

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

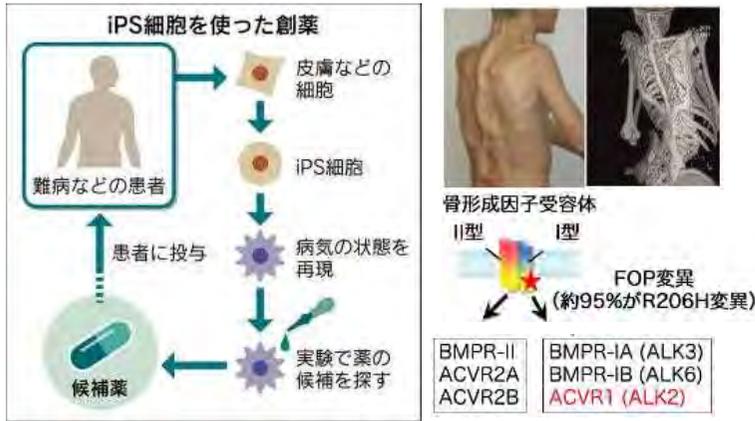
⑨疾患に対応した研究<難病>

令和元年度評価

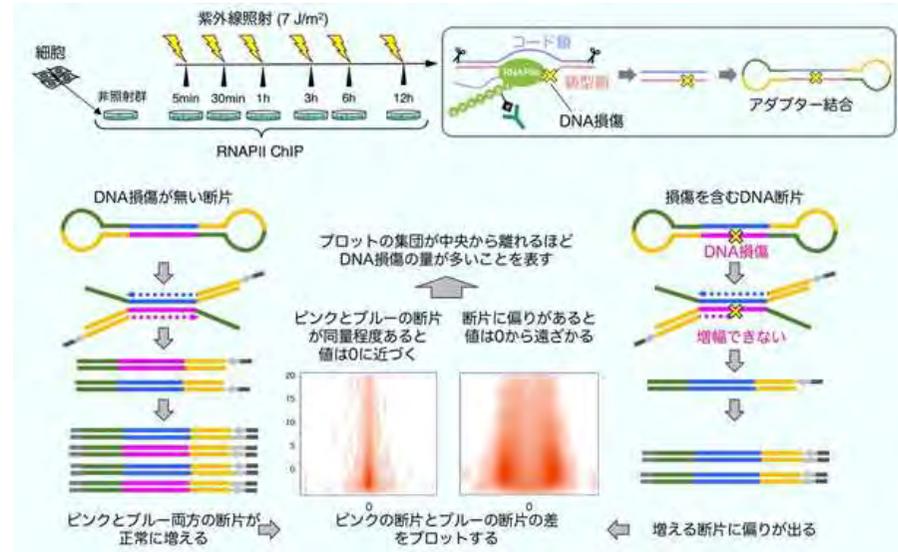
期間実績評価

①-3 iPS 細胞モデルを駆使したiPS細胞創薬 (令和元年度実績)

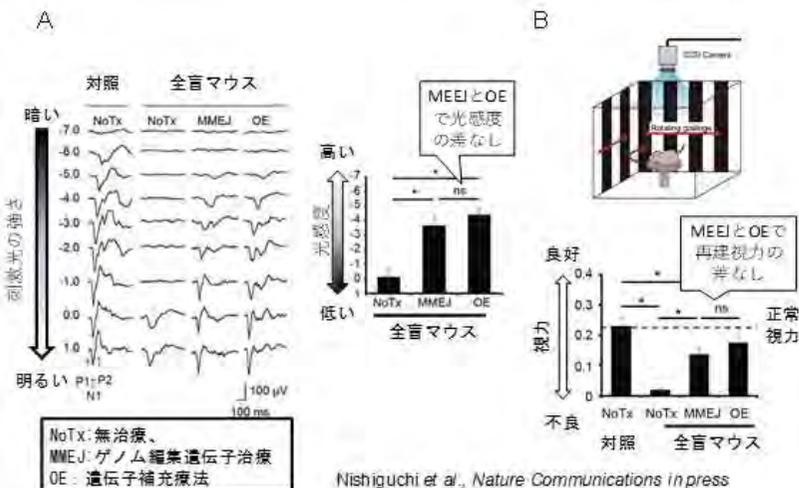
進行性骨化性線維異形成症



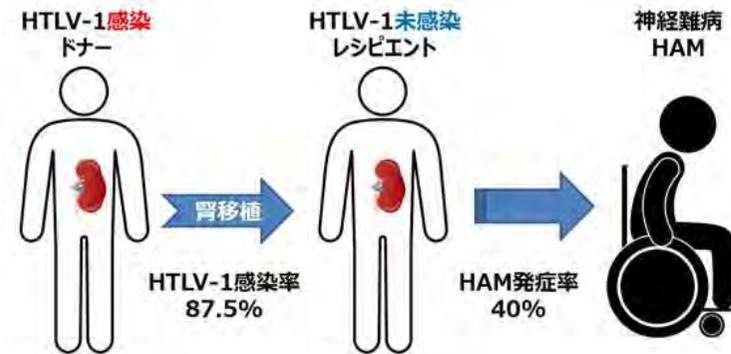
①-5 遺伝子にできたDNAの傷を効率よく修復する仕組みを解明(令和元年度実績)



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(令和元年度実績)



