



# 日本医療研究開発機構のミッションと展望

---

日本医療研究開発機構  
理事長 末松 誠

# 戦略推進部が他の5事業部との「縦横連携」:ゲノム医療をまず「難病」と「がん」から推進 Medical R&Dの全体最適化の試金石



## 戦略推進部

7つのプロジェクト

医薬品  
研究課

再生医療  
研究課

がん  
研究課

脳と心の  
研究課

難病  
研究課

感染症  
研究課

研究  
企画課

産学連携部

産学連携等実用化へ向けた支援

国際事業部

戦略的国際研究の推進

バイオバンク事業部

バイオバンク等研究開発基盤の整備支援

臨床研究・治験基盤事業部

質の高い臨床研究・治験への支援

創薬支援戦略部

創薬支援ネットワークによる支援

5事業部

# SCRUM-JAPAN : がん患者に最適な薬をいち早く届けるためのSYSTEMS MEDICINE

## 国家的なP5 medicine 体制の構築

- Multiplex診断薬承認のためのRegulatory Scienceの確立
- 市民・患者への啓蒙活動
- 必要な研究費の確保（基盤整備を含む）

- 病理学会や検査学会などの関連学会ーゲノム医療に資す臨床検体の取扱い手順書の作成および啓蒙活動（ホルマリン固定のガイドライン、各種臨床検体の標準的な取扱いガイドライン、新規診断法精度保証制度など）
- 日本臨床腫瘍学会などの癌関連学会ー次世代テクノロジー推進協議会の設立と活動（政策提案を含む）
- 市民・患者への啓蒙活動
- 国際交流



- 個別化医療実現のための寄付制度
- 市民・患者への啓蒙活動のサポート

## 医療ビッグデータ

- TRの基盤整備と機能的な運用（Bankingを含む）
- 臨床とがんゲノムの統合データベースの構築・維持（ビックデータ）と人工知能の投入
- Variant of Unknown Significanceの減少に向けた日本人ゲノムデータ収集
- バイオインフォマティクス
- Big-data based medicineの統計的な手法の確立
- 生命倫理への配慮

## 基礎研究

## 個別化医療促進のための次世代研究推進

## Hub-and-Spoke ネットワーク

拠点病院を統制する事務局機能、データセンター、各種相談窓口  
政策提案  
国内Central IRBの整備と実践  
国際交流

## 国立がん研究センター

### 臨床・がんゲノム統合データ構築

市民・患者への啓蒙活動  
稀少癌・家族性腫瘍の登録データベース  
コンパシオネットコース・EAPの管理と実践

## 拠点病院の自立と連携



- リサーチナースの配置
- 病理医の配置
- 遺伝カウンセリング部門の整備
- 地方事務局機能（治験の相談窓口など）
- 市民・患者への啓蒙活動
- 近隣病院との連携強化（紹介・逆紹介）
- Central IRB機能
- コンパシオネットコース・EAPの実践
- 自治体との連携
- 医師主導治験の実施

- リサーチ・ナース
- 病理医
- 臨床遺伝専門医
- 遺伝カウンセリング専属ナース

- リサーチ・ナース
- 遺伝カウンセリング専属ナース
- 臨床遺伝専門医
- 病理医
- 腫瘍内科医
- バイオインフォマティシャン
- 生物統計家、など

# AMEDががん研究者と共にリードしなければならないと 認識している課題

- 病理検体の標準化を中心とした地方拠点構築整備事業  
(その運営を支える専門医師、病理専門医の育成)
- 実践をしながらのアノテーション人材の育成  
(日本癌学会・病理学会などとの連携によるOJTを包含する研究事業)
- 日本人がんゲノム情報＋詳細な治療情報のデータベース構築  
(海外情報系企業などが日本で各施設の一本釣りを開始している)
- 次の創薬に向けた検体二次利用の管理体制の構築
- シーズの枯渇を招かないような**基礎研究**への力点

**スピードの遅れは致命傷になる**

**(走りながらしくみを構築していかねばならない現実をしっかりと認識する)** 3

# NEWS STOKE & STAFFORDSHIRE

## Syndrome without a name: Living without a diagnosis

### SWANの患者の母親の言葉

検査を受けても、受けても、全部「異常なし」との結果が戻ってくるばかりで、結局どの医師も答えを教えてくれることはできませんでした。

検査を受けるたびに、私たち夫婦は打ちのめされ、「自分たち家族はいつ終わるともしれないジェットコースターに一生乗り続けなければならないのか」と、とてもやるせない気持ちになるのです。

