

医薬品プロジェクトの取組状況について

令和3年12月6日

日本医療研究開発機構

理事長 三島良直

1. 医薬品プロジェクトの主な取組
2. 先進的研究開発戦略センター（SCARDA）
に関する検討状況

当面優先して議論する課題 令和2年度まとめ に対する医薬品プロジェクトの主な取組

アカデミアと企業の開発に向けた価値判断やギャップを埋める仕組みの構築

- ◆ 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場として、有望なシーズを見出す目利き機能を果たし、進むべき創薬プロセスをガイドする役割を担う「AMED アカデミア医薬品シーズ開発推進会議（AMED-FLuX）」を設置し、これまでに3回開催。
- ◆ 創薬ブースターの支援テーマには希少疾病を対象としたテーマも多いことから、希少疾病用医薬品指定前実用化支援（プレオーファン）事業と連携し、創薬ブースターの支援テーマの導入を希望する又は導入した企業は通年でプレオーファン事業に応募可能とし、迅速かつ効率的に創薬ブースターの支援テーマの実用化を可能にする仕組みを構築。

革新的医薬品創出のための学際的な研究チームによる研究開発の推進

- ◆ 基盤技術の高度化・応用範囲拡大とシーズ開発のブレイクスルーを一挙に実現することを目指し、基盤技術をプラットフォームとした異分野融合による基礎技術のシーズ開発への応用を推進するための仕組みを構築。
- ◆ 新たな創薬標的であるRNA標的創薬技術開発や国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発推進のため、合成技術、精製技術、分析技術等、個々の技術を専門とするアカデミア研究者や企業研究者で構成された多様な要素技術を有する研究チームを編成し、研究開発を実施。

バイオ医薬品の製造に係る人材育成

- ◆ 新規のバイオ製造法を伴うワクチン等、高度生産技術等に関わる人材育成のための座学と実習から構成されたプログラムを開発。

アカデミア医薬品シーズ開発推進会議(AMED-FLuX)

～AMED支援課題の早期実用化に向けた創薬プロセスの適正化と加速を目指して～

Frank Conference between Academia and Industry for Leading united Translational Research on Academia Seeds

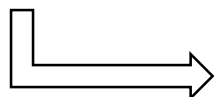
<取組のポイント>

- アカデミアと企業のシーズに関する捉え方に未だギャップが存在
- アカデミア創薬に産業界の意見を取り込み実用化への道のりをより明確化

AMED-FLuX

- 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場
- 有望なシーズを見出す目利き機能を果たし、進むべき創薬プロセスをガイドする役割
- 意見交換の内容：
 - ・ 医療ニーズと目指す製品のコンセプトを踏まえ、実用化の観点から有望なシーズと判断するために求められることはどのようなものか
 - ・ 次に実施すべき研究開発項目は何か
 - ・ 基礎とする研究開発技術に係る他疾患領域への応用可能性
- 成果の活用：
 - ・ アカデミア研究者及びAMEDは、個別シーズ開発の推進に活用
 - ・ 総論として実用化に向けた課題が抽出された場合、PSPO等と共有し、医薬品PJ全体の課題管理・運営にも活用

AMED・医薬品PJ支援課題
開発早期の具体的なシーズ



アカデミアの
研究成果を
最短経路で
患者さんの元へ

企業有識者*：16社より26名（2021年5月時点）

*創薬研究プロセスの豊富な経験と幅広い多様な専門性を有し、日本の創薬イノベーション全体を盛り上げ貢献するボランティア精神溢れる企業有識者

1. 開催状況

【第1回 AMED-FLuX】 開催日時：2021年5月28日（金）

【第2回 AMED-FLuX】 開催日時：2021年8月18日（水）

【第3回 AMED-FLuX】 開催日時：2021年10月27日（水）

- いずれの会議においても、研究者、企業有識者20名以上、岩崎PD、事業PSPO及びDCが参加。
- 会議においては、企業ならではの視点で、シーズ・開発対象の有望性、今後の研究開発に当たっての留意点（研究者が気になっている点が、実は企業側では、現開発段階ではあまり気を払わなくても良い点であるなど、各開発段階でのポイント整理等）について、1 課題当たり 1 時間半を超える充実した議論がなされた。
- 参加した研究者から、以下のようなコメントが届いており、期待に添う成果が得られている。
 - 治療薬開発に向けて目指すべきビジョンがイメージできたのは大きな収穫であった。
 - 全体を通して本研究を好意的に受け取っていただいた印象で、これから研究を進めていくうえで大きなモチベーションとなる。
 - 新しい視点からアカデミア創薬を伸ばして行こうという今回のAMED-FLuXの趣旨、方向性に大変感激した。
- AMED-FLuXの主目的ではないが、参加企業からの協業に向けた検討の申し出があり、研究者との個別意見交換に進む事例も出てきている。

