

# 文部科学省の取組について

---

令和3年12月6日

第6回医薬品開発協議会

# ① アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み

## 「当面優先して議論する課題」における主な検討事項

- 企業との連携を図り、出口を見据えて開発のロードマップを共有し、マイルストーンを決め、産学で研究開発を実施するという観点から、**橋渡し研究事業に「産学連携医療イノベーション創出プログラム」(ACT-M)の仕組みを応用**し、より多くの基礎研究の成果が実用化されるよう検討を進めることとしてはどうか。

「橋渡し研究プログラム」について、令和4年度からは企業の参画を求めることを要件化するなど、より出口を見据えたプログラムとして改革

## 橋渡し研究プログラム

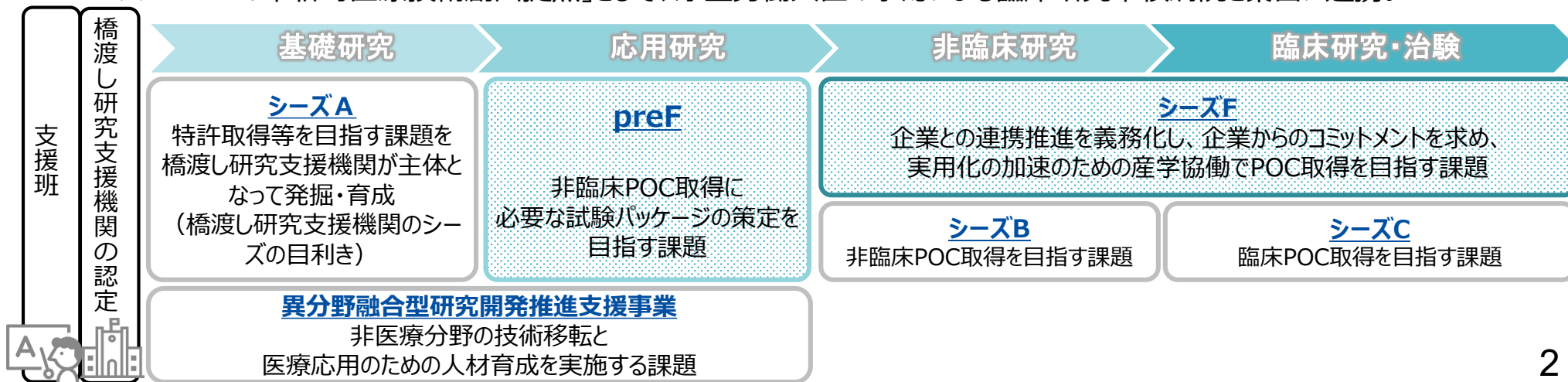
### ◆事業概要

アカデミア等の優れた基礎研究の成果を臨床研究・実用化へ効率的に橋渡しができる体制を構築。文部科学大臣の認定による橋渡し研究支援機関を活用し、機関内外のシーズの積極的支援や産学連携の強化を通じて革新的な医薬品・医療機器等の創出に貢献。

### ◆令和4年度からのプログラムのポイント

- 企業へ導出や**実用化の可能性が高い研究課題を積極的に支援**するためのシーズ枠（シーズF）を新設。
- 優れた基礎・応用研究の価値を最大化し、効率的に企業に移転するため、**基礎・応用研究から非臨床研究に繋ぐ支援を強化**。
- **企業とのマッチングや研究開発早期段階からの事業化戦略をリードする支援体制（支援班）**を構築。

※ AMED「革新的医療技術創出拠点」として、厚生労働大臣の承認による臨床研究中核病院と緊密に連携。



## ②新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制

### 「当面優先して議論する課題」における主な検討事項

- 創薬基盤の技術として、新規モダリティ、RWD、ゲノム等を活用した創薬、新規の開発手法など、世界的にも非常に競合の激しい新規の技術が登場している。革新的医薬品創出のためには、化学、生物系分野のみならず、情報分野を含めた学際的な研究チームの編成に向けた取組を検討すべき。

「先端的バイオ創薬基盤技術開発事業」、「次世代がん医療加速化研究事業」において、画期的な医薬品の創出につながる基盤技術開発や、次世代がん医療創生に向けた創薬シーズの創出を支援

