

検討状況説明資料 (医薬品開発協議会)

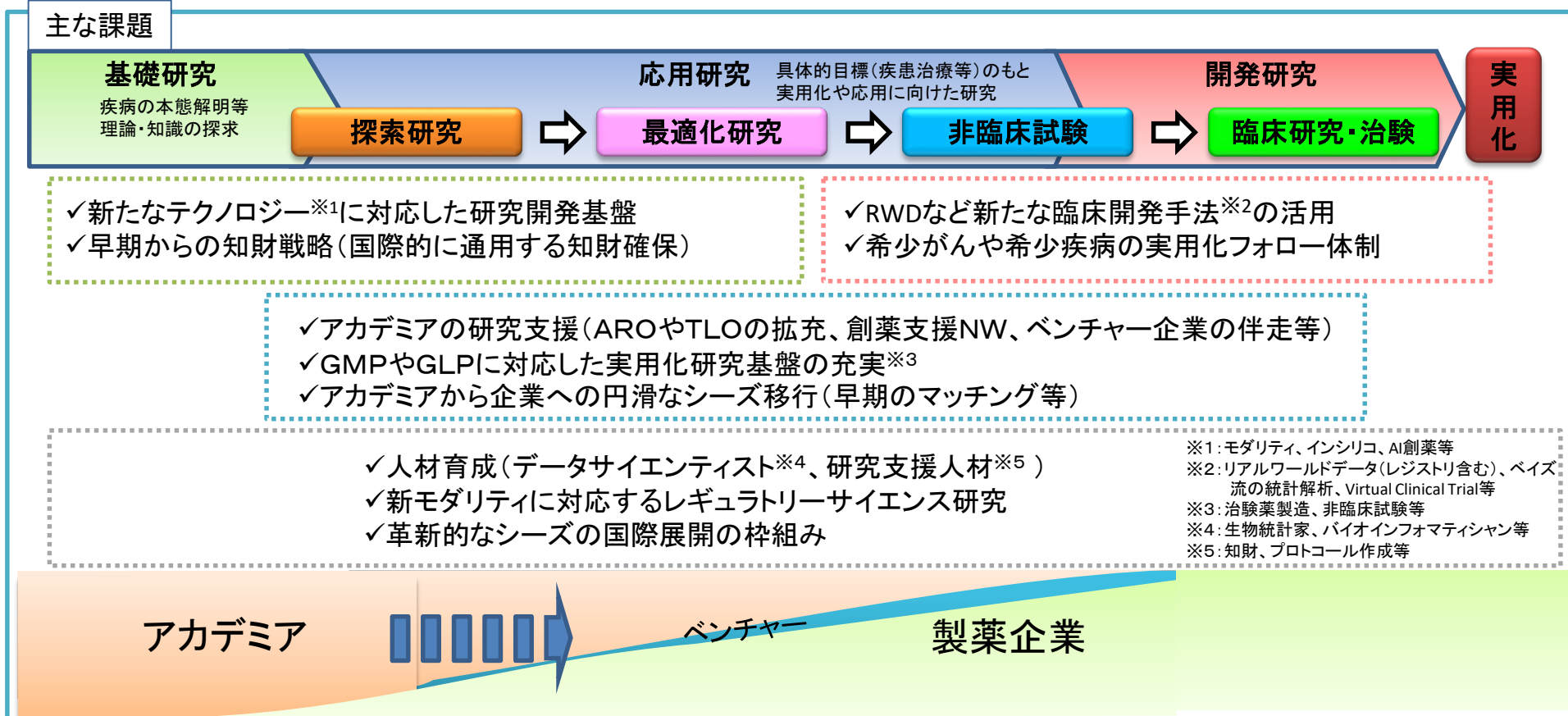
令和5年5月17日

内閣府 健康・医療戦略推進事務局

本日のご報告事項

1. 「当面優先して議論する課題 令和2年度まとめ(令和3年3月29日 医薬品協議会決定)」への対応
2. 令和4年度 医薬品PJの取組状況

1. 「当面優先して議論する課題 令和2年度まとめ(令和3年3月29日 医薬品協議会決定)」への対応 (「当面優先して議論する課題 令和2年度まとめ(令和3年3月29日 医薬品協議会決定)」概要)



(当面優先して議論する項目)

1. アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み(非臨床等の実用化研究、早期の産学連携、知財等)
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
3. 新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究
4. 人材育成(データサイエンティスト※⁴、研究支援人材※⁵等)
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項目に関連する主な取組

項目 1 アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み
(非臨床等の実用化研究、早期の産学連携、知財等)

橋渡し研究、知財戦略の策定、創業支援ネットワークの構築などを実施。

項目 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

創業基盤の技術として、新規モダリティ、RWD・ゲノムデータ等を活用した研究事業を実施。

項目 3 新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究

新規医薬品等の開発の環境整備、医薬品等に係る薬事規制の国際調和、医薬品等の品質・有効性・安全性等の評価に関する研究に取り組む。

項目 4 人材育成 (データサイエンティスト、研究支援人材等)

生物統計家の育成推進、また、橋渡し研究、脳とこころの研究における人材の受皿に焦点を当てた取組を実施。

項目 5 医薬品の研究開発に関する環境整備

日本基点の国際共同試験の枠組、アジア地域における臨床研究・治験のネットワークの構築。ベンチャー支援の更なる充実

<厚生労働省の取組を中心とした主な取組の状況>

	項目 1	項目 2	項目 3	項目 4	項目 5
内閣府					
革新的医療技術研究開発推進事業 (産学官共同型)	●	●			
文部科学省					
先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業	●	●			
橋渡し研究プログラム	●			●	●
ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム		●			
脳とこころの研究推進プログラム		●		●	
厚生労働省					
創業基盤推進事業	●				
創業AIプラットフォームの構築		●			
医薬品等規制調和・評価研究事業			●		
生物統計家育成推進事業				●	
アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業					●
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					●
経済産業省					
次世代治療・診断実現のための創業基盤技術開発事業	●	●	●	●	
創業ベンチャーエコシステム強化事業					●