2. 今後の予定

年 4 回（各回 2 ～ 3 課題程度）を目安に取組を継続していく。

創薬ブースターとプレオーファン事業の連携概要

「創薬ブースター支援テーマの導出支援」ページ

- ① 創薬ブースター導出候補テーマ一覧（導入希望企業を常時募集）
- ② プレオーファン事業の公募案内（通年公募）

創薬ブースター

導入希望企業：研究開発計画書提出

PIと導出先候補企業との独占交渉期間
(原則6か月間)

導出入に関する契約締結 (= 企業導出)

創薬ブースター支援終了

プレオーファン事業（通年）

支援希望企業：提案書提出（年3回取りまとめ）

プレオーファン事業への
採択可否決定（課題評価委員会の開催）
※企業導出前に採択を決定する場合、「導出入に関する契約締結」を条件とした採択とする

プレオーファン事業による補助開始

- プレオーファン事業の通年公募への応募は、支援テーマの導出入に係る独占交渉期開始後から当該テーマの創薬ブースターによる支援終了後3年間。
- プレオーファン事業に採択されたが、創薬ブースターによる支援終了後1年以内に導出入に関する契約締結に至らなかった場合、プレオーファン事業への採択は取り消し。
- 創薬ブースターの支援テーマの導出入に関する契約締結以降にプレオーファン事業による補助を開始。

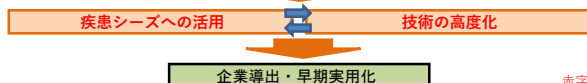
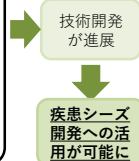
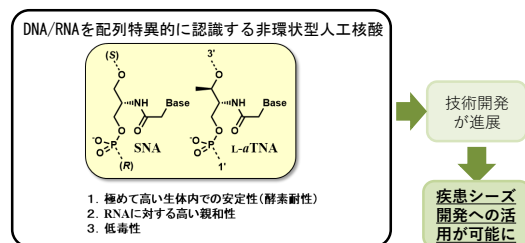
【調整費の配分方針】

- 異分野やプロジェクト間の連携・融合を後押しすることで、企業への確実な技術移転が期待できるものや、早期の臨床試験着手が期待できるもの、日本発の新技术を早期に海外展開することが期待できるものに調整費を重点配分。
- 第2期健康医療戦略におけるモダリティ毎のプロジェクト再編のメリットを活かし、様々なモダリティに関する技術・知見等の疾患横断的な活用を推進する。

【重点支援する課題(例)】

■ 先端バイオ技術の疾患横断的な活用による研究開発の加速

- 先端的なバイオ製品創出に向けた基盤技術開発が進展している。
- 基盤技術をプラットフォームとして、疾患横断的にシーズ開発に応用することで、基盤技術の高度化・応用範囲拡大とシーズ開発のブレイクスルーを一挙に実現する。



