

I (2)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

令和元年度評価



⑥疾患に対応した研究〈がん〉

評定(自己評価)

A

PD/PS/POを中心にジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト全体の一体的運用により、①液体のりの主成分を利用してホウ素中性子捕捉療法の効果を劇的に向上、世界規模の国際ネットワークによるがん種横断的全ゲノム解析プロジェクトに参画しヒトがんゲノム全体像の解明、再発・難治性ALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対するALK阻害剤の薬事承認取得など、顕著な研究成果を挙げた。②事業の枠を超え次世代がん・革新がん両サポート機関の連携強化、延長制度導入などで有望な研究成果を次のステージにつないで実用化加速、課題紹介リーフレット集配布を通じて企業導出を促進、③早期診断バイオマーカー実用化の日米研究協力体制構築、異分野交流若手ワークショップや海外短期研修等への派遣を通じて国際的に活躍できる若手研究者育成を推進した。さらに、④KPI目標値を超える治験導出を実現するなど、所期の目標を大きく上まわった。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①がん研究における顕著な研究成果事例

PD/PS/POを中心にジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト全体の一体的運用により以下の顕著な成果が得られた。

- ①-1 「スライムの化学」を利用した第5のがん治療法 ～液体のりの主成分でホウ素中性子捕捉療法の効果を劇的に向上～
- ①-2 世界規模の国際ネットワークによる最大のがん種横断的全ゲノム解読 ～日本人症例での解析を進めることで日本人に最適な臨床開発への発展を期待～
- ①-3 ALK阻害剤アレクチニブが再発・難治性ALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対し薬事承認を取得

②がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善

- ②-1 次世代がん事業と革新がん事業のサポート機関による研究倫理研修の合同開催等で、事業の枠を超えた一元的管理に向けて連携を強化、基礎研究から実用化まで一貫してつなぐマネジメントを実現する基盤を構築。
- ②-2 研究期間延長制度導入や進捗の優れた研究課題を事業内・事業間で次のステージへ進める仕組等により、シームレスな研究支援を可能とし、有望な研究成果をスムーズにつないで実用化を加速。
- ②-3 サポート機関による膵がん関連課題の現状分析を踏まえ、事業を超えた連携や効果的な支援の在り方について議論する場の設置を検討。
- ②-4 研究課題紹介リーフレット集の企業向け配布やBioJapan2019出展などを通じ、産業界への積極的な情報発信により、研究成果の企業導出を促進。

③国際連携、異分野交流、人材育成

- ③-1 米国NCIと早期診断バイオマーカーの第7回合同WSを開催、日米研究協力の課題克服に向け検討。国際がんゲノムコンソーシアムICGC-ARGOへ参画開始。ICRP加盟国間で会員専用ホットラインを通じた情報共有を開始。
- ③-2 人工知能をテーマにした若手研究者ワークショップを開催、他疾患領域事業からの参加者も加えて、若手研究者の異分野交流を促進。
- ③-3 国際的に活躍できる若手研究者育成のため、海外研修支援プロジェクトでは研究者ニーズに柔軟に対応すべく派遣期間を設定、派遣人数増員など、更に制度充実。若手研究者枠13名を採択し、継続的な若手育成を推進。

④成果目標達成状況(評価指標)

④-1 KPI目標値を大きく超える治験導出を実現。

2020年までの達成目標	R1年度の達成状況
日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出	1種達成
小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた12種類以上の治験への導出	5種達成
小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加	1種達成
いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消	解消に寄与
小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立(3件以上のガイドラインを作成)	2件達成

④-2 次世代がん事業で得られた有望な研究成果5件(平成30年度実績6件)が革新がん事業の支援につながった。

I (2)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

⑥疾患に対応した研究〈がん〉



期間実績評価

評価(自己評価)

A

PD/PS/POを中心にプロジェクト全体の一体的運用により、がん研究10か年戦略に対応する研究を推進し、①固形がんにも有効な新規CAR-T細胞の開発、日本初のがん治療ウイルス薬の製造販売承認申請に着手、膵がん早期診断バイオマーカーの企業導出など、顕著な研究成果を挙げ、②がんゲノム医療実用化を後押しする研究開発の推進と機構内外の連携促進、サポート機関設置と事業の枠を超えた連携により基礎から実用化まで一貫したマネジメントの基盤整備、AMEDのマネジメントによる事業内・事業間のスムーズな課題移行を実現、③国際協力体制構築、研究成果の企業導出促進、国際的に活躍できる若手研究者育成を推進。さらに、④2020年までの成果目標のすべてを期限内に達成し、所期の目標を大きく上まわるとともに、次世代がん事業の有望な成果44件を革新がん事業につなげた。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

	H 27	H 28	H 29	H 30	R 1	見 込	期 間
自己評価	A	A	A	A	A	A	A
主務大臣評価	A	A	A	A		A	

①がん研究における顕著な研究成果事例

PD/PS/POを中心にジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト全体の一体的運用により以下の顕著な成果が得られた。

- ①-1 固形がんに対して極めて治療効果の高い免疫機能調整型次世代キメラ抗原受容体発現T細胞『Prime CAR-T細胞』の開発
- ①-2 脳腫瘍に対するウイルス療法の実験で高い治療効果を確認 ～日本初のがん治療ウイルス薬の製造販売承認申請へ～
- ①-3 膵がん早期診断の血液バイオマーカーを発見 ～検査キットの開発にも成功、膵がん検診への実用化を目指す～

②がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトとして事業の枠を超えて、PD/PS/PO会議や市民向け成果報告会等を一体的に運用。次世代がん・革新がんの両事業でサポート機関を設置、一元的管理により基礎から実用化まで一貫した研究開発マネジメントの実現に向けた基盤を構築するとともに、次世代がん事業でタイムリーな技術支援を実施。

②-2 有望な成果の導出を加速するため、特に進捗の優れた研究開発課題を事業内または事業間で次のステージへ進める仕組みを構築し、AMEDのマネジメントにより各省の枠を超えスムーズな課題移行を実現。

②-3 がんゲノム医療の実用化を後押しすべく、がん研究課が関係各省やAMED内をとりまとめて、省庁AMED連絡会議を立ち上げ、濃密な縦横連携体制を構築することで、組織や部署間の効果的な情報共有や役割分担を実現。

③国際連携、異分野交流、人材育成

- ③-1 米国NCIと早期診断バイオマーカー研究に関するWSを5回合同開催し、日米研究者交流や研究協力促進。がん研究費配分機関の多国間協力組織ICRPへの加盟や、国際がんゲノムコンソーシアムICGCへの参画を推進。
- ③-2 若手WSを5回開催、若手研究者166名参加。若手研究者29名海外派遣。若手研究者育成枠101名、若手リサーチレジデント83名採択し若手育成。
- ③-3 企業向けに課題紹介リーフレット集配布や成果報告会2回開催で企業導出促進。市民向け成果報告会4回開催で社会の理解増進。

④成果目標達成状況(評価指標)

④-1 2020年までのすべての目標を期限内に達成。

2020年までの達成目標	2020年3月時点
日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出	15種達成済み
小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた12種類以上の治験への導出	31種達成済み
小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加	1種達成済み
いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消	解消に寄与
小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立(3件以上のガイドラインを作成)	3件達成済み

