

「医療分野の研究開発の推進」のロジックモデル（案）

背景・課題

世界に先駆けて超高齢社会を迎える我が国においては、健康長寿社会形成に向け、世界最先端の医療技術・サービスを実現し、健康寿命を更に伸ばすことが重要。

医薬品（創薬支援）

- ・個々の研究機関が大規模かつ高額な機器や化合物ライブラリーを有することは非効率

インプット

今年度：29億円（14%）
（創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業の「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」に占める割合）

アクティビティ

- ・高度な技術や施設等を共用する先端研究基盤の整備・強化
- ・大学等における創薬標的探索研究や作用機序解明に向けた構造解析研究等の支援

事業マネジメントによる改善例

前事業からの改善として、ワンストップ窓口システム開発等を行い、支援依頼者からの依頼を容易に

アウトプット

- ・創薬支援の取組における化合物提供件数（累積）
H29：237件、H30：471件
- ・創薬支援の取組における放射光施設外部利用件数
H29：176件、H30：354件

初期アウトカム

- ・創薬支援により新たに創薬シーズが見つかった件数
H29：90件、H30：114件

中長期アウトカム

創薬支援推進事業（厚労省）等との連携・協力

革新的医療技術創出拠点（橋渡し）

- ・厳しい規制や患者を対象とする特殊事情
- ・大学等の優れた研究成果が革新的な治療法実現につながらない「死の谷問題」の解消が必要

インプット

今年度：50億円（56%）
（橋渡し研究戦略的推進事業の「革新的医療技術創出拠点プロジェクト」に占める割合）

アクティビティ

- ・医療応用化に資する優れた研究（シーズ）の発掘
- ・開発段階（応用研究、動物実験、臨床試験）に応じた研究費支援
- ・拠点による規制対応・知財取得・産学連携等の支援

事業マネジメントによる改善例

同事業拠点外への支援が不足しているとの指摘を受け、拠点外への支援を優先するよう、運営を改善

アウトプット

- ・橋渡し研究支援拠点で支援しているシーズ数 H29：1022件、H30：1254件

初期アウトカム

- ・支援シーズのうち、企業リエゾンが決定している数
288件（H30年10月現在）

中長期アウトカム

- 支援シーズ数のうち、拠点の支援によって基礎研究の成果に基づく医師主導治験の段階に移行した件数
H29：24件、H30：27件

医療技術実用化総合促進事業（厚労省）等との連携・協力

再生医療

- ・ヒトiPS細胞樹立という日本発の画期的成果（H19年）（H24年にノーベル賞受賞）
- ・一方、臨床応用に向けた国際競争は激化
- ・iPS細胞等を世界に先駆けて臨床応用すべく研究開発の加速が必要

インプット

今年度：91億円（62%）
（再生医療実現拠点ネットワークプログラムの「再生医療実現プロジェクト」に占める割合）

アクティビティ

- ・再生医療に使用する高品質なiPS細胞の作成、各研究課題への提供
- ・iPS細胞等幹細胞の臨床応用を目的とした基礎から前臨床段階までの一貫した切れ目ない研究、基盤技術開発を支援
- ・患者由来のiPS細胞を用いた病気の解明、その治療薬の探索

事業マネジメントによる改善例

中長期的に社会実装を達成できる課題も創出・推進することが重要であり、萌芽的内容の積極的な取組に期待するとの指摘を受け、若手研究者や挑戦的な研究の支援を開始

アウトプット

- ・本事業で支援するiPS細胞等幹細胞を用いて臨床応用を目指す研究課題（件）（H25事業開始時より累積）：17件
- ・本事業で支援する難病等の患者由来のiPS細胞を用いて創薬研究を実施する研究課題（H25事業開始時より累積）：19件

初期アウトカム

中長期アウトカム

- ・iPS細胞等幹細胞を用いた課題の臨床研究への移行（件）（累積）：14件
- ・難病患者由来のiPS細胞により同定された新規治療薬候補の臨床応用（件）（累積）：4件

再生医療実用化研究事業（厚労省）や再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業（経産省）等との連携・協力

インパクト

○真の健康長寿社会の実現 ○世界最高水準の技術を用いた医療の提供 ○経済成長への寄与

【参考：上記の施策と関連する健康・医療戦略上のKPI（2020年までの達成目標）】

※文科省のみならず、関係府省との連携等の上、実現すべきKPI、※数値は、最新の達成数値 / 2020年までの達成目標

※最新の達成数値は、専門調査会（5月17日）の資料から抜粋

（医薬品（創薬支援））：
・相談・シーズ評価：1376 / 1500件
・有望シーズへの創薬支援：117 / 200件

（革新的医療技術創出拠点（橋渡し））：
・医師主導治験届出数：年間 36 / 40件
・FIH試験（企業治験を含む）：年間 22 / 40件

（再生医療）：
・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床作用（臨床研究または治験の開始）

健康・医療分野の政策体系について

日本再興戦略 -JAPAN is BACK-（平成25年6月14日閣議決定）

■ 「健康寿命」の延伸

- 医療分野の研究開発の司令塔機能（日本版NIH）の創設
 - ・司令塔の本部として、内閣に、総理・担当大臣・関係閣僚からなる推進本部を設置
 - ・一元的な研究管理の実務を担う独立行政法人の創設



- 平成26年5月、健康・医療戦略推進法及び日本医療研究開発機構法が成立。
- 健康・医療戦略推進法に基づき、「健康・医療戦略推進本部」を設置するとともに、本分野における施策の大綱として「健康・医療戦略」を策定。