### 先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業

- 遺伝子導入技術、遺伝子発現制御技術、バイオ医薬品の高機能化や、創薬周辺基盤技術を開発するとともに、それら**要素技術の組合せ、最適化**によるバイオ医薬品等に関する強固な技術基盤を形成し、企業導出を目指す。
- 支援班の設置等により、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）等の指示の下、事業を戦略的かつ機動的に運営。
- 今般のCOVID-19感染拡大を受け、令和3年度から新たな対象モダリティとして「ワクチンの基盤技術開発」を加え、感染症を含む様々な疾患に対するワクチンの基盤技術開発を推進。
- 令和3年度調整費において、基礎技術開発に一定の目途が立った研究課題について、要素技術を応用した疾患治療シーズ開発に追加の支援を行い、薬効・安全性等の非臨床試験等を進めることで、実用化に向けた研究を加速。

### 次世代がん医療加速化研究事業

- 治療薬や診断法等のシーズの探索を目的とした「標的探索研究フェーズ」、シーズの**実用化に向けた応用**を目指した「応用研究フェーズ」の2つのフェーズを設定。創薬標的として妥当か厳格な見極めの上で、基礎から応用まで切れ目なくサポート。
- 「治療ターゲット」「異分野融合創薬システム」「免疫機能制御」「診断／バイオマーカー」「がん多様性」の5領域を設定し、PS及び各領域POを中心に事業を運営。
- がん創薬研究に関する技術支援やコンサルティング、希少がんや小児がんを含む臨床検体提供等を実施する**専門的支援体制**を構築し、シーズを着実に企業や革新がん等のAMED他事業へ導出。
- 令和3年度調整費において、研究開発に一定の目途が立った研究課題について追加支援を行い、標的の有効性を検証するための薬効評価等、実用化に向けた研究を加速（前身の「次世代がん医療創生研究事業」において措置）。

## ④人材育成（データサイエンティスト等）

### 「当面優先して議論する課題」における主な検討事項

- 生物統計家やバイオインフォマティシャン等の育成にあたり、臨床研究・治験推進研究事業等の様々な取組を継続することが必要である。
- 育成された人材が専門性と高いモチベーションを維持して業務を継続できる体制を支援する必要がある。

### 人材の「育成」に加え、人材の「受け皿」に焦点を当てた取組を実施

#### 人材の「育成」に焦点を当てた取組

##### <健康・医療分野における取組>

- **医療データ人材育成拠点形成事業**

医療現場から大規模に収集される多様なデータの利活用を推進し、質の高い医療を実現するため、医療データの活用基盤を構築・運営する人材や医療データを利活用できる人材を育成

##### <その他事業における関連の取組> ※全ての分野を対象とした事業

- 数理・データサイエンス・AI教育の全国展開の推進
- 超スマート社会の実現に向けたデータサイエンティスト育成事業
- データ関連人材育成プログラム（D-DRIVE）
- 統計エキスパート人材育成プロジェクト

#### 人材の「受け皿」に焦点を当てた取組

- 脳とこころの研究推進プログラムの精神・神経疾患メカニズム解明プロジェクトにおいて、チーム型研究体制にデータサイエンティストを組み入れることを設定して公募し、令和3年度は21課題中18課題においてデータサイエンティストと連携（例：AI/数理モデリング等を活用した病態の理解、予測、診断等）。
- 戦略的創造研究推進事業において、「バイオDXによる科学的発見の追求」を令和3年度に新たな戦略目標として設定。
- 橋渡し研究プログラムにおける「橋渡し研究支援機関」の認定にあたり、他組織や他機関との連携により備える人員体制の中に生物統計家を含めることを要件化。

