

# 第2期健康医療戦略に基づく 医薬品プロジェクトの取組状況について

---

令和3年3月29日

日本医療研究開発機構

理事長 三島良直

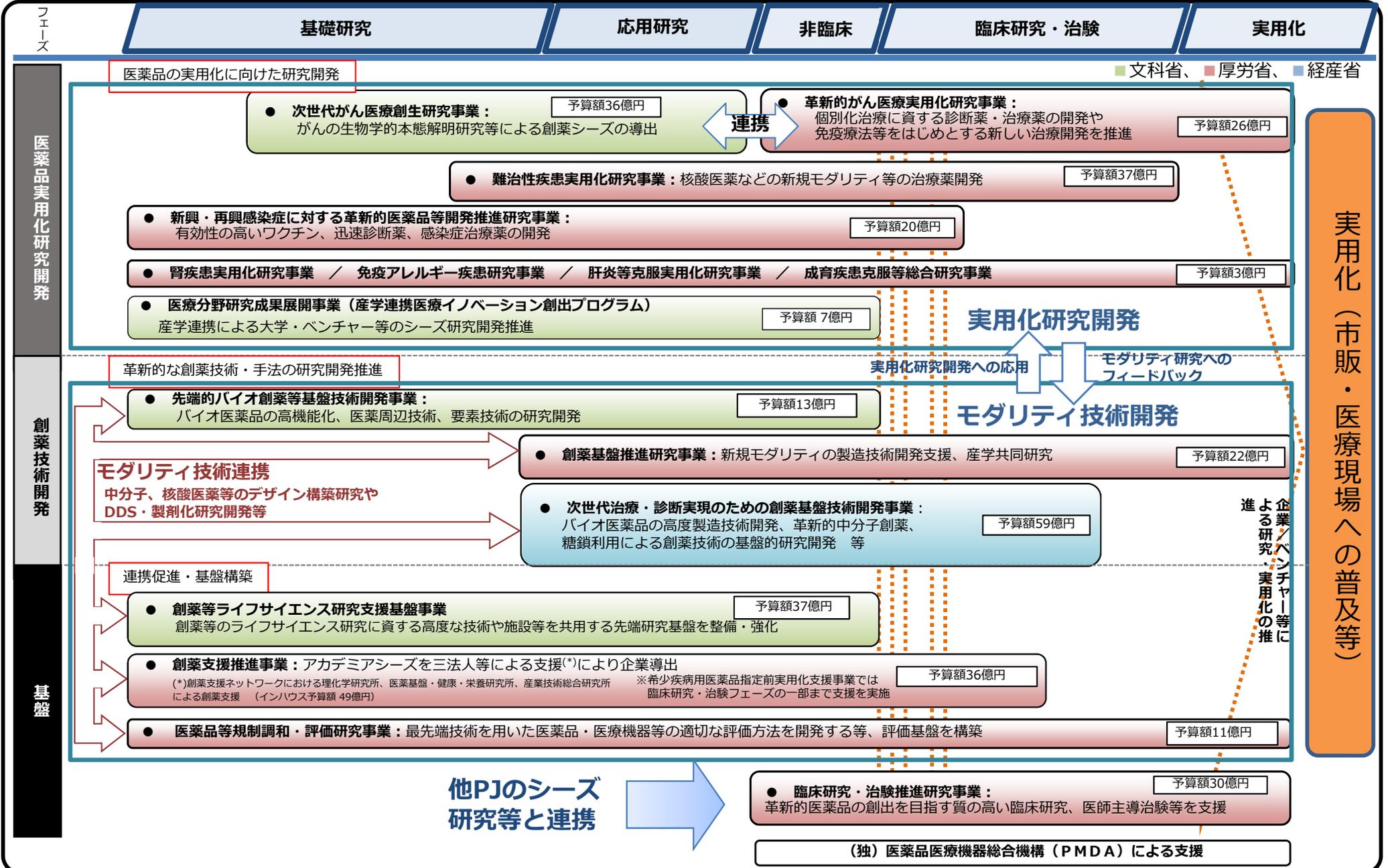
1. 医薬品PJの概要
2. 令和2年度 医薬品PJの取組状況
3. 新型コロナウイルス感染症に対する取組
4. 医薬品PJに係る今後のAMEDの取組

# 1. 医薬品プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
令和2年度予算額335億円

インハウス研究機関経費  
令和2年度予算額49億円

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。



# 医薬品プロジェクトの概要

## プロジェクトの概要

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、大学や産業界と連携し、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、品質・有効性・安全性評価法や製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発や規制科学を推進してアカデミア等から生み出される革新的なシーズの活用を図り、さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

## 具体的な研究開発内容

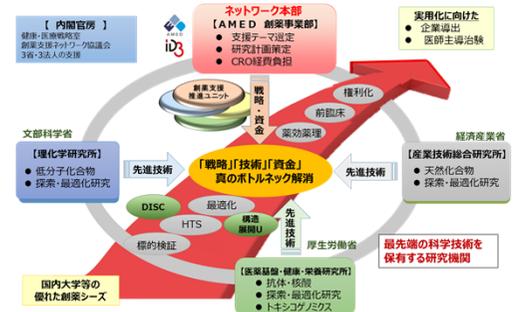
### 創薬基盤技術の高度化

産学官共同創薬研究プロジェクトなど創薬の基盤技術に係る研究により、革新的な医薬品の創出や実用性の高い医薬品関連技術の確立を目指す。



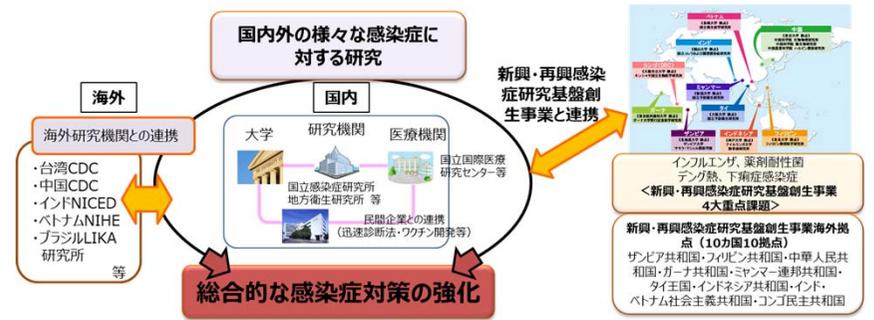
### アカデミア創薬の支援

ライフサイエンス研究の成果を医薬品等の実用化につなげることを目的とし、放射光施設やクライオ電子顕微鏡などの大型施設・設備を整備・維持、積極的共用を行う。また、創薬支援ネットワーク構成機関が保有する創薬技術や設備等を活用し、HTS、構造最適化、非臨床試験等を切れ目なく支援する。



### 疾患横断的な創薬研究の推進

がん、腎疾患、免疫アレルギー疾患、成育疾患、難病、新興・感染症、肝炎等の疾患の観点から、創薬標的の探索から臨床研究に至る、医薬品開発を推進する。



### 日本の臨床研究や治験の更なる活性化

日本で生み出された基礎研究の成果を薬事承認に繋げ、革新的な医薬品・医療機器を創出すること等を目指して、基礎研究の成果を治験等に適切に橋渡しするための非臨床試験や、科学性及び倫理性が十分に担保され得る質の高い臨床研究等を推進する。

1. 医薬品PJの概要
2. 令和2年度 医薬品PJの取組状況
3. 新型コロナウイルス感染症に対する取組
4. 医薬品PJに係る今後のAMEDの取組

# 令和2年度 医薬品PJの取組状況①

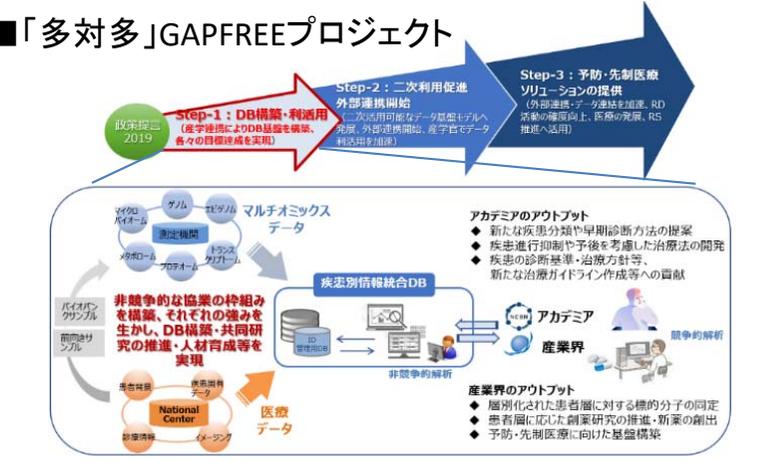
医薬品プロジェクトの事業間連携や新規枠組みの創設に取り組み、モダリティに係る横断的な技術や新たな技術の多様な疾患領域への効果的・効率的な展開を通じて、今後さらに成果を創出していくための基盤を充実させた。

- ① 疾患横断的な研究開発推進の新たな取組や産学連携の新規枠組みを創設した。
- ② COVID-19への迅速な研究支援、基盤整備を実施し、臨床段階まで到達した。
- ③ 成果目標の達成に向けて顕著な進捗が見られる。

## ① 疾患横断的な研究開発推進の新たな取組や産学連携の新規枠組みを創設した。

- DISCにおいて新たに中分子ライブラリーの構築開始(厚労省事業)。BINDS(文科省事業)と連携させ、全てのアカデミア研究者の同ライブラリー活用の体制を構築し、基盤としての相乗効果を実現。
- 寄附金を原資とし、疾患の枠組みを超えて、すべての創薬研究者を対象とした国費に頼らずに現場ニーズを踏まえた新たな若手育成の枠組みを創設。寄付金受領後直ちに公募を開始。
- 新たに、医薬品PJ内の基盤技術開発と疾患研究を連携した結果、双方にとっての更なる推進効果が認められ、モダリティ技術の応用展開により、第二期戦略に記載された、「新薬創出を目指すために技術・知見等を疾患横断的に活用」することに着手。
- 産業界のニーズを的確にとらえ、GAPFREEプロジェクトにおいて、アカデミア・企業双方の多様な視点から研究開発を推進する「多対多」の新たな枠組みを構築(アカデミア4機関、企業7社が参加)

	低分子薬	中分子薬	抗体
分子量	<500	500-2000	150000
特異性	低い	高い	高い
細胞内標的	可能	可能	不可能
PPI阻害	不適	適	適
経口投与	可能	可能	不可能(注射)
化学合成	可能	可能	不可能



# 令和2年度 医薬品PJの取組状況②

## ② COVID-19への迅速な研究支援、基盤整備を実施し、臨床段階まで到達した。

- 迅速かつ安全な研究開発を推し進めるため、公募×切から通常の半分以下の期間にて採択課題を決定。有識者や関係省庁が参加する運営委員会を立ち上げ、綿密な課題管理を実施。
- がん等の他疾患での研究成果を踏まえたPAI-1阻害剤のCOVID-19への転用などにより、19課題が臨床段階まで進展。
- 「富岳」の計算結果を活用するためのCOVID-19感染症治療薬探索・評価基盤 (*in vitro*薬効評価支援) 等を整備し、BINDS事業でCOVID-19関連計54件の支援を実施。

■ COVID-19治療薬開発状況 (R3年2月末時点)

開発フェーズ	課題数	モダリティ	課題数
基礎	33	リポジショニング	11
前臨床試験	8	低分子医薬	16
第I相試験	2	抗体・血漿療法	16
第II相試験※	10	核酸医薬	2
第III相試験	1	細胞療法	3

※1件重複あり

## ③ 成果目標の達成に向けて顕著な進捗が見られる。

- すべての成果目標において、目標値を達成。特に、世界に先駆けた先導的な研究を含め、シーズの企業への導出40件、創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出95件を達成するなど顕著な成果を創出。

### 【シーズ導出の具体例】

#### ■ がん抑制因子活性化を利用した治療耐性獲得乳がんに対する新規治療法開発

- がん抑制因子であるPHB2の抑制機能を再活性化させることを利用した世界初の治療戦略
- 分子内架橋型タンパク相互作用阻害ペプチド(ステーブルERAP)が耐性化シグナルを阻害し、治療耐性を克服することを解明

分子内架橋型ステーブルERAP



BIG3由来

13アミノ酸のERAPペプチド

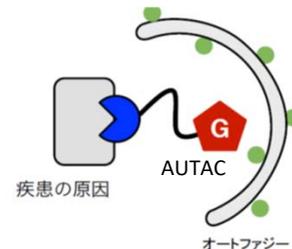
事業名: 次世代がん医療創生研究事業  
研究代表機関: 国立大学法人徳島大学  
研究期間: 平成30年5月～令和4年3月

