

科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会
ライフサイエンス委員会 脳科学作業部会（第9回）

「ブレインバンクの現状と展望」

2025年6月30日

JST研究開発戦略センター
ライフサイエンス・臨床医学ユニット
©辻真博／丸智香子



00. 自己紹介

01. 「脳」基礎～応用研究の俯瞰

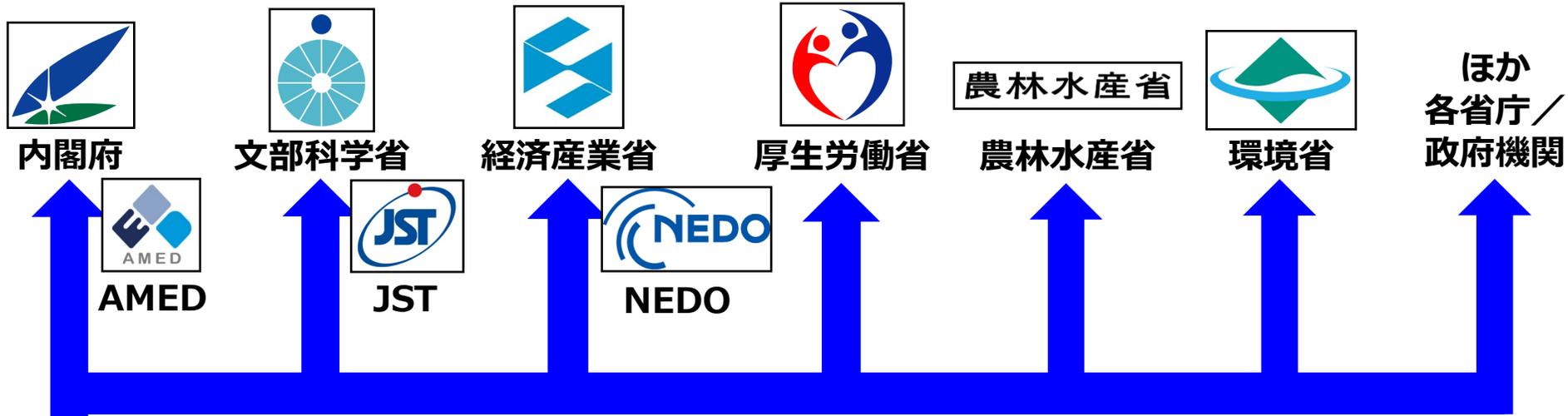
02. 世界の主なブレインバンクの動向

03. ブレインバンクを活用した成果

04. 基礎医学/医薬品開発の潮流とブレインバンクへの期待

05. わが国において重要と考えられる方向性

JST-CRDS ライフサイエンス・臨床医学ユニットの活動イメージ



エビデンス情報提供、研究開発戦略の提言 & 施策化支援



CRDS
研究開発戦略センター
Center for Research and Development Strategy
Japan Science and Technology Agency



永井良三
上席フェロー
(H26~)

フェロー数名

辻、丸

JST-CRDS
ライフサイエンス
臨床医学ユニット

情報提供

連携活動

企業 / 業界団体
[製薬・ヘルスケア・バイオ等]

アカデミア / 学術団体
[大学・国研・学協会等]

メディア関係
[出版・テレビ・新聞・ほか媒体等]

00. 自己紹介

01. 「脳」基礎～応用研究の俯瞰

02. 世界の主なブレインバンクの動向

03. ブレインバンクを活用した成果

04. 基礎医学/医薬品開発の潮流とブレインバンクへの期待

05. わが国において重要と考えられる方向性

【俯瞰】ライフサイエンス・臨床医学分野

脳関連ワード



知の創出・技術革新による、人と地球の持続的な健康の実現

応用研究

基礎研究

先端技術

研究基盤

健康/医療

低/中分子医薬、抗体医薬、治療機器、診断機器(AI)

核酸医薬、細胞医療[再生医療]、AI創薬、ウェアラブル機器、AI医療

遺伝子治療、ワクチン、DDS、臨床予測評価、リキッドバイオプシー

食料生産/バイオ生産

農業DX、植物工場、フードテック

ゲノム編集品種、植物由来医薬品、バイオファウンドリ、陸上養殖

代替タンパク質、細胞農業、バイオステミュラント、精密発酵

臨床医学

ヒト疾患研究、循環器疾患、代謝内分泌疾患、希少疾患

がん、精神/神経疾患、免疫疾患、感染症、呼吸器疾患、感覚器、小児疾患

農学/工学

作物モデル、養殖技術、予測・評価のデータ科学

育種[植物/動物/魚/微生物]、気候変動適応、味覚/嗅覚、代謝工学

バイオマス、環境負荷低減、環境微生物、微細藻類、生物間相互作用

植物病理、植物栄養、植物生殖、プロセス工学、タンパク質工学

基礎医学

Human Biology、脳神経、臓器連関、代謝、発生/再生

免疫/炎症、老化、健康の科学、睡眠、栄養、マイクロバイオーーム、進化医学

生命科学

分子・細胞生物学、オルガネラ、細胞外小胞、ゲノム・オミクス、RNA、代謝、性差、生体時計、構造解析、数理モデル

生命工学

合成生物学、ゲノム編集、エピゲノム編集、ゲノム合成、光遺伝学、生殖工学、モデル生物、ケミカルバイオ、タンパク予測・設計AI

基盤技術

分子シーケンサ、質量分析、NMR、MRI/PET、クライオ電顕、光学顕微鏡、空間/1細胞オミクス、構造解析、AI解析、生成AI

研究基盤

ゲノムデータ、画像データ、医療情報、RWD、バイオバンク、バイオリソース、コアファシリティ、医学部/大学病院、圃場

ELSI/RRR

個人情報、バイオセキュリティ、組換え生物、ヒトゲノム編集、研究倫理、サステナビリティ認証、LCA解析、医療経済評価

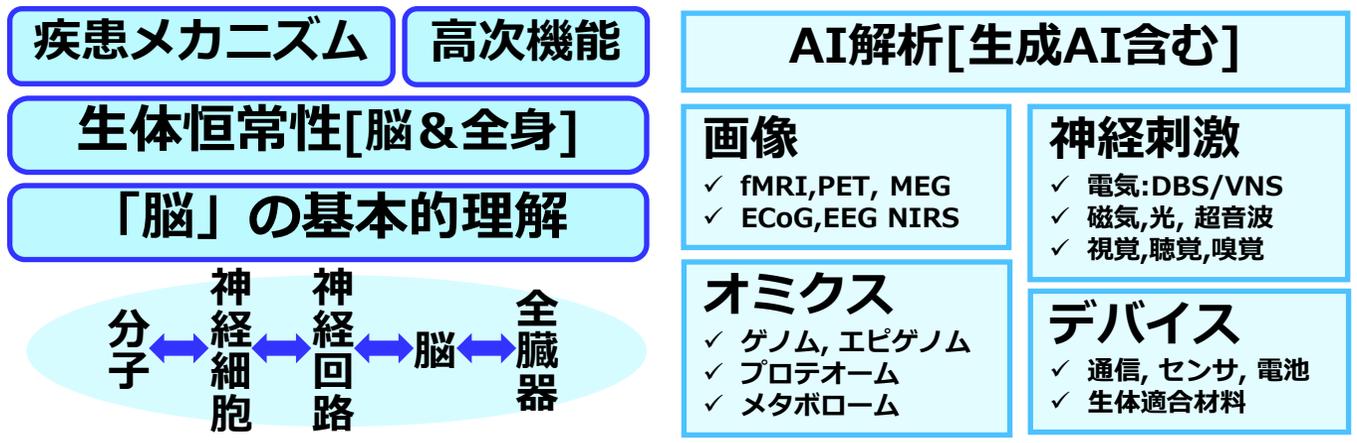
【俯瞰】脳・神経関連分野

社会実装
基礎

「脳」の理解に基づく価値創出 ≡ “ブレインテック”



「脳」機能の解明/評価/制御



データ基盤



ELSI/RRI



本日は主にココ

00. 自己紹介

01. 「脳」基礎～応用研究の俯瞰

02. 世界の主なブレインバンクの動向

03. ブレインバンクを活用した成果

04. 基礎医学/医薬品開発の潮流とブレインバンクへの期待

05. わが国において重要と考えられる方向性

世界の主なブレインバンクの概観

青字：死後脳バンク
赤字：脳データ基盤



- ✓ 米国、欧州、日本、アジア各国、南米などにブレインバンクが存在
- ✓ 脳データ基盤も世界各国で見られるが、本スライドでは**米国、英国、日本**の主なものに限定し掲載

中国 9頁参照
China Brain Bank Consortium [2016-]
 ・死後脳：1,000以上

韓国 9頁参照
Korea Brain Bank Network
 [2014-]
 ・死後脳：334件

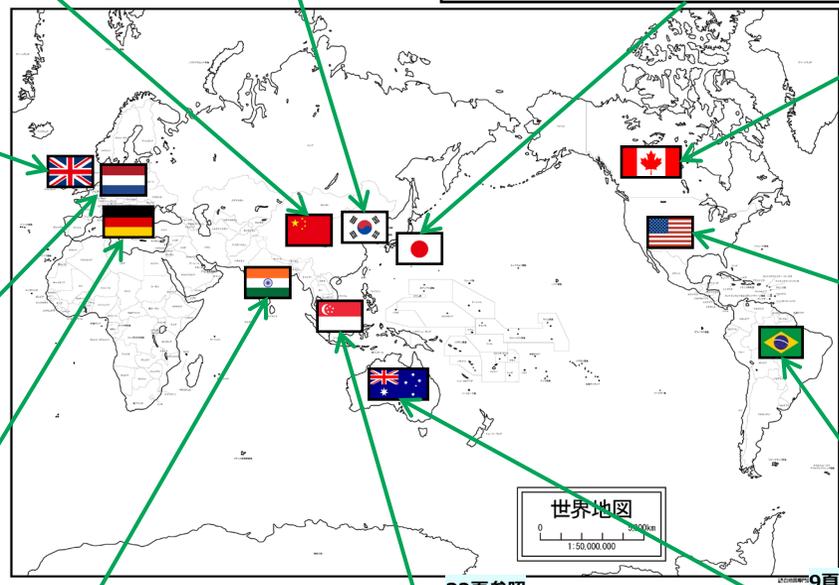
日本 9頁/12頁参照
日本ブレインバンクネット [2016-]
東北MMB [2012-] 15頁参照
 ・生体脳MRI：12,000
ヒト脳MRI project [2018-23]
 ・標準化プロトコル“HARP” 14頁参照

カナダ 32頁参照
Douglas-Bell Canada Brain Bank [1980-]
 ・死後脳：3,600
Autism Brain Net [2014-]
 ・死後脳：510 (カナダ&米国)

英国 9頁/11頁参照
UK Brain Banks Network [2013-]
 ・死後脳：15,852
 ・ゲノム：2,500
UK biobank [2006-] 40頁参照
 ・生体脳MRI：2,400
 →60,000件へ拡充中

オランダ 31頁参照
Netherlands Brain Bank [1985-]
 ・死後脳：5,122件

ドイツ 9頁/31頁参照
BrainNet Germany
 [1990年代~10年間で終了]
DZNE Brain Bank
 [2018~現在]



米国
NeuroBioBank [2013-] 9頁/10頁参照
 ・死後脳：17,498
 ・全ゲノム：10,000
UNITE BrainBank [2008-] 31頁参照
 ・死後脳：1,500
Human Brain Collection Core 31頁参照
 ・死後脳：1,354
Mayo Clinic Brain Bank [1998-] 31頁参照
 ・死後脳：11,000以上
Path-ND [2025-] / **ASAP** 13頁参照
 ・生体画像等：5,000 (PDほか)
NIH-NACC [1999-] 14頁参照
 ・50,000 ? (AD)、データ基盤整備

インド 32頁参照
NIMHANS Brain Bank [1995-]
 ・死後脳：715

シンガポール 32頁参照
Brain Bank Singapore [2018-]
 ・死後脳：9

オーストラリア 9頁参照
Australian Brain Bank Network
 [2005-19終了]

ブラジル 32頁参照
Brain bank of the Brazilian aging brain study group [2003-]
 ・死後脳：4,000 ?

