



第1回 イノベーションエコシステム協議会

イノベーションエコシステム協議会の 検討事項について

国立研究開発法人日本医療研究開発機構
(AMED)
創薬エコシステム推進事業部

医薬品PJ

医療機器・ヘルスケアPJ

再生・細胞医療・遺伝子治療PJ

感染症PJ

データ利活用・ライフコースPJ

シーズ開発・基礎研究PJ

橋渡し・臨床加速化PJ

イノベーション・エコシステムPJ

令和7年5月28日

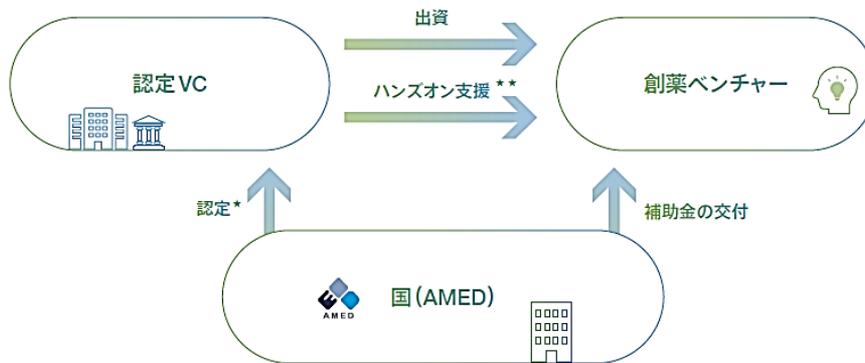
イノベーション・エコシステムプロジェクトの推進方針



プロジェクトの概要・事業内容

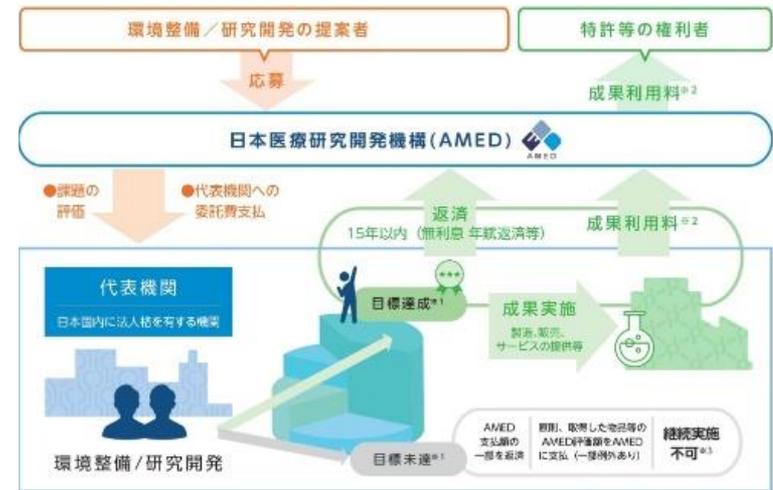
アカデミアと産業側との連携による革新的な医薬品・医療機器等創出の体制を整備すべく、創薬ベンチャーに対する非臨床試験段階から臨床試験段階までの研究開発支援及びベンチャーキャピタル（VC）のソーシング/ハンズオン活動の支援を介した我が国の創薬エコシステムの整備、ならびに、産学官の連携による研究開発の仕組みづくりを支援する。プロジェクトとして以下、3事業の運営・推進を行う。

①創薬ベンチャーエコシステム強化事業（V-eco）

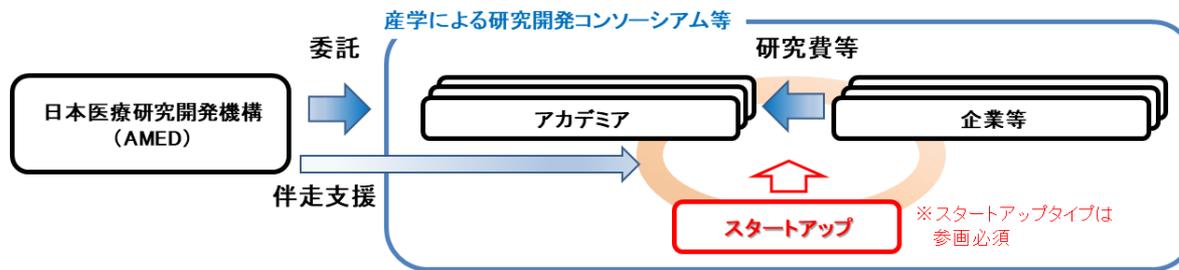


- * 認定 ----- 創薬分野への出資や支援の実績などを持つVCを認定
- ** ハンズオン支援 --- 創薬ベンチャーの成長段階に応じた、経営、開発・技術、薬事の観点での支援など

②医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）



③革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）（AIMGAIN）



イノベーション・エコシステム プロジェクト 3事業の特性



| 事業 | 事業の特徴 | 活用場面/用途 |
|---------|--|--|
| V-eco | <ul style="list-style-type: none">認定VCを公募認定VCの出資を前提に、創薬ベンチャーのシーズ開発を支援上場前のベンチャーが対象個別のパイプライン開発が支援対象 | <ul style="list-style-type: none">有望シーズを持つベンチャーとそのベンチャーを育成したいVC試験物の製造/製剤化費用、非臨床データパッケージ整備費用、Proof of Concept (PoC) までの臨床試験費用 (ベンチャーの体制整備費用) |
| AIMGAIN | <ul style="list-style-type: none">産学連携での研究開発型コンソーシアムを支援参加する企業に研究費等の貢献を求める共同研究成果を個社内の製品開発に活用 (共有共同研究成果⇒個社の社内開発) | <ul style="list-style-type: none">アカデミアが構築したデータベース (コホート研究データ等) に基づくデータ駆動型創薬先進的な基盤技術 (プラットフォーム技術) からの個別シーズ開発/価値創造 |
| CiCLE | <ul style="list-style-type: none">企業 (上場企業を含む) の研究開発支援予め開発目標を設定し、開発失敗時には減額されるが、成功時には相応の返済・成果利用料納付を求める (資金融資型) | <ul style="list-style-type: none">産学連携での、革新的シーズの挑戦的な研究開発の推進IPO (株式新規公開) したベンチャーの研究開発支援 |

イノベーション・エコシステムプロジェクトの推進方針

今後の推進方針

V-ecoを通じて、AMED内の連携（各PJとの定期的な連携会議やBIO JapanでのAMEDピッチの実施）や関係各省との連携を進めており、今後も継続してAMED内の各事業との連携による有望シーズの実用化に向けた体制整備を進める。これまで、橋渡し研究プログラムとV-ecoの間に支援の隙間があったため、ベンチャー支援でのアーリー枠を創設し、起業直後のスタートアップも支援対象に加えている。

<第3期の基本方針>

- 8 PJが担う「出口に向けた支援」のさらなる充実と継続：出口側に評価される「シーズ価値の向上」※に努める
※ペアリングやマッチングの推進にあたっては、V-ecoの前段階として、**各課題の開発フェーズに応じた「シーズの見える化」、「信頼性確保」、「知財・契約戦略」の状況進捗が求められる**
- アカデミア研究からの起業やベンチャー企業の開発支援、人材の循環等を含めた我が国の創薬エコシステム強化への貢献を継続する
- 海外との結びつき強化：グローバルエコシステムの活動に参画し、「グローバルの一部としての日本」を目指す



イノベーション・エコシステムプロジェクトの推進方針

今後の推進方針

<重要項目>

- 信頼性データ、知財・契約戦略を段階的に充実させるなかで各シーズが見える化し、事業間連携を推進
- シーズの見える化、信頼性データ、知財・契約戦略の進捗状況等について各事業の実用化フェーズに応じた評価を行い、フォローアップを推進
- 国内外の多様な企業、VC、ベンチャー企業（VB）等が参画するイノベーション・エコシステムを構築するため、積極的にJ.P. Morgan Healthcare ConferenceやBIO International、BIO-Europeなどの海外イベントへの参加や、国内外VCと製薬企業の対話の場を構築し、事業に参画する企業、VC、VB等に必要に応じて事業・課題を超えての連携する仕組みを検討
- 創薬エコシステムの出口を見据えたレイターステージ支援等の充実、新規募集終了事業（CiCLE他）後の**新たな事業の検討**



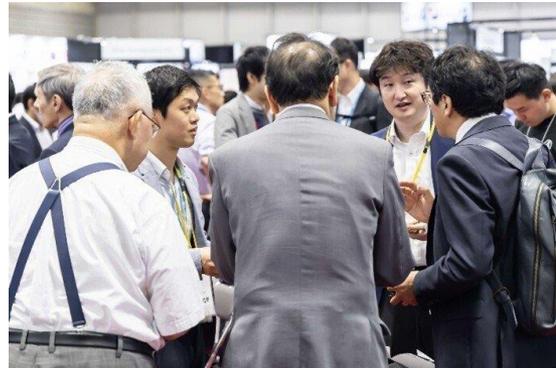
BIO-Europe（令和6年11月開催）
 /J.P. Morgan Healthcare Conference（令和7年1月開催）

イノベーション・エコシステムプロジェクトの推進方針

今後の推進方針

<具体的な施策・取組>

- AMEDは、実用化未経験の**研究者等が、企業やVC、VBが必要とするデータの蓄積や知財確保について理解を深めてもらうための取組・ガイドラインを示していく。加えて各PJの協力が必要**
- 各事業において、PS、PO、評価委員が連携して、各課題の実用化に向けた進捗に対する評価・助言を行い、AMED、課題関係者(VC、川下企業等も含む)が柔軟に連携・協力して必要な改善を促進する。BIO Japan等でのAMEDピッチを通して各PJ各課題の有望シーズと投資家をつなぎ、起業や事業化を促進する
- 国内だけに目を向けるのではなく、J.P. Morgan Healthcare ConferenceやBIO International、BIO-Europeなどへの参加・外資系製薬企業、VCなどの声にも耳を傾け、グローバルなエコシステムの中での**海外連携や産業界連携の強化に向けた取組みを推進し、AMED事業に多様な参画者を呼び込む**
- CiCLE(第3相まで)は公募終了済、AIMGAINは令和7年度で公募終了、V-eco(第2相まで)は2031年度に基金の期限終了のため、長期的・戦略的な事業間連携が難しい状況
このため、**AIMGAINの後継事業、CiCLEが扱ってきた第2相、第3相を対象とした新たなレイター支援事業の実現、V-ecoの基金の期限延長など、事業の安定的な継続とレイターステージの充実に向けた検討を期待する**



第2回AMEDシーズアクセラレーションピッチ
／ピッチ後の交流会の様子（令和6年10月9日開催）

<V-eco>

- ・他事業から採択につながった課題 P.8
- ・国内外のベンチャーキャピタルの認定 P.11
- ・国内外や産業界との連携 P.12
- ・アカデミアに求める横断的施策（データ信頼性、シーズ見える化、知財） P.13
- ・AMED内連携の実績（省庁間連携、創薬事業部・再生部・橋渡しとの連携） P.19
- ・AMEDシーズアクセラレーションピッチ写真、成果 P.21

<CiCLE>

- ・他事業から採択につながった課題 P.27

<AIMGAIN>

- ・採択課題概要 P.31

創薬ベンチャーエコシステム強化事業採択課題①

| 採択年度 | 補助事業課題名 | 実施機関 | 認定VC |
|---------|---|--------------------------------|----------------------------|
| 2022 R4 | 病原性CUGリピートRNAを標的とする塩基配列特異的RNA結合蛋白質による筋強直性ジストフィー1型に対する革新的治療薬の開発 | エディットフォース株式会社 | Newton Biocapital Partners |
| 2022 R4 | pDCのTLR9を標的としたアジュバントと新規抗原を用いたRSVワクチンの開発 | 株式会社 Immunohelix | Remiges Ventures, Inc. |
| 2023 R5 | 下行性疼痛抑制経路を活性化する経口鎮痛薬ENDOPINの開発 | 株式会社BTB創薬研究センター | 京都大学イノベーションキャピタル株式会社 |
| 2023 R5 | ヒトiPS細胞由来心筋細胞製剤OZTx-556の重症心不全患者を対象としたグローバル治験によるProof of Concept (PoC)検証 | オリヅルセラピューティクス株式会社 | 京都大学イノベーションキャピタル株式会社 |
| 2023 R5 | 視覚再生遺伝子治療薬のグローバル第2相臨床試験におけるPOC取得 | 株式会社レストアビジョン | Remiges Ventures, Inc. |
| 2023 R5 | KATPチャネル阻害作用を有する低分子アルツハイマー型認知症治療薬NTX-083の開発 | Neusignal Therapeutics株式会社 | 株式会社ファストトラックイニシアティブ |
| 2023 R5 | ミトコンドリア置換自己T細胞製剤によるがん治療薬の研究開発 | イメル創薬株式会社 | Remiges Ventures, Inc. |
| 2023 R5 | GPC3 発現固形がんを対象とした低免疫原性同種iPS細胞由来細胞傷害性T細胞療法の開発 | シンビ・セラピューティクス株式会社 (旧:サイアス株式会社) | Impresa Management LLC |
| 2023 R5 | iPS細胞由来角膜内皮代替細胞(CLS001)のグローバル開発とP1/P2臨床試験 | 株式会社セルージュン | 株式会社東京大学エッジキャピタルパートナーズ |
| 2023 R5 | 治療抵抗性転移再発HER2陰性乳癌に対する新規治療法の開発 | ペリオセラピア株式会社 | 大阪大学ベンチャーキャピタル株式会社 |
| 2023 R5 | 腫瘍内のM2様マクロファージに選択的なナノ粒子ドラッグデリバリーシステムに搭載したTLR刺激薬による新規がん免疫療法の開発 | ユナイテッド・イムニティ株式会社 | 株式会社東京大学エッジキャピタルパートナーズ |

