

内閣官房健康・医療戦略室 提出資料

平成29年10月

健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画の推進について

健康医療戦略推進法の目的：世界最高水準の医療の提供に資する研究開発等により、**健康長寿社会の形成に資すること**(第1条)

健康・医療戦略推進本部の事務

- ①健康・医療戦略の案の作成及び実施の推進
- ②医療分野研究開発推進計画の作成及び実施の推進
- ③医療分野の研究開発等に関する予算等の資源配分方針
- ④AMEDの理事長・監事の任命及び中長期目標の策定に当たっての主務大臣への意見 等 (第21条)

健康・医療戦略（閣議決定）

- ・政府が総合的かつ長期的に講ずべき下記に関する施策の大綱
 - (1)医療分野の研究開発とその環境整備・成果の普及
 - (2)健康長寿社会形成に資する新たな産業活動の創出・活性化(国際展開等)とその環境整備

健康・医療戦略に即して、
医療分野の研究開発等について
具体的な計画を本部で決定

毎年度、フォローアップを実施（戦略の
実行状況と今後の取組方針を本部決定）

毎年度、フォローアップを実施（計画の
実行状況と今後の取組方針を本部決定）

医療分野研究開発推進計画（本部決定）

- ・医療分野の研究開発等に関する施策についての基本的な方針
- ・医療分野の研究開発等について政府が集中的かつ計画的に講ずべき施策
- ※AMED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

予算を始めとした
総合調整

省庁横断的な
総合調整

各府省

推進計画に基づき、
AMEDの業務運営の基本
方針（本部決定）を提示

日本医療研究開発機構
(AMED)

推進計画及び毎年度の予算等の資源配分
方針に基づき、AMEDへ財源措置
(文科・厚労・経産等)

科学技術イノベーション総合戦略2017（平成29年6月2日閣議決定）（抄）

第2章 未来の産業創造と社会変革に向けた新たな価値創出の取組

（2）新たな経済社会としての「Society 5.0」を実現するプラットフォーム

[C]重きを置くべき取組

② プラットフォームを支える基盤技術の強化

iii) 社会実装に向けた主な取組

・ 革新的なバイオ素材等による炭素循環型社会や**食による健康増進・未病社会の実現**等に向け、我が国のバイオ産業の新たな市場形成を目指した戦略を策定する。【内閣府、文部科学省、農林水産省、経済産業省、環境省】

健康・医療戦略（平成26年7月22日閣議決定、平成29年2月17日一部変更）（抄）

2. 各論（2）健康・医療に関する新産業創出及び国際展開の促進等に関する施策

4) その他健康長寿社会の形成に資する施策

その他健康長寿社会の形成に資する新たな産業活動の創出及び国際展開の促進に資するため、下記の施策を推進する。

○ 高齢化の進展や健康志向の高まりへの対応

- ・ いわゆる健康食品などの機能性食品について、その活用が期待される栄養指導サービスや配食サービス等との情報の共有や事業者の交流を推進することにより、健康づくりに貢献する新産業の創出を図る。
- ・ 健康長寿に結び付くと示唆されている地域の農林水産物・食品の機能性の発掘及び新たな機能性食品の開発を推進するとともに、「健康に寄与する農林水産物データベース」による情報公開など、栄養成分に加えて機能性成分に着目した食事設計のための情報基盤を整備することにより国民の食生活の改善を図り、豊かで健康的な食生活構築に貢献する。
- ・ 介護食品の認知度の向上に対する取組、地場産農林水産物を活用し新たに開発した介護食品の提供等のシステム確立のための取組に対する支援、健康長寿型の食品・サービスによる新たな市場開拓を支える産業インフラ整備など「医福食農連携」の取組を推進することにより、民間主導による新しい市場形成を促す。
- ・ 医薬品、医療機器等への農畜産物の活用により、農畜産物の新しい需要を創出するための取組として、スギ花粉タンパク質を含んだ米、絹糸製人工血管、コラーゲン素材で作成した被覆材等の開発を推進している。今後は、得られた成果を民間事業者等に展開して、実用化に向けてヒトでの安全性・有効性試験を進めていく。
- ・ 脳機能及び身体運動機能の維持・改善を目的とした次世代機能性農林水産物・食品の研究開発を進め、運動・スポーツとの相乗効果を検証するとともにヒトにおける効果を簡易に計測するシステムを開発する。