④-2 文科省事業(P-DIRECT, P-CREATE)の有望な成果44件が、厚労省事業(革新がん)に採択され、次のフェーズの支援につながった。

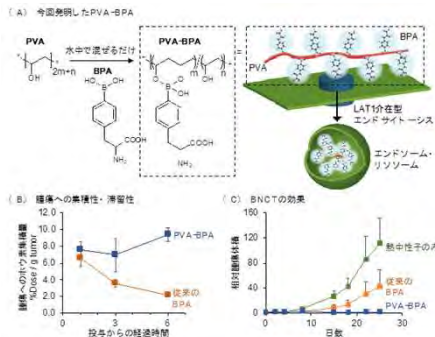
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑥疾患に対応した研究〈がん〉

令和元年度評価

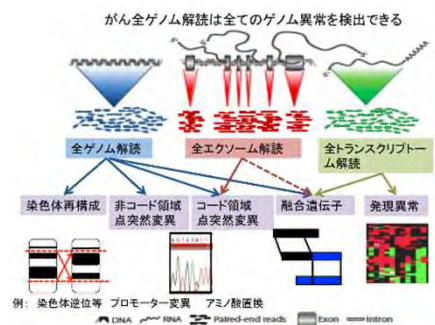
①がん研究における顕著な研究成果事例

①-1「スライムの化学」を利用した第5のがん治療法～液体のりの主成分でホウ素中性子捕捉療法の効果を一挙に向上～



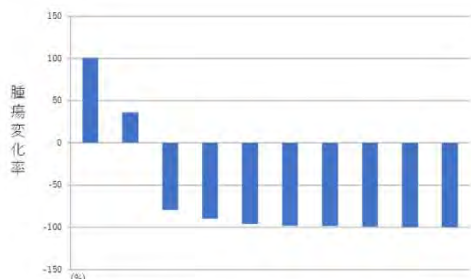
- スライムの合成に用いられる化学反応を利用して、中性子捕捉療法でがん細胞の殺傷に用いられるホウ素化合物に、液体のりの主成分であるポリビニルアルコールを結合させたところ、がん細胞に効率よく取り込まれ、その滞留性を大きく向上できることを発見するとともに、マウスの皮下腫瘍に対して根治に近い治療効果が得られることが示された。
- スライムを作るように容易な製造方法で顕著な治療効果の向上が得られることから実用性に優れ、企業の協力のもと実用化に向けた検討が進められており、従来の方法では治療困難ながん種に対する革新的治療法として臨床応用が期待される。

①-2 世界規模の国際ネットワークによる最大のがん種横断的全ゲノム解読～日本人症例での解析を進めることで日本人に最適な臨床開発への発展を期待～



- 国際がんゲノムコンソーシアムICGCが主導するがん種横断的な全ゲノム解析プロジェクトに参画し、38種類のがん種、2,658症例という過去に例のない巨大ながん全ゲノム解読データの統合解析によって、ヒトゲノムの約99%を占める非遺伝子領域における新たな異常、突然変異や染色体構造異常に見られる特徴的なパターンの解明など、ヒトがんゲノムの多様な全体像の詳細が明らかにされた。
- ヒトがんゲノムの全貌解明による新たな診断法・治療法の開発や、現在のゲノム医療で用いられている遺伝子パネルの追加・更新、日本人に多い症例の大規模全ゲノム解析による日本人に最適な臨床開発への展開など、成果の幅広い応用が今後期待される。

①-3 ALK阻害剤アレクチニブが再発・難治性ALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対し薬事承認を取得



- 希少疾患である再発・難治性のALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対する、標準的な化学療法に代わる分子標的療法として、ALK阻害剤アレクチニブの有効性と安全性を評価する医師主導治験を実施。10例中8例で奏効が認められ、そのうち6例は完全奏効が得られるなど高い有効性が確認され、アレクチニブの再発・難治性ALK陽性未分化大細胞リンパ腫患者に対する効能・効果追加が薬事承認された。
- ALK阻害剤がALK陽性未分化大細胞リンパ腫に保険適用されるのは世界初であり、標準的な治療法が確立されていなかった再発・難治症例ALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対して、有望な治療選択が増えたことは、本疾患における今後の治療に大きく寄与することが期待される。

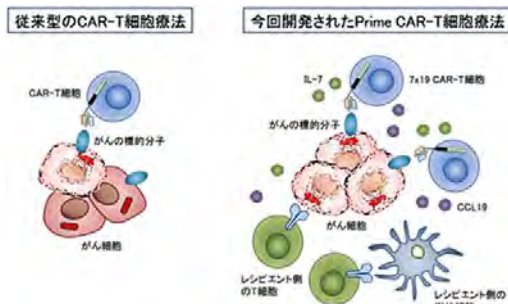
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑥疾患に対応した研究〈がん〉

期間実績評価

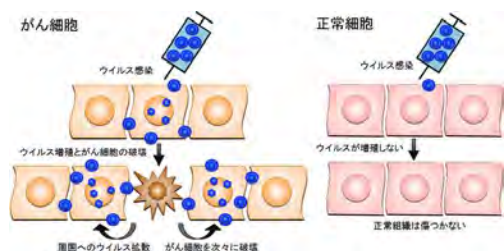
①がん研究における顕著な研究成果事例

①-1 固形がんに対して極めて治療効果の高い免疫機能調整型次世代キメラ抗原受容体発現T細胞「Prime CAR-T細胞」の開発



- キメラ抗原受容体発現T細胞(CAR-T細胞)療法は、血液がんに着目した治療効果を発揮する一方で、固形がんに対して治療効果が得られないという課題を解決するため、免疫機能をコントロールする能力を付与した次世代型のPrime CAR-T細胞を開発し、従来のCAR-T細胞では効果が得られなかったマウス固形がんモデルに対して強力な治療効果を発揮することが示された。
- 臨床試験に向けて、ヒトの腫瘍特異的分子を標的とするとともに、生体から排除可能なシステムを組み入れたPrime CAR-T細胞の製造を行い、非臨床薬効データを取得しており、画期的ながん治療法につながることを期待される。

①-2 脳腫瘍に対するウイルス療法の医師主導治験で高い治療効果を確認 ～日本初のがん治療ウイルス薬の製造販売承認申請へ～



- 単純ヘルペスウイルス1型に人工的に3つのウイルス遺伝子改変を導入した第三世代のがん治療用ヘルペスウイルスG47Δを用いた、膠芽腫に対する第Ⅱ相医師主導治験において、中間解析の結果、高い治療効果と安全性が示された。
- 悪性神経膠腫を適応症としたG47Δの製造販売承認申請の準備を行っており、G47Δは厚生労働省の先駆け審査指定品目に指定されているため、先駆け総合評価相談による事前評価の充実かつ優先審査等により審査期間の短縮が見込まれ、製造販売承認申請から6ヶ月後の承認も期待される。

①-3 早期膵がんや前がん病変発見のための早期診断バイオマーカーを開発し、キット化及び企業導出した



- 早期膵がんや前がん病変発見のための早期診断バイオマーカーを開発し、キット化及び企業導出した。神戸大学と埼玉医科大学において、膵疾患と確定診断された患者検体を用いた検証により、実験的膵がん検診から推定される検出感度が良好であったことから本バイオマーカーの有用性が前向きに検証された。
- 今回のバイオマーカーを単独またはCA19-9と組み合わせて検診として用いることで早期膵がんを含む膵がんリスク集団をスクリーニングし、その後の精密な画像検査等で早期に膵がんの診断を行うことができれば、膵がんによる死亡率減少への貢献が期待される。

I (2)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

⑥疾患に対応した研究〈がん〉

令和元年度評価

期間実績評価

② がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 基礎研究から実用化まで一貫してつなぐマネジメント

ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトでは次世代がん事業と革新がん事業にそれぞれサポート機関を設置し、PD/PS/POの指示の下、各事業の研究開発課題の進捗管理を補助し、開発方針等について適切な助言や支援を行う体制を構築している(右図)。基礎研究から実用化まで一元的なマネジメントの実現に向けて、両サポート機関が、研究倫理研修会の合同開催や、市民向け成果報告会およびPD/PS/PO会議での活動報告などを通じて、互いに連携を強化した。

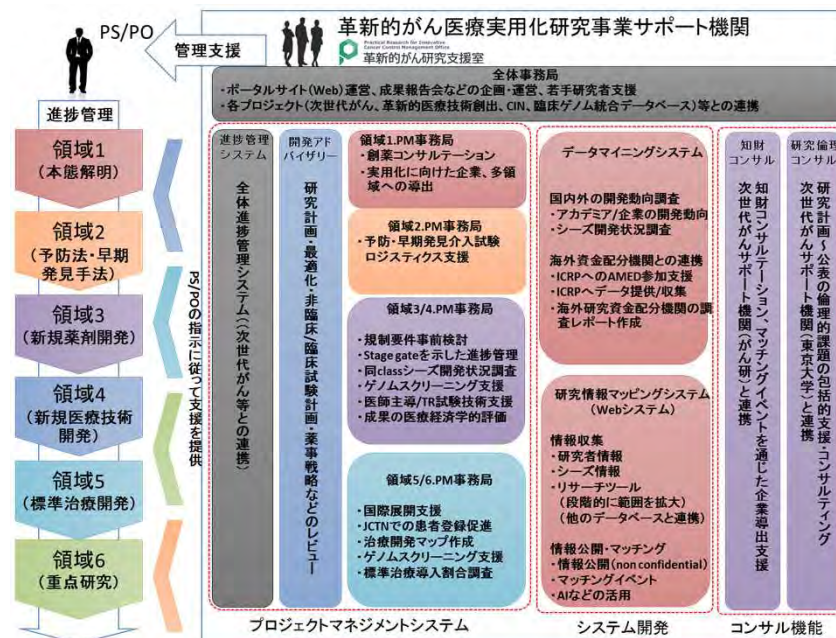
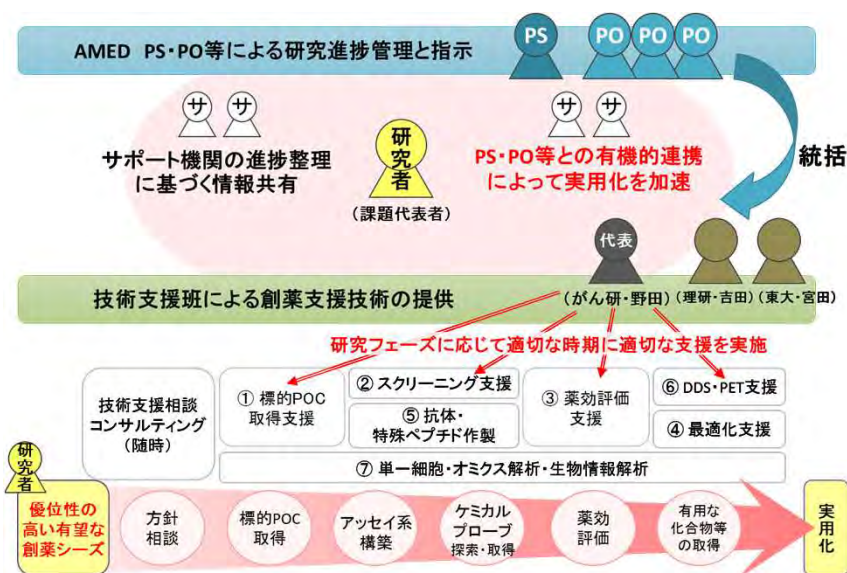


■ 次世代がん事業サポート機関の機能

研究進捗の管理・技術支援班とのマッチング(下図)、ゲノム解析データの管理、知財コンサルテーション、研究倫理コンサルテーション等

■ 革新がん事業サポート機関の機能

プロジェクトマネジメント、データマイニング、研究情報マッピング、知財コンサルテーション、研究倫理コンサルテーション等(下図)



I (2)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

⑥疾患に対応した研究〈がん〉



令和元年度評価

期間実績評価

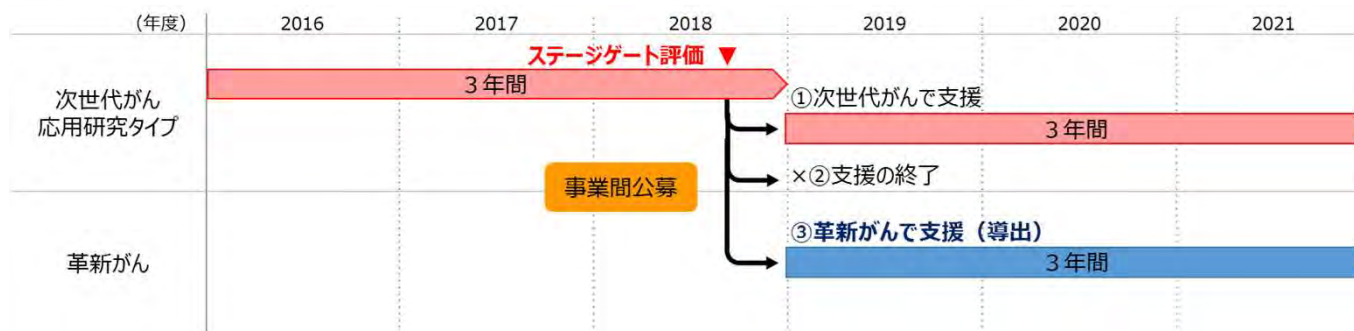
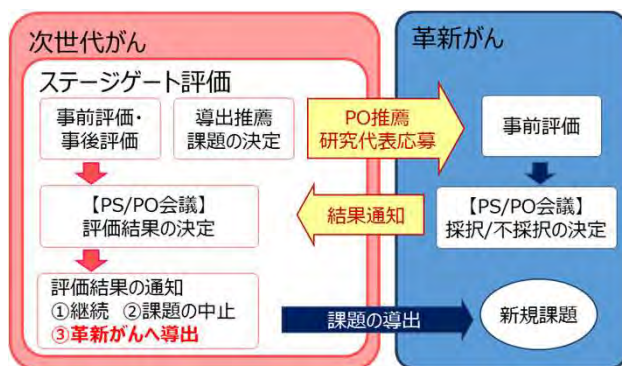
② がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-2 事業内・事業間のシームレスな研究支援により有望な研究成果の実用化を加速

次世代がん事業では、平成30年度に標的探索研究タイプの特に進捗の優れた課題に対してステージアップ評価を実施。PS/POより推薦された課題を評価委員会で審査し、11課題が応用研究タイプに移行。さらに、令和2年度一次公募では、応用研究の公募枠を新たに設定し、標的探索研究の有望な研究課題の応用研究へのステージアップを可能とすることで、優れた研究成果を次のステージへ移行させる仕組みを継続して確保。

また、応用研究タイプについては、平成30年度にステージゲート評価を実施、進捗の優れた58課題を次のステージへ進めた。そのうち3課題については、次世代がん事業のPO推薦を受け、評価委員会の承認を得た上で、革新がん事業の評価委員会で審査、PS/PO会議を経て令和元年度から革新がん事業に移行して研究を開始し、AMEDのマネジメントによって各省の枠を超えたスムーズな課題移行を実現(下図)。

革新がん事業では、きめ細やかな研究進捗管理に基づき最大2年間研究を継続できる研究期間延長制度を令和元年度から新たに設定し、令和元年度終了予定の122課題のうち8課題に適用して、シームレスな研究支援によって研究成果を次のステージにスムーズにつなげることを可能とし、実用化に向けた研究成果の最大化を図った。



