2,585,000
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
研究開発基礎基盤	0
計	2,585,000

2020年度概算要求のポイント

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

1. HTLV-1の排除に向けた開発研究
2. 超高齢化社会の到来に向けた感染症対策に資する研究
3. 妊婦等においてワクチンで予防できない感染症の治療・予防に関する研究

これまでの成果概要等

平成31年3月時点における最近の主な成果として以下がある。

- インフルエンザの予防に重要な分泌型IgA(SIgA)抗体について、四量体型SIgA抗体を作製する新技術を開発し、単量体や二量体、四量体のIgA抗体を人工的に作製することに成功。本技術を用いることで、SIgA抗体の四量体化によるウイルス不活化メカニズムを解明。
- ウイルス様中空粒子(VLP)用いたノロウイルスワクチンの開発を行い、“ノロウイルスワクチンシーズ”(ノロウイルスVLP組換えバキュロシードウイルスとノロウイルスVLPを特異的モノクローナル抗体産生ハイブリドーマ)を企業導出。
- ジカウイルスについては、LAMP法用いた迅速診断キットの製造販売承認を平成30年6月に取得。
- ヒトロタウイルスのリバーシジェネティクスによる人工合成に世界で初めて成功した。

①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)5件

②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)1件

具体的な研究内容等

国内外の様々な感染症に対する研究

国内



総合的な感染症対策の強化

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

- 病原体流行予測など、感染症対策に資する数理モデルの開発
- 病原体ゲノムデータベースの構築およびその活用

②ワクチンの実用化及び予防接種の評価に資する研究

- ジカウイルスワクチンなどの開発・実用化
- マイクロニードル技術を用いた新しいワクチン接種法の開発

海外

海外研究機関との連携

③新興・再興感染症の検査・診断体制の確保に資する研究

- 「診療・検査ネットワーク構築」「医療従事者の診断・検査技術の向上」に係るデータ収集、解析等

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

- 国際的なラボラトリーネットワーク構築促進と共同研究体制の強化
- 国内への流入・発生に備えた感染症の実態把握・情報収集

④感染症に対する診断法、治療法の実用化に関する研究

- 重症呼吸器感染症の迅速診断法等の開発
- 新規抗菌薬など、新規治療薬の開発

新たに推進する研究:

1. HTLV-1の排除に向けた開発研究
2. 超高齢化社会の到来に向けた感染症対策に資する研究
3. 妊婦等においてワクチンで予防できない感染症治療・予防に関する研究

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【医薬品】ワクチンで予防可能な疾患 (Vaccine Preventable Diseases) の克服のため、新たなワクチンや、より安全・有効かつ費用対効果の高いワクチンの実用化を推進する。また、新興・再興感染症の制御に向け、より早期に診断できる迅速診断薬の開発や治療薬の開発を推進する。同時に、これらの開発の基盤となるデータ収集や技術創出を実施する。また、感染症法第15条に基づいた適切な感染症サーベイランスを実施し、必要に応じて感染症のまん延を防止するための迅速な措置を講ずるために、基盤情報の整備を行う。また、新興・再興感染症の発生時に備え、バイオセキュリティ体制や診療・検査体制の整備を推進する。さらに、新興・再興感染症の世界的な流行に迅速に対応するために重要な、国内外の情報・臨床検体収集、共同研究等の国際連携を確立するために、感染症対策のネットワーク構築を推進する。

旧難病克服プロジェクト

(事業名) 難治性疾患実用化研究事業

2020年度要求額

11,869,029千円

事業概要(背景・目的)

当該研究事業については難病法において規定されている難病を対象としている。具体的には、「発病の機構が明らかでない」、「治療方法が確立していない」、「希少な疾病」、「長期の療養を必要とする」の4要素を満たす難病に対して、病因・病態の解明、画期的な診断・治療・予防法の開発を推進することで、希少難治性疾患の克服を目指している。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	4,492,217
医療機器・ヘルスケア	95,800
再生・細胞医療・遺伝子治療	938,023
ゲノム・データ基盤	5,694,750
研究開発基礎基盤	648,239
計	11,869,029

2020年度概算要求のポイント

今後も薬事承認に至る課題を推進するためには、有望なシーズが当事業から創出されることが重要である。そのため、シーズの探索および同定につながる病態解明研究およびシーズ探索研究(ステップ1)を2020年度に優先的に推進する。引き続きIRUD(未診断疾患イニシアチブ)、IRUDの成果を実用化へつなげるIRUD Beyondおよび全ゲノム解析を含む病態解明と治療法開発につながる研究をさらに推進し、本事業の横断的基盤となる情報基盤構築研究のさらなる推進を行う。また、希少難治性疾患領域の克服にむけて画期的な臨床効果が期待できる遺伝子治療法の開発を目指す研究課題を重点的に推進する。2019年度で終了するオミックス拠点に替えて、新たに、有効な治療法がない希少難治性疾患を対象とした高度な全ゲノム解析技術を含む新世代技術開発を目標とし、病態解明と治療シーズ探索につながる研究を推進する。

これまでの成果概要等

■未診断疾患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:累積16件

■新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大件数:

・新規薬剤、新規医療機器の薬事承認は累計6件。

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。

■欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の推進状況:

・難治性疾患実用化研究事業の1課題において国際共同試験が開始されている。

①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)31件

②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)6件

③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末)26件

④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末)222件

具体的な研究内容等

診療の
質向上

エビデンス
創出

基礎的研究

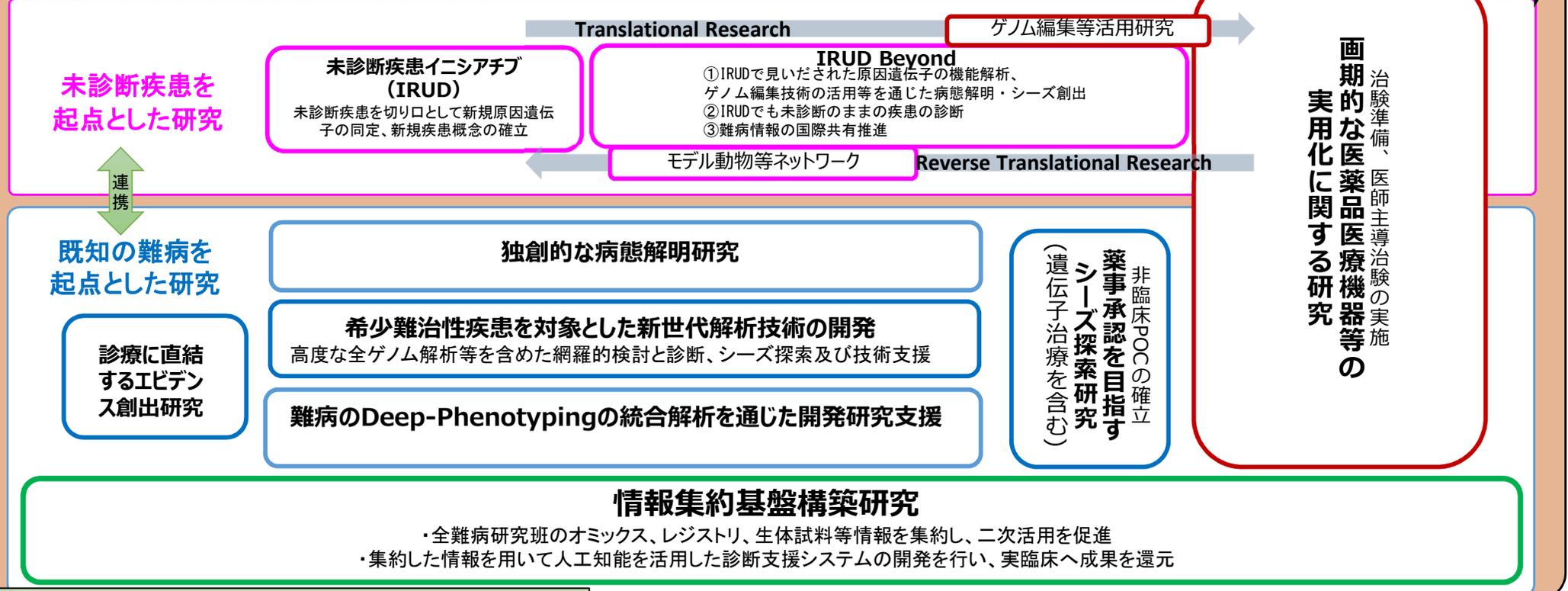
応用研究

非臨床試験

治験

薬事承認

【厚】 難治性疾患実用化研究事業



研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

- 【医薬品】 画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究、薬事承認を目指すシーズ探索研究のうち主に医薬品の開発を行う。
- 【医療機器・ヘルスケア】 画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究、薬事承認を目指すシーズ探索研究のうち主に医療機器の開発を行う。
- 【再生・細胞医療・遺伝子治療】 画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究、薬事承認を目指すシーズ探索研究のうち主に再生医療等製品の開発を行う。
- 【ゲノム・データ基盤】 データ基盤、遺伝子解析等の技術による希少難病の研究・診療の支援、診療に直結するエビデンス創出研究等、データ基盤にかかわる研究を実施する。
- 【研究開発基礎基盤】 主に独創的な病態解明研究等の基礎的研究を実施する。

旧その他
(厚生労働科学に係る医療分野の研究開発)

(事業名)地球規模保健課題解決推進のための研究事業

2020年度要求額

121,800千円

事業概要(背景・目的)

【背景】 持続可能な開発目標(SDGs)において、改めて保健分野のゴールが設定される等、地球規模の保健課題の重要性は、国際社会において益々高まっている。また、我が国は、国際保健関連の政府方針・戦略を近年相次いで策定するとともに、2016年のG7議長国を務め、より効果的・効率的に国際保健に貢献し、国際社会における存在感を維持・強化することを表明した。

【目的】 1. 我が国の知見や技術を移転し、低・中所得国の健康向上を図り、SDGsの実現に寄与する。 2. GACD等の研究開発資金配分機関(FA)の国際ネットワークを通じて、国際共同研究を実施し、研究成果の効果的な国際展開を図る。 3. WHO等の国際機関等における規範設定や各国の保健医療施策策定に資するに資する成果を創出し、ひいては我が国の国際保健外交戦略を推進する。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
データ基盤・医療技術	0
研究開発基礎基盤	121,800
計	0

2020年度概算要求のポイント

1. 低・中所得国の健康・医療問題改善に向けた、医薬品・医療機器・医療技術・医療システム等の海外展開推進のための臨床研究
感染症をはじめとする、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・医療システム等の臨床研究を行い、その有効性、安全性、効率性等について測定する。また、現地適応性、医療コスト、持続発展可能性等についても調査し、将来的な普及・実装化に向けた道筋を明らかにする。研究後の持続発展性を担保するために、企業の研究参画を求める。これらの事業の導出により、低・中所得国の健康・医療の課題解決に貢献し、我が国の保健医療外交戦略、および我が国の保健医療の国際展開を推進する。(更に、WHO神戸センターと、共同公募や課題評価における連携可能性について模索をしているところ。)

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

平成29年度の“メンタルヘルス”分野においては、優れた課題提案が多数あり、調整費で採択数を確保した。平成30年度GACD公募“高血圧とⅡ型糖尿病”は、我が国に優位性がある分野であるため、研究規模の拡大を図った。更に2019年度は“がん”分野において若手や女性研究者の登用を推進し、研究コミュニティの活性化を図る。上記研究活動において、成果の導出(対象国における実装化)を目指すと共に、新規公募課題(公募分野はGACDの5カ年戦略に基づき検討中)において、新たな課題を採択する。

これまでの成果概要等

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)2件 ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)0件
③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末)0件 ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末)0件

⑤その他: 国際保健政策の策定・実用性に貢献した研究開発 4件

- 研究成果が、2つのWHOの母子保健ガイドラインへ反映
- WHOの保健医療人材(HRH) Profileに基づく日本版HRHプロフィールを作成→WPRO公式出版物
- WHO「心理的応急処置(PFA)フィールド・ガイド」を応用した教育ツール開発→国連の成果物として公開予定

具体的な研究内容等

GACDと連携した非感染性疾患の予防・対策のための国際協調研究の推進



■ 国際協調研究公募の推進

低・中所得国における慢性疾患対策に資する実装研究 (Implementation Research) 国際協調研究公募。英語での公募と国際合同課題評価
研究分野

2017年～メンタルヘルス (2課題採択)

2018年～高血圧と糖尿病 (2課題採択)

2019年～がん

2020年～未定 (GACD5カ年戦略に基づき検討中)

■ 実装研究推進と研究者の育成

GACD Implementation Research 東京ワークショップの共催(平成30年7月)
普及と実装研究会の開催支援 (第1回:平成30年11月、第2回:2019年7月)

■ 国際連携による成果の最大化

採択された研究者のAnnual Scientific Meetingへの参画、
採択研究機関間でのデータシェアの推進、
GACDワーキンググループによる課題横断的な成果の出現
平成30年9月の国連ハイレベル会合で、第1期高血圧公募の成果を発表



低・中所得国の健康・医療改善に向けた、医薬品・医療機器・医療技術・医療システム等の海外展開推進のための臨床研究

感染症をはじめとする、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医薬品・医療機器・医療技術・医療システム等の導入・普及に向けた臨床研究を行い、現地での有効性、安全性、効率性を測定する。また、現地適応性、医療コスト、持続発展可能性等についても調査し、将来的な普及・実装化に向けた道筋を明らかにする。

持続発展性を担保するために、企業の研究参画を求める。



研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【研究開発基礎基盤】

- ・本研究事業は、低・中所得国における公衆衛生的課題の解決に向け、現地の生活習慣特性を考慮した医療機器や医療技術の開発・普及を目指している。
- ・GACD等の研究開発資金配分機関 (FA) の国際ネットワークを通じて、国際共同研究を推進し、国際研究ネットワークの構築や、効果的なデータシェアリングの模索等の研究開発基盤の充実を目指している。
- ・更に、国際的に活躍できる、若手や女性研究者の育成のみならず、現地医療従事者の人材育成も推進している。