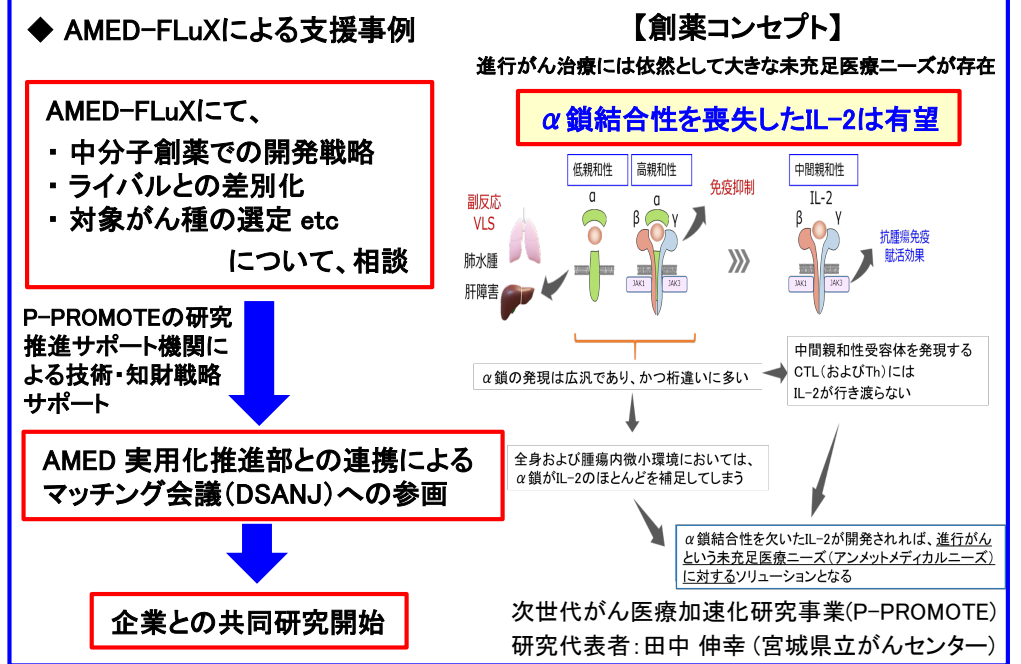
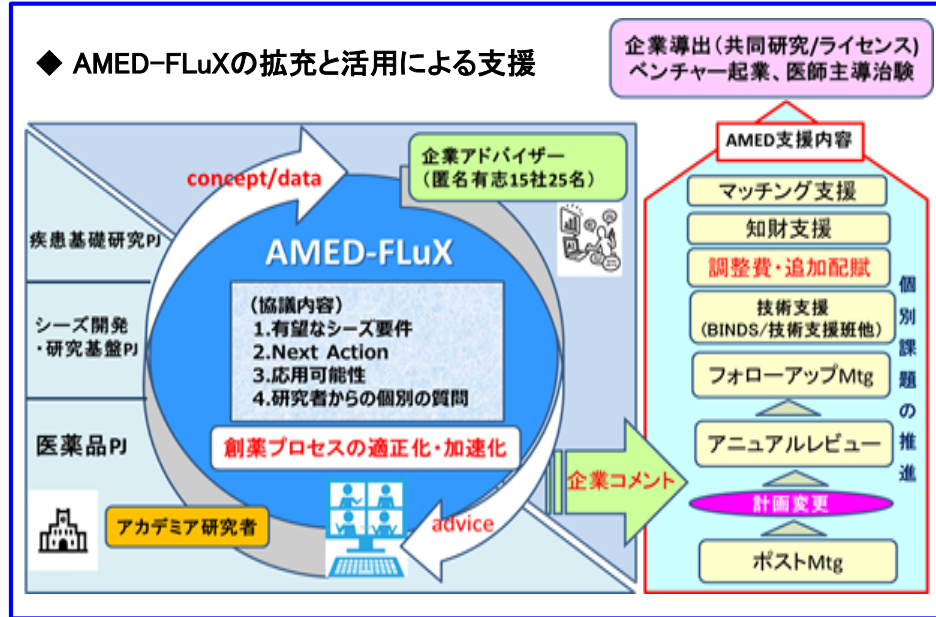
2. 令和4年度 医薬品PJの取組状況

統合プロジェクトの枠を超えた連携により、アカデミアシーズの早期実用化を促進するとともに、緊急時対応を含め、医療ニーズに即した研究開発を推進した。

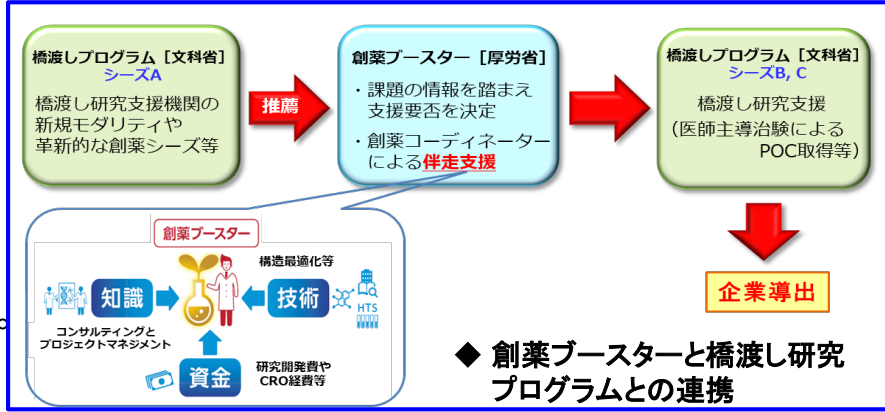
- (1) 早期実用化に向けた取組を拡充するとともに、戦略的かつ切れ目のない研究開発支援を可能にする仕組みを構築し、企業導出等、多くの成果が認められた。
- (2) プロジェクト間・事業間の有機的な連携により、「基盤技術」の「シーズ開発」への応用による研究開発の加速化を推進した。
- (3) 医療ニーズに即した研究開発を迅速かつ適切に推進し、薬事承認に至った事例も見られた。

(1) 早期実用化に向けた取組の拡充及び戦略的かつ切れ目のない研究開発支援を可能にする仕組みの構築

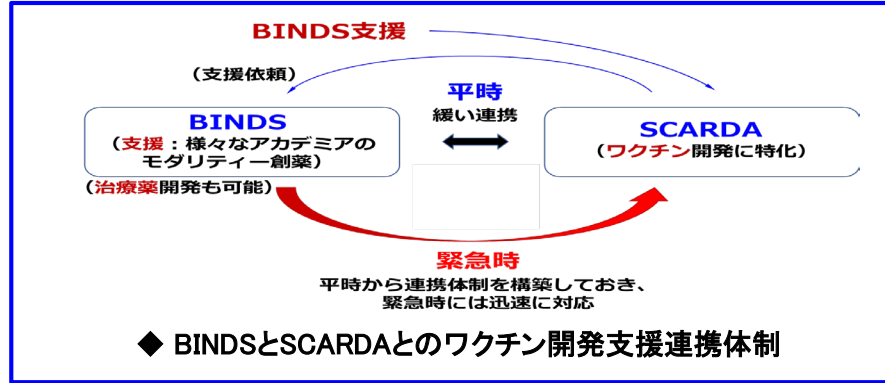
- AMED支援課題に対し製薬企業の有識者が実用化に向けた助言を行う「AMED-FLuX」について、対象プロジェクトを拡大し、計10課題を取り上げた。企業有識者の助言を踏まえ、調整費による研究費の追加措置等、積極的な支援を行い、昨年度の附議課題も含め、特許出願2件、製薬企業との共同研究契約1件等、研究開発の加速・充実に繋がる成果が出始めている。



・創薬ブースター(厚労省所管)と橋渡し研究プログラム(文科省所管)の省庁の枠を超えた事業間連携により、橋渡し研究支援拠点から有望シーズの推薦を受ける、新たな有望シーズ発掘ルートを構築し、両事業の特徴を活かした効率的かつ切れ目のない支援を可能とした。これにより、アカデミア自らが後期開発までを行う傾向が強い、新規モダリティを活用した革新的な創薬シーズに対する創薬支援の充実を図った。本枠組みを活用して既に5件の支援を開始した。



