

今後のがん研究のあり方に関する有識者会議 議事次第

日時：令和5年6月28日（水）9：00～12：00
場所：WEB開催

議事次第

- 1 開 会
- 2 議 題
 - (1) 今後のがん研究のあり方について
 - (2) その他
- 3 閉 会

【資料】

- 資料 1 具体的研究事項と横断的研究事項について
- 資料 2－1 古関構成員提出資料
- 資料 2－2 末松構成員提出資料
- 資料 2－3 中村構成員提出資料
- 資料 2－4 安川構成員提出資料
- 資料 2－5 大賀参考人提出資料
- 資料 2－6 野田参考人提出資料
- 資料 2－7 藤原参考人提出資料
- 資料 2－8 宮園参考人提出資料

- 参考資料 1 今後のがん研究のあり方に関する有識者会議開催要綱
- 参考資料 2 有識者会議のスケジュールと議論の進め方について
- 参考資料 3 中釜座長提出資料
- 参考資料 4 がん研究 10 年戦略
- 参考資料 5 「がん研究 10 年戦略」の推進に関する報告書（中間評価）
- 参考資料 6 第 4 期がん対策推進基本計画（令和 5 年 3 月）
- 参考資料 7 ムーンショット型研究開発事業

有識者会議

R5.6.28

資料 1

具体的研究事項と横断的研究事項について

厚生労働省健康局がん・疾病対策課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

議題一覧

- ▶ 中間評価時の議論の進め方を参考に、中間評価時の項目立て毎に議論を行う。

具体的研究事項

- (1) がんの本態解明に関する研究
- (2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究
- (3) 患者に優しい新規医療技術開発に関する研究
- (4) 新たな標準治療を創るための研究
- (5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域
 - ① 小児がんに関する研究
 - ② 高齢者のがんに関する研究
 - ③ 難治性がんに関する研究
 - ④ 希少がん等に関する研究
- (6) がんの予防法や早期発見手法に関する研究
- (7) 充実したサバイバーシップを実現する社会の構築をめざした研究
- (8) がん対策の効果的な推進と評価に関する研究

本日の議題

残りの議題は前回実施

横断的事項

- (9) 各柱にまたがる「横断的事項」について
 - ① シーズ探索
 - ② がんゲノム医療に係る研究
 - ③ 免疫療法に係る研究
 - ④ リキッドバイオプシーに係る研究
 - ⑤ AI等新たな科学技術
 - ⑥ 基盤整備等（データベース、細胞株やサンプルの利用、患者報告アウトカム、患者参画に係る取り組み、がん研究を担う人材の育成）

その他

- (10) (1)～(9) にない論点について

具体的研究事項

(1) がんの本態解明に関する研究

- (2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究
- (3) 患者に優しい新規医療技術開発に関する研究
- (4) 新たな標準治療を創るための研究
- (5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域
 - ① 小児がんに関する研究 ② 高齢者のがんに関する研究
 - ③ 難治性がんに関する研究 ④ 希少がん等に関する研究
- (6) がんの予防法や早期発見手法に関する研究
- (7) 充実したサバイバーシップを実現する社会の構築をめざした研究
- (8) がん対策の効果的な推進と評価に関する研究

横断的事項

- (9) 各柱にまたがる「横断的事項」について
 - ① シーズ探索 ② がんゲノム医療に係る研究 ③ 免疫療法に係る研究
 - ④ リキッドバイオプシーに係る研究 ⑤ AI等新たな科学技術
 - ⑥ 基盤整備等（データベース、細胞株やサンプルの利用、患者報告アウトカム、患者参画に係る取り組み、がん研究を担う人材の育成）

その他

- (10) (1)～(9) にない論点について

(1) がんの本態解明に関する研究 これまでの成果の例

A M E D 評価

- マルチオミックス解析やシングルセル解析などの最新の技術を活用して、その理解が急速に進んだ。
- 悪液質や老化、抗がん剤に対する薬剤耐性機構等の本体解明への理解が進んできた。
- がん遺伝子パネル検査のみならず、がん細胞の全ゲノム解析が始まり個別最適化治療に向けた研究が本格化した。

後半5年間での成果の例

- **血液循環腫瘍DNA解析を活用した切除不能・進行再発大腸がんにおけるがんゲノム異常のClonal Evolutionに関する網羅的カタログの作成** (国立がん研究センター 中村 能章)

切除不能・進行再発大腸がんを対象とした医師主導治験データを用いて、GI-SCREEN-Japan (腫瘍組織検査) に登録された5,621例とGOZILA Study (リキッドバイオプシー・血液循環腫瘍DNA検査) に登録された1,687例の全治療経過に係る腫瘍ゲノム情報と臨床情報を統合・カタログ化して比較解析を行い、消化器がんを対象とした治験のスクリーニング検査として、血液を用いたリキッドバイオプシーの有用性を初めて証明した。更に抗EGFR抗体薬に伴うクローン進化の特徴等を明らかにした。

- **国際共同研究に資する大規模日本人がんゲノム・オミックス・臨床データ統合解析とゲノム医療推進に向けた知識基盤構築** (国立がん研究センター 柴田 龍弘)

日本を含む8か国の国際共同研究で食道がんの全ゲノム解析を行い、日本人症例では、飲酒に伴う遺伝子変異機構が強く働き、食道がんが発症するという仕組みの詳細を明らかにし、疫学研究における全ゲノム解析の有用性を世界で初めて示した。また、低分化胃がんや肝臓がんにおける人種別変異シグネチャー解析から、日本人症例で特徴的に認められる飲酒関連変異シグネチャーSBS16を同定した。

- **時空間的異常センシングによるがん変異細胞除去修復** (早稲田大学 丸山 剛)

非免疫細胞である上皮細胞が、がんの元となる前がん細胞を認識し、攻撃・排除するという免疫細胞様の監視システムがあることを明らかにした。また、前がん細胞で発現が促進したMHC-Iを認識する、上皮細胞の受容体AltRを新規に同定し、その排除能惹起メカニズムを解明した。MHC-Iのリコンビナントタンパク質をマウスに投与することで、前がん細胞に対する上皮細胞の排除能が促進されたことから、本研究結果は、がんを予防的に治療するための革新的な医療の確立へとつながることが期待される。

(1) がんの本態解明に関する研究

構成員・参考人からの事前提出意見一覧①

	現状と課題	今後の研究の方向性
1	着実に基礎研究は進んでいると考える。加えて、ゲノム、エピゲノム、プロテオーム、メタボローム、トランスクリプトーム技術などのオミクス技術の進展に伴い、ヒトレベルでの情報の蓄積も大きい。	生体システムの中でがんを位置づけながら正確に治療介入標的を見つけしていくためには、マウスなどのモデル研究による疾患のモデル化は重要。その上で、そのモデルをヒトに外挿して行くアプローチが効率性が高いと考える。
2	RAS遺伝子を標的とする薬剤は開発されていないと中間報告案にあるが、米国ではスタートアップが主体となってRAS標的薬は急速に開発されてきている。スタートアップが米国内でFIH治験を実施して承認され、そのままベストインクラス薬剤を開発するため、日本にそれらの重要な薬剤が入ってこない。	がんの本態解明に基づく薬剤については、国内のスタートアップや大手企業が開発を進める事のできる支援やプラットフォームが必要と考える。 また海外でこれらの薬剤開発が行われている情報を早く把握し、日本でも試験を実施できる体制が必要である。
3	超早期がん（粘膜内がん、微小がん、クローン造血等）の分子生物学的プロファイルに基づく発がん機構解明が不十分。その結果従来の病理形態学的な手法を凌駕する診断法、超早期の段階でがんを除去する積極的な予防法が開発されていない。	「未病」段階を含む超早期がん（粘膜内がん、微小がん、クローン造血等）の分子生物学的プロファイルの取得 データ統合に基づく数理的な進展モデル構築 病態解明・治療開発に資する動物・非動物モデル系の構築
4	ゲノム等オミックス解析の結果が細胞、個体レベルでの表現型を十分に説明しきれていない。その結果分子生物学的プロファイルに基づく治療開発が停滞している。	ゲノム、トランスクリプトーム、プロテオーム等の変化が細胞、組織においてどのような形質の違いにつながるか、現在の一細胞レベルの解析を一分子レベルでの構造・機能の解析に精細化（一分子イメージング、クライオ電顕など新規構造解析技術等）、さらにそれらを時系列で解析、また細胞レベルから組織（オルガノイド、器官培養等）・個体（in vivo イメージング等）レベルに拡張した解析を可能とする。
5	がんの発症メカニズムの解明も徐々に進んでいるが、画期的な治療法や診断法の開発に繋がるような基礎研究の継続が必要である。最近、がんの網羅的な分子解析により、がんは予防、予後や治療との関連からより希少フラクシオンに細分化され、また、より多くの希少フラクシオンに対して治療標的を明らかにする研究を加速する必要がある。	1. がん細胞（腫瘍）に加えて、腫瘍微小環境や宿主免疫応答に関する発がん機構の解明と治療標的探索 2. がんの希少フラクシオン（例えば、特定遺伝子融合、Druggableな特定ミスセンス変異: TP53 Y220C）の研究加速 3. 生活習慣や宿主全ゲノムデータとがんの特性（がんゲノムを含む）の関連をビッグデータで解析、等により注力して、新たな治療標的を数多く探索する必要がある

(1) がんの本態解明に関する研究

構成員・参考人からの事前提出意見一覧②

	現状と課題	今後の研究の方向性
6	<p>ゲノム情報の分析においては臨床サンプルを用いたゲノム解析が進みつつあり、またがん制御・増悪タンパク情報に関してはトランスクリプトーム解析、メタボローム解析が中心となっている。これらゲノムやその他オミックスのデータ取得技術が高度化し充実していく一方で、まだこれを治療として提供することは十分に達成されていない。</p>	<p>エピゲノム解析やメチローム解析の充実とともに、遺伝子の翻訳後修飾解析（リン酸化プロテオームやアセチル化プロテオーム等）の研究も重要となる。また、細胞のレベルでの研究を可能にするために、単一細胞RNA解析やがん細胞の3次元微小環境を調査する空間発現プロファイル解析等の新規技術も必要となる。</p> <p>これらの研究手法の発展に加えて、臨床サンプルに基づくオミックスデータの取得と整理も重要である。そのためには、適切なサンプリング数と解析手法の高度化が求められる。また、得られたデータを効果的に活用するためには、そのデータをデータベース化し、アカデミア・企業がアクセスして利活用できる仕組みも必要である。また、データベース化には、スパコンの整備やバイオロジーの素養を有するインフォマティクス人材の育成も必要である。</p> <p>こうした施策は、日本人（アジア人）に多いがんや遺伝子変化の研究を加速するとともに、高質なサンプルやデータ基盤の観点から世界に対して優位性を確立でき、産業政策論的観点から有効である。</p>
7	<p>癌免疫についてはネオアンチゲンなど癌細胞側の因子だけではなく、宿主としての免疫力の評価をしていただきたい。免疫療法に関しては殺細胞性の薬剤とはことなりiRAEが明らかに効果と相関している。宿主の免疫機能全体を上げることが必要であると考えられる。</p>	
8	<p>多くの国民は本態解明といつまで言い続けているのかと受け止めているのだらうと感じているように思います。もうそろそろこの看板を降ろして出口からみて何をすべきかを打ち出す方がいいのではないのでしょうか？</p>	

