

令和3年度研究事業実施方針（案）の概要 【AMED研究】

研究事業名	AMED 6プロジェクト					
	PJ1	PJ2	PJ3	PJ4	PJ5	PJ6
創薬基盤推進研究事業	●					
臨床研究・治験推進研究事業	●					●
医薬品等規制調和・評価研究事業	●					
創薬支援推進事業	●					
医療機器開発推進研究事業		●				
開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業		●				
革新的医療シーズ実用化研究事業						●
再生医療実用化研究事業			●			
ゲノム創薬基盤推進研究事業				●		
革新的がん医療実用化研究事業	●	●	●	●	●	
認知症研究開発事業				●	●	
障害者対策総合研究開発事業（精神障害分野）				●		
障害者対策総合研究開発事業（その他）				●		
新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業	●					
難治性疾患実用化研究事業	●	●	●	●	●	
地球規模保健課題解決推進のための研究事業（国際課分）						●
地球規模保健課題解決推進のための研究事業（厚生科学課分）						●
成育疾患克服等総合研究事業	●			●		
循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業		●		●	●	
女性の健康の包括的支援実用化研究事業				●	●	
腎疾患実用化研究事業	●				●	
免疫アレルギー疾患実用化研究事業	●			●	●	
移植医療技術開発研究事業				●		
慢性の痛み解明研究事業					●	
エイズ対策実用化研究事業					●	
肝炎等克服実用化研究事業	●			●	●	
長寿科学研究開発事業					●	
「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業				●		
医工連携・人工知能実装研究事業				●		
メディカルアーツ研究事業				●		

事業概要(背景・目的)

○ わが国における健康長寿社会実現に向けて、世界最高水準の医療の提供に資する医薬品研究開発を進める必要がある。医薬品創出に資する基盤技術研究を実施し、医薬品の開発過程の迅速化・効率化を推進する。

※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」(令和2年3月閣議決定)

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

新PJ(モダリティ)区分	要求額(千円)
医薬品	2,283,950
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
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	2,283,950

令和3年度概算要求のポイント

○これまで、産学官共同創薬研究プロジェクト(GAPFREE)の下、参画企業も一定の研究費を拠出して、臨床データへのアクセス等、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てきたが、その仕組みを活用しつつ、リバース・トランスレーショナル・リサーチ(rTR)による創薬研究を進める等、医薬品としての開発目標を具体的に定めること等により、公益性の観点も踏まえつつ、より効率的に支援する。

○これまで、アジュバントの実用化に向けた製造技術等アジュバントに係る研究を支援してきたが、近年、ワクチンの適応領域は、感染症領域から非感染症領域へも拡大する可能性が示されつつあり、ワクチン開発に重要なアジュバントの創薬技術の研究とあわせて、非感染症領域における革新的なワクチン及びアジュバントに係る創薬基盤技術の研究を支援する。

※医療分野研究開発推進計画(第2期)(令和2年3月閣議決定)

①医薬品プロジェクト 研究開発の重点テーマ例：DNAワクチン等の予防・治療用ワクチン、アジュバント技術

これまでの成果概要等

○ 中分子創薬に資する次世代創薬ライブラリーを作成し、このライブラリー化合物はハイスループットスクリーニングにおいて、一般低分子化合物より格段に高いヒット率(約130倍、AI学習によりさらにその10倍)を有することを確認。

○ GAPFREEにおいて、治療抵抗性がんに対する抗IL-6抗体を用いた臨床試験等を実施。さらに、DNAメチル化解析等に有用なエピゲノム解析におけるホルマリン包埋切片での測定等新しい評価技術系を確立。

○ フロー合成による不斉炭素化合物(4化合物)の合成法や、ミリ秒単位でのペプチドの新規合成法等の革新的医薬品合成方法を確立。

①臨床研究・治験に移行した研究開発 16件(令和元年度 1件)

②承認申請・承認等に至った研究開発 0件(令和元年度 0件)

③特許申請・登録等に至った研究開発 50件(令和元年度 13件)

④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施 2件(令和元年度 0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)

Funding for Research to Expedite Effective drug discovery by Government, Academia and Private partnership

増額

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

- ・ 産学官共同臨床情報活用創薬プロジェクト
- ・ 産学官共同Mission-oriented(MO)型プロジェクト
- ・ 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

増額

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
- ・ DNAワクチン等の予防・治療用ワクチン、アジュバントに関する研究 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

核酸や特殊ペプチド等を含む中分子医薬品や、細胞治療薬等の新たなモダリティについて、その妥当性や有効性の検証系の構築が課題となっていることから、これらに対する新たな評価系技術の開発、及び医薬品レベルでの製造・品質管理に係る基盤技術等の実用化を目指す研究開発を支援する。

⑤ 薬用植物の新たな育種、栽培、生産技術等に関する研究

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

期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】

健康・医療戦略における本事業の成果目標を「モダリティ・先進手法に関する採択課題割合 40%(令和2年度～令和7年度)」と設定している。

[令和3年度単年で合計 40%]

【期待されるアウトカム】

健康・医療戦略における本事業の成果目標を「創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 6件(令和2年度～令和7年度)」と設定している。

[令和3年度単年で合計 1件]

臨床研究・治験推進研究事業

令和3年度要求額

3,760,000千円

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移行できるもの: 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する。

新PJ(モダリティ)区分	要求額(千円)
医薬品	3,560,000
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
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	200,000
計	3,760,000

令和3年度概算要求のポイント

<医薬品プロジェクト>

- 重篤で有効な治療方法が乏しい疾患の医薬品で、患者数が少ない等の理由で検証的臨床試験の実施が困難な場合において、疾患登録システムを薬事承認申請に利用可能な比較対照等として利活用し、効率的な臨床研究・治験の実施を図る研究を推進する。
- 医療現場の要望を踏まえ、アカデミアが保有するシーズ等の早期実用化を目指す研究の拡充をする。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採算性が低く、対象患者の特殊性から、企業の自発的な参入が困難な領域において、「臨床POC等のエビデンスが不十分なシーズ」や「市場性が低いシーズ」について支援する。

これまでの成果概要等

<医薬品プロジェクト>

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(令和元年度) 11件
 - ・希少がんであるHER2 陽性胆道癌に対して、患者レジストリを活用した治験を計画し、多施設共同医師主導治験を開始した。
 - ・RSウイルス感染により重篤化リスクを伴う新生児、乳児及び幼児を対象としたパリビズマブの多施設共同非対照非盲検試験を開始した。
- ②承認申請・承認等に至った研究開発(令和元年度) 4件
 - ・デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するエクソン53スキップ治療薬(NS-065/NCNP-01)の早期探索的臨床試験(令和2年3月承認)
 - ・造血細胞移植における肝中心静脈閉塞症に対するdefibrotideの国内導入のための研究(令和元年6月承認)

<シーズ開発・研究基盤プロジェクト>

- 平成28年度に、生物統計家育成拠点として「東京大学大学院」と「京都大学大学院」を各々核とする2拠点を選定、製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基として、産学官が一体となった環境整備事業を開始した。現在の修了者数、在籍者数は下記の通り
- 第一期生 合計20名(令和2年3月修了、約8割がアカデミアに就職)
 - 第二期生 合計19名(在籍中)
 - 第三期生 合計18名(在籍中)

具体的な研究内容等

<医薬品プロジェクト>

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

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を支援

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

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

増額

- ・希少疾病等において、未だ有効性、安全性が確立していない医薬品について、その開発を目指す臨床研究・医師主導治験の
プロトコール作成に関する研究
- ・既に作成済みのプロトコール(又はプロトコール骨子)に基づいて実施する医薬品に関する臨床研究・医師主導治験の推進 等

<シーズ開発・研究基盤プロジェクト>

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に係る体制整備として、卒後教育体制の強化、定員の適正化(令和3年度入学から定員を各拠点10名→5名以上へ適正化)及び社会人入試(Uターン人材確保)等を行い、産学官が一体となった枠組を継続しつつ実施していく。

期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】

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、医師主導治験等を実施する。2021年度中に3件の企業への導出を目指す。

【期待されるアウトカム】

研究成果が企業への導出・早期承認につながることで、一日も早く革新的医薬品が患者に届くことに貢献する。

健康・医療戦略(令和2年度～令和6年度までのKPI)

- ・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 10件
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行件数 40件

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	1,696,853
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
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	1,696,853

令和3年度概算要求のポイント

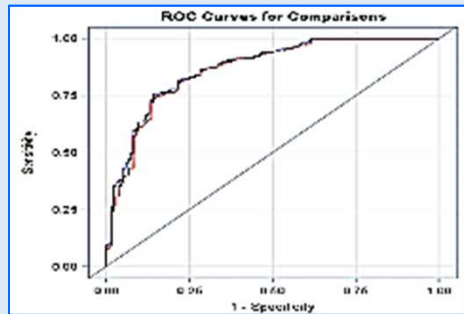
最先端技術を用いた革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品等の品質、有効性、安全性の評価手法の開発に関する研究を推進しつつ、令和3年度は以下の点を重点項目とする。

- 新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究
- 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究
- 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究

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)

図1. 国際検証試験における不整脈リスク予測精度



▶ ヒトiPS細胞由来心筋を用いた薬剤性不整脈の予測評価系の国内・国際検証試験を実施し、ICH S7B/E14における議論を開始した（図1、平成30年11月）。

Blinova et al.,
Cell Reports,
2018



CIIPAイニシアチブ会議にて本研究班がセッションを企画。薬物濃度としてフリー体を用いた日本のデータを適用すると、不整脈予測精度がさらに向上することを示した（ROC曲線下面積0.872→0.978）。

▶ iPS細胞由来心筋を用いた心収縮評価法を開発するとともに、FDA、NIHらのグループと協働でコンセプトペーパーを作製した（図2、令和元年8月）。

Ribeiro et al.,
Frontier in Pharmacol, 2019

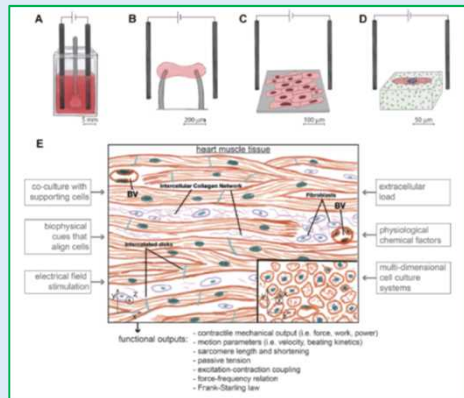


図2. ヒトiPS細胞由来心筋細胞を用いた心収縮評価法



多点電極法を用いたベストプラクティスに関する論文をICHグループと共同で令和2年度に発表予定。ペーシングによる評価系の開発も継続中。

細胞加工製品の造腫瘍性評価における多施設共同研究（平成29年度～令和元年度）

▶ 細胞加工製品の造腫瘍性関連試験法の多施設における比較・検証を官民共同体制（MEASUREプロジェクト）で実施し、当局を含めた関係者間で造腫瘍性評価の考え方と試験法におけるコンセンサスを構築した。さらに、国際コンソーシアム（HESI: Health and Environmental Sciences Institute）にて意見交換を行い、留意点文書として発表した（図3、令和元年11月）。

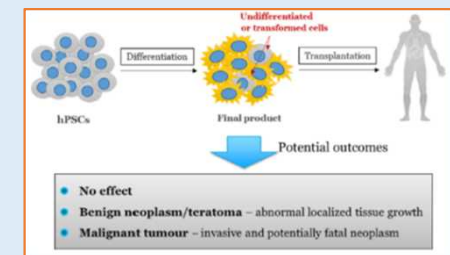


図3. 細胞加工製品の造腫瘍性
Sato et al., Cytotherapy,
2019

具体的な研究内容等

課題・背景

- 「医療分野研究開発推進計画(第2期)(案)」では、「医療現場のニーズに応える医薬品の実用化」のため、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行うことが求められている。具体的には、各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法、製造技術等の開発を行う、とされている。
- ガイドラインの国際協調を図ることは、グローバルな医薬品承認のタイムラグを最小化する上で極めて重要な要因であり、日本が主導して評価法を開発し、国際動向をリードする必要がある。
- サプライチェーンのグローバル化は原料の安定供給や品質等の課題を孕んでいる。高品質な医薬品の安定供給のため、連続生産等、各種先進技術の医薬品製造・品質評価・管理技術への応用が期待されている。

令和3年度研究の概要

新規公募課題を大きく3つのテーマにまとめる。公募研究の例を示す。

新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究

- 核酸医薬品や中分子医薬品等の新規モダリティ医薬品の品質・安全性の具体的な評価手法を開発し、審査指針の根拠となる科学的データをまとめる。

医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究

- ヒトiPS細胞から分化させた心筋細胞を用いて、不整脈や収縮毒性、腫瘍循環器毒性等の心毒性を評価する手法を開発し、バリデーションを経て国際標準化を行う。

医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究

- 先端的分析技術・センシング技術等を用いたプロセス解析工学的技術の、医薬品等の評価要件・技術要件を明確化し、原薬の連続生産など革新的製造技術の導入を促進する。

研究の成果・活用

- 新規モダリティ医薬品の品質・安全性評価手法確立による開発環境の整備
- ヒトiPS心筋を用いた心毒性評価法の国際標準化
- 先進技術を用いた評価技術の確立による、高品質な医薬品の国内安定供給

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

期待されるアウトプット、アウトカム

【アウトプット】

新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合を70%にすることで、革新的な物も含めて医薬品等の品質・有効性・安全性に係る各種試験系・評価系の薬事規制における活用や、各種評価に携わる人材の育成、システム等の環境整備等に資するエビデンスを得る。

【アウトカム】

革新的な医薬品等の承認審査における留意点が明確化することによる開発の効率化・予見性の向上及び国際的な規制調和の推進によるわが国発の医薬品等の国際展開への寄与が期待される。

創薬支援推進事業

令和3年度要求額 3,894,640千円

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を推進し、創薬シーズの早期実用化を図る。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、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。

新PJ(モダリティ)区分	要求額(千円)
医薬品	3,894,640
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
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	3,894,640

令和3年度概算要求のポイント

- 創薬支援ネットワークにおける、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支援を引き続き推進する。特に、令和3年度は、令和2年度から構築を開始する中分子ライブラリー等も活用し、中分子化合物やバイオ医薬品に特化した、課題の募集及び支援を実施する。(拡充・令和3年度新規採択数の増)
- 一疾患あたりの症例数が少なく、治療法が確立されていない疾患に関する治療法開発の必要性は高い。引き続き、希少疾病領域の医薬品開発支援を推進する(拡充・令和3年度新規採択数の増)

これまでの成果概要等

【これまでの成果概要等】
 シーズ評価と創薬支援(令和2年3月末時点)
 ・相談・シーズ評価 1,659件
 ・有望シーズへの創薬支援 142件
 ・企業への導出(ライセンスアウト) 9件

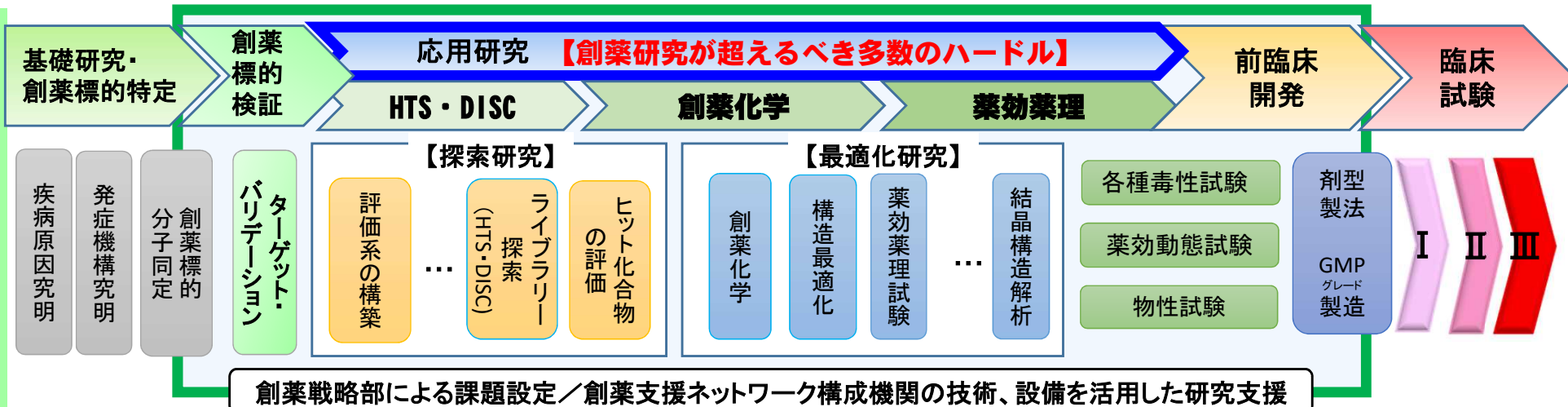
(参考)
 ①臨床研究・治験に移行した研究開発(令和元年度末) 0件
 ②承認申請・承認等に至った研究開発(令和元年度末) 0件
 ③特許申請・登録等に至った研究開発(令和元年度末) 0件
 ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(令和元年度末)
 定義次第だが、支援件数は上記の【これまでの成果概要等】に記載のとおり

○企業への導出(ライセンスアウト) (令和2年3月末時点)

課題名	モダリティ	導出時期
新規がん免疫アジュバントの探索	低分子化合物	平成29年3月
がん間質を標的とした抗体・薬物複合体の開発	抗体-薬物複合体	平成29年3月
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	低分子化合物	平成29年9月
NF-κB標的遺伝子の発現を阻害する抗がん剤の探索	低分子化合物	平成30年3月
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	低分子化合物	平成30年9月
HSVワクチンの探索	ワクチン	平成31年3月
神経再生促進作用を持つ脊髄損傷治療薬の探索	核酸	令和元年5月
熱帯性ウイルスへの新規ワクチンの開発	ワクチン	令和元年6月
緑内障を対象とした神経保護薬の探索	低分子化合物抗体	令和2年3月

具体的な研究内容等

① 創薬総合支援



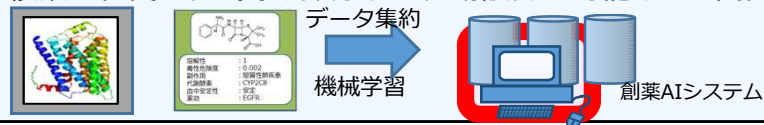
② 創薬支援 効率化

②-1 産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)の推進
HTS用の化合物ライブラリを整備し、アカデミア発創薬の支援

低分子ライブラリ
製薬企業がHTS用の化合物を提供

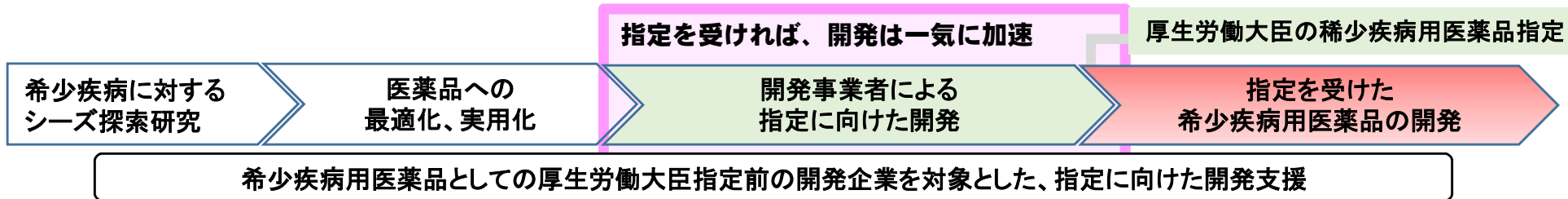
中分子ライブラリ
産学連携し合成展開可能な化合物ライブラリを構築

②-2 産学連携による次世代創薬AI開発
産学の保有する創薬標的、薬効、毒性データの集約
複数の性質の同時予測、分子の自動設計が可能なAIの開発



創薬支援を効率化するための基盤技術開発、体制構築

③ オープン 指定前支援



④新型コロナウイルス感染症(COVID-19)に対するワクチン開発(令和2年度第一次補正予算により実施)

期待されるアウトプット、アウトカム

- 期待されるアウトプット: 支援能力を向上させた創薬支援ネットワークにより、大学等の創薬シーズの開発を促進し、企業導出につなげる(令和2~6年度で10件)
希少疾病用医薬品指定申請に必要な試験の完遂、COVID-19に対するワクチンの開発の加速
- 期待されるアウトカム: 大学や公的研究機関等の研究者が保有する創薬シーズの医薬品としての実用化
希少疾病用医薬品を含む革新的医薬品の創出効率向上

事業概要(背景・目的)

○ わが国の医療機器の開発や製品化は、欧米に遅れを取ることが多く、先駆け審査指定制度等により開発を促進させる取組を実施している。今後、国際競争力・効率性の高い医療機器の開発を、重点分野を定めた上で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小児領域のアンメットメディカルニーズ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する。

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	1,430,358
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	1,430,358

令和3年度概算要求のポイント

○ 献体を用いた医療機器の開発が可能な施設の整備が進んだこと等の理由により、従来はヒトでの検証が必要とされた医療機器の開発であっても、臨床試験に代わる適切な非臨床試験を実施することにより承認取得を目指すことが可能となってきた。このような非臨床試験のデータを用いた承認取得を目指す革新的な医療機器の開発及び実用化に資するよう、臨床試験に代わる適切な検証的試験を支援する。

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等、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 29件(令和元年度 9件)
- ②承認申請・承認等に至った研究開発 6件(令和元年度 1件)
- ③特許申請・登録等に至った研究開発 20件(令和元年度 5件)
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施 14件(令和元年度 6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

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

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非臨床研究(臨床試験に代わる適切な検証的試験)・臨床研究・医師主導治験 **増額**

革新的な医療機器等を開発し、企業への導出を目指す非臨床研究・臨床研究・医師主導治験等を支援

期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】

健康・医療戦略における本事業の成果目標を「クラスⅢ・Ⅳの医療機器の開発を目指す採択課題の割合 50%(令和2年度～令和7年度)」と設定している。

[令和3年度単年で合計 50%]

【期待されるアウトカム】

健康・医療戦略における本事業の成果目標を「クラスⅢ・Ⅳの医療機器の薬事承認件数 4件(令和2年度～令和7年度)」と設定している。

[令和3年度単年で合計 1件]

開発途上・新興国等における医療技術等実用化研究事業

令和3年度要求額 366,624千円

事業概要(背景・目的)

背景

- 開発途上国・新興国は、**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、ユニバーサルヘルズカバレッジ(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(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	366,624
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	0

令和3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するとともに、医療機器会社の継続的デザインアプローチ活用のための支援体制を構築し、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。
- 課題ごとの必要とする支援形態の多様性に対応するため、従来の3年間事業支援に加え、現地ニーズ発掘及び上市妥当性検証等の支援形態を実施すべく、単年度課題を加え、多様な支援を推進する。

これまでの成果概要等

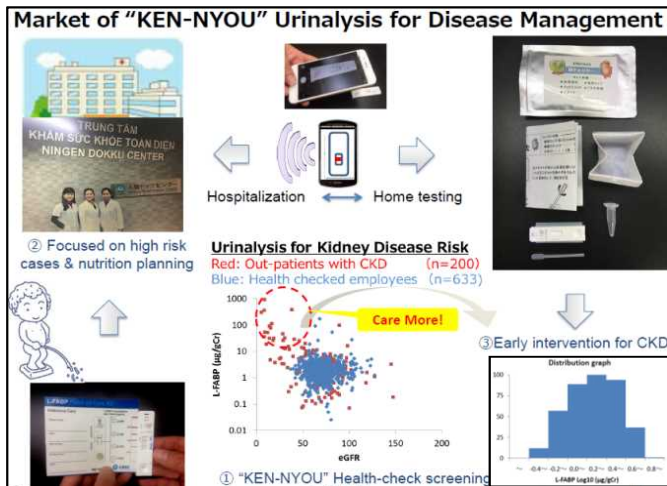
- 新興国・途上国等の公衆衛生上の課題と医療ニーズに基づいて、その課題を解決する医療機器開発に取り組み、初年度(平成29年度)に研究開発をはじめた事業者の製品の上市の目途がたった。
- 厚生労働省とAMEDは、相手国規制当局との対話等の官レベルの普及活動を行い、AMEDと研究開発事業者は、完成した製品を普及させるため、大学や研究所等での交流等の、アカデミアレベルの普及活動を開始し、さらにAMEDは外郭団体等との連携の検討を進めている。
 - 臨床研究・治験に移行した研究開発 (令和1年度末) 令和2年度開始予定 2課題(栄研化学、帝人ナカシマメディカル)
 - 承認申請・承認等に至った研究開発 (令和1年度末) 令和2年度申請予定 2課題(シミック、メトラン)
 - 特許申請・登録等に至った研究開発 (令和1年度末) 4件出願済(日本光電:3件、ライトニックス:1件)
 - 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(令和1年度末) 他事業からの移行課題4課題(シミック、栄研化学、ライトニックス、帝人ナカシマメディカル)

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
1	シミック ホールディングス 株式会社 (H29～H30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	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 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
2	日本光電工業株式会社 (H29～R1年度)	安全なバッグ換気のためのモニタ	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 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)
3	株式会社メトラン (H29～R1年度)	ベトナム国向け High-flow nasal cannula機器の 開発	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 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 (H30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	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 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
4	栄研化学株式会社 (H30～R2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	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 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
5	株式会社ライトニックス (R1～R3年度)	開発途上国のニーズに合わせた樹脂 製簡単ワクチン投与デバイスの開発	<ul style="list-style-type: none"> ✓ NTDをはじめとした感染症対策 	開発途上国におけるワクチン接種に伴う課題を 解決する医療デバイスを開発する事で、開発途 上国のワクチン接種率を向上させ、死亡率の改 善に貢献する。	タイ
6	帝人ナカシマメディカル 株式会社 (R1～R3年度)	外傷性骨折後変形治癒症例に対する カスタムメイド治療法の研究開発	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 都市化、産業化に伴う交通事故 外傷、公害病への対応 	本技術の臨床応用により骨関節機能障害の低 減による日常生活改善や審美性や知的・労働 作業への復帰を実現し、更には社会生産性の 向上と医療費の削減も期待できる	タイ

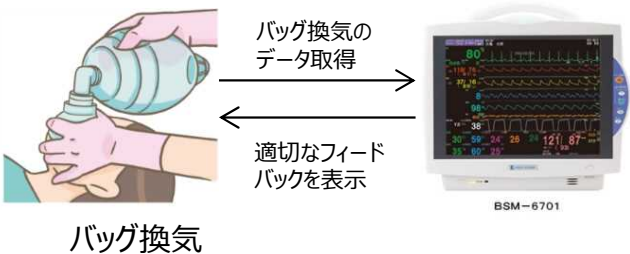
具体的な研究内容等

1



2

研究イメージ



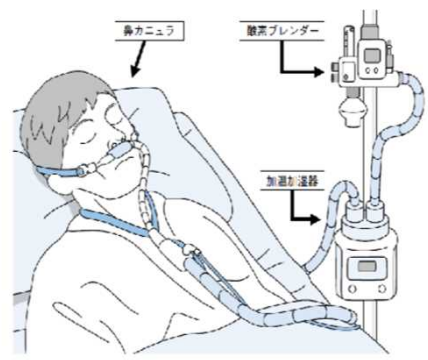
ユーザビリティ評価風景

研究課題

- 新興国における蘇生率向上のための機器及び蘇生手技の教育普及方法の検討
- 発売後の保守体制の構築

3

一般的なHFNCのイメージ図 (「がん患者の呼吸器症状の緩和に課するガイドライン2016」から抜粋)