世界の主なブレインバンクネットワーク

- ✓ **米国、英国**のブレインバンクネットワークが特に大きい
- ✓ 発足年度が古いものは**解散したものも多いが、再結成**（に向けた動き）**が進む：ドイツ**（オーストラリア）

国	ブレインバンク	発足年度	死後脳数	組織構成
 欧州	European Brain Bankng Network	1992～	—	
	BrainNet Europe Banking	2001～	—	
	BrainNet Europe II	2004～2009[終了]	—	19の脳バンク
 ドイツ	BrainNet Germany ※1	90年代[10年間で終了]	—	
 オーストラリア	Australian Brain Bank Network ※2	2008～19[終了]	2,304件	5つの脳バンク
 米国	NeuroBioBank	2013～	17,498件	6つの脳バンク
 英国	UK Brain Banks Network	2013～	15,852件	10の脳バンク
 米国/カナダ	Autism Brain Net	2014～	510件	3拠点(米),1拠点(カナダ)
 韓国	Korea Brain Bank Network	2014～	334件	7つの病院/大学
 日本	日本ブレインバンクネット (JBBN)	2016～	—	16機関の連携
 中国	China Brain Bank Consortium	2016～	1,000件	全国の脳バンク連合
 ドイツ	DZNE Brain Bank	2018～	—	5つの脳バンク

※1：“十分な成果が上がらず5年目に予算が半減し10年目に終了した”、との情報も見受けられる
2018年に新たにDZNE Brain Bankが発足し現在に至る

※2：2005～14は政府資金でネットワーク運営、以降は場当たりの資金配分となり2019年に活動停止
現在、国立認知症研究所が再構築に向け活動中、“ビッグデータ時代の到来で機は熟した！”とのこと

主なブレインバンク① 「NIH-NeuroBioBank」



- ✓ **世界最大級**のブレインバンクネットワーク
- ✓ 近年、**ゲノムデータなどの付随データも着実に整備**され、利活用が進むと考えられる

項目	概要
①発足年度	✓ 2013年9月 に設立（参画するバイオバンクは1960~1990年代に設立）
②推進体制	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 国内6つのブレインバンクが参画 <ol style="list-style-type: none"> 1. University of Miami Brain Endowment Bank 2. University of Maryland Brain and Tissue Bank 3. Harvard Brain Tissue Resource Center 4. Mt. Sinai Brain Bank 5. The Human Brain and Spinal Fluid Resource Center (Sepulveda) 6. Brain Tissue Donation Program at the University of Pittsburgh ✓ その他のパートナーシップ、連携組織 <ul style="list-style-type: none"> ➢ Autism BrainNet ➢ NIH-NIA Alzheimer's Disease Research Centers ➢ Human Brain Collection Core ➢ Brain Donor Project など
③資金源	✓ NIH資金で運営 ← バンク利用料は資金源とはなっていない （送料のみ利用者負担）
④保管件数 /形態/疾患	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 17,498件 <ul style="list-style-type: none"> ➢ 年齢：高齢者[8,000件]、小児[1,500件] ➢ 疾患：AD[3,000件]、PD[700件]、脳血管疾患[1,300件]、DLB[900件]、HD[700件] ほか ➢ 保管形態：凍結組織、固定組織、パラフィン包埋組織、脳脊髄液、など
⑤付随データ	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 神経病理学的評価データ、臨床データ、表現型データ ✓ 全ゲノム：10,000件公開（NeuroBioBank） ✓ 精神疾患患者ゲノム：1,692件公開（Human Brain Collection Core）
⑥標準化	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 参加する全てのブレインバンクが遵守すべき基本的なプロトコルが定められている <ul style="list-style-type: none"> ➢ 登録/インフォームドコンセント ➢ 死後ドナーからの組織/体液などの収集 ➢ 脳/組織標本の処理（死後24時間以内に研究室へ搬送され作業開始） ➢ 神経病理学的な評価・所見
⑦国外利用	✓ 可能（保健福祉省のヒト研究保護局[OHRP]に有効な連邦広域保証[FWA]が登録されている機関の研究者）

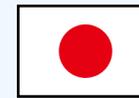
主なブレインバンク② 「UK Brain Banks Network」



- ✓ 英国MRCが主導するブレインバンクネットワーク（欧州地域では最大）
- ✓ 近年、ゲノムデータなどの付随データも着実に整備され、利活用が進むと考えられる

項目	概要
①発足年度	✓ 2013年に設立（参画するバイオバンクは1970~1980年代頃に設立）
②推進体制	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 英国内10のブレインバンクが参加 1. Cambridge Brain Bank 2. Edinburgh Brain Banks 3. London Neurodegenerative Diseases Brain Bank 4. Manchester Brain Bank 5. Multiple Sclerosis and Parkinson's Tissue Bank 6. Newcastle Brain Tissue Resource 7. Oxford Brain Bank 8. Queen Square Brain Bank for Neurological Disorders 9. Sheffield Brain Tissue Bank (SBTB) 10. South West Dementia Brain Bank
③資金源	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 各バンクは英国政府資金（NIHR、NHS trust）、慈善団体などの資金で運営 ✓ 利用料が設定されているが、バンクの自立運営にはほど遠い印象 <ul style="list-style-type: none"> ➢ サンプルの種類ごとに標準料金を設定（例：新鮮組織37.5 £ [0.5g]、凍結切片22.5 £ ほか） ➢ 商用ユーザーはアカデミア料金の2倍
④保管件数 /形態/疾患	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 15,857件（2025年時点）、うち商業的同意を得た症例は5,829件 <ul style="list-style-type: none"> ➢ 年齢：高齢者[9,500件/70代以上]、小児[500件] ➢ 健常：1,570件 ➢ 疾患：AD[1,860件]、PD[1,590件]、不特定型認知症[1,450件]、MND[1,100件]、CJD[900件]他 ➢ 保管形態：凍結組織、固定組織、パラフィン包埋組織、脳脊髄液
⑤付随データ	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 臨床所見、投薬歴、死因、神経病理学的所見 ✓ ゲノム：2,443件
⑥標準化	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 各バンクが協調的に推進されるように、様々なフォーマットを統一 ✓ 標準化も進んでいる模様
⑦国外利用	✓ 記載無し

主なブレインバンク③ 「日本ブレインバンクネット」



- ✓ AMED支援で運営されているブレインバンクを統合したネットワーク
- ✓ ゲノムなどの付随データ整備が遅れており、データ基盤強化が喫緊の重要課題の1つである

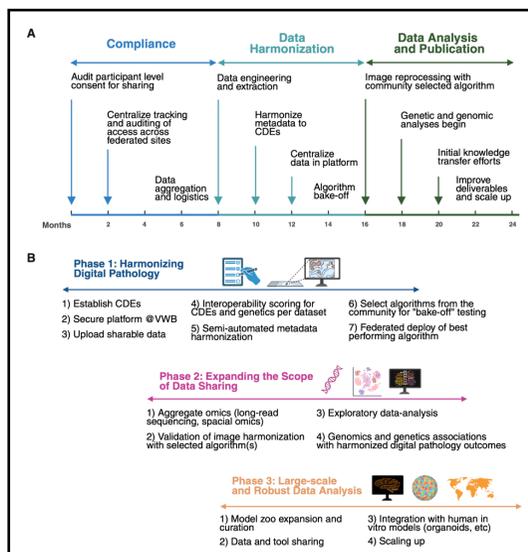
項目	概要		
①発足年度	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 2016年に設立 <ul style="list-style-type: none"> ▶ 第1期：2016～2020、第2期：2021年～2024年、第3期：2025～ 		
②推進体制	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 国立精神・神経医療研究センター（NCNP）を中心に国内16機関のブレインバンクで構成されるネットワーク <table border="0" style="width: 100%; border-collapse: collapse;"> <tr> <td style="width: 50%; vertical-align: top;"> <ol style="list-style-type: none"> 1. 東京都健康長寿医療センター（高齢者ブレインバンク） 2. 東京都立松沢病院 3. 順天堂大学 4. 慶応義塾大学 5. 三原記念病院 6. 東北大学 7. 福島県立医科大学（精神疾患ブレインバンク） 8. 新潟大学脳研究所 </td> <td style="width: 50%; vertical-align: top;"> <ol style="list-style-type: none"> 9. 愛知医科大学加齢医科学研究所 10. 名古屋大学 11. 桶狭間病因藤田こころケアセンター 12. もりやま総合心療病院 13. 大阪大学（発達障害・精神・神経疾患ブレインバンク） 14. 大阪刀根山医療センター 15. 岡山大学 16. 慈圭病院 </td> </tr> </table> 	<ol style="list-style-type: none"> 1. 東京都健康長寿医療センター（高齢者ブレインバンク） 2. 東京都立松沢病院 3. 順天堂大学 4. 慶応義塾大学 5. 三原記念病院 6. 東北大学 7. 福島県立医科大学（精神疾患ブレインバンク） 8. 新潟大学脳研究所 	<ol style="list-style-type: none"> 9. 愛知医科大学加齢医科学研究所 10. 名古屋大学 11. 桶狭間病因藤田こころケアセンター 12. もりやま総合心療病院 13. 大阪大学（発達障害・精神・神経疾患ブレインバンク） 14. 大阪刀根山医療センター 15. 岡山大学 16. 慈圭病院
<ol style="list-style-type: none"> 1. 東京都健康長寿医療センター（高齢者ブレインバンク） 2. 東京都立松沢病院 3. 順天堂大学 4. 慶応義塾大学 5. 三原記念病院 6. 東北大学 7. 福島県立医科大学（精神疾患ブレインバンク） 8. 新潟大学脳研究所 	<ol style="list-style-type: none"> 9. 愛知医科大学加齢医科学研究所 10. 名古屋大学 11. 桶狭間病因藤田こころケアセンター 12. もりやま総合心療病院 13. 大阪大学（発達障害・精神・神経疾患ブレインバンク） 14. 大阪刀根山医療センター 15. 岡山大学 16. 慈圭病院 		
③資金源	<ul style="list-style-type: none"> ✓ AMED資金で推進 <ul style="list-style-type: none"> ▶ アカデミアには無償提供、企業は提供に係る費用を請求 		
④保管件数 /形態/疾患	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 件数不明 <ul style="list-style-type: none"> ▶ 疾患：神経疾患（PD, DLB, AD, ALSほか）、精神疾患（統合失調症, 双極性障害）、ほか ▶ 脳・脊髄を利用可能 ▶ 保管形態：凍結組織、ホルマリン固定パラフィン法理切片、顕微鏡標本のデジタル標本化が進行中 		
⑤付随データ	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 年齢、性別、診断名、病理スコア、、、検体によっては臨床録、投薬歴、検査データ（画像含む）も可能 ✓ ゲノム・オミクスなどのデータは、現時点では見当たらない？ 		
⑥標準化	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 「ブレインバンクマニュアル第1版」が公開（2023年1月） <ul style="list-style-type: none"> ▶ 生前登録から病理解剖、神経病理診断、保管法、凍結脳提供など、一連の流れが定められている 		
⑦国外利用	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 公式ルールは不明だが、海外機関と国内機関での共同研究成果事例は複数存在 		

主な脳データベース①「Path-ND、ASAP」

- ✓ 神経疾患の大規模なデータセット構築・公開に向けた取り組みが開始
- ✓ データ公開環境の整備（標準化含む）、多様かつ大規模なデータ収載、データ利活用環境の構築

10,000 Brain Project 「Path-ND」

- 期間：2025年5月～2027年
- 予算：**300万\$** [Kissick Family財団]
- 体制：ASAPと連携（右側個票参照）
- 概要：**パーキンソン病**を中心とした**5,000例**のデータセット構築（**画像/臨床/オミクス**）
- 活動計画（下図）：利活用を強く意識した基盤整備



ASAP (Aligning Science Across Parkinson's)

- 発足：2017年
- 予算：不明 [Michael J. Fox財団]
- 活動概要：3つのプログラムが進行中
 - ① Collaborative Research Network [総額2.9億\$]
 - ゲノム機能、神経免疫、脳と全身
 - ② Global Parkinson's Genetics Program
 - 世界の25万人の遺伝子型解析
 - ③ Parkinson's Progression Markers Initiative
 - **4,000名**の生体サンプル、臨床情報、画像データ

初期(0M-18M) : Compliance

- データ公開環境の整備、病理画像データ

中期(4M-22M) : Data Harmonization

- 利活用を前提としたデータ整備
- データ種の拡張（ロングリード、空間オミクス等）

後期(8M-24M) : Data Analysis and Publication

- 大規模化、ロバストなデータ解析環境（ヒトオルガノイドのデータも入れる）

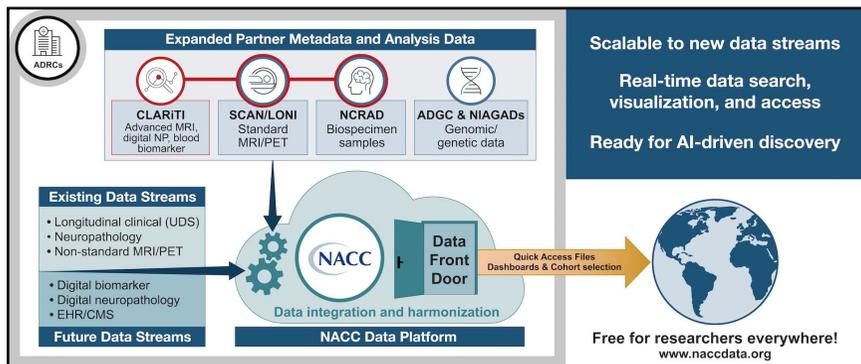
[https://www.thelancet.com/journals/laneur/article/PIIS1474-4422\(25\)00161-9/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/laneur/article/PIIS1474-4422(25)00161-9/fulltext)

主な脳データベース② : NIH-NACC、AMED国際脳

- ✓ NIHでは、**国内の膨大なAD関連データのワンストップ提供**（標準化含む?）に向けた動きが見られる
- ✓ AMED国際脳プロジェクトでは、**高度なMRI標準化プロトコルの開発とデータ収集が進む**

NIH-NIA NACC (National Alzheimer's Coordinating Center)