## ⑤ 医薬品の研究開発に関する環境整備

「当面優先して議論する課題」における主な検討事項

- 民間資金の投入や、産業界の人材のアカデミアへの参画を促す仕組みについて検討すべき。

官民マッチングファンドによる全ゲノム解析や、  
クライオ電子顕微鏡の自動化・遠隔化及び官民協働利用の試み等を通じて、  
民間企業の参画を促進

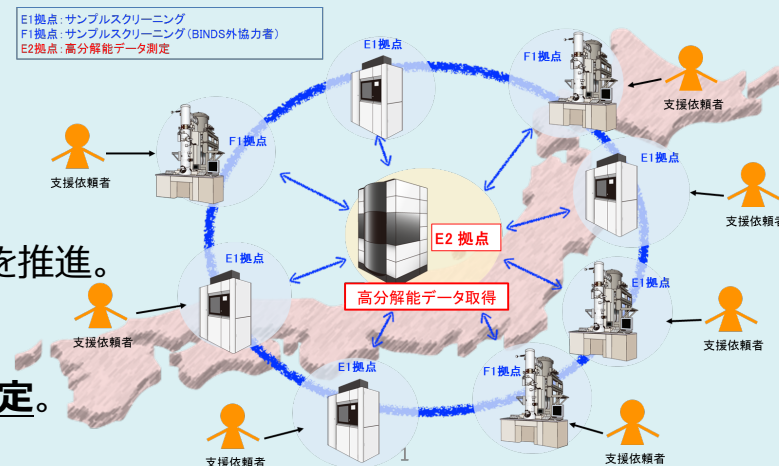
### 生命科学・創薬研究支援基盤事業（BINDS）

#### ◆事業概要

広くライフサイエンス分野の研究発展に資する高度な技術や施設等の先端研究基盤を整備・維持・共用することにより、大学・研究機関等による基礎的研究成果の実用化を促進。

#### ◆クライオ電子顕微鏡の企業利用の促進

- ・利用の待ち時間短縮等の効率化につなげるため、実験操作の**自動化・遠隔化**を推進。
- ・令和3年度は、まだクライオ電子顕微鏡を利用したことのない企業に対して無償でのトライアル提供を実施。
- ・令和4年度以降、**企業側からも一定の負担額**に応じた**企業優先利用枠を設定**。



### 官民共同10万人全ゲノム解析の実現（令和2年度第3次補正事業）

#### ◆事業概要

東北メディカル・メガバンクの有する一般住民試料について、**官民マッチングファンドによる全ゲノム解析**を実現し、製薬企業からのニーズが大きい10万人規模のゲノム・データ基盤を早期に構築。

本年3月に産学連携コンソーシアムを設立し、7月時点で製薬企業5社が参画。民間資金を投入した10万人分の全ゲノム解析読を実施し、全ゲノム情報と東北メディカル・メガバンクの有する各種情報をあわせた統合的な解析により、リスク予測による個別化医療や革新的な創薬開発を実現。