I (2)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

⑥疾患に対応した研究<がん>

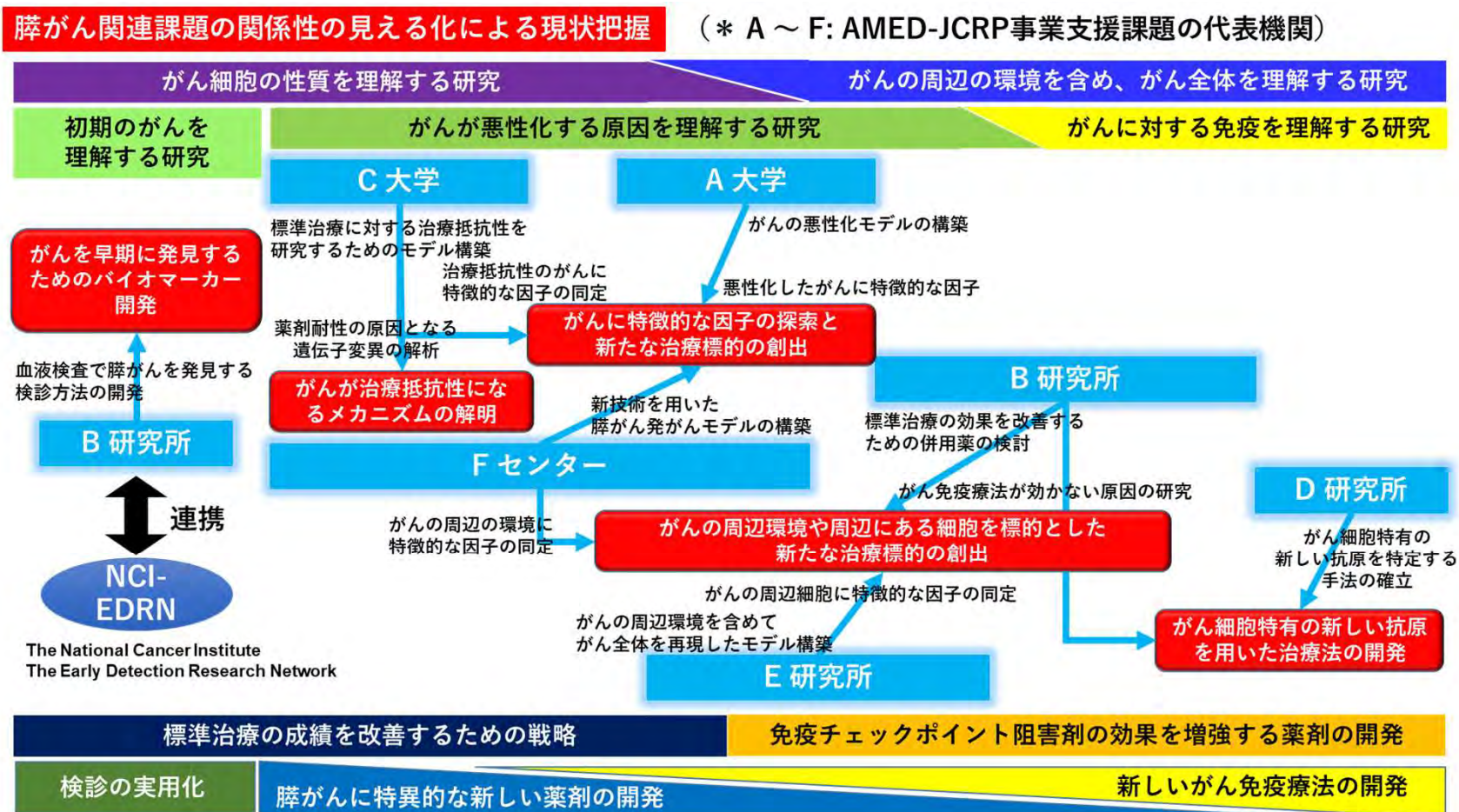


令和元年度評価

② がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-3 膵がん研究の横断的な議論の場の設置に向けた検討

難治性がん研究を加速するためのモデルケースとして、次世代がん事業と革新的がん事業のサポート機関が協力して、両事業で支援している膵がん関連課題の相互関係を分析した俯瞰図を作成した(下図)。それにより全体像を把握した上で、PD/PS/PO会議において、今後の効果的な支援や連携に向けた検討を行い、事業の枠を超えた横断的な議論の場の設置を進める方針を取り纏めた。



I (2)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

⑥疾患に対応した研究〈がん〉

令和元年度評価

期間実績評価

② がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-3 がんゲノム医療の実用化に向けた機構内外の連携促進

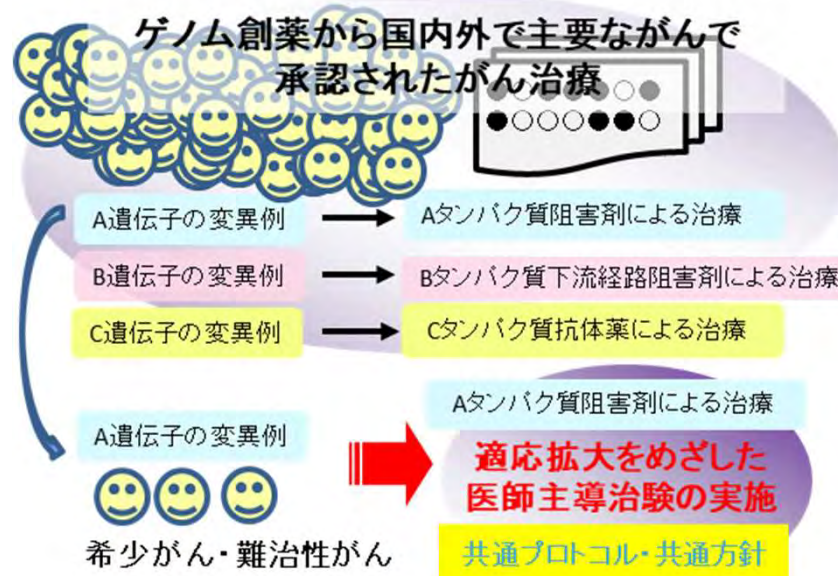
がんゲノム医療の実用化を後押しすべく、文科省、厚労省など関係各省や、AMEDの難病研究課、基盤研究事業部、臨床研究・治験基盤事業部など、機構内外を巻き込んだAMED省庁連絡会議の立ち上げと運用を、がん研究課が中心となって行い、がんゲノム医療実装に向けたタイムラインや課題の共有、役割分担の明確化などを行った。

また、平成29年度には、がんゲノム情報をもとに行う医師主導治験の共通プロトコル、共通方針の策定・整備を行う研究や、がんクリニカルシーケンスを運営、管理できるメディカルディレクター、クリニカルシーケンスチームの多職種専門家を育成する研究を推進した。

平成30年4月から、がんゲノム医療中核拠点病院において、がん関連遺伝子パネル検査が実施され、がんの治療方針決定に詳細なゲノム情報を活用できるようになったことを受け、平成30年度には、がん関連遺伝子パネル検査等による遺伝子検査結果に基づき投与患者を特定する新規抗悪性腫瘍薬の開発および既存抗悪性腫瘍薬の適応拡大等を目指した医師主導治験の公募を実施して4課題採択し、パネル検査結果に基づく治療選択肢の拡大を通じ個別化医療の実現に取組んだ(右上図)。

