

# AMEDにおける医薬品・医療機器・再生医療等 製品に関する研究開発の取組・成果について

【机上配布資料】

---

革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品  
創出のための官民対話

令和元年11月18日

国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)  
理事長 末松 誠

# 目次

- ① 医療研究開発体制の整備及び研究開発マネジメント等に  
資するデータベースの構築等の基盤整備 ..... 2
- ② 創薬分野における取組・成果 ..... 11
- ③ 再生医療分野における取組・成果 ..... 13
- ④ 医療機器分野における取組・成果 ..... 15

# データマネジメント・データシェアリングの推進

AMEDに求められる機能を十全に発揮し、ミッションと課題をクリアしていくためには、まず、しっかりとしたネットワークが必要なことから、AMEDの取組として、データマネジメントを最重要課題の1つとして位置付け。

## <背景>

### 1. 第5期科学技術基本計画（平成28年1月22日閣議決定）

オープンサイエンスの推進により、学界、産業界、市民等あらゆるユーザーが研究成果を広く利用可能として、その結果、研究者の所属機関、専門分野、国境を越えた新たな協働による知の創出を加速し、新たな価値を生み出していくことを可能とする。**国益等を意識したオープン・アンド・クローズ戦略及び知的財産の実施等に留意することが重要**であると、指摘。

### 2. ゲノム医療実現推進協議会「中間とりまとめ」（平成27年7月健康・医療戦略推進本部）

研究の推進のため、正確な臨床・健診情報が付加されたゲノム情報等のプロジェクト間でのデータシェアリングが重要であると指摘

【ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー】の適用対象を順次拡大。研究データのデータベース化を要する全ての事業・課題（H30.5月以降に公募開始するもの）にデータマネジメントプランの作成・提出を義務付け。**データシェアリングにより、未知の疾患の解明、関連分野の研究の推進等、多くの効果が期待**できる。

ゲノム情報を用いた医療の実現に向け、研究成果に由来するゲノムデータ、及び臨床情報や解析・解釈結果等を含めたゲノム情報の、迅速、広範かつ適切な共有・公開を行うことを目的として、研究参加者の権利保護、データ・情報を提供した研究者の保護と、データシェアリングによる関連分野の研究の推進を両立させるための枠組み

■ 運用開始：平成28年4月

■ 対象範囲：平成28年度～「疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト」

平成30年度～「難病克服プロジェクト」、

平成31年度～「脳とこころの健康大国実現プロジェクト」、「新興・再興感染症制御プロジェクト」、  
「肝炎等克服実用化研究事業」、「エイズ対策実用化研究事業」

※ゲノム情報を生成し、かつ公募要領にデータシェアリングポリシーを適用することを明記している研究開発課題に限る。

■ 対象データ：

①生殖細胞系列、体細胞由来DNAから得られる塩基配列情報、②生殖細胞系列由来、体細胞由来DNA等に存在する多型情報・変異情報、③後天的に生じるゲノム変化（がん細胞等に生じた体細胞変異）、④遺伝子発現プロファイル、ゲノム修飾等、⑤健康に影響を与え得る微生物群等由来のゲノム情報、⑥関連する表現型情報・臨床情報

■ データ分類

制限共有データ／制限公開データ／非制限公開データ

※原則、「生データ生成後2年」又は「論文採択時」のいずれか早い時点までにAMED指定の公的DBへ登録

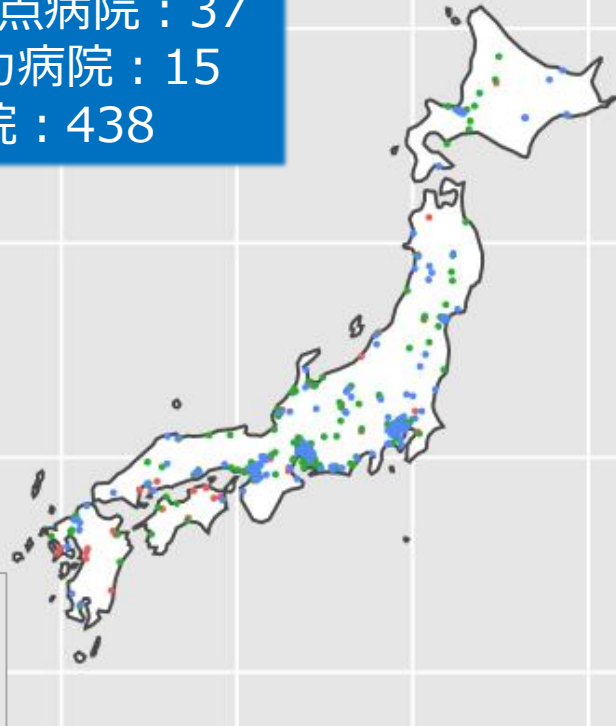
※対象となる各研究開発課題は、研究開発計画とともに、データマネジメントプランをAMEDへ提出

# 未診断疾患イニシアチブ (IRUD)

37のIRUD拠点病院を中心とする490病院からなるネットワークを活用し、これまでに4400以上の症例（家系）の相談に対応。

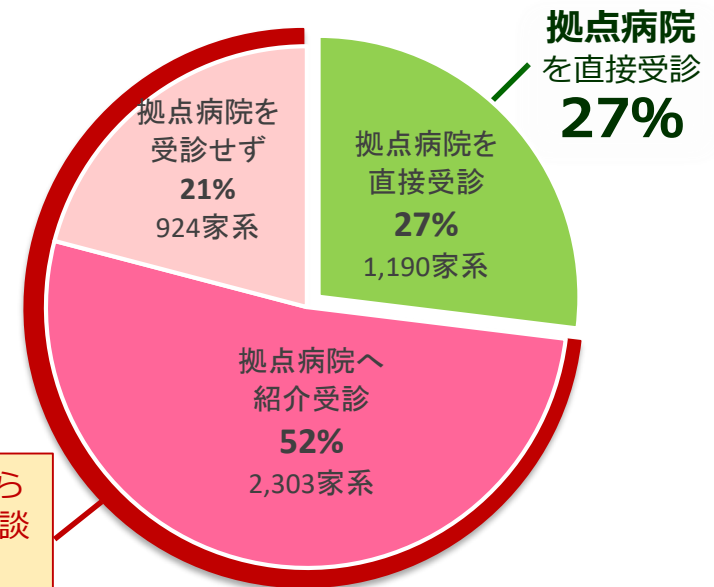
IRUD拠点病院：37  
 高度協力病院：15  
 協力病院：438

- 国立
- 公立
- 私立



2019年9月30日現在

未診断状態患者のIRUDネットワークへのアクセス経路（解析経過 速報値）  
 (2015~2017年度調査分)



協力病院から  
 拠点病院へ相談  
**73%**

診療科横断的診断委員会を  
 有する大学附属病院  
 (拠点病院及び高度協力病院)