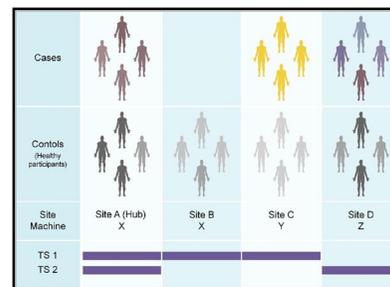
- 発足：1999年
- 活動概要：
 - ▶ NIAが支援する**36カ所のAD研究センターのデータを集約しデータセット構築支援**(標準化も)
 - ▶ ADNIやAlzheimer's Clinical Trials Consortiumも支援
 - ▶ NCRAD[生体試料]、NIAGADS[ゲノム]と連携し、**あらゆるADデータをワンストップで提供するData Front Door**を構築中
- 規模：**5万人以上**の標準化マルチモーダルデータ (うち1.7万人を追跡中)



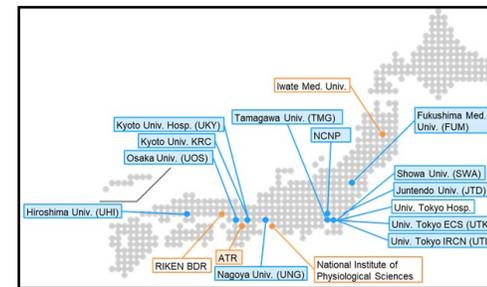
<https://naccdata.org/nacc-collaborations/about-nacc>

AMED国際脳 ヒト脳MRIプロジェクト

- 実施期間：2018年～
- 活動概要：
 - ▶ 2,000人規模のコホート（健常者/精神疾患など）
 - ▶ MRI装置や撮像方法の差異による系統誤差を除去、多施設間で標準化MRIデータ収集の実現を目指す
 - **多機種調和MRI撮像プロトコル[HARP]開発**
 - ▶ 多機種のMRI装置を用いて脳構造/機能を高精度・高感度で撮像するプロトコル
- HARPを用いて多施設で同一被験者のMRI脳画像などを取得・解析（国際脳MRIハーモナイゼーション法）



<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S2213158221000449>



<https://hbm.brainminds-beyond.jp/ja/documents/sites.html>

大規模ゲノムコホートにおける脳データ収集

- ✓ ゲノムや多様な生体/臨床データが豊富な**疾患/住民コホート**にて**脳画像データ基盤構築が進む**
- ✓ それら**データ基盤強化**に加え、もし**死後脳/全身組織の収集**も実現すれば意義深いと思われる

大規模住民コホートにおける脳画像データの取得

🇬🇧 ① UK Biobank 40頁参照

- ✓ 2023年より**6万人**を対象に**MRI**（脳/心臓/腹部）画像などを取得開始
- ✓ 予算規模：3,000万 £（MRC、Calico、Chan Zuckerberg Initiative）

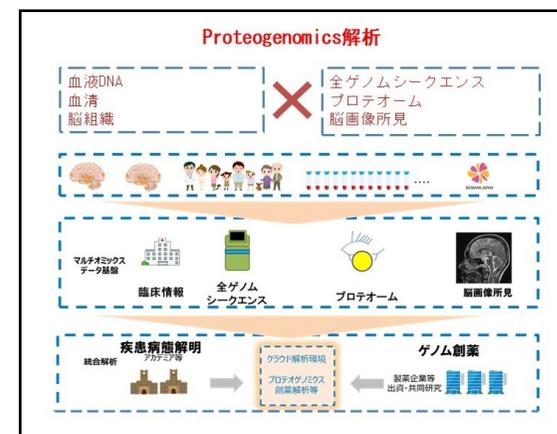
🇯🇵 ② 東北MMB

- ✓ 2014年に**脳画像（MRI）**の取得を開始、2019年に1万件達成
- ✓ 2024年に**1.2万件**の脳画像データの分譲開始

“ブレイン”バンクと“バイオ”バンクの接続事例

🇯🇵 ① 脳バイオバンクアトラスジャパン（BBAJ）

- ✓ **バイオバンクジャパン**[27万人]と**高齢者ブレインバンク**[7,000人]で**共通する協力者が100名存在**
- ✓ 日本人集団の脳神経疾患のメカニズムや疾患発症・重症化因子の詳細な理解を進める上で貴重な研究実施基盤



<https://biobankjp.org/9410#gsc.tab=0>

00. 自己紹介

01. 「脳」基礎～応用研究の俯瞰

02. 世界の主なブレインバンクの動向

03. ブレインバンクを活用した成果

04. 基礎医学/医薬品開発の潮流とブレインバンクへの期待

05. わが国において重要と考えられる方向性

ブレインバンクの論文数

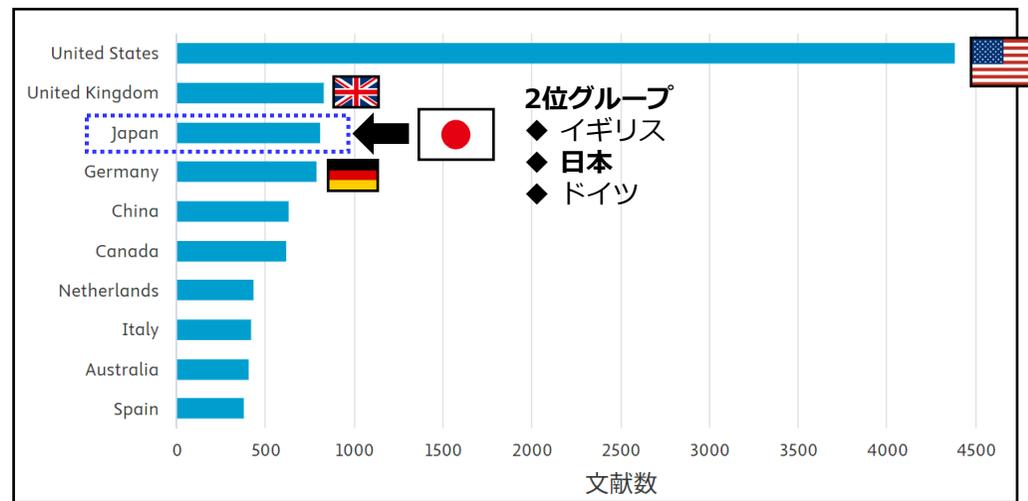
- ✓ 死後脳（ブレインバンク）の論文数は順調に増加 → [注] 飛躍的に伸びているわけではない
- ✓ 国別では米国が圧倒的な1位、日本は2位グループ（僅差で3位）と健闘

世界の論文数推移 (1995~2024、死後脳)



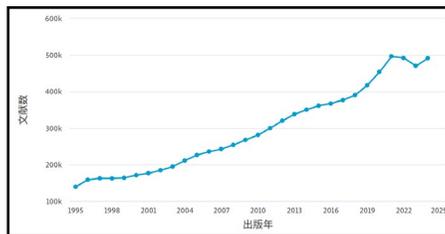
Scopus DB使用 (2025年6月13日検索実施、キーワード: postmortem AND brain)

国別論文数ランキング (2010~2024、死後脳)



注) ライフサイエンス系のほぼ全分野において論文数は増加傾向にある
→キーワード「細胞」を含む論文数 (右図)

Scopus DB使用 (2025年6月13日検索実施、キーワード: cell)



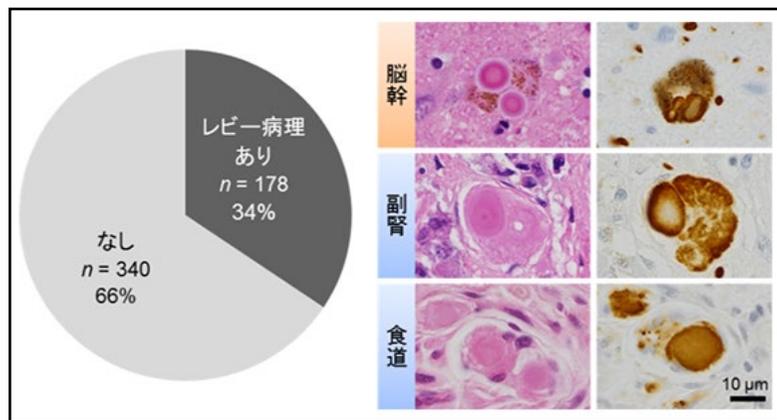
ブレインバンクを活用した主な研究成果①



末梢神経系に着目した神経変性疾患の評価

東京都健康長寿医療C 齊藤祐子部長ら
[Acta Neuropathologica, 2020]

- ✓ 高齢者ブレインバンク518例を対象とした解析
- ✓ パーキンソン病/レビー小体型認知症/自律神経不全症等と関係するレビー病理の出現を、末梢神経系(交感神経節, 心臓, 食道, 副腎, 皮膚)と脳で比較
 - 高齢者の1/3でレビー病理が確認
 - 食道病変が病変の進行を最も反映
 - 食道レビー病理を有する高齢者は自律神経症状が多い



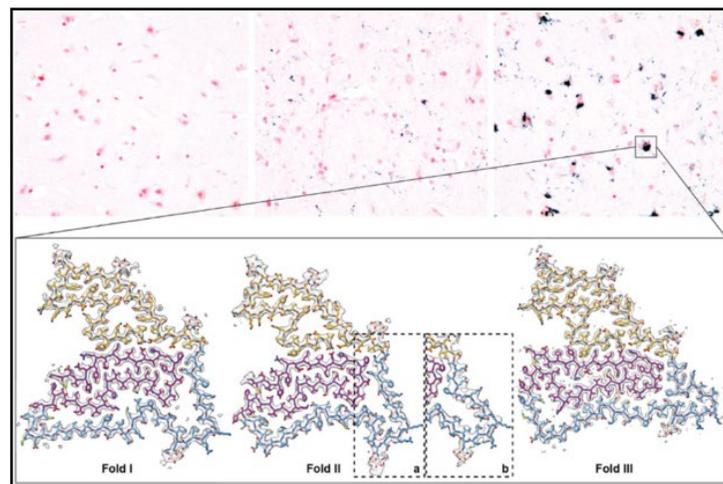
https://www.amed.go.jp/news/release_20201105.html



新規タンパク構造解明(アミロイド線維関連)

東京都医学総合研究所 長谷川成人PL、
英国MRCのグループ [Nature, 2022]

- ✓ 日本ブレインバンクネットの22例の凍結脳 (CBD, AGD, PSP, PD, DLB, MSA) を使用
- ✓ クライオEMで構造解析、ヒト脳でアミロイド線維を形成する新規タンパクTMEM106B同定
- ✓ 神経学的に正常な若年者と高齢者を比較すると、高齢者においてTMEM106B線維が多く存在



<https://www.igakuken.or.jp/topics/2022/0328.html>

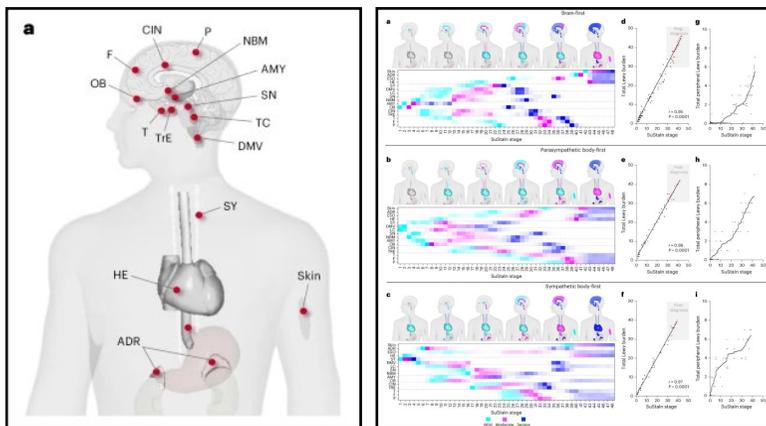
ブレインバンクを活用した主な研究成果②



機械学習を用いたLBDの詳細分類

東京都健康長寿医療C 村山繁雄部長
Aarhus大のグループ *[Nature Neuroscience, 2020]*

- ✓ 高齢者ブレインバンク302例(173+129)を解析
(中枢神経と末梢神経の両方の組織サンプル)
- ✓ レビー小体型疾患(LBD)の診断前段階で、脳優先型と身体優先型のサブタイプに分類した
- ✓ 機械学習アルゴリズムSuStaInを用い、身体優先型サブタイプでは迷走神経優位型と交感神経優位型の2つに分類可能であることを発見



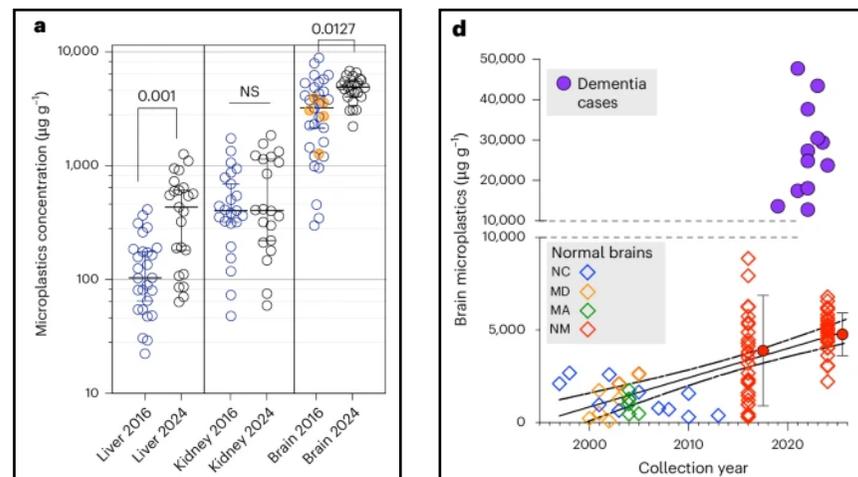
<https://www.nature.com/articles/s41593-025-01910-9>