### 【技術導出の具体例】

#### ■ 先端的な中分子創薬関連技術の開発

- オートファジーに基づく世界初のデグレータ技術(AUTAC)を確立
- 細胞内タンパク質に加え機能不全ミトコンドリア除去を可能とした
- 研究開発の推進により、低濃度で効果を示すことにも成功

オートファジーを呼び寄せる「目印」による選択的な分解



事業名: 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業  
研究代表機関: 国立大学法人東北大学  
研究期間: 平成30年4月～令和3年3月

# 第2期健康・医療戦略に基づく取組・成果①

1 新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価や製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行ったか。

- 糖鎖利用による創薬関連技術や中分子創薬関連技術など、創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出を計95件達成
- 創薬基盤と疾患領域(がん、難病)の研究を連携させ、目的外変異のない遺伝子編集技術の開発や抗体-薬物複合体の高機能化研究を推進し、技術の精度確認や新規化合物合成に成功。
- バイオ医薬品の連続生産工程の一連の技術高度化を進め、灌流培養で高発現性(>1 g/(L・日))、高安定(50日以上)かつ高生存(>90%)を達成。

■ 導出した主な技術の分類

技術分析	導出数
抗体生産	33
構造解析	9
DDS	5
タンパク質生産	2
遺伝子診断	2

2 様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指したか。

- 様々な疾患領域に対し、標的ごとに適切なモダリティ技術を活用してシーズ研究開発を支援。その結果、40件のシーズの企業への導出を達成。
- COVID-19に対し、他の疾患で開発中のシーズの転用を含め74課題を採択し、19件が臨床開発段階に進展。
- 神経難病を始め多くの疾患で開発が進む核酸医薬品について、審査指針の根拠となる科学的エビデンスをまとめ、安全性試験ガイドラインを提供。

■ シーズ開発の主な疾患領域とモダリティ分類

課題数 (導出件数)	新生物] (腫瘍)	感染症	神経系 の疾患	循環器系 の疾患	筋骨格系 及び結合 組織の疾患
低分子化合物	95(10)	20(3)	31	8	5(2)
ペプチド医薬	4(2)	2(1)	3	1	2(1)
核酸医薬	14(2)	1	2	3(1)	4
抗体医薬 (複合体含 む)	37(3)	24(1)	5(1)	2	1
ワクチン	5	44	0	0	0

※1課題当たり複数のモダリティが研究開発中のものは除外した

# 第2期健康・医療戦略に基づく取組・成果②

3

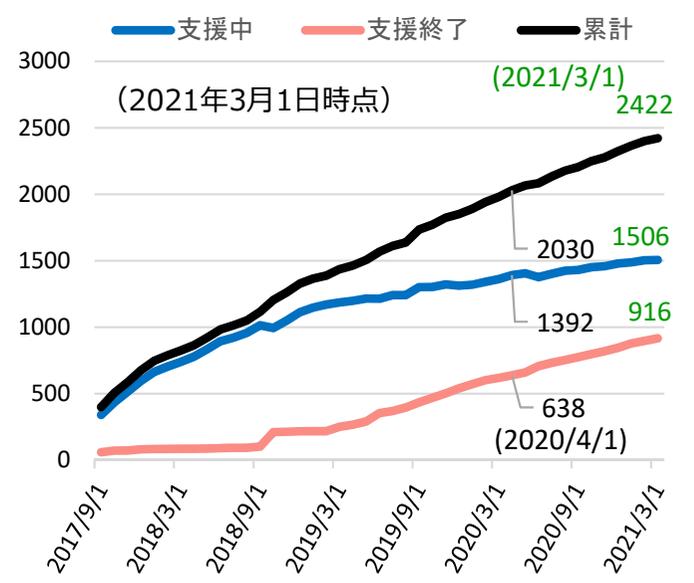
・創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組んだか。

- 基盤構築のアウトプットとして、創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出を3件達成
- モダリティ多様化に対応する支援基盤として新たに「中分子ライブラリー」の構築を開始。BINDS事業と連携し、アカデミアで広く活用する体制も構築（既に3件相談開始）。
- 産学連携による次世代創薬AI開発において、令和3年度からの産学連携の本格稼働に向け、令和2年12月までに日本製薬工業協会加盟の企業16社の参画を調整し連携開始。
- 国内BSL3施設にハイエンドのクライオ電子顕微鏡を導入し、創薬研究に資する生きたウイルスの構造解析に係る支援体制を整備したほか、自動化・遠隔化の高度化等のため新たに計8台の設置機関を決定し、速やかな活用を推進。
- 「富岳」の計算結果を活用するためのCOVID-19感染症治療薬探索・評価基盤（*in vitro*薬効評価支援）等を整備
- 若手研究者の育成・海外研鑽のため、寄附金を原資とする創薬関連分野における研究者育成支援奨励事業（スカラーシップ）を創設

### ■ 創薬支援NWの企業導出課題

課題番号 課題名(モダリティ) 主任研究者(所属)	導出ルート
DNW-15002 硫酸抱合型尿毒症物質の産生阻害による腎障害治療薬の探索(低分子) 齋藤秀之(熊本大学病院)	DISC※
DNW-18005 新規のNrf2活性化メカニズムに着目した扁平上皮がん治療薬の探索(低分子) 鈴木裕之(筑波大学医学医療系)	DISC※
DNW-19012 脂質代謝経路を標的としたがん免疫療法の探索(低分子) 大多 茂樹(慶應義塾大学医学部)	公募

### ■ BINDS事業：支援課題数の推移



# 令和6年度までの成果目標(KPI)への取組状況(令和2年度実績)

【成果目標】			令和2年度末の達成状況(速報値)
アウトプット	1	非臨床POCの取得 25件(5件/年)	45件
	2	創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出 10件(2件/年)	3件
	3	臨床POCの取得 5件(1件/年)	11件
	4	新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%	80.8%
	5	創薬支援ネットワークの活動状況 -3独法(理研・基盤研・産総研)による支援	10件
	6	創薬支援ネットワークの活動状況 -支援継続/終了の状況	・支援中の課題:44件 ・支援終了の課題:22件
	7	創薬等の効率化に資する先進手法の開発状況	今年度50課題以上を新たに採択

【成果目標】			令和2年度末の達成状況(速報値)
アウトカム	8	シーズの企業への導出 60件(12件/年)*	40件
	9	薬事承認(新薬、適応拡大) 10件(2件/年)	5件
	10	創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出 120件(24件/年)**	95件
	11	研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	14件(参考)

\* 次世代がん医療創生研究事業(6年計画の5年目)において、多くの導出が認められた。

\*\* 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業(3つの大きなプロジェクトが最終年度)において、多くの導出が認められた。

1. 医薬品PJの概要
2. 令和2年度 医薬品PJの取組状況
- 3. 新型コロナウイルス感染症に対する取組**
4. 医薬品PJに係る今後のAMEDの取組

## 【マネジメント】

治療薬・ワクチンの研究開発については、PD・PS・PO等の有識者をメンバーとする課題運営委員会を各々設置し、リアルタイムで進捗を確認しつつ、実用化に向けて弾力的に支援。特に進捗していると認められた課題には、追加支援を行い開発を加速。

## 【AMED支援課題(54課題の内訳)】

### [フェーズ別]

フェーズ	課題数
基礎	33
前臨床試験	8
第Ⅰ相試験	2
第Ⅱ相試験※	10
第Ⅲ相試験	1

### [標的別]

標的	課題数
抗ウイルス	36
重症化改善	16
両方	2

### [モダリティ別]

モダリティ	課題数
ドラッグリポジショニング	11
低分子医薬	16
抗体・血漿療法	16
核酸医薬	2
細胞療法	3
バイオ医薬品	5
遺伝子治療	1

※1つの治療薬(アドレノメデュリン)に対して、  
2つの課題が研究開発を実施している。(次ページ参照)

# AMED支援によるCOVID-19治療薬開発の状況 ②

## 【臨床試験実施中のもの 11課題】

治療薬	代表機関	概要・進捗状況
免疫グロブリン	国立国際医療研究センター	<ul style="list-style-type: none"> <li>罹患後に回復しSARS-CoV-2に対する中和抗体を発現したヒト血漿に由来する高度免疫グロブリン製剤</li> <li>末端臓器不全が生じる前にヒト免疫応答を増強し疾患進行及び死亡リスクの抑制を検討する国際共同第Ⅲ相試験を実施</li> </ul>
イベルメクチン	北里大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>抗寄生虫薬として承認された、抗ウイルス作用が期待される製剤</li> <li>COVID-19患者を対象にSARS-CoV-2増殖抑制効果を検討する治験を実施</li> </ul>
アドレノメデュリン	宮崎大学／ひむかAMファーマ株式会社	<ul style="list-style-type: none"> <li>機械換気が必要となった重症肺炎患者に対し、候補薬剤を使用することで、患者の重症化を防ぎ、患者の予後改善に貢献できることを証明する第Ⅱ相試験を実施</li> </ul>
アビガン（ファビピラビル）/ステロイド併用	名古屋大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>抗ウイルス薬ファビピラビル（RNA依存性RNAポリメラーゼ阻害剤）に全身ステロイド投与を併用</li> <li>肺炎例における呼吸不全進行阻止等の回避効果を評価する第Ⅱ相試験を実施</li> </ul>
ファビピラビル+オルベスコ（シクレソニド）+フオイパン（カモスタット）	国際医療福祉大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>COVID-19肺炎患者（中等症）において、ファビピラビル単剤治療群と、ファビピラビル+カモスタット+シクレソニド吸入の多剤併用治療群との多剤併用治療有効性検証を行う</li> <li>多施設共同非盲検ランダム化比較試験を行い、退院までの期間、有害事象の発現率の群間比較する</li> </ul>
TM5614	東北大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>線溶系に関与するプラスミノゲンアクチベーターインヒビター（PAI）-1を特異的に阻害する薬剤</li> <li>COVID-19肺炎に対する有効性及び安全性を評価する第Ⅱ相試験を実施</li> </ul>
コルヒチン	琉球大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>抗炎症作用を有する薬剤</li> <li>入院中の重症化因子を有する軽症及び中等症患者において、炎症反応亢進抑制作用を検討する治験を実施</li> </ul>
rhGM-CSF	ノーベルファーマ	<ul style="list-style-type: none"> <li>免疫機能調節により抗炎症効果を有する組換え顆粒球単球コロニー刺激因子</li> <li>COVID-19患者に対する効果を検討するための第Ⅱ/Ⅲ相試験を実施</li> </ul>
PDE阻害剤	ARTham Therapeutics	<ul style="list-style-type: none"> <li>抗炎症作用を有するホスホジエステラーゼ4型（PDE4）阻害薬</li> <li>尿中L-FABP濃度を用い重症化リスクの高い患者を同定し、本剤の効果を検討する第Ⅱ相試験を実施</li> </ul>
臍帯由来間葉系細胞	ヒューマンライフコード	<ul style="list-style-type: none"> <li>抗炎症効果と組織修復能を有する細胞療法</li> <li>重症例における急性呼吸窮迫症候群（ARDS）による呼吸不全改善を目指し第Ⅰ相試験を実施</li> </ul>

その他のAMED支援課題については、HPに掲載 ([https://www.amed.go.jp/news/topics/covid19\\_03.html](https://www.amed.go.jp/news/topics/covid19_03.html))