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）

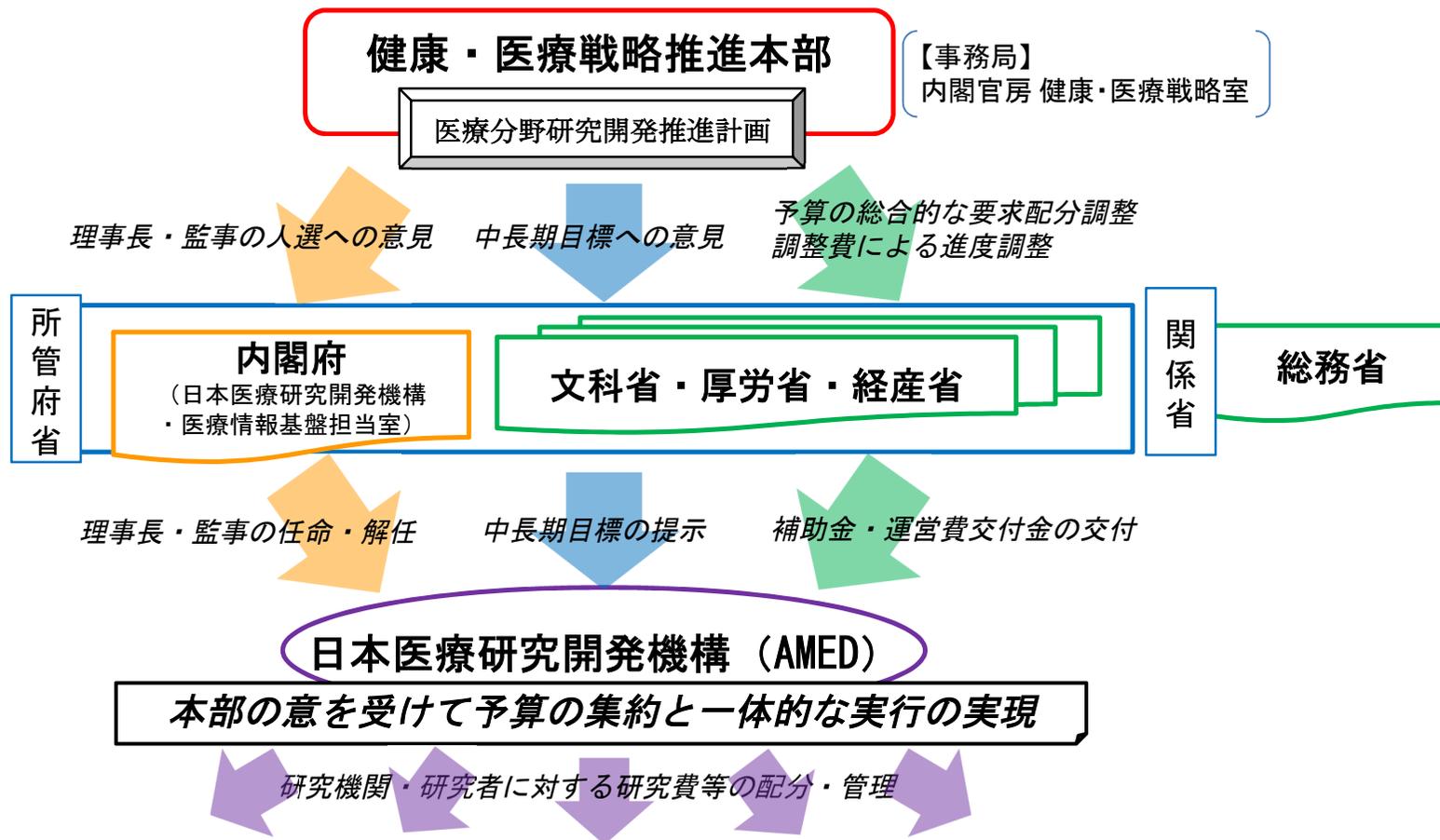
世界に先駆けて超高齢社会を迎える我が国にあっては、健康長寿社会の形成に向け、世界最先端の医療技術・サービスの実現による、健康寿命の延伸が重要な課題。このため、以下の施策を推進する。

- ・ 基礎から実用化までの一貫した医療分野の研究開発並びにその環境の整備、成果の普及
 - ⇒ 世界最高水準の技術を用いた医療の提供を可能に
- ・ 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活性化、海外展開の促進
 - ⇒ 我が国経済の成長、海外における医療の質の向上に寄与

AMEDを活用した医療分野の研究開発等の推進体制

【本部による総合調整】

【機構による一体的な業務運営】



- 研究費等のワンストップサービス化
 - ・研究支援と研究環境整備の一体的な実施 (例えば、国際水準の臨床研究の実施環境の整備を研究支援と体制整備の両面からサポート)
 - ・研究費等の配分を受ける研究機関・研究者の事務負担の軽減
- 基礎から実用化までの一貫した研究管理
 - ・基礎から実用化までの切れ目のない研究支援の実現 (知財戦略等についても基礎段階から総合的にサポート)
 - ・基礎から実用化までの一貫した研究マネジメントの実現 (研究段階に応じた専門的・技術的な助言、公正かつ適正な研究の実施の確保等)

