

## はじめに

## 考え方

### ①医学研究の新しい展開

- ・世界的に革新的な医療技術が相次いで開発
- ・医療分野の研究開発はヒトを対象とし、実用化を重視
- ・まだ病気でない状態からの対応の重要性
- ・社会との協働、倫理の遵守、透明性の確保など、社会の中の研究

＜基礎研究から医療における評価までの循環＞

#### (1) 基礎的な研究

生命や病気の仕組みを明らかにする

#### (4) 効果の評価と新たな課題設定

多数の患者での検証  
疫学、臨床疫学など



#### (2) 臨床への橋渡し

有効性、安全性の試験  
法律やガイドラインの研究  
ヒトでの臨床研究及び治験など

#### (3) 医療現場での利用

少数例での検討研究  
臨床現場での工夫と研究

【一種のPDCAサイクル】

### ②計画の位置づけ

- ・健康・医療戦略(平成26年 月閣議決定)に即して策定
- ・今後、10年程度を視野においた平成26年度からの5年間を対象

# I. 医療分野研究開発等施策についての基本的な方針

## ① 課題;新しい展開に対応していない

- ・ 基礎研究:研究成果の展開に関するマネジメントが不十分
- ・ 臨床研究:データ管理、倫理等の研究支援体制等が不十分
- ・ 企業:規模が相対的に小さい、ベンチャー企業が不足
- ・ 国:縦割りの研究支援

## ② 10の基本方針

1. 基礎研究成果を実用化につなぐ体制の構築
  - (1) 臨床研究及び治験実施環境の抜本的向上
  - (2) 「循環型研究開発」の推進とオープンイノベーション
2. 医薬品、医療機器開発の新たな仕組みの構築  
基礎から臨床研究及び治験、実用化までの一貫した取組
3. エビデンスに基づく医療の実現に向けた取組
4. 健康医療情報の情報通信技術(ICT)の活用とその促進
5. 世界最先端の医療の実現に向けた取組
  - (1) 再生医療の実現
  - (2) ゲノム医療の実現
  - (3) その他の先進的な研究開発への取組
6. 国際的視点に基づく取組
  - (1) 国際的視野でのテーマ設定
  - (2) 国際協力・展開及び国際貢献
  - (3) 規制等の国際整合
7. 人材の育成
8. 公正な研究を行う仕組み及び倫理・法令・指針遵守のための環境整備
9. 研究基盤の整備
10. 知的財産のマネジメントへの取組

## Ⅱ. 集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策

### 実行方策

#### ○新たな医療分野の研究開発体制

##### 1. 国立研究開発法人日本医療研究開発機構に期待される機能

- ① 医療に関する研究開発のマネジメント、② 臨床研究及び治験データマネジメント
- ③ 実用化へ向けた支援、④ 研究開発の基盤整備に対する支援、⑤ 国際戦略の推進

##### 2. 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

- ① 医薬品創出、② 医療機器開発、③ 革新的な医療技術創出拠点、④ 再生医療
- ⑤ オーダーメイド・ゲノム医療、⑥ がん、⑦ 精神・神経疾患、⑧ 新興・再興感染症、⑨ 難病 等

##### 3. 共通基盤の整備・利活用

##### 4. 臨床研究中核病院の医療法上の位置付け

- ・ 医療法上の臨床研究中核病院の要件を検討。日本発の革新的医薬品、医療機器の開発に必要となる質の高い臨床研究や治験を推進。

## Ⅲ. 医療分野研究開発等施策を集中的かつ計画的に推進するために必要な事項

#### ○フォローアップ

- ・ 医療分野の研究開発を取り巻く状況の変化を勘案し、及び医療分野研究開発等施策の効果に関する評価を踏まえ、必要に応じ少なくとも概ね5年以内に、その進捗状況について検討を加え、この結果を踏まえ、見直しを行い、必要な変更を講じる。

# <達成目標 ①>

## 医薬品創出

### 【2015年度までの達成目標】

- ・ 相談・シーズ評価 400件
- ・ 有望シーズへの創薬支援 40件
- ・ 企業への導出(ライセンスアウト) 1件

### 【2020年頃までの達成目標】

- ・ 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

## 医療機器開発

### 【2015年度までの達成目標】

- ・ 医療機器開発・実用化促進のためのガイドラインを新たに10本策定
- ・ 国内医療機器市場規模の拡大  
(平成23年2.4兆円→2.7兆円)

