



AMEDのこれまでの取り組みと 医療分野の課題解決に向けて

日本医療研究開発機構 理事長

末松 誠

2020-03-30 令和元年度第1回アドバイザリーボード

＜健康・医療戦略推進本部(第7回) 総理御発言＞

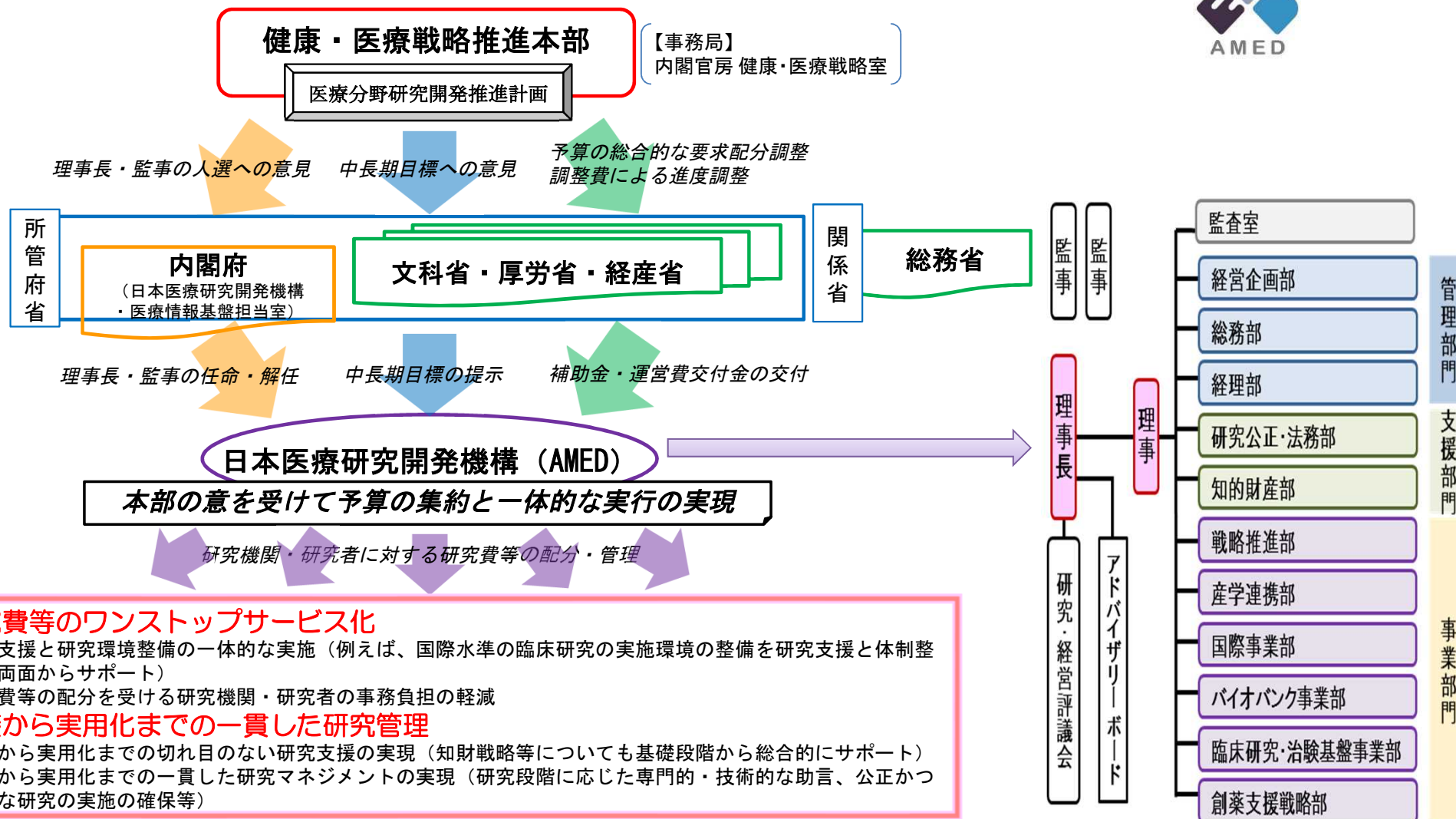
- 4月1日から、いよいよ日本医療研究開発機構が始動いたします。基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を一体的に行います。
- 末松先生におかれては、機構の初代理事長として如何なくリーダーシップを発揮し、革新的な医薬品や医療機器の創出、世界最先端の医療技術の実現につなげていただきたいと考えます。
- こうした医療分野の研究開発が進んでいくことによって、我々は、より健康で豊かな生活を送っていくことができるわけでございますし、また、言わば産業分野から見ても、成長戦略にも大いに資するものになると思いますので、政府一丸となって進めていきたいと思いますのでよろしくお願いを申し上げます。



＜AMED 設立式典での総理からの訓示＞

- それぞれの能力を活かし、研究の現場や医療の現場のニーズを踏まえながら、未来を切り開く医療研究開発に取り組んで頂くことを期待
- 大臣、末松理事長の下に、一致団結をして、日本から、医療の世界にイノベーションを起こすよう頑張ってください