①-6 腎移植によるHAM発症の危険性を報告



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

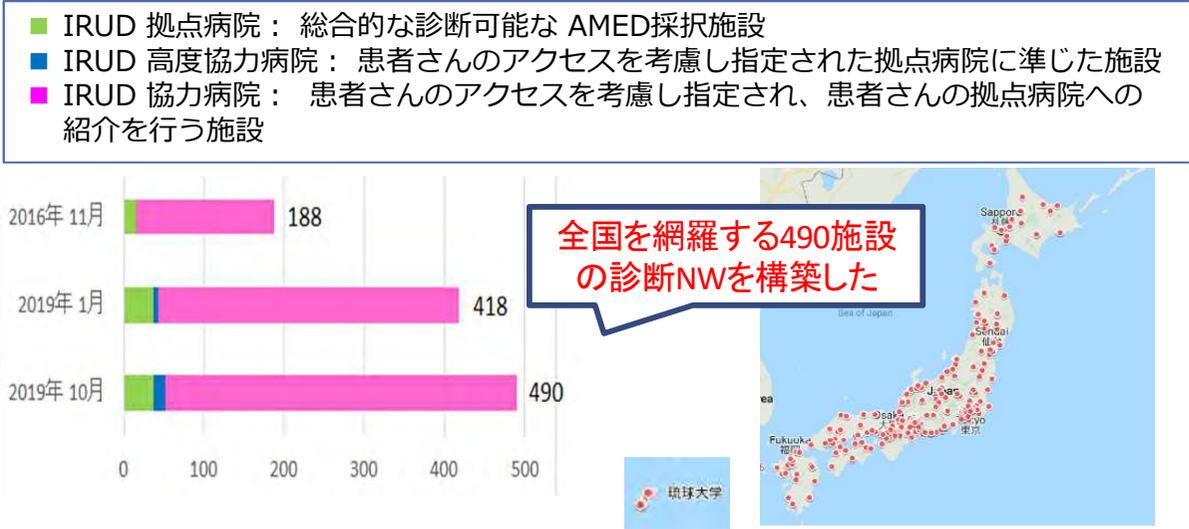
⑨疾患に対応した研究<難病>



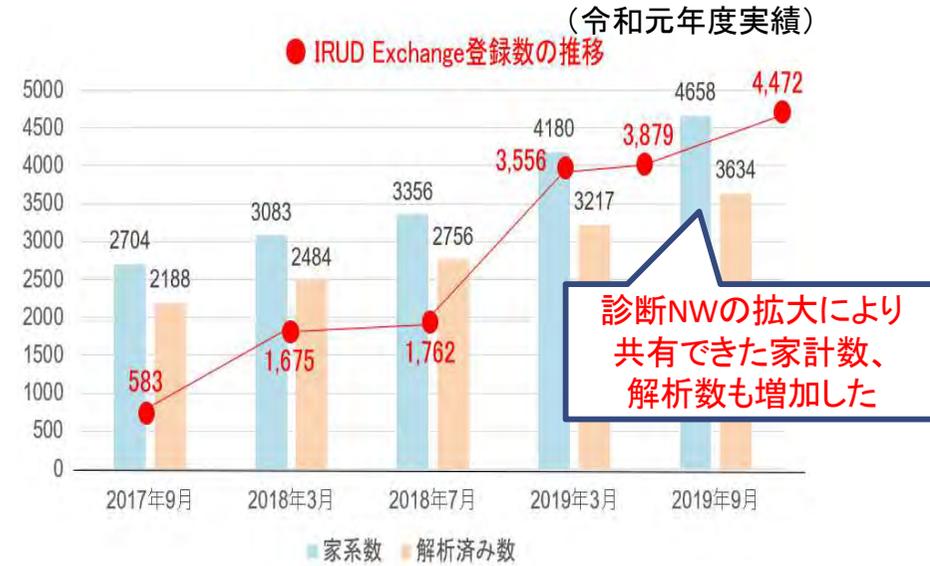
令和元年度評価

期間実績評価

②-1 IRUDにおける全国を網羅する診断NW (令和元年度実績)



②-2 IRUD Exchangeを用いた情報共有



②-3 IRUDによる解析実績

新規疾患の発見 29疾患 (うち13疾患はOrphanet登録済)

診断確定数 (注1) 1,593家系

いずれにも該当しない疾患

2019年9月	225	722	646	0
2019年3月	111	630	543	0
2018年7月	49	330	425	212

遺伝性指定難病 全196疾患・823原因遺伝子 (ミトコンドリア病は除く)

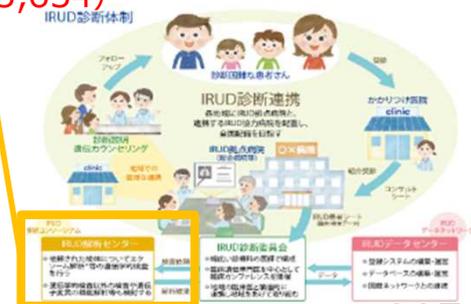
Orphanet (注2) 収載希少疾患 (全6,172疾患・5,454原因遺伝子) (2019年10月時点)

データシェアリングにより疾患の分類が拡充することで、青枠の遺伝性指定難病又は赤枠のOrphenet収載の何れかにて診断がつく疾患が増加した(2019年3月以降「いずれにも該当しない疾患」は0であった)

診断確定 (注1) 1,593

遺伝学的解析による診断率 (診断数/解析実施数) 43.8% (1,593/3,634)

IRUD解析センターによる解析受入れ実績 4,658家系



(注1) IRUD解析センターにおける遺伝学的解析により、診断確定に必要な解析結果を提供した数。
(注2) Orphanet: 希少疾患とオーファンドラッグに関する情報を提供するリファレンスポータル。約40カ国が加盟するコンソーシアムにより運営され、フランスのINSERM (フランス国立保健医学研究所) チームが統括。 <https://www.orpha.net>