# AMED支援によるCOVID-19ワクチン開発の状況

## コロナワクチン開発の進捗状況（国内開発）＜主なもの＞

	基本情報	取り組み状況	目標 (時期は開発者から聞き取り)	生産体制の見通し	研究費
①塩野義製薬 感染研/UMNファーマ ※組換えタンパクワクチン	ウイルスのタンパク質（抗原）を遺伝子組換え技術で作成し人に投与	第Ⅰ/Ⅱ相試験を開始 (2020年12月)		2021年末までに3000万人分の生産体制構築を目標 生産体制等緊急整備事業で223億円を補助	<ul style="list-style-type: none"> <li>AMED (R1年度) 100百万円 感染研</li> <li>AMED (R2年度一次公募) 1,309百万円 塩野義</li> <li>AMED (R2年度二次公募)</li> </ul>
②第一三共 東大医科研 ※mRNAワクチン	ウイルスのmRNAを人に投与人体の中でウイルスのタンパク質（抗原）が合成される	第Ⅰ/Ⅱ相試験を開始 (2021年3月)		生産体制等緊急整備事業で60.3億円を補助	<ul style="list-style-type: none"> <li>AMED (R1年度) 150百万円 東大医科研</li> <li>AMED (R2年度二次公募)</li> </ul>
③アンジェス 阪大/タカラバイオ ※DNAワクチン	ウイルスのDNAを人に投与人体の中で、DNAからmRNAを介して、ウイルスのタンパク質（抗原）が合成される	第Ⅰ/Ⅱ相試験を開始 (大阪市立大、大阪大) 第Ⅱ/Ⅲ相試験を開始 (東京・大阪の8施設)	大規模第Ⅲ相試験を2021年内に開始の意向	タカラバイオ・AGC・カネカ等が生産予定 生産体制等緊急整備事業で93.8億円を補助	<ul style="list-style-type: none"> <li>厚労科研 (R1年度) 10百万円 大阪大</li> <li>AMED (R2年度一次公募) 2,000百万円 アンジェス</li> <li>AMED (R2年度二次公募)</li> </ul>
④KMバイオロジクス 東大医科研/感染研/ 基盤研 ※不活化ワクチン	不活化したウイルスを人に投与(従来型のワクチン)	第Ⅰ/Ⅱ相試験を開始 (2021年3月)		生産体制等緊急整備事業で60.9億円を補助	<ul style="list-style-type: none"> <li>AMED (R2年度一次公募) 1,061百万円 KMバイオロジクス</li> <li>AMED (R2年度二次公募)</li> </ul>
⑤IDファーマ 感染研 ※ウイルスベクターワクチン	コロナウイルスの遺伝情報をセンダイウイルスに載せて、経鼻又は注射で投与 人体の中でウイルスのタンパク質（抗原）が合成される	動物を用いた有効性評価を実施中	最短で2021年3月から臨床試験開始の意向		<ul style="list-style-type: none"> <li>AMED (R2年度一次公募) 124百万円 IDファーマ</li> </ul>
⑥VLP therapeutics 大阪市立大学/国際医療センター/医薬基盤研/大分大学 ※自己増殖RNAワクチン	レプリコン（自己複製RNA）を投与することで、細胞内でRNAが増殖し、高い抗原発現を誘導する	動物試験で強力な新型コロナウイルス中和抗体価の誘導を確認。感染動物での有効性評価を実施中	最短で2021年5月に臨床試験開始の意向	生産では、富士フィルムと連携	<ul style="list-style-type: none"> <li>AMED (R2年度二次公募)</li> </ul>

出典：厚生労働省ホームページ(令和3年3月末時点)を元に一部追加  
[https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/vaccine\\_00184.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/vaccine_00184.html)

1. 医薬品PJの概要
2. 令和2年度 医薬品PJの取組状況
3. 新型コロナウイルス感染症に対する取組
4. 医薬品PJに係る今後のAMEDの取組

# 医薬品PJに係る今後のAMEDの取組方針について

- 今年度、新モダリティに関する基盤整備等を進めてきており、次年度以降、こうした基盤を活用しつつ、横断的な技術や新たな技術の多様な疾患領域への効果的・効率的な展開を通じて、アカデミアの優れた成果が患者に届くよう支援を推進する。
- PDPSPO等の進捗管理により各研究者に実用化に対する意識が根付いてきており、成果目標に対する実績にも表れているが、引き続き、実用化の推進に取り組む。
- 第1回及び第2回の本協議会で、アカデミアと企業のギャップを埋める仕組みの構築に言及されている。AMEDでは、アカデミア研究者と企業有識者が自由にディスカッションできる「アカデミア医薬品シーズ開発推進会議(仮称)」の設置に向け、2月～3月にかけて企業有識者の募集を行った。本会議の速やかな稼働に向け、引き続き作業を進めていく。
- 新型コロナウイルス感染症に対するワクチン・治療薬開発については、課題運営委員会による綿密な進捗管理を実施しており、引き続き、いち早く患者に届けられるよう支援を進める。
- 創薬支援ネットワークにおいて、AMEDの疾患系事業との研究開発品目の双方の橋渡しなどの連携も含め、アカデミア創薬支援を引き続き推進する。
- 新規モダリティに係る研究開発を推進するとともに、連携して品質・有効性・安全性を評価するRS研究を推進し、新薬創出のための環境整備に努める。
- 第2回協議会において関係省庁より説明された事項のほか、バイオ製品の製造技術に係る人材育成や寄付金を活用した研究奨励事業など若手人材の育成の取組を進める。

(参考資料)

## AMEDの支援を受けた革新的な医薬品等の先駆け審査指定品目（開発中）

対象品目	Valemetostat	
指定を受けた申請者	第一三共株式会社	
適応疾患	再発又は難治性の末梢性T細胞性リンパ腫 小児SWI/SNF複合体の機能喪失変異を有するがん（小児悪性腫瘍）	
概要	エピジェネティクス領域の低分子医薬品で、遺伝子の発現を抑制するヒストンメチル化酵素であるEZH1及びEZH2を阻害する。第Ⅱ相試験実施中。	
課題名	医療分野研究成果展開事業「ヒストンメチル化酵素EZH1/2の二重阻害による革新的がん根治療法の開発」	臨床研究・治験推進研究事業「小児・AYAがんに対する国内開発のEZH1/2阻害剤の臨床開発」
研究代表者名	北林 一生	小川 千登世
所属機関および役職	国立がん研究センター研究所 造血器腫瘍研究分野 分野長	国立がん研究センター 中央病院小児腫瘍科・科長
事業名	医療分野研究成果展開事業 産学連携医療イノベーション創出プログラム	臨床研究・治験推進研究事業

対象品目	CNT-01	
指定を受けた申請者	大阪大学医学部附属病院（トーアエイヨー株式会社と契約締結）	
適応疾患	中性脂肪蓄積心筋血管症の症状及び予後改善	
概要	中性脂肪蓄積心筋血管症（心血管系の主たるエネルギー源である長鎖脂肪酸が利用できず、細胞内に中性脂肪が蓄積することに起因して、重症心不全、不整脈、虚血性心疾患等を呈する予後不良の重篤な疾患）に対し、中鎖脂肪酸をカプセル化した医薬品を開発中。第Ⅱ相試験実施中。	
課題名	中性脂肪蓄積心筋血管症に対する中鎖脂肪酸を含有する医薬品の開発	
研究代表者名	平野 賢一	
所属機関および役職	国立大学法人大阪大学大学院医学系研究科 中性脂肪学共同研究講座 特任教授	
事業名	難治性疾患実用化研究事業	

上記のほか、デュシエンヌ型筋ジストロフィー（DMD）に対する核酸医薬品ビルトラルセンが令和2年3月に承認

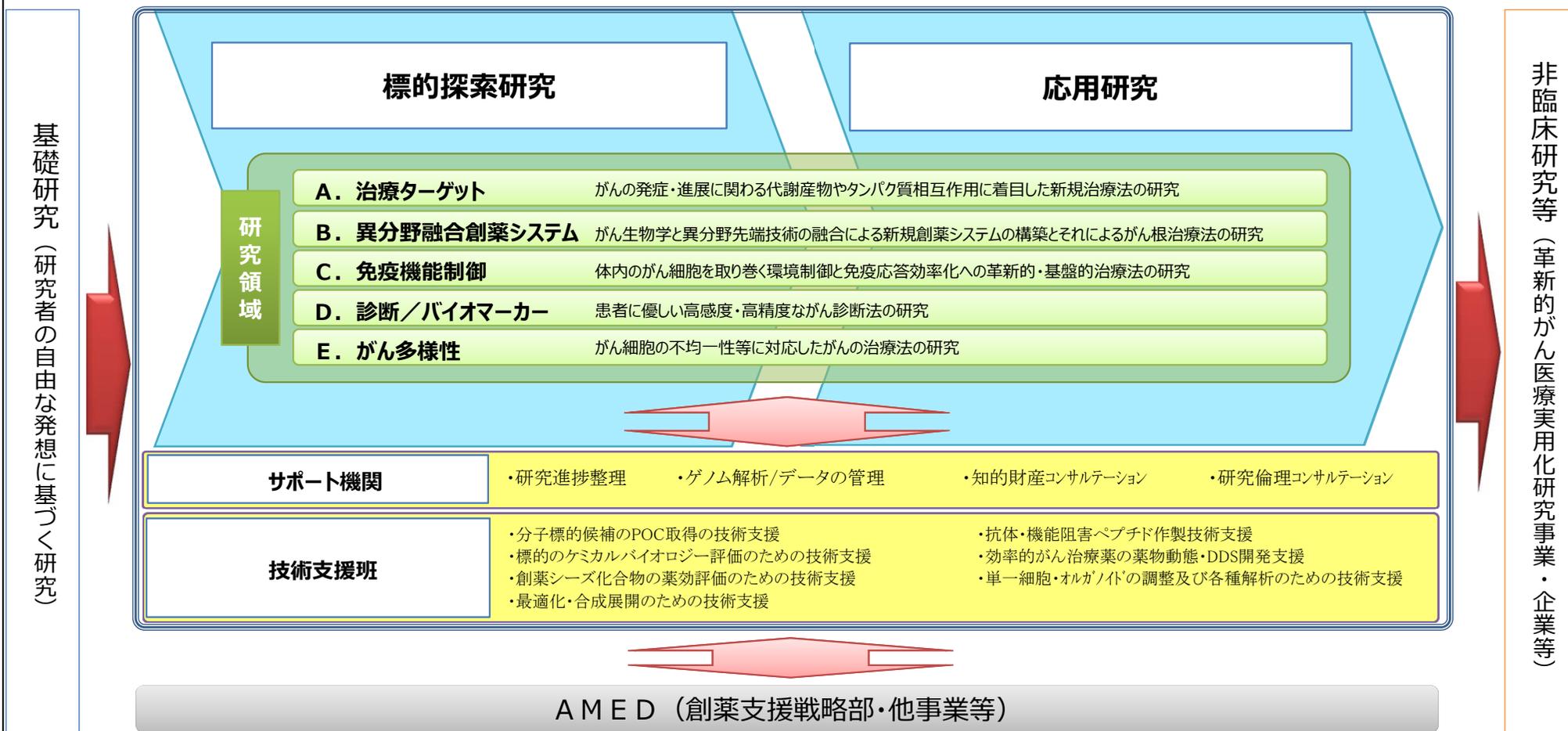
## 背景・課題

- 我が国の死亡原因の1位であるがんの新たな治療法・診断法の開発は課題であり、健康・医療戦略(令和2年3月閣議決定)及び医療分野研究開発推進計画(令和2年3月健康・医療戦略推進本部決定)において、がんの本態解明に係る基礎研究から実用化に向けた研究の推進が掲げられている。

## 事業概要・令和3年度予算(案)のポイント

がんの生物学的な本態解明に迫る研究、がんゲノム情報など患者の臨床データに基づいた研究及びこれらの融合研究を加速し、画期的な治療法や診断法の実用化に向けて、早期段階で製薬企業等への導出を目指す。

### 【事業スキーム】



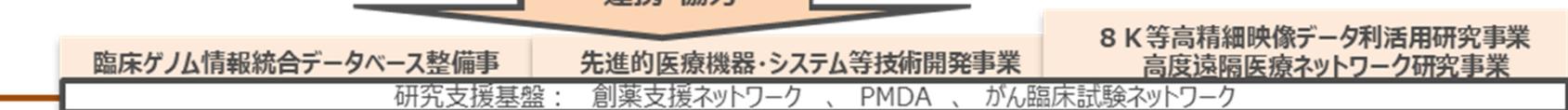
# 革新的がん医療実用化研究事業 事業概要



## 革新的がん医療実用化研究事業（厚生労働省）R2年度 86.7億円

革新的がん医療実用化研究事業は「がん研究10か年戦略」で掲げられた以下の6領域に設定され、革新的な予防、早期発見、診断、治療等、がん医療の実用化を目指した、主に応用領域後半から臨床領域にかけての研究事業である。  
 本事業では、「がん研究10か年戦略」を踏まえて、我が国の死亡原因の第一位であるがんについて、患者・社会と協働した研究を総合的かつ計画的に推進することにより、がんの根治、がんの予防、がんとの共生をより一層実現し、「がん対策推進基本計画」の全体目標である「がんによる死亡者の減少」、「全てのがん患者とその家族の苦痛の軽減と療養生活の質の維持向上」、「がんになっても安心して暮らせる社会の構築」を達成することを目指す。