医療分野の研究開発等の推進体制



AMEDと研究開発プロジェクト

- 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行うため、平成27年4月に設立。
- 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
脳とこころの健康
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

臨床研究・治験への
取り組み

世界最先端医療の
実現に向けた取り組み

- 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
- 革新的医療技術創出拠点プロジェクト
- 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)

※平成29年6月14日 健康・医療戦略推進本部 理事長説明資料より

基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施【医薬品創出】

＜成果目標達成状況＞

KPI 【2020年までの達成目標】	① 令和2年3月迄の累積達成状況（見込み）	② ①のうち、令和元年度の達成状況（見込み）
相談・シーズ評価 1,500件	1,700件	324件
有望シーズへの創薬支援（200件）	151件	34件
企業への導出（5件）	225件	63件
創薬ターゲットの同定（10件）	33件	-

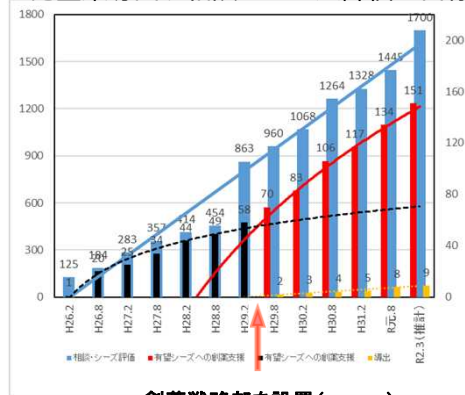
総括

○ 企業導出（見込み）

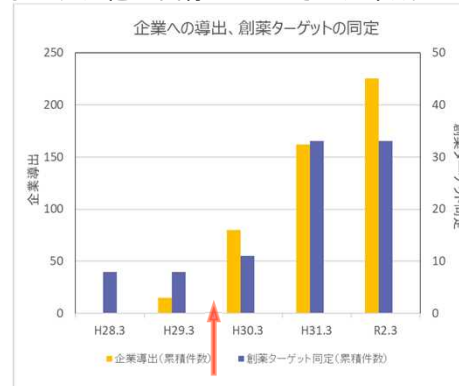
- 企業導出は成果目標の中でも研究成果の実用化に関する重要な指標であり、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」実施期間の企業導出目標 5件に対し、同プロジェクト開始以降これまで間で225件を達成（うち 令和元年度だけで63件）。創薬支援ネットワークだけでも令和元年度末までにシーズの企業導出9件を達成。さらに、10件目【**DISCを活用**】、11件目についても導出に向けて準備中。

○ その他（見込み）

- 革新的医薬品創出が期待される相談・シーズ評価に関する指標についても、同プロジェクト実施期間の目標1500件を今年度達成、さらに令和元年度末までに1700件達成。
- 上記企業導出や相談・シーズ評価の目標のみならず、他の目標についても、平成29年度の創薬戦略部創設以降、件数は堅調に推移。



創薬戦略部を設置(H29. 7)



創薬戦略部を設置(H29. 7)

