



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development

平成28年度第1回医療分野の 研究開発関連の調整費について

平成28年5月25日
日本医療研究開発機構

平成28年度 第1回医療分野の研究開発関連の調整費の配分について

- 「医療分野の研究開発関連の調整費に関する配分方針」（平成26年6月10日健康・医療戦略推進本部決定）に基づき、平成28年度第1回配分予定額は総額で151.4億円。
（第2回配分及び年度途中で機動的に対応すべき事項が生じた場合等に対応するため、23.6億円を配分せずに留保。）
（参考）科学技術イノベーション創造推進費（500億円）のうち35%（175億円）を医療分野の研究開発関連の調整費として充当。

主な取組

1. 医薬品・医療機器開発への取組

- ① オールジャパンでの医薬品創出 20.5億円
 - ゲノム編集ツールの研究、疾患登録システムの構築、次世代抗体医薬品の製造技術強化等による革新的医薬品の開発を加速・充実
- ② オールジャパンでの医療機器開発 6.9億円
 - ウェアラブル連続瞬時血圧計を用いた循環器疾患リスクの評価システム・最先端医療機器等の開発を加速・充実

2. 臨床研究・治験への取組

- 革新的医療技術創出拠点プロジェクト 15.9億円
 - 臨床研究への橋渡し研究において実用化に向け加速が見込まれる革新的なシーズ等に対し支援

3. 世界最先端の医療の実現に向けた取組

- ① 再生医療の実現化ハイウェイ構想 11.7億円
 - 再生医療の臨床応用の加速、再生医療のレギュラトリーサイエンスの推進等
- ② 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト 11.3億円
 - バイオバンクの機能強化の加速、バイオバンクにおける生体試料の標準化の推進、国際標準化への対応を加速・充実

4. 疾病領域ごとの取組

- ① ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト 13.5億円
 - がんの新規診断法・治療法、遺伝子治療法の開発、希少がん・難治がん等の予防・診断・治療法の開発等の加速、充実
- ② 脳とこころの健康大国実現プロジェクト 9.4億円
 - 脳科学における国際連携研究の推進、認知症予防に資するコホート研究等の充実
- ③ 新興・再興感染症制御プロジェクト 12.7億円
 - ジカウイルス感染症対策の強化、AMR(薬剤耐性)対策強化、ラッサ熱等新興・再興感染症に対する治療薬の開発
- ④ 難病克服プロジェクト 11.1億円
 - 難治性疾患の実用化研究の加速、希少疾患の病態解明等のための未診断疾患の診断連携研究の充実

5. その他

38.4億円

- ・ 大規模診療データ等の収集・利活用に関する研究等、医療ICT基盤研究の推進
- ・ その他、新規B型肝炎治療薬・新規抗HIV薬等の開発加速、循環器疾患・腎疾患等に対応する研究の充実、医療技術開発の分野横断的な推進、国際共同研究の推進 等

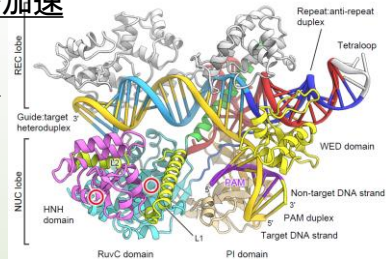
平成28年度 第1回 調整費配分の主な課題

1. ゲノム編集・遺伝子治療の加速化

<ポイント>

加速① 1.5億円

- H27年度末に、ゲノム編集に必須の、標的DNAを切断する酵素である「Cas9」の分子構造に加え、世界で初めて「Cpf1」の分子構造を解明したことを踏まえ、新規の高機能なヌクレアーゼ(DNA切断酵素)の開発を加速



ゲノム編集技術の高度化・効率化を目指すとともに、我が国独自のゲノム編集ツール特許の確保を目指す

2. ジカウイルス感染症への対応

<ポイント>

加速② 3.2億円

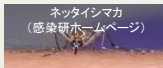
- ジカウイルス感染症※の流行が中南米で拡大していることを踏まえ、世界に先駆けた予防ワクチン・迅速診断法開発、リスク評価ツール確立等の推進に着手

総合的なジカウイルス感染症に対する対策強化につながる

細胞培養不活化日本脳炎ワクチンの生産技術・ワクチン研究基盤を活用した
新規ワクチン開発

多様な現場のニーズに対応可能な
迅速診断法開発

地理情報システム(GIS)を利用した感染リスクの「見える化」による蚊対策の
リスク評価ツール確立



※有効な治療法やワクチンが見つからない蚊媒感染症。日本では、平成25年以降9例(平成28年6例)報告。

3. 難病克服プロジェクト

<ポイント>

加速① 0.5億円

- 網膜色素変性症に対する遺伝子治療法の開発を目指す課題において、医師主導治験に向けた準備が順調に進捗したことを踏まえ、非臨床試験等を更に加速

医師主導治験開始の4ヶ月程度の前倒しが期待できる



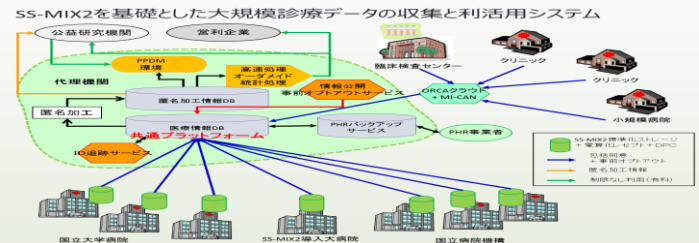
4. 医療ICT基盤の研究

<ポイント>

新規② 4.5億円

- 診療行為の処置結果、予後等を含む、標準化された価値の高い大規模健康・診療データの収集と利活用を目指した共通プラットフォームに関する研究等を推進

創薬や治療の研究等につながる「医療情報の収集、利活用推進のための制度」の検討に資する



1. 医薬品・医療機器開発への取組

オールジャパンでの医薬品創出 20.5億円[214.7億円]

創薬支援ネットワークの構築により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。また、創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援する。