*次世代治療:次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業、橋渡し:橋渡し研究プログラム、再生・細胞医療・遺伝子治療:再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト、革新がん:革新的がん医療実用化研究事業、再生医療実用化研究:再生医療等実用化研究事業

創薬ベンチャーエコシステム強化事業採択課題②

| 採択年度 | 補助事業課題名 | 実施機関 | 認定VC |
|------------|--|----------------------|--|
| 2024 R6 | ヒト脂肪細胞由来血小板様細胞 (ASCL-PLC) の難治皮膚潰瘍治療に対する他家 (同種) 再生医療等製品としての開発 | 株式会社AdipoSeeds | DCIパートナーズ株式会社 |
| 2024 R6 | 低活動膀胱を対象とした低分子医薬品SFG-02の開発 | Juro Sciences株式会社 | みやこキャピタル株式会社 |
| 2024 R6 | 新規経口脂質代謝制御剤PRD001の脂質代謝異常症に対するPOC取得 | PRD Therapeutics株式会社 | ジャフコ グループ株式会社 |
| 2024 R6 | 多発性硬化症に対する新規LAT1阻害剤の開発 | ジェイファーマ株式会社 | Eight Roads Capital Advisors Hong Kong Limited |
| 2024 R6 | GD2陽性の難治性固形癌に対するGITRLを組み込んだ自家由来の新規CAR-T細胞療法の研究開発 | ティーセルヌーヴォー株式会社 | DBJ キャピタル株式会社 |
| 2024 R6 | 先天性無歯症患者の欠如歯を再生する新規抗体医薬品の開発 | トレジェムバイオフーマ株式会社 | JICベンチャー・グロース・インベストメンツ株式会社 |
| 2024 R6 | 潰瘍性大腸炎治療薬MGT-006の開発 | メタジェンセラピューティクス株式会社 | JICベンチャー・グロース・インベストメンツ株式会社 |
| 2024 R6 | 全身性強皮症に伴う難治性皮膚潰瘍に対する血管内皮幹細胞を用いた新規細胞治療薬の開発 | リバスキュラーバイオ株式会社 | 大阪大学ベンチャーキャピタル株式会社 |
| 2024 R6 | 小児希少血液疾患に対する新規ex vivo増幅造血幹細胞治療製品の開発 | セレイドセラピューティクス株式会社 | 株式会社東京大学エッジキャピタルパートナーズ |
| 2024 R6 | 自己免疫性疾患等に対する抗原特異的な免疫細胞療法の開発 | レグセル株式会社 | 株式会社東京大学エッジキャピタルパートナーズ |

・希少疾病用医薬品実用化
・創薬支援推進

再生医療
実用化

・創薬ブラスター
・橋渡し
・難治性疾患実用化

CICLE

*希少疾患:創薬支援推進事業・希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業、創薬ブラスター:創薬総合支援事業(創薬ブラスター)、難治性:難治性疾患実用化研究事業

創薬ベンチャーエコシステム強化事業採択課題③

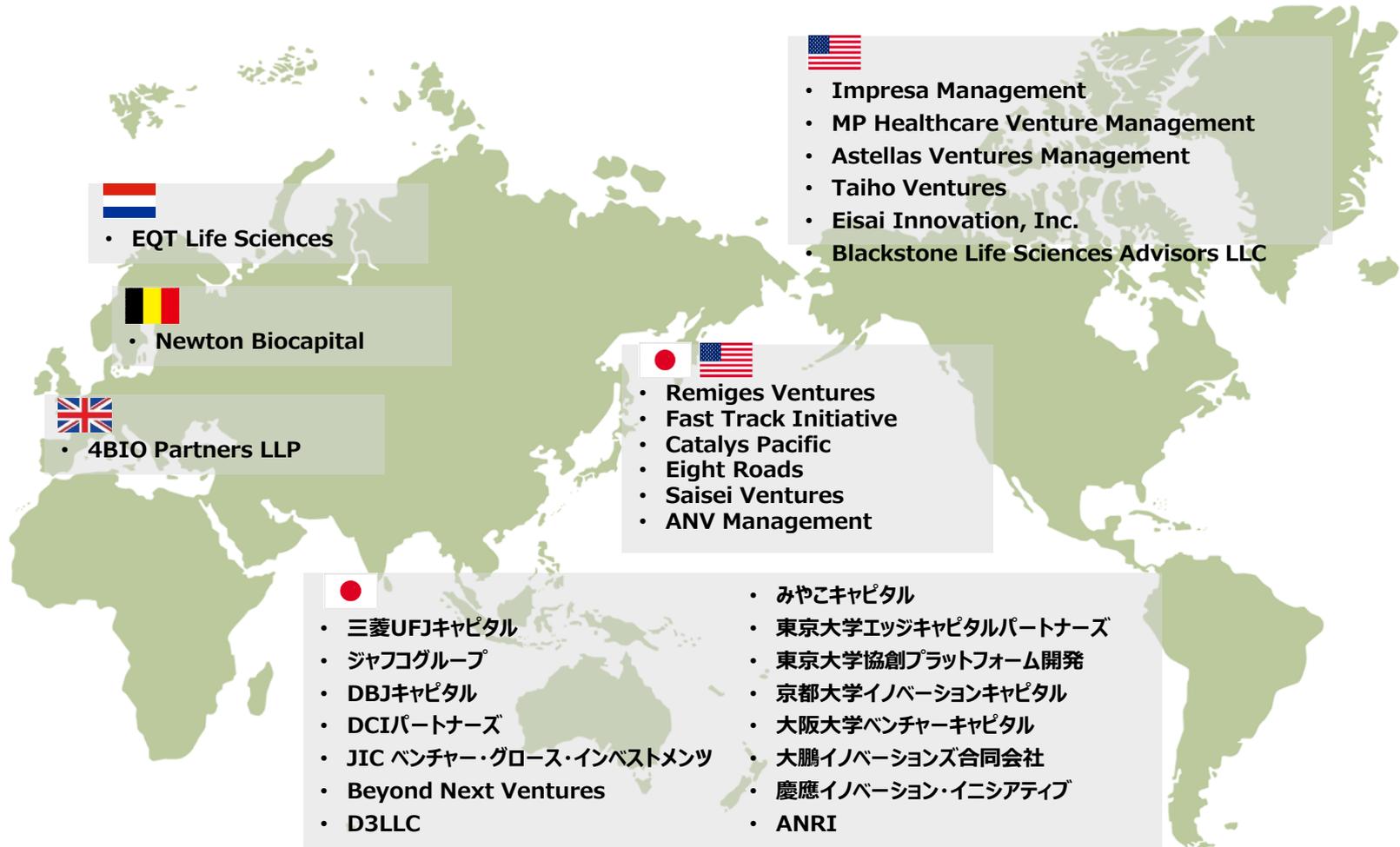
| 採択年度 | 補助事業課題名 | 実施機関 | 認定VC |
|------------|--|-----------------------------|--------------------------|
| 2024 R6 | 免疫療法抵抗性固形がんのための腫瘍組織特異的pH応答性IL-12 内包高分子ミセルの開発 | Red Arrow Therapeutics 株式会社 | Beyond Next Ventures株式会社 |
| 2024 R6 | 神経変性疾患の治療を目的とした新規遺伝子治療薬の開発 | reverSASP Therapeutics 株式会社 | 株式会社ファストラックイニシアティブ |
| 2024 R6 | 自己免疫疾患を対象としたCD19CAR導入低免疫原性同種iPS細胞由来ナチュラルキラー細胞療法の開発 | シノビ・セラピューティクス株式会社 | Impresa Management LLC |
| 2024 R6 | 低分子化合物GXV-001の脆弱X症候群を対象としたグローバル臨床第2a相POC試験 | 株式会社ジェクスヴァル | 三菱UFJキャピタル株式会社 |
| 2024 R6 | 重篤な遺伝子疾患に対する、mRNAを使用したGene Writingによる遺伝子治療パイプラインの開発 | タイプライターTX合同会社 | ANV Management, LLC |
| 2024 R6 | 固形がん到高発現するGPCRを標的とした抗体・薬物複合体(ADC)による新規がん治療薬の開発 | リベロセラ株式会社 | 東京大学協創プラットフォーム開発株式会社 |
| 2024 R6 | アミノ酸トランスポーターのロッキング阻害による革新的な新規抗がん剤の開発 | Atransen Pharma 株式会社 | ジャフコグループ |
| 2024 R6 | 再発性膠芽腫の腫瘍細胞及び腫瘍微小環境を標的とする抗FAPa CAR-T細胞の開発 | オプティアム・バイオテクノロジーズ株式会社 | Saisei Ventures LLC |
| 2024 R6 | 膀胱癌、膵癌、胃癌、大腸癌を含むルミナル癌治療を目的としたファーストインクラスPPAR γ 低分子薬の研究開発 | CORE Biomedicine Japan 合同会社 | 東京大学協創プラットフォーム開発株式会社 |

次世代がん

計30課題

*次世代がん: 次世代がん医療加速化研究事業(P-PROMOTE)

(参考) 認定VC (30社)



J.P. Morgan Healthcare Conference @San Francisco

医療投資シンポジウムとして業界最大規模。招待者限定の会議では、買収、革新的なパイプライン開発、急速に変化する医療情勢を乗り切る戦略的転換など、バイオ医薬品産業を形成する進化する戦略、パイプラインの進歩、市場動向に関する重要な知見が提供される。会場周辺では積極的なパートナーリングやネットワーキングが行われる。

BIO International Convention @San Diego、Boston

BIO-Europe @Munich、Stockholm

BIO International Conventionは、創薬、ヘルスケア、環境などバイオテクノロジー関連の約1,100の企業・団体会員を有する、世界最大のバイオ業界団体BIO (Biotechnology Innovation Organization) が主催するイベント。BIO参加の海外VCやアクセラレーターとのマッチング、JETROブースを活用した事業紹介を実施

ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット (BIO Japan) AMEDシーズアクセラレーションピッチ

AMEDの光るシーズの導出を支援。AMED認定VCやJHVS来場者に向けたピッチを行い、シーズを対外的にPR。コメンテータ (VC、製薬企業BD担当者等) やAMED認定VCから、実用化を加速するヒントを得る

LINK-J Conference 2025 - R&D × Investment (AMEDとして協賛)

創薬エコシステム構築・強化の一環として、ベンチャーキャピタルと製薬会社とのネットワークを構築を通じて、相互理解・協力関係を深める (製薬会社との連携のイベントの第1弾の位置づけ)

その他 産業界との連携

LINK-J 政策キーパーソンと語ろう！リアルネットワーキング編 vol.5「支援特集」

再生医療イノベーションフォーラム (FIRM) ベンチャー創設支援フォーラム ※再生部と合同で事業紹介

政府系支援機関スタートアップ支援施策説明及び個別相談会 ※創薬部、橋渡部と合同で事業紹介

Research Studio GET PROGRAM 2025 ※橋渡部 大学発医療系スタートアップ支援プログラムとの連携 など

創薬実用に向けたAMED事業の連携

AMED事業
※医療機器を除く



AMED運営方針(抜粋)

- 一貫した医療研究開発
- 成果の普及と円滑な実用化
- 実用化に向けて産学連携の支援

実用化を目指すAMED事業のルール作り

- 実用化を目指す事業については、AMEDから速やかにVC、製薬企業とマッチングできるよう、VC投資、製薬企業との共同研究に最低限必要なデータ等の取得、記録の整備等についてルール作りを行う

⇒ 実用化に向けた信頼性データ:投資を受けるため目指す観点

創薬ベンチャーエコシステム事業・強化チーム

- 迅速なハンズオンを行うため、橋渡し部及び拠点大学等に配置した人材と共に、実用化部内に産業界からの出向者やAMED職員(製薬企業等経験者)からなる専門家チームを創設。アカデミアと創薬ベンチャーエコシステム事業の連携を図る

起業と知財の戦略支援・啓発

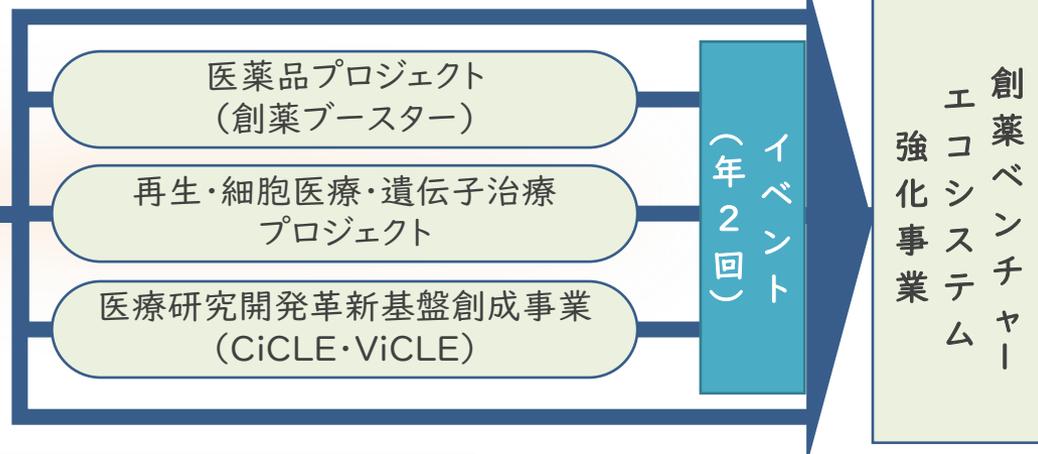
- アカデミアからのスタートアップ支援のための『スターキット』を作成中

シーズ開発・研究基盤プロジェクト
橋渡し研究支援プログラム
大学発医療系スタートアップ支援プログラム

アカデミアシーズの見える化

- 検討中
- 橋渡し拠点との連携

起業



専門人材設置とルール作り

- 拠点大学に専門人材を配置し、VC投資へのつなぎを強化(VC投資に最低限必要な再現性の確認や必要なデータチェック等を行う)
- AMEDにおいて、データ記録、第三者下での再実験等のルール作り(共通ルールの作成)を行う