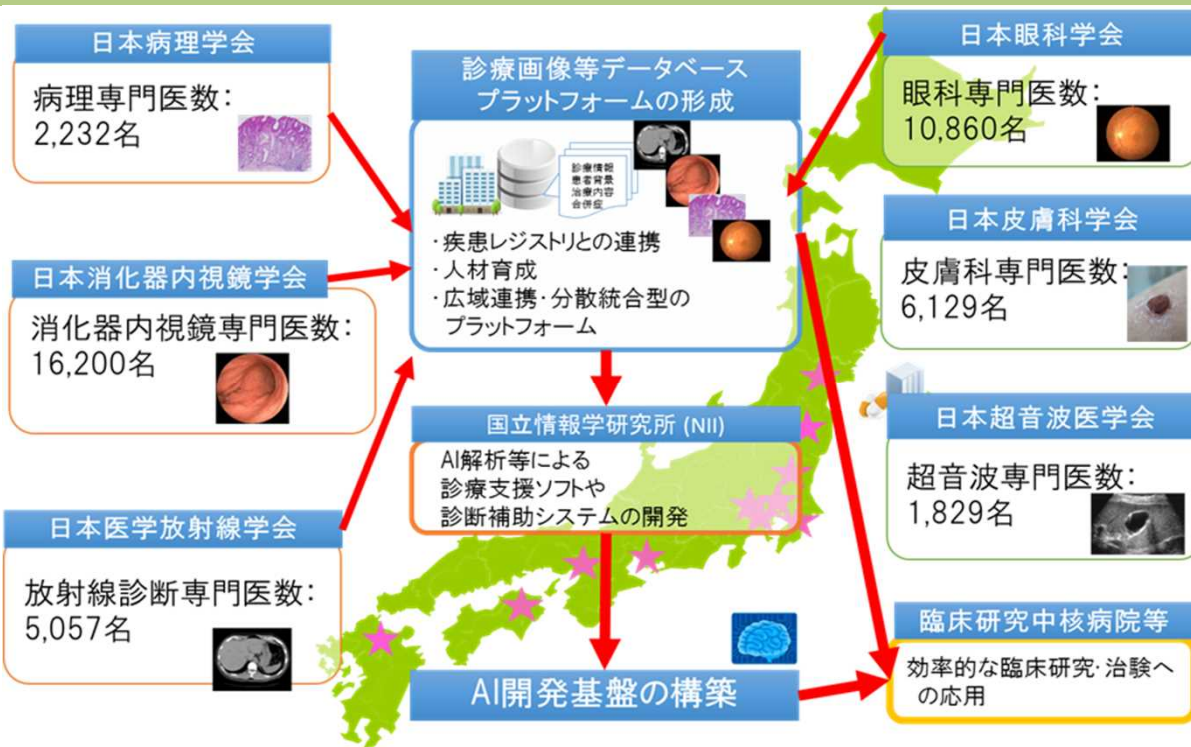


臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業

診療画像等ナショナルデータベースの構築（ICT技術や人工知能（AI）による利活用を見据えたインフラ整備）

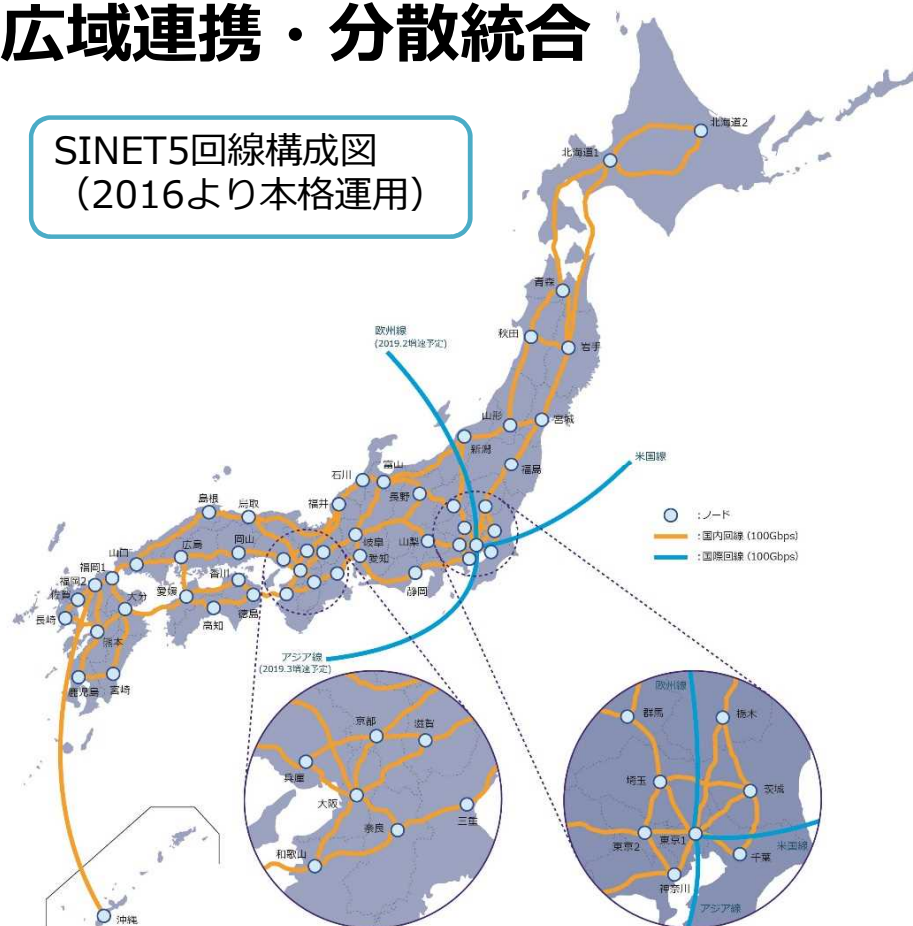
<Japan Excellence of Diagnostic Imaging (JEDI)：AI開発のための「競争と協創」>