(参考)9つの各省連携プロジェクト

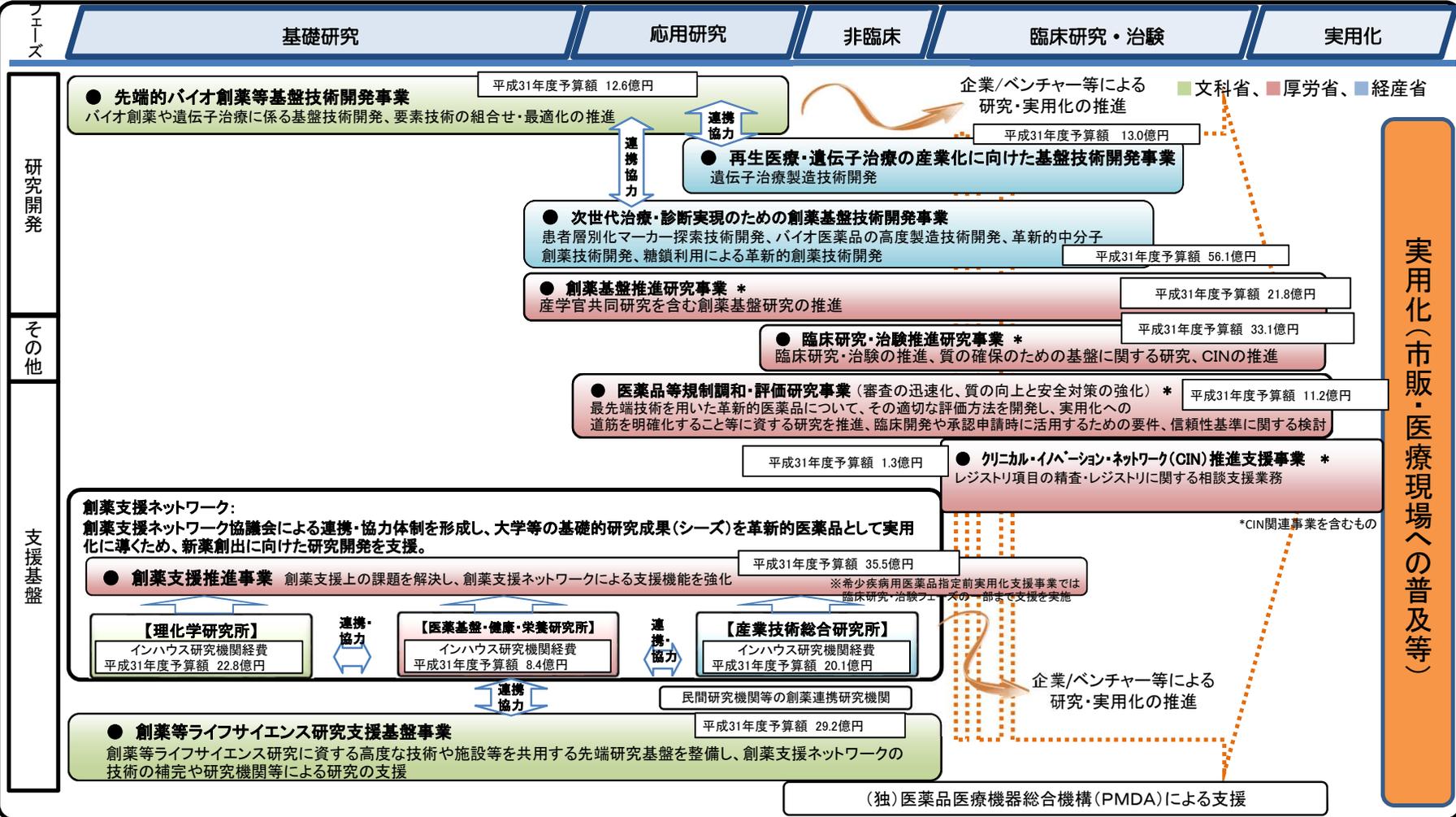
1. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト
2. オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト
3. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト
4. 再生医療実現プロジェクト
5. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト
6. ジャパンキャンサーリサーチ・プロジェクト
7. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト
8. 新興・再興感染症制御プロジェクト
9. 難病克服プロジェクト

1. オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
平成31年度予算額 214億円

インハウス研究機関経費
平成31年度予算額 51億円

創薬支援ネットワークの構築により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。また、創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援する。



