

# 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4年7月11日

日本医療研究開発機構 医薬品PJ

プログラム・ディレクター

岩崎 甫

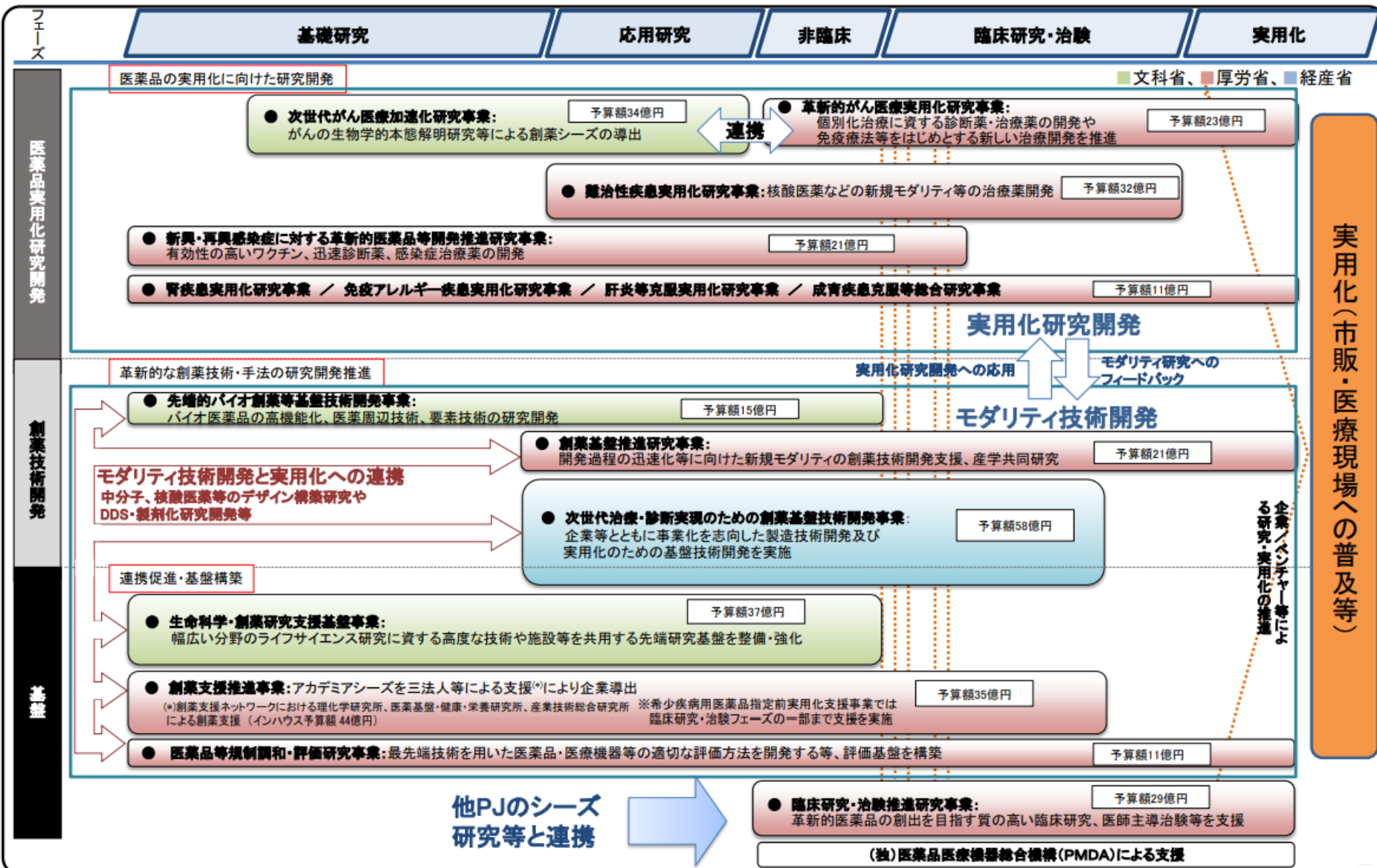
1. 医薬品PJの概要
2. 令和3年度 医薬品PJの取組
3. 令和4年度 医薬品PJの取組(調整費関連)
4. 新型コロナウイルスワクチン開発状況
5. 医薬品PJに係る今後のAMEDの取組

# 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4年度予算額326億円

インハウス研究機関経費  
令和4年度予算額44億円

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。



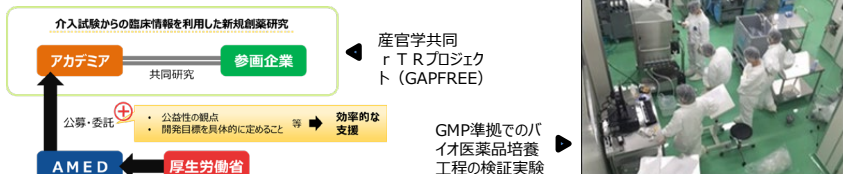
## プロジェクトの概要

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

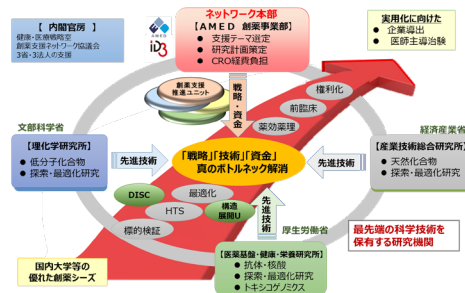
産学官共同創薬研究プロジェクトなど創薬の基盤技術に係る研究により、革新的な医薬品の創出や実用性の高い医薬品関連技術の確立を目指す。



### ● アカデミア創薬の支援

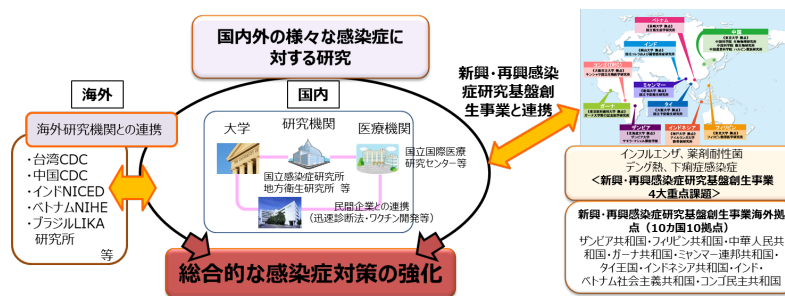
ライフサイエンス研究の成果を医薬品等の実用化につなげることを目的とし、放射光施設やクライオ電子顕微鏡などの大型施設・設備を整備・維持、積極的共用を行う。

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3年度 医薬品PJの取組**
3. 令和4年度 医薬品PJの取組(調整費関連)
4. 新型コロナウイルスワクチン開発状況
5. 医薬品PJに係る今後のAMEDの取組

# 1. 令和3年度 医薬品PJの取組状況

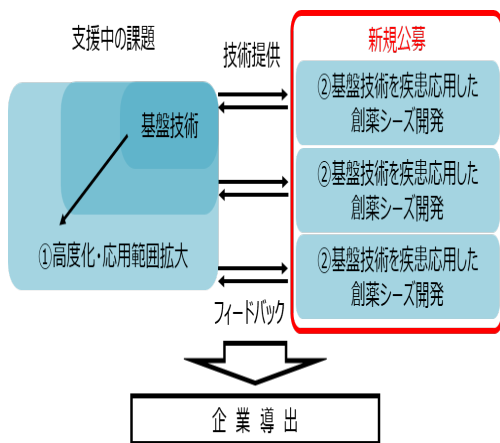
医薬品研究開発の更なる推進に向けて、アカデミアシーズの早期実用化に向けた産学連携の新たな仕組みの構築や疾患横断的あるいは新規モダリティの研究開発を拡充・推進した。

- ① 「基盤技術」の疾患横断的な「シーズ開発」への応用による研究開発推進の取組を拡充した。
- ② 創薬プロセスの加速化、企業導出の更なる促進のための新たな仕組みを構築するとともに、企業導出や薬事承認において数多くの成果が認められた。
- ③ 患者・産業界・規制当局等、多様なステークホルダーと共同の新規モダリティ開発を推進した。

## ① 基盤技術の疾患横断的な「シーズ開発」への応用に対する取組

### 【要素技術開発のシーズ開発への応用展開による基盤技術の高度化】

先端バイオ基盤技術をプラットフォームとして、5つの基盤技術に対して、疾患横断的にシーズ開発に応用する研究開発を15課題採択し、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取組を推進した。令和2年度により実施しているAMED 採択課題の連携推進により、1件の企業導出を達成するなど、すでに成果が出始めている。

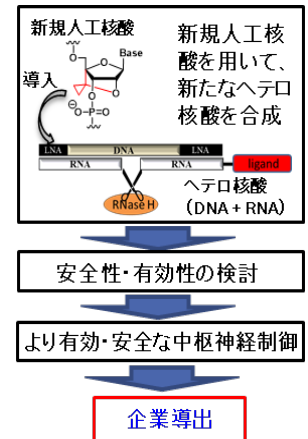


基盤技術	研究代表者	追加課題対象疾患
安全な遺伝子治療を目指した万能塩基編集ツールの創出	濡木 理	血液障害、心疾患、神経疾患
遺伝性難治疾患治療のための超高精度遺伝子修正法の確立	中田 慎一郎	神経筋疾患、血液障害、皮膚疾患
デリバリーと安全性を融合した新世代核酸医薬プラットフォームの構築	小比賀 聡	神経疾患、肝疾患、がん、白血病
核酸医薬への応用を目指した非環状型人工核酸の開発	浅沼 浩之	神経疾患、がん
難治性がんを標的とした先端がん特異的抗体創製基盤技術開発とその医療応用	加藤 幸成	がん

### 成果具体例 - 中枢移行性ヘテロ核酸の開発 -

事業名: 先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業  
 研究代表機関: 国立大学法人東京医科歯科大学

- ・ 神経難病の治療に応用可能な中枢移行性の高いヘテロ核酸について、事業内連携により、安全性や安定性に優れた新規人工核酸を導入した新たなヘテロ核酸を合成し、安全性・有効性を検討。
- ・ 新規人工核酸の導入により、ヘテロ核酸の毒性が低減されることを発見。
- ・ 当該結果に基づき、製薬企業による神経難病の治療に対する新しい核酸医薬品の創製に向けた研究を開始。

