



AMEDのミッション

グローバルデータシェアリングによる課題解決

日本医療研究開発機構
理事長 末松 誠

本講演では申告すべきCOIはありません。
また患者さんのデータはICおよび研究者の方々のご了解をいただいた内容です。

日本医療研究開発機構大賞授賞式 講演 平成29年11月25日(土曜日)

平成27年4月発足:AMEDの研究開発プロジェクト:縦横連携

- AMED（日本医療研究開発機構）は、国の医療分野の研究費を集約して、基礎から実用化まで切れ目のない研究支援を実施。
- 関連する研究開発事業を、5つの「横断型」と4つの「疾患領域対応型」の統合プロジェクト等にまとめ、連携させて推進。

疾患領域対応型統合プロジェクト

- がん** リサーチ・プロジェクト
ジャパン・キャンサー
 - 脳とこころ** 脳とこころの健康大国
実現プロジェクト
 - 感染症** 新興・再興感染症
制御プロジェクト
 - 難病** 難病克服
プロジェクト
- 疾患領域対応型事業

横断型統合プロジェクト

医薬品・医療機器
開発への取り組み

● オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト

● オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

臨床研究・治験への
取り組み

● 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

世界最先端医療の
実現に向けた取り組み

● 再生医療実現プロジェクト

● 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト

● 横断型事業

(ICT関連研究基盤構築・研究開発、革新的先端研究開発、産学官連携による研究開発・研究基盤整備、生物資源等の整備、国際展開 他)

AMED立ち上げに当たって考えたこと:研究者を目指す皆さんへ

- ✓ 医学・医療の研究は、医師だけでは成立しない**チームスポーツ**
 - ✓ 基礎研究のしっかりしていない応用研究はあり得ない
 - ✓ ヒトから採取した試料、収集した臨床データから生まれる基礎研究
 - ✓ **英語**を自転車に乗るように操ってサイエンスに飛び込んでほしい
-

- ✓ **学際研究**:異能がぶつかり合って新しい化学反応が起きる研究
- ✓ 創薬研究は沢山の異なるチームが、「たすき掛け」で成果をつないで**駅伝**のように進んでいく
- ✓ **研究者の貴重なデータを抱え込む性質: データシェアリングの重要性**

HIROs Meeting (Heads of International Research Organization)



Since 1995



もし研究者が一番大事なデータを
論文が出るまで公開しなかったら？



Global scientific community commits to sharing data on Zika

10 February 2016

Statement on Data Sharing in Public Health
Emergencies:

In the context of a public health emergency of international concern, there is an imperative on all parties to make any information available that might have value in combatting the crisis. We are committed to working in partnership to ensure that the global response to public health emergencies is informed by

**科学雑誌と研究費配分機関がこぞって
データシェアリングをした研究者研究機関を
優遇し、患者さんに少しでも早く成果を届ける**

to set in place mechanisms to share quality-assured interim and final data as rapidly and widely as possible, including with public health and research communities and the World Health Organisation.

We urge other organisations to make the same commitments. This commitment is in line with the consensus statement agreed at a WHO expert consultation on data sharing last year whereby researchers are expected to share data at the earliest opportunity, once they are adequately controlled for release and subject to any safeguards required to protect research participants and patients.

*Academy of Medical Sciences, UK
Bill and Melinda Gates Foundation
Biotechnology and Biological Sciences Research Council
The British Medical Journal (BMJ)
Bulletin of the World Health Organization
Canadian Institutes of Health Research
The Centers for Disease Control and Prevention
Chinese Academy of Sciences
Chinese Centre for Disease Control and Prevention
The Department of Biotechnology, Government of India
The Department for International Development (DFID)*

*The JAMA Network
The Lancet
Médecins Sans Frontières/Doctors Without Borders (MSF)
National Academy of Medicine
National Institutes of Health, USA
National Science Foundation, USA
The New England Journal of Medicine (NEJM)
PLOS, Science Journals
South African Medical Research Council
Springer Nature, UK Medical Research Council
Wellcome Trust*

情報共有と人間

NEUROSCIENCE

Marmosets are stars of Japan's ambitious brain project

Human vs Marmoset

both YES

both YES

Eye contact

Vocal communication

Sharing food and/or **DATA**

?



