

## I. 経緯・位置付け

- 平成26年7月、健康・医療戦略推進本部が、健康・医療戦略に基づき、「医療分野研究開発推進計画」(以下「推進計画」という。)を決定。
- 平成27年4月、健康・医療戦略推進本部の下、推進計画に基づき、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を一体的に行う機構が発足。
- 平成26年度は、関係各省が共同して合同推進委員会という仕組みを作り、専門家の知見を踏まえつつ、各省連携を深めながら、各施策を推進。

## II. 9つの重点プロジェクト

### 医療分野研究開発推進計画（本部決定）

- 政府が講ずべき医療分野の研究開発並びにその環境の整備及び成果の普及に関する施策(医療分野研究開発等施策)についての基本方針
- 集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策
- その他医療分野研究開発等施策を集中的かつ計画的に推進するために必要な事項

#### 【推進法19条】

医療分野研究開発推進計画は日本医療研究開発機構が医療分野の研究開発等の実施・助成において中核的な役割を担うよう作成する

### 国立研究開発法人日本医療研究開発機構

- ・ トップダウン型の
- ・ 実用化を視野に入れた研究開発を
- ・ 基礎から実用化まで一貫した研究管理

### 【9つの重点プロジェクト】

- オールジャパンでの医薬品創出
- オールジャパンでの医療機器開発
- 革新的医療技術創出拠点プロジェクト
- 再生医療の実現化ハイウェイ構想
- 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト
- ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト
- 脳とこころの健康大国実現プロジェクト
- 新興・再興感染症制御プロジェクト
- 難病克服プロジェクト

## III. 医療分野研究開発推進計画に基づく施策の推進

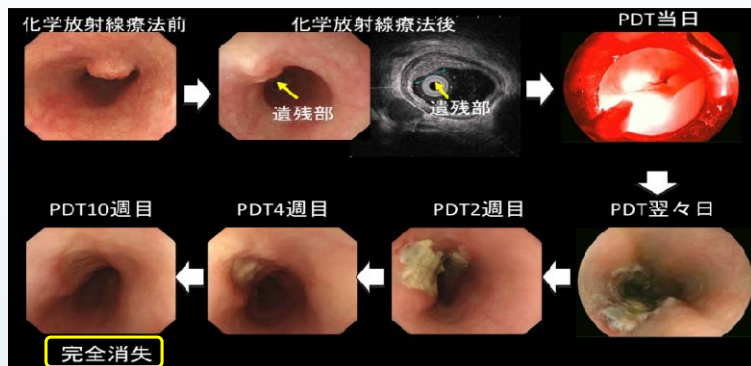
- 健康・医療戦略推進本部の下、引き続き、推進計画に基づき、医療分野の研究開発を推進。
- 「医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針」については、毎年度、本部決定する。
- 対象期間の中間的な時期に、社会情勢の変化等を踏まえつつ、推進計画の必要な見直しも視野に入れ、中間的な検証と評価を行う。

# 1. オールジャパンでの医薬品創出

創薬支援ネットワークなどの医薬品創出のための支援基盤の整備及び基礎研究から医薬品としての実用化につなげるまでの切れ目のない支援を推進する。

## 【平成26年度の主な成果】

- ・ タラポルフィリンナトリウムと半導体レーザーを用いた難治性食道がんに対する光線力学療法（PDT）の医師主導治験等を実施し、薬事承認申請が行われた。（医療技術実用化総合研究事業）
  - ・ GMP準拠のバイオ医薬品製造環境の整備に着手した。（次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業）
- ※ GMP: Good Manufacturing Practice (医薬品及び医薬部外品の製造管理及び品質管理の基準)