次世代がん医療創生研究事業

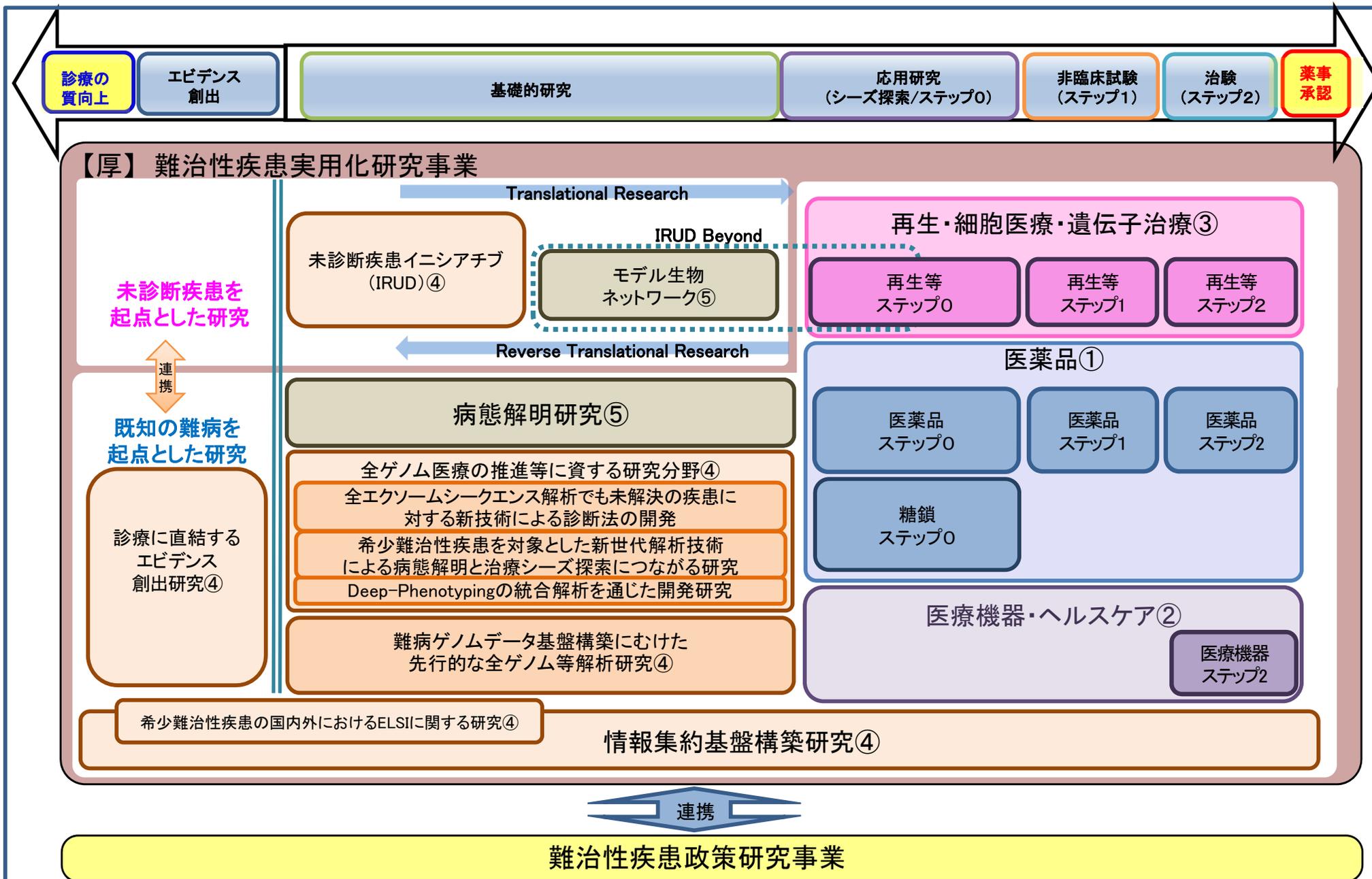


### 各プロジェクトでの主な研究内容：

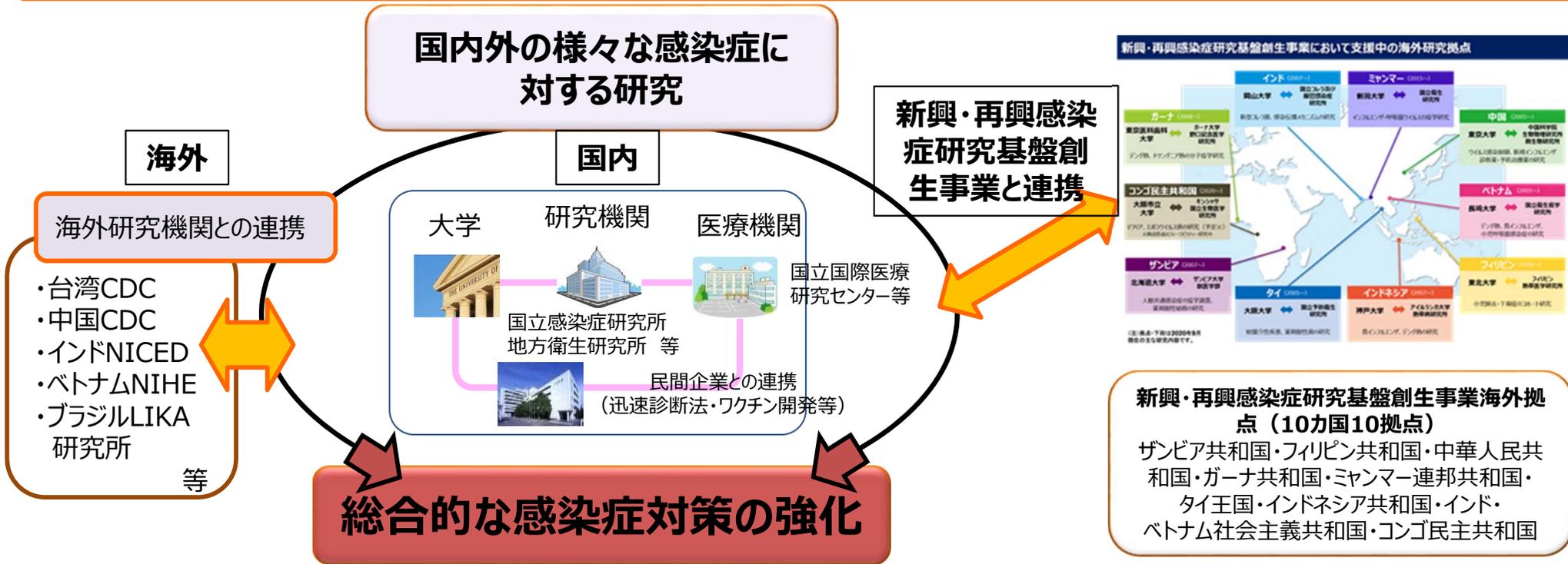
- 【**医薬品**】個別化治療に資する診断薬・治療薬の研究開発や難治性がん、希少がんなどを中心とした、国外適応外薬や未承認薬の実用化を目指した臨床試験
- 【**医療機器**】治療効果の高い低侵襲治療を可能とする先端技術等を応用・実装した医療機器の研究開発
- 【**再生・細胞医療・遺伝子治療**】がん免疫（細胞）療法、遺伝子治療、ウイルス療法等、ゲノム編集技術等を活用した新たな治療法の研究開発
- 【**ゲノム・データ基盤**】難治性のがんの早期発見を可能とするイメージング技術や放射線治療技術の研究開発、治療の有効性または治療の安全性・QOLの向上を目指した新たな標準治療確立のための多施設共同臨床試験、ライフステージやがんの特性に着目した小児、AYA、難治性、高齢者のがんの標準治療確立のための多施設共同臨床試験
- 【**疾患基礎研究**】がんの本態を構成する生物学的な特性について、特に個体におけるがん細胞・がん組織の特性を明らかにすることで新たな医療シーズの開発に資する研究

# 難治性疾患実用化研究事業

①医薬品プロジェクト②医療機器・ヘルスケアプロジェクト③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト④ゲノム・データ基盤プロジェクト⑤疾患基礎研究プロジェクト



# 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



国内外の様々な感染症に関する疫学的調査及び基礎研究並びに基盤技術の開発等を実施し、感染症対策の強化を推進するとともに、診断薬、治療薬及びワクチン等の創薬研究開発を一体的に推進する

## <研究課題>

- 感染症サーベイランス、病原体データベース、感染拡大防止策等の総合的な対策に資する研究
- ワクチンの実用化及び予防接種の評価に資する研究
- 新興・再興感染症の診療体制の確保に資する研究
- 感染症に対する診断法、治療法の実用化に関する研究
- 新興・再興感染症に対する国際ネットワーク構築に資する研究

# 腎疾患実用化研究事業

## 目的・概要

○国民の生命や生活の質に支障を来す腎疾患に関する研究の一層の充実を図るため、エビデンスに基づくガイドラインの作成及び更新並びに病態の解明及び治療法開発を行い、新規透析導入患者の減少を目指す。

## 評価・管理体制

OPS、PO  
 ・プログラムスーパーバイザー(PS)  
 東邦大学 腎臓学講座 名誉教授 **相川 厚**

・プログラムオフィサー(PO) (五十音順)  
 東京女子医科大学 腎臓内科学講座 教授 **内田 啓子**  
 順天堂大学 メディカルアーツ研究室 准教授 **西崎 祐史**  
 名古屋市立大学 腎臓内科学分野 教授 **濱野 高行**

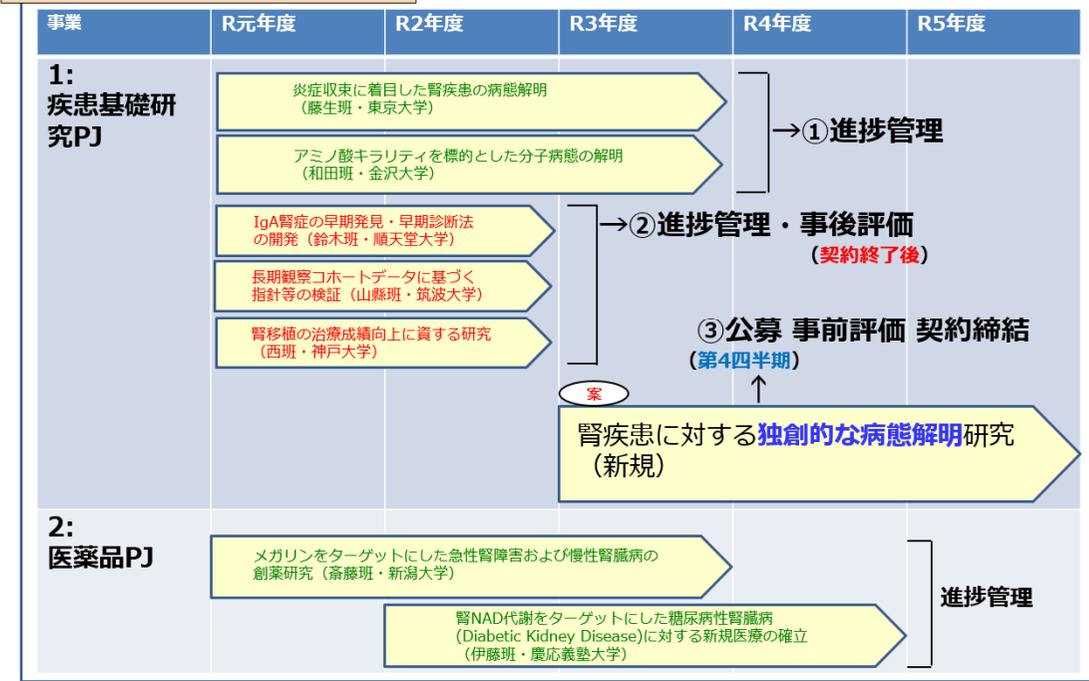
※本事業の事業推進、導出活動、成果の公開・利用方策検討及び年次評価を含めた進捗管理を実施します。

○課題評価委員会  
 本委員会では、本事業の研究開発課題評価の事前評価、中間評価、事後評価、追跡評価を実施します。

# 担当事業

○研究開発期間: 最長3年(成果に応じて変更の可能性あり)  
 ○「今後の腎疾患対策のあり方について(腎疾患対策検討会報告書(平成20年3月))」、「腎疾患対策のあり方について」(平成30年7月)を踏まえ、慢性腎臓病(CKD)重症化予防、患者QOLの維持向上のための研究開発を推進する。