【製品コンセプト】
 コンパクトで可搬性能に優れたハイフローセラピーシステム

病棟での呼吸管理補助から、在宅COPD患者の活動支援まで幅広い適応範囲



4

Malaria-LAMP

既存システム



安価、ロバストなLAMP装置

3種のMalaria-LAMP試薬
 Pan: マラリア5種を検出
 Pf: 熱帯熱特異的に検出
 Pv: 三日熱特異的に検出

クリニカルイメージン
 ユーザビリティ評価

サーベイランスでの使用に適したシステムへの改良

- 装置構造の細かな見直し
- 検体採取、検体管理の簡易化
- 操作補助ツールの改良および新規開発

5

■ 研究イメージ

アンメットニーズ

- ✓ 皮内投与に技術が必要
- ✓ 投与ターゲットにワクチン供給が足りない
- ✓ 物流および保管の容量が限られている



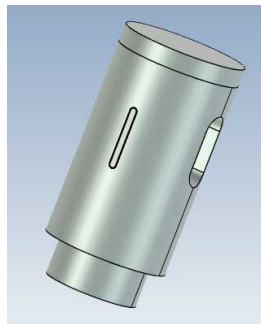
皮内投与の様子

製品コンセプト

- ✓ 簡単に使用できる
- ✓ 樹脂製の針先
- ✓ 皮内投与デバイス

皮内投与デバイスのプロトタイプ

- ✓ 押し当てるだけで投与
- ✓ 樹脂製の針先
- ✓ 使い捨て



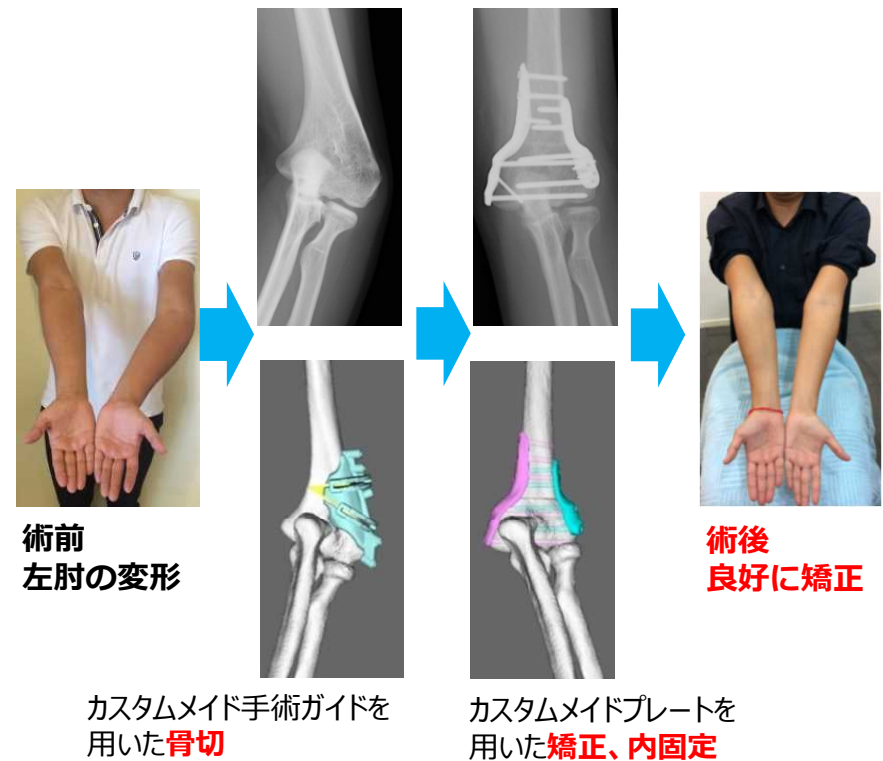
6

■ 研究イメージ

➤ アプリケーションソフト試作モックアップ



➤ カスタムメイド治療法（上肢変形矯正術）



期待されるアウトプット、アウトカム

期待されるアウトプット

- 終了研究課題につき、令和3年に3件、4～6年に3件の製品の上市を開始
- 継続的にデザインアプローチの活用を支援するサポート機関の確立

期待されるアウトカム

- 人工呼吸器使用による院内感染の低減(メトラン)、腎疾患スクリーニング効率向上(シミック)、マラリア原虫感染者発見効率向上によるマラリア排除(栄研化学)、新生児蘇生成功率の向上(日本光電)、骨関節機能障害低減によるQOL改善(帝人ナカシマメディカル)、感染症予防接種率向上(ライトニックス)
- 日本企業による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・途上国等への展開の促進

革新的医療シーズ実用化研究事業

令和3年度要求額 168,000千円

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、FIH試験やICH-GCP準拠の臨床研究・治験を支援し、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。

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	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	168,000
計	168,000

令和3年度概算要求のポイント

アカデミア発シーズの早期導出を目指すべく、拠点のARO機能を最大限に活用し、効率的かつ効果的な研究開発を推進し、速やかに実用化に繋げることを目指していく。具体的には下記の通り。

- (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、平成29年度に11課題、平成30年度に1課題採択され、令和元年度においては継続課題10課題を実施。
- ・(B)については、平成30年度に6課題採択され、令和元年度においては継続課題6課題を実施。

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(令和元年度末)10件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発(令和元年度末)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において推進している各事業で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、医療技術実用化総合促進事業の「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

- これまでの革新的医療技術創出拠点における各事業の実績や、ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット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。

期待されるアウトプット、アウトカム

○期待されるアウトプット

本研究事業は令和3年度までで終了予定であり、当該年度において全ての継続研究課題の医師主導治験の終了、企業導出が見込まれる。

○期待されるアウトカム

特に、本研究事業により医師主導治験が行われるものについては、その結果が製品の承認申請にかかる資料として活用されることが見込まれる。

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(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	3,100,000
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	0

令和3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、臨床研究及び治験を推進する。

令和3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と、それら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47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(令和元年度末)47件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発(令和元年度末)3件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発(令和元年度末)80件
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(令和元年度末)19件

具体的な研究内容等

再生医療の実用化に向け、ヒト幹細胞の腫瘍化リスクなどに対する安全性確保のための研究、機能不全となった組織や臓器の治療方法の探索のための研究、臨床研究の早い段階から出口を見据えて企業の協力を得ながらプロトコルを組む研究、ヒト幹細胞の保存方法などの確立のための研究、再生医療及び関連事業の基準設定のための研究を支援し、治験・先進医療へ着実に繋げることを目的とする。

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。



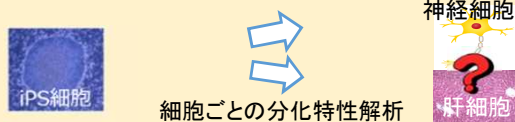
イ. 治療方法探索のための研究（拡充）

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。



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を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。



エ. 産学連携による研究（拡充）

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。



2) 創薬応用に向けた研究の支援

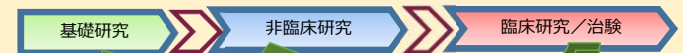
カ. iPS細胞等を利用した創薬等のための研究

臨床試験・治験の効果的・効率的な実施に向けて、ヒトiPS細胞分化誘導系等を用いた医薬品の安全性評価法の研究開発や、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。



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

研究成果をイ、エの個別事業にフィードバック

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。



ク. 再生医療等技術の国際展開のための研究

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。



これまでの成果概要等

加齢黄斑変性※に対する他家iPS細胞を用いた臨床研究



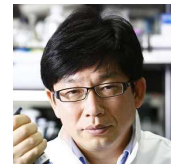
(理化学研究所・高橋 政代 プロジェクトリーダー(当時))

※加齢に伴い、眼の組織の一部(黄斑)に障害が起こり視力等が低下する疾患

- 加齢黄斑変性に対して、健常人ドナー(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。



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

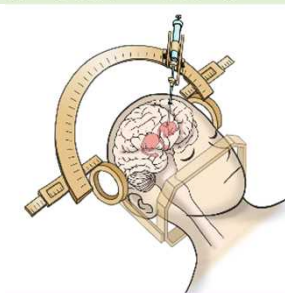


(京都大学・高橋 淳 教授)

※脳のドパミン神経細胞が減少することにより、手足のふるえやこわばり、運動障害などが生じる疾患

- 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(予定症例数:7例)。
- 平成30年10月に1例目の手術を実施。

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。



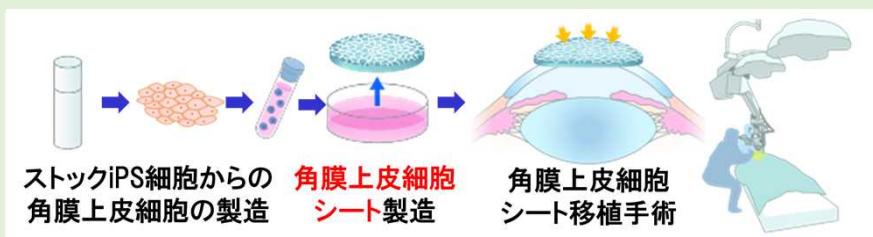
角膜上皮幹細胞疲弊症※に対する他家iPS細胞を用いた臨床研究



(大阪大学・西田 幸二 教授)

※外傷や炎症等が原因で、角膜上皮の幹細胞が傷つき、新しい角膜上皮を供給できず視力低下をきたす角膜疾患の総称

- 角膜上皮幹細胞疲弊症に対して、他家由来iPS細胞から角膜上皮細胞シートを作製し、移植する臨床研究。
- 令和元年7月に1例目の手術を実施。

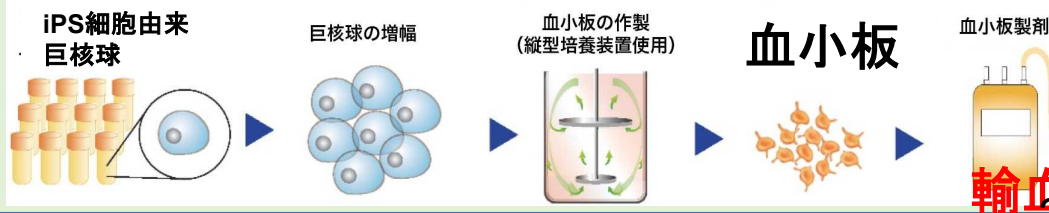


血小板減少症に対する自家iPS細胞由来の血小板輸血に関する臨床研究



(京都大学・江藤 浩之 教授)

- 再生不良性貧血※に伴う血小板減少症に対して、自己由来iPS細胞から血小板を製造し、輸血する臨床研究。
- ※血液の細胞を作っている骨髄の機能が低下しているために、血小板を含む血液中の細胞数が減少する疾患
- 令和2年1月に1例目の投与を終了。



これまでの成果概要等

亜急性期脊髄損傷※に対する他家iPS細胞を用いた臨床研究

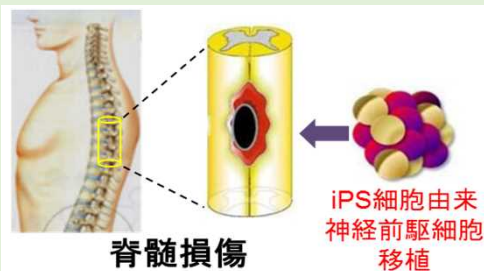
(慶應義塾大学・岡野 栄之 教授)



※外傷や血行障害などで、脳と身体をつなぐ神経の束が損傷し、麻痺を生じる疾患。亜急性期は損傷後2～4週

➢ 亜急性期脊髄損傷に対して、他家由来iPS細胞から神経前駆細胞を作製し、移植する臨床研究。

➢ 平成31年2月18日に厚生科学審議会 再生医療等評価部会において計画が了承(予定症例数:4例)。



脊髄損傷

関節軟骨損傷に対する他家iPS細胞を用いた臨床研究

(京都大学・妻木 範行 教授)



➢ 膝関節軟骨損傷の患者に対して、他家由来iPS細胞から軟骨組織※を作製し、移植する臨床研究。

※関節においてクッションの役割を果たす細胞・組織は、外傷などで一度損傷を受けると自然には治らない。

➢ 令和2年1月24日に厚生科学審議会 再生医療等評価部会において計画が了承(予定症例数:4例)。



心不全に対する他家iPS細胞を用いた医師主導治験

(大阪大学・澤 芳樹 教授)

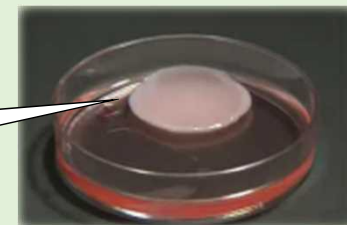


➢ 重症の心筋症に対して、他家由来iPS細胞から心筋細胞シートを作製し、移植する医師主導治験。

➢ 令和元年10月に治験届を提出(予定症例数:7～10例)。

➢ 令和2年1月に1例目の手術を実施。

心筋細胞シート



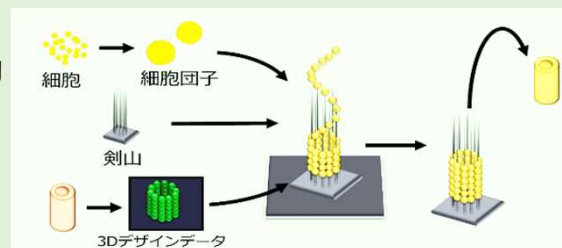
バイオ3Dプリンタによる細胞製人工血管の開発

(佐賀大学:中山 功一 教授)



➢ 末期腎不全の維持透析患者さんを対象、に人工透析治療を受けるために患者の腕に作られる「シャント」の詰まったり瘤ができたりにした箇所に細胞製人工血管をつなぎ、血流を再建する臨床研究。

➢ 令和元年11月に厚生労働大臣に再生医療等提供計画の届出され臨床研究を開始。



期待されるアウトプット、アウトカム

期待されるアウトプット

「再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト」に基づき、文部科学省事業での推進により、非臨床段階から臨床段階へ移行した課題について、切れ目なく支援を行い、臨床研究又は治験に移行する課題の拡大、再生医療等製品の薬事承認数増加を目指すとともに、iPS細胞等を用いた病態解明等を目指す。

令和7年までに、治験に移行した研究課題14件を達成することを目標としている。

期待されるアウトカム

基礎研究の成果が応用研究へ着実に移行されることでiPS細胞由来分化細胞を用いた臨床研究や医師主導治験の実施が期待される。

国内で実用化された再生医療等技術の世界的な市場展開も視野に入れた研究支援を行うことで、国際的に発信すべき細胞の安全性評価方法、製造方法や品質管理方法等の確立が期待される。

産と学のさらなる連携により、アカデミア発のシーズから速やかに企業治験(再生医療等製品の開発)につながる研究の増加も期待される。

当該研究の実施により、令和7年までに、

- ・治験に移行した課題数 14件
 - ・企業へ導出される段階に至った課題数 5件
- を達成することを目標としている。

ゲノム創薬基盤推進研究事業

令和3年度要求額 403,000千円

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。わが国でも、がんや難病の分野を中心に、ゲノム医療(個人のゲノム情報等に基づく、その人の体質や症状に適した医療)を推進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。

※経済財政運営と改革の基本方針2019(令和元年6月21日公表)抜粋
 ゲノム情報が国内に蓄積する仕組みを整備し、がんの克服を目指した全ゲノム解析等を活用するがんの創薬・個別化医療、全ゲノム解析等による難病の早期診断に向けた研究等を着実に推進するため、10万人の全ゲノム検査を実施し今後100万人の検査を目指す英国等を参考にしつつ、これまでの取組と課題を整理した上で、数値目標や人材育成・体制整備を含めた具体的な実行計画を、2019年中を目途に策定する。また、ゲノム医療の推進に当たっては、国民がゲノム・遺伝子情報により不利益を被ることのない社会を作るため、必要な施策を進める。

※ゲノム医療実現推進協議会 中間とりまとめに対する最終報告書(令和元年8月1日公表)抜粋
 「薬剤不耐性を判別する遺伝子多型検査キットの開発、ファーマコゲノミクス解析に基づく遺伝性難病治療薬の研究開発等、5年以内に医療実用化もしくは臨床研究への移行が見込める課題を支援している。」とした上で、「今後も上記考え方にに基づき、進捗管理等を行っていく。」としている。

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	403,000
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	403,000

令和3年度概算要求のポイント

個別化医療推進のため、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。令和3年度は特に、若手研究者の有望な提案を取り込んで、本研究を推進する。

これまでの成果概要等

- A.ゲノム創薬研究の推進に係る課題解決に関する研究**
- ・オミックス研究用生体試料の取扱いに関する報告書を作成し、公開した。
 - ・ゲノム解析において、本来の検査目的である一次的所見に伴い見いだされる二次的所見への対応について、検討と提言を行った。
 - ・ゲノム医療に従事するコメディカルスタッフ(看護師・薬剤師・検査技師等)を対象とした研修会を開催(延べ2000人以上が参加)し、ゲノム医療に資する人材育成に貢献した。
- 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**
- ・核酸医薬創薬に資する霊長類RNAデータベースを構築し、公的データベースとして公開した。
- 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**
- ・心筋型ファブリー病原因遺伝子のスプライシングを補正する化合物を同定し、非臨床POCを取得した。
 - ・HER2陽性乳癌患者の個別化医療につながるバイオマーカー(HSD17B4メチル化)を発見し、その有用性検証のための臨床試験を開始した。
- ①臨床研究・治験に移行した研究開発 2件(令和元年度末) ②承認申請・承認等に至った研究開発 1件(令和元年度末)
 ③特許申請・登録等に至った研究開発 2件(令和元年度末) ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施 2件(令和元年度末)

具体的な研究内容等

A.ゲノム創薬研究の推進に係る課題解決に関する研究

ゲノム創薬研究においては、研究者が各種バイオバンクの検体等を有効に利活用することが重要であることから、国内の各バイオバンクの利活用の推進を図る研究を実施する。

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

RNAの構造に関するデータ基盤を構築し、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。

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：若手研究者枠

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を行う。

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

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の機能を、高精度かつ効率よく解析する手法の開発に関する研究を行う。

(*) VUS: Variant of Uncertain Significance (意義の不明な変異)

期待されるアウトプット、アウトカム

令和2年度～令和6年度までの健康・医療戦略KPIに対応

【期待されるアウトプット】

- ・非臨床POCの取得件数 3件
- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 60件
- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載件数 60件
- ・新たな疾患発症メカニズム解明の件数 3件
- ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 6件

【期待されるアウトカム】

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 4件
- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 3件
- ・疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 3件

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	2,888,262
医療機器・ヘルスケア	359,398
再生・細胞医療・遺伝子治療	1776,453
ゲノム・データ基盤	19,997,938
疾患基礎研究	1,449,225
シーズ開発・研究基盤	0
計	26,471,276

令和3年度概算要求のポイント

第3期がん対策推進基本計画およびがん研究10か年戦略に基づき、**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。**

がん患者のより良い医療の推進のため、特に、**がんゲノム医療、免疫療法の確立、リキッドバイオプシー、AI等の新たな科学技術の利活用、基盤整備に向けシーズ探索の研究の支援、および、がんの克服を目指した全ゲノム解析等を活用するがんの創薬、個別化医療、難病の早期診断等に向けた研究を着実に推進し治療法や医療機器開発を推進する。**

これまでの成果概要等

がんの生物学的本態解明に迫る研究開発や、患者のがんゲノム情報等の臨床データに基づいた研究開発、個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発、免疫療法や遺伝子治療等をはじめとする新しい治療法の開発等を実現してきた。(令和2年3月時点)

①医薬品プロジェクト

【アウトプット】

- ・ 非臨床POCの取得件数 実績 4件 (過去3年間)
- ・ 臨床POCの取得件数 1件 (過去3年間)

【アウトカム】

- ・ シーズの企業への導出件数 2件(過去3年間)
- ・ 薬事承認件数 0件(申請中1件)(過去3年間)

②医療機器プロジェクト

【アウトカム】

- ・ シーズの他事業や企業等への導出件数 1件 (過去3年間)

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

【アウトプット】

- ・ 治験に移行した研究課題数 3件 (うち、遺伝子治療 0件) (過去3年間)

【アウトカム】

- ・ 企業へ導出される段階に至った研究課題数 3件 (うち遺伝子治療1件) (過去3年間)
- ・ 薬事承認件数 (新薬・適応拡大) 0件 (申請準備中1件) (過去3年間)

④ゲノム・データ基盤プロジェクト

【アウトプット】

- ・ 臨床POCの取得件数 3件(過去3年間)
- ・ 研究成果の科学誌への論文掲載状況 (インパクトファクター5以上) 99件 (過去2年間)

⑤疾患基礎研究プロジェクト

【アウトプット】

- ・ 研究成果の科学誌への論文掲載状況 (インパクトファクター5以上) 82件 (過去2年間)

具体的な研究内容(これまでの成果等)

プロジェクト①(医薬品)

再発又は難治性のALK陽性ALCLに対するアレクチニブ塩酸塩の開発(H27～) 国立病院機構名古屋医療センター 永井宏和

研究内容

希少疾患である再発・難治性のALK陽性未分化大細胞リンパ腫（年間発症数90人程度）に対してALK阻害剤アレクチニブの有効性と安全性を検討するための、成人・小児を対象とした医師主導治験を実施した。

本結果に基づき、企業との連携のもと、アレクチニブの本がん患者への適応拡大が薬事承認された。

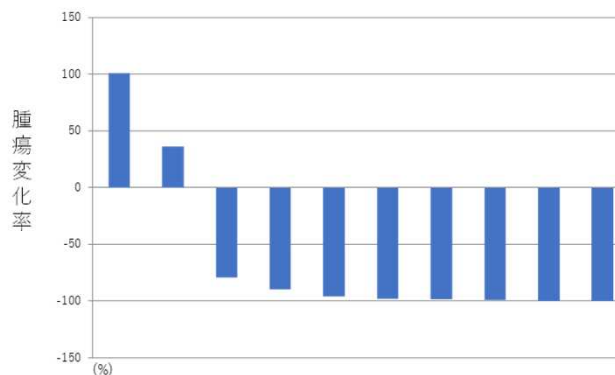
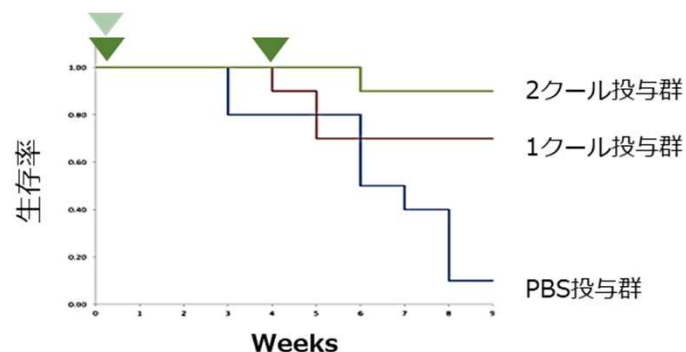


図 アレクチニブ投与による個々の症例における腫瘍量の変化
各バーが一症例を表します。全10例中8例に奏効を認めました。

Epstein-BarrウイルスによるT/NK白血病・リンパ腫治療薬候補S-FMAUの前臨床試験(H29～) 国立大学法人東北大学 児玉栄一

研究内容

EBウイルス感染による希少かつ予後が極めて不良な白血病・リンパ腫の治療開発にむけ、感染細胞により特異的にリン酸化される核酸アナログS-FMAUの非臨床研究ならびにGMP製造、診断法開発を実施した。今後非臨床試験を継続し、その後医師主導治験へと進み、その結果をもとに企業導出を目指す。



4週後に追加投与（2クール）：9週で90%生存
1クールで70%、PBSでは10%しか生存しなかった（各群10匹）

具体的な研究内容(これまでの成果等)

プロジェクト②(医療機器)

先天性巨大色素性母斑を母地とした悪性黒色腫に対する予防的低侵襲治療方法の開発～高圧処理新規医療機器の研究開発(H26～)
京都大学 森本 尚樹

研究内容

先天性巨大色素性母斑に対して、切除母斑組織を高圧処理により不活化させ、自家真皮再生に再利用できることを明らかにした。本治療に用いる高圧処置装置の医療機器承認を目指した医師主導治験を実施中である。

今後は、治験完遂を目指し、日本発の新規医療機器と新規治療法の高圧処理・組織再移植治療を世界へ発信することを目指す。



針穿刺ロボットを用いたがんに対する低侵襲治療「CT透視ガイド下アブレーション」の検証的医師主導治験(H27～)
国立大学法人岡山大学 平木隆夫

研究内容

CT透視ガイドインターベンショナルラジオロジ(IVR)に用いる遠隔操作型針穿刺ロボットを開発し、ロボットの性能と安全性を評価した。医療機器承認を目指して、本針穿刺ロボットを用いたがんに対するアブレーション治療を含むIVRの検証的医師主導治験を開始する。今後は、治験を完遂し、実装化に向けて企業導出を目指す。



具体的な研究内容(これまでの成果等)

プロジェクト③(再生・細胞医療・遺伝子治療)

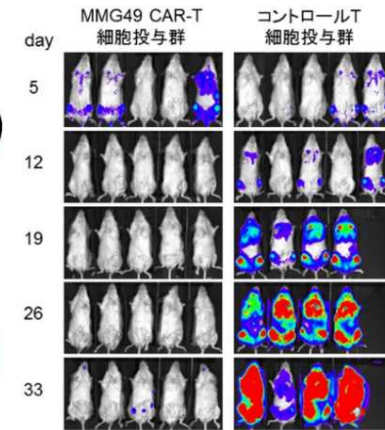
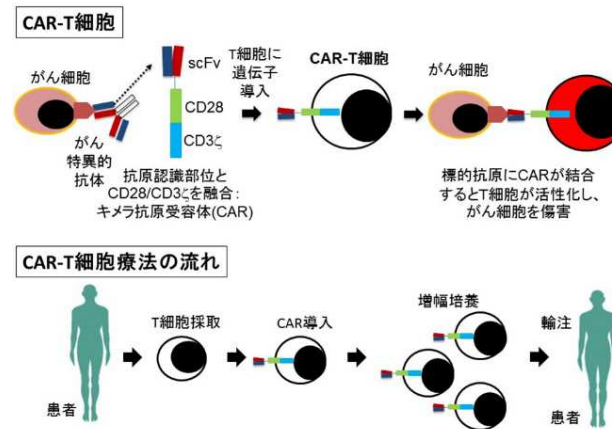
新規多発性骨髄腫特異的抗原を標的としたCAR-T細胞療法の開発(H28～)

国立大学法人大阪大学 保仙直毅

研究内容

多発性骨髄腫では、表面のインテグリン $\beta 7$ タンパク質が活性型構造をとっている。これを特異的に認識するCAR-T細胞が著明な抗腫瘍効果を持つことを示すとともに、非臨床安全性試験ならびにGMP製造体制構築をおこなった。

本結果をもとに国内企業へ導出され、以後の臨床開発は企業のもとでおこなう予定である。



コントロール群と比較して、CAR-T細胞投与群では腫瘍の増殖が抑制された(腫瘍量:青<緑<赤)。

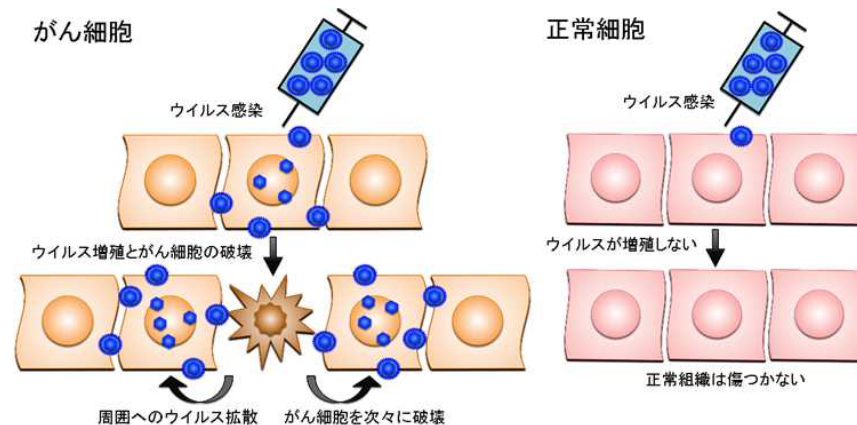
革新的抗がんウイルス療法の実用化臨床研究(H27～)