国立情報学研究所（NII）による共通プラットフォームの構築とSINET5を利用した画像情報の集積



広域連携・分散統合

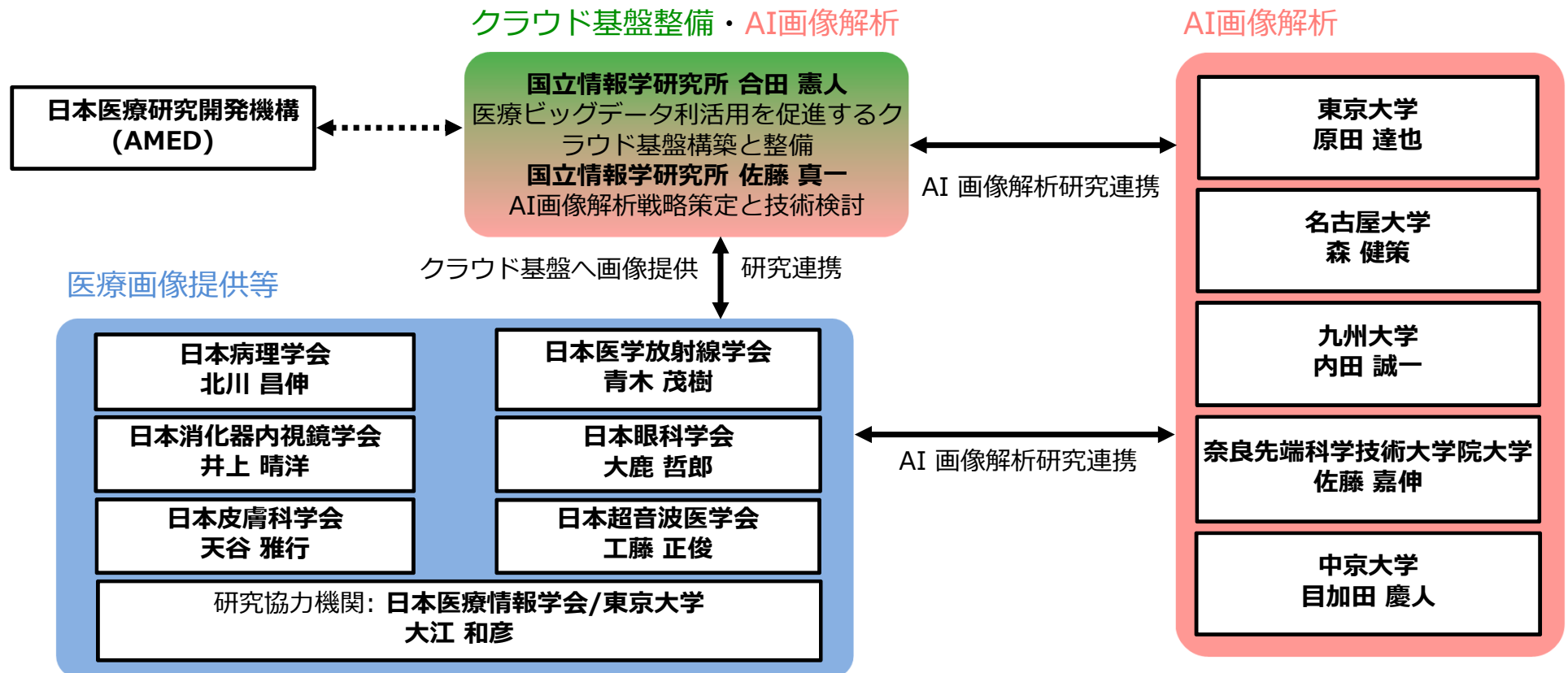
SINET5回線構成図
(2016より本格運用)



- 学術情報ネットワーク（SINET：Science Information NETwork）は、日本全国の大学、研究機関等の学術情報基盤として、国立情報学研究所（NII）構築、運用している情報通信ネットワーク。

臨床画像系 6 学会の連携 + 国立情報学研究所によるAI開発 「臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業」

研究事業統括: 喜連川 優(東京大学/国立情報学研究所)





難治性疾患実用化研究事業 未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究 未診断疾患イニシアチブ (IRUD)



Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases (通称: アイラッド)