Brain/MINDS



Marmosets share behaviours, such as making eye contact as a means of communication, with humans.

is a member of the National Institutes of Health BRAIN Initiative Working Group. "Other groups in the United States and China have started transgenic-primate projects, but none is as large or as well organized as the Japanese effort."

Neuroscientist Henry Markram at the Swiss Federal Institute of Technology in Lausanne, who heads the European initiative, also welcomes the effort: "It is absolutely impressive, and Japan should be applauded for putting together an incredible plan."

Central to the Brain/MINDS effort is the creation of transgenic marmosets to elucidate cognitive function and as models of human brain disease. Although more distantly related to humans than primates such as chimpanzees, these monkeys are in many ways ideal for brain research. Their small size and fecundity make them easier and more efficient to work with

Brain Mapping by Integrated Neurotechnologies for Disease Studies Supported by AMED

Nature, October 9, 2014

Balkanization

同じ日本語を話していても、話が通じない、どうコミュニケーションを取ったらよいか判らない状態



It was long time ago in the galaxy.....



Patients' Need and Physicians' Desire

Sequencers vs Physicians

Scientists vs Bureaucrats

University vs Industry

University vs University

Medicine vs Other Sciences

Bureaucrats vs Bureaucrats

IRUD with UDN-Int'n

From SCRUM-Japan to -Asia
(Oncomine Cancer Research Panel)

Orphan

THE QUEST TO SAVE CHILDREN WITH RARE GENETIC DISORDERS



PHILIP R. REILLY, MD, JD

WINNER OF THE PULITZER PRIZE

THE



E M P E R O R

OF ALL

M A L A D I E S

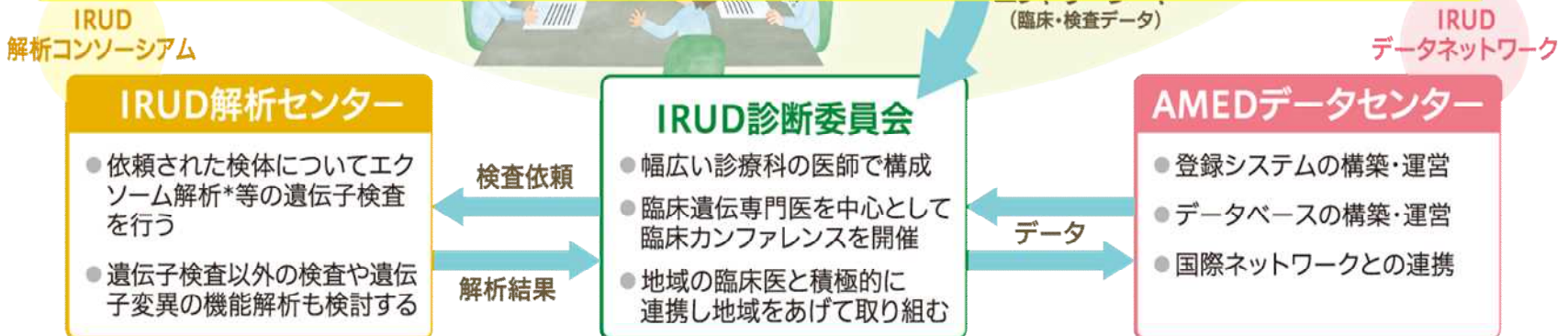


"A compulsively readable, surprisingly uplifting, and vivid tale. Thrilling"
—O. TEE OREAN MAOAZINA

ゲノム医療の社会への実装には
DATA SHARINGが必須



DATA Sharing for patient to overcome diagnostic odyssey



データシェアリングによる未診断疾患診断の加速

(次世代シーケンサーで解析しても答えがでてくるわけではない。症状を正確に記載していることがとても重要)

Two case matching in IRUD: Different from Bernard-Soulier syndrome

Takenouchi-Kosaki syndrome (CDC42 mutation; Am J Med Genet A 2015)

Effects on amino-acid sequence (+)
(frameshift, missense, splicing abnormality, etc.)