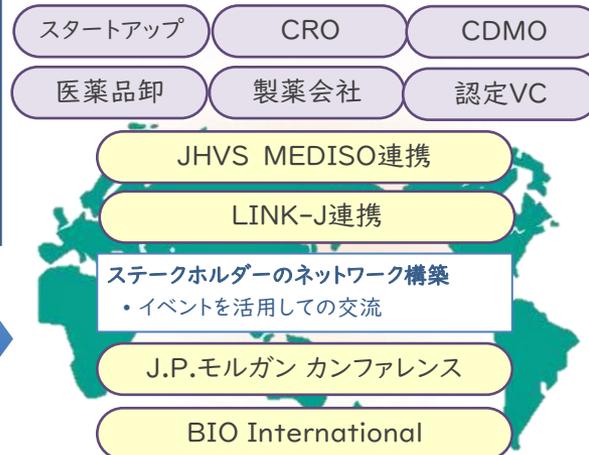
文科省
橋渡し研究プログラム

アールリーステージからの切れ目ない支援

- 臨床に進むための段階の資金需要を満たすべく、認定VCによる一定以上の出資を条件に、最終開発候補品を特定するまでの非臨床試験を補助対象に加える

経産省
創薬ベンチャーエコシステム強化事業

イベントの創設・恒常化



アカデミア期

起業後(創業期)
資本金1~3億円

資本金
10億円

実用に向けた※1信頼性データ※2の確保

※1 基礎研究は対象として含めない

※2 再現性の確認等、結果の信頼性を担保するデータ（信頼性基準適用試験のみを指すものではない）

【課題】

アカデミア

- 研究シーズに投資してもらえない
- 信頼性データ確保のためのリソース不足
- 「再現性」の定義のギャップ
論文化に必要な「再現データ」と企業の求める厳密な「再現性確認」との差
- 知財・特許等の観点から研究テーマを簡単にオープンにたくない

VC・製薬企業

- 投資判断に必要なデータが足りていない
- 信頼性データ取得への投資はリスクがある
- 信頼性データ取得前から伴走支援するだけのリソースが足りていない

AMED

- 「基礎研究」、「基礎研究から実用化に向かう段階」の支援事業の出口イメージの明確化
- AMED事業間のシームレスな支援継続
- AMED事業の真の「実用化」の実現

AMED内今後のアクション

- アカデミアシーズが実用化へ向かうための要件の周知を各大学に展開していく（アカデミアシーズマップの構築へ繋げる）
- 実用化に向けた連携の強化（既に創薬ブースター、橋渡し研究拠点、再生と創薬V-ecoの情報共有を行っているが、目線を統一化したことで更なる加速を図る）
- 実用化に向かう前のAMED事業/課題において、先々に目指す指標として周知していく

実用化（投資判断）に必要な
信頼性データの明確化

米国等を中心に、創薬分野で開発・経営の知見が深い VC が主導して、アカデミアに存在するシーズを見出して練り上げ、プロの経営陣と組み合わせる「Venture Creation」なる手法が注目されているように、事業化アプローチの進化にも留意が大切である。

「ヘルスケアスタートアップの振興・支援に関するホワイトペーパー」より

アカデミア研究とVC・製薬企業とのギャップを埋める人材・機能（薬事人材、CRO、橋渡し人材等）の確保に向けた施策の検討

「工程表」より

- ベンチャークリエイトにつながる最適な研究計画・経営計画を立案可能
- 無駄の少ない投資計画を立案可能
- 信頼性データを確保するための外注計画立案を容易に
- 伴走支援をする範囲・役割の明確化

実用化に向け投資を受けるため目指す観点

- **製品コンセプト確立**
細胞レベルや動物レベルでの有効性が明らかであり、実際の治療イメージが想起できる
- **開発候補品の同定**
GLP試験や薬効薬理・薬物動態試験に進むべき化合物や製品が確定している
- **製造手段の確立**
開発品を大量製造（治験薬・市販後製造共に）するための手段や方法が確立できている

実用に向けた信頼性データに関する調査結果

【課題】実用化（投資判断）に必要なとされる信頼性データは、モダリティごと、研究ステージごとに異なることが言われており、投資検討者（VC、製薬会社等）がそれぞれ何を求めているかを明確にすることで、研究者と投資検討者の間の齟齬を解消し、効率よく開発を進め、スタートアップ企業をより多く創生する一助としたい。

【モダリティ分類】

低分子医薬品、遺伝子治療薬、ワクチン(mRNA製剤)、ワクチン(ベクター、VLP、不活化、アジュバンド含む)、バイオ医薬品(ペプチド、リコンビナントタンパク等)、バイオ医薬品(抗体製剤、抗体薬物複合体)、バイオ医薬品(バイオシミラー等)、ex vivo遺伝子治療製品、再生医療等製品(iPS細胞関連)、再生医療等製品(iPS細胞以外)

調査結果（モダリティ共通）

シーズ探索

【市場】・競合がない ・市場が大きい ・新しいメカニズムである

【研究】・薬の効き目を証明するデータが揃っている（細胞レベル）

・薬効の高い開発品を探索するための細胞実験システムが確立できている

・薬の効き目を証明するデータが揃っている（動物レベル）

・薬効の高い開発品を探索するための動物実験システムが確立できている

【特許】・開発品が決定している ・開発品の品質が安定している

・薬の効き目が定量評価できる

・薬が効く仕組みが明らかである

・製品の特長が明らかである

シーズ探索～非臨床・前臨床

【非臨床】・安全性試験（プレ検討、げっ歯類(マウス・ラット)、非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル))が完了している

・薬物動態試験（プレ検討、げっ歯類(マウス・ラット)、非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル))が完了している

・薬効薬理試験（プレ検討、げっ歯類(マウス・ラット)、非げっ歯類(ウサギ・イヌ・サル))が完了している

【治験・製造】・治験薬製造を代替できる業者を決めている

・治験のプロトコル等が完成/準備中

・PMDAへの合意/事前相談が完了

・製品製造を代替できる業者を決めている

非臨床・前臨床～臨床試験

【治験・製造】・患者リクルート完了/リクルート中

・薬の効き目の定量評価ができる

・ヒトへの投与済み

・ヒトでの安全性や動態が明らかである

調査結果 (モダリティ別)

特許取得タイミング

| | |
|-----------------------------------|---|
| 【物質特許】(～シーズ探索) (シーズ探索～非臨床・前臨床) | 再生医療等製品以外の全モダリティ 再生医療等製品 |
| 【用途特許】(～シーズ探索) (シーズ探索～非臨床・前臨床) | 下記以外の全モダリティ ワクチン(ベクター, VLP, 不活化, アジュバンド含む), バイオ医薬品(バイオシミラー等) |
| 【製法特許】(～シーズ探索) (シーズ探索～非臨床・前臨床) | ex vivo遺伝子治療製品 低分子医薬品, 再生医療等製品 |

実用化に向け投資を受けるため目指す観点

解説動画 <https://www.youtube.com/watch?v=YsqqHukhOpk>

- **製品コンセプト確立** 細胞レベルや動物レベルでの有効性が明らかであり、実際の治療イメージが想起できる
- **開発候補品の同定** GLP試験や薬効薬理・薬物動態試験に進むべき化合物や製品が確定している
- **製造手段の確立** 開発品を大量製造(治験薬・市販後製造共に)するための手段や方法が確立できている

- 起業への投資を期待する際の目指す指標に
- 起業までのコストと時間の最適化の参考に
- 投資検討者と対話をする際の見線合わせに

アカデミア

- 研究者に求める観点を明確化することで対話をスムーズに
- シーズ磨き上げに必要な投資の見える化

VC・製薬企業

- 実用化を目指すAMED事業の成果の参考に
- AMED事業間のシームレスな連携の見線合わせに
- シーズの見える化
- 大手VC投資呼び込み

AMED

実用に向けた信頼性データに関する調査結果



The screenshot shows the AMED website page for '信頼性データ' (Reliability Data). The URL is <https://www.amed.go.jp/program/list/19/02/005.070228.html>. The page header includes the AMED logo and the text '国立研究開発法人 日本医療研究開発機構 Japan Agency for Medical Research and Development'. A navigation menu at the top right includes '調達情報', '採用情報', '公開情報', 'アクセス', '問合せ先', and 'メルマガ'. A dark blue navigation bar contains 'AMEDについて', '事業紹介', '事業成果', '公募情報', '事務手続', and 'ニュース'. The breadcrumb trail is 'トップ > 事業紹介 > 実用化推進部 > 研究成果展開推進課 > 実用化に向けた信頼性データ：投資を受けるため目指す観点'. The main content area has two tabs: '研究成果展開推進課' and '実用化に向けた信頼性データ：投資を受けるため目指す観点'.

資料：

1. [実用化に向けた信頼性データ_まとめ資料](#) PDF
2. [実用化に向けた信頼性データ_調査結果\(フルバージョン\)](#) PDF

説明動画：

[実用化に向けた信頼性データ：投資を受けるため目指す観点](#) 



↑ **こちらで検索**

<https://www.amed.go.jp/program/list/19/02/005.070228.html>

信頼性データ

知財・契約戦略

シーズの見える化

■ シーズの見える化

- 研究者側，投資側の両者から，権利を守りつつ，必要な情報を開示・アクセスできる環境作り
- ペアリング・マッチングの活性化
- スタートアップ創生の加速化

■ 知財・契約戦略

- スタートアップ設立時点の知財の権利関係の整理
- 権利譲渡・ライセンス等のSUへの技術移転契約モデルの策定
- 上市までの期間を配慮した特許取得モデル（知財戦略モデル）の策定

橋渡し・臨床加速化プロジェクト（PJ7）との連携



革新的医療技術創出拠点紹介

● 橋渡し研究支援機関 ★ 臨床研究中核病院

順天堂大学
医学部附属順天堂医院 ★

臨床力の強みを活かし、ワンチームとなって、新たな医療イノベーションの創出に貢献します！

東京大学
(医学部附属病院、医科学研究所病院) / 東京大学医学部附属病院 ★

疾患領域やモダリティを限定せずに応じたシーズを幅広く収集して充実した支援を提供します

九州大学
九州大学病院 ★

地域と拠点を結び世界へ展開する医療技術開発のために、創造力を生かした研究支援を実施しています

名古屋大学
名古屋大学医学部附属病院 ★

ものづくり東海の特徴を活かし医療機器や遠伝子・細胞・再生医療製品の開発に強みを持つ

慶應義塾
慶應義塾大学病院 ★

首都圏における臨床研究機関のネットワークを活用して、革新的な医薬品・医療機器、再生医療等製品開発をサポートします！

東北大学
東北大学病院 ★

東北発の革新的医療技術を世界へ

北海道大学
北海道大学病院 ★

先進的かつ高度な医療の開発と提供を実現し、我が国のみならず世界の医療・ヘルスサイエンスの進歩に貢献します

筑波大学
T-CReDO
筑波大学病院 ★

研究者育成とシーズ開発を通して革新的医薬品等の開発を促進します

国立がん研究センター
国立がん研究センター東病院 ★
国立がん研究センター中央病院 ★

2つの臨床研究中核病院と橋渡し研究支援機関が連携する強みを活かし、基礎から臨床まで、出口志向・シームレスな支援によって、国内外のシーズをいち早く患者さんのものに届けます。

千葉大学
医学部附属病院 ★

◆科学的英知を結集し、倫理・品質・患者側の視点をもってお互いの成長を支えながら、臨床研究を通してよりよい医療を創り、社会に届けることを目指します
◆ARO組織による医師主導治験の包括的支援をします

長崎大学病院
長崎大学病院 ★

プラネタリーヘルスの実現に貢献する大学として、高度先端医療の開発と推進を固り、新たな治療薬、治療法の開発等の使命を果たしてまいります。

京都大学
京都大学医学部附属病院 ★

患者さんの笑顔のために、世界をリードする革新的な医療の種を育てます

岡山大学
岡山大学病院 ★
すべての人にWell-beingを！

快適な人生100年時代を歩むための価値転換と健康寿命延伸を支える新産業創出

神戸大学
医学部附属病院 ★

世界に開かれた国際港湾都市・医療産業都市神戸の強みを最大限に活かし、世界に発信する高品質の医療エビデンス創出と臨床研究開発を支えます。

大阪大学
大阪大学医学部附属病院 ★

～未来医療の技術と人を創り育む～

革新的医療技術創出拠点

R6.4.1 現在

| 橋渡し研究支援機関 | 医療法上の臨床研究中核病院 |
|-----------|-----------------|
| 北海道大学 | 北海道大学病院 |
| 東北大学 | 東北大学病院 |
| 東京大学 | 東京大学医学部附属病院 |
| 慶應義塾 | 慶應義塾大学病院 |
| 筑波大学 | |
| 名古屋大学 | 名古屋大学医学部附属病院 |
| 京都大学 | 京都大学医学部附属病院 |
| 大阪大学 | 大阪大学医学部附属病院 |
| 岡山大学 | 岡山大学病院 |
| 九州大学 | 九州大学病院 |
| | 千葉大学医学部附属病院 |
| | 国立がん研究センター中央病院 |
| | 国立がん研究センター東病院 |
| | 順天堂大学医学部附属順天堂医院 |
| | 神戸大学医学部附属病院 |
| | 長崎大学病院 |