・感染症有事に備え、生命科学・創薬研究支援基盤事業(BINDS)と先端的研究開発戦略センター(SCARDA)との事業間連携によるワクチン開発支援体制を構築した。SCARDA支援課題を対象として、BINDSの技術支援機能等を紹介する説明会を開催し、技術支援基盤の活用促進を図った。既に、抗原タンパク質生産等、ワクチン開発のさらなる推進のための技術支援を開始した。



・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、50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6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。

課題数 (導出件数)	新生物 (腫瘍)	感染症	神経系 疾患	循環器系 疾患
低分子化合物	153(6)	77(2)	36(1)	16(1)
抗体医薬	66(3)	26(1)	9(1)	4
ワクチン	9(1)	48(1)	0	1
核酸医薬	20	4	9	5

◆ モダリティ別・疾患領域別シーズ開発課題数(導出件数) (※)

(2) プロジェクト間・事業間の有機的な連携による「基盤技術」の「シーズ開発」への応用による研究開発の加速

- 医薬品プロジェクトとシーズ開発・研究基盤プロジェクト等のプロジェクト間・事業間連携により、調整費を活用して、先端バイオ基盤技術や薬物送達(DDS)技術・薬物動態評価技術等の「基盤技術」を、医薬品「シーズ開発」に応用し、基盤技術の高度化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。この取組により、基盤技術の応用範囲が拡大するとともに、シーズ側が抱える問題の解決や新たな知見・成果の取得に繋がり、より実用化に近い研究開発フェーズを対象とした他事業に3課題が採択される等、次の展開に進む研究開発課題が認められた。

◆ 「調整費を活用した事業間連携による「基盤技術」の「シーズ開発」への応用」の事例

“創薬基盤推進研究事業(厚労省所管)” × “橋渡し研究プログラム(文科省所管)” の事業間連携 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

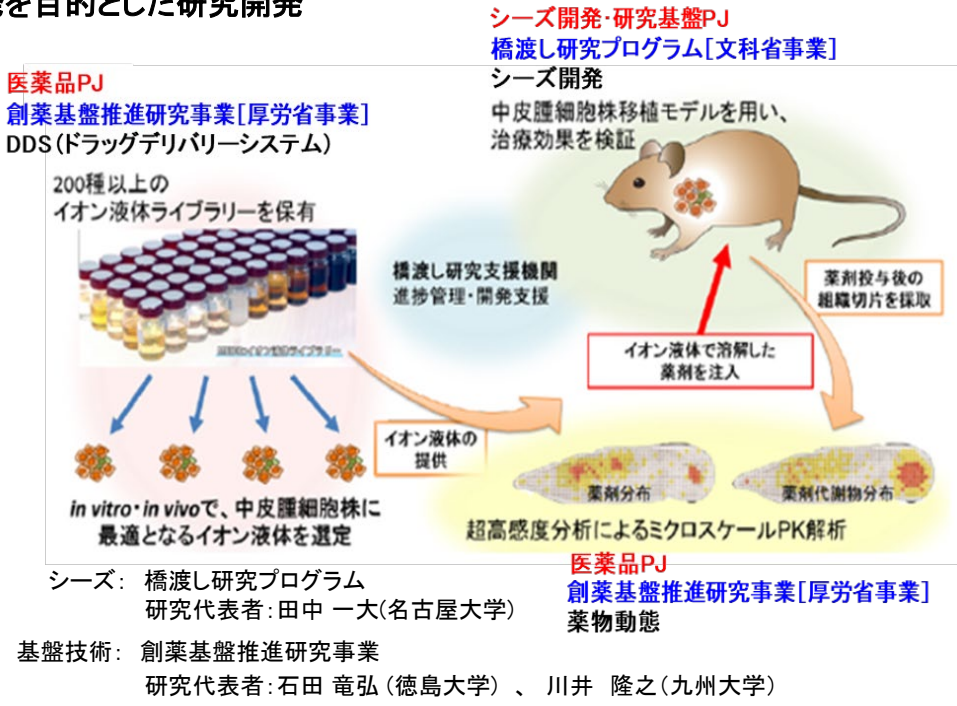
橋渡し研究プログラム(文科省)において、悪性中皮腫の治療薬候補を発見したが、全身投与では非特異的副作用の発現が懸念され、投与手法の改善が課題であった。



創薬基盤推進研究事業(厚労省)の基盤技術である、イオン液体によるDDS技術により、全身投与よりも少量の局所投与で抗腫瘍効果が得られ、新たな投与手法が確立した。また、基盤技術においても、局所での薬物動態を把握する高感度分析法も確立し、技術の高度化が認められた。



有効性が高く且つ副作用の低い悪性中皮腫治療薬開発を加速する研究基盤が構築でき、悪性中皮腫に対する世界初の局所制御治療法の開発を進める。



(3) 医療ニーズに即した研究開発の迅速かつ適切な推進

- 患者数が少なく企業での開発が進まない小児領域や難病領域の研究開発を促進するため、臨床研究・治験推進事業において、小児領域を対象とした公募枠を新設した。また、難治性疾患や希少疾患等アンメットメディカルニーズに対する治療薬開発等の支援を継続的に実施し、PMDA戦略相談の指摘事項等を踏まえた進捗管理等、適切かつ丁寧な伴走支援を行った結果、薬事承認に至った。
- 世界的な感染拡大が懸念されるサル痘について、世界保健機構(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(令和4年7月13日公募開始)。海外で承認されている治療薬の国内臨床研究を実施する等、サル痘の流行に備えた研究開発を推進した。
- 新型コロナウイルスの感染拡大により、医療機関への受診が難しくなる等、医療環境が大きく変化したことを契機に、患者や医療従事者の負担軽減が期待される、DCT(Decentralized Clinical Trial: 分散型臨床試験)等の新しい手法(デジタルデバイスやオンライン等の活用により来院回数等の軽減を図る手法)を活用した臨床研究・医師主導治験の実施を推進した。

<薬事承認事例>

難治性疾患実用化研究事業

視神経脊髄炎スペクトラム障害の再発予防に対してリツキシマブが承認

- 医師主導の第II/III相臨床試験にて製造販売承認を取得 -

国内有病率5.3人/10万人の指定難病である視神経脊髄炎スペクトラム障害の患者に対するリツキシマブの有効性が証明され、効能・効果を追加承認。

研究代表者: 田原 将行(国立病院機構宇多野病院)

成育疾患克服等総合研究事業

日本における症候性先天性サイトメガロウイルス感染症に対して

バルガンシクロビル塩酸塩が適応追加承認

- 医師主導治験の成績に基づき治療薬として世界で初めての承認 -

国内において年間1,700人程度が発症する希少疾病である症候性先天性サイトメガロウイルス感染症の患者に対して有効性が示され、当該感染症の適応が追加。

研究代表者: 岡 明(東京大学)