**35**

IRUD相談件数:合計 4,417症例（家系）  
 (拠点病院への相談のみで対応したケースを含む)

新規疾患の発見

18疾患

診断確定数 (注1)

1,016家系  
(proband)



49

遺伝性指定難病  
全196疾患・823原因遺伝子  
(ミトコンドリア病は除く)

330

重複666遺伝子

425

Orphanet (注2) 収載希少疾患  
(全3,733疾患・3,867原因遺伝子)  
(2018年9月27日時点)



212

いずれにも  
該当しない疾患

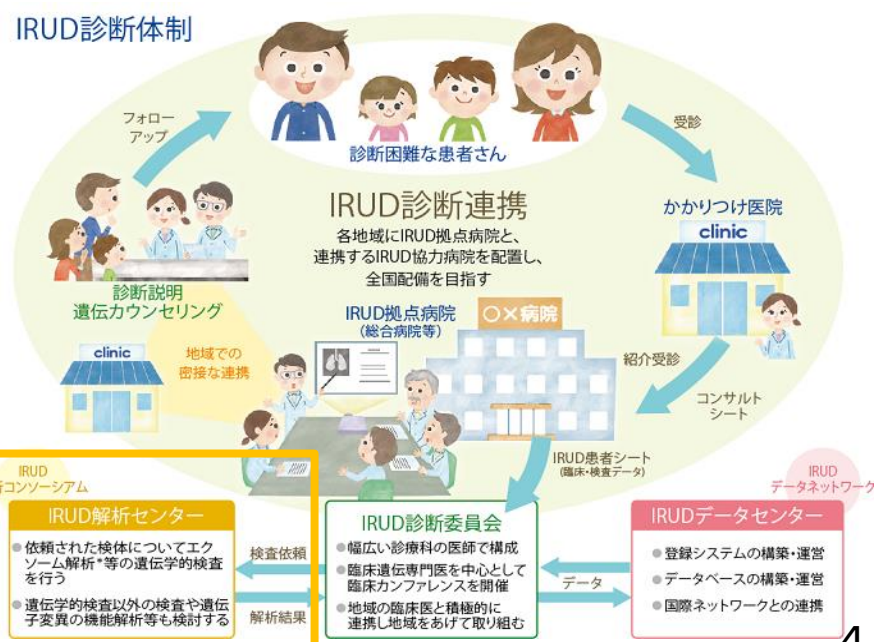
診断確定数 (注1)  
1,016

遺伝学的解析による診断率  
36.9%

IRUD解析センターによる解析実績  
2,756家系 (proband)

(注1) IRUD解析センターにおける遺伝学的解析により、診断確定に必要な解析結果を提供した数。

(注2) Orphanet: 希少疾患とオーファンドラッグに関する情報を提供するリファレンスポータル。約40カ国が加盟するコンソーシアムにより運営され、フランスのINSERM (フランス国立保健医学研究所) チームが統括。 <https://www.orpha.net>



新規疾患の発見 **27** 疾患
 
 診断確定数 (注1) **1,284** 家系 (proband)

<b>111</b> 遺伝性指定難病 全196疾患・823原因遺伝子 (ミトコンドリア病は除く)	<b>630</b> 重複666遺伝子	<b>543</b> Orphanet (注2) 収載希少疾患 (全6,172疾患・5,454原因遺伝子)	<b>0</b> いずれにも 該当しない疾患
---	------------------------	---	------------------------------

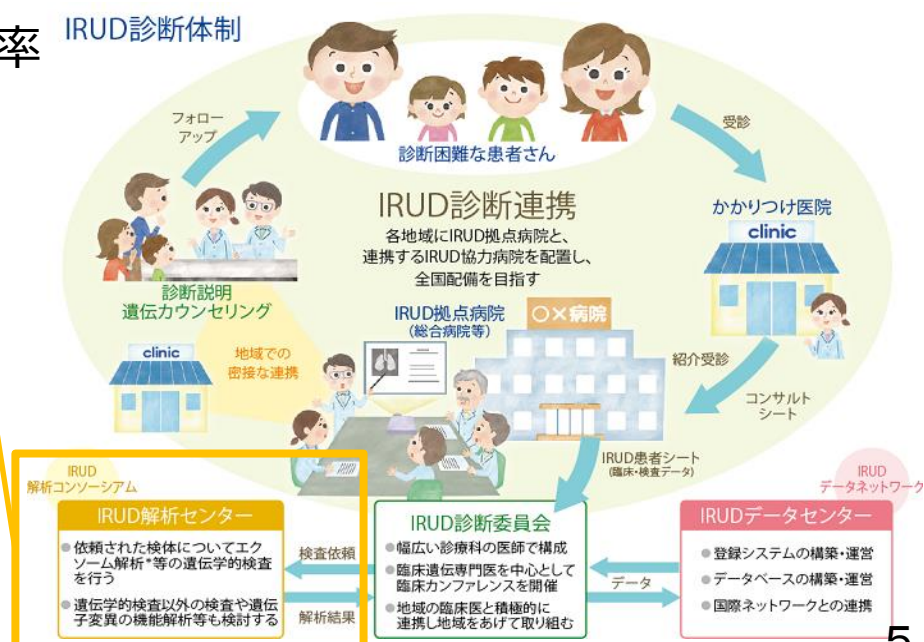
診断確定数 (注1) **1,284**

 遺伝学的解析による診断率 **39.9%**

IRUD解析センターによる解析実績 **3,217** 家系 (proband)