“Diagnostic Odyssey”

# IRUD診療体制

診断困難な患者さん



受診

## IRUD診断連携

・IRUD診断委員会は地域の拠点病院等に配置し、全国配備を目指す

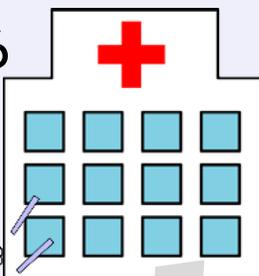


フォローアップ

診断説明  
カウンセリング



IRUDに参加する  
拠点病院  
(総合病院)



紹介受診

地域での  
密接な連携



エントリーシート  
(臨床・検査データ)

IRUD  
解析コンソーシアム

IRUD解析センター

- ・依頼された検体についてエクソーム解析等の遺伝学的検査を行う
- ・遺伝学的検査以外の検査や遺伝子変異の機能解析も検討する

解析結果

検査依頼

IRUD診断委員会

- ・幅広い診療科の医師で構成
- ・臨床遺伝専門医を中心として臨床カンファレンスを開催
- ・地域の臨床医と積極的に連携し地域をあげて取り組む

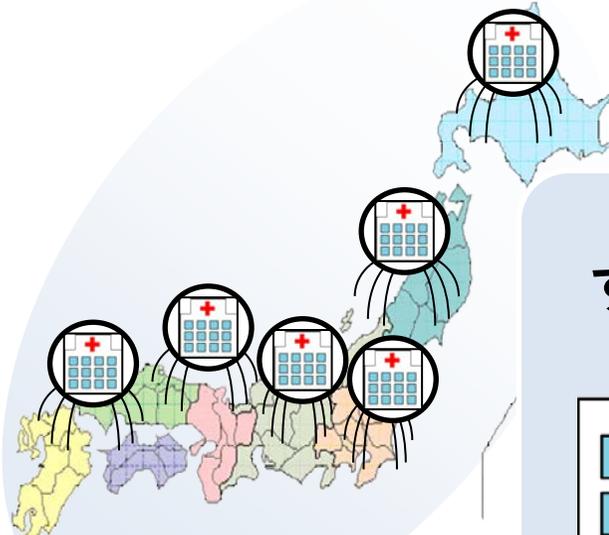
データ

IRUD  
データネットワーク

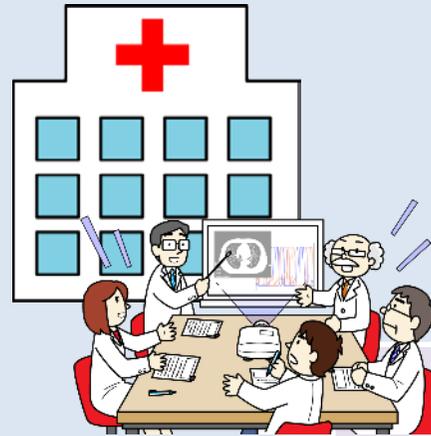
AMED  
データセンター

- ・登録システムの構築・運営
- ・データベースの構築・運営
- ・国際ネットワークとの連携

# 臨床専門分科会と診断委員会による支援体制 3年かけてIRUD診断連携の全国整備を目指す



## IRUDに参加 する拠点病院



IRUDに参加する  
拠点病院が全国に  
設置されるよう体制  
整備を支援していく

## IRUD 臨床専門分科会

- ・疾患エキスパートによる専門分科会
- ・IRUD診断委員会による依頼を受け、専門的な症例検討を追加する
- ・必要に応じてIRUDに参加する拠点病院で直接診療