健康長寿（健康寿命の延伸）に向けて

新技術・新サービスの創出、新たな事業化・活動の創出

がん

⑥ ジャパン・キヤンサー
リサーチ・プロジェクト
早期診断・新たな治療法（免疫
療法）等を通じた生存率の向上

脳とこころ

⑦ 脳とこころの健康大国
実現プロジェクト
精神・神経疾患対策等による
健康寿命の拡大

感染症

⑧ 新興・再興感染症制御
プロジェクト
治療・診断薬、ワクチン開発
等を通じた感染症対策の推進

難病

⑨ 難病克服プロジェクト
難病の病因・病態の解明
画期的な診断・治療法の開発
の推進によるQOLの向上

【疾患領域対応型事業】

【疾患領域対応型統合プロジェクト】

【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

② オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

③ 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

④ 再生医療の実現化ハイウェイ構想プロジェクト

⑤ 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）

成果目標（KPI）を設定し、1人のPDの下で複数の事業を統合的に推進する必要があるものを「統合プロジェクト（①～⑨）」としている。

IV. 再生医療実現プロジェクト①

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並びに、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。

【統合プロジェクト】

iPS細胞等を用いた再生医療の迅速な実現に向けて、安全なiPS細胞の提供に向けた取組、幹細胞操作技術等のiPS細胞等の実用化に資する技術の開発・共有、再生医療の基礎研究・非臨床試験の推進等を実施する。また、再生医療の臨床研究及び治験の推進や再生医療等製品の安全性評価手法の開発等を行う。さらに、再生医療の実現化を支える産業基盤を構築する。

また、新薬開発の効率性の向上を図るために、連携してiPS細胞等を用いた創薬等研究を支援する。また、iPS細胞技術を応用した心毒性評価手法の開発及び国際標準化への提案を行う。さらに、幹細胞による創薬支援の実現化を支える産業基盤を構築する。

【達成目標】

【2020年までの達成目標】

- ・ iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用（臨床研究又は治験の開始）
- ・ 再生医療等製品の薬事承認数の増加
- ・ 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35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

【平成28年度（2016年度）の主な成果】

1. 再生医療実現拠点ネットワークプログラム 再生医療実用化研究事業

- ・ 他家iPS細胞を用いた臨床研究の開始
理化学研究所プロジェクトリーダーの高橋政代氏を中心に、神戸中央市民病院・大阪大学・京都大学iPS細胞研究所(CiRA)・理化学研究所の4機関が連携し、平成29年2月より、目の疾患である加齢黄斑変性患者を対象に、他家iPS細胞から作製した網膜色素上皮細胞を移植する臨床研究を開始し、平成29年3月には、第1例目となるヒトへの移植手術を実施した。

2. 再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業

- ・ 再生医療関係の周辺機器・装置等の実用化
成育医療研究センターの開発グループでは間葉系幹細胞が軟骨・骨に分化する性質を測定するキットの開発に成功した（平成28年9月）。また、大阪大学の開発グループでは再生医療製品製造用自動観察機能付インキュベータの開発に成功した（平成28年12月）。これらは、今後、実証実験や市場評価を経て、各共同研究企業により製品化される予定である。

IV. 再生医療実現プロジェクト②

iPS細胞等を用いた再生医療の迅速な実現、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けて順調に進捗している。