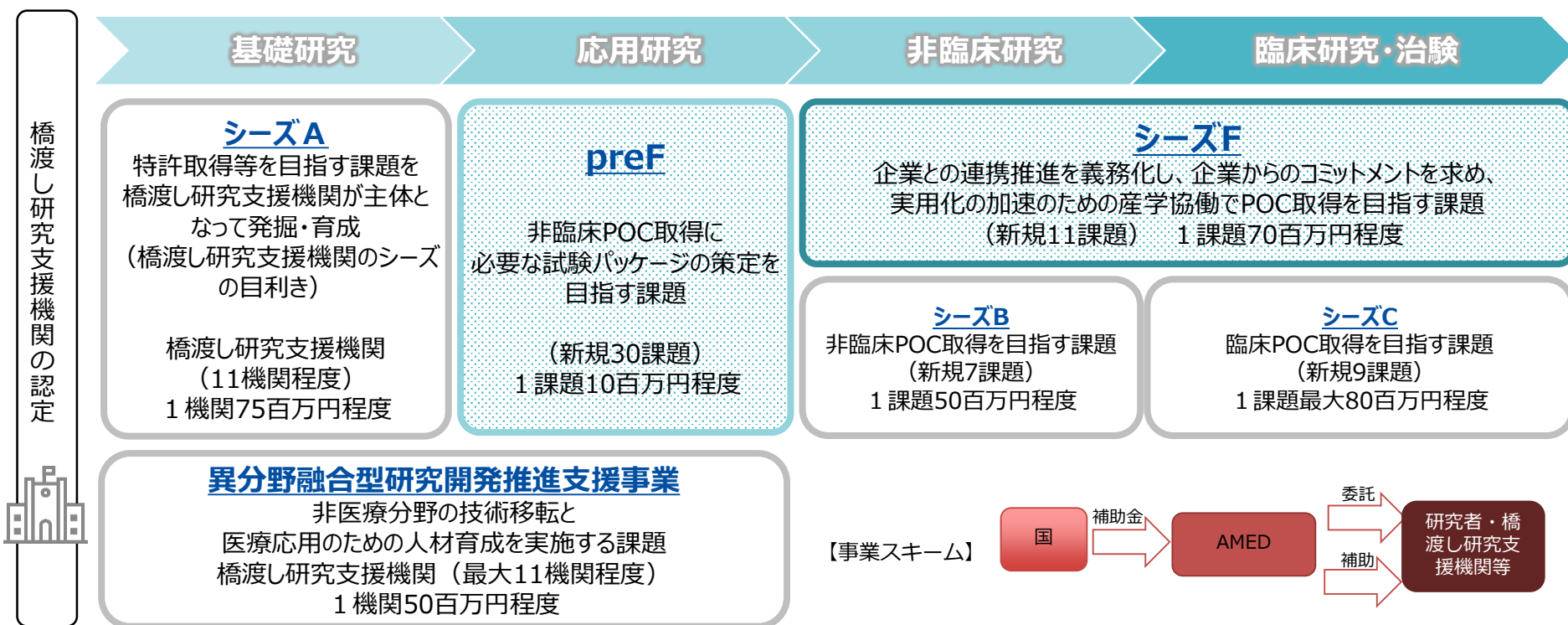
# 參考資料

## 背景・課題 / 令和4年度概算要求のポイント

(事業期間：令和3年度～)

- 健康・医療戦略（令和2年3月閣議決定）等に基づき、アカデミア等の優れた基礎研究の成果を臨床研究・実用化へ効率的に橋渡しができる体制を構築。文部科学大臣の認定による機関（橋渡し研究支援機関）を活用し、機関内外のシーズの積極的支援や産学連携の強化を通じて革新的な医薬品・医療機器等の創出に貢献。
- 企業へ導出や実用化の可能性が高い研究課題を積極的に支援するためのシーズ枠（シーズF）を新設。
- 優れた基礎・応用研究の価値を最大化し、効率的に企業に移転するため、基礎・応用研究から非臨床研究に繋ぐ支援を強化（preF）。
- 企業とのマッチングや研究開発早期段階からの事業化戦略をリードする支援体制（支援班）を構築

※ AMED「革新的医療技術創出拠点」として、厚生労働大臣の承認による臨床研究中核病院と緊密に連携。



## 背景・課題 / 令和4年度概算要求のポイント

(事業期間：令和元～5年度)

- 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45品目を占めているが、日本発はわずか2品目であり(2019年(事業開始年度))、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(要素技術課題)や、要素技術の組合せ・最適化による技術パッケージ(複合型技術課題)を確立し、企業導出を目指す。
- これまで採択した課題の中には、既に疾患治療への適用可能性を検証できるところまで開発が進んでいるもの(複合型技術課題2課題、個別技術課題4課題)があることから、これらの技術を応用した疾患治療シーズ開発に追加の支援を行い、薬効・安全性等の非臨床試験等を進めることで、実用化に向けた研究を加速する。

## ■ 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

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

## ■ 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(R1～5)

### 個別要素技術に関する研究開発課題

(次世代技術、モダリティ・周辺技術)

18課題

5年間(R1～5)

