

医薬品プロジェクトの推進方針

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
近藤 裕郷

令和7年6月2日

1. 医薬品プロジェクトの推進方針

プログラムディレクターとしての推進方針

＜第3期の基本方針＞

1. アカデミア創薬標的の同定とバリデーション強化を図る
 - ・バリデーション評価に必要な技術支援を目的に[創薬ブースター](#)、[BINDS](#)などの事業間連携（[ペアリング・マッチング](#)）の推進
2. 基礎研究を創薬研究に結びつけるための質の高いプロジェクトマネジメントの実践
 - ・出口を明確にした[TPPの設定](#)、定期的に評価する[マイルストーンの設定](#)、進捗状況や[selection criteria\(SC\)指標](#)による明確な[Go/No Go判断](#)の実施
 - ・[AMED-FLuX](#)や[AMED内の企業出身者](#)による目利き・ハンズオン機能の強化
3. 実用化を推進する取り組みの強化
 - ・限られた研究予算で[臨床開発段階](#)へスムーズな移行を図るため研究予算の“[選択と集中](#)”および[調整費の活用](#)
 - ・アカデミア・スタートアップ企業・製薬企業の連携支援の強化・促進
4. 企業への導出が難しい案件に対する実用化を視野に入れた支援策の策定
 - ・[希少疾患](#)、[難病](#)、[小児](#)、[AMR](#)、また[Drug Repositioning](#)による開発に対する支援強化
5. 国際動向も踏まえた新規モダリティ等の医薬品候補の実用化に資するRS研究の推進
 - ・国際的な情報収集やガイドライン作成の支援強化

＜重要項目＞

- ・プロジェクトおよび事業間連携（ペアリング、マッチング）、企業との連携などを系統的に進める仕組みの整理が重要

＜具体的な施策＞

- ① 統合プロジェクト連携会議内で、各プロジェクト研究成果を確認し、プロジェクト間連携を積極的に進めていく
- ② AMED事業内に蓄積された創薬基盤技術を生かして、創薬研究の成功確率を左右する標的バリデーション（発現解析、機能解析、パスウェイ解析など）に必要な支援の底上げを図る
- ③ 成功確率アップに向け、第2期AMED事業で経験した成功事例や失敗事例の情報は現状の研究テーマの遂行上、重要な情報になりえることから、第3期AMED事業において利活用する方策を検討する

医薬品研究開発の課題

我が国における医薬品・医療機器の革新的創製は、日本の重要な成長戦略の一つとして期待されている。しかしながら、現在の日本の医薬品産業が直面している課題は多く、その課題解決に向けた新たな創薬基盤技術の開発が非常に重要になってきている。例えば、モダリティの多様性に伴い、バイオ医薬や遺伝子治療など新しい創薬アプローチや最先端技術を用いたスクリーニング法による薬剤候補化合物の効率的な発見など新機軸の創薬プラットフォームの構築の重要性が世界的に高まっている。このような医療ニーズの課題背景を下に医薬品プロジェクトでは創薬研究に資する先端技術の開発や革新的医薬品の創製を目的に事業を進めている。

具体的な課題とその対策

医薬品の充足性や治療満足度の低い難病・希少疾患の創薬研究に対するアンメットニーズは高いものの、その病態解析がまだまだ十分に進んでおらず、新薬創製には依然高いハードルがある。また、近年になって日本の医療に関する政策課題（パンデミック対応、高薬価による医療財政破綻リスク、医薬品調達のサプライチェーンの海外依存など）も顕在化してきており、課題解決に向けた産学官オールジャパンの対応が求められ、中でも創薬課題の解決においてはAMED事業の重要性は増々高くなっている。