地球規模保健課題解決推進のための研究事業 (厚生科学課：日米医学協力計画)

2020年度要求額

105,000千円

事業概要(背景・目的)

日米医学協力計画は、昭和40年(1965年)の佐藤栄作総理大臣とリンドン・ジョンソン大統領の会談に基づき、アジア地域にまん延している疾病に関して、いまだ未知の分野が多々あり、研究の余地が残されていることに鑑み、これらの疾病に関する研究を、日米両国において協同で行うことを目的としている。平成28年1月には日米医学50周年を迎え、記念式典においてAMEDと米国NIHとのMOCが署名された。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
研究開発基礎基盤	105,000
計	0

2020年度概算要求のポイント

- 薬剤耐性(AMR)の問題等、感染症への国際的対応がますます重要になっている中、日米医学協力計画を基軸とし、アジア地域等にまん延する疾病研究(新興・再興感染症、薬剤耐性、遺伝的要因と感染予防、栄養と感染等)を引き続き推進する。2020年度には第23回EID会議(汎太平洋新興・再興感染症国際会議)を米国NIHと共同で、アジア(国未定)で開催する。
- 日米医学協力計画においてこれまでに培った土台を活用し、日米の若手研究者・女性研究者の育成と、研究者間の将来にわたる関係構築を目的とした共同研究を推進する。これまでに多くの良質な課題が提出されていることから、規模を拡大しつつ(採択数の増加)、「第5回若手・女性育成のための日米共同研究公募」を行う。また、採択者のEID国際会議における成果発表を必須条件とする。更に、国際的に活躍する若手研究者育成を目指し、米国NIHにおいてヤングサイエンティストワークショップを開催する。

これまでの成果概要等

- アジア地域等にまん延する新興・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。
- EID国際会議(汎太平洋新興・再興感染症国際会議)を継続的に開催し、最新の研究成果、及び研究分野を跨ぐ研究者の交流を推進。
- 国際的に活躍できる若手、及び、女性研究者の育成に貢献(例.平成29年度に採択された日米共同研究チームが、共同研究成果を更に発展させるために、NIHのR01グラントを獲得した。)
- ベトナムにおける低栄養に関する疫学研究、肥満リスク因子の解析、臨床栄養学の人材育成等

具体的な研究内容等

要求枠

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 (各専門部会による研究)

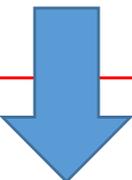
2020年度 各専門部会による米国・アジアと連携した国際協調研究

- ・エイズ: ゲノム多様性、サルモデル等
- ・急性呼吸器感染症: 薬剤耐性菌のサーベイランス手法等
- ・コレラ・細菌性腸管感染症: 腸炎ビブリオ等
- ・肝炎: A型・B型・C型・E型肝炎に関する情報共有等
- ・寄生虫疾患: 薬剤耐性マラリア・抗マラリア薬等
- ・栄養・代謝: 栄養代謝に関する介入研究および人材育成
- ・抗酸菌症: 薬剤耐性結核菌の解析等
- ・ウイルス性疾患: ハンタウイルス、デング、ジカ等
- ・がん: 感染症関連がん(胃、子宮頸がん)等
- (・免疫: 文科省予算で実施)

第23回EID国際会議 (汎太平洋新興・再興感染症国際会議・それに引き続く専門部会会議)開催

細菌・寄生虫分野

開催国 (e-ASIA, J-Grid等の他プログラム拠点との連携を模索)



2. 若手・女性育成のための日米共同研究公募

推進枠

□ U.S.-Japan Cooperative Medical Sciences Program Collaborative Awards, 2020

- ・ 若手や女性の研究者育成を目指す共同研究公募。日米医学協力計画の枠内で、日米及びアジア地域の研究者が協力し、アジア地域にまん延する感染症に関する研究を推進。
- ・ 日米、米亜、日米亜のチームが提案(AMEDは日本サブチームと契約)。
- ・ 日米サブチームの両方で、若手または女性研究者がサブチームの研究開発代表者となる
- ・ 研究期間: 2年間
- ・ 研究費: 1チームで総額6万ドル (2年合計)
- ・ 採択予定数: 15件程度 (昨年より採択数を増加)
- ・ 公募対象分野: 感染性疾患全般、感染症関連がん(米側と調整中)



第24回以降のEID国際会議に於ける研究成果発表を条件とする

□ 感染症分野のヤングサイエンティスト育成をテーマに米国においてワークショップを開催する

- ・ 若手・女性育成のための日米共同研究公募の成果報告、事後評価結果報告も含む

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【研究開発基礎基盤】

- ・ 本研究事業は、アジアの感染症疾患・免疫、感染症関連がん、栄養・代謝疾患の予防・診断・治療・予後に係る基礎研究、疫学研究、臨床研究等を推進し、ワクチン開発等につながるメカニズムの解明や、アジアにおけるAMRの実態把握、効果的な栄養介入方法の効果検証及び実装化を目指している。
- ・ 米国やアジア諸国との国際共同研究活動を通じて上記を推進し、国際研究ネットワークの構築や、効果的なデータシェアリングの模索等の研究開発基盤の充実を目指している。
- ・ 更に、国際的に活躍できる、若手や女性研究者の育成も推進している。

事業概要(背景・目的)

平成30年12月14日、**成育基本法**(成育過程にある者及びその保護者なら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)が公布され、妊娠、出産育児を含む成育医療等の普及のため、調査、研究の推進が求められている。一般に、妊娠期や小児期に関わる研究開発は、そのリスクや特有の問題から他の分野に比して企業や民間主導では進みにくいという背景が指摘されてきた。平成30年4月の第4回経済財政諮問会議において成育(特に低出生体重児および思春期自殺率の改善)に関する重点的取組の必要性が発表され、成育に関わる医療研究分野のエビデンス集積が求められたことから、AMEDにおいて、**平成30年度春の調整費に「子どもの健全な発育と疾病克服に資する研究」**を柱の一つにし、複数事業で横断的に研究の連携や情報共有を行うなど、戦略的な取組を行った。そのうち、周産期臨床研究推進のため、治験の推進、データベースのクリーニング等の基盤強化に加え、乳幼児・思春期の発達やメンタルヘルスに関わる研究課題を公募した。また、秋の調整費にて、出生コホートエピゲノムデータを用いた将来の疾患リスクの検出、原発性免疫不全症の新生児マススクリーニング法の開発推進を推進した。平成31年度新規公募課題により、臨床研究治験の課題のほか、コホートの連携による継続的な課題の抽出と介入ポイントの発見、発達障害の発見、介入や思春期の心身の問題の早期発見、診断に関わる医学的エビデンスの創出に資する課題を推進した。令和2年度においては、**これまで基盤整備を行って来た周産期臨床研究やデータベースの連携を基盤とし、より発展的に成育基本法の理念に則り、成育医療の質の向上に資する治療・診断法やエビデンスの創出を目指した課題を推進する。**

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	222,000
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	590,000
研究開発基礎基盤	0
計	812,000

2020年度概算要求のポイント

①先制医療実現に向けた周産期臨床研究開発の推進

平成30年度から整備した臨床研究基盤と連携した薬剤や医療機器の臨床試験、特に医師主導治験や実用化が見込まれる課題の推進、新生児マススクリーニング対象候補疾患の選定・評価のためのエビデンス創出、原発性免疫不全症などの治療可能な新生児小児期疾患に対する新生児マススクリーニング法の開発、発達障害のリスクとなり得る新生児低酸素性脳症の診断法の開発、妊娠に伴う母子の生活習慣病の予防法の開発

②乳幼児・学童・思春期のレジリエンス向上に関わる効果的な早期介入法の開発

成育環境の影響を客観的に評価するためのMRI神経ネットワーク指標の開発、視覚障害等の乳幼児期に発症する疾患・障害の早期発見方法の開発、学童・思春期の心の客観的指標と地域連携システムの開発、モバイルデータを活用した思春期のヘルスプロモーションの方法の開発、コホートを用いた乳幼児・思春期の健康課題の機序解明などの推進

③不妊症の解明と質の高い生殖補助医療の開発

不育症にかかわる新たな自己抗体の検出方法の開発、無精子症、着床不全等男女における未知の不妊症の原因究明と診断・治療法の開発

④ライフコースデータに基づくエビデンス創出

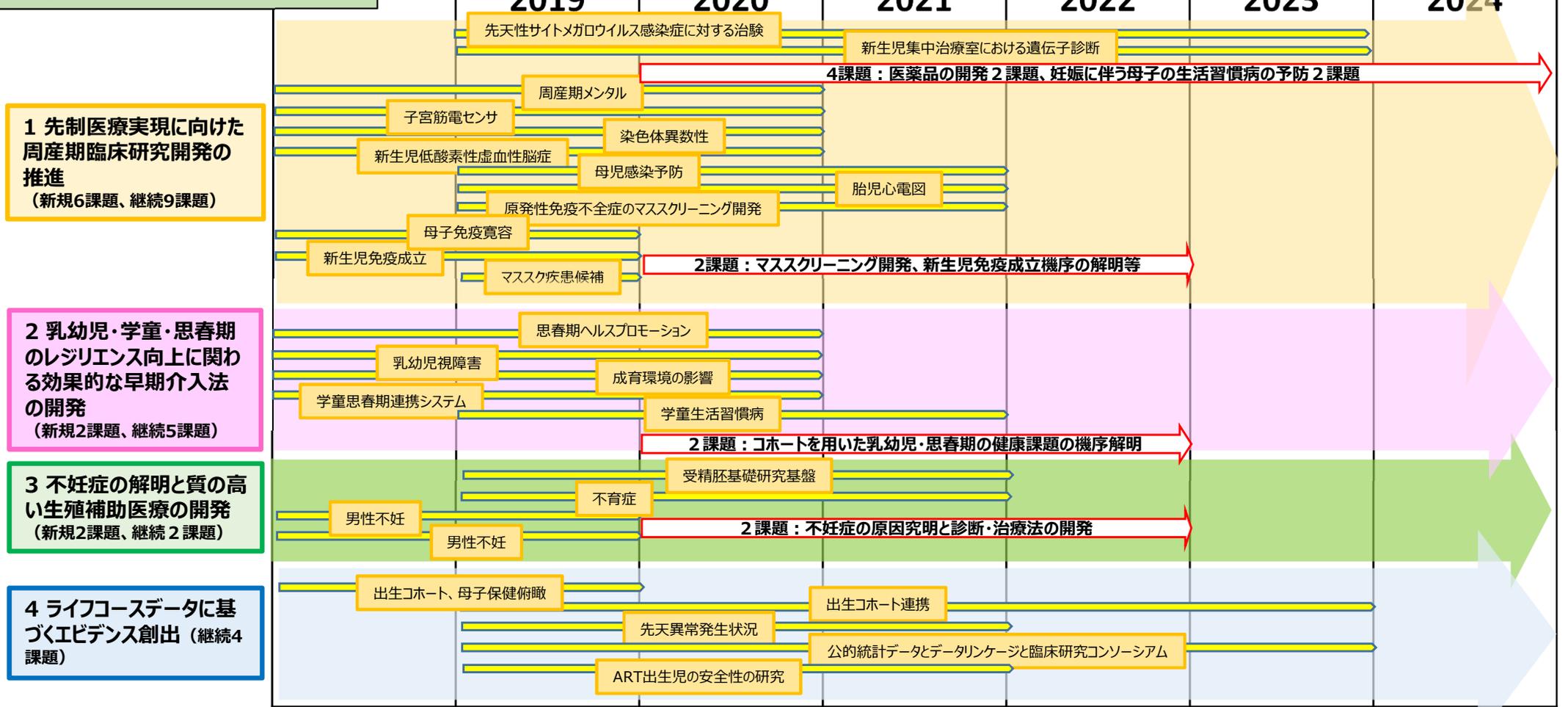
出生コホート連携に基づく胎児期から乳幼児期の環境と母児の予後に関する研究、コホートデータ連携基盤に基づく発展的な新規課題の抽出、公的データベースとのリンケージの推進

これまでの成果概要等

周産期臨床研究推進のため、治験準備およびデータベースのクリーニング等を行った。

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)1件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)0件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末)4件
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末)9件

具体的な研究内容等



研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【医薬品】

・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の聴覚障害の改善又は予防を適応追加を目指す。(第3相医師主導治験)

【ゲノム・データ基盤】

- ・小児周産期の臨床研究推進基盤体制における以下の実施(生殖・周産期・小児期に関わるリンケージデータベースの構築 介入すべき臨床課題の抽出と費用対効果分析、研究実施支援体制整備ならびに研究支援、学会等を中心とした臨床研究教育体制の整備と運用、各種手続き、事務局機能を含む運営体制構築ならびに運用)
- ・出生ゲノムコホート等を中心に既存のコホートの連携により妊娠高血圧症候群、妊娠糖尿病、低出生体重それぞれのリスク因子及び予後に関する個別解析・メタ解析により、周産期疾患および慢性疾患の予測・早期発見方法の開発

成育サイクルに着目した健康寿命の延伸及び少子化対策

～個と次世代の礎となる成育サイクルの科学的エビデンス創出～

2 乳幼児・学童・思春期のレジリエンス向上に関わる効果的な早期介入法の開発

- ・モバイルテクノロジーを用いた思春期のヘルスプロモーション
- ・乳幼児期の感覚器障害の早期発見
- ・成育環境の発達への影響
- ・学童・思春期支援連携
- ・学童生活習慣病
- ・コホートをを用いた乳幼児・思春期の健康課題の機序解明 新規2課題

4 ライフコースデータに基づくエビデンス創出

- ・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
- ・生殖・周産期・小児期に関わるライフコースデータのリンケージ分析および公的データベースとコホートデータのリンケージ
- ・先天異常発生状況
- ・生殖補助医療出生児の安全性の研究