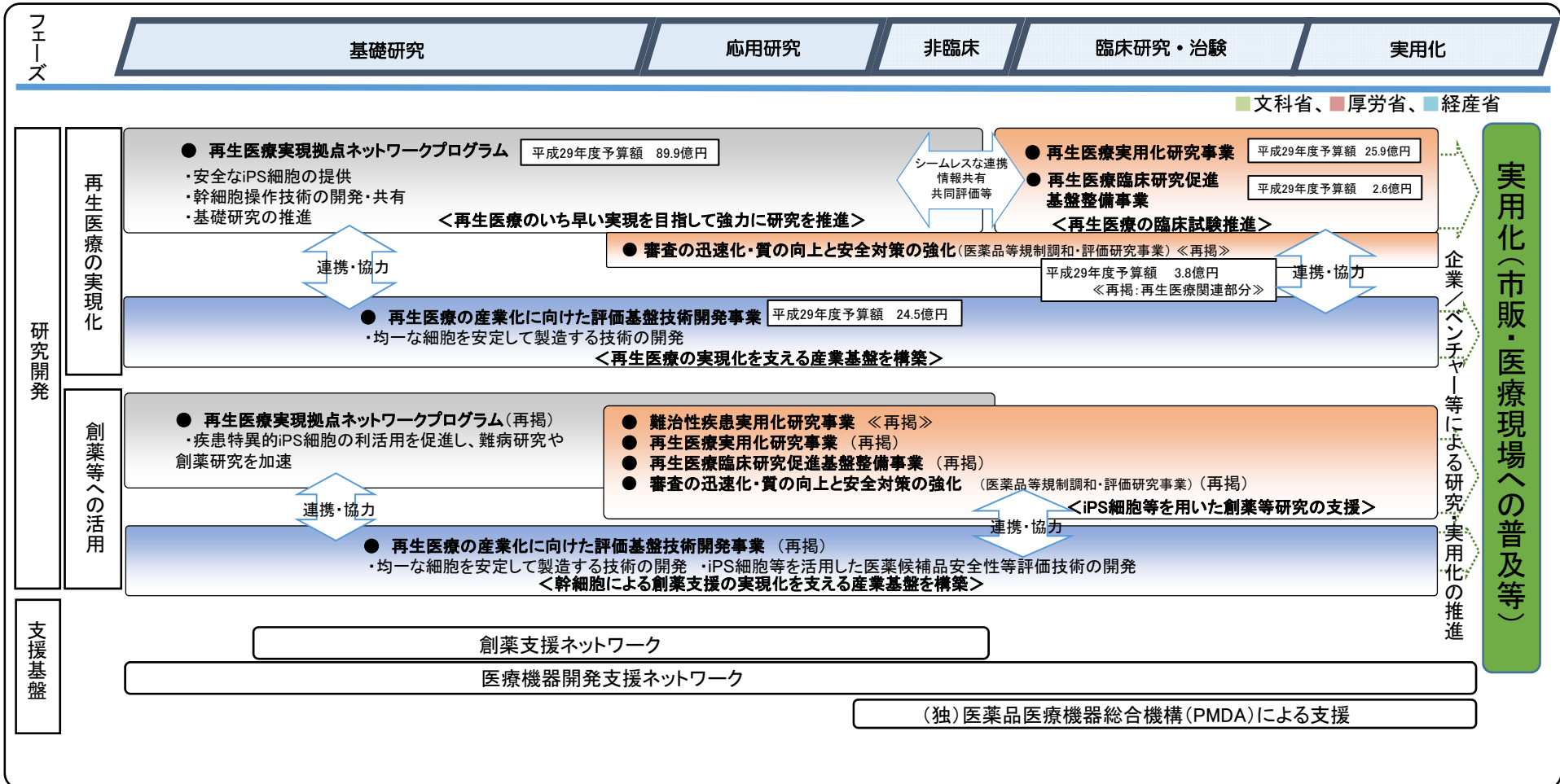
達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項 等)
【2020年までの達成目標】				
・ iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用(臨床研究又は治験の開始)	—	A	難病患者由来の血液細胞や線維芽細胞からiPS細胞の樹立が行われ、iPS細胞から血管内皮細胞、骨・軟骨細胞、神経細胞等を分化誘導する方法が確立されつつある。iPS細胞技術を活用して新規治療薬を創出する研究では、ドラッグ・リポジショニングにより、開発候補品が見出され、臨床応用に向けて進捗している。	
・ 再生医療等製品の薬事承認数の増加	4品目	A	平成29年3月時点における再生医療等製品の薬事承認数は4品目。なお、平成28年9月には、既承認品目の「ヒト(自己)表皮由来細胞シート」に対する効能追加(先天性巨大色素性母斑の追加)が承認された。	
・ 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35件	28件	A	「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」等で推進する研究開発について、加齢黄斑変性(自家iPS・平成25年8月/他家iPS・平成29年2月)等の9件が臨床研究又は治験へ移行した。 「再生医療実用化研究事業」等で推進する研究開発について、食道狭窄予防(平成28年4月)、急性期脳梗塞(平成29年2月)等の19件が臨床研究又は治験へ移行した。	脊髄損傷、視細胞、腸疾患、がん免疫等に関する研究が臨床段階に移行することを見込んでいる。
・ 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	—	A	間葉系幹細胞が軟骨・骨に分化する性質を測定するキット及び再生医療製品製造用自動観察機能付インキュベータの開発等、個々の要素技術開発について計画どおり進捗している。	
・ 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	—	A	研究班で開発した心毒性評価系の検証試験等の進捗状況を、米国等で開催された複数の国際会議(平成27年5月(ボストン、北京)、同9月(プラハ))で報告し、新たな心毒性評価法の国際標準化に向けた国際的な議論に引き続き参加している。 また、これまで進めていた大規模検証試験が終了し、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞はヒト心電図データを反映すること、精度よく不整脈リスクを予測できることを明らかにした。評価法の国際標準化に向けて、さらに研究計画を立案している。	