症例検討  
依頼

検討結果  
フィードバック

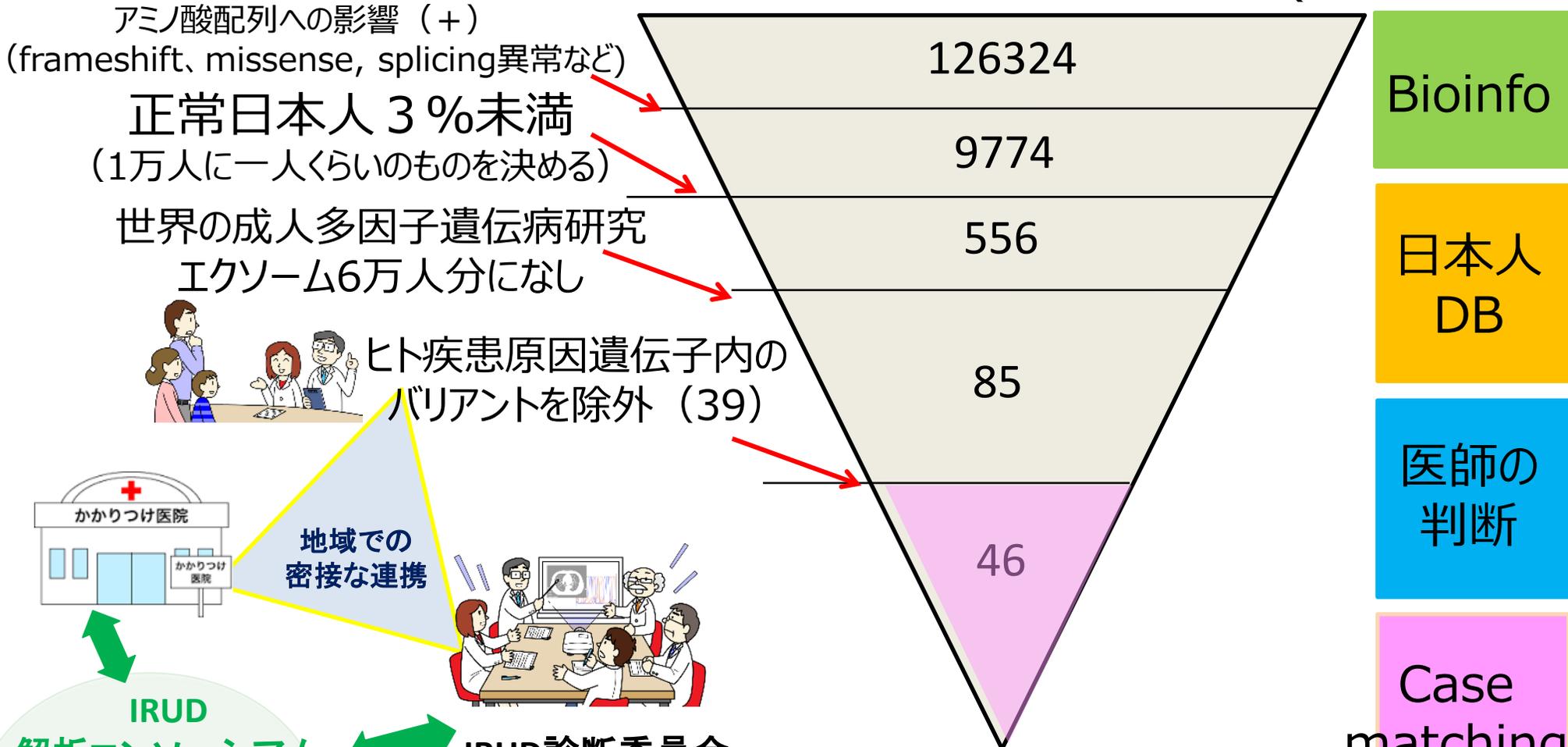
## IRUD診断委員会

- ・幅広い診療科の医師で構成
- ・臨床遺伝専門医を中心として臨床カンファレンスを開催
- ・地域の臨床医と積極的に連携し、地域をあげて取り組む

# バリエーションのフィルタリングをしてRとUを決める～ Phenotype is everything

エクソーム由来全バリエーション(例)

必要な  
リソース



アミノ酸配列への影響 (+)  
(frameshift、missense、splicing異常など)

正常日本人 3%未済  
(1万人に一人くらいのを決める)

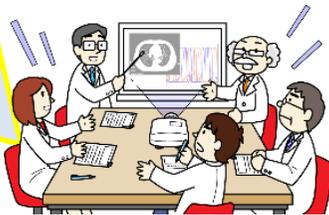
世界の成人多因子遺伝病研究  
エクソーム6万人分になし



ヒト疾患原因遺伝子内の  
バリエーションを除外 (39)