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

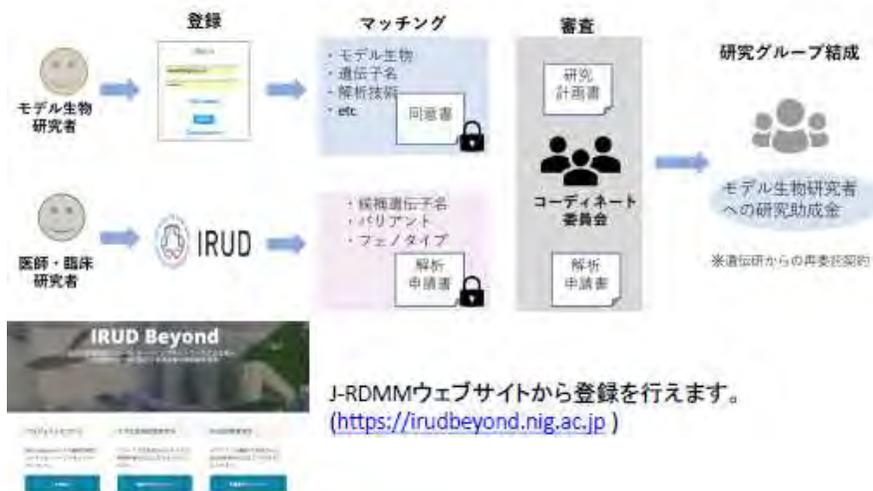
⑨疾患に対応した研究<難病>



令和元年度評価

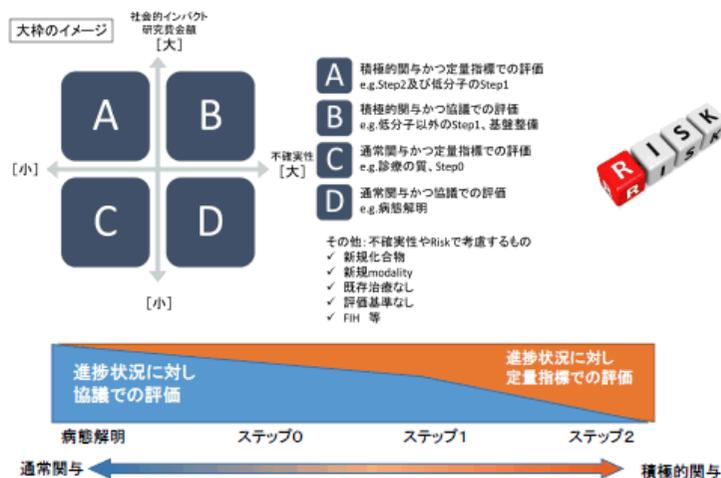
期間実績評価

②-4 モデル生物コーディネーティングネットワーク (令和元年度実績)



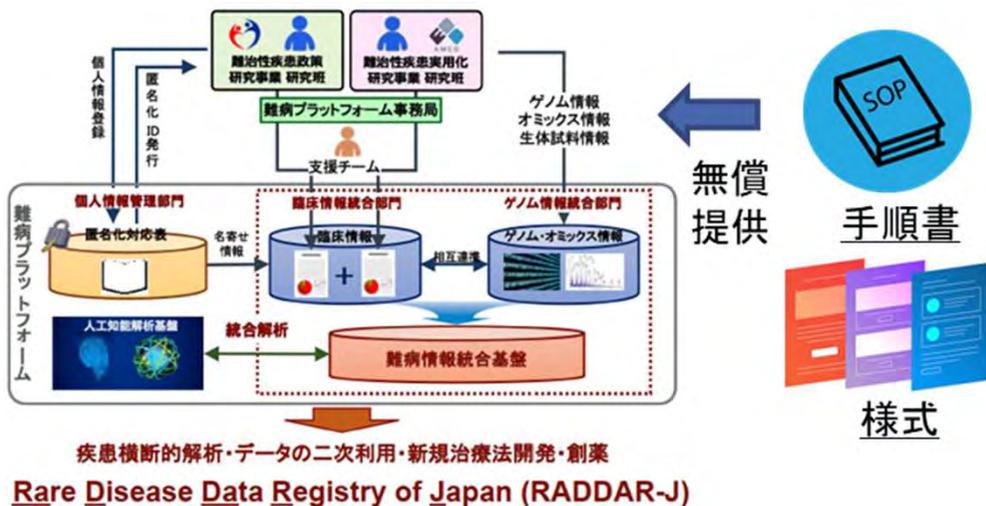
②-6 高質な課題管理のための業務運用改善(令和元年度実績)

-Risk & Impact based approach to management-



研究費の規模や社会的インパクト、開発上の懸念や問題の予想可否 (Risk)により分類し、課題管理の時期や関与度合いを最適化するとともに、指標も定量的又は定性的な手法を使い分けた

②-5 難病プラットフォームによるレジストリー構築支援 [データシェアリングの推進] (令和元年度実績)



分科会設置による専門性を生かした評価 (令和元年度実績)



公募毎に専門性を有する評価員や科学技術調査員を拡充し、専門性毎に分科会を設置の上、システムにより評価領域の最適化を実施した

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

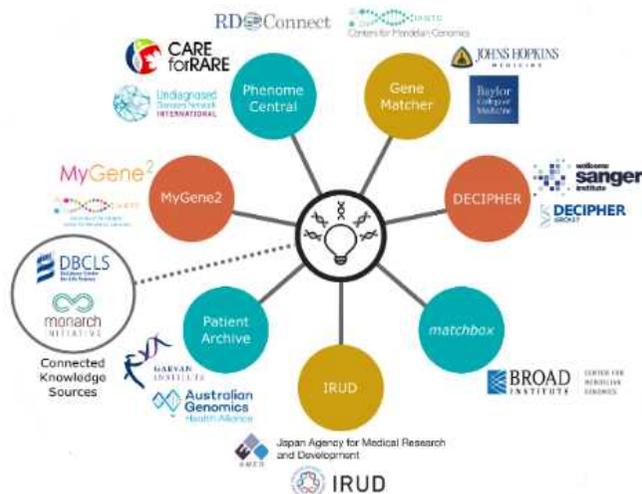
⑨疾患に対応した研究<難病>



令和元年度評価

期間実績評価

③-1 Matchmaker Exchangeを通じた表現型・候補遺伝子名の共有



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**: 包括的診断体制の全国配置 → 診断から治療等への機渡し
- Beyond genotyping**: 次世代シーケンサーを含めた革新的検査の活用 → 診断成功率のさらなる向上
- Beyond borders**: 海外とも共有可能な臨床情報データベースの確立 → さらなるデータシェアリング等による国際連携