<DCT活用事例> 臨床研究・治験推進研究事業

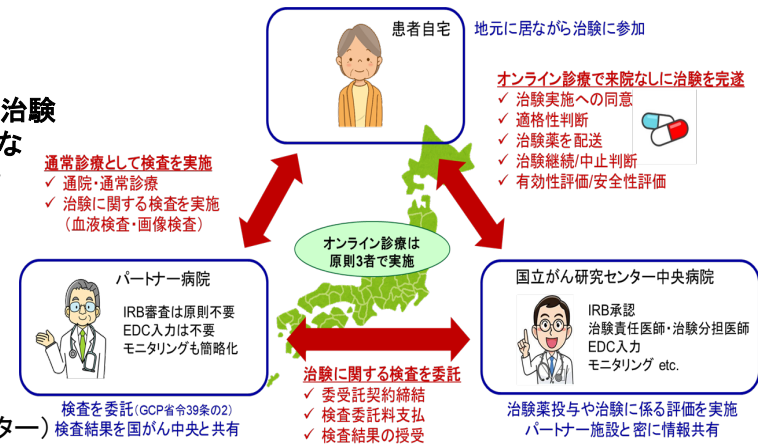
希少がんプラットフォーム試験へのDCT導入に関する研究開発

・ 複数の医師主導治験に対する汎用的なDCT基盤の構築

・ フルリモートのDCTの実現

研究代表者:
中村 健一

(国立がん研究センター) 検査結果を国がん中央と共有



(4) 医薬品PJに係る今後のAMEDの取組方針について

第2期プロジェクトにおいてこれまでに構築した「実用化に向けた研究開発推進体制」を積極的に活用するとともに、他プロジェクトとの連携も含め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ことで、企業導出等の成果に繋げる。

- AMED-FLuXについて、AMED支援課題の実用化促進をさらに推し進めるために、他のプロジェクトへの展開も含め、より一層の活用を図るとともに、AMED-FLuXの助言を企業導出等、実用化に繋げるためのさらなる支援のあり方を検討する。
- 『基盤技術』の『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、『シーズ開発』側と『基盤技術』側の研究者が恒常的に連携を検討できる仕組みを構築するとともに、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)が戦略的かつ円滑に運営できるよう、感染症関連事業とSCARDAとの「感染症グループミーティング」の開催による情報共有等、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ことや支援基盤を活用した技術支援を行う等して、SCARDAによる研究開発の推進に貢献する。
- 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引き続き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。
- 企業単独では研究開発に着手しづらい小児がん、難治性疾患、希少疾患等、未充足の医療ニーズに対応した研究開発のさらなる推進を図るとともに、DCT等を活用した患者中心の臨床試験を引き続き推進していく。
- 医薬品・医療機器・再生医療等製品等の品質・有効性・安全性を科学的知見に基づいて適正に予測・評価するための「レギュラトリーサイエンス研究」を一層推進する。

參考資料

革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）

（科学技術・イノベーション推進事務局 日本医療研究開発機構担当室）

令和4年度補正予算額 80.0億円

事業概要・目的

○単独のアカデミアや企業では取り組みにくい研究開発領域について、スタートアップ企業も巻き込みつつ、複数年にわたって幅広く産学官の連携を通じた革新的なアプローチを行うことにより、世界最高水準の医療提供に向けた医薬品、医療機器等の研究開発を行う。

○国費と企業原資の研究費を組み合わせることにより、産学官共同による医療上の必要性が高く特に緊要となった医薬品・医療機器等の研究開発を推進する。併せて、産学官連携の更なる高度化のため、高い技術と機動力のあるスタートアップ企業の参画を支援する。

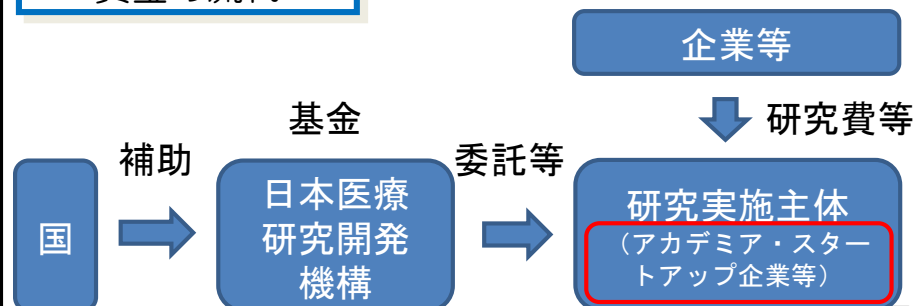
事業イメージ・具体例

○複数アカデミアと複数企業の連携による非競争領域の共同研究を、企業から提供されるリソースとAMEDからの委託費を組み合わせ実施。AMEDの委託費は、研究進捗に応じた柔軟な資金配分（総額の範囲内での年度を超えた増減等）が可能。また、AMEDの伴走支援により産学連携を強力に推進する。

○社会実装、競争領域を意識しつつ、その前段階の非競争領域を産学官それぞれの力を結集し研究開発を行い、成果の早期社会還元を目指す。

○医療分野の研究開発におけるスタートアップ企業の役割の重要性に鑑み、産学官共同の研究開発に、高い技術と機動力のあるスタートアップ企業の参画を確保し、更なる連携と実用化につながる成果の発展を目指す。

