

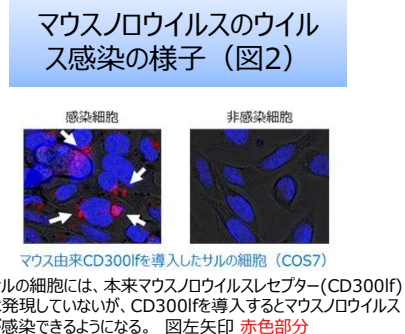
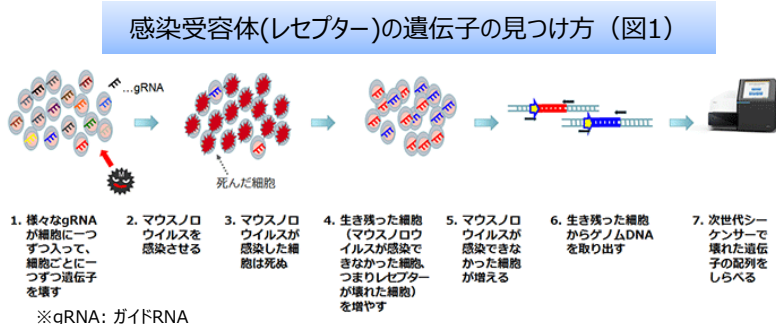
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

期間実績評価

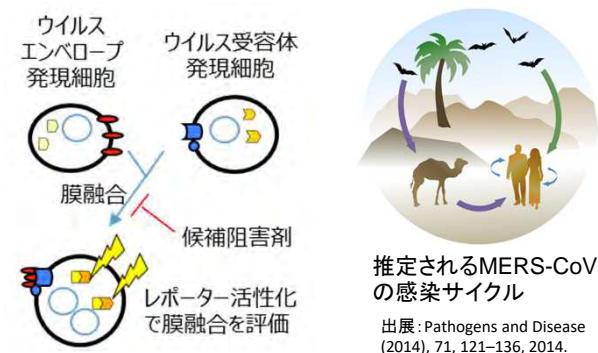
①-9 ノロウイルスワクチンの開発につながるマウスノロウイルス感染受容体(レセプター)の発見

- マウスノロウイルスの感染受容体(レセプター)が、CD300lfまたはCD300ldというタンパク質であることを発見し(図1)、ノロウイルスの感染の仕組みを世界で初めて解明(図2)した。この成果を応用したマウスモデル確立により、ヒトノロウイルス感染に対するワクチンや治療薬開発の加速が期待される。(PNAS 2016 Sep. 26;113(41): E6248-E6255.)



①-10 中東呼吸器症候群(MERS)コロナウイルスの感染阻害剤の同定

- 原因ウイルス(MERSコロナウイルス)の膜融合をウイルスを使用せずに再現し、その候補阻害剤を高効率にスクリーニングできる測定系(右図)を構築した。
- ウイルス感染初期過程を効果的に阻害する薬nafamostatを見出した。(Antimicrob Agents Chemother. 2016 Oct 21;60(11):6532-6539.)nafamostatは既に他疾患で臨床使用されている薬剤であることから、中東呼吸器症候群に対する治療への速やかな応用が期待できる。



①-11 高病原性鳥インフルエンザH5N1ウイルスに対する抗体保有状況の解明

- 2012年より5年間に渡るインドネシア生鳥市場従業員における鳥インフルエンザウイルス感染の疫学調査を行い、H5N1ウイルスに極めて濃厚に暴露している生鳥市場従業員101人のうち84%が陽性だったことが分かり、発症していない感染者が多く存在することが解明された。一方、抗体陽性者の一部から、季節性インフルエンザの遺伝子が検出されたことから、鳥インフルエンザと季節性インフルエンザの混合感染が起きれば、新型ウイルス発生の可能性があることも示唆された。(J Infect Dis. 214, 12 1929-1936, 2016)



インドネシア生鳥市場家禽 高病原性H5N1ウイルス

従業員84%感染 不顕性感染

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

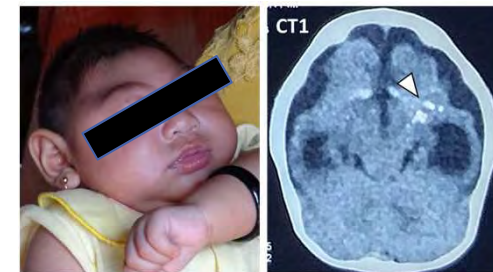
⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>



期間実績評価

①-12 ベトナムにおけるジカ熱の流行とジカウイルス感染に起因する小頭症例の証明

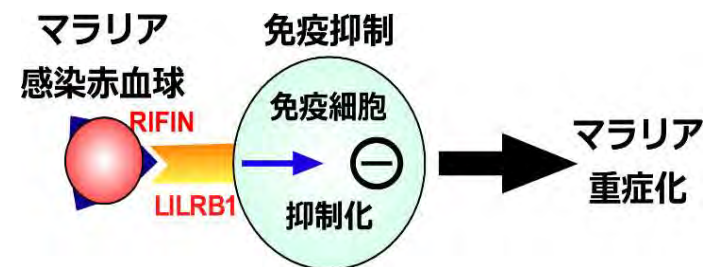
- 2016年3月にベトナム南部におけるジカウイルス感染症の流行を確認し、10月にはベトナム中央高地のDak Lak省で見つかった新生児の小頭症例が血清学的診断結果から東南アジアで最初のジカウイルス感染による小頭症であることを証明した。(The Lancet Infectious Diseases, 2017 Aug;17(8):805-806.)



脳組織細胞石灰沈着

①-13 熱帯熱マalaria原虫のヒト免疫応答抑制による重症化分子メカニズム解明

- マalaria原虫は動物の体内では主に赤血球に感染し、赤血球内で増殖する。熱帯熱マalaria原虫のRIFINというタンパク質が感染した赤血球上に発現し、LILRB1という免疫応答を抑制する受容体に結合することを見出し、さらに、RIFINが熱帯熱マalaria原虫に対する免疫応答を抑制し、その結果、重篤な感染症が引き起こされることを発見した。
- 本研究によって、マalaria原虫には抑制性の免疫受容体(抑制化受容体)を利用して免疫応答を抑えるという新たなメカニズムが存在し、その免疫抑制機構がマalaria重症化に関与していることが世界で初めて明らかになった。(Nature 552:101-105 2017)



①-14 ダニ媒介性脳炎ウイルスによる中枢神経症状発症メカニズム解明

- ダニ媒介性脳炎ウイルスの遺伝子RNAが神経細胞の樹状突起内を新規のメカニズムで移動し、中枢神経症状の発症に影響していることを解明した。このウイルス遺伝子RNA輸送機構を応用し、樹状突起内RNA輸送の障害による中枢神経疾患を治療するための新規ウイルスベクター開発が期待される(PNAS, 114, 37:9960-9965 2017)。