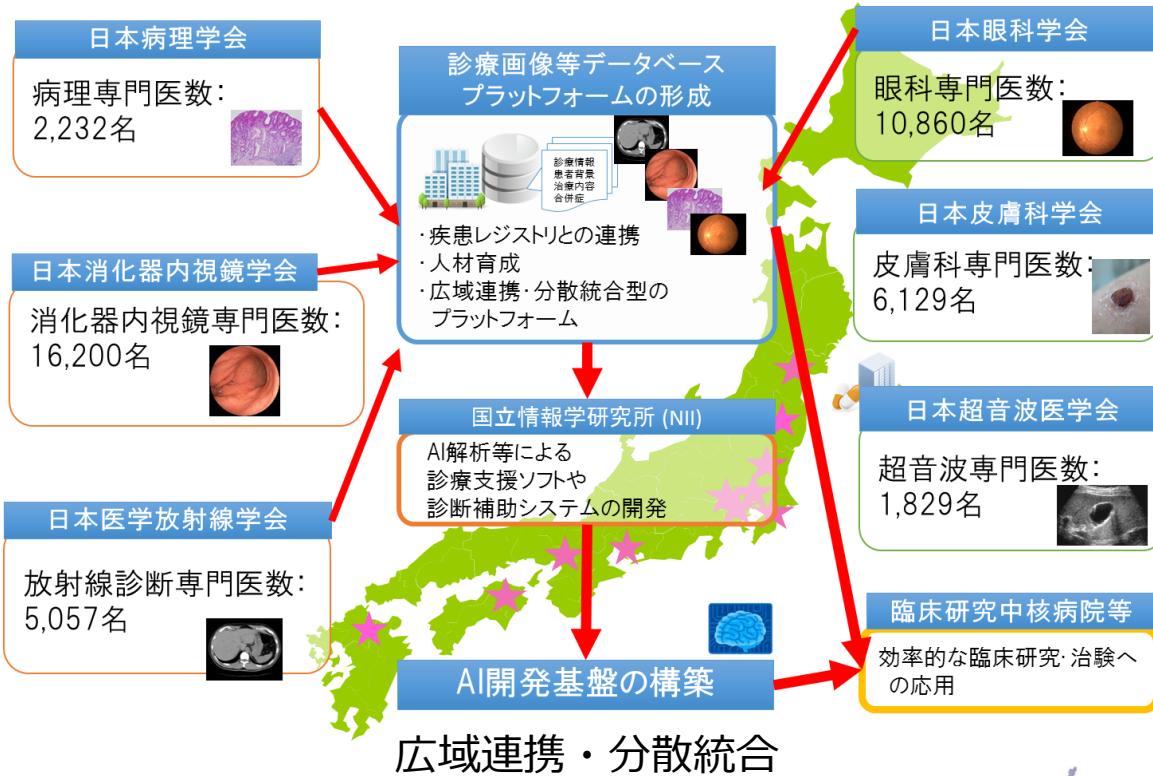
(注1) IRUD解析センターにおける遺伝学的解析により、診断確定に必要な解析結果を提供した数。

(注2) Orphanet: 希少疾患とオーファンドラッグに関する情報を提供するリファレンスポータル。約40カ国が加盟するコンソーシアムにより運営され、フランスのINSERM (フランス国立保健医学研究所) チームが統括。 <https://www.orpha.net>



# 診療画像等データベースプラットフォームの構築(協創と競争の場)

## - ICT技術や人工知能(AI)等による利活用を見据えたインフラの整備 -



日本病理学会  
病理専門医数:  
2,232名

日本消化器内視鏡学会  
消化器内視鏡専門医数:  
16,200名

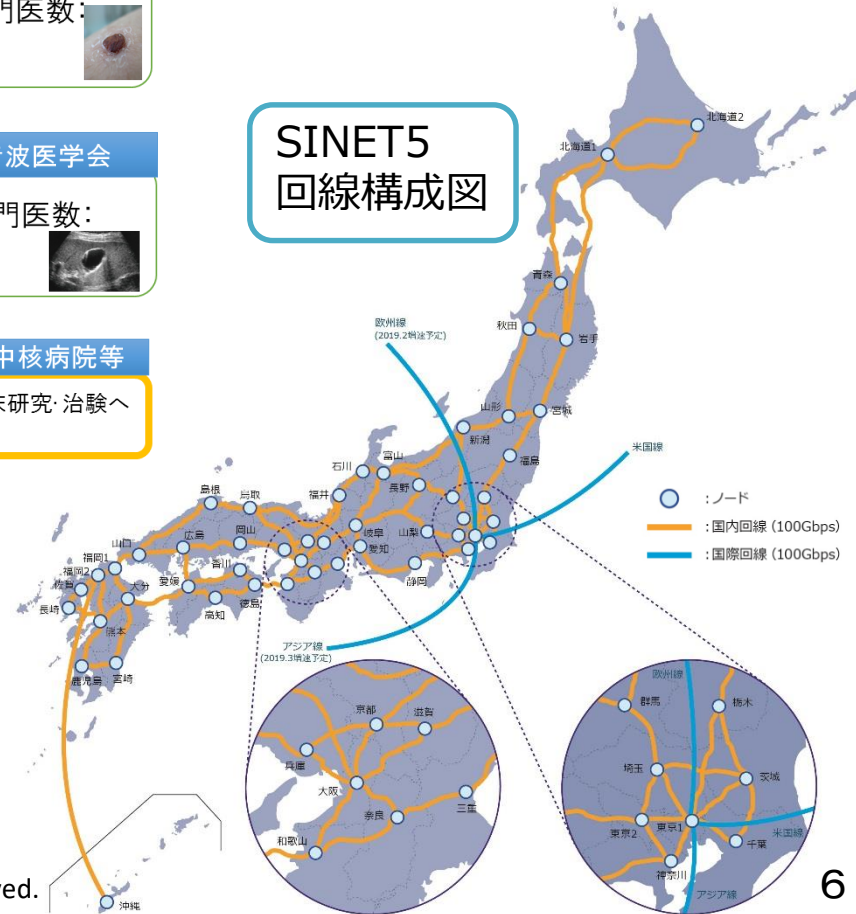
日本医学放射線学会  
放射線診断専門医数:  
5,057名

日本眼科学会  
眼科専門医数:  
10,860名

日本皮膚科学会  
皮膚科専門医数:  
6,129名

日本超音波医学会  
超音波専門医数:  
1,829名

SINET5  
回線構成図



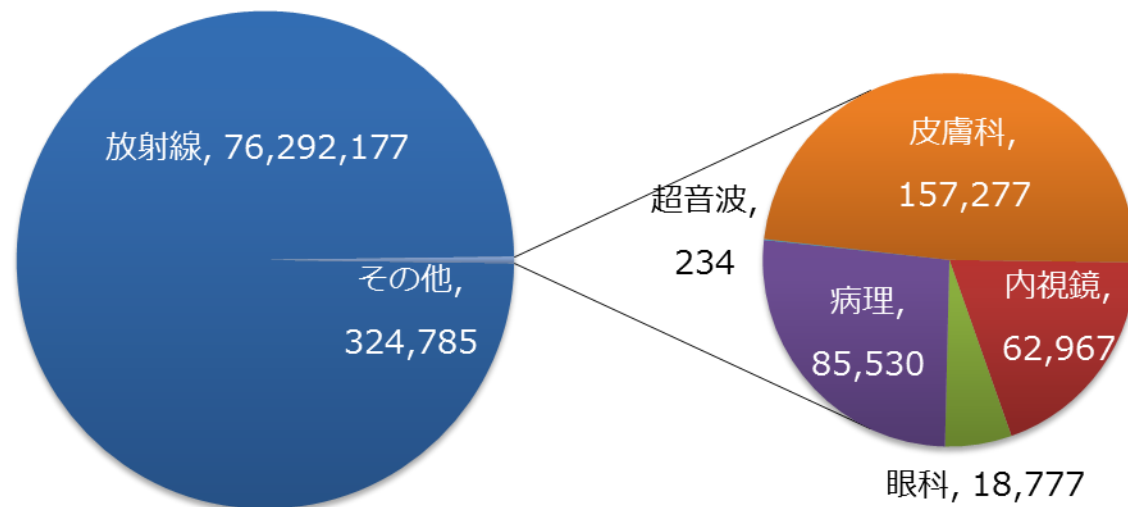
- 学術情報ネットワーク (SINET : Science Information NETwork) は、日本全国の大学、研究機関等の学術情報基盤として、国立情報学研究所 (NII) が構築、運用している情報通信ネットワーク。
- 教育・研究に携わる数多くの人々のコミュニティ形成を支援し、多岐にわたる学術情報の流通促進を図るため、全国にノード (ネットワークの接続拠点) を設置し、大学、研究機関等に対して先進的なネットワークを提供。
- 2016年よりSINET5の本格運用開始、全国100Gネットワークにて接続。  
※右図回線構成図とともに、NII Webページより。