国立大学法人東京大学 藤堂具紀

研究内容

第三世代のがん治療用ヘルペスウイルス G47 Δ を用いて、悪性脳腫瘍の一種である膠芽腫の医師主導治験を実施し、1年生存率92%と高い有効性を示した(標準治療の1年生存率は15%)。

本結果をもとに国内導出先企業とともに製造販売承認申請をおこなう予定である。



具体的な研究内容(これまでの成果等)

プロジェクト④(ゲノム・データ基盤)

超音波検査による乳がん検診の有効性を検証する比較試験(H26～)

国立大学法人東北大学 大内憲明

研究内容

若年女性における検診での乳房超音波検査の有効性を検証する目的で、日本発・世界最大規模の臨床試験を実施した。76196名を登録し、マンモグラフィに超音波を加えることで早期乳がんの発見率が約1.5倍になるなどの結果が得られ、超音波検査が早期がんの発見に寄与する事が明らかとなった。

今後は、追跡調査等を進め、超音波検診の利益・不利益、乳がん死亡率減少効果を求め、対策型検診への導入を目指す。

マンモグラフィと超音波検査の比較

マンモグラフィ	超音波
精度管理が確立されている	精度管理が確立されていない
欧米でEBM※として確立されている	有効性を示す根拠(EBM)は無い
画像の保存性、比較性に優れている	画像の保存性に弱い

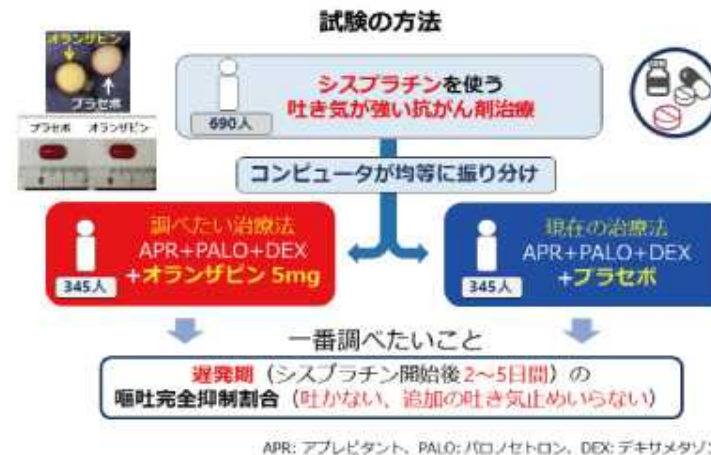
※EBM: Evidence-Based Medicine。根拠に基づく医療の意。

シスプラチンを含む高度催吐性化学療法による化学療法誘発性悪心・嘔吐の予防に対する標準制吐療法+オランザピンの有効性と安全性を比較する二重盲検プラセボ対照第Ⅲ相ランダム化比較試験(H28～)

静岡県立静岡がんセンター 安部正和

研究内容

シスプラチンを使用する吐き気の強い抗がん剤治療に対して、標準的な制吐剤にオランザピン(抗精神病薬)を上乗せする新たな抑吐療法の有効性を第Ⅲ相ランダム化臨床試験にて検証した。結果、遅発期の嘔吐完全抑制割合を13%改善した。本結果は、より有効な新たな治療と認められる国際的な基準である10%以上の改善を大きく上まったことから、オランザピン(5mg)を併用するこの制吐療法がシスプラチンに対する新しい標準的な制吐療法として国際的な制吐療法ガイドラインに採用されることが期待される。



具体的な研究内容(これまでの成果等)

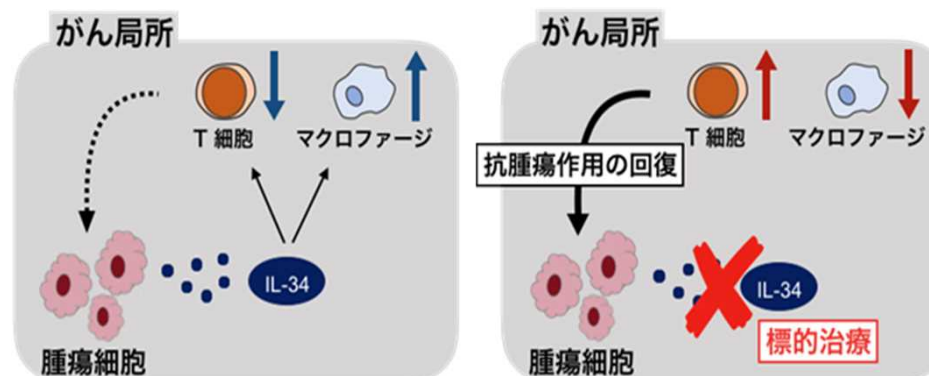
プロジェクト⑤(疾患基礎研究)

IL34 を基軸としたがん微小環境分子基盤の理解とその臨床的特性に基づいた新しい治療法の開発(H29～)
国立大学法人北海道大学 清野研一郎

研究内容

卵巣がんが産生する液性生理活性因子であるIL-34が、抗がん剤耐性や抗腫瘍免疫の抑制に関わり、がんの悪性度を高める一因であることを初めて明らかにした。また、外科的手術及び抗がん剤治療を行った後に再発したがんの病巣において、IL-34の発現が高いレベルで検出されることを発見した。本研究成果により、卵巣がん進行とIL-34発現の相関関係が示されたことから、IL-34を標的とした卵巣がんに対する新しい標的治療法の開発に繋がるものと期待される。

IL-34の発現を抑制することで抗腫瘍作用がもたらされる

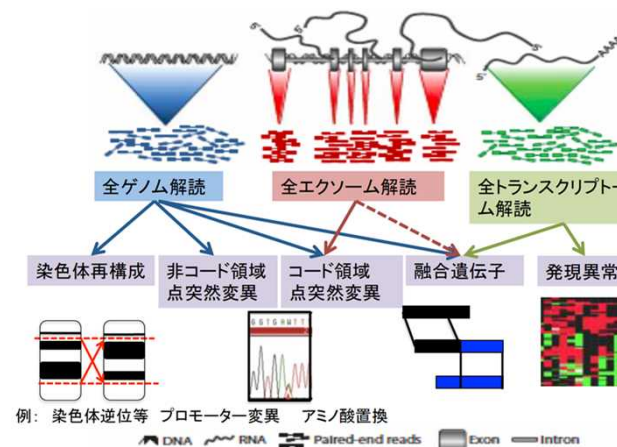


国際共同研究に資する日本人難治性がん・生活習慣病関連がん大規模統合ゲノミクス解析と国際コンソーシアムでのデータ共有による国際貢献(H29～)
国立研究開発法人国立がん研究センター 柴田 龍弘

研究内容

国際がんゲノムコンソーシアム(International Cancer Genome Consortium: ICGC)が主導するがん種横断的な全ゲノム解析プロジェクトに参加し、過去最大の38種類のがん、2,658症例のがん全ゲノム解析データの統合解析を行い、これまで明らかではなかったヒトゲノムの約99%を占める非遺伝子領域における新たな異常や、突然変異や染色体構造異常に見られる特徴的なパターン等、ヒトがんゲノムの多様な全体像の詳細を明らかにした。今後、日本人症例での大規模な全ゲノム解析を実行することで、日本人に最適な新たな臨床開発へ発展することが期待される。

がん全ゲノム解析は全てのゲノム異常を検出できる



革新的がん医療実用化研究事業

- 【継続】 第3期がん対策推進基本計画およびがん研究10か年戦略に基づき、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支持療法といった患者のQOL向上に資する研究
- 【増額】 ● **がん患者のより良い医療の推進のため、特に、がんゲノム医療、免疫療法の確立、リキッドバイオプシー、AI等の新たな科学技術の利活用、基盤整備に向けシーズ探索の研究の支援**
- 【新規】 ● **がんの克服を目指した全ゲノム解析等を活用するがんの創薬、個別化医療、早期診断等に向けた研究を着実に推進し治療法や医療機器開発を推進する。**

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

次世代がん医療創生研究事業

導出

還元

- ① **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。
- ② **医療機器**
治療効果の高い**低侵襲治療を可能とする先端技術等を応用・実装した医療機器開発**を推進する研究等。
- ③ **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、ゲノム編集技術等を活用した新たな治療法の前臨床研究や医師主導治験等。
- ④ **ゲノム・データ基盤**
がんの早期発見、より根治性の高い治療等の医療技術、データ基盤に関わる研等、がん医療の推進のため、**全ゲノム解析等実行計画に基づき、日本人のがん全ゲノム配列データベースの構築および臨床実装を見据え、課題を明確に設定した上で全ゲノム解析を推進。**
- ⑤ **疾患基礎研究**
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。**

連携・協力

臨床ゲノム情報統合データベース整備事業

先進的医療機器・システム等技術開発事業

8K等高精細映像データ利活用研究事業
高度遠隔医療ネットワーク研究事業

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

革新的がん医療実用化研究事業

期待されるアウトプット

本研究事業では、

- ・ 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や患者に優しい新規医療技術開発に関する研究等を支援し、非臨床POCの取得件数5件、臨床POCの取得件数1件、
 - ・ がんをより早期発見し、治療層別化・個別化を行いつつ、より侵襲性や副作用が少ない治療法開発、ロボット等の革新的医療機器開発などに関する研究等を支援し、シーズの他事業や企業等への導出件数1件、
 - ・ ゲノム医療の実装に備え、新規薬剤開発において、日本発の個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発に関する課題や、適応拡大等による実用化をめざす課題および、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を支援し治験に移行した研究課題数 5件 (うち、遺伝子治療 1件)、
 - ・ ゲノム医療の実装に備え、新規薬剤開発や個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発に関する課題や、がんの早期発見を可能とする技術、より低侵襲治療を可能とする根治性の高い治療等の開発やデータ基盤に関わる研究等を支援し、臨床POCの取得件数 5件、研究成果の科学誌への論文掲載(インパクトファクター5以上) 247件、
 - ・ 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がんの本態を構成するがん細胞内外のネットワーク、病理学的特性、生化学・代謝系特性、免疫学的特性、幹細胞性等を含む多様性・可塑性等の生物学的特性を明らかにすることで、がんの本態を理解し、がんの発生・進展を強力に制御することのできる予防法や治療法の開発をする研究等を支援し研究成果の科学誌への論文掲載状況(インパクトファクター5以上) 205件、
- を令和3年までに達成することを目標としている。

期待されるアウトカム

本研究事業では、

- ・ 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や患者に優しい新規医療技術開発に関する研究等を支援し、シーズの企業への導出件数3件、薬事承認件数1件、
 - ・ ゲノム医療の実装に備え、新規薬剤開発において、日本発の個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発に関する課題や、適応拡大等による実用化をめざす課題および、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企業へ導出される段階に至った研究課題数 3件、(うち遺伝子治療1件)、薬事承認件数(新薬、適応拡大) 1件
- を令和6年までに達成することを目標としている。

事業概要(背景・目的)

本研究事業では発症前の先制治療の可能性について追求しながら、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、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、さらに認知症の人が容易に登録できるような研究の仕組みを構築する。認知症大綱においては「共生」と「予防」を車の両輪として施策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の解明や予防法・診断法・治療法等の研究・開発を強化する。

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	1,109,350
疾患基礎研究	125,730
シーズ開発・研究基盤	0
計	1,235,080

令和3年度概算要求のポイント

【ゲノム・データ基盤PJ】: 従来より進めてきた認知症治験対応コホート研究やその関連研究等は引き続き推進し、研究の進捗状況を踏まえて拡充を行う。「大規模認知症コホート研究」に関しては令和2年度に最終年度を迎える。令和3年度より環境と遺伝的・生物学的要因及びその相互作用が認知症に与える影響の解明に資するコホート研究として新規課題を募集し、認知症の予防因子の同定、病態解明を目指した前向きコホート研究を実施する。「認知症の人等の全国的な情報登録・追跡を行う研究」についても令和2年度に最終年度を迎える。令和3年度より認知症の人等の研究・治験への登録の仕組みの構築という目的を明確化した認知症コホート研究を募集し実施する。また、近年認知症の診断に資する画像、バイオマーカー研究が急速に進歩しているので、技術の標準化と役割明確化による認知症臨床研究・治験技術基盤構築のための研究を新規課題として実施する。

【疾患基礎研究PJ】: 認知症の性差とそのメカニズムに関する研究や病原性タンパク質の脳内蓄積に関する研究は認知症の病態解明を目指した研究であり引き続き推進する。ヒト脳由来エクソソームを利用した認知症患者層別化手法の開発研究や認知症診断に資するバイオマーカー開発研究についても引き続き推進する。バイオマーカーを利活用した臨床研究に伴う諸問題を解決するための研究参加者へのバイオマーカーに関する情報の伝達方法に関する研究も引き続き推進する。

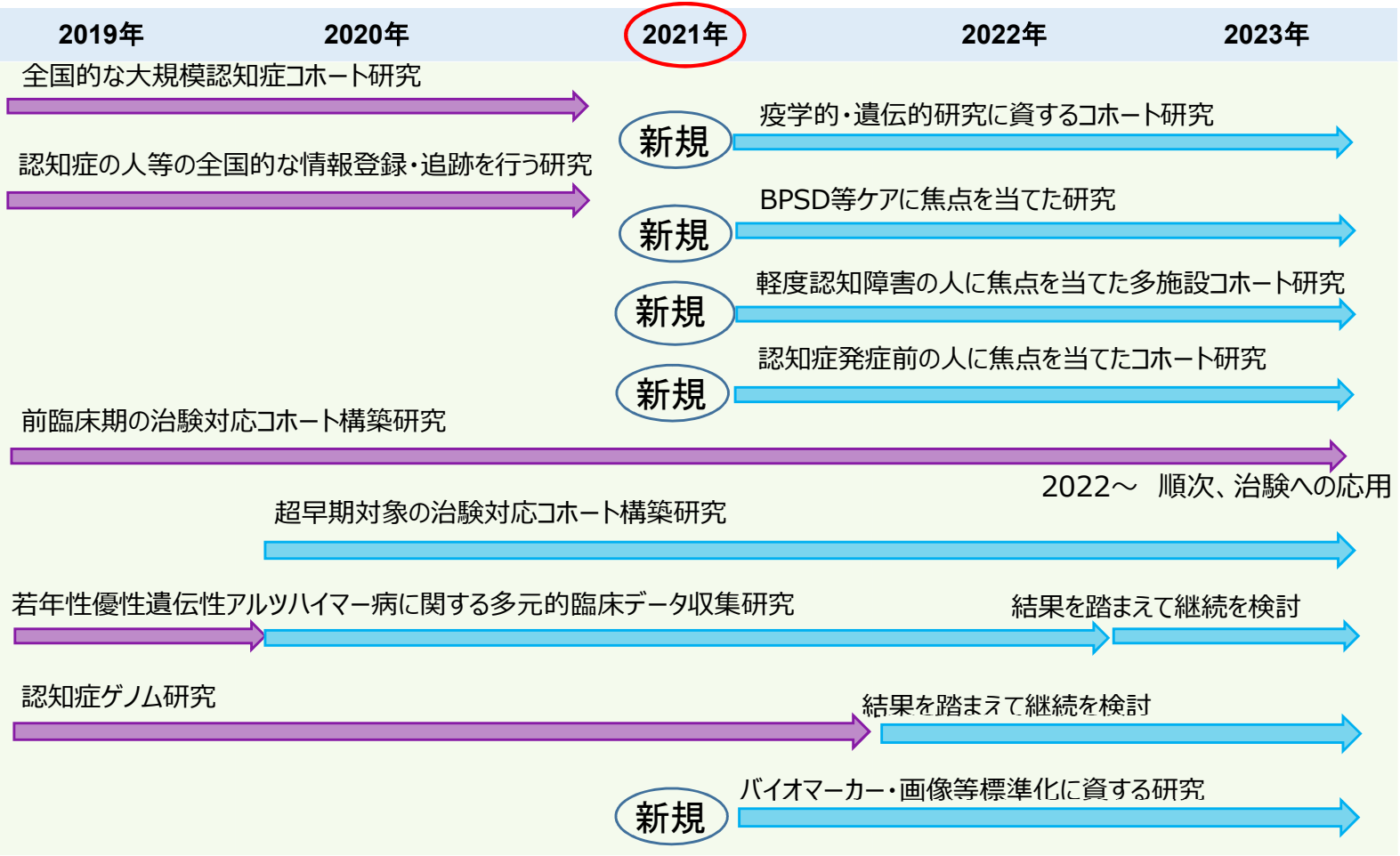
これまでの成果概要等

【ゲノム・データ基盤PJ】: 患者登録・追跡システムであるオレンジレジストリを継続し、前臨床期9,886名(令和2年1月時点)、軽度認知障害1,503名(令和元年11月時点)の登録を行っている。アルツハイマー型認知症前臨床期を主対象とする治験対応コホートにおいてウェブスタディを構築し、令和元年10月末に運用を開始し、登録者数は4,011名となった。(令和2年3月末)

【疾患基礎研究PJ】: 国内外大規模コホートの既存サンプルにおいて血液アミロイドβバイオマーカーの測定を行い、Nature誌で2018年2月に報告した結果と遜色のない検査性能を持つことが確認された。(令和元年12月) 前頭側頭型認知症の遺伝性認知症患者の生体脳に蓄積したタウタンパク質を可視化し、同一遺伝子異常であってもタウの脳内蓄積量や分布は多様でさまざまな遺伝的・環境的要因が影響することが判明した。(平成31年2月)

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

具体的な研究内容等<ゲノム・データ基盤PJ>



認知症の発症や進行の仕組みの解明

予防法・診断法・治療法等の研究開発

期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】

認知症大綱に定められた研究の方向性として、認知症のバイオマーカーの開発・確立及び予防・治療法開発に資するデータベース構築と実用化、薬剤治験に即刻対応できるコホートを構築などが求められているが、その結果として以下の結果を期待している。

- ・臨床POC取得 1件
- ・データ基盤を活用した研究プロジェクト 3件
- ・疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定 1件

【期待されるアウトカム】

本研究事業は認知症の予防、診断法、治療法、リハビリテーションモデル、介護モデル等に関するエビデンスの提供を行うことを目指している。事業を進めることにより、早期診断・重症度判定に有用なバイオマーカーが得られるとともに、今まで困難を極めていた認知症疾患修飾薬の臨床治験の迅速化が期待される。

具体的な研究内容等<疾患基礎研究PJ>

認知症を科学的にとらえるための研究

ヒト脳由来エクソソームを利用した認知症患者層別化手法の開発研究

認知症診断に資するバイオマーカー開発研究

認知症バイオマーカー等の利活用に伴う研究参加者への情報伝達方法に関する研究

バイオマーカー開発



認知症の病態解明を目指した研究

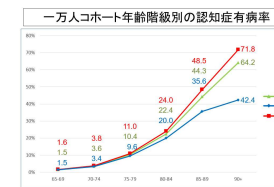
認知症の性差とそのメカニズムに関する研究

病原性タンパク質の脳内蓄積に関する研究

病態解明

性差

異常タンパク



バイオマーカーの実用化
認知症病態解明

バイオマーカーによるリスク層別化、
予防戦略の策定

予防法・診断法・治療法等の研究開発

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心の健康づくり等に資する研究開発の推進、③依存症の治療回復に資する研究開発の推進、④精神障害分野の研究促進におけるデータ利活用に関する研究構築を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(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	383,318千円
研究開発基礎基盤	0
計	383,318千円

令和3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操作的に診断する従来法では、疾患異種性が極めて高く、薬剤開発等が困難な状況にあり、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おり、**精神障害分野の研究促進におけるデータ利活用に関する研究構築**を推進する。具体的には、精神疾患レジストリ等のデータ基盤を、ライフコースを俯瞰して拡張・進展させる研究開発を促進するとともに、データによる利活用研究を推進し、新たな疾患概念の確立とともに、診断と治療の一体化を実現する。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。薬物などの物質使用障害やギャンブルやゲーム障害等の行動嗜癖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、中でも特に思春期・若年成人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、精神疾患高リスク群・発達障害等を対象として病態解明・治療法の開発を行う。

これまでの成果概要等

- 統合失調症患者と健常者の末梢血液からヒトリンパ芽球様細胞株を作製して、タンパク質の発現変化を網羅的に解析した結果、統合失調症のバイオマーカー候補となるタンパク質を複数同定した。最適な組み合わせを検証し、予測モデルから統合失調症患者と健常者を精度良く判別できることを可能にした(平成31年4月公表)。
 - これまでひきこもり者の回避状態の評価や精神疾患の除外診断が、診断を困難にさせていたが、これらの有無を問わない独自の国際的に通用する病的な「ひきこもり(hikikomori: pathological social withdrawal)」の診断評価基準を開発した(令和1年12月公表)。
 - 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。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に貢献(令和2年2月)。
- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(令和元年度末)1件
 - ②承認申請・承認等に至った研究開発(令和元年度末)0件
 - ③特許申請・登録等に至った研究開発(令和元年度末)7件
 - ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2019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おけるデータ利活用に関する研究構築

精神疾患レジストリ等のデータ基盤を、ライフコースを俯瞰して拡張・進展させる研究開発を促進するとともに、これらデータの利活用研究を推進し、新たな疾患概念の確立とともに、診断と治療の一体化を実現する。

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

心の健康づくり等に資する研究開発

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、中でも特に思春期・若年成人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
- ・ギャンブル障害やゲーム障害などの行動嗜癖における実態把握及びその病態や治療・支援法の開発により、早期予防・介入システムの構築を促進し、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、客観的診断法、適切な治療法の確立、
発症予防や重症化軽減の促進

期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】

- ①精神疾患の客観的診断法及び障害（disability）評価法の確立、精神疾患の適正な治療法の確立（令和5年までに診療ガイドラインに資するエビデンス創出6件以上）
- ②精神疾患・発達障害の早期発見・早期支援等を図るための介入プログラムの開発等による精神疾患や発達障害の重症化予防等
- ③物質使用障害や行動嗜癖等の嗜癖性障害の発症危険因子・重症化予測因子・高リスク群の同定、新規治療法の開発等
- ④精神疾患レジストリの活用を通じた、客観的診断・治療の最適化、予後向上等に資するエビデンスの創出、及び精神障害分野におけるトランスレーショナルリサーチの推進等による、精神保健医療福祉の向上に資する研究基盤の構築
- ⑤臨床POCの取得件数 1件
- ⑥研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載 15件

【期待されるアウトカム】

- ①客観的診断方法の確立と治療の最適化、心の健康づくり等に資する研究開発、依存症の治療回復に資する研究開発、精神障害分野の研究促進におけるデータ利用等研究の構築が推進されることで、精神疾患の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法の確立の促進。
- ②シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件
- ③臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 3件
- ④疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 2件

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、診断、治療法、リハビリテーション、社会参加支援並びに早期介入、進行抑制、重症化軽減等の障害児者への医療、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(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	245,698
研究開発基礎基盤	0
計	0

令和3年度概算要求のポイント

身体・知的等障害分野においては、障害児とその家族への効果的なリハビリ・生活支援システムの開発を推進する。さらに、器質的脳疾患に伴う認知障害に対するAI等の新規技術を用いたリハビリテーション技術の開発や身体障害児・者の生活環境で利用可能なリハビリテーション機器の開発に関する研究を推進する。また、非常時における支援手法に関する研究も促進する。

感覚器障害においては、障害者の地域社会での共生の実現に向けた研究を推進する。さらに、臨床的に得られた知見を元に、医療・支援の質的向上を実現する診断・治療の最適化・層別化研究、並びに病態生理に関する研究を推進する。加えて、感覚器障害をもつ人々の生活の質を向上させる各種機器開発のエビデンス創出を推進する。

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。
- ・ロービジョンケア(LVC)を必要とする視覚障害者に適切にLVCが導入可能なように、スマートサイト(啓発パンフレット用い、医師による必要な患者のLVC導入を促進するプロジェクト)を立ち上げ、全国規模でのシステム連携を構築した。
- ・運動想像中の脳活動を用いて、神経機能ネットワークの可塑的変化を誘導するNIRSニューロリハシステムの医療機器認証にむけて、脳卒中後歩行障害患者の機能回復促進効果を確認する検証的医師主導治験実施のためのプロトコル開発を行い、治験導出した。
- ・AMPK遺伝子発現抑制が筋細胞膜修復機能の低下に繋がることを発見し、ジスフェルリン異常症等の神経難病の新規治療法開発に寄与した。
 - ①臨床研究・治験に移行した研究開発(令和元年度末)1件
 - ②承認申請・承認等に至った研究開発(令和元年度末)0件
 - ③特許申請・登録等に至った研究開発(令和元年度末)7件
 - ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2019年度末)0件

具体的な研究内容等

身体・知的等障害分野

障害児とその家族への効果的なリハビリ・生活支援システムの開発

障害児のライフステージを支援するリハビリ・移動や居住支援システムを構築

器質的脳疾患に伴う認知障害に対するAI等の新規技術を用いたリハビリテーション技術の開発

障害児者の認知障害を改善するリハビリテーション技術開発

身体障害児・者の生活環境で利用可能なリハビリテーション機器の開発

障害児者のQOLを向上するリハビリテーション機器開発

行政データ等を用いた、非常時における支援手法に関する研究

障害児者を円滑に支援する緊急時対策の整備

羞明のメカニズムに関する研究

羞明を有する患者の支援対策の具体化

聴覚情報処理障害または嗅覚・味覚障害児・者の実態把握と重症度別の対応並びに円滑な社会参加に資する施策立案に関する研究

聴覚情報処理障害または嗅覚・味覚障害児・者の支援を促進

喉頭摘出後音声障害患者の社会参加に資する施策立案に関する研究

喉頭摘出後音声障害患者の社会参加を推進

臨床知見に着眼した感覚器障害の医療・支援の質的向上を実現する診断・治療の最適化・層別化研究、並びに病態生理・メカニズムに関する研究

臨床知見に基づいた感覚器障害の医療・支援の質的向上を実現する

感覚器障害をもつ人々の生活の質を向上させる各種機器開発のエビデンス創出

感覚器障害をもつ人々の生活の質を向上させる各種機器開発を促進

感覚器障害分野

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

期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】

- ①障害者の地域生活の向上及び障害者福祉サービスの改善に資するエビデンスを確立する（特許申請・登録3件以上・診療ガイドラインに資するエビデンス創出1件以上）
 - ②臨床POCの取得件数 1件
 - ③研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載 15件
- （②③は精神障害との合算）

【期待されるアウトカム】

- ①障害児・者の寿命延伸に伴う重度化や二次障害への介入プログラムの開発等。さらに家族や支援者による持続可能な地域包括支援システムの開発。
 - ②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を目指す。
 - ③シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件
 - ④臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 3件
 - ⑤疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 2件
- （③④⑤は精神障害との合算）

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細胞白血球ウイルス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(千円)
医薬品	6,735,000
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
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	6,735,000

令和3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. 新型コロナウイルス感染症(COVID-19)制圧に向けた開発研究
2. 新興感染症等の有事に即時対応・転用可能なプラットフォーム構築に係る開発研究
3. ワクチン・ギャップ解消に資する開発研究

これまでの成果概要等

令和2年3月時点における最近の主な成果として以下がある。

- COVID-19患者血清中に含まれる抗ウイルス抗体(IgG)の検出に成功
- 万能インフルエンザワクチンへの応用に向けた様々なインフルエンザを防御する抗体誘導法を開発
- エボラ出血熱に対する次世代ワクチンの開発 第I相臨床試験実施
- ジカウイルスワクチンの開発 第I相企業治験実施