(1) がんの本態解明に関する研究

構成員・参考人からの事前提出意見一覧③

	現状と課題	今後の研究の方向性
9	がんゲノムの実装により患者real dataが集積されてきたが、比較対象としての健常者コホートをある程度広域でリクルートする必要がある。成人領域では健診データの利活用が重要と思われる。環境省で進めてきたエコチル調査はとくに周産期の母子と小児領域において重要なリソースだがこの連携が十分ではない。	比較対象として、健常者コホートの利活用を行いやすい環境整備を図る。本体解明による新規治療開発から成因に応じた個別化予防に展開するために、がん種別をさらに時間軸による年齢(層)別に応じた解析へと進めていく。
10	遺伝子パネル検査の実装はされたが、まだ対象者が少なく、薬につながる人も少ない。	ゲノム解析を含めてAIなども活用し、効率的なすべての患者のゲノム分析の方法研究、大量のデータから克服のためのターゲット探しとその効率的な優先順位をつけられるよう望む。
11	遺伝子の変異だけでなく、薬剤の効果と関連する標的を探索する研究が必要	上記にもつながるが、がん種によっては複数ある、標準治療のその順番を問う研究もあるべき。
12	遺伝性疾患の全容解明	遺伝的がんリスク体質に関する研究。乳がんであれば、リフラウメニ症候群・リンチ症候群・BRCAなどあるが、そうした疾患の予防までつながるような研究が求められている。(若くしてなる、というところまでは研究結果として出ているので経済的損失考えると若年をさらに救うべき。)

(1) がんの本態解明に関する研究

第4期がん対策推進基本計画等における関連した記載①

第4期がん対策推進基本計画

4. これらを支える基盤の整備

(1) 全ゲノム解析等の新たな技術を含む更なるがん研究の推進

- A M E D は、基礎的な研究から実用化に向けた研究までを一体的に推進するため、有望な基礎研究の成果の厳選及び医薬品・医療機器の開発と企業導出を速やかに行うための取組を引き続き推進する。

「がん研究10か年戦略」の推進に関する報告書（中間評価）

- シングルセル解析やがん細胞を取り巻く微小環境の解析により、がんが治療への抵抗性を獲得する要因と考えられるがんの多様性や不均一性への理解が進んできた。こうした研究をさらに進め、**治療への抵抗性を獲得したがんへの治療戦略**を開発するべきである。その際、近年進歩してきている**分子・細胞イメージング**を活用した新たな切り口での研究も推進すべきである。
- 遺伝子パネル検査の研究及びその医療の実装に伴い、各がん種において、新たに今まで想定されていなかった遺伝子異常が見つかりきている。**ゲノム解析を含めたオミックス解析**の技術を活用し、効率的にがんを克服するための標的を見つけていく研究を推進すべきである。
- ポストゲノム時代の層別化医療として、設計図である遺伝子の変異だけではなく、**プロテオームやメタボローム**等の情報を活用し、薬剤の効果と関連する標的を探索する研究を推進すべきである。また、がん細胞は通常と異なる代謝経路を用いることから、代謝調整剤ががんに対して効果を発揮する可能性が報告されていることを踏まえ、**がんの特異的な代謝回路**に着目した研究を推進すべきである。
- RAS 遺伝子や TP53 遺伝子などの主要ながん促進に関わる遺伝子（**ドライバー遺伝子**）を標的とした薬剤の開発は世界でも進んでいない。これらの主要なドライバー遺伝子を標的とする薬剤を開発するため、主要なドライバー遺伝子に関する理解をより深める研究を推進すべきである。
- これまでの研究開発の中心的な対象ではなかった小児・AYA世代や高齢者のがんについて、当該世代の身体機能やがんの機序に着目した適切なアプローチを検討するため、**小児・AYA世代や高齢者のがんの本態解明**に関する研究を推進すべきである。
- 今後も新たな治療標的が見出されると考えられるが、これらを創薬につなげていくため**トランスレーショナルリサーチ**を引き続き促進していくとともに、**リバーストランスレーショナルリサーチ**を促進し、原因解明を通じて新たな開発につなげるべきである。
- これまで、がんの治療法の開発を目指した本態解明に関する研究については、新たな治療法開発に結びつく成果を得てきた。今後は、ゲノム解析やAI(artificial intelligence)、また生体深部の様々な機能・代謝情報の解明につながる超偏極技術を用いたMRI等の画像診断技術等の新たな科学技術等を用いつつ、**新たながんの予防法の開発**を目指した本態解明に関する研究も推進すべきである。

具体的研究事項

(1) がんの本態解明に関する研究

(2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究

(3) 患者に優しい新規医療技術開発に関する研究

(4) 新たな標準治療を創るための研究

(5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域

① 小児がんに関する研究 ② 高齢者のがんに関する研究

③ 難治性がんに関する研究 ④ 希少がん等に関する研究

(6) がんの予防法や早期発見手法に関する研究

(7) 充実したサバイバーシップを実現する社会の構築をめざした研究

(8) がん対策の効果的な推進と評価に関する研究

横断的事項

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について

① シーズ探索 ② がんゲノム医療に係る研究 ③ 免疫療法に係る研究

④ リキッドバイオプシーに係る研究 ⑤ AI等新たな科学技術

⑥ 基盤整備等（データベース、細胞株やサンプルの利用、患者報告アウトカム、患者参画に係る取り組み、がん研究を担う人材の育成）

その他

(10) (1)～(9)にない論点について

(2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究 これまでの成果の例

A M E D 評価

- アカデミアシーズと企業シーズ効能追加の薬事承認取得が得られている。(希少がん・難治がん)
- さらにアカデミアシーズ企業導出と新規治療標的発見など多数の成果をあげている。

後半5年間の成果の例

- **革新的抗がんウイルス療法の実用化臨床研究** (東京大学 藤堂 具紀)
単純ヘルペスウイルス1型に人工的に3つのウイルス遺伝子を改変した第三世代がん治療用ヘルペスウイルス G47Δの臨床開発を進め、悪性神経腫瘍に対するG47Δの製造販売承認申請の主試験である医師主導治験の最終解析結果を報告した。G47Δは2021年6月に日本初のウイルス療法薬として製造販売承認された。
- **SCRUM-Japanの基盤を活用した血液循環腫瘍DNAスクリーニングに基づくFGFR遺伝子異常を有する難治性の治癒切除不能な進行・再発固形がんに対するTAS-120のバスケット型医師主導治験** (国立がん研究センター 吉野 孝之)
外科治療が行われる大腸がん患者を対象に、血中循環腫瘍DNAを検査する技術(リキッドバイオプシー)を用いて、術前・術後に再発リスクをモニタリングするレジストリ研究(GALAXY試験)を実施した。中間解析の結果、術後4週時点で血中循環腫瘍DNA陽性の患者は、陰性の患者と比較して、術後の再発リスクが高いことが分かった。また、ステージ2・3の患者では、術後4週時点で血中循環腫瘍DNA陽性の場合、術後補助化学療法を受けた患者は受けなかった場合よりも再発リスクが低いことが分かった。
- **口腔がん微小環境ネットワークシグナルの制御による多角的がん治療法の開発** (東京医科歯科大学 渡部 徹郎)
腫瘍組織に豊富に存在するTGF-βは上皮間葉移行(EMT)誘導を介した運動能亢進という「がん促進作用」と細胞周期をG1期に停止させることによる増殖低下という「がん抑制作用」を持っているが、相反する2つの作用の関連性については未解明であった。本研究により、TGF-βにより増殖能が低下した細胞の運動・転移能が上昇するという知見が得られ、TGF-βにより誘導される新規EMT制御因子として同定されたケラチン結合因子2-3(KRTAP2-3)が頭頸部がん患者の予後不良因子で、口腔がん細胞のEMT誘導を介して運動・転移能を亢進することから、KRTAP2-3の発現・機能を阻害することにより、口腔がんの転移を抑制できることが推測された。今後、新たな治療標的として期待される。

(2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究

構成員・参考人からの事前提出意見一覧①

	現状と課題	今後の研究の方向性
1	低分子化合物ライブラリー、モノクロナル抗体など候補リストは充実してきている一方で、それらが実質的に疾患と結び付けられていないものが多い。	この部分を結びつけていく基礎研究の拡充が重要である一方で、企業内にあることが多い知財へのアクセスは難しい。治療標的となる分子、カスケード、細胞についての情報を蓄積して行くことが重要だろう。
2	薬剤開発のための標的を見出す研究は進んでいるが、その標的を制御するためのモダリティーに結びつけることができずに開発が遅れている。	基礎研究によって標的が見出された場合、それを制御するためのモダリティーへのアクセスが容易となり、早期臨床試験が迅速かつ短期間に行われる必要がある。
3	線維化はがんの成育を助長する上、がん組織への薬剤の到達を阻むため、線維化の予防と治療はがん患者の予後を改善するうえで重要であるが、開発が遅れている。	線維化の本態解明に基づく標的分子の同定、それを制御する薬剤開発を進めるべきである。
4	企業主体の治験では、アンメットメディカルニーズに対する薬剤開発は十分とは言えない。	医師主導治験の資金基盤整備・拡充
5	有効な新規薬剤の開発がEBP (Emerging Biopharma) 主体のため、本邦からの開発不参加事例がドラッグロス拡大に影響する。	海外EBPの国内開発誘致と治験実施体制の見直し
6	遠隔臨床試験・治験 (Decentralized Clinical Trial) が十分に普及していない。	臨床試験、医師主導治験を中心にDCTを採用する研究課題を重点的に支援してはどうか。
7	希少がんに対する抗がん薬の開発は徐々に進んでいるが、より多くの治療標的の探索が必要で、それぞれに対応する新規医薬品開発が今後ますます求められる。ゲノム医療をはじめとする精密医療や個別化医療には、これまで頻度の高いがん種とされていたがん種に於いても、希少フラクションとしてのアンメットメディカルニーズがある。	<ol style="list-style-type: none"> 1. がんの希少フラクション（例えば、特定遺伝子融合、Druggableな特定ミスセンス変異：TP53 Y220C）の研究加速 2. 候補化合物スクリーニングに新しい技術を導入するほか、非臨床のproof of conceptの段階からアカデミアと企業が連携または合同で行うなどして、早期臨床試験への同種を一層加速する。 3. シーズ探索からfirst-in-humanまで産学が一気通貫で開発できるアカデミアを中心とする組織を作る。
8	殺細胞性の薬物の有害事象に対する本態的な研究が進んでいない。全ゲノム解析と結び付けて原因となる遺伝子多型を解明できないか？	

(2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究

構成員・参考人からの事前提出意見一覧②

	現状と課題	今後の研究の方向性
9	ゲノム等オミックス解析に基づく層別化研究、プロファイル研究の成果に基づく創薬が停滞している。	がん細胞の「アキレス腱を狙う」開発手法では解決が難しい、患者個々のがん細胞の生物学的多様性、複層・多重性（一つの標的を制御するだけでは十分な効果が見られない）に対応可能な治療開発を進める。 がん細胞・組織選択的な分子を目印として強力な殺細胞効果をもたらす再生医療（遺伝子編集技術、ウイルスベクター等を活用する細胞療法等）、武装化抗体、ラジオリガンド療法（アルファ線内用療法等）等、バイオエンジニアリングを駆使し、より広範な治療対象への拡張（ブロックバスター）をねらう、プラットフォーム型治療開発を推進する。
10	免疫療法以外の腫瘍宿主相互作用を利用する治療開発が不十分である。	膵癌におけるがん間質や、ウイルス発がんにおける腫瘍前駆細胞、マイクロバイオームなど、非がん細胞を標的とする薬剤開発に向けた腫瘍微小環境（TME）の生物学的メカニズムの解明と遺伝子編集を伴うマイクロバイオーム製剤の開発などより積極的な治療応用。
11	標的を見つけても、それから創薬に進める道筋が国内では限られていると思います。基礎研究と製薬企業とのギャップを埋める施策を作って実行しない限り、日本からは画期的新薬は生まれないと思います。研究ではなく、システムの問題だと思います。	
12	海外では新しいモダリティに基づくがん治療法が次々と開発されているが、日本ではこの領域が極端に弱い（アカデミアも産業界も）	「新しい治療モダリティに関する研究」を小分類に加えては？
13	がん遺伝子やがん微小環境の研究が今後発展し、罹患率の高いがん種においても、バイオロジーをもとにした疾患の細分化が進むことが想定される。	これまでの臓器ごとの疾患区分を超えたアンブレラ型臨床研究開発の更なる推進が必要である。 疾患の細分化によりある薬剤に有効性が期待できる患者を予め特定できれば、医療の高質化や限られた医療資源の有効活用が可能となる。一方で、対象患者が絞り込まれることから、薬剤の価値が適切に評価されない場合に開発企業が研究開発投資を回収できないため、こうした薬剤の開発・販売には国による経済的支援が必要である。