【調整費活用のポイント】

- ・ゲノム編集技術の高度化・効率化の加速
 - 新たに解明した酵素の分子構造を活用し、新規の高機能なDNA切断酵素の開発加速 (加速①)
- ・疾患登録システムを活用した臨床研究・医師主導治験の推進
 - 治験対照群用レジストリの構築など疾患登録システムの構築に関する研究等の推進 (新規②) 等

オールジャパンでの医療機器開発 6.9億円[145.7億円]

医工連携による医療機器開発を促進するため、複数の専門支援機関による開発支援体制(医療機器開発支援ネットワーク)を構築し、我が国の高い技術力を生かし、技術シーズの創出と医療機器・システムの実用化へとつなげる研究開発を行う。また、医療機器の承認審査の迅速化に向けた取組や、研究開発人材の育成も行う。

【調整費活用のポイント】

- ・最先端医療機器の開発を加速
 - ウェアラブル連続瞬時血圧計を用いた循環器疾患リスクの評価システム等の開発 (加速②) 等

3. 世界最先端の医療の実現に向けた取組

再生医療の実現化ハイウェイ構想 11.7億円[147.7億円]

再生医療の迅速な実現に向け、各省が連携して基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備ならびに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。

【調整費活用のポイント】

- ・再生医療の臨床応用の加速
 - 臨床研究や治験の申請に向け、必要となった研究項目の追加 (加速②)
 - iPS細胞等の高度な臨床研究の支援・受入れ体制の構築 (新規①) 等
- ・再生医療のレギュラトリーサイエンスの推進
 - 造腫瘍性に関連する安全性評価法の標準化に向けた研究 (新規②)
 - 遺伝子治療用ウイルスベクターの体外排出評価法の確立等に向けた研究 (加速②) 等

疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト 11.3億円[89.4億円]

疾患及び健常者バイオバンクの構築と共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患及び薬剤関連遺伝子の同定・検証並びに日本人の標準ゲノム配列の特定を進める。また、共同研究等による難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索や、ゲノム情報をいかした診断治療ガイドラインの策定に資する研究やゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備及び試行的・実証的な臨床研究を一體的に推進する。

【調整費活用のポイント】

- ・バイオバンクの機能強化の加速
 - 東北メディカルメガバンクにおける新ジャポニカアレイの開発と全ゲノム復元等の前倒し (加速①) 等
- ・バイオバンクにおける生体試料の標準化の推進、国際標準化への対応
 - 生体試料の品質管理、品質標準化のための研究等の充実 (加速②) 等

5. その他

38.4億円[270.6億円]

- ・[ICT]大規模健康・診療データ等の収集・利活用に関する研究の推進 (新規②)
- ・[感染症]新規B型肝炎治療薬やE型肝炎治療薬の開発加速・充実、最新の研究成果を踏まえた新規抗HIV薬等の開発加速 (加速②)
- ・[医療技術]手技や患者への支援プログラム等、新たな医療技術の開発の分野横断的な推進 (新規②) 等

2. 臨床研究・治験への取組

革新的医療技術創出拠点プロジェクト 15.9億円[98.2億円]

大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、橋渡し研究支援拠点と臨床研究中核病院等の一体化を進める。また、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化、ネットワーク化、シーズの拡大等をさらに推進する。さらに、ICH-GCP準拠の質の高い臨床研究や治験を実施するとともに、ARO*機能を活用して多施設共同研究の支援を行うなどの体制の整備を進める。

*ARO: Academic Research Organizationの略、研究機関、医療機関等を有する大学等がその機能を活用して医薬品開発等を支援する組織

【調整費活用のポイント】

- ・臨床研究への橋渡し研究の加速・充実
 - 橋渡し研究において実用化に向け加速が見込まれる革新的なシーズ等に対し支援 (新規②) 等

4. 疾病領域ごとの取組

ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト 13.5億円[167.2億円]

基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に向けた医薬品・医療機器を開発する研究を推進し、臨床研究等へ導出する。また、臨床研究で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品・医療機器開発をはじめとするがん医療の実用化を「がん研究10か年戦略」に基づいて加速する。

【調整費活用のポイント】

- ・がんの個別化医療に資する新規診断法・治療法、遺伝子治療法の開発の加速・充実 (加速②)
- ・希少がん・難治がん等の予防・診断・治療法の開発等の加速 (加速①) 等

脳とこころの健康大国実現プロジェクト 9.4億円[95.6億円]

認知症やうつ病などの精神疾患等の発症に関わる脳神経回路・機能の解明に向けた研究開発および基盤整備を強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、認知症・精神疾患等を克服する。

【調整費活用のポイント】

- ・脳科学における国際連携研究の推進
 - 新規治療法の研究やそのための基礎脳科学研究の推進、脳における意思決定機構の解明等 (新規②)
- ・認知症次世代コホートを活用した認知症予防に資する指標の研究開発 (加速②) 等

新興・再興感染症制御プロジェクト 12.7億円[65.9億円]

新型インフルエンザ等の感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症に関する国内外での研究を推進するとともに、その成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげることで、感染症対策を強化する。

【調整費活用のポイント】

- ・ジカウイルス感染症対策の強化：ワクチン開発、迅速診断法の開発等 (加速②)
- ・AMR対策強化：薬剤耐性ゲノムデータベースの強化、検査・診断法等の開発 (加速②)
- ・危機管理対策の強化：ラッサ熱等に対する新規治療薬の開発等 (加速②)

難病克服プロジェクト 11.1億円[122.3億円]

希少・難治性疾患(難病)の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品・医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発をめざす研究を推進する。また、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

【調整費活用のポイント】

- ・薬事承認を目指した難治性疾患の実用化研究の加速 (加速①)
- ・希少疾患の病態解明等のための未診断疾患の診断連携研究(IRUD)の充実 (加速②)
- ・ゲノム編集技術等を活用した画期的な治療法の開発 (新規②) 等

<主な内容>

総合的なジカ熱対策研究の拡充・推進(3.22億円)