健康寿命延伸

精神・神経疾患
生活習慣病

更年期

老年期

壮年期

若年成人期

学童・思春期

発達障害
適応障害
感覚器障害

乳幼児期

新生児期

胎児期

生殖・妊娠期

曝露

成熟ステップ

不妊・不育症
周産期うつ
妊娠合併症
子宮内発育不全
先天性疾患

3 不妊症の解明と質の高い生殖補助医療の開発

- ・ヒト受精卵の包括的視点を通じた基礎的研究基盤を構築する研究
- ・不育症、産科異常に関わるネオ・セル抗体の研究開発
- ・男女それぞれの不妊症の原因究明と適切な医療実装に向けた診断・治療法の開発 2課題

1 先制医療実現に向けた周産期の課題解決と臨床研究開発・治験の推進

- ・先天性サイトメガロウイルス感染症に対する治験
- ・新生児集中治療室における遺伝子診断
- ・周産期メンタルヘルスの改善に向けた予防的治療法の開発
- ・安全な分娩のための機器開発（子宮筋電図センサ）
- ・安全な分娩のための機器開発（胎児心電図）
- ・染色体異常性の機序解明と新規治療ターゲット解明
- ・母子感染症予防法の開発
- ・原発性免疫不全症のマスクリーニング法の開発
- ・新生児低酸素性虚血性脳症のスクリーニング
- ・新生児マスクリーニング法の開発 新規
- ・新生児の免疫成立機構解明と治療法の開発 新規
- ・母子の将来の疾病負荷軽減に向けた医薬品の開発 2課題
- ・妊娠に伴う母子の生活習慣病の予防 2課題

個の礎
『将来の疾病負荷の軽減先制医療』

次世代の礎
『より良い成育環境の構築・継承』



事業概要(背景・目的)

本研究事業では、未来投資戦略2017や健康日本21(第二次)等で掲げられている「健康寿命の延伸」を目標に、栄養・食生活、身体活動・運動、休養・睡眠、飲酒、喫煙及び歯・口腔の健康等の生活習慣や健診・保健指導、さらには、生活習慣病の病態解明や治療法の確立、生活習慣病患者の生活の質の維持・向上等、幅広いテーマを対象に、がん以外の生活習慣病の新たな対策に直結する研究開発を「健康増進・生活習慣病発症予防分野」と「生活習慣病管理分野」に整理し、推進している。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	91,960
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	512,270
研究開発基礎基盤	677,319
計	1,281,549

2020年度概算要求のポイント

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

- ① 医療器機器・ヘルスケア (要求枠 1課題、推進枠 3課題) 91,960千円
- ② ゲノム・データ基盤 (要求枠 6課題、推進枠 11課題) 512,270千円
- ③ 研究開発基礎基盤 (要求枠 16課題、推進枠 17課題) 677,319千円

これまでの成果概要等

【データ基盤】

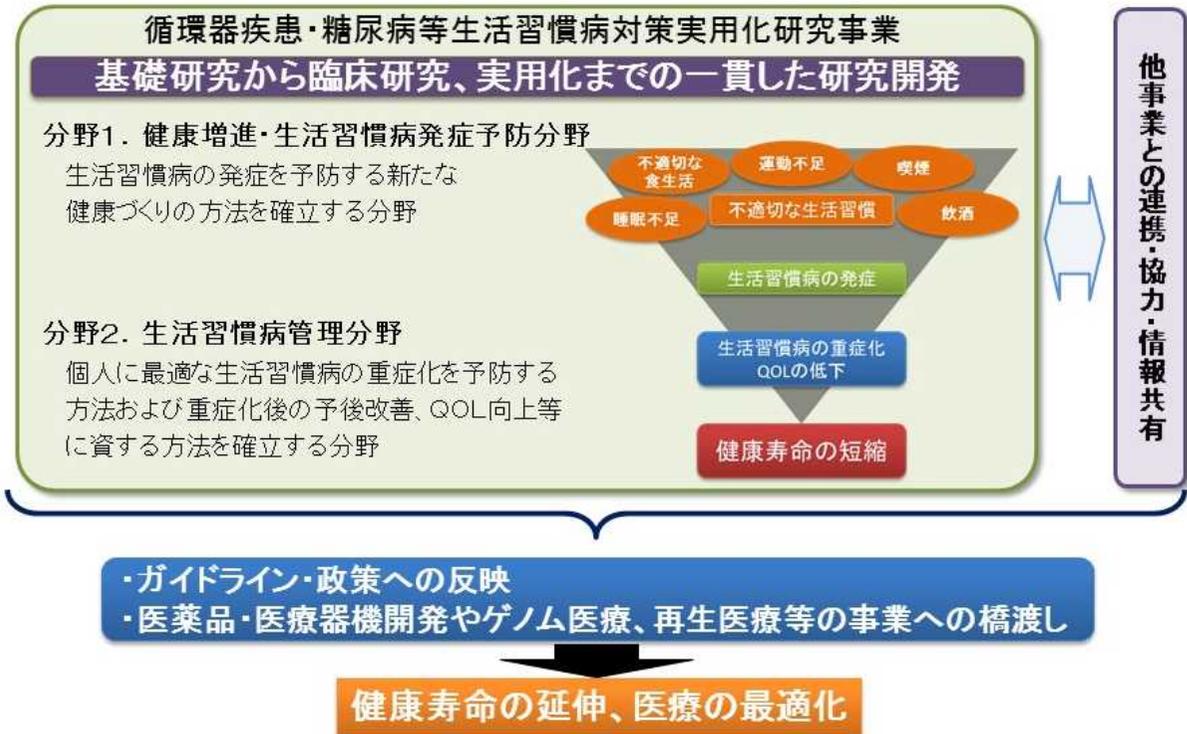
・「電子カルテ情報活用型多施設症例データベースを利用した糖尿病に関する大規模な臨床情報収集に関する基盤的研究」(2014-2016)において、30施設から約3万人の糖尿病患者診療情報からなる大規模データベース(J-DREAMS)が構築された。

【研究開発基礎基盤】

・「マクロファージを標的とした糖尿病網膜症の抗体医薬開発」(2016-2017)において、ペリサイト消失網膜症モデルマウスを用いた網羅遺伝子発現解析により、糖尿病網膜症における血液網膜関門破綻の分子機構としてのマクロファージの重要性を明らかにするとともに、新規創薬の標的分子となるマクロファージ由来シグナル分子を同定した。

・「糖尿病性腎症を調節するマイクロRNAの解析—バイオマーカー・新規遺伝子治療法開発—」(2017-2019)において、糖尿病性腎症のバイオマーカーとなるマイクロRNAを同定した。

具体的な研究内容等



- 分野1: 健康増進・生活習慣病発症予防分野**
- 長期目標1: 栄養、運動、睡眠、たばこ等健康づくりの基礎要素について、ライフステージを意識した新たな知見を収集するとともに、適切な介入方法を確立する
 - 長期目標2: 健診・保健指導の質の向上と、個人の状態に応じた効果的な手法を開発する
 - 長期目標3: AIやICT等の新技術を用いる次世代健康バロメーターの開発や、個人に即した健康づくり支援法を開発する
- ・ヒトサンプルおよび食品成分のメタボロームデータの統合的解析によるマクロ栄養素摂取量に関するバイオマーカーの開発
 - ・電気加熱式たばこ喫煙者および受動喫煙者の健康影響の評価法の開発研究
 - ・肥満症に対する効果的な治療戦略と健康障害の改善に資する減量数値目標を見出すための介入研究
 - ・後期高齢者のADL維持・改善に着目した栄養療法の開発 など
- 分野2: 生活習慣病管理分野**
- 長期目標1: 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等の探索を行い、新たな治療方法の開発へと繋げる
 - 長期目標2: 患者のライフステージや臨床経過に応じた、個人に最適な介入方法を確立する
 - 長期目標3: AIやICT等の新技術の利活用を通じた医療の質の向上・最適化を図るとともに、将来の医療体制の構築に繋げる
- ・循環器病医療の適正化に資するための、全国大規模データベースによるエビデンスの創出
 - ・ICTを活用したDiabetic Kidney Diseaseの成因分類と糖尿病腎症重症化抑制法の構築
 - ・持続血糖モニタリング(FGM/CGM)の血糖管理における精度・有用性の検証及び健康寿命促進のための血糖変動指標の探索
 - ・糖尿病性腎症を調節するマイクロRNAの解析—バイオマーカー・新規遺伝子治療法開発— など

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

- 【医療機器・ヘルスケア】医療機器・アプリの効果についてのエビデンスを創出し、新たな医療機器の創出を目指す。
- 【ゲノム・データ基盤】循環器病等の生活習慣病について、健診・医療等の質の向上に資するエビデンスの創出を目指す。
- 【研究開発基礎基盤】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等を行い、新たな診断法・治療法の開発につながる基礎研究を推進する。

事業概要(背景・目的)

近年、女性の就業率の上昇、初産年齢の上昇、生涯出生数の減少、平均寿命の伸長等に伴い、女性の健康に関わる問題は大きく変化してきている。また、女性の心身の状態は思春期、妊娠・出産期、更年期、老年期といった、ライフステージごとに大きく変化するという特性がある。こうしたことを踏まえ、女性が生涯にわたり健康に生活できるよう、必要な情報提供を行い、ライフステージごとの課題に応じて包括的に支援していく必要がある。

本事業では、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装を支援する。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	219,100
研究開発基礎基盤	57,600
計	276,700

2020年度概算要求のポイント

2020年度は、女性がより良い生涯を送るために必要な健康を提供できるような社会創成を視野に入れ、女性の健康や疾患についての問題を、心身における性差も加味し、かつライフステージの軸で多面的に、基礎と実用化のTRおよびrTRについて切れ目ない支援を充実する。

1. 女性特有の疾病に関する研究について

女性ホルモンが健康に及ぼす影響（ライフコース追跡研究、月経関連疾患、更年期疾患、更年期運動疾患 等）

女性器等に関する疾病（子宮内膜症、子宮腺筋症、卵巣疾患 等）

プレコンセプション期女性に特有の疾患予防に関する包括的ケア方法の確立

2. 男女共通課題のうち特に女性の健康に資する研究について

性差に関わる研究（疾患性差、女性の心身の状況を考慮した診療ツールの開発、等）

これまでの成果概要等

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(30年度末) 2件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発(30年度末) 0件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発(30年度末) 0件
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(30年度末) 6件

具体的な研究内容等

女性がより良い生涯を選択するための健康を提供できるような社会創成を視野に入れ、女性の健康や疾患についての問題を、心身における性差も加味し、かつライフステージの軸で多面的にとらえた研究開発とその実用化を推進する。

思春期

性成熟期

更年期

老年期

1. 女性特有の疾病に関する研究

1-1. 女性ホルモンが健康に及ぼす影響

(ライフコース追跡研究、月経関連疾患、更年期疾患、更年期運動器疾患、就労女性の心身の健康問題、等)

1-2. 女性器等に係る疾病

(子宮内膜症、子宮腺筋症、卵巣疾患、等)

1-3. プレコンセプション期女性に特有の疾患予防に関する包括的ケア方法の確立 若年女性に特有の疾患予防

(月経不順、過度のやせ・肥満、朝食欠食や概日時計の乱れによる健康への影響、等)

2. 男女共通課題のうち特に女性の健康に資する研究

2-1. 性差に関わる研究

(疾患性差、女性の心身の状況を考慮した診療ツールの開発、等)

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【データ基盤・メディカルアーツ】

・就労女性のライフコース疫学研究である日本ナースヘルス研究(以下、JNHS)における追跡観察調査(定期的追跡調査、疾病発生確認調査、死因調査、生体試料調査)で蓄積したデータから、各ライフステージを通じた女性ホルモン剤利用について、ライフコースとしてのリスクとベネフィットを包括的に検討する。

・脳波、脈拍、発汗を同時測定できる、パッチ型のシートを開発し、更年期症状を訴える女性400人に対して測定を重ね、更年期障害と夜間の発汗や睡眠パターンの解析を行い、更年期障害に特徴的なアルゴリズムを作成し、パッチ型シートの更年期特有の症状を把握する測定装置としての実用化に繋げる。

【研究開発基礎基盤】

・罹患率が高く、女性のQOLを著しく損なう婦人科疾患である子宮内膜症および子宮腺筋症について、そのゲノム・トランスクリプトーム等による発生原因解明と身体に優しい治療法の開発により女性の健康と保健の向上につなげる。

事業概要(背景・目的)

生活習慣病の増加や高齢化等により、慢性腎臓病(CKD)患者は増加傾向にあり、約1300万人に達すると推定されている。「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、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、等の対策がすすめられてきているが、平成28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、今後も高齢化の進行に伴いCKD患者の増加も予想されることから、腎疾患対策の更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が取りまとめられ、2028年までに新規透析導入患者数を35,000人以下(2016年比で約10%減少)とする等のKPI等が設定された。

当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、治療法開発など、新規透析導入患者減少の早期実現等を目的とした研究を推進する。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	61,945
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
研究開発基礎基盤	103,660
計	165,605

2020年度概算要求のポイント

2020年度も引き続き、標的分子の同定や医薬品・診断薬のシーズ発見に繋がる開発研究を推進していく。

【病態解明研究】: 既存のデータ基盤や最先端技術等を活用し、病態解明研究を行う。2020年度においては、世界をリードする若手研究者を育成すべく、若手研究者応募枠を新設する。(若手研究者:4課題、年齢制限なし課題:2課題)

【シーズ探索研究】: 現状では存在しない腎機能を改善する画期的な治療法開発のためには、治療薬開発のパイプラインの中でも、多くのアカデミアによる積極的なシーズ探索研究が求められるため、課題数および予算規模の拡充を図る。また、シーズ化合物の最適化シーズの効能・用途に関する特許取得、FIH(First in Human)試験にむけた非臨床試験の準備、あるいはシーズ化合物(ドラッグ・リポジショニング)での探索的臨床試験の準備等を推進し、企業導出にむけた知財・薬事戦略をより強化していく。