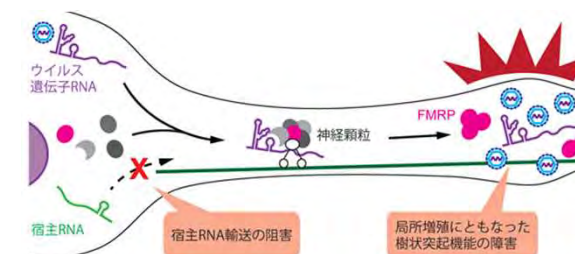


図. 新規のウイルス神経細胞内増殖および病態モデル

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

期間実績評価

①-15 高病原性H7N9鳥インフルエンザウイルスの哺乳類間飛沫感染による感染伝播の証明

- 中国の患者から分離された高病原性H7N9鳥インフルエンザウイルスの特性を解明した。本ウイルスが、哺乳類間で飛沫感染すること及び哺乳類に対して致死的な感染を引き起こすことを明らかにした。この研究によって、本ウイルスに由来するインフルエンザ・パンデミックへの対策が大きく進展することが期待される (Cell Host & Microbe, 22, 5:615-626 2017)。

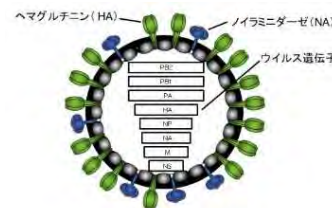


図. A型インフルエンザウイルスの模式図
表面のHAが動物細胞の表面にあるレセプターと結合することで感染が開始される

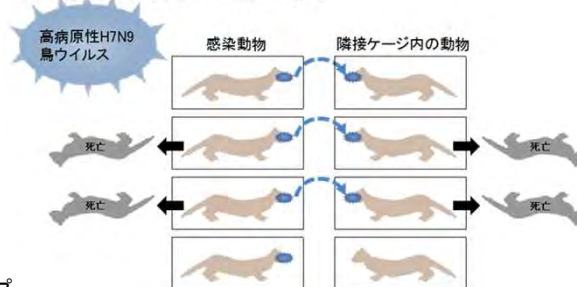


図. フェレットを用いたウイルス感伝播実験

①-16 エボラ出血熱の重症化メカニズムを解明、予後を予測するためのバイオマーカー同定

- 西アフリカのシエラレオネ共和国において、エボラ患者から採取した血液サンプルを用いて、トランスクリプトーム、メタボロミクス、リポドミクス、プロテオミクスなどのマルチオミクス(各種網羅的)解析を行った。エボラウイルス感染後に、死亡した患者と回復した患者における宿主応答を比較解析したところ、エボラ重症患者(死亡者)の体内で起こる組織障害には、腫瘍酵素や、好中球によって誘起された免疫系の異常反応が関与することが示され、エボラ出血熱の重症化メカニズムの一端が明らかとなった。さらに重症患者において特異的な発現パターンを示す宿主因子が同定され、これらの因子は病気の帰結を評価しうるバイオマーカーとして有望であることがわかった (Cell Host & Microbe, 22, 5:615-626 2017)。

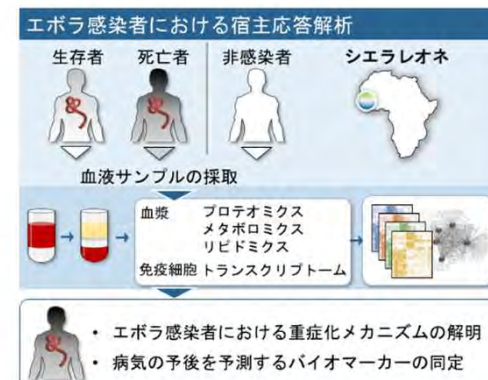


図. エボラ感染者における宿主応答解析

①-17 ヒトロタウイルスのリバースジェネティクスによる人工合成に成功

- 乳幼児に重篤な下痢症を引き起こすロタウイルスについて、ヒトロタウイルスの11本の遺伝子のうち、NSP2とNSP5遺伝子を他の9本の遺伝子の3倍量にして、さらに、ロタウイルス胃腸炎患者便中のウイルスを効率良く分離する技術(高濃度のトリプシン添加と回転培養)を利用することでリバースジェネティクスを構築し、ヒトロタウイルスを人工合成することに成功した。この研究成果により、ヒトロタウイルスの遺伝子を自由自在に改変することが可能となった。自然なヒトロタウイルスの感染、増殖の機構を再現できるため、ヒトに対する安全性に優れた次世代ワクチンや治療薬開発への応用が期待される (Journal of Virology, JVI.02207-18 2019)。



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

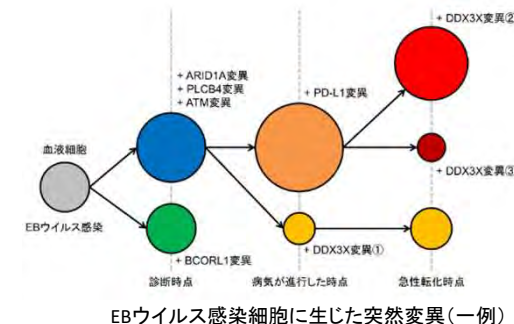
⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>



期間実績評価

①-18 慢性活動性EBウイルスが血液がんを引き起こす仕組みを解明

- 次世代シーケンサーを使った新規臨床データの遺伝子解析によって、慢性活動性EBウイルスが血液がんを引き起こすメカニズムを解明した。発がんの仕組みが明らかにされたことで、様々な合併症を引き起こす難病である慢性活動性EBウイルス感染症の治療法開発の進展が期待される。若手を中核としたチームによる異分野連携に基づく成果の創出 (Nature Microbiology, 平成31年1月21日付)。



①-19 インフルエンザの予防に重要な分泌型IgA (SIgA) 抗体の四量体型SIgA抗体作製技術開発

- インフルエンザの予防に重要な分泌型IgA (SIgA) 抗体について、四量体型SIgA抗体を作製する技術を新規開発し、単量体や二量体、四量体のIgA抗体を人工的に作製することに成功した。本技術を用いることで、SIgA抗体は四量体化すると単量体では不活化できないウイルスも不活化できることが明らかになった。本研究成果により臨床開発の一層の加速が期待されるとともに、本技術は新たな抗体医薬のプラットフォームとしても応用が期待される (PLOS Pathogens., DOI: 10.1371/journal.ppat.1007427 2019)。

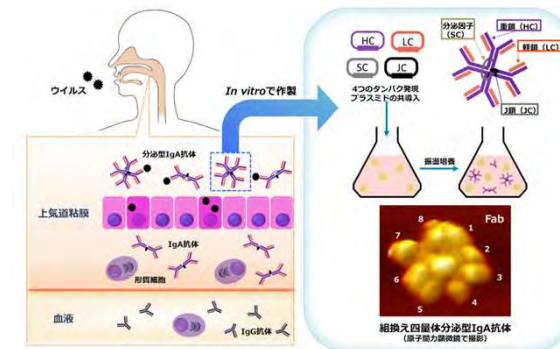
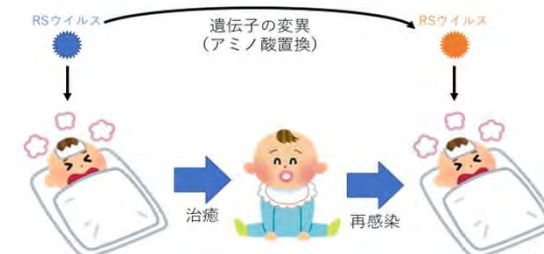


