



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30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

平成30年5月30日  
日本医療研究開発機構

# 平成30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(プロジェクト別)

- 「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30年度第1回配分予定額は総額で148.5億円。

(参考) 科学技術イノベーション創造推進費(555億円)のうち175億円を医療分野の研究開発関連の調整費として充当。

## 1. 横断型統合プロジェクト

- ① オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト 14.4億円
  - 遺伝子・細胞治療用ベクターの大量製造技術開発拠点等の整備、MANO法による抗がん剤スクリーニング手法開発や患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験の加速等
- ② オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト 3.7億円
  - 高濃度乳房等の乳房のタイプに依らず、無被曝・無痛で深部まで画像化可能な極微弱マイクロ波を用いた高精細乳癌画像診断機器の開発や認知症の早期診断のためのMRIによる撮像・解析手法の開発の加速等
- ③ 革新的医療技術創出拠点プロジェクト 26.4億円
  - 大学等が保有するがん・遺伝病等の難治性疾患等に関する有望なシーズへの支援による革新的な治療法の開発の加速や臨床研究中核病院における臨床研究の質を向上とした医療情報データの標準化及び利活用体制の整備等
- ④ 再生医療実現プロジェクト 0.2億円
  - AIを活用したiPS細胞の分化指向性判別システム構築の加速
- ⑤ 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト 20.9億円
  - 認知症のゲノム医療研究推進のための健常人バイオバンク基盤整備の加速やゲノム医療実用化のための臨床ゲノム情報データベースの充実等

## 2. 疾患領域対応型統合プロジェクト

- ⑥ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト 5.5億円
  - がん創薬シーズやバイオマーカー候補を見いだすための標的探索研究の加速や難治がん・希少がんなどに対する革新的な遺伝子治療等の実用化に向けた非臨床試験の加速等
- ⑦ 脳とこころの健康大国実現プロジェクト 27.1億円
  - マーモセット研究を強化することにより、世界初の若年性ADモデル等を作出し、神経変性疾患の病態解明、治療薬シーズの加速や横断的に追跡可能なレジストリの構築等により認知症バイオマーカーの開発を加速等
- ⑧ 新興・再興感染症制御プロジェクト 24.4億円
  - 発症予防効果が期待できるインフルエンザワクチンの開発と実用化の加速や国内侵入・流行発生が危惧されるジカウイルス感染症に対するワクチン開発の加速等
- ⑨ 難病克服プロジェクト 5.4億円
  - ベクターを用いた難治性疾患の遺伝子治療の開発シーズ取得に向けた研究の充実や「医薬品の条件付き早期承認制度」を活用し難病の薬事承認を促進するバイオマーカーを開発する研究等の加速等

## 3. 健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業 20.5億円

クリニカルパスデータの標準化・利活用のための診療プロセス解析システムの開発、ICT技術や人工知能(AI)等による利活用を見据えた、診療画像等データベース基盤構築及び研究の加速、早期のライフステージにおける疾病予防のための臨床研究の加速等

# 平成30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(主な課題)

## 1. 各省連携の原動力となる施策① 「認知症の包括的対策」の推進

配分額 47.4億円

### ■ 「認知症の包括的対策」

認知症の創薬研究開発は世界中で注力されているものの、根本治療薬の開発は停滞している。認知症施策推進総合戦略(新オレンジプラン)の研究開発を平成31年から本格実施するために、平成30年度より国内の認知症研究の実用化を見据えた発展を図る必要がある。

平成30年度第1回調整費を活用し、AMEDと3省の連携により総合的な研究支援を行い、予防／診断治療／ケア・リハビリの研究ターゲットを追求した研究開発の加速・充実を図る。特に、発症前・健常人レジストリを世界に先駆けて構築し、また、ヒトのデータ・サンプルから研究を進め、得られたシーズを産学官連携で実用化していく体制を推進する。

## 2. 各省連携の原動力となる施策②

### 「子どもの健全な成育と疾患克服」に資する研究

配分額 5.7億円

### ■ 「子どもの健全な成育と疾患克服」に資する研究

早期のライフステージにおける疾病予防の実現を図るために、諸外国の取組に遅れることなく、自閉症及び発達障害等の解明のためのゲノム解析や小児期・思春期発症の疾患の病原ゲノム変異を対象としたデータベースを構築する基盤整備を加速・充実する。

周産期・小児期の既存各種データベースのリンクエージ分析等により近年急速に明らかとなつた介入時期や介入方法を用い、周産期・学童・思春期の臨床研究・臨床試験を実施するための体制を整備するとともに、独立したデータセンターやプロトコル作成、および共通登録システム構築などの臨床研究支援の基盤整備を加速・充実。2019年度以降本格化する多施設大規模臨床試験につなげる。

## 3. 次世代医療の基盤の整備

### 「医療情報の総合的活用による研究開発の加速」 (広域連携と分散統合)

配分額 42.7億円

### ■ AI等を活用した先制医療・予防医療への取り組み

医療分野でのAI技術の研究開発には、その礎となる正確で多くの医療情報データの蓄積、整備が不可欠であることから、診療域毎に関連学会と連携して、データの整理・集積を行う枠組みを整備することで、この分野での研究開発を推進。

### ■ AROネットワーク機能の強化

臨床研究中核病院・橋渡し拠点を有機的に連携・結集したAROネットワーク機能を利活用した医療情報データベースや患者レジストリ等を整備することで、バイオマーカー開発の促進や革新的治療法等の大学等発のシーズを育成し、医薬品の研究成果を製品実現化により早く結びつけるとともに、拠点が育成したシーズ等を切れ目なく臨床研究・医師主導治験として実施するための基盤整備を加速・充実。

## 4. 政府の方針を受けた迅速な対応

### 「遺伝子を標的とした革新的医療技術の開発等」

配分額 49.4億円

### ■ 遺伝子治療・ゲノム編集等の基礎研究・臨床研究基盤整備

関連病院と連携したウイルスベクターの大量製造技術の研究開発、ベクターに関する研究開発、これら技術を活用することを前提とした難病・希少疾患、がんに係る個別疾患の治療法開発に関する研究を推進。

### ■ 新規シーズ創出(若手研究者育成)

感染症分野において、AMEDの国際的取組との「縦横連携」により土壤形成された、相互補完的で質の高い国際共同研究を開始するとともに、がん分野においては、がんゲノム医療の新たなモダリティによる治療を実現するために新規シーズを創出。

### ■ 感染症領域でのグローバルヘルスに資する研究開発

海外研究機関との共同研究などの国際連携も図りながら、予防(ワクチン)・治療・診断に係る実用化研究を加速させることにより、感染症対策に資する成果をいち早く国内外に還元。

# 平成30年度 第1回 調整費配分

<第1回調整費148.5億円 当初予算1,266億円>

凡例： 加速①：前倒し、加速②：充実、新規①：新規事業、新規②：事業内新規研究課題

## 1. 横断型統合プロジェクト

### オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト 14.4億円

遺伝子・細胞治療用ベクターの大量製造技術開発拠点等の整備、MANO法を用いた抗がん剤スクリーニング手法開発や患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験等の加速等

#### 【調整費活用のポイント】

- ・遺伝子・細胞治療研究のネットワーク構築のため、遺伝子・細胞治療用ベクターの大量製造開発拠点等の整備（新規①）
- ・MANO法によるがん発症にかかる遺伝子を効率よく探索するスクリーニング法開発（加速②）
- ・患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験の加速（加速①、加速②）

### オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト 3.7億円

高濃度乳房等の乳房のタイプに依らず、無被曝・無痛で深部まで画像化可能な極微弱マイクロ波を用いた高精細乳癌画像診断機器の開発や認知症の早期診断のためのMRIによる撮像・解析手法の開発の加速等

