

# 医療研究開発の 成果を社会に

発足から2年, これからのAMED



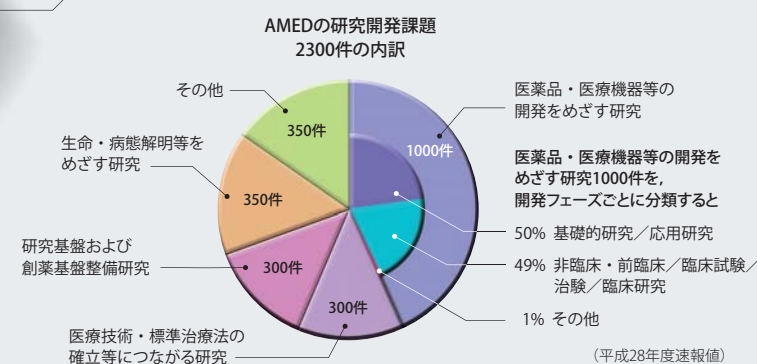
# Japan Agency for Medical Research and Development

## Grant Programs 9つの統合 プロジェクト等の事業



## 目次

|                            |    |
|----------------------------|----|
| 国立研究開発法人<br>日本医療研究開発機構について | 1  |
| 末松 誠 理事長インタビュー             | 2  |
| プログラムディレクター (PD)<br>インタビュー |    |
| 竹中登一 PD                    | 4  |
| 菊地 眞 PD                    | 5  |
| 猿田享男 PD                    | 6  |
| 齋藤英彦 PD                    | 7  |
| 春日雅人 PD                    | 8  |
| 堀田知光 PD                    | 9  |
| 岡部繁男 PD                    | 10 |
| 宮村達男 PD                    | 11 |
| 葛原茂樹 PD                    | 12 |
|                            | 13 |



## AMEDの研究開発体制

国の方針(「医療分野研究開発推進計画」)に基づき、AMEDでは、9つの統合プロジェクトと、それ以外のさまざまな事業を行っています。

### 研究開発のフェーズ



各プロジェクトには、研究開発全体を牽引するプログラムディレクター(PD)を選任しています。PDは、担当プロジェクトの運営方針を決定し、事業の拡充や新規事業の追加等について理事長に提言を行います。

各プロジェクトには多くの事業があり、事業ごとにプログラムスーパーバイザー(PS)とプログラムオフィサー(PO)が置かれ、担当事業の目的と課題を把握し、研究開発課題のマネジメントを行っています。

## 国立研究開発法人 日本医療研究開発機構(AMED)とは？

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構(AMED)は、日本の医療分野の研究開発およびその環境の整備の実施や助成等の業務を行うことを目的として、2015年4月に設立されました。

日本の医療研究開発の予算をAMEDに集約することで、基礎研究から応用研究、臨床研究・治験、実用化にいたるまで研究を切れ目なく支援する体制が整いました。AMEDは優れた基礎研究の成果を実用化につなげ、世界最高水準の医療サービスの実現および健康長寿社会の形成に努めます。

日経サイエンス2017年6月号特別付録  
医療研究開発の成果を社会に  
発行人 鹿見島昌樹  
発行 日経サイエンス社  
編集協力 サイトテック・コミュニケーションズ  
デザイン 高田事務所  
写真 相澤 正、青山 夢秋  
印刷 大日本印刷株式会社  
©NIKKEI SCIENCE, INC., 2017  
●本誌掲載記事の無断転載を禁じます。

# 小さな挑戦を突破口として 大きな変革をもたらす

**Q** AMEDが2015年に発足してから2年が経ちました。初代理事長として最も手応えを感じているのはどのような点ですか。

理事長を引き受けたときからぜひやろうと考えていたことがあります。それは、皆で情報を集め、皆で活用する「データ・シェアリング」のシステムをつくることです。私たちはまず難病・未診断疾患を対象にIRUD\*という研究開発事業を立ち上げました。全国200以上の協力病院の連携で診断の難しい患者さんのゲノム解析をする事業は開始1年半あまりで急速に成果があがってきました。

**Q** 少数の患者さんしかいない未診断疾患の研究開発に力を入れた理由は何ですか。

難病・未診断疾患はデータ・シェアリングの威力を最も端的に示しやすい分野だからです。こうした希少疾患は種類が多いのですが、それぞれの患者数は確かに多くありません。認知されず、保険適用もなく、研究予算もつきません。患者さんは病院を転々とすることが多いのです。患者さんの遺伝子だけでなく、症状などの臨床情報を共有することにより、ほかの医療機関も同じ症例をもって、ほかの医療機関も同じ症例をもって、診断も治療もあり得ないのです。

国内で2300家系を登録し、ゲノム解析拠点で一括してエクソーム解析を

行った結果、教科書に記載のない新疾患が10以上見つかりました。希少疾患の理解が、よくある疾患の理解につながることも少なくありません。

**Q** データ・シェアリングの重要性は研究者に理解されましたか。

研究者は論文で評価されますから、一般的に言うと論文発表前に他人とデータを共有することに積極的ではないのです。研究費も、これまでは論文数を根拠に支給される傾向が強く、その結果、膨大な数の論文が生産されても、新しい治療薬や診断法として実用化されたものは必ずしも多くありませんでした。