地域での  
密接な連携



IRUD  
解析コンソーシアム

IRUD解析センター

・依頼された検体について  
エクソーム解析等の遺伝学的  
検査を行う

IRUD診断委員会

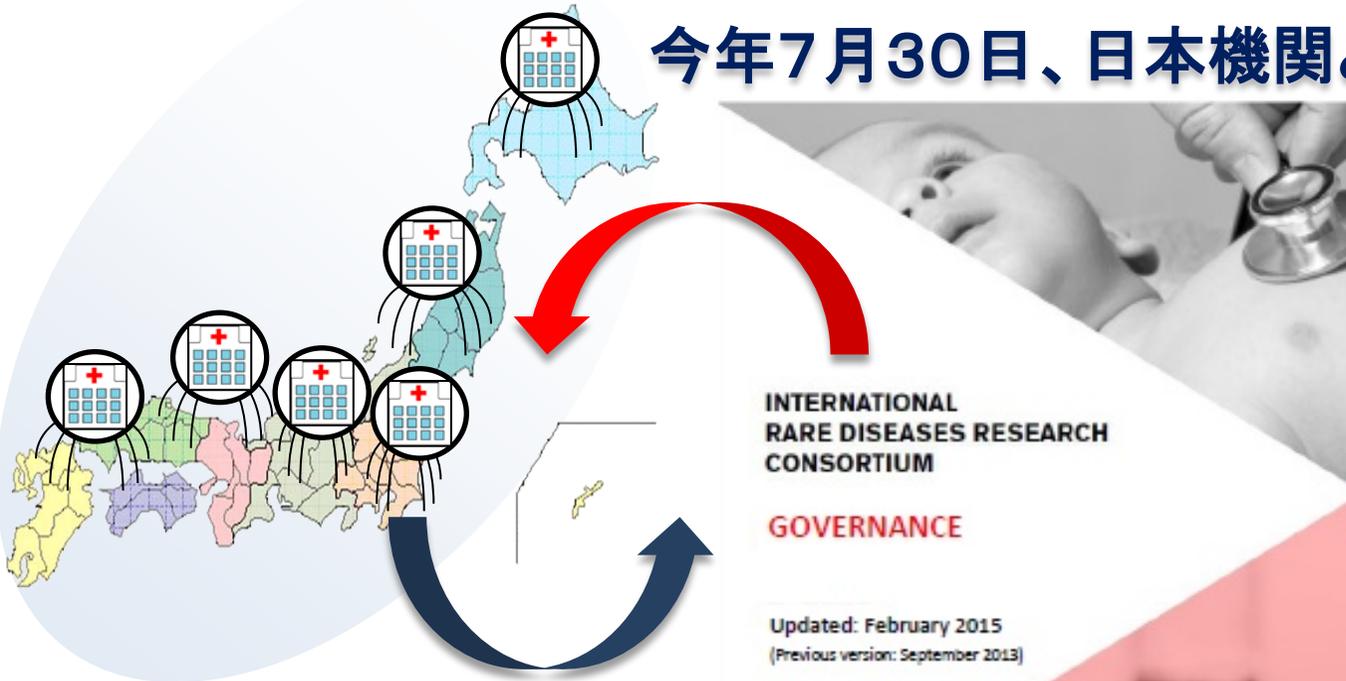
・幅広い診療科の医師で構成  
・臨床遺伝専門医を中心として臨床  
カンファレンスを開催  
・地域の臨床医と積極的に連携し  
地域をあげて取り組む

ヒト疾患との関係が不明の  
遺伝子内のバリエーション  
(臨床医でないと切り込めない)

# IRDIRCへの加盟: IRUDの世界への貢献

## 世界の希少・未診断疾患患者を救うために

今年7月30日、日本機関として初めてAMEDが加盟



The International Rare Diseases Research Consortium (IRDIRC) teams up researchers and organisations investing in rare diseases research in order to achieve two main objectives by the year 2020, namely to deliver **200 new therapies** for rare diseases and means to **diagnose most rare diseases**.

A number of grand challenges are being addressed through collaborative actions to reach these **2020 goals** such as: establishing and providing access to harmonised data and samples, performing the molecular and clinical characterisation of rare diseases, boosting translational, preclinical and clinical research, and streamlining ethical and regulatory procedures.