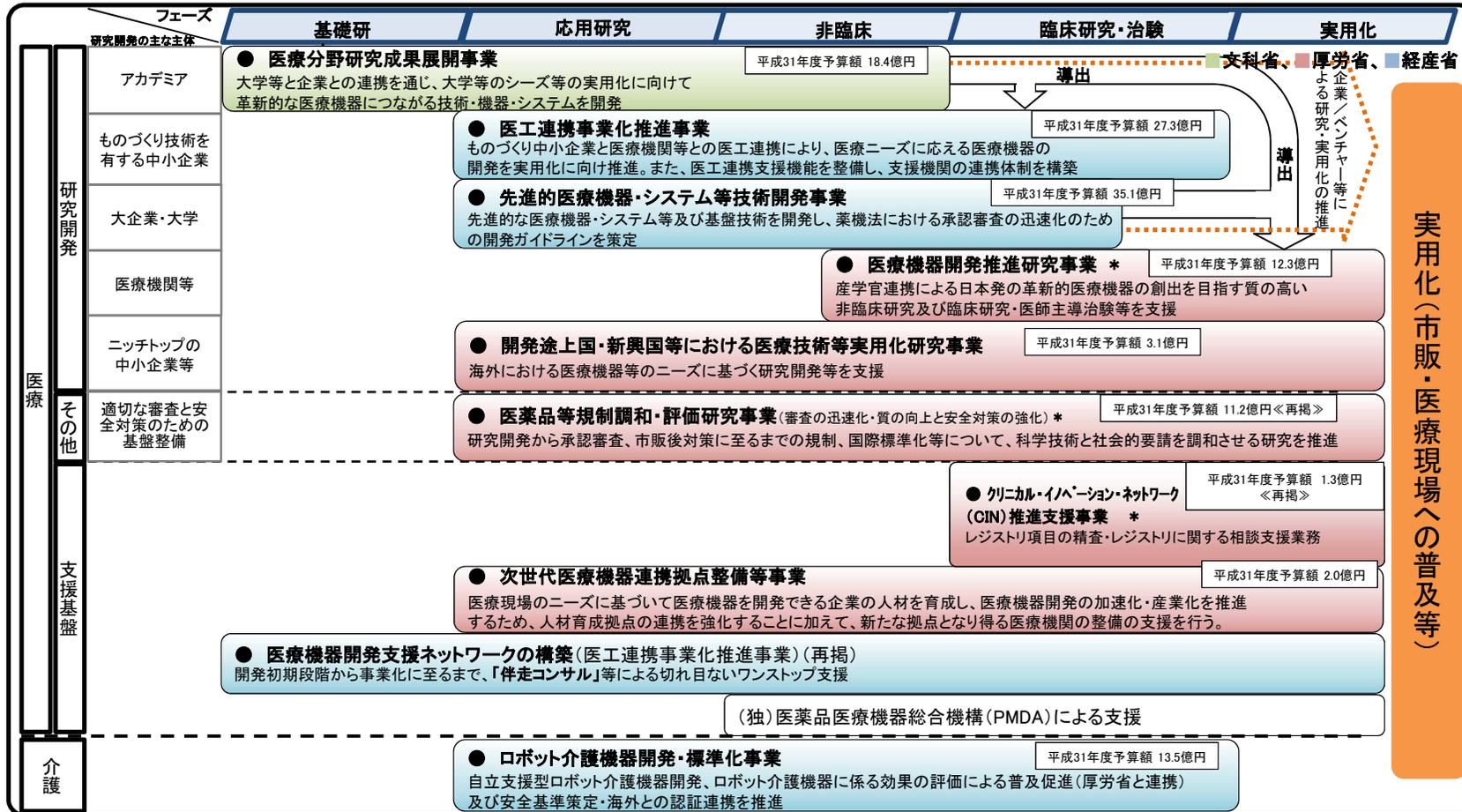
【2020年までの達成目標】

- 相談・シーズ評価 1500件
- 有望シーズへの創薬支援 200件
- 企業への導出(ライセンスアウト) 5件
- 創薬ターゲットの同定 10件

2. オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
平成31年度予算額 124億円(一部再掲)

医療機器促進法に基づく医療機器基本計画を着実に実行するため、また医工連携による医療機器開発を促進すべく、AMEDを通じて、各省・専門支援機関(産総研、医療機器センター等)・地域支援機関・医療機関・学会等の連携による開発支援体制(医療機器開発支援ネットワーク)を強化し、我が国の高い技術力を生かし、医療機器の開発・事業化を加速。また、医療機器の承認審査の迅速化に向けた取組や、事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進める。



実用化(市販・医療現場への普及等)

【2020年までの達成目標】

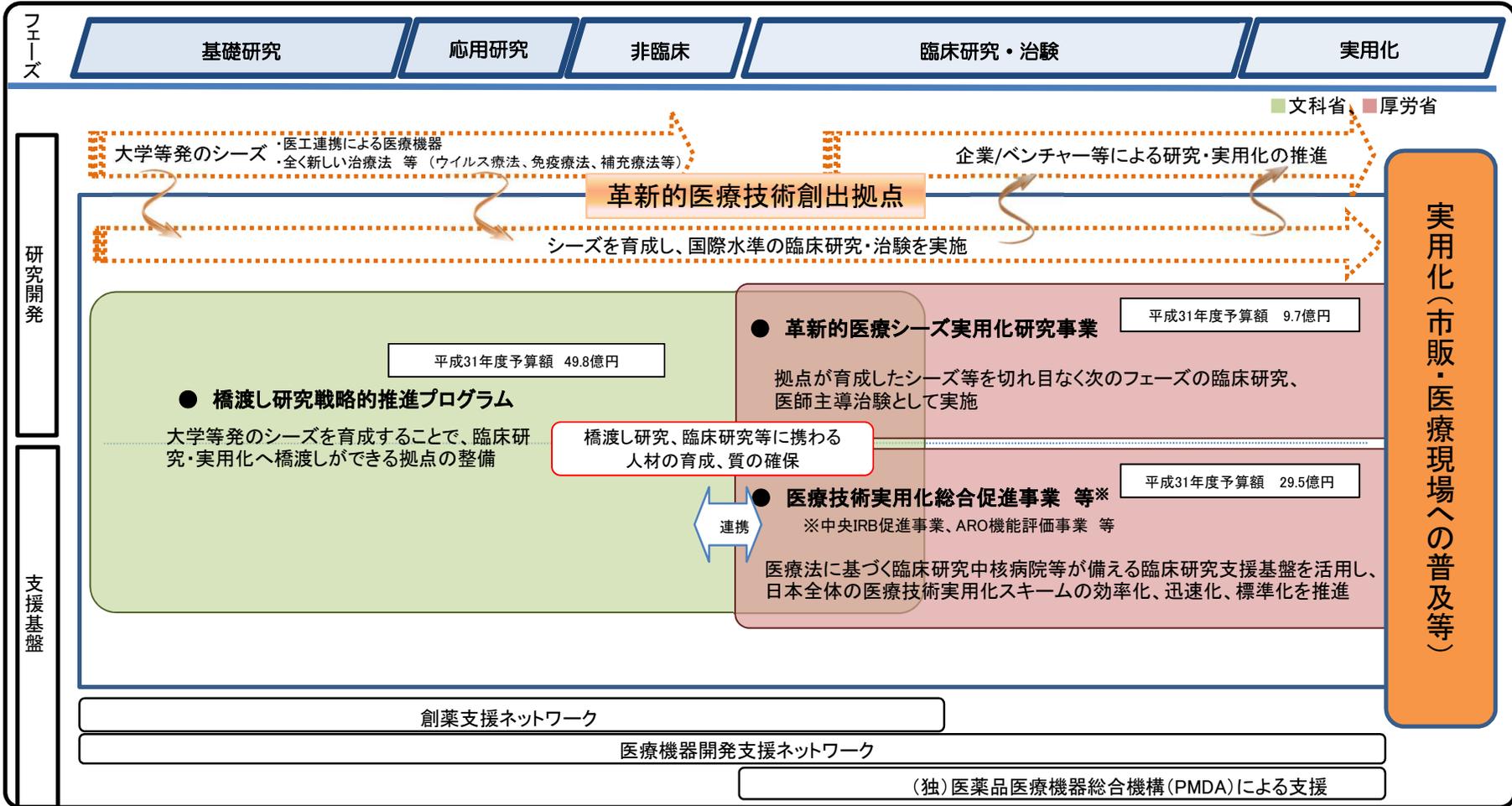
- 医療機器の輸出額を倍増(平成23年約5千億円→約1兆円)
- 5種類以上の革新的医療機器の実用化
- 国内医療機器市場規模の拡大 3.2兆円

3. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
平成31年度予算額 89億円

大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、橋渡し研究支援拠点と臨床研究中核病院等の一体化を進める。また、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化、ネットワーク化、シーズの拡大等をさらに推進する。さらに、ICH-GCP準拠の質の高い臨床研究や治験を実施するとともに、ARO※機能を活用して多施設共同研究の支援を行うなどの体制の整備を進める。

※ARO：Academic Research Organizationの略、研究機関、医療機関等を有する大学等がその機能を活用して医薬品開発等を支援する組織



【2020年までの達成目標】

○医師主導治験届出数

年間40件

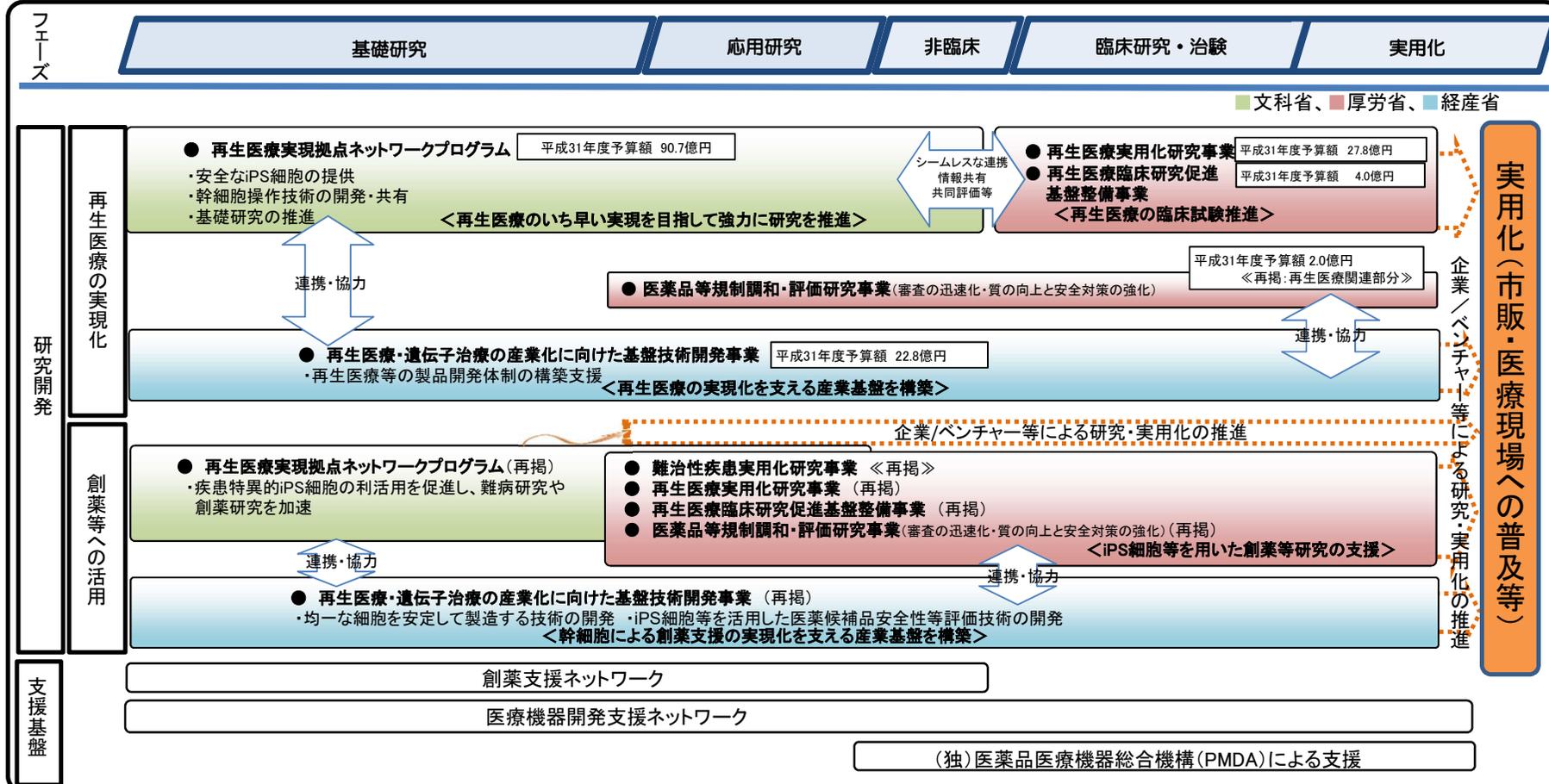
○First In Human (FIH) 試験(企業治験を含む。)