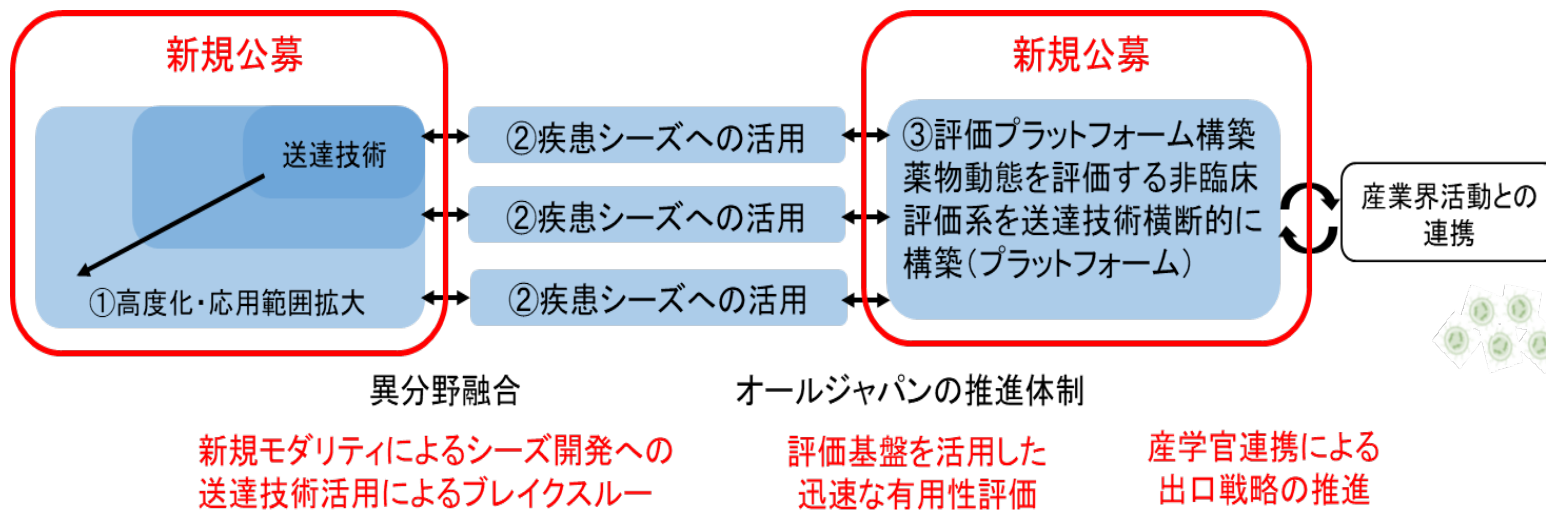


# 1. 令和3年度 医薬品PJの取組状況

## ① 基盤技術の疾患横断的な「シーズ開発」への応用に対する取組

### 【各種疾患シーズ開発に対してオンデマンドに応用展開する送達技術の高度化】

産業界の提言も踏まえ、核酸医薬品、中分子医薬品等の新規モダリティ開発において重要性が増している送達技術について、到達性を評価しつつ最適な送達技術をシーズ開発にオンデマンドに応用する研究体制を構築し支援を開始した(13課題採択)。



## 2. 令和3年度 医薬品PJの取組状況

### ② 創薬プロセスの加速化、企業導出の更なる促進のための取組

- AMED支援課題の早期実用化に向けて、製薬企業16社、27名の企業有識者が参画し、アカデミア発の有望シーズの創薬プロセスのガイド役を担う「AMEDアカデミア医薬品シーズ開発推進会議(AMED-FLuX)」を創設。今年度は9課題について意見交換し、うち4課題への研究費の追加措置等、企業の実用化目線での知見を積極的に取り込み、研究開発を推進した。
- 事業間連携での切れ目ない支援に向けて、創薬ブースターの支援シーズについて、導入(希望)企業に希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業への応募機会を常時提供し、迅速かつ効率的な実用化を可能とした。

◆ **アカデミア医薬品シーズ開発推進会議(AMED-FLuX)の概要**

～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～

<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・医薬品PJ支援課題開発早期の具体的なシーズ

**AMED-FLuX**

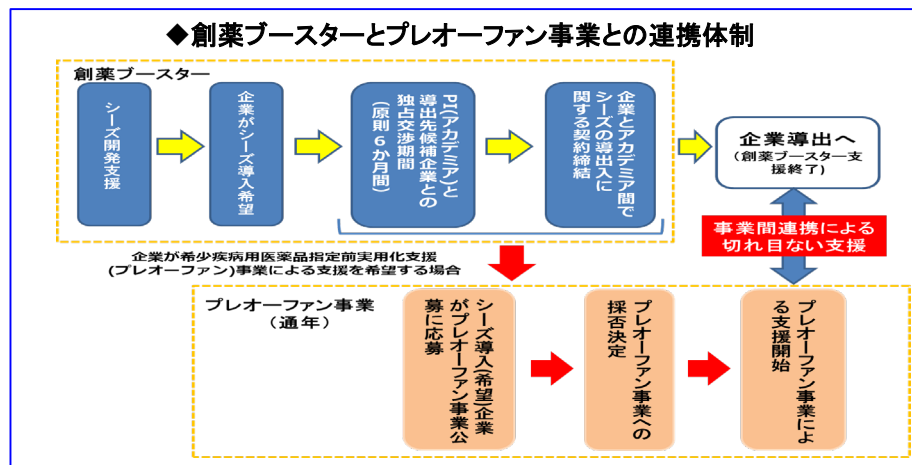
- アカデミア研究者と企業有識者が自由にディスカッションできる場
- 有望なシーズを見出す目利き機能を果たし、進むべき創薬プロセスをガイドする役割
- 意見交換の内容：
  - 医療ニーズと目指す製品のコンセプトを踏まえ、実用化の観点から有望なシーズと判断するために求められることとはどのようなものか
  - 次に実施すべき研究開発項目は何か
  - 基礎とする研究開発技術に係る他疾患領域への応用可能性

アカデミアの研究成果を最速段階で患者さんの元へ

● **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

※取組状況詳細：AMED Pickup (2022年1月号)  
<https://www.amed.go.jp/content/000092016.pdf>



- 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、49件のシーズの企業への導出(創薬ブースターを含む)を達成した。

- (※) シーズ企業導出を達成したものは、
- 「基礎的」、「応用」、「非臨床試験・前臨床試験」、「治験・臨床試験」、「市販後」、「その他」のうち、「基礎的」、「応用」に分類される課題が約7割程度を占める。
  - 導出元の研究代表者は全てアカデミアであり、導出先は大企業が多いが、ベンチャー企業も1/3程度を占める。

### ◆ 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	筋骨格系及び結合組織の疾患
低分子化合物	138(11)	56(2)	33(1)	8
ペプチド医薬	8	11(1)	5	2
核酸医薬	16(3)	6	4	4(2)
抗体医薬 (複合体含む)	57(3)	33(1)	6	2

### 3. 令和3年度 医薬品PJの取組状況

#### ③ 多様なステークホルダーと共同の新規モダリティ開発等の推進のための新たな取組

- 腸内マイクロバイーム創薬やRNA標的創薬、次世代抗体等について、PMDAと情報交換しつつ適切な公募内容を設計し、レギュラトリーサイエンスや産業界活動と一体となった製造品質管理技術基盤の研究推進体制を構築した。

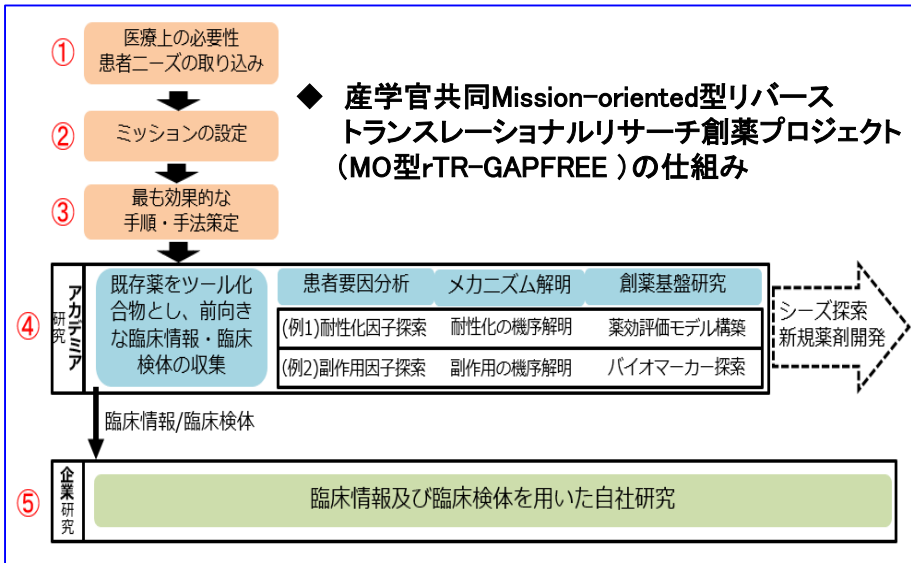
マイクロバイーム制御による次世代治療技術開発

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。

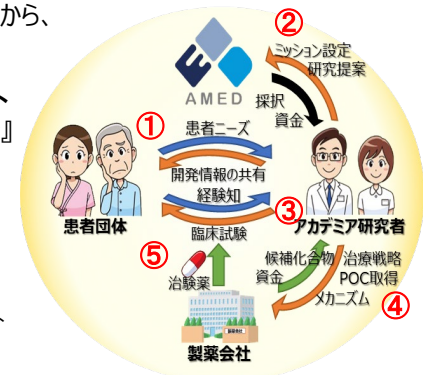
- リバーストランスレーショナルリサーチを活用した産学官共同研究開発プロジェクト(GAPFREE)において、患者が参画する新たな仕組みを設け、患者の意見をより積極的に踏まえた課題評価を実施し、患者ニーズを踏まえたミッション達成に向けて、効果的に研究開発を推進した。



#### MO型rTR-GAPFREEの具体例

事業名：創薬基盤研究推進事業  
研究代表機関：公益財団法人がん研究会

- 患者ニーズの取り込み： **患者2団体からの意見書**(※)
- ※「肉腫は他のがん種と比べて承認された治療薬が少なく、とりわけ分子標的薬の開発が遅れていることから、有効な新薬を渴望する。」
- ミッションの設定： 『**肉腫領域におけるアンメットニーズを充足する薬の開発**』
- 最も効果的な手段・手法策定：
  - シーズ化合物： 抗がん効果のPOC取得とより安全で効果的なプロドラッグの開発
  - 患者参加型の学会を通じて開発状況を共有
  - 患者の経験知を反映させた開発方針策定・治験プロトコル作成



- ペプチドや核酸医薬等の新しいモダリティの品質・安全性評価法の開発やリアルワールドデータの利活用等に関する最新情報を収集し、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品に関するレギュラトリーサイエンス研究を推進した。



# 令和6年度までの成果目標(KPI)への取組状況(令和3年度実績)

【第二期(令和2年度～6年度:5年間)の成果目標】			令和3年度の達成状況/年間目標数	進捗(※)
アウトプット	1	非臨床POCの取得 25件	36件/5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/2件	○
	3	臨床POCの取得 5件	12件/1件	○(※)
	4	新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%	81.1%	○
	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	8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	支援を行った課題: 68件 うち 新規採択: 24件 うち ステージアップ: 5件 うち 支援継続: 43件 うち 支援終了の課題: 25件	○
【第二期(令和2年度～6年度:5年間)の成果目標】			令和3年度の達成状況/年間目標数	進捗(※)
アウトカム	8	シーズの企業への導出 60件	47件/12件	○(※)
	9	薬事承認(新薬、適応拡大) 10件	15件/2件	○(※)
	10	創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出 120件	69件/24件	○(※)
	11	研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	8件(参考)	○