## クラウド基盤 - 接続・データの利用状況

NII

医療画像データ受入実績 (単位：画像の枚数) 2019.10.30現在

学会	放射線	内視鏡	眼科	病理	超音波	皮膚科
画像枚数	76,292,177	62,967	18,777	85,530	234	157,277
施設数	5	1	15	20	2	15
ラベル	2,133	0	ALL	ALL	0	ALL
アノテーション	0	927	0	160	234	0



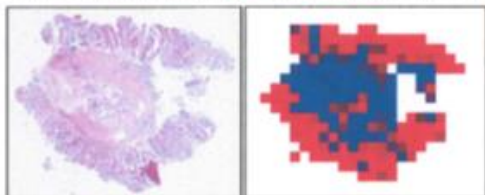


# 平成30年度の成果

## AIによる胃生検ダブルチェック支援システム

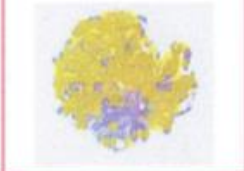
996症例の胃生検を機械学習させAIを開発

AIによる判定の例(赤:癌の可能性高い)



カットオフ値0.8の場合  
病理医とAI判定の  
不一致率16.2%を達成

重ね合わせ表示も可能



ROC曲線

割合

割合

1-特異度

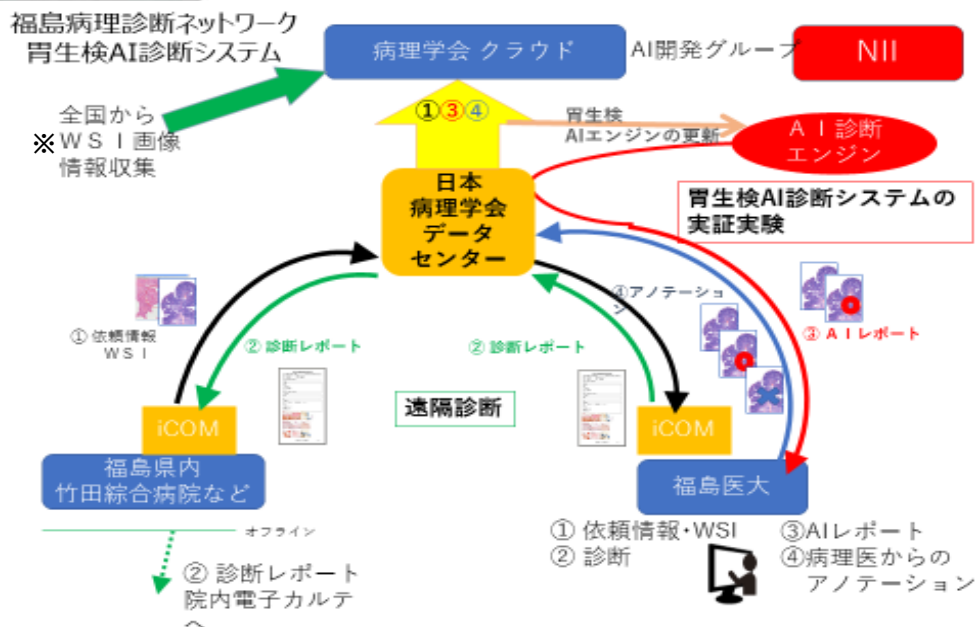
AUC=0.879

ダブルチェックができない  
「一人病理医病院」の要望に応える

Cut off 異常度0.6の場合

		AI判定 Normal	AI判定 Cancer
病理医	腫瘍でない	1602 (73.5%)	579 (26.5%)
の診断	癌・腫瘍(疑い含む)	34 (6.7%)	470 (93.3%)