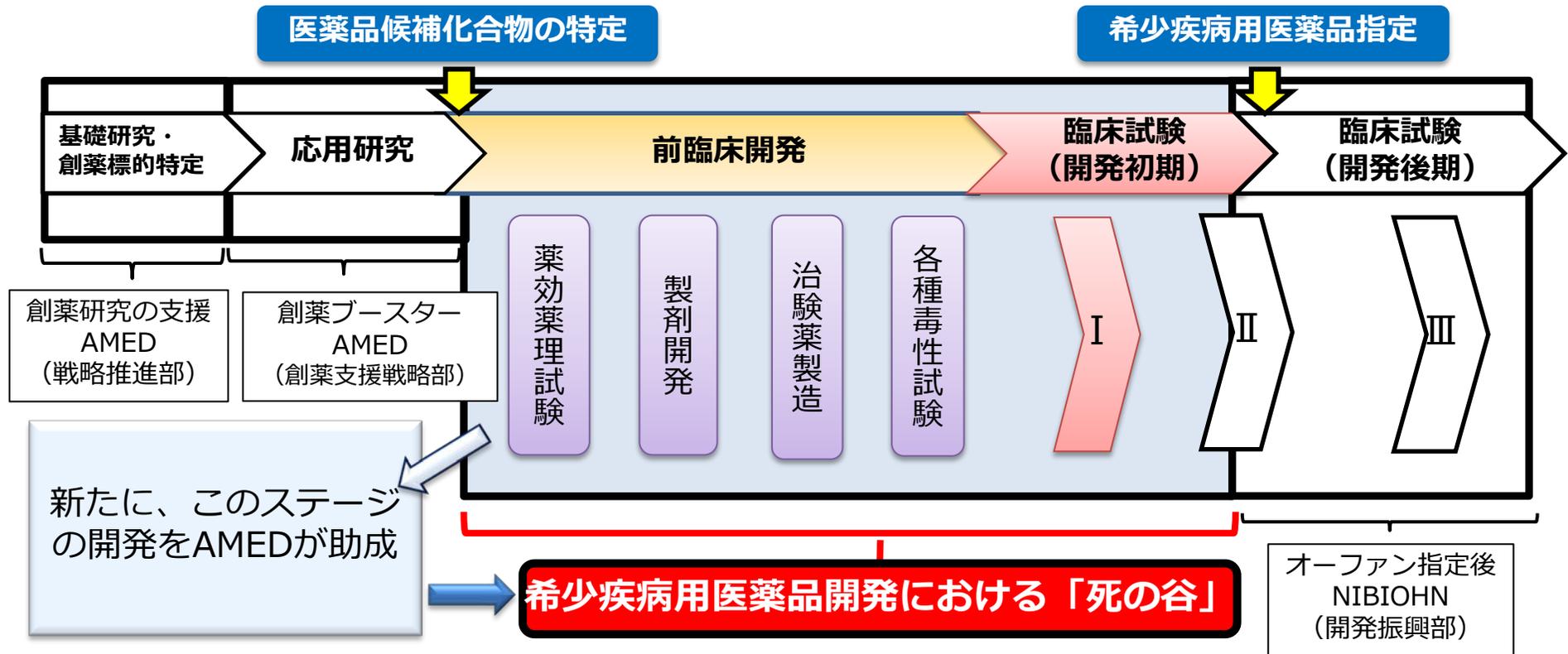
加盟の加盟だけに終わらせないための挑戦

- ✓ data sharing for patients
- ✓ phenotype coding
- ✓ unified IRB

(同一目的を持ったcommunityで可能)