進捗: ○: 順調に進捗している、△: 進捗が不十分、-: 現時点で評価が困難

(※)KPIの年度当たりの平均に対し、R3年度の実績が概ね200%以上達成

# 令和3年度 医薬品PJの成果目標(KPI: 薬事承認)の主な事例

- 企業単独では研究開発に着手しづらい小児がん、難病等に対して、アカデミアと企業との連携の結果、令和3年度に15件の薬事承認を達成した。

事例	承認薬剤	研究代表者	概要
1	ジヌツキシマブ (ユニツキシシ®点滴静注17.5mg/5mL)	原 純一 (大阪市立総合医療センター)	<p><b>代表的な小児がんである神経芽腫に対してジヌツキシマブが承認</b>  <b>- 小児がん用抗がん剤で初めての医師主導治験による国内承認取得 -</b></p> <p>世界で初めて、神経芽腫に特化して開発された遺伝子組換えキメラモノクローナル抗体で、わが国において 数十年ぶりに神経芽腫に対して承認された新薬                      ※ 併せて、併用薬であるフィルグラスチム(グラン注射液75他)、テセロイキン(イムネース注35)も薬事承認(適応拡大)された。</p>
2	リツキシマブ (リツキサン点滴静注100mg /500mg)	吉崎 歩(東京大学)	<p><b>原因不明の全身性強皮症に対してリツキシマブが承認</b>  <b>- 世界初・医師主導治験によって、薬事承認を取得 -</b></p> <p>リツキシマブがβ細胞を除去する作用を持ち、全身性強皮症に対して有効性が証明され、新たに保険適用された治療薬</p>
3	リツキシマブ (リツキサン点滴静注100mg /500mg)	天谷 雅行(慶應義塾大学)	<p><b>自己免疫疾患である難治性の天疱瘡に対してリツキシマブが承認</b>  <b>- 医師主導の国内第II相臨床試験等にて薬事承認を取得 -</b></p> <p>国内で500名程度と推測される難治性天疱瘡の患者に対するリツキシマブの有効性が証明され、効能・効果追加が承認された治療薬</p>
4	トラスツズマブ (ハーセプチン注射用60/150)	秋田 弘俊(北海道大学)	<p><b>希少疾患である唾液腺癌に対してトラスツズマブが承認</b>  <b>- 併せて、治療薬の適応判定を補助するコンパニオン診断薬も承認 -</b></p> <p>標準的な薬物治療の確立していない唾液腺がんに対する個別化治療のアプローチによる初の抗HER2薬</p>
5	シロリムス (ラパリムス錠1 mg)	小関 道夫(岐阜大学)	<p><b>希少疾患である難治性リンパ管疾患に対してシロリムスが承認</b>  <b>- 医師主導治験によって、世界初の薬事承認を取得 -</b></p> <p>mTOR活性を阻害することにより、腫瘍性病変を縮小し、症状の改善が期待できる世界初の難治性リンパ管疾患治療薬</p>
6	ペルツズマブ (パージェタ点滴静注420 mg/14 mL) トラスツズマブ (ハーセプチン注射用60/150)	吉野 孝之 (国立がん研究センター)	<p><b>HER2陽性大腸がんに対してペルツズマブとトラスツズマブの併用療法が承認</b>  <b>- 併せて、治療薬の適応判定を補助するコンパニオン診断薬も承認 -</b></p> <p>アンメットメディカルニーズのHER2陽性大腸癌に対する世界初の有効な治療法(2剤併用療法)</p>

1. 医薬品PJの概要
2. 令和3年度 医薬品PJの取組
- 3. 令和4年度 医薬品PJの取組(調整費関連)**
4. 新型コロナウイルスワクチン開発状況
5. 医薬品PJに係る今後のAMEDの取組

## 研究開発の新たな進展や新たな価値・創造のきっかけとなり得るものを重点的に支援

### 1 研究開発の進展を目的とした事業間連携・課題間連携・分野間連携の強化

- 省庁の枠を超えて連携することにより、研究開発の一層の発展や、より良い成果が期待できる課題を後押し
- 出口テーマを設定し、AMED内既存事業から連携課題を募集し取り組むものを支援（詳細は次頁以降）
- 国内有数の最先端の設備を導入することにより研究開発の一層の発展が期待でき、他機関へ共用するための仕組（管理）の導入も含めた基盤整備を支援

### 2 国際連携の強化及びその促進に資する国内体制・基盤の強化

- 国際連携に発展させるにあたり、必要な国内の研究開発、基盤を強化
- 既に国際連携に取り組んでいる課題の一層の推進

### 3 若手研究者の人材育成

- AMED-FLuX等の産学協働事業の対象となり得る若手研究者によるシーズ研究に対する支援
- 若手研究者の育成に資する取組の強化

### 4 先進的医療実現のための最先端の研究開発・環境整備の一層の加速・充実

- 国際競争上不可欠な研究開発、世界に類を見ない日本が優位性を持つ課題等を支援
- 海外からの供給に依存しているものなど、国内での供給体制構築を目指した最先端研究開発等を支援
- データ利活用の推進等を支援

## 【概要・効果】

- ・達成すべき「**出口テーマ**」を設定し、AMEDで支援している課題の中から、**複数の課題が一体となり研究開発に取り組む**ことで、**課題解決が期待できるものや、最先端技術の普及・展開が期待できるものをマッチング**
- ・AMEDが中心となり、所管省庁が異なる複数の事業間コラボレーションを後押しすることにより、**単独の課題では取り組むことが困難な研究領域にチャレンジ**することができ、**新たな知見・成果を得ることや、新たな視点に基づく研究開発が飛躍的に加速**するなど**相乗効果が期待**できる
- ・患者数が少ない等の理由により、**特に研究支援を要する分野を支援することも重要**

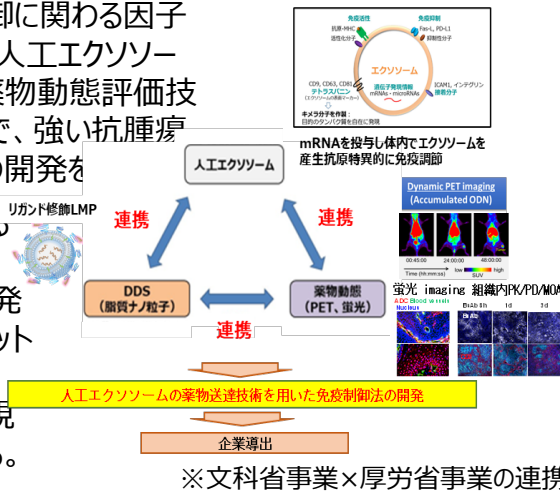
## 【出口テーマの例】

- ・ DDS技術のシーズ開発への応用
- ・ 先端バイオ医薬品基盤技術の疾患横断的な活用
- ・ がん、難病の希少疾患に関する研究プラットフォームの強化による研究の加速



## ■ “先端バイオ事業×創薬基盤事業” による人工エクソソームを用いた革新的免疫制御法の開発

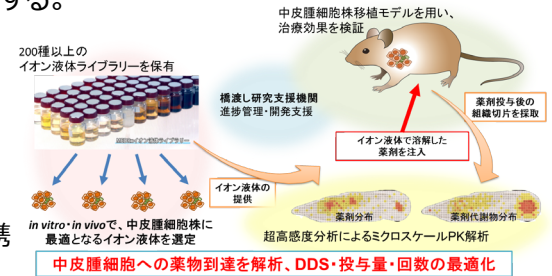
- mRNAの投与により免疫制御に関わる因子をエクソソーム上に発現させる人工エクソソーム作製技術に、送達技術・薬物動態評価技術を有機的に連携させることで、強い抗腫瘍効果をもたらすmRNA医薬の開発を
- 従来の免疫制御法とは異なる革新的な免疫制御法による副作用の少ない治療法の開発を早期実現することで、アンメットメディカルニーズの高い膵がん、悪性リンパ腫などに対する新規治療薬となることが期待される。



## ■ “橋渡しプログラム×創薬基盤事業”の事業連携による悪性中皮腫に対する新たな治療薬の開発を目的とした研究開発

- 文科省「橋渡しプログラム」において、悪性中皮腫の治療薬候補を発見したが、非特異的な副作用が出現する可能性が懸念されるため、投与の手法の改善が課題となった。
- この課題に対し、厚労省「創薬基盤事業」のイオン液体によるDDS\*技術により副作用を回避できることを同事業の超高感度の薬物濃度測定技術を用いて明らかにする。
- これにより、化合物の用途特許を申請するとともに、悪性中皮腫に対する新たな治療薬の開発をいち早く進めることができる。

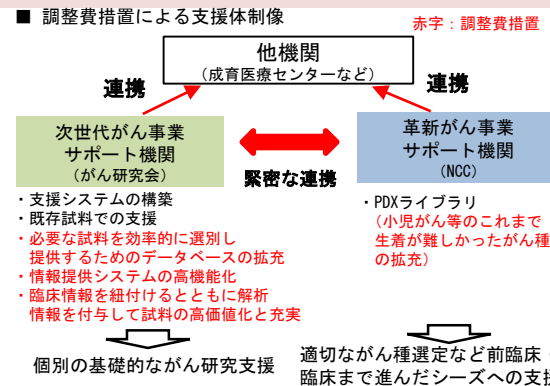
※文科省事業×厚労省事業の連携  
\*：ドラッグデリバリーシステム



## ■ “次世代がん事業×革新がん事業”のサポート機関の連携によるがん研究に必要なバイオリソース提供基盤構築のための研究開発

- 希少がんや小児がんを含む生体サンプルを、質の高い臨床情報やオミックス解析情報と紐付けて高付加価値化し、PDXやオルガノイドによる薬効評価・薬剤スクリーニング支援などを実施する。
- 両事業のサポート機関やその他必要な機関の連携を目指し、斬新なアイデアを有する多くの研究者が研究ツールにアクセスできる体制を早急に整え、日本のがん研究の新たな推進策とする。

※文科省事業×厚労省事業の連携



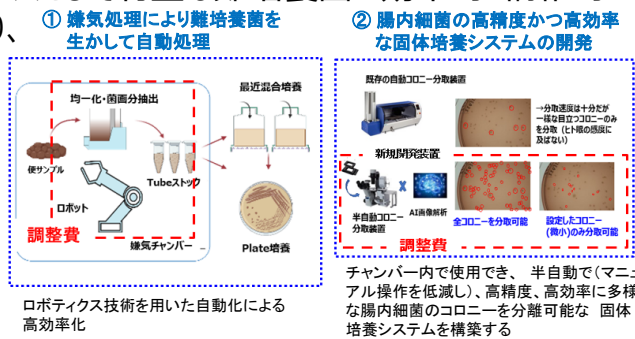
## 【調整費配分のポイント】

- 事業間・課題間で連携を進めることにより、研究開発の飛躍的な発展が期待できる連携課題を後押し。
- 最先端の設備を導入することにより、研究開発の一層進展や基盤強化が行えることに加え、他機関への共用により、研究領域全体の発展にも寄与する課題を積極的に後押し。
- AMED-FLuX等の産学協働事業の対象となり得る若手研究者によるシーズ研究を、企業が求める成果に発展させていくための研究開発を積極的に支援。

## 【重点支援する課題(例)】

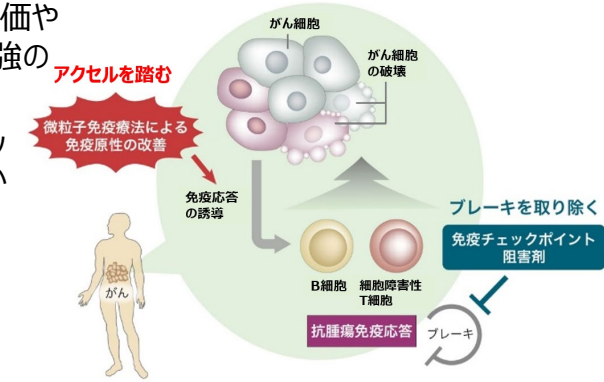
### ■ 生菌製剤開発に資する難培養菌の単離・培養技術の開発

- 「容易に培養できない菌」である難培養菌が、特定の医薬品の薬理効果に影響を与える等、新たに重要な生理的役割を担っていることが示された。
- 慶応義塾大学の腸内細菌培養技術と産業総合研究所のロボティクス技術を組み合わせることで、難培養菌の単離・培養技術を飛躍的に発展させることを目指す。
- これにより、創薬シーズとして有望な難培養菌の効率的・網羅的な培養が可能となり、創薬シーズ探索の加速化、生菌製剤開発における世界的な競争力強化に繋がる。