NAN-BYO RESEARCH
Drug trial brings hope for treating virus-linked spine disease

③-3 IRUDの成果を更に発展させるための方策の実施

Gene & Cell Therapy Symposium – 遺伝子・細胞治療シンポジウム –

2020
2.22 [SAT] 13:00 - 18:10
受付開始 12:30 / レセプション 18:30-19:30
日本橋ライフサイエンスビルディング 2階 201 大会議室

参加無料

Speakers:

- Prof. James M. WILSON (ペンシルバニア大学)
- Ms. Monique MOLLOY (ペンシルバニア大学)
- A/Prof. John CONNOLLY (シンガポール ASTAR)
- 末松 誠 (日本医療研究開発機構 理事長)
- 須田 年生 (AMED プログラム・コーディネーター)
- 鳥田 隆 (AMED 難病治療研究推進事業 遺伝子・細胞治療研究開発)
- 珠玖 洋 (AMED 難病治療研究推進事業 細胞治療研究開発)

③-4 国際レビューアを活用した公募

(令和元年度実績)

(Form-2) R&D Proposal (Rare/Intractable Disease Project, AMED FY2019)

1.1 Outline of R&D project

1. Title of proposal	2. Objectives of the proposal (scientific or medical objectives (drug research))
3. R&D period	4. Status of R&D (Progress/Strategies)
5. R&D team	6. Research high-impact or many applicants
7. Number of patients seeking this target disease	8. Multiple 1) Objective 2) Uniqueness 3) Feasibility of accomplishment 4) Anticipated accomplishments
9. Address, department and position of R&D Principal Investigator	10. Address, department and position of R&D Principal Investigator
11. Target disease	12. Address, department and position of R&D Principal Investigator
13. Research high-impact or many applicants	14. Address, department and position of R&D Principal Investigator
15. Multiple 1) Objective 2) Uniqueness 3) Feasibility of accomplishment 4) Anticipated accomplishments	16. Address, department and position of R&D Principal Investigator

③-5 国際共同研究の推進

Global Eye Genetics Consortium

Launch of GEGC at ARVO 2018

World map showing member countries:

- Australia
- Argentina
- Bangladesh
- Brazil
- Canada
- Chile
- China
- Dominican Republic
- India
- Indonesia
- Iran
- Israel
- Japan
- Malaysia
- Mexico
- Nepal
- New Zealand
- Netherlands
- Oman
- Pakistan
- Philippines
- Saudi Arabia
- Singapore
- South Korea
- Sri Lanka
- Taiwan
- Thailand
- Turkey
- UAE
- UK
- USA

<http://geg.org>

③-6 若手研究者を対象とした教育講演

(令和元年度実績)

2019年9月5日 PAGE試験の結果がNEJMに掲載
— 厚労省でプレス発表

Inhaled GM-CSF for Pulmonary Alveolar Proteinosis

MULTICENTER, DOUBLE-BLIND TRIAL

GM-CSF	Placebo
64 Patients with mild-to-moderate autoimmune PAP	64 Patients with mild-to-moderate autoimmune PAP
1.25 µg inhaled twice daily for 7 days, then every 2 wk	1.25 µg inhaled twice daily for 7 days, then every 2 wk
Change in alveolar-arterial O ₂ gradient at 25 wk	Change in alveolar-arterial O ₂ gradient at 25 wk
-4.50 ± 9.03 mm Hg	0.17 ± 10.50 mm Hg

Press conference photo showing researchers and officials.

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

<成果目標達成状況> ※ I (2)①~⑨のみ

KPI【令和元年までの達成目標】	① 令和二年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
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	累計 7件	医薬品1件
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	HAM患者を対象とした国際共同治験において急速進行群は目標例数8例を完了し、緩徐進行群は40例中28例を登録し、早期終了(解析)についてPMDAと相談中。* 令和二年3月時点	新規投与開始4例 ※盲検下レビューにて推定に用いた標準偏差より十分小さい値であることから、緩徐進行群についても集積した28例で解析可能として早期終了をPMDAと協議中
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を5件以上達成	累計29件(論文発表等での公開)	14件 <ul style="list-style-type: none"> ・痙性対麻痺、知的障害、脳形成異常を持つ新規奇形候群:MAPK8IP3 ・大頭症+胸郭変形+知的障害:AFF3遺伝子 ・West症候群:FGF12重複遺伝子 ・Noonan症候群:RRAS2遺伝子 ・乳幼児てんかん+知的障害:NSF遺伝子 ・特異顔貌+知的障害:CNOT2遺伝子 ・intellectual disability,epilepsy and autism:SETD18遺伝子 ・短縮型SMC1A変異関連難治性てんかん:SMAC1遺伝子短縮型変異 ・Noonan症候群:MRAS遺伝子変異 ・Cole-Carpenter症候群:SEC24D遺伝子 ・Severe apnea and sick sinus 症候群:MECP2遺伝子 ・early childhood-onset type 1B diabetes:KLF11遺伝子 ・global developmental delay with seizures:CSNK2A1/CSNK2B遺伝子 ・OFD syndrome:IFT172遺伝子

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>



評価軸

希少・難治性疾患(難病)の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進とともに、未診断疾患に対する全国規模の診断体制を構築するための研究を推進したか。

令和元年度評価

- 前ページ等のSL-1、①-1等を参照のこと

期間実績評価

- KPIである新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大については7件を達成(1件は薬事・食品衛生審議会医薬品第一分科会での承認の了承)している。更に現時点で23件の医師主導治験、9件の医師主導治験準備、73件の薬事承認を目指すシーズ探索研究といった豊富なパイプラインを構築した。治験を終了し今後は企業による承認申請を待っているものも4件以上あり、承認取得済みの課題についても欧米への承認申請等、更なる発展が期待できる。
- 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については既にHAMの国際共同治験(山野班)によりKPIを達成済みである。その他、遺伝性網脈絡膜疾患(岩田班)においては「Global Eye Genetics Consortium」を設立し、症例・ゲノム情報登録による国際共同臨床研究が準備中である。
- 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についてはKPI 5件を大幅に超える29件を登録済みである。