## 【腎】事業 課題一覧 今年度予定



月	4	5	6	7	8	9	10	11	12	1	2	3	
継続課題	ヒアリング用調査票提出	第1回PS/POミーティング PSPOヒアリング	(適宜) 班会議・サイトビジット				第2回PS/POミーティング	(適宜) 班会議・サイトビジット			第3回PS/POミーティング	成果報告会(合同開催検討)	成果報告書提出準備
新規公募	■: 課題研究者の作業を伴う業務 □: それ以外の事業運営業務								評価報告書提出・中間/事後評価委員会	次年度計画書・成果報告会抄録提出	契約可否決裁/継続契約締結準備		
									新規公募	書面審査	事前評価委員会		

# 免疫アレルギー疾患実用化研究事業

## 目的・概要

免疫アレルギー疾患に対して、

- 病因・病態の解明等に関する研究
- 予防、診断及び治療法に関する基礎的研究の成果・シーズを新規創薬、医療技術等実用化につなげる開発研究を進め、患者のQOLの維持・向上を目指す。

アレルギー疾患領域

- アトピー性皮膚炎
- 気管支喘息、花粉症、アレルギー性鼻炎、
- アレルギー性結膜炎
- 食物アレルギー、薬剤アレルギー
- その他アレルゲンに起因する免疫反応に係わる疾患

免疫疾患領域

- 関節リウマチや皮膚・粘膜臓器の異常に起因する疾患等、何らかの免疫反応が関与する疾患

## 評価・管理体制

○ PS、PO

・ プログラムスーパーバイザー (PS)  
飯塚 一 医療法人社団廣仁会札幌乾癬研究所 所長

・ プログラムオフィサー (PO) (五十音順)  
足立 雄一 富山大学 医学系長・医学部長・教授  
小池 隆夫 医療法人清仁会  
北海道内科リウマチ科病院 最高顧問  
竹中 洋 京都府立医科大学 学長  
多田 弥生 帝京大学医学部 教授  
玉利 真由美 東京慈恵会医科大学 教授

○ 課題評価委員会

本委員会では、免疫アレルギー疾患実用化研究事業の研究開発課題評価の事前評価、中間評価、事後評価、追跡評価を実施します。

## 担当事業

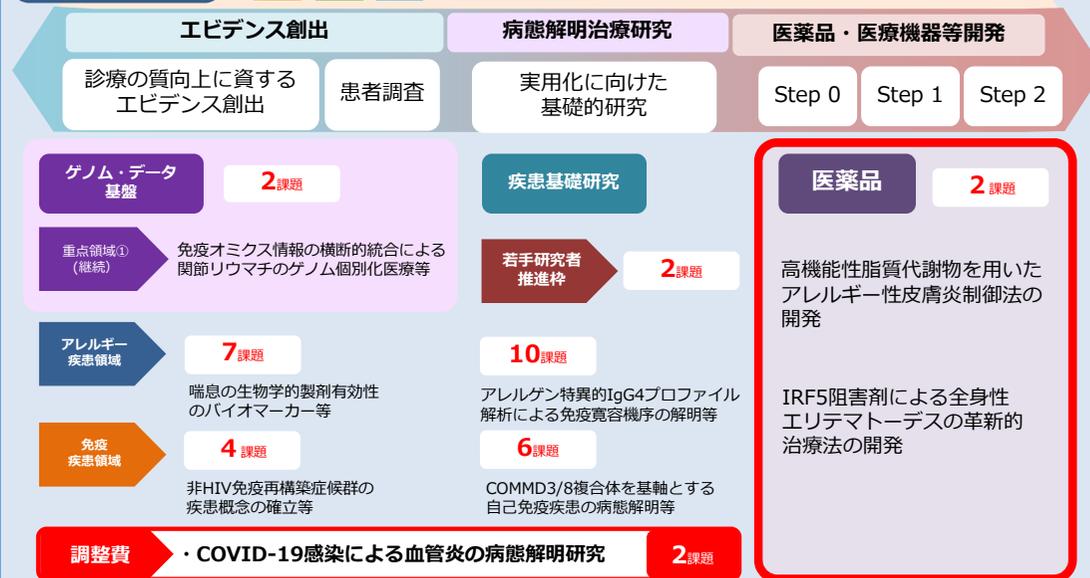
○研究開発期間：最長3年間(成果に応じて変更の可能性あり)

令和2年度  
全35課題



「免疫アレルギー疾患研究10か年戦略」

厚労省政策研究班等と連携した戦略に基づく研究開発の推進



# 肝炎等克服実用化研究事業

## ① 肝炎等克服緊急対策研究事業

## ② B型肝炎創薬実用化等研究事業

### 目的・概要

○ウイルス性肝炎は国内最大級の感染症であり、放置すると肝硬変、肝がんといった重篤な病態に進行する。この克服のために、肝炎に関する基礎から臨床研究までの一貫した研究を推進し、肝炎治療実績の大幅な改善につながる成果の獲得を目指す。これにより健康長寿社会の実現に寄与する。

○B型肝炎や肝硬変等の治療を目指した基盤技術の開発を含む創薬研究や治療薬の実用化研究等を進め、B型肝炎に対する画期的な新規治療薬の開発を行う。また肝硬変・肝がんへ進行する機序の解析を進め、新規治療薬・治療法の開発を加速し、肝炎治療効果の向上を図る。

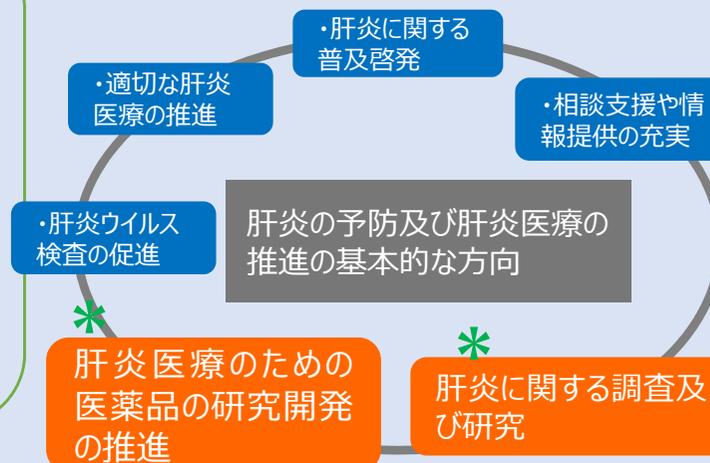


### 担当事業

#### 背景

- 全国で**300~370万人**といわれるB・C型肝炎ウイルスの推定持続感染者
- 国内**最大の感染症**
- 肝硬変・肝がんへの進行
- 全国で年間約4万人といわれる**肝硬変・肝がん**による死亡者数

#### 肝炎対策基本指針 (H28年6月30日改正)



### 評価・管理体制

#### OPS、PO

- |                     |                       |       |
|---------------------|-----------------------|-------|
| ・プログラムスーパーバイザー (PS) | 関西労災病院 病院長            | 林 紀夫  |
| ・プログラムオフィサー (PO)    | 千葉大学 総合安全衛生管理機構機構長    | 今関文夫  |
|                     | 日本大学医学部 客員教授          | 江角眞理子 |
|                     | 地域医療機能推進機構 千葉病院 診療部長  | 西郷健一  |
|                     | 中国疾病予防控制中心            |       |
|                     | STD/エイズ予防・制圧センター 客員教授 | 武部 豊  |
|                     | 東京医科歯科大学 准教授          | 中川美奈  |
|                     | 国立遺伝学研究所 所長           | 花岡 文雄 |

#### ○公開報告会

年一回、肝炎等克服実用化研究事業の成果を一般市民、製薬関係などに報告する。

#### ○課題評価委員会

本委員会では、肝炎等克服実用化研究事業の研究開発課題評価の事前評価、中間評価、事後評価、追跡評価を実施する。

### \* AMED事業

#### < 臨床研究 > < 基礎研究 >

- C型肝炎治療の新たな展開に対応する研究
- 慢性肝炎から発癌に至るまでの病態解明及びその制御につながる新規技術に関する研究
- 肝硬変の**肝機能改善**につながる医療技術に関する研究
- 肝発がん機構の解明や**肝発がん抑制**に関する研究
- 肝炎ウイルスの感染複製増殖機構及び病態発現機構に関する研究
- **治療の標準化**に関する研究
- NAFLD/NASHの病態解明や治療等に関する研究
- 肝炎領域の新たな知見の創出や新規技術に関する研究 等

#### < B型肝炎創薬実用化研究事業 >

- B型肝炎の画期的な**新規治療薬の開発**を目指し、基盤技術の開発を含む**創薬研究**や、治療としての実用化に向けた総合的な臨床研究等を引き続き推進

実用化のための研究を基礎段階から切れ目無く推進



# BIRTHDAY 成育疾患克服等総合研究事業

Project for Baby and Infant in Research of health and Development to Adolescent and Young adult

人は各々、受精・妊娠期に始まり、胎児期、新生児期、乳幼児期、学童期、思春期、性成熟期、成人期、更年期及び老年期までそれぞれのライフステージに位置し、各々のステージにおける健康課題が存在します。

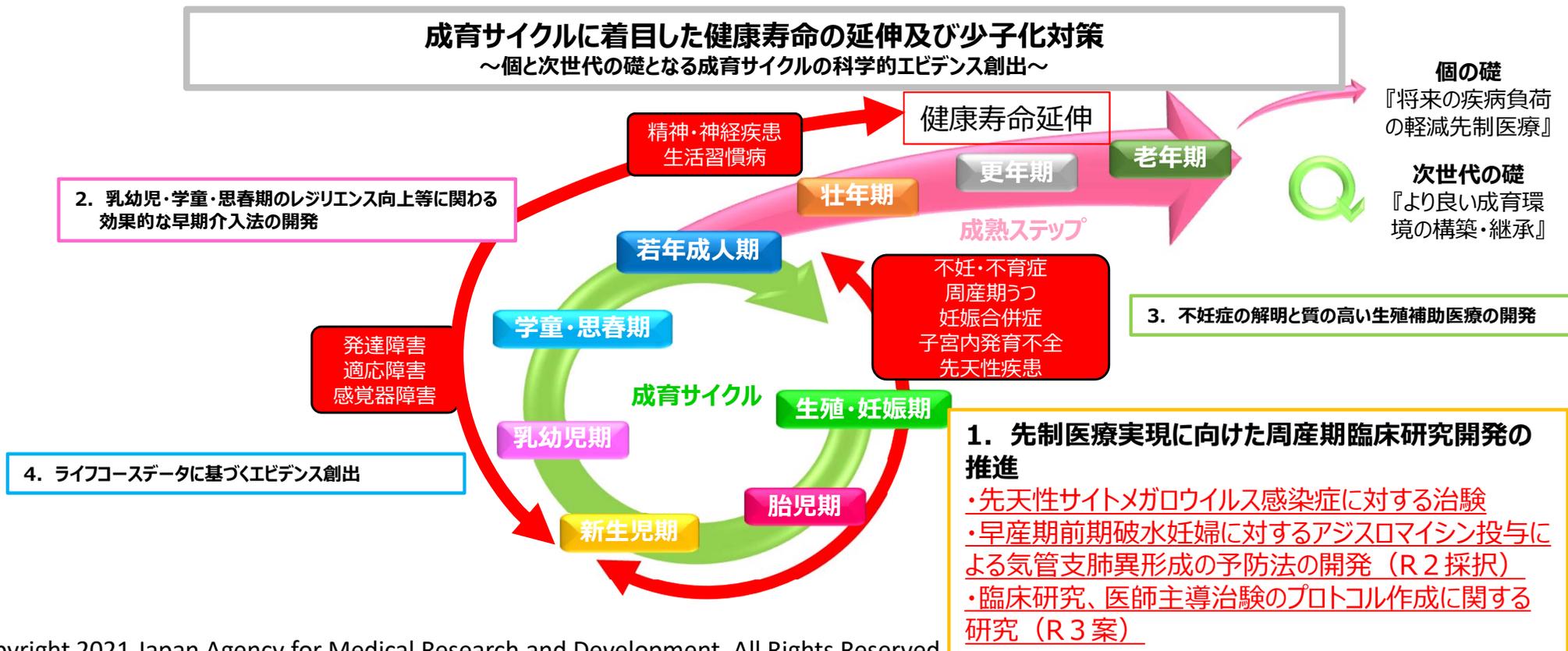
本事業では、受精・妊娠から胎児期、新生児期、乳幼児期、学童期、思春期、性成熟期、生殖期それぞれのライフステージと、次の世代を創出し育成する一連のサイクルである「成育サイクル」それぞれの観点での健康課題克服に向け、生涯にわたる健康の礎をなす妊娠期、小児期の心身の健康課題や、近年の社会及び家庭環境の変化等により急激に増加し多様化している課題の解決を目標とし、病態の解明と予防および治療のための研究開発とその実用化を推進します。