研究者のmindsetや大学間のBalkanismを変革しないと解決できない課題

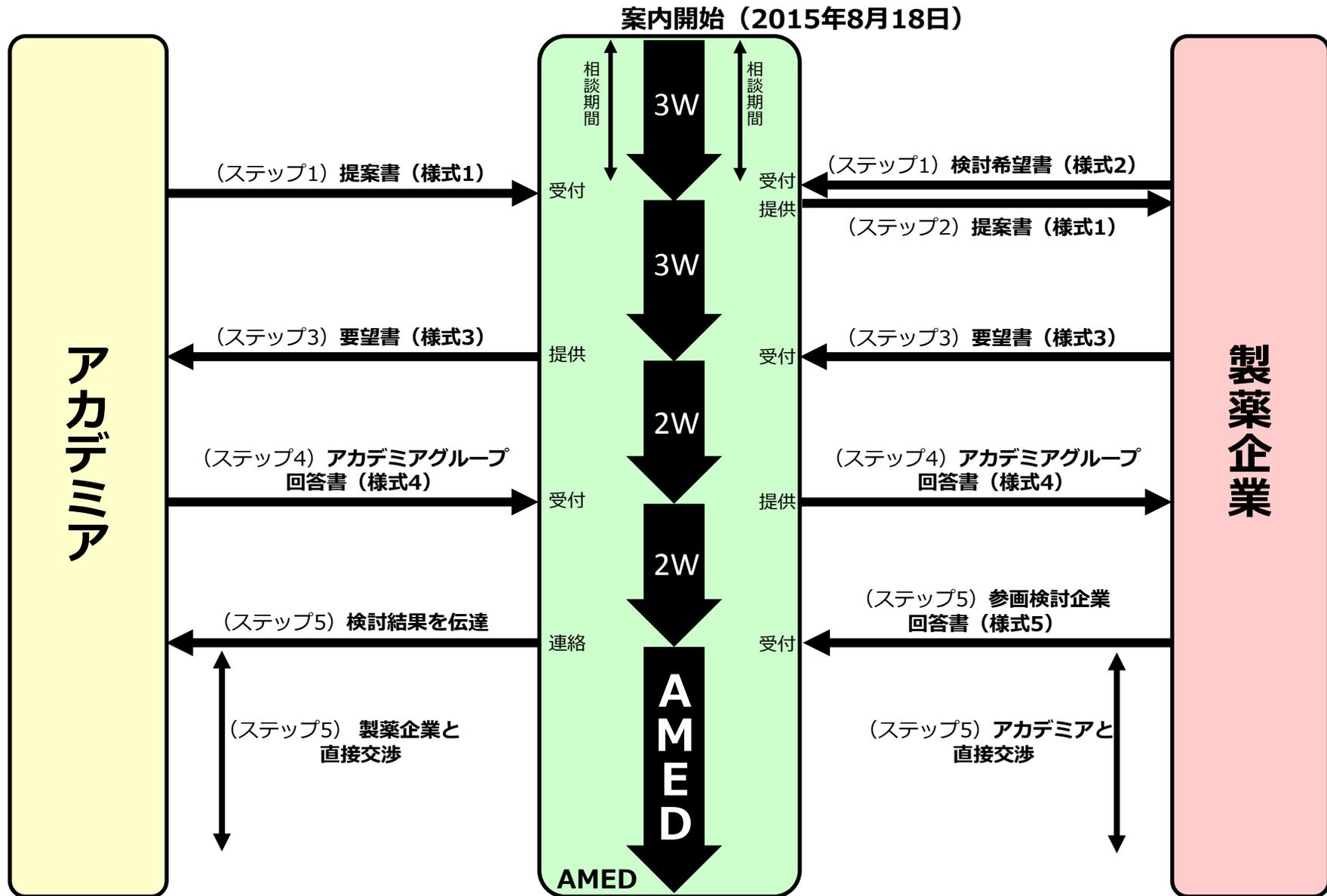
# ＜オーファン指定前ベンチャー等支援＞ 希少疾病用医薬品指定前研究開発助成金事業



(現状) ・ベンチャー等における希少疾病用医薬品の支援・助成は、オーファン指定後に限定  
・オーファン指定前においても幅広い開発【非臨床～臨床試験 (P II)】が必要だが、このステージにおける支援・助成の仕組みは存在しない。

- ◆ 平成27年度より、AMEDにおいて、**新たに希少疾病用医薬品指定を受ける可能性のある品目の研究開発費の助成事業を創設**
- ◆ **助成対象には、ドラッグ・リポジショニングの開発も含まれる**
- ◆ 公募期間：平成27年11月4日～12月2日