AIによる胃生検ダブルチェック支援システム

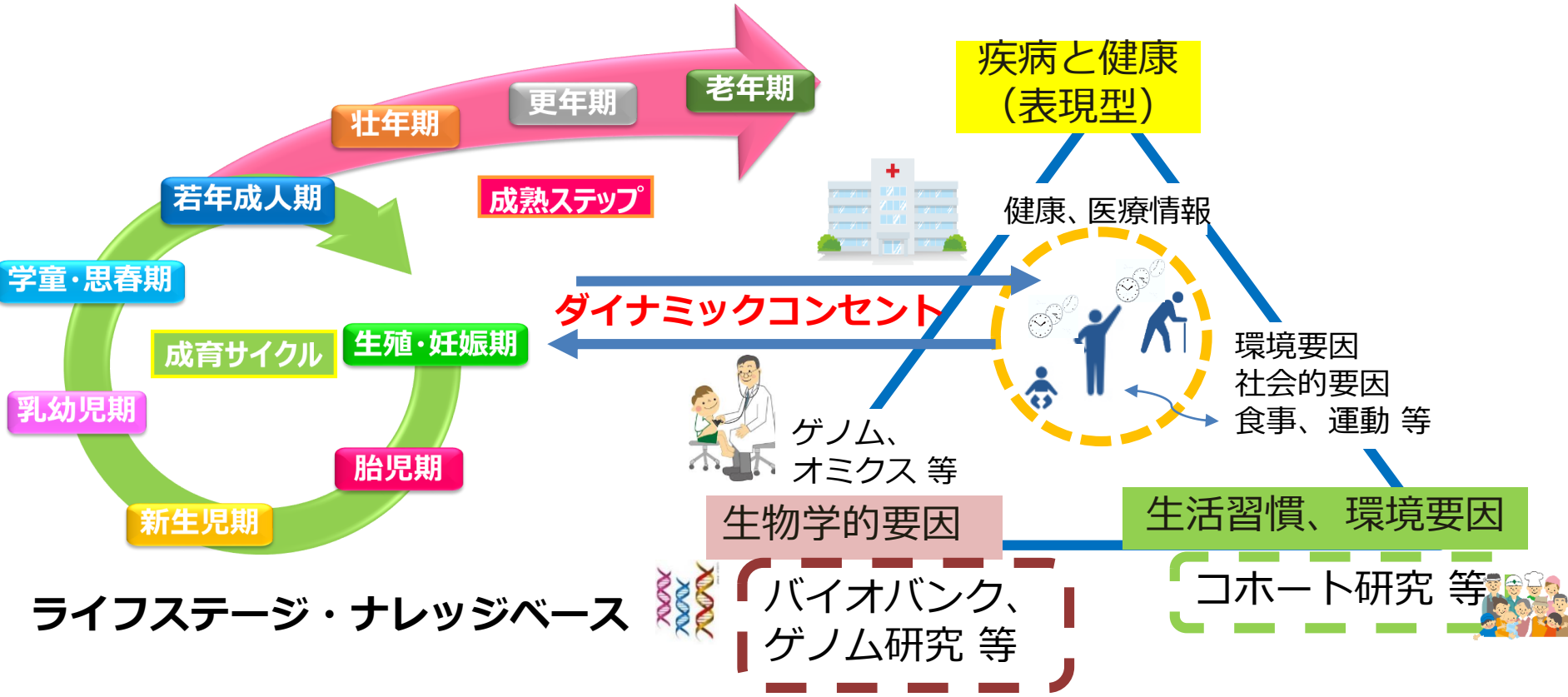


※WSI : Whole Slide Image  
病理デジタル画像

# ライフステージを俯瞰するデータ駆動型研究の推進



ライフステージを俯瞰するデータ駆動型研究  
個人レベルでリンクさせた縦断的追跡データを活用する研究に  
ダイナミックコンセントが、重要なツールとなる





## NHS (UK) National Opt-out Program

- 1) GDPRの施行に合わせた国内法の整備
- 2) オプトアウトを土台とする制度
- 3) 自分の医療情報に関するNHSとのコミュニケーション

## Your Data Matters to the NHS

Information about your health and care helps us to improve your individual care, speed up diagnosis, plan your local services and research new treatments.

個人の医療情報は、本人の医療に役立つと共に、サービスのプランニングや治療法研究に役立つ

In May 2018, the strict rules about how this data can be used were strengthened. The NHS is committed to keeping patient information safe and always being open about how it is used.

2018年5月からのルールの厳格化に対応し、患者個人情報の安全と利用の透明化

You can choose whether your confidential patient information is used for research and planning.

プランニングと研究目的の利用（二次利用）については、意思表示が可能（医療目的については拒否不可能）

To find out more visit: [nhs.uk/your-nhs-data-matters](https://nhs.uk/your-nhs-data-matters)

You can choose whether your confidential patient information is used for research and planning.

以下は二次利用についての記載

二次利用の目的は、プランニングと研究目的。  
なるべく匿名化するが、患者個人情報を用いる場合がある

Confidential patient information is used to plan the number of doctors and nurses in your local hospital. Wherever possible we try to use data that does not identify you, but sometimes it is necessary to use your confidential patient information.

患者個人情報とは、個人が特定でき、かつその人の健康や治療について示す情報

Confidential patient information identifies you and says something about your health, care or treatment. You would expect this information to be kept private. Information that only identifies you, like your name and address, is not considered confidential patient information and may still be used: for example, to contact you if your GP

二次利用が可能なのは、NHS、自治体、大学や病院の研究者、新たな治療法の研究を行う医学部や企業

It is used by the NHS, local authorities, university and hospital researchers, medical colleges and pharmaceutical companies researching new treatments.

You can change your choice at any time.

### Making your data opt-out choice

You can choose to opt out of sharing your confidential patient information for research and planning. You can opt out of your confidential patient information being used: for example, to plan the number of doctors and nurses in your local hospital. Wherever possible we try to use data that does not identify you, but sometimes it is necessary to use your confidential patient information for research and planning.

患者個人情報の二次利用についてオプトアウトすることができる。  
しかし、オプトアウトした場合でも、疾病大流行時等には情報を利用することがある。またオプトアウトしても、個別の臨床研究の参加に同意することが可能

### Will choosing this opt-out affect your care and treatment?

No, your care and treatment will still be the same. Choosing to opt out of your confidential patient information being used for screening services, such as screenings for bowel cancer.

オプトアウトしても、本人の医療のための情報利用は行われる。診療には影響しない。

### What should you do next?

You don't need to be happy about your confidential patient information being used for research and planning. If you do not want your confidential patient information to be used for research and planning, you can choose to opt out securely online or through a telephone.

患者個人情報の二次利用に問題がなければ、なにもしなくてよい。  
二次利用してほしくない場合は、オンラインまたは電話で意思表示をする。

決定はいつでも変更可能

## 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業 (BINDS)

### 事業概要

高度な技術を有する最先端研究者による支援や大型施設・装置の原則無料での利用等により、大学・研究機関等による研究等を支援する。こうした支援により、我が国の幅広いライフサイエンス研究の成果を医薬品等としての実用化につなげることを目指す。

### 事業期間

事業期間：平成29年度～平成33年度

### 事業概要

全国の研究者に以下の研究支援を行う。

- ①大型施設・装置の原則無料利用  
・利用可能な施設・装置

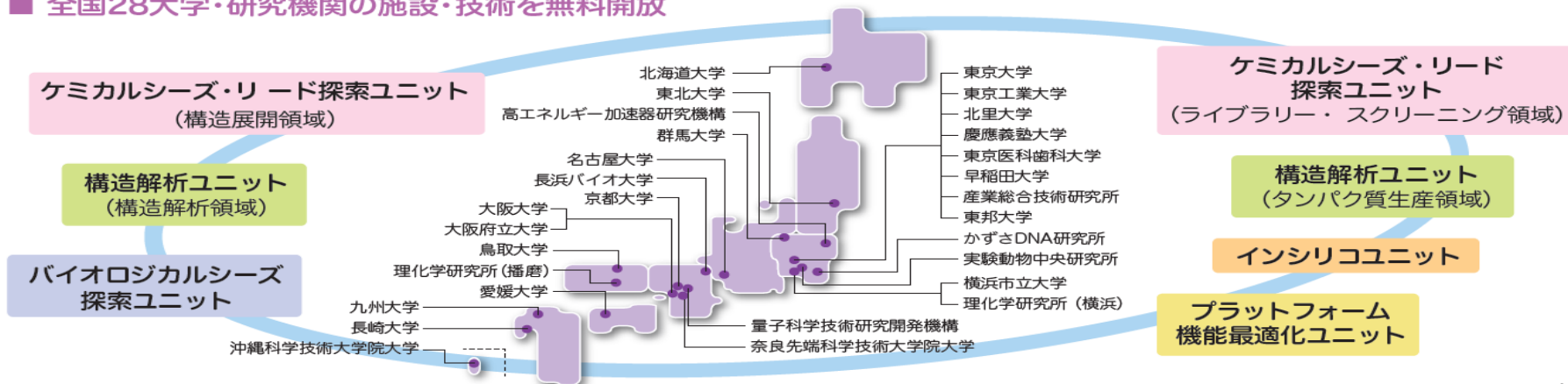
(クライオ電子顕微鏡、放射光施設、化合物ライブラリー、次世代シーケンサー)