(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等)

背景

- 従来よりアフリカ・アジアでは持続的に流行していたが、平成25年に仏領ポリネシアで1万人を超える流行が発生。
- 平成27年5月以降、ブラジル等中南米で感染患者(ブラジル保健省の報告では少なくとも50万人が感染)と小頭症新生児の出生例が多数報告。
- 日本では、海外で感染し帰国後発症する症例が平成25年以降で9例(平成28年に6例)報告された。国内感染の報告はない。

国際社会の動向

- 平成28年2月1日WHOが「国際的に懸念される公衆衛生上の緊急事態(PHEIC)を宣言。
- 米国オバマ大統領は平成28年2月ジカウイルス対策で18億ドル(約2100億円)の緊急拠出を議会に要請。

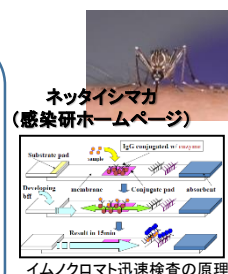
我が国の対応

- 政府は、2月「ジカ熱に関する関係省庁対策会議」を設置、3月「感染症法」の施行規則を改正する等、ジカ熱対策を強化。
- リオデジャネイロオリンピック開催による流行地域への旅行者の増加に伴う輸入感染例の発生が懸念。
⇒国内におけるジカウイルスを始めとした蚊媒介感染症に対する感染症対策強化が重要。G7伊勢志摩サミットでも議論。

調整費による拡充・推進

ジカウイルスに対するワクチン開発等の推進(1.9億円)

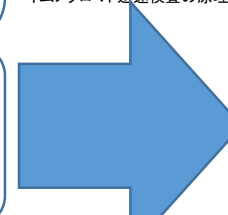
- ・国内メーカーの不活化日本脳炎ワクチン生産技術と研究基盤を応用したワクチン候補ウイルス株の確立
- ・迅速・高品質のワクチン製造を目指した製造条件の探索
- ・有効性探索のマーカー候補の確立
(力価・抗体価などの免疫原性評価指標、症状軽減・発症抑制効果の評価指標、動物実験モデル開発等)
- ・非臨床における安全性の探索



イムノクロマト迅速検査の原理

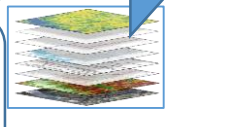
ジカウイルスの迅速診断法の実用化(0.85億円)

- ・大学・企業等との共同研究でRT-LAMP法を応用した簡便な迅速診断キットの開発
- ・イムノクロマト法を用いたベッドサイドで診断可能な迅速診断キットの開発を推進



蚊媒介感染症リスク評価ツールの確立(0.47億円)

- ・感染症発生および流行拡大予測地図の作製に係る基盤整備
- ・地理情報システム(GIS)による媒介蚊分布「3D見える化」の試み
- ・シミュレーションによる国内各地の媒介蚊分布予測地図の作製
- ・感染症発生と流行拡大に係るリスク・ベースモデルの構築



地理情報システム(GIS)のイメージ図

診療ガイドラインの確立(※)(0.2億円)

- ・胎児小頭症の画像診断に関する指針作成等
- ・ジカウイルス母子感染の診療に関するガイドライン作成



(※):成育疾患克服等総合研究事業

期待される成果

・ジカウイルス感染症に対するワクチン候補の早期確立

・多様な現場のそれぞれのニーズに適合した迅速な検査法の開発
⇒高感度法:中核検査施設へ導入
⇒簡便法:最前線の医療現場へ導入

・発生地域における感染拡大防止策の強化、国内流入防止策の強化
・市民・メディアに対する適切な情報提供

・診療ガイドラインの確立

総合的なAMR対策研究の拡充・推進(新興・再興感染症制御プログラム)(8.2億円)

背景

- 抗菌薬が効かなくなる薬剤耐性(AMR)菌が世界的に拡大。⇒ 公衆衛生に重大な影響を与えている。
- 一方で、新規の抗菌薬等の開発は近年停滞。⇒ このままでは、薬剤耐性菌に対する対抗手段が枯渇。

国際社会の動向

- 平成27年WHO総会ではAMRに対するグローバル行動計画を採択し、加盟国には2年以内の国家行動計画の策定・実行を要求。
- 平成27年G7エルマウサミットでは、AMR対策を推進することで一致。
- 平成28年G7伊勢志摩サミットにおいても主要議題の一つ。



G7 JAPAN 2016 Ise-Shima
G7 伊勢志摩サミット 2016

我が国の対応

- 政府は平成28年4月に耐性菌対策の国家行動計画(AMR対策アクションプラン)を策定し、分野横断的に取組(ワンヘルス・アプローチ)を推進。
- 医療、農畜水産、食品安全の各分野において、サーベイランス(耐性菌の監視)、抗菌薬の適正使用等の取組を実施。
- G7伊勢志摩サミット議長国として、AMR対策について国際的な協調体制のもとAMR対策を推進。

調整費による拡充・推進

日本及び途上国の耐性菌サーベイランスシステム構築支援(0.65億円)

- ・JANIS(厚労省院内感染対策サーベイランス事業)の強化・拡充
- ・医療機関地域連携体制支援システム(RICSS)の構築
- ・途上国に有用なAMRサーベイランスシステムプロトタイプ構築
- ・途上国の細菌検査室構築の技術支援等



多剤耐性淋菌の克服に向けた検査・診断法等開発推進(0.5億円)

- ・医療機関・民間検査会社からのデータ等収集・分離株バンク構築
- ・薬剤耐性プロファイルとゲノム情報の統合解析
- ・菌培養によらない薬剤耐性検査法の開発



薬剤耐性結核菌ゲノムデータベースの強化(0.65億円) 公益財団法人結核予防会

- ・結核菌のゲノムデータベース構築
- ・薬剤耐性結核菌の感染伝播過程解析システムの開発
- ・菌株培養によらない安全で迅速な診断法開発



多剤耐性菌に有効な新規抗菌薬シーズ探索の加速化(3.2億円) (感染症研究国際展開戦略プログラム(J-GRID))