これまでの成果概要等

【治療法の開発】

- メガリンのバイオマーカーとしての意義を確立し、治療標的としてメガリン拮抗薬、メガリン抑制薬になりうる数種類の候補化合物を見出した。
- 再生腎臓の開発において、iPS細胞からネフロン前駆細胞を作成、キメラ・ブタによるiPS細胞由来の腎臓原器作成に成功した。

【診断法の開発】

- IgA腎症の新規バイオマーカー分子の検出技術について、検査キット化を行った。

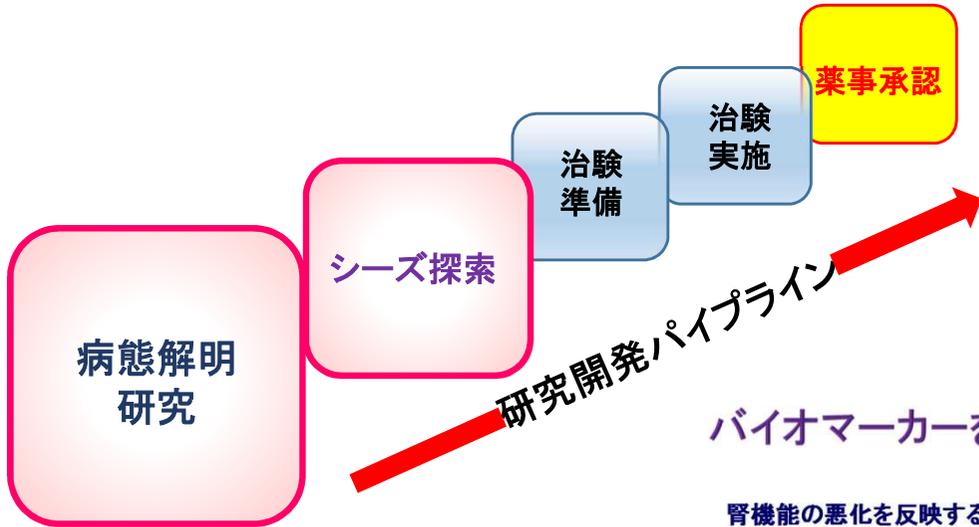
【ガイドライン作成に向けたエビデンス構築】

- 新規透析導入回避に向けた診療ガイドラインの改訂を行い、「CKDステージG3b~5診療ガイドライン2017(2015追補版)」を発行した。

(参考)

- ①特許申請・登録等に至った研究開発(30年度末)4件
- ②基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(30年度末)4件

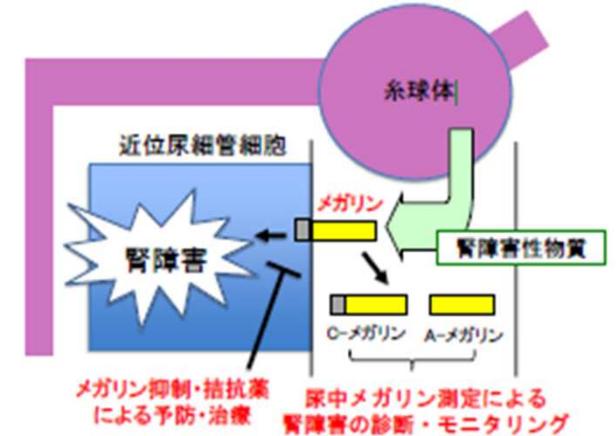
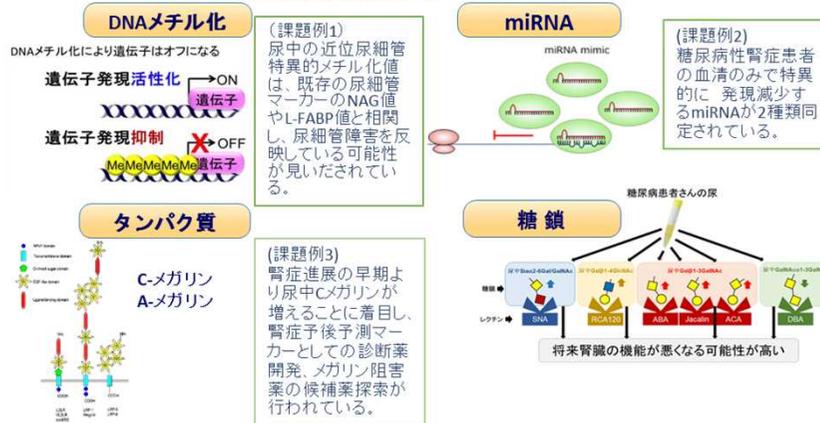
具体的な研究内容等



慢性腎臓病進展の予防または腎機能を回復させる治療薬の開発へ

バイオマーカーを活用した創薬

腎機能の悪化を反映するバイオマーカーの同定



例)メガリンを入り口とした腎障害のメカニズム 解明とメガリン拮抗薬、メガリン抑制薬の開発

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【医薬品】

慢性腎臓病(CKD)の診断薬や医薬品のシーズ探索を推進する。

得られるモダリティとしては、低分子医薬品(エビジェネティック創薬、ドラッグリポジショニング)、核酸医薬、抗体医薬品等が想定される。

【研究開発基礎基盤】

既存のデータ基盤や最先端技術等を活用し、病態解明研究を行う。

事業概要（背景・目的）

【背景および課題】アレルギー疾患、もしくははなんらかの免疫疾患の罹患者は国民の半数以上に上る。このため、**アレルギー疾患対策基本法**が成立し、疾患の本態解明、革新的な治療法の開発に資する研究を促進し、必要な施策を講じることとされた。**2018年度骨太の方針**では同法に基づく基本指針に従い、アレルギー疾患の重症化の予防や症状の軽減に向けた対策を推進することが示された。

これらの要請を受ける形で**2019年1月に「免疫アレルギー研究10カ年戦略」が発出**され、わが国として目指すべきビジョンと具体的な研究事項が明示された。

【目的】本分野では免疫アレルギー疾患の病因・病態の解明等に関する研究や、予防、診断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乗せて、新規創薬、医療技術、医療機器等の研究開発等を促進する。

新PJ（モダリティ）区分	要求額
医薬品	180,555
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	54,889
研究開発基礎基盤	664,700
計	901,444

2020年度概算要求のポイント

免疫アレルギー疾患研究10カ年戦略に基づき、アレルギー疾患対策基本法の基本指針に記載されたアレルギー疾患等の根拠的治療法開発に資する研究課題を推進する。10カ年戦略において策定される、**戦略1（本態解明）**、**戦略2（社会の構築）**、**戦略3（疾患特性）**に対応した内容とする。この中でAMEDの医療開発研究として特に推進すべき戦略1及び戦略3について注力し、戦略2においては厚労省事業との連携において補完的な機能を果たす。

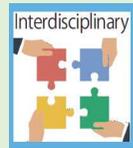
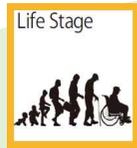
戦略3（疾患特性）のうち、戦略3-1「**母子関連を含めた小児および移行期の免疫アレルギー疾患研究**」では特に長期的な取り組みを要し、且つ、喫緊の課題である為、アレルギーマーチ抑制メカニズム等の解明と発症予防について、研究フェーズの異なる課題を「**ライフステージ**」という軸のもとに連携することにより、疾患の病態と発症誘因の解明、発症予測を目指す。また、本邦で取り組みが不足している戦略3-2「**高齢者を含めた成人発症免疫アレルギー疾患研究**」、戦略1-4「**臓器連関/異分野融合に関する免疫アレルギー研究開発**」について、重点的な推進を行う。加えて、わが国の若手医師の人材育成、国際連携（戦略2-4）に資する病態解明研究、優れた免疫学研究の成果を着実に創薬に結実するために必要となる、企業連携に基づく医師主導治験等開発研究、およびアンメットメディカルニーズに対する調査開発研究（戦略2-2）を推進する。

これまでの成果概要等

免疫アレルギーに関する研究では、①革新的医薬品の開発につながるシーズ探索・開発研究を推進し、代表的な成果として1件の**新規アトピー性皮膚炎外用剤の薬事申請**に至った他、複数の医薬品開発候補の導出フェーズを推進し、現在も治験準備に向けた開発が続いている。②革新的医薬品の開発につながる病態解明研究を推進し、**新規皮膚バリア維持機構の解明、慢性アレルギー性気道炎症における組織線維化機序の解明**につながる成果等を通じて、新規医薬品・バイオマーカーなどの開発シーズを導出している。③臨床研究を推進し、代表的な成果として、**食物アレルギーの発症を抑制する方法論を実証した他、「食物アレルギー診断の手引き2017」や「アレルギー性気管支肺真菌症 診療の手引き（2019年発刊予定）」**の作成に資する研究成果を導出した。④アレルギー疾患及び免疫疾患について、ネットワーク化された多施設研究により、臨床情報、病変組織のトランスクリプトーム、エピゲノム、免疫組織学、マイクロバイオーム等の多元情報を集積し、標準化された方法で解析する体制の構築を推進した。

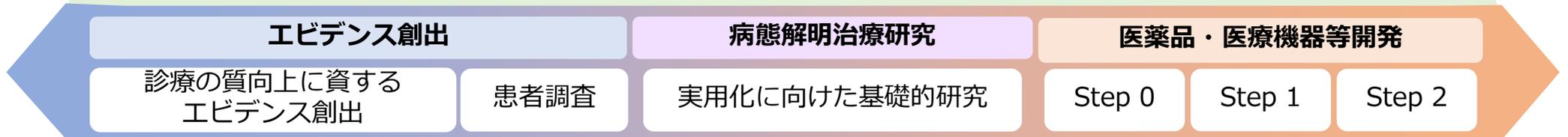
- ①臨床研究・治験に移行した研究開発（2018年度末）1件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発（2018年度末）1件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発（2018年度末）15件
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施（2018年度末）1件

具体的な研究内容等



2019年1月発出 「免疫アレルギー疾患研究10か年戦略」

厚労省政策研究班等と連携した戦略に基づく研究開発の推進



データ基盤

2課題程度

重点領域① (継続)

トランスクリプトーム解析に基づく自己免疫疾患の層別化、個別化

New

重点領域②

- ・ライフステージ等免疫アレルギーの経時的特性
- ・臓器連関・異分野融合

6課題程度



3課題程度

3課題程度

推進

若手研究者推進
創薬シーズ、バイオマーカー

9課題程度

病原性Th2細胞制御による
難治性気道炎症治療法開発等

6課題程度

関節リウマチの
新規治療戦略開発等

医薬品

2課題程度

新規アジュバントX
との複合体形成
による経口ワクチン



新規バイオマーカーY
によるモニタリング



推進

食物アレルギー治療用
経口ワクチン開発等

基礎基盤

推進

アンメット
メディカルニーズ

アレルギー 疾患領域

5課題程度



食物アレルギー
新規予防法の開発等

免疫 疾患領域

4課題程度

家族性地中海熱関連腸炎の
診断法確立と病態解明等

免疫アレルギー疾患研究10か年戦略 2019年1月発出

戦略1：本態解明

先制的医療等を目指す免疫アレルギーの本態解明に関する基盤研究

1-1 多様性と層別化

遺伝子発現制御機構に基づく自己免疫疾患の患者層別化と個別化医療基盤の確立

アトピー性皮膚炎の個別化治療・予測医療実現に向けた、皮膚トランスクリプトーム解析

1-2 予防的・先制的医療

乳児アトピー性皮膚炎への早期介入と経口免疫寛容誘導によるアレルギーマーチの予防

新規免疫バイオマーカーを指標にした安全・有効な食物アレルギー治療用経口ワクチン開発等

1-3 宿主因子と外的因子

川崎病特異物質(PAMPs)に焦点を当てた川崎病の新規診断法確立

アトピー性皮膚炎の個別化予測医療を目指した皮膚微生物叢解析

1-4 臓器連関・異分野融合

New

異分野融合による

アレルギー疾患予防・診断・治療に対する医療機器開発

戦略2：社会の構築

免疫アレルギー研究の効果的な推進と社会の構築に関する横断研究

2-1 患者・市民参画

厚労科研 ICTツールを用いたPPI (検討中)

AMEDの医療開発研究の中では患者・市民参画の実践に漸次取り組みを行う

2-2 アンメットメディカルニーズ

AMEDの医療開発研究の中ではアンメットメディカルニーズの研究開発に漸次取り組みを行う

厚労科研 アンメットニーズの調査・分析に関する研究 (検討中)

2-3 臨床研究基盤構築

厚労科研 アレルギー疾患拠医療提供体制を活用した研究体制の構築 (公募中)

2-4 国際連携、人材育成

若手研究者推進

免疫アレルギー疾患の克服に結びつく病態解明研究

厚労科研 免疫アレルギー疾患対策に関する研究基盤の構築 (検討中)