赤字：調整費での実施内容

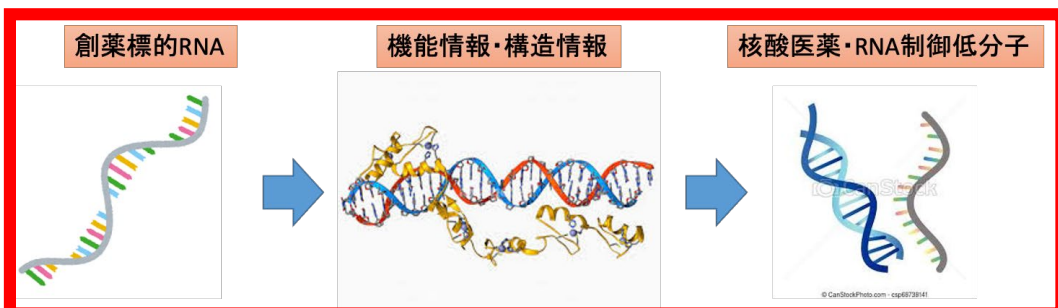
【追加課題の概要】

- 5つの基盤技術について、計15のシーズ開発を追加で採択。
- 以下のとおり、様々な疾患を対象とし、研究開発を推進。

基盤技術	研究代表者	追加課題対象疾患
安全な遺伝子治療を目指した万能塩基編集ツールの創出	濡木理	血液障害、心疾患、神経疾患
遺伝性難治疾患治療のための超高精度遺伝子修正法の確立	中田慎一郎	神経筋疾患、血液障害、皮膚疾患
デリバリーと安全性を融合した新世代核酸医薬プラットフォームの構築	小比賀聡	神経疾患、肝疾患、がん、白血病
核酸医薬への応用を目指した非環状型人工核酸の開発	浅沼浩之	神経疾患、がん
難治性がんを標的とした先端的がん特異的抗体創製基盤技術開発とその医療応用	加藤幸成	がん

【次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業(RNA標的創薬技術開発)】

○新たな創薬標的であるRNAの機能を制御する創薬基盤技術の開発を目指し、代表的モダリティである核酸医薬品の開発を加速するために、合成技術、精製技術、分析技術等の研究開発を行います。また、標的RNAを精密に制御するために必要な要素技術である標的RNAの機能解析及び構造解析の基盤技術の研究開発など、複数の研究機関が参画し、多様な要素技術の開発と統合を行います。



RNA標的創薬のための基盤技術開発

標的RNA機能解析・構造解析・構造予測技術
医薬品スクリーニング・構造最適化・評価技術など

- ・ **構造解析 (NMR、クライオ電顕、MSなど)**
理研、東京医科歯科大学、産総研、名古屋大学 4機関
企業 7社 (分析機器メーカー・製薬・CDMO・CRO)
- ・ **構造予測技術・最適化技術 (シミュレーション)**
産総研・兵庫県立大学 2機関
企業 6社 (IT企業・製薬・CDMO・CRO)
- ・ **機能解析・標的予測・低分子化合物スクリーニング**
大阪大学・千葉工大・早稲田大学 3機関
企業 7社 (製薬企業)

核酸医薬品実用化のための基盤技術開発

核酸医薬品の製造基盤技術・高度分析基盤
技術・品質管理技術など

- ・ **核酸合成・精製技術**
東京理科大学・大阪大学・東京医科歯科大学 3機関
企業 17社 (製薬・CDMO・機器/部材メーカー)
- ・ **核酸医薬品分析・品質管理技術・安全性評価技術**
大阪大学・国衛研・千葉工大など 5機関
企業 8社 (分析機器メーカー、CRO)

疾患メカニズム解析及び治療ターゲット探索による新規RNA標的医薬品の研究基盤

- ・ **コンジュゲート核酸医薬の研究開発** 岐阜大学
- ・ **mRNA構造を標的とした新規免疫制御医薬研究開発** 京都大学
- ・ **新規修飾siRNAとDDS最適化による難治性卵巣がん治療** 慶応大学
- ・ **新規SNPD-siRNA核酸医薬品実用化のための非臨床試験基盤の確立** 東京大学
- ・ **RNA結合蛋白質を用いた難治性神経疾患における異常RNA標的治療** 大阪大学

学際的な研究チームの編成に向けた取組事例(2)

【次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業(国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発)】

○国産の次世代抗体医薬品(ADC、RI抗体、二重特異性抗体、低分子抗体など)の創出及び製造技術開発並びに抗体医薬品製造の国産技術のさらなる強化を行うことにより、国際競争力のある国産のバイオ医薬品の創出及び製造技術プラットフォームの幅広い実用化を目指す研究開発事業。