#### 【調整費活用のポイント】

- ・最先端医療機器の開発と充実
  - X線マンモグラフィでは全体が白く不明瞭となってしまう高濃度乳房等の乳房のタイプや、人種及び年齢に依らず、無被曝・無痛で深部まで画像化可能な極微弱マイクロ波を用いた高精細乳癌画像診断機器を開発（加速②）
  - MRIを用いて認知症の早期診断を可能にするアプローチについて、エビデンス構築と実用化を促進（加速②）
  - 細胞活性の高い若年層向けにおいて、細胞付与のみ（培養無し）で組織再生できる半月板足場の製品化（加速②）

### 革新的医療技術創出拠点プロジェクト 26.4億円

橋渡し研究支援拠点が育成したシーズ等を切れ目なく臨床研究、医師主導治験として実施する体制の構築とともに、有望シーズの育成も加速等

#### 【調整費活用のポイント】

- ・大学等が保有するがん・遺伝病等の難治性疾患等に関する有望なシーズへの支援による革新的な治療法の開発の加速（新規②）
- ・臨床研究中核病院における臨床研究の質を向上を目的とした医療情報データの標準化及び利活用体制の整備（加速②）
- ・企業ニーズを踏まえた適切なPOC取得による早期企業導出を促進（新規②）

### 再生医療実現プロジェクト 0.2億円

iPS細胞利活用のための基礎的知見の充実・基盤整備等

#### 【調整費活用のポイント】

- ・AIを活用したiPS細胞の分化指向性判別システムの構築（加速②）

### 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト 20.9億円

認知症のゲノム医療研究推進のための健常人バイオバンク基盤整備の加速・ゲノム医療実用化のための臨床ゲノム情報データベースの充実

#### 【調整費活用のポイント】

- ・ジャポニカアレイ解析の追加実施による認知症研究推進のための健常者リファレンス構築の加速（加速①）
- ・日本人に特徴的な認知症感受性ゲノム変異を解明するため、解析規模を飛躍的に拡大し、臨床ゲノム情報DBを充実（加速②）。

## 2. 疾患領域対応型統合プロジェクト

### ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト 5.5億円

がん創薬シーズやバイオマーカー候補を見いだすための標的探索研究の加速や、難治がん・希少がんなどに対する革新的な遺伝子治療等の実用化に向けた非臨床試験の加速等

#### 【調整費活用のポイント】

- ・新たなアプローチを含む、がん創薬シーズやバイオマーカー候補の標的探索研究の加速（新規②）
- ・遺伝子治療等に有用ながん創薬シーズやバイオマーカー候補の早期獲得に向けた応用研究の加速（加速①）
- ・遺伝子治療等を活用した有望な診断・治療法の実用化に向けた非臨床試験の加速（加速①）

### 脳とこころの健康大国実現プロジェクト 27.1億円

認知症モデル動物作出、レジストリ、脳バンク等の基盤整備や、それらを用いた病態解明研究、バイオマーカー開発研究の推進

#### 【調整費活用のポイント】

- ・マーモセット研究を強化することにより、世界初の若年性ADモデル等を作出し、神経変性疾患の病態解明、治療薬シーズの加速（加速①、加速②）
- ・横断的に追跡可能なレジストリの構築、脳バンクの充実強化（加速①、加速②）
- ・認知症由来の脳神経由来エクソーム測定基盤確立による認知症バイオマーカーの開発を加速（新規②）

### 新興・再興感染症制御プロジェクト 24.4億円

発症予防効果が期待できるインフルエンザワクチンの開発と実用化の加速や国内侵入・流行発生が危惧されるジカウイルス感染症に対するワクチン開発の加速

#### 【調整費活用のポイント】

- ・スプリットワクチンよりも優れた不活化インフルエンザウイルス全粒子ワクチン開発の加速（加速①）
- ・ジカウイルスワクチン開発の加速（加速①）
- ・エボラ出血熱に対する新規ワクチンの開発研究の加速（加速①）
- ・多剤耐性結核菌に有効な新規治療用DNAワクチン開発の加速（加速①）

### 難病克服プロジェクト 5.4億円

希少難治性疾患の遺伝子治療の開発シーズ取得に向けた研究や、「医薬品の条件付き早期承認制度」の活用を見据えたバイオマーカー開発等の研究の加速等

#### 【調整費活用のポイント】

- ・ベクターを用いた難治性疾患の遺伝子治療の開発シーズ取得に向けた研究（新規②）
- ・「医薬品の条件付き早期承認制度」を活用し難病の薬事承認を促進するバイオマーカーを開発する研究等（加速②）（新規②）等

## 3. 健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

20.5億円

- ・早期のライフステージにおける疾病予防のため、日本周産期・新生児医学会による複数大規模臨床試験と独立したデータセンターの構築（加速②）
- ・ICT技術や人工知能（AI）等による利活用を見据えた、診療画像等データベース基盤構築及び研究の加速（加速②）