IRUD診療体制

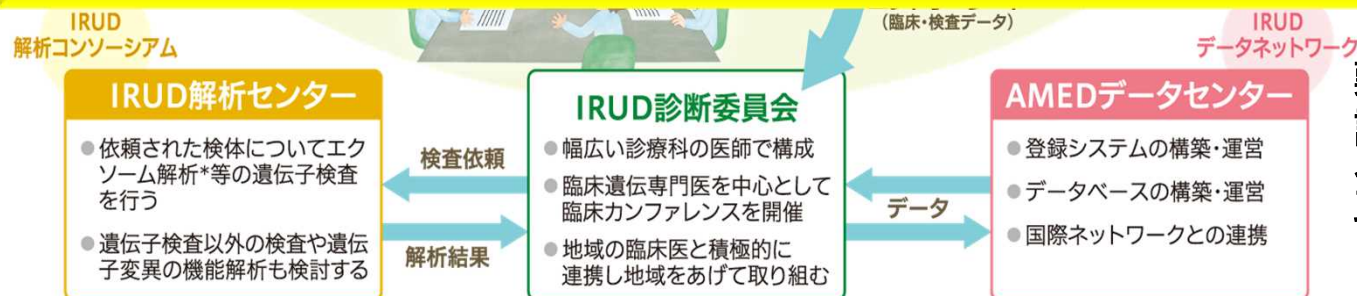


外来患者さんであって、(1)半年以上診断がつかない方、且つ(2A)複数の表現型がある、あるいは(2B)家族例から遺伝性疾患が疑われる

日本は、NCや都市部の大学病院だけでなく「全国」をカバーして情報を集め、活用ができるかどうか？

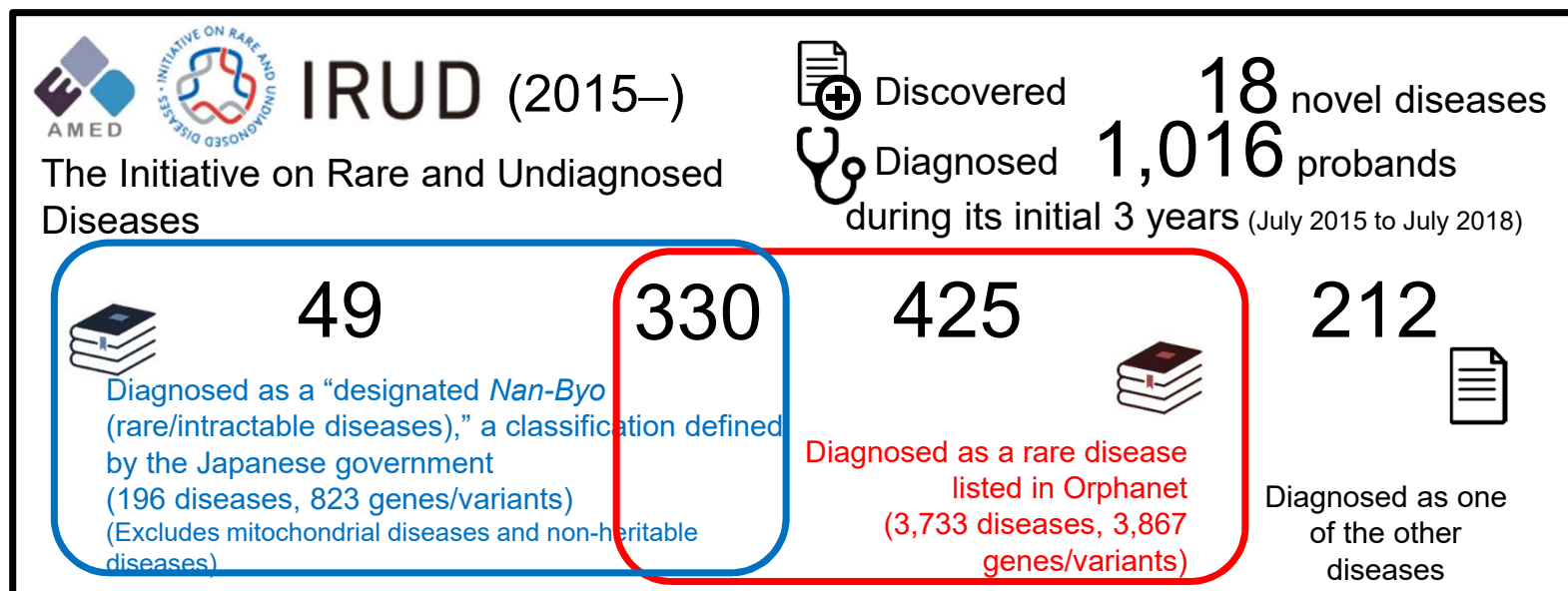
日本は、集めた情報を海外とも共有して患者さんに「答え」を回付することができ、海外の人々にも自国の人々にも恩恵をもたらすことができるかどうか？

DATA Sharing for patient to overcome diagnostic odyssey

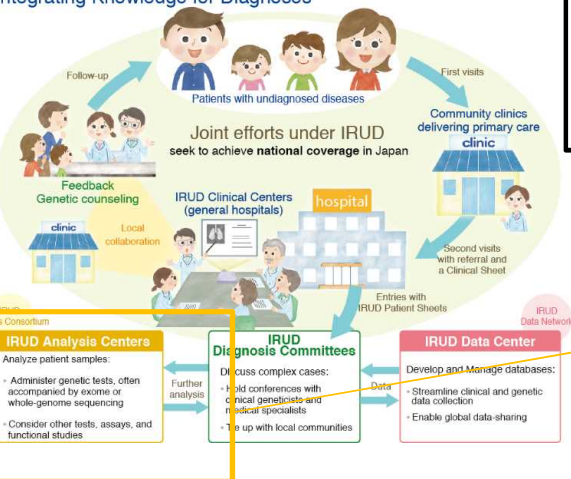


難病・未診断疾患領域でそれができないなら認知症や人生100年の健康情報を収集し全く新しい医療のR&Dを推進し、世界にも展開することはまず不可能である。

欧米人と日本人の違いを知る。欧米人と日本人で前向きデータだけでなく**レガシーデータ**を大量に集める



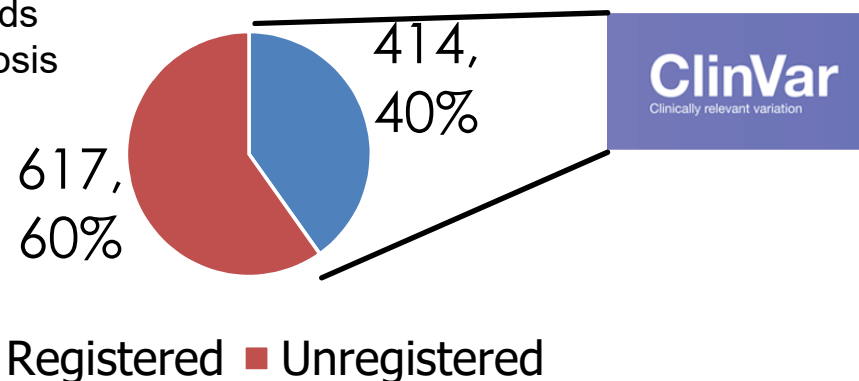
Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases (IRUD)
: Integrating Knowledge for Diagnoses