- ②最先端研究者によるサポート

「ケミカルシーズ・リードユニット」、「構造解析ユニット」、「バイオロジカルシーズ探索ユニット」、「インシリコユニット」、「プラットフォーム機能最適化ユニット」の5ユニットによる多角的な研究支援

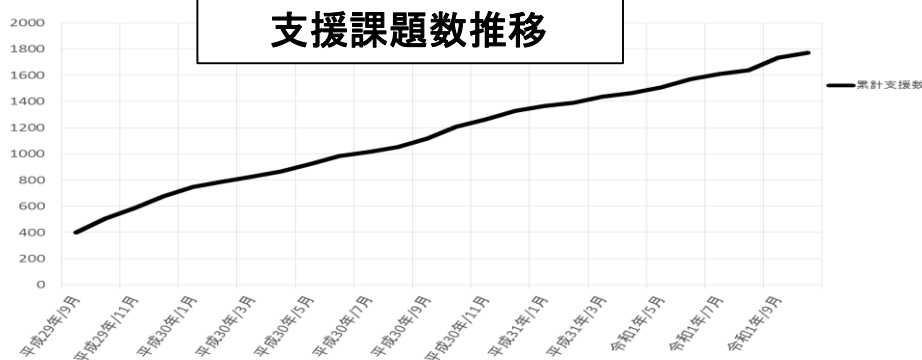


#### ■ 全国28大学・研究機関の施設・技術を無料開放



## 支援実績

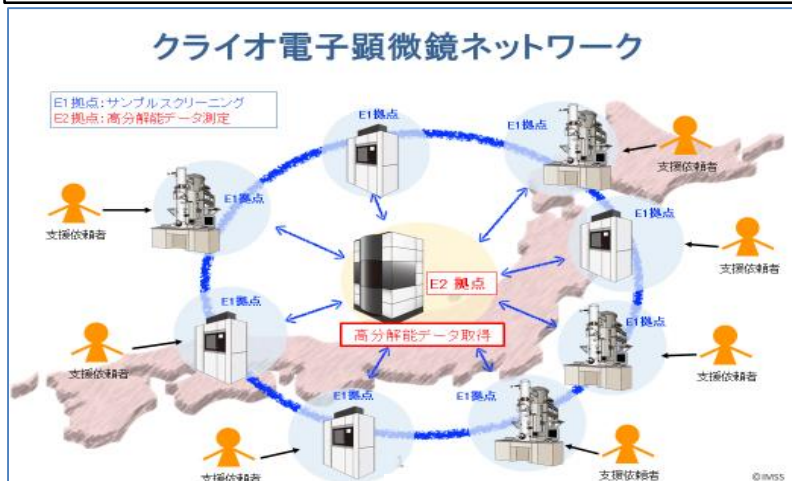
- 支援窓口の一本化などにより、平成29年8月のBINDSの本格稼働以降、累計1,700件以上（令和元年10月現在）の課題を支援。
- 「企業利用ルール」を策定、産学共同利用を促進。
- 平成30年度のみで導出37件を達成。



### 成果事例①

#### クライオ電子顕微鏡ネットワークの構築

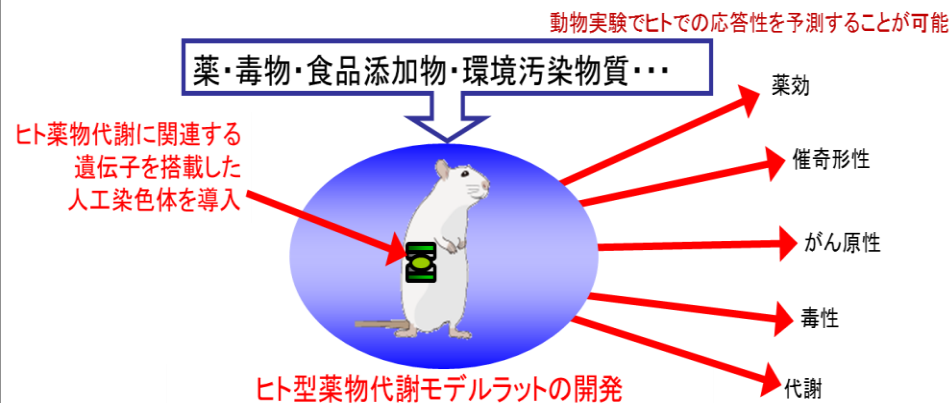
- 国内の有限な電顕資源の有効活用を目的とした ネットワークを構築。



### 成果事例②

#### 開発中医薬品の臨床予測性向上に関する技術開発

- ヒトに対する有効性・副作用予測精度の向上により、医薬品研究開発の迅速化と成功確度の向上に貢献。

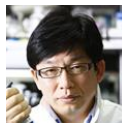


# 【再生医療分野における取組・成果】

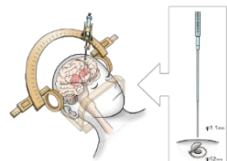
## 臨床研究・治験の代表例

京都大学 高橋 淳 教授 他

パーキンソン病に対する他家iPS細胞を用いた  
医師主導治験

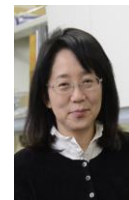


- パーキンソン病に対して、他家由来iPS細胞からドパミン神経前駆細胞を作製し、移植する医師主導治験。  
現在、1例実施。(予定症例数：7例)。

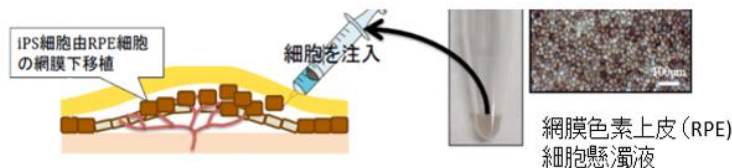


iPS細胞から分化誘導したドパミン神経前駆細胞(約500万個)を、注射針のような器具を用い、パーキンソン病の患者の脳に細胞を注入する。

理研 高橋政代プロジェクトリーダー(当時) 他  
加齢黄斑変性に対する他家iPS細胞  
を用いた臨床研究



- 加齢黄斑変性に対して、健康人ドナー(他家)由来iPS細胞から網膜色素上皮細胞(RPE)を作製し、移植する臨床研究。
- 平成29年に予定症例数(5例)の移植を完了。
- 1年間の経過観察を経て、安全性を確認。