ToMMo will provide >4000 Japanese controls in 2016

N/A in 60,000 people's exome; research from around the world on multifactorial genetic disorder in adult



Regional alliance



IRUD Diagnostic committee

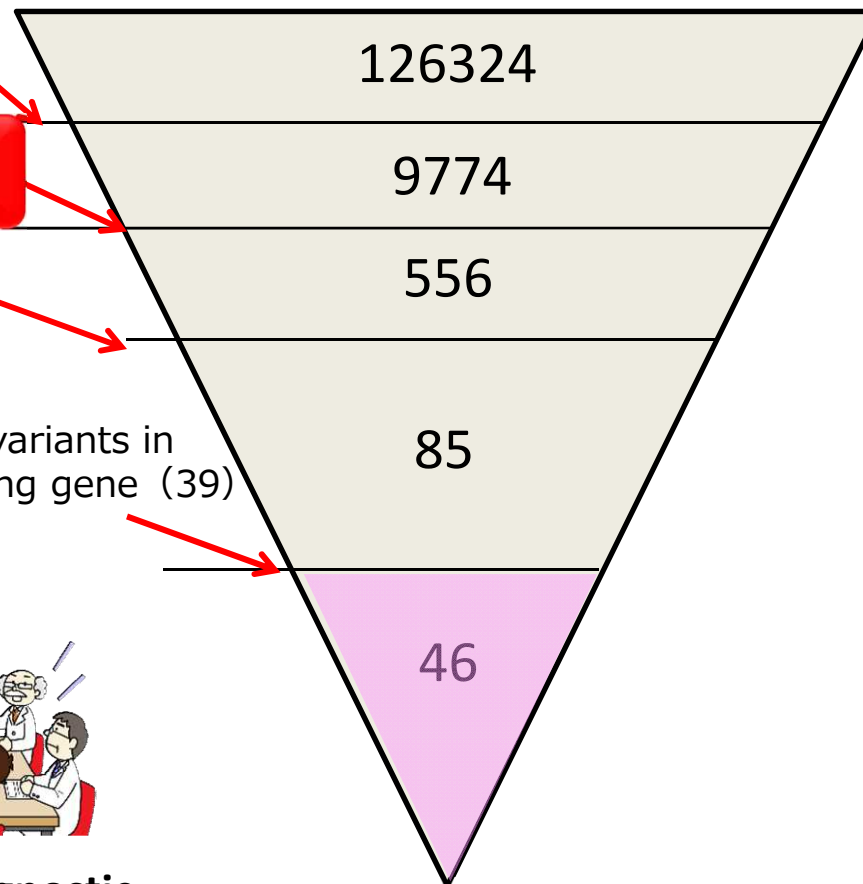
IRUD Consortium for omics analysis

IRUD Analysis Center

- genetic testing (ex. Exome sequencing) of a specimen upon request

- a wide range of specialists
- clinical conference mainly consisting of clinical geneticists
- alliance with home doctors