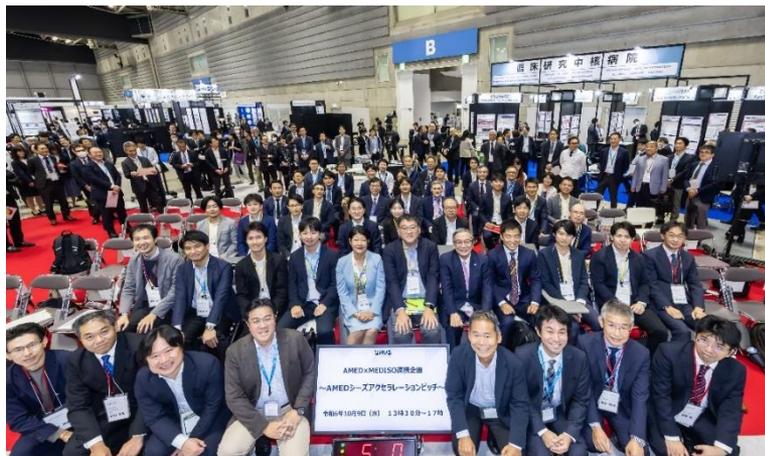
橋渡し・臨床加速化プロジェクト（PJ7）との連携



| 日時 | 拠点名／会議名 | 稲垣PD (拠点PS) | 備考 |
|-------------------|------------------------|----------------|--------------------------------|
| 2024（令和6）年 | | | |
| 9月9日 | 東京大学 | ○ | 拠点調査会議同行 |
| 9月27日 | 京都大学 | ○ | 拠点調査会議同行 |
| 10月2日 | 北海道大学 | ○ | 拠点調査会議同行 |
| 10月29日 | 筑波大学 | ○ | 拠点調査会議同行 |
| 11月22日 | 岡山大学 | ○ | 拠点調査会議同行。前日(11/21)には広島大学病院とも連携 |
| 12月10日 | 第3回拠点連携推進会議 | ○ | 研展課（当時）より信頼性委託調査結果報告実施 |
| 2025（令和7）年 | | | |
| 3月4日 | 革新的医療技術創出拠点 第3回全体会議 | ○ | |
| 6月10日 | 九州大学 | | |

本年も九州大学（6月10日）からスタートアップ⁴拠点を中心に、革新拠点との定期的な面談（年2回）を実施予定

【参考】第2回 AMEDシーズアクセラレーションピッチの様子



ピッチ参加者全員



AMED認定VCによるピッチ評価



前理事長挨拶



ピッチ終了後の交流会

2023年 登壇ベンチャー登壇者



| 番号 | 連携部署 | 事業名 | タイトル | 機関名・登壇者名 |
|----|--------------|---------------------------------------|---|--|
| 1 | 創薬部 | | 日本発技術である Staple 核酸を利用した遺伝子発現制御法について | 熊本大学 / 株式会社 StapleBio |
| 2 | 再生部 | | 新規標的分子を用いたフェロトーシス誘導性抗がん剤の開発 | 藤田医科大学 / 株式会社 FerroptoCure |
| 3 | 創薬部↓ 再生部 | | RNA制御ストレスを標的とした抗がん薬の開発 | Chordia Therapeutics株式会社 |
| 4 | 創薬部 | 希少疾病用医薬品 指定前実用化支援事業 | 新規作用機序を有する難治性MRSA感染症治療薬 ライ ソシン Eの開発 | 山形大学 医学部 教授 (株式会社ゲノム創薬研究所) 浜本 洋 |
| 5 | 創薬部 | 革新的がん 医療実用化研究事業 | 癌と間質を標的とした抗体薬物複合体による膵臓癌の革新的 治療法の開発 | ONSSI株式会社 CEO 鈴木 悠地 |
| 6 | MEDISO | | 治療法のない再発・難治性白血病患者を環状オリゴ糖で救 う | 株式会社サイディン 代表取締役社長 弘津 辰徳 |
| 7 | 創薬部↓ シーズ部 | 橋渡し研究支援プログラム (慶應義塾大学病院 臨床研究推進センター) | フェロトーシス誘導性抗がん剤 | 藤田医科大学 腫瘍医学研究センター 特任助教 株式会社FerroptoCure 代表取締役社長 |
| 8 | 再生部 | 再生・細胞医療・遺伝子治療 産業化促進事業 | 難病を治療する再生医療の新たなモダリティ遺伝子導入ヒト 脂肪細胞 | セルジェンテック株式会社 代表取締役 麻生 雅是 |
| 9 | 再生部 | 再生・細胞医療・遺伝子治療 産業化促進事業 | ヒトiPS 細胞由来腎前駆細胞を用いた慢性腎臓病 (CKD) に対する細胞療法の開発 | リジェネフロ株式会社 代表取締役CEO 森中 紹文 |
| 10 | 再生部 | 再生医療・遺伝子治療の 産業化に向けた基盤技術開発事業 | iPS細胞技術を活用した呼吸器疾患創薬 | HiLung株式会社 代表取締役CEO 山本 佑樹 |
| 11 | CiCLE | 医療研究開発革新基盤創成事業 | 異種臓器移植 遺伝子改変ブタの腎臓を腎不全患者へ | 株式会社ポル・メド・テック 創業者・代表取締役社長 三輪 玄二郎 |

2024年 登壇ベンチャー登壇者



| 番号 | 連携部署 | 事業名 | タイトル | 機関名・登壇者名 |
|----|--------------|---------------------------------------|---|--|
| 1 | 創薬部 | 革新的がん 医療実用化研究事業 | 大腸がんの未攻略点を標的とした革新的新薬～タンキラー ゼ阻害剤RK-582 | 公益財団法人がん研究会 がん化学療法センター分子生物治療研究部部長 清宮 啓之 |
| 2 | 再生部 | 再生・細胞医療・遺伝子治療 実現加速化プログラム | 革新的がん治療のための次世代腫瘍溶解性ウイルス | 鳥取大学 医学部医学科 ゲノム再生医学講座 ゲノム医療学分野 教授 中村 貴史 |
| 3 | 創薬部↓ 再生部 | 再生・細胞医療・遺伝子治療 実現加速化プログラム | エリスロポエチン(EPO)誘導性選択的制御遺伝子(SRG) 搭載 CAR-T 療法の開発 | 自治医科大学 准教授 大嶺 謙 |
| 4 | 創薬部 | 希少疾病用医薬品 指定前実用化支援事業 | 新規作用機序を有する難治性MRSA感染症治療薬 ライ ソシン Eの開発 | 山形大学 医学部 教授 (株式会社ゲノム創薬研究所) 浜本 洋 |
| 5 | 創薬部 | 革新的がん 医療実用化研究事業 | 癌と間質を標的とした抗体薬物複合体による膵臓癌の革新 的治療法の開発 | ONSSI株式会社 CEO 鈴木 悠地 |
| 6 | MEDISO | | 治療法のない再発・難治性白血病患者を環状オリゴ糖で救 う | 株式会社サイデン 代表取締役社長 弘津 辰徳 |
| 7 | 創薬部↓ シーズ部 | 橋渡し研究支援プログラム (慶應義塾大学病院 臨床研究推進センター) | フェロトーシス誘導性抗がん剤 | 藤田医科大学 腫瘍医学研究センター 特任助教 株式会社FerroptoCure 代表取締役社長 |
| 8 | 再生部 | 再生・細胞医療・遺伝子治療 産業化促進事業 | 難病を治療する再生医療の新たなモデル遺伝子導入ヒト 脂肪細胞 | セルジェンテック株式会社 代表取締役 麻生 雅是 |
| 9 | 再生部 | 再生・細胞医療・遺伝子治療 産業化促進事業 | ヒトiPS 細胞由来腎前駆細胞を用いた慢性腎臓病 (CKD) に対する細胞療法の開発 | リジェネフロ株式会社 代表取締役CEO 森中 紹文 |
| 10 | 再生部 | 再生医療・遺伝子治療の 産業化に向けた基盤技術開発事業 | iPS細胞技術を活用した呼吸器疾患創薬 | HiLung株式会社 代表取締役CEO 山本 佑樹 |
| 11 | CICLE | 医療研究開発革新基盤創成事業 | 異種臓器移植 遺伝子改変ブタの腎臓を腎不全患者へ | 株式会社ボル・メド・テック 創業者・代表取締役社長 三輪 玄二郎 |

JHVS AMEDシーズアクセラレーションピッチ 登壇者



<2023年>

グループA



熊本大学 / 株式会社StapleBio

日本発技術であるStaple核酸を利用した遺伝子発現制御法について
我々はStaple核酸と名付けた短鎖核酸を利用して、標的mRNAにRNA G-quadruplex形成を誘導する技術開発に取り組んでいます。今回は本技術を使った遺伝子発現量の増減技術について紹介します。



藤田医科大学 / 株式会社FerroptoCure

新規標的の分子を用いたフェロトシス誘導性抗がん剤の開発
フェロトシスとは、酸化ストレスによる細胞死であり、近年新規がん治療標的として注目されており、私達は、独自の新規標的を用いた上記メカニズムの抗がん剤開発に成功し、現在治験を予定しております。



Chordia Therapeutics株式会社

RNA制御ストレスを標的とした抗がん薬の開発
新たに発見されたがんの特徴の一つであるRNA制御ストレスを標的とすることで抗がん薬を開発しました。リードアセットCTX-712は、国内第1相試験でAMLでの完全寛解および卵巣がんでの部分奏効を複数例確認済みです。

グループB



セライドセラピューティクス株式会社

「細胞で未来を変える」ヒト造血幹細胞の体外増幅技術を用いた細胞治療製品の開発
東京大学医科学研究所の山崎聡教授と中内啓光名誉教授は、ヒト造血幹細胞を体外で増やす技術を初めて確立しました。当社では難治性血液疾患を対象として新しい造血幹細胞移植製品の開発を目指しています。



株式会社リエイール

採血のみで実施できる低侵襲・高効果な血管・組織再生治療の開発
採血という低侵襲で得た少量の自己血液から、血管と組織への高い再生能を有する細胞を返らせ、増幅する培養技術を世界で初めて開発しました。(Repri 細胞(開発コードRE01))



PuREC株式会社

細胞移植治療の未来を切り開く高純度間葉系幹細胞REC(Rapidly Expanding Cells)
PuRECの中核技術はsingle cell sorting & seedingを用いた高純度間葉系幹細胞の単離技術です。遺伝子治療や核酸医薬等、他の治療モダリティには無い、間葉系幹細胞だけが持つ生着と分化という特徴を生かした移植治療の実現を目指しています。

グループC



株式会社凜研究所

TMEM180を高発現する大腸がんの有効な新規ヒト化抗TMEM180抗体の開発
大腸がん等に発現するTMEM180に対する新規抗体は本年1月P1試験に入り、安全性に問題なく、遅滞なく進捗しています。がん阻害標的の抗不溶性fibrin-ADCは既存DDSの欠点を補う新規の固形がん攻略手段！



株式会社メトセラ

心臓内幹細胞を用いた小児先天性心疾患患者に対する治療法の開発
JRM-001は、機能的単心室症患者の新たな治療選択肢となる可能性を持つ自家細胞製品です。早期実用化により小児心臓移植の代替治療とすることを旨とし、P1及びP2の臨床研究成果を基に検証的試験を進めています。



C4U株式会社

新規ゲノム編集技術CRISPR-Cas3
当社のシーズであるCRISPR-Cas3は安全性が高いゲノム編集技術であり、独自特許によるFTOで確保されています。本技術により、Cas9とは異なる新しい治療方法を提供いたします。

<2024年>

第1部



公益財団法人がん研究会 清宮 啓之

大腸がんの未攻略点を標的とした革新的新薬～タンキラーゼ阻害剤RK-582
世界で年間死亡数90万人以上の大腸がん。その主因となるWnt経路の攻略は困難とされてきた。RK-582はWnt経路を阻害、大腸がんの増殖を抑制する。薬効予測候補因子も発見、間もなく第1相治験を開始する。



鳥取大学 中村 貴史

革新的がん治療のための次世代腫瘍溶解性ウイルス
がんウイルス療法は、腫瘍溶解性ウイルスによる直接的ながん細胞の破壊と、それに伴う抗腫瘍免疫の賦活化によって抗がん効果を発揮する。限られたがん種かつ患者のみ有効である現状の課題を解決すべく、難治性がんの病態に応じて腫瘍溶解性ウイルスをカスタマイズできるiOVシステムを確立した。



自治医科大学 大嶺 謙

エリスロポエチン(EPO)誘導性選択的制御遺伝子(SRG)搭載 CAR-T療法の開発
SRGはEPOの投与により患者体内のCAR-T細胞の増幅能と持続能を増強し、治療奏効性を高める遺伝子治療技術です。この全く新しい治療アプローチは、CAR-T療法のみならず、T細胞を用いる様々な治療戦略にも応用が可能です。

第2部



山形大学 / 株式会社ゲノム創薬研究所 浜本 洋

新規作用機序を有する難治性MRSA感染症治療薬 ライソシン Eの開発
ライソシンEは新規構造及び新規作用機序を有する抗生物質であり、比類のない短時間で強力な殺菌作用を示します。既存の抗菌薬に無効なMRSA感染症に対する治療薬としてGLP適用安全性試験を含む非臨床開発段階にあります。