戦略3：疾患特性

ライフステージ等免疫アレルギー疾患の特性に注目した重点研究

New

3-1 母子関連、移行期

ライフステージ等免疫アレルギー疾患の経時的特性に着目した医療開発研究

厚労科研 小児期および成人移行期小児リウマチ患者の標準的治療の均てん化

New

3-2 成人発症免疫アレルギー

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

アスピリン喘息/NSAID不耐症の病因・機序の解明

3-3 重症・難治性・治療抵抗性

ミスフォールド蛋白質・HLAクラスII複合体を標的にした自己免疫疾患の診断・治療

SLEの革新的治療のための転写因子IRF5阻害剤の開発

3-4 希少疾患と関連する研究

家族性地中海熱関連腸炎の診断確率と病態解明

疾患ゲノム情報を活用した自己免疫疾患における核酸ゲノム創薬

具体的な研究内容等

代表的成果

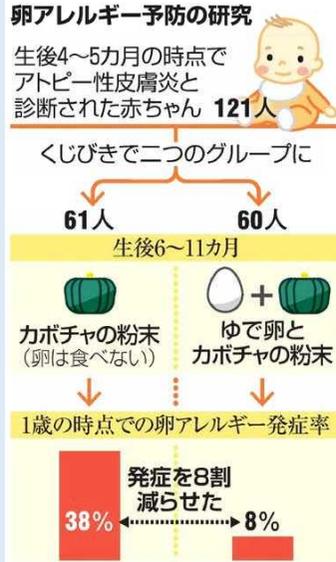
基礎基盤

アレルギーマーチ

国立成育医療研究センター
齋藤博久先生

2016年 Lancet誌に世界初の報告

朝日新聞 DIGITAL

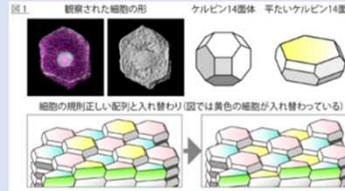


乳児期のアトピー性皮膚炎治療による卵アレルギーの発症予防に成功

基礎基盤

皮膚バリア構造解明

慶應大学
天谷雅行先生



(eLife 2016)

皮膚が新陳代謝しつつバリアを維持する仕組みを世界で初めて報告

基礎基盤

アレルギー性気道炎症

千葉大学
中山俊憲先生
平原潔先生



(Immunity 2018)

朝日新聞

アレルギー性喘息や鼻炎の重症化を起こす組織線維化の機序を解明

医薬品

アトピー性皮膚炎

京都大学
栂島健治先生
(2014-2016年度課題)

JTE-052外用剤
シーズ探索
↓
2019年1月31日
製造販売承認申請

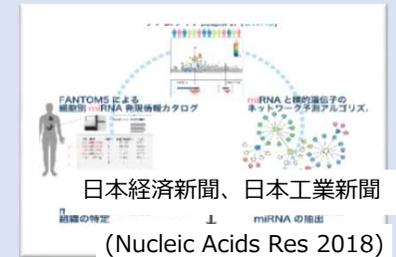
日本経済新聞、日刊薬業

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

基礎基盤

リウマチ膠原病

大阪大学
岡田随象先生



日本経済新聞、日本工業新聞
(Nucleic Acids Res 2018)

疾患ゲノム情報と組織特異的マイクロRNA発現情報の統合による関節リウマチのバイオマーカーを同定

研究内容と新PJ（モダリティ）との関係

基礎基盤

- ・病態解明を示す資料、革新的診断法
- ・治療法の開発に寄与するシーズの発掘、企業への導出
- ・新たな医薬品等医療技術の実用化に関する開発研究分野へのステップアップ

医薬品

- ・新規医薬品開発シーズの導出、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（低分子化合物、抗体医薬、プレ/プロバイオティクス等）

ゲノムデータ基盤

- ・層別化、endotypeを反映するバイオマーカーやdeep-phenotypingの統合的解析を実装化し、個別化治療につながるシステムの構築。

(事業名) 移植医療技術開発研究事業

2020年度要求額

174,297千円

事業概要(背景・目的)

【背景】臓器移植では「臓器の移植に関する法律」、造血幹細胞移植では「移植に用いる造血幹細胞の適切な提供の推進に関する法律」により、安全かつ公平な移植医療の実施が求められている。臓器移植については、平成22年の臓器移植法改正以降、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すれば十分ではない状況が続いている。

造血幹細胞移植では医療技術の開発等により移植直後の予後が改善している現在においても、再発や慢性GVHD、感染症など移植関連合併症などの課題は依然として残っており、長期生存率は50%には満たず、生存している患者についても、これら移植後合併症のため、QOLが低下しているなどの問題がある。

【目的】提供者・移植者双方の安全性確保や治療成績向上のための治療法の開発、並びに合併症対策につながる研究を進める。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	174,297千円
研究開発基礎基盤	0
計	174,297千円

2020年度概算要求のポイント

限られたドナーソース(提供される臓器、組織、造血幹細胞)を有効活用し移植治療成績を向上させるため、新規移植療法の開発、最適な移植療法の確立、効率的な移植実施体制の構築を3本柱として研究を行う。

新規課題としては、下記課題に取り組む。

【臓器移植】

○寛容誘導などの技術導入による移植臓器の長期生着成績向上、移植後個別化フォローアップ体制の構築を目指す研究

○摘出・移植予定臓器の機能温存適正化に関する研究

○移植後のMicrobiotaの解析と治療への展開に資する研究

【造血幹細胞移植】

○同種造血幹細胞移植後の長期生存やQOLの改善を目的とした、最適化した造血細胞移植療法の開発を目指す研究

○臍帯血増幅法等を用いた新規臍帯血移植法の開発研究

○移植後(臓器移植、造血幹細胞移植)の免疫系をターゲットとした画期的な治療方法の開発研究

これまでの成果概要等

【臓器移植分野】

患者の画像データから肝臓模型を術前に作成し、手術の安全性向上と患者の理解度向上、若手医師の技術向上に努めた(2018年度)。

臓器移植後の免疫寛容に関連する免疫細胞の定量化を目指す開発研究を推進した(2018年度)。

【造血幹細胞移植分野】

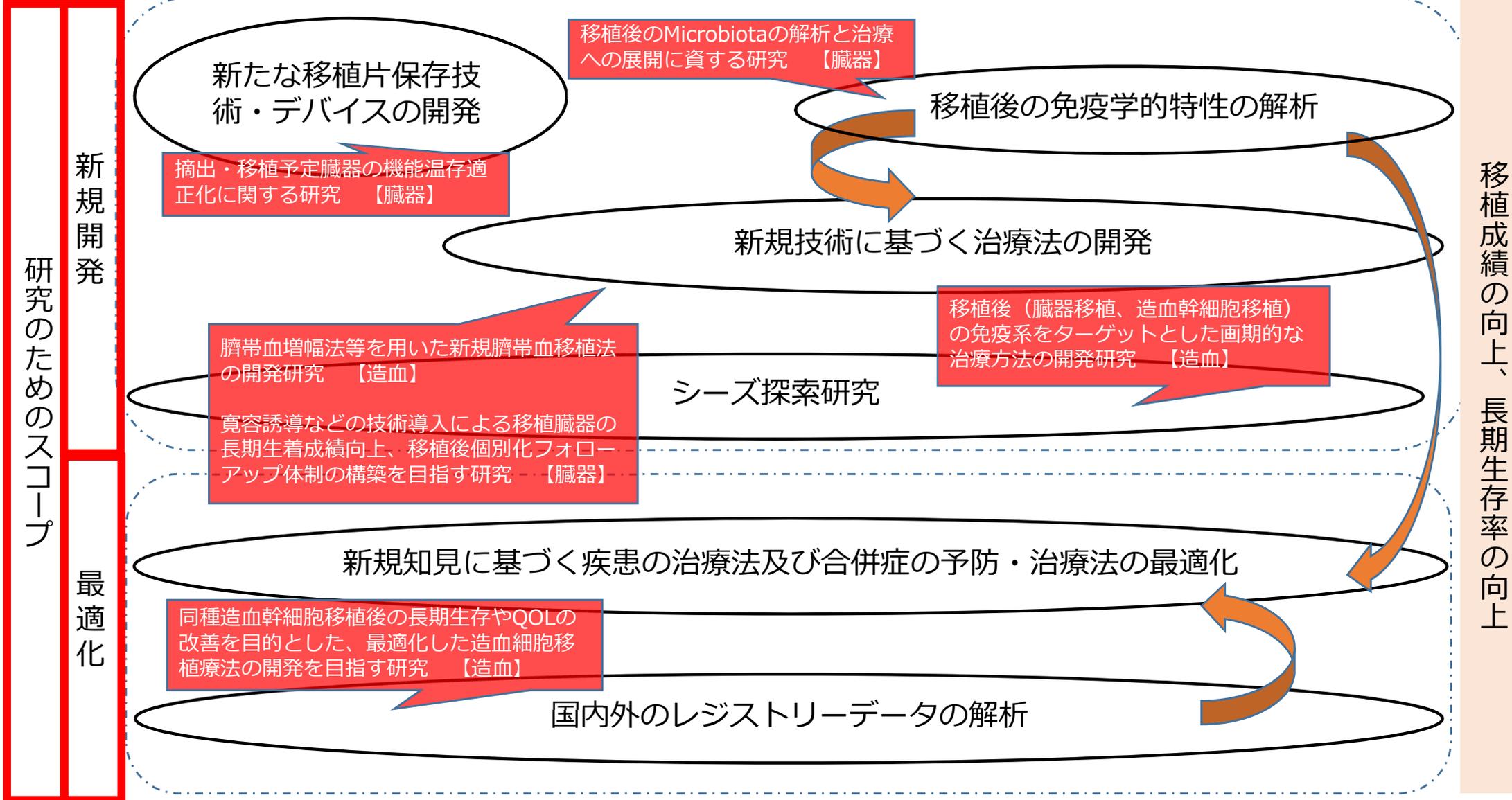
次世代シーケンサーによるHLA(ヒト白血球型抗原)アリルタイピング法を開発し(2018年度)、移植後シクロフォスファミドを用いた血縁者間HLA半合致移植法の開発と最適化にむけた、HLA半合致移植法の臨床研究も進行中である(2018年度)。

①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)2件、②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)0件

③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末)0件、④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末)0件

具体的な研究内容等

移植医療技術開発研究におけるスコープと新規課題



移植成績の向上、長期生存率の向上

移植前

移植術

移植後

- 最適なドナーの選択
- 患者の移植準備

最適な移植術の選択

- 合併症に対する予防法や治療法の選択
- 長期生存の獲得と長期生存者におけるQOLの改善

具体的な研究内容等

【臓器移植】

○寛容誘導などの技術導入による移植臓器の長期生着成績向上、移植後個別化フォローアップ体制の構築を目指す研究

移植後の免疫抑制療法は通常術後に導入され、感染や拒絶反応といった合併症に応じ調整が行われている。本研究を実施することで、移植後、原疾患以外の慢性期合併症(生活習慣病、悪性腫瘍等)に関する宿主の遺伝子多型等も考慮した上での免疫寛容誘導が可能となれば、より個別化した免疫抑制療法を展開することが可能となり、レシピエントの長期QOLの向上、長期生存につながることを期待される。

○摘出・移植予定臓器の機能温存適正化に関する研究

脳死・心停止ドナーが発生した際には、各臓器の移植希望者(レシピエント)選択基準に応じて移植者が決定されているが、その選択に際しては、ドナーの年齢、生活歴、心停止時間、昇圧剤の使用、搬送時間等が考慮されている。限られたドナーソースを有効に活用するため、全臓器における脳死・心停止下における摘出臓器の機能維持に関する検討を行う。

○移植後のMicrobiotaの解析と治療への展開に資する研究

臓器及び造血幹細胞移植後の腸内細菌叢と全身の免疫系には深い関わりがあり、腸内細菌の制御による全身の免疫制御は、近年盛んに研究され、実現性が高いと報告されている。本研究により、腸内細菌叢の経時的解析並びに、末梢血中の制御性T細胞を中心とした免疫担当細胞の動態を評価することで、移植後免疫抑制療法の最適化や移植後再発に対する先制的加療が可能となり、移植成績の向上につながることを期待される。

【造血幹細胞移植】

○同種造血幹細胞移植後の長期生存やQOLの改善を目的とした、最適化した造血細胞移植療法の開発を目指す研究

日本は海外と比べ、骨髄移植、末梢血幹細胞移植、臍帯血移植全てを選択しやすく、移植成績も良好である。これは移植医が患者個人に合わせた前処置やドナーソースの選択、GVHD予防などを選択している影響が大きい。本研究により、国内の大規模レジストリーデータを用いた機械学習等によって患者個人の特性を的確に予測し、それに応じた最適な幹細胞や、合併症の予防法等の移植後の介入方法を選択できるような枠組みとしての、最適化した造血細胞移植療法を開発することで、更なる移植後の長期生存の改善やQOLの改善など、移植成績の向上を図ることが可能となる。

○臍帯血増幅法等を用いた新規臍帯血移植法の開発研究

臍帯血移植は移植後の重症な合併症である慢性GVHDが少ない移植法として既知であるが、移植に適した保存臍帯血数が少ないことや臍帯血移植による感染症の合併が多いことなどの問題が指摘されている。本研究により、体外増幅を行った臍帯血を移植する方法を開発することで、移植に適した臍帯血本数の増加と、感染症のリスクを減らした臍帯血移植の実施が可能になり、移植成績の大きな向上が期待される。

○移植後(臓器移植、造血幹細胞移植)の免疫系をターゲットとした画期的な治療方法の開発研究

移植後合併症の多くは、移植片と宿主の免疫応答や、それに対して使用する免疫抑制療法の影響で生じる。移植後の免疫変化に対する特異的治療により、移植後合併症の制御が可能になることが示唆されていることから、移植後の免疫動態の解明は移植後成績の向上に繋がる課題であり、これに基づく画期的な技術開発に繋がる研究開発を推進する。

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【ゲノム・データ基盤】

移植医療は善意のドナーから提供された臓器ないし造血幹細胞を用いた、社会的に影響が大きい医療であるが、今までは医師の経験等により良好な医療成績が維持されてきた。これらの知見を一般化することで、新しい治療法の開発や、合併症に対する新しいアプローチでの予防・治療法といった、政策的課題を踏まえた移植成績の向上等につながるエビデンスの創出、技術開発を推進する。

(事業名)慢性の痛み解明研究事業

2020年度要求額

142,900千円

事業概要(背景・目的)