資金の流れ



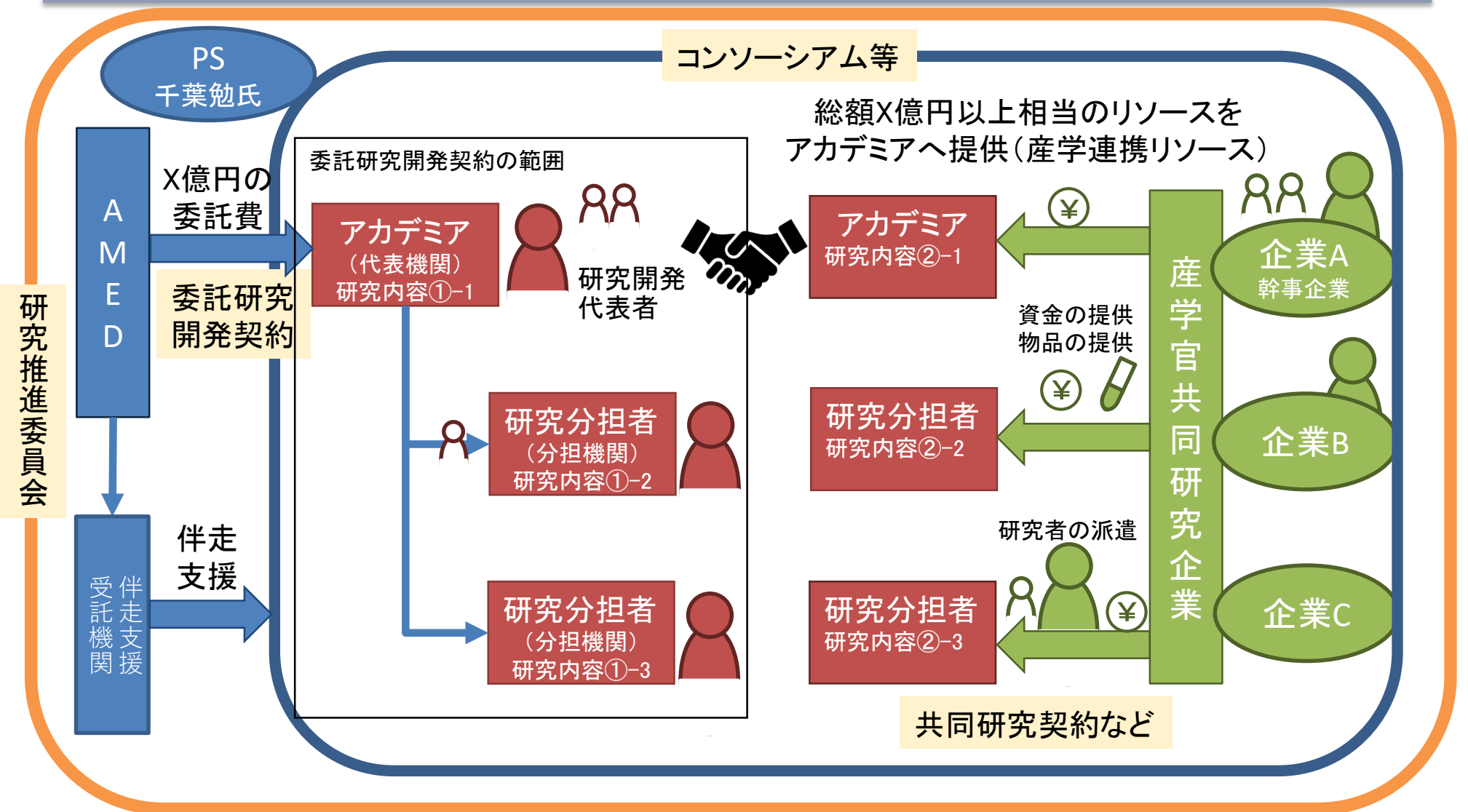
期待される効果

○ニーズに応える医薬品、医療機器等の研究開発が促進され、実用化成功確率の向上につながる。さらに本事業での産学官共同研究が今後の連携のモデルとなり、スタートアップ企業の振興や医療分野の研究開発エコシステムの活性化に繋がることが期待される。

事業スキーム（従来型）

凡例

- 研究開発担当者 (Red circle icon)
- 研究分担者 (Light red circle icon)
- 連携研究代表者 (Green circle icon)
- 産学官連携研究企業に所属し、本事業に参画する研究者 (Light green circle icon)



先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業

① アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み

- **支援班**の設置等により、PSPO等の指示の下、事業を戦略的かつ機動的に運営
 - 課題実施者のニーズを丁寧にヒアリングし、周辺特許や技術動向、市場/企業ニーズの調査を行い、**知財戦略や導出戦略の策定に協力**し、導出先や共同研究企業の探索・紹介や連携、ベンチャー立ち上げや薬事上の課題解決等を支援

◆ **企業導出件数 11課題・42件**

(2023年4月現在)

◆ **特許出願件数 59件**

(2022年3月現在)

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

- **バイオ創薬技術及び遺伝子治療に係る基盤技術開発**や、要素技術の組合せ等による技術パッケージを確立し、企業導出を目指す
核酸医薬への応用を目指した非環状型人工核酸の開発

課題：天然核酸由来の核酸医薬は生体内で分解されやすいため薬効が発現しにくい
化学修飾型人工核酸由来の核酸医薬は生体毒性が高い傾向

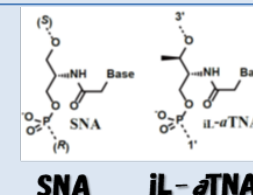
先端バイオでの取組

同研究者が開発していた非環状型人工核酸について、本事業で、人工塩基を導入し毒性が低下する核酸を開発

- ➔ 生体内で分解されにくく、安全性の高い化学修飾型人工核酸である「**アミノ酸由来人工核酸モノマー**」を開発
(iL-aTNAシリーズ、SNAシリーズ)

今後、**癌、代謝性疾患、神経・筋疾患等に対する核酸医薬への発展が期待**される

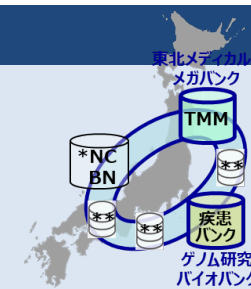
→現在、核酸医薬等の試験研究用途向けに製造・販売中



ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム

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

- **ゲノム研究の基盤となる多様な疾患の生体試料等を保有する大規模バイオバンクの構築・高度化**や日本国内の主要バイオバンクのネットワーク化と生体試料等の利活用促進を図るバイオバンク横断検索システムの充実化を実施。
- 世界動向も踏まえた**最新の技術を活用した疾患解析**やニーズの高い疾患領域における**技術開発**、効果的かつ効率的なオミックス解析の加速化を図る。



脳とこころの研究推進プログラム

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

- マーモセット等のモデル動物の活用や国際連携等を通じた脳機能解明、様々な精神・神経疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための研究開発、若手研究者を含めた脳科学分野の人材育成のための将来のイノベーション創出に向けた横断的かつ萌芽的な研究開発等を推進。
- **脳高次機能解明等に向けて、ヒト臨床データや実験動物データの多階層かつ異種・多次元データを高精度・効率的・自律的に収集・蓄積し、包括的に解析・共有するための研究基盤を整備**（令和4年度第2次補正予算）



④人材育成

- 精神・神経疾患メカニズム解明プロジェクトにおいて、引き続きデータサイエンティストを組み入れた体制で研究開発を推進

橋渡し研究プログラム

①アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み

- 「橋渡し研究支援機関」において、戦略的な知的財産の取得及び活用支援を実施
- **シーズFでアカデミアと企業両方の実用化担当者を指定することを求め**、橋渡し研究支援機関のプロジェクトマネージャー等がアカデミア側の実用化担当者として、企業側の実用化担当者と協力して実用化に向けた計画策定の責任を担い、課題の計画策定・特許網構築への支援、事業化計画作成を行う仕組みを構築

④人材育成

- 「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

- 企業へ導出や実用化の可能性が高い研究課題について、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、更には臨床研究・治験にシームレスに繋ぎ、実用化を加速するための支援を引き続き推進。**



1. アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み

創薬支援推進事業（創薬支援ネットワーク）の取組を継続するとともに、創薬ブースターの支援課題をより導出に近づけるための産学連携の取組を推進してはどうか。

「創薬支援推進事業」の創薬支援効率化に関する取組み

項目	創薬支援ネットワークの活動実績 (令和2年4月～令和4年12月)	令和6年度までの達成目標
相談・シーズ評価	461件	—
有望シーズへの創薬支援	75件	—
企業への導出（ライセンスアウト）	7件	10件