図. 四量体SIgA抗体作製技術

①-22 RSウイルスの抗原タンパクのアミノ酸置換による抗原性変化が、再感染の原因である可能性を示唆

RSウイルス感染症

- フィリピンでの疫学調査によって、RSウイルス (Respiratory Syncytial Virus) に再感染した4名の小児から検出されたウイルスから、抗原タンパク (FタンパクとGタンパク) の特定の部位にアミノ酸置換が見出された。FタンパクとGタンパクのアミノ酸置換により抗原性が変化したウイルスが再感染を引き起こした可能性がある。Fタンパクのアミノ酸置換部位はRSウイルスのワクチン開発等で現在最も注目されている部位であり、抗ウイルス抗体製剤やワクチン等の抗ウイルス効果に影響を及ぼす可能性がある (Journal of Infectious Diseases, 平成30年5月2日付)。



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

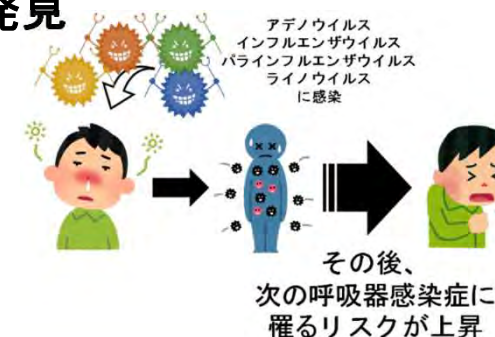
⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

期間実績評価



①-23 特定のウイルスに感染した後、呼吸器感染症のリスクが上昇することを発見

- フィリピンにおいて2014年～2016年の間に約4,000人の小児を対象に、咳や呼吸困難など呼吸器症状を記録し、さらに症状を呈した場合には鼻咽頭ぬぐい液を採取し、遺伝子検査によって存在するウイルスの種類を調べた。その結果、特定のウイルスに罹患したのちに呼吸器感染症のリスクが高まることを見いだした。これまでに知られていなかった呼吸器感染症の危険因子が明らかになった重要な報告であり、より効果的な患者ケアや疾患予防のための公衆衛生的な対策へと貢献することが期待される。(The Journal of Infectious Diseases Vol. 219, Issue 2, 15 January 2019, Pages 197-205)



③-2 感染症研究革新イニシアティブ(J-PRIDE) (2017～2019)における取り組み

～ 日英ワークショップ開催、日英共同研究支援、国際事業SICORPへの橋渡し ～

- 感染症研究革新イニシアティブ(J-PRIDE)は、【拠点形成研究】と【公募研究】の2本の柱で構成され、平成29年度新規事業として開始した。公募研究では229提案から若手研究者の提案を優先的に採択、2017年8月より30課題の支援を行った。強い病原性を持つウイルスやヒトに潜伏・持続感染するウイルス、血液脳関門の破綻を誘導する病原体等によって生じる重症感染症の発症過程と病態を分子レベルで理解し、革新的な医薬品の創出を将来に見据えて、創薬の標的探索につながる基礎からの感染症研究を推進した。
- 若手育成を事業の一つの柱として、平成29年12月に第1回日英ワークショップを英国で開催、平成30年1月には、第2回日英ワークショップを東京で開催した。第2回目は、在京英国大使館の協力を得てAMEDとMRCの共催により実施、日本から12名、英国から12名の感染症研究者が参加した。日英協力の具体的進展を受け、2019年1月の安倍首相訪英後の日英共同声明に、「2017年に署名されたMOCに基づく国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)と英国医学研究会議(MRC)の間の協力並びに特に2019年に開始された感染症及び再生医療分野に関する協働を歓迎する。」との文言が盛り込まれた。
- 具体的な日英共同研究課題に追加支援を行い進捗を確認していく取り組みから感染症分野での日英協力の持続的発展の可能性を見出し、国際事業SICORPの共同公募につなげた。治療薬やワクチン開発を将来に見据えた研究課題の事業間橋渡しとなった。
- 令和2年度にJ-PRIDEがJ-GRIDと発展的に統合される文科新事業の開始に向けて、対策に重きを置く厚労省新興再興感染症事業の研究支援との相補的效果を図り、感染症研究のレベルアップや人材育成を促す基礎研究を重視した公募課題を設定した。



第2回 日英ワークショップ開催



英国医学研究会議(MRC)との協力覚書
(平成29年3月)

ロンドン事務所開所(平成29年2月)

J-PRIDE研究開始(平成29年8月)

日英ワークショップ開催(平成29年12月、2019年1月)