(2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究

構成員・参考人からの事前提出意見一覧③

	現状と課題	今後の研究の方向性
14	現在の前臨床モデルの臨床予見性には動物からヒトへの腫瘍・薬剤応答性の予測性に課題があり、臨床試験を実施する上でのハードルとなっている。	探索的臨床試験をアカデミア・企業で推進し、バイオロジーのより深い理解と、得られた臨床での知見を社会実装するためのリバーストランスレーショナル研究が必要である。 例えば、患者検体を用いた治験薬投与前後の患者の腫瘍・薬剤応答性の解析研究や腫瘍そのものを使ったex vivo評価系構築研究、生体模倣システム（MPS）研究、AI活用によるヒト予測性の向上などを推進し、非臨床研究と臨床研究の両面からのアプローチにより患者の腫瘍と薬剤応答性の評価を高めることが必要である。 そのためには、産学の研究人材の交流により非臨床研究と臨床研究の橋渡しを促進する仕組みや拠点整備等の持続性のあるエコシステムが必要と考えられる。
15	新たな創薬モダリティの研究開発が進んでいるが、イノベーションを社会実装するためのガイドライン策定が進んでいない。	イノベーションの速やかな社会実装に向けて、新モダリティの臨床開発・品質管理などに関する新しいガイドラインを速やかな整備が重要である。 例えば、再生医療等製品における生物由来原料基準の運用などに関する新ガイドラインの策定が挙げられる。
16	新薬開発のハードルはますます高くなり、1製剤あたりの開発費も高騰を続けている。	薬剤そのものの開発のみならず、副作用の低減や薬の効果を最大限引き出すことをめざしたデリバリー技術の開発にも取り組んではどうか。新薬だけでなく既存薬の付加価値もより高めることができる、費用対効果の高い開発につながるのではないか。
17	免疫チェックポイント阻害剤など免疫療法が今後ますます進展していくが、その効果が限られるケースがある。	免疫チェックポイント阻害剤をはじめとする免疫系に寄与する薬剤の効果を増強させ、副作用小さく全身に抗がん効果を発揮させ治癒させる方法の研究開発にも取り組むべき。
18	身体的・精神心理的な苦痛に関する仕組みの解明、特に脱毛に関するものなどは研究が進んでいない。	しびれや痛み、爪の黒ずみ、放射線後の皮膚のただれ、脱毛など支持療法・緩和治療でまだまだ足りないものが多い。これらの副作用を避ける、耐えられないために必要である治療ができない人も多い。また、心毒性のもので再使用や生涯量が決まっている薬剤もあり、このあたりも解明する研究が必要なのでは？
19	り患率の高いがん種においても個別化が進んでいるが、転移などした場合、より精緻に遺伝子検査をして、薬を探す、寛解・治癒を目指すニーズがある。	臓器ごとに遺伝子を確認してその変異に応じた薬剤を変更する研究と遺伝子変異が同じであればがん種を問わず薬剤を使う研究をより加速させる必要がある。薬が認可されても届かないのはもったいない。

(2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究

構成員・参考人からの事前提出意見一覧④

	現状と課題	今後の研究の方向性
20	<p>「アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究」に関しては、中間報告時点より、さらに課題が深刻化している。特に、海外で開発された薬剤の導入と国内発の新規薬剤開発の研究については、中間報告においても強力に推進すべきとなっている。しかしながら、国内未承認薬の割合は2016年以降現在に至るまで、右肩上がり推移（医薬産業政策研究所の調査結果）しており、新たなドラッグラグ、ドラッグロスと言われる状況に陥っている。この現状を踏まえ、第4期基本計画では、「希少がん及び難治性がん対策」と「新規医薬品、医療機器及び医療技術の速やかな医療実装」の項目の、取り組むべき施策に、「薬剤アクセスの改善に向けて、日本の薬事規制等の海外の中小バイオ企業への周知等を通じ、日本での早期開発を促すなど治験の実施（国際共同治験への参加を含む。）を促進する方策を検討する」との記載が加えられている。</p>	<p>さらに強力に推進し、新たなドラッグラグ、ドラッグロスの解消を実現する。</p>
21	<p>ここ10年で免疫チェックポイント阻害剤やがんゲノム医療等、新規の薬剤や新たな治療法が登場するなど、医学の進歩は著しい。大変感謝申し上げたい。一方で、依然として、副作用及び後遺症により、大きな身体的苦痛を伴う場合があり、今後も治療の進歩とともに複雑多様化していくことが考えられる。</p>	<p>支持療法や緩和治療についての研究を、新規薬剤開発と同様に重点的に推進すべきではないか。</p>
22	<p>上記の理由から、身体的な苦痛だけでなく、精神心理的な苦痛に関しても、複雑多様化していくことが考えられる。</p>	<p>がん患者の身体的・精神心理的な苦痛に関する現状の把握や、メカリズムの解明を進めることで、新たな支持療法や緩和治療の開発につなげることを目指すべきではないか。</p>
23	<p>特に希少がん、小児がん、AYA世代のがんでは、海外で開発された薬剤の導入が遅れており、新たなドラッグラグ、ドラッグロスと言われる状況に陥っている。</p>	<p>希少がん、小児がん、AYA世代のがんにおける海外で開発された薬剤の導入を進め、海外との差がゼロになることを目指すべきではないか。また、臨床試験を戦略的に進め、国内発の新規薬剤開発の研究を推進すべき。海外の事例に倣い、小児・AYA世代における薬剤開発を加速させるため、成人における薬剤開発と同時に、小児・AYA世代における薬剤開発を進める研究の支援を行う等の工夫をすべき。</p>

(2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究

第4期がん対策推進基本計画等における関連した記載①

第4期がん対策推進基本計画

2. 患者本位で持続可能ながん医療の提供

(3) 小児がん及びAYA世代のがん対策

- 国は、小児がん領域における薬剤アクセスの改善に向けて、日本の薬事規制等の海外の中小バイオ企業への周知等を通じ、日本での早期開発を促すなど治験の実施（国際共同治験への参加を含む。）を促進する方策を検討するとともに、小児がん中央機関、小児がん拠点病院等、関係学会及び企業等と連携した研究開発を推進する。

(4) 希少がん及び難治性がん対策

- 国は、希少がん及び難治性がん領域における薬剤アクセスの改善に向けて、日本の薬事規制等の海外の中小バイオ企業への周知等を通じ、日本での早期開発を促すなど治験の実施（国際共同治験への参加を含む。）を促進する方策を検討するとともに、希少がん中央機関、拠点病院等、関係学会及び企業等と連携した研究開発を推進する。

(5) 新規医薬品、医療機器及び医療技術の速やかな医療実装

- 国は、希少がん及び難治性がん領域における薬剤アクセスの改善に向けて、日本の薬事規制等の海外の中小バイオ企業への周知等を通じ、日本での早期開発を促すなど治験の実施（国際共同治験への参加を含む。）を促進する方策を検討するとともに、希少がん中央機関、拠点病院等、関係学会及び企業等と連携した研究開発を推進する。

4. これらを支える基盤の整備

(1) 全ゲノム解析等の新たな技術を含む更なるがん研究の推進

(取り組むべき施策)

- 関係省庁が協力し、多様な分野を融合させた先端的な研究を推進することにより、治療法の多様化に向けた取組をより一層推進する。
- A M E Dは、基礎的な研究から実用化に向けた研究までを一体的に推進するため、有望な基礎研究の成果の厳選及び医薬品・医療機器の開発と企業導出を速やかに行うための取組を引き続き推進する。

(個別目標)

- がん研究の更なる促進により、がん予防に資する技術開発の推進や医薬品・医療機器等の開発によるがん医療の充実を図るとともに、がん患者やその家族等の療養生活に関する政策課題の解決を図る。

(2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究 第4期がん対策推進基本計画等における関連した記載②

経済財政運営と改革の基本方針 2023 (令和5年6月閣議決定)

第4章 中長期の経済財政運営

2. 持続可能な社会保障制度の構築

(社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進)

- 創薬力強化に向けて、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品の開発強化、研究開発型のビジネスモデルへの転換促進等を行うため、保険収載時を始めとするイノベーションの適切な評価などの更なる薬価上の措置、全ゲノム解析等に係る計画の推進を通じた情報基盤の整備や患者への還元等の解析結果の利活用に係る体制整備、大学発を含むスタートアップへの伴走支援、臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化、国際共同治験に参加するための日本人データの要否の整理、小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消に向けた薬事上の措置と承認審査体制の強化等を推進する。

「がん研究10か年戦略」の推進に関する報告書 (中間評価)

- 支持療法については進歩が著しいが、細胞障害性抗がん剤や新規の薬剤固有の副作用等により、依然として、大きな身体的苦痛を伴う場合があることから、ゲノム解析の観点からも、**支持療法や緩和治療**についての研究を重点的に推進すべきである。また、がんの本態解明だけではなく、がん患者の**身体的・精神心理的な苦痛に関する機序の解明**も進めることで、新たな支持療法や緩和治療の開発につながることを目指すべきである。
- 特に小児固形腫瘍や希少がんでは、**海外で開発された薬剤の導入が遅れている**。引き続き、アンメットメディカルニーズに応えるべく、小児がん、AYA世代のがんや希少がんにおける海外で開発された薬剤の導入を進めるとともに、国内発の新規薬剤開発の研究を推進すべきである。なお、推進に当たり、関連学会においても臨床試験等を戦略的に進めるべきである。また、小児・AYA世代における薬剤開発を加速させるため、成人における薬剤開発と同時に、**小児・AYA世代における薬剤開発を進める研究の支援**を行う等の工夫をすべきである。
- 今後、より効率的にがん治療法を開発するため、**ゲノム情報等を利活用し、患者の層別化を進める**研究を推進すべきある。
- 罹患率の高いがん種においても希少フラクションが見つかり、患者の細分化が進むと考えられるため、**臓器ごとのアンブレラ型臨床研究**や、**バスケット型臨床試験**のようながん種によらず原因遺伝子に着目した研究も推進すべきである。
- 免疫療法について、より有効と考えられる患者を絞り込み、無用な副作用を回避できるように、**治療の効果予測・効果判定に係るバイオマーカー**の研究を推進すべきである。また、新たな免疫療法の開発として、**多剤との併用療法等による免疫疲弊の除去**や**T細胞受容体遺伝子の改変技術等の利用した細胞療法**に関する研究等を推進すべきである。

具体的研究事項

- (1) がんの本態解明に関する研究
- (2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究
- (3) 患者に優しい新規医療技術開発に関する研究

(4) 新たな標準治療を創るための研究

(5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域

- ① 小児がんに関する研究 ② 高齢者のがんに関する研究
 - ③ 難治性がんに関する研究 ④ 希少がん等に関する研究
- (6) がんの予防法や早期発見手法に関する研究
 - (7) 充実したサバイバーシップを実現する社会の構築をめざした研究
 - (8) がん対策の効果的な推進と評価に関する研究