②-4 企業向け研究課題紹介リーフレット集の配布による研究成果の企業導出の促進

アカデミアシーズへの企業関係者の理解促進を図ることで研究成果の企業導出を促進するため、次世代がん事業と革新がん事業の研究課題を紹介するリーフレット集を平成30年度と令和元年度に作成(右下図)、BioJapan2019展示ブース来訪者や製薬協や臨薬協等からの案内を通じた登録者など、数十社の企業関係者に配布。配布先への事後アンケートでは、企業関係者のニーズを把握するとともに、企業側の高い関心を確認することができた。また、企業側の要望に応じた研究者との個別面談サポートなど、提携を促す環境を提供するフォローアップも実施した。



I (2)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

⑥疾患に対応した研究〈がん〉



令和元年度評価

期間実績評価

③ 国際連携、異分野交流、人材育成

③-1 がん研究配分機関どうしの国際連携や国際がんゲノムコンソーシアムへの参画

ICRP (International Cancer Research Partnership) は、米国NCI (National Cancer Institute) 主導で2000年に設立された、各国のがん研究費配分機関の多国的協力組織である。ICRPが構築した世界最大規模のがん研究費配分データベースを活用し、がん研究分野の世界的動向をいち早く把握・俯瞰し、AMEDとして公募策定等の戦略立案に役立てるため、平成31年2月ICRPに正式メンバーとして加盟。令和元年度からは会員専用のホットライン等を通じて海外の加盟機関とリアルタイムの情報共有を開始した。

また、平成28年度以来、国際がんゲノムコンソーシアムICGC (International Cancer Genome Consortium) の年次総会に参加するとともに、平成29年度からは革新がん事業で支援する研究開発課題を通じてICGCの主要メンバーとして参画してきた。平成30年度より開始した次期プロジェクトICGC-ARGOについても、平成31年4月に参加を表明し、国際的に統一化されたフォーマットのもと、臨床情報の紐付いたがんゲノム情報の登録・共有を開始している。



③-1 がん早期診断バイオマーカー開発のための日米研究協力体制の構築

がん予防の観点から、がんの早期診断のためのバイオマーカー開発に係る研究成果について、日米両国の最新の知見や技術を共有することを目的として、計5回(米国2回、日本国内3回)の国際ワークショップをAMEDと米国NCIの共催で開催し、日米のシーズ交換やシーズ相互評価に向けた研究協力体制の構築について検討を進めた。令和2年1月には、日本国内で第7回のワークショップを開催し、これまで進めてきた協力の成果を踏まえて、今後の国際的な共同研究における課題の克服について、日米の研究者が意見交換を行った。



第3回ワークショップ
平成28年3月開催



第5回ワークショップ
平成30年3月開催



第7回ワークショップ
令和2年1月開催

I (2)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

⑥疾患に対応した研究〈がん〉



令和元年度評価

期間実績評価

③ 国際連携、異分野交流、人材育成

③-2 若手研究者の登用、若手ワークショップの開催

次世代がん事業と革新がん事業で合わせて101名の若手研究者育成枠の採択を行うとともに、革新がん事業で若手リサーチレジデント83人を採用し、若手人材の登用を推進した。さらに、次世代がん事業、革新的がん事業の若手研究者を中心にAMEDがん若手研究者ワークショップを計5回開催。戦略的国際脳科学研究推進プログラム(第4回)や再生医療実現拠点ネットワークプログラム(第5回)も加え、のべ166名の若手研究者が参加して、事業の枠を超えて、若手研究者どうしや若手研究者と経験豊かな研究者との間で交流を促進した。令和元年度の第5回ワークショップでは、異分野交流と多角的な視野の養成を目指し、近年注目が集まっている人工知能をテーマに取り上げた。

③-2, -3 国際的に活躍できる若手研究者の育成

国際的に活躍できる若手人材の育成を図るため、書面審査により選抜された若手研究者を海外学会等へ派遣するとともに、平成30年度からは新たに海外研修支援プロジェクトを立ち上げ、書面審査により選抜された若手研究者2名を海外研究機関での短期研修に派遣した。令和元年度は、若手研究者の多様なニーズに柔軟に対応すべく派遣期間ごとに3コースの募集枠を設定するとともに、派遣人数を5名に拡充して最長20日間の派遣を実現するなど、制度の更なる充実に取組んだ。5年間で計29人の若手研究者を海外学会や海外研究機関での研修に派遣し、国際的に活躍できる若手研究者の育成に取組んだ。



第1回
AMEDがん若手研究者ワークショップ
プログラム・抄録集



第1回平成27年11月



第2回
AMEDがん若手研究者ワークショップ
プログラム・抄録集



第2回平成28年11月



第3回
AMEDがん若手研究者ワークショップ
プログラム・抄録集



第3回平成29年12月



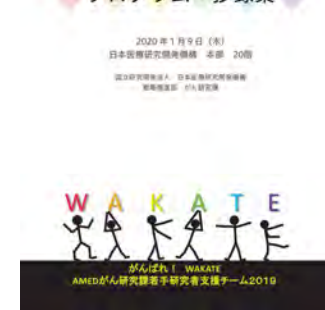
第4回
AMEDがん若手研究者ワークショップ
プログラム・抄録集



第4回平成31年1月



第5回
AMEDがん若手研究者ワークショップ
プログラム・抄録集



第5回令和2年1月

I (2)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

⑥疾患に対応した研究〈がん〉



期間実績評価

③ 国際連携、異分野交流、人材育成

③-3人的交流等を通じて企業への成果導出や社会への理解増進を促す取組

研究成果の企業導出を通し実用化を促進するための取組として、製薬協や臨薬協の協力を得て、次世代がん事業及び革新的がん事業の合同で企業向け成果発表会を平成28年度と平成29年度の2回開催し、企業及びアカデミアの双方からの講演を通じて相互理解の促進を図るとともに、リモコンアンケートによる会場と登壇者の双方向のやりとりや、研究者のポスター発表を通じ企業参加者と直接対話の機会を提供する等の工夫を行った。2度の成果報告会によってAMED事業への理解が浸透しつつあると考えられたことから、平成30年度からは研究開発課題を紹介するリーフレット集を作成し、希望する企業関係者に配布する企画を開始、個別に提携を促す環境を提供する取組につなげた。

がん研究の社会的意義について、がん患者を含めた市民の理解を得ることを目的に、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト全5事業(文科省、厚労省、経産省所管)の合同企画として市民向けシンポジウムをこれまで計4回開催した。リモコンアンケートによる講演者との双方向のやりとり、一般来場者が研究者と直接対話できるポスター発表、PS/POなど有識者が案内する「ポスターツアー」、次世代がん・革新がん両事業のサポート機関の合同で一般市民に活動内容を紹介する取組等々、毎回異なる様々な工夫を通して、がん研究者やAMEDをより身近に感じられるよう努めた。



第1回平成29年3月3日



第2回平成30年3月9日



第1回平成28年3月19日



第2回平成29年3月4日



第3回平成30年3月3日



第4回平成31年2月23日

I (2)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

⑥疾患に対応した研究〈がん〉

令和元年度評価

期間実績評価



〈成果目標達成状況〉 ※ I (2)①～⑨のみ

【④-1を参照のこと】

KPI【2020年までの達成状況】	① 令和2年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出	15種達成	1種達成
小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた12種類以上の治験への導出	31種達成	5種達成
小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加	1種達成	1種達成
いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消	希少がん等に関して新規薬剤開発及び未承認薬の適応拡大を目指した臨床試験を実施し、ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消に寄与した。	平成29年度に抗悪性腫瘍剤分野に承認申請された新有効成分医薬品に関する米国との申請時期の差の中央値 0.2年（厚生労働科学研究による調査において平成25年度の開発着手ラグ37.5ヶ月）
小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立（3件以上のガイドラインを作成）	3件達成	2件達成