## ■ 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

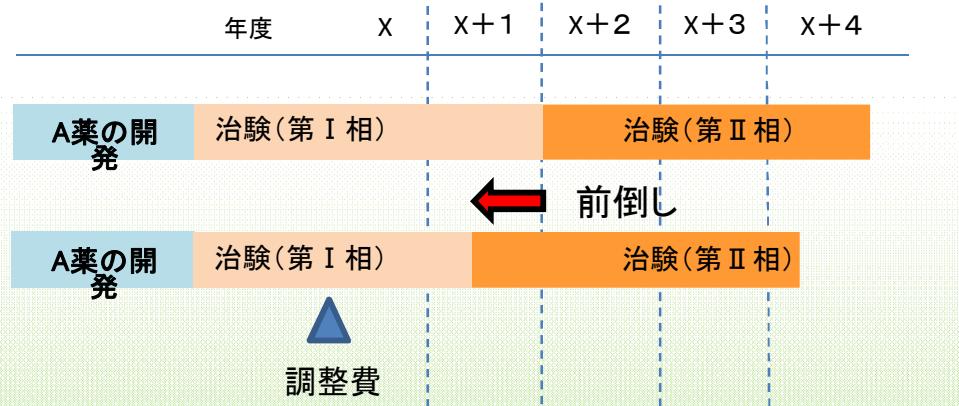
(2) 新規: ①新規事業の開始、②事業内新規研究課題の開始等

※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

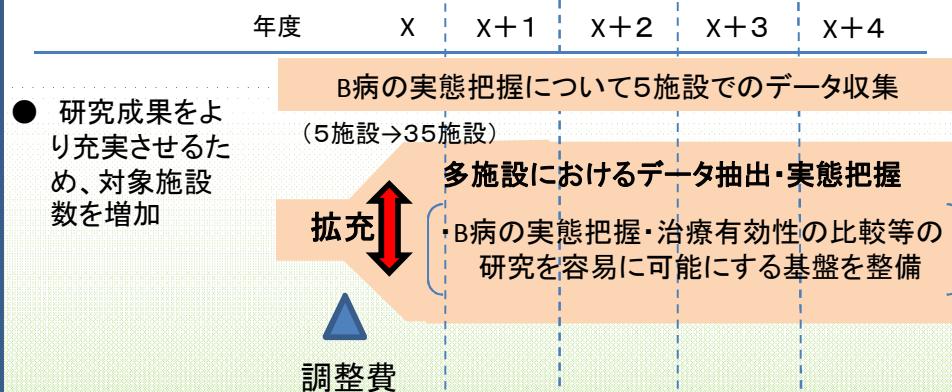
【①前倒し: 新たな医薬品開発スケジュールの前倒し】

★ 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】

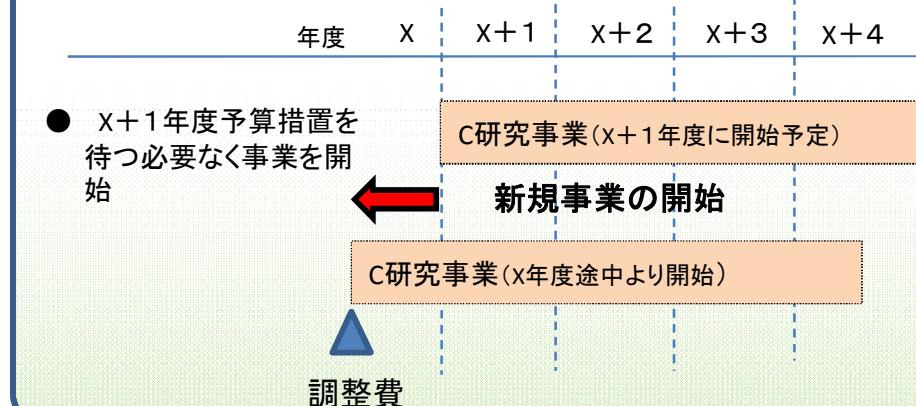
★ 対象施設を増やし、B病の研究基盤を拡充



### ●「新規」の例

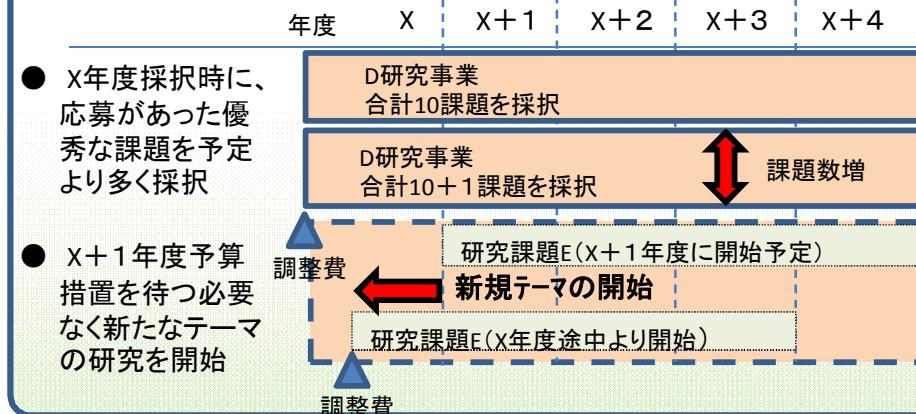
【①新規事業: 新たに推進が必要なC研究事業の開始】

★ 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、



# 平成30年度第1回調整費の骨太の取組について

---

## ～目次～

1. 認知症の包括的対策(その内、研究開発推進に関わるもの) … P6
2. 子どもの健全な成育と疾患克服に資する研究 … P9
3. AI等を活用した先制医療・予防医療への取り組み … P12
4. AROネットワーク機能の強化 … P15
5. 遺伝子治療・ゲノム編集等の基礎研究・臨床研究基盤整備 … P18
6. 感染症及びがん研究での新規シーズ創出(若手研究者育成) … P21
7. 感染症領域でのグローバルヘルスに資する研究開発 … P23

# 1. 認知症の包括的対策 (その内、研究開発推進に関するもの)

# 1. 認知症の包括的対策（その内、研究開発推進に関わるもの）

調整費配分額：47.4億円

## 【①基盤充実強化】

3つのターゲットに共通の基盤である、レジストリ、コホート、バイオバンクの充実強化

### ○健常人前向きコホート

軽度認知障害解析推進等のための健常者リファレンスを構築する。6.2万人分のジャポニカアレイ解析を追加実施し合わせて9万人規模の健常人ゲノムデータ分譲を実施。別途本予算で実施の1万人規模のMRI脳画像データと合わせて提供、認知症研究によりゲノム医療に向けた疾患研究を加速。

配分額：1,422百万円 [東北メディカル・メガバンク計画]

### ○認知症臨床ゲノム情報データベース構築

脳内アミロイドβ蓄積判定技術の活用により解析数1.3万人分を追加し、GWAS拡張および家族性認知症や遺伝性認知症等を対象としたWGSにより認知症データベースを充実させ、各研究領域へのデータシェアリングを行うことでゲノム医療実用化を促進する。

配分額：400百万円 [臨床ゲノム情報統合データベース整備事業]

### ○脳バンクの充実強化

神経変性疾患脳および関連臓器組織の効果的な創薬利用に向け、登録ペース維持や利用基盤の早期整備を促進。

配分額：80百万円 [脳科学研究戦略推進プログラム]

### ○オレンジレジストリサポート体制

3つの異なるコホートを有機的にリンクし、多数の症例に基づく膨大なシーケンスを活用する基盤を強化することにより、認知症のバイオマーカー開発を推進。

配分額：400百万円

[認知症研究開発事業（長寿・障害総合研究事業の一部）]

### ○モデル動物による研究

マーモセット研究を強化することにより、世界初の若年性ADモデル等を作出し、神経変性疾患の病態解明、治療薬シーズを見出す。

配分額：1,798百万円 [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]

## 【②基礎・応用研究の連携】

基礎研究と応用研究の連携、異分野融合によるイノベーション促進

### ○脳バンクを用いた研究

神経変性疾患をはじめとする難治性疾患の医薬品等の開発研究で活用することを前提とした課題を推進する。

配分額：94百万円 [難治性疾患実用化研究事業]

### ○エクソソームによるバイオマーカー確立

認知症由来の脳神経由来エクソソーム測定基盤の確立を目指す。

配分額：350百万円

[認知症研究開発事業（長寿・障害総合研究事業の一部）]

### ○高CNS透過性を有する抗HIV薬の脳機能への影響

HIV患者のQOLに影響する認知機能低下について、抗HIV新薬開発を通じてメカニズムを解析する。

配分額：20百万円 [エイズ対策実用化研究事業]