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(令和元年度末)6件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発(令和元年度末)1件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発(令和元年度末)85件
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(令和元年度末)124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

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

総合的な感染症対策の強化

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. 新型コロナウイルス感染症(COVID-19)制圧に向けた開発研究
2. 新興感染症等の有事に即時対応・転用可能なプラットフォーム構築に係る開発研究
3. ワクチン・ギャップ解消に資する開発研究

期待されるアウトプット、アウトカム

期待されるアウトプット

- 得られた病原体(インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌)の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化
- ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請

(次ページに続く)

期待されるアウトプット、アウトカム

(2030年までの達成目標)

- 新たなワクチンの開発
- 新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発
- WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成(結核については2050年までの達成目標)
- シーズ研究に関する指標
 - 非臨床POCの取得件数10件
- 実用化に関する指標
 - 臨床POCの取得件数1件、
- 新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標
 - 創薬等の効率化に資する先進手法の開発推進

期待されるアウトカム

- 上記のような事業成果の導出(アウトプット)により、感染症対策を総合的に推進し、国民の健康を守る。
- 実用化に資する指標
 - シーズの企業への導出件数1件
 - 薬事承認件数(新薬、適応拡大)1件
 - 研究成果を活用した臨床試験・治験への移行
- 新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標
 - シーズの企業への導出件数1件
 - 薬事承認件数(新薬、適応拡大)1件
 - 研究成果を活用した臨床試験・治験への移行

難治性疾患実用化研究事業

令和3年度要求額 9,780,971千円

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(千円)
医薬品	3,738,786
医療機器・ヘルスケア	138,184
再生・細胞医療・遺伝子治療	1,359,183
ゲノム・データ基盤	3,927,239
疾患基礎研究	617,579
シーズ開発・研究基盤	0
計	9,780,971

令和3年度概算要求のポイント

難病領域の医薬品等承認に至る課題を推進するため、令和3年度はこれまで支援してきたステップ0課題で見いだされた有望なシーズを実用化へつなげるための前臨床試験等(ステップ1)と医師主導治験(ステップ2)の課題を優先的に推進する。とくに遺伝子治療は今まで治療法がなかった難治性疾患に対して画期的な臨床効果が示され、欧米でも研究開発が非常に活発化しており、希少難治性疾患は単一遺伝子疾患が多く含まれていることから、遺伝子治療法開発を目指す研究を推進する。

また、令和元年12月に公表された全ゲノム解析等実行計画(第1版)の着実な実施につなげること及び令和2年3月に閣議決定された健康・医療戦略において、厚生労働科学研究とAMED研究の相互連携が明記されており、これらの方針を踏まえた要求としていく。

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29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7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 (2019年度末) 33件
 - ② 承認申請・承認等に至った研究開発 (2019年度末) 7件
 - ③ 特許申請・登録等に至った研究開発 (2019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 (2019年度末) 220件

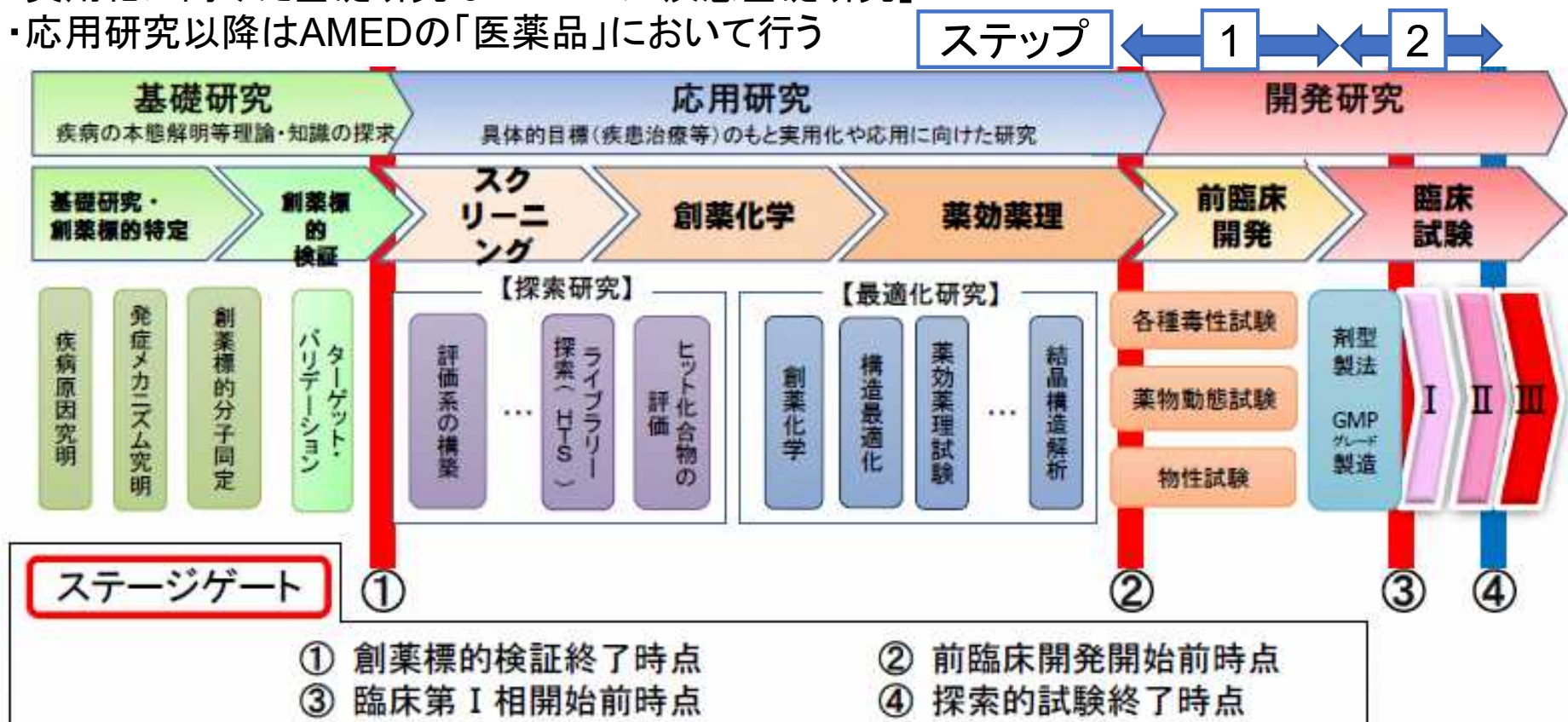
具体的な研究内容等(医薬品)

難治性疾患(難病)は、「少ない患者数、臨床評価法の未確立、進行性で致命的な疾患が少なくない」といった特徴があり、今後も企業導出を通じた薬事承認を推進するためには、病態解明研究やエビデンス創出研究等から得られた知見をもとに有望なシーズを創出し、ターゲットプロダクトプロファイルに基づき非臨床試験(薬理試験、薬物動態試験、毒性試験等)を経て臨床試験(治験)に移行を推進する。

しかしながら、全ての研究課題が薬事承認を取得できるわけではないため、研究開発プロセスの重要な段階にステージゲートを設置し、進捗状況や次ステップへの移行に関する妥当性を評価(Go/No go判断)を個別に実施していく。

※臨床試験前に必要の研究に関する役割分担は、原則として以下の通り。

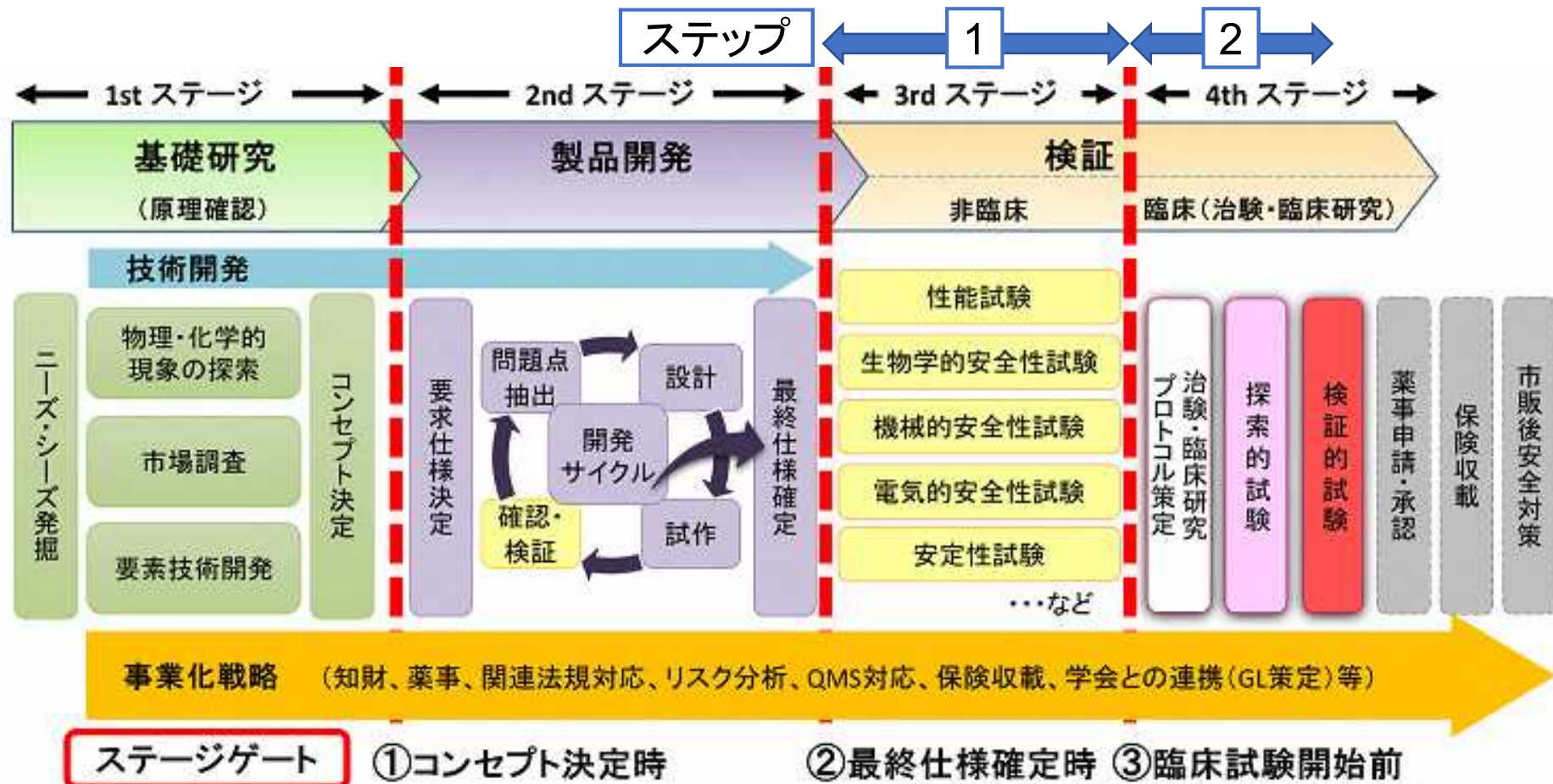
- ・疾病の本態解明等理論・知識の探求については、厚生労働科学研究
- ・実用化に向けた基礎研究はAMEDの「疾患基礎研究」
- ・応用研究以降はAMEDの「医薬品」において行う



具体的な研究内容等(医療機器)

難病における医療機器の開発研究を推進する。なお、医療機器においては薬事承認に至るまでの開発プロセスは必ずしも一様ではなく、プロセスのどの段階においても設計の見直しが可能であり、「開発、検証、改良を繰り返しながら製品化を目指す」といった特性がある。さらに、機器の種類、クラス(I~IV)の違い等によっても様々な開発パターンがあり、開発初期より出口戦略(薬事承認)を意識した研究の実施が重要となる。

しかしながら、全ての研究課題が薬事承認を取得できるわけではないため、研究開発プロセスの重要な段階にステージゲートを設置し、技術的観点及び事業化の観点より、次ステップへの移行に関する妥当性を評価(Go/No go判断)を個別に実施していく。



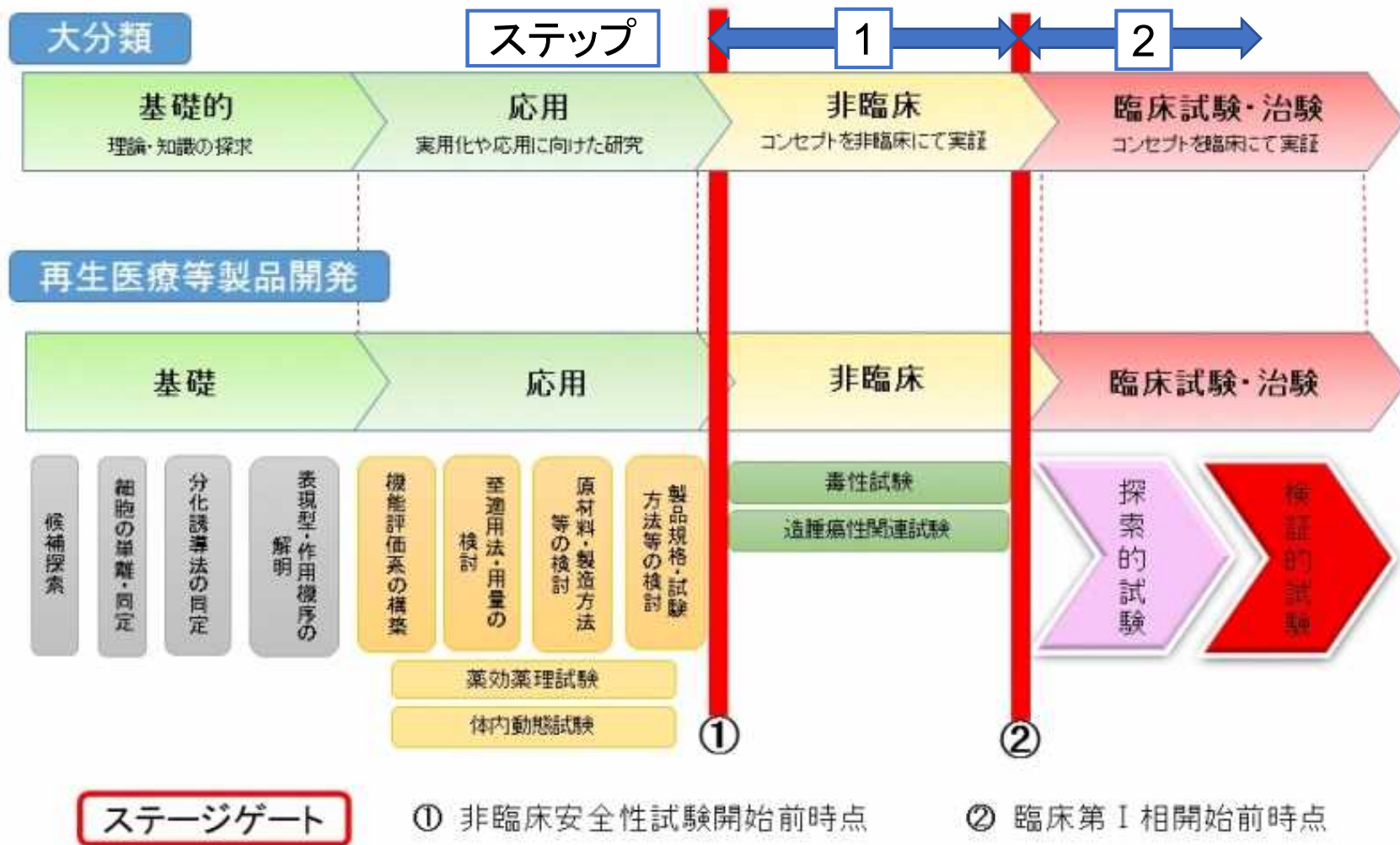
※ 研究内容により、実施が不要な項目もあります

具体的な研究内容等(再生・細胞医療、遺伝子治療)

難病には遺伝性疾患が多く含まれ、原因遺伝子が解明されている単一遺伝子疾患に対しては遺伝子治療が根本治療になりえ、世界的に遺伝子治療の研究が加速している。また、iPS細胞や骨髄由来幹細胞等を用いた再生医療等製品に関する治験も増加している。

引き続き有望なシーズを創出し、非臨床試験にて治験(臨床試験)ためのデータを取得したうえで治験により臨床POCを取得することで創出したシーズの企業導出を実現する。

なお、研究の推進にあたり、「遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業」と連携・協力・情報共有のうえ実施する。



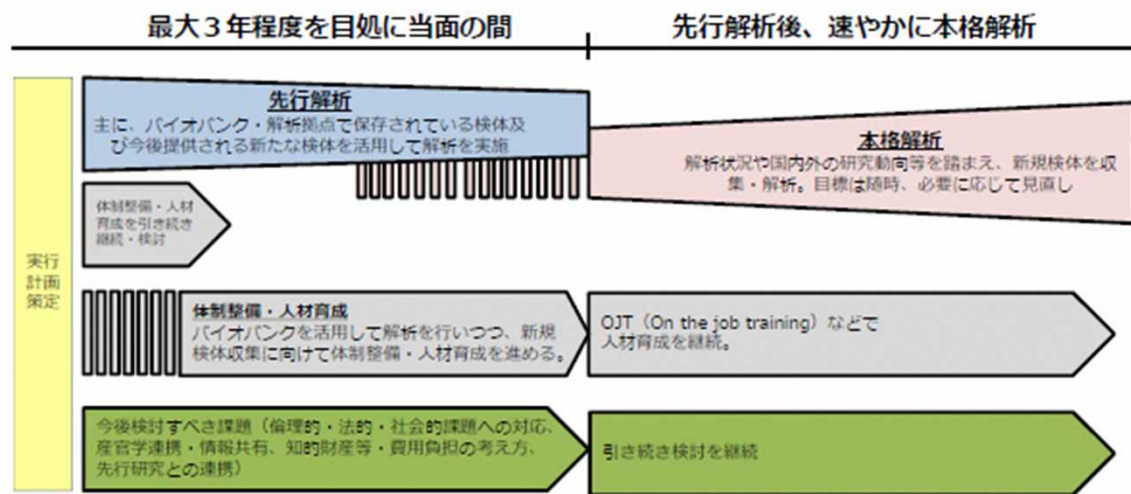
具体的な研究内容等(ゲノム・データ基盤)

全ゲノム解析等を推進する研究については、全ゲノム解析等実行計画(第1版)に基づく数値目標を達成するために、ゲノムデータ基盤を構築する先行解析に関する研究を拡充するとともに、併せて、未診断疾患に対する診断プログラムの開発、シーケンス解析技術解析の向上、単一遺伝性疾患、多因子疾患等に対し、臨床情報に加え、ゲノミクスのみならず、プロテオミクス、メタボローム解析等を含めた統合解析などの研究を行う。

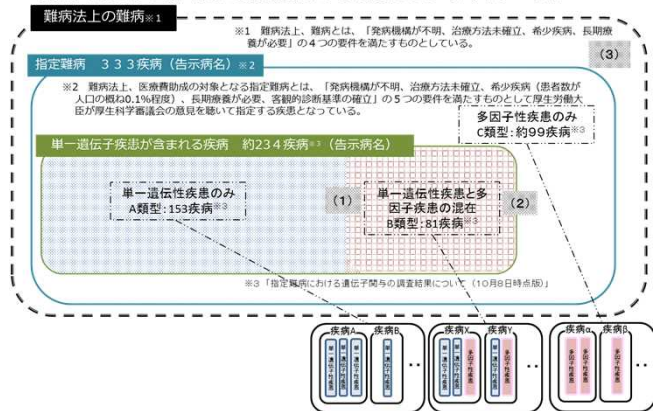
また、患者の実態とニーズを十分に把握し、実用化に関する疫学研究や治療介入のための基盤構築、診断・治療法についてさらなるエビデンスの創出を目的とし先進医療も含めた臨床試験等を行う。

この他、条件付き早期承認制度を活用しうる疾患レジストリーの品質基準を備えた共通基盤の構築に開発環境を整備することや企業が開発しにくい難病の治療法開発について、早期実用化に円滑つなげる各種制度を活用した研究開発を実施する。

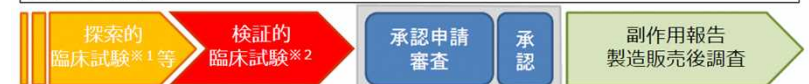
全ゲノム解析等の工程表



難病の全ゲノム解析等の対象疾患の考え方について (イメージ)



通常の承認審査



※1 少数の患者に医薬品を投与し、医薬品の有効性、安全性を検討し、用法・用量等を設定するための試験
 ※2 多数の患者に医薬品を投与し、設定

条件付き早期承認制度



新しい活用しうる疾患レジストリーの品質基準を備えた共通基盤

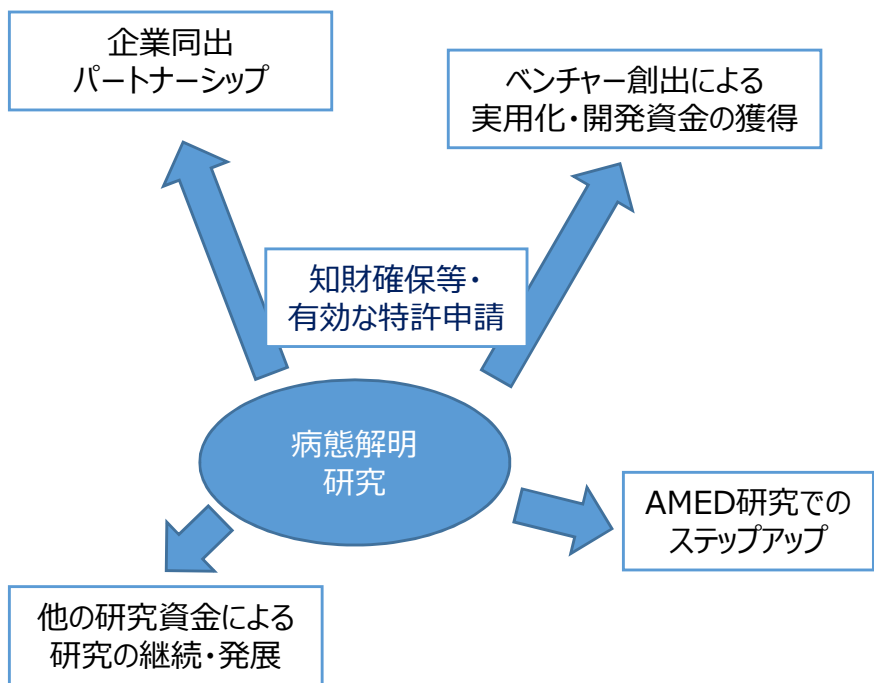
承認条件を付与
 (例) 製販後の有効性・安全性の再確認(リアルワールドデータ活用を含む)
 ・適正使用に必要な場合は施設等要件の設定等

具体的な研究内容等(疾患基礎研究)

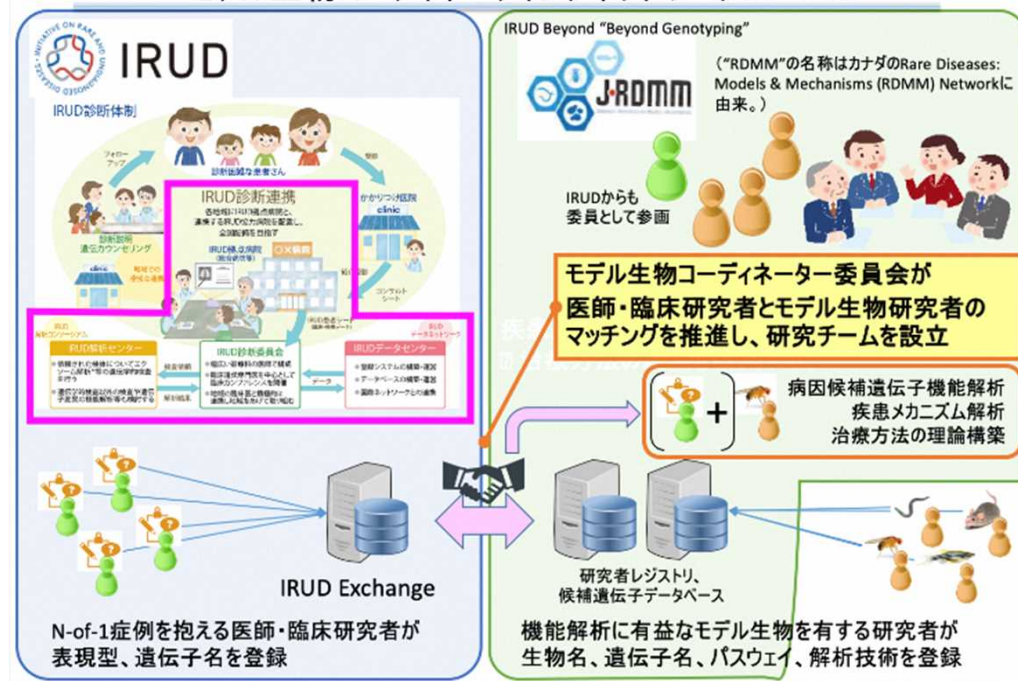
希少難治性疾患の克服に向け実用化を目指した病態解明研究を、若手を中心に40課題程度実施する。最終的な臨床応用を目指し、新たな治療を探索・同定につなげる画期的な研究、先端技術かつ独創性に富んだ解析技術を活用した研究を実施する。

IRUD等でモデル生物コーディネーティングネットワークの体制を整備し、IRUD等で見つかった病因遺伝子変異候補の情報を有する臨床研究者からの解析依頼を受け、全国の最適なモデル生物等を用いて遺伝子機能を解析する研究者とマッチングし、遺伝子発現分布、モデル動物等を作成して表現型の解析、更にはヒトホモログ導入による回復性検討などの方法でバリデーションを行い、臨床現場への情報の提供を最優先事項として実施し、病態解明・創薬シーズ探索への活用につなげる。

難治事業・病態解明研究のアウトカム



IRUD- IRUD Beyond連携 —モデル生物コーディネーティングネットワーク J-RDMM—



期待されるアウトプット、アウトカム

令和4年度までに、

- ・難病を対象とした医薬品の非臨床POCの取得1件・臨床POCの取得1件
- ・難病を対象とした医療機器のクラスIII・IVの医療機器の開発を目指す課題採択1件
- ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定8件

※難病を対象とした再生医療等製品の非臨床POC取得および治験以降数に関して、課題数とモダリティの特性を鑑みて通期で達成を見込む。

令和6年度までに、

- ・難病を対象とした医薬品の非臨床POCの取得2件・臨床POCの取得3件
- ・難病を対象とした医療機器のクラスIII・IVの医療機器の開発を目指す課題採択1件
- ・難病を対象とした再生医療等製品の非臨床POC取得1件,治験移行数1件
- ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定16件

本領域における病因・病態解明、診断法や治療法、予防法に関する研究開発を推進することで、難病・小児慢性特定疾病対策の推進に寄与し、早期診断・早期治療が可能となり、遺伝子パネル等の早期診断法の確立及び質の向上、医薬品等による新たな治療法の確立、診療ガイドラインの向上等、難病の医療水準の向上や患者のQOL向上等につながる。

事業概要(背景・目的)

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、2019年にはG20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。本事業では、低・中所得国の健康・医療問題の解決に国際共同研究を通じて貢献し、我が国の保健医療外交戦略、及び我が国の保健医療の国際展開を推進することを目的とする。

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	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	104,387
計	0

令和3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

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令和2年度に引き続き行い、その有効性、安全性、リスクベネフィット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。