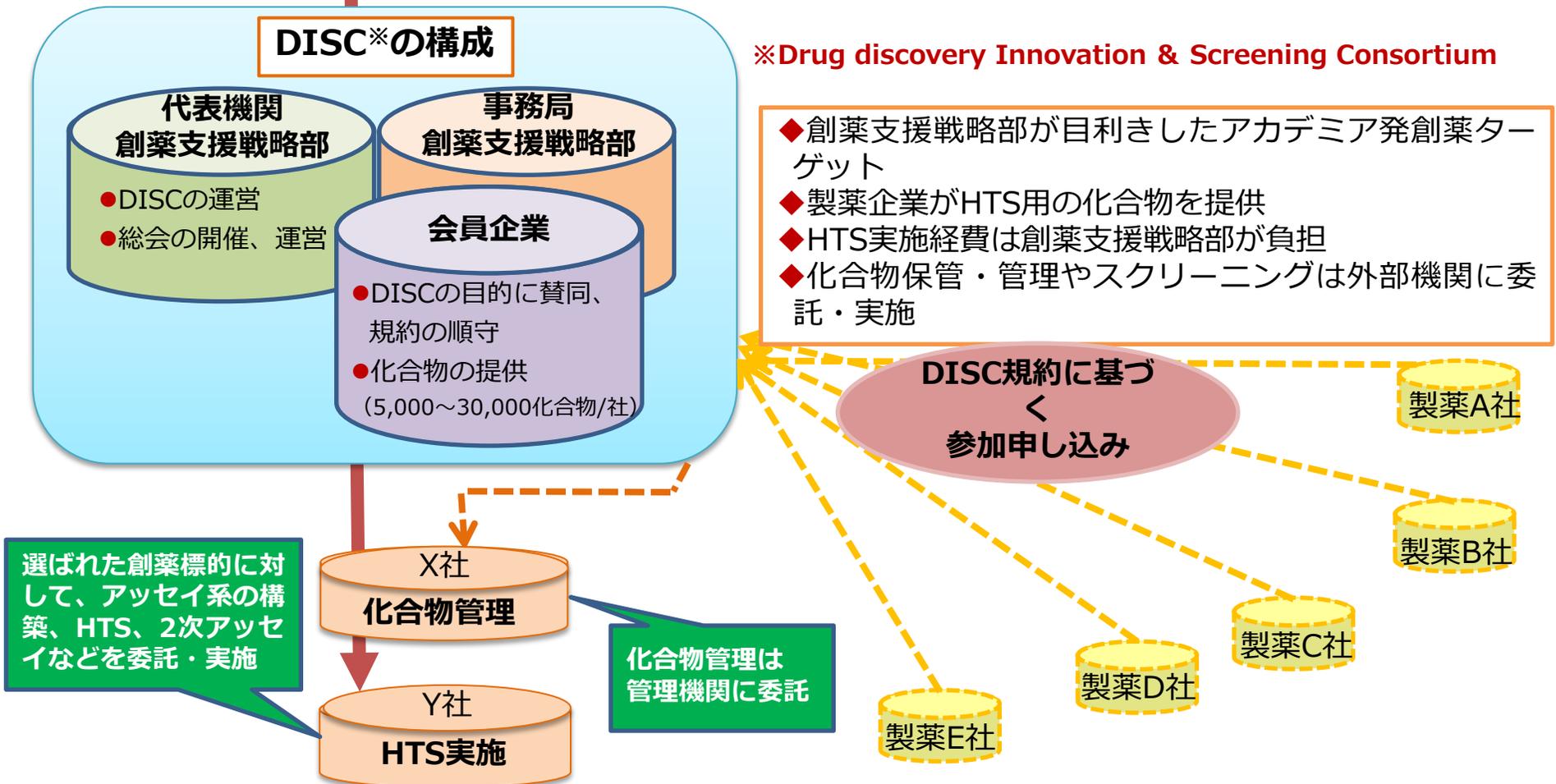
# 産学官共同創薬研究プロジェクト（PPP：民間資金の活用）



公募期間：10月26～11月24日

東京大学（低分子化合物）、医薬基盤・健康・栄養研究所（抗体・核酸）、次世代天然物化学技術研究組合（天然物）の各ライブラリーに加えて、製薬各社が保有するユニークな化合物群を創薬支援ネットワークに活用

## 創薬支援ネットワークによるアカデミア発創薬シーズの支援



Going forward, step by step, never accelerating and braking simultaneously....

「AMEDとPMDAはアクセルとブレーキの関係ではなく、一体で駆動し確実に前に進むギア」





# 研究費の機能的運用について(ver.1)

- ✓ 合算使用(設備・旅費)OK
- ✓ 目的使用をすれば目的外使用OK
- ✓ 直接・間接費による研究補助員雇用OK
- ✓ 年度末までの予算執行OK  
(報告は5月末でよい。各省共通)

AMED HPより

- Coming soon**
- ✓ 研究の進捗や執行状況を踏まえた予算再配分(前倒し/充実等の増額、執行できない研究費の減額)
  - ✓ 間接経費の弾力的運用と透明化  
(各大学・研究機関が本当に研究インフラ・環境の充実に使っているか?)
  - ✓ 採択から契約完了までのスピードアップ

現場の研究者の皆さんの意見で大学・研究機関の管理体制を改革し、Medical R&Dの加速を図る必要性: AMEDは応援します。