Whole exome variants



Resource needed

Bioinfo

Japanese DB

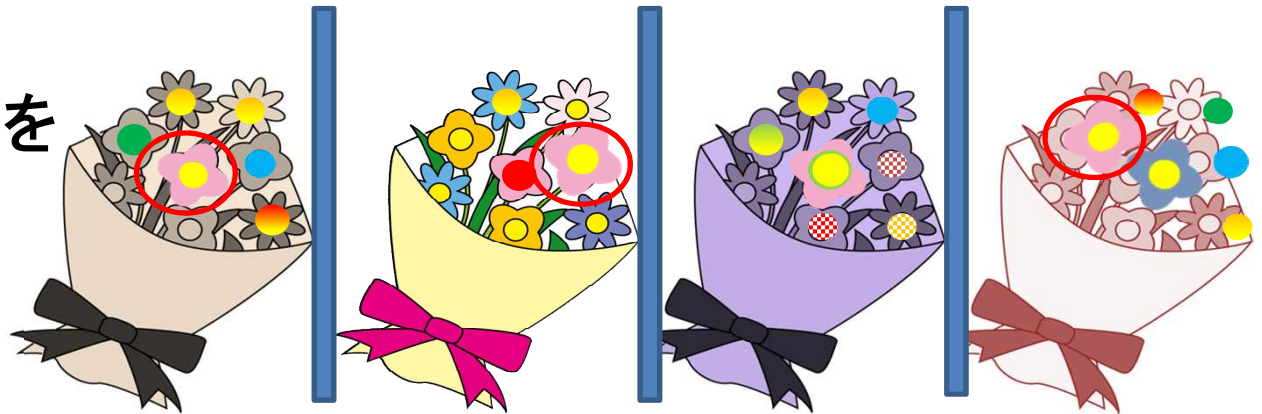
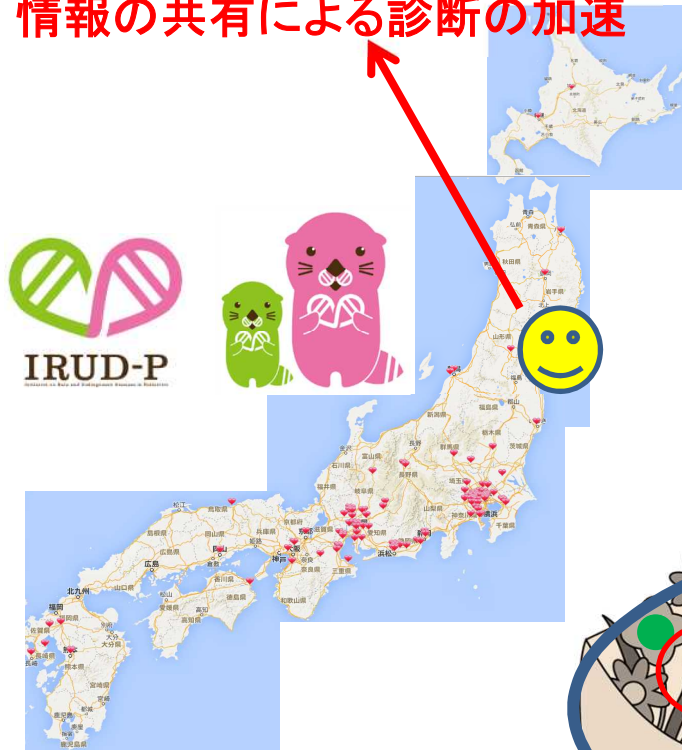
Judgement by doctor

Case matching

Variants in gene whose relationship with human disease is unknown (clinicians have a key role)

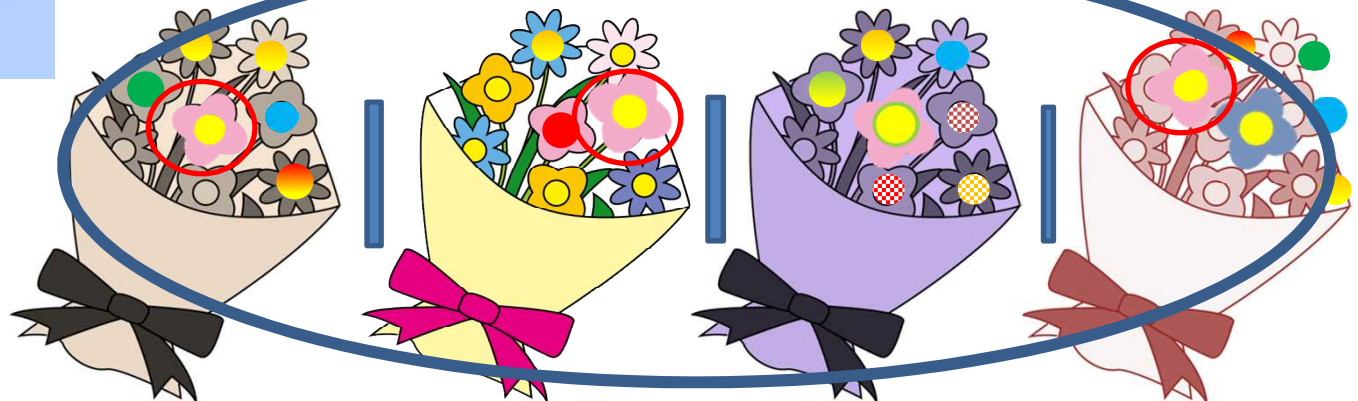
IRUD : 国内420の協力 医療機関がネットワークを 構築

ToMMO (Tohoku Univ)
東北メディカルメガバンク
による健常日本人のバリエーション
情報の共有による診断の加速



IRUD-P (until December 2016)
Registered families=2230;
New disease 12 families + 2 case matches
with foreign countries
N-of-1: 77 families: Successful Dx 34%
(<5 candidate variants)

