国立研究開発法人 **日本医療研究開発機構**

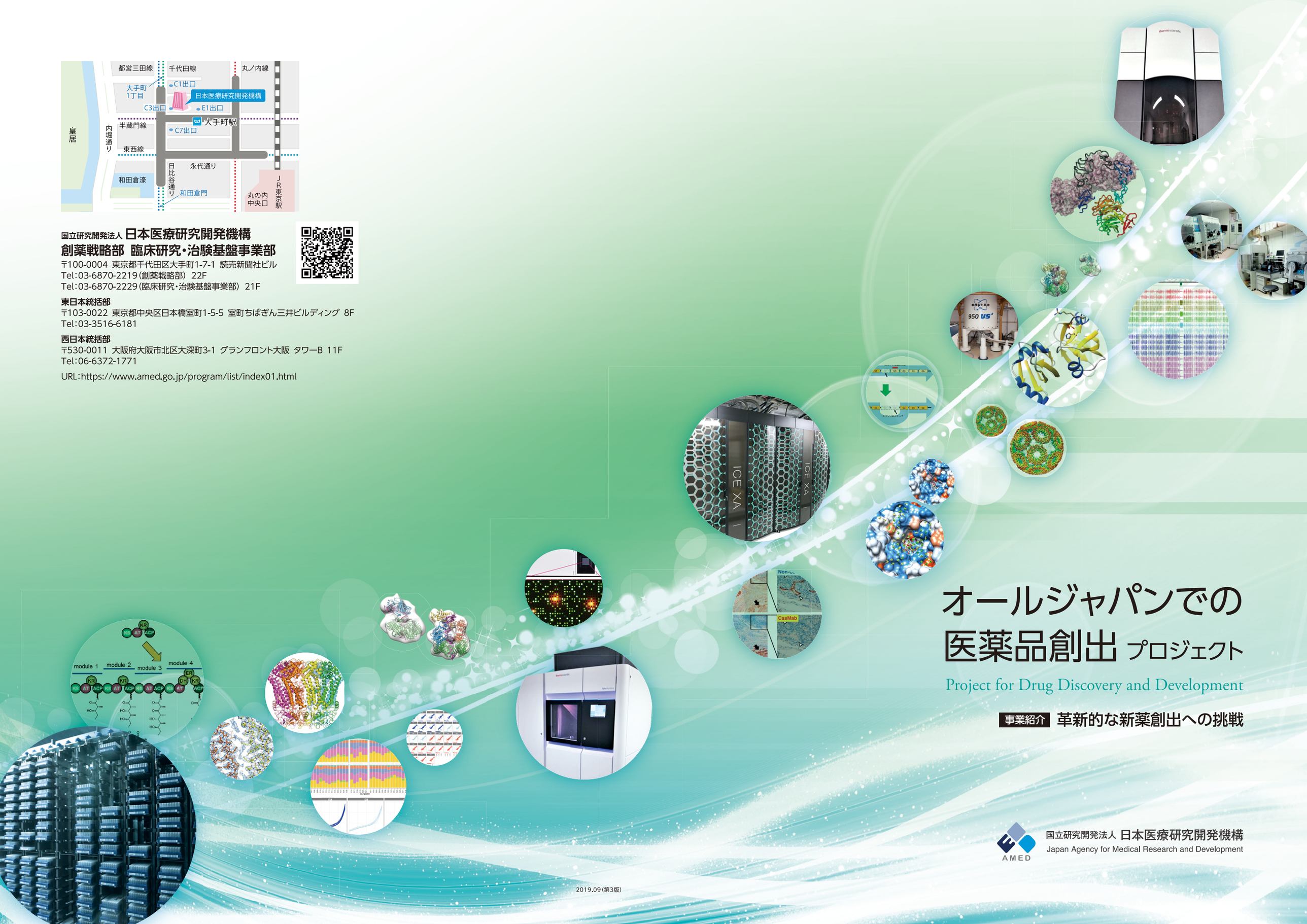
創薬戦略部　臨床研究・治験基盤事業部

〒100-0004 東京都千代田区大手町1-7-1 読売新聞社ビル
Tel:03-6870-2219(創薬戦略部) 22F
Tel:03-6870-2229(臨床研究・治験基盤事業部) 21F