	代表機関	アカデミア	企業等
1. 次世代抗体医薬品の製造基盤技術開発			
次世代治療薬を目指したVHHナノ抗体薬に関する研究開発	北里大学	—	3社：製薬・化学・バイオ
高機能な次世代抗体を‘迅速に’創出・生産する「ロボティクス×デジタル」を基盤とした革新技术開発	神戸大学	他11機関： 産総研、量子研等	5社：製薬・バイオ・診断 機器メーカー・MAB組合
次世代抗体医薬品の開発を加速するRI標識に関する基盤技術開発とRI標識抗体医薬の実用化研究	神奈川県立がんセンター	他4機関：京大、 理研、慶応、九大	2社：製薬・MAB組合
2. 次世代抗体医薬品の実用化に向けた物性・品質評価及び管理手法に関する技術的研究			
	国立医薬品食品衛生研究所	他5機関：阪大 PMDA、東大、等	2機関：MAB組合・ BCRET
3. 国産高機能抗体産生細胞株の社会実装に向けた技術開発			
高性能国産細胞株を用いたバイオロジクス製造プラットフォーム構築に関する研究開発	MAB組合*	大阪大学	3社(MAB組合)： 製薬・CDMO・バイオ
4. バイオ医薬製造プロセスの開発・制御のためのデジタルプラットフォーム			
	東京大学	山口大学	複数社(MAB組合)： 製薬・CDMO
5. 革新的な次世代抗体医薬品製造技術の開発			
革新的な次世代抗体医薬品の製造・品質技術開発等 5課題	5機関	10機関	2社：分析機器メーカー・ AI関連ベンチャー

バイオ医薬品の製造に係る人材育成

■ 新規な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 (創薬基盤推進研究事業)

背景と目的

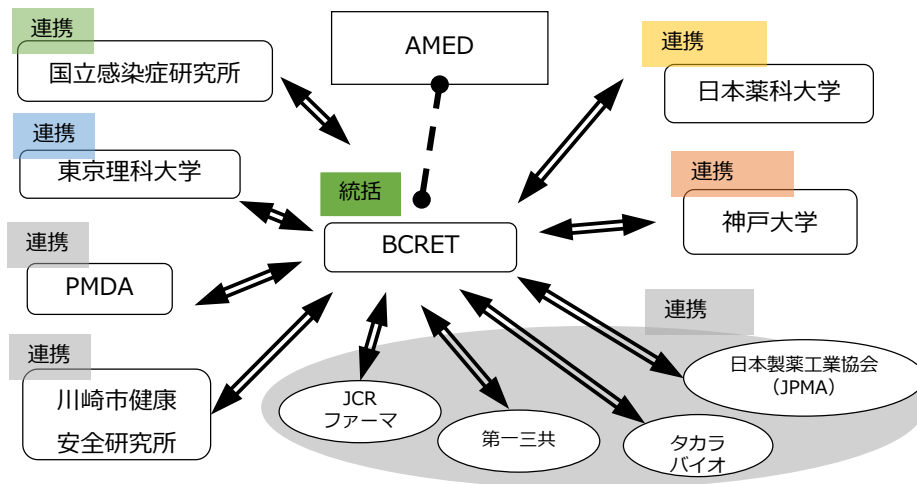
医薬品市場に
占めるバイオ
医薬品の割合
は増大

VS

国内バイオロジク
ス基盤整備は依然
として遅れている
(生産拠点・人材
の不足)

COVID-19ワクチンでは、組換え技術等を利用した新しいモダ
リティーに属するワクチンの研
究開発が国内外で活発に進めら
れている

世界レベルに遅れずに新しい
ワクチンに関する教育プロ
グラムを作成・実用化し、国内
企業やPMDAの教育訓練活動
を行う必要がある



教育プログラムと人材育成

新しいワクチンの概論 (種類・特性・製法・分析法・規制)

新しいワクチンに関する規制 (カルタヘナ・生原基)・ガイドライン

ウイルスベクターを
用いたワクチン

- 製法・品質評価
- CMCプロセス開発
- GMP製造 (製造管理)
- 非臨床試験のポイント
安全性評価のポイント
- GMP製造 (品質管理)
- 臨床試験のポイント
- 工業生産 (品質保証)

実習: 製造
実習: 分析

mRNAを
用いたワクチン

- 製法・品質評価
- CMCプロセス開発
- GMP製造 (製造管理)
- 非臨床試験のポイント
安全性評価のポイント
- GMP製造 (品質管理)
- 臨床試験のポイント
- 工業生産 (品質保証)