### ○鉄沈着に基づく検査機器

MRIを使って認知症の早期診断を可能にするアプローチの実用化を促進する。

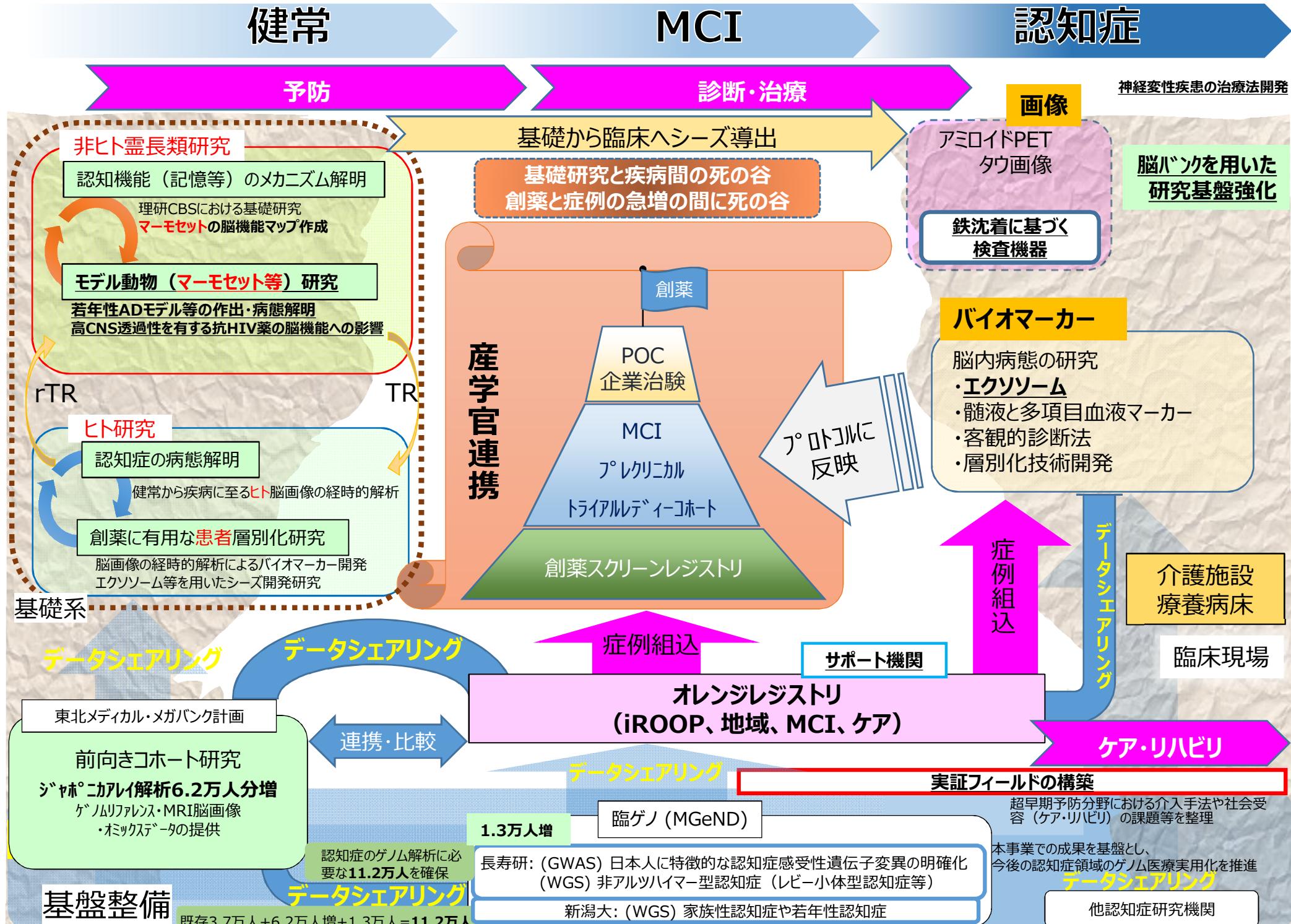
配分額：128百万円 [未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業]

## 【③研究支援体制確立】 3つのターゲットを網羅するサポート機関の確立

### ○認知症官民連携実証プラットフォーム構築

超早期予防分野における介入手法や社会受容（ケア・リハビリ）の課題等を整理するラウンドテーブルを設置

配分額：50百万円 [認知症官民連携実証プラットフォームプロジェクト]



## 2. 子どもの健全な成育と 疾患克服に資する研究

## 2. 子どもの健全な成育と疾患克服に資する研究

調整費配分額 5.7億円

- 周産期・小児期の既存課題における各種データベースのリンクエージ分析により、低出生体重児等への介入時期が昨年10月以降急速に明確となった。それに伴い、今般、関係学会が連携し周産期臨床研究コンソーシアム体制構築の準備委員会が創設されるなど、周産期臨床試験の円滑な実施に向けた支援体制が急速に進んでいる。
- 低出生体重児割合および思春期自殺率の改善や、自閉症及び発達障害の解明や予防的介入についての省庁連携による来年度からの本格的な研究開始に向け、臨床研究支援のための独立したデータセンター整備および研究に必要となる基盤整備支援を加速する。

### 【早期のライフステージにおける疾病予防のための臨床研究推進】

- 日本周産期・新生児医学会周産期臨床研究運営委員会による複数大規模臨床試験の実施。
- 臨床研究支援、システム維持、リンクエージ分析、臨床研究支援、プロトコール作成支援、研究参加施設管理、患者登録、データ収集、データクリーニング、データ入力・バリデーション、モニタリング、統計などの独立したデータセンターとの連携  
配分額：260百万円（成育疾患克服等総合研究事業）

### 【診断率の向上等のための家系情報付ゲノム・エピゲノム解析】

- 東北メディカル・メガバンクの三世代コホート調査で収集した詳細家系情報付のトリオ750名（250家系）に厳選し、全ゲノム解析(WGS)を実施。
- 低出生体重児・自閉症・発達障害等、ライフステージに応じた健康課題克服へ向けた研究推進を可能とする基盤づくりのためのFS。

配分額：150百万円（東北メディカル・メガバンク計画）



### 【児童・思春期における心の健康発達・成長支援に関する研究】

- At-Risk Mental Stateの疫学調査と既存コホートとのデータシェア、発達障害スペクトラム、摂食障害等の困難事例、および心理的危機的状況に面している児童に対するケーススタディーの実施と心理社会的治療法の研究開発。

配分額：36百万円

（障害者対策総合研究開発事業（長寿・障害総合研究事業の一部））

### 【真に個別患者の診療に役立ち領域横断的に高い拡張性を有する変異・多型情報データベースの創成】

- 小児期・思春期発症の疾患の病原ゲノム変異を対象としたデータベースや論文化されていないデータ等（レガシーデータ）の収集。
- 日本人由来のデータベースの充実化・活用化により、層別化した臨床試験と日本人にあった精度の高い遺伝子診断を可能とする。

配分額：100百万円（臨床ゲノム情報統合データベース整備事業）

### 【サル及びヒトのPre-mRNA及びmRNAのデータベース構築】

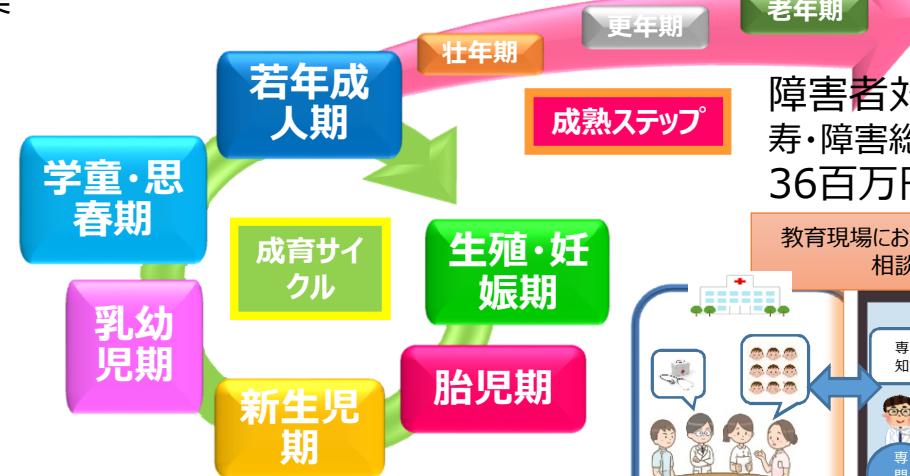
- 乳幼児期に発症する遺伝性難病の核酸医薬品開発の促進に繋がる、発生段階にある乳幼児期サルの臓器・組織別発現遺伝子データの収集。
- ヒトを中心とした霊長類のpre-mRNA及びmRNAのデータベースの構築、公開、活用。

配分額：20百万円（ゲノム創薬基盤推進研究事業）

## 成育疾患克服等総合研究事業 260百万円



日本周産期・新生児医学会  
周産期臨床研究運営委員会  
による複数大規模臨床試験の実施  
+  
独立したデータセンター  
システム維持、リッケージ分析、臨床研究支援  
(プロトコール作成支援、研究参加施設管理、  
患者登録、データ収集、データクリーニング、バリ  
デーション、モニタリング、統計解析 等)