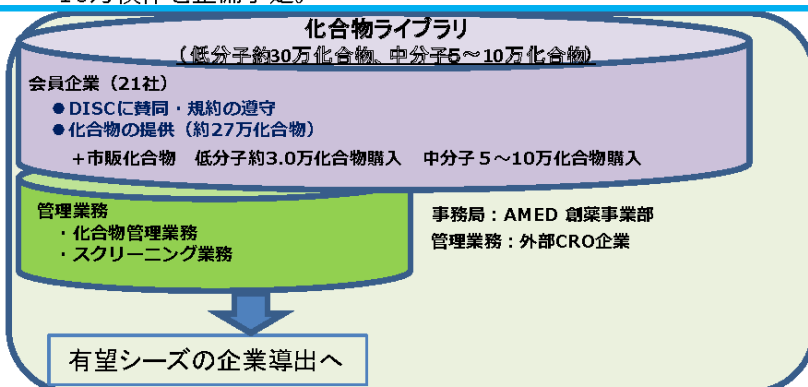
○ 民間企業のアセット活用

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

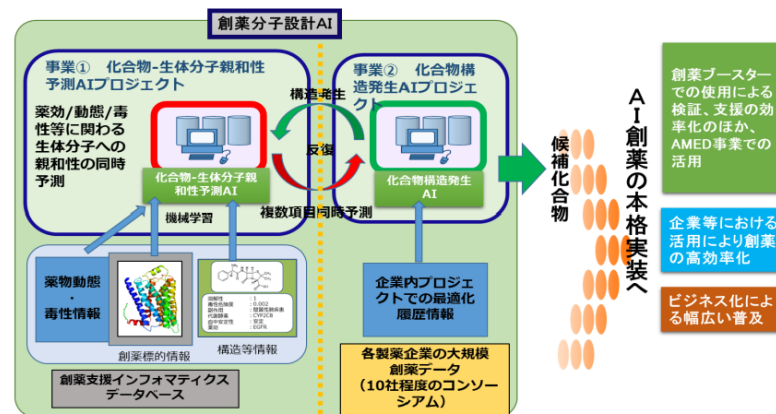
- 企業化合物を主体とするスクリーニングシステムの構築
- 約30万化合物のライブラリ構築（うち製薬企業21社から約27万の低分子化合物を提供・約3.0万の市販化合物を購入）、創薬支援ネットワークで活用・導出を目指す
- これまでにDISC由来の創薬シーズ3件を企業導出
- 多様なモダリティに対応するため、令和2年度より中分子ライブラリを構築し、令和4年度までに約6万検体を整備済み。3年で5～10万検体を整備予定。



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
- 「富岳」を利用した3Dシミュレーションによる予測手法の確立等を実施する



創薬ブースターでの使用による検証、支援の効率化のほか、AMED事業での活用
企業等における活用により創薬の効率化
ビジネス化による幅広い普及

AI創薬の本格実装へ

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

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。

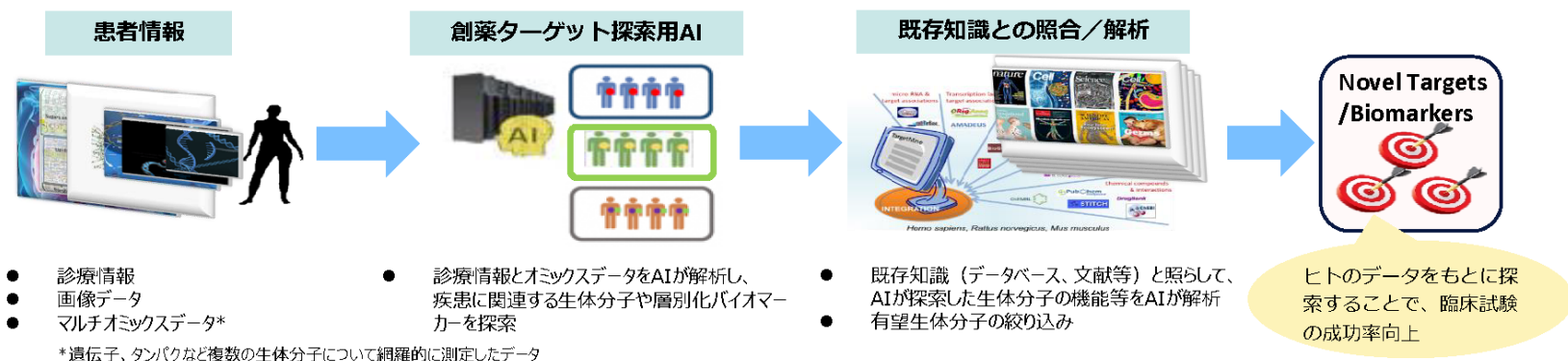
ゲノム×AIによるがんや難病の創薬ターゲットの創出

- ▶ 従来の創薬手法では、疾病の発症メカニズムや創薬ターゲットなどについて、過去の論文等から仮説を設定し、地道に動物実験等で検証するプロセスを試行錯誤することで解明する（仮説駆動型創薬）。動物実験の結果を根拠にしているため、ヒトへの検証を行う臨床試験において、失敗する可能性が高い。
- ▶ このような背景から、PRISM（平成30～令和4年度）において、患者の臨床情報やゲノムデータ等のヒトのビッグデータをAIが解析し、創薬ターゲットを探索する創薬AIプラットフォームを構築※（データ駆動型創薬）。本創薬手法は、注目すべき現象など既知である必要がなく、従来手法の論文検索や動物実験の試行錯誤の労力や時間を要しない。さらにはヒトのデータを根拠とするため、臨床試験の成功率を向上させる。
 - ※ これまでに複数の創薬ターゲットやバイオマーカーを創出し、動物実験でも効果を確認。特許出願済み。さらには臨床試験も計画中。
- ▶ 今後は構築した創薬AIプラットフォームをがんや難病などの臨床情報やゲノムデータを収集するプロジェクトに展開していくことで、さらなる創薬ターゲットを創出していく。

従来の創薬ターゲットの探索手法



創薬AIプラットフォームによる創薬ターゲットの探索手法



3. 新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究

新たなモダリティ（マイクロバイオーム、エクソソーム、放射性医薬品等の萌芽期のモダリティを含む）やテクノロジーについて、世界に先駆けていち早く規制当局が対応の考え方や方向性を示すことが重要。

医薬品等規制調和・評価研究事業

新たな課題に対する対応

- ・ 指針の必要性
- ・ 知識・経験の集積
- ・ 技術の進展
- ・ 社会的な情勢の変化 等

課題の抽出

レギュラトリーサイエンス研究の実施

品質の予測・評価・判断

有効性の予測・評価・判断

安全性の予測・評価・判断

予測・評価・判断の基盤

研究成果の活用

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

令和5年度研究の概要

新規公募課題を大きく3つのテーマにまとめる。公募研究の例を示す。

◆ 新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究

➢ 遺伝子改変動物由来の臓器・組織の品質・安全性を確保するための技術的課題や評価要件、規制要件等を整理し、遺伝子改変動物由来の臓器・組織の品質・安全性に関するガイドライン案を作成する。