横断的事項

- (9) 各柱にまたがる「横断的事項」について
- ① シーズ探索 ② がんゲノム医療に係る研究 ③ 免疫療法に係る研究
- ④ リキッドバイオプシーに係る研究 ⑤ AI等新たな科学技術
- ⑥ 基盤整備等（データベース、細胞株やサンプルの利用、患者報告アウトカム、患者参画に係る取り組み、がん研究を担う人材の育成）

その他

- (10) (1)～(9) にない論点について

(4) 新たな標準治療を創るための研究 これまでの成果の例

A M E D 評価

- 質の高い臨床試験を数多く支援し、成果が着実に蓄積されつつありガイドラインへの掲載も進んでいる。
- 支持・緩和領域における臨床研究の方法論や評価指標の確立を目的とした試験が実施され、研究推進のための基盤整備が進んでいる。

後半5年間での成果の例

- **シスプラチンを含む高度催吐性化学療法による化学療法誘発性悪心・嘔吐の予防に対する標準制吐療法+オランザピンの有効性と安全性を比較する二重盲検プラセボ対照第3相ランダム化比較試験** (静岡がんセンター 安部 正和)
抗がん剤の治療による悪心(吐き気)・嘔吐(吐くこと)を抑える新たな制吐療法の有用性を、医師・薬剤師主導の第Ⅲ相ランダム化比較試験: J-FORCE試験(J-SUPPORT 1604)で明らかにした。抗がん剤治療による悪心・嘔吐の新しい制吐療法 標準制吐療法を上回る試験結果となった。
- **MAPKシグナル抑制が誘導するフィードバック機構の不均一性解明と制御に基づくKRAS/BRAF変異腫瘍に対する新規治療開発** (金沢大学 矢野 聖二)
日本人の肺がんには、EGFRやKRAS、BRAFなどの遺伝子異常がそれぞれ20%、5%、1%程度にみつき、それぞれの遺伝子異常に対する分子標的薬が効果を発揮する。しかし、一部のがん細胞が抵抗性細胞として生き残り、1年から数年後に耐性のがんとして再発する。本研究でEGFR変異肺がんにおいて行った付随研究で、分子標的薬オシメルチニブにさらされた腫瘍細胞の一部が抵抗し生き残るメカニズムを解明した。そのメカニズムから、オシメルチニブに短期間IGF-1R阻害薬を併用することで腫瘍を消失させ、治療を止めても再発をほぼ完全に防げることが見込まれ、将来、肺がんを根治させる治療につながるものと期待される。
- **乳がん患者の再発不安・恐怖に対するスマートフォン問題解決療法および行動活性化療法の有効性: 無作為試験** (名古屋市立大学 明智 龍男)
スマートフォンで遠隔的に臨床研究に参加できる分散型臨床試験の基盤を患者市民参画で開発し、認知行動療法のアプリを用いて、世界で初めて、乳がん患者の再発に対する恐怖感を軽減することに成功した。

(4) 新たな標準治療を創るための研究 構成員・参考人からの事前提出意見一覧①

	現状と課題	今後の研究の方向性
1	臨床試験や疫学研究では10年単位の期間が必要となることも多い。現在は3年単位の研究期間となっているが、研究の特性に応じ中間評価を条件として、より長期の研究期間を認めてはどうか。	AMEDでも申請課題数・評価いずれも高い領域であり研究費についてもより一層の充実が求められる。
2	新規標準治療は従来の標準治療との比較試験で開発されているが、希少がんや頻度の高いがん種の希少フラクションに対する新規標準治療の確立は症例集積の限界から実現性が低くや実現までの時間が掛かる。	<ol style="list-style-type: none"> より少ない症例数で新規治療法（薬）の有効性を検証できる臨床試験方法の開発 早期承認後のリアルワールドデータ集積による有効性・安全性の再検証の仕組み構築 日本が主導する国際共同開発の強化
3	標準治療の開発（第3相臨床試験）については医療経済上の影響が大きいため、すべての研究において試験治療により日本全体でどの程度医療費が増加もしくは減少するか試算し、経済的な評価を行うようにすべきである。	
4	CAR-T細胞療法等における免疫細胞の老化・疲弊に伴う治療効果減弱の克服が難しい。	治療開始前、開始時に良質な細胞を採取・選別・保存するセルフバンキング体制の構築と運用。iPS細胞を活用した再生医療等製品の開発。治療の現場（ホスピタルサイド）で最適な細胞製剤を加工製造、選択、治療できる体制の構築。
5	外科的治療や薬物療法に並ぶ3大治療法であるはずの放射線治療が、日本は諸外国に比べて少ない。患者さんの放射線に対する不安や恐怖心や、専門医の不足により患者さんへ適切な情報提供ができていないことも、日本で放射線治療が広がらない要因にあげられている。	既に海外で臨床使用されている放射線治療技術が国内で使用できないケースもあることなどから、新たな放射線治療技術の研究開発だけでなく、放射線治療に対する国民的理解を醸成する取り組みにも力を入れてはどうか。
6	運動や栄養・食生活等に関して、がんリハビリについては入院治療のみ医療の実装されている。しかし、今日のがん医療の進歩、入院期間の短縮によって退院後の通院治療におけるがんリハビリに課題を残している。	退院後の生活していく上でのリハビリや通院にて薬物療法や放射線療法による副作用に伴う食生活の不便について民間も巻き込んだ横断的な研究を検討すべきである。

(4) 新たな標準治療を創るための研究 構成員・参考人からの事前提出意見一覧②

	現状と課題	今後の研究の方向性
7	医療の進歩により「がんになったその後の人生」が長くなっている。これは今後もより顕著となるとことが予想される。	長期スパンでの患者のQOLを軸に、治療を評価していくような研究が必要ではないか。(特に、小児がん、AYA世代のがん)
8	支持療法及び緩和治療についても引き続き手薄にならないように、研究を進めていただきたい。	中間評価にあるように、支持療法及び緩和治療について、ここ数年で方法論や評価指標が確立されつつあり、研究を推進する基盤の整備が進み、いくつかの研究が開始されつつある。引き続き、標準的な支持療法、緩和治療を開発する研究を進めていくべき。
9	がん予防や生存率と栄養・食生活等のライフスタイルとの関係について、科学的根拠が曖昧なものがある。(特に、日本人の研究、とくに高齢者や乳がん以外のデータが少ないのでは)	多様ながん種、年齢層及び我が国に合ったデータを用い、有効性について、より科学的根拠を確立していくことが必要ではないか。
10	乳がんは特に晩期再発があったり、治療からずいぶんたっても副作用が出てくるなど生存率が伸びたからこそ『長期予後』の視点の研究が急務	乳がんに関しては年齢を閉経前(50歳未満)・若年層に限定した研究を進めてはどうか。閉経前、閉経後で治療が異なる場合もあり、その治療も対策も個別化されるべきではないかと考える。
11	運動は再発予防となる、などエビデンスが出てきているが栄養・食事・サプリなどは科学的根拠があいまいなものが多く、長期生存が可能となったがん種の方は特に騙されやすい。	治療の一環として、どれくらいの強度の運動がベストだ、とか〇〇をどれくらい、〇〇をどれくらいとる、バランスのよい食事がリスクを減らす、などの科学的根拠を熱望する。乳がんであればイソフラボン問題やホルモン作用のアロマオイルに至るまで悩ましいものが多数世の中に存在する。
12	効果はあるけれども簡単に受けられない治療があり、副作用のコントロールなどの理由から医療機関によって受けられなかったりするものがある。	標準治療の中に各種薬があるが、その優劣はまさに個別化。効くのも効かぬのも患者にとってはゼロか100か。Ki67や腫瘍マーカーがあてになりません、と書かれるのは患者的にはどうすればいいのかと思う。それによって必要のない精密検査や必要のない不安にかられたり、逆に見つからない、という悲劇も呼ぶ。初発・再発問わず、正しいバイオマーカーを患者は望んでいる。再発は早く見つけても生存率は変わりません、といわれ続ける世の中はこの10年で終わりにしてほしい。『あてになるマーカーを研究を』

(4) 新たな標準治療を創るための研究 第4期がん対策推進基本計画等における関連した記載

第4期がん対策推進基本計画

4. これらを支える基盤の整備

(1) 全ゲノム解析等の新たな技術を含む更なるがん研究の推進

- ・ 関係省庁が協力し、多様な分野を融合させた先端的な研究を推進することにより、治療法の多様化に向けた取組をより一層推進する。

「がん研究10か年戦略」の推進に関する報告書（中間評価）

- ・ がん治療の効果の評価のみならず、QOLに重点をおいた評価も重要であり、**QOLを高く維持できる標準治療**の研究を進めるべきある。また、**治療終了から長い時間が経った後に顕在化するがん治療の副作用**もあり、**長期予後**も視野に入れた研究も推進すべきである。
- ・ 支持療法及び緩和治療について、ここ数年で方法論や評価指標が確立されつつあり、研究を推進する基盤の整備が進み、いくつかの研究が開始されつつある。引き続き、**標準的な支持療法、緩和治療**を開発する研究を進めていくべきである。
- ・ がん終末期にしばしば経験する**悪液質**については、がん患者のQOLの観点から、その対策が求められているが、悪液質の研究に係る評価モデル系が十分確立していないため、同分野の研究を進める上での障害となっている。悪液質の研究を進めるに当たり、**評価モデル系の構築とその臨床的有用性の検証**を行うべきである。
- ・ 運動や栄養・食生活等のライフスタイルが、がんの再発予防や生存率等と関連することについて、科学的に明らかにされてきた一方で、科学的根拠が曖昧なものもある。がんの治療の一環として、**身体活動・運動の増加**や**栄養・食生活改善**等が有効であるかどうかについて、引き続き、しっかりと科学的根拠を確立するための研究を推進すべきである。
- ・ 効果としては優れているものの、非常に高額な薬剤や治療法が出現している。より良い治療を普及させつつ、**患者負担の軽減**及び**医療経済**の観点から、**奏効率がより高い治療薬**の開発や、**治療効果の高い患者の同定法**の開発等を含め、**コストダウンに資する研究**を推進すべきである。

具体的研究事項

- (1) がんの本態解明に関する研究
- (2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究
- (3) 患者に優しい新規医療技術開発に関する研究
- (4) 新たな標準治療を創るための研究

(5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域

① 小児がんに関する研究 ② 高齢者のがんに関する研究

- ③ 難治性がんに関する研究 ④ 希少がん等に関する研究
- (6) がんの予防法や早期発見手法に関する研究
- (7) 充実したサバイバーシップを実現する社会の構築をめざした研究
- (8) がん対策の効果的な推進と評価に関する研究

横断的事項

- (9) 各柱にまたがる「横断的事項」について
 - ① シーズ探索 ② がんゲノム医療に係る研究 ③ 免疫療法に係る研究
 - ④ リキッドバイオプシーに係る研究 ⑤ AI等新たな科学技術
 - ⑥ 基盤整備等（データベース、細胞株やサンプルの利用、患者報告アウトカム、患者参画に係る取り組み、がん研究を担う人材の育成）