2課題

3年間(R3～5)【コロナ関係】

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

【事業スキーム】

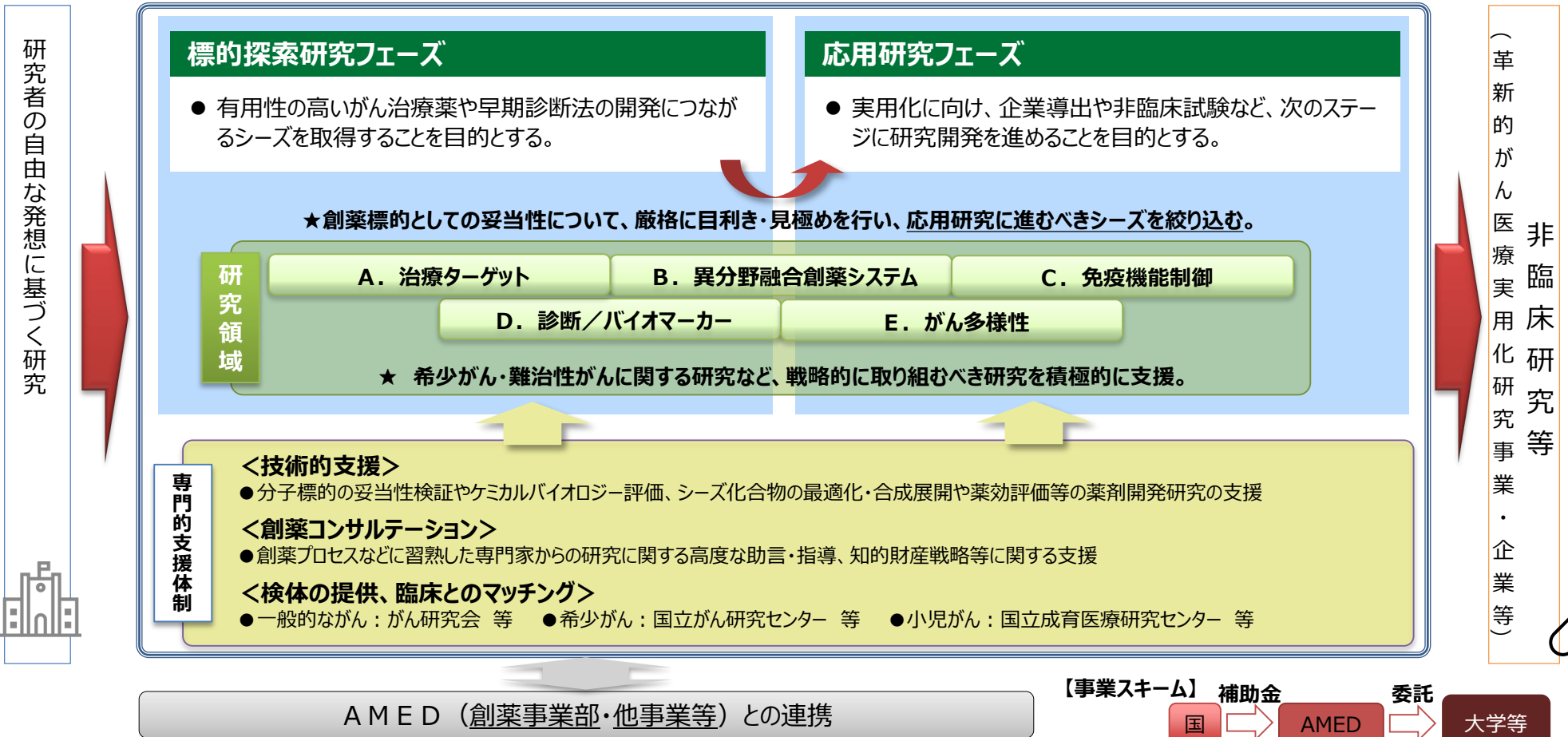




## 背景・課題 / 令和4年度概算要求のポイント

(事業期間：令和4～10年度)

- 「健康・医療戦略」（令和2年3月閣議決定）、「がん研究10か年戦略」（平成26年4月文科大臣、厚労大臣、経産大臣確認）等を踏まえ、次世代がん医療創生の加速化に向け、出口を意識した国際的にも質の高い基礎的研究を支援し、臨床現場を大きく変革するような、新たな医薬品等の早期社会実装の実現に繋げる。
- がんの本質の更なる追及に努め、患者がんゲノム情報等の臨床データに基づいた研究開発などを通じ、がんの創薬シーズの探索等を推進。アンメットメディカルニーズ（希少がん、小児がん、難治性がん等）への専門的支援の強化、有望な基礎研究を応用研究まで連続して支援できる体制の構築等を行い、次世代シーズの企業・AMED他事業への導出を加速する。