- ・国外の耐性菌ゲノム情報の収集
- ・新規阻害物質の共有、阻害物質スクリーニング、ドッキングシミュレーション



薬剤耐性ゲノムデータベース(GenEpid-J)の強化(3.2億円)

- ・より高速な薬剤耐性解析システムの導入
- ・創薬に利用可能なデータベース等の整備
- ・新規抗菌薬候補のIn silicoスクリーニングへの応用



動物医薬品検査所
農研機構動物衛生研究所



次世代シーケンサー
(sequel)

計算サーバー

期待される成果

国内外の耐性菌監視体制の強化支援

耐性菌ゲノムデータベースの拡充

薬剤耐性関連創薬シーズ導出の加速

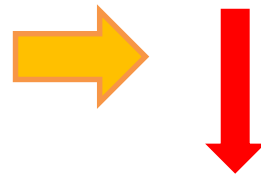
Gサイエンス学術会議共同声明：脳の理解とその育成（2016/4/19）

脳科学の国際協調の必要性

各国の基礎脳研究の連携・脳の疾患研究の推進と国際連携・適正な人工知能技術につながる脳理論・人間行動理解のための脳科学の推進

G7茨城・つくば科学技術大臣会合 つくばコミュニケ（2016/5/17）

- ①保健医療と科学技術 –高齢化（介護を含む）、認知症等に対する研究の促進～アクティブ・エイジングの推進–
- ②科学技術イノベーション人材の育成
- ③海洋の未来
- ④革新的エネルギー技術開発
- ⑤社会的に包摂的で持続可能なイノベーションの創出
- ⑥サイエンスの新たな時代の幕開け



日本医療開発研究機構（AMED）が主催する国際連携推進のための企画が進行中

- AMED-NIH brain science workshop
平成28年3月30日（於：日本）
- AMED-NSF workshop
調整中

1. 脳科学研究の促進（認知症、うつ病等の対策を含むための国際共同）
高齢化に伴う認知症やうつ病等の精神疾患メカニズムの解明のためには、脳に関する研究の一層の促進が望まれている。
2. 医療、介護とロボティクス等の研究促進のための国際的ネットワークの構築
科学技術が医療と連携した介護者支援等の技術開発に期待。様々な場面を想定したロボットの活用（脳科学研究を視野に入れた技術開発）
3. 研究データの利活用を促進するための国際協働（Open Scienceとの連動）
国際的な研究開発を推進するためには、研究データの共有と利活用を促進する枠組を構築する国際的協力が欠かせない。医療分野の特性に配慮した研究データの利活用を促進するための国際協働。



脳科学研究戦略推進プログラム（融合脳）拡充

脳科学研究を視野に入れた、新たな治療技術開発を目指す。

- 従来の仮説とは異なる治療法のための基礎脳科学研究
- 従来とは異なる治療法の研究

脳科学が目指す大目標の一つである意思決定機構に関する研究を促進し、精神疾患メカニズムの解明を目指す。

- 脳における意思決定機構の解明



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

MRIデータ、神経回路ネットワーク等各種データを国際連携を通じて共有・活用を促進し研究を進める。

- 霊長類マッピング
- 神経回路ネットワークの全容解明の加速

- 国際指標（世界基準）への展開
- 国際標準の疾患モデル動物

【新規】Medical Artsの創成に関する研究

4.6億円

背景と概要

(外科、がん、看護、リハビリ等の新たな医療技術やソフトウェアの開発)

革新的な医薬品・医療機器を真の実用化、すなわち医療現場への導入につなげるためには、今までのような医薬品・医療機器の開発のみでは不十分であり、同時に、それらの手技や実際の患者への支援プログラム等の新たな医療技術を開発する必要がある。

現在、パワードスーツやウェアラブル機器等といった様々な医療機器が開発に至っているが、それを医療現場で幅広く活用するための医療技術の開発は十分に行われていない面があり、現場への普及が懸念されることから、その開発が急務である。また、情報通信技術（ICT）等を医療技術の情報化、電子化に活用することにより、より効率的で汎用性のある医療技術の開発等の研究が求められている。

公募

【分野1 医療技術開発】

- 1 外科診療並びに内視鏡や放射線機器等を用いた診療等における医療手技のエビデンスの確立
- 2 医療の質の向上や効率化に資する、様々な職種が行う医療手技や支援プログラムのエビデンスの創設



【分野2 がん治療法開発】

- 1 エビデンスに基づく希少がんの（標準的）治療法の開発支援
1-1 臨床試験のプロトコルの作成 1-2 全国症例登録システムの構築
- 2 生殖機能温存を意識したAYA世代のがん治療法の開発

【分野3 医療機器開発】

情報通信技術（ICT）等を用いた医療支援を行うためのソフトウェアの開発

新たな
Medical
Artsの創出

医療の
変革・
新技術
の普及

調整費

おおまかな分野を定めて
AMED横断的に公募

※1～3年の研究計画

関係する事業が合同で実施
(評価委員会も合同で実施)

採
択

公募・採択の流れ (イメージ)