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介入研究の国際協調研究公募

令和元年度は、「がんの1次・2次予防に資する臨床研究公募」を開始し、令和2年度第4四半期から研究を開始するところ。令和3年度は「複合疾患の予防・診断・治療方法の実用化のための国際共同臨床試験（仮）」の公募を開始する（研究開始は令和4年度）。生活習慣病の複合疾患・複合リスクに関する公募は新しいものであり、先駆的な取り組みとなる。

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（令和元年度末）2件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発（令和元年度末）0件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発（令和元年度末）0件
- ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施（令和元年度末）0件

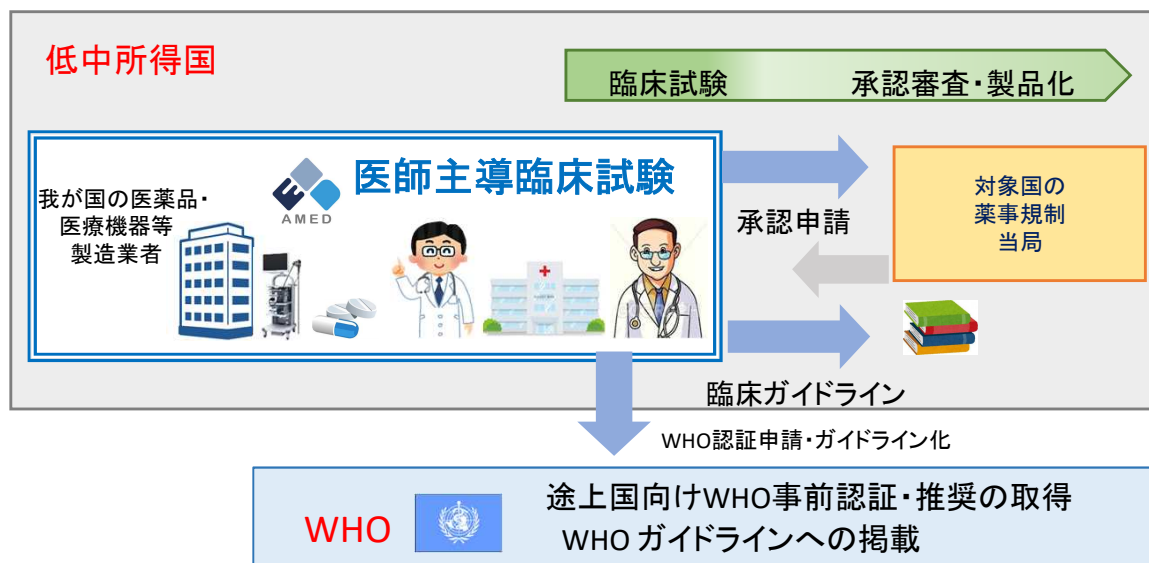
⑤その他： 国際保健政策の策定・実用に貢献した研究開発 5件

- 研究成果が、2つのWHOの母子保健ガイドラインへ反映された
- WHOの保健医療人材(HRH) Profileに基づく日本版HRHプロファイルを作成し、WPRO公式出版物として公開された。
- 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を開発し、国連の成果物として公開された。
- 研究成果が、Ghana National Action Plan for Health Security 2019－2023に反映された

具体的な研究内容等

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

- 国際的に公衆衛生上大きな課題となっている疾病（新興・再興感染症、生活習慣病、母子保健など）の改善に資する国際共同臨床試験の実施。
- 既に先進国等で有効性が実証されているものの対象国で普及されていない予防・診断・治療法を実用化を目指す。
- 予防・診断・治療にかかる医薬品・医療機器・医療技術等の、低・中所得国の患者に対する有効性、安全性、リスク・ベネフィット、投与方法（使用法）等を評価・検証する
- 更に、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、将来的な実用化・事業化に向けた戦略を策定する。
- 実用化を促進するために、企業の研究参画を求める。



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の国際協調研究公募

■ 生活習慣病の予防・診断・治療方法の国際共同臨床研究

GACDと連携した公募課題設定と国際協調公募

2017年～2019 メンタルヘルス（2課題採択）

2018年～2022 高血圧と糖尿病（2課題採択）

2019年～2023 がん（令和2年度 1課題採択予定）

2021年～2025 複合疾患（例. COVID19と慢性閉塞性肺疾患の複合疾患等. 令和3年度公募開、令和4年度より研究開始）

■ 国際アライアンスを活用した研究成果の最大化

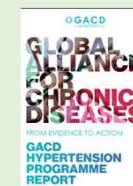
- GACD研究者が参画する12の課題横断的ワーキンググループ活動を通じた、課題横断的な共同研究成果の導出
 - Multimorbidity研究への提言を2018年にLancetで発表
- 同分野の研究課題間において、データシェア基盤を構築中
- ファンディング機関間でのCo-Fundingや、世界銀行のNCDs予防事業資金を活用した研究スキームを有す
- 平成30年9月の国連ハイレベル会合では、第1期高血圧公募の研究成果を発表

研究成果

ベトナムでiCBT（Internet based Cognitive Behavioral Therapy）プログラムを開発し、ベトナムでのRCTの結果では、うつ状態の新規発症は対照群2.4%に比べ介入群では0.7%であり、約70%の相対リスク減少を示した。また、3ヶ月後のうつ状態の頻度は、対照群4.0%に比べ介入群では2.0%と、約50%の相対リスク減少を示した。（東京大学 川上教授）

Global Alliance for Chronic Diseases

- ・世界の公的医療研究開発資金の80%を扱う機関が加盟
- ・15加盟機関（AMED, NIH, EC, UKMRC, CIHR, NHMRC, HRC, SAMRC, CAMS, MINCYT, FAPSEP, ICMR, HSRI, CNPq, INNSZ）
- ・世界66カ国で研究を実施。（総額230億円分の研究）



期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】

- ① 研究対象国における医師主導臨床試験届の提出件数(体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数):令和5年度末までに3件

【期待されるアウトカム】

- ① 研究対象国における薬事承認申請件数:令和5年度末までに1件
- ② 関連するWHO等の国際機関や各国政府機関が発行するガイドライン策定への関与:
令和5年度末までに1件

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)

令和3年度要求額 104,500千円

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。

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	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	104,500
計	104,500

令和3年度概算要求のポイント

○薬剤耐性(AMR)や、COVID-19等の新興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。令和3年度には第24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6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。)

<定量的な研究成果>

- ① プレスリリース 2件 (令和元年度) (シニア1件、若手1件)
- ② EID国際会議報告の国際学術誌での日米共同発表 2件 (平成30年度1件、令和元年度1件)
- ③ 日本国内における、学会等と連携した日米合同シンポジウム・ワークショップの開催 7件 (平成30年度4件、令和元年度 3件)

具体的な研究内容等

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)

令和3年度 各専門部会による米国・アジアと連携した国際共同研究

- ・エイズ: **アジアのゲノム多様性、米国と連携したサルモデル解析**
 - ・急性呼吸器感染症: **AMRサーベイランス手法**
 - ・コレラ・細菌性腸管感染症: **腸炎ビブリオの病原性発現機構解析**
 - ・肝炎: **アジアにおけるB型肝炎新規治療法の開発等**
 - ・寄生虫疾患: **アジアの薬剤耐性マラリア、マラリアワクチン開発等**
 - ・栄養・代謝: **ベトナムでの栄養代謝に関する介入研究**
 - ・抗酸菌症: **アジアの多剤耐性結核菌の解析等**
 - ・ウイルス性疾患: **エボラウイルス(レストン種)、ジカ**
 - ・がん: **感染症関連がん、大腸がん関連腸内細菌叢の同定等**
- (・免疫: 文科省予算で実施)

第24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

ウイルス分野

e-ASIA, J-Grid等の他プログラム拠点との連携を模索



第22回EID国際会議(令和2年2月)のCOVID-19特別セッション、日米医学協力計画Joint Committee Meetingにおいて、COVID-19流行時のタイムリーな情報共有や、新興感染症に即時に対応するための国際研究協力基盤の重要性について言及があり、今後、連携しながら国際共同研究等行う方向である。

2. 若手・女性育成のための日米共同研究公募

□ U.S.-Japan Cooperative Medical Sciences Program Collaborative Awards, 2021

- ・ **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 (一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25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



期待されるアウトプット・アウトカム

【期待されるアウトプット】

長期に渡り培った協力関係を基盤に、新興・再興感染症の世界的流行に即時に対応するためのタイムリーな情報共有や、国際共同研究を推進する。

若手・女性研究者育成共同研究プログラムにおいては、研究期間が2年間であるため、将来的に著しい成果が得られる可能性のある研究については、AMEDの他の研究事業につなげる。

具体的には、令和3年度に、研究中である日米共同研究における大腸がん関連腸内フローラの同定、日米韓HIV患者におけるA型急性肝炎発症および治癒の過程に関連する因子の同定等の成果が得られる予定である。

研究成果の科学誌への論文掲載件数:150件

【期待されるアウトカム】

アジアで蔓延する感染症等の新しい診断法や検査方法の開発などの成果は、FAOやWHOの国際機関の推薦する世界標準法として活用されることが期待され、国際的なプレゼンスの向上に寄与する。

また、若手・女性研究者育成共同研究プログラムにおいては、AMEDの他の研究事業での継続につなげることに加え、日米の研究者間の将来にわたる関係構築をも目的としており、国際的な感染症の疾病発生時における迅速な対応等が可能となる協力関係が確立される。

他の統合プロジェクトへの導出件数:3件

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キュ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。平成32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(千円)
医薬品	155,650
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	375,633
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	531,283

令和3年度概算要求のポイント

令和3年度は、成育過程にある者及びその保護者並びに妊産婦に対し必要な成育医療等を切れ目なく提供するため、母児の健康課題や成育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な支援を充実する。

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医師主導治験等の推進、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

②乳幼児・学童・思春期のレジリエンス向上等に関わる効果的な早期介入法の開発

周産期～乳幼児期の母児への保健指導技術に資する介入プログラムの開発
学童・思春期に発症する疾患・障害の早期発見と予防的支援手法に関する研究開発

③不妊症の解明と質の高い生殖補助医療の開発

生殖補助の質向上に資する新規エビデンスの創出

④ライフコースデータに基づくエビデンス創出

周産期・小児領域における高品質臨床研究推進のための臨床研究コンソーシアム

これまでの成果概要等

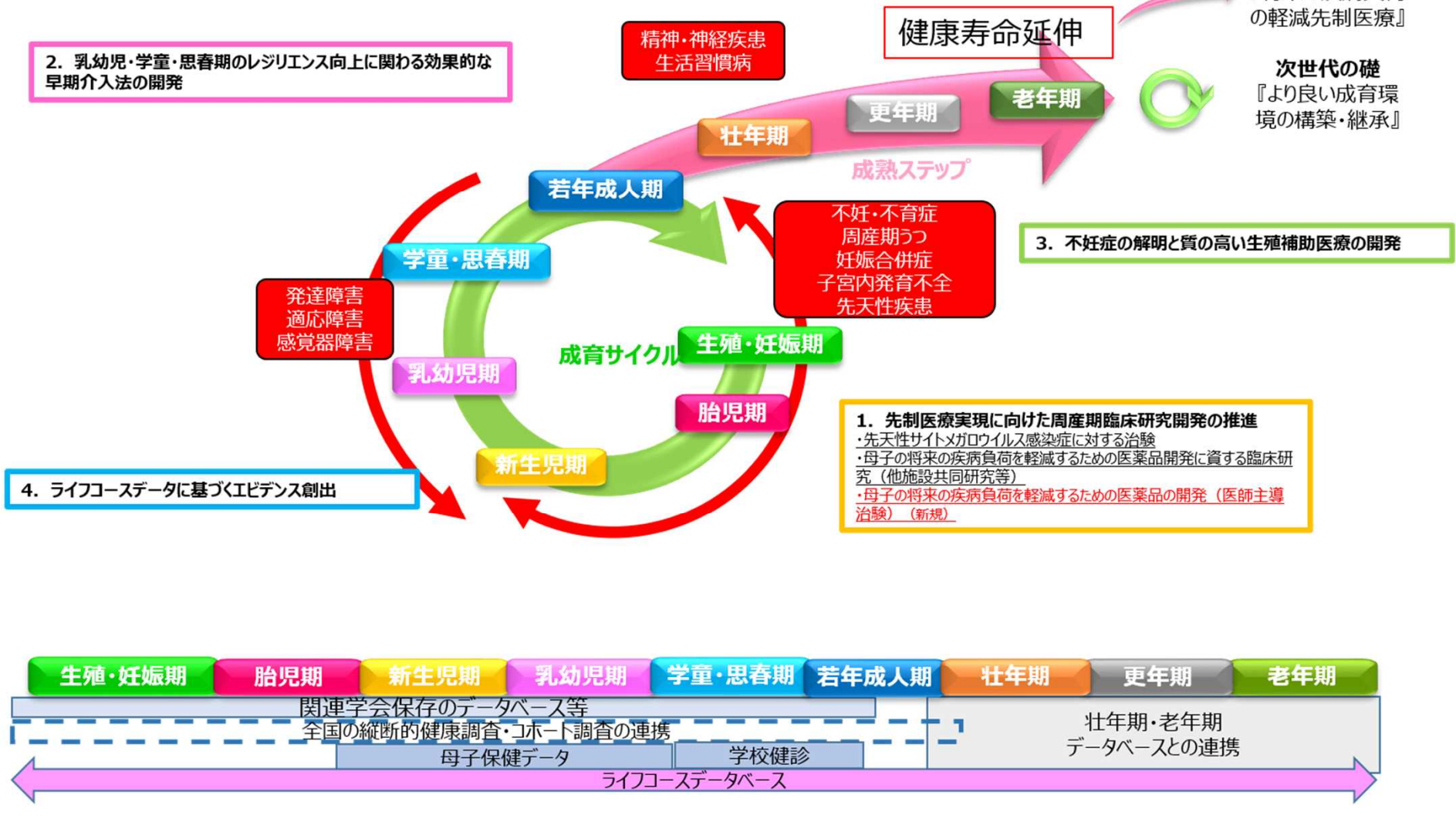
周産期臨床研究推進のため、治験準備およびデータベースのクリーニング等を行った。

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

具体的な研究内容等

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～



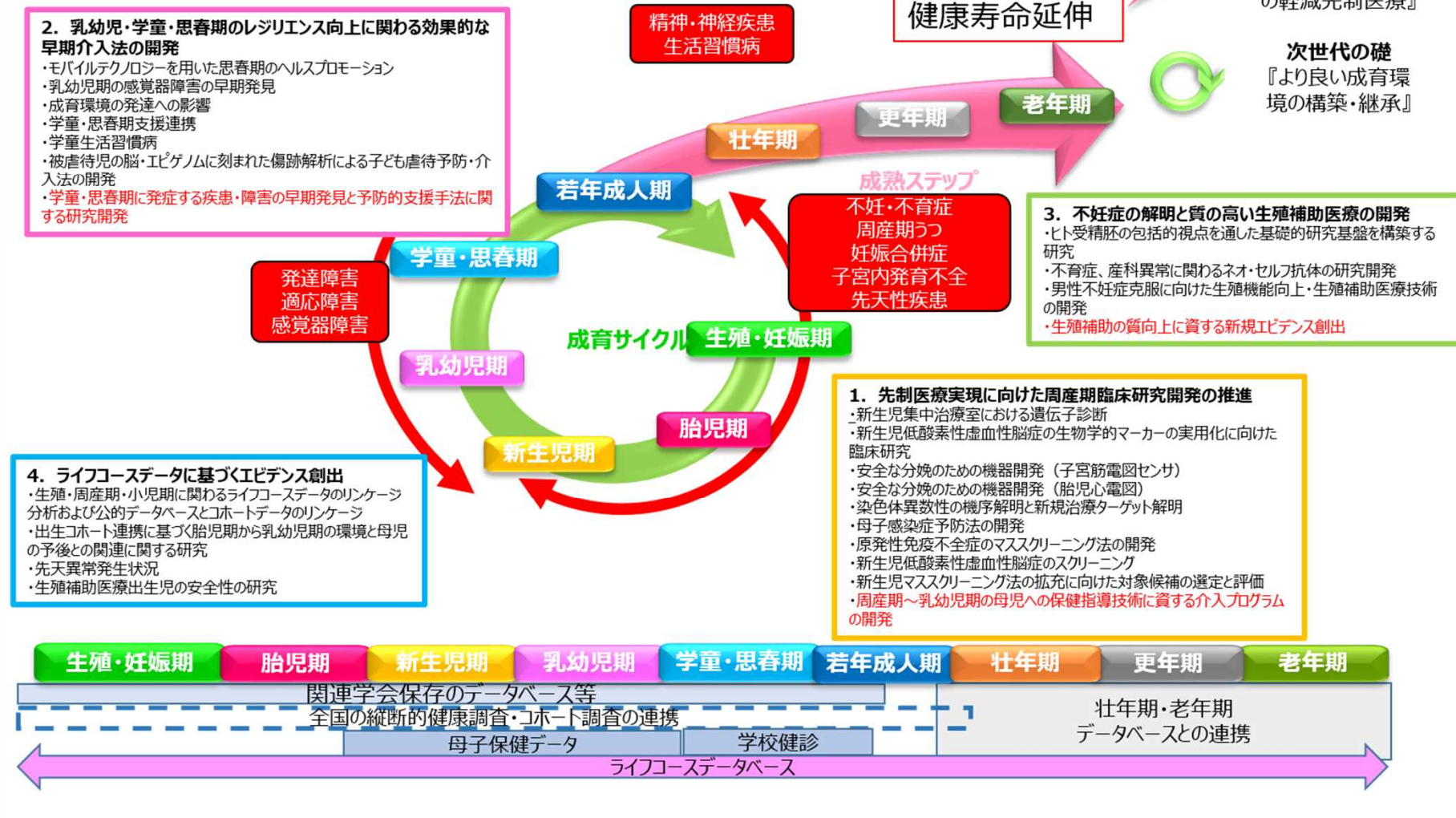
期待されるアウトプット、アウトカム

- 研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況

具体的な研究内容等

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～



期待されるアウトプット、アウトカム

- 研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数 84件
- 研究成果の科学誌（インパクトファクター5未満等の他の科学誌）への論文掲載状況
- 臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 1件

事業概要(背景・目的)

本研究事業では、経済財政運営と改革の基本方針2019や健康日本21(第二次)、循環器病対策基本法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(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	41,100
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	443,300
疾患基礎研究	359,200
シーズ開発・研究基盤	0
計	843,600

令和3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。

本年度は、医療分野研究開発推進計画(第2期)に従い、生活習慣病等の予防のための行動変容を促すデバイス・ソフトウェアの開発、個人に最適な糖尿病等の生活習慣病の重症化予防方法及び重症化後の予後改善、QOL向上等に資する研究開発、AI等を利用した生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法の確立、循環器病の病態解明や革新的な予防、診断、治療、リハビリテーション等に関する方法に資する研究開発を推進する。

これまでの成果概要等

【ゲノム・データ基盤】:「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」(平成29年度-令和元年度)において、糖尿病腎症重症化抑制のための ICT システムを開発した。

【疾患基礎研究】:「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—」(平成29年度-令和元年度)および「エピゲノム情報を用いた糖尿病性腎症に対する新規診断・治療法の開発」に(平成29年度-令和元年度)において、糖尿病性腎症のバイオマーカーを同定した。「DNA損傷応答・核形態の機械学習による心不全の予後・治療応答予測モデルの構築」(平成31年度-令和2年度)において、心不全患者の予後や治療応答性を高精度で予測する手法を開発した。

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

- ・ガイドライン・政策への反映
- ・医薬品・医療器機開発やゲノム医療、再生医療等の事業への橋渡し

循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

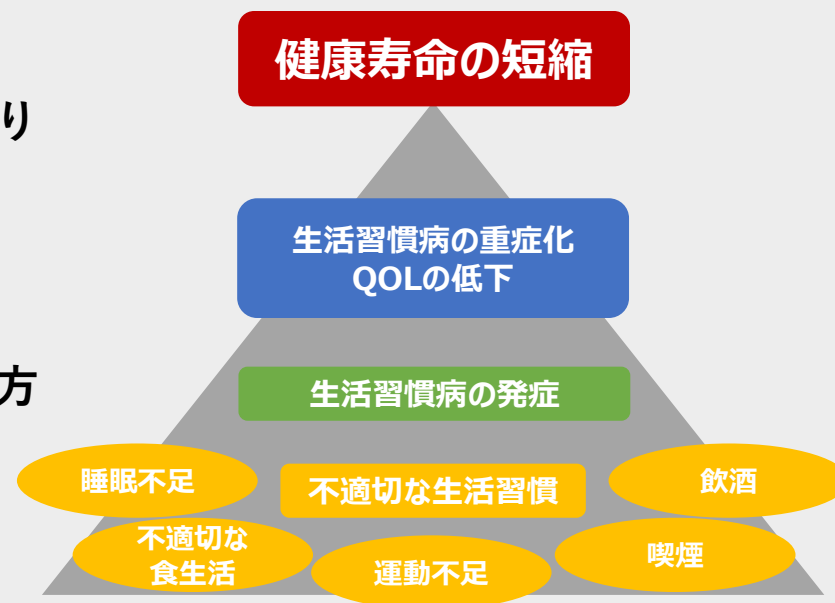
基礎研究から臨床研究、実用化までの一貫した研究開発

分野1. 健康増進・生活習慣病発症予防分野

生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法を確立する分野

分野2. 生活習慣病管理分野

個人に最適な生活習慣病の重症化を予防する方法および重症化後の予後改善、QOL向上等に資する方法を確立する分野



他事業との連携・協力・情報共有

- ・健康日本21（第二次）・成長戦略2019
- ・健康寿命の延伸等を図るための脳卒中、心臓病その他の循環器病に係る対策に関する基本法（循環器病対策基本法）

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
生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法を確立する分野

分野2：生活習慣病管理分野

個人に最適な生活習慣病の重症化を予防する方法および重症化後の予後改善、QOL向上等に資する方法を確立する分野

予防

診断

治療

予後・QOL

IoT等の技術を利用し、生活習慣に関する情報を収集し、効果的に行動変容を促すことを目的とした医療機器等を開発を目指す。

医療機器
ヘルスケア

継続 1 課題※1 (H31～R3)

※1 心血管疾患に対する、乳酸測定ウェアラブルデバイスを用いた運動強度の自己管理システムの開発

令和2年度公募 なし

令和3年度公募 1 課題程度 (R3～R5)

生活習慣、ゲノム情報等のデータを集積・統合することにより生活習慣病の病態解明や発症・重症化予防に資するエビデンスを創出するための研究を推進する。

ゲノム・データ
基盤

継続 2 課題※2 (H31～R3)

※2 生活習慣病を伴う複数疾患を有する高齢者に対する栄養療法支援アプリ作成に関する研究、壮年期就労者を対象とした生活習慣病予防のための動機付け支援の技術開発に関する研究

令和2年度公募 13 課題程度 (R2～R4) ※一部公募中

令和3年度公募 10 課題程度 (R3～R5)

病態生理学、生物学などの基礎研究や臨床研究からのリバーシ・トランスレーショナル研究を推進する。

疾患基礎研究

継続 1 課題※3 (H31～R3)

※3 客観的な資料に基づく活動性及び各種睡眠障害が心血管・代謝障害に与える影響とその病態生理解明の開発研究

継続 7 課題※4 (H31～R3)

※4 DNA損傷応答・核形態の機械学習による心不全の予後・治療応答予測モデルの構築、血管病変の指標となるバイオマーカーの開発、東アジア特有の高血圧・脳梗塞リスクRNF213 p.R4810K多型の迅速判定法の確立と判定拠点の構築 等

令和2年度公募 7 課題程度 (R2～R4) ※公募中

令和3年度公募 9 課題程度 (R3～R5)

期待されるアウトプット、アウトカム

【アウトプット】

ゲノム・データ基盤PJ: 研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 令和3年度単年で4件以上(5年間で20件以上)。新たな疾患発症メカニズム解明の件数 令和3年度単年で0~1件(5年間で3件以上)。

疾患基礎研究PJ: 研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 令和3年度単年で4件以上(5年間で20件以上)。

【アウトカム】

2040年までに健康寿命を男女ともに3年以上延伸し(2016年比)、75歳以上とすることで、誰もがより長く元気に活躍できる社会の実現を目指す。

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(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	136,686
疾患基礎研究	28,600
シーズ開発・研究基盤	0
計	165,286

令和3年度概算要求のポイント

令和3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及び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（更年期疾患 等）

令和3年度は、ライフコース追跡研究、月経関連疾患等の女性ホルモンの影響による疾病の予防・診断・治療の質向上に資するエビデンスの創出に取り組む

女性器等に関する疾病（子宮腺筋症、骨盤臓器脱 等）

令和3年度は子宮内膜症、卵巣疾患等の女性器等に関係する疾病の予防・診断・治療の質向上に資するエビデンスの創出に取り組む

プレコンセプション期女性に特有の疾患予防

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）

令和3年度は、性差による発症メカニズム等の差異に関する研究(やせ、運動器疾患等)に取り組む

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

具体的な研究内容等(ゲノム・データ基盤PJ)

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。ゲノム・データ基盤プロジェクトにおいては、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究を行う。

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
(月経関連疾患、更年期運動器疾患、就労女性の心身の健康問題、女性のスポーツ障害等)

・女性の更年期以降に顕在化する心身の健康課題の病態解明と予防、治療手法開発に向けた研究
・骨盤臓器脱及び下部尿路疾患の網羅的情報に基づいた選別化と個別化治療戦略女性ホルモン等の影響による疾病の予防・診断・治療の質向上に資するエビデンスの創出研究
・女性ホルモン等の影響による疾病の予防・診断・治療の質向上に資するエビデンスの創出研究

1-2. 女性器等に係る疾病
(子宮・卵巣等)

・子宮腺筋症のゲノム・トランスクリプトーム解析に基づく発症・進展機序の解明と応用
・女性器等に係る疾病の予防・診断・治療の質向上に資するエビデンスの創出研究

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・肥満等)

・プレコンセプションの女性に着目した疾患予防に関する総合的なケア方法の確立

2. 男女共通課題のうち特に女性の健康に資する研究

2-1. 性差に関わる研究
(疾患性差・至適薬物療法など)

・女性診療を支援する「AI診断ナビゲーションシステム: WaiSE」の開発
・性差を加味した冠動脈疾患AI診断システムに関する研究開発

具体的な研究内容等(疾患基礎研究PJ)

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。疾患基礎研究プロジェクトにおいては、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。

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
(月経関連疾患、更年期運動器疾患、就労女性の心身の健康問題、女性のスポーツ障害等)

1-2. 女性器等に係る疾病
(子宮・卵巣等)

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・至適薬物療法など)

・性差による発症メカニズム等の差異に関する研究 (やせ、運動器疾患等)

期待されるアウトプット、アウトカム

○ゲノム・データ基盤PJ

【期待されるアウトプット】

就労女性のライフコースにおける女性特有の健康問題についての疫学研究は、前向きデータから検証して、女性の一生涯を通じた健康管理に貢献する知見を提供する(令和2年度まで)。

また、女性医療のビッグデータ収集へつなげるためのシステム構築を行う(令和3年度まで)。

企業、産業医、自治体等が連携してプレコンセプション期の女性を支援する連携の仕組みを整備するための基礎データを獲得する(令和3年度まで)。

研究成果の科学誌への論文掲載状況 インパクトファクター5以上 20件(令和6年度まで)

他の科学誌への掲載件数【モニタリング指標】 27件(令和6年度まで)

新たな疾患発症メカニズム解明の件数 1件(令和6年度まで)

【期待されるアウトカム】

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

シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件(令和6年度まで)

○疾患基礎研究PJ

【期待されるアウトプット】

他の科学誌への掲載件数【モニタリング指標】 10件(令和6年度まで)