実習: 製造
実習: 分析

DNAワクチン等
その他モダリティー

- 製法・品質評価
- CMCプロセス開発
- GMP製造 (製造管理)
- 非臨床試験のポイント
- GMP製造 (品質管理)
- 臨床試験のポイント

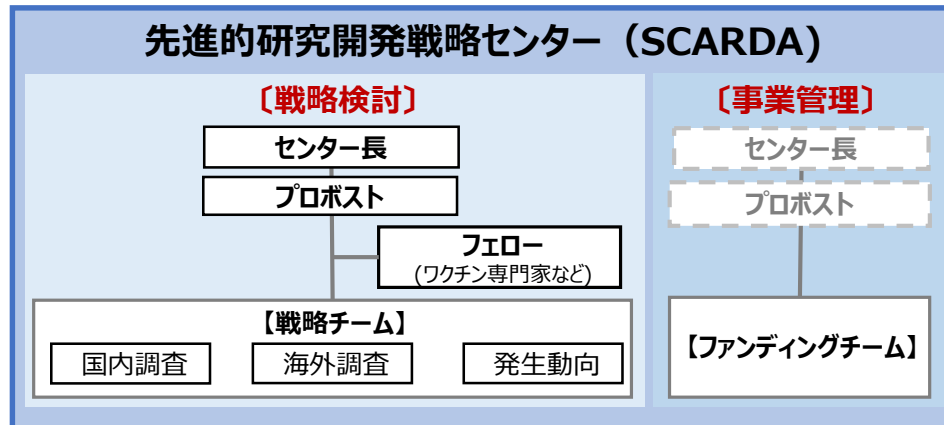
1. 医薬品プロジェクトの主な取組
2. 先進的研究開発戦略センター（SCARDA）
に関する検討状況

【SCARDAの使命】

- 緊急時において有効で安全な実用性に優れたワクチンを国民にいち早く届けるため、平時・緊急時を通じて戦略的資源配分を行う。

【AMEDにおける現在の検討状況】

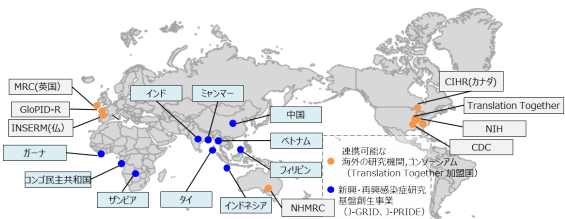
- 本年7月1日に、「先進的研究開発戦略センター（SCARDA）準備室」を20名超の体制で設置
- 学識経験者や製薬企業トップレベルなど20名以上からSCARDAの方向性などについて理事長ヒアリングを実施
- センター長、プロボストに求められる役割・機能、インテリジェンス機能のあり方、戦略的資金配分の仕組み等、具体的な運用方法の詳細を検討中



SCARDA 3つのコア機能

① 広範なインテリジェンス機能

- 海外事務所、フラッグシップ拠点、国立感染症研究所、PMDAなどと連携し、情報収集ネットワークを構築。
- ネットワークを通じて、ワクチンに関するポートフォリオの網羅的な把握やモダリティに関する研究開発の最新動向共有等を実施。



② 戦略的なディシジョン機能

- プロボストを中心に、技術のエビデンスや実用性等を評価し、緊急時及び平時のファンディングポリシーを策定。
- 緊急時には、研究開発の進捗を踏まえてGo/No Goを判断。
- SCARDAボードを活用した関係者による方針協議。