ONSSI株式会社 鈴木 悠地

癌と間質を標的とした抗体薬物複合体による膵臓癌の革新的治療法の開発
Glypican-1(GPC1)を標的とした抗体薬物複合体(GPC1-ADC)は、癌細胞に直接作用するだけでなく、間質(特に癌関連線維芽細胞)を介した作用を持つ革新的な抗癌剤です。間質が豊富な既存の抗癌剤が効きにくい膵臓癌に、新たな治療選択肢の実用化を目指します。



株式会社サイディン 弘津 辰徳

治療のない再発・難治性白血病患者を現状オリゴ糖で救う
白血病患者の約25%は薬剤耐性や不耐容により治療法がなくなってしまい、終末期に治療を受けられず苦しみがらぐくなっていく。これに対し、環状オリゴ糖を活用し、新規作用機序を有し副作用の少ない画期的な治療薬の開発を目指している。



藤田医科大学 / 株式会社FerroptoCure 大槻 雄士

フェロトシス誘導性抗がん剤
私達はフェロトシス(酸化ストレスによる細胞死)を利用した抗がん剤を開発します。フェロトシス抑制は、がんの発生源、治療抵抗性メカニズムとして注目されており、この抗がん剤は、幅広いがん種に適応が可能となります。

第3部



セルジェンテック株式会社 麻生 雅是

難病を治療する再生医療の新たなモダリティ遺伝子導入ヒト脂肪細胞
難病治療用の遺伝子導入脂肪細胞医薬品の研究開発を行っています。LCAT欠損症を対象に臨床研究にて7年を超える安全性・有効性が示唆され、そのプラットフォーム技術を展開し血友病Aへ実用化開発を行っています。



リジェネフロ株式会社 森中 紹文

HiPS 細胞由来腎前駆細胞を用いた慢性腎臓病(CKD)に対する細胞療法の開発
ネフロン前駆細胞は、腎機能の最小単位であるネフロンの起源となる細胞で、腎機能を改善する能力を持ちます。当社では、HiPS細胞より作製したネフロン前駆細胞(INPC)を腎被膜下に移植し、低下した腎機能の改善を試みます。



HiLung株式会社 山本 祐樹

iPS細胞技術を活用した呼吸器疾患創薬
HiLung株式会社におけるiPS細胞技術の創薬応用について、米国FDAより希少疾病医薬品指定を受けた特異性肺線維症に対する治療薬候補HL001と、さらなる新規モダリティ研究開発の現状を御紹介する。



株式会社ボル・メド・テック 三輪 玄二郎

異種臓器移植 遺伝子改変ブタの腎臓を腎不全患者へ
臓器ドナー不足の解消を目指し、米国eGenesis社が開発し腎不全患者への腎移植実績のある遺伝子改変ブタを日本でクローン再現生産に成功し、臨床研究・臨床試験を準備中。将来は心臓・肝臓移植にも展開を計画。

ピッチ登壇ベンチャーの主なニュース①



認定VCを
含む調達

株式会社StapleBio

- 2024.05.07 次世代型核酸医薬技術による医薬品開発に取り組む株式会社StapleBio、4.6億円の資金調達を実施
- 2024.08.27 世界最大級のスタートアップピッチコンテスト「スタートアップワールドカップ2024」の九州予選で優10月開催の世界大会に日本代表の1社として出場

株式会社 FerroptoCure ※2年連続でピッチに登壇

- 2023.10.18 HVS Venture Awardを受賞しました
- 2023.12.12 J-TECH STARTUP認定&大学・研究機関発スタートアップ賞 受賞
- 2024.04.30 QWS STARTUP AWARD#2 優秀賞
- 2024.09.11 ICC KYOTO 2024 CATAPULT GRAND PRIX にて4位
- 2024.09.13 すごいベンチャー100 2024年最新版（東洋経済）に選出
- 2025.01.08 FerroptoCure Selected as Deep Tech Pioneer - Hello Tomorrow

ForbesJAPAN
に掲載

東洋経済
に掲載

橋渡し研究プログラム → 革新的がん医療実用化研究事業 → 橋渡し研究プログラム

Chordia Therapeutics 株式会社

- 2024.04.06 2024年開催の米国癌学会において当社パイプラインの結果発表を実施
- 2024.06.14 東京証券取引所グロース市場への上場に関するお知らせ

東証グロース
市場に上場

ピッチ登壇ベンチャーの主なニュース②



セライドセラピューティクス株式会社

- 2023.12.14 C4Uと造血幹細胞遺伝子治療製品の実現に向けた共同研究契約を締結
- 2024.03.22 NEDOのディープテック・スタートアップ支援事業（DTSU）に採択
- 2024.05.08 シリーズAで累計12億円相当の資金調達を完了
- 2024.08.09 NEDO主催の「Silicon Valley Immersion Program」に採択
- 2024.08.21 東京医科歯科大学と共同研究契約を締結
- 2024.09.24 **V-eco採択**
- 再生部各種事業 → 橋渡し研究プログラム → **V-eco**
- 2024.12.09 「TCI-VENTURE AWARD 2024」大賞を受賞
- 2025.04.25 「TECHNIUM Global Conference 2025」に登壇

認定VCを含む調達

AMED
事業業関係

V-eco採択

登壇企業
同士の提携

C4U株式会社

- 2023.10.30 スイスのバイオテクノロジー企業Healivaと、CRISPR-Cas3技術の医療応用に向けた戦略的提携契約を締結
- 2023.12.14 セライドセラピューティクスと、造血幹細胞遺伝子治療製品の実現に向けた共同研究契約を締結
- 2024.04.10 住友ファームとライセンス契約を締結
- 2024.08.05 サイト-ファクトとの共同研究契約締結のお知らせ
- 2024.12.10 AMED再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業採択

製薬会社とライセンス契約

CDMOとの連携

CiCLE採択課題①（第1回～第7回公募：全67課題）



| | 課題名 | 代表機関 | タイプ | 公募回 |
|---------------|--|---------------------|-------------------|-----|
| | 1 特殊ペプチド原薬CMO創設 【目標達成】 | ペプチスター株式会社 | イノベーション 創出環境整備 | 第1回 |
| | 2 経口コメ型バイオ医薬品のプラットフォーム化を目指した実証研究 【中止】 | アステラス製薬株式会社 | 研究開発 | 第1回 |
| | 3 産医連携拠点による新たな認知症の創薬標的創出 | エーザイ株式会社 | 研究開発 | 第1回 |
| | 4 進行性骨化性線維異形成症(FOP)に対する革新的治療薬の創出 【中止】 | 第一三共株式会社 | 研究開発 | 第1回 |
| | 5 薬剤耐性(AMR)菌感染症治療薬を目的とした創薬研究 | 住友ファーマ株式会社 | 研究開発 | 第1回 |
| 創薬支援 | 6 マラリアワクチンの医薬品開発と商業製造の確立 【中止】 | ノーベルファーマ株式会社 | 研究開発 | 第1回 |
| | 7 新規核酸送達技術を用いたウイルス感染症遺伝子ワクチン開発 【中止】 | 第一三共株式会社 | 実用化開発 | 第1回 |
| | 8 がん医療推進のための日本人がん患者由来PDXライブラリー整備事業 【目標達成】 | 株式会社LSIメディエンス | イノベーション 創出環境整備 | 第2回 |
| | 9 創薬ライブラリーの共同管理・運用及び産官学連携によるその相互利用推進 【目標達成】 | 株式会社CACクロア | イノベーション 創出環境整備 | 第2回 |
| | 10 手足口病VLPワクチンの開発 【中止】 | 一般財団法人阪大 微生物病研究会 | 研究開発 | 第2回 |
| | 11 新規の核酸合成とデリバリー技術を用いた核酸創薬研究 | エーザイ株式会社 | 研究開発 | 第2回 |
| | 12 ゲノム編集により作製した疾患iPS心筋細胞を用いた肥大型心筋症治療薬の開発 【中止】 | 武田薬品工業株式会社 | 研究開発 | 第2回 |
| | 13 オピオイドδ受容体活性化を機序とする画期的情動調節薬の開発 | 日本ケミファ株式会社 | 研究開発 | 第2回 |
| | 14 タンパク質構造解析のハイスループット化へ向けた装置開発 【目標達成】 | 日本電子株式会社 | 研究開発 | 第2回 |
| 革新的バイオ 医薬品 | 15 セラノスティクス概念を具現化するための創薬拠点整備を伴う、抗体等標識治療薬 (アルファ線)とコンパニオン診断薬の開発 | 日本メジフィジックス 株式会社 | 研究開発 | 第2回 |
| | 16 サイトメガロウイルス(CMV)特異的完全ヒト型モノクローナル抗体の臨床POC確立 【未達】 | ノーベルファーマ株式会社 | 研究開発 | 第2回 |
| | 17 クローン病を対象とした産学連携による本邦発バイオ医薬品と新規薬効予測マーカーの開発 【中止】 | EAファーマ株式会社 | 実用化開発 | 第2回 |

*創薬支援：創薬支援推進事業、革新的バイオ医薬品：革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業

CiCLE採択課題②（第1回～第7回公募：全67課題）



| | 課題名 | 代表機関 | タイプ | 公募回 |
|------------|---|------------------------|-----------|-----|
| | 18 リバースジェネティクス法を用いた新規インフルエンザワクチン株の創成【中止】 | KMバイオロジクス株式会社 | 研究開発 | 第3回 |
| | 19 遺伝性眼科疾患に対する遺伝子治療薬の研究開発【中止】 | 参天製薬株式会社 | 研究開発 | 第3回 |
| | 20 病的近視に対する光線架橋療法の研究開発【中止】 | 参天製薬株式会社 | 研究開発 | 第3回 |
| | 21 網膜中心動脈閉塞症に対する神経保護薬の開発 | 千寿製薬株式会社 | 研究開発 | 第3回 |
| | 22 血友病Bに対する遺伝子治療用製品の研究開発 | 田辺三菱製薬株式会社 | 研究開発 | 第3回 |
| | 23 フレイルの予防薬・治療薬の研究開発【中止】 | 帝人株式会社 | 研究開発 | 第3回 |
| | 24 非臨床PK/PD理論を活用した新規β-ラクタマーゼ阻害剤(OP0595)の単味製剤の研究開発 | Meiji Seikaファルマ株式会社 | 研究開発 | 第3回 |
| 肝炎等克服、橋渡し | 25 肝硬変の生命予後を改善する革新的抗線維化薬の研究開発 | 大原薬品工業株式会社 | 実用化開発 | 第3回 |
| | 26 至適分解性により術後遠隔期に血管再生を促す生体吸収性マグネシウム合金スキャフォールドの非臨床・臨床POC取得 | 株式会社 日本医療機器技研 | 実用化開発 | 第3回 |
| | 27 アルツハイマー病の新規治療薬の創出【中止】 | 日本臓器製薬株式会社 | 実用化開発 | 第3回 |
| | 28 造血幹細胞の体外増幅技術の開発と移植医療への応用【目標達成】 | ネクスジェン株式会社 | ViCLE研究開発 | 第3回 |
| | 29 Tribを標的とする急性骨髄性白血病の創薬研究【中止】 | ファイメクス株式会社 | ViCLE研究開発 | 第3回 |
| 研究成果最適展開支援 | 30 制御性T細胞の減弱作用と分子標的阻害による新規固形がん治療法の開発【目標達成】 | レグセル株式会社 | ViCLE研究開発 | 第3回 |
| | 31 液相セグメント合成法による核酸大量製造法開発【目標達成】 | 株式会社ナティアス | ViCLE実用開発 | 第3回 |
| 医療分野国際科学技術 | 32 全身性エリテマトーデス(SLE)に対する新規治療薬の開発 | 第一三共株式会社 | 研究開発 | 第4回 |
| | 33 万能インフルエンザワクチンの研究開発 | 住友ファーマ株式会社 | 研究開発 | 第4回 |
| | 34 NY-ESO-1特異的高機能ゲノム編集T細胞の製造基盤技術の確立【中止】 | Repertoire Genesis株式会社 | 研究開発 | 第4回 |
| | 35 遺伝子組換えヒト肝細胞増殖因子を用いて世界に先駆ける「成因に制限されない肝硬変疾患修飾薬」の創出【中止】 | EAファーマ株式会社 | 実用化開発 | 第4回 |
| | 36 産学連携オールジャパン体制による本邦Toll様受容体研究の実用化:全身性エリテマトーデス薬の創製 | エーザイ株式会社 | 実用化開発 | 第4回 |

*肝炎等克服：肝炎等克服実用化研究事業、研究成果最適展開支援：研究成果最適展開支援プログラム【A-STEP】、医療分野国際科学技術：医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業（戦略的国際共同研究プログラム SICORP）