課題

対策

- | | | |
|------|------------------------|--------------------------|
| 創薬課題 | ● 難治性疾患等の創薬シーズの枯渇 | ➡ 病態解明と創薬標的の同定・検証法の開発 |
| | ● モダリティ多様性の時代（抗体、核酸等） | ➡ モダリティ創薬のプラットフォーム構築 |
| | ● 創薬イノベーション創出の停滞感 | ➡ アカデミアの萌芽的研究の支援強化 |
| | ● 創薬研究開発はAIの時代へ | ➡ 次世代のAI搭載型創薬プラットフォームの構築 |
| 政策課題 | ● 我が国のパンデミック感染症対策の脆弱さ | ➡ 創薬エコシステム等の体制強化 |
| | ● バイオ医薬等の高薬価による財政破綻リスク | ➡ 高薬価解消策は先が見えない！ |
| | ● 我が国のサプライチェーン体制の危機 | ➡ 経済安保法による安定供給支援基金事業 |

これらの創薬課題の解決に向けて、**医薬品PJ事業**が貢献できることはないか

第2期事業実績から見える課題

【参考】



第2期実績の考察

- ・第2期期首に設定した薬事承認数10件に対して、実績は約40件と大幅に達成された。しかし、その多くは既存薬の適応拡大などリポジショニングの割合が非常に高くなっており、新規有効成分は約2割にとどまる状況にある。

第3期に取り組むべき課題(案)

・第2期で薬事承認に至った新規有効成分の多くは、適応症がオーファンの治療薬となっており、AMEDの目標の一つである「[グローバルに通用する革新的新薬の創製](#)」はまだまだ不十分な結果となっている。この目標達成には、アカデミアと企業との研究連携をこれまで以上に推進する必要がある。

＜第2期事業活動を振り返り、第3期で改善すべき点＞

・企業がアカデミア創薬へ積極的に参加できない要因（[アカデミア－企業間のギャップ要因](#)）は何か？

- ①アカデミアが提案した創薬標的の[バリデーションが不十分](#)。（対策⇒基盤的事業等との事業間連携によるバリデーションの強化）
- ②創薬標的治療薬の[グローバルな競合優位性](#)とアンメットニーズの把握が困難。（対策⇒企業目線のタイムリーな評価を活用）
- ③基礎研究の成果を創薬研究プロセスに挙げていくための[ゴール設定](#)や[研究計画が不十分](#)。（対策⇒目利き人材の活用）
- ④新規モダリティを候補化合物とする際の[GLP適合性、GMP生産体制が不明](#)。（対策⇒RS研究等による生産体制のあり方を検討）
- ⑤研究進捗をタイムリーに、的確に評価するための[指標の整備が不十分](#)。（対策⇒適切なTPP、[candidate selection\(CS\)](#)の作成と管理が必要）
- ⑥医薬品ビジネスの競合性を担保できる[知財状況（進歩性、実用性）が不透明](#)。（対策⇒知財戦略を考慮した支援）
- ⑦非臨床試験や臨床試験の結果が少なく[開発リスクが大きい](#)。（対策⇒AMED予算の選択と集中、AMED調整費の活用）

第3期においては、これらの課題をクリアするために、アカデミアや企業等と連携の上、第3期のミッションである“ペアリング”と“マッチング”による事業間の連携を強化することが非常に重要になる！

● 基礎研究から実用化への一貫してつなぐプロジェクトの実施に関する事項

事業成果の概要

第2期に設定した目標値を大きく上回る成果が得られた。特に企業の開発が進みづらいアンメットメディカルニーズの高い世界初の新薬の薬事承認に成功した点は、希少難病患者の皆さんの福音につながる大きな成果の一つである。また、研究開発の推進強化策として、AMED独自の仕組みとしてAMED-FLuXを構築し、医薬品研究開発の加速・充実を図った。これについては、第3期医薬品PJの中で関係部署と連携して活用、推進していく。