### ■ がん細胞の免疫原性を標的とした微粒子免疫療法の研究開発

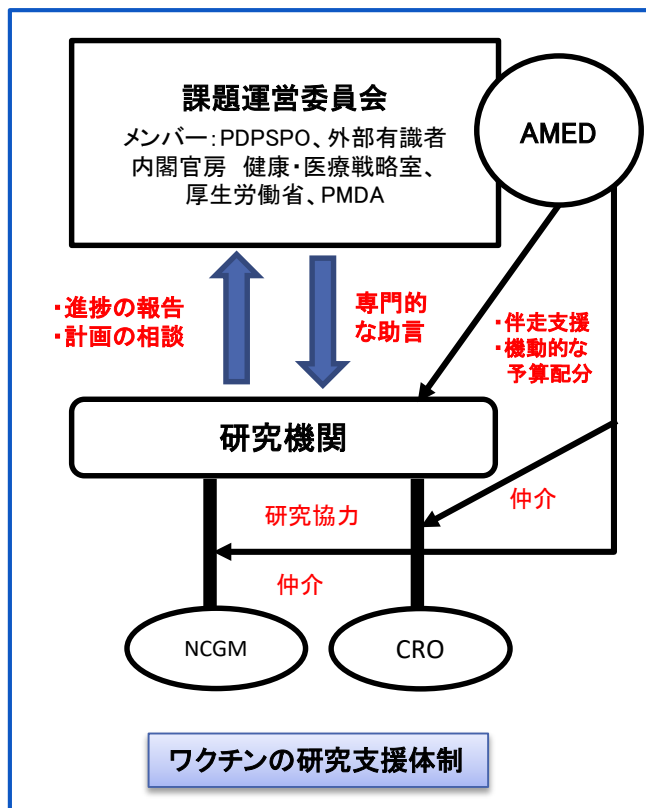
- がん細胞が免疫応答を誘導する性質（＝免疫原性）を高めるような微粒子（金ナノ粒子）をデザインし、これをがん免疫療法に応用することを目標に研究が進められている。
- AMED-FLuX会議において複数の企業有識者から、本技術の実用化のためには体内動態等のヒトへの外挿性に係るデータの拡充と薬物作用機序の詳細な解析が重要であるとの指摘を受け、ヒトモデル系での金ナノ粒子の動態評価や免疫系細胞の機能増強のメカニズム解明を行う。
- 将来的には、免疫チェックポイント阻害剤の効かないがんへの新規治療法開発につなげていく。



1. 医薬品PJの概要
2. 令和3年度 医薬品PJの取組
3. 令和4年度 医薬品PJの取組(調整費関連)
4. **新型コロナウイルスワクチン開発状況**
5. 医薬品PJに係る今後のAMEDの取組

# AMED支援によるCOVID-19ワクチン開発の状況

- 支援を実施したmRNAワクチン(武田薬品工業株式会社)は、令和3年5月に薬事承認を受けた。
- 組換えタンパクワクチン(武田薬品工業株式会社)は、令和3年12月に薬事承認申請を行い、令和4年4月に薬事承認を受けた。
- 課題運営委員会を活用し、機動的な課題管理・運営を行うとともに、細やかな伴走支援により、各種ワクチンにおいて、国内での迅速な臨床試験の実施につながっている。



### AMED支援コロナワクチンの開発状況

● : 支援開始時開発ステージ  
○ : 2022年5月開発ステージ

機関名	モダリティ	開発ステージ					実施中の試験
		前臨床試験	探索的試験	検証的試験	申請	承認	
武田薬品工業株式会社 (モデルナ社)	mRNA		●			○	21/5/21 特例承認取得
武田薬品工業株式会社 (ノバックス社)	組換えタンパク		●			○	22/4/19 製造販売承認取得
KMバイオロジクス株式会社	全粒子不活化	●		○			21/10/22~第2/3相試験実施中
塩野義製薬株式会社	組換えタンパク	●		○			21/10/20~第2/3相試験実施中 21/12/3~ 追加免疫試験実施
第一三共株式会社	mRNA	●		○			21/11/17~第2相試験実施中
アンジェス株式会社	DNA	●	○				21/8/17~AG0302高用量製剤 第1/2相試験実施中
VLP Therapeutics Japan 合同会社	RNAレプリコン	●	○				21/10/12~第1相試験実施中

1. 医薬品PJの概要
2. 令和3年度 医薬品PJの取組
3. 令和4年度 医薬品PJの取組(調整費関連)
4. 新型コロナウイルスワクチン開発状況
5. 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

この2年間で、第2期プロジェクトとしての推進体制が整ったと考えており、今後は、さらに他のプロジェクトとの連携を含めて事業間のシナジーを追求し、より効果的な医薬品開発をさらに推進する。

- AMED-FLuXについて、AMED支援課題の実用化促進を更に推し進めるために、対象課題を他のプロジェクトへ拡大するなど、より一層の活用を図る。
- 『基盤技術』の疾患横断的な『シーズ開発』への応用による研究開発を一層推進するために、調整費等を活用し、プロジェクト間連携等を推し進める。
- 創薬支援ネットワークにおいて、情報発信を強化し、プロジェクトを超えて他のAMED事業との連携を推進し、より優れた創薬シーズを多数発掘し、着実な創薬支援を実践していく。
- 先進的研究開発戦略センター(SCARDA)が戦略体制を円滑に構築できるよう医薬品PJとして必要なサポートを行う。また、ワクチン開発・生産体制強化戦略に基づくワクチン・新規モダリティの研究開発について、これまでの医薬品研究開発支援成果情報を提供するなどして、SCARDAによる推進に貢献する。なお、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、いち早く患者に届けられるよう課題運営委員会による綿密な進捗管理を進める。また、ワクチン開発の成果については、厚生労働省所管のワクチン生産体制等緊急整備事業への移管を進めるとともに、支援中の課題の成果の最大化に務める。
- 国民等への治験・臨床研究の普及啓蒙活動に関する研究や治験・臨床研究における患者・市民参画(PPI)を推進する手法の確立に関する研究を進めており、今後も、その成果を踏まえつつ、PPIに関する取り組みを推進する。

(参考資料)

# 生命科学・創薬研究支援基盤事業 (BINDS)



幅広い分野のライフサイエンス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・共用して支援に活用することにより、大学・研究機関等による基礎的研究成果の実用化を進めるとともに、医薬品研究開発に留まらないライフサイエンス研究全般の推進に貢献する。

## ヒット化合物創出ユニット

- ・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



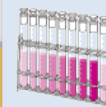
## モダリティ探索ユニット

- ・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 ADMEパラメーター評価



## 薬効・安全性評価ユニット

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



創薬等の実用化につなげるための領域横断的な支援機能

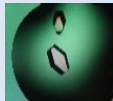
## 領域連携・実用化推進 【BINDS司令塔・調整機能】

- ・PSPO・外部有識者・補助事業代表者・AMED事務局等で構成
- ・窓口+振り分け+コーディネート機能（事務局機能）を強化  
自然災害やパンデミックの発生時などにも迅速な研究の支援が可能となる体制を構築
- ・重点プロジェクト・産学連携高度化研究を選定し連携を推進
- ・ユニット連携のマネジメント・創薬標的妥当性検証のマネジメント
- ・AI・DX化・自動化・遠隔化の推進

活動サポート班

## 構造解析ユニット

- ・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を活用
- ・イメージング・画像による解析



- ・膜タンパク等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）
- ・核酸・ペプチド等新規モダリティの解析試料作製

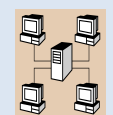
## 発現・機能解析ユニット

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



## インシリコ解析ユニット

- ・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



大型機器・先端技術等の整備・高度化によるライフサイエンス研究支援基盤

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

# 先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業

## 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)
- 先端的医薬品等の開発における**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4年度予算のポイント】

- ・ これまでに採択した要素技術について、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がある。令和4年度概算要求では、これらの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、糖鎖修飾ペプチド、中分子等



#### (iv) ワクシンの基盤技術開発【令和3年度開始】

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 3年間

次世代技術に関する萌芽的研究開発課題

2課題 5年間

4課題 3年間

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術創出を支援する。

## 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 九州大学高等研究院

特別主幹教授 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

### <生物資源>

- ・天然資源を利活用した創薬研究
- ・生物資源を利活用した創薬研究

### <ワクチン・アジュバント>

- ・ワクチンの作用機序解明による非感染症領域への応用研究

### <創薬技術開発>

- ・中分子化合物を活用した創薬研究
- ・中分子医薬品等の活性評価技術開発
- ・創薬技術向上のための評価系の確立
- ・医薬品創出に資する革新的技術の研究
- ・薬物送達技術（ドラックデリバリーシステム：DDS）の開発・高度化研究
- ・薬物動態評価技術の高度化研究
- ・医薬品創出に資する革新的安全性評価の開発研究
- ・革新的な医薬品等の最適な実用化促進のための高度測定技術の開発

### <新規モダリティの創出研究>

- ・創薬デザイン開発技術構築研究（低分子化、核酸・ペプチド、抗体）
- ・新規モダリティの高度化に関する基盤技術の開発
- ・新規モダリティ医薬品に関する基盤評価技術の開発

### <臨床情報・エビデンスに基づく創薬研究>

- ・臨床エビデンスに基づいた創薬ターゲット研究
- ・医療情報に基づく創薬ターゲット創出研究

### <連続生産技術>

- ・医薬品製造工程の高度化（フロー精密合成・連続生産等）

### <人材育成>

- ・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) 産学連携等による医薬品開発の促進

- ・産学官共同創薬技術活用プロジェクト（GAPFREE3）
- ・産学官共同臨床情報利活用創薬プロジェクト（GAPFREE4）
- ・産学官共同Mission-oriented型リバーストランスレーショナルリサーチ  
創薬プロジェクト（MO型rTR-GAPFREE）
- ・薬用植物国産化・利活用促進プロジェクト

## (III) 薬用植物の新たな育種、栽培、生産技術等に関する研究

- ・薬用植物の栽培技術、加工技術の実用化に資する研究
- ・薬用植物の利活用に資する漢方製剤等のエビデンス解明研究



# 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業

## 事業の内容

### 事業目的・概要

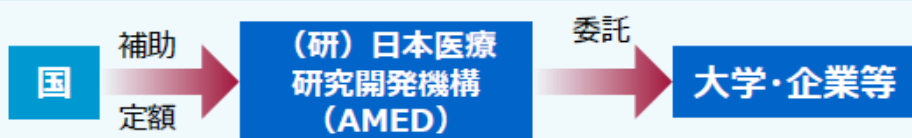
- 今後の高い市場成長が期待されるバイオ医薬品について、日本国内で開発・生産できる体制を構築することは産業政策としても重要な課題です。
- また、個人差を踏まえたより効能の高い治療を実現する個別化医療の推進は、早期回復を通じて、患者のQOL向上・労働者の生産性向上、医療費増加の抑制等、国民経済への好影響が期待されます。
- こうした背景から、本事業では、個別化医療の推進に向けて、次世代治療・診断実現のための基盤技術の開発を支援します。具体的には、
  - ①新モダリティとして注目されるRNAを標的とした医薬品の創薬技術
  - ②国際競争力のある次世代抗体医薬品の製造技術
  - ③奏効率の低い抗がん剤等に対する患者層別化マーカー探索技術
  - ④腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術
 等の研究開発を進めます。これを通じて、将来の感染症への備えとしてバイオ医薬品の国内開発・製造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12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