CiCLE採択課題③ (第1回～第7回公募：全67課題)



| | 課題名 | 代表機関 | タイプ | 公募回 |
|-------------|---|----------------------|--------------------|------------|
| | 37 患者レジストリを活用した日本発の新規作用機序を有する革新的デュシエンヌ型筋ジストロフィー治療薬の開発 | 大鵬薬品工業株式会社 | 実用化開発 | 第4回 |
| 女性の健康の包括的支援 | 38 精神症状を伴う月経前症候群/月経前不快気分障害患者に対するピリドキサミンの臨床開発【未達】 | 株式会社レナサイエンス | 実用化開発 | 第4回 |
| | 39 アンチセンス核酸を用いた脊髄損傷治療薬の開発【目標達成】 | ルクサナビオテック株式会社 | ViCLE研究開発 | 第4回 |
| | 40 家族性小児四肢疼痛発作症に対する新規治療薬の研究開発【未達】 | AlphaNavi Pharma株式会社 | ViCLE実用化開発 | 第4回 |
| | 41 新型コロナウイルスワクチンの開発【中止】 | 一般財団法人阪大微生物病研究会 | 研究開発 | 第5回(コロナ1次) |
| | 42 COVID-19予防のためのナノ粒子型蛋白ワクチンの開発【中止】 | ユナイテッド・イミュニティ株式会社 | ViCLE研究開発 | 第5回(コロナ2次) |
| | 43 ミトコンドリア製剤による新型コロナウイルス治療薬の研究開発【中止】 | ルカ・サイエンス株式会社 | ViCLE研究開発 | 第5回(コロナ2次) |
| 創薬支援 | 44 希少がんならびに難治性がんに対する抗がん剤治療開発を加速させる創薬研究手法に関する研究 | エーザイ株式会社 | 研究開発 | 第5回(通常) |
| | 45 長期寛解を目指した革新的重症筋無力症治療薬の開発【中止】 | 武田薬品工業株式会社 | 研究開発 | 第5回(通常) |
| 新興・再興感染症 | 46 次世代型イベルメクチン誘導体によるCOVID-19に対する画期的治療薬創出と抗ウイルス薬の基盤構築 | Meiji Seikaファルマ株式会社 | 研究開発 | 第5回(通常) |
| | 47 核酸を用いた新型コロナウイルス感染症治療薬の開発【契約解除】 | 株式会社ポナック | 実用化開発 | 第5回(通常) |
| 橋渡し | 48 根治的前立腺全摘除術にて損傷した海綿体神経を修復するアルギン酸シート神経再生補助材の開発 | 持田製薬株式会社 | 実用化開発 | 第5回(通常) |
| | 49 外傷診療におけるVR遠隔臨床学習プラットフォームの構築に関する研究 | 株式会社ジョリーグッド | ViCLEイノベーション創出環境整備 | 第5回(通常) |
| | 50 医療用ブタ製造を目指した基盤整備 | 株式会社ポール・メド・テック | ViCLEイノベーション創出環境整備 | 第5回(通常) |
| V-eco | 51 腫瘍関連マクロファージ選択的ナノゲルDDSによる新規がん免疫療法の開発 | ユナイテッド・イミュニティ株式会社 | ViCLE研究開発 | 第5回(通常) |

*女性の健康の包括的支援：女性の健康の包括的支援実用化研究事業、新興・再興感染症：新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業

CiCLE採択課題④ (第1回～第7回公募：全67課題)



| | 課題名 | 代表機関 | タイプ | 公募回 |
|-------------|---|--------------------------------|--------------------|---------|
| 戦略的国際脳科学 | 52 mRNA医薬を用いた変形性関節症(OA)に対する革新的な機能維持治療法の開発 | 株式会社PrimRNA | ViCLE実用化開発 | 第5回(通常) |
| | 53 人工知能技術と脳科学の精神疾患診断治療への応用 | 株式会社XNef | ViCLE実用化開発 | 第5回(通常) |
| 医工連携事業化 | 54 膝前十字靭帯再建術に用いる脱細胞化動物組織由来の医療機器の開発・治験の実施 | CoreTissue BioEngineering 株式会社 | ViCLE実用化開発 | 第5回(通常) |
| V-eco | 55 非NSAIDs・非オピオイド新規疼痛治療薬ENDOPINの実用化研究 | 株式会社BTB 創薬研究センター | ViCLE実用化開発 | 第5回(通常) |
| 再生医療 | 56 iPS 細胞由来HLA ホモ型血小板の実用化 【中止】 | 株式会社メガカリオン | ViCLE実用化開発 | 第5回(通常) |
| 次世代がん | 57 TMEM180を高発現する大腸がんの有効な新規ヒト化抗TMEM180抗体の開発 | 株式会社凜研究所 | ViCLE実用化開発 | 第5回(通常) |
| | 58 組換えHGFタンパク 質を用いた難治性線維症治療薬の開発 | クリングルファーマ 株式会社 | 研究開発 | 第6回(通常) |
| | 59 脊磁計による神経機能情報を活用した新たな診断技術の確立 【中止】 | 株式会社リコー | 研究開発 | 第6回(通常) |
| | 60 臓器移植において免疫寛容を誘導する誘導型抑制性T細胞製剤の安定供給及び普及のための技術開発 【中止】 | 株式会社 JUNTEN BIO | ViCLE研究開発 | 第6回(通常) |
| | 61 遺伝子導入長期造血幹細胞を用いた小児難治性希少疾患の治療 | ネクスジェン株式会社 | ViCLE研究開発 | 第6回(通常) |
| | 62 抗CD25抗体-色素複合体(RM-1995)を用いた制御性T細胞を標的とした革新的がん治療法の開発 | 楽天メディカル株式会社 | ViCLE研究開発 | 第6回(通常) |
| 橋渡し、老化メカニズム | 63 世界初のイントラクライン機構を介したマイボーム腺機能不全治療薬の開発 | 千寿製薬株式会社 | 研究開発 | 第7回 |
| | 64 細胞ファイバ技術を基盤とした細胞大量製造プロセス確立と拠点整備 | 株式会社セルフファイバ | ViCLEイノベーション創出環境整備 | 第7回 |
| 再生医療、橋渡し | 65 心臓内幹細胞を用いた小児先天性心疾患患者に対する治療法の開発 | 株式会社メトセラ | ViCLE研究開発 | 第7回 |
| | 66 生体吸収性マグネシウム合金製骨固定ヘッドレスコンプレッションスクリューの製品化を目指した研究開発(臨床開発、並びに大量生産技術開発) | メルフロンティア 株式会社 | ViCLE研究開発 | 第7回 |
| 再生医療、難治性疾患 | 67 iPS細胞由来ADPKD病態モデルを用いた新規化合物の探索及び非臨床POCの獲得 | リジェネフロ株式会社 | ViCLE研究開発 | 第7回 |

*戦略的国際脳科学：戦略的国際脳科学研究推進プログラム、医工連携事業化：医工連携事業化推進事業、再生医療：再生医療等実用化研究事業、老化メカニズム：老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

AIMGAIN 採択課題一覧



| 公募 | タイプ | 研究開発代表者 | | | | テーマ |
|----|------------|---------|--------------------------|-------|-------|--|
| | | 所属機関 | 所属部署 | 役職 | 氏名 | |
| 一次 | アカデミアタイプ | 東京大学 | 大学院薬学系研究科附属創薬機構 構造展開ユニット | 特任研究員 | 宮地 弘幸 | 創薬研究を加速する革新的スクリーニングライブラリープラットフォームの産学連携構築 |
| 二次 | アカデミアタイプ | 京都大学 | 大学院医学研究科 消化管外科学講座 | 教授 | 小濱 和貴 | 患者由来がん幹細胞培養を基盤とした革新的個別化医療開発 |
| 三次 | スタートアップタイプ | 京都大学 | 大学院医学研究科 消化器内科学講座 | 助教 | 塩川 雅広 | 自己抗体同定法の確立と新規自己抗体の同定 |
| | | 東京大学 | 国際高等研究所 東京カレッジ | 卓越教授 | 藤田 誠 | 極微量活性成分の構造解析に立脚した創薬スキーム開発 |
| | | 神戸大学 | 大学院医学研究科 | 教授 | 宮西 正憲 | バーサタイルCD34陽性細胞を用いた超個別化医療の実現 |
| | | 京都大学 | 大学院医学研究科 | 教授 | 武藤 学 | がん診療の質の向上と研究開発に資するリアルワールドデータプラットフォーム開発 |

AIMGAIN 採択課題一覧



| 公募 | タイプ | 研究開発代表者 | | | | テーマ |
|----|------------|----------------|----------------------------------|--------------|-------|--|
| | | 所属機関 | 所属部署 | 役職 | 氏名 | |
| 四次 | アカデミアタイプ | 国立精神神経医療研究センター | 神経研究所・遺伝子疾患治療研究部 | 部長 | 青木 吉嗣 | 尿由来幹細胞のダイレクトリプログラミングを活用した神経難病創薬プラットフォームの構築 |
| | | 大阪大学 | 大学院薬学研究科 | 教授 | 井上 豪 | 希少構造を標的とする知財戦略: AlphaFoldを超えるAI創薬プラットフォーム |
| | | 北海道大学 | 大学院医学研究院 放射線科学分野 画像診断学教室 | 教授 | 工藤 與亮 | 安定同位体と多核種MRIによる分子イメージング基盤の創出 |
| | | 京都大学 | 大学院医学研究科 | 教授 | 松田 秀一 | 変形性膝関節症の個別化治療実現のための 下肢筋骨格シミュレータの開発 |
| | スタートアップタイプ | 国立循環器病研究センター | 心不全・移植部門 | 部門長 | 泉 知里 | 非侵襲遠隔モニタリングによる心不全増悪の早期探知アルゴリズム構築のための多機関協働プラットフォーム開発と統合AIモデルの作成および実用化に向けたPHR情報統合基盤の構築 |
| | | 国立循環器病研究センター | 病院 / 脳神経内科 | 副院長 / 部長 | 猪原 匡史 | 希少難病CADASILの画期的新薬創生のための国内研究拠点の構築 |
| | | 神戸大学 | 大学院医学研究科医療創成工学専攻 / 未来医工学研究開発センター | 教授 副センター長 | 村垣 善浩 | AI Robotic Surgeryを実現するDX Platformの開発 |

創薬研究を加速する革新的スクリーングライブラリープラットフォームの 産学連携構築

（一次公募採択課題：令和5年2月研究開始）

研究代表者：東京大学大学院薬学系研究科附属創薬機構 構造展開ユニット 特任研究員 宮地 弘幸

■ 国内創薬の現状



創薬標的の枯渇懸念に直面。数少ない有望な創薬標的に作用する化合物を迅速・高確率に取得する技術開発は世界的に競争が激化している。そのような中、膨大な探索空間から医薬品シーズを効率的に選抜し得るDELsが注目されているが、我が国では産業界・アカデミアともに欧米中の後塵を拝している状況である。

グローバル標準の産学共用DELsプラットフォーム構築

独自に開発したDELs合成技術を基軸とし、アカデミアのトップ研究者と連携製薬企業複数社の研究者を結集し、**産学で共に活用可能な日本独自の革新的DELsプラットフォームを非競争的に確立**する。

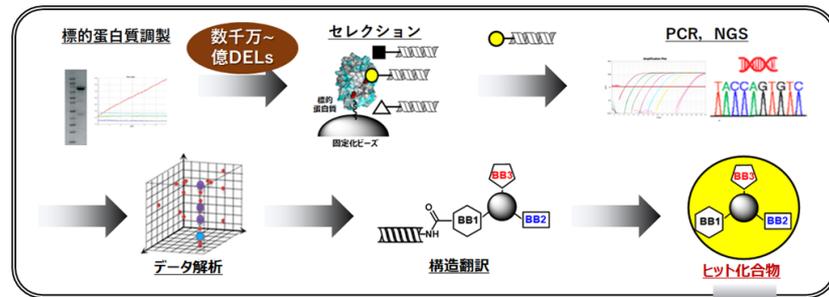
● 製薬企業とアカデミアの総力を結集した技術開発

- ・先進AIを利用したヒット率の高い化合物デザイン
- ・構造多様性を拡張する革新的DELs合成
- ・高難度標的に適応可能なヒット化合物選抜技術

● 事業成果のプラットフォーム化と産学協調利用

- ・競争領域研究用プラットフォームを非競争領域研究として産学連携により構築

DELsプラットフォーム



- ✓ 新規創薬標的に対する高親和性バインダー取得
- ✓ 構造展開を格段に向上させる膨大なSAR情報
- ✓ 開発候補品取得のための時間とコストの削減

Hit to Lead to Candidate

■ コンソーシアム等

東京大学
【代表機関】

名古屋大学
【分担機関】

アステラス製薬(株)【幹事企業】、
旭化成ファーマ(株)、杏林製薬(株)、
住友ファーマ(株)、田辺三菱製薬(株)、
帝人ファーマ(株)、日本新薬(株)、
第一三共(株)ほか計9社

■ 出口戦略

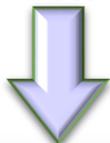
- 連携製薬企業の競争領域研究での利活用
- Japan DELs Center (JDC) 始動準備
- アカデミア創薬支援での利活用

患者由来がん幹細胞培養を基盤とした革新的個別化医療開発

（二次公募採択課題：令和5年9月研究開始）

研究代表者：京都大学大学院医学研究科 消化管外科学講座 教授 小濱 和貴

■ 患者自身のがん細胞を活用した個別化医療研究の現状

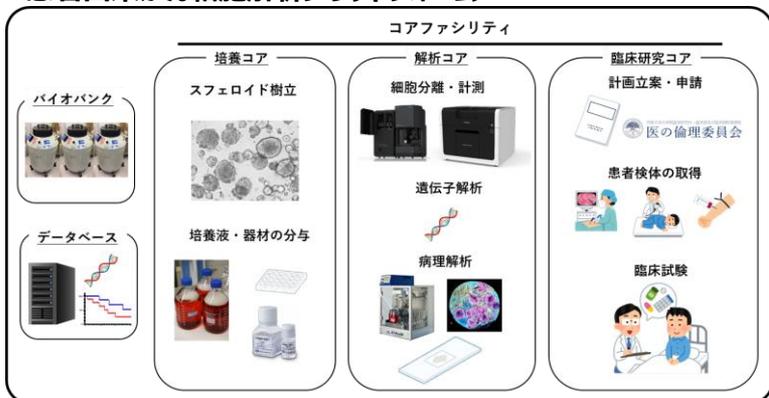


我が国は検体数、がん種、ゲノム情報等が少なく、米欧中に後れを取っている。また、患者由来がん幹細胞培養技術が医療サービスとして標準化されていない、In vitro薬剤感受性と臨床データの相関性が十分に解明されていない、測定技術・評価技術が確立されていないなどの諸課題を有している。