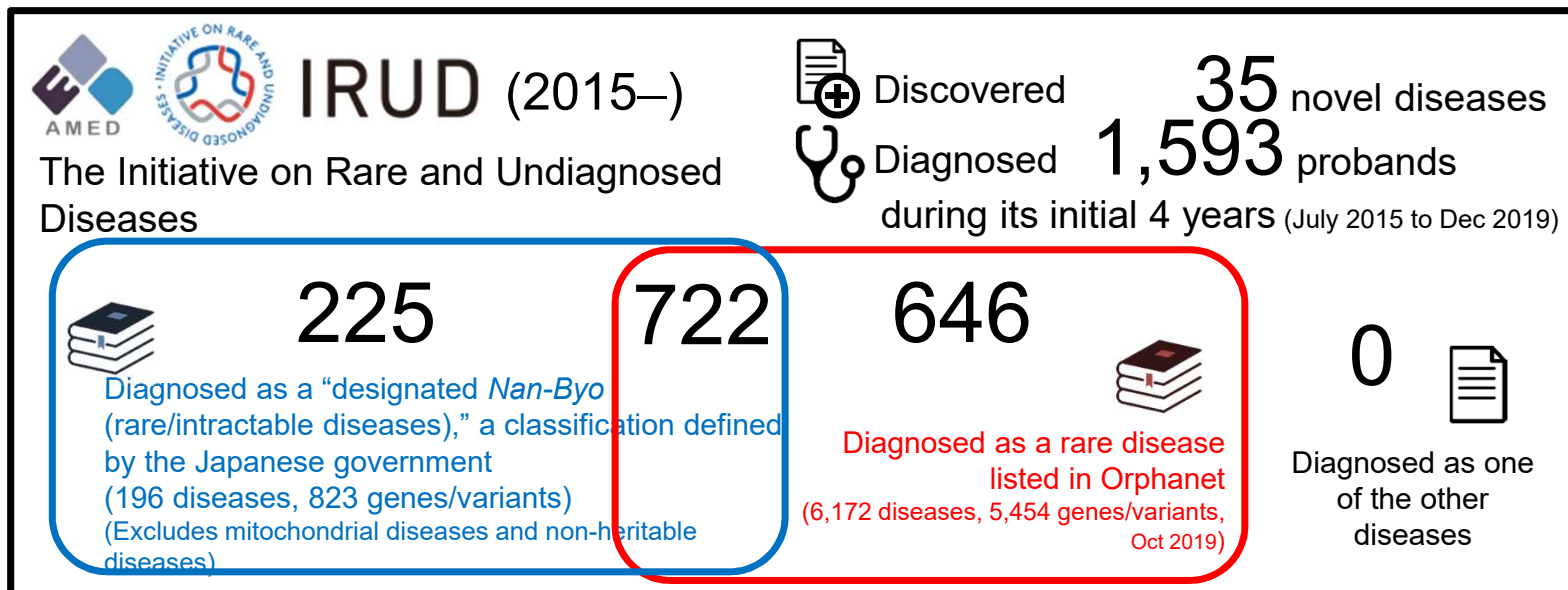
1,016

or 36.9% of otherwise hard-to-diagnose probands received definitive diagnosis

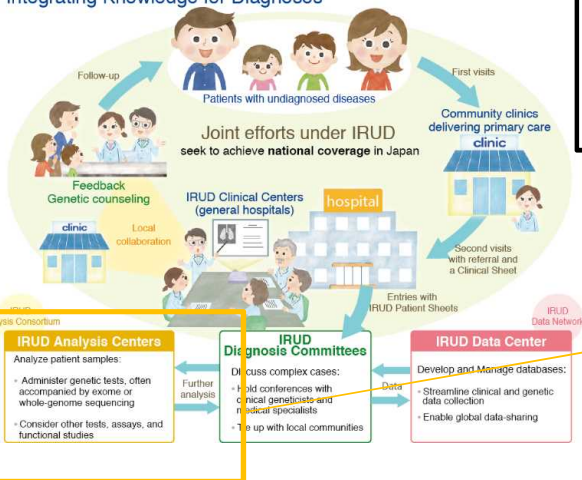
2,756 probands analyzed by the IRUD Analysis Centers



学術研究を前提にしたインフォームドコンセントでは、Private sectorによる研究開発は望めないのが問題



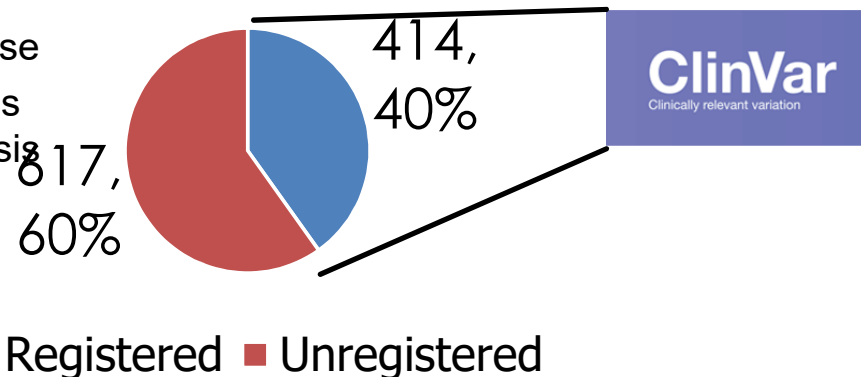
Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases (IRUD)
: Integrating Knowledge for Diagnoses