課題管理等は、採択後に、関連
が深い事業が担当して実施

評
価

評価委員会：合同で実施

平成29年度予算

評価の結果、継続が
認められるもののみ
各事業として継続

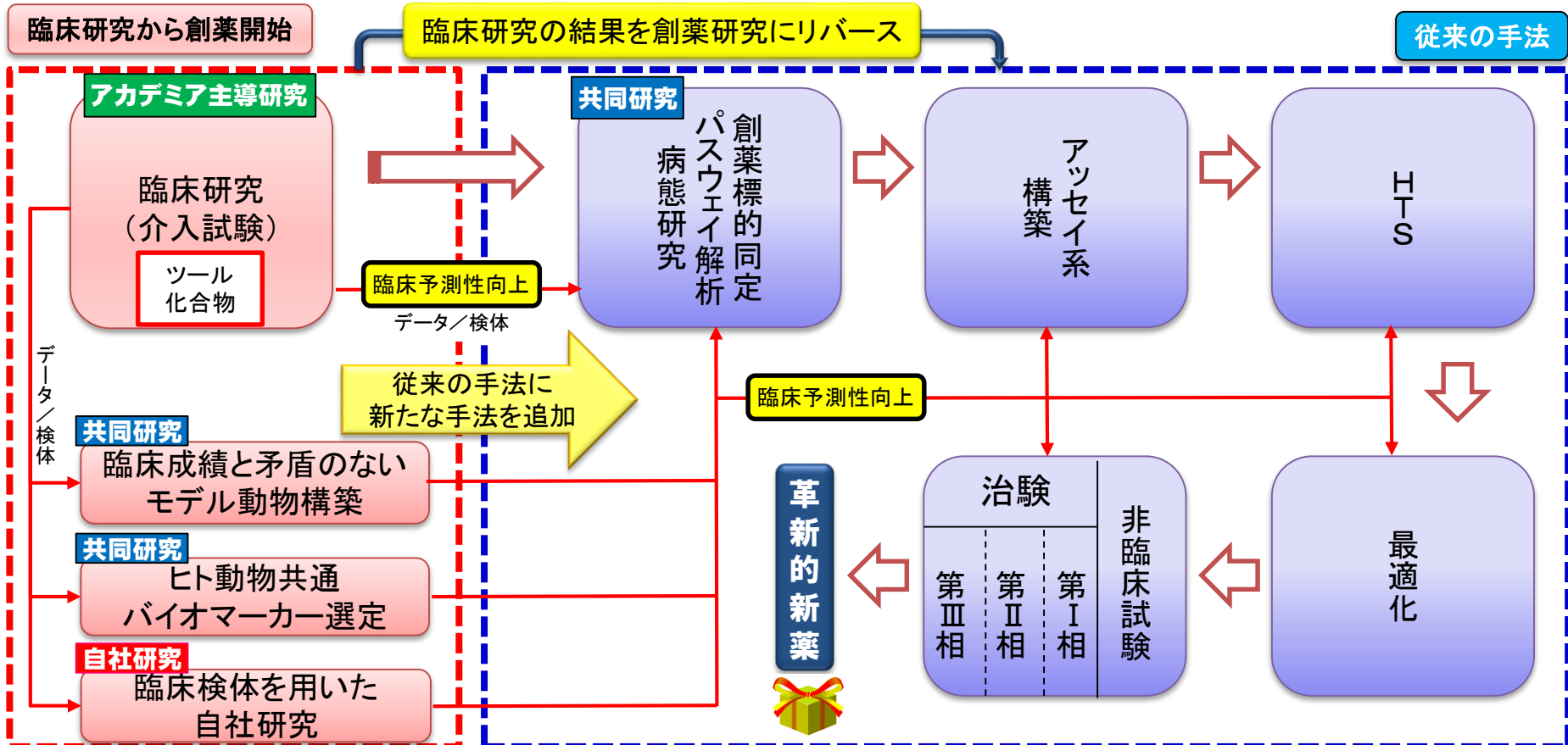
※ 医療機器開発推進研究事業、革新的がん医療実用化研究事業、認知症研究開発事業、難治性疾患実用化研究事業、臨床研究等ICT基盤構築研究事業、障害者対策総合研究開発事業、長寿科学研究開発事業、循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業、慢性の痛み解明研究事業、免疫アレルギー疾患等実用化研究事業(免疫アレルギー疾患実用化研究分野)、免疫アレルギー疾患等実用化研究事業(移植医療技術開発研究分野)

産官学共同rTRプロジェクト (GAPFREE2)

1.85億円

(創薬基盤推進研究事業)

- 従来の創薬手法では、ヒト-動物間の種差等の問題から、完全にヒトの病態や生理機能を踏まえた研究開発を行うことが困難であり、治験への着手に至ったとしても、有効性欠如等により開発を断念せざるを得ないケースも多くみられるなど、臨床予測性が創薬研究の最大のハードル。特に、治療薬のない領域では、臨床予測性は全くの未知であり、製薬企業の研究開発着手には大きなリスクを伴う。
- しかし、動物実験や経験・疫学的に有効性が知られている既存薬をツール化合物として、これを用いた臨床研究から創薬研究を開始し、臨床研究データを創薬基礎・応用研究にフィードバックすることにより、①ヒトの病態・生理機能を踏まえた創薬標的の同定、②ヒト動物共通のバイオマーカー選定、③臨床成績と矛盾のないモデル動物構築が可能となり、創薬初期段階から、臨床予測性を飛躍的に向上させ、革新的医薬品の開発が可能となる。
- このような中、アカデミアには、このようなツール化合物による臨床研究について多くのノウハウがあり、これと、資金を拠出する製薬企業による創薬ノウハウを組み合わせた研究スキームを構築する(製薬企業からの拠出金はいったんAMEDが受け入れ)。



GAPFREE : Funding for research to expedite effective drug discovery by Government, Academia and Private partnership (産学官共同創薬研究プロジェクト)

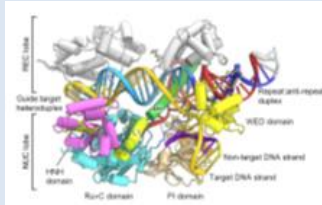
rTR(reverse translational research): 臨床上で問題になっているメカニズムを明らかにした後、基礎研究に戻して創薬等を目指す研究のこと

近年、ゲノム編集技術や遺伝子治療手法の開発により、以前よりも革新的な治療が可能となりつつあることから、世界に先駆けて新たな技術と治療法を開発することは、きわめて重要である。このため、平成28年度の春の調整費を活用し、①革新的なゲノム編集技術、②遺伝子治療法の開発、③遺伝子治療実現の基盤整備、について総合的に研究支援を行い、開発の加速・充実を図る。