質の高い日英国際共同研究が進行中

SICORP
日英共同公募への橋渡し

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

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

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
<ul style="list-style-type: none"> 得られた病原体(インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌)の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化 	<ul style="list-style-type: none"> 全ゲノムデータベースを利用し、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法の実用化に向けた基盤整備を行い、J-GRIDの最終目標の一つである「国内感染症対策への応用」へ向けて、下痢症感染症およびデングウイルス/媒介蚊データベースを活用する研究課題を2次公募にて追加採択したことにより、データベース構築の強化を促進した。 平成27年及び平成28年度に、国立感染症研究所の研究者及び北海道大学・長崎大学の研究者が研究開発代表者となって各病原体ゲノムデータベース構築基盤の拡充を進めることにより、北海道大学で一部のデータベース(インフルエンザ)について公開することができた。またJ-GRIDの最終目標の一つである「国内感染症対策への応用」へ向けて、下痢症感染症およびデングウイルス/媒介蚊データベースを活用する研究課題を2次公募にて追加採択したことで、データベース構築の強化を促進した。また、耐性菌プラスミドネットワーク解析プログラムについては開発済みで平成28年度に公開した。下痢症およびデングウイルスのゲノムデータベースは国立感染症研究所(GenEpid-J)に集約を開始した。 国立感染症研究所の研究者及び北海道大学・長崎大学の研究者が研究開発代表者となって各病原体ゲノムデータベース構築基盤の拡充を進めることにより、北海道大学で一部のデータベース(インフルエンザ)について公開することができた。 カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノム情報について、大阪大学が国立国際医療センター研究所、国立感染症研究所と連携することによりDNA Data Bank of Japan (DDBJ)に登録を開始し、現在、論文の発表時に順次公開を進めた。 新型多剤耐性菌の新規阻害化合物の探索のため、ゲノムデータベース等を活用し、化合物ライブラリーの中から発見した阻害化合物を解析評価し、より阻害活性が強化された新規化合物を得て、今年度特許出願(国内およびPCT)が完了した。 耐性菌プラスミドネットワーク解析プログラムを開発し公開するに至った。 ジカウイルスについては、LAMP法を用いた迅速診断キットの製造販売承認を平成30年6月に取得した。 コリスチン耐性因子mcr-1を産生するコリスチン耐性株を簡便、迅速に検出する試験法の構築のため、化合物ライブラリーから、MCR-1を阻害する物質を複数見出し、効果について検討を行った。 A群連鎖球菌特異的な増殖阻害剤候補分子を数種類見出した。 腸管出血性大腸菌については、国内サーベイランス体制の強化のため、PCRによる大腸菌血清型(O:H)型別手法の確立を行った。 	<ul style="list-style-type: none"> 全ゲノムデータベースを利用し、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法の実用化に向けた基盤整備を各拠点が連携して展開した。 国立感染症研究所と北大は、サーベイランスで得られたインフルエンザウイルスの塩基配列情報を公開し、相互に利用できる体制を構築した。新潟大はインフルエンザの遺伝子情報を北大のデータベースに追加し、感染研と共有した。さらに、長崎大学は、ベトナムで分離したH5ウイルスをワクチン候補株や抗原性解析に用いるためにベトナムと折衝して、得られた情報は感染研と共有している。また北大はザンビアの野生動物から、得られたウエストナイル及びボレリアウイルスを分離した結果を感染研の病原微生物検出情報(IASR)に報告して、2019年9月にWEB公開した。 カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノム情報について、大阪大学が国立国際医療センター研究所、国立感染症研究所と連携することによりDNA Data Bank of Japan (DDBJ)に登録を開始し、論文の発表時に順次公開を進めた。 新型多剤耐性菌の新規阻害化合物の探索のため、ゲノムデータベース等を活用しつつ、名古屋大学のトランスフォーマティブ生命分子研究所の保有する数万の化合物ライブラリーの中から、阻害化合物を発見し、その特性を生物学的、物理化学的に解析評価し、化合物より阻害活性が強化された新規化合物を得て、今年度特許出願(国内およびPCT)が完了した。 ジカウイルス迅速診断法については、イムノクロマト法を用いた迅速診断キットの開発に向けて令和元年度より海外流行地にて臨床性能試験を実施。製造販売承認申請に向けてPMDA対面助言を準備中。
<ul style="list-style-type: none"> ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請 	<ul style="list-style-type: none"> ノロウイルスワクチンについては、第1世代ノロウイルスワクチンシーズに関する企業とライセンス契約締結(企業導出)が完了し、新たな次世代ノロウイルスワクチンシーズの開発も開始した。 国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチン実用化に向け第I相臨床試験(企業治験)が平成27年10月より開始されるとともに、平成29年度第II相試験が完了し、現在第III相試験を実施中。さらなる成果として、多量体IgA抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した。また、四量体型SigA抗体を作製する技術を新規開発し、単量体や二量体、四量体のIgA抗体を人工的に作製することに成功した。本技術を用いることで、SigA抗体は四量体化すると単量体では不活化できないウイルスも不活化できることが明らかとし、その効果について検証を行った。 インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、PMDA RS戦略相談を経て治験届を提出し、第I/II相臨床試験として治験を開始した。 	<ul style="list-style-type: none"> ノロウイルスワクチンについては、第1世代ノロウイルスワクチンシーズについては、企業導出後、海外における2020年度内の第I相臨床治験に向けて製造準備を進めている。また、次世代ノロウイルスワクチンシーズとして、経粘膜免疫が可能な分子ニードルワクチンと高度弱毒化生ワクチンプラットホームの開発に成功し、それぞれ特許出願を行った。 経鼻インフルエンザワクチンについては、企業導出後、令和元年度7月に企業治験(第III相)が完了し、現在承認申請準備中。また、様々なインフルエンザを防御可能な抗体産生を誘導する万能インフルエンザワクチンを開発。候補ワクチンの実用化に向けて企業と連携し、令和元年11月に医療研究開発革新基盤創成事業(CICLE)にて採択され、支援が開始された。 インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、PMDA RS戦略相談を経て治験届を提出し、第I/II相臨床試験は完了し、現在免疫原性試験を継続中で、今後、被験者の各群を比較解析して、PMDAに第III相試験につき相談する予定。

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>



評価軸

国内外の様々な病原体に関する疫学的調査及び基盤的研究並びに予防接種の有効性及び安全性の向上に資する研究を実施し、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発を一体的に推進したか。

令和元年度評価

・ジカウイルスに対するワクチン第I相企業治験を完了、ならびにイムノクロマト法を用いた迅速診断キットの国内における臨床性能試験を実施した。First in humanでのエボラウイルスワクチンの臨床試験、結核DNAワクチンの多施設医師主導治験を実施した。新規次世代ノロウイルスワクチンの開発、様々なインフルエンザを防御可能な抗体産生を誘導する万能インフルエンザワクチンの開発を推進した。また、社会的緊急性に応じ、新型コロナウイルス感染症に対する診断法、治療薬、ワクチンの開発研究支援を開始した。これらの感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等を一体的に推進したことは高く評価できる。

期間実績評価

・ジカウイルスに対するワクチン第I相企業治験を完了、ならびにLAMP法を用いた迅速診断キットの製造販売承認を取得した。ノロウイルスワクチンの企業導出、経鼻インフルエンザワクチンの企業治験完了(第III相)、およびFirst in humanでのエボラウイルスワクチンの臨床試験、結核DNAワクチンの多施設医師主導治験を実施した。SFTSに対する抗ウイルス薬の医師主導型臨床研究を行った。病原ゲノムデータベース(GenEpid-J)ならびに多剤耐性結核菌ゲノムデータベース(GReAT)の拡充による、薬剤耐性予測機能の高精度化を行った。これらの感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等を一体的に推進したことは高く評価できる。

評価軸

国内外の病原体に関する全ゲノムデータベースの構築に着手することで、病原体情報をリアルタイムに共有し、感染症の国際的なリスクアセスメントを可能としたか。

令和元年度評価

・病原体ゲノムデータベース(GenEpid-J)、国際的な結核データベース(GReAT)の拡充、多剤耐性結核解析ツール(TGS-TB)の改良・公開を行った。病原体ゲノムデータベースでは、薬剤耐性菌ゲノム情報の円滑な情報解析のため、感染症法に規定される35菌種の公開ゲノム情報を収集し、gGENEPIDで一般ユーザーでも閲覧できるよう公開した。ベトナム、中国等においてカルバペネム耐性またはポリミキシン耐性の腸内細菌科細菌の臨床分離株を収集し、全ゲノムまたはプラスミドゲノムの塩基配列を取得し、国内外の分離株との比較解析を実施した。院内感染対策サーベイランス(JANIS)システムについて、WHOサーベイランス(GLASS)に準拠した検体別集計プログラムを開発し、アジア地域の厚生省との連携強化によるJANISシステムの海外展開を推進した。これらの取組みは、感染症流行時の迅速対応に有効なツールとして利用価値が高く、評価できる。