【背景】多くの国民がQOL低下の要因である慢性の痛みを抱えている。しかし、痛みの客観的指標は確立されておらず、周囲からの理解が得られにくい等の実態が指摘されている。この社会的課題を背景に「今後の慢性の痛み対策について」(平成22年9月)提言がなされ、これに基づく総合的な痛み対策として「ニッポン一億総活躍プラン」(平成28年6月)における慢性疼痛対策への言及、働き方改革「働き方改革実行計画」(平成29年3月)での慢性の痛みについて病気の治療と仕事の両立支援の実施を求めることの明示、未来投資会議 構造改革徹底推進会議(平成29年2月)では慢性の痛みに伴う生産性の低下について、骨太の方針2018においても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ことと言及され、与党内の「慢性の痛み対策議員連盟」の活動も加わり、本事業の一層の充実が求められている。

【目的】原因が明らかでなく対応に苦慮する痛みや、適切な対応を行っているにもかかわらず残存する痛みを対象に、画期的治療法を開発する上での客観的指標に基づく介入群の設定あるいは治療法に資するシーズを発見する。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	142,900
研究開発基礎基盤	0
計	142,900

2020年度概算要求のポイント

原因が明らかでなく対応に苦慮する痛みや、適切な対応を行っているにもかかわらず残存する痛みを対象に、画期的治療法を開発する上での客観的指標に基づく介入群の設定あるいは治療法に資するシーズを発見することを目的として、以下の開発研究を推進する。

- 慢性疼痛の侵害応答の機序解明を目指す開発研究
- 可視化技術の導入による慢性疼痛の機序、中枢神経系の構造的変化の解明を目指す研究
- 慢性疼痛の病態解明にかかるシーズ探索、定量的評価の確立に資する研究
- 慢性疼痛にかかる中枢神経系と新規治療法、介入方法(運動療法、心理精神的介入など)の開発に資する研究

これまでの成果概要等

- ・新たに脳関門を通過し、疼痛に関連する後根神経節の細胞にまでデリバリーされるDNA鎖と相補的なRNAによる核酸医薬が、標的遺伝子を適切に抑制していたことを確認(2018年度)。
- ・臨床の現場における精神神経免疫学的側面と慢性の痛みの病態を結びつけ、心理社会的ストレスの影響を解明する開発研究を推進(2018年度)。
 - ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)0件
 - ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)0件
 - ③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末)1件
 - ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末)0件

具体的な研究内容等



○慢性疼痛の侵害応答の機序解明を目指す開発研究

市場性の高い当分野における先導的詳細計測・制御技術等を融合し、物理的刺激の受容機構とその調節機構、物理的刺激の受容後に生じる細胞内シグナル伝達機構等の詳細な解明は国際的な競争力維持のためにも必須であり、開発研究を推進する。

○可視化技術の導入による慢性疼痛の機序、中枢神経系の構造的変化の解明を目指す研究
最先端の顕微鏡イメージング技術を用いて、慢性疼痛の動物モデルにおける脳脊髄内の機能的・構造的変化を捉え、活性化、変化領域を同定する。また、MRIを中心とした神経画像検査法・解析法と臨床情報との関連性を分析し、既存治療の改良、新規治療法の開発に資する研究開発を推進する。

○筋骨格系の慢性疼痛に関する発症機序解明、QOLの向上に資する治療法の開発研究

患者数の多い筋骨格系の疼痛の慢性化にかかる機序解明、慢性化の予防・機能維持、疼痛の軽減に展開されるエビデンスを創出するとともに、筋骨格系の損傷、傷害に対する早期介入の手法確立を目指す。

○慢性疼痛の刺激伝達系をターゲットにおいた画期的な治療法の開発、定量的評価の確立に資する研究(シーズ探索研究)

慢性疼痛の発症に神経伝達物質受容体等の様々な遺伝子の多型の神経障害性疼痛や鎮痛関連物質の感受性への影響が明らかになり、また、社会心理的な要因との関連性も指摘されている。多因子が複雑に関連する慢性疼痛に対する複合的な分析による新たな治療標的および定量的評価指標の抽出を目指す開発研究を推進する。

○慢性疼痛にかかる中枢神経系と新規治療法、介入方法(運動療法、心理精神的介入など)の開発に資する研究

国内外において慢性疼痛発症と中枢神経系などの報酬系との関連性が明らかとなっているものの、病態解明においては未解明な部分が残る。脳報酬系は満足感などの人間にとって極めて重要な正の情動と関係しており、慢性疼痛の治療法を開発する上での基盤となる研究の推進が期待される領域であり、研究開発を推進する。

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【ゲノム・データ基盤】

痛みの遷延化の機序の解明や医療情報のデータ集積から、遺伝子多型の分析による効果的な治療法の検討や患者層別化、治療方法の開発など網羅的な事業展開を推進する。

(事業名)エイズ対策実用化研究事業

2020年度要求額

587,284千円

事業概要(背景・目的)

世界でのHIV感染者は約3,690万人と推定されており、日本におけるHIV感染者・エイズ患者に関しては年間で約1,400人の新規HIV感染者が報告されている。さらに日本ではエイズを発症してから診断される者の割合が約3割を占め、米国等に比較してその割合が高いことが課題となっている。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なく、生涯にわたる薬剤服用が必要となる。治療薬進歩の一方で、薬剤耐性ウイルスの出現や、HIV感染者の高齢化に伴う服薬アドヒアランス確保の問題など、対策を検討する必要がある。また長期のHIV感染罹患に伴う合併症や抗HIV薬の長期間服用による副作用の制御も課題となっている。上記の課題に対応するため、新たな治療法等の開発研究を基礎から実用化まで一貫して推進する。併せて、HIV感染症の基礎研究分野における若手研究者を実践的な環境下で育成し、HIV感染症研究の人的基盤拡大を図る。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
研究開発基礎基盤	587,284
計	587,284

2020年度概算要求のポイント

本事業においては、HIV感染症の治癒を目指して、根治療法等の開発に繋がる研究を推進する。これまで、HIV感染症に対する免疫療法の研究開発に霊長類モデルによる実験が行われてきたが、HIVが感染する霊長類に限られていることや、霊長類免疫遺伝子が根本的にヒトと異なるため、実験で得られた結果をヒトへ反映することが困難であった。そのため、より直接的に免疫療法評価に繋がるヒト-HIV感染の免疫反応を模した感染モデルが必要となる。また、近年の抗HIV薬の進歩により、死に至らず、長期予後を確保できるHIV感染者において、HIV感染者の高齢化・服薬アドヒアランス確保の煩雑化が将来の不安となるため、非経口製剤による抗HIV療法の創出のための研究を推進する。なお、要望措置額部分については、以下の研究を実施する。

- ・ 遺伝子編集等の最新技術を用いたHIV感染の根治療法創出を目指した基礎から実用化を目指す研究を実施する。
- ・ HIV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、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。
- ・ 薬剤耐性や、薬による副作用の問題を解決するため、新たな作用機序を持つ抗HIV薬創出、既存の抗HIV療法の効果を上げるシーズの探索、抗HIV療法の新機軸となる抗HIV薬の開発等を実施する。

これまでの成果概要等

- ・ SeVベクター-HIVワクチンの開発研究において、サルを用いた機能的抗体誘導解析実験の結果、2019年2月に中和抗体誘導に結びつく特定の抗体遺伝子型を有するサル群を世界で初めて特定した。(論文投稿準備中)
- ・ 2018年9月に、in vitroでLRAと既存の抗HIV薬を用いたShock & Kill療法の効果を評価できる系の樹立に世界で初めて成功し、これによりHIVリザーバー細胞が効率的に除去されている過程を評価できることが分かった。(論文投稿準備中)
- ・ エイズウイルス感染成立に重要な宿主タンパク質Maternal Embryonic Leucine Zipper Kinase(MELK)を発見した(2017年6月)。
- ・ AAVを用いたゲノム編集法・CRISPR/Cas9による血友病治療にマウスで成功し(2017年6月)、本治療法の実用化に向けて2018年度CiCLE事業へ橋渡しを行った。
- ・ エイズウイルスの体内での拡がりに関わる宿主タンパク質adenomatous polyposis coli(APC)を発見した(2017年2月)。
- ・ SeVベクター-HIVワクチンの国際共同臨床試験第I相で、当該ワクチンの安全性・免疫原性が確認された(2017年1月)。

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(30年度末):9件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発(30年度末):0件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発(30年度末):4件
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(30年度末):4件

具体的な研究内容等

エイズ対策における課題

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

根治療法 の開発

- 新規ワクチン・治療薬の開発
- 医薬品シーズ探索

基盤的研究 の推進

- HIV感染の機構解明
- HIV関連病態の解明と治療法開発
- 持続感染動物モデル開発
- 新規治療戦略開発

2019年度の研究概要

- ・ HIV根治療法の確立を目指した研究
- ・ ワクチン等の新たな免疫療法の開発
- ・ 薬剤耐性、薬による副作用等の問題を解決するための新たな作用機序を持つ抗HIV薬の開発
- ・ 薬剤耐性HIVの機構解明及び国内流入等の感染動向把握
- ・ 血友病合併HIV/HCV肝炎ウイルス重複感染に起因する肝硬変に対する抗線維化薬の開発
- ・ 血友病関連悪性腫瘍、血友病非関連悪性腫瘍等の合併症の発生状況、病態解明と治療法開発
- ・ 動物モデルの開発の継続
- ・ 新規抗HIV薬の適正使用に関する研究の継続

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【研究開発基礎基盤】

本事業では、未だ世界で達成されていないHIV感染症の根治療法の創出を最大の目標とし、この目標を達成するためにHIV潜伏感染、持続感染の機序解明、医薬品シーズ探索、遺伝子編集等の最新技術を用いた潜伏感染除去方法の開発等を推進する。さらに、世界で未だ実用化されていないHIV感染を効率的に予防するHIVワクチンの創出のため、基礎から実用化にむけた一貫した研究支援を実施する。また、HIV診療において、現在あるいは将来的に大きな課題となることが予想されるHIV合併症の克服や、服薬アドヒアランス向上のための基礎研究開発について、基礎から実用化まで一貫して推進する。

(事業名) 肝炎等克服実用化研究事業

2020年度要求額

3,417,090千円

事業概要(背景・目的)

B型・C型肝炎ウイルスの感染者は、全国で合計300～370万人と推定されており、国内最大級の感染症である。感染を放置すると肝硬変、肝がんといった重篤な病態に進行する恐れがある。この克服に向けた対策を総合的に推進する目的で平成22年1月に肝炎対策基本法が施行され、同法に基づいて肝炎対策基本指針が平成23年5月に告示され、平成28年6月に改正された。この改正後の指針において、国は肝炎に関する基礎、臨床及び疫学研究等を総合的に推進する必要があるとされ、特にB型肝炎、肝硬変の治療に係る医薬品の開発等に係る研究を促進することが明記された。こうしたことから、平成24年度を初年度として取りまとめられた肝炎研究10カ年戦略は平成28年12月に中間見直しを実施され、臨床・基礎・疫学・行政研究それぞれにおいて達成すべき成果目標が定められた。本研究事業では、これらの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。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	147,530千円
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	97,360千円
研究開発基礎基盤	3,172,200千円
計	3,417,090千円

2020年度概算要求のポイント

B型肝炎創薬実用化等研究事業では、B型肝炎の画期的な新規治療薬の開発を目指した研究を推進する。具体的には、新規抗B型肝炎ウイルス(HBV)化合物の探索、HBVのcccDNA排除またはHBs抗原消失につながる新規抗ウイルスターゲットの探索、HBV増殖等に関わるウイルス因子・宿主因子の探索と同定、HBV持続感染機序の解明、肝硬変・肝がんへの進展機序の解明、HBVが病態進展に及ぼすメカニズムの解析、網羅的解析や構造学的情報に基づいた新規作用機序を有するHBV治療薬の開発等の研究を行う。

肝炎等克服緊急対策研究事業では、肝炎の予防、診断、治療に係る技術の向上、肝炎医療に必要な医薬品・医療機器の開発等の研究を推進する。具体的には、最近の知見に基づいた質の高いB型肝炎治療法の確立、肝炎ウイルスの再活性化等の機序解明、薬剤耐性C型肝炎ウイルス(HCV)への新規治療法の開発、免疫学的手法を用いた肝炎ウイルス感染予防法の開発、肝硬変・肝不全に対する新規技術(肝再生技術等)を用いた治療法の確立、ウイルス性肝疾患を含む代謝関連肝疾患の肝発がん等の病態解明及び診断・予防法の開発、非アルコール性脂肪性肝疾患の発症・進展機序の解明、肝線維化の改善方法の開発、自然免疫再構築による新規肝炎治療法および肝発がん予防法の開発、HCVワクチンの開発、HCVの感染複製増殖過程の機序解明とスクリーニング系の確立、非代償性肝硬変を含めたHCV排除後の病態解析と予後の解明、肝炎ウイルスの感染から線維化の進展を経て肝がんにいる機序の解明、B型肝炎でのDrug Freeを目指した治療法の確立、肝炎データストレージの構築とゲノム解析、新規HCV治療ターゲットの同定等の研究を行う。

なお、要望措置額部分については、ウイルス性肝炎の移植後の予後改善に向けた治療法、小児ウイルス性肝炎における病態評価法及び治療法、ウイルス性肝炎治療における薬剤耐性獲得による病態変化、C型肝炎治療後の病態、肝硬変の予後改善に資する治療法、肝線維化の非侵襲的診断法の基盤的研究、非アルコール性脂肪性肝疾患の機序解明及び治療法の研究、A型・E型肝炎ウイルス感染症の制御を目指した研究を行う。

これまでの成果概要等

- | | |
|---------------------------------|-----|
| ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末) | 0件 |
| ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末) | 0件 |
| ③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末) | 42件 |
| ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末) | 3件 |