【①革新的なゲノム編集技術の開発・応用】

○新たなゲノム編集ツール作製

濡木教授のグループによりH27年度末に新規Cas9酵素の構造解析結果が公表されたことを踏まえ、立体構造に基づいて新たなゲノム編集ツールの作製を加速する。



(我が国独自のゲノム編集ツール特許の確保を目指し、高機能なヌクレアーゼの創出を図る。)

1.5億[革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業]

○新技術を用いた疾患モデルマウスや多系統ノックアウトマウスの作製

高確率で遺伝子を破壊する技術、複数遺伝子を同時に導入する技術などゲノム編集を高度化、高効率化する改良技術の開発、新たな遺伝子導入法の創出が進展している。このため、新技術を用いた疾患モデルマウスや多系統のノックアウトマウスの作製などにより、免疫応答や代謝、恒常性のメカニズムを解析し、医療応用に資する基礎的検討を実施。(マウスはNBRPに寄託予定)

1.8億[革新的先端研究開発支援事業]

【②新たな遺伝子治療法等の開発加速・充実】

○ゲノム編集技術の活用

ゲノム編集技術を用いた革新的ながん遺伝子治療法の開発
(ゲノム編集技術を導入し、副作用の少ない遺伝子治療法を開発)

1.5億[革新的がん医療実用化研究事業]

難治性疾患に対する画期的な治療法の実用化研究

(難治性疾患に対する遺伝子治療、核酸医薬等の開発)

1.5億の中で1~2課題(3年程度)[難治性疾患実用化研究事業]

○遺伝子導入のためのベクターの開発・活用

ウイルスベクターを用いた実用化間近ながん遺伝子治療法開発

(脳腫瘍、肝細胞がん、悪性胸膜中皮腫の遺伝子治療法の開発を加速する)

1.2億[革新的がん医療実用化研究事業]

難治性疾患に対する画期的な治療法開発のための基盤技術開発研究

(抗原性の低いウイルスベクターの開発、導入効率の高いウイルスベクターの開発、困難とされてきた組織へのデリバリー技術の開発等を実施)

0.2億×2課題(2年程度)[難治性疾患実用化研究事業]

【③遺伝子治療開発の基盤整備】

○ウイルスベクターを活用した治療法の安全性の向上

遺伝子治療の安全性確保のため、Virus Shedding評価系を確立する。
(患者から排出されるウイルスの排出プロファイルを予測・定量する評価系を確立する。排出ウイルスによる感染リスクの懸念を大幅に低減させ、遺伝子治療開発を促進する。)

1.15億[医薬品等規制調和・評価研究事業]

○ウイルスベクター製造体制の確立

難治性疾患に対する画期的な治療法開発のための体制確立研究

(GMP準拠ベクター製造体制確立)

1.5億×1課題(2年程度)[難治性疾患実用化研究事業]

医療分野研究成果展開事業産学連携医療イノベーション創出プログラム (ACT-M) 「イノベーションセットアップ」スキーム

3.0億円

事業目的

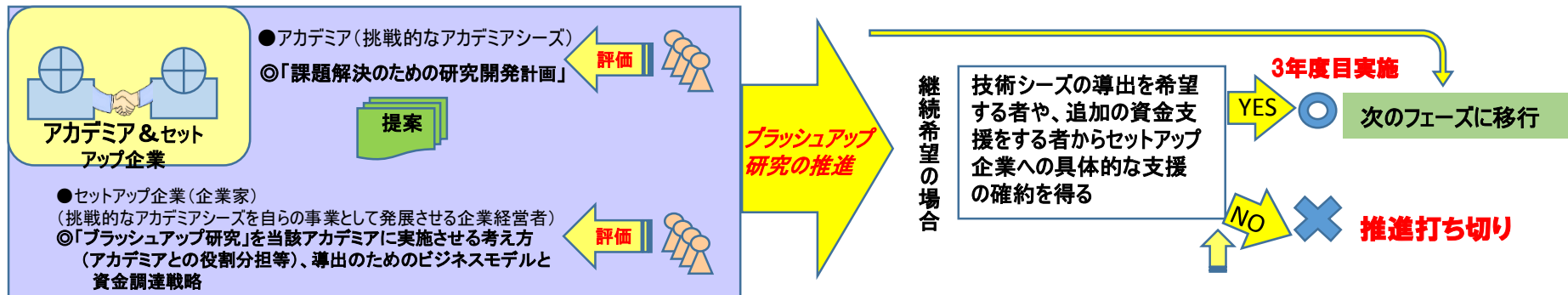
医療分野研究成果展開事業の産学連携医療イノベーション創出プログラム (ACT-M: ACceleration of Transformative research for Medical innovation) の拡充スキームとして、アカデミア発の挑戦的な課題を対象とし、それを実用化につなげるための課題解決型研究開発(ブラッシュアップ研究)を既存のACT-M内で拡充公募、採択・推進することにより日本発の医療イノベーションを加速創出する。

具体的内容

平成27年度から開始したACT-Mでは、アカデミアと企業の産学連携による共同研究開発により、アカデミア発の技術シーズを実用化(さらには事業化)につなげることを目的として、現在、人工内耳の研究開発などが順調に進捗しているが、一方で、優れた点がありながら、事業化に向けたシナリオやスケジュールが不明確のため、アカデミアでの研究フェーズにとどまる(アカデミアの研究に企業が事業化を度外視して付き合うケース)等により不採択(倍率10倍以上)となる技術シーズが散見され、また、アカデミア、企業それぞれに意見を聴取したところ、企業が注目してはいるがまだ技術シーズとして形になっておらず企業として手出しづらい有望かつ挑戦的なアカデミアシーズが多数あることが、ACT-Mを約一年間実施する中で判明した。

このような状況は、アカデミアにおける実用化を見据えた研究開発、すなわち、企業においてアカデミア発のイノベーションを技術移転する際に必要となるアカデミアで実施すべき研究開発(たとえば作用機序や毒性試験)がアカデミア・企業双方の認識のずれにより実施されないことにより発生していると考えられる。