◆ 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究

➢ 放射性医薬品の品質試験に求められる要件について、最新の科学的知見や国際薬事規制を踏まえた見直し案を提案する。また、革新的放射線治療機器の承認迅速化と早期普及を目指した次世代国際標準評価法の開発を行う。

◆ 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究

➢ 重篤副作用に関する新規診断バイオマーカー候補について、診断性能の検証や利用可能範囲の明確化を行う。

研究の成果・活用

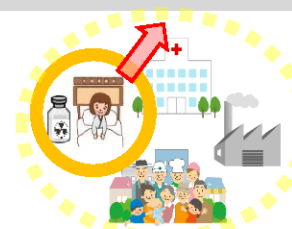
- ・ 遺伝子改変動物由来の臓器・組織の品質・安全性が確保されるとともに開発の円滑化に資する。
- ・ 放射性医薬品特有の品質試験の考え方の明示、研究開発から承認審査までの考え方の提示により開発の迅速化が見込まれる。また、革新的な放射線治療機器の審査基準の策定や国際標準評価法の開発を行い、国内開発製品の海外への展開が促される。
- ・ 医薬品開発現場や製造販売後の実臨床における、重篤副作用の早期診断や医薬品の適正使用に役立てられる。

最先端技術を用いた革新的医薬品等の実用化を促進

診断と治療が融合した放射性医薬品の品質試験法に関する研究

背景：診断薬によって適応可否を判断し、次いで新たな分野であるアルファ線／ベータ線を利用した治療に繋げる、診断と治療を融合させた放射性医薬品の研究開発が国際的に加速している。

内容：放射性医薬品の品質試験に求められる要件（試験精度、試験数、実施時期など）について、最新の科学的知見をもとに見直し案を作成する。また、国内外の研究開発・製造販売業者等の意見も踏まえながら、国際規制調和を目指す。



品質試験に求められる要件検討

検討項目例

- 1) 放射能、異核種
- 2) 不純物
- 3) 分析精度等
- 4) 試験実施時期：出荷検査と工程管理等

リスク評価手法を用い、最新の知見及び国際規制状況を踏まえたより合理的な品質試験の提案

放射性医薬品の特性に適した評価手法

4. 人材育成（データサイエンティスト、研究支援人材等）

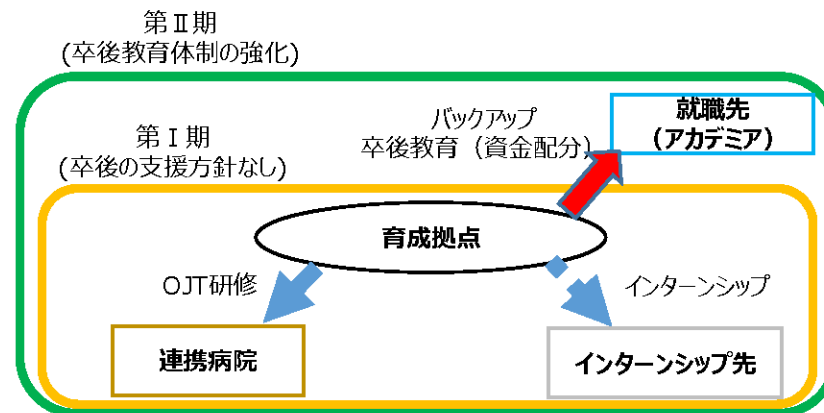
単なる育成のみならず、安定的な雇用や適切な処遇を可能とする仕組みを検討し、育成された人材が専門性と高いモチベーションを維持して業務を継続できる体制を支援する必要がある。

臨床研究中核病院やPMDAにも生物統計家等の人材を充実させることも重要ではないか。

生物統計家育成推進事業

具体的な研究内容等

- 製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基として、産学官が一体となった環境整備事業
- 生物統計に係る修士号を付与できる大学院から、東京大学と京都大学を育成拠点として選定
- 座学に加えて病院のOJTカリキュラムの追加を必須とし、また就職先候補も兼ねインターンシップ機関とも連携
- 令和3年度以降（第Ⅱ期）から取り組んでいる課題
 - ① 卒後教育体制の強化および定員の適正化
(2022年入学から定員を各拠点10名→5名以上へ)
 - ② 社会人入試(Uターン人材の確保)



大学院 (座学)	東京大学大学院	京都大学大学院
分担機関 (実地研修)	東京大学医学部附属病院 国立がん研究センター	京都大学医学部附属病院 国立循環器病研究センター
インターンシップ機関	東京医科歯科大学、岡山大学病院、九州大学病院、新潟大学病院、 北海道大学、聖路加国際大学、順天堂大学、東邦大学、 国立国際医療研究センター	京都大学病院、国立循環器病研究センター、 北海道大学病院、大阪大学病院
学位の種類・分野	修士（学際情報学）	社会健康医学修士（専門職）
学生数	一期生（2018年度入学） 11名 二期生（2019年度入学） 8名 三期生（2020年度入学） 9名 四期生（2021年度入学） 7名 五期生（2022年度入学） 11名	一期生（2018年度入学） 11名 二期生（2019年度入学） 11名 三期生（2020年度入学） 9名 四期生（2021年度入学） 4名 五期生（2022年度入学） 3名
修了生の進路	一期生 修了人数：10名、アカデミア就職：8名 二期生 修了人数：8名、アカデミア就職：8名 三期生 修了人数：9名、アカデミア就職：8名	一期生 修了人数：10名、アカデミア就職：7名 二期生 修了人数：9名、アカデミア就職：5名 三期生 修了人数：10名※、アカデミア就職：7名

5. 医薬品の研究開発に関する環境整備

日本を基点とするような国際共同試験の枠組み等の臨床試験を実施できる仕組みを構築できるよう、アジア地域の臨床試験の環境整備・拠点施設等を含めた国際人材の育成、国際的な規制調和に引き続き取り組むこと。

アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業

令和5年度当初予算案 3.9億円（3.9億円）※（）内は前年度当初予算額

1 事業の目的

- アジア諸国における国際的な技術水準を確保する治験実施拠点整備の必要性については、「アジア医薬品・医療機器規制調和グランドデザイン」（令和元年6月20日健康・医療戦略推進本部決定）においても言及されてきたところであるが、今般のCOVID-19拡大に伴い、迅速かつ質の高い、グローバルな臨床研究・治験体制構築の必要性が改めて明らかになった。
- これを受け、日本主導の国際共同治験の強化へつなげ、治療薬等の開発・供給の加速を目指すため、アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築を進める。
- 具体的には、ソフト面（現地教育研修）及びハード面（現地拠点構築）の整備や、安定的に臨床研究・治験が実施可能な基盤の構築に当たっての持続性や実施体制の拡大を行う。