そこで、IRUDでは、診断がついた症例数や診断に至るスピードなどを評価基準に入れることを検討しています。診断をつけるにはデータ・シェアリングが必要となりますから、研究者の理解が進むと思いますし、なにより、患者さんに結果をお返しすることの重要性に気づいてほしいのです。研究者がマインドを変えるきっかけになればと願っています。

**Q** 評価基準に患者軸を加えるわけですね。

日本の医学研究の問題点の1つは、患者さんが臨床研究のパートナーだということが十分に理解されていないことです。外国の研究支援機関の多くは、医師が患者さんとのようなコミュニケーションをし、それを研究のプロトコル

にどう生かしたかを評価していますが、日本では行われてきませんでした。そこで、AMEDは2017年度からこの視点を入れていきます。具体的には、患者さんにアンケートをとったり、プロトコルを作成する委員会に患者団体から適切な人が参加し、意見を述べる機会をつくっていききたいと思います。

**Q** 今後AMEDで推進していきたいのはどんな点ですか。

1つは国際性を高めることです。2017年4月からAMEDのすべての応募課題はサマリーとキーワードを英語であげてもらうことにしました。また、感染症研究など海外と国際共同研究を行うものから、応募要項、審査、進捗管理をすべて英語で行う体制を整備し始めています。前述のIRUDでは症例を医療機関への受診から半年以内に登録し、英語での記載も行い、国際的に共有できるようにしていきます。

もう1つは研究費の効果的な運用です。この2年間で研究にとって不都合で非合理的な予算のしくみをかなり変えたと思っています。例をあげると、研究費は当該年度内に使い切らないといけなかったのを、必要な場合は年度を越えてもOKにしました。機器購入においても、共同利用や購入目的以外の利用をしてはいけないというルールを変え、1つの研究機関や大教室で同じ機器を複数購入するなどの無駄を省きます。新しいやり方を啓発するにはエネ

国立研究開発法人  
日本医療研究開発機構 理事長

末松 誠

ギーが必要ですが、さらに進めていくつもりです。

また、医学研究を支える最先端技術の開発・運用の基盤を構築すべく、有能な人材を戦略的に外国に派遣して短期間で技術移転するために、理事長裁量で使える調整費を活用したいと考えています。

さらに、研究開発事業に原則10年間使えるお金をAMEDが支援し、25年後までに返済してもらうというしくみ(医療研究開発革新基盤創成事業：CiCLE)をつくり、2017年3月から公募を開始したところです。抗生剤開発、ワクチン製造、難病研究、人材育成など、長期的展望が必要な事業には利用価値が高いと思います。

**Q** AMEDの組織について工夫した点がありますか。

AMEDには多様な人材がさまざまな場所から集まっています。所管官庁はもちろん、大学やナショナルセンターな

どの研究機関から医師・歯科医師、Ph.Dの資格をもつ研究者を1～2年の任期で派遣してもらっています。自分の研究を離れて他人の研究のマネジメントをするのはうれしいことではないかもしれませんが、提案した研究課題がどう審査され、評価されているかを学ぶ経験は、AMEDの任期を終えて研究者に戻ってから大変役に立つはずです。ここでの経験を生かしてほしいと思います。

**Q** 3年目以降に手がけたいのはどんなことですか。

いくつかの研究開発コミュニティを組み合わせ、国民全体の健康増進や医療の発展にかかわるような医療研究開発を進めることです。特定の学会に研究費を支給するのではなく、複数の学会や組織が組み合わさって融合的な効果を発揮し、インパクトのある成果を

出せるような研究開発を支援していきたいと考えています。

現在、医療の大きな問題である認知症やがんの克服には、まず患者さんの正確な情報を記録し蓄積すること、それを皆が利用できるようにすることが大事です。日本は医師が勤勉でし、国民皆保険制度、母子保健、高齢者医療の充実などに支えられて、海外からも注目される高品質のデータが大量にあります。よいデータが揃い、人口が1億を超える国は日本だけです。認知症研究は経験知の大きいわが国が先導したいものです。

研究支援機関ができることはわずかもしれませんが、ファンディングをテコにして、日本の医療研究開発を変革していきたいと思っています。

\*未診断疾患イニシアチブ (Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases)





## オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト

Project for Drug Discovery & Development

### 産学連携のしくみを強化して 新しい薬を生み出す

プログラムディレクター

竹中登一

公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団 会長

**Q** プロジェクトのおもな取り組みを教えてください。

AMEDが設立されてから立ち上げた「産学官共同創薬研究プロジェクト（GAPFREE）」は、アカデミアと産業界の連携を促すプロジェクトで、臨床情報が付随した臨床検体をアカデミアから提供してもらい、企業と共同で創薬標的の探索やバイオマーカーの発見などに向けた研究を行います。アカデミアと企業が組んで応募するしくみですが、連携相手がいない場合にはAMEDがそれぞれの特性を生かしてマッチングを行っており、ニーズをとらえた事業になっていると自負しています。

化合物のスクリーニングを行う「産学協働スクリーニングコンソーシアム（DISC）」の構築にも、製薬企業の多大な協力を得ました。企業がもつライブラリーには「薬らしい」顔をした化合物が多いため、これまでもアカデミアから使いたいという要望がありましたが、知的財産権の問題があり、実現しませんでした。AMEDが間に入り、化学式は伏せたまま提供するといった工夫をすることで、22社が総計約20万個の化合物を提供してくれました。ここでヒット化合物が見つければ、共同研究に発展する可能性も高いと思います。