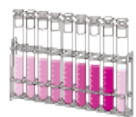


## 背景・課題 / 令和4年度概算要求のポイント

(事業期間：令和4～8年度)

- 健康・医療戦略（令和2年3月閣議決定）に基づき、広くライフサイエンス分野の研究発展に資する高度な技術や施設等の先端研究基盤を整備・維持・共用することにより、大学・研究機関等による基礎的研究成果の実用化を促進。
  - ✓ クライオ電子顕微鏡、蛍光顕微鏡、マルチアングル顕微鏡等の積極的活用による感染症関連研究の支援。
  - ✓ 支援技術の自動化、遠隔化、DXを推進。
  - ✓ 新しいモダリティ（核酸医薬、中分子医薬、改変抗体など）に対応した技術支援基盤の構築。

### 薬効・安全性評価



- ・疾患モデル動物作出
- ・薬物動態評価
- ・生体・生体模倣評価
- ・毒性・安全性評価

### リード化合物探索



- ・化合物の構造展開によるHit to Lead
- ・新規骨格を持つ化合物合成
- ・in vitro 薬物動態パラメーター評価



### ヒット化合物創出

- ・化合物ライブラリーの整備・提供
- ・新規評価系の構築
- ・ハイスループットスクリーニング (HTS)
- ・インシリコスクリーニング

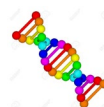
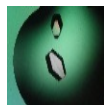


### 構造解析



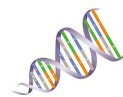
- ・世界最高水準の放射光施設
- ・最新型クライオ電子顕微鏡等の活用
- ・イメージング・画像による解析

### モダリティ生産



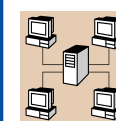
- ・高難度タンパク質試料の生産（発現、精製、結晶化及び性状評価など）
- ・ペプチド・核酸・抗体をはじめとする新モダリティの生産

### 発現・機能解析



- ・遺伝子・タンパク質発現解析
- ・トランスクリプトーム解析
- ・プロテオーム解析
- ・メタボローム解析
- ・パスウェイ解析

### インシリコ解析



- ・ビッグデータ活用
- ・動態予測・毒性予測などへのAI開発・活用
- ・構造インフォマティクス技術による立体構造や相互作用の推定

研究基盤の高度化を推進し、質の高い技術支援を継続的に提供することで、幅広いライフサイエンス研究の価値を高める

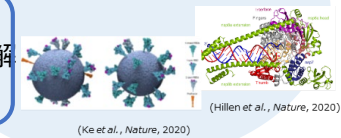


## 〔クライオ電子顕微鏡の必要性〕

### 創薬研究において構造情報は必須であり、構造解析においてクライオ電子顕微鏡は必要不可欠

- 創薬は、治療の標的物質に薬が「くっつくか」の見極めが極めて重要。標的物質の「かたち」の解明を巡り、世界中でクライオ電顕による解析競争が激化。
- COVID-19パンデミックにおけるクライオ電顕の活用いち早くキャッチアップするため、クライオ電顕の整備を加速し、次なるパンデミックに備え、創薬研究のための構造解析基盤を早急に強化することが必要。

クライオ電顕：世界最先端の解像度を誇る電子顕微鏡。タンパク質の状態を変化させずに解析可能な革新的手法であり、開発者は2017年ノーベル賞を受賞。



新型コロナウイルスの標的となる「RNAポリメラーゼ」の構造解析にクライオ電顕を使用。

## 〔整備強化に向けた方向性〕

### 「質（自動化・遠隔化）」の向上と「量（台数）」の増加を両輪で進める

- 我が国のクライオ電顕導入台数は米中に大きく劣後。よって、**台数の着実な増加**とともに、世界と比較して**圧倒的に高効率に活用できる体制を整備**することが鍵。
- クライオ電顕解析は、測定試料の事前調製に極めて精緻な作業と膨大な労力が求められ、一つのタンパク質の構造決定に8日間の予備測定を含め3か月待ち状態（世界的に同様の傾向）。この「待ち」の解消に資する技術開発で世界をリードすることが我が国の活路。