### ①RNA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腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術開発

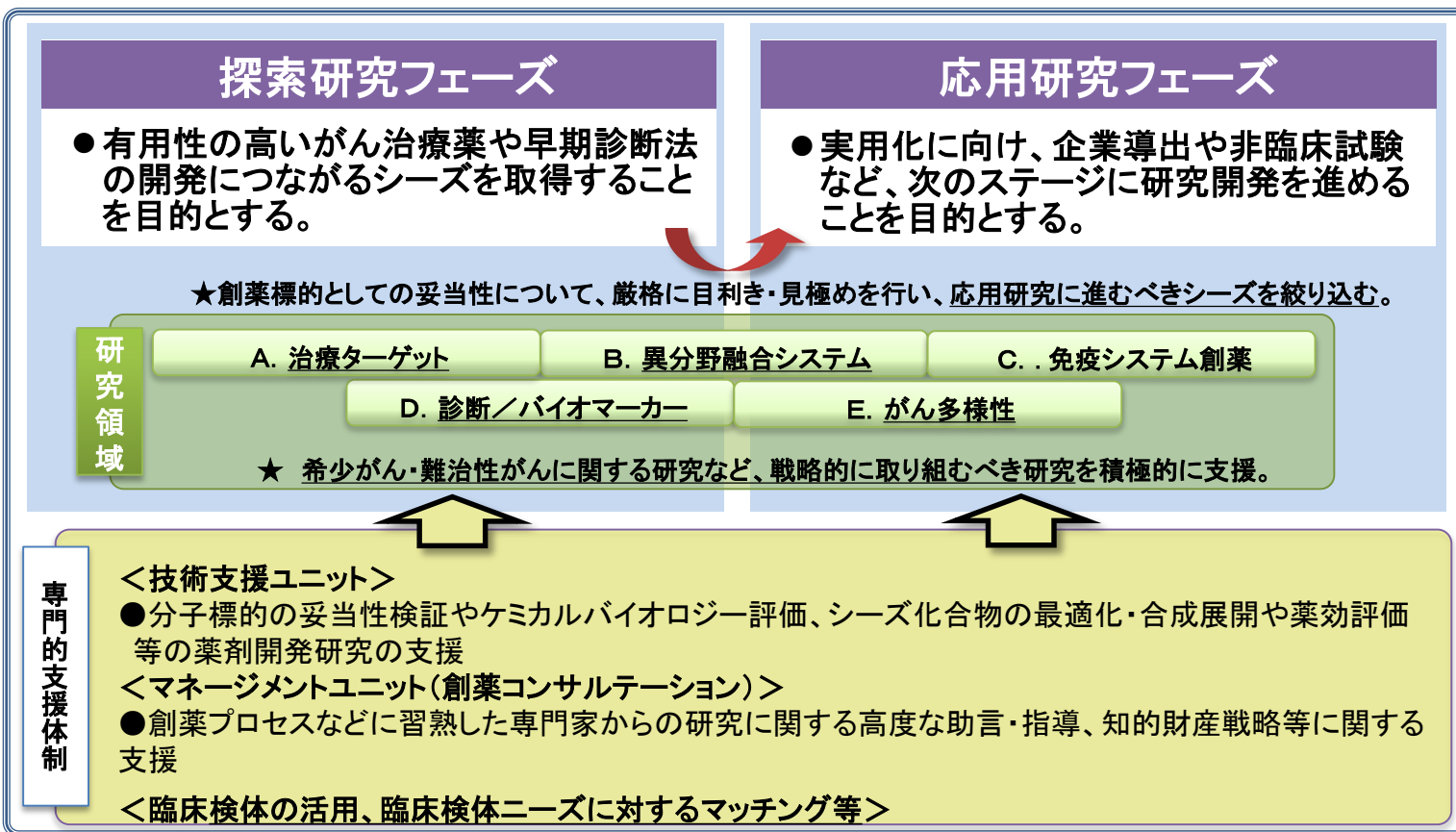
腸内細菌叢のゲノム・代謝物情報

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。

# (令和4年度開始)次世代がん医療加速化研究事業

研究者の自由な発想に基づく研究



革新的がん医療実用化研究事業・創薬プーンスター・企業等

AMED(創薬事業部・他事業等)との連携

【技術支援】

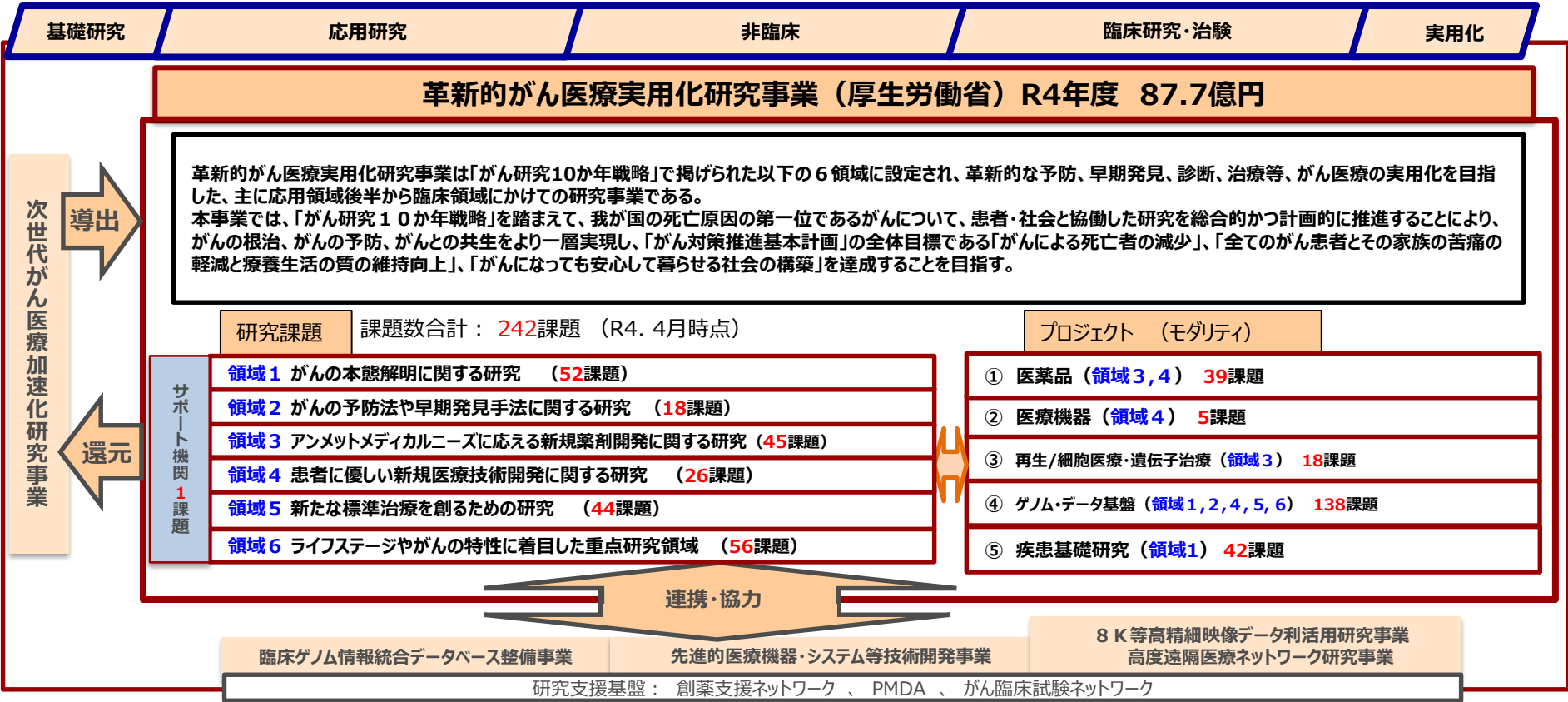
・生命科学・創薬研究支援基盤事業(BINDS)

創薬コンサルテーション

(例)

・AMED-FLuX  
・AMEDぷらっと

# 革新的がん医療実用化研究事業 事業概要



次世代がん医療加速化研究事業

導出

還元

# 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

○ P S、 P O

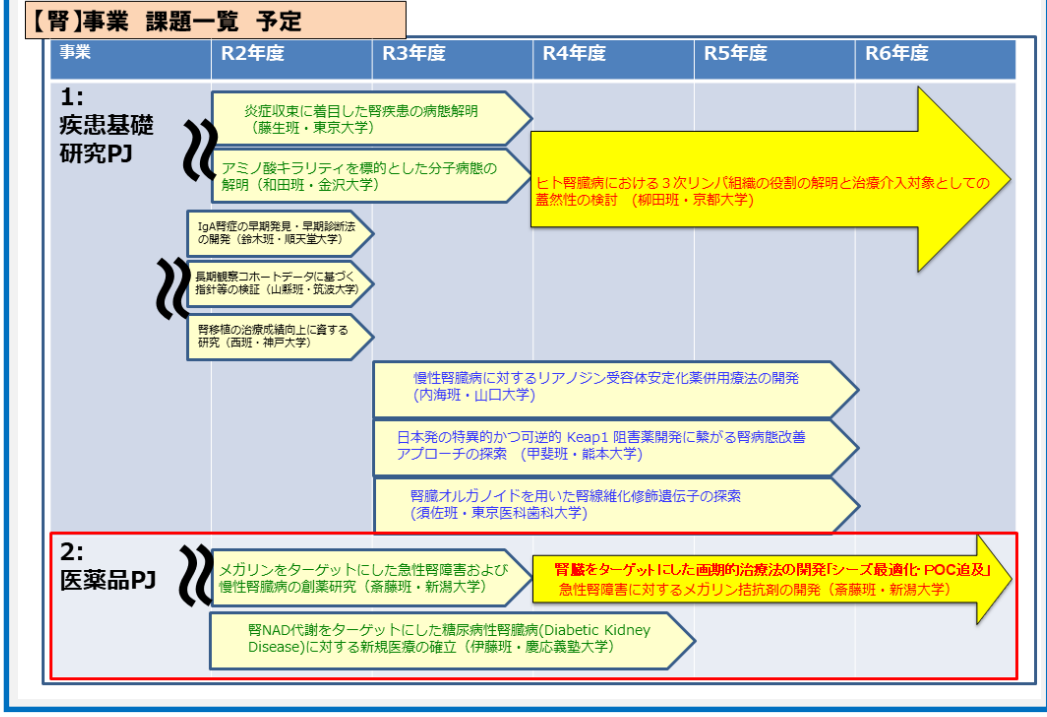
- ・プログラムスーパーバイザー (PS)
  - 東邦大学 腎臓学講座 名誉教授 **相川 厚**
- ・プログラムオフィサー (PO) (五十音順)
  - 眞仁会 横須賀クリニック 診療部長 **内田 啓子**
  - 順天堂大学メディカルアーツ研究室 准教授 **西崎 祐史**
  - 名古屋市立大学 腎臓内科学分野 教授 **濱野 高行**

※本事業の事業推進、導出活動、成果の公開・利用方針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。



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	(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	PSPOヒアリング	次年度計画書・成果報告会抄録提出			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疾患