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

⑩健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

令和元年度評価

評定(自己評価)

A

①複数学会主導の臨床画像データベースを構築:臨床画像の関連6学会が主導する画像データベースの連携データ集積システムを構築。その際、国立情報学研究所が参画し、同研究所が構築・運営する学術情報ネットワークSINET5を活用して、より均質性の高いデータを集積する取組を行うことで、世界で類を見ない学会連携のDB基盤の仕様が定まった。これにより、AIによる診断・治療支援のための基盤構築が加速された。②革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST、PRIME、LEAP)においては、PSPOを中心としたマネジメントを行い、革新的な医療につながるものが期待されるシーズを創出した。AMED-CREST新領域において海外レビューを導入し、101件の提案を39名のAMEDレビューアが査読した。また成果展開促進のため、ヒト検体を用いた疾患絞込み等を行うFORCE事業を開始した。LEAPの成果最大化を図るため、臨床・応用研究者とのマッチングシステムを導入して選考を実施し1件を採択した。③疾病に対応した研究では、生活習慣病、腎疾患、免疫アレルギー疾患、エイズ対策及び肝炎対策などの各分野において研究成果を挙げ、④産学連携医療イノベーション創出推進プログラム(ACT-M)において薬事承認の取得等、着実に実用化に向けた成果をあげるなど、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複数学会主導の臨床画像データベース構築及びAI実装に関する研究

- 国立情報学研究所が主体となり画像関連6学会をとりまとめ、かつ学会主導データベース(DB)構築の研究を推進したことで、我が国の医療の質の向上・均てん化・診療支援に資する公益性が高く、悉皆性のある臨床画像データ等のDBの構築及び8,000万枚の構造化された画像情報を蓄積し、学会ごとのAIの開発を推進させた。
- 学会共通の課題解決を目的とした会議を複数回開催し知識を共有するとともに、知財や個人情報に関する専門家の講義を通じて研究者の理解向上を図る等、コンサルティングを交えつつ研究管理。
- 6学会の学術集会、日本医学会や医療情報学会にてAMED理事長や当事業PS/POが研究内容を紹介するとともに、画像データ基盤構築に関わるセッションを開催するなど、各学会内部への周知にも取組。
- 日本病理学会が構築した福島県遠隔病理診断ネットワークを活用したAI診断システムの検証実験を実施した。
- 日本消化器内視鏡学会と国立情報学研究所の共同で内視鏡検査時の見落としを軽減するシステムの開発を行った。

②革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST、PRIME、LEAP)

- ②-1 画期的シーズの創出・育成をより一層進めるため、LEAP事業において申請者とAMED他事業の臨床・応用研究者との共同提案を促すマッチングシステムを導入し、採択を実施。
- ②-2 主としてマウスを対象とした実験から得られた優れた基礎研究成果を他の疾患別事業等へ展開することを促進するため、ヒト検体サンプルを用いた対象疾患の絞り込み等を行うための新たな取組(FORCE)による研究開発を開始。
- ②-3 AMED-CRESTの令和元年度公募において、3領域中2領域に国際レビューアを導入し選考・採択を実施。令和2年度公募は全3領域への導入を実施。

②-4 革新的先端研究開発支援事業からは、Cell等に掲載されるインパクトの高い基礎研究成果を継続的に創出。

③疾病に対応した研究(生活習慣病等)

- 脳卒中を含む循環器系疾患、糖尿病、腎疾患、呼吸器系疾患などの生活習慣病、免疫アレルギー疾患、筋・骨・関節疾患、感覚器系疾患、泌尿器系疾患等の多岐にわたる疾患等に係る研究
- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、心筋DNA損傷の程度を定量評価することで、心不全患者の予後や治療応答性を高精度で予測する手法を開発した。糖尿病性腎症のバイオマーカーとなるマイクロRNAや糖尿病性腎症による尿細管障害のバイオマーカーとなるDNAメチル化異常を同定した。
- 腎疾患実用化研究事業では、開発パイプラインを意識した課題管理をするなど事業運用の改善を行い、C-メガリンが小児有熱性尿路感染症患者における腎瘢痕の診断マーカーとして有用である可能性を見いだした。
- 免疫アレルギー疾患実用化研究事業では、カビによる肺の組織線維化に至るメカニズムを解明し、新たな治療標的候補を同定した。アスピリン喘息に対する無作為化二重盲検プラセボ対照クロスオーバー試験により、ドラッグリポジショニングにつながる知見を得た。
- 移植医療技術開発研究事業においては、便微生物移植を用いた消化管GVHDに対する画期的な治療法に関する技術開発や、臓器移植における抗体関連拒絶反応に関連するB細胞の抑制につながる薬剤開発に向けての臨床研究を推進した。
- 慢性の痛み解明研究事業においては、脳関門を通過する新たな核酸医薬の開発、心理社会的要因の影響の分析等、慢性の痛みの病態解明や治療法の開発等に向けた取り組みを推進した。

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

⑩健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

③疾病に対応した研究(生活習慣病等)