具体的な研究内容等

1. B型肝炎創薬実用化等研究事業

肝炎研究10カ年戦略に基づき実施する。肝炎に関する基礎、臨床及び疫学研究等を総合的に推進し、特にB型肝炎の治療に係る医薬品の開発等に係る研究を促進する。

課題: B型肝炎は、

(1) C型肝炎と比較してインターフェロン治療の成績が低い。

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

目的: B型肝炎の画期的な新規治療薬の開発

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

開始時の状況: ●培養細胞等の実験基盤が確立されていない ●ウイルスの増殖機構が解明されていない ●肝硬変、肝がんへの病態の推移を再現するモデルがない

研究課題(H24~28): ①化合物の探索 ②ウイルス因子の解析 ③宿主因子の解析 ④実験手段の開発 ⑤完全排除を目指した研究

H28年度までの成果のまとめ

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

基盤技術の開発・充実

2017年度~2021年度の研究概要

- ① 治療薬候補化合物のスクリーニングに関する研究
- ② ウイルス因子の解析に関する研究
- ③ 宿主因子の解析に関する研究
- ④ 持続感染実験モデルを用いた病態の解析に関する研究
- ⑤ 根絶に向けた新規治療法の開発に関する研究
- ⑥ 実用化に向けたB型肝炎治療薬の開発

○基盤技術の更なる進展

- ・ウイルスの感染複製機構の解析、自然免疫系の解析
- ・感染効率の良い安定した実験系への改良

○候補化合物をスクリーニングし、順次、候補化合物の
評価・最適化

○前臨床試験の実施

3件の
企業導出
又は
臨床試験の開始

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【医薬品】

B型肝炎治療に係る治療薬・治療法を開発し、臨床試験・臨床応用につなげ、係る疾患の治療や重症化予防、予後改善に資する成果の獲得を目指す。具体的には、既存薬剤やその周辺化合物の探索による新薬開発、新規候補化合物等のスクリーニング等に関する研究を促進し、B型肝炎の画期的な新規治療薬の開発に資する治療ターゲット、シーズの発掘等を行い、企業導出、臨床試験等につなげる。

【研究開発基礎基盤】

B型肝炎の主に創薬に係る領域での基礎研究を推進し、臨床応用に資する成果を獲得する。具体的には、HBVの感染機構や複製機構の解明に関するウイルス因子・宿主因子の同定、治療の標的物質の探索・構造解析に関する研究、ウイルス糖鎖に関する研究、自然免疫系の解析とそれを応用した免疫療法の開発、ゲノム解析に関する研究、持続感染を再現する効率的な培養細胞系・動物モデルの開発、HBVの排除を可能とする新規治療法の開発等に関する研究を推進する。

具体的な研究内容等

2. 肝炎等克服緊急対策研究事業

肝炎研究10カ年戦略に基づき実施する。肝炎に関する基礎、臨床及び疫学研究等を総合的に推進し、特にB型肝炎、肝硬変の治療に係る医薬品の開発等に係る研究を促進する。

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

① B型肝炎 <ul style="list-style-type: none">・HBV感染複製機構の解明・HBVによる特異的免疫反応の解明・ウイルス、宿主ゲノム解析の活用・核酸アナログ製剤長期投与による副作用、ウイルス耐性対策・薬剤耐性ウイルスによる肝炎悪化への対策 等	② C型肝炎 <ul style="list-style-type: none">・病態推移モデルの作製・ウイルス排除後の病態解析・新規の治療ターゲットの探索・C型肝炎ワクチンの開発・インターフェロンフリー治療不成功後のウイルスの薬剤耐性・ウイルス排除後の肝発がん・ウイルス排除後の長期予後 等	③ 肝硬変 <ul style="list-style-type: none">・肝線維化機序の解明・線維化評価法の確立・線維化を改善させる根本的な治療薬・治療法の開発・肝硬変の合併症を含めた病態の把握・QOL及び予後改善に資する治療法の開発 等	④ 肝がん <ul style="list-style-type: none">・肝発がん機序の解明・ウイルス制御後の肝発がん機序の解明・肝発がんリスクの評価・肝発がん、再発機序の解明・再発予防による長期予後、QOLの改善 等	⑤ その他 <ul style="list-style-type: none">・非アルコール性脂肪性肝疾患の病態解明・A型肝炎の重症化機序の解明・E型肝炎慢性化機序の解明・E型肝炎ワクチンの開発・非アルコール性脂肪性肝疾患の病態解明や治療法の開発 等
--	--	--	--	---

2019年度までの研究成果

- ・B型肝炎ウイルス複製の鋳型となるDNAの形成に関わる酵素を発見(①)
- ・抗ウイルス免疫分子「RIG-I」の機能を阻害する宿主mRNAを発見(②)
- ・C型肝炎ウイルスの持続感染例では、病状が悪化に伴い腸内でレンサ球菌属のストレプトコッカス・サリバリウスなどが増加し、腸管でアンモニアを生産していることが明らかになった。(②)
- ・B型肝炎ウイルスの複製に重要なウイルスタンパクHBxと宿主タンパクDDB1との結合を阻害する薬剤としてニタゾキサニドを同定した。(①)
- ・B型肝炎ウイルスの中でもアラスカで多く認められる遺伝子型のゲノタイプF1bに特異的なウイルス変異が、若年肝がんの発症に関連していることを明らかにした。(①)
- ・B型肝炎ウイルスの治療薬候補「ペボネジスタット」を新たに同定した。(①)
- ・肝星細胞にサイトグロビンを過剰発現させたマウスでは、肝線維化を誘導するチオアセタミド処理を行っても肝線維化が抑制されることが明らかになった。(③)
- ・網羅的遺伝子探索技術によりSav1遺伝子が脂肪肝からの肝がんの発症・進展に重要であることを発見した。(⑤)

2020年度からの研究概要

- ・肝発がんを考慮したC型肝炎治療後の病態及び経過に関する研究(②④)
- ・肝硬変の病態解明とQOL及び予後の改善に資する研究(③)
- ・肝線維化の非侵襲的評価法の開発と予後予測に資する基盤的研究(③)
- ・ウイルス性肝炎患者の肝移植後の予後改善につながる治療法に関する研究(①②)
- ・小児ウイルス性肝炎患者の病態進展評価及び治療選択に関する研究(①②)
- ・ウイルス性肝炎の薬剤耐性が及ぼす病態変化に関する研究(①②)
- ・非アルコール性脂肪性肝疾患の病態解明や治療等に関する研究(⑤)
- ・A型・E型肝炎ウイルス感染症の制御を目指した研究(⑤)
- ・肝炎医療の水準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(①-⑤)

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【医薬品】肝疾患の各領域で治療薬・治療法を開発し、臨床試験・臨床応用につなげる。特に肝硬変の治療に係る医薬品の開発等に関する研究を推進し、係る疾患の治療や重症化予防、予後改善に資する成果の獲得を目指す。

【ゲノム・データ基盤】肝疾患の病態進行の原因となる機序の解明や、各病態における治療薬、予防薬の開発等を行う研究を推進するために、ヒトゲノム及びウイルスゲノムの解析等と臨床情報等を合わせて解析し、免疫系、ウイルス因子、宿主因子等の相互作用を解明し、研究開発の基礎となりひいては肝疾患患者のQOL向上や予後改善、発症予防、早期発見に係る研究開発に資すると考えられるデータストレージ等の構築を目指す。

【研究開発基礎基盤】各領域で基礎研究を推進し、臨床応用に資する成果を獲得する。特に、今後の肝疾患患者の健康寿命の延伸に資すると考えられる、ウイルスの薬剤耐性の機序の解明、ウイルスの再活性化機序の解明、肝発がん機構の解明、肝発がん・再発の予防薬・予防法及び予知するための検査法・診断法の開発、肝炎ウイルスの感染機構や複製機構、感染後の各病態の発現及び病態進行に関わる機序の解明、肝線維化機序の解明、非アルコール性脂肪性肝疾患等について、最先端技術(再生医療技術、ゲノム解析等)等を用いて、研究を推進していく。

(研究開発基礎基盤)長寿科学研究開発事業

2020年度要求額 193,378千円

事業概要(背景・目的)

我が国は、2040年を見据え、増加し続ける高齢者人口と共に労働生産人口が急減する局面を迎えている。高齢者が、老いや高齢者特有の疾患または病態等に罹患しながらも、その人らしく生活を送るためには、適切な医療のみならず介護による支援が必要である。今後、医療や介護人材の確保が更に難しくなり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る。高齢者の生活を支援するため、科学的根拠に裏付けられた技術開発や費用対効果を踏まえた新たな提供体制の提案等が必要である。制度を円滑に遂行するための政策的な課題解決を目的とした政策研究とは別に、老年医学領域における研究を基礎として、高齢者の生活を包括的に支援する基盤整備を推進する観点から研究を進めるものである。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
研究開発基礎基盤	193,378
計	193,378

2020年度概算要求のポイント

高齢者の生活を包括的に支援する基盤整備を更に推進するため、昨今の高齢者に特化した社会的問題に着目し研究を推進する。現在の我が国の平均寿命は男女ともに80歳を超え、人生100年時代と謳われる中、加齢に伴う筋力低下など様々な背景要因を抱えつつ転倒を契機に死に至る例もある。また、高齢化とともに我が国の独居高齢者増加は顕著であり、海外では高齢者の孤独は心疾患、認知症、早期死亡のリスクとなることが報告されている。これらに対して、高齢者が地域の中で自立(自律)して生活が送れるよう【新規】高齢者の転倒による障害予防の推進のための研究及び【新規】高齢者の孤独度と疾患の発症解明のための研究を実施する。さらに、病期または人生の最終段階にある高齢者においては、【新規】嚥下機能低下に伴う服薬困難に対応するためのアルゴリズム等開発のための研究に加え、特に治癒が困難とされる【新規】高齢者の心不全の実態調査と在宅における心不全管理の開発のための研究を推進し、予防から看取りまで高齢者のQOLを高める開発研究に取り組む。さらに、こうした研究成果によって得られた効果を適切に評価していくため、【新規】高齢者の自立度の測定による適切な医療・介護支援に資する総合的研究の実施により、高齢者の生活に着目し一貫通貫した科学的根拠の基盤を創出していく。

これまでの成果概要等

健康寿命の延伸に寄与する高齢者の介護予防という課題に対して、効果的な介護予防プログラムや住民が主体となり地域におけるコミュニティを形成するための手法を開発し、全国約30ヶ所で研究成果を実装している。また、身体機能等の評価データのデータベース化も研究者が関係する団体等で図られるなど研究基礎基盤の開発がされている。そのほか、身体及び認知的フレイルの予防方法を広範囲に展開していくため、有効性・妥当性が担保された予防プログラムを開発しアプリケーション化、民間企業との横展開の検討といった実用性の高い研究成果が得られている。

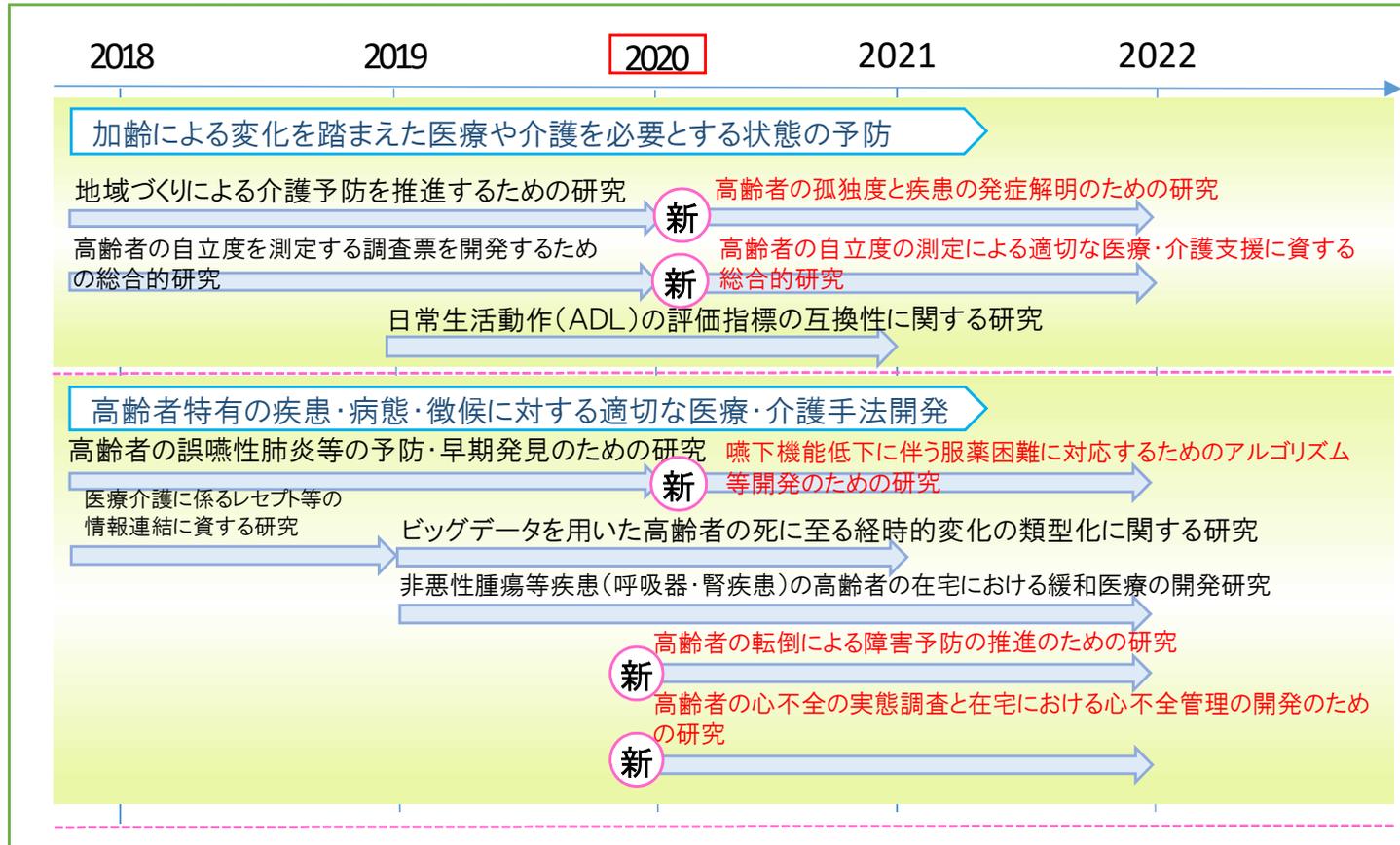
また、今後ビッグデータを活用した診療の実態等が明らかになることを見据え、医療・介護レセプト等の情報連結の研究を実施し、慢性疾患の罹患の有無に応じて医療・介護費に一定程度の差が生じること等を解明し、ビッグデータを活用した新たな研究方法論について示唆が得られている。