免疫疾患領域

- 関節リウマチ
- 皮膚・粘膜、その他臓器における何らかの免疫反応に起因する疾患

## 評価・管理体制

○ P S、P O

・ プログラムスーパーバイザー (PS)  
飯塚 一 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 教授  
小池 隆夫 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 主任教授  
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

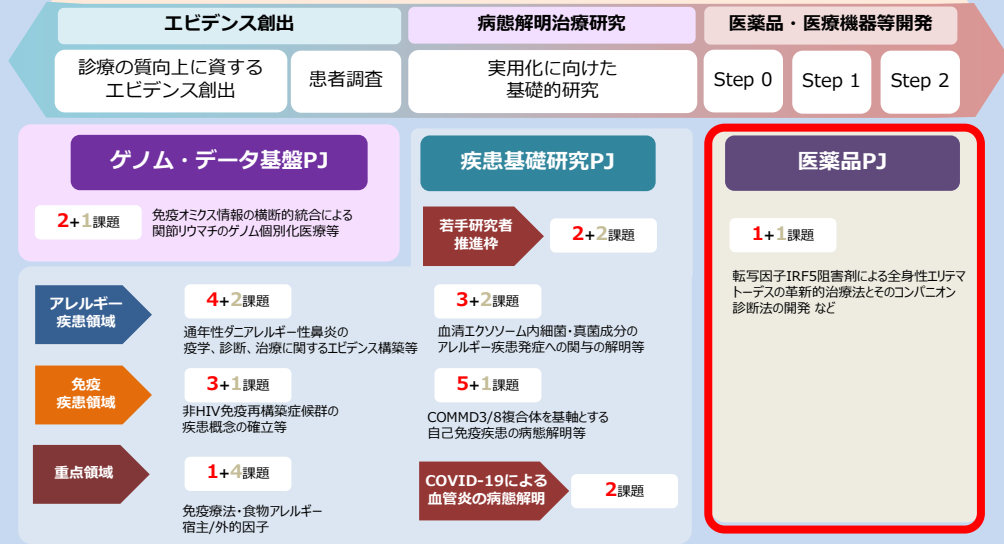
○ 研究開発期間：最長3年間(成果に応じて変更の可能性あり)

令和4年度  
継続23課題  
+新規14課題  
(予定, 上限)



### 「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





# 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。

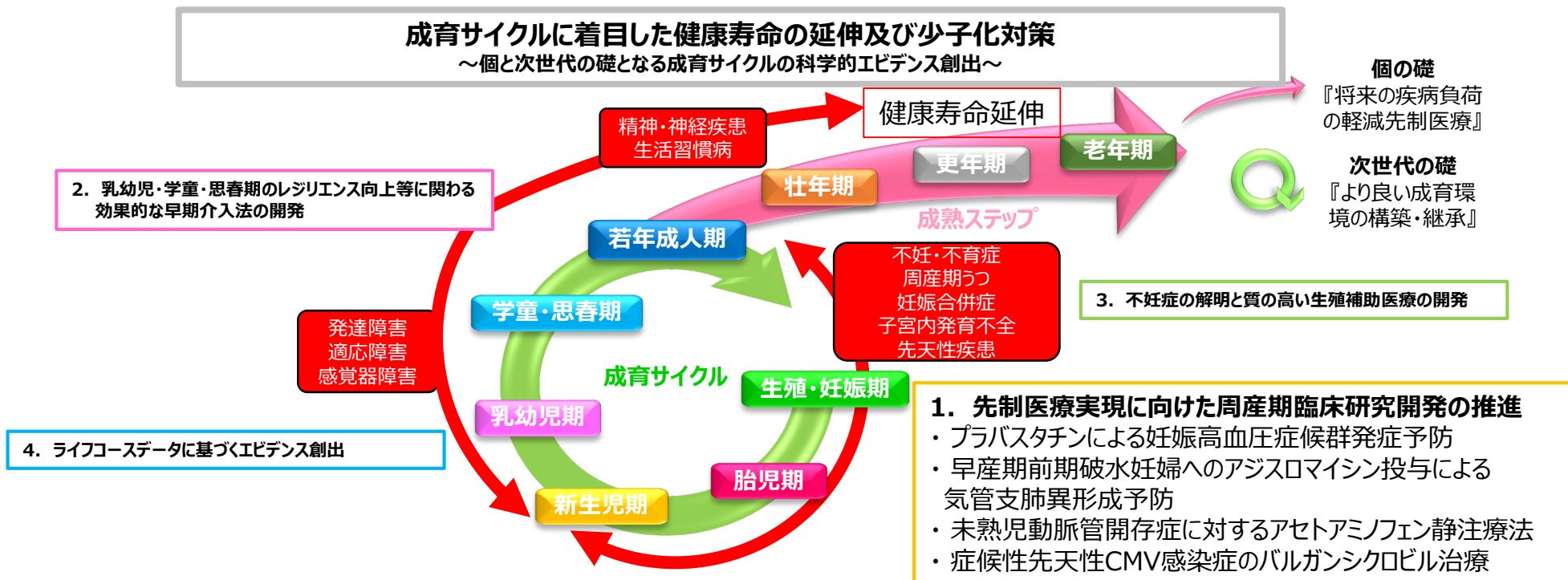
本事業では、受精・妊娠から胎児期、新生児期、乳幼児期、学童期、思春期、性成熟期、生殖期それぞれのライフステージと、次の世代を創出し育成する一連のサイクルである「成育サイクル」それぞれの観点での健康課題克服に向け、生涯にわたる健康の礎をなす妊娠期、小児期の心身の健康課題や、近年の社会及び家庭環境の変化等により急激に増加し多様化している課題の解決を目標とし、病態の解明と予防および治療のための研究開発とその実用化を推進します。

## 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 主任部長)	PO 飯島 一誠 (兵庫県立こども病院 病院長)
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 (静岡医療科学専門学校 学校長)
PO 多屋 馨子 (神奈川県衛生研究所 所長)	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～



# 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。



**【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。

**【公募】** 第1回募集期間：令和2年12月11日～令和3年3月11日

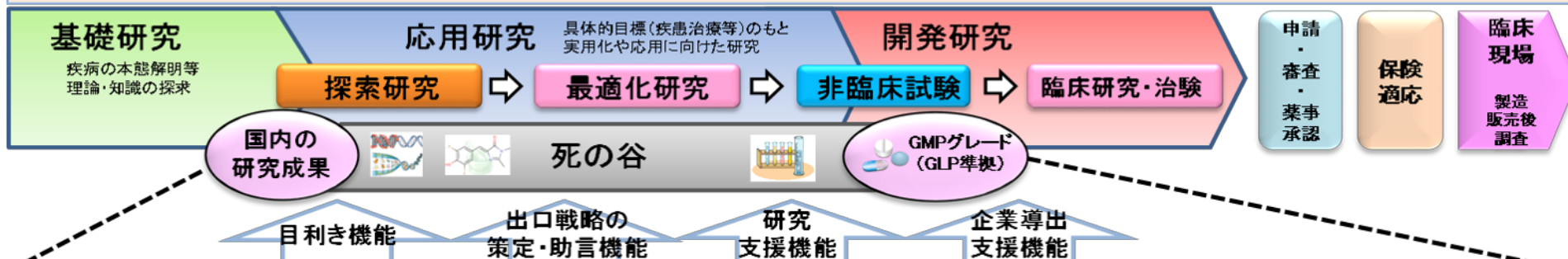
**【採択結果】**

研究代表者	機関名	役職	研究課題名
岩崎 広高	滋賀医科大学	助教	加齢、糖尿病によるサルコペニアに対する骨格筋を標的とした治療薬の開発
上野 圭吾	国立感染症研究所	主任研究官	Development of the third-generation intranasal vaccine against pulmonary mycosis
梶野 英俊	東京大学	特任研究員	脳における膜電位感受性色素の細胞種選択的な化学的活性化法の開発
元根 啓佑	大阪府立大学	客員研究員	ナノポアを用いた1分子プロテオミクスの実現に向けた「amino acid caller」の開発
安原 敦洋	東京大学	特任研究員	Characterization of antibody and B cells in the development of SARS-CoV-2 and influenza vaccines

**【今後の予定】** 寄付金の提供状況を踏まえ、適時のタイミングで新たな公募を検討。

# 「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

**【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り組み

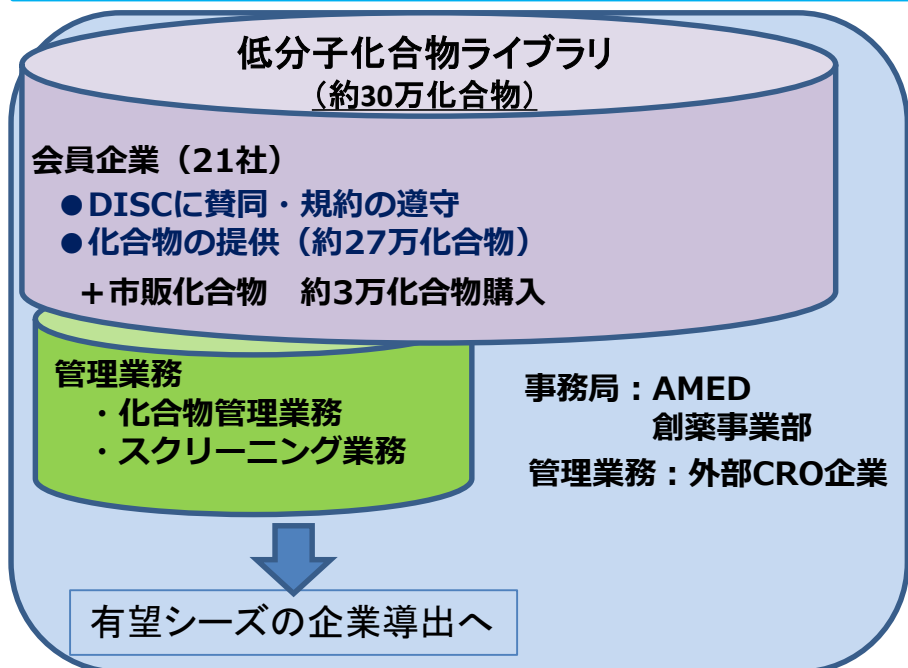
## ○ 民間企業のアセット活用

- 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

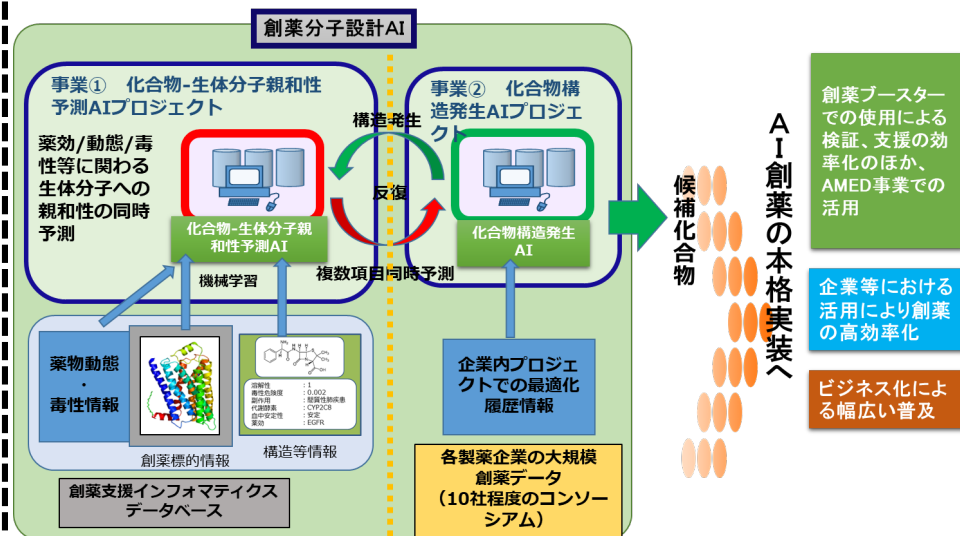
- ・ 企業化合物を主体とするスクリーニングシステムの構築
- ・ 約30万化合物のライブラリ構築 (うち製薬企業21社から約27万の低分子化合物を提供・約3万の市販化合物を購入)、創薬支援ネットワークで活用・導出を目指す
- ・ これまでにDISC由来の創薬シーズ4件を企業導出