東日本統括部
〒103-0022 東京都中央区日本橋室町1-5-5 室町ちばぎん三井ビルディング 8F
Tel:03-3516-6181

西日本統括部
〒530-0011 大阪府大阪市北区大深町3-1 グランフロント大阪 タワーB 11F
Tel:06-6372-1771

URL:https://www.amed.go.jp/program/list/index01.html



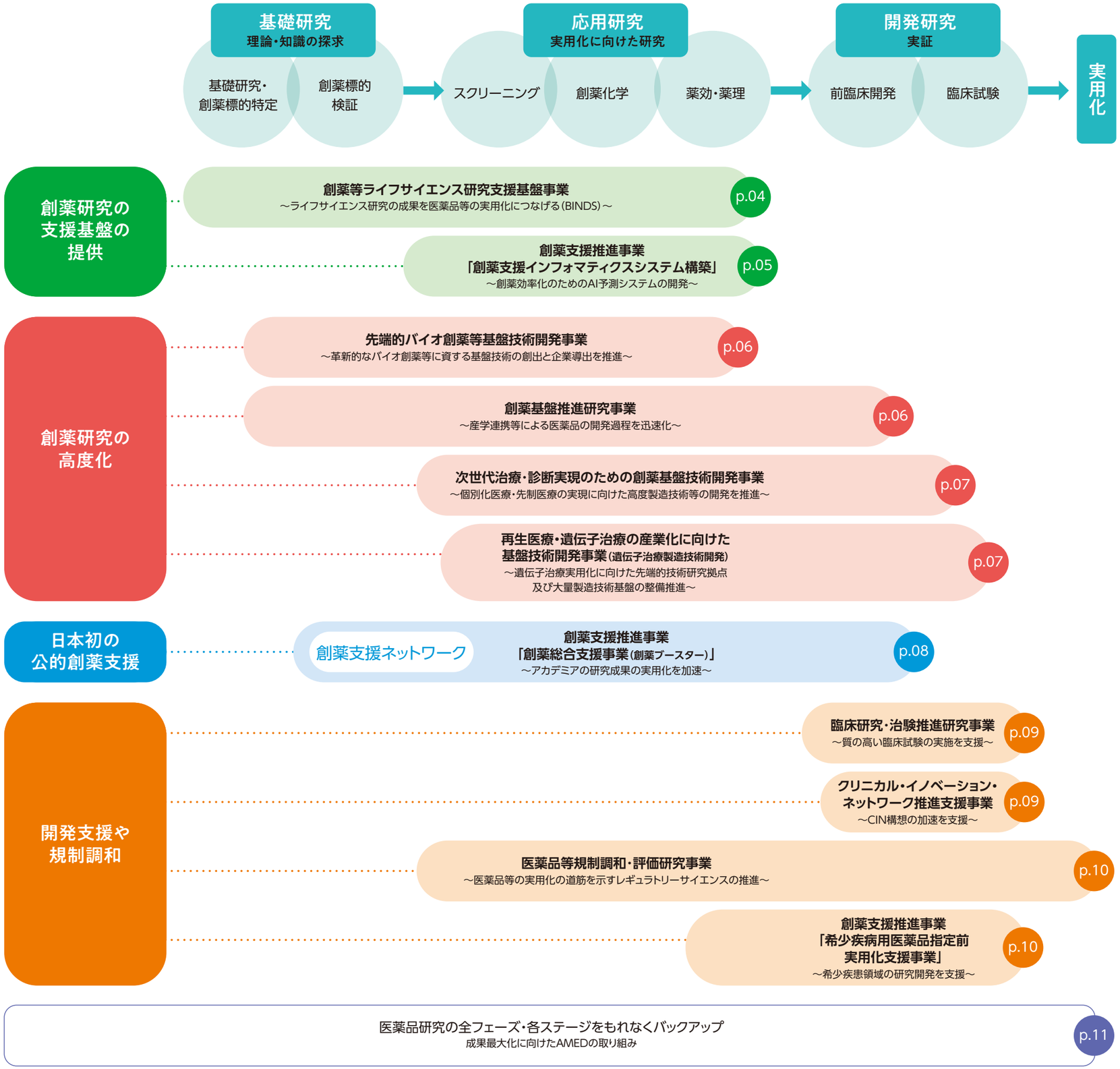
オールジャパンでの医薬品創出 プロジェクト

Project for Drug Discovery and Development

事業紹介 革新的な新薬創出への挑戦

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development

2019.09(第3版)