また2013年、アカデミア創薬を支援し、基礎研究と臨床研究の間にある「死の谷」を越えるために構築した「創薬支援ネットワーク」は、AMEDを中心に理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所が連携して、化合物の探索・最適化などの支援を行っており、目標を上回るペースで研究者に利用されています。

**Q** なぜオールジャパンでの取り組みが必要なのでしょう。

セレンディピティで見つかりそうな薬は1990年代までに見つけつくされ、ゲノム創薬へのパラダイムシフトが起こりました。疾患生物学の知識とエビデンスに基づいた新しい研究開発手法が求められるようになり、製薬企業がアカデミアやベンチャー企業と連携する動きが世界的に加速しましたが、日本は遅れていると言わざるを得ない状況です。

私は企業の研究者、経営者としてそれなりの成果をあげてきたつもりですが、その背景には、アカデミアと連携することで多様なアプローチをとれたことがあると思っています。また、これまで、安全性や薬効はまず動物を用いて確認していましたが、最近は、薬の開発の早い段階から「人」での研究を行

うことが重要になっています。これは企業単独では行えません。検体や臨床情報を得るには、アカデミアの協力が不可欠なのです。

**Q** 今後は、どのような方向をめざすのでしょうか。

ブロックバスター（大ヒット薬）が生まれれば、それはもちろんうれしいですが、まだ治療法のない疾患に対する新薬開発を優先していくべきだと考えています。難病や希少疾患の薬は経済効果が小さく、製薬企業も単独では取り組みづらいため、難病克服プロジェクトとも連携して支援していきます。

企業と医学・薬学分野の研究者との距離はだいぶ縮まりましたが、今後は理学など基礎研究の研究者にも産学共同チームに入ってもらい、多様性をもたせたいと考えています。アカデミアと企業の「橋渡し」は早く卒業して、日本から独創的で新しい薬が生み出される土壌をつくっていかなくてはと思っています。



## オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

Project for Medical Device Development

### 開発課題の設定を通じて 業界の意識改革を図る

プログラムディレクター

菊地 眞

公益財団法人 医療機器センター 理事長

**Q** このプロジェクトが始まって2年経ちますが、どんな変化がありましたか。

文部科学省、厚生労働省、経済産業省の事業が一体化されたことで、重複がなくなり、情報の流通もよくなりました。基礎研究、治験前の研究、ものづくりという3つの段階を支援する事業が横並びとなったため、AMEDが研究者や企業を次の段階へと誘導することも可能になりました。さらに、理事長の尽力もあって、「国の研究費だから先端研究を支援すべき」といった枠組みにとらわれずに支援できるようになりました。こうした変化の結果、当初の目標を大きく上回る成果をあげています。

**Q** 日本の医療機器開発にはどのような課題があるのでしょうか。

1980年代、日本の画像診断装置は世界を席巻していましたが、90年代に治療機器の開発がさかんになってからは、欧米に後れをとっていると思います。日本の医療機器メーカーは、中小企業が中心で、大企業も欧米に比べれば規模が小さいため、リスクの高い機器の開発には取り組みにくいのです。かといっ

て、多品種少量生産の業種のため、合併や共同開発も進みません。メーカーの技術者が医学や生物学の知識をあまりもっていない、医学部の研究者が実現可能性を評価できないままメーカーに製作の指示を出すなど、人材教育にも問題があります。

**Q** そのような状況を変えるために、いろいろな取り組みを行っているのですね。

大きく2つのアプローチをとっています。1つは、最先端で大規模な技術の開発を目標に掲げ、多くの企業に参加してもらうことで、企業の独立性を保ちつつ連携を図ろうというものです。具体的には、医療機器と情報機器をIoTでつないだ「スマート治療室」を開発しており、大手の産業ロボットメーカーや家電メーカーを含む18社が参加しています。治療機器の市場が欧米に押さえられている中で、このチームジャパンのシステムは、海外進出の目玉にもなると期待しています。

もう1つは、医工連携の支援です。医学部の研究者、ものづくりに長けた中小企業、製販企業などがチームを組んで医療機器を開発する課題を支援します。開発を通じて、協力が得意では

ない中小企業にもほかの企業との連携を促すのがねらいです。また、「売れ筋」を肌で知っている製販企業が課題の代表者になれば、研究者の視点も変わってくると思います。

**Q** 今後、どのような展開を考えていますか。

まずは、現在の事業を着実に進めることに注力します。医療機器は薬と異なり、医師が操作スキルを習得する必要があるため、普及に時間がかかり、開発費の回収が遅くなりがちです。今後は、この問題にAMEDとしても取り組む必要が出てくると思います。また、近い将来、在宅医療機器や介護機器へのニーズが高まることは目に見えているので、そのときに開発すべきシーズを、現場の声も聞きながら探索しておかなければと思っています。