## 障害者対策総合研究開発事業（長寿・障害総合研究事業の一部） 36百万円

教育現場における児童・思春期の学生やこどもの  
相談支援方法の開発・整備



### 児童・思春期の心の健康発達・成長支援に関する研究 ①ケーススタディ ②心理社会的治療法の開発

## 東北メディカル・メガバンク計画 150百万円

### 対象疾患

- 低出生体重児
  - 自閉症
  - 発達障害

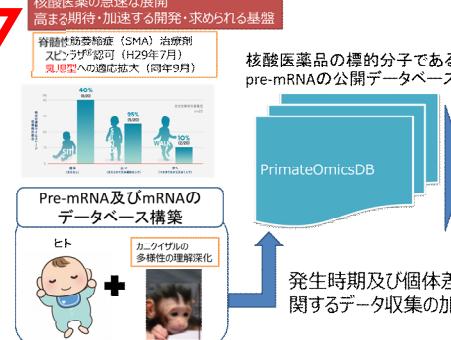
トリオ250家系を厳選して抽出

現在、我が国の新生児の10人に1人は低出生体重児であり、OECD加盟国中で最多(OECD Health Statistics 2015)

### 家系情報付き三世代全ゲノム解析

### 全ゲノム 解析

## ゲノム創薬基盤推進研究事業 20百万円

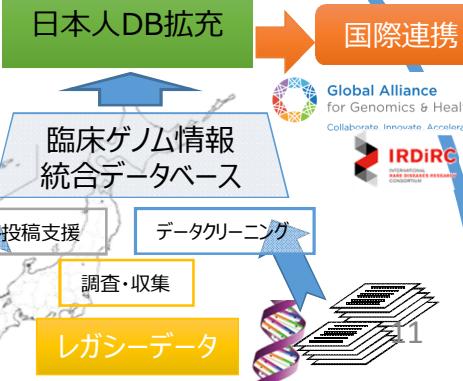


## 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業 100百万円

### 個別化医療

### 日本人DB拡充

### 国際連携



### **3. AI等を活用した先制医療・ 予防医療への取り組み**

### 3. AI等を活用した先制医療・予防医療への取組

調整費配分額：13.1億円

#### 【①質の担保された画像データの確保】

研究の迅速な推進のため、技術的・倫理的な問題の解決を急ぐ

##### ○診療画像等医療情報抽出・管理のあり方

診療画像及び医療情報管理に関わる学術団体等に対し、医療情報を医療施設から安全かつ効率的に抽出するためのシステム構築・ガイドラインを策定を行い、AIによる診断・治療支援のための基盤構築を加速

配分額：120百万円 [臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業]

##### ○診療画像等データベースの基盤構築及び利活用

診療画像DBに、ゲノム情報や詳細な手術情報などの付帯情報の多様性を拡大するために、参加医療機関をがんゲノム医療中核拠点病院などへ拡大し、多様な付帯情報をもつ教師付画像データを中央DBへ継続的に蓄積する仕組みのfeasibilityを検証

配分額：400百万円 [臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業]

#### 【②診療系データベースの標準化等】

医療ビッグデータ利活用のための手法とシステムの開発研究

##### ○NDBデータの活用による健康医療ビッグデータ活用モデルの確立

NDBデータを理想的に活用していくための体制や運用のあり方について検討するとともに、社会的ニーズに応じたユースケースの検証を行うとともに、研究者へのデータの提供を高速かつ効率的に行うためのデータ解析法の研究・開発を行い、汎用性のあるデータセットの作成等

配分額：150百万円 [臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業]

##### ○診療プロセス解析システムの開発

医療情報の大規模利活用に重要な医療機関におけるデータ標準化に資するクリニカルパスデータの標準化・利活用のための病院情報システムを開発

配分額：408百万円 [標準化医療情報システム開発事業]

#### 【③保険・介護データベースの利活用】

健康保険や個人保有のデータを連携・利活用し健康増進

##### ○IoT活用による糖尿病重症化予防法の開発

生活習慣関連疾患の予防・管理・改善等を図る実証研究を科学的に効果検証可能なデザインで実施し、行動変容を促すアプローチの方法や、そのための機器やソフトウェアを開発

配分額：50百万円 [健康・医療情報を活用した行動変容促進事業]

##### ○学校検診情報の標準モデル構築

学校健診等のデータの電子化を進めるとともに、連携すべきデータ項目や形式についても標準的なモデルを構築

配分額：50百万円 [PHR利活用研究事業]

#### 【④AI等活用基盤の確立】

基礎から臨床に至るAI利活用の基盤技術の創出

##### ○AIを活用したiPS細胞の分化指向性判別システムの構築

AIによる学習回数を増加させ、iPS細胞の分化指向性判別の精度を向上させることにより、iPS細胞の性質を評価、判別するシステムを創出

配分額：15百万円

[再生医療実現拠点ネットワークプログラム]

##### ○内視鏡診療支援を行うAIシステム

大腸ポリープ自動検出システムを軸として、内視鏡診療を包括的に支援する人工知能(AI)を開発

配分額：100百万円

[8k等高精細映像データ利活用研究事業]

##### ○臨床現場の医師の暗黙知を利用する医療機器開発

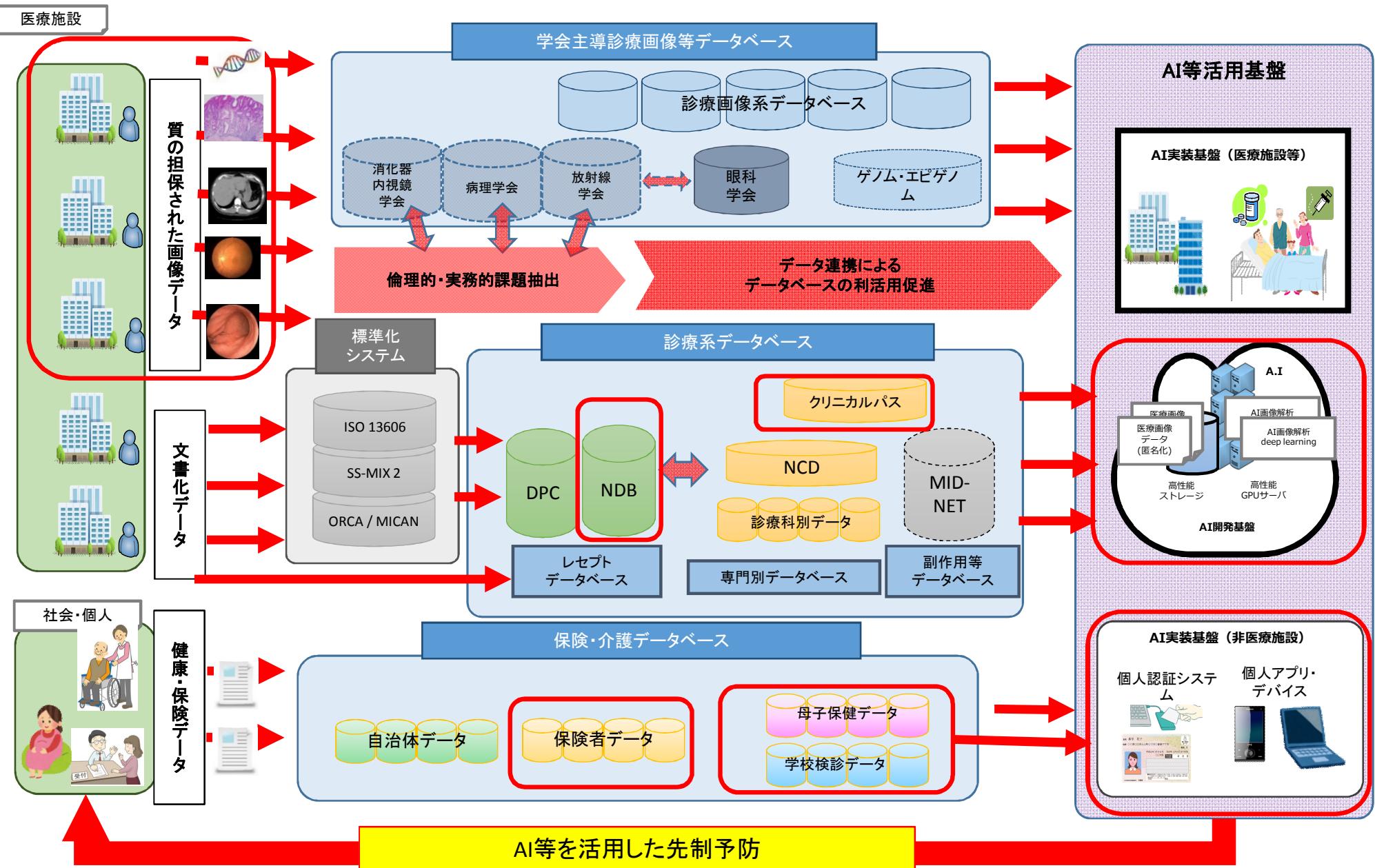
臨床現場の医師の暗黙知を「見える化」し、産業界におけるデータの「協調領域と競争領域」を明らかにしつつ、デジタルデータを利用した医療機器開発基盤（メディカル・デジタル・テストベッド）を構築し、開発を促進