## 【主な達成目標】(数値は平成27年3月末時点)

達成目標	進捗(数値等)
【2015年度までの達成目標】	
・ 相談・シーズ評価 400件	287件
・ 有望シーズへの創薬支援 40件	25件

## 【今後の取組方針】

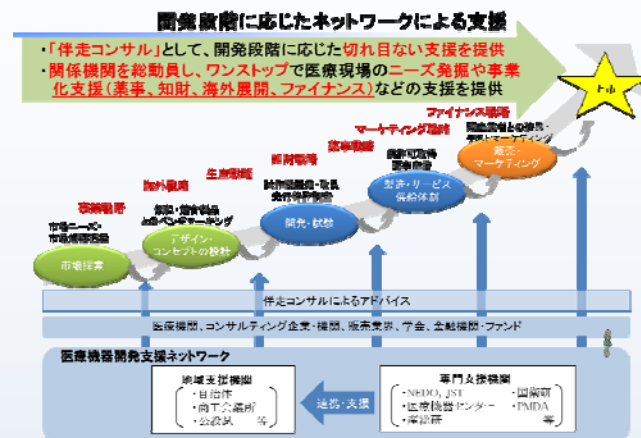
- 日本医療研究開発機構が本部機能を担う創薬支援ネットワークの事業を通じ、革新的医薬品創出に向けた研究開発の充実、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の創薬ターゲットの同定等の推進 等

# 2. オールジャパンでの医療機器開発

我が国発の優れた医療機器について、医療ニーズを確実に踏まえて、日本の強みとなるものづくり技術も生かしながら、開発・実用化を推進し、研究開発から実用化につなげる体制整備を進める。

## 【平成26年度の主な成果】

- ・ 医療機器開発支援ネットワークを26年10月末に立ち上げた。  
 - 相談件数は約660件、伴走コンサル件数は約180件(予定を含む)(平成27年3月)。
- ・ 高精度X線治療機器・軟性内視鏡手術システムを開発した。高精度X線治療機器は、27年度中にPMDA・FDAに申請予定。(未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業)



## 【主な達成目標】(数値は平成27年3月末時点)

達成目標	進捗(数値等)
【2015年度までの達成目標】	
・ 医療機器開発・実用化促進のためのガイドラインを新たに10本策定	6本
・ 国内医療機器市場規模の拡大(2011年 2.4兆円→ 2015年2.7兆円)	2.68兆円 (2013年)

## 【今後の取組方針】

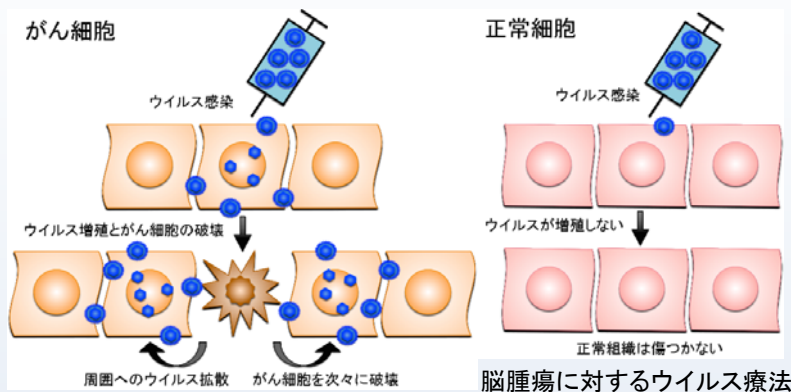
- 国際展開を含む販路開拓に注力したコンサル人材の育成、新たに競争力を有した世界最先端の革新的医療機器の開発・事業化支援、医療現場等における医療機器開発の企業人材育成 等

### 3. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

アカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化に繋ぐ体制を構築するとともに、各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究・治験を実施・支援する体制の整備も行う。

#### 【平成26年度の主な成果】

- アカデミア発医療技術が実用化(保険収載)  
例: 上肢カスタムメイドプレートが薬事承認を取得した。
- 革新的医療技術等の医師主導治験開始  
例: 脳腫瘍に対するウイルス療法\*の医師主導治験を開始した。  
\*がん細胞のみで増えることができるウイルスを感染させ、ウイルスが直接がん細胞を破壊する治療法