スマート治療室







## 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

Project for Japan Translational & Clinical Research Core Centers

### 優れた基礎研究の成果を「死なせない」ために

プログラムディレクター

猿田享男

公益財団法人 医療研修推進財団 顧問  
慶應義塾大学 名誉教授

**Q** このプロジェクトではどんな研究支援をしているのですか。

日本の大学では、革新的ともいえる優れた基礎研究が数多く行われています。このプロジェクトは、どの医療分野であるかにかかわらず、革新的基礎研究の成果(シーズ)をできるだけ早く実用化して、患者さんのもとに届けることをめざしています。実用化するには、シーズを臨床研究や治験につなげる「橋渡し研究」が必要ですが、個々の大学がそれを行うのは設備や人員の面で困難です。そのため、全国で17の大学附属病院や医療センターなどを拠点に選び、そこで拠点内外のシーズの橋渡し研究を支援しています。

**Q** シーズの実用化のために、日本ではこれまでにどんな取り組みが行われてきたのでしょうか。

大学の研究成果を積極的に医療につなげようとする動きは、30年以上前に始まりました。当時、大学の基礎研究はほとんど実用化につながらず、言わば「死んで」いました。研究成果は論文として有名な科学雑誌に掲載されることで最終目標になっていたのです。

この状況をなんとかしようと、1984年

に、当時の厚生省の下で「高度先進医療」という制度が始まりました。高度先進医療として認められた技術による診療は、保険導入のための評価という位置づけで行われるため保険外診療ですが、基礎研究の成果をいち早く患者さんに届けることが可能になったのです。現在は、「先進医療」という制度に変わっていますが、この枠組みにより、多くの革新的医薬品や機器を用いた技術が最先端医療として実用化されてきました。

一方、21世紀に入ると、橋渡し研究という考え方が米国で起こり、文部科学省がこれに倣って橋渡し研究事業を開始しました。この事業と、厚生労働省が推進してきた「早期・探索的臨床試験拠点整備事業」や「臨床研究中核病院関連事業」を一体化させたのがこのプロジェクトです。橋渡し研究を支援し、先進医療として認められる段階や、企業に渡せる段階にまでシーズを育てることが私たちの役割です。

**Q** そのために、拠点はどのように構築し、運営していますか。

拠点には、橋渡し事業の経験のある大学病院や医療センターが選ばれています。さらに、薬事や生物統計、プロジェクトマネジメント、知的財産など

の専門知識をもった人材を揃え、バイオマーカー評価設備や細胞調製施設を整備しており、支援体制は万全です。シーズの発掘、拠点間のネットワーク形成、人材の育成にも取り組んでいます。

いい体制ができ、いい研究が進んでいると思っていますが、やはり、これまで別の枠組みの中で行われてきた事業を統一するのは簡単ではありません。すべての拠点の足並みが揃い、同じ目標に向かうことが重要だと思っています。そして、このプロジェクトが真に日本の医療と経済の発展に寄与していくには、製薬企業との連携や、海外への展開などが不可欠ですので、そのためのしくみづくりを急いでいます。



革新的医療技術創出拠点プロジェクト  
平成28年度成果報告会



## 再生医療実現プロジェクト

Japan Regenerative Medicine Project

### 3種類の細胞の特徴を生かして着実に実用化をめざす

プログラムディレクター

齋藤英彦

独立行政法人 国立病院機構 名古屋医療センター 名誉院長

**Q** 日本の再生医療の現状と、このプロジェクトの役割について教えてください。

再生医療に用いられる細胞には、体性幹細胞、ES細胞(胚性幹細胞)、iPS細胞(人工多能性幹細胞)がありますが、現在、日本で保険診療の対象となっているのは体性幹細胞由来の皮膚、軟骨、心筋、間葉系幹細胞の4種類のみです。日本は骨髄移植と臍帯血移植には豊富な実績があるものの、米国や韓国などに比べると、上市されている製品数は少ない状況です。

体性幹細胞は腫瘍化リスクが低いと考えられますが、大量に増やすことは難しい。ES細胞は長期にわたる研究の蓄積があり、今後の発展が期待される段階にきています。iPS細胞は、樹立方法と品質管理方法の改善により、腫瘍化リスクがかなり克服され、多くの人に使えるHLA型のものを常備する拠点の整備も進んでいます。それぞれの細胞の特徴を生かしつつ、基礎、前臨床、臨床という流れを着実に進めることが、このプロジェクトの役割です。

また、iPS細胞の技術を用いて、患者さんの細胞からiPS細胞を樹立しておくことで、病気が起こるメカニズムの研究や創薬に使うことができます。そのための

細胞バンクを構築・運用することも、私たちの重要な役割です。

**Q** 再生医療の実用化にはどんな課題があり、それに対してどう取り組んでいますか。

1つは、規制です。細胞の品質は培養条件のちょっとした違いでも大きく変化するため、細胞を用いた製品を、薬機法\*に基づいて承認申請する際には、培養液の製造法にいたるまで子細に記載することが求められます。そこで、私たちは、研究者等がこのような規制に対応できるように、早い段階から支援を行っています。

もう1つは、知的財産権の問題です。細胞の培養・製品化にかかわる特許は多く出願されており、権利の範囲も複雑なため、実施料を払って外国の特許を使わないと実用化できないといったことが起こります。このような事態を避けるため、知的財産面での支援にも力を入れています。