配分額：20百万円

[未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業]

# 大規模な学会連携による がん、生活習慣病の克服

## ～2020年の医療用ID（予定）に対応した基盤整備～



## **4. AROネットワーク機能の強化**

# 4. AROネットワーク機能の強化

調整費配分額：29.5億円

## 【①大学等発のシーズ育成】

大学等発のシーズを育成することで臨床研究・実用化へ橋渡し

### ○がん・遺伝病等の難治性疾患への革新的治療法開発に資するシーズ支援

遺伝子治療や核酸医薬等を用いた革新的な技術を用いたシーズ等の支援することで、新たな治療法の開発やその研究支援基盤を構築し、橋渡し研究支援拠点における実用化を推進 配分額：1,144百万円 [橋渡し研究戦略的推進プログラム]

### ○橋渡し研究支援拠点のシーズ開発推進力強化

橋渡し研究支援拠点が保有する多数の革新的なシーズのうち、早期に成果導出が見込まれるシーズに対して重点的に臨床研究への橋渡しをより強く推進することにより、シーズの価値を最大化して企業導出に結び付け、早期実用化及び拠点の戦略的なシーズ育成を強化

配分額：356百万円 [橋渡し研究戦略的推進プログラム]

### ○ARO機能を活用したアカデミア発医療シーズ導出促進

臨床研究中核病院のARO機能を最大限に活用して導出企業側のニーズを踏まえた適切なPOC取得による早期企業導出を促進し、いち早く実用化に繋げる新たな実用化スキームを提示 配分額：500百万円[革新的医療シーズ実用化研究事業]

### ○有効性の代替エンドポイントとなるバイオマーカー開発及び製造販売後レジストリの構築・活用

治験の短期化を図るために方策及びリアルワールドにおける薬剤の有効性/安全性検討の体制整備を図ることにより、難病患者に有効な治療薬をいち早く届けるための方法として「医薬品の条件付き早期承認制度」の利用を推進。

配分額：186百万円[難治性疾患実用化研究事業]

### ○画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究の前倒し

ALS治療薬の治験実施体制を強化し、承認取得による治療薬実用化を促進。

配分額：39百万円[難治性疾患実用化研究事業]

### ○患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験の推進

ARO機能や疾患登録システム（患者レジストリ）を活用した医薬品開発を目指す治験を支援することにより、患者のニーズに応える医薬品開発の早期創出をめざす

配分額：90百万円[臨床研究・治験推進研究事業]

## 【②臨床研究基盤の整備】

革新的医療技術創出拠点が育成したシーズ等を切れ目なく臨床研究、医師主導治験として実施するための基盤整備

### ○非介入研究におけるセントラル倫理委員会への基盤整備

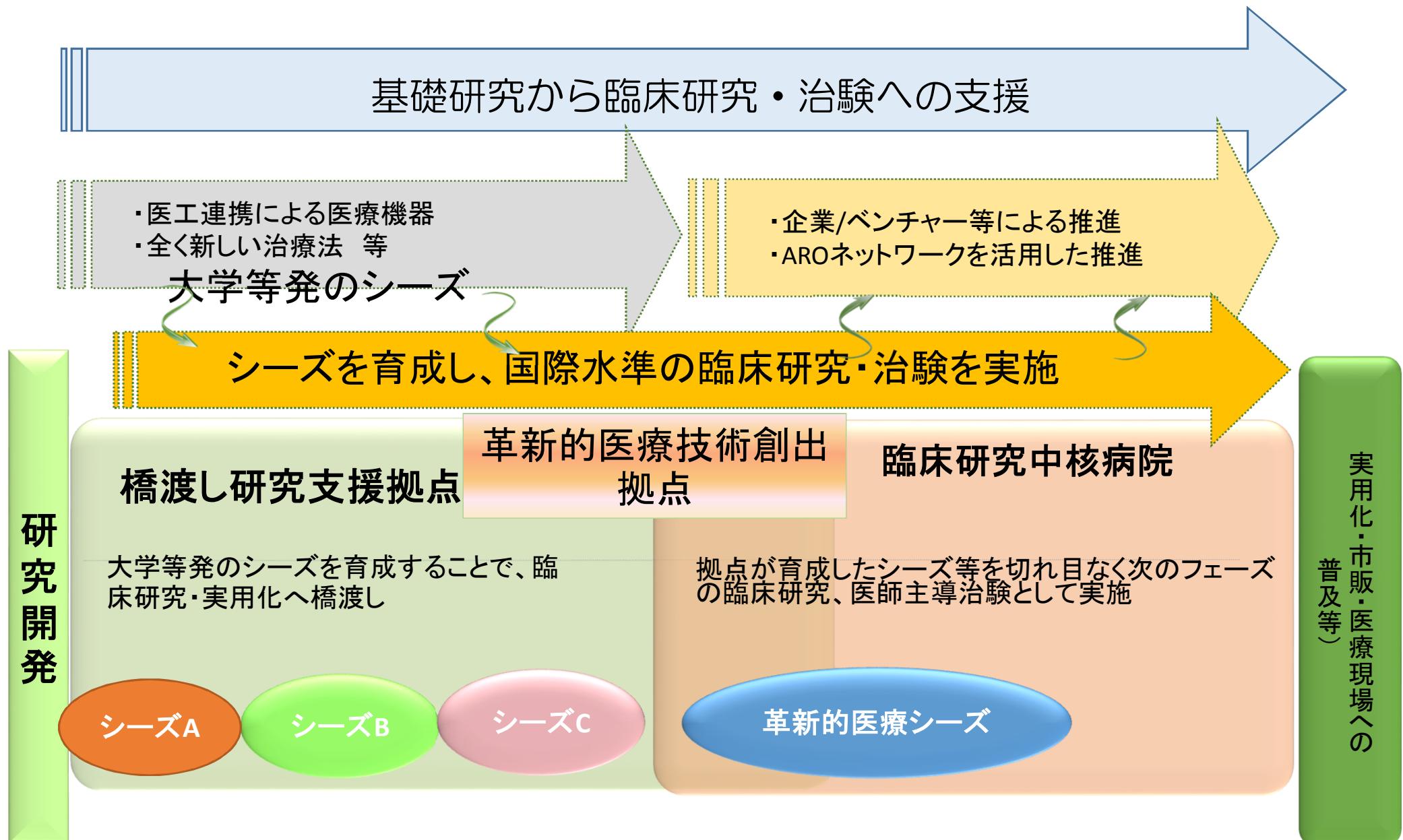
非介入研究における倫理審査のガイドラインを策定し、審査の効率化や多岐にわたることが予測される非介入研究の質の向上へとつなげる。配分額：40百万円[中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業]