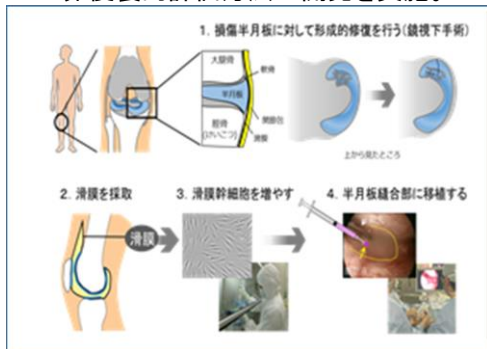


東京医科歯科大学 関矢一郎教授 他

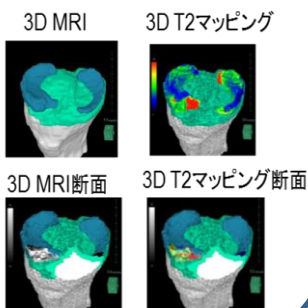
半月板損傷患者を対象とした幹細胞移植による  
医師主導治験



- 滑膜幹細胞を移植する医師主導治験。
- 非侵襲的評価方法の開発を実施。



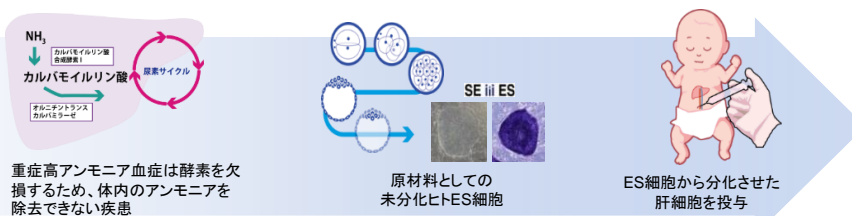
半月板



国立成育医療研究センター 梅澤明弘副所長 他  
重症高アンモニア血症を生じる先天性代謝異常症  
に対するヒトES細胞製剤に関する医師主導治験



- 重症高アンモニア血症を生じる先天性代謝異常症に対し、ヒト胚性幹(ES)細胞由来の肝細胞製剤を移植することで、根本治療である肝臓移植までの橋渡し治療とする、医師主導治験。
- 平成29年度末に治験届を提出。

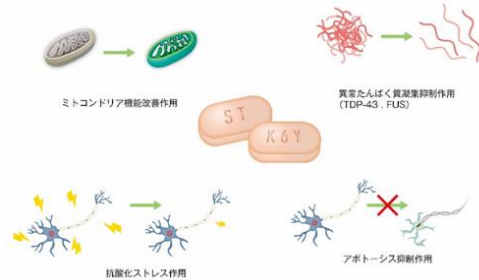


# 創薬・産業化基盤整備等の代表例

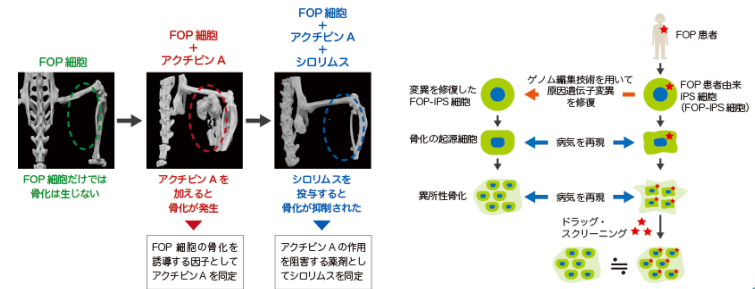
慶應義塾大学 岡野栄之教授 他  
筋萎縮性側索硬化症(ALS)への疾患特異的  
iPS細胞を活用した創薬研究と同定されたロ  
ピニロール塩酸塩の医師主導治験



ALSに対する  
ロピニロール  
塩酸塩の期  
待される作用

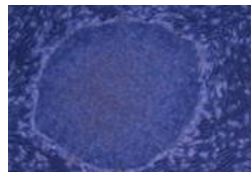


京都大学 戸口田淳也教授 他  
疾患特異的iPS細胞を活用した進行性骨化性  
線維異形成症(FOP)の進行を抑える薬剤の同  
定(シロリムス)と医師主導治験



## 京都大学iPS細胞研究所(CiRA)

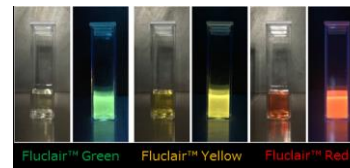
日本人の約40%をカバーする  
HLAホモドナー由来iPS細胞株  
のストックを作製、提供



[Caption]  
iPS cells derived from adult human dermal fibroblasts  
[Photo credit]  
Shinya Yamanaka, CiRA

## 再生医療の産業化に向けた装置や周辺商品の実用化

- iPS細胞大量自動培養装置「iACE2」(株)日立製作所
- 幹細胞標識用超低毒性量子ドット「Fluclair™」(富士フイルム和光純薬工業(株))
- ヒトiPS細胞培養液「ReproMed™ iPSC Medium」(株)リプロセル



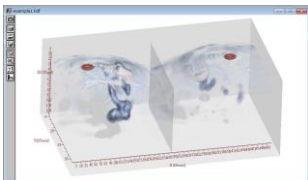
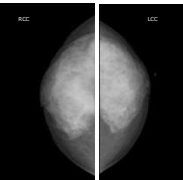
# 【医療機器分野における取組・成果】

# 具体的な成果事例



## ◆次世代乳癌スクリーニングのための「マイクロ波散乱場断層イメージングシステム」の開発

X線マンモグラフィでは検出が難しかった高濃度乳房においても、がんが検出できるプロトタイプ機を完成。



X線マンモグラフィで撮影した乳がん患者の乳房  
乳房全体が白く写る高濃度乳房の特徴がみられ、がん組織と正常組織の判別が困難。

本技術：がん組織を立体的に可視化（同じ患者での比較）

(医療分野研究成果展開事業先端計測分析技術・機器開発プログラム)

## ◆安全性と医療効率を両立するスマート治療室の開発

術中MRIや医療機器をネットワーク化し画像やデータを確認しながら脳腫瘍などの手術を行うことで、正確で安全な手術が可能となり、また、手術の効率化により、患者の負担も軽減される。



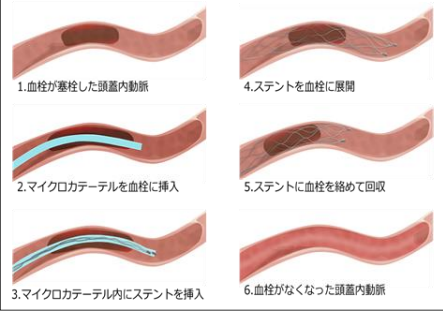
(未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業)

## ◆日本で開発された最初のステント型血栓除去デバイス

急性期の虚血性脳梗塞治療を目的としたステント型血栓除去デバイス



### ステント型血栓除去デバイスによる治療方法



(医工連携事業化推進事業)