その他

- (10) (1)～(9) にない論点について

(5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域 ① 小児がん

これまでの成果の例

A M E D 評価

- 中央診断や試料保存システム等の整備が進み、正確な診断のもとに疾患ごとに晩期合併症に配慮した新たな標準治療確立のための臨床試験が実施され成果をあげた。

後半5年間での成果の例

- 小児胎児性固形がんに対する標準的治療法開発** (広島大学 檜山 英三)
全国多施設共同臨床試験JPLT-2試験に登録され治療された症例の治療開始する前の検体163例を用いて、統合的にゲノム・エピゲノム・プロファイリングを行った。その結果、肝芽腫には性質が異なるいくつかのサブグループが存在し、小児に多く見られる典型的な肝芽腫では、腸管上皮の幹細胞で重要な転写因子であるASCL2の遺伝子発現が亢進していることが明らかとなった。さらに、肝芽腫症例の予後予測に有用である新しいメチル化マーカーDLX6-AS1を見出した。診断や予後予測の重要な指標となることが期待される。
- 分子プロファイリングを基盤とした小児期からAYA世代に発症する難治がんの新規治療法の開発** (京都大学 滝田 順子)
本研究では、神経芽腫のがん細胞のDNAメチル化解析により、既存の治療の効果が期待しづらい超予後不良群を抽出できる可能性を示した。さらにこの超予後不良群の特徴をRNAシーケンスとの統合解析により調べ、がん細胞に特徴的な栄養の利用様式により生存と増殖を有利にする方法である「がん代謝」の性質に着目することで、これを逆用する新規治療の可能性を細胞実験と動物実験により示した。
- 遺伝子変異に応じたがんシグナルの同定を基盤とした小児脳腫瘍の新規治療法に関する研究開発** (国立精神・神経医療研究センター 川内 大輔)
小児悪性脳腫瘍である髄芽腫において、転写抑制因子をコードするBCOR遺伝子の変異が、細胞増殖因子であるIGF2の発現亢進を介して悪性化に関わることを発見した。BCOR遺伝子に変異がある他のヒト脳腫瘍や一部の肉腫においてもIGF2の高発現が認められたことから、BCOR遺伝子変異が有用な分子診断バイオマーカーとしてがんプレジジョン医療の発展に繋がることが期待される。また、国際共同研究による世界最大規模(>1000例)の臨床検体を用いて、小児脳腫瘍である上衣腫において新たな融合遺伝子を発見し、その腫瘍原性を明らかにすると共に、新規治療標的となる主要下流因子を同定した。本成果は小児悪性脳腫瘍のWHO分子分類名が変更となる国際的な影響をもたらしており、重要な医学的貢献をも果たしている。

(5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域 ① 小児がん

構成員・参考人からの事前提出意見一覧①

	現状と課題	今後の研究の方向性
1	海外よりも小児がんへの開発は大幅に遅延	小児がんへの新規薬剤開発体制の整備
2	高齢者がん、小児がんなどでの治療開発が進みにくい。	レジストリを利用した承認制度の検討、承認を伴わないオフラベルユースを可能とする制度の検討
3	ゲノム解析を生かすことができれば新規の治療開発が進展すると考えます。	
4	小児がんはその希少性から治験のハードルが高いことに加えて、成人がんと比較したときの病態の特殊性のため研究開発が進まず、ドラッグラグ、ロスを招いている。	希少な小児がんに取り組むための拠点整備を進めつつ、アカデミア研究の進展とともに、ドラッグラグ・ロスの解消に向けた制度設計が必要である。具体的には、海外データ及び文献等による日本人症例データを必須としないためのモデル&シミュレーションの研究が必要である。
5	死因の首位から3位までを占める小児がんながら、その検診が成人に比べて非常に遅れた。神経芽腫の歴史以降、小児脳腫瘍、難治性白血病を含め大きな課題である。	こども家庭庁と協力して、母と児の周産期から新生児・乳児・小児へと連続性のある新たな健診と検診体制の枠組みへ主な死因となるがんとがん素因へ対象を広げていく。小児ではその特性から「がん」のみならず「がん素因（内因と外因）」の解析に対象を拡大する必要がある。
6	難治性造血器・固形腫瘍の患児と家族は治療中の施設移動が困難なため、広域移動を必要とする放射線治療施設にアクセスしにくい。	都市部でない地域の広域連携治療を推進するためにAIやDXを活用し、特殊な治療（移植・遺伝子・放射線など）のための移動を最小化できる環境整備を進める。
7	ハイリスク造血器・固形腫瘍に対する分子標的薬は新規だけでなくrepositioningでも、小児では成人に比較して迅速に使用しにくい環境にある。	安全性に関するデータが海外でも集積されている治療薬を速やかに使用しやすい診療の環境整備を進める。

(5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域 ①小児がん

構成員・参考人からの事前提出意見一覧②

	現状と課題	今後の研究の方向性
8	遺伝子診断の有効性が報告されているけれども、治療薬と結びつく診断法、大人と同じでいいのか。	子ども向けの遺伝子パネル検査の開発の推進とその将来のリスクを測る（特にリフラウメニなどは次々と異なるがんを発症）ものとそのコンビオン診断は両輪で進めるべき。そして、予測後、治療薬を使うことで発症を防ぐ予防まで研究されたい。
9	小児→成人の間にあるAYA世代に適した治療法が明らかになっていないのでは？	小児がんのあと、二次がんの発生のときにはAYA世代になっていたりする。妊孕性などの問題もかかわる世代がゆえに、それも踏まえた長期的な研究が必要なのではないか。
10	特に希少がん、小児がん、AYA世代のがんでは、海外で開発された薬剤の導入が遅れており、新たなドラッグラグ、ドラッグロスと言われる状況に陥っている。	希少がん、小児がん、AYA世代のがんにおける海外で開発された薬剤の導入を進め、海外との差がゼロになることを目指すべきではないか。また、臨床試験を戦略的に進め、国内発の新規薬剤開発の研究を推進すべき。 海外の事例に倣い、小児・AYA世代における薬剤開発を加速させるため、成人における薬剤開発と同時に、小児・AYA世代における薬剤開発を進める研究の支援を行う等の工夫をすべき。
11	AYA世代に関する項目がない。	第4期がん対策推進基本計画同様、小児・AYA世代、もしくはAYA世代の項目を設け、世代特有の課題について重点的に研究を進めるべきではないか。
12	がん種によっては、小児と成人の狭間である、AYA世代の治療成績の改善が十分ではない。	AYA世代に適した治療法についての研究を進めるべきではないか。
13	ライフステージの変化を伴う世代であるAYA世代において、経済的及び心理社会的な課題に対しての支援が不十分である。	多様なAYA世代の経済的及び心理社会的な課題に対して、現状の把握だけでなく、実効性が高く、誰一人取り残さない支援について研究し、実装を進めるべきではないか。（生殖機能の温存に資する研究、がん治療と仕事の両立を進める研究も継続しつつ）

第4期がん対策推進基本計画

2. 患者本位で持続可能ながん医療の提供

(3) 小児がん及びAYA世代のがん対策

(取り組むべき施策)

- 国は、長期フォローアップの更なる推進のため、小児がん経験者の晩期合併症について実態把握を行うとともに、小児がん拠点病院等と、拠点病院等、地域の医療機関、かかりつけ医等の連携を含め、地域の実情に応じた小児・AYA世代のがん患者の長期フォローアップの在り方を検討する。
- 国は、小児がん領域における薬剤アクセスの改善に向けて、日本の薬事規制等の海外の中小バイオ企業への周知等を通じ、日本での早期開発を促すなど治験の実施（国際共同治験への参加を含む。）を促進する方策を検討するとともに、小児がん中央機関、小児がん拠点病院等、関係学会及び企業等と連携した研究開発を推進する。

(個別目標)

- 小児がん患者及びAYA世代のがん患者やその家族等が、適切な情報を得て、悩みを相談できる支援につながり、適切な治療や長期フォローアップを受けられることを目指す。さらに、小児がん領域での研究開発を進める。

経済財政運営と改革の基本方針 2023（令和5年6月閣議決定）

第4章 中長期の経済財政運営

2. 持続可能な社会保障制度の構築

(社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進)

- 計画※に基づき、がんの早期発見・早期治療のためのリスクに応じたがん検診の実施や適切な時機でのがん遺伝子パネル検査の実施、小児がん等に係る治療薬へのアクセス改善などのがん対策及び循環器病対策を推進する。

※「がん対策推進基本計画」（令和5年3月28日閣議決定）及び「循環器病対策推進基本計画」（令和5年3月28日閣議決定）。

(5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域 ① 小児がん 第4期がん対策推進基本計画等における関連した記載②

「がん研究10か年戦略」の推進に関する報告書（中間評価）

- 小児がんや肉腫等の希少がんで多い未分化がんについては、遺伝子診断の有効性が報告されている。正確かつ迅速な診断を可能とするため、**小児がんや希少がんにおける遺伝子診断**について、早期の実用化に向けた研究を推進すべきである。また、小児がんの治療の最適化のためにも、成人同様に遺伝子診断が有用と考えられる。現在、小児用の遺伝子パネル検査は確立されていないため、コンパニオン診断の確立と並行して、確定診断及び治療の最適化に資する**小児用の遺伝子パネル検査**の開発を推進すべきである。
- 小児がんにおいては診断に苦慮する例も多く、正確な診断のもと質の高い臨床試験を推進するために、**中央病理診断**等を活用した研究を推進すべきである。
- 小児でも成人でも発症するがんの中には、小児と成人で**がんの進行する速度や治療成績が異なる**ものもあるため、この違いに着目し本態解明を進めるべきである。
- 小児と成人で治療法が異なるがんにおいては、**A Y A世代の患者に適した治療法**が明らかになっていない場合がある。A Y A世代のがんの治療成績は、他の世代に比べて十分改善しておらず、A Y A世代に適した治療法の研究を早急に進めるべきである。
- 小児がんにおいては、治療成績の改善が見られる一方で、二次がんの発生や、生殖機能への影響等**治療に伴う晩期合併症**が問題となっている。ゲノム解析等を進め、**二次がんや晩期合併症のリスク因子を同定**していく長期的な研究を進めるとともに、**晩期合併症の軽減や代替対応**を含めた小児がんに最適な治療法の探索を推進すべきである。

具体的研究事項

- (1) がんの本態解明に関する研究
- (2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究
- (3) 患者に優しい新規医療技術開発に関する研究
- (4) 新たな標準治療を創るための研究
- (5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域
 - ① 小児がんに関する研究 ② 高齢者のがんに関する研究
 - ③ 難治性がんに関する研究 ④ 希少がん等に関する研究
- (6) がんの予防法や早期発見手法に関する研究
- (7) 充実したサバイバーシップを実現する社会の構築をめざした研究
- (8) がん対策の効果的な推進と評価に関する研究

横断的事項

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について

- ① シーズ探索 ② がんゲノム医療に係る研究 ③ 免疫療法に係る研究
- ④ リキッドバイオプシーに係る研究 ⑤ AI等新たな科学技術
- ⑥ 基盤整備等（データベース、細胞株やサンプルの利用、患者報告アウトカム、患者参画に係る取り組み、がん研究を担う人材の育成）

その他

- (10) (1)～(9) にない論点について

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ① シーズ探索 これまでの成果の例

A M E D 評価

- 従来の研究アプローチに加え、ゲノム情報やオミクス解析技術を駆使することにより、生体内におけるがんの時間的空間的变化がゲノムやトランスクリプトームレベルで解析できるなどの進展がみられた。今後、更に革新的なシーズ探索のアプローチを発展させることで、斬新な次世代医療の実現につながる。

後半5年間の成果の例

- **マイナーイントロンのスプライシング異常による発癌機構と治療応用に関する研究**

(神戸医療産業都市推進機構先端医療研究センター 井上 大地)

全イントロンのわずか0.3%しか存在しない「マイナーイントロン」と呼ばれる配列が遺伝情報の伝達の際に適切に除去（スプライシング）できないことで発がんに至るという新しいメカニズムを初めて解明した。マイナーイントロンのスプライシング異常による発がん機構研究の発展により、スプライシング異常が引き起こす病気の理解や新しい治療標的の開発につながることを期待される。

- **治療抵抗性難治がんにおけるヒストン脱メチル化酵素LSD1の機能性ドメインを標的とした新規抗がん剤の開発**

(名古屋大学 加藤 真一郎)