マイクロプラスチックのヒト生体内蓄積

ニューメキシコ大ほか研究グループ
[Nature Medicine, 2025]

- ✓ 死後臓器組織(肝/腎/脳)の28例を解析
- ✓ 死亡時期(2016年/2024年)によって、肝臓と脳の両方のサンプルでMNP濃度が増加
- ✓ 認知症と診断されたケースではMNPの蓄積が大きく、脳血管壁と免疫細胞への沈着が顕著



<https://www.nature.com/articles/s41591-024-03453-1>

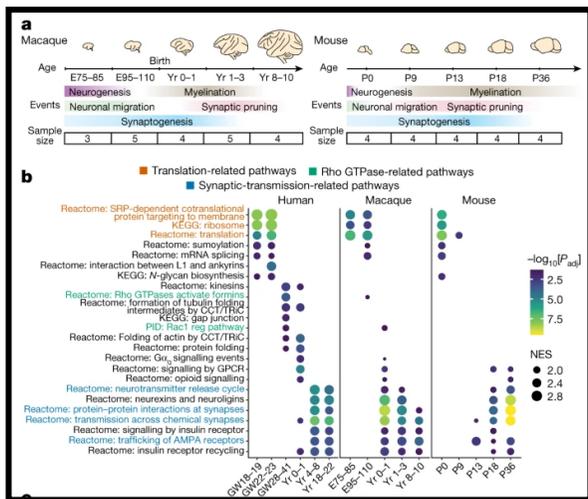
ブレインバンクを活用した主な研究成果③



種横断的プロテオーム解析 (シナプス形成)

UCSFの研究グループら [Nature, 2023]

- ✓ **NIH-NuroBank等の56例を利活用**
- ✓ ヒト/マカク/マウスを対象にPSD(シナプス後肥厚部)の1,000以上のタンパク変化を妊娠中期から若年成人期まで追跡
- ✓ ヒトPSDの成熟は他より2~3倍以上遅く、周産期の高レベルなRhoGEFがヒト脳発生のネオテニー形質と関係する可能性



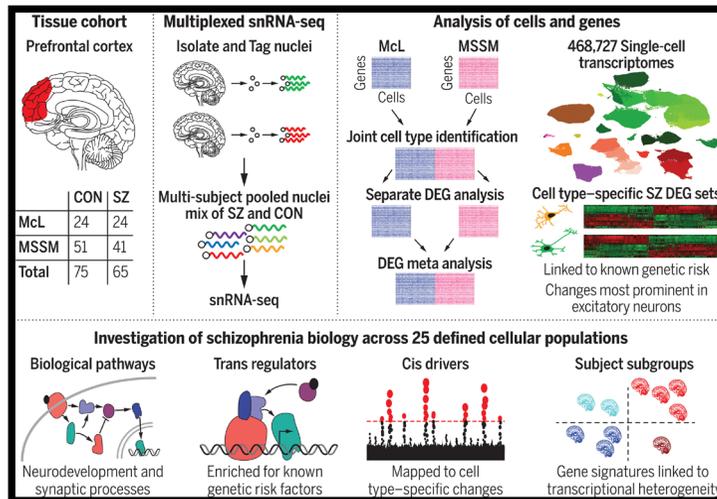
<https://www.nature.com/articles/s41586-023-06542-2>



1細胞トランスクリプトーム解析 (統合失調症)

マウントサイナイ医科大の研究グループら [Science, 2024]

- ✓ **NIH-NuroBank等の140例を利活用**
- ✓ 統合失調症患者 (65例) と非統合失調症患者 (75例) の前頭前皮質の1細胞トランスクリプトームアトラスを作成
- ✓ 統合失調症患者に特徴的な発現変化、および統合失調症感化の層別化に成功



<https://www.science.org/doi/10.1126/science.adg5136>

00. 自己紹介

01. 「脳」基礎～応用研究の俯瞰

02. 世界の主なブレインバンクの動向

03. ブレインバンクを活用した成果

04. 基礎医学/医薬品開発の潮流とブレインバンクへの期待

05. わが国において重要と考えられる方向性

ブレインバンクの利活用を通じて期待される成果の方向性

✓ **ブレインバンクの利活用**が進むことで、**基礎研究～社会実装のさまざまな局面**に大きなインパクトがもたらされると期待される

世界のトレンド

【1】
基礎

23頁/33頁/34頁参照
「**Human Biology**」が重要に
(ヒトを対象とする生命科学・医学研究)

【2】
評価

24頁参照
動物実験(サル等)削減の動き
(ヒト代替評価系の確立が急務)

【3】
市場

25頁/26頁、35-42頁参照
神経疾患の**医薬品市場**が急成長、
「**ブレインテック**」も？

【4】
創薬エコ
システム

27頁、43-47頁参照
“**バイオ**”バンクを起点とする
創薬エコシステムの兆し[UK Biobank]

ブレインバンクで期待される成果

短期的

幅広い**基礎研究者**がヒト脳を用い
研究を推進、“**ヒト脳科学**”が発展

中長期的成果

ヒト代替評価系の構築で**動物実験**
の削減 (MPS、脳オルガノイド)

精神・神経疾患の**新たな治療標的**
が発見、**創薬が加速**

“**ブレイン**”バンクを起点とする
創薬エコシステム**成立**への期待

ブレインバンク利活用

【1】基礎：Human Biologyの重要性の高まり

33頁/34頁参照

- ✓ わが国のマウス免疫学は現在も世界トップレベルだが、ヒト免疫学は存在感が低下
- ✓ 免疫に限らず、**様々なライフサイエンス研究領域（脳神経研究含む）でHuman Biologyが重要**

★免疫に関するTOP10%論文数の分析を試みた結果は次の通り

①わが国の「免疫学×マウス」は今も世界トップレベル
2位(95'-00') → 2位(05'-10') → 4位(15'-20')

②わが国の「免疫学×臨床」は順位が大きく低下
4位(95'-00') → 6位(05'-10') → 10位(15'-20')

③TOP10%の論文数は「免疫学×臨床」が2倍近く多い

表. 免疫に関するTOP10%論文数

	免疫×臨床		免疫×マウス	
	論文数	日本	論文数	日本
95'-00'	28,634	4位	15,196	2位
05'-10'	62,673	6位	33,722	2位
15'-20'	138,715	10位	69,110	4位

- マウス免疫学は日本のお家芸
- 創薬ではヒト免疫学も重要



“Human biology”の推進に向けた、わが国で重要と思われる取り組み

- ① 大学病院(医学部)の研究環境の整備 ←大学病院の研究環境悪化は著しい
- ② ヒトサンプル/データへのアクセス改善（臨床系と他学部の連携）
- ③ コホート、バイオバンク、**ブレインバンクの整備**

【2】評価：動物実験(サル等)削減とヒト代替評価系への期待



- ✓ 動物実験（サル等）削減の動きが急速に進む
- ✓ 特に医薬品開発において「ヒト代替評価系（脳神経含む）」への期待感が高まる

FDAが動物利用要件を緩和



- ① **2022年**：FDA近代化法2.0成立
 - ✓ 医薬品開発における動物実験の使用要件を削除
- ② **2025年**：FDA近代化法3.0が上院/下院で紹介
- ③ 具体的な動きが徐々に開始
 - ✓ FDAがmAbの動物試験の段階的廃止案を発表
 - ✓ NIHが研究革新/検証/応用局[ORIVA]を設立

医薬品評価に用いるカニクイザル価格高騰

【米国】

- 2大輸出国からの輸入が途絶え価格高騰（中国、カンボジア）

【日本】

- 現在も輸入可能だが価格高騰（70万円[2021] → 500万円[2023]）
- 国内大手CROが飼育施設拡大を表明

MPS [Microphysiological System]



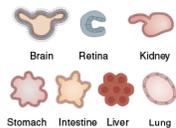
Emulate社HPより

【例】 Organ-on-a-chip

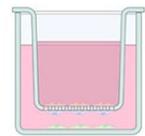
- チップ上の微細な流路でヒト細胞を培養し複雑な臓器モデルを再現

【例】 オルガノイド

- *in vitro*培養ミニ臓器
- **脳オルガノイドも**



MBLライフサイエンス社HPより



Small, Volume 18, Issue 39 2201401

【例】 Transwell

- 極性を持った二次元細胞培養評価系

研究開発プロジェクトの動向

【米国】

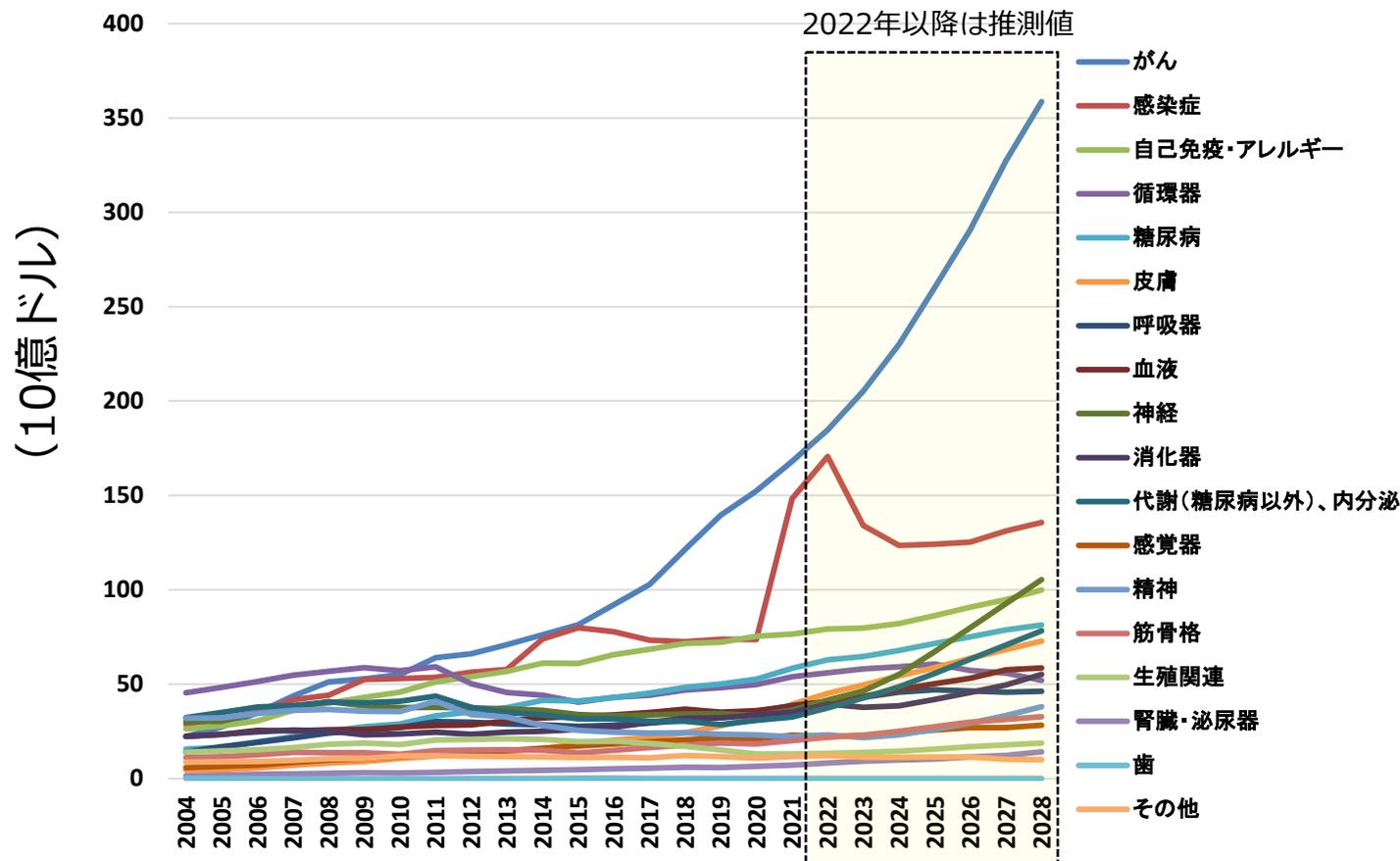
- ✓ NIH/FDA/DARPAが連携したMPS大型プロジェクト
 - 第1期 (12'-17'、160億\$?)、第2期 (18-22')
- ✓ “FDT-BioTech”：FDA/NIH/NSFが生物医学・臨床のデジタルツイン研究に**600万\$**を投資（2024～）
 - **デジタルツインに基づく神経変性疾患研究**も採択

【日本】

- ✓ 再生医療技術を応用した高度な創薬支援ツール開発
 - 第1期：54億円(17'-21') → 第2期：39億円(22'-27')
 - **ヒト神経系の毒性評価に向けたテーマ**も推進中

【3】市場：神経疾患市場の急成長

- ✓ 神経疾患は、近年の市場成長が著しく、2028年には“がん”、“感染症”に次ぐ**3位**
- ✓ 神経疾患、精神疾患とも、これから**高い成長率**が見込まれる **35頁参照**