○ 研究開発プロジェクトの概要

「患者由来がん幹細胞スフェロイド培養技術」を基盤にした「**患者由来がん細胞解析プラットフォーム**」を産学連携で構築し、個別化診断や創薬への応用を目指す。本プラットフォームを円滑に運用し、様々ながん個別化医療技術の開発を加速させるため、京都大学を中心とした「**個別化医療開発コンソーシアム**」を設立する。

患者由来がん細胞解析プラットフォーム



■ コンソーシアム等

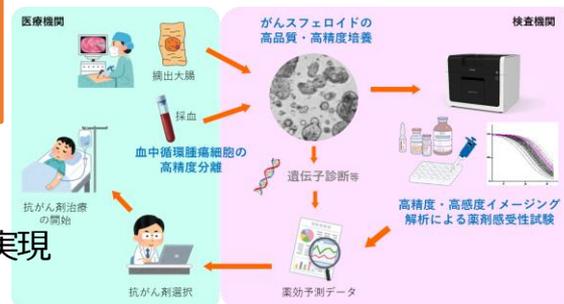
【代表機関】
京都大学

【分担機関】
関西医科大学、大阪医科薬科大学、高知大学、日本医科大学、京都府立医科大学

(株)SCREENホールディングス【幹事企業】、(株)AFIテクノロジー、京ダイアグノスティクス(株)、(株)ニッピ、三井化学(株)

■ 期待される研究成果

- 患者由来がん幹細胞を活用した高精度・高感度な診断技術の確立
- 細胞、タンパクに着目した新しい評価診断系により遺伝子情報を補完、多面的な個別化医療を実現
- 世界に先駆け、個別化医療を社会実装化



グラフィカルアブストラクト

～自己抗体同定法の確立と新規自己抗体の同定～

京都大学大学院医学研究科 消化器内科学講座 助教 塩川雅広

背景・目的

自己免疫疾患の多くは、病因となる自己抗体が不明であり、特異的な診断法や治療法が確立されていない。従って、本課題の目標として、自己抗体同定法の確立と新規自己抗体の同定を行い、最終的に診断・治療法を開発することを目指す。

期待される効果

- ・ 特異的診断法の開発により、適切な診断・治療が可能
- ・ 自己抗体をターゲットとした根治的治療法開発により患者のQOLが改善
- ・ 自己抗体研究の推進に貢献

お互いの強みを生かし共創(体制: 自己抗体研究に強い4大学、7診療科、5つの企業がコンソーシアムを形成)

◆非競争領域

疾患・長寿に關与する新規自己抗体の同定

- ▷ タンパク質マイクロアレイ、メンブレンアレイシステムを用いた自己抗体スクリーニング



疾患患者や高齢者の自己抗体を解析
疾患予防となる自己抗体も探索する。

- ▷ 候補抗体のなかから臨床的に意義のある新規自己抗体を同定する。

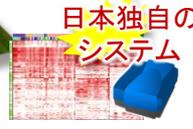


仮説と検証、もしくはAIを用いた疾患特異的自己抗体の同定

自己抗体プロファイリングデータベースの構築

タンパク質マイクロアレイシステム

17,000種類以上のヒトタンパク質を搭載



日本独自のシステム

- ▷ 幅広い年代の500人以上の日本人健康者の自己抗体プロファイルデータベースを構築・公開する。

タンパク質マイクロアレイシステム(日本独自技術)を活用して差別化を図る。

自己抗体プロファイリングの大規模なデータベースは世界的にも例がない。

- ▷ アカデミアで収集した自己免疫疾患を中心とした疾患患者の自己抗体プロファイルデータを取得する。

新規自己抗体スクリーニング系の構築

メンブレンアレイシステムの構築

- ▷ 生細胞を使用した6000種類の膜タンパクに対する自己抗体スクリーニング

◆競争領域

診断・治療薬の開発



- ▷ 同定した自己抗体を用いた体外診断薬や治療薬を開発する。
- ▷ 長寿に特異的な自己抗体を指標とする未病診断システムの開発を行う。

将来的な展望

新しい診断法・治療法・健康管理法の確立

- 未病診断
- 特異的診断
- 特異的治療
- 健康増進
- 健康寿命の延伸

自己抗体データベースを研究者へ提供し未解明疾患の研究を推進

極微量活性成分の構造解析に立脚した創薬スキーム開発

研究開発代表者: 東京大学 国際高等研究所東京カレッジ 卓越教授 藤田 誠

低分子創薬の現状と構造解析への潜在的ニーズ

生命活動で暗躍する痕跡量活性物質は創薬標的の宝庫であるが、痕跡であるが故にその正確な3次元構造にたどり着く術がない。痕跡量物質の構造解析手法に対する計り知れない「潜在的ニーズ」がある。代表者は痕跡量物質のX線構造解析を可能とする「結晶スポンジ法」*を開発し、ニーズに応える突破口を切り開いた。

*結晶スポンジ法:



1. ゲスト吸蔵
2. 回折実験



細孔性金属錯体結晶に微量標的物質を吸蔵させるだけで、標的化合物をX線観察できる

統合分子構造解析の世界研究拠点の構築

あらゆる生命科学研究は分子の構造を知るところから始まる。独自技術である結晶スポンジ法を中核に、**アカデミア、スタートアップ、連携企業（14社）**が一体となり、**世界に唯一無比の統合分子構造解析拠点を非競争的に構築し、成果を創薬基盤技術として展開すること**で、低分子創薬のパラダイムシフトを引き起こす。

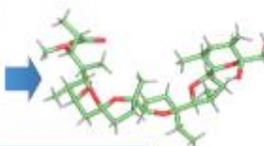
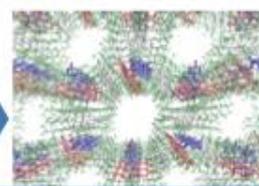
シナリオ

- ・製薬とアカデミアの総力で、さまざまな痕跡量活性成分（構造未知）を入手する。
- ・装置メーカーと連携し、わずかfg~ngオーダーの絶対量で、未知活性化合物を正確に構造決定する。
- ・製薬および(株)ナールスとの協業もしくは新規開発ベンチャーの設立（**出口戦略**）により、リード化合物へ絞りこむ。
- ・参画企業の競争領域での利活用（**出口戦略**）。

社会連携講座（コンソーシアム活動母体）

- ・すでに14社加盟の社会連携講座が東大に設置されている。
- ・過去7年間の実績で、>20社が参画。技術導出例も多数。
- ・専用の拠点（実施場所）を千葉県柏市に確保している。
- ・**国産主要装置メーカー3社の合同ラボが実現**
- ・**大学発ベンチャー企業(株)ナールスが参画**、その商品開発ノウハウや販売網の活用

期待される成果（一例）



メタボローム解析重要因子物質（痕跡量）をCS法で構造解析し、創薬リード化合物へ導く

バーサタイルCD34陽性細胞を用いた超個別化医療の実現

研究代表者：神戸大学大学院医学研究科小児科学分野造血幹細胞医療創成学

教授 宮西正憲

【背景】再生・細胞医療・遺伝子治療開発に関する国内の状況

- 小児や高齢者など、安全性の高い、長期的な効果を担保する治療ニーズ
- 国際競争力のある細胞医薬品の開発が国内で進展していない現状
- 企業単独での開発を妨げる細胞治療法開発に特有な要因の存在

【目的】バーサタイルCD34陽性細胞を用いた個別化医療の社会実装

- 未分化性の高い造血幹細胞や血管内皮細胞を含む細胞集団
 - 多領域にわたる適応疾患の拡大
 - 十分量の細胞採取が可能
- 個人差を可視化、治療効果を最大化する技術の開発
- 出口戦略に基づいた細胞医薬品製造のベストプラクティス

個別化医療に特化した細胞製造のベストプラクティスをデザイン・開発



【非競争領域】コンソーシアム（CIRDAC）の構築

- 神戸大学（病院・患者）を中心とした研究開発拠点
- グローバル展開を目指したチーム構成



追加参画企業
検討中



【出口戦略】CIRDACを活用した製品開発



がん診療の質の向上と研究開発に資するリアルワールドデータプラットフォーム開発

研究開発代表者: 京都大学大学院医学研究科 教授 武藤 学

がん登録データ (29万例のデータ) の活用

がん登録データ + 電子カルテRWDの統合

学術利用 + 産業利用



電子カルテ記述データ

・医療者記述・治療内容・有害事象



画像診断データ(PACS)

・診断医記述・RECIST判定



臨床検査データ

・血液・生化学・遺伝子等

課題解決

課題

- ・ベンダーがバラバラ
- ・データベース化されていない
- ・デジタル化の遅れ
- ・データ関係ができない

- ・Cyber Oncology®による構造化データベース
- ・病理所見/放射線読影記録のLLM開発
- ・Region Tracking™ AIによる治療効果自動判定
- ・電子カルテでの連携による総合ビューアー
- ・院内検査データのアーカイブシステム
- ・外注検査のバイオマーカーデジタル化

J-CONNECT
コンソーシアム
(がん登録
データの利活用)

25医療機関
3製薬企業



共同研究契約締結済

委託研究開発機関

KU:P

京都大学医学部附属病院
KYOTO UNIVERSITY HOSPITAL
J-CONNECT事務局



スタートアップ企業

産学官共同研究企業

NTT

PRiME-R

Canon

キヤノンメディカルシステムズ株式会社

intage

株式会社インテージヘルスケア
Healthier Decisions

H.U.GROUP

産学共同研究講座
(設置済)

ベンダーによらない
構造化されたがん関連
RWDプラットフォームの実現

期待される成果

医療機関・ヘルスケア産業

- ・RWDの構築
- ・医療の実態把握と可視化
- ・医療安全での活用
- ・診断/治療の最適化

行政

- ・施策への利活用
- ・Quality indicator

医療開発企業

- ・臨床試験の効率化
— 治験症例のリクルート
- 中央判定の労力・コスト減
- ・医薬品開発の迅速化

新しい医療・ヘルスケア産業の活性化 よりよい医療・国民健康の向上へ貢献

尿由来幹細胞のダイレクトリプログラミングを活用した神経難病創薬プラットフォームの構築

製薬協参加企業等6社と国立精神・神経医療研究センター、九州大学、東北大学の産学連携による幹細胞コンソーシアムを構築

研究代表者：国立精神・神経医療研究センター（NCNP）神経研究所遺伝子疾患治療研究部 部長 青木吉嗣

ヒト尿由来細胞疾患モデルの可能性の探索

尿由来細胞（UDC）

- ・ 無侵襲に繰り返し採取可能
- ・ 良好な自己増殖能

×

ダイレクトリプログラミング（DR）

- ・ エピジェネティックな要素は残存
- ・ 分化までの時間とコストが少ない

疾患細胞モデル構築

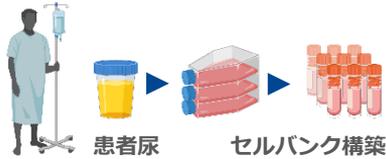
iPS細胞由来疾患モデルを補完する新たなモデル

世界をリードする本邦発の創薬プラットフォーム構築

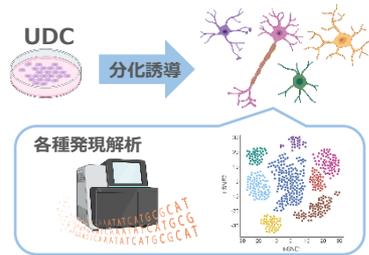
対象疾患

TDP-43プロテインパチー病態を共通に持つ、
筋萎縮性側索硬化症/前頭側頭型認知症

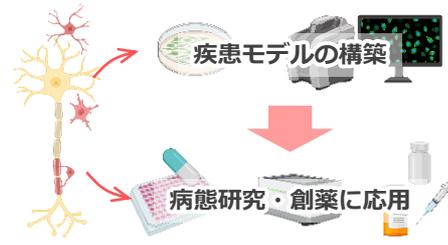
① UDCの高品質セルバンクの構築



② 神経系細胞への直接分化転換技術開発



③ 細胞特性評価・バイオマーカー探索



コンソーシアムのゴール：

UDCのDR技術で神経・グリア細胞モデルを構築し創薬プラットフォームを社会実装

幹細胞コンソーシアム

国立精神・神経医療研究センター
【代表機関】

九州大学
【分担機関】

東北大学
【分担機関】

製薬企業1
【幹事企業】

製薬企業2

製薬企業3

製薬企業4

製薬企業5

製造企業6

出口戦略

- ・ 細胞モデルを用いて、有望な薬剤候補の創製に向けた実用化研究を実施
- ・ UDCの製品化と市場供給のための研究開発やプロセス開発を実施

将来像：ALS/FTD以外の神経難病へ対象を広げ、創薬プラットフォームの応用

希少構造を標的とする知財戦略： AlphaFoldを超えるAI創薬プラットフォーム

～IT(IBMET: 逆探索法) と 構造生物学 の融合～

研究代表者：大阪大学大学院薬学研究科 教授 井上豪

アカデミア

新規モダリ
ティー創薬

AI標的探索

エピトープ
・構造解析

遺伝子
巨大情報
ライブラリ

データ
サーバ

プログラ
ミング

創薬
シーズ
(抗体医薬)