**Q** ES細胞やiPS細胞を使った再生医療はいつごろ実用化されるのでしょうか。

体性幹細胞では、すでに治験を実施

しているものもあり、比較的早く実用化が進むと期待しています。iPS細胞では、AMEDが支援する理化学研究所の高橋政代プロジェクトリーダーらが、目の難病、滲出型加齢黄斑変性の患者に対し、他人のiPS細胞から作製した網膜色素上皮細胞を移植する臨床研究を開始しました。ES細胞やiPS細胞が医療の現場で使われるようになるには、今後10年ぐらいかかると思います。安全性を担保しながら、一歩ずつ進めていきます。

再生医療への期待はとても大きいですが、私は皆さんに「正しい期待」をもっていただきたいと思っています。例えば、1型糖尿病の治療のために、膵臓の細胞をつくって移植しようという研究が進む一方で、超小型の人工膵臓(インスリン放出装置)が開発され、米国では最近承認されました。両者の有効性、安全性、経済性を比較したら、人工膵臓に軍配があがるかもしれません。再生医療は高いポテンシャルをもっていますが、選択肢の1つであることを理解していただければと思います。

\*医薬品医療機器等法。医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律。







## 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト

Japan Genomic Medicine Project

# 質の高いデータと試料で 研究から医療への流れを加速

プログラムディレクター

春日雅人

国立研究開発法人 国立国際医療研究センター 前理事長

**Q** このプロジェクトが始まってからの2年で、どんな変化がありましたか。

2015年7月に国のゲノム医療推進協議会がゲノム医療の現状と課題、求められる取り組みについての中間とりまとめを提出したことを受けて、さまざまな取り組みを行ってきました。まず、前身の文部科学省のプロジェクトでは、拠点ごとにデータを収集していましたが、各拠点を核としてさまざまな立場の研究者から課題を募集し、オールジャパンの研究体制ができました。また、疾患ごとにデータを収集する「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」と、データをもとに新しい治療法の研究開発を行う「ゲノム医療実用化推進研究事業」も始まり、ゲノム研究をゲノム医療へと転換させるための準備が整ったと思います。すでに、東北メディカル・メガバンク計画では、2049人の健常な日本人の全ゲノムデータをデータベース化して公開し、全国の研究者に利用されています。

**Q** 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業について教えてください。

この事業は、がんなどの疾患領域ごと

に、検体の収集、ゲノム解析、臨床情報を含めた情報の統合・解析を行って結果をデータベース化し、公開しようというものです。ゲノム医療を実現するためには、疾患にかかわるゲノムの要因を特定しなければなりません。ゲノム解析技術の進歩によって、ゲノム情報は得やすくなりましたが、情報の解釈はかなり難しく、単一遺伝子疾患でさえ、遺伝子のどの塩基の変異が病気を起こしているのかをなかなか突き止められないのが現状です。この困難を打ち破るには、データ・シェアリングを行って、より多くの情報をもとに、みんなでいっしょに考えることが必要です。このデータベースは、そのために欠かせないものです。そこで、難病や遺伝性疾患から整備を始め、がん、感染症、認知症などに対象を広げています。

**Q** ゲノム医療の研究を支援するために、どのような取り組みをしていますか。

3つの重要な課題に取り組んでいます。1つめは、バイオバンクの品質向上と利用推進です。患者さんから提供していただいた生体試料を研究に活用していただくため、臨床情報とともに保存し、提供するための体制づくりを行って

います。2つめは、ゲノム情報基盤の整備です。データ・シェアリングを活発に行うためには、専用のサーバーにデータベースを置いて管理・更新することが求められます。そのために、東北大学のスーパーコンピューターを共用できるようにしました。3つめは、倫理的・法的・社会的課題(ELSI)への対応です。研究者が個人のゲノム情報をどのように取り扱い、患者さんにどう生かすのかについて、統一した方針をつくるための検討を進めています。

**Q** 今後、実現したいことは何ですか。

ゲノム医療の実現のためには、ゲノムだけでなく、エピゲノムと疾患の関係にも研究を広げなければなりません。エピゲノムは環境要因で変化するので、とても難しい研究になりますが、将来は、これにもオールジャパン体制で取り組んでいけたらと思います。



東北メディカル・メガバンクでのカウンセリング風景



## ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

Japan Cancer Research Project

# 基礎研究を確実に最新医療につなげて すべての人に最適ながん治療を

プログラムディレクター

堀田知光

国立研究開発法人 国立がん研究センター 名誉総長

独立行政法人 国立病院機構 名古屋医療センター 名誉院長

**Q** プロジェクトの生い立ちとAMEDになってからの変化を教えてください。

このプロジェクトは、文部科学省、厚生労働省、経済産業省がそれぞれ進めてきた日本のがん研究\*を引き継ぎました。AMEDになってからの大きな変化は、基礎研究の成果を実用化に向けて一貫して支援する体制が整ったことです。研究者には、患者さんの声を受け止めてがんの研究に取り組み、治療開発を進めてほしいと考えています。AMED設立以降は、確実に目的を達成できるように、革新的ながん治療薬の創出や、診療ガイドライン改訂につながるような新しい標準治療の確立など、2020年までの目標を具体的に設定し、それに対して進捗管理と評価を行いながら進めています。