2021年

1. がん
2. 感染症
3. 自己免疫・アレルギー
4. 糖尿病
5. 循環器疾患

2028年

1. がん
2. 感染症
3. **神経疾患**
4. 自己免疫・アレルギー
5. 代謝・内分泌疾患

出典：EVALUATE社DB、ベンチャー/製薬企業HP、各種文献などを参考にJST-CRDS作成

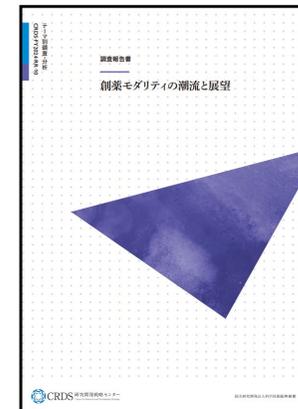
【3】市場：創薬モダリティ ～主に神経疾患の観点から～

- ✓ 創薬モダリティの多様化が進み、それぞれが今後大きな市場を形成すると見込まれる
- ✓ 神経疾患では多様な創薬モダリティの開発が活発、精神疾患ではデジタル治療も

1) 創薬モダリティが多様化、巨大な世界市場へ 36頁参照

表. 新たな技術トピック（神経疾患に関するものも多い）

モダリティ	技術トピックなど
①低分子医薬	標的分子分解、核酸標的化合物、AI創薬
②ペプチド医薬	細胞内PPI標的、Exenatide® (P3失敗)
③抗体医薬	ADC、多重特異的制御、レカネマブ®
④核酸医薬	アンチセンス/siRNA、生活習慣病、N-of-1
⑤再生医療	異種移植、臍島移植、リプログラミング
⑥遺伝子治療	固形がんCAR-T、 <i>in vivo</i> CAR-T、ゲノム編集治療



【参考資料】
「創薬モダリティの潮流と展望」
(JST-CRDS、2025.2刊行)

2) デジタル治療に向けた動きも 37頁参照

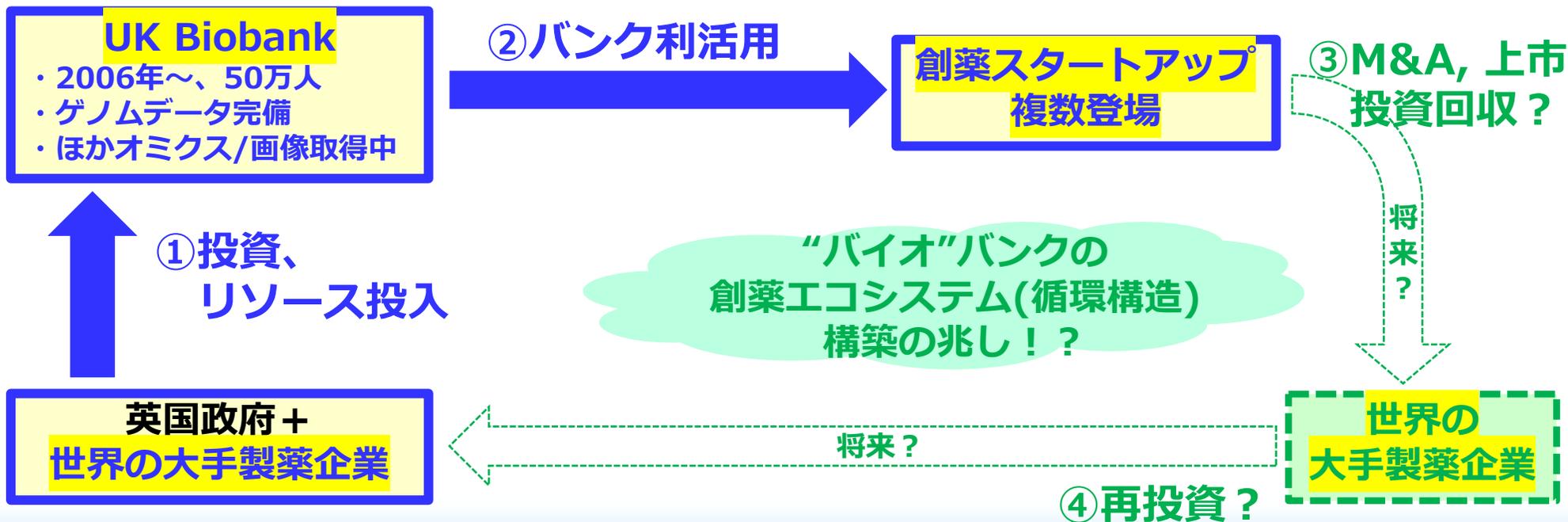
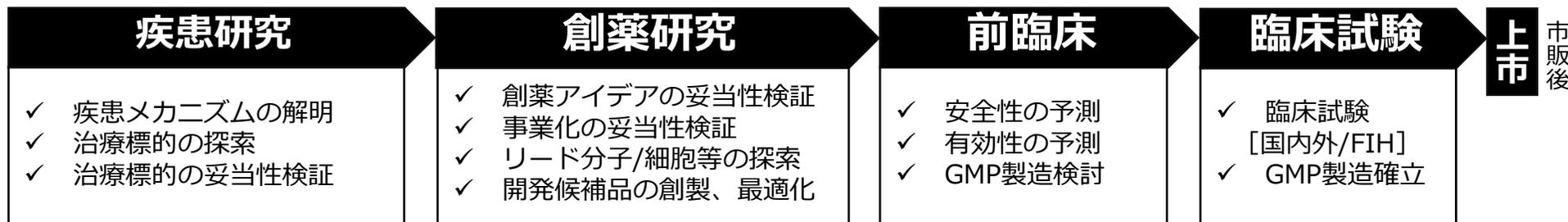
ADHD治療アプリ、自閉症治療アプリ

3) Nature Medicine 「医学を形作る11の臨床試験」に精神・神経疾患が多数掲載 38頁参照

【4】エコシステム：“バイオ”バンク創薬エコシステム

- ✓ 英国UK Biobankを起点とした創薬エコシステムが成立する兆しが見られる
- ✓ 将来的には、ブレインバンクも創薬エコシステムの一翼を担う可能性がある

39-42頁参照



00. 自己紹介

01. 「脳」基礎～応用研究の俯瞰

02. 世界の主なブレインバンクの動向

03. ブレインバンクを活用した成果

04. 基礎医学/医薬品開発の潮流とブレインバンクへの期待

05. わが国において重要と考えられる方向性

わが国において重要と考えられる方向性

【提案1】“ブレイン”バンクの基盤整備

1-1 ブレインバンクの規模拡大

- 推進体制の強化 [病理/神経内科、コーディネーター等]、対象施設の拡大
- 東北MMB、BBJ、疾患コホート、ディープクリニカルデータ基盤 [CLIDAS等] との連携
- 病理解剖に対する幅広い理解増進に向けた活動

1-2 ブレインバンクに付随するデータ強化[標準化含む]

- 正確な診断情報 [AI診断への挑戦も]
- デジタル標本
- 医療情報 [電子カルテ、診療情報ほか]、健康情報
- ゲノム/ロングリード、エピゲノム、プロテオーム、メタボローム、空間オミクス、生化学

【提案2】“脳データ”基盤の整備 (@疾患コホート、住民コホートなど)

2-1 データ取得/解析における標準化のさらなる推進

- サンプル調整、データ形式、計測装置

2-2 経時的なデータ/サンプルの取得と保管

- 脳画像データ、ゲノム・オミクス全般、生化学データ
- 生体サンプル [脳脊髄液、血液、尿など]
- 死後脳および全身組織の取得 [末梢神経、臓器など]

【提案3】精神・神経疾患の創薬力強化に向けた研究開発

3-1 ヒト代替評価系の開発

- ヒト脳神経オルガノイドの構築、*in vitro/in vivo* 相関性の改善、国際標準化 [毒性評価]
- ヒト脳デジタルツインの構築

3-2 “ヒト”の精神・神経疾患メカニズム解明 (→創薬シーズへ)

参考資料

世界の主なブレインバンク①（個別機関レベル）

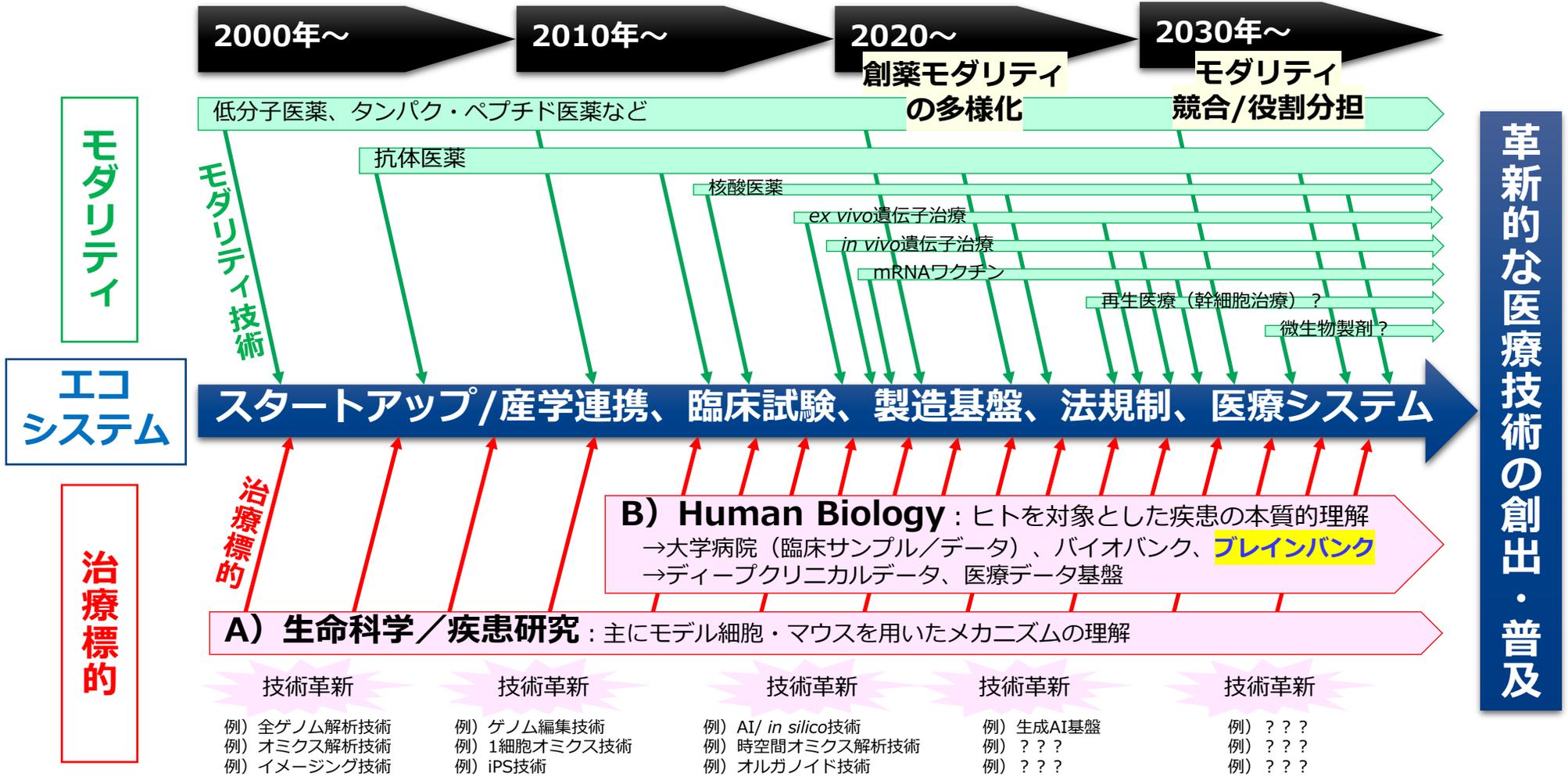
国	バンク名 (発足年)	死後 脳数	特色
オランダ	Netherlands Brain Bank (1985)	5,122件	<p>【保管形態】凍結切片、ホルマリン固定パラフィン包埋切片 (FFPE)、培養液 (新鮮標本)</p> <p>【データ】MS患者のドナーの剖検では、1cm幅の冠状断面をMRIスキャン</p> <p>【利用料】非営利団体と営利団体で異なる料金設定</p> <p>【組織】オランダ神経科学研究所 (NIN) の一部門</p> <p>【資金源】オランダ王立芸術科学アカデミー (KNAW)</p>
ドイツ	Neurobiobank München	—	<p>【位置付け】BrainNet Germanを引き継ぐ</p> <p>【保管形態】凍結保存組織、ホルマリン固定組織、またはホルマリン固定パラフィン包埋組織</p> <p>【組織】ミュンヘン・ルートヴィヒ・マクシミリアン大学の神経病理学・プリオン研究センター (ZNP) と精神医学・心理療法学科の共同プロジェクト</p> <p>【利用料】非営利/営利で異なる料金体系 (例: Frozen tissue per unit: 非営利50 € 商業150€)</p>
	DZNE Brain Bank	—	<p>【組織】ドイツ神経変性疾患センターと国内の5つの大学が提携したブレインバンク</p> <p>【保管形態】凍結保存組織、ホルマリン固定組織、ホルマリン固定パラフィン包埋組織</p> <p>【利用範囲】国外からも利用可能</p>
米国	Mayo Clinic Brain Bank (1998)	11,000件 以上	<p>【疾患内訳】アルツハイマー病 (5,000件以上)、レビー小体病 (2,000件)、タウオパチー (2,000件)</p> <p>【保管形態】凍結+固定</p> <p>【組織】CurePSP's Brain Tissue Donation Programと共同運営、Parkinson & Other Movement Disorders Center、UC San Diegoとも提携</p>
	Human Brain Collection Core	1,354件	<p>【位置付け】NIH NeuroBioBankと連携</p> <p>【疾患内訳】大うつ病性障害(283件)、統合失調症 (193)、双極性障害 (160件) 等</p> <p>【保管形態】凍結+固定、全血、、、保管検体情報はDBから入手可能</p> <p>【付随データ】臨床脳診断、神経病理診断情報、、、一部の検体では、背外側前頭前皮質 (DLPFC)、海馬、前帯状皮質 (ACC)、帯状皮質膝下皮質 (sgACC)、硬膜から構築されたcDNAライブラリを入手可能</p> <p>【組織】国立精神衛生研究所 (NIMH) の学内研究プログラム部門 (DIRP)</p> <p>【資金源】NIH</p>
	UNITE Brain Bank (2008)	1,500	<p>【疾患内訳】慢性外傷性脳症CTE (800件以上)</p> <p>【組織】ボストン大学CTEセンターに設置</p> <p>【資金源】脳震盪レガシー財団、退役軍人省</p> <p>【特色】アスリート、退役軍人などから組織サンプル (脳、脊髄、眼) を収集</p>