### ○未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム

病院情報システム内の医療情報データの標準化を図ると共にそのデータを研究等にも利活用できる体制を整備し、標準化されたヒストリカルデータを利活用した研究体制を整備することで、臨床研究中核病院における臨床研究の質を向上させ、臨床研究のさらなる安全性を確保

配分額：600百万円[臨床研究開発推進事業（医療技術実用化総合促進事業）]

# ARO機能強化による革新的シーズ開発



## **5. 遺伝子治療・ゲノム編集等 の基礎研究・臨床研究基盤整備**

# 5. 遺伝子治療・ゲノム編集等の基礎臨床研究基盤整備

調整費配分額17.0億円

- ・ 遺伝子・細胞治療は、明確な原因遺伝子介入により、奏功率が極めて高く、様々な疾患で根本治療の可能性が期待される新しいモダリティの一つと位置づけられている。最近、CAR-T療法など欧米では相次いで遺伝子治療薬が実用化されている。
- ・ 現在、ゲノム医療実現推進に関するアドバイザリーボードにおいて、取りまとめられている「遺伝子治療の研究開発の推進について」においても、**難病・希少疾患、がん**について、遺伝子治療の研究開発について重点的な支援が必要とされている。
- ・ 関連病院と連携したウイルスベクターの大量製造技術の研究開発、ベクターに関する研究開発、これら技術を活用することを前提とした難病・希少疾患、がんに係る個別疾患の治療法開発に関する研究を推進する。

## 研究開発

### 難治性疾患に対する遺伝子治療の充実化プロジェクト

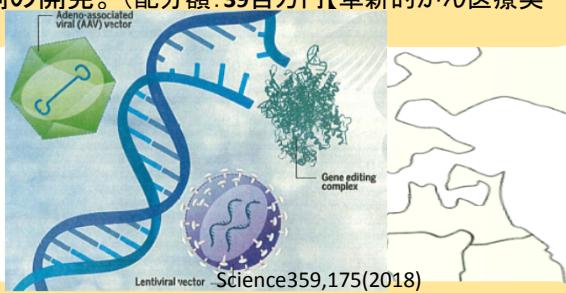
国内ベクター製造技術を最大限活かしながら、国際的な競争力を有するベクター開発を行い、遺伝子欠損に対する補填治療に関する研究を促進。(配分額: 156百万円【難治性疾患実用化研究事業】)

### 分子病態に基づく小脳失調症の遺伝子治療開発

AAVベクターを用いたサルの薬理・安全性試験を実施し、投与経路及び投与量についての検討。(配分額: 70百万円【難治性疾患実用化研究事業】)

### 難治がん・希少がんに対するp53癌抑制遺伝子搭載武装化ウイルス製剤の実用化のための非臨床試験

腫瘍溶解ウイルス(OBP-301)をベクターとした次世代型武装化ウイルス製剤の開発。(配分額: 39百万円【革新的がん医療実用化研究事業】)



**新規マーカーによる悪性中皮腫の精密・早期診断の開発**  
新規中皮腫マーカー(シアル化HEG1)特異的な抗体配列を導入したCAR-T細胞による治療法開発(配分額: 15百万円【次世代がん医療創生研究事業】)

### 遺伝子組換え麻疹ウイルスを用いた癌治療法の開発

がん治療に関するベクター(腫瘍溶解性組換え麻疹ウイルス)の研究を行う。(配分額: 20百万円【革新的がん医療実用化研究事業】)

### 免疫抑制に対する制御能を有するCAR-T細胞を利用したがん治療法の研究

IL-7とCCL19を同時に発現するCAR-T細胞の悪性中皮腫に治療法開発(配分額: 15百万円【次世代がん医療創生研究事業】)

### 新規多発性骨髓腫特異的抗原を標的としたCAR-T細胞療法の開発

インテグリンβ7の活性型立体構造を標的とした多発性骨髓腫に対する新規CAR-T細胞療法の開発。(配分額: 54百万円【革新的がん医療実用化研究事業】)

### CD116陽性骨髓系腫瘍を標的とした非ウイルス遺伝子改変キメラ抗原受容体T細胞の非臨床試験

GMR CAR-T細胞を用いたFIH試験に向けた非臨床試験実施。(配分額: 28百万円【革新的がん医療実用化研究事業】)

## 遺伝子・細胞治療研究ネットワーク(仮称)の構築

### 連携

### 連携

#### 遺伝子・細胞治療用ベクターの大量製造技術開発

アカデミア・研究機関

遺伝子・細胞先端的技術研究拠点

医療機関

ベンチャーエンタープライズ

大手・中堅バイオ企業

アカデミア・研究機関

遺伝子・細胞先端的技術研究拠点

医療機関

**遺伝子・細胞治療用ベクターの大量製造技術開発**(配分額: 1,300百万円【遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業】) アカデミアの先端的技術研究拠点を複数整備し、革新的なシーズを生み出すエコシステムを構築するとともに、実用化に向けて大量製造技術開発拠点を整備し、遺伝子・細胞治療研究ネットワークとして基盤整備を行う。

# 遺伝子・細胞治療研究開発の流れと調整費のポイント

遺伝子・細胞治療の研究開発ステージは、医薬品等とは異なるため、迅速かつ的確に研究を進める上では、その特徴にあわせたシーズ創出戦略や実用化を目指したウイルスベクター製造技術の基盤構築が必要。

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

標的遺伝子の同定

ベクター開発、ウイルスベクターを用いないゲノム編集技術の確立、高品質化

有効性、安全性を評価するための分析手法、動物モデル等の構築

がん、遺伝病、難病等の難治性疾患患者への臨床研究・治験

疾患治療  
研究(難病、  
がん等)

ゲノム解析

バイオ技術開発  
(遺伝子導入・  
編集技術)  
(細胞治療)