期間実績評価

・ノロウイルスゲノム・耐性菌ゲノムの公開ゲノムデータベース(DDBJ)に登録を開始した。病原体ゲノムデータベース(GenEpid-J)、プラスミド・ネットワーク解析ツール(iPAT)、国際的な結核データベース(GReAT)の拡充、多剤耐性結核解析ツール(TGS-TB)の改良・公開を行った。病原体ゲノムデータベースを利用し、デングウイルスEタンパク質二量体と抗体による複合体の平衡構造、抗体依存性感染増強(ADE)機構の解析を加速させた。また、薬剤耐性菌ゲノム情報の円滑な情報解析のため、感染症法に規定される35菌種の公開ゲノム情報を収集し、gGENEPIDで一般ユーザーでも閲覧できるよう公開した。ベトナム、中国等においてカルバペネム耐性またはポリミキシン耐性の腸内細菌科細菌の臨床分離株を収集し、国内の分離株との比較解析を実施した。院内感染対策サーベイランス(JANIS)システムについて、WHOサーベイランス(GLASS)に準拠した検体別集計プログラムを開発し、アジア地域の厚生省との連携強化によるJANISシステムの海外展開を推進した。これらの取組みは、感染症流行時の迅速対応に有効なツールとして利用価値が高く、評価できる。

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

評価軸

集積された情報を分析することで、重点的なサーベイランスを実施するなど、感染症流行時の迅速な対応の促進を図ったか。

令和元年度評価

・院内感染対策サーベイランス(JANIS)システムについて、WHOサーベイランス(GLASS)に準拠した検体別集計プログラムを開発し、入院外来別、年齢群別、性別、病床規模別、検体種類別に、主な菌種について薬剤感受性試験の結果を集計し、結果を公開した。また、その集計を都道府県単位で行った結果を公開するとともに、国立国際医療センターAMR臨床リファレンスセンターの運用するワンヘルスプラットフォームに提供し、主要な菌と抗菌薬の組み合わせについて耐性率の全国分布を日本地図上に描画することを可能にした。さらに、通常のJANISの集計方法とWHOの集計方法とで結果を比較し、耐性率の集計値の相違は小さいことを明らかにした。これらの集積された情報を分析し、重点的なサーベイランスにより実施された感染症への迅速な対応の促進は高く評価出来る。

期間実績評価

・院内感染対策サーベイランス(JANIS)システムについて、WHOサーベイランス(GLASS)に準拠したプログラムを開発、外来検体の集計・公開を開始した。国内及びアジア諸国から多剤耐性結核菌の分離株及びゲノムデータの収集を行い、結核菌ゲノムデータベース(GReAT)の拡充、結核菌ゲノム情報解析ツール(TGS-TB)の薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。デング熱制御について、デングウイルスEタンパク質二量体と抗体による複合体の平衡構造の解析、抗体依存性感染増強(ADE)の分子機構の解析を加速させた。主要な菌と抗菌薬の組み合わせについて耐性率の全国分布を日本地図上に描画することを可能にした。これらの集積された情報を分析し、重点的なサーベイランスにより実施された感染症への迅速な対応の促進は高く評価出来る。

評価軸

国内の臨床医や若手の感染症研究者の育成を推進するため、感染症研究国際展開戦略プログラム(J-GRID)の海外拠点と国立感染症研究所等で研修プログラムを着実に実施したか。

令和元年度評価

・J-GRIDではガーナ、タイ、インドネシア、ミャンマーおよびフィリピンの各拠点において、日本の医学部学生(26名)、医療センター臨床研修医(4名)に対して、熱帯医学臨床研修を実施した。9月北大にて「アジア・アフリカリサーチフォーラム」を開催し、若手研究者を含む海外9拠点や感染研から研究者が191名参加し研究成果の発表、意見交換を活発に行った。若手研究者8名、リサーチ・レジデント5名の登用支援および雇用を行った。国際レビューア導入に伴い、提案書の一部を英語化した。J-PRIDEでは、全課題による研究成果発表会を開催するなど成果の発信、研究者交流や議論促進の取組を行った。

期間実績評価

・新興再興事業・J-GRID・J-PRIDE合同シンポジウムをAMED主催で開催し、研究者間の連携を推進し、今後のプロジェクト推進・連携基盤の構築に努めた(参加者:約100名)。J-GRIDではガーナ、タイ、インドネシア、ミャンマーおよびフィリピンの各拠点において、継続的に日本の医学部学生等を熱帯医学研修に受け入れた。若手研究者7名、リサーチ・レジデント9名の登用支援および雇用を行った。国際レビューア導入に伴い、提案書の一部を英語化した。J-PRIDEでは、合宿型班会議や全課題進捗報告会、第2回日英ワークショップ、研究成果発表会を開催した。研究者間の交流や連携を図り、今後のプロジェクト推進基盤の構築に努めたことは評価できる。2019年1月安倍首相訪英後の日英共同声明に、「2017年に署名されたMOCに基づく国立研究開発法人AMEDとMRCの間の協力並びに特に2019年に開始された感染症及び再生医療分野に関する協働を歓迎する。」との文言が盛り込まれた。J-PRIDEの日英共同研究支援の取り組みを国際事業SICORPの共同公募につなげ、治療薬やワクチン開発も見据え、若手育成に資する研究課題の事業間橋渡しを行った。

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

評価軸

予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針、ストップ結核ジャパンアクションプラン及び「薬剤耐性(AMR)対策アクションプラン」(平成28年4月5日関係閣僚会議決定)等を踏まえ、病原体の薬剤ターゲット部位を同定すること等を通じ、新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を実施したか。

令和元年度評価

・ジカウイルスワクチンについて、First In Humanにて第I相企業治験を実施した。結核DNAワクチンについて、FIHにて多施設第I相医師主導治験を実施した。エボラウイルスワクチンについて、候補ワクチンの非臨床試験を完了し、FIHにて第I相臨床試験を開始した。第1世代ノロウイルスワクチンシーズについては、企業導出後、海外における2020年度内の第I相臨床治験に向けて製造準備を進めている。次世代ノロウイルスワクチンシーズとして、経粘膜免疫が可能な分子ニードルワクチンと高度弱毒化生ワクチンプラットホームの開発に成功し、それぞれ特許出願を行った。インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチンについては、第I/II相臨床試験を完了し、第III相試験を準備している。第一三共株式会社が収集した臨床分離株11万株の国立感染症研究所への無償譲渡を支援したことは高く評価できる。

期間実績評価

・デングウイルスVLPワクチンが野生型ウイルスに対して抗体応答を惹起することを確認した。重症熱性血小板減少症候群(SFTS)に対する抗ウイルス薬医師主導型臨床研究を行った。天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を複数発見した。最適化合物については構造解析を終了し、特許を出願した。薬剤耐性結核の迅速診断キットの開発と実用化研究において、核酸クロマトグラフィーの技術を応用してイソニアジド耐性菌検出法の基盤技術を確認したことは高く評価できる。