世界の主なブレインバンク②（個別機関レベル）

国	バンク名 (発足年)	死後 脳数	特色
カナダ	Douglas-Bell Canada Brain Bank (1980)	3,600件 以上	<p>【位置付け】 Autism BrainNet の一部</p> <p>【疾患内訳】 パーキンソン病、アルツハイマー病、認知症、統合失調症、大うつ病、双極性障害、物質使用障害など</p> <p>【保管形態】 急速冷凍+ホルマリン固定</p> <p>【付随データ】 臨床ファイルが入手可能（年齢、性別、人種、診断、健康状態、家族歴、受けた治療とその反応など）</p> <p>【標準化】 死後脳MRI画像取得の protocols を公開（2024）</p> <p>【利用範囲】 国外利用可能</p> <p>【利用料】 無償（配送料のみ研究者負担）</p> <p>【資金源】 ダグラス病院財団、ケベック健康研究基金（FRSQ）</p>
ブラジル	The Biobank for Aging Studies (2000年代?)	4,000件 以上?	
インド	Human Brain Tissue Repository (1995)	715件	<p>【資金源】 国立精神衛生神経科学研究所（30万ルピー/年）</p>
シンガポール	Brain Bank Singapore (2018)	9件	<p>【保管形態】 急速凍結、ホルマリン固定・パラフィン包埋標本、、、一部の検体では、脊髄、末梢神経、筋肉、腸、脾臓、リンパ節も入手可能</p> <p>【組織】 南洋理工大学リーコン・チアン医学部（LKC Medicine）、国立神経科学研究所（NNI）、国立ヘルスケアグループ（NHG）、シンガポール国立大学ヨン・ルー・リン医学部による共同パートナーシップ</p>

Human Biologyの重要性の高まり

✓ 有望な治療標的の開拓において、大学病院(/医学部)やバイオバンクを軸とした研究が重要



生命科学／疾患研究の視点からの主なテーマ（イメージ）

ヒト研究/ Human Biology

⑰ **ヒト生物学／ヒト医学&疾患**：マウス生物学からヒト生物学への転換
 ・ヒト研究基盤[医療データ、オミクス/画像、サンプル]、ヒト実験系[ヒト化動物、Organ-on-a-Chip、疾患iPS]、ヒト計測技術[オミクス/イメージング]

⑱ **進化医学**：多様な生物種とヒトの比較生物医学
 ・多様な生物種に固有の生理現象/疾患のメカニズム、絶滅生物のバイオロジー[旧人類、絶滅動物]、技術基盤[iPS技術、ゲノム解析、オルガノイド]

分子細胞基盤

① セントラルドグマ

- ・ゲノム動的構造
- ・エピゲノム
- ・RNA/スプライシング
- ・翻訳/翻訳後修飾

② 細胞内構造

- ・オルガネラ関連
- ・生体相分離
- ・細胞内混雑環境
- ・細胞内外情報伝達

③ 品質管理

- ・タンパク品質管理
- ・オルガネラ品質管理
- ・アポトーシス、細胞競合
- ・人為的制御[PROTAC等]

④ 細胞記憶

- ・長期免疫記憶
- ・非免疫細胞記憶
- ・エピゲノム、液性因子、代謝、形態ほか

細胞～臓器連関

⑤ 多臓器連関

- ・臓器間分子ネットワーク
- ・臓器間神経ネットワーク
- ・脳腸連関、炎症反射
- ・感覚器～脳～臓器

⑥ 超生命体

- ・マイクロバイオーム
- ・バイローム
- ・クオラムセンシング
- ・宿主-微生物叢相互作用

⑦ 実質-間質細胞連関

- ・臓器固有の間質細胞
- ・実質×間質機能連関
- ・細胞分化系譜
- ・細胞多様性

⑧ 代謝ネットワーク

- ・分子ネットワーク
- ・代謝エピジェネティクス
- ・代謝と細胞機能
- ・代謝×免疫/神経/発生

生命システム連関

⑨ 免疫システム

- ・免疫応答システム
- ・免疫ゲノム、レパトア
- ・臓器ローカル免疫
- ・腫瘍免疫、疾患免疫学

⑩ 神経システム

- ・神経システム基盤
- ・中枢神経、高次脳機能
- ・自律神経、末梢神経
- ・神経×免疫/代謝/発生

⑪ 発生/再生

- ・発生メカニズム
- ・再生メカニズム
- ・幹細胞のバイオロジー
- ・修復×免疫システム連関

⑫ 性スペクトラム

- ・♂と♀の生物学
- ・性スペクトラムと恒常性維持機構
- ・性スペクトラムと疾患

健康～疾患基礎

⑬ 疾病横断的現象

- ・3次リンパ組織
- ・がん微小環境
- ・悪液質
- ・クローン性造血

⑭ 加齢・老化

- ・生命システムの老化
- ・細胞老化、老化時計
- ・partial cell reprogramming
- ・細胞老化弊

⑮ 栄養/運動

- ・食/栄養の代謝制御
- ・運動の分子機構
- ・個別化栄養
- ・健康と栄養/運動

⑯ 睡眠/リズム

- ・睡眠の制御機構
- ・冬眠/夏眠/休止状態
- ・生体リズム/生物時計
- ・非モデル生物[冬眠動物]

疾患メカニズム

[1] がん

[2] 認知症

[3] 精神神経

[4] 感染症

[5] 生活習慣

[6] 免疫/慢性炎症

[7] 小児

[8] 希少

ほか

【省略】 AI/データ科学、先端計測技術、バイオテクノロジー、ゲノム・医療データ基盤

基礎生命科学

基礎医学～疾患研究

市場：疾患別市場規模の増加率（2004→2021→2028）

- 2004年→2021年の市場規模の増加率は、
皮膚[8.5倍] > がん[7.5倍] > 感染症[5.2倍] > 腎臓・泌尿器[4.5倍] > 感覚器[4.0倍]
- 2021年→2028年の市場規模増加率は、
神経[2.9倍] > 代謝（糖尿病以外）内分泌[2.4倍] > がん[2.1倍] > 腎臓・泌尿器[2.0倍] > 皮膚[1.9倍]
- 市場規模の大小で疾患の重要性は語れず、複合的な分析が必要

	市場規模の増加比	
	2004→2021	2021→2028
がん	7.5倍（2位）	2.1倍（3位）
感染症	5.2倍（3位）	0.9
自己免疫・アレルギー	2.9	1.3
循環器疾患	1.2	1.0
糖尿病	3.7倍（6位）	1.4
皮膚疾患	8.5倍（1位）	1.9倍（5位）
呼吸器疾患	2.7	1.2
血液疾患	1.7	1.5
神経疾患	1.2	2.9倍（1位）

	市場規模の増加比	
	2004→2021	2021→2028
消化器疾患	1.6	1.6
代謝（糖尿病以外）内分泌疾患	1.0	2.4倍（2位）
感覚器疾患	4.0倍（5位）	1.2
精神疾患	0.7	1.7倍（6位）
筋骨格疾患	1.8	1.6
生殖関連	0.9	1.4
腎臓・泌尿器疾患	4.5倍（4位）	2.0倍（4位）
歯疾患	2.6	1.0
その他	1.3	0.9

出典：EVALUATE社DB、ベンチャー/製薬企業HP、各種文献などを参考にJST-CRDS作成

創薬モダリティの分類、市場予測

治療	赤：巨大市場を形成	 科学を支え、 未来へつなぐ
予防	青：製品事例有り（市場未成熟）	
	緑：基礎研究or臨床開発段階	

大分類	中分類
① 低分子医薬 6,200億 \$ [2030]	低分子化合物（化学修飾、人工骨格構造など） 天然化合物 他のモダリティとのコンジュゲート（ADCなど） キメラ化合物、二重特異性化合物 生理活性タンパク・ペプチド タンパク・ペプチドコンジュゲート 融合タンパク・ペプチド 人工構造ペプチド（人工アミノ酸、特殊環状など） 細胞膜透過型ペプチド
② タンパク/ ペプチド医薬 2,700億 \$ [2030]	アンチセンス核酸 siRNA 核酸アプタマー 核酸アジュバント miRNA/人工miRNA エピゲノム編集 RNA編集 tRNA
③ 核酸医薬 350億 \$ [2030]	モノクローナル抗体 抗体コンジュゲート（ADCなど） 多重特異性抗体 低分子抗体（Fab, scFv, VHHなど） 免疫グロブリン製剤、抗体カクテル 機能性抗体（病態特異的結合など）
④ 抗体医薬 4,200億 \$ [2030]	人工構造mRNA（化学修飾、キャリアフリーなど） 人工構造mRNA（自己増幅型、環状など） 人工構造DNA ウイルスベクター（AAV） ウイルスベクター（AAV以外） 非ウイルスベクター（VLP, LNP, pDNAなど） ゲノム編集（CRISPRなど、KO, KI, 修復など） in vivo CAR-T（ex vivo → in vivoへの転換）
⑤ mRNA医薬 （感染症以外）	
⑥ in vivo 遺伝子治療 220億 \$ [2030]	

25億 \$ [2030]

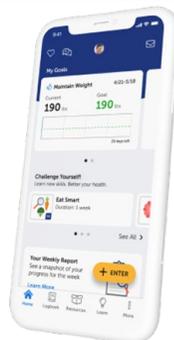
大分類	中分類
⑦ ex vivo 遺伝子治療 310億 \$ [2030]	造血幹細胞 免疫細胞（CAR-T） 免疫細胞（TCR-T） 免疫細胞（NK, NKT, Treg, マクロファージなど） 組織幹細胞（神経細胞など） iPS由来細胞（iPS CAR-Tなど） ゲノム編集（CRISPRなど、KO, KI, 修復など） 人工合成細胞
⑧ 細胞治療 [再生医療] 74億 \$ [2030]	造血幹細胞（骨髄移植など） 培養組織シート（皮膚など） 組織幹細胞/体細胞（軟骨など） 間葉系幹細胞 免疫細胞（T細胞, NK細胞, 腫瘍浸潤細胞など） ES/iPS由来細胞（臍細胞, 神経細胞など） iPS由来培養立体像機 異種移植/胚盤胞置換法（ブタなど）
⑨ ウイルス製剤治療	腫瘍溶解ウイルス（ヘルペス, ワクシニアなど） バクテリオファージ（天然or組換え）
⑩ 細菌製剤治療	マイクロバイーム（FMT, 細菌カクテルなど） 遺伝子改変細菌
⑪ その他	α線/β線核種（他のモダリティとの複合化） ミトコンドリア移植 ホウ素薬剤（BNCT） EV/エクソソーム（天然, 人工）
⑫ ワクチン （mRNA以外） 640億 \$ [2030]	病原体（弱毒化, 不活化） 病原体由来分子（コンジュゲート, 組換え, VLP, トキソイド, ポリサッカライド, サブユニット） アデノウイルスベクターワクチン
⑬ mRNAワクチン （感染症） 150億 \$ [2030]	人工構造mRNA（化学修飾, キャリアフリーなど） 人工構造mRNA（自己増幅型, 環状など） 人工構造DNA

デジタル治療 (DTx)、治療アプリ

- ✓ DTx開発が活性化 (臨床試験300件前後)、日本でも開発が進む
- ✓ 精神疾患を対象とした開発も多く見られる

Weldoc社[2005-]/アステラス  

- BlueStar® [2010]
- FDA初承認のDTx製品
 - 糖尿病治療アプリ
 - 患者 & 医療従事者の情報共有とコーチング
- DIGITIVA® [2024]
 - 心不全管理アプリ <https://www.welldoc.com/>
 - アステラス社 (Weldoc社×Eko Health社)

CureApp社[2014-] 