2 事業の概要・スキーム

- 本事業において整備した基盤の継続性の確保及び更なる拠点の整備を推進するとともに、臨床研究中核病院を中心とした国内の臨床研究支援人材育成強化に取り組むことにより、日本主導のアジア地域における国際共同臨床研究・治験の実施体制の強化を図る。
- 特に、「ワクチン開発・生産体制強化戦略」（令和3年6月1日閣議決定）において、日本発の国際共同治験が迅速に実施可能となるよう、アジア地域における臨床研究・治験ネットワークを充実させることとされている。
- 一方、ワクチン開発については、試験対象者が健康成人であることや、治療薬に比べて必要症例数が格段に多い（数千例から数万例規模）といった特殊性がある。
- こうしたことから、これまで感染症治療薬の領域で構築した基盤等を活用・発展させる必要があり、ワクチンに特化した研修の実施等により、円滑なワクチン開発に寄与する基盤へと充実を図る。



アジア地域の臨床研究・治験体制整備の推進

日本主導の国際共同治験の強化

治療薬等の開発・供給の加速

3 実施主体等

補助先：国立研究開発法人日本医療研究開発機構 補助率：10/10 事業実績：2課題採択（令和4年度）

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

事業概要（背景・課題等）

本研究事業では、新型コロナウイルス感染症（COVID-19）、インフルエンザ、結核、動物由来感染症、薬剤耐性菌など、感染症対策上重要な病原体に対して、基盤的な研究から、診断薬、治療薬、ワクチンの開発等の実用化に向けた開発研究までを一貫して推進する。そのために、「予防接種に関する基本的な計画」、「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」等を踏まえ、主に5項目（①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、②ワクチンの実用化及び予防接種の評価に資する研究、③新興・再興感染症の検査・診断体制の確保に資する研究、④感染症に対する診断法、治療法の実用化に関する研究、⑤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）を主軸に据え、開発研究を行う。

令和5年度概算要求のポイント

これまで推進してきた5項目（事業概要に記載の下線部①～⑤）を主軸とした観点から、多面的に推進する。

- 1、COVID-19を含む重点感染症に関する総合的な対策に資する研究（コロナ罹患後症状、変異株への免疫応答解析、重点感染症関連病原体の基盤的研究など）
- 2、薬剤耐性（AMR）に対する予防・診断・治療法等の開発研究（新規抗菌薬開発、ファージ療法、臨床試験の効率化につながるin vitroモデルの開発など）
- 3、国内での市中感染が認められる感染症に対する予防・診断・治療法等の開発研究（副反応（無菌性髄膜炎）の少ないムンプスワクチンの開発など）

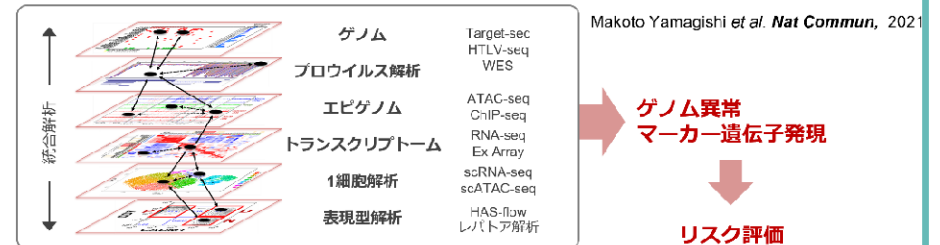
これまでの成果事例

令和4年度に得られた主な成果として以下がある。

- HTLV-1感染者を対象とした大規模多層のオミックス解析により、ゲノム異常、エピゲノム異常、遺伝子発現異常の実態を解明。ATL発症リスクの新たな評価法を確立。ATLの多段階発がんメカニズムを解明。新規治療標的候補を複数同定し知財化。EZH1/2阻害薬の開発成功。
- インフルエンザ感染症に対するmRNAナノワクチンの開発で非臨床POCを取得。企業と共同研究開発契約を締結。
- COVID-19後遺症治療薬（ドラッグリポジショニング）の開発で非臨床POCを取得し、治験を開始。

- ① 臨床研究・治験に移行した研究開発（令和4年度）5件
- ② 承認申請・承認等に至った研究開発（令和4年度）2件
- ③ 特許申請・登録等に至った研究開発（令和4年度）30件
- ④ 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施（令和4年度）167件

HTLV-1関連疾患の発症メカニズムの解明、新規治療法の開発



原因遺伝子を標的とした新たな治療戦略



次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業

商務・サービスグループ
生物化学産業課

令和5年度予算額 **53 億円** (**58 億円**)

事業の内容

事業目的

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、治療の適正化による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、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「AMED」）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。

事業概要

AMEDにおいて、「個別化医療」を推進する技術開発として、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（令和3～7年度）、国際競争力のある次世代抗体医薬品の製造技術（令和3～7年度）、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（令和1～令和5年度）、マイクロバイオーム制御による次世代治療技術（令和3～8年度）等の研究開発を進めるとともに、新型コロナウイルス等の感染症にも対応したバイオ医薬品の技術基盤の確立につなげます。

事業スキーム（対象者、対象行為、補助率等）



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、バイオ医薬品の国内製造技術基盤の確立を目指します。具体的には、

- 令和12年度（2030年度）までに事業成果である各種技術を活用した我が国発の核酸標的医薬品シーズの前臨床試験の件数3件
- 令和12年度（2030年度）までに事業成果である各種技術を活用した我が国発の抗体医薬品シーズの前臨床試験の件数5件等を目指します。

令和5年度の研究開発事業テーマ（次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業）

- 世界では新たな創薬分野（新モダリティ）の開発が活発化・将来市場の牽引役になると予想。

研究開発事業内容

令和5年の取組内容

RNA標的創薬（R3～R7）



核酸（DNAやRNA）から作られており、体内の遺伝子の働きを抑えることで、病気を治療する医薬品。

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、不純物の少ない製造方法等を開発する。

核酸医薬品の**革新的製造方法の確立**と、NMRやクライオ電子顕微鏡と活用したRNAの**立体構造決定法の確立等を実施する。**

次世代抗体医薬（R3～R7）



抗体医薬に抗がん剤や放射線源を結合させたり、小型化・複雑化することで、機能を高めた医薬品。

次世代抗体医薬品について、国産の抗体生産細胞技術の確立や実用化を見据えた製造技術を開発する。

次世代抗体の実用化検討に関し、**リンカー付抗体のGLP製造実証を行いつつ、RI抗体の生体内での動態評価を実施する。**

患者層別化マーカー（R1～R5）

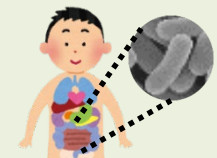


患者によって効果が大きく異なる抗がん剤等の薬剤に対し、効果を奏する患者を選択するためのバイオマーカー。

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する

臨床性能評価の研究加速のために過不足のない臨床データを整備すると同時に、**PMDA相談を実施するなどの臨床応用に繋げる活動を進め、成果物を社会実装に繋げる。**

マイクロバイーム（R3～R8）



人間の腸内等に共生する細菌集団。様々な疾患や免疫系との関係が指摘されており、うまく制御することで疾患を治療することが可能。

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する。

創薬シーズとして有望な腸内細菌の効率的かつ網羅的な培養技術の開発を実施する。