悪性黒色腫における治療耐性化細胞はLSD1依存的に生存・増殖することを解明し、LSD1の「TOWER」ドメインを介する転写因子が、細胞周期が停止した希少なDTPs（エピゲノムレベルの可塑性を利用して抗がん剤治療等の不利な環境に適応する細胞）が治療耐性化する際に必要であることを新たに明らかにしてきた。今後、DTPsによる治療抵抗性を克服された治療法開発に大きく前進することが期待され、正常細胞の機能に影響しない、より副作用が軽減された抗がん剤開発につながる。

- **ロングリード技術を駆使した非小細胞肺癌におけるがんゲノム多様性・進化に関する研究** (東京大学 鈴木 絢子)

肺癌細胞のゲノム中に存在する異常をショートリードとロングリードの二つのシーケンス技術を組み合わせた新しい手法で、染色体レベルでのゲノム異常の蓄積を解析しました。その結果、相同染色体のうち、一方の染色体に特異的に変異が蓄積している領域を見だし、更に、ゲノム変異を有する染色体背景を多階層にわたって明らかにした。今後、個々の患者さんのがん細胞の発生から進展様式までを追うことができるようになり、より個人の病態に焦点を当てた治療法の選択や新しい治療の開発が期待される。

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ① シーズ探索

構成員・参考人からの事前提出意見一覧

	現状と課題	今後の研究の方向性
1	オミクス技術の進展に伴うヒトレベルでの情報の蓄積、構造生物学、情報科学、免疫学などの進展などにより、飛躍的な発展が見込める段階に入りつつあるのではないか？	治療介入の標的となりうる分子、カスケード、細胞を目指すがんの基礎研究と、他分野をリンクした融合型研究の推進が重要と考える。
2	シーズを育成していく段階で適切な知財戦略が行われていないために、実用化に大きな支障をきたすケースが多く、開発の遅れや海外への展開が十分に行えない原因となっている。	国際的に伍することが出来る知財支援を確立し、知財が障壁となって開発が遅れることのない体制を確立する。
3	基礎的な研究成果を発掘、開発、導出する拠点整備、人材育成が不十分である。	アカデミア、ベンチャー企業等の研究者がシーズ育成に特化した支援機関に直接つながるネットワークの構築。有効な出口戦略を立案する薬事、製造、知財、ビジネス面での支援体制の強化。国際的なプロモーションの促進。
4	抗がん薬のシーズ探索は成果の視点から成功率が低くリスクが大きいため、その取り組みは一部の企業と研究者に限定されている。実役開発に繋げるにはシーズ探索の規模を拡大するほか、より効率的かつ精度の高い技術開発が求められる。	(一部再掲) 1. 候補化合物スクリーニングに新しい技術を導入するほか、非臨床のproof of conceptの段階からアカデミアと企業が連携または合同で行うなどして、早期臨床試験への同種を一層加速する。シーズ探索からfirst-in-humanまで産学が一気通貫で開発できるアカデミアを中心とする組織を作る。 2. シーズ探索に研究予算を重点化する。

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ① シーズ探索 第4期がん対策推進基本計画等における関連した記載

第4期がん対策推進基本計画

4. これらを支える基盤の整備

(1) 全ゲノム解析等の新たな技術を含む更なるがん研究の推進

- ・ 関係省庁が協力し、多様な分野を融合させた先端的な研究を推進することにより、治療法の多様化に向けた取組をより一層推進する。
- ・ AMEDは、基礎的な研究から実用化に向けた研究までを一体的に推進するため、有望な基礎研究の成果の厳選及び医薬品・医療機器の開発と企業導出を速やかに行うための取組を引き続き推進する。

新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画2023改訂版・成長戦略等のフォローアップ（令和5年6月閣議決定）

1. 「人への投資・構造的賃上げと三位一体の労働市場改革の指針」関連のフォローアップ

3. 「科学技術・イノベーション」関連

(医療・医薬品・医療機器)

- ・ 「がん対策推進基本計画」（令和5年3月28日閣議決定）等を踏まえ、重粒子線がん治療装置の小型化・高度化等の先端的な研究を進める。

「がん研究10か年戦略」の推進に関する報告書（中間評価）

- ・ がん治療のシーズ探索については、AMED 次世代がん医療創生事業が中心となり、がんゲノム医療、難治性がん・希少がんの克服、免疫療法の確立等に向け、（中略）シーズ探索の研究を支援してきた。（中略）今後も、有望なシーズを見出し、着実に育て、実用化まで切れ目のない支援をしていくべきである。
- ・ シーズ探索は、新たながん治療法や診断法開発の原点であり、シーズが枯渇すれば、その開発は困難となる。将来的なシーズの枯渇を防ぐためには、がん研究において現在注目されている技術だけに目を向けるのではなく、その他の先端技術にも着目するなど、**研究の裾野を広げて新たなシーズを見出す**ことを、継続的に支援すべきである。

具体的研究事項

- (1) がんの本態解明に関する研究
- (2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究
- (3) 患者に優しい新規医療技術開発に関する研究
- (4) 新たな標準治療を創るための研究
- (5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域
 - ① 小児がんに関する研究 ② 高齢者のがんに関する研究
 - ③ 難治性がんに関する研究 ④ 希少がん等に関する研究
- (6) がんの予防法や早期発見手法に関する研究
- (7) 充実したサバイバーシップを実現する社会の構築をめざした研究
- (8) がん対策の効果的な推進と評価に関する研究

横断的事項

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について

- ① シーズ探索 ② **がんゲノム医療に係る研究** ③ 免疫療法に係る研究
- ④ リキッドバイオプシーに係る研究 ⑤ AI等新たな科学技術
- ⑥ 基盤整備等（データベース、細胞株やサンプルの利用、患者報告アウトカム、患者参画に係る取り組み、がん研究を担う人材の育成）

その他

- (10) (1)～(9) にない論点について

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ②がんゲノム医療に係る研究 これまでの成果の例

A M E D 評価

- 大規模なゲノム解析データの蓄積により、日本人のがんゲノムの特徴が明らかとなり、国際的にも、がん研究に大きく貢献した。

後半5年間の成果の例

- 大規模シーケンス解析に基づく、造血器腫瘍のゲノム、エピゲノムにおける、空間的・時間的多様性の研究** (京都大学 小川 誠司)
従来、発症の遺伝的背景が不明であったクローン性造血で遺伝子変異とコピー数異常が高頻度に共存すること、両者が共存すると血液腫瘍・心血管疾患のリスクが有意に上昇すること、などを世界に先駆けて解明した。この成果は、血液がんの起源を理解するための手がかりを与えるのみならず、クローン性造血に基づく臨床予後予測の実現や治療法開発への発展が期待される。
- 早期がん及びリスク依存がんの統合解析による肺発がん多様性の理解と重点化治療戦略の策定** (国立研究開発法人国立がん研究センター 河野 隆志)
間質性肺炎合併肺腺がんの予後は不良であるため、その治療や予後予測を可能とするバイオマーカーの解明が急務である。本研究では、世界に先駆けて間質性肺炎に合併した肺腺がん(間質性肺炎合併肺腺がん)の遺伝子変異の特徴を明らかにした。肺の形成や働きにかかわる遺伝子群の機能を失わせるような変異が間質性肺炎合併肺腺がんを高頻度に見られることを明らかにした。間質性肺炎合併肺腺がんの病態解明と新規治療法開発への応用が期待される。
- 統合的ゲノム解析による消化器神経内分泌がんの本態解明** (大阪大学 谷内田 真一)
超難治がんである消化器の神経内分泌がん(NEC: Neuroendocrine carcinoma)の発症メカニズムを、全ゲノム解析などの網羅的な解析により徹底解明を行い、これまで同一疾患と考えられていた神経内分泌腫瘍(NET: Neuroendocrine tumor)とは、発症メカニズムが異なることから別疾患であることを実証した。膵臓由来NECと胃や大腸などの非膵臓消化器由来のNECとは病理組織像は類似しているが、ゲノム異常は類似している点と異なる点があることを明らかにした。また膵臓由来のNECは「Ductal-type」と「Acinar-type」に分類できることを発見した。NECの発症・進展のメカニズムが、全ゲノムレベルで明らかになった一方で、既存の分子標的薬等の薬剤ターゲットとなる遺伝子異常が少なく、現状では難敵な癌であることも分かったが、複雑で多様な病態を丁寧に解析したことで、新たなアプローチからの新規創薬が推進されることが期待される。

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ②がんゲノム医療に係る研究 構成員・参考人からの事前提出意見一覧①

	現状と課題	今後の研究の方向性
1	重要な分野として定着しつつあるように見える。	ゲノムデータの蓄積、共有と治療介入データなどとの統合が重要になると考える
2	全ゲノム解析を研究から実装に向けてのロードマップの作成が必要	全ゲノム解析実装を評価する大規模臨床研究（できれば今後5年以内で）
3	がんゲノム解析をもっと早期に導入して、治療の最適化に努める必要があります。特にステージの高いがんや難治がんでは全例のゲノム解析と臨床情報の経時的な集積が重要です。	
4	全ゲノム解析のがん医療への導入のための研究（AMED革新がん等）が進捗しているが、解析費用が大きいこと、質の高い臨床情報を付与した臨床検体が少ないこと、患者還元にあたって遺伝性疾患の情報開示など課題がある。	<p>（一部再掲）</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. ゲノム解析技術の開発 2. 臨床試験の患者検体を用いた T R 研究としての全ゲノム解析の促進 3. 循環腫瘍DNAのような血中の微量の分子を検出できる技術による新たながん検診の開発 4. 全ゲノム解析によるがんを含む種々の疾患の発見・発症リスク評価による新たな検診の開発（単一遺伝性疾患と多遺伝性疾患の両面で） 5. 発がんの遺伝因子と環境因子（生活習慣、喫煙や飲酒含む）を中長期的に研究して、新たながん1次・2次予防の在り方を検討する。
5	がんゲノム医療に係る研究について、「複数の遺伝子パネル検査が製造販売承認されるなど、がんゲノム医療の提供体制が段階的に整備」とあり、2019年5月に「がん遺伝子パネル検査」が保険収載された。しかし、1996年の生命保険会社9社の遺伝子研究会の見解において「遺伝子検査が通常(の医療行為として)行われるようになったら、(加入者の)危険測定の資料を得る目的から、遺伝子検査の結果を採用できる。」とする報告書をまとめている事実がある。	がんの本態解明において遺伝子研究は不可欠との認識の上で、民間保険サービスとの関係、患者となることで生じる可能性のある不利益に配慮した研究のあり方を検討すべきである。

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ②がんゲノム医療に係る研究 構成員・参考人からの事前提出意見一覧②

	現状と課題	今後の研究の方向性
6	ゲノムやその他オミックスのデータ取得の充実、高度化が進むが、画期的な治療の創薬研究につなげるには不十分である。	企業利用も可能な臨床サンプルのオミックスデータの充実化とデータベース化（治療前・治療後等経時的なサンプリングの充実、シングルセルレベルなど解析手法の高度化）が必要である。
7	遺伝子検査のエキスパートパネル（EP）を実施するにあたり、がんゲノム医療の均てん化という観点において、がんゲノム医療中核拠点病院以外の病院にかかる患者さんのゲノム医療へのアクセスの課題とともに、EPが開催される施設以外の治療推奨に関しては、治験情報等の有無によるばらつきに課題がある。	全国の医療機関からAI・デジタル・リモート診療等の新規技術を活用した情報へのアクセスの高度化を進める研究が必要である。
8	固形癌に幅広く効果がある、あるいは従来よりずっと高い治療成績を出せる免疫療法や細胞治療などを期待して様々なモダリティによるアプローチが進んでいるが、非臨床から臨床試験へのバリデーションとなる適切な動物モデルが存在しないなどの課題がある。	細胞治療、がんワクチン等の新規モダリティの高度化、既存免疫療法アプローチと強力な併用効果がある新規アプローチの研究の推進とともに、がんの種差に関する研究等のトランスレーショナル研究が重要である。アカデミアによる新たな知見をもとに、社会実装に向けた効率的な動物モデルやシミュレーションに関する研究が必要である。
9	第4期基本計画の「全ゲノム解析等の新たな技術を含む更なるがん研究の推進」の項目には、取り組むべき施策として「国は、「全ゲノム解析等実行計画2022」を着実に進め、ゲノム情報等により、患者等に不利益が生じないよう留意しつつ、新たな予防・早期発見法等の開発を含めた患者還元や、がんや難病に係る研究・創薬への利活用等を推進する。」と記載されている。また、中間報告でも「遺伝子パネル検査の実装により、遺伝性腫瘍に係る遺伝子異常が確認された患者等が増えることが予想されることから、遺伝カウンセリングを含め、精神心理的サポートに関する研究を進めるべきである。」と言及されている。	良質かつ適切なゲノム医療を国民が安心して受けられるようにするための社会的方策及び環境整備に関する研究を新たに加えてはどうか。ゲノム社会を迎えた今、差別の防止等、究極の個人情報であるゲノム情報の取り扱いについて、法整備を含めた社会的方策に関する研究が必要と考える。