## ◆AIを用いた診断支援ソフトウェアの開発と承認

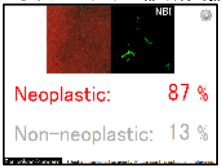
大腸がん抑制を可能とする、人工知能にもとづく内視鏡診断支援ソフトウェア(EndoBRAIN)を開発し承認を取得。

学習画像ビッグデータ  
国内5施設より  
計6万枚の画像を収集

**Pmda**  
2018年12月薬事承認



AIによるリアルタイム診断支援



(医療機器開発推進研究事業)

## ◆医療機器開発人材育成

医療機器に関する研究開発の実績がある11医療機関にてニーズ発見及び研修プログラムを実施するとともに、臨床現場に企業人材が参加するための各種ルール整備を行うことにより、人材育成を推進。

- 講習数(延べ):約1,000講義(H30年度は約100講義)
- 参加人数(延べ):約4,000人(H30年度は約500人)
- 臨床現場等見学者数(延べ):約4,100人(H30年度は約800人)
- 医療機関及び企業との連携数(延べ):約1,000件(H30年度は約300件)



(国産医療機器創出促進基盤整備等事業)

## ◆ロボット介護機器開発

高齢者の自立支援と介護者の負担軽減に資する機器の開発を促進。介護現場への導入に必要な基準作成・標準化等の環境整備及び、効果測定・評価手法の開発も実施。



開発された製品の例

(ロボット介護機器開発・標準化事業)

## ◆医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援

タイ、ベトナム、インドネシア等で現地におけるニーズを十分に踏まえた医療機器開発7課題を実施。令和元年度は5課題が現地での申請、事業化へ向けて開発中。

(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)



# 医療機器開発支援ネットワーク

- 平成26年10月に、「医療機器開発支援ネットワーク」を立ち上げ。
- **AMEDを事務局として、事務局サポート機関と76の地域支援機関に「ワンストップ窓口」を設置。**
- **相談件数は約1,610件に達し、このうち、専門家による助言（伴走コンサル）は約700件。**
- **異業種**（電機電子・自動車部品・化学・光学・製薬等）から相談増。
- 地域支援機関と連携し、**伴走コンサルの地方開催**（福島、石川、大阪、福岡等）も実施。

（令和元年8月31日時点）

## 主な地域支援機関

● 医療機器生産額 ▼ 伴走コンサル地方開催

### 【北海道・東北地区】

- 北海道科学技術総合振興センター ○青森県
- いわて産業振興センター ○秋田県 ○宮城県
- 山形県産業技術振興機構
- ふくしま医療機器産業推進機構

### 【近畿地区】

- 滋賀県産業支援プラザ
- 京都産業21 ○大阪商工会議所
- 神戸医療産業都市推進機構
- 奈良県地域産業振興センター
- わかやま産業振興財団

### 【中国地区】

- 鳥取県産業振興機構
- 岡山県産業振興財団
- ひろしま産業振興機構
- 山口県産業技術センター

### 【九州地区】

- 福岡県 ○佐賀県地域産業支援センター ○熊本県
- 大分県 ○宮崎県 ○鹿児島県 ○沖縄県産業振興公社

### 【関東地区】

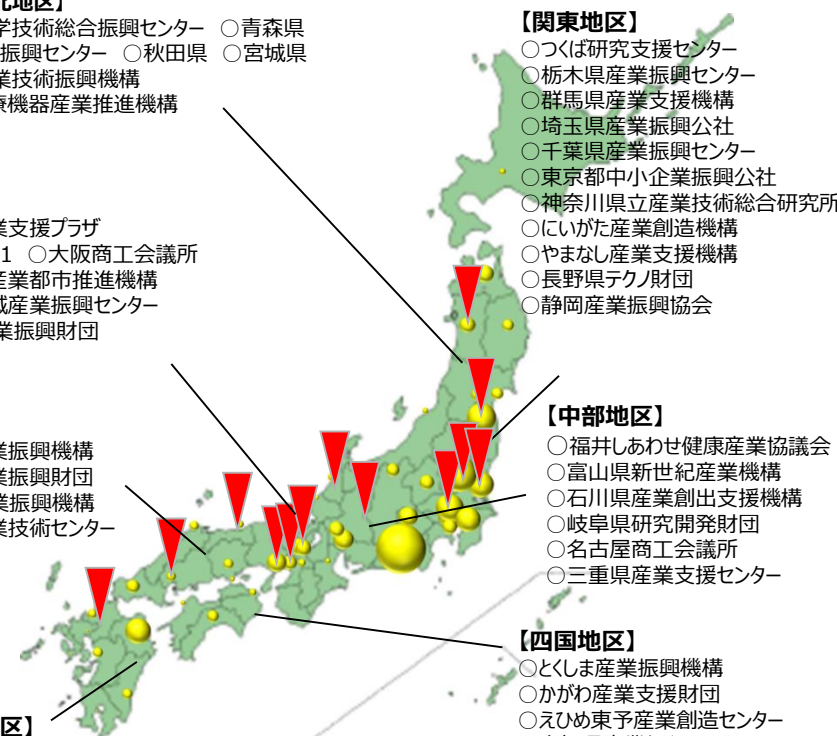
- つくば研究支援センター
- 栃木県産業振興センター
- 群馬県産業支援機構
- 埼玉県産業振興公社
- 千葉県産業振興センター
- 東京都中小企業振興公社
- 神奈川県立産業技術総合研究所
- にいがた産業創造機構
- やまなし産業支援機構
- 長野県テクノ財団
- 静岡産業振興協会

### 【中部地区】

- 福井しあわせ健康産業協議会
- 富山県新世紀産業機構
- 石川県産業創出支援機構
- 岐阜県研究開発財団
- 名古屋商工会議所
- 三重県産業支援センター

### 【四国地区】

- とくしま産業振興機構
- かがわ産業支援財団
- えひめ東予産業創造センター
- 高知県産業振興センター



ネットワークによる伴走コンサル  
（企業・大学等に対するワンストップ支援）

「実証事業」のノウハウを活用した「伴走コンサル」により切れ目ない支援を実施

マーケティング・  
ファイナンス戦略

上市

販売・  
マーケティング

規制対応

製造・サービス  
供給体制

生産・  
知財戦略

開発・試験

事業・  
海外戦略

市場探索  
コンセプト設計

医療機器開発支援ネットワーク（事務局：AMED）

#### 地域支援機関

〔自治体・商工会議所  
・公設試 等〕

連携・  
支援

#### 専門支援機関

〔PMDA・産総研・JST・JETRO  
・国衛研・医療機器センター 等〕

医療機関、コンサルタント企業・機関、販売業界、学会、金融機関・ファンド