

# 革新的医療技術創出拠点

健康長寿(3)

アウトカム

中間目標(2015年度まで)  
＜成果目標(2020年頃)＞

| 主な取組             |                | 2014年度                   | 2015年度 | 2016年度                                 | 2017年度                                                                         | 2018年度                                                                          | 2019年度                        | 2020年度 |  |
|------------------|----------------|--------------------------|--------|----------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------|--------|--|
| 革新的医薬品・医療機器の創出   | 拠点による<br>シーズ育成 | 革新的な医薬品・医療機器の創出          |        |                                        | 文部科学省「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」<br>厚生労働省「臨床研究品質確保体制整備事業」<br>厚生労働省「早期・探索的臨床試験拠点整備事業」等 |                                                                                 | 【健・文07】<br>【健・厚08】<br>【健・厚18】 |        |  |
|                  |                | 基礎研究の支援                  |        | 有望なシーズを集める体制整備、専門家による知財戦略策定等によりシーズを増加  |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |
|                  |                | 前臨床試験の支援                 |        | 専門人材・拠点設備の支援によりPOC取得までを加速<br>(次頁参照)    |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |
|                  |                | 臨床試験・治験の支援               |        | 質の高い臨床試験・治験実施体制等を整備し、試験実施を加速<br>(次頁参照) |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |
|                  | 臨床研究・治験実施環境の向上 | 拠点の機能強化及び充実              |        |                                        |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |
|                  |                | 人員の定員化、自己収入の充当           |        |                                        |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |
|                  |                | CPC・PhaseI病床・データセンター等の整備 |        |                                        |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |
|                  |                | 拠点経費・研究費の統合<br>運営体制統合    |        |                                        |                                                                                | 【自己収入の獲得】<br>・治験収入<br>・シーズ支援による収入<br>・企業へのライセンスアウト<br>・拠点のリソース提供（CPC、PhaseI病床）等 |                               |        |  |
|                  |                | TRネットワーク機能の構築            |        |                                        |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |
|                  |                | 拠点間ネットワーク・拠点内ネットワークの拡大   |        |                                        |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |
| 相互モニタリング・監査体制の整備 |                |                          |        | 拠点外へモニター・監査を提供                         |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |
| 拠点リソース共有システムの構築  |                |                          |        | 拠点リソースの有効活用によるシーズ開発の加速                 |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |
|                  |                | 臨床研究・治験実施環境の向上           |        |                                        |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |
|                  |                | 倫理委員会<br>認定制度構築          |        | 認定倫理委員会による質の高い倫理審査                     |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |
|                  |                | 教育・研修の充実                 |        |                                        |                                                                                | 他機関への研修機会の提供                                                                    |                               |        |  |
|                  |                | モニタリング・監査の充実             |        |                                        |                                                                                |                                                                                 |                               |        |  |

①革新的な基礎研究の成果を一貫して実用化に繋ぐ

②国際水準の質の高い臨床研究・治験を実施・支援する体制を整備

③革新的な医薬品・医療機器等を持続的にかつより多く創出する

【2015年度まで】

- ・医師主導治験届出数 21件(年間)
- ・FIH試験※(企業治験含む) 26件(年間)

【2020年度まで】

- ・医師主導治験届出数 40件(年間)
- ・FIH試験※(企業治験含む) 40件(年間)

※ FIH(First in Human)試験: ヒトに初めて新規薬物・機器等を投与・使用する臨床試験

# 革新的医療技術創出拠点

健康長寿(3)

アウトカム

中間目標(2015年度まで)  
＜成果目標(2020年頃)＞

主な取組 2014年度 2015年度 2016年度 2017年度 2018年度 2019年度 2020年度

革新的な医薬品・医療機器の創出

非臨床試験

治験、臨床試験、企業導出等

2015年度末までの非臨床POC取得を目指すシーズ；  
生活習慣病治療薬  
キナーゼを標的とした抗ウイルス薬  
非接触迷走神経磁気刺激システムによる急性心筋梗塞治療機器  
プロバイオティクス由来物質を用いた新規炎症性腸疾患治療薬  
新規尿流測定装置 等

臨床試験

治験、臨床試験、企業導出等

2015年度末までの臨床POC取得を目指すシーズ；  
難治性造血器腫瘍に対するT細胞輸注療法  
トラベラーズマラリアワクチン  
脊髄損傷患者に対する細胞療法 等

非臨床試験

治験、臨床試験、企業導出等

2016年度末までの非臨床POC取得を目指すシーズ；  
サイクロフィリンAを用いた心血管病の治療薬  
歩行可能な人工網膜  
失明患者の視機能再建技術  
大腸癌検診法の実用化  
アミノ酸誘導体によるがん診断技術  
アルツハイマー病に対する脳機能改善薬  
ニーマンピック病C型の新規治療薬 等

臨床試験

治験、臨床試験、企業導出等

2016年度末までの臨床POC取得を目指すシーズ；  
がんのウイルス療法  
経鼻インフルエンザワクチン  
胎児心電図  
上肢骨の変形を矯正するデバイス・インプラント  
脳梗塞患者に対する細胞療法  
腸管下痢症コメ型経口ワクチン  
低侵襲ナノ粒子製剤による虚血肢治療  
骨軟骨組織の再生治療 等