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)0件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末)0件

- ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)0件
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末)0件

具体的な研究内容等

2020年度研究の概要



**健康寿命の延伸
健康長寿社会への貢献**

- 新たな高齢者医療介護の提案
- 老年医学における新たなエビデンス創出

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【研究開発基礎基盤】

老年医学領域においてこれまで得られた知見に加え、我が国が直面する超高齢化社会・労働生産人口の減少という社会問題に対して、医学的な介入による解決へ向けた提案という新たな科学的根拠の創出を果たす研究事業であり、今後も医療・介護と切り離せない我が国の諸課題の解決へ向けた基礎基盤となる。また、世界的に先行して前述の課題解決へ向けた取組が求められており、こうした問題に対する先駆けとして国際的にも意義の高いものである。

障害者対策総合研究事業（その他）

2020年度要求額

410,781千円

事業概要(背景・目的)

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

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	410,781
研究開発基礎基盤	0
計	0

2020年度概算要求のポイント

近年の人工知能、ロボットなどの技術革新は目覚ましく、その恩恵を障害児・者に還元するべく「人工知能技術を活用した障害児・者の支援に関する研究開発」を推進する。また、障害児・者の寿命延伸に伴う重度化やフレイルなどの二次障害への対応は喫緊の課題であり、「障害児・者の高齢化・寿命延伸に対応した地域包括支援システムの構築に関する研究」を推進する必要がある。さらに、障害者の地域社会での共生の実現に向けて、「身体知的障害児・者とその家族の機能障害と生活機能の向上を目指した新規介入方法等の開発」「感覚器障害児・者とその家族の機能障害や生活機能の向上を目指した新規介入方法等の開発」「聴覚・視覚重複障害、一側性聴覚障害、吃音の評価と支援方法の確立に関する研究」「先端技術を用いたロービジョンケアの最適化に関する研究」を推進する。

これまでの成果概要等

次世代シーケンサー(NGS)を応用した新たな難聴の診断法により、多くの新規難聴遺伝子変異を解明し、NGSデータベースと臨床情報データベースを構築して臨床に還元するシステムを開発し、保険収載に貢献。

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臨床研究を終了し、製品モデルとして完成。

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2019年度から実施予定。

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(2018年度末)1件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発(2018年度末)0件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発(2018年度末)7件
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2018年度末)0件

具体的な研究内容等

身体・知的等障害分野

人工知能技術を活用した障害児・者の支援に関する研究開発

障害児・者の高齢化・寿命延伸に対応した地域包括支援システムの構築に関する研究

障害児・者とその家族の機能障害と生活機能の向上を目指した新規介入方法等の開発

感覚器障害分野

聴覚・視覚重複障害、一側性聴覚障害、吃音の評価と支援方法の確立に関する研究

先端技術を用いたロービジョンケアの最適化に関する研究

人工知能技術を活用した自助具設計支援システムや体調変化予測プログラムの開発

高齢化した障害児・者が施設ではなく住み慣れた地域で安心した在宅生活の継続を可能とすることに寄与

心身機能・構造、活動、参加の向上に資する新規介入技法や機器、就学・就労支援や地域支援モデルの開発

評価方法の確立と、地域で実施可能な支援方法の開発

ロービジョンケアにおける地域連携システム構築及び教育研修プログラム開発

障害を招く疾患等について、その病態・病因の解明、診断・予防・治療法、リハビリテーション等の確立

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【ゲノム・データ基盤】

わが国では障害者総合支援法が定められ、難病も含めた障害児・者とその障害種別を問わず地域社会で共生できることを目的に、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、本事業では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。

「統合医療」に係る医療の質向上

2020年度要求額

127,300千円

事業概要(背景・目的)

・科学的根拠収集研究事業

「統合医療」については、多種多様であり、科学的根拠が乏しいものが含まれているとの指摘もあることから、これまで厚生労働科学研究費において、実態の把握と新たな知見の創出のための研究を進めてきた。このような中、厚生労働省においては、2012年3月から『「統合医療」のあり方に関する検討会』が開催され、2013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(Quality of Life:生活の質)を向上させる医療であり、医師主導で行うものであって、場合により多職種が協働して行うもの」と位置付けられている。統合医療については、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こと、その療法は多種多様であるが故に安全性・有効性に関する科学的根拠が求められている。本事業において、統合医療について、安全性・有効性等に関する科学的根拠を収集するための研究等を行う。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	127,300
研究開発基礎基盤	0
計	127,300

2020年度概算要求のポイント

2020年度においては、下記の課題を支援する。

引き続き支援する課題

- ・「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
- ・漢方に関する科学的知見の創出に関する研究
- ・鍼灸に関する科学的知見の創出に関する研究
- ・漢方及び鍼灸を除く各種療法に関する科学的知見を創出するための研究
- ・「統合医療」に関する科学的知見を創出するための安全性・有効性等の評価手法に関する研究
- ・社会モデルとして地域社会で実践されている取り組みに関する情報発信、実態把握および安全性・有効性に関する研究

2020年度より課題内容を変更または新規に支援する課題

- ・客観的に「証」を診断する方法を開発する研究
- ・社会モデルとして地域社会で実践されている疾病予防や健康増進のためのプログラムに関する科学的知見の創出に関する研究
- ・「統合医療」の各種療法についての安全性・有効性等の評価手法に関する研究の若手枠の新設

これまでの成果概要等

厚労省「統合医療」情報発信サイト(e-JIM)への科学的根拠資料の公表

「「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業(AMED)」研究成果報告書の公表

- ・2016年度(12件)
- ・2017年度(15件)
- ・2018年度予定(15件)



具体的な研究内容等

事業の目的

・漢方、鍼灸等の「統合医療」の各種の療法について、①科学的根拠の収集、②新たな科学的知見の創出、③用語、規格等の標準化、④利用実態把握等の研究を行い、国民およ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。

これまでの経緯

・「統合医療」については、多種多様であり、科学的根拠が乏しいものが含まれているとの指摘もあることから、これまでも厚生労働科学研究費において、実態の把握と新たな知見の創出のための研究を進めてきた。
 ・これらの知見等を踏まえつつ、適切な医療の推進の観点から、「統合医療」のあり方に関する検討会(2012年3月～2013年2月)を開催し、とりまとめを行った。今後とも、国としては、以下の取組を行うこととしている。

①科学的根拠の収集・創出のための研究(2015年度からはテーマを独立させ、日本医療研究開発機構(AMED)にて実施)

研究事業:これまでも厚生労働科学研究費で、漢方の経済性評価、鍼灸等の有効性の評価等、科学的知見を創出。



②安全性・有効性等の情報発信

予算事業

「統合医療」の情報発信事業(平成25年度より開始)

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

健康保持や疾病治療・予防の選択肢の増加による、医療の質の向上

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【ゲノム・データ基盤】
 当該研究事業における、漢方、鍼灸等の研究は創薬・開発ではなく、西洋医学と組み合わせたときの技術の研究であり、新PJモダリティにおいて医療技術に分類し研究を行う。

事業概要（背景・目的）

健康・医療分野の大規模データの分析は、医療の質向上・均てん化、及び日本発の医療技術の開発に必要なエビデンスを提供するものである。しかし医療機関や研究機関、行政・保険者などの個々の主体が管理するデータに互換性がなく、その活用は未だ十分になされていない。本研究事業では、これらのデータを、利活用することで、さらなる医療の質の向上・均てん化の進展を目指す。

新PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	1,100,000
研究開発基礎基盤	0
計	1,100,000

2020年度概算要求のポイント

これまでは電子カルテやDPC等既存医療情報、放射線、病理、内視鏡等画像データを全国規模で収集し、ICTやAI技術等を用いて解析するデータ利活用・開発研究に取り組んできた。2020年度はこれまで取り組んできた画像診断支援や診断治療支援の実臨床への実装推進を行うと同時に、AI開発が見込まれる新たな医療分野での効率的・効果的なAI開発研究を推進する。

これまでの成果概要等

- ・「ICT技術や人工知能(AI)による利活用を見据えた診療画像等データベース基盤構築に関する研究」では平成28年度より学会主導のもと放射線・内視鏡・病理・眼科画像分野で医用画像データの収集を開始し、平成29年度には超音波・皮膚の画像も追加した。解析可能な形式で各種画像を収集し、症例情報とともに解析しAIを活用した診断支援システム開発に取り組んだ。
- ・「SS-MIX2規格による大規模診療データの収集と利活用に関する研究」では病院・データセンター間における安全性の高いデータ転送方式を確立した。
- ・「疾患・目的別データベースの共通プラットフォームの構築研究」においては、症例登録およびデータベースの入力効率化に関わる技術開発に取り組んだ。
- ・「NDBデータによる理想的な健康医療ビッグデータ活用モデルの確立に関する研究」においては、国産超高速データベースを用いた分析基盤の構築、匿名加工基準に加えデータの中身や使われ方を考慮に入れた匿名加工技術を開発した。

具体的な研究内容等

- 「ICT 技術や人工知能（AI）開発を見据えた、診療画像等データベースの利活用に関する研究」については、学会主導のもと質の高い医用画像の収集に取り組んできた。AIを活用した診断支援システム開発には、収集したデータの解析やAIプロトタイプ開発・社会実装を引き続き実施する必要がある、2020年度も本研究を推進する必要がある。（継続）
- 「保健医療分野におけるAI開発の加速化に向けた開発研究」については保健医療分野AI開発加速コンソーシアムで議論された、医用画像をはじめとする様々な医療データについて、継続的にAI開発等に活用できるようなエコシステムの構築の検討が必要で、既存の研究事業等の枠組みを活用していく開発研究を実施する。（新規）

患者に提供する医療の向上・医療イノベーションの実装推進



重点6分野+新規分野  AI開発

AI開発コンソーシアム

・AI開発に必要なデータの円滑な収集 ・AI実用化に向けての検討

研究内容と新PJ（モダリティ）との関係

【ゲノム・データ基盤】

本研究事業は「ICT技術や人工知能による利活用を見据えた診療画像等データベース基盤構築に関する研究」「医療ビッグデータ利活用を促進するクラウド基盤・AI画像解析に関する研究」で、医用画像、診療情報等を全国規模で収集する基盤を構築するとともに、収集したデータを活用した診断支援システムを開発するなど、ゲノム・データ基盤の構築に資する研究開発を推進する。

新規事業

メディカルアーツ研究事業

2020年度要求額 1,000,000千円

事業概要(背景・目的)

医療従事者の偏在や多忙への対応が望まれており、診断や治療に最適な手法の実現、効率的な治療訓練のための臓器モデルの開発、熟練した医師の手技のノウハウを再現できる医療支援プログラム等の医療技術の研究開発の推進が求められている。

このような背景のもと、本研究事業では、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、医師が患者の状態を判断して行う診療等の無形の医療技術の研究開発や、個別の診断法、治療法、分析法等の体系的な組合せを可能とするシステムの構築を目的とする研究開発を実施する。

新PJ(モダリティ)区分	要求額(千円)
医薬品	
医療機器・ヘルスケア	
再生・細胞医療・遺伝子治療	
ゲノム・データ基盤	1,000,000
研究開発基礎基盤	
計	1,000,000

2020年度概算要求のポイント

医療者の医療技術の知識や経験をデジタル化、データ化して評価分析を行い、作成されたデータベースを用いて、ICT、AI技術等を活用することにより、革新的な診断法の開発、斬新な治療法などの新たな医療技術の実用化を目指す。

また、事業横断的な手法等により医療の有効性、安全性及び効率性の観点から医療に変革をもたらすための技術開発を行うとともに、治療法、分析法等の体系的な組合せを可能とするシステムの研究開発を行う。

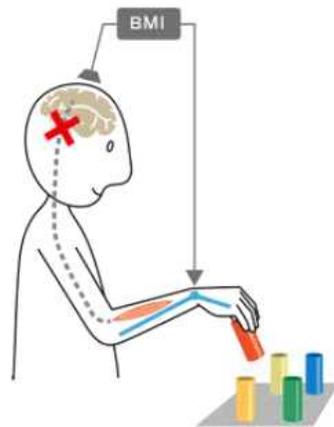
- より効果的な(あるいは新たな)手術・診断方法の研究
- 過去の手術手法・診断等をデジタル化・データ化し、分析(統計解析)することにより最適な方法を探索する研究
- リハビリテーション等手技の確立のためのエビデンス創出研究

これまでの成果概要等

2020年度新規事業

具体的な研究内容等

医療の有効性、安全性及び効率性の観点から
変革をもたらすための技術やシステムの研究開発



医療技術のノウハウのデータ化

医療技術の定量的評価

データベース、ICT、AI技術等の活用

医療の改革・新技術の創出

- ✓ 健康寿命の延伸
- ✓ 超高齢化社会の課題克服
- ✓ 効率的な在宅医療の実現
- ✓ 移植後長期成績の向上
- ✓ 医療に関する総合的な技術力の向上

研究内容と新PJ(モダリティ)との関係

【ゲノム・データ基盤】

健康長寿社会の実現に向けて、我が国の高い研究開発能力を医薬品、医療機器等及び医療技術の実用化に着実につなげていく基盤となるシステムを構築し、有効性及び安全性の評価手法の開発・標準化等を行う開発研究を推進する。