評価軸

2014年5月に採択されたWHOの結核対策に関する新戦略を受け、2020年までに我が国が低蔓延国入りできるよう、結核に関する研究を推進したか。

令和元年度評価

・国際的な結核データベース(GReAT)の拡充、多剤耐性結核解析ツール(TGS-TB)の高精度化を行った。今後の結核低蔓延状況を踏まえて、医療提供体制に関する、結核病床のあり方と医療の質の確保に関する提言の策定、高齢者結核患者支援のための地域包括ケアとの連携、服薬アプリの開発、治療成績の分析を行い、対策の改善につながる知見を得た。外国出生結核患者の対応のための医療通訳等の言語障壁への対応の課題の検討。接触者健診について、台帳システムの構築、感染源患者の周囲への排菌量を定量法の開発、集団感染が疑われる接触者健診の症例を収集し手引き策定を進めた。多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を複数同定し、構造解析を実施し、特許を出願した。イソニアジド耐性菌検出法の基盤技術を確認した。結核DNAワクチンの第I相医師主導治験を開始した。これらの包括的な結核対策の推進は高く評価できる。

期間実績評価

・法務省との連携による刑事施設を対象とした結核対策の研修会を実施し、普及啓発、人材育成に寄与する成果を得た。将来的な結核菌の病原体サーベイランスの全国的体制確立に向けた基盤を整備した。国際的な結核データベース(GReAT)を拡充(5,000株)し、データ公開(約1,300株)を行った。多剤耐性結核解析ツール(TGS-TB)の薬剤耐性予測機能の高精度化を行った。わが国が結核罹患率低下の促進や今後の対策のあり方や検討するための研究開発を推進した。多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を複数発見し、そのうち最適化合物については構造解析を実施し、特許を出願した。イソニアジド耐性菌検出法の基盤技術を確認した。結核DNAワクチンの第I相医師主導治験を実施中。これらの包括的な結核対策の推進は高く評価できる。

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>



評価軸

2020年の東京オリンピック・パラリンピックに向け、感染症サーベイランスの強化に関する研究を促進したか。

令和元年度評価

・麻しんや風しんのサーベイランス体制の構築と維持を行った。麻しんについて排除認定の維持に繋がる取組みを行ったこと、また、リアルタイムに地域のウイルス性呼吸器感染症の発生動向を把握可能なネットワークシステム構築のため、検疫所・地方衛生研究所等と協力し、インフルエンザ、MERS、麻しん・風しん等、ウイルス性呼吸器感染症を引き起こす様々な病原体を同時に鑑別診断可能なLAMP法を基盤とした全自動POC迅速遺伝子検査システムの開発を進めたこと、ポリオならびにEV-D68感染症を含めた急性弛緩性麻痺のサーベイランス体制の構築準備を引き続き行った。北京にてJ-GRID4拠点(東大・北大・阪大・長崎大)による研究成果の進捗報告・意見交換会によるサーベイランスの相互連携を行った。HIV-1Bのインドネシアにおける伝播様式を明らかにした。ベトナム、ハノイ市にまん延する結核菌の特徴を明らかにしたことは高く評価できる。

期間実績評価

・麻しんや風しんのサーベイランス体制の構築と維持を行い、麻しんについて排除認定の維持に繋がる取組みを実施した。リアルタイムに地域のウイルス性呼吸器感染症の発生動向を把握可能なネットワークシステム構築のため、検疫所・地方衛生研究所等と協力し、インフルエンザ、MERS、麻しん・風しん等、ウイルス性呼吸器感染症を引き起こす様々な病原体を同時に鑑別診断可能なLAMP法を基盤とした全自動POC迅速遺伝子検査システムの開発を進め、更に、海外の大学・研究機関とも連携を行った。ポリオならびにEV-D68感染症を含めた急性弛緩性麻痺のサーベイランス体制の構築準備を引き続き行った。J-GRIDでは、海外から本邦へ輸入される可能性のある感染症について、各海外拠点へのPS、PO、AMED職員によるサイトビジットを実施し、サーベイランス強化のための4大疾患(インフルエンザ、AMR、デング熱、下痢症感染症)の基盤的研究やコホート調査の推進を行った。抗結核薬候補物質の同定、多剤耐性結核菌迅速診断法の開発、特定のウイルスの感染後の呼吸器感染症に対するリスク上昇に関する発見、RSウイルス再感染の原因の特定、近隣国からのインドネシアへのロタウイルス株の伝播様式の解明、ロタウイルス分離株の遺伝子全ゲノム解析による非定型ウイルス株の成立・流行の要因およびワクチンの影響の解明、ジカ熱の流行とジカウイルス感染による小頭症の関連性の確認など、顕著な成果を上げた。これらの取り組みは高く評価できる。

評価軸

高度安全実験施設を中核とした感染症研究拠点を活用する、危険性の高い病原体等の治療法、ワクチン等の研究開発を推進したか。

令和元年度評価

・高度安全実験施設を中核とした感染症研究拠点形成支援を通して、危険性の高い病原体等の治療法、ワクチン等の研究開発に向けて感染症研究のレベルアップを図り、BSL4施設稼働後を見据えた準備研究としての成果創出も目標に対して着実に進捗したこと、感染症分野の若手人材育成を促進したことは高く評価できる。

期間実績評価

・高度安全実験施設を中核とした感染症研究拠点形成支援を通して、危険性の高い病原体等の治療法、ワクチン等の研究開発に向けて感染症研究のレベルアップを図り、BSL4施設稼働後を見据えた準備研究としての成果創出も目標に対して着実に進捗したこと、感染症分野の若手人材育成を促進したことは高く評価できる。

(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



⑨疾患に対応した研究<難病>

令和元年度評価

評定(自己評価)

A

希少・未診断疾患や難病に対する研究開発においては、迅速に研究成果を治療へと結びつけることが重要となる。本年度は①-1 デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対し、NS-065/NCNP-01(核酸医薬)が承認を了承されている。また、①-2 Step2(医師主導治験)課題では2課題が本年度内に医師主導治験のデータ解析を達成し、この結果により承認申請に向けて大きく進展することになる。①-3 更に、iPS細胞モデルにて見出された治験薬による「進行性骨化性線維異形成症」の治験では24週時点での評価で安全性に問題なく長期投与に移行しており、iPS細胞創薬という革新的な医療開発を推し進めている。②-1 未診断疾患イニシアチブ(IRUD)では診断ネットワークは490施設へ拡充するなど取り組みを更に活性化させており、解析実績は4658家系(令和元年9月時点)を達成している。これによる新規疾患関連遺伝子の発見は29件(累計)と計画を大幅に上回り、②-2 IRUD beyondとしてもモデル生物コーディネーティングセンターにより103の未知遺伝子の機能解析が進行(2019年12月)する等、特筆すべき成果をあげている。加えて難病プラットフォームでは研究班へのレジストリ構築支援が多数行われ、企業連携へのマッチングも開始されている。また、課題管理に関しても半年毎の進捗状況調査によるタイムリーな研究支援や、②-4 評価委員や科学技術調査員の拡充・利活用による質の高いステージゲート評価等を実施している。③-1 加えてMatchmaker Exchangeを通じた海外とのデータ共有、③-2 国際レビューアを活用した公募、③-3 HAM患者に対する国際共同治験も順調に進捗しており、国際連携への取組みも進んでいる。③-4 評価の高かった若手研究者への教育研修も規模と内容を拡充して開催した。希少難病領域では、ゲノム等の基礎研究から核酸医薬、遺伝子治療等への疾患研究を事業として連携させることで、AMEDとしての触媒機能を果たしてきた。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希少難治性疾患に関する顕著な成果の創出
PSPOによるサイトビジットを含む積極的な課題管理等を通じて下記のような成果の最大化を達成した。