【期待されるアウトカム】

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

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(平成28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(千円)
医薬品	32,280
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
疾患基礎研究	47,753
シーズ開発・研究基盤	0
計	80,033

令和3年度概算要求のポイント

医薬品開発に向けた基礎的な研究を推進する。疾患基礎研究PJで見出されたリード化合物(KPI:特許取得)を医薬品PJで開発候補物として最適化(KPI:非臨床POC取得)した後に企業導出もしくは橋渡し研究支援拠点等の他事業への移行することを目指す。

【疾患基礎研究PJ】: 既存のデータ基盤や最先端技術等を活用した独創的な病態解明研究を拡充する。腎疾患の根治療法の開発を見据えた病態解明を進める。

○腎疾患に対する独創的な病態解明研究

【医薬品PJ】: 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。

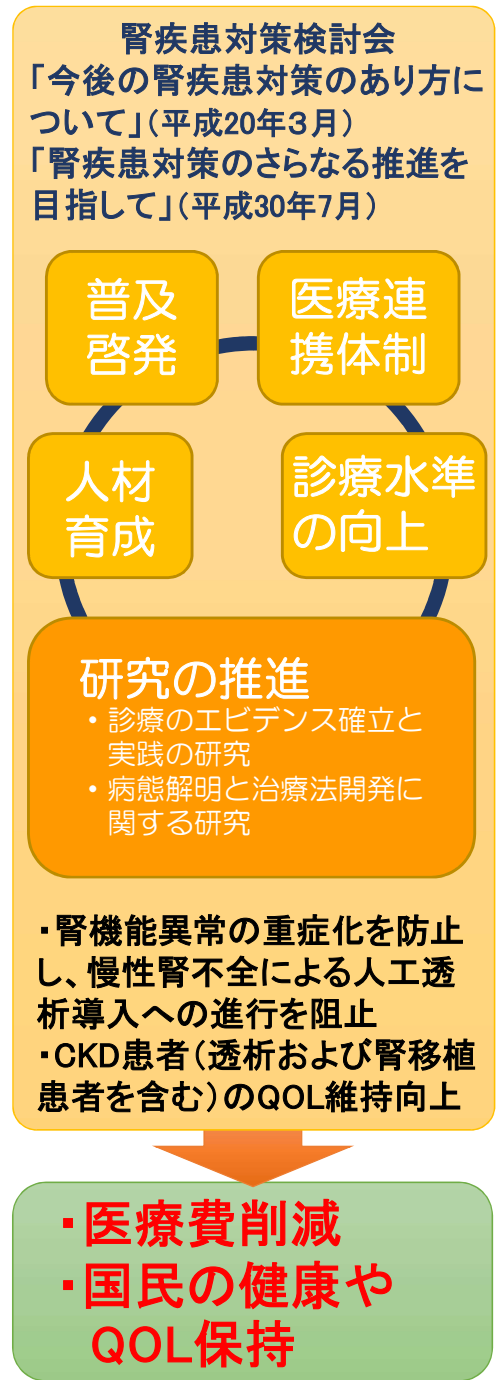
○腎臓をターゲットにした画期的治療法の開発「シーズ探索」

これまでの成果概要等

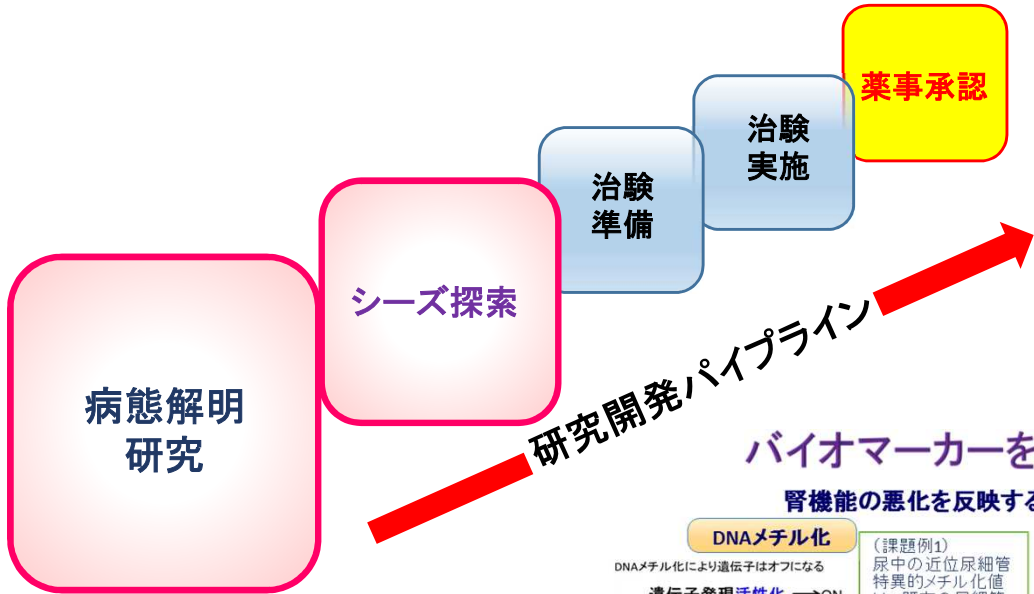
- 【疾患基礎研究PJ】
- 再生腎臓の開発において、iPS細胞からネフロン前駆細胞を作成、キメラ・ブタによるiPS細胞由来の腎臓原器作成に成功し、霊長類(サル)へ移植する段階へ到達した。
 - IgA腎症の新規バイオマーカー分子の検出技術について、検査キット化を行った。
 - 新規透析導入回避に向けた診療ガイドラインの改訂を行った「CKDステージG3b~5診療ガイドライン2017(2015追補版)」。
- 【医薬品PJ】
- メガリンのバイオマーカーとしての意義を確立し、治療標的としてメガリン拮抗薬、メガリン抑制薬になりうる数種類の候補化合物を見出した。
- ① 臨床研究・治験に移行した研究開発(令和元年度末)0件
 - ② 承認申請・承認等に至った研究開発(令和元年度末)0件
 - ③ 特許申請・登録に至った研究開発(令和元年度末)4件
 - ④ 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(令和元年度末)4件

具体的な研究内容等

プロジェクト名	R元年度	R2年度	R3年度	R4年度	R5年度
1: 医薬品	メガリンをターゲットにした急性腎障害および慢性腎臓病の創薬研究		腎NAD代謝をターゲットにした糖尿病性腎臓病 (Diabetic Kidney Disease) に対する新規医療の確立	新規 腎臓をターゲットにした画期的治療法の開発 (シーズ最適化・POC追求)	
	炎症収束に着目した腎疾患の病態解明		アミノ酸キラリティを標的とした分子病態の解明	新規 腎疾患に対する独創的な病態解明研究 (新規)	
2: 疾患基礎研究	IgA腎症の早期発見・早期診断法の開発				
	長期観察コホートデータに基づく指針等の検証				
	腎移植の治療成績向上に資する研究				

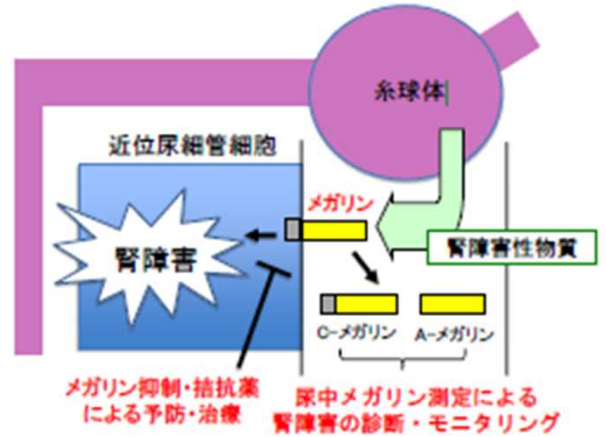
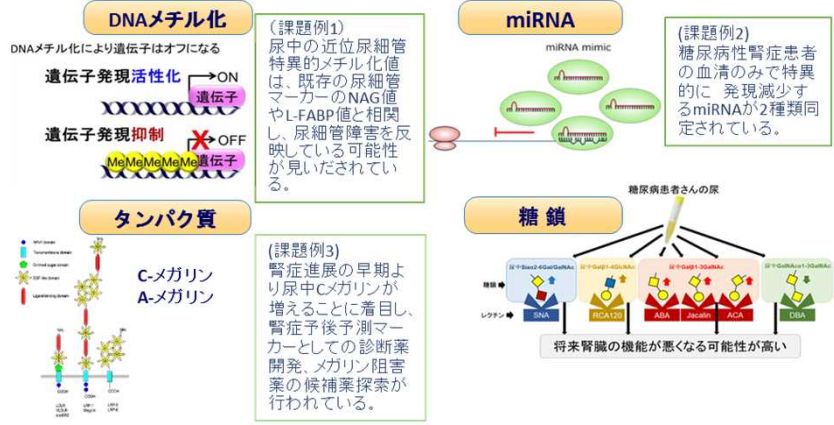


具体的な研究内容等



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

期待されるアウトプット・アウトカム

【期待されるアウトプット】

2022年度までに本事業の成果により、以下の内容の達成を目指す。

・CKDの病態解明に基づく効果的な新規治療薬の開発

【期待されるアウトカム】

上記の様な事業成果の導出により、CKD重症化予防の徹底とともに、CKD患者のQOLの維持向上等の腎疾患対策のさらなる推進につながる。

具体的には2028年までに年間新規透析導入患者数を35,000人以下(平成28年比で約10%減少)とする。

事業概要(背景・目的)

アレルギー疾患、もしく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、平成26年に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推進している。平成31年1月に「免疫アレルギー疾患研究10か年戦略」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。

本事業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、治療・予後QOL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、層別化に資するデータ・ゲノム基盤等の研究開発を促進する。

新PJ(モダリティ)区分	要求額(千円)
医薬品	113,083
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	85,556
疾患基礎研究	595,873
シーズ開発・研究基盤	0
計	794,512

令和3年度概算要求のポイント

免疫アレルギー疾患研究10か年戦略に対応し、予防・診断・治療・予後QOLに資する研究課題を推進する。また、アレルギー疾患対策基本法に基づいて、免疫療法の推進を図るため、医薬品プロジェクトの中で免疫療法の実用化を目指した課題を「重点領域」として推進する。

- 【医薬品】
 - ・(増額) 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(ステップ0/1/2)
 - ・(新規) 【研究10か年戦略対応】免疫アレルギー疾患に関する医薬品等の開発研究分野(ステップ0/1/2)
 - ・(新規) (重点領域)重症・難治性免疫アレルギー疾患に対する免疫療法等の実用化に関する開発研究(ステップ0/1/2)
- 【ゲノム・データ基盤】
 - ・(増額) 多様性理解と層別化に資する基盤的ゲノム・データ研究
- 【疾患基礎研究】
 - ・(増額) 病態解明研究分野(若手研究者推進)
 - ・(新規) 【研究10か年戦略対応】免疫アレルギー疾患のエビデンス創出研究
 - ・(新規) 【研究10か年戦略対応】免疫アレルギー疾患に関する病態解明研究

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、

- ・医薬品プロジェクトにおいては、①革新的医薬品の開発につながるシーズ探索と開発研究を推進し、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製造販売承認**に至った他、複数の医薬品開発候補の開発フェーズが進行し、現在も研究開発を推進している。
- ・ゲノム・データ基盤プロジェクトでは、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。
- ・疾患基礎研究プロジェクトでは、①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、慢性アレルギー性呼吸器疾患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。②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)」**の作成に資する研究成果を導出した。また若手研究者による研究の推進と国際発表を支援した。

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(令和元年度末) 医薬品PJ 1件
- ②承認申請・承認等に至った研究開発(令和元年度末) 医薬品PJ 1件
- ③特許申請・登録等に至った研究開発(令和元年度末) 医薬品PJ 4件 疾患基礎研究PJ 18件

具体的な研究内容等



アレルギー疾患対策基本法(H26年成立)

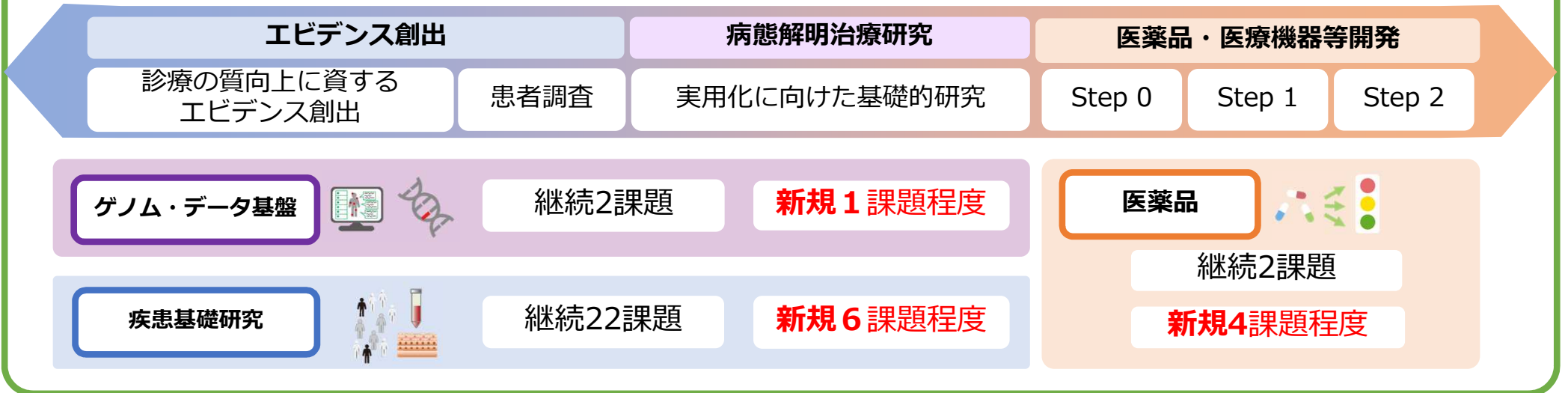
アレルギー疾患の本態解明、革新的なアレルギー疾患の予防、診断及び治療に関する方法の開発、重症化予防に資する研究の推進



免疫アレルギー疾患研究10か年戦略(H31年発出)

疾患活動性や生活満足度の見える化、病態の見える化に基づく層別化医療および予防的・先制的医療の実現

免疫アレルギー疾患実用化研究事業



平成29年度	平成30年度	令和元年度	令和2年度	令和3年度	令和4年度	令和5年度	令和6年度
			増額				
【免疫アレルギー疾患領域】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 (ステップ0/1/2)							
医薬品			推進	【10か年戦略対応】免疫アレルギー疾患に関する医薬品等の開発研究 (ステップ0/1/2)			
継続2課題			推進	(重点領域) 重症・難治性免疫アレルギー疾患に対する免疫療法等の実用化に関する開発研究 (ステップ0/1/2)			
新規4課題程度							

具体的な研究内容等



アレルギー疾患対策基本法(H26年成立)

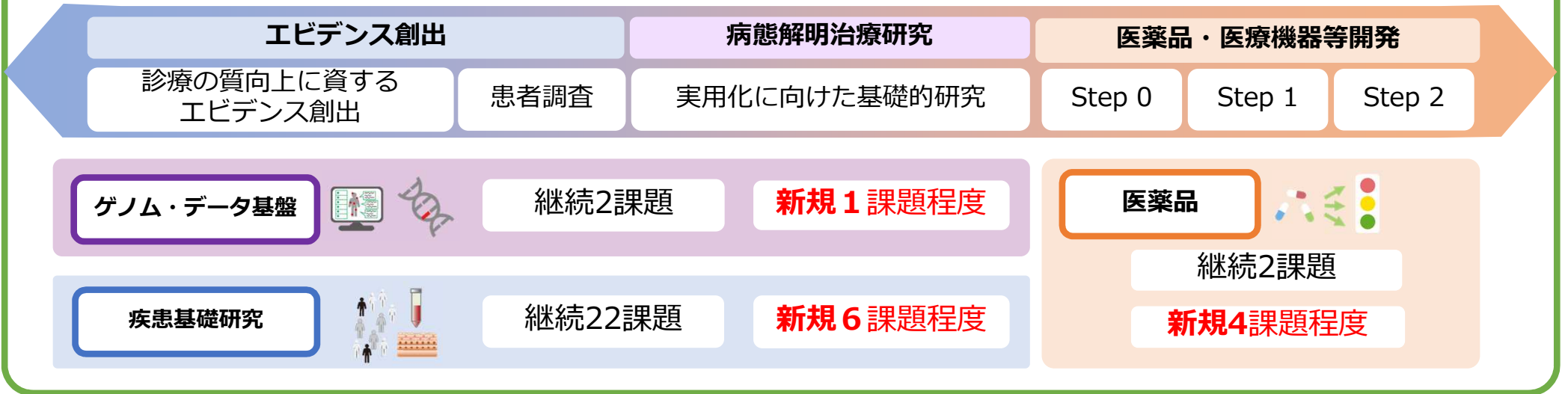
アレルギー疾患の本態解明、革新的なアレルギー疾患の予防、診断及び治療に関する方法の開発、重症化予防に資する研究の推進



免疫アレルギー疾患研究10か年戦略(H31年発出)

疾患活動性や生活満足度の見える化、病態の見える化に基づく層別化医療および予防的・先制的医療の実現

免疫アレルギー疾患実用化研究事業



平成29年度	平成30年度	令和元年度	令和2年度	令和3年度	令和4年度	令和5年度	令和6年度
			<div style="display: flex; align-items: center;"> <div style="background-color: #4a7ebb; color: white; padding: 5px; margin-right: 10px;">増額</div> <div style="border: 1px solid #ccc; padding: 10px; flex-grow: 1;"> <p style="text-align: center;">重点領域研究分野</p> <p style="text-align: center;">多様性理解と層別化に資する基盤的ゲノム・データ研究</p> </div> </div>				
<div style="background-color: #4a7ebb; color: white; padding: 10px; border-radius: 10px; display: inline-block;">ゲノム・データ基盤</div>							
継続 2 課題 新規 1 課題程度							
<div style="border: 1px solid #ccc; padding: 10px; margin-top: 10px;"> <ul style="list-style-type: none"> 免疫アレルギー疾患を層別化するための臨床情報・検体収集システム及び体制を整備し、検体・データ収集対象等を拡大展開するとともに、時系列情報の添付、ゲノムのインピュテーション情報付加など情報工学的解析技術を更に高度化する。 患者の経時的情報やディープフェノタイピングを付与した臨床情報を統合的に解析し、疾患の多様性理解と層別化に基づく医療開発を促進する。 </div>							

具体的な研究内容等



アレルギー疾患対策基本法(H26年成立)

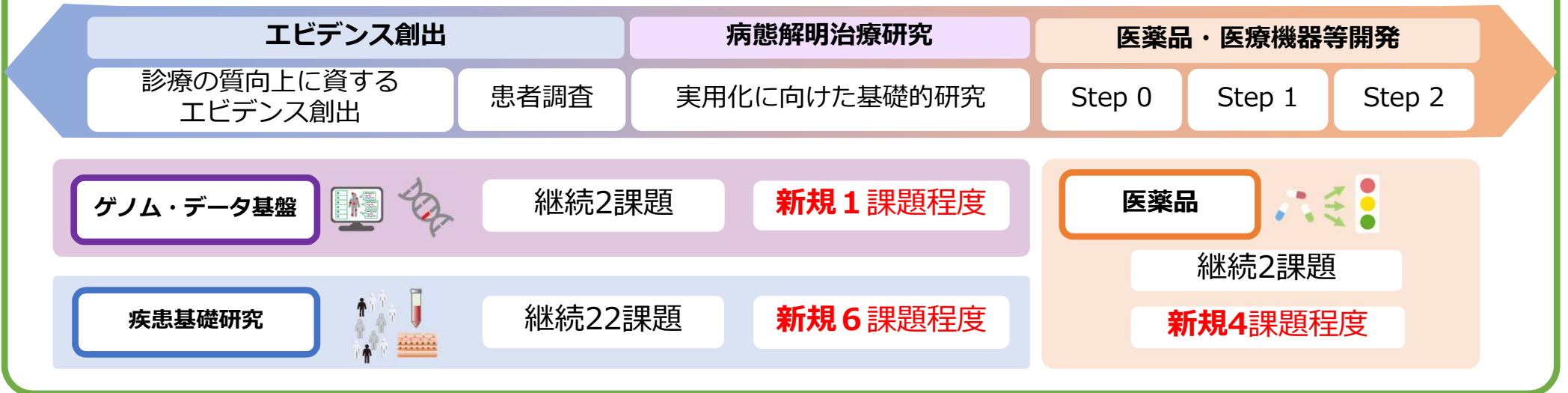
アレルギー疾患の本態解明、革新的なアレルギー疾患の予防、診断及び治療に関する方法の開発、重症化予防に資する研究の推進



免疫アレルギー疾患研究10か年戦略(H31年発出)

疾患活動性や生活満足度の見える化、病態の見える化に基づく層別化医療および予防的・先制的医療の実現

免疫アレルギー疾患実用化研究事業



平成29年度	平成30年度	令和元年度	令和2年度	令和3年度	令和4年度	令和5年度	令和6年度
診療の質の向上に資する研究分野				【研究10か年戦略対応】免疫アレルギー疾患のエビデンス創出研究			
病態解明研究分野 (基礎的研究)				【研究10か年戦略対応】免疫アレルギー疾患の病態解明研究			
疾患基礎研究				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・異分野融合に注目した、診療の質に資する研究・病態解明研究			
継続 22 課題 (終了 7 課題)				新規 6 課題程度			
増額				病態解明研究分野 (若手研究者推進)			

医薬品プロジェクト

具体的な研究内容等（代表的成果）

アトピー性
皮膚炎

京都大学
梶島健治先生

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
(2014-2016年)
JAK阻害剤 外用薬のシーズ探索

2019年1月薬事申請
2020年1月製造販売承認

デルゴシチニブ：コレクチム®

アトピー性皮膚炎に対して、新規メカニズム
による治療薬の探索・開発

期待されるアウトプット、アウトカム

【アウトプット】

- 免疫・アレルギー疾患の革新的な診断法・治療法となる医療技術（医薬品、医療機器等）の薬事承認に向けた、治験準備、医師主導治験、企業導出。もしくは、適応拡大が期待される既存薬に関する臨床試験（医師主導治験）の開始及び承認、企業への導出。
- ・非臨床POCの取得件数：1件以上

【アウトカム】

- 免疫アレルギーの本態解明によって、革新的な医療技術に基づく層別化医療・予防的先制的医療が実現し、最適な治療選択による患者のQOL改善、医療経済効果が得られ、さらには、アレルギー疾患ではアレルギーマーチを抑制することで、アレルギーの三次予防（アレルギー発症後の重症化予防）から二次予防（アレルギーマーチの進展の予防）に導く。
- 産学官民が結集して国際的な研究開発を進められる仕組みを作り、患者を含む国民が参画する研究成果が効果的に還元され、さらには現在すすめられている都道府県アレルギー拠点病院と連携し、地域差のない、免疫アレルギー疾患に対して安心して生活できる社会が構築される。
- ライフステージなどの疾患特性に応じた医療の最適化や重症免疫アレルギー疾患における「防ぎ得る死」のゼロを目指す。
- ・令和6年度までに非臨床POCの取得件数：1件以上

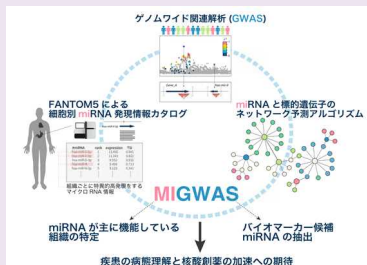
データ・ゲノム基盤プロジェクト

具体的な研究内容等（代表的成果）

関節 リウマチ

Nucleic Acids
Research 2018

大阪大学
岡田随象先生

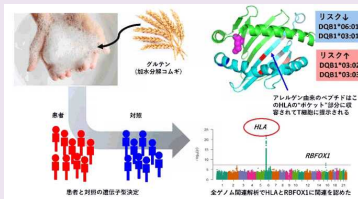


疾患ゲノム情報と組織特異的マイクロRNA発現情報の統合により、関節リウマチのバイオマーカーを同定

経皮感作 食物アレルギー

Journal of Allergy
and Clinical
Immunology 2019

筑波大学
野口恵美子先生



小麦に対するアレルギーへのなりやすさ・なりにくさに関わる遺伝子を特定

期待されるアウトプット、アウトカム

【アウトプット】

- 免疫アレルギー疾患の特性に立脚してデザインされた、国際連携可能な標準化疾患データベースの整備、血液、皮膚、粘膜、尿、便等の検体収集・保管態勢の整備。層別化された患者群ごとにエンドタイプを反映するバイオマーカーやディープフェノタイピングの統合的解析を実装化し、個別化治療プログラムにつながるシステムを確立する。これにより病態解明の成果や革新的予防法・診断法・治療法の開発に寄与するシーズ同定につなげる。
- 研究成果の科学誌（IF 5 以上）への論文掲載件数：3 件以上 ・新たな疾患発症メカニズム解明件数 1 件以上

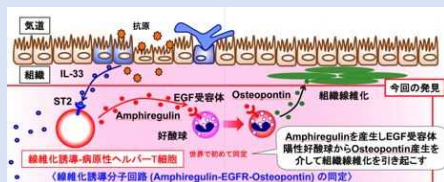
【アウトカム】

- 免疫アレルギーの本態解明によって、革新的な医療技術に基づく層別化医療・予防的先制的医療が実現し、最適な治療選択による患者のQOL改善、医療経済効果が得られ、さらには、アレルギー疾患ではアレルギーマーチを抑制することで、アレルギーの三次予防（アレルギー発症後の重症化予防）から二次予防（アレルギーマーチの進展の予防）に導く。
- 産学官民が結集して国際的な研究開発を進められる仕組みを作り、患者を含む国民が参画する研究成果が効果的に還元され、さらには現在すすめられている都道府県アレルギー拠点病院と連携し、地域差のない、免疫アレルギー疾患に対して安心して生活できる社会が構築される。
- ライフステージなどの疾患特性に応じた医療の最適化や重症免疫アレルギー疾患における「防ぎ得る死」のゼロを目指す。
- 令和6年度までに研究成果の科学誌（IF 5 以上）への論文掲載件数：8 件以上

疾患基礎基盤プロジェクト

具体的な研究内容等（代表的成果）

アレルギー性 気道炎症

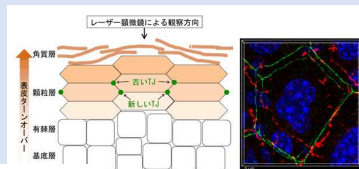


(Immunity 2018)

千葉大学
中山俊憲先生
平原潔先生

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

痒みの メカニズム



Scientific Reports 2019

理化学研究所
かずさDNA研究所

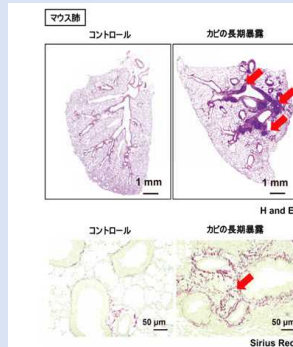
皮膚バリアと感覚神経の関係を可視
化—アトピー性皮膚炎などの痒みの
メカニズムに新知見—

真菌感染によ る肺線維化

Nature
Immunology 2019

千葉大学
中山俊憲先生
富山大学
市川智巳先生

カビによる肺線維化に有効な治療法の
鍵を発見—肺の組織線維化を引き起こ
す新たな細胞集団を同定—



期待されるアウトプット、アウトカム

【アウトプット】

- エビデンス創出を行う研究を重点的に取り組み、本事業の成果を利用して作成されたガイドライン等、もしくはガイドラインに引用された論文報告、革新的な病態機序解明研究、医師主導治験にステップアップした、もしくは企業導出につなげる。
 - 研究成果の科学誌への論文掲載 IF5以上：30件以上