- CureApp SC [2020]
- 日本初の、医師が処方する治療アプリ
 - ニコチン依存症治療
 - 患者/医師向けアプリとCOチェッカーで構成
- CureApp HT [2022]
 - 高血圧治療補助アプリ <https://sc.cureapp.com/d/>
- いずれも約1万円 (3割負担で3000円未満)
- NASH向けの治療アプリ開発中

Akili社 [2016-]/塩野義製薬  

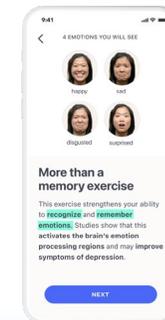
- EndeavorRx® [2020]、小児ADHD
- 治療用ゲームアプリとして初承認
- ゲームで前頭前野を活性化し症状改善
- 450 \$ 程度 (90日間)



<https://www.akiliinteractive.com/>

Click社[2012-]/大塚製薬  

- Rejoyn® [2024]
- 22歳以上の大うつ病(MDD)の補助療法として承認
- 脳の特定部位を活性化させ症状改善、脳機能改善アプリ
- 200 \$ 程度を予定 <https://www.rejoyn.com/the-science>



Nature Medicine誌「医学を形作る11の臨床試験」

精神神経疾患関連

2023年

2024年

2025年

疾患など	モダリティなど
パーキンソン病	Exenatide (ペプチド、糖尿病治療薬)
卵巣がん	抗体医薬 (ADC)
筋ジストロフィー	ex vivoゲノム編集治療
子宮がん	HPVワクチン接種者に対するHPV検診最適化
肥満、太りすぎ	栄養介入 (地中海食)
アフリカ睡眠病	低分子医薬
がん転移	CTC検査 & 低分子医薬
アルツハイマー病	抗体医薬 (レカネマブ®) 
COVID-19 [HIV患者など]	COVID-19ワクチン
鎌状赤血球症	ex vivoゲノム編集治療
前立腺がん	検診システムの最適化

疾患など	モダリティなど
家族性高コレステロール血症[PCSK9]	in vivoゲノム編集治療
肺がん	早期診断 (X線画像×AI)
HIV	養子免疫療法 (T細胞)
周産期うつ病	治療アプリ
パーキンソン病	再生医療 (ES由来ニューロン)
トリアージ [救急医療等]	AIモデル
悪性黒色腫 [手術前補助療法]	抗体医薬 (免疫チェックポイント阻害)
マラリア	ワクチン
脳転移 [進行乳がん]	抗体医薬 (ADC, Enhertu®) 
乳児メンタルヘルス	精神保健介入モデル
肺がん	CT検査最適化 (検査頻度など)

疾患など	モダリティなど
プリオン病	核酸医薬
健康、栄養状態 [米国All of Us]	栄養介入、精密栄養
精神疾患	層別化 & 早期治療 (CBD: 麻薬成分)
鎌状赤血球症	ex vivoゲノム編集治療
熱中症	クールルーフ (家屋の屋根のコーティング)
前立腺がん	核医学治療 (ルテチウム177)
子宮がん	検診支援チャットボット
メンタルヘルス	モバイルツール
乳がん	層別化検診
栄養失調	気候変動の影響 (家庭菜園)
自閉症	治療アプリ

【歴史】「ブレインテック」の研究開発潮流

④ 医療以外も含めた
幅広い展開への期待感

③ 診断/治療
/リハビリ
[医療機器]

② 診断/治療
[医薬品]

① 「脳」を理解
[基礎研究]

Elon Musk
"Neuralink社"
(2017年)

開発段階
ゲーム、ヘルスケア、
生活/ビジネス支援等

開発段階
【意思伝達BMI】
脳波等で外部デバイス制御

開発段階
【運動制御BMI】

開発段階
人工視覚/網膜

開発段階
【聴覚刺激】 認知症等

【視覚刺激】 ADHD (治療用ゲーム)

【物理的な神経刺激(電気など)】 パーキンソン病、てんかん等

多様化する
創薬モダリティ
開発段階
【遺伝子/細胞治療】
パーキンソン病等

【低分子医薬、抗体医薬】 アルツハイマー病、精神疾患等

【計測機器】 MRI, PET, EEG, ECoG等 / 【データ解析】 AI等

「脳科学」国家プロジェクト (米、欧、日ほか)

1990年

2000年

2010年

2020年

現在

「ブレインテック」技術タイプ

分類	「ブレインテック」技術タイプ	想定される用途
脳活動 計測・評価	<p>①計測機器 ✓ 小型：EEG[頭皮脳波]、ECoG/micro-ECoG[皮質脳波]、血管内脳波、NIRS ✓ 大型：MRI/fMRI、PET、MEG[脳磁図]</p> <p>②データ解析 ✓ AI（生成AI、深層学習/機械学習ほか）、アルゴリズム</p> <p>③デコーディング：脳内の心的機能の信号を解読、データ解析法の1つ</p>	<p>★疾患の診断 ★脳機能の評価</p>
脳への 刺激・介入	<p>①物質での神経刺激（医薬品など） ✓ 低分子医薬、抗体医薬、核酸医薬、遺伝子治療、細胞治療など</p> <p>②物理的な神経刺激（電気など） ✓ 電気：脳深部刺激[DBS]、経頭蓋電気刺激[tES]、脊髄刺激療法[SCS]、 迷走神経刺激[VNS]、反復神経刺激[RNS] など ✓ その他：磁気[経頭蓋磁気刺激：TMS/rTMS]、光[光遺伝学]、超音波など</p> <p>③感覚器を介した神経刺激 ✓ 視覚[治療用ゲームほか]、聴覚、嗅覚、触覚 など</p> <p>④ニューロフィードバック：脳計測データを確認し自ら脳機能を調整</p> <p>⑤【BMI※】人工感覚器 ✓ 人工内耳、人工視覚/人工網膜 など</p>	<p>★疾患の治療 ★リハビリテーション ★脳機能の改善、強化 ★失われた感覚機能の補綴</p>
生体外への 出力・拡張	<p>①【BMI※】運動制御 ✓ 神経義肢、歩行支援、ロボットスーツなど</p> <p>②【BMI※】意思伝達装置/外部電子機器操作 ✓ コンピューター、電動車椅子、家電製品など</p>	<p>★失われた運動機能の補綴 ★意思伝達支援 ★脳による電子機器の操作</p>
脳模倣製品	<p>①脳を模倣したAI、脳型AIアクセラレーター（ほか）</p>	<p>★低消費電力（ほか）</p>

※BMI=Brain Machine Interface

◎ : 製品/実用化多数
 ○ : 製品/実施事例有り
 △ : 研究段階

(参考) 世界市場の規模感 <1ドル=150円換算>

「ブレインテック」	医療以外の産業				IT産業
	ヘルス/支援	ゲーム/エンタメ	教育/訓練/ビジネス	ソフト/ハード	
<p>医薬品 [うち精神神経疾患] 2021年 : 120兆円 [9兆円] 2028年 : 190兆円 [21兆円] 出典 : Evaluate社DBを元にCRDS算出</p>					
<p>医薬品など [物質等による脳神経刺激]</p>					
<p>医療機器① [物理的な脳神経刺激]</p>					
<p>医療機器② [感覚器を介した脳神経刺激]</p>					
<p>BMI① [人工感覚器]</p>	◎ 人工内耳	-	-	-	-
<p>BMI② [意思伝達・運動制御]</p>	○ 筋電/神経義肢	○ (麻痺)	△ PC等電子機器操作/電動車椅子	○ ゲーム機器	-
<p>BMI/脳計測装置 2024年 : 3750億円 2030年 : 1兆2000億円 出典 : Statistics Market Research Consulting(※3)</p>	△ 精神	○			△
<p>義肢 [義手/義足] 2024年 : 2100億円 2031年 : 4125億円 出典 : DataM Intelligence (※5)</p>					
<p>人工内耳 2024年 : 2790億円 2030年 : 4155億円 出典 : Grand View Research (※4)</p>					△ 脳型AI等

医薬品 [うち精神神経疾患]
 2021年 : 120兆円 [9兆円]
 2028年 : 190兆円 [21兆円]
 出典 : Evaluate社DBを元にCRDS算出

神経刺激デバイス
 2021年 : 4785億円
 2030年 : 1兆2450億円
 出典 : Grand View Research(※1)

ゲーム機器 [ハード]
 2024年 : 8兆5330億円
 2029年 : 12兆1470億円
 出典 : Mordor Intelligence(※2)

BMI/脳計測装置
 2024年 : 3750億円
 2030年 : 1兆2000億円
 出典 : Statistics Market Research Consulting(※3)

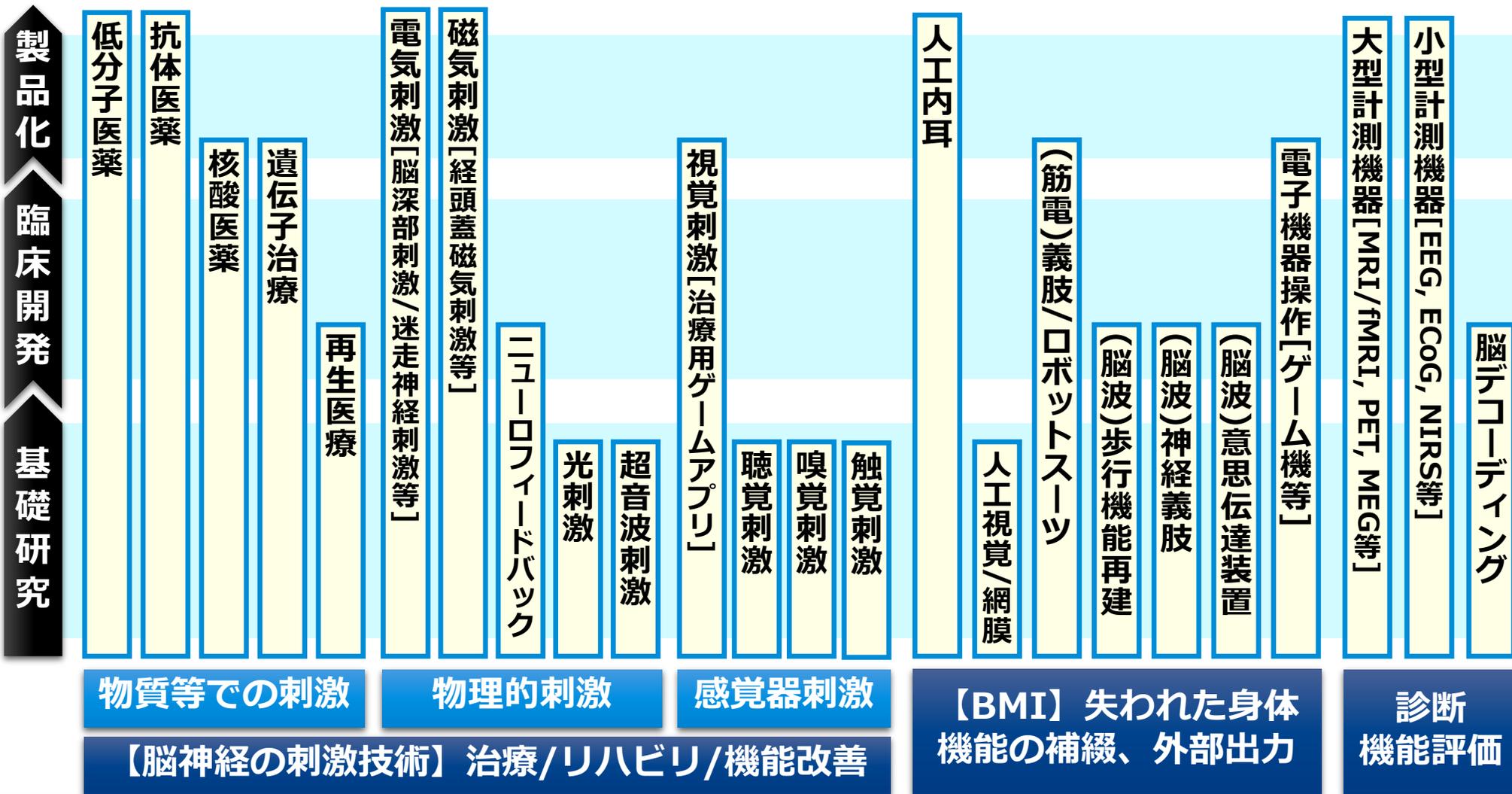
義肢 [義手/義足]
 2024年 : 2100億円
 2031年 : 4125億円
 出典 : DataM Intelligence (※5)

人工内耳
 2024年 : 2790億円
 2030年 : 4155億円
 出典 : Grand View Research (※4)

※1 : Neuromodulation Devices Market Size, Share & Trends Analysis Report By Product Type (Spinal Cord Stimulators, Deep Brain Stimulators), By Technology, By Application, By Biomaterial, By End-use, By Region, And Segment Forecasts, 2022 - 2030
 ※2 : Gaming Console Market Size - Industry Report on Share, Growth Trends & Forecasts Analysis (2024 - 2029)
 ※3 : Brain Computer Interface Market Forecasts to 2030 - Global Analysis By Type (Invasive, Non-Invasive, Partially Invasive and Other Types), Component, Technology, Application, End User and By Geography
 ※4 : Cochlear Implant Market Size, Share & Trends Analysis Report By Age Group (Adult, Pediatric), By End-use (Hospitals, Clinics), By Region, And Segment Forecasts, 2024 - 2030
 ※5 : Global Powered Prosthetics Market - 2024-2031