- ①-1デュシェンヌ型筋ジストロフィーにNS-065/NCNP-01(核酸医薬品)が薬事・食品衛生審議会医薬品第一部会で承認了承(令和2年2月28日)
- ①-2 家族性地中海熱(川上班)及びALS(梶班)に関する治験が被験者登録及び最終評価を完了し、いずれも本年度内にデータ解析を実施予定
- ①-3 iPS細胞モデルによる創薬である「進行性骨化性線維異形成症」の治験が進捗中であり、24週時点で安全性、逸脱等の懸念はなく順調に継続中

②成果創出を支える環境整備や事業運用改善

- ②-1 28のCIRB実施許可施設を含めて全国を網羅する診断ネットワークは490施設となり、通常診療で診断が困難な患者の解析実績は累計で4,658家系となる(2019年9月末)
- ②-2 NBRPと連携したモデル生物コーディネーティングネットワークにより103の未解明遺伝子の機能解析が進行中
- ②-3 難病プラットフォームにて40以上の研究班にレジストリ構築支援を実施し、企業連携を希望する研究班にはマッチング支援を開始
- ②-4 ステージゲート毎に必要な専門家を疾患やフェーズ等の専門領域にて評価委員、科学技術調査員として拡充し、最適な査読割りを実施するシステムを用いて質の高いステージゲート評価等を実施

③国際連携、研究者育成等に資する活動

- ③-1 国際的な情報共有システム(Matchmaker Exchange)を通じて表現型・候補遺伝子名を共有等、国際協力等を推進し、2疾患の確定診断(論文準備中)を達成するとともに、IRDiRCの加盟機関総会に参加のうえIRDiRC Goal2027の取組みに協力
- ③-2 一次公募にて若手研究者枠を設定し国際レビューアを活用した公募を実施
- ③-3 HAM患者を対象とした国際共同治験は進捗、成績(盲検下レビュー)とも順調で早期終了に向けPMDA相談を予定(令和2年3月13日実施)
- ③-4 若手研究者を対象とし、企業で取り組むビックデータ創薬、アカデミアの基礎研究から承認取得の実例等、研究者に必要な知識に対する教育講演を実施

④ 成果目標達成状況(評価指標)/令和二年3月時点の達成状況

④-1	新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大 (目標 令和元年度までに11件以上)	7件
④-2	欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始	1件
④-3	未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見(目標 令和元年度までに5件以上)	29件

(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

⑨疾患に対応した研究<難病>



期間実績評価

評定(自己評価) S	患者の多くが未だ治療がない、もしくは診断さえつけられていない希少・未診断疾患に対する研究開発においては、迅速に研究成果を治療へと結びつけることが重要となる。①令和元年度中に7件の薬事承認を達成し(1件は薬事・食品衛生審議会医薬品第一部会での了承取得)している。更に本年度中に2件の医師主導治験が解析予定である。また、 医師主導治験が23件で今後も新規治療法の実用化について着実な進捗が期待される。 また、iPS細胞モデルにて見出された治験薬による開発は「進行性骨化性線維異形成症」、「萎縮性側索硬化症(ALS)」の治験が順調に進捗している。②未診断疾患イニシアチブ(IRUD)において CIRBの活用や35の大学病院に診療科横断的診断委員会を設置する等、 全国の大学病院、地域中核病院を含む全国を網羅する490施設による大規模ゲノム観察研究を円滑に遂行した。 また、 解析実績は累計4,658家系となり(2019年9月)、半年以内に解析結果を返却する取り組みを実施した。 また、 難病プラットフォームでは40を超えるレジストリー構築支援が実施され、新たに企業連携のマッチングを開始する等、データシェアリングの環境整備は更に加速している。 課題管理に関しては研究内容と評価委員の専門性を合致させる査読割付システムを開発・導入し、ステージゲート評価に必要な専門性を有する評価員等も拡充した。また、効果的かつ効率的な課題管理が可能になる「Risk & Impact based approach to management」を導入した。更に保有する開発パイプラインの最適化をPSPO会議で分析、協議し、その結果に基づき公募を設計している。③IRDIRCの第6回加盟機関総会を東京で開催し新 10か年目標の策定に貢献した。この一環として、症例の国際的な情報共有(Matchmaker Exchange)のConnected Nodesに正式にIRUDが登録され日本国内での検討のみでは確定診断に至らなかった事例についても国際連携を推進した。また、IRUD Beyond(Beyond diagnosis/Beyond genotyping/Beyond borders)を設定し、遺伝子編集技術を用いた医療開発や、 モデル生物を用いた診断成功率の向上、 海外への情報発信を含む国際連携を進めている。加えてHAMIに対する国際共同治験でKPIを達成済みだが、更に「Global Eye Genetics Consortium」の設立も達成し、症例・ゲノム情報登録による国際共同臨床研究も予定されている。 未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子等の発見はKPI 5件に対して既に29件と著しい成果を出しており、今後も新たな発見が続く予定である。 以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて特に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。	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間	
		自己評価	S	S	A	A	A	S	S
		主務大臣評価	S	S	A	A		A	

- ①希少難治性疾患に関する顕著な成果の創出
PSPOによるサイトビジットを含む積極的な課題管理や企業連携の啓発等を通じて下記のような成果の最大化を達成
- ①-1 下記7件の薬事承認取得(薬事・食品衛生審議会医薬品第一分科会での承認の了承含む)
ラパマイシン(LAM)、HAL医療用下肢タイプ (SMA、ALS等)、サンコンKyoto-CS(SJS、TEN)、チタンブリッジ(痙攣性発声障害)、タウリン散98%「大正」(MELAS)、ナノピア®LRG(体外診断薬)、NS-065/NCNP-01 [viltolarsen](デュシェンヌ型筋ジストロフィー)
- ①-2 開発後期として豊富なパイプラインを構築
薬事承認を目指すシーズ探索 73件、医師主導治験準備 9件、医師主導治験 23件[申請準備中案件は4件以上]
- ①-3 iPS 細胞モデルを駆使したiPS細胞創薬
革新的な手法にて候補化合物見だし、進行性骨化性線維異形成症及び萎縮性側索硬化症(ALS)への治験が進行中