【アウトカム】

- 免疫アレルギーの本態解明によって、革新的な医療技術に基づく層別化医療・予防的先制的医療が実現し、最適な治療選択による患者のQOL改善、医療経済効果が得られ、さらには、アレルギー疾患ではアレルギーマーチを抑制することで、アレルギーの三次予防（アレルギー発症後の重症化予防）から二次予防（アレルギーマーチの進展の予防）に導く。
- 産学官民が結集して国際的な研究開発を進められる仕組みを作り、患者を含む国民が参画する研究成果が効果的に還元され、さらには現在すすめられている都道府県アレルギー拠点病院と連携し、地域差のない、免疫アレルギー疾患に対して安心して生活できる社会が構築される。
- ライフステージなどの疾患特性に応じた医療の最適化や重症免疫アレルギー疾患における「防ぎ得る死」のゼロを目指す。
- 令和6年度までに研究成果の科学誌への論文掲載 IF5以上 100件以上

移植医療技術開発研究事業

令和3年度要求額	99,660千円
----------	----------

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】移植を受ける患者における治療成績向上に資する、原疾患や合併症に対する検査や治療の方法の最適化及び開発に資する知見の集積を進める。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(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	99,660
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	99,660

令和3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、ゲノム情報や臨床情報等に関する大規模なデータベースを解析することで、最適な移植医療技術の確立及び新規治療法等の開発につながる新規知見の収集に資する研究を行う。

新規課題としては、下記課題に取り組む。

- 【臓器移植】
 - データベース・遺伝子関連情報等を活用した臓器移植医療の最適化に関する研究
- 【造血幹細胞移植】
 - 大規模データベースを用いた機械学習による解析に基づく、同種造血幹細胞移植後の補助療法の開発に関する研究

これまでの成果概要等

【臓器移植分野】
臓器移植における抗体関連拒絶反応に対する実態調査及び臨床研究や治験の結果を反映させた、全臓器における抗体関連拒絶反応ガイドラインを作成した。(平成30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)アレルタイピング法を開発し(平成30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(平成30年度)。

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

具体的な研究内容等

【臓器移植】

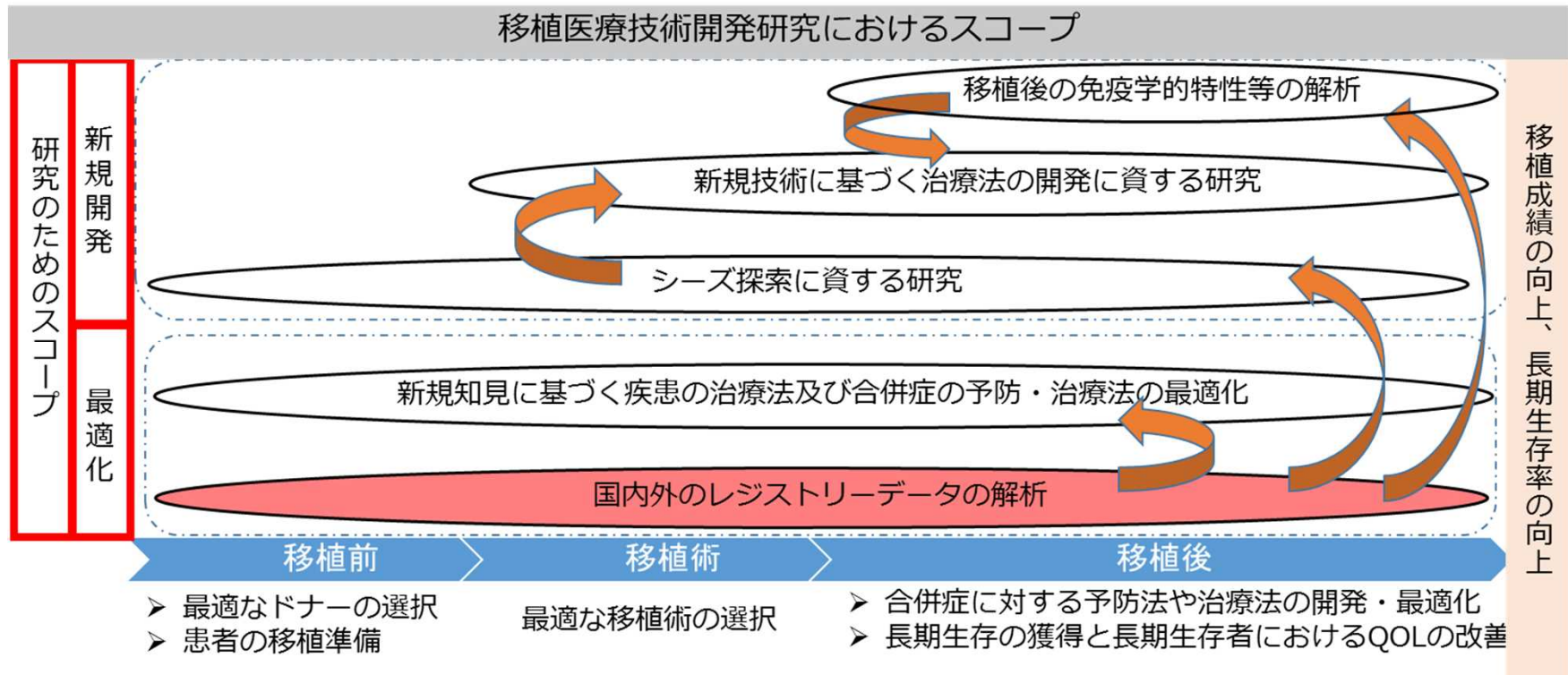
○データベース・遺伝子関連情報等を活用した臓器移植医療の最適化に資する研究

臓器移植の診療においては、ドナーとレシピエントの適合性、術前術後の免疫抑制療法の選択、感染症対策等、多くの検討事項が存在する。個々の事例におけるドナー、レシピエントの組み合わせ、術式、薬剤等を決定するためには、種々の臨床情報収集を行った上で、総合的な判断が必要となるため、担当医や施設により、診療方針に関する見解が異なる場合も存在する。そのため、データベースや遺伝子関連情報等を用いた機械学習やディープラーニングにより、個々の事例におけるリスク予測、治療方針決定に関する客観的判断を可能とすることで、臓器移植医療の最適化を図る。

【造血幹細胞移植】

○大規模データベースを用いた機械学習による解析に基づく、同種造血幹細胞移植後の補助療法の開発に関する研究

移植後亜急性期までに生じる合併症は多彩かつ複合的であり、これらの予防及び治療のために投与される薬剤等は、患者毎に個別化され極めて多岐にわたるため、治療の最適化等に関する質の高い検討は、世界的にもいまだ十分行われていなかった。そのため、機械学習による解析手法を用いて患者に生じた種々の合併症と、その患者の臨床的な状態(別の合併症の発症状況など)や用いられている医薬品等の医療技術との関連性を解析する。得られた知見を基に、予後等の改善に資する、最適化された検査及び治療の方法に関するガイドラインの作成等を行うと共に、医薬品や再生医療等製品等の新規開発及び適応拡大につなげていく。



期待されるアウトプット、アウトカム

【アウトプット】

臓器・組織移植領域では、臓器横断的に、現在までに臓器移植が施行された患者や移植待機中の患者に関する一連の医療情報と、各患者から採取・保存された血液や組織等を用いて集積された遺伝子情報等の関連を解析することで、臓器・組織移植領域の移植後免疫にかかる病態の解明等の基盤となる研究開発を目指すとともに、既存治療の改良に資する研究を行い治療効果等の向上を目指す。

造血幹細胞移植領域では、骨髄・末梢血幹細胞・臍帯血それぞれについて、移植に係る一連の医療情報を国内のレジストリーデータ等を機械学習等の方法によって解析することで、より適切なドナーを選択することができる方法の開発や、移植後に生じる致命的合併症への予防法や治療法を開発を行うとともに、得られた知見を元にして新規移植法を開発を行う。

この結果、本事業としては令和7年度末までに、インパクトファクター5以上の論文を25報以上の成果を報告し、1件以上の新たな疾患発症メカニズムを解明し、臨床的に実用可能なバイオマーカーを1件以上開発する。

【アウトカム】

臓器移植領域、造血幹細胞移植領域の両領域において、ドナー選択法の開発や新規移植法の開発、またこれらを踏まえたガイドラインの策定により、より適切なドナーソースからの臓器移植、造血幹細胞移植を実施することが可能になり、これらが普及するとともに移植後の予後改善を図ることが期待できる。同時に、移植後合併症に対する予防法・治療法を新規に開発・最適化することにより、現在も依然として高率である、合併症により死に至る患者やQOL低下に至る患者を減らすことが期待できる。

事業概要(背景・目的)

多くの国民が抱える慢性の痛みがQOLの低下を来す一因となっているという背景から、「今後の慢性の痛み対策について(提言)」(平成22年9月、慢性の痛みに関する検討会)に基づき総合的な痛み対策を遂行している。「ニッポン一億総活躍プラン」および骨太方針に慢性疼痛対策が取り上げられるとともに、「慢性の痛み対策議員連盟」が立ち上がり、その一層の充実が求められている。

慢性の痛みについては、器質的要因だけでなく、精神医学的、心理的要因からの評価・対応も必要であるため、診療科横断的な多職種連携体制で、認知行動療法を含めた多角的なアプローチにより診療をおこなう痛みセンターの構築を進め、現在全国23箇所まで拡大してきているなど、着実な成果を上げてきている。

近年、慢性の痛みについては、国外の動きも活発であり、市場規模も大きいことから、国内外において医療応用への将来性が期待される分野である。本事業では、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必要な客観的指標に基づく介入群の層別化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いる。

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	0
疾患基礎研究	70,320
シーズ開発・研究基盤	0
計	70,320

令和3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。

- 痛みの慢性化の機序解明と予防法に関する研究
- 慢性疼痛の客観的・定量的評価法の確立に向けたシーズ探索に関する研究
- 心理的社会的要因による慢性疼痛に対する効果的な治療法の確立に関する研究

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し、企業と共同開発中(平成31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(平成31年度)。

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

具体的な研究内容等

・慢性の痛み解明研究事業では、「今後の慢性の痛み対策について（提言）」（平成22年9月）に基づき総合的な痛み対策を遂行している。

・痛みは慢性化するに従い、**罹患部位の器質的異常や身体機能だけの問題ではなくなり**、精神医学的要因、心理学的要因、社会的な要因が複雑に関与して、痛みを増悪させ、遷延させることになる。そのため、痛み診療においては、**診療科の枠組みを超えた総合的かつ集学的な対応**が求められる。



○痛みの慢性化の機序解明と予防法の開発に関する研究

様々な慢性痛について、疾患モデルを用いた病態の理解が試みられており、有効な治療法の開発に関する研究も多数行われているが、未だ有効な治療法の確立には至っていない。また、これまでは治療法に着目した研究が主体であり予防法に着目した研究は少ない。慢性痛による社会的経済的損失を最小限にするため、その予防策の確立が重要である。

○慢性疼痛の客観的・定量的評価方の確立に向けたシーズ探索に関する研究

痛みは主観的な感覚であり診察所見と自覚症状が乖離することも多いが、客観的な評価方法は未確立である。

慢性疼痛の病態理解と治療法の開発には感覚系、運動系、情動系および認知系を網羅する多面的な評価が極めて重要であり、それらの複合的な分析による新たな治療標的及び客観的定量的な評価指標の抽出が必須である。

○心理的社会的要因による慢性疼痛に対する効果的な治療法の確立に関する研究

疼痛の慢性化の要因の一つとして、生育歴や社会的環境等の心理的・社会的な因子の複合的影響が指摘されており、これまで国内外において、それらの因子が痛みの程度や心理的側面に与える影響についての研究が行われてきているが、詳細な病態の解明や治療法の確立には至っておらず、より一層の推進が求められる。

期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】

- ・慢性の痛みに対する客観的な指標を用いた診断法の開発
- ・慢性の痛みに対する新たな治療法の開発による疼痛の予防や軽減

慢性の痛みについて、痛みの発症、薬剤感受性に寄与する客観的な指標を用いた診断法、治療法の開発を目指す研究開発、および慢性の痛みの病態解明に寄与する研究開発を推進。

- ・慢性の痛みに対する診療ガイドラインの作成や改訂につながるエビデンスの創出
- 疾患のデータベースを構築し、慢性の痛み患者を層別化することによって、疾患発症前もしくは早期発症段階での、個々の患者に適した適切な予防・治療法選択を実現する。

【期待されるアウトカム】

上記のような事業成果の導出により、慢性の痛み医療の均てん化、患者のQOLの向上に貢献する。また、慢性の痛みの評価指標の構築および治療の最適化を目指すことで、将来的な慢性の痛みを理由とする労働力の低下防止、障害や疾病の特性等に応じて最大限活躍できる社会の実現につなげる。

エイズ対策実用化研究事業

令和3年度要求額 591,150千円

事業概要(背景・目的)

世界でのHIV感染者は2017年末時点で、約3,690万人と推定されており、日本におけるHIV感染者・エイズ患者報告数は年間で約1,500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ではなく、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薬の長期内服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べく、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(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	0
疾患基礎研究	591,150
シーズ開発・研究基盤	0
計	591,150

令和3年度概算要求のポイント

エイズ対策実用化研究においては、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。具体的には、新規ワクチン・治療薬開発、HIV根治に向けた医薬品シーズ探索、HIV感染の機構解明、HIV関連病態解明と治療法開発、HIVの機能タンパク質立体構造予測、HIV感染症領域における新たな知見の創出を推進する。

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。
- ・HIV潜伏感染霊長類モデルによるHIV感染症の根治治療法に関する前臨床評価による有効性評価等を実施する。

これまでの成果概要等

- ・HIV-1 RNAを標的とした新たな宿主抑制因子としてN4BP1を同定した。また、MALT1によるN4BP1の分解が、HIV-1潜伏感染細胞の再活性化に寄与することを明らかにした。(2019年5月)
 - ・宿主PIMキナーゼがHIV-2タンパク質VpxのSAMHD1に対する働きを制御するウイルス調節因子であることを明らかにした。また、PIMキナーゼを阻害することにより、HIV-2の複製を効果的に阻止できることを初めて示した。(2019年4月)
 - ・STINGリガンド3'3'-cGMPAはtype I IFNの産生を強く引き起こすことによって、ナイーブT細胞からエフェクター機能の強いHIV-1特異的CD8陽性T細胞を効率的に誘導できることを明らかにした。(2019年4月)
 - ・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。(2019年2月)
 - ・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。(2018年9月)
 - ・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)。
- ①臨床研究・治験に移行した研究開発(令和元年度末)0件
 - ②承認申請・承認等に至った研究開発(令和元年度末)0件
 - ③特許申請・登録等に至った研究開発(令和元年度末)1件
 - ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(令和元年度末)3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**

2020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
- ・ 肝炎ウイルス合併症による肝硬変、悪性腫瘍等のHIV感染合併症の病態解明と治療法開発
- ・ 動物モデルの開発の継続

期待されるアウトプット、アウトカム

- ・期待されるアウトプット
令和5年度までに
研究成果のインパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載50件
- ・期待されるアウトカム
令和5年度までに
シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出 2件

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(千円)
医薬品	145,446
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	95,233
研究開発基礎基盤	3,050,80
計	3,291,479

令和3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、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がん予防法の開発、C型肝炎ウイルス(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、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等を行う。

なお、要望措置額部分については、B型肝炎の治療効果向上に資する研究、HBVの再燃・再活性化に病態解明に関する研究、新規作用機序による肝炎ウイルス制御に関する研究、新規技術を用いた肝再生及び肝機能の改善に関する研究、ウイルス性肝疾患を含む代謝関連肝がんの病態解明に関する研究、慢性炎症を背景とした肝発がん、再発に至る機序の解明と発がん、再発の予防および治療法に関する研究、肝疾患に伴う栄養・代謝・身体機能低下等の機序解明に関する研究、ウイルス性肝炎の肝移植前後の予後改善につながる治療法に関する研究等を行う。

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(2019年度末) | 0件 |
| ②承認申請・承認等に至った研究開発(2019年度末) | 0件 |
| ③特許申請・登録等に至った研究開発(2019年度末) | 22件 |
| ④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(2019年度末) | 6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

H29年度~R3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

期待されるアウトプット、アウトカム

・期待されるアウトカム

令和3年度までに

非臨床POCの取得件数2件

研究成果のインパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載35件

・期待されるアウトプット

令和3年度までに

薬事承認件数(新薬、適応拡大)1件

具体的な研究内容等

2. 肝炎等克服緊急対策研究事業

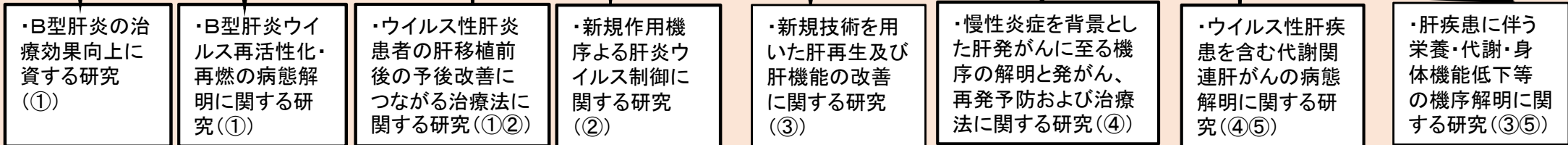
肝炎研究10カ年戦略に基づき実施する。肝炎に関する基礎、臨床及び疫学研究等を総合的に推進し、特にB型肝炎、肝硬変の治療に係る医薬品の開発等に係る研究を促進する。

R2年度までの研究成果

- ・C型慢性肝炎に対するDAA治療成績を明らかにし、治療効果における宿主及びウイルス要因を明らかにした。難治例に対する有効な治療法探索に繋がるものと期待できる。
- ・HBV感染抑制リガンドの解析を行い、初感染時に関わる受容体共役因子EGFRなどの感染制御宿主因子や、新規創薬シーズが同定された。さらに、数理解析を利用して、cccDNA形成に至るHBV生活環経路の制御メカニズムを明らかにした。
- ・A型及びE型肝炎の大規模かつ網羅的な臨床データの収集とそれに基づく感染防止、病態解明、起因ウイルスの遺伝的多様性に関する分析を行い、感染実態・動向を明らかにした。
- ・肝線維化に関連する血清の糖鎖マーカーを同定し、そのキャリア蛋白を特定した。さらに肝星細胞の新規培養系により肝線維化機構に関連する新たな治療標的を同定した。
- ・ウイルス性肝疾患やNAFLDの線維化の原因である筋線維芽細胞のマーカー受容体となるタンパク質を同定した。さらにこの受容体が線維化を促進することを明らかにした。

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 	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
---	--	---	---	--



R3年度からの新規研究概要

・肝疾患(ウイルス性肝炎を含む)に関する新たな検査法、治療法の開発を目指した研究(①-⑤)

期待されるアウトプット、アウトカム

・期待されるアウトカム

令和6年度までに

研究成果のインパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載 100件

新たな疾患発症メカニズム解明件数1件

新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数1件

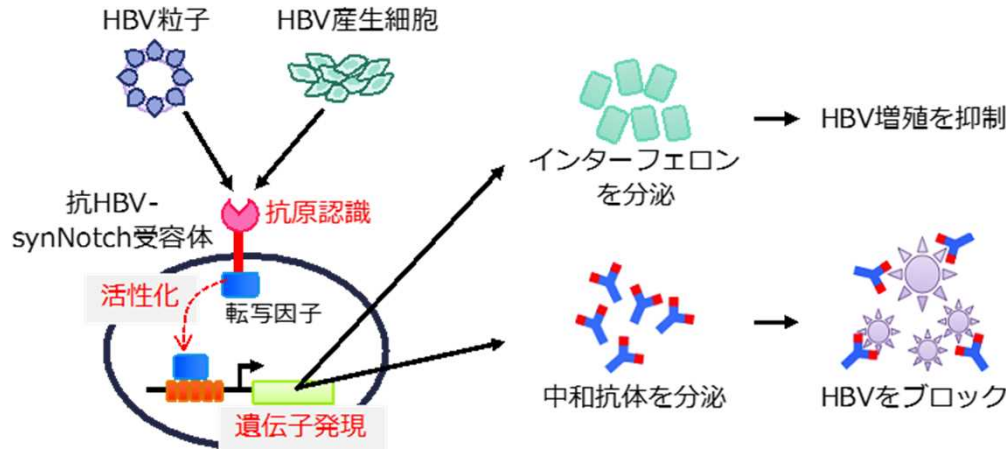
・期待されるアウトプット

令和6年度までに

臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数2件

病原性ウイルスを高感度に検知し 感染を阻止する人工免疫細胞を創出

合成Notch(synNotch)受容体を用いたHBVに対する人工免疫細胞とその機能を示す概略図



細胞外においてB型肝炎ウイルス(HBV)粒子の表面抗原(HBs抗原)を認識し活性化されると、細胞内で転写因子が働き、インターフェロンや中和抗体を分泌する。その結果、HBVの感染(伝播)が抑制される。

合成Notch受容体の細胞内と細胞外の部分をカスタマイズし、HBVの表面抗原を検知して細胞内での転写を促す人工免疫細胞を開発した。活性化した人工免疫細胞は中和抗体とインターフェロンを分泌することでHBVの伝播を抑制することを細胞レベルで確認できた。

「Engineering cellular biosensors with customizable antiviral responses targeting hepatitis B virus」
掲載誌 *iScience*

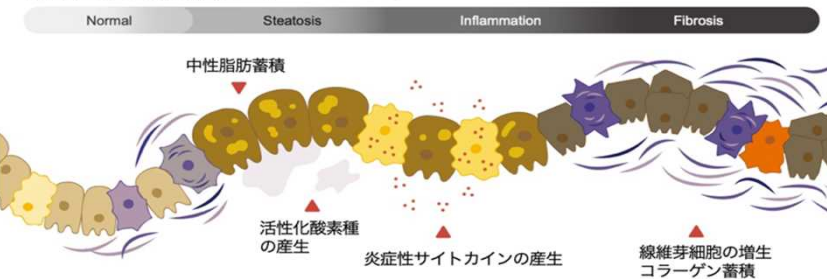
ヒューマンオルガノイド技術による 炎症・線維化病態の再現に成功



オルガノイド創薬へ活用のイメージ



オルガノイドの病態進行イメージ



多能性幹細胞から、免疫系細胞を含む複数種類の細胞が含まれたヒト肝臓オルガノイド(ミニ肝臓)を創出するための新規培養技術の開発に成功した。「オルガノイド創薬」という新たな概念に基づき、脂肪性肝炎などの新薬開発への応用が期待できる。

「Modeling Steatohepatitis in Human with Pluripotent Stem Cell-Derived Organoids」
掲載誌 *Cell Metabolism*

事業概要(背景・目的)

わが国は、2040年を見据え、増加し続ける高齢者人口と共に生産年齢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、人生の最終段階に至るまで尊厳を保ちつつその人らしく生活を送るためには、適切な医療及び介護が不可欠である。今後、医療や介護人材の確保が更に難しくなる中で、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、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。本事業では、老年医学領域における高齢者に特化したこれまでの研究基盤及び成果を基礎として、高齢者の医療・介護を包括的に支援する基盤整備を推進するため、医療・介護を必要とする状態の予防を含め開発研究を進めるものである。

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	0
疾患基礎研究	205,882
シーズ開発・研究基盤	0
計	205,882

令和3年度概算要求のポイント

わが国が見据える超高齢化社会における健康長寿社会の実現、生産年齢人口の減少が見込まれる中での生産性向上の実現へ向け、新たな健康医療戦略を基本方針として、介護予防、高齢者医療・介護分野の生産性向上を一層推進を図るべく令和3年度概算要求を行う。

令和2年度から高齢者医療・介護分野の生産性向上のため、在宅療養を支援する提供者側の負担軽減を目的とした機器を用いた技術開発への取組を開始し、令和3年度においても多様な成果導出へ向け拡充を行う【新規】。特に、質の高い高齢者への医療・介護の確保のため、専門職育成の負担軽減を図る先進技術を用いた支援ソフト等の開発【新規】を行う。また、経済財政運営と改革の基本方針2019にて、介護予防の一層の推進が求められていることに加え、令和2年10月から医療・介護レセプトの連結が実装されることを受け、リアルワールドデータを活用した産官学が共同した研究を加速させ、民間の力を活かした介護予防推進に向け研究開発を継続する【新規】。

これまでの成果概要等

これまで加齢による変化を踏まえ、高齢者が医療や介護を必要とする状態を予防できるよう多領域における研究から予防法の開発を推進してきた。これにより、予防に資する個人及び包括的なアプローチ方法を創出しながら、産官学が共同して研究を推進する体制構築まで到達している(成果事例(2))。

また、フレイルや介護を要する状態の予防の他に、適切な高齢者医療・介護手法の開発も推進してきた。高齢者が抱える身体的な問題は、複数の疾患等による複雑な病態を呈しており、慢性期においても画一的な介入では解決できないケースが多々存在する。特に在宅医療・介護の分野においては、日常の服薬管理やオンタイムでの状況確認といったことが、医療・介護の質にも直結し、AIやIoT技術等を活用した最先端の技法を提案していくことは重要である。このため、ICT技術を応用した服薬動作認識システム等の開発研究にも取り組んでおり(成果事例(1))、実用化に向けた検討がなされた。

①臨床研究・治験に移行した研究開発(令和元年度末) 0件

②承認申請・承認等に至った研究開発(令和元年度末) 0件

③特許申請・登録等に至った研究開発(令和元年度末) 0件

④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(令和元年度末) 0件

具体的な研究内容等（1）

A. 加齢による変化を踏まえた医療や介護を必要とする状態の予防手法の開発

1. 包括的な介入手法の開発（既存）

集団的なアプローチによる高齢者が主体的にフレイル予防等に取り組むことができる手法を開発し、汎用性が高く広範に活用可能な成果物の導出までを行う。包括的な介入においては、官学連携が必須であり、実効性の高い社会実装のために民間事業の参入も促進していく。

2. 個別的な介入手法の開発（既存）

老年医学やリハビリテーション医学等、複数領域が有機的に連携し、既存コホートの他にビッグデータによる解析も合わせて介護を要する状態の予防に資する介入方法を開発。また、社会実装及び広く周知していくことを見据え、産学連携を誘導する。

3. 加齢に伴う機能低下及び変化に着目した予防に資する研究基盤開発（既存・拡充）

加齢に伴う徴候又は進行度を表す身体的フレイル等の評価が可能なバイオマーカー同定等、介護予防に資する身体組織の加齢に伴う機能低下の仕組みを明らかにし、臨床応用を視野に入れた介入手法の開発を目指す。また、探索的な開発研究の他に、産官学連携によるリアルワールドデータを活用した研究を推進すべく基盤整備を進め、産業への橋渡しを意識した成果導出も図っていく。

B. 高齢者特有の疾患・病態・徴候に対する適切な医療・介護手法の開発

4. 質の高い高齢者医療・介護技術に係る研究（既存・拡充）

臨床現場等での即時応用が可能な技術・技法であることを前提として、効果的に医療・介護を提供できるような技術開発を行う。加齢に伴う徴候や疾患の後遺症として存在する種々の病態に対し、先端技術（ICTやIoTなど）を活用した機器を含めた新たなケア技術等の開発を推進する。