## プログラムスーパーバイザー（PS）・プログラムオフィサー（PO）

PS 和田 和子 (大阪府立病院機構 大阪母子医療センター 部長)	PO 飯島 一誠 (神戸大学 小児科 教授)
PO 五十嵐 隆 (国立成育医療研究センター 理事長)	PO 金山 尚裕 (浜松医科大学 理事・副学長)
PO 多屋 馨子 (国立感染症研究所 感染症疫学センター 第3室長)	PO 吉村 泰典 (吉村やすのり生命の環境研究所 代表理事)

## 成育サイクルに着目した健康寿命の延伸及び少子化対策

～個と次世代の礎となる成育サイクルの科学的エビデンス創出～



## 概要

- 革新的な医薬品、医療機器の開発には、大学等と企業（ベンチャー企業やものづくり技術を有する中小企業等も含む）との産学連携の推進が重要であり、イノベーションの創出に向けて産学連携を戦略的に展開することが必要。
- このため、産学が連携して医療分野の技術課題を解決し、大学等の研究成果の実用化を加速することにより、医療分野における革新的なイノベーションを創出する。

## 【令和3年度要求のポイント】

- 挑戦的なシーズの実用化・事業化に向けた産学連携のボトルネックへの重点的支援により、研究開発期間終了後に連携企業による本格的な事業化のステージへの展開を目指す。
- AMEDの他事業にて支援を行ってきた優れた研究開発課題等について、更なるマネージメント改善を図り、企業への導出を推進する。

### セットアップスキーム（ACT-Ms）

支援額；20百万円／年、支援期間；2年間

- セットアップ企業と連携した事業化への大学等の取組を推進
  - ・大学等：ボトルネックの解消のための研究開発（「ブラッシュアップ研究」）を実施
  - ・セットアップ企業：知財特許網※の構築、「ブラッシュアップ研究」の戦略、導出のためのビジネスモデル、資金調達戦略を策定
- 研究費は大学等のみに支援

※特許網構築とは、製品化に必要な特許出願のほか、必要であれば関連特許のライセンス取得。

### 基本スキーム（ACT-M）

支援額；50百万円／年、支援期間；3年間

- 大学等と企業の産学連携で構成される研究開発チームによる目標達成に向けた課題解決研究を実施
- 課題提案は大学等と企業の共同提案を必須とし、大学等と企業の役割分担（企業側の費用負担等、リソース提供も含む）も評価、研究開発段階に応じた企業からのリソース提供を増やす仕組みを構築
- 研究費は大学及び企業等に支援

## 研究テーマ：

- オープンイノベーションによる革新的な新薬の研究開発
- 急激な少子高齢化社会を支える  
革新的医療技術・医療機器の研究開発

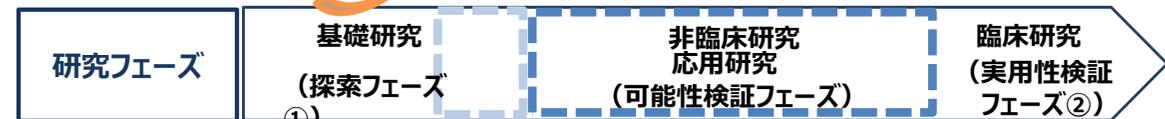


企業の関与  
高  
低

産学連携により  
ライセンスアウト  
事業化を促進

ACT-Ms

基本スキーム



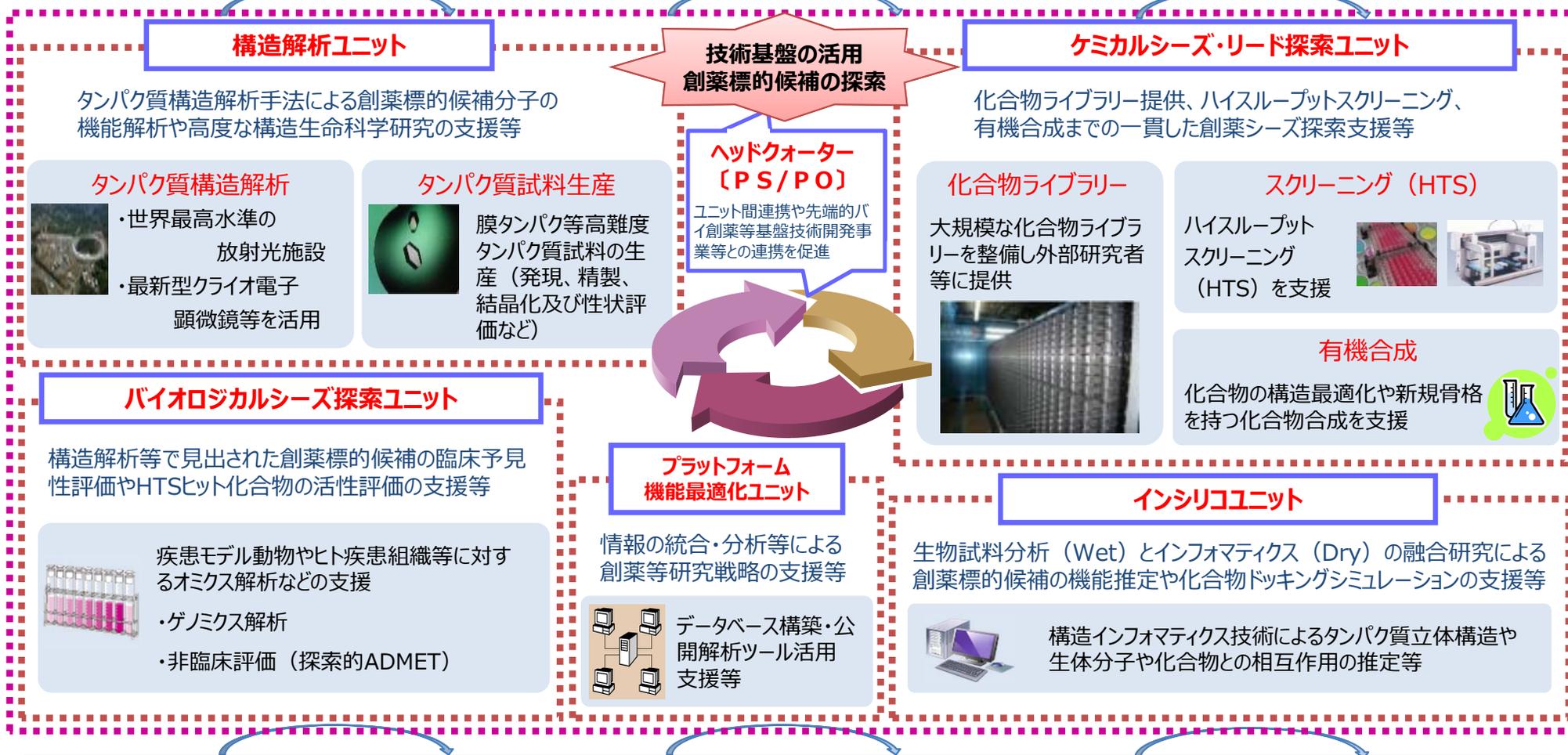
①…探索フェーズのみ実施する研究は対象外。②…治験のみ実施する研究は対象外。

# 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業

## 概要

我が国の優れた基礎研究の成果を医薬品等としての実用化につなげるため、創薬等のライフサイエンス研究に資する高度な技術や施設等を共用する先端研究基盤を整備・強化して、大学・研究機関等による創薬標的探索研究や作用機序解明に向けた機能解析研究等を支援する。

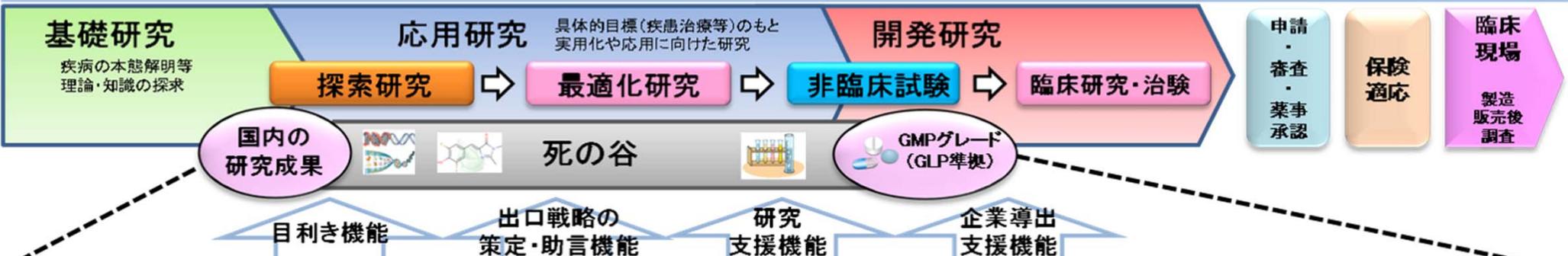
創薬支援ネットワーク、先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業等のAMED事業、製薬企業やベンチャー等との連携協力



幅広いライフサイエンス研究者による基礎研究

# 「創薬支援推進事業（創薬支援ネットワーク）」の概要

「創薬支援ネットワーク」は、大学等の優れた基礎研究の成果を医薬品として実用化に導くため、日本医療研究開発機構創薬事業部が本部機能を担い、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所等との連携により、革新的医薬品の創出に向けた研究開発等を支援する。