I (2)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

⑥疾患に対応した研究〈がん〉



評価軸

基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に向けた医薬品、医療機器を開発する研究を推進し、臨床研究及び治験へ導出したか。

令和元年度評価

- ◆ 基礎から実用化にスムーズにつなげるため、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトのがん関連事業が合同で年3回のPD/PS/PO会議等を開催するなど一体的な運用に取り組んだ。(②-1)
- ◆ 次世代がん事業と革新がん事業の両事業にサポート機関を設置、基礎研究から実用化へ一貫してつなぐマネジメントを実現するため、研究倫理研修の合同開催などで事業の枠を超えた連携を強化した。(②-1)
- ◆ 次世代がん事業中間評価報告書(令和元年6月)を踏まえ、令和2年度一次公募において応用研究の公募枠を新たに設定し、進捗の優れた標的探索研究の課題を応用研究へステージアップさせる仕組みを確保した。(②-2)
- ◆ 革新がん事業では、最大2年間の研究期間延長制度を新たに設定、8課題に適用して、シームレスな研究支援によって成果を次のステージにスムーズにつなげることで、実用化に向けた研究成果の最大化を図った。(②-2)
- ◆ 革新がん事業では、評価委員に生物統計の専門家を増員し、データサイエンスに係る評価の質向上に取り組んだ。

期間実績評価

- ◆ 基礎から実用化にスムーズにつなげるため、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトのがん関連事業が合同で合計19回のPD/PS/PO会議を開催するなど一体的な運用に取り組んだ。(②-1)
- ◆ 有望な成果の導出を加速するため、特に進捗の優れた研究開発課題を事業内または事業間で次のステージへ進める仕組みを構築し、AMEDのマネジメントにより省庁の枠を超えスムーズな課題移行を実現。(②-2)
- ◆ 次世代がん研究シーズ育成プログラム(P-DIRECT)と、その後継の次世代がん事業(P-CREATE)で支援を受けた研究開発課題の成果44件(うち3件がステージゲート評価による導出)を革新がん事業の支援へつなげた。(④-2)
- ◆ 企業での創薬経験者、臨床分野や疫学の専門家等を増員するなど、評価委員の多様性や専門性を高めることで、有望な成果を厳選し、実用化につなげるための評価委員会の質の向上に取り組んだ。
- ◆ 平成28年12月のがん対策基本法改正を踏まえ、難治性がん・希少がんのバイオマーカー等の早期同定や治療法の早期確立を実現するための新規シーズ探索を新たに取組むべき基礎研究領域として抽出し、研究を推進した。

I (2)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

⑥疾患に対応した研究〈がん〉



評価軸

臨床・ゲノム情報基盤を整備しビッグデータを活用することによって個別化医療の実現、国際的な貢献を果たしたか。

令和元年度評価

- ◆ 難治性がん研究を加速するため、膵臓がんをモデルとして、次世代がん・革新がん事業の関連課題に関するサポート機関の俯瞰分析を踏まえ、事業の枠を超えた横断的な議論の場の設置をPDPSPO会議で取り纏めた。(②-3)
- ◆ 次世代がん事業では、海外研究機関との連携を盛り込んだ提案を対象とする若手枠公募を設定し、新たに国際レビューによる査読を導入し3課題を採択して、国際的な連携を活用する研究を開始した。(③-3)
- ◆ 「がん研究10か年戦略」の推進に関する報告書(中間評価)に対応するため、革新がん事業令和2年度一次公募で高齢者の特性に適した支持療法や治療法の開発のための臨床試験を公募、高齢者のがんに関する研究を推進した。
- ◆ 革新がん事業のゲノム解析に係る研究課題への支援を通じて国際コンソーシアムICGCの次期プロジェクトICGC-ARGOへ参加を開始するとともに、前年度にICRPへ正式加盟したことで、会員専用のホットラインやデータベースを公募策定等の戦略立案に活用すべく、電話会議等を通じて海外の加盟機関との情報共有を開始した。(③-1)
- ◆ 米国NCIと合同で難治性がん・希少がんを含むがん早期診断バイオマーカーに関する国際ワークショップを開催し、これまでの成果を踏まえて、国際的な共同研究における課題の克服に向けた意見交換を行った。(③-1)

期間実績評価

- ◆ がん関連遺伝子パネル検査の実用化に対応して、AMED内及び関係省庁との連絡会議を定期開催するとともに、革新がん事業では、がんゲノム情報をもとに行う医師主導治験の共通プロトコル、共通方針の策定・整備を行う研究や、がんクリニカルシーケンスを運営、管理できるメディカルディレクター等の専門家を育成する研究を推進した。(②-3)
- ◆ がん研究の国際動向を把握し戦略的な資源配分に役立てるためICRPへ正式加盟。米国NCIと合同でがん早期診断バイオマーカーのワークショップを5回開催し、日米のシーズ相互評価に向けた研究協力体制の構築を進めた。国際がんゲノムコンソーシアムICGCへ参画し、がんゲノム国際データシェアリングに貢献した。(③-1)
- ◆ 次世代がん研究シーズ育成プログラム(P-DIRECT)では、研究事業の一環としてNBDCにおいて我が国初の大規模がんゲノム情報データベースの構築と公開を行った。

I (2)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

⑥疾患に対応した研究〈がん〉



評価軸

臨床研究及び治験で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品、医療機器の開発を始めとするがん医療の実用化を加速したか。

令和元年度評価

- ◆ サポート機関による進捗整理とそれに基づく技術支援を通じた包括的リバース・トランスレーショナル・リサーチを推進するため、次世代がん・革新がん両事業のサポート機関が倫理講習会の合同開催などで連携を強化した。(②-1)
- ◆ 革新がん事業のサポート機関で研究開発マップのがん種拡充、研究情報マッピングの英語文献対応など実施。
- ◆ 革新がん事業では、令和2年度一次公募から「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」を新規導入。
- ◆ 革新がん事業で、リバース・トランスレーショナル・リサーチの推進を令和2年度概算要求に盛り込み、令和元年度二次公募若手枠では臨床現場の課題把握やデータ利活用が可能な提案を優先することとし、該当課題を採択した。
- ◆ 次世代がん事業と革新がん事業の研究課題紹介リーフレット集を作成し、数十社の企業関係者に配布した。(②-4)
- ◆ 人工知能をテーマに、他疾患プロジェクトに参加する若手研究者も加わった若手ワークショップを、次世代がん事業、革新がん事業の合同で開催。さらに、若手研究者の海外機関短期研修の派遣人数を拡充(③-2、③-3)

期間実績評価

- ◆ 革新がん事業において新たにサポート機関を設立し、臨床研究・ゲノム研究を含む研究開発課題のデータシェアリングの基盤を構築し、異分野技術の融合を通じたリバース・トランスレーショナル・リサーチを促進するための環境を整備するとともに、倫理講習会の合同開催などで、次世代がん事業サポート機関との連携を強化した。(②-1)
- ◆ 研究成果の企業導出を通し実用化を促進するための取組として、企業向け成果発表会を2回開催するとともに、研究開発課題紹介リーフレット集を企業向けに配布し、個別課題との提携を促す環境を提供した。(③-3)
- ◆ 次世代がん事業、革新がん事業で若手リサーチレジデント83人を採用、若手育成枠101名を採択し若手研究者育成を推進。両事業の若手研究者を中心にAMEDがん若手研究者ワークショップを計5回開催し、のべ166人の若手研究者が参加。さらに、計29人の若手研究者を海外派遣し、国際的に活躍できる若手研究者育成を推進した。(③-2)
- ◆ がん研究の社会的意義について、がん患者を含めた市民の理解を得ることを目的に、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトの合同で市民向け成果発表会を計4回開催した。(③-3)