「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトについて

健康な状態で長生きすることは、多くの人に共通した願いです。その一方で、日常的に医療・介護を必要とする高齢者が増え、健康寿命と平均寿命には 10 年ほどの開きがあります。世界に先駆けて超高齢社会を迎えるわが国では、世界最先端の医療技術・サービスの実現により次世代の負担を増やすことなく、国民がさらに健康な生活と長寿を享受することのできる社会（健康長寿社会）を形成することが急務となっています。

国立研究開発法人日本医療研究開発機構（Japan Agency for Medical Research and Development、AMED）は、「医療分野研究開発推進計画」に基づき、医療分野の研究開発及びその環境の整備の実施や助成等の業務を行うことを目的としています。日本の医療研究開発力は世界の中でも高いレベルを誇りながら、基礎研究から応用研究、実用化に至るまで切れ目なく研究を支援する体制が十分ではありませんでした。また、臨床研究・治験の実施体制が不十分で新しい医薬品や医療機器の創出に時間がかかることも課題とされてきました。

「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトは、医薬品創出のための支援基盤の整備や革新的な創薬関連技術の研究開発を促進する事業を通じて、創薬技術・シーズが生まれる土台となる研究環境を整備し、公的創薬支援制度を中心とした産学官連携プログラム等により、革新的医薬品の創出や希少疾病用医薬品等の開発を支援しています。

革新的な新薬創出に挑戦するための環境を整える

プログラムディレクター（PD）

竹中 登一　ヒューマンサイエンス振興財団 会長

日本初の公的創薬支援制度「創薬支援ネットワーク」により、大学や公的研究機関等が保有する優れた研究成果から革新的新薬への橋渡しを支援します。また、創薬研究に資する民間リソースを活用する「創薬支援推進ユニット」、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ぐ「BINDS」、中分子化合物から構成される「次世代創薬シーズライブラリー」など、開発環境を強化しました。2018 年度からは遺伝子治療実用化に向けた先端的技術研究拠点および大量製造技術基盤の整備推進の支援を開始しました。疾患登録システムを活用した CIN の推進支援、産学官共同での生物統計家育成支援にも取り組んでいます。2018 年度末時点において、アカデミアからの企業導出を 162 件達成するなどの成果を創出しています。アカデミアと企業の創薬研究者が一体となり、オールジャパン体制で、革新的な医薬品等の創出に挑戦する開発環境を整備するのが AMED の使命であると信じています。

創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業

▶ https://www.amed.go.jp/program/list/06/01/001.html

2017年度から「創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業」を開始しました（2021年度終了予定）。本事業は、5つのユニット（プラットフォーム機能最適化ユニット、構造解析ユニット、ケミカルシーズ・リード探索ユニット、バイオロジカルシーズ探索ユニット、インシリコユニット）から構成され、全7名の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）がヘッドクォーター機能を担い、課題間・ユニット内外での研究連携を図るなど、研究資金の効率的な活用と優れた成果創出を目指しています。

本事業では、ライフサイエンス分野の研究を推進するための支援基盤である創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム（BINDS：Basis for Supporting Innovative Drug Discovery and Life Science Research）を整備しています。BINDSでは、放射光施設（SPring-8、Photon Factory）ビームラインやクライオ電子顕微鏡、化合物ライブラリー、次世代シーケンサーなどの大型施設・設備を整備・維持し、積極的な外部開放を行っています。また、構造解析、タンパク質生産、アッセイ系構築、構造展開、ADME／物性評価、ゲノミクス解析、疾患モデル細胞／動物作出、インシリコスクリーニング、薬物動態、毒性試験などの技術を有する最先端研究者が、自己の研究を高度化しつつ、その技術を外部研究者に提供し、研究推進を強力にバックアップします。