IRUD 診断委員会 + Central IRB

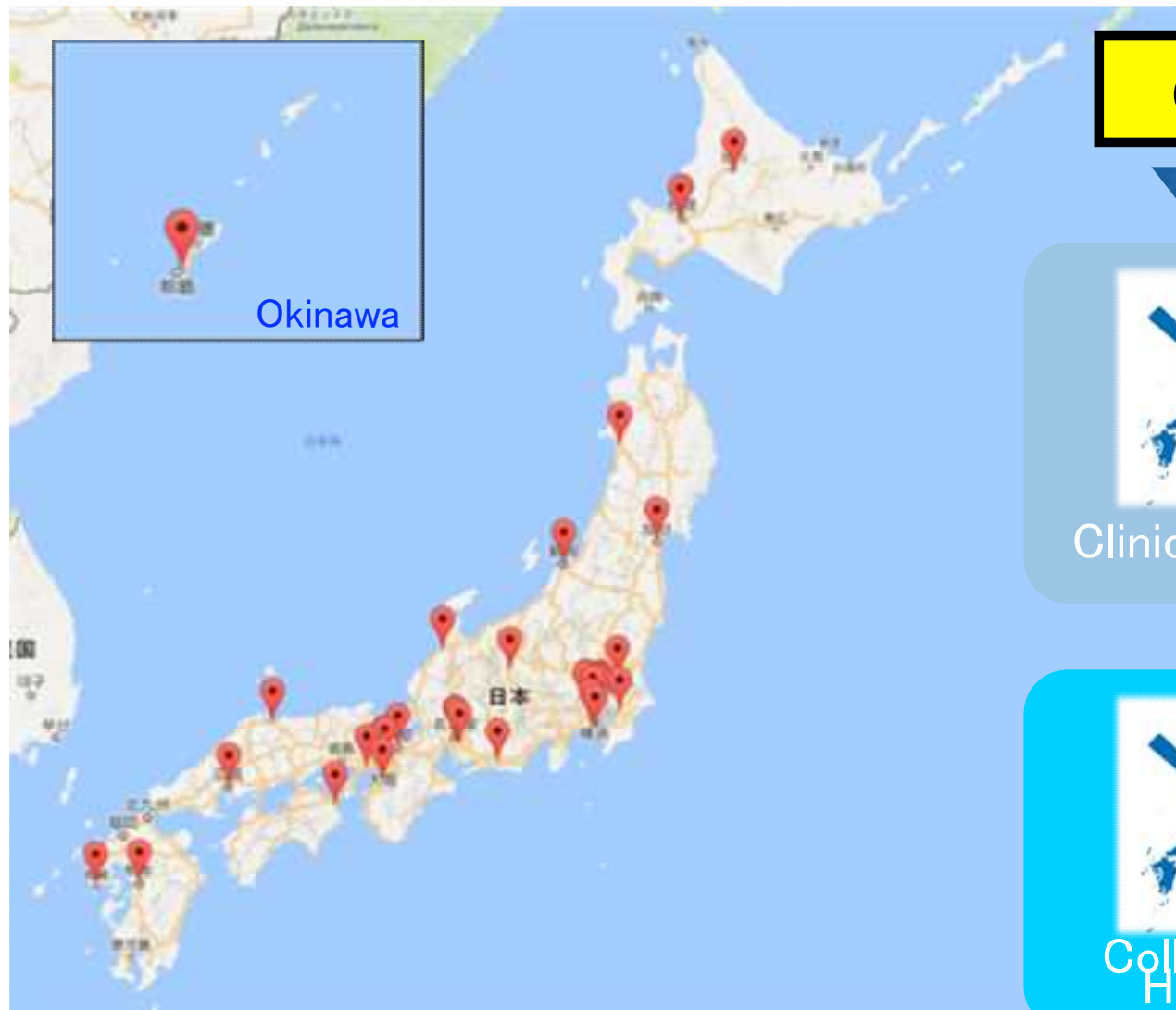


半年以内の結果返却
487例



Diagnosis

IRUD事業では、たった1年半で400以上の病院の皆さんが協力病院に参加していただき、多数の患者さんにご家族に協力をさせていただきました



CIRB



Clinical Centers



Collaborating Hospitals

データシェアリングを国際連携で輪を広げてゆく



MRC
Medical
Research
Council

MRC (UK)