本事業は、このような状況を解消するため、優れた技術シーズやアカデミアシーズなどの「挑戦的な技術シーズ」について、これを有するアカデミアが当該シーズを企業等に導出可能なレベルまで高めることを目的として「中継ぎ的(セットアップ)」な研究開発の支援を実施する。(一課題当たり、実施期間二年度間(実質1.5年前後)、契約金額各年度あたり上限2000万円以下。実施期間内に評価を行うことにより、継続実施も可能。)

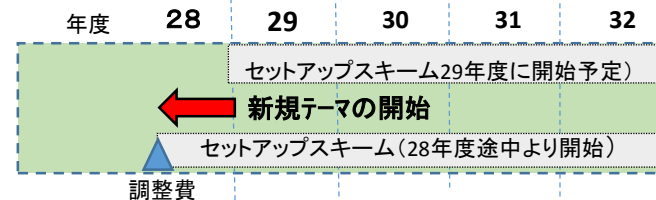


採択対象要件

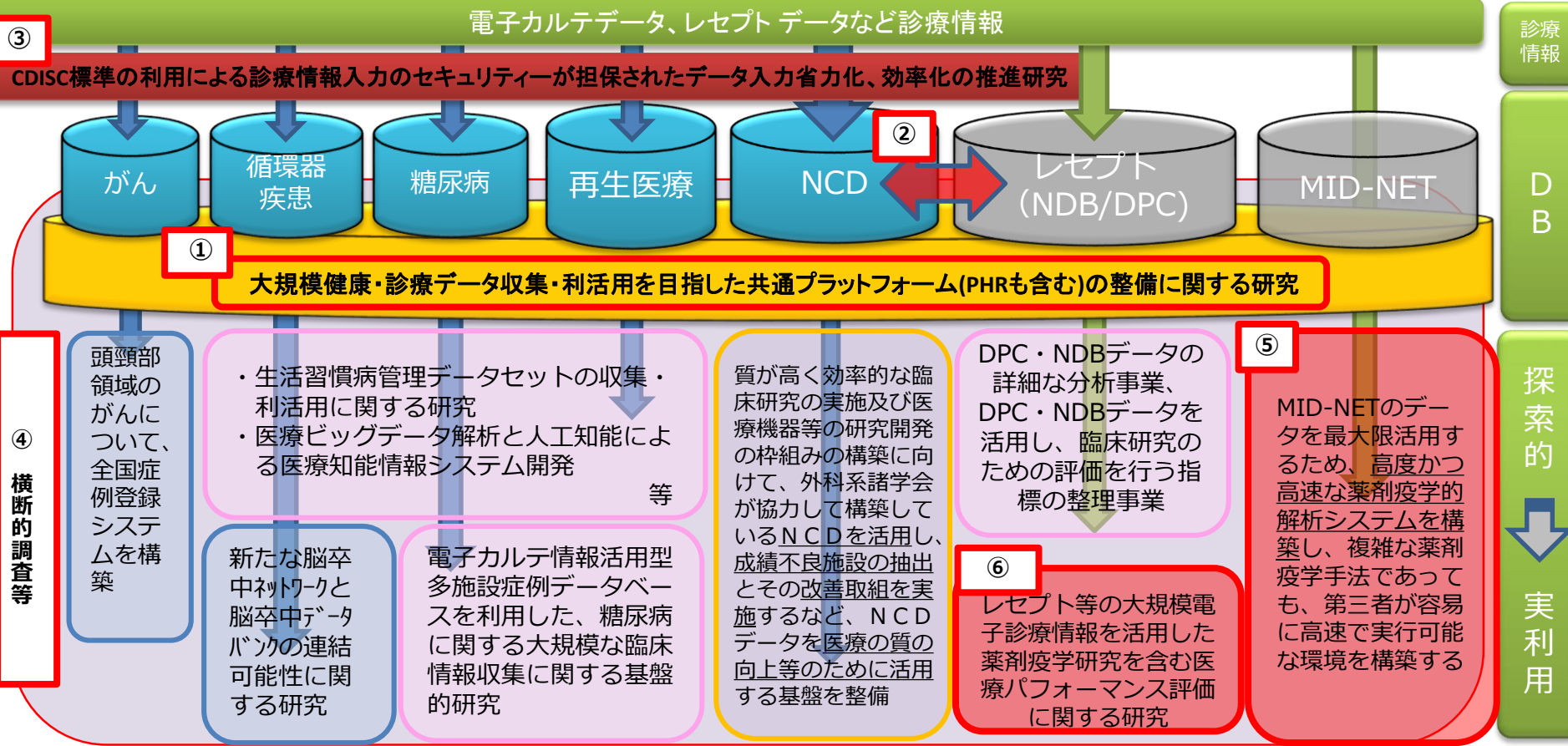
1. 挑戦的シーズを有するアカデミアとそれを直接受け取る予定企業(セットアップ企業)の連名公募
2. AMEDは技術シーズを持つアカデミアの研究を支援対象とする。

行 程

★既存プログラムであるACT-Mにおいて、拡充公募



- 医療分野研究開発推進計画（平成26年7月健康・医療戦略本部決定）では、「**日常の臨床症例を登録するレジストリー研究のためのデータベース構築、ビッグデータ分析等のICTの活用による研究開発の迅速化とコストダウンを図る必要がある**」とされている。
- 既存のDBの成果等の共有を図り、相互の連携を更に推進する為の基盤整備を図ることは、Big Data Scienceを活用した臨床研究の加速に必要不可欠である。また、現在検討が進められている代理機関(仮称)制度を念頭においた、医療情報利活用の動きにも対応する必要がある。
- **基盤整備として**、①大規模健康・診療データ収集・利活用を目指した共通プラットフォーム（PHRも含む）の整備の拡充、②NCDのデータ拡充による機器開発等に資する基盤の拡充、③CIDSC標準での診療情報入力を省力化する臨床研究エコシステムの構築、④各DB活用状況等の横断的調査・研究成果の共有、**DBの実利用として**、⑤MID-NETを活用した高度かつ高速な安全性評価の研究支援環境の整備、⑥レセプト等の大規模電子診療情報を活用した医療パフォーマンス評価等に関する研究、を行うことで臨床研究環境の充実を図る。