年間40件

4. 再生医療実現プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
平成31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

5. 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
平成31年度予算額 98億円(一部再掲)

インハウス研究機関経費
平成31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、ゲノム情報をいかに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。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

研究開発

●ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業(目標設定型の先端ゲノム研究開発)

平成31年度予算額 18.9億円

研究プラットフォームを活用する大規模ゲノム解析やオミックス解析等を実施する疾患を対象とした研究等を支援

- 糖尿病、循環器疾患等、多くの国民が罹患する一般的な疾患等の多因子疾患研究
- 革新的基盤技術開発 等

●臨床ゲノム情報統合データベース整備事業 平成31年度予算額 6.0億円
がん、難病等の臨床情報及びゲノム情報を集積・統合し、遺伝子変異・多型と疾患の発症の関連を評価・検証するため「統合データベース」を構築・公開し、ゲノム医療の実用化を推進する。

●ゲノム診断支援システム整備事業 インハウス研究機関経費 平成31年度予算額 3.8億円
NCIに「臨床ゲノム情報を実際の診断で活用するための診療基盤」を整備し、ゲノム医療の提供を推進

●NCIにおける治験・臨床研究推進事業 インハウス研究機関経費 平成31年度予算額 3.5億円
高度専門的な病院機能を具備したNCを活用した臨床研究・治験を推進



●ゲノム創薬基盤推進研究事業

ゲノム医療をより一層推進する観点から、ゲノム情報の患者還元等に係る諸課題の解決、ゲノム医療の推進等に資する基盤的研究を支援

平成31年度予算額 3.0億円

医薬品創出プロジェクト
創薬基盤推進研究事業 等
導出

●革新的がん医療実用化研究事業 平成31年度予算額 23.9億円 <再掲:ゲノム関連部分>
がんゲノム医療の実用化に向けた技術開発、人材育成やゲノム情報を用いた予防、診断、治療方法の技術開発 等

●認知症研究開発事業 平成31年度予算額 0.8億円 <再掲:ゲノム関連部分>
バイオマーカー開発等を推進、認知症の診断・予防・治療法の開発や質の向上、標準化を推進

●難治性疾患実用化研究事業 平成31年度予算額 11.9億円 <再掲:ゲノム関連部分>

希少・難治性疾患の遺伝学的解析等を行う研究基盤の構築、創薬につながる原因遺伝子の同定など

●ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業(ゲノム研究プラットフォーム活用システム)(再掲)

研究の推進
研究基盤の利活用促進

試料・情報のワンストップサービス等により研究基盤の利活用を促進

研究の推進
研究基盤の利活用促進

支援基盤

●ゲノム研究バイオバンク事業(バイオバンク・ジャパン)

構築した世界最大級の疾患バイオバンクであるバイオバンク・ジャパン(BBJ)の利活用を促進

平成31年度予算額 3.4億円

●ナショナルセンターバイオバンクネットワーク(NCBN)

NCを受診した患者の手術切除検体等と臨床情報を活用したゲノムコホート研究や特定の疾患へのゲノム情報を用いた臨床応用を推進

インハウス研究機関経費
平成31年度予算額 10.7億円

●東北メディカル・メガバンク計画

被災地を中心とした健常人15万人規模のゲノムコホート研究を実施し、地域医療の復興に貢献するとともに、次世代医療体制の構築を図る。さらに、バイオバンク構築や収集した試料・情報の分譲等の実施により、疾患の個別化予防等に向けた基盤整備を推進

平成31年度予算額 30.5億円



■文科省、■厚労省

実用化(市販・医療現場への普及等)