クライオ電子顕微鏡については、ハイエンドモデルをBINDSの前身のPDIS事業において、2015年度末に大阪大学蛋白質研究所に、BINDSにおいて、2017年度末に東京大学や高エネルギー加速器研究機構に導入しました。またBINDSでは国内の有限なクライオ電子顕微鏡資源の効果的・効率的な活用を図ることを目的に、上記3拠点に加えて、クライオ電子顕微鏡を保有している大阪大学大学院生命機能研究科、沖縄科学技術大学院大学を中核とした「クライオ電子顕微鏡ネットワーク」を構築、2018年度から稼働しました（https://www.cryoemnet.org/）。

PS／PO
中村春木
情報・システム研究機構 国立遺伝学研究所 特任教授

PO
井上　豪
大阪大学 先導的学際研究機構 創薬サイエンス部門 副部門長／大学院薬学研究科 教授

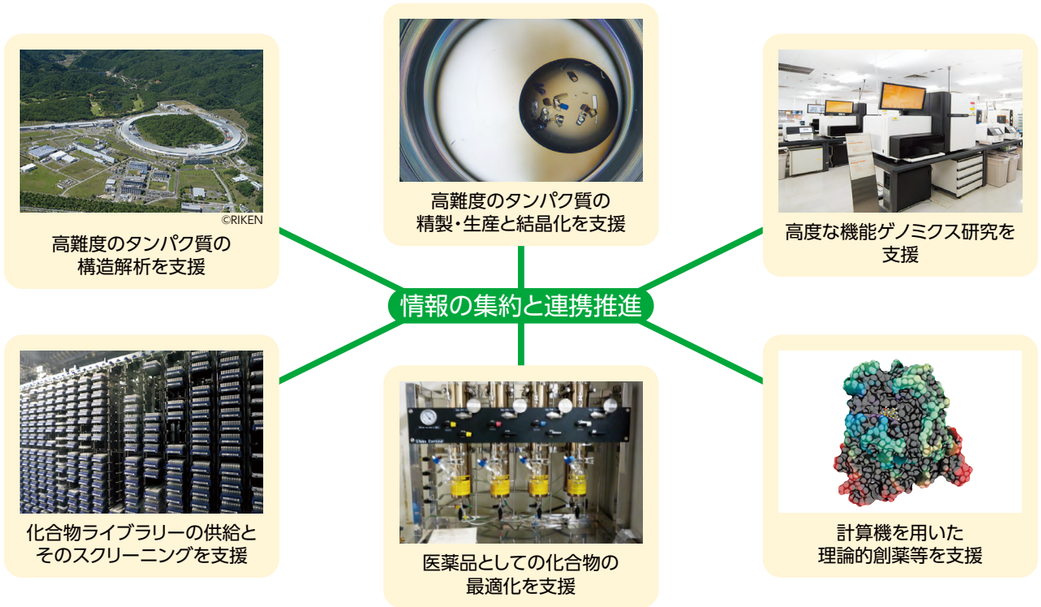
上村みどり
帝人ファーマ（株）生物医学総合研究所 創薬化学研究所 上席研究員

古関明彦
理化学研究所 生命医科学研究センター 副センター長／免疫器官形成研究チーム チームリーダー

近藤裕郷
医薬基盤・健康・栄養研究所 医薬基盤研究所長／創薬デザイン研究センター長

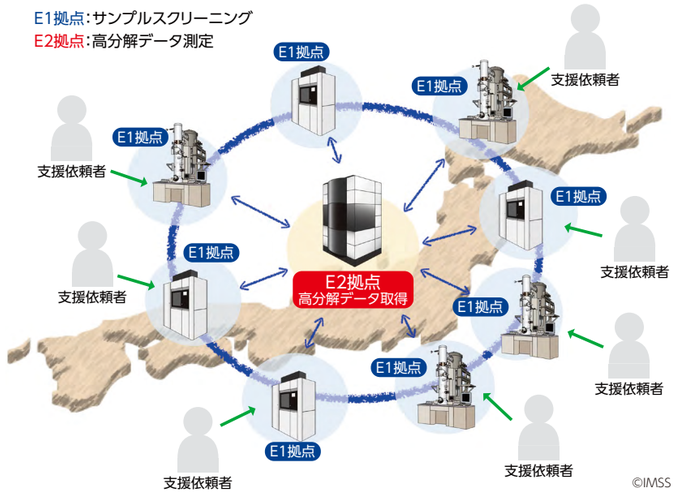
田中成典
神戸大学 大学院システム情報学研究科 教授

中島元夫
SBIファーマ（株）取締役 執行役員専務 医薬開発本部長



支援を希望する場合は、本事業のウェブサイト（https://www.binds.jp/）上で公開されている支援メニューを確認してワンストップ申請窓口から申請をしてください。2018年度より、企業利用を想定した成果非公開での利用ルールを明確化しました。BINDSで整備した最新鋭の施設・設備や最先端研究者による技術支援を皆さんの研究の推進に役立てていただければ幸いです。

● クライオ電子顕微鏡ネットワーク



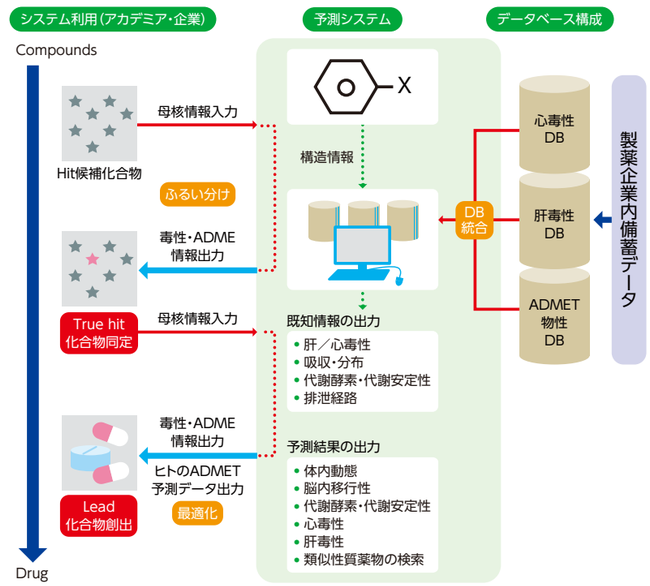
創薬支援推進事業「創薬支援インフォマティクスシステム構築」

▶ https://www.amed.go.jp/program/list/06/03/001_02-02.html