＜ポートフォリオのイメージ＞

モダリティ	エビデンス	実用化期間	実用性
mRNA
AAVベクター
組替えタンパク
レプリコン

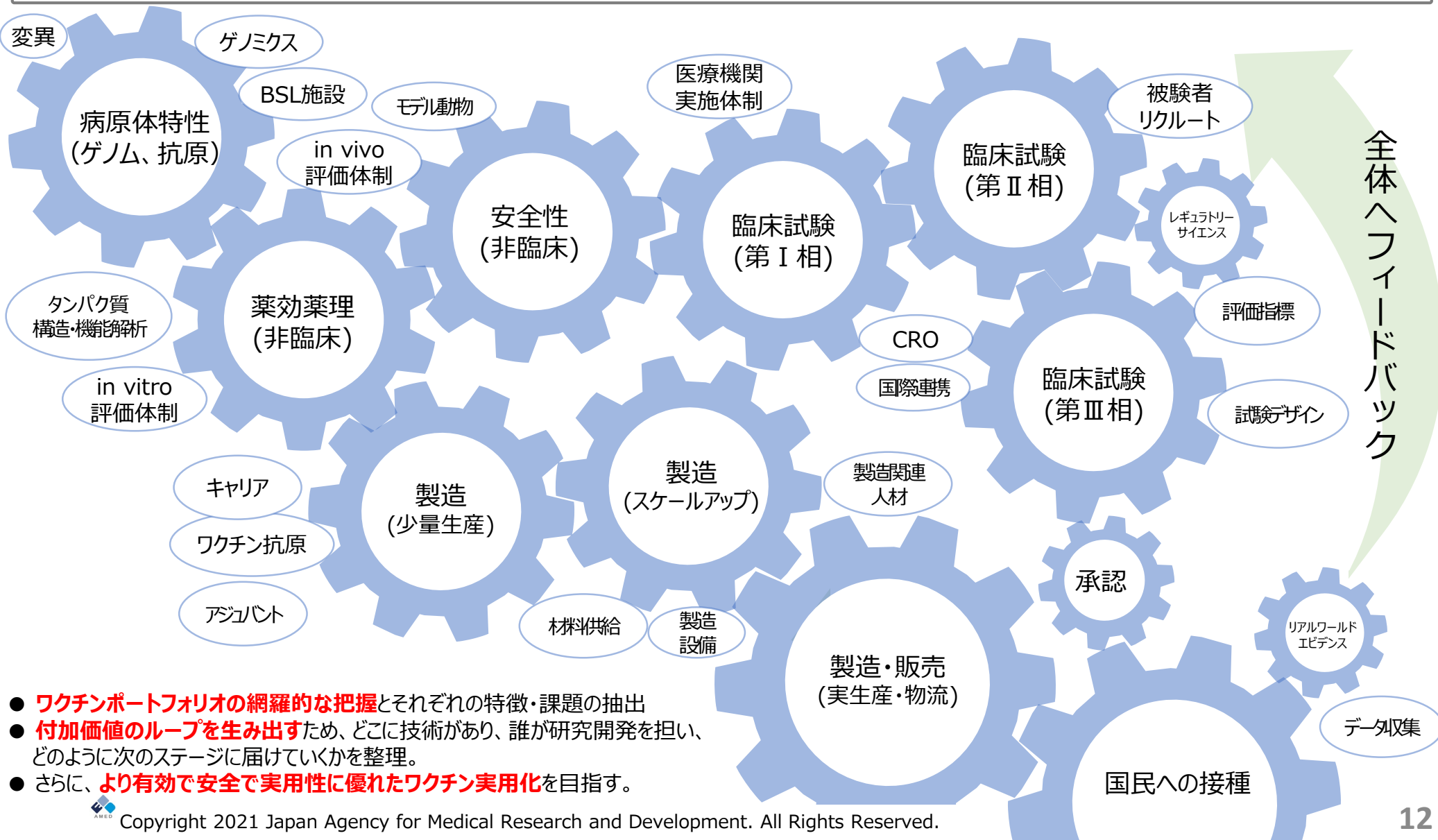
③ 機動的なファンディング機能

- 重点感染症の設定を踏まえ、各種ワクチンのエビデンス集積（プロトタイプワクチン開発）を実施。
- ワクチンに資する新規モダリティ実用化研究や製造方法の改良研究、レギュラトリーサイエンスの充実等を実施。
- 緊急時には、準備したファンディングポリシーに基づき、迅速に研究開発を開始。

「100日ミッション」も視野に早期のワクチン実用化

ワクチンに関する研究付加価値ループの確立と研究開発推進

- 緊急時、有効で安全な実用性に優れたワクチンを国民にいち早く届けるため、ワクチンに関する研究の全体像を捉え、付加価値のループを確立させ、さらに優れたワクチンが生まれ出される仕組みを構築することが必要



- **ワクチンポートフォリオの網羅的な把握**とそれぞれの特徴・課題の抽出
- **付加価値のループを生み出す**ため、どこに技術があり、誰が研究開発を担い、どのように次のステージに届けていくかを整理。
- さらに、**より有効で安全で実用性に優れたワクチン実用化**を目指す。