<参考>

医療分野の研究開発関連の調整費について

- 「科学技術イノベーション創造推進費」(500億円)のうち175億円(35%)を医療分野の研究開発関連の調整費として充当。
- 健康・医療戦略推進本部の決定により、年度の途中で研究開発が加速する等の理由により、追加的に研究開発費を配分することが研究開発の前倒しや研究開発内容の充実等に効果的と判断した事業等について配分。
- 基本的に、毎年度2回配分(春と秋。その他、緊急的な研究開発には適宜対応。)

科学技術イノベーション創造推進費

(平成26年度～、内閣府に計上)

500億円

175億円
(35%)

医療分野

エネルギー、
資源分野

325億円

次世代インフラ、
地域

右記の配分方針に基づき、
健康・医療戦略推進本部
の決定により配分

総合科学技術・イノベーション
会議が主導し、府省・分野
の枠を超えた横断型プログラム
であるSIP(戦略的イノベーション
創造プログラム)に配分

医療分野の研究開発関連の調整費に関する配分方針

(平成26年6月10日健康・医療戦略推進本部決定)

① 現場の状況・ニーズに対応した予算配分 (理事長裁量型経費)

(ア)日本医療研究開発機構の理事長がPD等の意見を勘案して、年度の途中で研究開発が加速する等の理由により、追加的に研究開発費を配分することが研究開発の前倒しや研究開発内容の充実等に効果的と判断した事業について配分。

(イ)理事長がPD等の意見を勘案して、健康・医療戦略等の取組を一層推進する観点から、特に優れた課題の採択数の増加や新たな研究課題の公募等が望ましいと判断した事業及び新たな事業について配分。

② 推進本部による機動的な予算配分 (トップダウン型経費)

(ア)ある領域において画期的な成果が発見された等により、当該領域へ研究開発費を充当することが医療分野の研究開発の促進に大きな効果が見込まれる場合に配分。

(イ)感染症の流行等の突発事由により、可及的速やかに研究開発に着手する必要があるが生じた場合に配分。

<参考>調整費のスキーム

■ 配分方針 (健康・医療戦略推進本部決定)

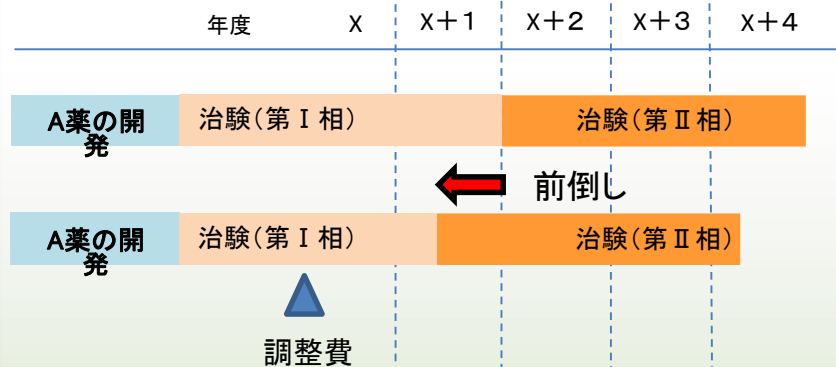
- (1) **加速**: ①前倒し: 研究開発の前倒し、②充実: 研究開発内容の充実等
- (2) **新規**: ①新規事業の開始、②事業内新規研究課題の開始等

※いずれも上段は当初計画、下段は調整費投入後の計画を図示した。

●「加速」の例

【①前倒し: 新たな医薬品開発スケジュールの前倒し】

★ 治験(第I相)の期間を半年程度短縮して、全体の行程を前倒し



【②充実: B病の研究基盤の構築を拡充】

★ 対象施設を増やし、B病の研究基盤を拡充

年度 X X+1 X+2 X+3 X+4

- 研究成果をより充実させるため、対象施設数を増加

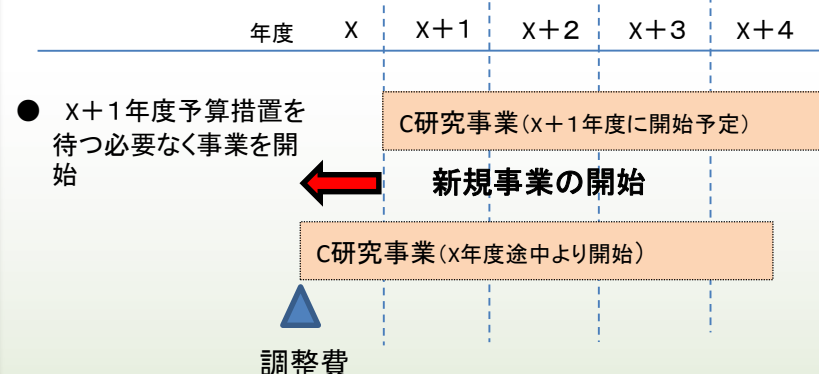
B病の実態把握について5施設でのデータ収集
(5施設→35施設)
多施設におけるデータ抽出・実態把握
B病の実態把握・治療有効性の比較等の研究を容易に可能にする基盤を整備

拡充
調整費

●「新規」の例

【①新規事業: 新たに推進が必要なC研究事業の開始】

★ 新規事業であるC研究事業を年度途中から開始



【②事業内新規研究課題: 既存事業の中で新しい課題を開始】

★ 既存事業であるD研究事業において、

年度 X X+1 X+2 X+3 X+4

- X年度採択時に、応募があった優秀な課題を予定より多く採択
- X+1年度予算措置を待つ必要なく新たなテーマの研究を開始

D研究事業 合計10課題を採択
D研究事業 合計10+1課題を採択
課題数増
研究課題E(X+1年度に開始予定)
新規テーマの開始
研究課題E(X年度途中より開始)

調整費
調整費