クライオ 電顕
FIB-SEM
病理組織解析

BIO team

AWSなど

IT team

九大・産総研

東大・阪大



(例) トリプルネガティブ乳がんを実証研究 → 他のアンメットメディカルニーズの高い癌でも実施

疾患細胞

情報変換

希少抗体の情報

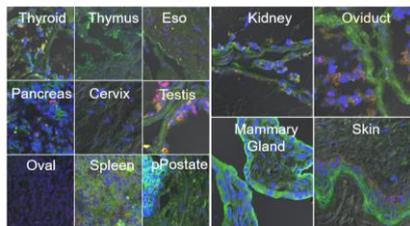
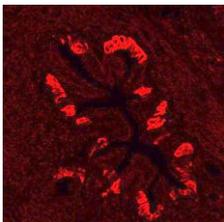


| | | | | | | | |
|-------------|------|------|------|------|------|------|------|
| Cluster#11 | 0.13 | 0.42 | 0.28 | 0.30 | 0.44 | 0.53 | 0.21 |
| Cluster#101 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#104 | 0.03 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#107 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#104 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#108 | 0.07 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#101 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#100 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#170 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#006 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#443 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#112 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#712 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#106 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |
| Cluster#013 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 | 0.00 |

AI解析

VHH89の取得

正常ヒト組織アレイで確認

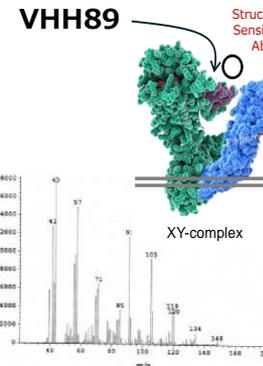
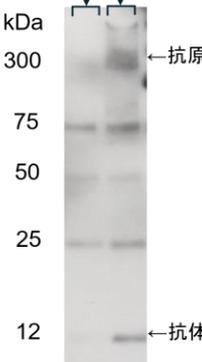


標的分子の詳細な解析

- 免疫沈降
- 質量分析

- X線解析
- クライオEM

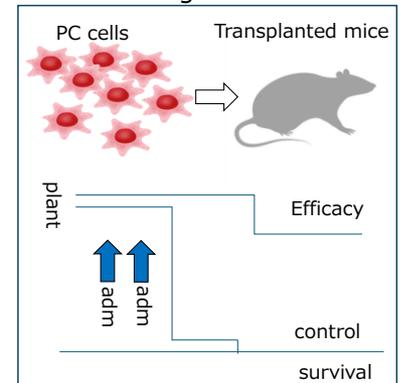
正常細胞 癌細胞



ADC創薬でPOC確立

- 抗体薬物複合体の作製
- 動物モデルで薬効確認

Xenograft model



安定同位体と多核種MRIによる分子イメージング基盤の創出

研究開発代表者：北海道大学大学院医学研究院 画像診断学教室 教授 工藤 與亮



■ 多核種MRIの国内の現状

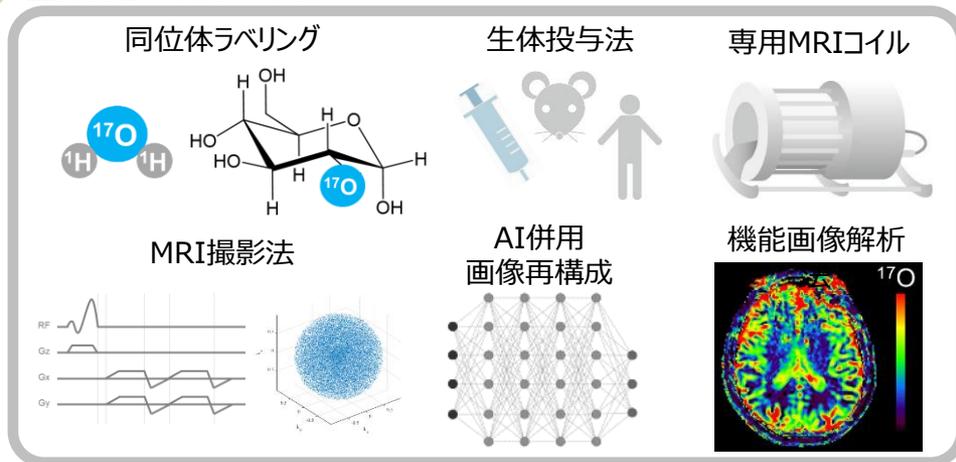
MRIは人体の**プロトン（ ^1H ）**を可視化し、我が国に広く普及している医療画像診断装置である。さらに、 ^1H 以外の核種をも可視化できる「**多核種MRI**」は、我が国にとって重要な医療ポテンシャルであるものの、主に**感度の低さ**が課題となり、医療応用は限定的であった。しかし、近年、MRIのハードウェアの進化や人工知能（AI）を活用した画像処理技術の進展により、海外では実用的な多核種MRIを開発が進められている。我が国においても、これらの技術革新に対応し、まだ導入施設の少ない多核種対応MRI装置を発展させるための基盤技術開発が急務である。

■ 本研究プロジェクトの概要

我が国が先駆ける「 **^{17}O 標識水MRイメージング技術**」を基盤として、複数の異分野アカデミアと連携企業（安定同位体企業、MRI企業）が一体となったオープンコンソーシアムを設立する。このコンソーシアムを通じて、多核種MRIにおける低感度の課題を克服する「**安定同位体-多核種MRIプラットフォーム**」を非競争的に構築し、医療画像診断領域に革新をもたらす。

■ 安定同位体-多核種MRIプラットフォーム

高感度化・高度化した多核種MRイメージングを実現する異分野横断的な基盤技術を**非競争的**に開発



■ 期待される効果：競争領域研究の展開

さまざまな臓器・疾患の病態解明や革新的な画像検査法の確立（水動態、酸素代謝、エネルギー代謝、糖代謝、分子追跡など）

多核種MRI オープンコンソーシアム

^{19}F

^{129}X

e

^{13}C

^{31}P

^{17}O

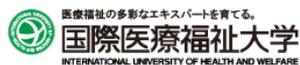
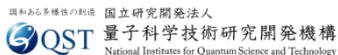
^{23}Na

^2H

【代表機関】



【分担機関】



変形性膝関節症の個別化治療実現のための下肢筋骨格シミュレータの開発

京都大学医学研究科 整形外科 教授 松田 秀一

変形性膝関節症とは：わが国で2,500万人が罹患し、歩行能力低下により生活の自立が困難となり、健康寿命を脅かす重要な疾患である。治療法としては保存療法をまず行い、無効例に人工膝関節置換術や高位脛骨骨切り術などの手術療法が選択される。しかし治療法選択や手術目標(インプラント設置位置や骨切り矯正角度)が画一的であるため効果不十分例も多く見られる。そこで、**生体力学解析に基づく個別化医療の確立**が求められている。



- 目標1：**正常下肢のデータを用いた股関節、膝関節、足関節を含んだ下肢全体の筋骨格シミュレータを作成し、患者固有の骨格、筋力、体重などの条件を入力して、関節の動きおよび関節へかかる負荷の解析を可能とする。
- 目標2：**人工膝関節術後の動作解析のデータを用いて、人工膝関節術後の動態が予測できるシミュレータを作成し、より生理的な関節動態が獲得できるための個別化した手術目標の設定を可能とする。
- 目標3：**変形性膝関節症および高位脛骨骨切り術後の動作解析のデータを用いて、骨切り術後の動態が予測できるシミュレータを作成し、変性した部位への荷重を軽減するための個別化した矯正角度の設定を可能とする。

本研究開発により治療法選択・手術目標の明確化

健康者および患者データを取得：
 患者背景(性別・身長・体重など)
 膝関節画像(X線・CT・MRIなど)

蓄積した膝関節運動データバンクから生体力学に基づく個別化医療を可能とする適切なデータをAIで選定してシミュレーション

目標1：正常下肢筋骨格のコンピュータシミュレータの作成・検証

目標2：人工膝関節置換術のコンピュータシミュレータの作成・検証

目標3：変形性膝関節症及び骨切り術のコンピュータシミュレータの作成・検証

非競争領域

人工膝関節プランニングソフトウェア

競争領域

骨切り術プランニングソフトウェア

患者ごとに個別化した治療選択・手術目標設定を行い、最適な手術を実現することで満足度を向上させ、健康寿命を延伸

コンソーシアム [非競争領域：コンピュータシミュレーションの基盤完成]



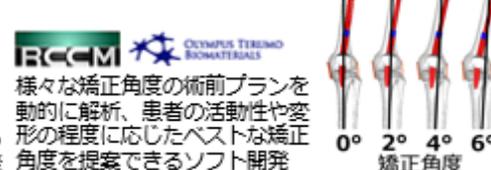
[競争領域：出口戦略]

1) 人工膝関節プランニングソフトウェア開発



インプラントに負荷をかけず、膝関節がよく機能する手術計画を患者個々に応じて算出できるシステム開発

2) 骨切り術プランニングソフトウェア開発



非侵襲遠隔モニタリングによる心不全増悪の早期探知アルゴリズム構築のための多機関協働プラットフォーム開発と統合AIモデルの作成および実用化に向けたPHR情報統合基盤の構築

研究開発代表者：国立循環器病研究センター 心不全・移植部門長 泉 知里

背景

- 心不全患者は著増しており(2030年には130万人)、医療経済的にも大きな問題
- 心不全増悪(WHF)を繰り返すことにより病状が進行するが、1年以内の再入院率25-30%
- 認知症前段階のMCIの合併率は43%で、心不全増悪の1つの要因になっている
- 植込み型デバイスによる遠隔モニタリングは侵襲性が高く汎用性がない
- 多機関で共有可能なAI開発データが整備されておらず日本の医療AI開発が遅れている
- 診療データとAIモデルの予測結果を集約し、患者と医師間で連携するシステム基盤がない

研究目的

非侵襲デバイスによる遠隔モニタリングデータを活用した心不全患者のWHF予測とMCI検知のAIモデル開発協働プラットフォームの構築

非競争領域



目標1

データプラットフォームの構築



競争領域

スタートアップ社、学術機関、産学官連携企業の既存AIの外的データによる予測精度検証と新規AIモデル開発

各社AIの発展

AIモデル提供

目標2

統合AI開発

統合AIの開発と共有

目標3

情報基盤システムの構築

患者と医師での情報連携を通じ早期発見と介入のシームレス化、予防成功確率を向上

重要課題

WHFとMCIの早期探知を目指した非侵襲デバイスによる遠隔モニタリングの確立

統合AIの新規開発のためのデータプラットフォームの構築

AIモデルによる予測結果や診療データの共有のための情報基盤システム構築

研究体制

お互いの強みを活かし、4つのアカデミア・4つのスタートアップ・6つの産学共同研究企業が参画

アカデミア

- 国立循環器病研究センター
- 京都大学・高知大学・神戸大学

コンソーシアム

スタートアップ

- リージョナルデータコア
- GPx Japan・Mediest
- TMS

産学官共同研究企業

- 太陽生命少子高齢社会研究所・東京電力・みずほ銀行 Toppan・ICI・SMK

期待効果と将来展望

- コンソーシアム内共有データプラットフォームによるAI開発促進
- AIモデル活用によるWHFとMCIリスクの早期検知・介入による予後改善を通じた社会医療費削減
- WHF・MCI予測AIモデルや診療データ共有システムの社会実装
 - 太陽生命保険(産学官共同研究企業)の加入者へのサービス導入
 - 情報基盤システムを利用したPHRの構築とアプリ化



希少難病 **CADASIL** の
画期的新薬創生のための国内研究拠点の構築
AIMGAIN



研究開発代表者 猪原匡史

国立循環器病研究センター・病院 副院長／脳神経内科部長

CADASILの根本治療薬の開発を目指して



- 病態解明や創薬研究に用いる*iPS細胞*の確立
- 血液などを保存する*バイオバンク*の立ち上げ
- CADASIL診断のきっかけとなる*MRIデータベース*整備
- 治療薬として有望な*核酸医薬*の開発
- CADASIL*患者会*の支援

*iPS細胞*を用いた
新薬開発研究

Cerebral Autosomal Dominant Arteriopathy with Subcortical Infarcts and Leukoencephalopathy

皮質下梗塞と白質脳症を伴う常染色体優性（顕性）脳動脈症

症候の
発現時期



脳卒中



片頭痛



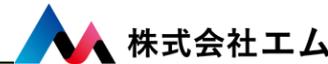
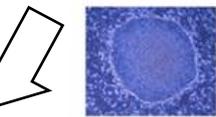
20 30 40 50 60 70

(歳)



治験即応
コホート

治験



早期診断法の
開発

CADASIL研究の
オープンリソースを
企業との
コンソーシアムで
運営

CADASILの
治療法の実用化

AMED革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）AIMGAIN 令和6年度 四次公募【スタートアップタイプ】

AI Robotic Surgeryを実現するDX Platformの開発

研究開発代表者 神戸大学大学院医学研究科医療創成工学専攻/未来医工学研究開発センター 教授/副センター長 村垣善浩

- 背景：** 人口減少に伴う医師不足と高齢化に伴う外科手術の増加の一方で、質と安全を担保した外科治療が求められている
- 課題：** 現状の医師数や手術環境では増加する外科治療の全てを安全かつ信頼性のある技術で実施することが困難になってきている
- 提案：** 医療機器がネットワーク化されたスマート治療室(SCOT)の情報基盤を拡張し、AIを用いて合併症軽減や患者個人に適した麻酔管理など低リスクで高効果な手術であるAI Robotic Surgeryを提供する。そのために
- ▶ 手術関連医療機器における自律化機能を実現するための 次世代型OpeLiNK を核とする情報基盤システム DX platform の構築
 - ▶ 不可能と考えられている手術支援ロボットや麻酔ロボットシステムや手術台ロボットの自律制御機能の社会実装 を行う

DX Platform コンソーシアム