#### 【主な達成目標】(数値は平成26年4月から7月の実績)

達成目標	進捗(数値等)
【2015年度までの達成目標】	
・ 医師主導治験届出数 年間21件	8件
・ First in Human (FIH) 試験(企業治験含む) 年間26件	11件

#### 【今後の取組方針】

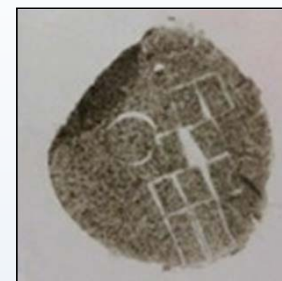
- 医療法に位置づけた臨床研究中核病院を積極的に活用し、革新的な医薬品・医療機器等の開発、その他の革新的医療技術創出拠点においても、拠点を中心としたオールジャパンでのシーズの開発の推進 等

### 4. 再生医療の実現化ハイウェイ構想

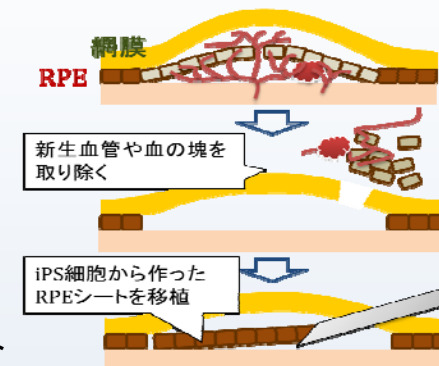
基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備ならびに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。

#### 【平成26年度の主な成果】

- iPS細胞を用いた世界初の臨床研究:iPS細胞から網膜色素上皮細胞を作製し細胞シートとして移植することで、加齢黄斑変性を治療することを目指し、第1例目の移植手術を実施した。(平成26年9月)
- 難病である軟骨無形成症の患者からiPS細胞を作製し、このiPS細胞から作製した軟骨等を用い、スタチン\*が治療に有効である可能性を発見した。  
\* スタチン:コレステロールを低下させる薬



網膜色素上皮(RPE)細胞シート



#### 【主な達成目標】(数値は平成27年3月末時点)

達成目標	進捗(数値等)
【2015年度までの達成目標】	
・ ヒト幹細胞等を用いた研究の臨床研究又は治験への移行数 約10件	7件
・ iPS細胞を用いた創薬技術の開発	順調に進捗

#### 【今後の取組方針】

- 再生医療の安全性確保に向けた取組、臨床研究・治験を活性化させる取組、再生医療用細胞ストックの整備、再生医療等製品の実用化の促進、iPS細胞バンクの充実、創薬等研究の推進 等



## 5. 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト

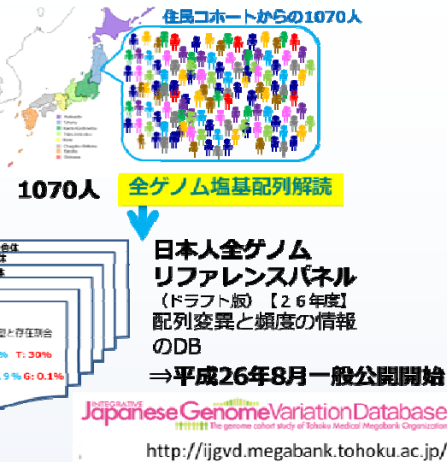
急速に進むゲノムレベルの解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図るとともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。

### 【平成26年度の主な成果】

- 日本人標準ゲノム配列(ドラフト版)を決定した。(東北メディカル・メガバンク計画)

- 糖尿病網膜症疾患 関連遺伝子候補となる9個の遺伝子多型の同定に成功した。(オーダーメイド医療の実現プログラム)