5. 高齢者に特徴的な疾患等の治療に係る研究（既存）

高齢者が慢性医療や介護を要する状態であっても、重度化防止と共にQOLの維持・向上ができる疾患管理・ケア技法等の開発を行う。高齢者の入院及び死因の上位を占める疾患として、悪性新生物・心疾患・肺炎・脳血管疾患等が挙げられ、これら疾患は長期の医学的管理を要することも多く、QOLを低下させる大きな要因となる。このため、在宅医療・介護現場での有効な管理手法等のエビデンスの構築と共に即時応用が可能な成果導出を目指す。

加齢に伴う変化



エビデンス構築と同時に
産官学連携を促進

健常時からの予防

重度化防止

QOLの向上

疾患領域である老年医学における新たなエビデンス構築

適切な高齢者医療・介護基盤の整備

健康寿命延伸

健康長寿社会への貢献

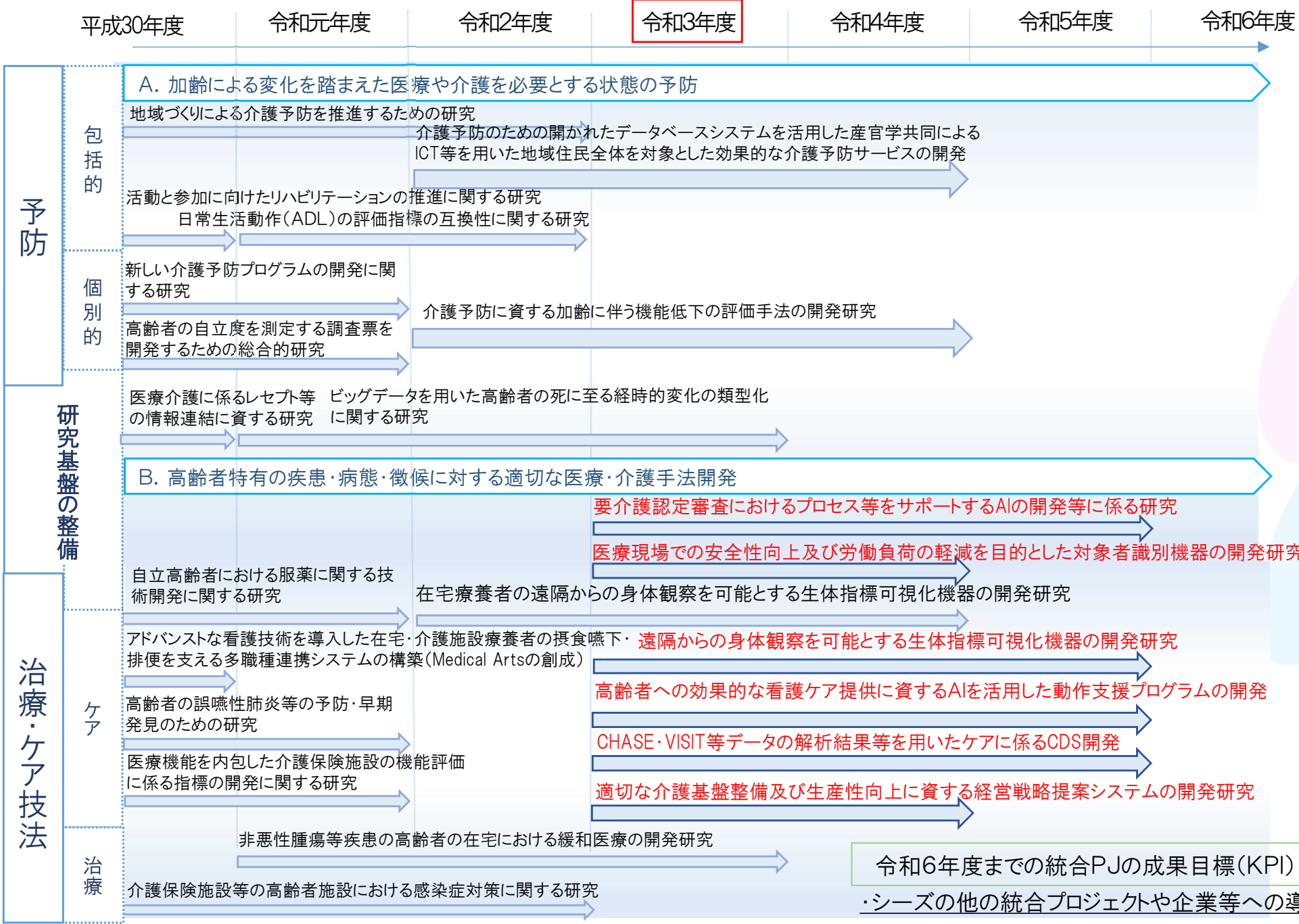
新産業創出を目指す

具体的な研究内容等(2)

令和3年度研究の概要

➡:新規課題

➡:継続課題



健康寿命の延伸・健康長寿社会の実現
 適切な高齢者医療・介護基盤の整備
 老年医学における新たなエビデンス構築

令和6年度までの統合PJの成果目標(KPI)
 ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件

具体的な研究内容等（3）

A. 加齢による変化を踏まえた医療や介護を必要とする状態の予防手法の開発（既存）

- 介護予防のための開かれたデータベースシステムを活用した産官学共同によるICT等を用いた地域住民全体を対象とした効果的な介護予防サービスの開発

課題設定の背景と見据える成果

これまで、介護予防効果をもたらす包括的・個別的な介入方法を開発。そして、産業も巻き込み、より膨大なデータを産官学が利活用できるサービス開発にも着手し始めた。これらの取組を加速的に推進していくため研究を継続し、老年医学領域における健常時からの予防と重度化防止の新たなエビデンス創出に繋げる。

加齢に伴う変化

老年医学領域における予防研究推進のための基盤整備

健常時からの予防

B. 高齢者特有の疾患・病態・徴候に対する適切な医療・介護手法の開発（新規）

- 医療現場での安全性向上及び労働負荷の軽減を目的とした対象者識別機器の開発研究

課題設定の背景と見据える成果

これまで、臨床現場等で即時応用が可能で効果的な医療・介護技術の開発を実施してきた。今後は、人的制約が見込まれ如何に効率的に医療・介護を確保するかが課題となる一方、それらを楽しむ者の高齢化も重なり、質の確保のため、医療や介護サービスの提供に費やす時間も増していく。例えば、コミュニケーションや生体指標の測定も説明や同意に至るまでの時間もその一つであり、顔認識や電子カルテと連動した生体指標による対象認識は、安全性確保のための時間の大幅な削減を期待できる。

重度化防止

QOLの向上

- 遠隔からの身体観察を可能とする生体指標可視化機器の開発研究

同様に、在宅医療・介護の現場では、入院医療とは異なり少ない人員により多くの対象者をケアすることが求められる。訪問や訪室の必要性を判断する遠隔での生体指標等の観察は、空間を越え、大きく生産性向上に寄与するものである。特に、ICT・IoT技術を活用した支援機器の開発は、産業の新規参入を促す効果が期待できる。

安定した高齢者医療・介護の提供基盤の整備へ向け生産性向上を図る開発研究

- 高齢者への効果的な看護ケア提供に資するAIを活用した動作支援プログラムの開発
- CHASE・VISIT等データの解析結果等を用いたケアに係るCDS開発
- 要介護認定審査におけるプロセス等をサポートするAIの開発等に係る研究

そして、それら機器等を扱う専門職を育成するための時間を短縮し、効率的な人材育成のためAI技術を活用した動作支援及びアセスメントプログラムを開発し、高齢者の在宅医療・介護分野における生産性向上を図る成果を導出していく。

健康寿命延伸

健康長寿社会への貢献

新産業創出を目指す

- 適切な介護基盤整備及び生産性向上に資する経営戦略提案システムの開発研究

課題設定の背景と見据える成果

定期的な制度改正により、介護事業者は他律的な経営方針を余儀なくされる一方、自律的な取組が欠かせない。医療・介護における産業連携をIT技術を駆使して促進する。

【期待されるアウトプット】

- 介護を要する状態の予防に資する実践的手法を開発し、地域での研究成果の即時活用など社会実装が可能な方法を提案する。
- 高齢者医療・介護の現場において、主に医学的管理を要する疾患や症状、在宅死における死因の代表疾患に関連した管理方法や簡易に心身の状態を把握する機器等の研究開発を行い、臨床で即時的に活用できる研究成果を創出する。

－具体的なKPI－

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件

【期待されるアウトカム】

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

これまでの成果概要等

(1) 高齢者の服薬管理向上のための技術開発に関する研究

- ▶ 卓上小型ロボットに搭載されるRGB-Dカメラ(色-距離カメラ)で点群データを取得し、その点群データを処理することにより、顔の向き、口の開閉、手の位置、掌の向きなどを認識するシステムを開発(平成30年3月)。
- ▶ 服薬状況を確認できる実証実験により認識精度等を確認。(令和元年3月)。

● Joint point — Skeleton link



- ▶ 数多くのロボットで動作するよう、前述の点群処理手法をROSパッケージとして構成。また、ノート型PCと安価なRGB-Dカメラによる動作認識システムを構成し、実用化に向けて検討(令和元3月)。



[服薬管理支援システムの全体像]

「服薬管理支援システムの実現を目指した卓上ロボットによる服薬動作認識」 [平成30～令和元年度実施課題] (研究開発担当者: 鈴木拓央, 愛知県立大学)

(2) 介護予防プログラム及び自己管理ツールとしてのアプリケーションの開発

介入ツール: 活動記録とモニタリング



アプリケーション開発



項目	内容
外出状況の把握	一日の外出先と滞在時刻を表示する。
お散歩コース配信	利用者の位置情報や居住地域を基に、毎日お散歩おすすめルート配信、実績との比較により、達成度を表示する。
ポイント累積	外出時間と散歩コース使用などをポイント換算し、行動のポイント化して表示する。
活動状況	収集された体重・歩数・運動量を、日毎・週毎、月毎に表示する。

- ▶ 大規模コホートデータ(NCGG-SGS・NILS-LSA)を用いた分析を実施。身体的および認知的フレイルの定義を明確化し、関連要因を検討(平成28年3月)。
- ▶ 自己管理型の予防プログラムと実装のためのアプリケーションを開発(平成30年3月)。

- ▶ 民間企業との連携により成果物の配信を行い、一部成果は自治体で採用され、社会実装(平成30年3月)。



「新しい介護予防プログラムの開発に関する研究」[平成28～30年度実施課題] (研究開発担当者: 島田裕之, 国立長寿医療研究センター)

事業概要(背景・目的)

「統合医療」については、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。このような中、厚生労働省においては、平成24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、平成25年2月にとりまとめられた「これまでの議論の整理」では、統合医療とは「近代西洋医学を前提として、これに相補・代替療法や伝統医学などを組み合わせてさらにQOLを向上させる医療であり、医師主導で行うものであって、場合により多職種が協働して行うもの」と位置づけられている。

統合医療については、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ゆえに、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(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	126,200
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	126,200

令和3年度概算要求のポイント

令和3年度においては、特に下記の課題を推進する。

- ・漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するための臨床研究
- ・ICT等を活用した「証」の評価手法に関する調査研究
- ・「統合医療」の漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するための臨床研究(若手育成枠)

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(15件)
- ・2019年度予定(11件)

〈厚生労働省「統合医療」に係る情報発信等推進事業〉

「統合医療」情報発信サイト



医療関係者によるアクセス 患者・国民によるアクセス

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」(平成24年3月～平成25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。

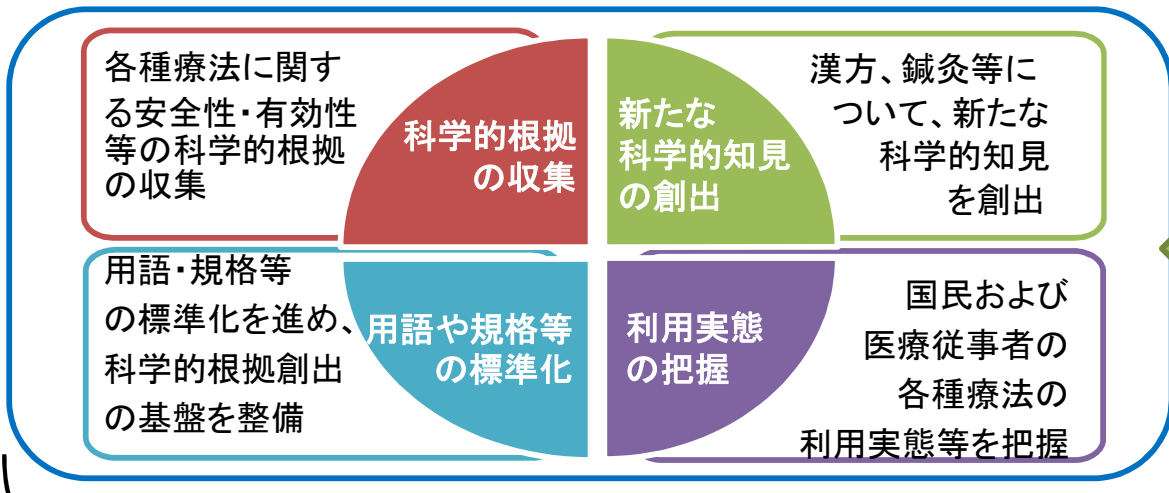
①科学的根拠の収集・創出のための研究(平成27年度からはテーマを独立させ、日本医療研究開発機構(AMED)にて実施)

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

期待されるアウトプット、アウトカム

期待されるアウトプット

統合医療について、利用実態の把握、用語・規格等の標準化等の基盤整備を行い、基礎研究と臨床研究において、漢方、鍼灸および各種療法に関する安全性・有効性等に関する科学的根拠を収集する。また、統合医療分野の若手研究者を醸成する。

また、おおむね2～3年後を目処に以下のKPIを設定する。

- ・非臨床POCの取得件数 1件
- ・臨床POCの取得件数 1件

期待されるアウトカム

統合医療の基礎研究及び臨床研究において、令和7年度までに5件以上の成果物(概念実証)が得られる予定である。また国民および医師への正しい情報発信を行い、安全性かつ有効性が示された統合医療を適切に選択できる環境が整備される。

医工連携・人工知能実装研究事業

事業概要(背景・目的)

AIの活用が期待される健康・医療分野において、膨大な健康・医療分野のデータを収集、解析し、個々に最適な健康管理・診療・ケアを実現するためには、IT企業等異分野の企業・アカデミアも含め、産業界等と連携したシステム開発が必要である。AI戦略2019（令和元年6月11日統合イノベーション戦略推進会議決定）において、厚労省が取り組むべき施策の一つに「AIを活用した病気の早期発見・診断技術の開発」が挙げられている。

客観的な評価指標が乏しい精神・神経疾患においては、早期段階から介入することで予後の改善が期待できると言われており、特に、高齢化が進行している我が国においては、認知症の早期診断・早期介入による重症化予防や機能維持が喫緊の課題である（参考：認知症施策推進大綱（認知症施策推進関係閣僚会議、令和元年6月18日）。そこで、この分野へのAIの導入によって、客観的な評価指標の確立と、それに基づく早期診断・早期介入が可能になることが期待される。

「保健医療分野AI開発加速コンソーシアム 議論の整理と今後の方向性」（令和元年6月28日）において、AI開発を進めるべき領域を重点6領域として選定した。その一つである「介護・認知症」の領域においては、「現場のニーズに沿ったAI開発を進めること」とされている。また、「画像診断支援」の領域においては、既にAIを利用した医療機器・システムが複数承認・認証されており、それらの成果を活用しつつ、AI開発を推進する必要がある。

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	567,967
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	567,967

令和3年度概算要求のポイント

精神・神経疾患の早期診断のために、健康・医療分野におけるデータ（画像、脳波、血液等の検査データ）と、個人の認知・行動（発話、表情、体動等）を組み合わせるAI技術の研究を進める。医工連携及び産業界との連携により、新たなAI技術の医療現場への導入を図る。

これまでの成果事業等

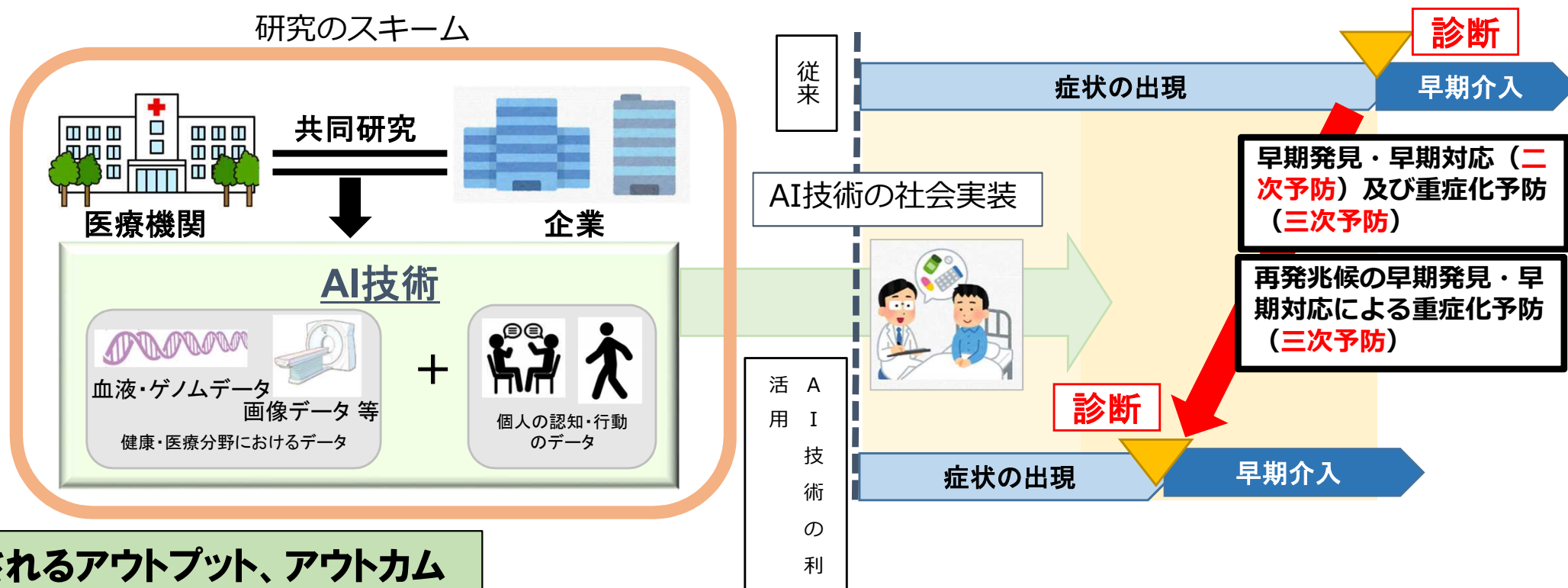
平成29年度から学会を中心とした医療画像データの収集体制の構築を開始し、令和元年度までに深層学習技術応用に向けた収集体制を構築した。収集したデータを用いて画像診断支援に係るAIシステムのプロトタイプを開発し、臨床現場で実証を行った。

※臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業（令和2年度まで）の成果

具体的な研究内容

- 精神・神経疾患の診療においては、客観的な評価指標が乏しいため、精神・神経症状が明らかになる前の早期段階での診断が難しい現状がある。
- 精神・神経症状が明らかに出現していないが、今後症状が顕在化すると考えられる場合や、軽度の精神・神経症状があり、初期症状を呈していると考えられる場合においては、早期診断により早期から介入することで、進行を遅らせ、生活の質を維持につながる可能性がある。また、既発症の場合においても、現在は寛解しているが再発のリスクが高いと考えられる場合、再発兆候を早期から検知し、早期から対応することで予後の改善や合併症の予防につながる可能性がある。
- 精神・神経疾患の早期診断のために、健康・医療分野におけるデータ（画像、脳波、血液等の検査データ）と、個人の認知・行動（発話、表情、体動等）を組み合わせるAI技術の研究を進め、開発したAI技術を用いて、精神・神経疾患の発症や進行の仕組みを明らかにし、精神・神経症状が明らかになる前から、発症の兆候を把握し、早期診断につながるエビデンスを創出する。

研究のスキーム



期待されるアウトプット、アウトカム

- ◆ 研究期間内に、商業利用のためのAI技術を開発し、社会実装を目標とする。
- ◆ 精神・神経疾患において早期診断を可能とし、早期から適切な医療・療養・福祉支援等の介入を実現し、症状の進行を遅らせることで、予後の改善や生活の質の維持を目指す。
- ◆ また、患者の家族や医療関係者等の負担軽減に寄与する。

メディカルアーツ研究事業

令和3年度要求額 60,000千円

事業概要(背景・目的)

革新的な医薬品・医療機器を医療現場へ効果的に導入するためには、従来の医薬品・医療機器の開発に加え、当該医療機器等の性能等を十分に発揮する手技等を研究し、その結果を踏まえた新たな医療技術を開発する必要がある。

また、これまで医療者の知識や経験に頼りがちであった、手術の手技、移植技術、医師が患者の状況を判断して行う診断などの無形の医療技術や、その個別の診断法、治療法、分析法等の体系的な組合せを伴うシステム※の開発が求められている

※ 医療の有効性、安全性、効率性のための技術又はシステム

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	60,000
疾患基礎研究	
シーズ開発・研究基盤	0
計	0

令和3年度概算要求のポイント

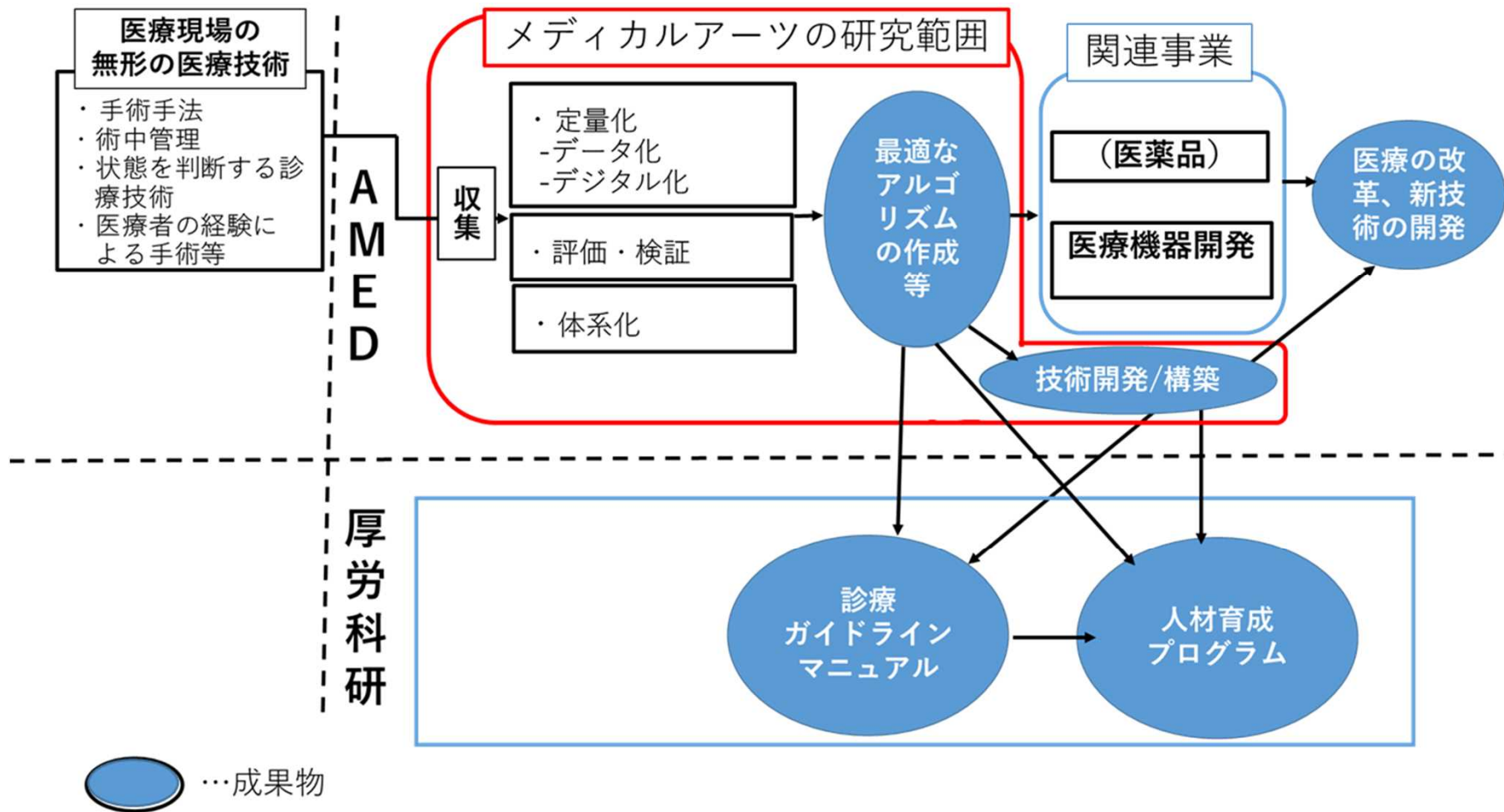
外科領域において、医療者の知識や経験に基づき実施されている手術手法や術中管理等の技術を定量化及びデータ化し、統計的手法等を用いて評価及び検証すると共に体系化することにより、手術等の最適なアルゴリズムやエビデンスに基づいた革新的な技術を構築する。

令和3年度には、令和2年度に検討し確立した検証手法をもとに、外科領域における手術手法等に関するデータの検証・解析を行う予定である。また令和2年度開始課題と共に新規に1 課題開始し、さらに外科領域における研究開発を支援する。

これまでの成果概要等

令和2年度4月から開始の事業である。

具体的な研究内容等



期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】

- ・IF5以上の科学誌への論文掲載を5本以上
- ・非臨床POCの取得件数1件以上論文掲載を5本以上

【期待されるアウトカム】

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 2件以上

プロジェクト別研究事業一覧

PJ1: 医薬品プロジェクト

- ・創薬基盤推進研究事業
- ・臨床研究・治験推進研究事業
- ・医薬品等規制調和・評価研究事業
- ・創薬支援推進事業
- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業
- ・難治性疾患実用化研究事業
- ・成育疾患克服等総合研究事業
- ・腎疾患実用化研究事業
- ・免疫アレルギー疾患実用化研究事業
- ・肝炎等克服実用化研究事業

PJ2: 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

- ・医療機器開発推進研究事業
- ・開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業
- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・難治性疾患実用化研究事業
- ・循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

PJ3: 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

- ・再生医療実用化研究事業
- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・難治性疾患実用化研究事業

PJ4: ゲノム・データ基盤プロジェクト

- ・ゲノム創薬基盤推進研究事業
- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・認知症研究開発事業
- ・障害者対策総合研究開発事業（精神障害分野）
- ・障害者対策総合研究開発事業（その他）
- ・難治性疾患実用化研究事業
- ・成育疾患克服等総合研究事業
- ・循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業
- ・女性の健康の包括的支援実用化研究事業
- ・免疫アレルギー疾患実用化研究事業
- ・移植医療技術開発研究事業
- ・肝炎等克服実用化研究事業
- ・「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業
- ・医工連携・人工知能実装研究事業
- ・メディカルアーツ研究事業

PJ5: 疾患基礎研究プロジェクト

- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・認知症研究開発事業
- ・難治性疾患実用化研究事業
- ・循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業
- ・女性の健康の包括的支援実用化研究事業
- ・腎疾患実用化研究事業
- ・免疫アレルギー疾患実用化研究事業
- ・慢性の痛み解明研究事業
- ・エイズ対策実用化研究事業
- ・肝炎等克服実用化研究事業
- ・長寿科学研究開発事業

PJ6: シーズ開発・研究基盤プロジェクト

- ・臨床研究・治験推進研究事業
- ・革新的医療シーズ実用化研究事業
- ・地球規模保健課題解決推進のための研究事業（国際課分）
- ・地球規模保健課題解決推進のための研究事業（厚生科学課分）