### ② 産学連携による次世代創薬AI開発 (DAIIA)

※ Development of a Next-generation Drug Discovery AI through Industry-academia Collaboration

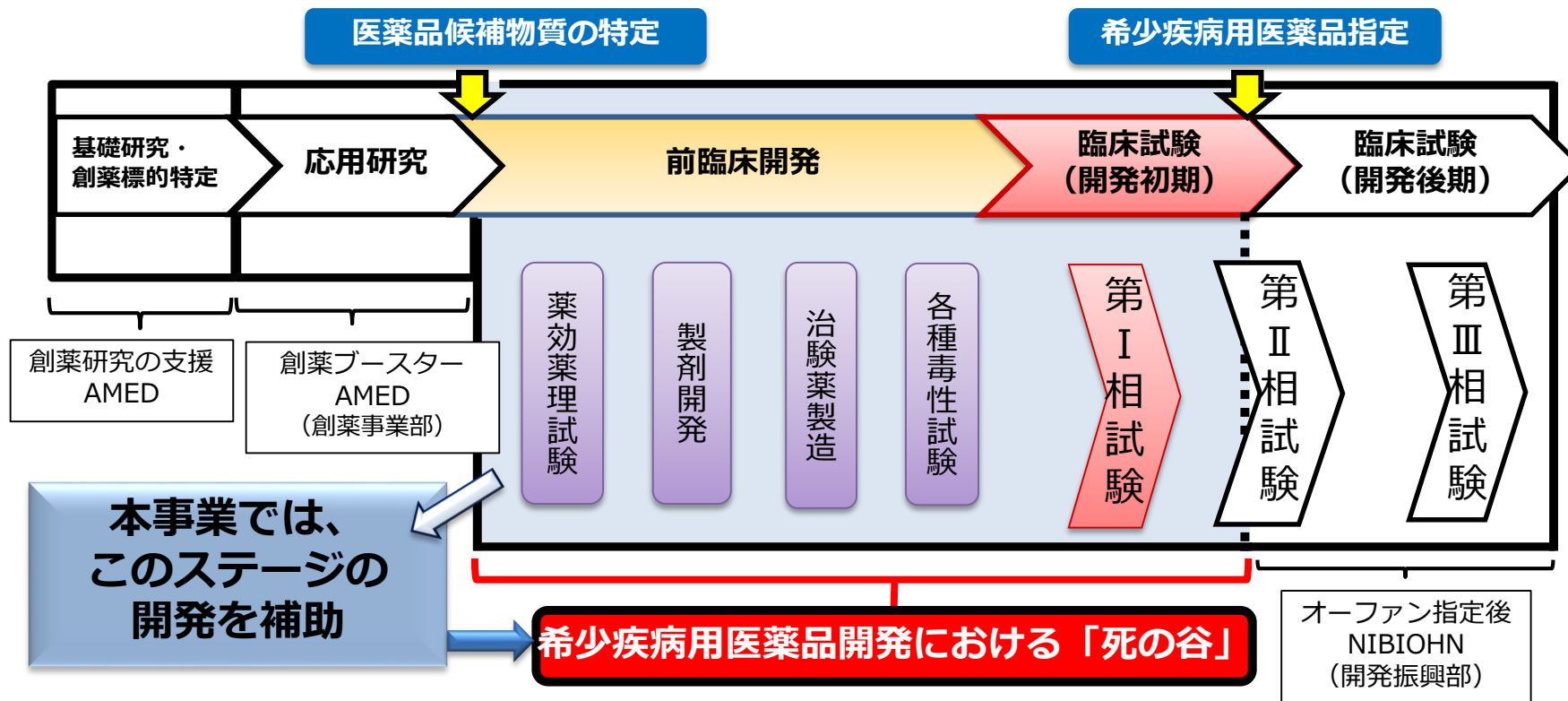
- ・ 産学の保有する生体分子群と化合物群の親和性データや企業の化学研究者が持つ構造最適化に関する経験知データ等、創薬研究における多面的で膨大なデータを広く集約することで、産学が利用可能な化合物設計AIを開発する。



■ 多様なモダリティ対応として、令和2年度より、中分子化合物ライブラリーの運用も開始。



# 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



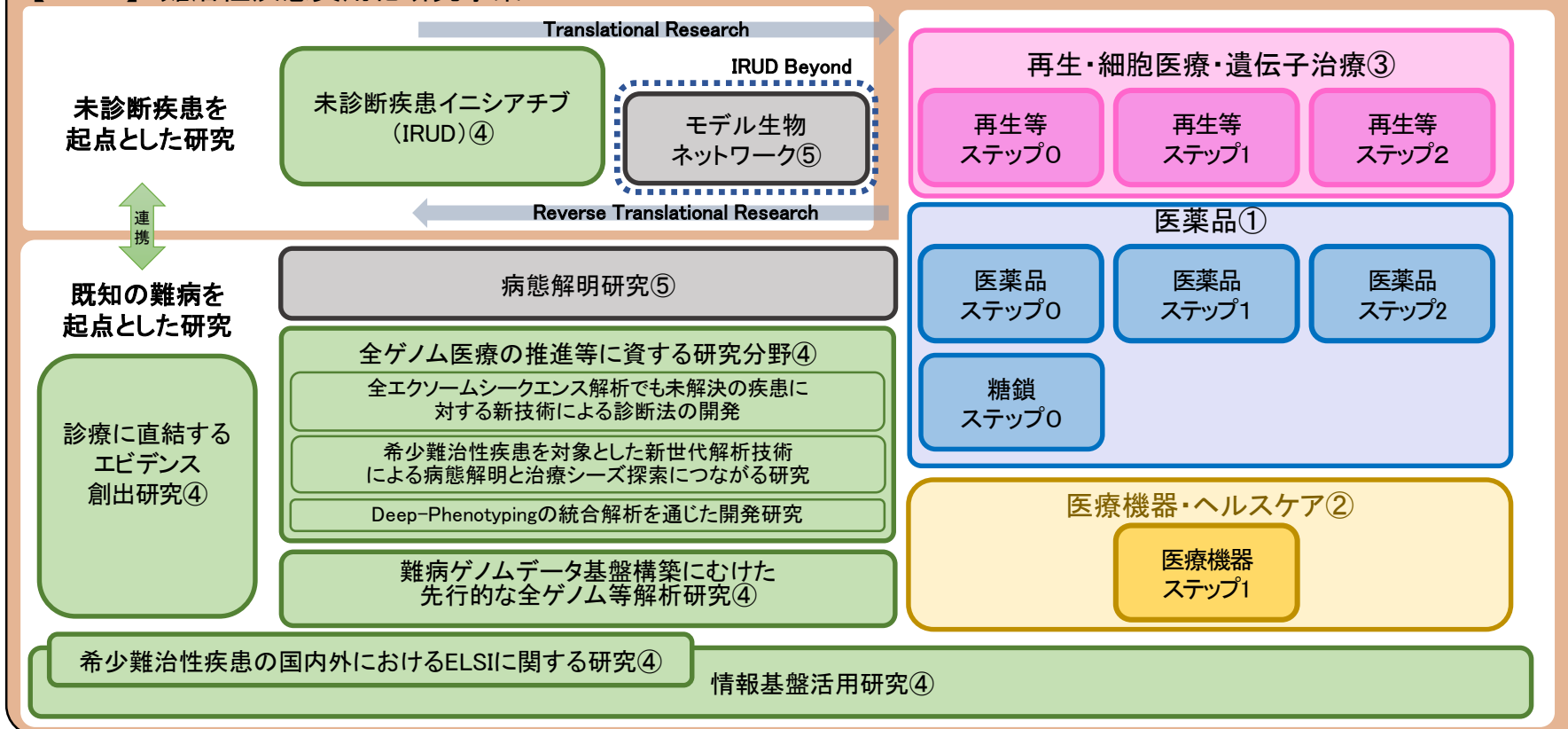
- ◆ オーファン指定前の幅広い開発【非臨床～臨床試験（PⅡ）】ステージにおける企業等への支援・助成の仕組みとして、平成27年度より、AMEDにおいて、企業等を対象にした希少疾病用医薬品指定を受ける可能性のある品目の開発費の補助事業を開始
- ◆ 補助対象には、ドラッグ・リポジショニングの開発も含まれる

# 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



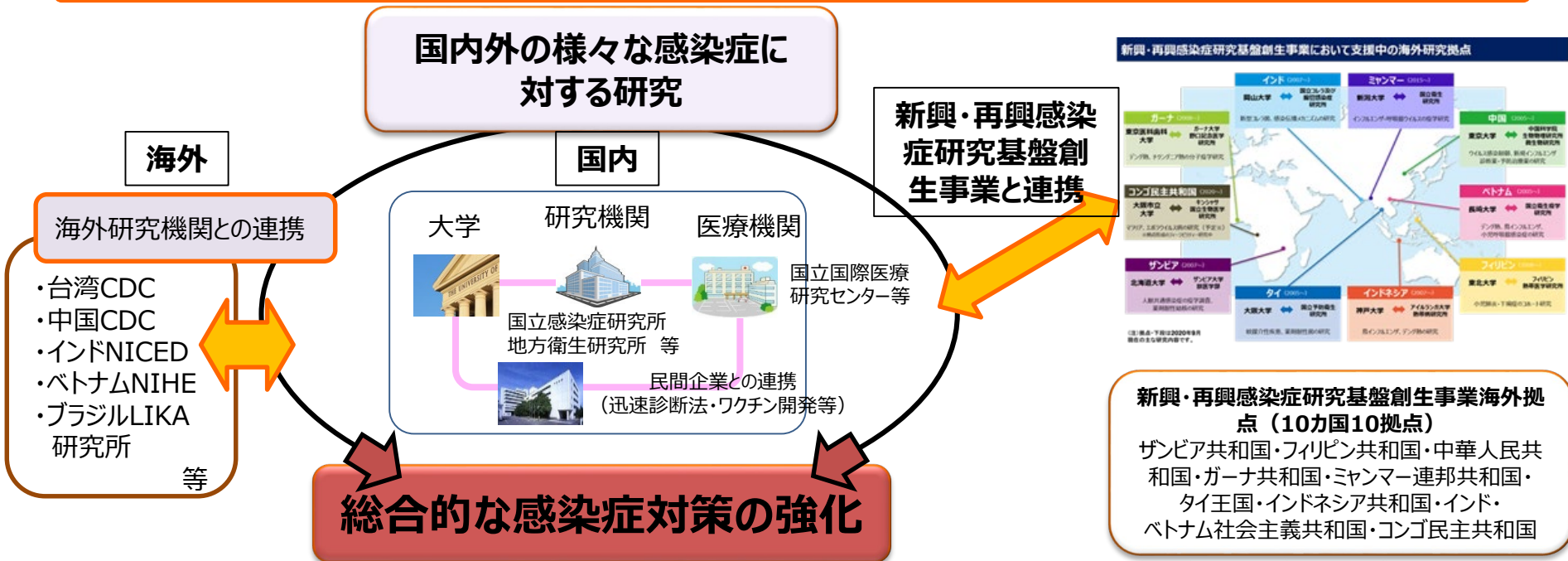
## 【AMED】 難治性疾患実用化研究事業



## 【厚生労働省】 難治性疾患政策研究事業



# 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

# 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。



## 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  |
|                     | 中国疾病預防控制中心           |       |
|                     | 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