I (2)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

⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

令和元年度評価

評定(自己評価)

A

PDPSPPOによる適切な研究開発マネジメント、研究者のリソースや情報の共有促進、さらに、関係省庁、有識者、企業と密に意見交換し事業運営方針や事業間連携の加速を図ったことで、①精神・神経分野のライフステージにわたる研究を行い、健康診断でパーキンソン病・認知症のリスク評価、脳情報動態を多色化記録する超高感度カルシウムセンサーの開発、AMPA受容体PET薬剤を用いた疾患横断的診断法の医師主導治験、ひきこもり者支援の国際評価基準の開発等、成果を挙げた。②認知症や精神疾患に関する治験・臨床研究を推進する基盤であるコホート・レジストリの調査、連携強化を図った。また、日本の認知症疾患修飾薬の上市を目指すため、国際共同治験等を促進すべく、AMEDと企業との意見交換を踏まえ、米国プロトコルを踏襲し、国内外のhealthy longevityへの貢献を図った。③IBIやWorld Wide FINGERS等国際的な枠組み連携、ファンディング機関同士の連携に基づくシンポジウムの開催などの国際連携、若手をターゲットとした公募の実施、若手研究者交流会等の交流・人材育成を図った。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① 脳と心の研究における顕著な研究成果事例

事業間連携促進、研究成果の最大化等に向けて取り組み、以下のような顕著な研究成果を挙げた。
①-1 健康診断制度を活用したレジストリを活用し、レビー小体病の前駆症状に関する質問紙調査による簡便な調査でハイリスク者の抽出が可能であることを示した。
①-2 超高感度カルシウムセンサーを開発し、生きたマウス脳の神経活動・シナプス活動ダイナミクスを多細胞種で同時に計測することに成功した。
①-3 AMPA受容体PET薬剤を用いた疾患横断的診断法の開発に向けて、動物を用いた前臨床研究と、健常者とてんかん患者を対象とした臨床研究を実施した。てんかんの病巣(焦点)の診断薬としての薬事承認を目指し、多施設共同で医師主導治験を推進している。
①-4 ひきこもり者を適切に支援するための新しい国際評価基準を開発した。早期介入および国際化するひきこもり現象の対応実現へ大きな成果である。

②-8 革新脳ではマモセット脳の特定の神経回路の操作を目指す研究者への普及を目的としてウィルスベクターを配布する体制を構築し提供している。
②-9 障害事業では、精神疾患レジストリ研究を推進し、国際脳と連携して運用可能なシステムを整備・構築した。

③国際連携、人的交流、人材育成等

③-1 今後のIBIにおけるデータ標準化とデータシェアリングWGの方向性の策定向け、ラウンドテーブルを日本にて開催し、今後の体制や方針についての意見とりまとめを行った。
③-2 2020年2月にMRCと共同シンポジウムをイギリス・エディンバラで開催。最新の研究動向等について日英間においての情報共有、意見交換を行った。MRCと将来的な共同公募可能分野について協議した。

<認知症関連事業の国際連携、人的交流>

③-3 認知症イノベ事業において非薬物の多因子介入による認知機能低下抑制の検証を行う課題においては、この分野の先駆的研究(FINGER研究)に類似する世界各国での研究とWorld Wide FINGERSとして交流を行っている。
③-4 認知症創薬開発を加速するトライアル・レディ・コホートの開始にあたり、グローバル化する製薬企業の意見を踏まえ、海外と連携し、国際共同治験等を促進すべく、米国プロトコルを踏襲した。

② プロジェクトの一体運営と事業運用の改善

<認知症関連事業の一体運営>

②-1 認知症レジストリ/コホートの連携・共有化を目指して、委託調査や課題管理を実施した。
②-2 産官学の連携により認知症創薬開発を加速するトライアル・レディ・コホートを開始し、オンライン上で募集する国内最大規模のプロジェクトを開始した。また製薬協会企業向けの説明会を実施した。海外に遅れることなく日本の認知症疾患修飾薬の上市を目指すため、国際共同治験等を促進すべく、AMEDと企業との意見交換を踏まえ、米国プロトコルを踏襲した。世界的な高齢化社会に伴う認知症の増加が喫緊の課題となるなか、これにより、国内外のhealthy longevityに貢献できる。
②-3 認知症関連コホート、AMEDシンポジウム等で特に被験者リクルート、アウトリーチについて情報共有に務めた。
②-4 認知症イノベ事業においては事業内の各課題のデータマネジメント体制の構築を行う課題を別に設定した。

②-5 国際脳事業においてはデータシェアに向けてMRI脳画像データ取得のためのハーモナイゼーションプロトコルを策定し、本格的な撮像を開始した。
②-6 「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」(改訂版)を一部新規課題より適用開始した。
②-7 革新脳後半5年間のより効率的な実施体制等に向けてPS/POと密に議論し、中核拠点を見直し、非ヒト霊長類神経変性疾患モデル研究等の新規課題公募・採択を行い、研究開発を推進している。

④成果目標達成状況(評価指標)

認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立(臨床POC取得1件以上)	・認知症の早期診断に資する血液バイオマーカーの一部が実用化に進んでいる(アミロイド、タウ蛋白)
日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始	・認知症治療薬に関する臨床試験の実施に向けてとりにくんでいる
精神疾患の客観的診断法の確立(臨床POC取得4件以上、診療ガイドライン策定5件以上)	・臨床POC 5件取組中(1件取組開始)、1件検討中 ・ガイドライン1件策定見込み
精神疾患の適正な治療法の確立(臨床POC取得3件以上、診療ガイドライン策定5件以上)	・臨床POC 4件取組中(2件取組開始) ・ガイドライン1件策定見込み
脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成	・構造マップ、活動マップ作成をすすめている。前頭前野の回路マップは公開のため準備中(次年度公開予定)

I (2)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

⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

期間実績評価

評定(自己評価)
B

PDPSP0による適切な研究開発マネジメント、研究者のリソースや情報の共有促進、さらに、関係省庁、有識者、企業との密な意見交換等のもとで事業運営方針や事業間連携の加速を図ったことなどにより、①精神・神経分野のライフステージにわたる研究を行い、成果を挙げた。②認知症や精神疾患に関する治験・臨床研究を推進する基盤であるコホート・レジストリの調査、連携強化を図り、さらに研究成果を国内外へ提供する体制を構築した。③IBI等国際的な枠組み連携、ファンディング機関同士の連携に基づくシンポジウムの開催、国際会議の開催を実施するなどの国際連携、若手向け公募の実施、若手研究者交流会等の交流・人材育成を図った。基礎研究や創薬を踏まえたコホート研究を通じ、認知症をはじめとした精神神経疾患の基礎から臨床までの研究を管理してきた。認知症についてはさらに社会実装に繋げていく基盤を構築してきた。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	A	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

①脳と心の研究における顕著な研究成果事例
各事業において得られた以下のような顕著な研究成果等をふまえ、今後の事業間連携促進、研究成果の最大化等に向けて取り組んだ。
①-1 質量分析システムを用いて血液からアルツハイマー病変(アミロイド蓄積やp-tau)を超高感度で定量する方法の開発に成功した。
①-2 脳画像指標や表情・視線・声色など臨床的意義の高い指標の定量的評価法を用いて、経鼻投与オキシトシンの自閉スペクトラム症(ASD)治療効果の実証と効果発現機序の解明を進めた。
①-3 小型蛍光顕微鏡を用いて、マーモセット大脳皮質運動野の深部の神経細胞活動を自由行動環境下で計測することに成功した。