1,584

or **43.8%** of otherwise hard-to-diagnose probands received definitive diagnosis

4,658 probands analyzed by the IRUD Analysis Centers



IRUD Exchange: (1) Roles for patients' registry for ultrarare diseases
(2) Deciphering molecular signaling of neuropsychiatry diseases

IRUD



IRUD Beyond

Beyond diagnosis

Nation-wide Dx coverage→bridging from TR to Tx

Supporting Pre-orphan drug development and drug repositioning

Basic sciences of gene editing Utilization of iPS cells for screening drugs

Beyond genotyping

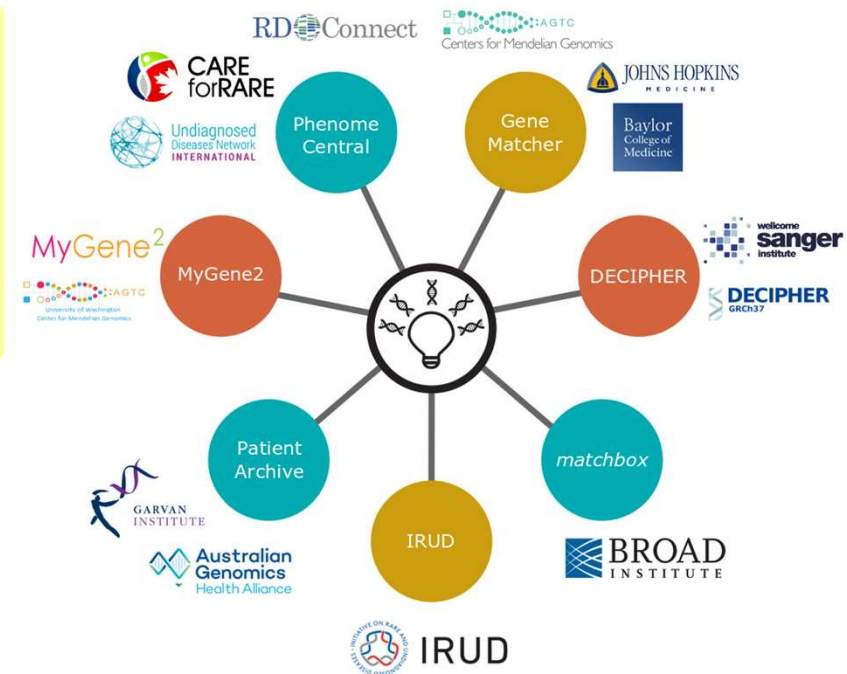
What is missing in genotyping ? How can we improve deep-phenotyping ?

What is missing in WGS ? Enrichment of phenotyping technologies

Beyond borders

Global data sharing and fostering young investigators through bilateral funding

MATCH MAKER EXCHANGEに参入
アジアで初めてのGlobal Data Sharingを
AMEDが実現し、患者さんに正確な診断を提供



AMED創成期(平成27年、28年度)の改革骨子

(1)3省バラバラだった予算ルールの一元化と調整費の「二刀流」の活用

(2)グローバルな医療研究開発推進のための連携強化

見えなかった日本から見える日本へ＝AMEDの存在感の発揮

- 生物医学研究を支援する海外のファンディング機関が参画する会合での貢献 HIROs
- 米国:NIH(アメリカ国立衛生研究所)、NSF(全米科学財団)
- 英国:MRC(英国医学研究会議)、NIHR(英国国立衛生研究所)
- シンガポール:A*STAR(シンガポール科学技術研究庁)
- 国際コンソーシアム:IRDiRC(国際希少疾患研究コンソーシアム)、
GloPID-R(感染症のアウトブレイクに対する国際連携ネットワーク)
JPIAMR(薬剤耐性に関するプログラム連携イニシアティブ)
GA4GH(ゲノミクスと健康のためのグローバル・アライアンス)

※平成29年6月14日 健康・医療戦略推進本部 理事長発表資料より抜粋

AMEDの国際連携ネットワーク

協力に関する覚書署名国 共同研究事業実施国

(2020年3月時点)



国際的研究連携の枠組みへの参画



感染症分野での国際連携:

GloPID - R (Global Research Collaboration for Infectious Disease Preparedness)



AMEDは2015年にGloPID-Rに加盟し、流行時におけるデータシェアリング声名への署名や、総会におけるデータシェアリングに関するサイドイベント等の実施等を行っている。

1. GloPID-Rについて

2013年設立。エボラ熱などの突発的流行に際して欧州委員会がHIROsに働きかけて作られた研究支援機関の集まり。平時から情報共有を進め、感染症のアウトブレイク発生から48時間以内に効果的な対応を行うことを目的とする研究支援機関による国際連携イニシアティブ。