最適化

評価系構築、  
検証

ベクター、細胞  
等製造条件  
検討

臨床  
フフフ  
エエエ  
エーエ  
ズズズ  
123

シーズ創出

in vivo、ex vivo 遺伝子治療の研究開発

CAR-T療法、腫瘍溶解性ウイルス、AAV、レンチウイルスなど

アカデミア

公的研究機関

調整費

ウイルスベクター製造技術開発

遺伝子・細胞治療  
シーズ開発促進

アカデミア・研究機関

医療機関

遺伝子・細胞治療用ベクター  
の大量製造技術開発

アカデミア・研究機関

医療機関

遺伝子・細胞治療  
シーズ開発促進

アカデミア・研究機関

医療機関

遺伝子・細胞治療研究ネットワークの構築・人材育成

## 6. 感染症及びがん研究での 新規シーズ創出(若手研究者育成)

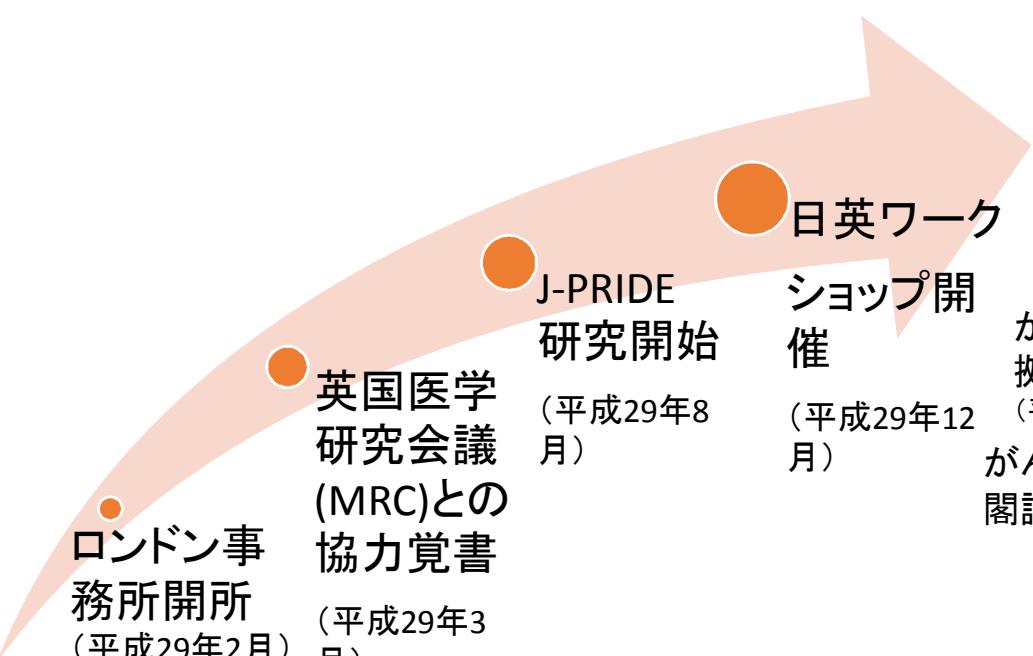
## 6. 感染症及びがん研究での新規シーズ創出（若手研究者育成）

調整費配分額：4.8億円

### <今回の調整費で特別な措置が必要なもの>

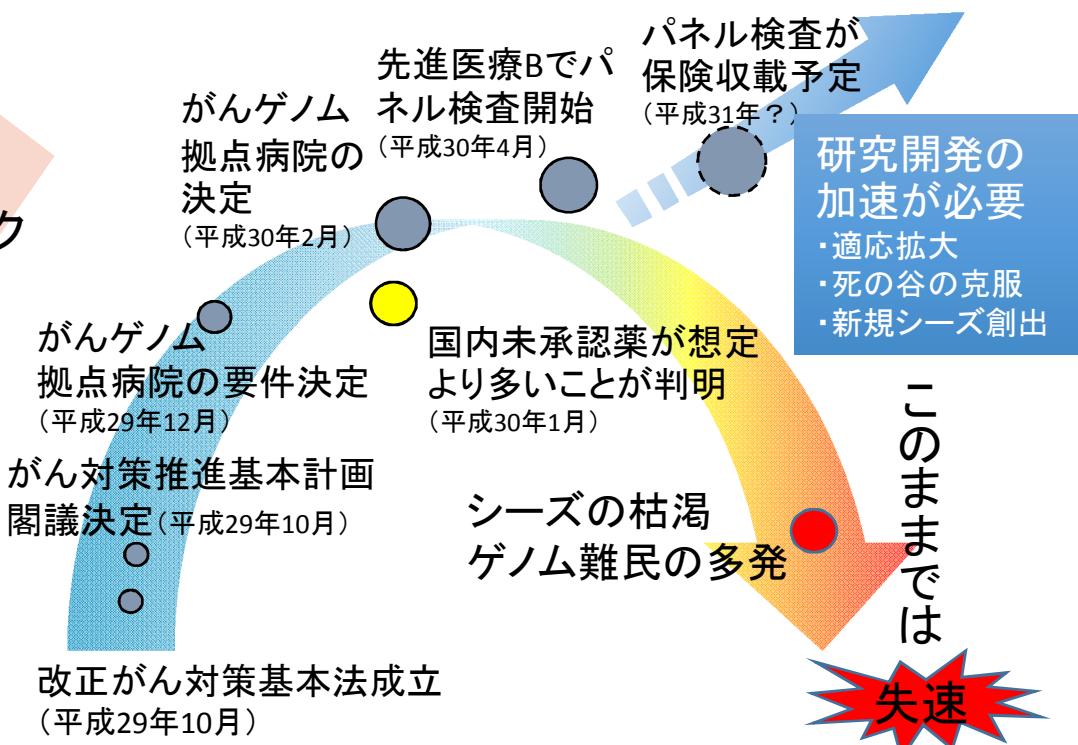
#### ■感染症 感染症研究革新イニシアティブ(J-PRIDE)

AMEDの国際的取組との「縦横連携」で質の高い国際共同研究が一気にスタート待ちに



#### ■がん がん創薬シーズやバイオマーカー候補の探索に資する新規アプローチを含む標的探索研究

本年4月に開始したがんゲノム医療で多くの命を救うため早期に総合的に取り組むことが必須



予想以上に国際共同研究の土壤形成が進行  
**早急に開始しないと国際共同研究そのものが立ち消える**

配分額: 100百万円【感染症研究革新イニシアティブ】

一刻も早くがんゲノム医療の新たなモダリティによる治療を実現しないと、**がんゲノムそのものの存在意義が薄れる恐れ**

配分額: 375百万円【次世代がん医療創生研究事業】

## 7. 感染症領域での グローバルヘルスに資する研究開発

### ワクチン・治療法・診断法開発のうち 特に、実用化に向けた開発が進んでいる研究

#### 予防法(ワクチン)開発

- ・インフルエンザ 配分額：1,043百万円（感染症研究国際展開戦略プログラム）
- ・ジカウイルスワクチン 配分額：350百万円（新興・再興感染症に対する革新的薬品等開発推進研究事業）
- ・経皮ワクチン（ポリオ）配分額：400百万円（新興・再興感染症に対する革新的薬品等開発推進研究事業）
- ・エボラワクチン 配分額：300百万円（新興・再興感染症に対する革新的薬品等開発推進研究事業）

#### 治療法開発

- ・結核治療用ワクチン 配分額：200百万円（新興・再興感染症に対する革新的薬品等開発推進研究事業）
- ・H I V 配分額：230百万円（エイズ対策実用化研究事業）
- ・B型肝炎 配分額：100百万円（肝炎等克服実用化研究事業）
- ・結核 配分額：30百万円（医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業）

#### 診断法開発

- ・MERS迅速診断法 配分額：50百万円（新興・再興感染症に対する革新的薬品等開発推進研究事業）
- ・マラリア流行拡散制御 配分額：15百万円（医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業）
- ・デング熱迅速診断法 配分額：50百万円（医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業）

## 目標

# グローバルヘルスに貢献する新興再興感染症等対策に直結した実用化研究開発の加速

## 1. 予防（ワクチン）・治療・診断に係る実用化研究開発課題

予防（ワクチン）：インフルエンザ、ジカウイルスワクチン、経皮ワクチン（ポリオ）、エボラワクチン

治療：結核治療用ワクチン、HIV（2課題）、B型肝炎、結核

診断：MERS迅速診断法、マラリア流行拡散制御、デング熱迅速診断法

## 2. 感染症対策上優先度が高い課題

世界保健機関（WHO）が開発を加速すべきワクチン、診断・治療薬の病原体リスト、

肝炎基本法・基本指針、結核及びエイズの特定予防指針などに掲載されるもの

1～4に  
該当する  
課題に厳選

## 3. 平成29年度に新たな知見等があり研究開発加速等に効果的な課題

## 4. 実用化に近く、実現性の高い課題

国際連携・若手研究者育成を通じた  
感染症研究基盤の強化

ワクチン・創薬等への導出

ゲノム・免疫治療等への基盤技術の提供  
ゲノム等データベース等データシェアリング