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ②がんゲノム医療に係る研究 構成員・参考人からの事前提出意見一覧③

	現状と課題	今後の研究の方向性
10	遺伝子パネル結果で治療薬が見つかる患者の割合が20%くらい、という結果。未承認薬や適応外薬という患者にとってすがりたい患者にとって悲劇的。	現状、標準治療を終えた人しかパネルに入れないがこれを拡大するための研究。治験・先進医療の推進、新規薬剤の開発促進がすべて必要。全ゲノム検査への道筋をつけて、安価な調査法の研究も必要では。そうすることで無駄な治療もまた、順序を変えた方が効果的な治療など新しい視点が出てくるのではないか。個人情報保護の観点はあるけれどもその情報を共有することで治療薬のマッチングも可能なのではないか。AIの活用が求められる。

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ②がんゲノム医療に係る研究 第4期がん対策推進基本計画等における関連した記載①

第4期がん対策推進基本計画

4. これらを支える基盤の整備

(1) 全ゲノム解析等の新たな技術を含む更なるがん研究の推進

- A M E Dは、基礎的な研究から実用化に向けた研究までを一体的に推進するため、有望な基礎研究の成果の厳選及び医薬品・医療機器の開発と企業導出を速やかに行うための取組を引き続き推進する。
- 国は、「全ゲノム解析等実行計画2022」を着実に進め、ゲノム情報等により、患者等に不利益が生じないよう留意しつつ、新たな予防・早期発見法等の開発を含めた患者還元や、がんや難病に係る研究・創薬への利活用等を推進する。

経済財政運営と改革の基本方針 2023（令和5年6月閣議決定）

第4章 中長期の経済財政運営

2. 持続可能な社会保障制度の構築

（社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進）

- 計画※に基づき、がんの早期発見・早期治療のためのリスクに応じたがん検診の実施や適切な時機でのがん遺伝子パネル検査の実施、小児がん等に係る治療薬へのアクセス改善などのがん対策及び循環器病対策を推進する。
※「がん対策推進基本計画」（令和5年3月28日閣議決定）及び「循環器病対策推進基本計画」（令和5年3月28日閣議決定）。
- 創薬力強化に向けて、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品の開発強化、研究開発型のビジネスモデルへの転換促進等を行うため、保険収載時を始めとするイノベーションの適切な評価などの更なる薬価上の措置、全ゲノム解析等に係る計画の推進を通じた情報基盤の整備や患者への還元等の解析結果の利活用に係る体制整備、大学発を含むスタートアップへの伴走支援、臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化、国際共同治験に参加するための日本人データの要否の整理、小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消に向けた薬事上の措置と承認審査体制の強化等を推進する。

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ②がんゲノム医療に係る研究 第4期がん対策推進基本計画等における関連した記載②

新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画2023改訂版（令和5年6月閣議決定）

IV. GX・DX等への投資

6. 官民連携による科学技術・イノベーションの推進

(2) 健康・医療

②ゲノム創薬をはじめとする次世代創薬の推進

- ・ がん・難病の全ゲノム解析（DNAが持つ全ての遺伝情報の解析）について、引き続き、10万ゲノム規模に向けて解析し、その結果の患者への還元と情報基盤の整備を着実に進めるとともに、事業実施組織について、2025年度の発足に向け、本年度内を目途に法人形態を決定する。
- ・ この事業実施組織や、ゲノムのバイオバンクが中心となって、医学・薬学にとどまらず、バイオ、数理科学等の異分野まで含めた、関係する医療機関、研究機関、スタートアップ等の企業と連携し、全ゲノム解析やマルチオミックス解析（特定の症例に対し、DNA解析、RNA解析、タンパク質解析等の複数の手法で統合的・網羅的に解析する方法）の結果や臨床情報等を利活用し、創薬の成功率の向上を図る。

統合イノベーション戦略 2023（令和5年6月閣議決定）

2. 科学技術・イノベーション政策の3つの基軸

(1) 先端科学技術の戦略的な推進

① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

（重要分野の戦略的対応の強化）

健康・医療

- ・ 「全ゲノム解析等実行計画2022」（2022年9月策定）を着実に推進し、質の高い医療を届けるため、がんや難病患者から得られる全ゲノムデータ等を搭載した質の高い情報基盤を構築し、民間企業やアカデミア等へその利活用を促すことにより、新規治療法等の開発を目指す。解析結果等の速やかな日常診療への導入や新たな個別化医療の実現も推進し、こうした取組の運用を担う事業実施組織の設置に向けた検討を進める。

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ②がんゲノム医療に係る研究 第4期がん対策推進基本計画等における関連した記載③

「がん研究10か年戦略」の推進に関する報告書（中間評価）

- 遺伝子パネル検査の結果、治療薬の候補が見つかる患者の割合は、10-20%とされており、それらの薬剤の多くは、未承認薬あるいは適応外薬である。そのため、がんゲノム医療を推進するためには、①未承認薬や適応外薬の治験や先進医療を推進すること、②同定された遺伝子変異に対応する新規薬剤の開発を推進すること、の両方が必要がある。
- また、がんゲノム医療においては、全国のがんゲノム医療中核拠点病院等より、パネル検査を受けた患者の同意を得て、臨床情報やゲノム情報等をがんゲノム情報管理センター（C-CAT）に集約する体制整備が、基本計画に基づき進められている。集約された情報を利活用し、効率的に新たな診断法や薬剤の研究開発を進め、さらには、臓器横断的な研究も推進すべきである。
- しかしながら、遺伝子パネル検査では、標的とする限られた遺伝子変異の検出を目的とするため、染色体の不安定性等を検出することができず、がんの全体像を把握することは難しい。そこで、がんの本態解明を進め、新たな診断技術・治療法を開発するためには、**全ゲノムシーケンス検査**等の新たな手法が有効である可能性がある。我が国においても、臨床的意義、検査費用や社会環境等を勘案しながら、臨床試験や先進医療を見据え、特に、**現状では診断が難しく、かつ治療法が確立していない希少がん及び小児がん**や、**現行の治療では効果が乏しい難治性がん**等を中心に、全ゲノムシーケンス検査等の研究を推進すべきである。また、我が国で得られた全ゲノムシーケンス検査等のデータについて、個人情報等への十分な配慮がなされる体制のもと、**臨床情報と併せたデータベースを構築**するなど、データシェアリングが可能となるよう整備を進め、創薬につなげていくべきである。
- これらゲノムに係るデータは、膨大なデータ量となることも踏まえ、AIの活用も進めていくべきである。
- ゲノム検査は、がんの診断・治療分野において、特に、研究開発が進んできたが、**予防や支持療法、緩和治療分野**の研究開発の推進も重要であると指摘されている。
- また、遺伝子パネル検査の実装により、遺伝性腫瘍に係る遺伝子異常が確認された患者等が増えることが予想されることから、遺伝力カウンセリングを含め、**精神心理的サポート**に関する研究を進めるべきである。
- さらに、ゲノム医療を推進するためには、バイオインフォマティシャン（生命情報科学の専門家）等、ゲノム情報等の膨大なデータを扱う人材が不足している現状を踏まえ、AI等の技術開発を推進する一方で、適切な人材育成を進める必要がある。

具体的研究事項

- (1) がんの本態解明に関する研究
- (2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究
- (3) 患者に優しい新規医療技術開発に関する研究
- (4) 新たな標準治療を創るための研究
- (5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域
 - ① 小児がんに関する研究 ② 高齢者のがんに関する研究
 - ③ 難治性がんに関する研究 ④ 希少がん等に関する研究
- (6) がんの予防法や早期発見手法に関する研究
- (7) 充実したサバイバーシップを実現する社会の構築をめざした研究
- (8) がん対策の効果的な推進と評価に関する研究

横断的事項

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について

- ① シーズ探索 ② がんゲノム医療に係る研究 ③ 免疫療法に係る研究
- ④ リキッドバイオプシーに係る研究 **⑤ AI等新たな科学技術**
- ⑥ 基盤整備等（データベース、細胞株やサンプルの利用、患者報告アウトカム、患者参画に係る取り組み、がん研究を担う人材の育成）

その他

- (10) (1)～(9) にない論点について

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ⑤ AI等新たな科学技術 これまでの成果の例

A M E D 評価

- 近年、AIやウェアラブル機器等の科学技術が急速に発達し、様々な分野で実用化が進められているところ、臨床情報や病理画像情報等のAIを用いた超音波診断や内視鏡検査等の画像診断の支援に関する研究開発が増えており、一部、製造販売承認を得るなど成果も出てきている。

後半5年間での成果の例

- **がん病理組織情報の構造化によるがん精密医療の均てん化** (東京大学 石川 俊平)
近年画像認識の分野で優れた性能を発揮している深層学習技術を用いて、病理組織画像の特徴を捉える数値化技術の開発を行った。がんは、単一の細胞を起源に持ち、同じ性質を持つ細胞が増殖する疾患であるため、がんの病理組織画像は明確な「かたち」を持つ犬や猫などの一般的な画像とは異なり、模様(テクスチャ)のようなものと考えられる。そこで、絵画の画像から描かれている「対象物」と「画風」とを分離するのに用いられる「バイリニア畳み込みニューラルネットワーク」という特殊な深層ニューラルネットワークを用いて病理組織画像をディープテクスチャと呼ばれる1024次元の数値ベクトルに変換したところ、がんの組織学的特徴が極めてよく表現されることを見いだした。使用するニューラルネットワークの構造やパラメータによってその性能が異なるため、数値と病理医の評価を比較して検証を行った結果、病理組織像の評価に最適なネットワークと層の組み合わせを見出した。
- **生体多光子励起イメージング技術を利用した新規低侵襲・高解像度がん診断装置の開発** (大阪大学 石井 優)
生体イメージング技術の応用により、ヒトの組織を体から切り取ったり染色したりせずに、生きたままのヒト組織が3次元で可視化できる観察技術を開発した。また、観察技術と、人工知能(AI)による画像解析を併用することで、従来の診断法よりも「傷つけずに」「迅速」「定量的」な子宮頸がんの診断が実現可能になった。子宮頸がんを含む様々ながんを「切り取らずに」「その場で」診断できる医療機器の開発、発展途上国など病理医を含む医療専門職が少ない地域へ向けて、IoTを介したがん組織診断の提供による貢献に期待される。
- **深層学習アルゴリズムを活用した大腸内視鏡用診断支援プログラムの実用化研究** (東京慈恵会医科大学 炭山 和毅)
大腸内視鏡画像情報からAIを用いて大腸ポリープ候補の検出を支援するソフトウェアをプログラム医療機器として薬事承認を取得した。