POC; Proof of concept

①革新的な基礎研究の  
成果を一貫して実用化に  
繋ぐ

②国際水準の質の高い  
臨床研究・治験を実施・  
支援する体制を整備

③革新的な医薬品・医療  
機器等を持続的にかつ  
より多く創出する

【2015年度まで】

- ・医師主導治験届出数  
21件(年間)
- ・FIH試験※(企業治験含む)  
26件(年間)

【2020年度まで】

- ・医師主導治験届出数  
40件(年間)
- ・FIH試験※(企業治験含む)  
40件(年間)

※ FIH(First in Human)試験:  
ヒトに初めて新規薬物・機器等  
を投与・使用する臨床試験

革新的医薬品・医療機器の創出

# 再生医療の実現化ハイウェイ構想

## 健康長寿(4)

主な取組 2014年度 2015年度 2016年度 2017年度 2018年度 2019年度 2020年度

### 再生医療の実現に向けた取組

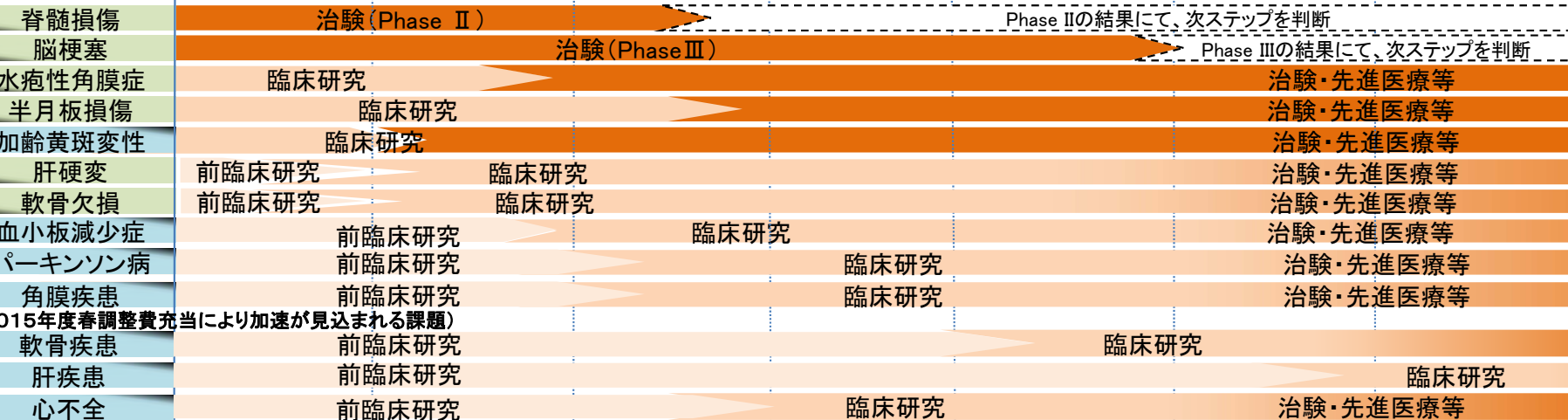
【健・文08】【健・厚19】【健・厚20】

iPS細胞

体性幹細胞

アウトカム  
中間目標(2015年度まで)  
＜成果目標(2020年頃)＞

(臨床研究又は治験への移行が見込まれる課題例)



【2015年度まで】

・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

(ex. 加齢黄斑変性、角膜疾患、  
膝半月板損傷、骨・軟骨再建、  
血液疾患)

・iPS細胞を用いた創薬  
技術の開発

【2020年頃まで】

・iPS細胞技術を活用して  
作製した新規治療薬の  
臨床応用

・再生医療等製品の薬事  
承認数の増加

・臨床研究・治験に移行  
する対象疾患の拡大  
(延べ移行数 約15件)

・再生医療関係の周辺  
機器・装置の実用化

・iPS細胞技術を応用した  
医薬品心毒性評価法の  
国際標準化への提言

・ 文部科学省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」【健・文08】(再掲)

臨床用ES細胞  
樹立・評価  
データシステム構築  
運用(学会・利用者等)  
分配

・ 厚生労働省「再生医療実用化研究事業」【健・厚19】(再掲)、  
「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」【健・厚20】(再掲)

疾患特異的iPS細胞を用いた創薬、病態解明【健・文08】(再掲)

iPS細胞の樹立、分化誘導、提供  
創薬、病態解明研究  
・ 文部科学省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」【健・文08】(再掲)  
・ 厚生労働省「難治性疾患実用化研究事業」【健・厚30】(再掲)

審査の迅速化・質の向上と安全対策の強化

iPS細胞技術を利用した次世代心毒性評価法等  
再生医療等製品の安全性評価(ウイルス安全性、製造工程評価、造腫瘍性等)  
残存未分化ES/iPS細胞検出法の開発  
ガイドライン案の作成  
・ 厚生労働省「医薬品等規制調和・評価研究事業」【健・厚05】(再掲)