- クリニカル・シーケンシングを実施し、約半数(45%)にBRCA1遺伝子※等における生殖細胞系列変異を同定した。(ゲノム医療実用化推進研究事業)



※ BRCA1遺伝子: 遺伝性乳がん・卵巣がんの発症に関与しているとされる がん抑制遺伝子

### 【主な達成目標】

達成目標	進捗(数値等)
【2015年度までの達成目標】	
・ 疾患に関する全ゲノム・多様性データベースの構築	順調に進捗
・ 日本人の標準的なゲノム配列の特定、疾患予後遺伝子の同定	順調に進捗

### 【今後の取組方針】

- ゲノム医療実現推進協議会が示す下記の方針に則った取組を開始
  - 一医療に用いることのできる信頼性と質の確保された試料、一情報の獲得、管理、国民の理解と社会の受容、
  - 一研究の推進、
  - 一人材育成/医療従事者への教育強化

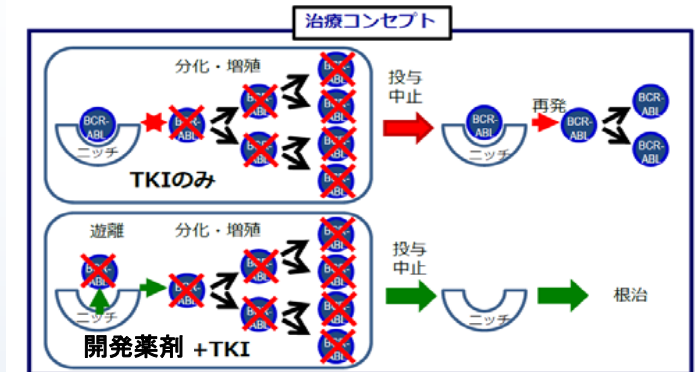
## 6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

がん対策推進基本計画(平成24年6月閣議決定)に基づき策定された「がん研究10か年戦略」(平成26年3月関係3大臣確認)を踏まえ、関係省の所管する研究関連事業の連携の下、基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する。

### 【平成26年度の主な成果】

- 文部科学省「次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム」及び経済産業省「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」の中で進捗が良好な研究課題について、厚生労働省「革新的がん医療実用化研究事業」に導出し、切れ目のない研究支援を実施した。

例: 慢性骨髄性白血病のがん幹細胞を標的とした根治薬の実用化を目指した非臨床試験を実施し、医師主導治験に導出した。



### 【主な達成目標】(数値は平成27年3月末時点)

達成目標	最新の数値
【2015年度までの達成目標】	
・ 新規抗がん剤の有望シーズを10種取得	4件
・ 早期診断バイオマーカー及び免疫治療予測マーカーを5種取得	2件

### 【今後の取組方針】

- 医療分野研究開発推進計画の下で、「がん研究10か年戦略」に基づいて、がんの根治・がんの予防・がんとの共生を念頭において、総合的かつ計画的に患者・社会と協働したがん研究を推進 等

## 7. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト

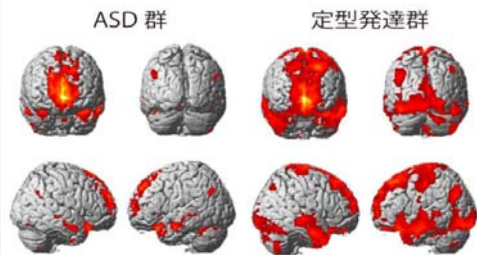
認知症やうつ病などの精神疾患等の発症に関わる脳神経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を、各省連携の下に強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、認知症・精神疾患等を克服する。

### 【平成26年度の主な成果】

- ・ 統合失調症患者の見極めに一定程度の有効性を期待できるバイオマーカーを同定し、血液による検査方法を開発した。(障害者対策総合研究事業)
- ・ 自閉症スペクトラム障害をもつ青年期男性は、健康人と比べて安静状態での脳領域間の機能的連結が弱いことを、MRI※の手法を用いて明らかにした。(脳科学研究戦略推進プログラム)