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ⑤ AI等新たな科学技術 構成員・参考人からの事前提出意見一覧①

	現状と課題	今後の研究の方向性
1	<p>日本医師会は前期（2020～2021年度）の生命倫理懇談会において、医療AIの発展に伴う諸問題を具体的に挙げて問題提起しています。中でも個々のAI医療機器における診断の感度や特異性を明示した上で、臨床研究でその妥当性を検証すること、AI医療機器を使用しなかった場合や、AIの示唆に従わなかった場合の責任についても議論を行った上で指針策定などが必要であることが特に重要であると考えています。さらに、医療AIに係る人材育成などもまた喫緊の課題と受け止めています。</p>	<p>今後10年という長いスパンを考えたときに、ますますAI技術の進歩と医療分野における応用、特にAI診断などが医療現場に実装されていくことが予想される。</p>
2	<p>多階層かつ時系列的なデータを収集して行くことの重要性は高まっており、それらのデータ統合に向けて計算技術の重要性はかつてなく高まってきている。</p>	<p>従来の医療統計を大きく拡充して行く必要がある。そのためには、データを集め蓄積していく必要があるほか、データを集めるための規律などを調整して行く必要がある。また、計算科学と医学の両方を知る人材の育成が重要となる</p>
3	<p>がん患者のニーズが多様化する中、情報提供や相談支援にかかる拠点病院等の負担が増大している。ChatGPT等のAIが登場したが、医療情報の提供や相談支援に資する技術かどうかは明らかではない。</p>	<p>情報提供に供するがん情報データベースの構築や拠点病院等での相談支援等、情報提供・相談支援に資する患者支援AIの開発、AIの適切な使用に関する指針作成が必要ではないか。</p>
4	<p>もはや、AIなどの技術開発競争は厳しいので、開発された様々なAI技術をどのように臨床に取り入れるのかを考えた方がいいレベルです。</p>	
5	<p>画像や臨床情報の解析に生成系AIが用いられるなど、一段のAI活用の加速化が予想される。</p>	<p>生成系AIの活用はこれまでの創薬を一段と加速させるものであり、生成系AI等を用いた新しい治療アプローチを見出す研究を進めるとともに、データの安全性を担保するための倫理的な研究が必要である。</p>

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ⑤ AI等新たな科学技術
 構成員・参考人からの事前提出意見一覧②

	現状と課題	今後の研究の方向性
6	現在のAIは2012年ごろからのDL技術による第3次AIブームを起源とし、まだ10年程度の状況。しかしながら、AIの社会実装においては多くの検討課題があり、AIの社会実装は進んでいない。がん研究においてもAIへの期待は大きく、今後のAIの発展も含め、より早く、社会実装に取り組む仕組みづくりが求められる。	AIの開発のハードルはさがり、技術的な発展も進む。がん医療の分野で、AIのレベルにあわせた予見性の高い薬事承認や臨床利用のガイドラインを策定し、日本における研究開発を促進する制度設計を研究すべき。
7	AIを用いた診断法は、放射線画像や病理組織診断に有用であるが、その実用化が遅れている。また、全ゲノムや種々の臨床情報を含めたビッグデータの中からAIによる新たな医療ニーズの開拓は今後大いに発展が期待される。	<ol style="list-style-type: none"> 1. AI病理診断、AI放射線診断の加速 2. がんゲノム医療へのAI技術導入の加速 3. 臨床情報とマルチオミクス情報を統合解析するためのAI解析技術の開発
8	AI・データサイエンティストなど、これまで医療分野にいなかった人が必要になってきている。	AI等の技術開発の推進と医療従事者以外のがん領域への進出の促進が必要。病理画像診断の含めた基盤の整備が喫緊の課題。

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ⑤ AI等新たな科学技術 第4期がん対策推進基本計画等における関連した記載①

第4期がん対策推進基本計画

4. これらを支える基盤の整備

(1) 全ゲノム解析等の新たな技術を含む更なるがん研究の推進

- ・ 関係省庁が協力し、多様な分野を融合させた先端的な研究を推進することにより、治療法の多様化に向けた取組をより一層推進する。

(6) デジタル化の推進

- ・ 国は、がん医療の質の向上と分かりやすい情報提供等を一層推進するため、「がん予防」、「がん医療」、「がんとの共生」の各分野において、P H Rの推進、現況報告書のオンライン化、レセプトやがん登録情報等を活用したがん対策の評価、オンラインを活用した相談支援や効果的な情報提供等、I C TやA Iを含むデジタル技術の活用による医療のデータ化とその利活用の推進について検討する。
- ・ また、国は、患者やその家族等のアクセス向上や、医療・福祉・保健サービスの効率的・効果的な提供の観点から、S N S等を活用したがん検診の受診勧奨や、安心かつ安全なオンライン診療の提供、e コンセント（電磁的方法によるインフォームド・コンセント）の活用等の治験のオンライン化、地方公共団体や医療機関における会議のオンライン化、相談支援のオンライン化に向けた取組を推進する。

経済財政運営と改革の基本方針 2023（令和5年6月閣議決定）

第4章 中長期の経済財政運営

2. 持続可能な社会保障制度の構築

（社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進）

- ・ 創薬力強化に向けて、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品の開発強化、研究開発型のビジネスモデルへの転換促進等を行うため、保険収載時を始めとするイノベーションの適切な評価などの更なる薬価上の措置、全ゲノム解析等に係る計画の推進を通じた情報基盤の整備や患者への還元等の解析結果の利活用に係る体制整備、大学発を含むスタートアップへの伴走支援、臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化、国際共同治験に参加するための日本人データの要否の整理、小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消に向けた薬事上の措置と承認審査体制の強化等を推進する。

(9) 各柱にまたがる「横断的事項」について ⑤ AI等新たな科学技術 第4期がん対策推進基本計画等における関連した記載②

統合イノベーション戦略 2023 (令和5年6月閣議決定)

2. 科学技術・イノベーション政策の3つの基軸

(1) 先端科学技術の戦略的な推進

① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

(重要分野の戦略的対応の強化)

健康・医療

- 「全ゲノム解析等実行計画2022」(2022年9月策定)を着実に推進し、質の高い医療を届けるため、がんや難病患者から得られる全ゲノムデータ等を搭載した質の高い情報基盤を構築し、民間企業やアカデミア等へその利活用を促すことにより、新規治療法等の開発を目指す。解析結果等の速やかな日常診療への導入や新たな個別化医療の実現も推進し、こうした取組の運用を担う事業実施組織の設置に向けた検討を進める。

「がん研究10か年戦略」の推進に関する報告書(中間評価)

- 近年、AIやウェアラブル機器等の科学技術が急速に発達し、様々な分野で実用化が進められている。がん領域では、AIについては、リアルワールドデータやオミックス解析等における膨大なデータの解析への利用、放射線検査や病理検査、内視鏡検査等の画像診断の支援への利用等が想定される。AIを利用したデータ解析については、AIが解析しやすいようにデータを収集する必要があることから、国際的な動向も踏まえ、**臨床情報や病理画像情報等 AIの基盤の情報を標準化**し、適切にデータ収集を進める必要がある。ウェアラブル機器については、がん予防における行動変容への利用や、医療従事者による評価ではなく、患者の主観による評価である患者報告アウトカム(Patient Reported Outcome、以下「PRO」という。)における情報収集への利用等が想定される。つまり「**研究開発を効率的に進めるための技術**」と「**国民生活や臨床現場で利用する技術**」とが想定され、前者は基盤整備の観点から重要であり、後者はがん予防、がんとの共生の観点、医療従事者の負担軽減の観点から重要である。AIやウェアラブル機器等を組み合わせた手術や手技のナビゲーションシステムを開発することで、より安全で、より低侵襲な手術や手技が可能となることが期待される。
- 科学技術については、戦略の後半期間においても、大きく進歩することが予想される。これらの技術を柔軟に取り入れつつ、がん研究を推進すべきである。

具体的研究事項

- (1) がんの本態解明に関する研究
- (2) アンメットメディカルニーズに応える新規薬剤開発に関する研究
- (3) 患者に優しい新規医療技術開発に関する研究
- (4) 新たな標準治療を創るための研究
- (5) ライフステージやがんの特性に着目した重点研究領域
 - ① 小児がんに関する研究 ② 高齢者のがんに関する研究
 - ③ 難治性がんに関する研究 ④ 希少がん等に関する研究
- (6) がんの予防法や早期発見手法に関する研究
- (7) 充実したサバイバーシップを実現する社会の構築をめざした研究
- (8) がん対策の効果的な推進と評価に関する研究

横断的事項

- (9) 各柱にまたがる「横断的事項」について
 - ① シーズ探索 ② がんゲノム医療に係る研究 ③ 免疫療法に係る研究
 - ④ リキッドバイオプシーに係る研究 ⑤ AI等新たな科学技術
 - ⑥ 基盤整備等（データベース、細胞株やサンプルの利用、患者報告アウトカム、患者参画に係る取り組み、がん研究を担う人材の育成）

その他

- (10) (1)～(9) にない論点について**

(10) (1)～(9)にない論点について 構成員・参考人からの事前提出意見一覧①

	現状と課題	今後の研究の方向性
1	がん研究が個別医療に向けて遺伝子やバイオマーカーに着目した研究が進められているが、その医療への実装に伴い、個別化ゆえに現行の保険制度では対応が難しくなる。現行ではより多くの患者さんへの適応が検討され、適応範囲が拡大することで価格が下がる設計で、広く国民は保険料を負担して支え合っている。	個別化医療を推進する上で現行の保険制度について他疾患や他領域、さらには広く市民を交えた横断的な研究を検討すべきである。
2	がん対策推進基本計画が6年後毎であることから、策定期間を合わせてはどうか。(例えば、策定期間を12年とし、6年で中間評価を実施するなど)	
3	日本独自の信頼性基準という薬事制度が、グローバル開発における治験開始・承認申請といった薬事手続き上の障壁の一つとなっており、日本への対応だけのために非臨床研究として追加的対応が求められる。	薬事申請における日米欧共通の非臨床研究に対する基準の統一が必要である。
4	がんの死亡率、生存率、予防、検診、就労や経済的背景の治療への影響等、がん医療、予防、共生の分野に至るまで、社会的・経済的格差が大きく影響している。第4期がん対策推進基本計画の全体目標にも「誰一人取り残さない」というSDGsの視点が加えられている。	がん対策における健康格差の視点と、それに基づく適切な支援に関する研究を新たに加えてはどうか。日本の健康格差の実態と背景要因を明らかにし、格差を是正するための政策を立案する。第4期計画の全体目標は「誰一人取り残さない」である。その実現のためには、がん対策における地域や経済状況の違いや障害の有無等による格差を明らかにし、患者の社会的背景に基づく適切な支援についてより深堀して研究を進める必要があると考える。
5	多数の医薬品において供給に支障が発生している。	医薬品の安定供給についての対策の検討・推進が必要。課題を明らかにし、状況の可視化と、供給不安の予防、並びに供給不安時の対応について、喫緊かつ、中期的にも対策に取り組むべきではないか。

(10) (1)～(9) がない論点について
 構成員・参考人からの事前提出意見一覧②

	現状と課題	今後の研究の方向性
6		生存率だけに頼らない『副作用の少ない』治療の物差しとその開発
7		退院したあとの終末期医療の後追い研究。望む場所で望む環境で過ごせたのか？治療がなくなり、緩和ケア・在宅・すべてをひとりで整えなくてはならない人がこれから多く出てくる。そのためにも不幸になる人を減らすためにきちんと援助、サポートにつながっているのか？を拠点病院ではなく、地方での目線で現状を確かめる研究を。
8		ライフステージに応じた『標準治療』の研究
9		クラウドファンディングしないと実際に役にたつかも知れない治験研究ができない現状の打破。