産業基盤の構築に  
向けた連携

産業基盤の構築

再生医療等の実現化を支える基盤技術の開発  
個別要素技術の開発  
全体システム構築・検証  
研究機関・企業での導入  
・ 経済産業省「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」【健・経06】

# 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト

健康長寿(5)

アウトカム

中間目標(2015年度まで)  
＜成果目標(2020～30年頃)＞

主な取組

2014年度

2015年度

2016年度

2017年度

2018年度

2019年度

2020年度

＜疾患バイオバンク＞文部科学省：オーダーメイド医療の実現プログラム(BBJ)【健・文09】、ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業【健・文11】  
厚生労働省：ゲノム医療実現化推進研究事業【健・厚21】、NCバイオバンク事業(NCBN)【健・厚22】、臨床ゲノム情報統合データベース整備事業【健・厚23】  
ゲノム診断支援システム整備事業【健・厚24】、治験・臨床研究体制【健・厚25】

## CGCの連携基盤構築

・大規模ゲノム解析を行う連携基盤の構築(NGS利活用、人材育成等)

## NC・国立病院機構・JCCG・JCOGとの連携

・小児がんを含むがん、神経・筋難病、小児先天性疾患等、特定の疾患に関する原因遺伝子解析等、共同研究基盤の整備  
・食道がん、大腸がん、肝がん、乳がん等におけるゲノム解析等、共同研究基盤の整備

## 精神・神経領域

遺伝性筋疾患をはじめとした神経・筋難病の原因遺伝子の同定

## 小児領域

小児先天性疾患、アレルギー性疾患、妊娠合併症等の原因遺伝子の同定

## がん領域

抗がん剤の治療反応性や副作用予測等、臨床応用可能な関連遺伝子の同定

同定遺伝子の実証性検証

同定された遺伝子情報を用いた診断・治療法の介入型臨床研究の実施

治療反応性や副作用予測等、関連遺伝子情報を用いた診断・治療法の介入型臨床研究の実施 等

(2020年以降)

ゲノム解析情報に応じた疾患の病型分類や診療ガイドラインの改定等、新たなゲノム医療の実現 等

MGCへの導出

治療最適化研究、免疫遺伝学研究 等

## MGCの連携基盤構築

・ゲノム情報の応用を目指した病院組織基盤の整備 等

## ゲノム医療実施体制に関する試行的・実証的臨床研究

・偶発的所見(If)等に関する臨床研究の実施、ゲノム医療研究により得られる患者等情報や知的財産の管理手法、ゲノム情報相談員の養成等

## 国立病院機構・JCCG・JCOG・日本病理学会との連携

・国立病院機構・JCCG・JCOGの生体試料等の保管体制の構築  
・日本病理学会との協同による組織病理取扱規定の共同策定、病理標準化センターの設置、組織病理品質管理研修の実施 等

## バーチャルMBBの連携基盤構築

・BBJやNCBN等有する生体試料や臨床情報の共有・共用体制の構築

抗てんかん薬の副作用関連遺伝子を用いた臨床研究

メタボリック・シンドローム関連疾患の発症・重症化関連遺伝子の同定

## バーチャルMBBの連携基盤応用

・国立病院機構・JCCG・JCOGにおける臨床試験におけるゲノム付随研究として生体試料及び臨床情報の拡充・蓄積  
・病理組織検体の品質管理研修プログラムの定期開催(年2～3回程度) 等  
・関連研究施設に対する病理品質管理調査の実施(対象施設数:300程度、順次)

同定した遺伝子情報を用いた発症・重症化のリスク評価法、診断法の介入型臨床研究の実施

＜健常者バイオバンク＞文部科学省：東北メディカル・メガバンク計画

- ・コホート調査(ベースライン調査)の実施
- ・追跡調査による臨床情報等の補完
- ・コホート調査解析結果等の回付に向けた検討・実施

15万人規模のバイオバンクの構築(ベースライン調査完了)

【健・文10】  
【健・文11】(再掲)

疾患データと健常者データを基にした日本人の全ゲノム多様性データベースの構築

・コホートデータの応用研究等への利用に向けた、各コホート事業等の検体や情報の相互補完方法の検証

- ・バイオバンク運営(検体や情報の管理、外部利用の実施)
- ・症例対照研究リファレンスとなる健常者データの収集
- ・日本人の標準的なゲノム配列の特定

※CGC: セントラルゲノムセンター  
※NC: 国立高度専門医療研究センター  
※MGC: メディカルゲノムセンター  
※MBB: メガバイオバンク

## 【2015年度まで】

- ・バイオバンクジャパン、ナショナルセンターバイオバンクネットワーク、東北メディカルメガバンク等の連携の構築
- ・疾患に関する全ゲノム多様性データベースの構築、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
- ・抗てんかん薬の副作用の予測診断の確立

## 【2020～2030年頃まで】

- ・生活習慣病(糖尿病や脳卒中、心筋梗塞等)の劇的な改善
- ・発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断の確立
- ・うつ、認知症の臨床研究の開始
- ・神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発

ゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備及び臨床研究の一層の推進