コロナ禍では、ハイエンド機を有する大学等において、実験室閉鎖により2～3ヶ月間クライオ電顕が使用できない状態に。

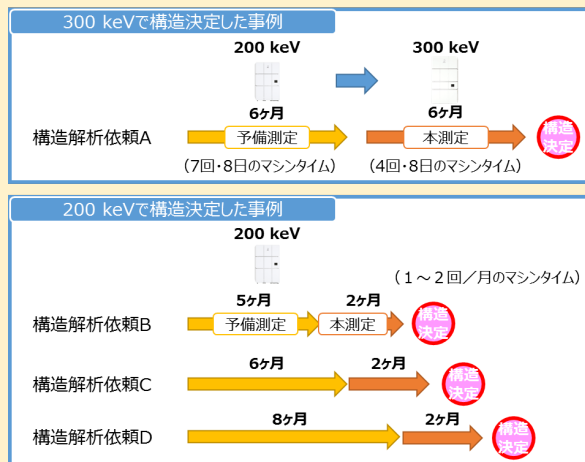
## クライオ電顕の整備強化に加え、製造メーカーとの共同研究を通じ、自動化・遠隔化技術を新たに開発

### ■クライオ電顕の自動化・遠隔化【開発用として300keV 1台・200keV 1台を2拠点に措置（計4台）】

〔クライオ電顕による構造解析の流れ〕※200keVでスクリーニングを行い、300keVで高分解能データを測定

予備測定  
・グリッド条件の検討等  
本測定  
・データ収集  
・解析等

※下処理(グリッド調製)に試行錯誤(5～10回)



安定なグリッド調製法の開発やグリッドスクリーニングの自動化等により、構造解析に掛かる時間、マシンタイムの利用を大幅に削減

### （期待される効果）

- **7回・8日**の予備検討のマシンタイムを **1回・1日**に。
- **グリッド調製等の自動化は遠隔化にもつながり、パンデミックのような状況においても研究の継続を可能に。**

### 我が国の強み

クライオ電顕は我が国の強みであり、主要メーカー2社のうち1社は日本の会社。同社はこれまでもアカデミアと共同で開発を行っており、自動化を実現するポテンシャルは十分。

○効率化により**待ち状態を解消し、世界に先駆けて効率的・安定的な解析体制を実現**

○拠点間の競争誘発により開発を推進し、我が国の構造解析力を格段に上昇させ、**創薬シーズを生み出すスピードを加速**するとともに、**本自動化技術を世界に輸出**

### ■クライオ電顕の整備強化【300keV 1台・200keV 1台を措置】

クライオ電顕の整備状況が諸外国に劣後している現状を踏まえ、クライオ電顕の支援基盤を強化。

〔事業スキーム〕



## 1 背景

- 東北大学東北メディカル・メガバンク機構（ToMMo）等の構築するバイオバンクは、生活習慣や疾患発症過程を精緻にフォローアップできる質の高い生体試料・データを保有することから、産業界からの評価が高い。
- 10万人規模のゲノム・データ基盤について製薬企業からのニーズが大きく**、2020年4月に武田薬品との共同研究による1万人分の先行解析が開始された。さらなるゲノム解析の拡大に向けて、**官民のマッチングファンドによる実現が強く求められている**。
- 東アジア圏のゲノム創薬ターゲットの同定は十分に進んでおらず競争的な領域**。中国において、1～2年を目途に10万人規模のゲノム・データ基盤の構築が急速に進められている中、日本人を対象にした大規模ゲノム解析の実施は急務。

## 2 内容

- 他国に比肩する大規模ゲノム・データ基盤を構築するため、**ゲノム解析を前倒して実施**することで、**早期に10万人の全ゲノム解析を実現**。

## 3 期待される成果

- 多因子疾患に有効な**健康リスク予測による個別化医療**、「機能喪失変異」に着目した**革新的な創薬開発**※を早期実現。
- 東アジア人にも利用可能な知財を蓄積し、日本人に最適な医療の実現と東アジアへの展開が実現。

【事業スキーム】

※将来的には、糖尿病など主だった生活習慣病への活用が期待