FY2016



MOH (Lithuania)
FY2016



London Office



SEIDI (Spain)
FY2017



Singapore Office

A*STAR (Singapore)
FY2015

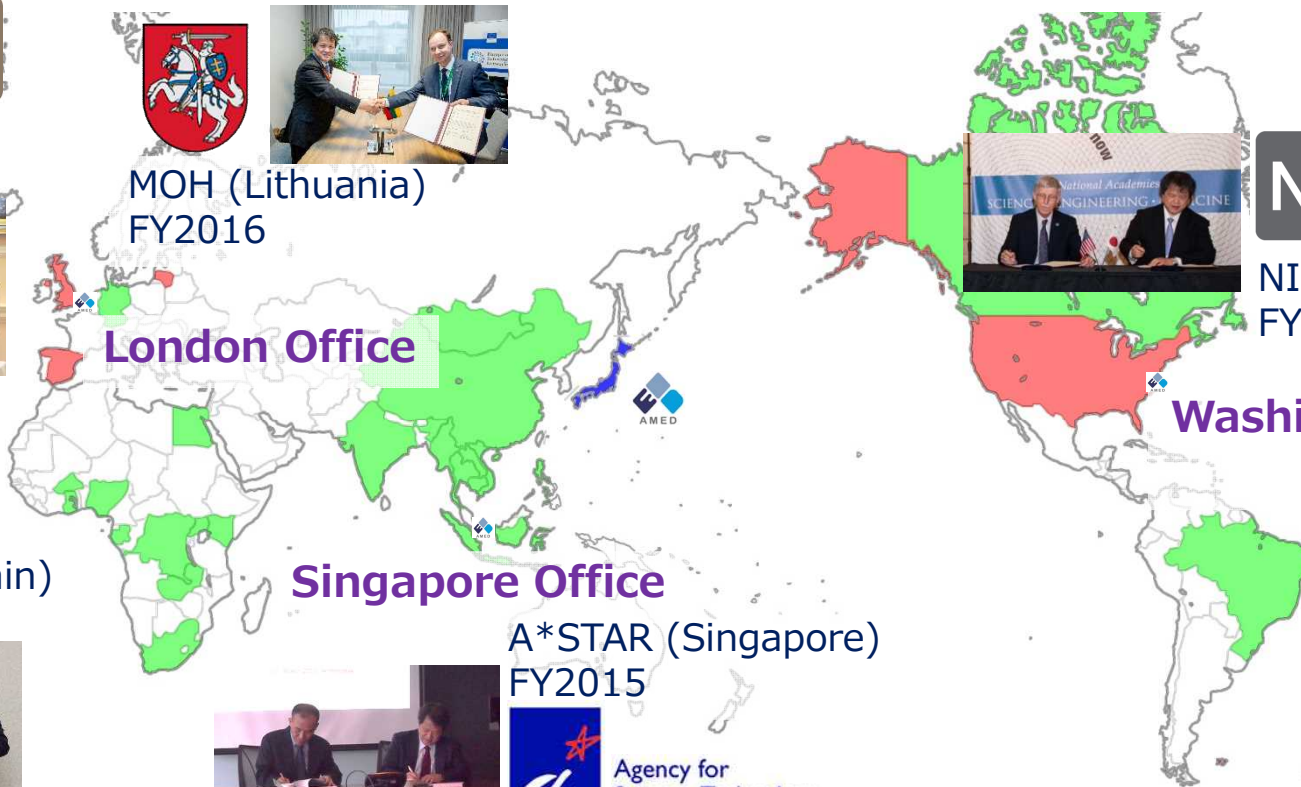


Agency for
Science, Technology
and Research
SINGAPORE



NIH (USA)
FY2015

Washington DC
Office



MOC Research Program



HIROs