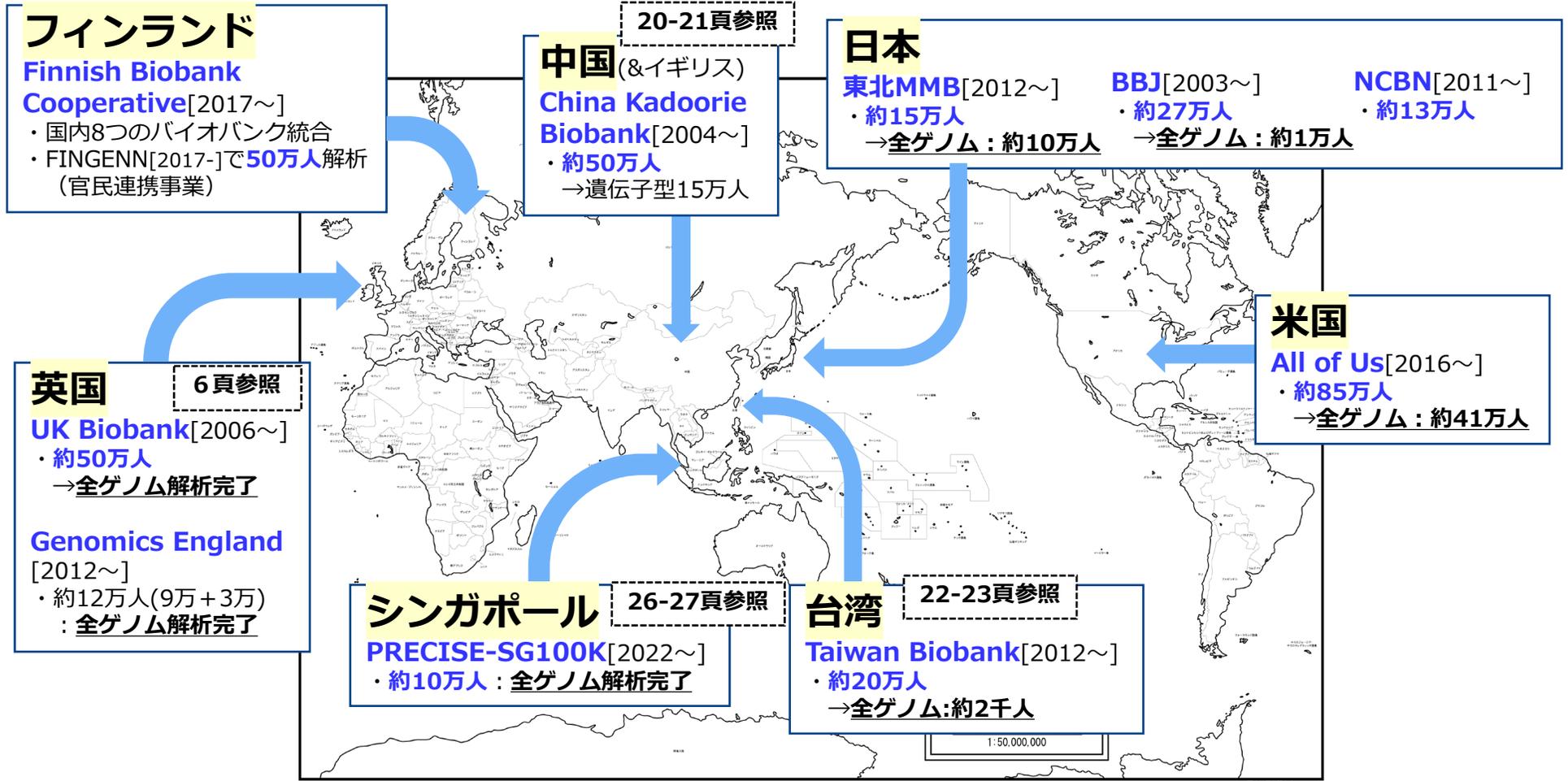
ブレインテックの技術的成熟度

注) 各技術において、最も開発段階が進んでいる事例をもとに図作成



世界の主なバイオバンク／コホート

- ✓ 2010年頃より、大規模なバイオバンク／コホート基盤が次々と構築
- ✓ 英国の基盤が最も充実し動きも活発な印象、日本もハイレベルな基盤を有する



産業界のリソース投入によるUK Biobankのさらなる強化



学を支え、
へつなぐ

- ✓ UK Biobankは、**英国政府資金をベース**としつつ**世界中の企業がリソースを投入**し**基盤強化**が加速
- ✓ **ゲノム**だけでなく、**プロテオーム**[タンパク]、**画像データ**、**エピゲノムデータ**など

UK Biobank

- 2006年発足、50万人規模（40歳～69歳）
- Wellcome Trust、Medical Research Council等の公的資金で設立&維持
- **公的資金に加え、企業の追加資金提供でデータ収集&解析が大幅に加速**[下記]

- 2017年**：**Regeneron/GSK**との官民パートナーシップで**50万人のExomes解析**を開始（2022年完了）
→2018年にUK Biobank Exome Sequencing Consortium設立、
AbbVie/Alnylam/AZ/Biogen/BMS/Pfizer/武田が資金提供し、解析完了時期を前倒し
- 2019年**：官民パートナーシップで**50万人の全ゲノム解析**を開始（2023年完了）
→**Amgen/AZ/GSK/J&J**および**Wellcome/UKRI**が資金提供、**deCODE社/Sanger**研が解析実施
- 2020年**：13社の製薬企業の共同研究で**5.4万人のプロテオーム解析**[Olink Explore 3072 PEA]を開始（2023年完了）
→**Alnylam/Amgen/AZ/Biogen/BMS/Calico/Genentech/GSK/Janssen/Novo/Pfizer/Regeneron/武田**
- 2023年**：官民の資金提供で**6万人の画像データの再取得**[MRI、DEXA、超音波]を開始
→**Calico/Chan Zuckerberg Initiative**および**MRC**が資金提供（3,000万£）
- 2023年**：**Eric Schmidt氏**[元Google]と**Ken Griffin氏**[Citadel社]が**1,600万£を寄付**、**政府も同額を寄付**
- 2024年**：**AWS**が**800万£相当を寄付**（クラウドコンピューティングクレジット&AWSのAIサービス）、**政府も同額を寄付**
→UK Biobankが寄付額累計5,000万£達成
- 2024年**：UK BiobankとOxford Nanoporeが連携し**5万人のエピゲノム解析**を開始
- 2025年**：14社の製薬企業の共同研究で**50万人のプロテオーム解析**[5,400種類]を開始（最初の1年で30万人分）
→**Alden/Amgen/AZ/BMS/Calico/Roche/GSK/Isomorphic/J&J/MSD/Novo/Pfizer/Regeneron/武田**
- 2026年予定**：1億2,760万£の**UKRI**資金でManchester Science Parkへ移転完了、インフラも大幅強化

創薬におけるゲノムの重要性の高まり ~ゲノム創薬へ~

✓ ヒト疾患とゲノム異常との関係性が明らかになっている場合、創薬の成功率は高い

- 1) ヒト遺伝学的なエビデンスがある場合、
フェーズ1から上市に至る可能性が { **約2倍** [Nature Genetics, 2015] **約2.6倍** [Nature, 2024] }
- 2) 2021年にFDAが承認した**66%の医薬品**(33/50)について、
適応症(or表現型)と**治療標的タンパク等の遺伝子**との**関係性**が見出されていた
[Nature Reviews drug discovery, 2022]
- 3) 核酸(RNAなど)の塩基配列に特異的に作用する、
「**核酸医薬**」の開発で世界を先導する**Alnylam社**の開発成功率は非常に高い[下表]

成功率 (フェーズ移行)	Alnylam社	一般的な 製薬企業
フェーズ1 → フェーズ2 [※1]	約91%	約52%
IND → フェーズ3好成績/上市 [※2]	60% <	10.3%

[※1]Alnylam社2022年CRLレポート、[※2]Alnylam社2023年CRLレポート

<補足>

- 現在、**ほぼ全てのライフサイエンス研究**に、大なり小なり「**ゲノム**」研究も組み込まれている
- その中でも「**ヒト疾患とゲノム異常の発見を起点として始まった創薬**」が**ゲノム創薬**と呼ばれる

➡ 次スライド「ゲノム創薬事例」

ゲノム創薬の主な事例 (2000年代のゲノム研究の成果)

- ✓ ゲノム創薬の**上市事例**が登場 (発見から上市までに10年間)、**ブロックバスター**も登場
- ✓ 主に**スタートアップ**が、**多様な創薬モダリティ**で開発を進める

遺伝子	ヒト遺伝学と疾患の発見	上市/開発段階	名称	モダリティ	疾患	開発元
PCSK9	約10年 2003年 Nat Genetics	2015年	Evolocumab	抗体医薬 33億\$ [2030]	(家族性)高コレステロール血症	Amgen
		2015年	Alirocumab	抗体医薬	(家族性)高コレステロール血症	Regeneron/Sanofi
		2022年	Inclisiran	核酸医薬 32億\$ [2030]	(家族性)高コレステロール血症	Anylam/Novartis
		2025年[中国]	Tafolecimab	抗体医薬	(家族性)高コレステロール血症	信达生物製薬
		申請[中国]	Recaticimab	抗体医薬	(家族性)高コレステロール血症	江蘇恒瑞製薬
		申請[中国]	Ebronucimab	抗体医薬	(家族性)高コレステロール血症	康方生物(Akesobio)
		P3	Lerodalcibep	タンパク医薬	(家族性)高コレステロール血症	LIB Therapeutics
		P3	MK-0616	ペプチド医薬 (経口)	高コレステロール血症	Merck
		P2	AZD-8233	核酸医薬	高コレステロール血症	Ionis/Astrazeneca
		P1	Verve-101	ゲノム編集治療	(家族性)高コレステロール血症	Verve
ANGPTL3	約10年 2010年 NEJM (※1)	P1	Verve-102	ゲノム編集[&GalNac]治療	(家族性)高コレステロール血症	Verve
		P1	RBD7022	核酸医薬	高コレステロール血症	瑞博生物
		2021年	Evinacumab	抗体医薬	家族性高コレステロール血症	Regeneron
		P2	Zodasiran	核酸医薬	家族性高コレステロール血症	Arrowhead
		P2	LNA043	タンパク医薬	変形性関節症	Novartis
		P2	Solbinsiran	核酸医薬	心疾患	Dicerna/Eli Lilly
		P1	CTX-310	ゲノム編集治療	心血管疾患	CRISPR therapeutics
P1	Verve-201	ゲノム編集治療	(家族性)高コレステロール血症	Verve		
P1	ALN-ANG3	核酸医薬	心血管疾患など	Anylam/Regeneron		

※1 : 2002年、三共(株)の研究者が低脂血症マウスで遺伝子同定[Nat Genetics]

【補足】28頁も参照 (2010年代の主な事例、およびドラッグリポジショニング)

UK Biobankが貢献したゲノム創薬シーズが登場 (2020年代)

✓ 2020年代に入ると、UK Biobankが治療標的の発見に大きく貢献したゲノム創薬が複数開始

遺伝子	ヒト遺伝学と疾患の発見	上市/開発段階	名称	モダリティ	疾患	開発元
GPR75	2021年 Science (※4)	IND	BEBT-809	低分子医薬	肥満	广州必贝特医药股份有限公司
		IND	OB-002	低分子医薬	肥満	ORION
		前臨床	OB-003	ペプチド医薬 (経口)	肥満	ORION
		研究段階	(antagonist)	低分子医薬	肥満	Confo
		研究段階	(低分子)	低分子医薬	肥満	Regeneron/Astrazeneca
		研究段階	(siRNA)	核酸医薬	肥満	Regeneron/Alnylam
		研究段階	(抗体)	抗体医薬	肥満	Regeneron
CIDEB	2022年 NEJM (※3)(※4)	前臨床	(siRNA)	核酸医薬	NASH	Alnylam/Regeneron
INHBE	2022年 Nat Commun (※4)	P1/2	ARO-INHBE	核酸医薬	肥満	Arrowhead
		P1	WVE-007	核酸医薬	肥満	WAVE
		前臨床	ALN-INHBE	核酸医薬	肥満	Alnylam

※3 : Regeneron Genetics Center (2014年設立) の研究成果

※4 : UK BiobankのWES解析が大きく貢献した治療標的

◆ UK Biobank[2006設立]が、15年以上の時を経てゲノム創薬に貢献しはじめている

◆ 各国の大規模バイオバンクからも、これから同様の成果が生まれる可能性がある

- ✓ 2024年9月刊行
「脳神経機能の理解に基づく、応用技術（ブレインテック／ニューロテック）の
研究開発の潮流と展望」
<https://www.jst.go.jp/crds/report/CRDS-FY2024-XR-01.html>

- ✓ 2025年1月刊行
「医薬品評価技術の新展開 ～ヒト代替評価系の確立へ～」
<https://www.jst.go.jp/crds/report/CRDS-FY2024-RR-09.html>

- ✓ 2025年2月刊行
「創薬モダリティの潮流と展望」
<https://www.jst.go.jp/crds/report/CRDS-FY2024-RR-10.html>