**Q** 日本人の2人に1人ががんになる時代に、プロジェクトで力を入れていることは何でしょうか？

がん医療には、ならないための「予防」、早期発見・早期治療を可能にする「診断」、そして「治療」という一連の流れがあります。この中で、疾患の病態・病期を表す指標であるバイオマーカー

の探索に力を入れています。これは診断の信頼性を高め、治療の効果を高めることにつながります。しかし、今知られているものだけでは、すべての患者さんに適切な医療を提供するのに十分ではなく、まだまだやるべきことはたくさんあると考えています。

**Q** 一人ひとりに最適な治療を提供することをめざしているのですね。

ゲノム解析ができるようになり、個別化医療、すなわち、個人の特性を調べて最も適切な治療を展開することが可能になりつつあります。肺がんを例にとると、以前は病理診断に基づいて4つに分類され、これに準じて治療が行われていました。今は、原因遺伝子によってより細かく分類されて治療が行われるようになり、治療成績は格段に上がっています。その理由は、肺がん全体から見たら1割程度にしか効かない治療法でも、ある遺伝子の変異をもつ患者さんのグループでは8割に効くことがあるからです。これほど治療効果に差が出るのですから、がんの性質を見きわめてから治療を行うことの重要性はおわかりいただけるでしょう。

**Q** がんも治るようになるのでしょうか。

5大がんと呼ばれてきた、肺がん、胃がん、肝がん、大腸がん、乳がんは、今でも患者数が多く重視しなければなりません。医療の進歩により、早期に発見して治療をすれば治るケースが増えています。その一方で、進行がんや難治性がん、希少がん、小児がん、また再発がんに対しては適切な治療法が確立されているとはいえません。患者数が少ないがん種であっても、治療を必要としている人がいる限り、それに応えていくのが使命だと考えています。また、免疫チェックポイント阻害剤は、新しいコンセプトの治療薬として、これからの発展を楽しみにしています。

20年ほど前に、分子標的薬が登場してから、抗体医薬が用いられるようになり、最近では免疫チェックポイント阻害剤と、がん治療法の進化を目の当たりにできる時代が続いています。この進歩を途切れさせないために、実用化をめざした研究を行いながらも本態解明を含む基礎研究にも力を入れていきます。

\*文部科学省「次世代がん研究シース戦略的育成プログラム」、厚生労働省「革新的がん医療実用化研究事業」、経済産業省「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」







## 脳とこころの健康大国実現プロジェクト

Project for Psychiatric & Neurological Disorders

### 「基礎から応用へ」を軸足に 幅広い施策で社会のニーズに応える

プログラムディレクター

岡部 繁男

東京大学 大学院医学系研究科 教授

**Q** このプロジェクトを率いていける上で工夫されていることはありますか。

これまで文部科学省が実施してきた「脳科学研究戦略推進プログラム」では、脳の基礎研究を出発点とし、その成果を応用して脳神経系疾患の克服につなげようとしてきました。一方、厚生労働省では、脳神経系疾患で社会的に困っている人たちのために制度の整備に取り組んできました。つまり、入口側と出口側から行われてきた両省の事業が、AMEDでいっしょになったわけです。したがって、両者がうまく連携するように調整することが私の大きな役目だと思っています。

**Q** 今、いちばん力を入れているのはどのようなことですか。

国際協力です。脳の研究には、脳の画像データをはじめ多くのデータが必要ですが、国内で集めるには限界があります。そこで、米国の主導で昨秋から具体化しつつある「International Brain Station (IBS: 国際ブレインステーション)」というプロジェクトの立ち上げに、積極的に参加しています。IBSには、主要先進国が参加しており、疾患の

理解、治療法開発に向けて、各国が集めたデータを国際的に共同利用する計画を進めています。

日本はこれまでに、「革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト」において成果をあげ、世界的に注目されています。これは、マーマセットの脳機能を研究して脳神経系疾患の診断・治療に役立てようというもので、理化学研究所を中核機関としてデータを集めたという点でも、モデルケースとなっています。こうした蓄積を生かして、IBSでも貢献していきたいと思っています。

**Q** このプロジェクトを進める上で難しいのはどのような点ですか。

ほかの疾患と異なり、脳神経系疾患の多くは、その原因が十分に明らかにされていない点です。しかし、逆に言えば、原因が解明できれば、治療法や予防法を開発できる可能性があるということです。そこで、さまざまな視点の研究課題を、連携をとりながら実施することで、原因を探ろうとしています。また、前述の通り、脳に関するデータを集めるのは容易なことではありません。そこで、臨床データを集める中核拠点を

設け、AMEDに参加する研究者ならば誰もが使えるようにする計画を考えています。

**Q** 今後、どのような方向をめざしていきますか。

認知症や精神疾患については、根本治療法の開発を進める一方で、患者さんのQOL(生活の質)を向上させることも大事です。これは、基礎研究とはまったく異なる課題であり、生活実態の調査なども行って、より効果的な対策を社会実装していかなければなりません。また、脳の状態には年代ごとの特徴があるので、長期にわたって脳の変化を追いかけるコホート研究を進めます。

また、脳神経系疾患の発症頻度は先進国でも途上国でも変わらないのですが、途上国では診断されずに放置されていることが多いのが現状です。そこで、疾患の簡便な診断法を提供することなどを通じて、世界に貢献することをめざします。