※ 「最新の数値」は、2017年3月31日時点の計数、進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難

IV. 再生医療実現プロジェクト<参考1>

日本医療研究開発機構対象経費
平成29年度予算額 147億円(一部再掲)

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。



【2020年までの達成目標】

- iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用(臨床研究又は治験の開始)
- 再生医療等製品の薬事承認数の増加
- 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35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

V. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト①

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。その際、ゲノム医療の実現には時間を要することから、長期的視点に立って戦略的に推進する。

【統合プロジェクト】

疾患及び健常者バイオバンクを構築すると共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患の発症原因や薬剤反応性等の関連遺伝子の同定・検証及び日本人の標準ゲノム配列の特定を進める。また、共同研究やゲノム付随研究等の実施により、難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索を図るとともに、ゲノム情報をいかした革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究を推進する。さらに、ゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備やゲノム医療提供体制の構築を図るための試行的・実証的な臨床研究を推進する。

【達成目標】

【2020年までの達成目標】

- ・ 糖尿病などに関するリスク予測や予防、診断（層別化）や治療、薬剤の選択・最適化等に係るエビデンスの創出
- ・ 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に係る臨床研究の開始
- ・ 認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る臨床研究の開始
- ・ 神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発に係る臨床研究の開始

【平成28年度（2016年度）の主な成果】

1. 東北メディカル・メガバンク計画
試料・情報分譲の対象範囲を拡大しており、平成28年度中に1件の分譲を実施した。また、全ゲノムリファレンスパネル（平成28年6月）や日本人基準ゲノム配列（平成28年8月）を一般公開し、ゲノム解析基盤構築を進めた。
2. オーダーメイド医療の実現プログラム
NCBNへも展開した、高質な病理組織の取扱いの講習会の開催やe-Learningのコンテンツ拡充を行った（平成29年3月）。
3. ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業
大規模ゲノム解析による多因子疾患研究や長鎖シーケンス技術を用いた新規解析手法の確立のための基盤技術開発に着手した。また、スパコンの共用やバイオバンク横断検索システムの開発等を開始した。
4. ゲノム医療実用化推進研究事業
院内に開設した臨床検査品質（CLIA準拠）の検査室で、実臨床に近い形で100名のがん症例解析を行い、システムの実証と改良を行った。クリニカルシーケンスにおける偶発的所見等（IFs）の返却の判断に資するチャート等を作成した。分担研究機関のIFsに関する実経験を調査し、提言としてまとめた。遺伝カウンセリングロールプレイを中心にした複数の人材育成プログラムを構成し、実証的に実施した。
5. 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業
希少・難治性疾患等の4疾患領域を対象に検体収集及びゲノム解析を行い、臨床ゲノム情報データストレージ整備に着手した。

V. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト②－1

ゲノム医療実現に向け、臨床情報への導出を目指したゲノム研究を強化するべく、事業で収集した試料・情報等を活用した研究や、国立高度専門医療研究センター、大学等との連携による共同研究等に取り組み、順調に進捗している。

達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項 等)
【2020年までの達成目標】				
<ul style="list-style-type: none"> 糖尿病などに関するリスク予測や予防、診断(層別化)や治療、薬剤の選択・最適化等に係るエビデンスの創出 	—	A	<p>「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」では、2型糖尿病について、1000ゲノムプロジェクト phase3を用いたインピュテーションの後にゲノムワイド関連解析を行い、複数領域において2型糖尿病との関連を認めた(2016年5月)。このうち同定された糖代謝と関連する遺伝子のミスセンス変異について、タンパク質立体構造に影響を及ぼす可能性が示唆された(2016年7月)。また、心房細動の発症に寄与すると考えられる感受性領域を同定した(2017年2月)。</p>	
<ul style="list-style-type: none"> 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に係る臨床研究の開始 	—	A	<p>「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」では、大腸がん患者を対象に累計1955人分の検体を収集した(2017年1月現在)。抽出した全てのDNAの質を評価し、解析可能ながん/正常DNAにつきターゲットシーケンスを実施した。</p> <p>「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、がん患者における臨床情報とゲノム情報の紐づいたデータベース整備を開始した。</p>	

※ 「最新の数値」は、2017年3月31日時点の計数、進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難

V. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト②-2

達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<ul style="list-style-type: none"> 認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る臨床研究の開始 	—	A	<p>「オーダーメイド医療の実現プログラム」では、認知症の疾患関連遺伝子解析に向けて、2013年度より血液サンプルと臨床情報について、認知症712症例を収集した(2017年2月現在)。</p> <p>「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、認知症、及び感覚器領域において、疾患関連遺伝子の同定に向け臨床情報とゲノム情報の紐づいたデータベース整備を開始した。</p>	
<ul style="list-style-type: none"> 神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発に係る臨床研究の開始 	—	A	<p>「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」では、インターフェロンβ治療を受けた多発性硬化症患者の累計216例の検体、インターフェロンβ治療以外の治療を受けている患者や類縁疾患の累計340例の検体をバイオバンクに収集した(2016年12月)。追加された検体を含めたGWAS解析を実施し、薬剤反応性、副作用に関連する解析に着手した(2017年1月)。</p> <p>「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、神経・筋難病等について疾患関連遺伝子の同定に向けたゲノム解析を開始した。</p>	