## 創薬支援ネットワーク

目利き機能

出口戦略の策定・助言機能

研究支援機能

企業導出支援機能

### 【日本医療研究開発機構 創薬事業部】（本部機能）

- ・有望シーズの調査、評価、選定
- ・知財戦略の策定、知財管理支援

- ・ 出口戦略の策定、助言
- ・ 製薬企業等への導出、医師主導治験への橋渡し 等

- ・ 応用研究等の支援

#### 【理化学研究所】

SACLA・SPRING-8・京コンピュータ等によるタンパク構造解析、インシリコスクリーニング等の研究基盤技術を利用した一貫した創薬プロセスの支援

#### 【医薬基盤・健康・栄養研究所】

創薬デザイン研究センターを中心に技術支援を実施。  
 ・抗体・人工核酸のスクリーニングと同時に、最適化のプロセスまで実施等

#### 【産業技術総合研究所】

計測基盤技術・ツールを用いた探索研究および最適化研究の実施  
 【次世代天然物化学技術研究組合】  
 世界最大級の天然化合物ライブラリー

### 【創薬連携研究機関】

創薬に必要な研究プロセスを支える研究機関等

日本医療研究開発機構の他プロジェクト、他事業との連携強化を図り、革新的医薬品の創出を目指す

# 「創薬支援推進事業」の創薬支援効率化に関する取組み

## ○ 民間企業のアセット活用

- 製薬企業各社が保有する化合物や情報などの各種アセットを公的機関であるAMEDが集約し、一定のルールの下で産学が共同で活用する基盤整備を進めている。

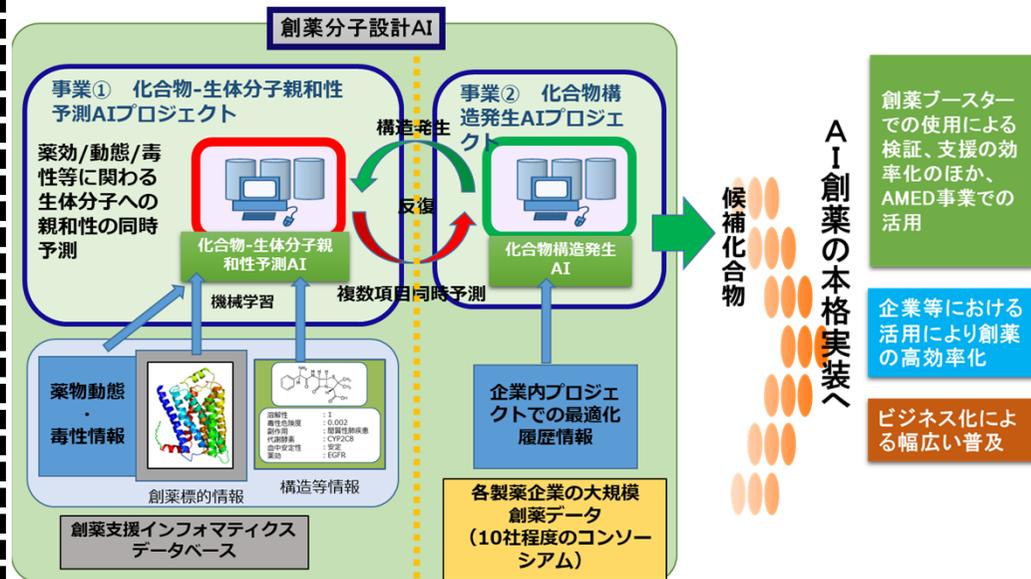
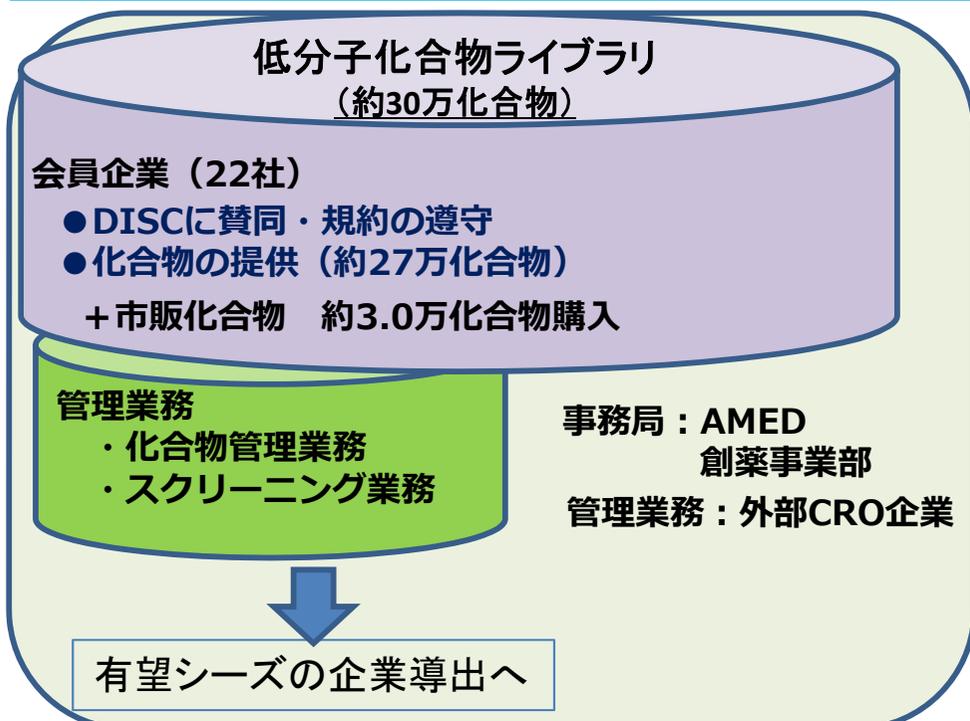
### ① 産学協働スクリーニングコンソーシアム (DISC)

※ Drug discovery Innovation & Screening Consortium

- 企業化合物を主体とするスクリーニングシステムの構築
- 約30万化合物のライブラリ構築（うち製薬企業22社から約27万の低分子化合物を提供・約3.0万の市販化合物を購入）、創薬支援ネットワークで活用・導出を目指す
- これまでにDISC由来の創薬シーズ3件を企業導出

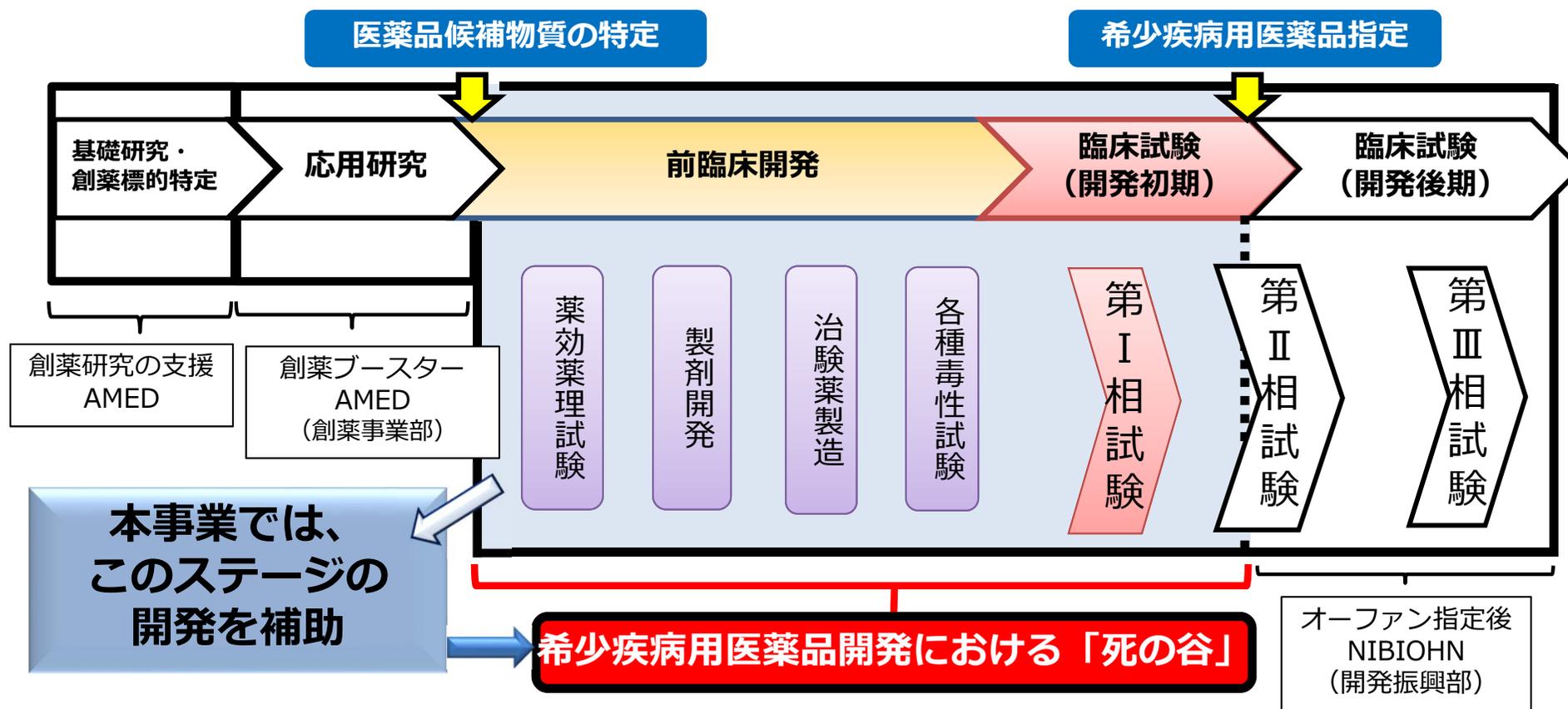
### ② 産学連携による次世代創薬AI開発

- 産学の保有する生体分子群と化合物群の親和性データや企業の化学研究者が持つ構造最適化に関する経験知データ等、創薬研究における多面的で膨大なデータを広く集約することで、産学が利用可能な化合物設計AIを開発する。



■多様なモダリティ対応として、今年度より、中分子化合物ライブラリーの運用も開始する。

# 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



- ◆ オープン指定前の幅広い開発【非臨床～臨床試験（PⅡ）】ステージにおける企業等への支援・助成の仕組みとして、平成27年度より、AMEDにおいて、企業等を対象にした **希少疾病用医薬品指定を受ける可能性のある品目の開発費の補助事業を開始**
- ◆ **補助対象には、ドラッグ・リポジショニングの開発も含まれる**

## 概要

- 世界最先端医療のひとつであり、**世界市場が約2012億ドルに達するバイオ医薬品は**、世界の医薬品売り上げ上位100品目のうち34品目を占めているが、そのうち**日本発は2品目**。(※バイオ医薬品:有効成分が生物由来物質を基に作成される医薬品)
- 先端的医薬品等開発における**我が国の国際競争力を確保するためには、アカデミアの優れた技術シーズを用いて革新的な基盤技術を開発し**、企業における創薬につなげていくことが必要。
- サイエンスに立脚した**バイオ創薬技術及び遺伝子治療に係る基盤技術開発や、要素技術の組合せ、最適化による技術パッケージを確立し、企業導出を目指す**。

## 【令和3年度予算(案)のポイント】

- ・ 感染症を含む様々な疾患に対するワクチン開発を推進するための基盤技術開発を推進。

## ■ 対象分野

### 複合型技術

下記(i)～(v)に示す領域における基盤技術(要素技術)を、特定の疾患・標的に合わせ、複数の技術を組み合わせる等により最適化する研究

### 要素技術

#### (i) 遺伝子導入技術等を利用した治療法の基盤技術

遺伝子治療、免疫細胞療法等



#### (ii) 遺伝子発現制御技術を利用した治療法の基盤技術

ゲノム編集、核酸医薬等



#### (iii) バイオ医薬品の高機能化に資する基盤技術

抗体、糖鎖修飾タンパク質、中分子等



#### (iv) ワクチンの基盤技術開発【新規】

有効性の高い核酸型ワクチン開発、ワクチン効果の増強法や持続性研究、ワクチンの安全性研究、ワクチンの大量調製・安定供給等



#### (v) (i)～(iv) に代表されるバイオ創薬研究や治療法開発等の周辺基盤技術

効果・安全性評価、イメージング、分子構造解析技術等



(図: © 2016 DBCLS TogoTV)

## ■ 実施スキーム(課題設定等)

大型・複合型研究開発課題  
(要素技術の組み合わせ等)

5課題 5年間

個別要素技術に関する研究開発課題

16課題 5年間

2課題程度 3年間【新規】

次世代技術に関する萌芽的研究開発課題

6課題 3年間(※)

※事後評価において著しい進展が認められた課題については、大型・複合型研究課題の一部になる等により2年間の延長が認められる場合あり。

PS/POの下、知財・導出戦略、研究課題間の連携を支援

支援班

1課題 5年間

## 事業概要（背景・目的）

我が国は、世界に冠たる平均寿命の長い国となる中、疾病の予防、早期診断、早期治療に関する国民の期待は大きく、質の高い医療の提供を通じて「健康寿命」の延伸に向けた取組が重要となる。医薬品の創出の迅速化を目指すためには、医薬品の開発過程を迅速化・効率化するための基礎技術に係る研究の推進が必要であり、本研究事業では、創薬の基盤技術に関する研究を支援する。引き続きGAPFREE型の産学官連携を介して創薬研究の振興を推進する。また、新規モダリティ医薬品研究に必要な基盤整備等に注力して革新技术創出を支援する。

## 評価・管理体制

### ○PD、PS、PO

・プログラムディレクター（PD）

国立大学法人 山梨大学

副学長 岩崎 甫

・プログラムスーパーバイザー（PS）

独立行政法人 国立精神・神経医療研究センター 神経研究所

名誉所長 高坂 新一

・プログラムオフィサー（PO）

国立大学法人 九州大学

理事・副学長、特任教授 井上 和秀

学校法人 東京薬科大学 薬学部医療薬物学科薬事関係法規研究室

教授 益山 光一

### ○課題評価委員会

本委員会では、創薬基盤推進研究事業の研究開発課題評価の事前評価、中間評価、事後評価を実施。

産学連携による  
医薬品開発  
の促進

創薬基盤技術  
の開発

薬用植物に関  
する研究

## (I) 医薬品の開発過程の迅速化・効率化等の創薬基盤技術の開発

### <基盤技術研究>

- ・次世代創薬シーズライブラリー構築プロジェクト
- ・生物資源、モデル動物等の基盤整備に関する研究
- ・ワクチン・アジュバントの基盤技術開発
- ・ヒト細胞培養等のための技術確立
- ・中分子化合物を活用した創薬研究
- ・中分子医薬品等の新規ドラッグデリバリーシステムの開発
- ・中分子医薬品等の活性評価技術開発
- ・医薬品製造工程の高度化（フロー精密合成・連続生産等）
- ・創薬技術向上のための評価系の確立

### <新規モダリティの創薬デザイン技術開発>

- ・低分子医薬品の次世代デザイン手法に関する研究
- ・PPIに着目した核酸、ペプチド医薬品等のデザイン研究
- ・抗体の高度化・低分子量化を目指した研究

### <臨床情報に基づく創薬研究>

- ・医薬品・医療機器等の最適実用化促進のための評価技術基盤研究
- ・臨床エビデンスに基づいた創薬ターゲット研究

### <人材育成>

- ・ドラッグデザイン研究のためのComputational Medicinal Biologistの育成
- ・バイオ医薬品の先端製造技術、品質管理手法等に関わる人材育成プログラムの開発
- ・バイオ製造法を伴うワクチン等の高度生産技術等に関わる人材育成プログラムの開発