主な具体的成果事項

- **AMED-FLuXなどアカデミアシーズの早期実用化を推進するために、AMED独自の仕組みを構築し、積極的に事業推進に活用した。その結果、研究開発の確実な進展につながる成果が多く得られた。**
 - ➡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製薬企業のアドバイザー（16社34名）で構成されたAMED-FLuX会議で[38課題](#)を付議し、[特許出願2件](#)、[企業導出2件](#)、[ベンチャー設立2件](#)など顕著な成果を達成。また、アドバイザーのコメントを集約・一般化した創薬ガイドブックの作成や調整費活用による課題間連携の推進につなげた。
- **技術支援基盤を充実させ多くの事業活動を支援することで研究開発の加速・充実につながる成果が得られた。**
 - ➡[創薬ブースター事業](#)では、[8件の企業導出](#)に成功し、その内4件が産学協働スクリーニングコンソ（DISC）の仕組みを用い、さらには支援終了後に7件の企業導出につながった。[BINDS事業](#)では、[4000課題以上の伴走支援](#)を実施。世界初となるBSL3下のクライオEMを用いた新型コロナウイルスの観察に成功など多くの学術的・実用的支援を実施した。
- **多様なステークホルダーとの連携により、新たな創薬分野や新規モダリティ等の研究開発を推進した。**
 - ➡[次世代創薬AI開発\(DAIIA\)](#)を目的に、[製薬協との産学連携により](#)有望な新規化合物設計が可能な[創薬AIプラットフォーム](#)を構築した。一方、非競争領域の創薬基盤研究で産業界の視点やニーズに呼応した体制構築や新規モダリティの品質・有効性・安全性に係るレギュラトリーサイエンス研究を積極的に進めた。
- **医療ニーズに合致した研究開発を迅速かつ適切に進めることで今後の実用化が期待できる成果が複数得られた。**
 - ➡[エムボックス](#)について、厚労省と協議の上、[WHOの緊急事態宣言](#)（令和4年7月23日）に先んじて、病態解明から診断法・治療法の開発まで、感染症対策に資する幅広い研究開発の[公募を実施](#)した。また、希少難治性疾患等の[アンメットメディカルニーズに対する治療薬](#)等の研究開発を支援し、11件の[薬事承認](#)に至った。

● 基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等に関する事項

事業成果の概要

コロナワクチンの開発・実用化推進のために伴走支援および実用化に向けた関係機関との連携等を主体的に進め、ワクチンの承認・国民への接種を実現した。本研究課題から得られた成果は、今後の新たなパンデミック感染時の緊急対応の際に重要な知見として活かされることが期待できる。

主な具体的成果事項

- 課題運営委員会等の支援体制を整備し、速やかに伴走支援を開始した。
 - ➡ 課題運営委員会を設置、開催し、科学的に妥当な研究開発に向け、きめ細かく進捗の把握・管理を行った。また、ワクチンの実用化までの時間短縮を念頭に、厚労省との密な情報交換やPMDAとの連携体制の強化を図った。また、科学的かつ規制的な観点で研究推進に必要な研究支援機関の調査・調整を進め、実用化を加速させた。
- 機動的な伴走支援により、ワクチンの開発を推進した。
 - ➡ 迅速な承認申請を達成するため、PD,PS,POと連携しタイムリーな研究計画の見直しと研究の遂行を行った。その結果、7つのシーズの内、6つのシーズは探索試験をクリアし、4つのシーズで国内製造販売承認の取得に成功した。
- mRNAワクチン（モデルナ）の薬事承認を実現し、早期国内接種に貢献した。
 - ➡ mRNAワクチン（モデルナ、武田）および組換えタンパク質ワクチン（ノバックス、武田）の2剤の薬事承認を達成した。その結果、モデルナワクチンの早期国内接種につなげた。
- 関連機関と密に連携し、国産ワクチンの速やかな承認を実現し、国民への接種につなげた。
 - ➡ 政府と一体となって、迅速かつ適切な支援を実施し、国産ワクチン2剤（第一三共、塩野義）の薬事申請を実施した。令和5年度には、国産初のmRNAワクチン（第一三共）の薬事承認を取得した。令和6年度には、ウイルス変異株に対応したワクチンの薬事承認と国民への定期接種の実施に貢献した。
- 次世代ワクチンとして期待される日本独自のレプリコンワクチンの臨床POCを確認した。
 - ➡ 基礎段階から支援した日本初のレプリコンワクチン（VLP Therapeutics社）について、第II相臨床試験で有効性と安全性を確認し、令和5年12月20日より第III相臨床試験を開始した。