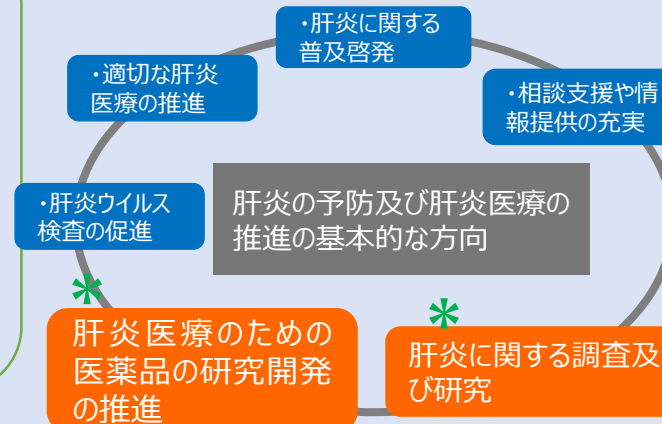
本委員会では、肝炎等克服実用化研究事業の研究開発課題評価の事前評価、中間評価、事後評価、追跡評価を実施する。

## 担当事業

### 背景

- ・国内の肝炎（ウイルス性肝炎）の持続感染者は、**B型110万人～120万人**、**C型90万人～130万人**存在すると推定
- ・国内**最大の感染症**
- ・肝硬変・肝がんへの進行

### 肝炎対策基本指針（H28年6月30日改正）



## \* 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

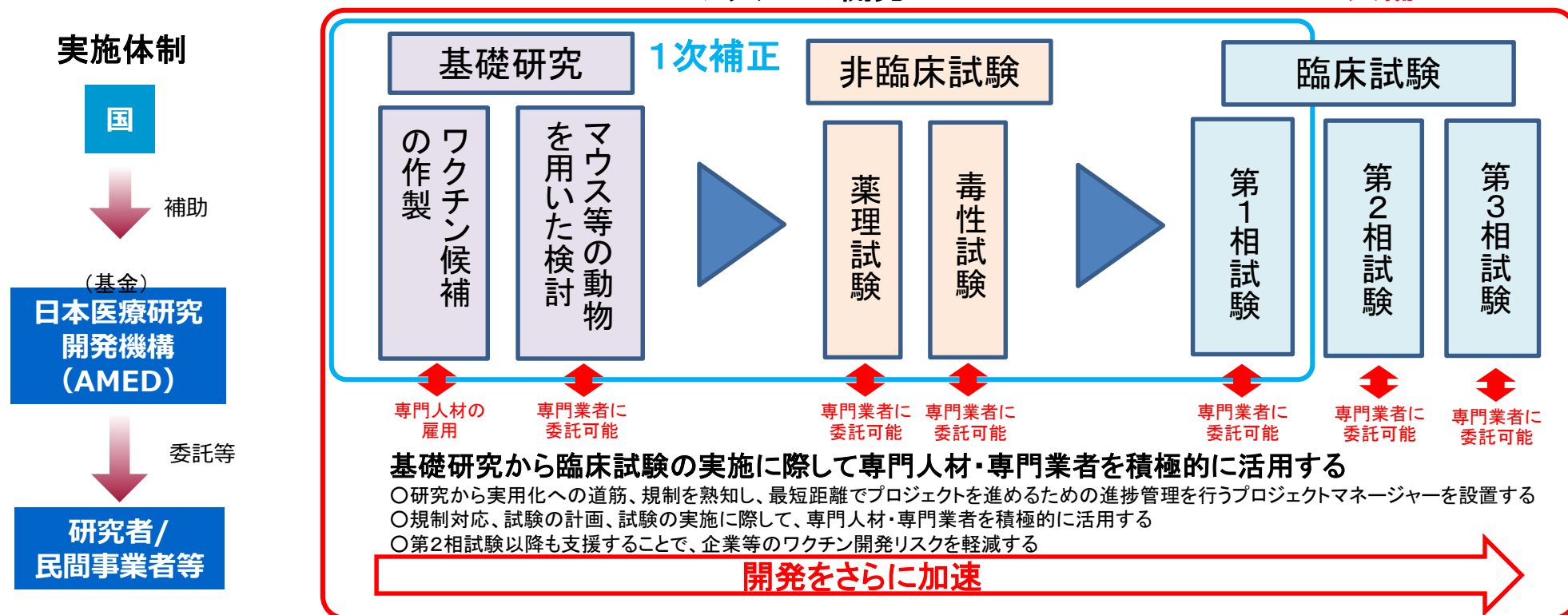
## 施策の目的

「新型コロナウイルス」のワクチン開発を実施し、国内における開発の加速・供給体制強化の要請に対応する。

## 施策の概要

国内の研究者等において開発が進んでいる「新型コロナウイルスワクチン」について、AMEDに対して開発資金を補助することにより、基礎研究から臨床試験の実施における専門人材・専門業者の積極的な活用等を支援し、さらに開発を加速する。

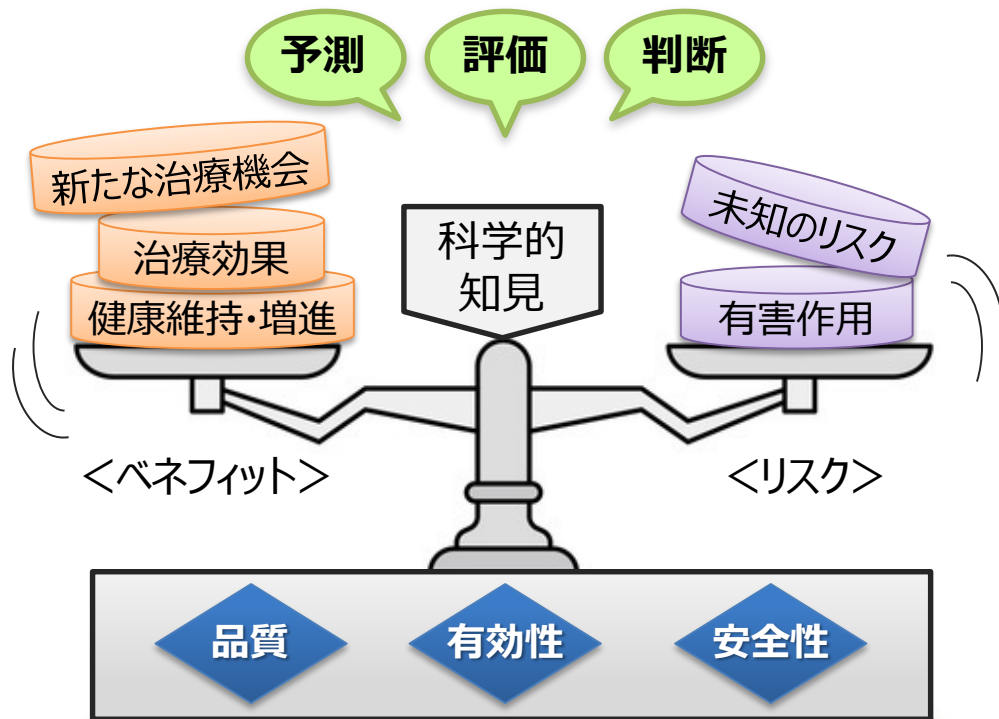
## 施策のスキーム図、実施要件(対象、補助率等)等



## 成果イメージ(経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む)

「新型コロナウイルス」のワクチンを早期に開発し、国内における供給体制を整えることにより、感染拡大を防止すると同時に、国民の安心にも寄与する。

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  
牧江 俊雄 国立病院機構 鈴鹿病院

### ○科学技術調査員：

中谷 知右 医薬基盤・健康・栄養研究所

### 令和4年度予算 28.8億円

支援中の49件（研究課題）の内訳

プロトコル作成……………6件

（臨床研究・医師主導治験）

医師主導治験実施……………30件

臨床研究実施……………12件

その他……………1件

# 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

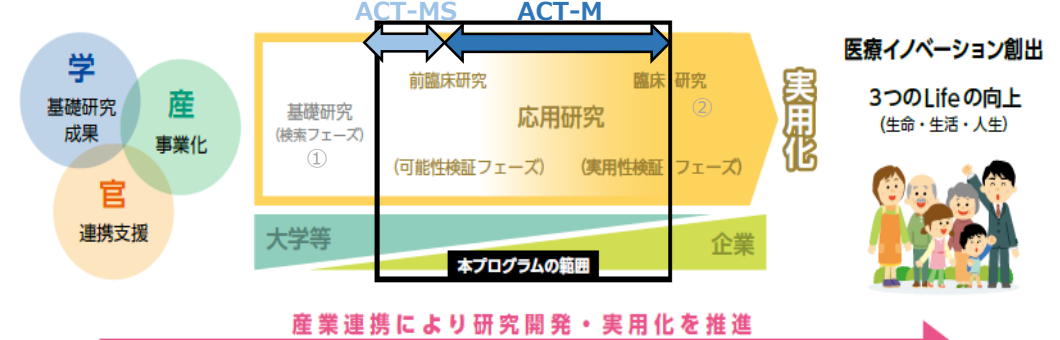
## 目的

本プログラムは、大学等と企業、そして病院等との連携を構築しアカデミア（大学等）発の「技術シーズ」を産業界（企業等）に円滑かつ効果的に移転する（実用化プロセスに乗せる）ための、産学連携による研究開発を支援する制度です。

本プログラムは基本スキーム（ACT-M）およびセットアップスキーム（ACT-MS）より構成されています。

## 産学連携により医療分野における技術課題を解決

日本医療開発機構（AMED）／文部科学省が設定したテーマに基づき、産学連携で構成される複数の研究開発チームが、POによるマネジメントのもと一体的に研究開発・実用化を推進



産学連携により研究開発・実用化を推進

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。

### セットアップスキーム（ACT-MS）

支援額；20百万円／年（間接経費込）、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

※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（間接経費込）、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

ACT-MS		ACT-M
アカデミア/セットアップ企業	研究チーム ※下線が研究代表者になってよいプレイヤー	アカデミア/企業
アカデミアのみ	研究費執行先	アカデミア/企業
特許網構築、ビジネスプラン策定等	企業の義務	企業リソース提供、ビジネスプラン策定、事業化準備
特許網構築の取組状況	課題ごとのKPI	企業へのライセンスアウト (開発主体がアカデミアから企業へ交代)



# 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。

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業：プレオーファン事業と表記

# 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～

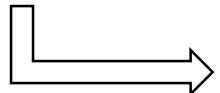
アカデミアの  
研究成果を  
最短経路で  
患者さんの元へ

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・医薬品PJ支援課題  
開発早期の具体的なシーズ



**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

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）

【第4回 AMED-FLuX】開催日時：2022年1月26日（水）

【第5回 AMED-FLuX】開催日時：2022年5月25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。