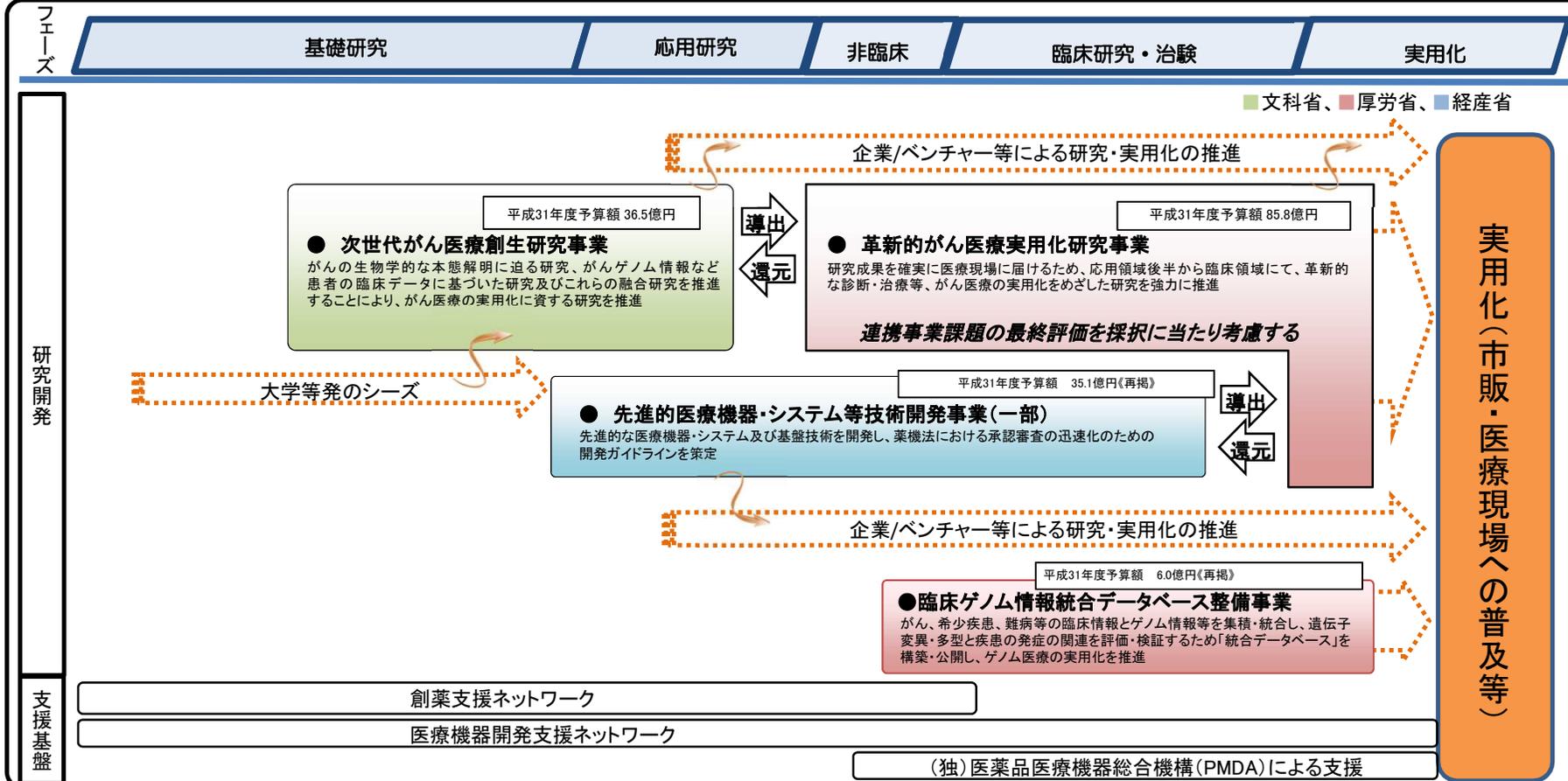
【2020年までの達成目標】

- 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

6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
平成31年度予算額 163億円(一部再掲)

「がん研究10か年戦略」に基づいて、基礎研究の有望な成果を厳選し臨床研究等へ導出することや、臨床研究で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元することで、医薬品・医療機器開発をはじめとするがん医療の実用化を加速する。



【2020年までの達成目標】

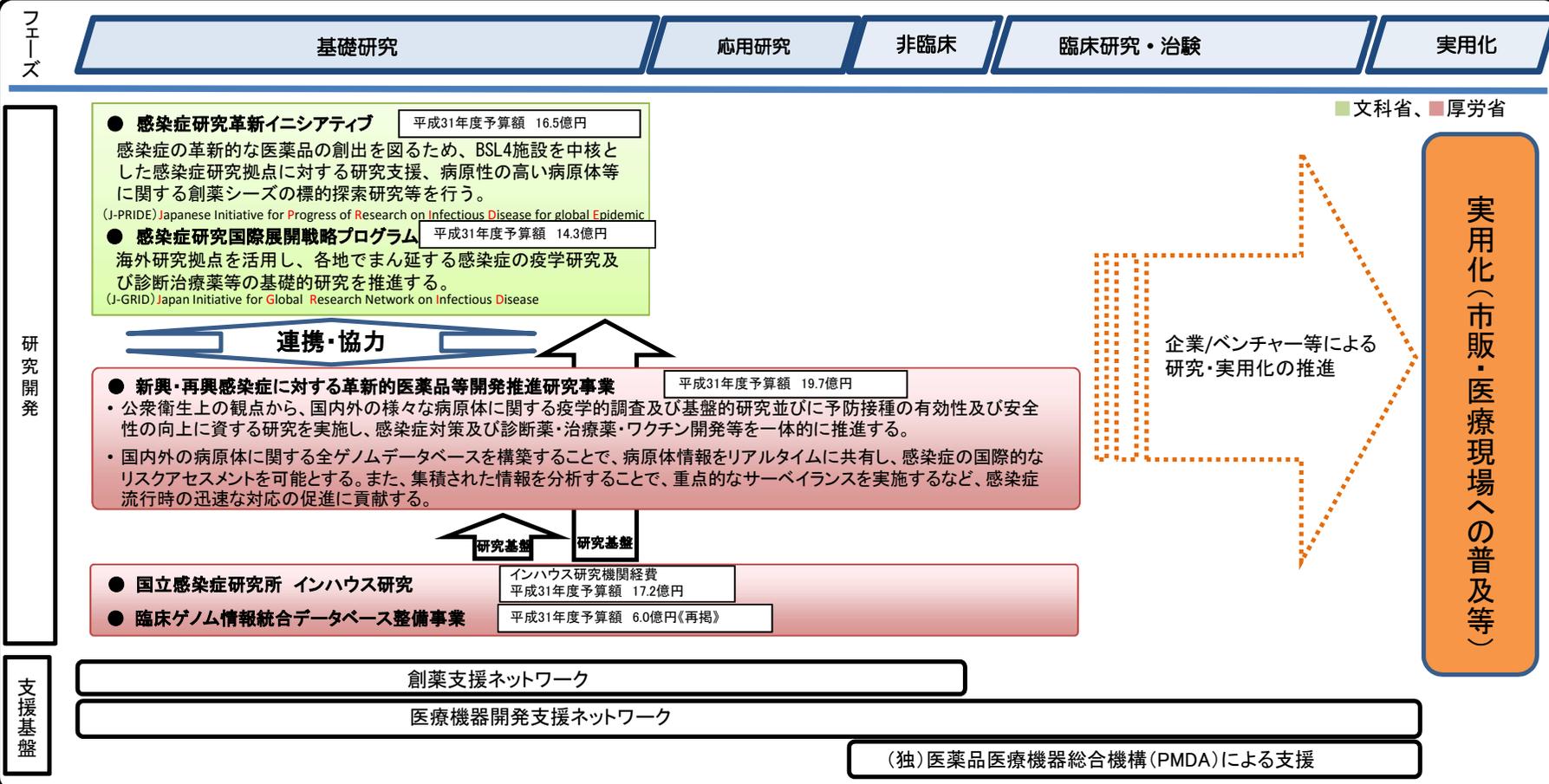
- 日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出
- 小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた12種類以上の治験への導出
- 小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加
- いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消
- 小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立(3件以上のガイドラインを作成)