■ エイズ及び肝炎対策に資する研究

- 【エイズ事業】効率的な課題の進捗管理を行うため、成果報告会等を開催し、最新の成果を把握した。HIVが宿主の防御システムから逃れるメカニズムの解明や、HIVの根治療法の解析と評価のための新規HIV感染霊長類モデルを新たに作成するなどの成果が得られた。また、現行のHIV薬による日本人に対する腎傷害、骨密度への影響を研究した。
- 【肝炎事業】効率的な課題の進捗管理を行うため、成果報告会等を開催し、最新の成果を把握した。C型慢性肝炎の治療効果に影響する宿主及びウイルス要因の同定や、B型肝炎ウイルスの生活環経路の制御メカニズムの解明、創薬シーズの同定などの成果が得られた。また、A型及びE型肝炎の大規模かつ網羅的な臨床データの収集と分析を行い、感染実態・動向を明らかにした。公募に若手枠を設け、国際レビューアによる査読を実施した。
- 【共通】知的財産部や創薬戦略部、産学連携部などと連携し、研究代表者からの知財相談や企業への導出に係る相談を積極的に受け、特許出願、企業とのマッチングなどのアドバイスを行った。

■ 感覚器障害をもつ人やその家族の生活支援、社会参加、就労移行支援などを促進するための研究

- 日本に約170万人と推定される視覚障害の人口のうち9割以上はロービジョンで、主に文字の読み困難を生じる。これまで適した補助具の選定が複雑であったが、これを解消する、新たな読書評価基礎技術を開発し、iPad等に導入するアプリの開発に着手している。

■ 終末期における高齢者への適時適切な医療や介護の提供に係る研究

- 長寿科学研究開発事業では、医療や介護の現場から集計されたビッグデータを用いて、高齢者がどのように終末期を迎えて病死及び自然死に至るのかという経時的な変化を類型化する課題を開始した。

■ 老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

- 研究推進・支援拠点では、解析支援64件を実施し、研究開発拠点の研究を支援促進するとともに、リトリートを開催し、各拠点の進捗報告や海外の動向等の情報共有、意見交換等を行い、拠点間連携を深め、事業全体の研究促進を図った。さらに、研究推進会議や国内の老化関連研究機関との意見交換会議等を開催し、今後の事業の発展や老化研究の発展に向けた取組を行った。

- 研究成果として、幹細胞競合による恒常性維持機構の疲弊による皮膚の老化メカニズムの解明(個体・臓器老化研究拠点・東京医科歯科大学)や老化臨界期を決める体内機構の解明(老化機構・制御研究拠点・東京大学)等の研究成果が著名な論文雑誌に掲載されるなど、健康寿命延伸に向けた応用展開へ期待される成果が得られている。

④産学連携医療イノベーション創出推進プログラム(ACT-M)、研究成果最適展開支援プログラム(A-STEP)

- ACT-Mの平成27年度採択課題「プロジェクションマッピングによる近赤外画像の可視化とリアルタイムナビゲーションによる手術システムの開発」の研究成果に基づき、三鷹光器株式会社、京都大学、パナソニック株式会社がプロジェクションマッピングの技術を応用した手術支援システムを開発し、2019年11月20日にクラスII医療機器の製造販売承認を取得した。
- ステラファーマ株式会社は、A-STEPの開発課題「ホウ素中性子捕捉療法に用いるホウ素薬剤」の成果に基づいた、ホウ素中性子捕捉療法(以下BNCT)用ホウ素薬剤を開発し、2020年3月25日に「切除不能な局所進行又は局所再発の頭頸部癌」を効能・効果として製造販売承認を取得した。

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

⑩健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業



期間実績評価

	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	

評定
(自己評価)

A

①AIによる診断等の支援も視野に、世界に類を見ない**複数学会主導の医療画像データのデータベース構築**等に関する研究を推進した。6学会とともに国立情報学研究所が構築・運営する学術情報ネットワーク**SINET5**を活用して、より均質性の高いデータを集積する取組を行った。②**革新的先端研究開発支援事業**では、インパクトの高い成果が多数創出されるとともに、事業運営においても国際連携の成果から事業領域の設定など積極的な改革を行った。③**成育疾患克服等総合研究事業(BIRTHDAY)**、女性の健康の包括的支援**実用化研究事業(Wise)**の合同シンポジウムで提唱された**ライフステージに応じた健康課題の克服**という構想を展開させ、政府方針とも合致し、成育分野の研究の充実を図った。④**疾病に対応した研究**では、**糖尿病性網膜症の新規治療薬、iPS再生腎臓、食物アレルギーの新規治療法、エイズ及び肝炎対策等の成果が多数創出され**、⑤**産学連携医療イノベーション創出推進プログラム(ACT-M)**、研究成果最適展開支援プログラム(A-STEP)でも、薬事承認の取得等、着実に実用化に向けた成果をあげるなど、基礎研究から実用化までを推進し患者へ成果を届けるというAMEDのミッションに貢献した。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複数学会主導の臨床画像DB構築及びAI実装に関する研究

- ▶ 日本消化器内視鏡学会、日本病理学会、日本医学放射線学会、日本眼科学会、日本皮膚科学会及び日本超音波医学会をとりまとめ、学会主導データベース(DB)構築の研究を推進したことで、我が国の医療の質の向上・均てん化・診療支援に資する公益性が高く、悉皆性のある画像等DBの構築及び質の高い教師付データの充実が促進された。
- ▶ 更に、これらの6学会に対して、研究開始時点から密な相互連携を義務づけ、AMED主体で立ち上げた連携会議で共通する課題を抽出し解決を図るとともに、国立情報学研究所が参画し、同研究所が構築・運営する学術情報ネットワークSINET5を活用して、より均質性の高いデータ集積システムを構築し、各学会のDB間の情報連携が可能となるような仕様が定まった。
- ▶ なお、集積されたデータを効率的かつ有効的に活用できるよう、次世代研究基盤構築に関する研究や、診療・研究目的のAI開発のための基盤整備に関する研究開発を並行して行った。
- ▶ これらの取組により、AIによる診断・治療支援のための基盤構築が加速され、世界的競争力を持つ日本発の医療用AI研究開発の速やかな発展に繋がることが期待される。

②革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST、PRIME、LEAP)