## 新興・再興感染症制御プロジェクト

Emerging/Re-emerging Infectious Disease Project of Japan

### 地道な研究で流行に備え、 グローバルな視野での対応を

プログラムディレクター

宮村 達男

国立感染症研究所 名誉所員

**Q** 新興・再興感染症制御プロジェクトがAMEDで実施されることの最大の利点はどんなところにありますか。

病原体が刻々と変化する一方、ヒトの社会も急速に変貌しています。熱帯林に潜んでいた病原体が航空機で先進国に運ばれることもあります。両方が変化する中で発生、拡大する感染症を制御するには、グローバルなレベルでのデータベースの継続的な蓄積とその活用が欠かせません。突発的な事態にその時々最善の対策を講じなければならないのが感染症対策の宿命です。これまで文部科学省のもとに実施されてきたJ-GRID(感染症研究国際展開戦略プログラム)と厚生労働省のもとで行われてきた新興・再興感染症研究事業を、AMEDで一元的に管理して進めることは、データベースの蓄積と活用という点で大きな利点です。

**Q** 直近の感染症流行の例にジカ熱があります。これにAMEDはどのように対応しましたか。

ジカ熱は2007年以降、南太平洋諸島で感染拡大し、2015年春からブラジルなど中南米で大きな流行が起きました。妊婦の感染と胎児の小頭症の関連も

大きな問題となりました。厚生労働省科研費フラビウイルス研究班の中でジカウイルス感染の診断研究も以前から取り上げていましたが、AMEDでは2016年2月にジカ熱に関するデータや研究成果を世界の保健医療機関や研究者の間で共有する声明にいち早く署名しました。5月には対策の強化のために調整費\*を配分し、計画を前倒しして取り組みを始めました。さらに、AMEDが支援する研究班の主催で7月にワークショップを開き、日本とブラジルの研究者が迅速診断法やワクチン開発などについて幅広く議論し、共同研究を始めました。AMEDの機動力が活用されて、突発的な流行にすぐに対処しているといえます。ジカ熱を含めた昆虫媒介性ウイルス感染症研究は、流行がない限りとても地味な研究領域で予算も多くないのが実情ですが、感染症については、いつどこで役立つかわからない研究を地道に継続して備える必要があることを痛感しました。

**Q** 感染症研究を支援するにあたって特に留意されているのはどんな点ですか。

感染症研究は必ずしも計画どおりには進まないものです。機械的なマニュアルだけでは、進捗状況を適正に評価することはできません。感染症対策には病原

体の研究、病原体と細胞の関わりに関する研究、組織、宿主との関わりに関する研究、そしてヒト社会との関わりに関する総合的な研究を持続的に支援することが必要と思います。

**Q** これからぜひ実現させたいことは何ですか。

データベースの共有基盤ができたので、これをどのように維持、発展、活用するかが課題です。また、WHOなどと協力し国際的な相互利活用も大切です。当該事業ではウイルス下痢症のデータベースを手始めに着々と進めます。

次に人材の育成です。ポストの減少でわが国の微生物学、感染症研究者は減る傾向にあります。AMEDでは博士号取得後の若手研究者を一定期間採用してサポートしたいと考えています。AMEDの研究開発課題には未知の領域への挑戦が多く、多様な分野の研究者がいます。若い人々にとってとても魅力的な領域です。人材の育成とともに融合領域研究も促進したいと考えています。

\*調整費 内閣府の科学技術イノベーション創造推進費500億円のうち、35%に当たる175億円が、医療分野の研究開発関連の調整費としてAMEDに充当されるものです。健康・医療戦略推進本部が決定した「医療分野の研究開発関連の調整費に関する配分方針」に基づき原則年2回配分を行います。





## 難病克服プロジェクト

Rare/Intractable Disease Project of Japan

## 患者さんの協力で得た成果を 患者さんにお返りする

プログラムディレクター

葛原茂樹

鈴鹿医療科学大学 大学院医療科学研究科科長

**Q** AMEDになって、このプロジェクトはどう変わりましたか。

このプロジェクトの多くの事業は厚生労働省から引き継がれたものですが、AMEDになって研究費の管理などの体制がより整い、研究がスムーズに進むようになりました。またいい意味で、研究者の意識も変わりました。実用化をめざし、安全性や有効性の確認など創薬のアプローチの方法に従って研究を進め、知的財産権も重視するようになったと感じます。さらに、iPS細胞を用いて研究を行うなど、ほかの事業と連携しやすくなったことも、AMEDのよい点です。

**Q** 難治性疾患実用化研究事業では、どのように課題を選定していますか。

難病の種類は多く、指定難病だけでも300を超えます。遺伝子レベルで考えれば、遺伝子の数だけ病気があるといっても過言ではありません。応募課題の数も多いので、課題の選定には公平さが求められます。そのため、医学、遺伝学、薬学、疫学などの専門家に課題評価委員会をお願いし、それぞれの視点で評価していただいた結果を総合して、選定しています。また、この事業で

は治療法の実用化をめざしているため、診断基準があることを選定基準の1つとしています。難病の中には、患者数が少なく、あまり知られていないために研究が遅れているものもありますが、このような課題選定により、そうした難病にも研究費が配分されるようになってきたと思います。