8. 新興・再興感染症制御プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
平成31年度予算額 57億円(一部再掲)

インハウス研究機関経費
平成31年度予算額 17億円

新型インフルエンザ等の感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症に関する国内外での研究を推進するとともに、その成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげることで、感染症対策を強化する。



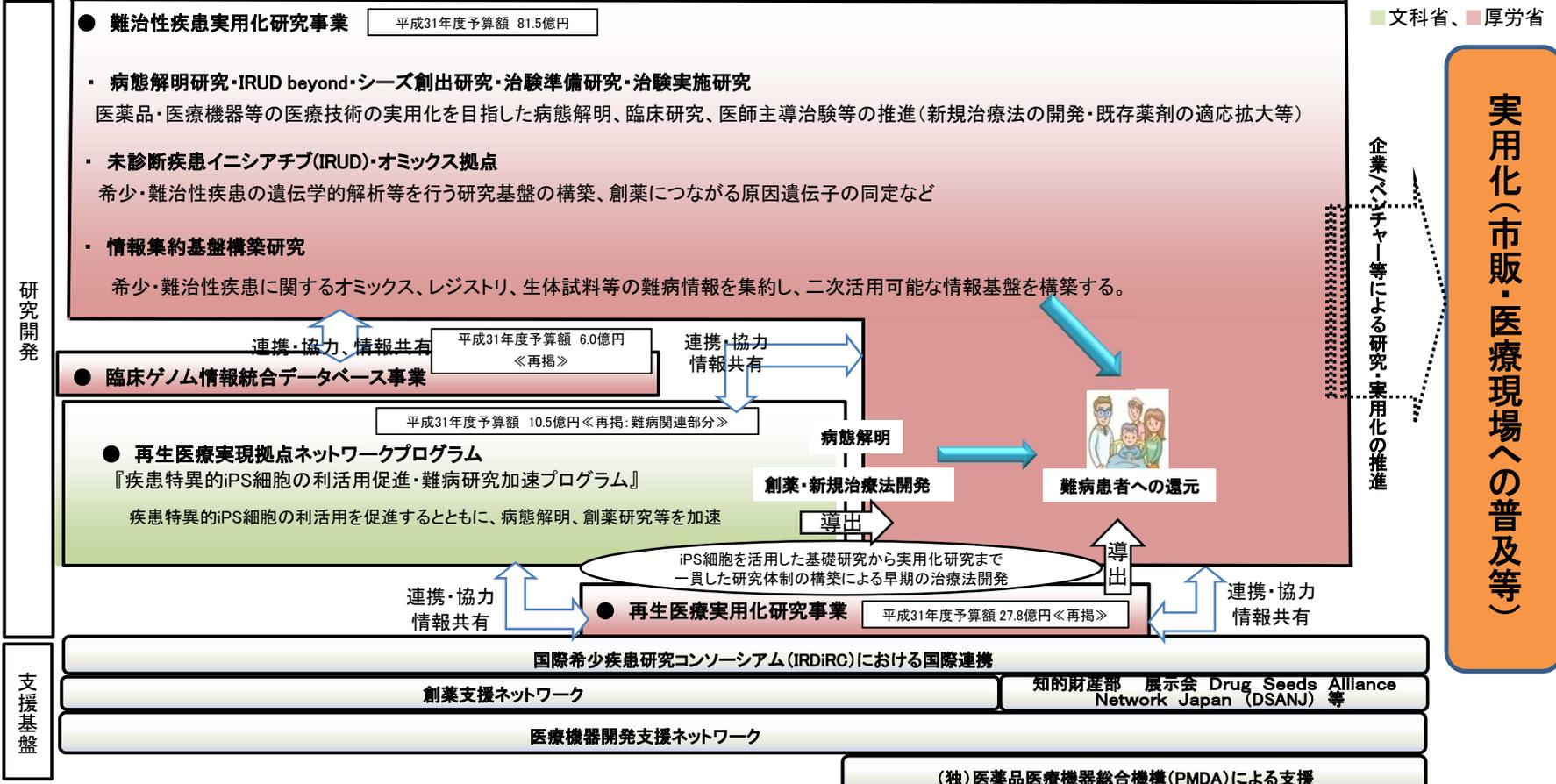
【2020年までの達成目標】

- 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
- 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試験及び治験の実施及び薬事承認の申請

9. 難病克服プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
平成31年度予算額 126億円（一部再掲）

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めざす研究を推進する。また、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。



【2020年までの達成目標】

- 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（ALS、遠位型ミオパチーなど）
- 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
- 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