## (II) 産学官連携研究

### ・産学官共同創薬研究プロジェクト（GAPFREE）

（革新的新薬の開発に向けて、アカデミアにおける臨床情報や先進的な技術と製薬企業における創薬ノウハウをつなげる研究スキームを確立していくもの）

### ・産学官共同創薬研究プロジェクト（GAPFREE2）

（既存薬をツール化合物として、これを用いた介入試験から創薬研究を開始し、臨床予測性を飛躍的に向上させるもの）

### ・産学官共同創薬技術活用プロジェクト（GAPFREE3）

（アカデミアの持つ先進的な創薬技術を活用し、開発が滞っている医薬品を効率良く革新的な開発につなげるもの）

### ・産学官共同臨床情報利活用プロジェクト（GAPFREE4）

（アカデミアにおける良質な臨床検体収集体制や高質なデータベースを企業が活用できる基盤を整備し、産学の共同研究を介して疾患解析とともに創薬研究につなげる）

### ・薬用植物国産化・利活用促進プロジェクト

### ・医薬品等の実用化促進のための評価技術基盤開発

### ・医薬品等の実用化促進のための評価技術開発に向けた創薬ニーズ等調査研究

## (III) 薬用植物の新たな育種、栽培、生産技術等に関する研究

- ・国内自給率向上に向けた薬用植物の新たな育種、栽培、生産技術に関する研究
- ・薬用植物国内栽培・利活用促進課題

# 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業

令和3年度予算額（案） **62.9億円（59.0億円）**

## 事業の内容

### 事業目的・概要

- 医療の課題として、患者の方々のQOL（Quality of Life）を向上させるとともに、医療費増加の抑制を図る必要があります。
- こうした背景から、個人差を踏まえたより効能の高い治療を実現する「個別化医療」の推進に向けて、日本医療研究開発機構を通じた医療基盤の技術開発を行い、医療分野の産業発展に貢献します。
- 具体的には、「個別化医療」を推進する技術開発として、
  - ①新モダリティとして注目される核酸を標的とした医薬品の創薬技術
  - ②国際競争力のある次世代抗体医薬品の製造技術
  - ③奏効率の低い抗がん剤等に対する患者層別化マーカー探索技術
  - ④マイクロバイーム制御による次世代治療技術
 等の研究開発を進めるとともに、新型コロナウイルス感染症等にも対応したバイオ医薬品の国内製造技術基盤の確立にもつなげていきます。

### 成果目標

平成27年度から令和8年度までの13年間の事業であり、我が国発の診断技術・創薬基盤技術の実用化を図ります。具体的には、

- 令和10年度までに、特定の医薬品の奏効率を向上させる診断薬・診断機器の薬事申請3件
- 令和10年度までに、開発した技術を利用したマイクロバイーム改善医薬品シーズの前臨床試験の実施件数3件 等を目指します。

### 条件（対象者、対象行為、補助率等）



## 事業イメージ

### ①核酸標的創薬技術開発

RNA等を標的とした医薬品

品質データ分析  
構造解析等

新しい創薬分野として注目されている核酸医薬品の品質向上に資する分析・評価技術、さらには核酸の立体構造情報取得に関する基盤技術等を開発します。  
**核酸を標的とした我が国発の医薬品が幅広く市場化される環境の構築を目指します。**

### ②国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発

抗体

抗がん剤

RI

今後の市場成長が見込まれる次世代抗体医薬品等のバイオ医薬品について、国産の抗体生産細胞技術の確立や実用化を見据えた技術開発を行います。  
**次世代抗体医薬品を含めた、国産の抗体製造技術プラットフォームの幅広い実用化を目指します。**

### ③患者層別化マーカー探索技術の開発

患者によって効果が大きく異なる抗がん剤等の薬剤に対し、効果を奏する患者を選択するためのバイオマーカーを探索する基盤技術を開発します。  
**診断薬・診断機器の開発加速、効率的な治験、さらには医療費増加の抑制を目指します。**

バイオマーカーにより、効果を奏する患者を選別

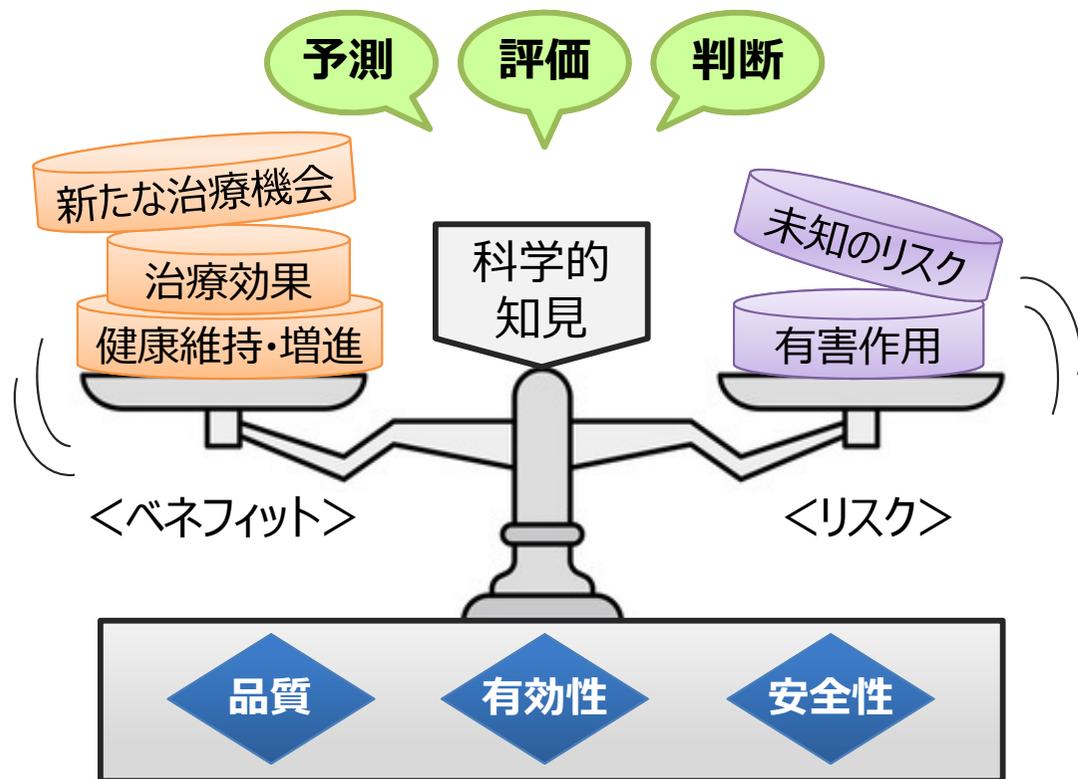
### ④マイクロバイーム制御による次世代治療技術開発

腸内細菌叢のゲノム・代謝物情報

次世代の治療、創薬へ

様々な疾患や免疫系との関係が指摘されているマイクロバイーム（腸内の共生細菌等）の解析・評価・培養技術等を開発するとともに、臨床データの取得・解析から疾患との関連を明らかにし、新たな治療技術を開発します。  
**マイクロバイーム制御により薬の奏効率向上や治療完遂率向上を目指します。**

レギュラトリーサイエンスの概念図



## 国際的な調和

医薬品等規制調和・評価研究研究事業では、医薬品・医療機器・再生医療等製品の品質・有効性・安全性を科学的知見に基づき適正かつ迅速に予測・評価・判断するレギュラトリーサイエンス（RS）研究の推進に特化した公募研究を行っている。

### RS研究を通じて目指すもの

- 品質、有効性、安全性の向上
- リスク&ベネフィットの適正な評価
- 実用化の成功率の向上
  - 研究開発の効率化、期間短縮
  - 研究開発コストの削減

## 事業概要（背景・目的）

- 有望な医薬品シーズがアカデミアや企業で見いだされても、その後の臨床研究や治験を効率的に実施しなければ、実用化に繋がらない。（※基礎研究の段階から臨床研究へ進めるものは約数万分の1の割合）
- そこで、日本で生み出された基礎研究の成果を薬事承認につなげ、革新的な医薬品を創出するため、科学性及び倫理性が十分に担保され得る質の高い臨床研究・医師主導治験等を支援する。
- 企業への導出につながる優れた成果を出すことを目標とする。



### ○プログラムスーパーバイザー:

中西 洋一 北九州市立病院機構

### ○プログラムオフィサー:

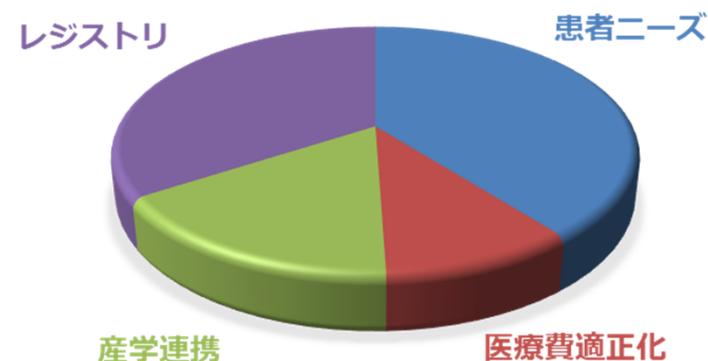
佐藤 典宏 北海道大学病院臨床研究開発センター

中田 光 新潟大学医歯学総合病院高度医療開発センター

### ○科学技術調査員:

中谷 知右 医薬基盤・健康・栄養研究所

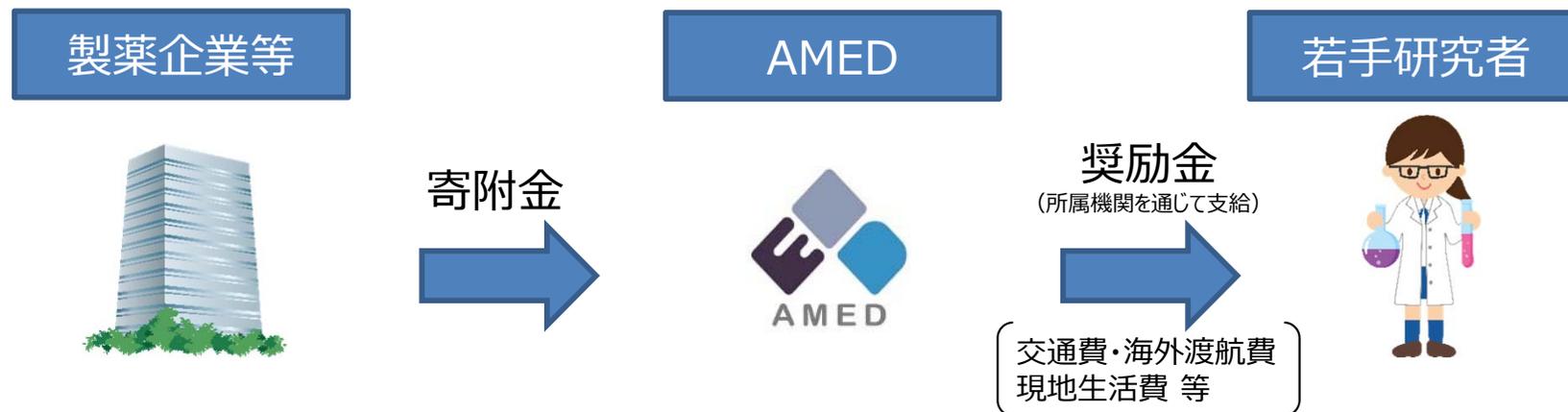
令和2年度予算  
29.8億円



# 【製薬企業等からの寄附金を活用した取組み】

## 創薬関連分野におけるAMED研究奨励金制度について

- 我が国における創薬関連研究分野の優れた若手研究者が国内外の研究機関において研究に専念できるよう、当該研究者個人を対象とした奨励金の支給を行うもの。
- 支援に当たっては、民間資金を活用することとし、趣旨に賛同する製薬企業等から広く寄附を募る。



### 研究者育成支援研究奨励事業（創薬関連分野）

【支援対象者】 若手研究者

【支援期間】 1～3年程度

【支援内容】 交通費・海外渡航費、現地生活費等（研究に関連する費用は支給しない）

【原資】 製薬企業等、民間から広く寄附を募る。受け入れた寄附金は、AMEDにおいて複数年にわたり管理・運用。

【スケジュール】 **令和2年度から寄附の受付を開始**、令和2年12月11日より募集を開始（募集期間3ヶ月）