### 【2020年頃までの達成目標】

- ・ 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

## 革新的な医療技術創出拠点

### 【2015年度までの達成目標】

- ・ 医師主導治験届出数 年間21件
- ・ First in Human(FIH)試験(企業治験含む) 年間26件

### 【2020年頃までの達成目標】

- ・ 医師主導治験届出数 年間40件
- ・ FIH試験(企業治験含む) 年間40件

## 再生医療

### 【2015年度までの達成目標】

- ・ ヒト幹細胞等を用いた研究の臨床研究又は治験への移行数 約10件  
(例:加齢黄斑変性、角膜疾患、膝半月板損傷、骨・軟骨再建、血液疾患)
- ・ iPS細胞を用いた創薬技術の開発

### 【2020年頃までの達成目標】

- ・ iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用
- ・ 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 約15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

※2015年度達成目標の10件を含む

## オーダーメイド・ゲノム医療

### 【2015年度までの達成目標】

- ・ バイオバンクジャパン、ナショナルセンターバイオバンクネットワーク、東北メディカル・メガバンク等の連携の構築
- ・ 疾患に関する全ゲノム・多様性データベースの構築
- ・ 日本人の標準的なゲノム配列の特定、疾患予後遺伝子の同定
- ・ 抗てんかん薬の副作用の予測診断の確立

### 【2020-30年頃までの達成目標】

- ・ 生活習慣病(糖尿病や脳卒中、心筋梗塞など)の劇的な改善
- ・ 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の確立
- ・ 認知症等のゲノム医療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

# <達成目標 ②>

## がん

### 【2015年度までの達成目標】

- ・ 新規抗がん剤の有望シーズを10種取得
- ・ 早期診断バイオマーカー及び免疫治療予測マーカーを5種取得
- ・ がんによる死亡率を20%減少(平成17年の75歳未満の年齢調整死亡率に比べて平成27年に20%減少させる)

### 【2020年頃までの達成目標】

- ・ 5年以内に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6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)

## 新興・再興感染症

### 【2015年度までの達成目標】

- ・ グローバルな病原体・臨床情報の共有体制の確立を基にした、病原体に関する全ゲノムデータベースの構築、生理学的及び臨床的な病態の解明、及びアジア地域における病原体マップの作成(インフルエンザ・デング熱・下痢症感染症・薬剤耐性菌について、公衆衛生対策能力向上を図るため)

### 【2020年頃までの達成目標】

- ・ 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研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請

### 【2030年頃までの達成目標】

- ・ 新たなワクチンの開発(例:インフルエンザに対する万能ワクチンなど)
- ・ 新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発
- ・ WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成(結核については2050年までの達成目標)

## 精神・神経疾患

### 【2015年度までの達成目標】

- ・ 分子イメージングによる超早期認知症診断方法を確立
- ・ 精神疾患の診断、薬物治療の反応性及び副作用に関するバイオマーカー候補を新たに少なくとも一つ発見し、同定プロセスのための臨床評価を終了

### 【2020年頃までの達成目標】

- ・ 日本発の認知症などの精神疾患の根本治療薬候補の治験開始
- ・ 精神疾患の客観的診断法の確立
- ・ 精神疾患の適正な薬物治療法の確立
- ・ 脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成

## 難病

### 【2015年度までの達成目標】

- ・ 薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上の達成(重症肺高血圧症、クロイツフェルト・ヤコブ病などのプリオン病など)

### 【2020年頃までの達成目標】

- ・ 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推進

# (参考)期待される将来像

## 将来像・目標

### 2020年頃までに

- ・10種類以上のがん治療薬の治験開始
- ・認知症等のゲノム医療に係る治療薬の臨床研究開始
- ・感染症の新たな迅速診断法の開発
- ・創薬ターゲットの同定(10件)
- ・5種類以上の革新的医療機器の実用化



### 各省連携プロジェクトによる成果目標例

### 2015年度までに

- ・がんを早期に発見するためのマーカーを5種類取得
- ・疾患に関する全ゲノム・多様性データベースの構築
- ・加齢黄斑変性、角膜疾患、膝半月板損傷、骨・軟骨再建に関するヒト幹細胞等を用いた研究の臨床研究又は治験開始



### 期待される将来像

1. 世界をリードする医療を提供  
→ 健康寿命の延伸
2. 医薬品・医療機器分野における産業競争力の向上  
→ 経済成長に貢献
3. 医療技術や産業競争力を活かした国際連携  
→ 地球規模の課題への取組、国際貢献