- ④-1 業務の効率化をより一層進め、顕著な成果をAMED他事業の応用研究へと主体的に繋げる仕組みを構築すべく、全プログラムのPS、POが一堂に会する全体会議において制度横断的また領域横断的な議論を行い、領域会議を研究者主導で実施すること等事業運営の変革に取り組んだ。LEAPについても選考方法の見直しなどを検討し、令和元年度より新たな方法での選考・採択を行った。

- ④-2 主としてマウスを対象とした実験から得られた優れた基礎研究成果を他の疾患別事業等へ展開することを促進するため、ヒト検体サンプルを用いた対象疾患の絞り込み等を行うための新たな取組(FORCE)による研究開発を開始した。
- ④-3 国際水準の事前評価を行うため、AMED-CRESTにおいて国際レビューアの導入を平成29年度より検討。平成30年度は試行的に公募3領域中1領域へ導入し、令和元年度は2領域に拡充。さらに、令和2年度採択に向けた公募(令和2年3月24日開始)は全3領域へ適用した。これらを通じレビューアの探索から依頼までの仕組みを構築、AMED全体への導入へ繋がるモデルケースとなった。
- ④-4 革新的先端研究開発支援事業においてインパクトの高い成果を創出した。

③「ライフステージに応じた健康課題の克服」構想に基づく基礎研究基盤の強化

- ▶ 成育疾患克服等総合研究事業(BIRTHDAY) および女性の健康の包括的支援**実用化研究事業(Wise)**について、医療分野研究開発推進計画に追加されたライフステージに応じた健康課題の克服という視点等により、少子化やライフステージを踏まえた研究支援につなげるための取り組みを実施し、さらに平成30年度の調整費も活用して研究を加速した。
- ▶ 成育疾患克服等総合研究事業では、小児・周産期の疾患に関する病態解明、新たな予防・診断・治療・保健指導の方法の開発や標準化等といった研究を実施した。女性の健康の包括的支援**実用化研究事業**では、女性がより良い生涯を送るために必要な健康を提供できるような社会創成を目的とし、女性の生涯を通じた健康や疾患について、病態の解明と予防および治療に向けた研究開発とその実用化を支援した。

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

⑩健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業



④疾病に対応した研究(生活習慣病等)

■脳卒中を含む循環器系疾患、糖尿病、腎疾患、呼吸器系疾患などの生活習慣病、免疫アレルギー疾患、筋・骨・関節疾患、感覚器系疾患、泌尿器系疾患等の多岐にわたる疾患等に係る研究

- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、心不全患者の予後や治療応答性に関与するマーカー、糖尿病腎症の発症・重症化に関与する複数のバイオマーカーを同定した。
- 腎疾患実用化研究事業では、ステージゲートを利用した課題管理を導入し、C-メガリンが糖尿病性腎症進展のマーカーであることを同定し、創薬に向けた研究開発を進めるなど、複数の成果を得た。
- 免疫アレルギー疾患等実用化研究事業では、1件の新規外用剤の製造販売承認に至った。国際レビューアーの導入をした。
- 移植医療技術開発研究事業においては、便微生物移植を用いた消化管GVHDに対する画期的な治療法に関する技術開発や、臓器移植における抗体関連拒絶反応に関連するB細胞の抑制につながる薬剤開発に向けての臨床研究を推進した。
- 慢性の痛み解明研究事業において、新たな核酸医薬を開発した。

■エイズ及び肝炎対策に資する研究

- 【エイズ事業】エイズ事業では、HIVの複製および再活性化に関する新たな知見を得た。新たなターゲットに作用する抗HIV薬のシーズも複数見いだされ、また、根治療法を目指した基盤研究が推進された。また、抗体誘導型ワクチンに関する研究も進捗され、HIV感染症の予防、治療に期待ができる顕著な成果をあげた。
- 【肝炎事業】肝炎事業では、HCV排除後の肝線維化・肝発がんに関する研究が推進された。肝炎ウイルス治療薬に関して、複数のスクリーニング系の開発やシーズの同定を行った。また、HAV、HEVの動向調査やHBVの再活性化の実態解明により、ガイドラインに供する知見を得た。

■身体機能障害の代替・回復やリハビリテーションに資する新しい開発研究

- 障害者対策総合研究開発事業では、末梢前庭障害に伴うめまい・平衡障害に対する新規治療機器が完成し、医療機器開発推進研究事業に移行し、2019年度から薬機法承認を目指す医師主導治験を開始した。

■終末期における高齢者への適時適切な医療や介護の提供に係る研究

- 長寿科学研究開発事業では、高齢者の多疾患併存と介護給付費との関連など医療・介護レセプト等のビッグデータの情報連結を進め、高齢者における複数の慢性疾患併存の社会的影響を明らかにした。

■老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

- 研究推進・支援拠点では、解析支援を各年度において研究ニーズを踏まえながら支援を拡充し、研究開発拠点の研究を支援促進するとともに、革新的先端研究開発支援事業の支援も開始した。またリトリートやシンポジウム、市民公開講座等を開催し、事業内外の連携を促進し、事業全体の発展と老化関連研究の発展に向けた取組を行った。
- 研究成果としては、肝臓傷害時に脳からの自律神経による信号が緊急的な肝臓再生を促進する仕組みの解明(個体・臓器老化研究拠点・東北大学)や血管の防御機構の解明(個体・臓器老化研究拠点・大阪大学)、またオートファジー制御による寿命延長機構の解明(老化機構・制御研究拠点・大阪大学)等、新たな老化メカニズムの解明・制御機構を見出し、健康寿命延伸に向けた応用展開が期待される成果が得られている。