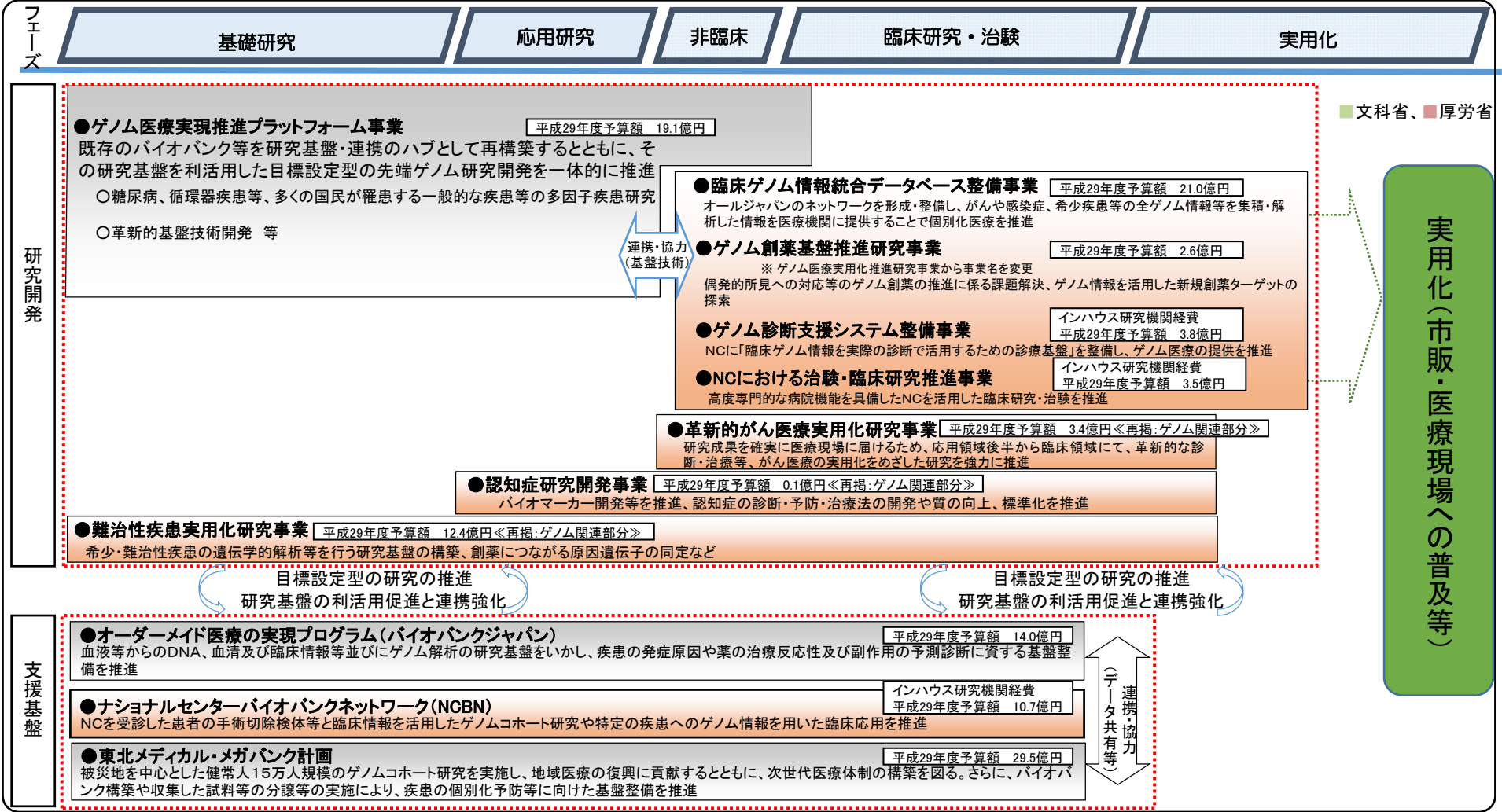
※ 「最新の数値」は、2017年3月31日時点の計数、進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難

V. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト<参考1>

日本医療研究開発機構対象経費
平成29年度予算額 102億円(一部再掲)

インハウス研究機関経費
平成29年度予算額 18億円

疾患及び健常者バイオバンクの構築と共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患及び薬剤関連遺伝子の同定・検証並びに日本人の標準ゲノム配列の特定を進める。また、共同研究等による難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索や、ゲノム情報をいかした診断治療ガイドラインの策定に資する研究やゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備及び試行的・実証的な臨床研究を一体的に推進する。



【2020年までの達成目標】

- 糖尿病などに関するリスク予測や予防、診断(層別化)や治療、薬剤の選択・最適化等に係るエビデンスの創出
- 認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る臨床研究の開始
- 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に係る臨床研究の開始
- 神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発に係る臨床研究の開始