**Q** IRUD(未診断疾患イニシアチブ)はどのような経緯で始まったのですか。

IRUDは、診断がつかない病気の患者さんの遺伝子を調べ、その結果を症状と照らし合わせて診断を確定するシステムです。このひな形は米国NIHにあり、理事長の主導によって日本でも始まりました。

診断の確定には、遺伝子と症状の情報が複数の患者さんについて必要になります。小児医療では、患者さんのあらゆる病気を1人の小児科医が診るため情報が集まりやすく、IRUDでも早く基盤を構築できました。しかし、成人医療では診療が臓器別の専門に分かれているために、情報が集まりにくいという問題があります。そこで、IRUDでは、拠点病院を設けるなどの体制づくりに力を入れています。また、国内だけでは症

例が少ない疾患もあり、海外から情報を集めることが必要なため、IRDIRCという国際的難病コンソーシアムに加盟するなど、国際連携を進めています。

**Q** 今後はどのようなことをめざしていきますか。

このプロジェクトは難病の治療法の実用化を目的としていますが、そのためには、AMEDの成果を企業にうまくバトンタッチできるしくみづくりが必要です。難病薬は市場が小さいなどの理由で企業は開発を敬遠しがちですが、利益があがるように企業自身も開発のしくみを見直し、積極的に研究開発に参加してほしいと思います。一方で、新しいシーズを生み出すために、今後は実用化研究だけでなく基礎研究にも力を入れていきたいと思っています。基礎にせよ、実用化にせよ、難病の研究には患者さんの協力が欠かせません。患者さんが主役になって、研究を推進し、その成果を患者さんにお返しできるように研究を進めていきたいと思っています。



## 健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

Other Programs

## 国民のニーズに さまざまな視点で応える

AMEDでは、9つの統合プロジェクト以外にも、多数の事業を行っています。

ここでは、おもなものをご紹介します。

### 革新的先端研究開発支援事業 (AMED-CREST, PRIME, LEAP)

革新的な医薬品や医療機器、医療技術等を創出することを目的に、国が定めた研究開発目標のもと、大学等の研究者から提案を募り、組織の枠を超えた時限的な研究開発体制を構築して研究を推進します。画期的シーズの創出・育成に向けた先端的研究開発を推進するとともに、有望な成果について研究の加速・深化を行います。

### 老化メカニズムの解明・ 制御プロジェクト

2017年度から始まる新しい事業です。老化遅延による健康寿命の延伸を目的として、老化そのものを加齢関連疾患の基盤と捉え、ヒトへの応用をめざした老化メカニズムの解明・制御をめざす研究を実施するとともに、医療応用に向けたシーズ創出を推進します。また、本事業を通じ、日本の老化研究の核となる拠点の形成をめざします。

### 障害者対策総合研究開発事業

疾患を発症して障害児・者となっても、地域社会の一員として安心して生活できるように、身体・知的等障害、感覚器障害、精神障害、神経・筋疾患の分野において、障害を招く疾病等についての病因・病態の解明、予防、診断、治療、リハビリテーション法等の先進的・実践的な研究、適切な支援を提供するための研究を推進しています。

### 肝炎等克服実用化研究事業

肝炎等克服緊急対策研究事業においては、肝炎の予防、診断、治療にかかわる技術の向上、肝炎医療上必要な医薬品・医療機器などの開発につながる基礎・臨床研究を実施します。また、B型肝炎創薬実用化等研究事業においては、B型肝炎の基盤技術の画期的な新規治療薬の開発をめざし、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実施します。

### 免疫アレルギー疾患等 実用化研究事業 (免疫アレルギー疾患実用化研究分野)

国民の半数以上が罹患する免疫アレルギー疾患を対象とし、病因・病態の解明や予防・診断および治療法に関する質の高い基礎的研究に立脚した「成果やシーズ」を着実に実用化プロセスに乗せて、新規創薬、医療技術、医療機器等の研究開発を促進し、患者のQOLの維持・向上をめざします。

### ACT-M (産学連携医療イノベーション 創出プログラム)

大学、企業、臨床機関の連携体制のもと、アカデミア発の技術シーズを実用化プロセスに乗せ、医療分野におけるイノベーション創出をめざす挑戦的な課題を支援しています。

### 医療分野国際科学技術 共同研究開発推進事業

ODAと組み合わせた感染症研究(SATREPS)、相手国政府との合意に基づく二国間共同研究プログラム(SICORP)、東アジアサミットをきっかけに発足した多国間共同研究(e-ASIA JRP)、アフリカにおけるNTDs(顧みられない熱帯病)対策の国際共同研究などを行っています。



マイクロRNA測定技術基  
盤開発産学官共同創薬研  
ロジエクト スマートサイ  
ト 細胞療法骨格筋  
芽細胞シート移植

**エクト** アルツハイマー病の新規治療法開発への道筋インフラ

**エクト** 迅速・最適な診断提供を目指すIRUD

ゲノムを解読オーダーメイド医療ゲノム  
医療 ジヤパン・キャンサー  
サーリサーチ・プロジェクト  
ト 革新的ながん医療の発展  
向上皮膚再生治療の臨床試験精  
神・神経疾患の克服オキシトシン投  
与による自閉症スベクトラム症の改  
善効果脳萎縮を抑制する化合