2. 参加メンバー

アルゼンチン、インド、カナダ、メキシコ、EC、ドイツ、フランス、ブラジル、スペイン、オーストラリア、韓国、ノルウェイ、南アフリカ、タイ、米国、アフリカ全体（アフリカ科学アカデミー）の政府（系）研究支援機関。民間では、ビル&メリンダ・ゲイツ財団、ウェルカム・トラスト財団もメンバーに加わり、全27機関が加盟している。
2015年8月、日本からAMED加盟。

3. GloPID-Rにおいて進行中の主な議論

①データシェア、②エボラ、ジカ、チクングニヤ、肺ペストなど感染症アウトブレイクへの研究開発対応、③Preparedness（感染症の非流行期におけるキャパシティ向上）、④長期的戦略、⑤社会科学との連携。

WHOとの共催により“Global research and innovation forum: towards a research roadmap for the 2019 novel Coronavirus”が開催され（2020年2月11、12日）、新型コロナウイルス感染症（COVID-19）流行に対応する研究開発ロードマップをまとめた（末松理事長他が招へいされた）。

* ②データ共有に関連して、ブラジルにおけるジカ熱流行（2016年）、コンゴ民主共和国におけるエボラ出血熱流行（2018年）、新型コロナウイルス感染症流行（2020年）に際して、Wellcome Trust 主導のもと世界の研究支援機関や学術出版社と連携して、AMEDはデータシェアリング声名への署名を行った。

4. AMEDとしての活動

MERS関連、ZIKV（ジカウイルス）関連のAMED研究支援に関する情報提供（2015年7月、2016年1月）、年次総会（2016年3月、2017年3月、2018年2月）への出席、2018年7月号Newsletter特集への協力、等。
2019年GloPID-R総会のAMEDホストによる開催。データシェアリングをテーマにサイドイベントもあわせて実施。（2019年5月13日、14日、東京）

NHS (UK) National Opt-out Program



国民の臨床研究への「参加」

AMEDは今年4月からPPIの記載を申請に導入

「最初から強いI Cを取得するゲノム研究」が必要

ミンチ肉からT-bone steakは作れない

Your Data Matters to the NHS

Information about your health and care helps us to improve your individual care, speed up diagnosis, plan your local services and research new treatments.

In May 2018, the strict rules about how this data can and cannot be used were strengthened. The NHS is committed to keeping patient information safe and always being clear about how it is used.

You can choose whether your confidential patient information is used for research and planning.

To find out more visit: nhs.uk/your-nhs-data-matters

個人の医療情報は、本人の医療に役立つと共に、サービスのプランニングや治療法研究に役立つ

2018年5月からのルールの厳格化に対応し、患者個人情報の安全と利用の透明化

プランニングと研究目的の利用（二次利用）については、意思表示が可能（医療目的については拒否不可能）

You can choose whether your confidential patient information is used for research and planning.

以下は二次利用についての記載

二次利用の目的は、プランニングと研究目的。
なるべく匿名化するが、患者個人情報をを用いる場合がある

to help us research new treatments, decide where to put GP clinics and plan for the number of doctors and nurses in your local hospital. Wherever possible we try to use data that does not identify you, but sometimes it is necessary to use your confidential patient information.

患者個人情報とは、個人が特定でき、かつその人の健康や治療について示す情報

identifies you and says something about your health, care or treatment. You would expect this information to be kept private. Information that only identifies you, like your name and address, is not considered confidential patient information and may still be used:

二次利用が可能なのは、NHS、自治体、大学や病院の研究者、新たな治療法の研究を行う医学部や企業

It is used by the NHS, local authorities, university and hospital researchers, medical colleges and pharmaceutical companies researching new treatments.

決定はいつでも変更可能

You can change your choice at any time.

Making your data opt-out choice

You can choose whether your confidential patient information is used for research and planning. However, even if you opt out, we may still use your confidential patient information for other purposes, such as research and planning. You can still opt out of research and planning at any time.

患者個人情報の二次利用についてオプトアウトすることができる。しかし、オプトアウトした場合でも、**疾病大流行時等**には情報を利用することがある。またオプトアウトしても、個別の臨床研究の参加に同意することが可能

Will choosing this opt-out affect your care and treatment?

No, your confidential patient information will still be used for your care and treatment. Choosing to opt out of research and planning will not affect your care and treatment. For example, we will still use your confidential patient information for screening for bowel cancer.

オプトアウトしても、本人の医療のための情報利用は行われる。診療には影響しない。

What should you do next?

You do not need to do anything if you are happy about how your confidential patient information is used. If you do not want your confidential patient information used for research and planning, you can choose to opt out securely online or through a telephone service.

患者個人情報の二次利用に問題がなければ、なにもしなくてよい。二次利用してほしくない場合は、オンラインまたは電話で意思表示をする。

NDB (National Database), DPCなどのリアルワールドの医療データから「平年の10月～12月、翌年の1月～3月のデータ」と「昨年10月～12月、今年1～3月」でデータのプロフィールがどのように変わり、コストがどれくらい増えているのかを把握することは理論的に可能