⑤産学連携医療イノベーション創出推進プログラム(ACT-M)、研究成果最速展開支援プログラム(A-STEP)の推進

- 平成28年度採択課題「機能性タンパク質シルクエラスチンを用いた新規医療材料の開発および臨床研究」において、平成30年2月から12月まで医師主導治験を実施し、本課題で開発した材料の安全性が確認された。京都大学と三洋化成工業(株)は、シルクエラスチンの水溶液が37℃でゲル化するという特徴を利用して、創傷治療材としての開発研究を行い、難治性皮膚潰瘍の治療を促進する材料であることを動物実験で確認した。これまで、難治性皮膚潰瘍の治療には、適度な湿潤環境を維持、細菌感染などの増悪因子を助長させない治療が求められ、そのためには日々の処置が欠かせず負担が大きかったが、本課題の実用化により、日常の負担軽減が見込まれる。

他に、ACT-Mにおいては3課題が臨床試験に進んでおり、本事業により着実に実用化に向け前進している。

- (株)ジーシーは、A-STEPの研究開発成果について、国内では初めて歯科用インプラントの周囲を含む領域でも使用可能な人工骨「ジーシー サイトランス グラニュール」として開発し、薬事承認(平成28年12月14日)された。骨再建術においては、安全面・治療効果の面から自家骨の移植が優先されているが、自家骨移植は侵襲度が高く、負担が大きい。人工骨である他家骨、異種骨は安全面での課題、合成骨は治療効果の面での課題があるとされてきた。九州大学は、骨の無機成分である炭酸アパタイトを焼結行程無しで顆粒状に成形する合成法を確立し、その技術シーズを(株)ジーシーが人工骨として実用化することに成功した。本課題の成果については、日本オープンイノベーション大賞(Japan Open Innovation Prize (JOIP))選考委員特別賞を平成31年2月に受賞し、同年3月に授賞式が行われた。

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

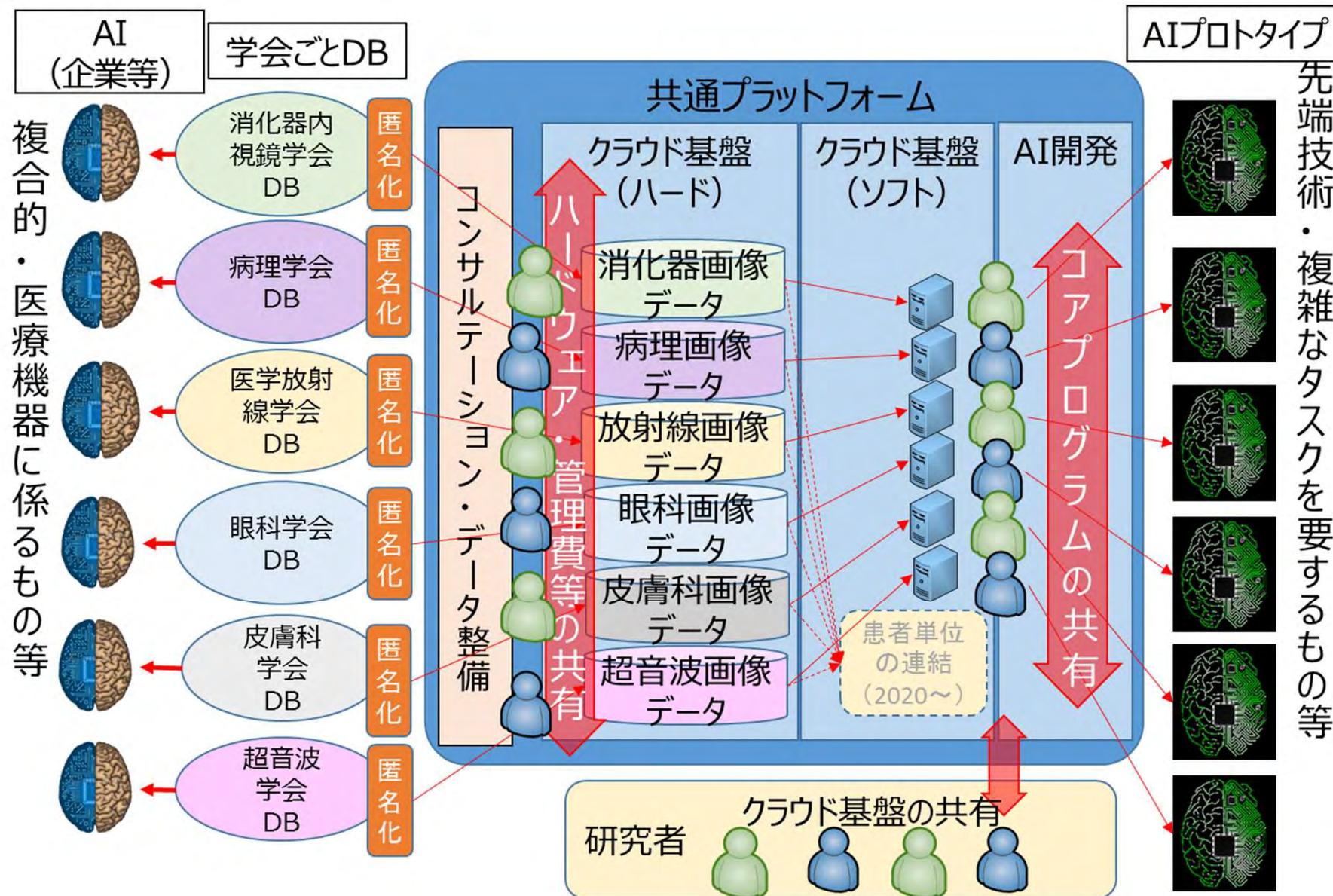
⑩健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

①学会主導の画像データベース構築等に関する研究

<臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業>

令和元年度評価

期間実績評価



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

⑩健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業



①学会主導の画像データベース構築等に関する研究

<臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業>

令和元年度評価

期間実績評価

令和2年2月末

学会	放射線	内視鏡	眼科	病理	超音波	皮膚科
画像枚数	87,813,254	66,855	129,847	85,530	234	157,277
施設数	5	5	15	20	2	15
ラベル	2,133	0	ALL	ALL	0	ALL
アノテーション	1,003	927	0	160	234	0