(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



⑨疾患に対応した研究<難病>

期間実績評価

①希少難治性疾患に関する顕著な成果の創出

- ①-4 ゲノム編集を用いた革新的な遺伝子治療による視覚再建
遺伝子変異の「正常化」を可能にするゲノム編集を用いた遺伝子治療の単一ウイルス化に成功し、治療の対象にならなかった網膜色素変性を含む他の遺伝病性疾患に対する遺伝子治療の開発への道を開いた。
- ①-5 遺伝子にできたDNAの傷を効率よく修復する仕組みを解明
DNA修復の開始には2型RNA合成酵素を構成するRBP1蛋白質の1268番目のリジン残基のユビキチン化修飾が必須であることを明らかにし、転写に関する基礎研究のほか、老化に関連する様々なヒト疾患の病態解明や治療薬の開発への貢献が期待される。
- ①-6 腎移植によるHAM発症の危険性を報告
腎移植におけるHTLV-1感染症の危険性に関し調査し、HTLV-1感染ドナーからの委嘱は高頻度にHTLV-1感染するだけでなく、移植数年度にHAMを発症する危険性があることを明らかにした。

②成果創出を支える環境整備や事業運用改善

- ②-1 IRUDにおけるCIRBの活用と診断ネットワークの構築
35の大学病院に診療科横断的診断委員会を設置する等、大学病院、地域中核病院を含む全国490施設の診断ネットワークを構築。
- ②-2 IRUD Exchangeを用いた情報共有(2019年12月時点)
IRUD登録患者情報(標準化臨床情報(HPO)、遺伝学的情報)を登録し、情報共有を通じて4,400以上の解析を実施するなど国内における代表的な登録先としての地位を確立。
- ②-3 IRUDによる解析実績(2015年7月~2019年9月)
診断確定数 1,584家系、遺伝学的解析による診断率43.8%、IRUD解析センターにおける解析実績 4,658家系という著しい成果を達成。
- ②-4 NBRPと連携したモデル生物コーディネーティングネットワーク
IRUD Beyondとして臨床研究者とモデル生物の研究者を連携させることで、103の未知遺伝子の機能解析が進行中。
- ②-5 難病プラットフォームによるデータシェアリングの推進
40以上の研究班に対しレジストリー構築支援を達成し、新たに企業連携のマッチング支援も開始。

②成果創出を支える環境整備や事業運用改善

- ②-6 先進的な課題評価及び課題管理方法の採用
リスク分析に基づく課題管理や、研究内容と評価委員の専門性を合致させるマッチングシステムの実装や分科会の設置等により質の高い課題評価ができる体制を構築した。

③国際連携、研究者育成等に資する活動

- ③-1 国際コンソーシアムであるIRDIRCへの参加・協力
IRDIRC Goal2027への貢献は勿論、Matchmaker Exchangeにて国内での検討では確定診断に至らなかった事例の登録等、未診断疾患に関する国際連携を進めた。
また、海外のDBを利用することで通常診療では困難であった既存難病の診断が可能になるとともに、日本のデータにより海外での診断が可能となった。
- ③-2 IRUDの成果を更に発展させるための方策の実施
IRUD Beyond(Beyond diagnosis/Beyond genotyping/Beyond borders)を設定し、治療開発や国際連携等について加速させ、NAN・BYO RESEARCHを構築のうえ日本と各国との共同開発の加速を含め国内の研究成果の国際展開を念頭に、Springer Nature社と提携し難治性疾患実用化研究事業及びIRUDの研究成果を世界に発信した。
- ③-3 遺伝子治療、細胞治療をテーマにした国際シンポジウムの開催
「AMED Gene & Cell Therapy Symposium」として、米国、シンガポールからKOLを招聘し、遺伝子治療(in vivo遺伝子治療)と細胞治療に関する公開シンポジウムを開催し、本領域におけるサイエンスと医療実装に関する議論を実施した。(国際事業部と連携)
- ③-4 評価の国際化による高質化
一次公募にて若手研究者枠を設定し国際レビューを活用した公募を実施した。
- ③-5 国際共同研究(MRCT)の推進
HAMに関するMRCTの継続や、Global Eye Genetics Consortiumの構築によりMRCTの基盤を設立した。
- ③-6 若手研究者育成のための教育企画
若手研究者(班員含む)に対する教育講演を含むPSPO進捗ヒアリングを実施した。

④ 成果目標達成状況(評価指標)/令和二年3月時点の達成状況

④-1	新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大 (目標 令和元年度までに11件以上)	7件
④-2	欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始	1件
④-3	未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見(目標 令和元年度までに5件以上)	29件

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

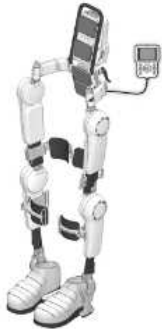
⑨疾患に対応した研究<難病>

令和元年度評価

期間実績評価

①-1 薬事承認の取得

緩徐進行性の
神経・筋疾患患者



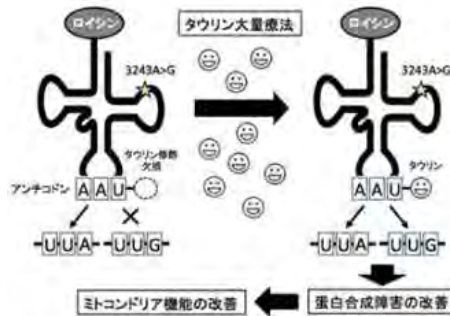
HAL医療用下肢タイプ

リンパ脈管筋腫症



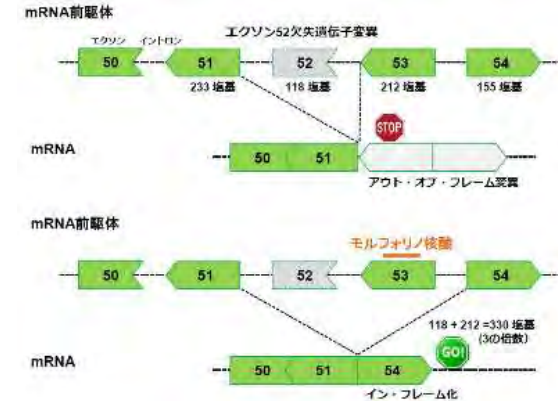
ラパマイシン

MELAS



タウリン散98%「大正」

デュシェンヌ型筋ジストロフィー (令和元年度実績※)



NS-065/NCNP-01 (viltolarsen)

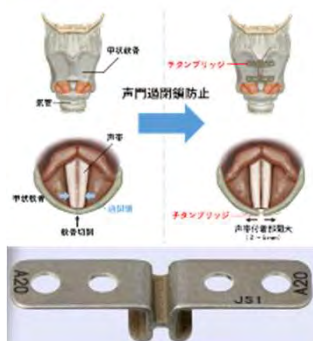
※ 医薬品第一部会で承認を了承(令和二年2月28日)

SJS及びTENの眼後遺症



サンコンKyoto-CS

内転型痙攣性発声障害



チタンブリッジ

炎症性腸疾患



ナノピア®LRG
(体外診断薬)

①-2 豊富な開発パイプライン、開発支援基盤の構築 (令和元年度実績)

課題枠	課題数
病態解明研究	35
薬事承認を目指すシーズ探索研究 (ステップ0)	73
治験準備 (ステップ1)	9
治験実施 (ステップ2)	23
診療に直結するエビデンス創出研究	52
オミックス解析拠点	9
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 (IRUD: Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases)	1
IRUD Beyond (beyond genotyping, beyond borders)	2
情報集約基盤構築研究 (難病プラットフォーム)	1