②-8 障害事業では、精神疾患レジストリ研究を推進し、国際脳と連携して運用可能なシステムを整備・構築した。

②プロジェクトの一体運営と事業運用の改善
<認知症関連事業の一体運営>
②-1 認知症レジストリ/コホートの連携・共有化を目指して行った委託調査をもとに有識者へのヒアリング、課題管理を行った。
②-2 産官学の連携により認知症創薬開発を加速するトライアル・レディ・コホートを開始し、オンライン上で募集する国内最大規模のプロジェクトを開始した。また製薬協会企業向けの説明会を実施した。
②-3 認知症関連事業について調整費を契機にAMED内横断的に取りまとめ、連携シンポジウム等で情報共有に務めた。また、特に被験者リクルート、アウトリーチについて3省と連携を深めつつ、AMEDシンポジウム等も利用して、情報収集・発信に努めた。

③国際連携、人的交流、人材育成等
③-1 MRC、NIHなどの海外機関や、WDC、IBI、HCP、JPND、IMI等の国際的な枠組みとの連携に積極的に取り組んだ。(1)国際脳中核的組織にIBI等との国際連携を進める体制を構築。(2)国際脳では米国HCP研究者と意見交換。(3)MRCとの共同シンポジウムを3回開催。
③-2 国際脳では若手枠を設け公募を行い12課題採択し、PS、POによる進捗管理等指導の基、若手PI育成を推進した。
③-3 研究者交流会、異分野交流会、海外視察等において、各事業に参画する研究者が自らの研究を発表し、他の研究者と意見交換や情報共有の機会が得られるよう取り組んだ。
③-4 国際脳では国際レビューアを導入し、ヒト脳の経時的縦断的脳画像等の総合的解析研究に係わる公募を行い、2課題採択した。

②-4 国際脳事業を開始し、革新脳事業で蓄積したMRI脳画像を含め、大規模データを一括管理しシェアするための一括管理する体制整備に着手した。また、MRI脳画像データのハーモナイゼーションに向けた取組を推進した。
②-5 「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」(改訂版)を一部の新規課題より適用対象とした。
②-6 革新脳後半5年間のより効率的な実施体制等に向けてPS/POと密に議論し、中核拠点を見直し、非ヒト霊長類神経変性疾患モデル研究、ヒト疾患研究等の新規課題公募・採択を行い、研究開発を推進している。
②-7 ヒト脳疾患の原因究明と治療法開発のためのオールジャパン体制の精神・神経疾患ブレインバンクを構築し、リソースを適切に提供した。

④成果目標達成状況(評価指標)

認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立(臨床POC取得1件以上)	・認知症の早期診断に資する血液バイオマーカーの一部が実用化に進んでいる(アミロイド、タウ蛋白)
日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始	・認知症治療薬に関する臨床試験の実施に向けてとりにくんでおり、トライアル・レディ・コホートを構築した。
精神疾患の客観的診断法の確立(臨床POC取得4件以上、診療ガイドライン策定5件以上)	・臨床POC1件取得済(取組み中5件、検討中2件) ・ガイドライン5件策定済(見込み1件)
精神疾患の適正な治療法の確立(臨床POC取得3件以上、診療ガイドライン策定5件以上)	・臨床POC3件取得済(取組み中4件) ・ガイドライン3件策定済(見込み1件)
脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成	・構造マップ、活動マップ作成をすすめている。前頭前野の回路マップは公開のため準備中(次年度公開予定)

I 2)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

⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>



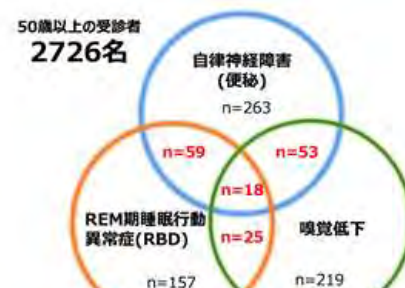
令和元年度評価

①脳と心の研究における顕著な研究成果事例

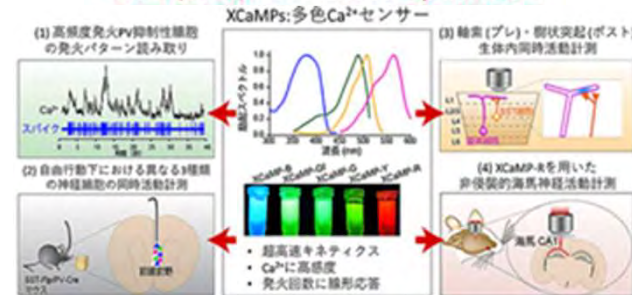
事業間連携促進、研究成果の最大化等に向けて取り組み、以下のような顕著な研究成果を挙げた。

①-1 健康診断でパーキンソン病・認知症のリスクを評価

神経症状を有しないハイリスク者を通常診療で同定することは極めて困難だが、健康診断制度を活用したレジストリを活用し、レビー小体病の前駆症状に関する質問紙調査による簡便な調査でハイリスク者の抽出が可能であることを示した。

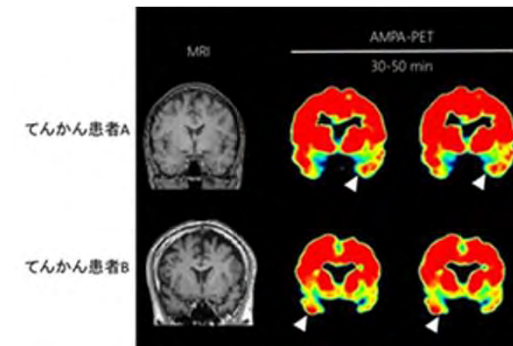


155名 (5.7%) に2つ以上の症状 ➡ ハイリスク者



①-2 脳情報動態の多色化記録を実現する超高感度カルシウムセンサーの開発

神経活動・シナプス活動ダイナミクスを生きたマウス脳で多色HiFi記録することを実現。最高性能の超高速カルシウムセンサーの開発に成功した。5感・行動・記憶などの過程を制御する神経細胞活動の測定技術を飛躍的に進展させ、自閉症等の精神疾患や、てんかんなど神経疾患の病態解明が期待される。



①-3 AMPA受容体PET薬剤を用いた疾患横断的診断法の医師主導治験

ヒトの生体脳内でAMPA受容体を可視化する陽電子断層撮像 (Positron Emission Tomography: PET) 用のトレーサー (化合物:[11C]K-2) を世界で初めて開発し、動物を用いた前臨床研究と、健常者とてんかん患者による臨床研究により、[11C]K-2が生体内でAMPA受容体の特異的に認識していることを証明した。更に、てんかん患者の病巣(焦点)にAMPA受容体の集積を見だし、治療による回復効果のバイオマーカーとしての有効性を示した。

①-4 ひきこもり者を適切に支援するための新しい国際評価基準を開発

これまで、ひきこもり者の回避状態の評価や精神疾患の除外診断が、診断を困難にさせていたが、これらの有無を問わない独自の国際的に通用する病的な「ひきこもり (hikikomori: pathological social withdrawal)」の診断評価基準を開発した。今回の基準により、支援が必要なひきこもり状態にあるかどうかを周囲の観察によりスムーズに判断可能となった。「前ひきこもり」状態を評価基準に加えたことで、ひきこもりの予防や早期支援に向けた新しい支援体制の構築、国際的な実態把握と介入法開発の進展が期待できる。