※ MRI:magnetic resonance imaging  
(核磁気共鳴画像法)

内側前頭前野と  
機能的連結している脳領域



### 【主な達成目標】

達成目標	進捗(数値等)
【2015年度までの達成目標】	
・ 分子イメージングによる超早期認知症診断方法を確立	順調に進捗
・ 精神疾患の診断、薬物治療の反応性及び副作用に関するバイオマーカー候補を新たに少なくとも一つ発見し、同定プロセスのための臨床評価を終了	順調に進捗

### 【今後の取組方針】

- 臨床と基礎研究の連携強化による認知・精神疾患等の予防・診断・治療技術開発、認知症ではコホートの全国展開・認知症の人の研究登録の仕組み構築、精神医療では診療方法の標準化等の推進 等

## 8. 新興・再興感染症制御プロジェクト

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各省連携して推進するとともに、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。

### 【平成26年度の主な成果】

- ・ 新規エボラウイルスワクチンを開発し、霊長類モデルにおいて、ワクチンの有効性を示した(米国科学雑誌Science, 2015年3月)。
- ・ 経鼻インフルエンザワクチンの臨床試験で、抗体の誘導等について免疫学的な解析を行い、経鼻ワクチン2回接種により誘導される血清抗体応答は、現行ワクチンによる抗体応答と比較して、劣らないことが明らかになった。



エボラウイルス

### 【主な達成目標】

達成目標	進捗(数値等)
【2015年度までの達成目標】	
・ グローバルな病原体・臨床情報の共有体制の確立を基にした病原体に関する全ゲノムデータベースの構築	順調に進捗
・ グローバルな病原体・臨床情報の共有体制の確立を基にした生理学的及び臨床的な病態の解明	順調に進捗

### 【今後の取組方針】

- エボラ出血熱等の一類感染症、薬剤耐性菌、蚊媒介感染症、中東呼吸器症候群、インフルエンザに関する研究を含む、新たな診断薬、治療薬及びワクチンの開発に資する研究の推進 等

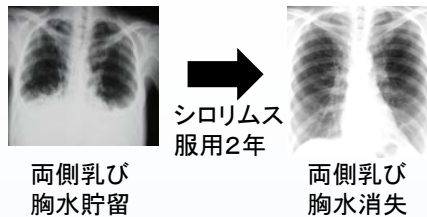
## 9. 難病克服プロジェクト

希少・難治性疾患(難病)の克服を目指すため、患者数が希少ゆえに研究が進まない分野において、各省が連携して全ての研究プロセスで切れ目ない援助を行うことで、難病の病態を解明するとともに、効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を一体的に推進する。

### 【平成26年度の主な成果】

- ・ リンパ脈管筋腫症に対するシロリムスの薬事承認

リンパ脈管筋腫症に対するシロリムスの安全性確立のための医師主導治験によりの本剤の有効性と安全性が確認され、平成26年7月4日に薬事承認、同12月22日発売へ至った。



- ・ 医療用HALの医療機器としての薬事承認申請

「希少性難治性疾患－神経・筋難病疾患の進行抑制治療効果を得るための新たな医療機器、生体電位等で随意コントロールされた下肢装着型補助ロボット(HAL-HN01)に関する医師主導治験の実施研究」の成果により、平成27年3月25日に希少難治性の神経・筋難病疾患に対する医療機器としての薬事承認申請を行った。

### 【主な達成目標】(数値は平成27年3月末時点)

達成目標	進捗(数値等)
【2015年度までの達成目標】	
・ 薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上の達成	14件
【2020年度までの達成目標】	
・ 新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11件以上達成	1件

### 【今後の取組方針】

- 難病の克服につながるような、医師主導治験および治験移行を目的とした非臨床試験の推進、疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・治療法開発研究の推進 等