本事業では、創薬研究初期における候補化合物のふるい分けや、構造最適化段階における分子設計支援を目的として、薬物動態、心毒性、肝毒性のインシリコ予測システムと、その基となるデータベース及び分子シミュレーション技術や人工知能（AI）技術基盤を構築します。それらのシステムは、アカデミアを含めた創薬研究を行う誰もが利用でき、多大な労力を要する化合物最適化の過程を効率化できるよう、Web等での公開を予定しています。

一般公開用システムの開発と平行して、製薬企業から提供していただいた貴重な実創薬過程における薬物動態や毒性データをAI等の学習データとすることで、システムのさらなる高精度化を実現するというユニークな取り組みも行っています。2017年度からは国内の製薬企業7社が参画し、各企業内で保管されていた非競合領域データの収集とデータベースへの統合が実施され、これら大規模データを基にした高精度予測システムの開発が開始されています。できあがったユニークな高精度予測システムは、データ提供に協力いただいた参画企業内や創薬支援ネットワーク連携機関で使用すると同時に、IT企業の協力を得て商品化することで社会実装を確実なものとし、「オールジャパンでの医薬品創出」をさらに強く推進していく予定です。

・代謝、毒性情報の統合データベース
・製薬企業の大規模な実創薬データを活用し、予測システムを高精度化



先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業

▶ https://www.amed.go.jp/program/list/06/01/007.html

バイオ医薬品等の先端的医薬品開発における日本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となります。

先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業では、遺伝子導入技術（遺伝子治療、免疫細胞療法など）、遺伝子発現制御技術（ゲノム編集、核酸医薬など）、バイオ医薬品（抗体、糖鎖修飾ペプチド、中分子など）の高機能化や、創薬周辺基盤技術（ドラッグ・デリバリー・システム（DDS）、効果・安全性評価、イメージングなど）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、企業導出を目指します。

また、本事業では、研究開発課題の推進にあたり「支援班」を設置し、PS・PO 等の指示の下、本事業を機動的かつ円滑に運営するために必要なスキームの確立も目指します。

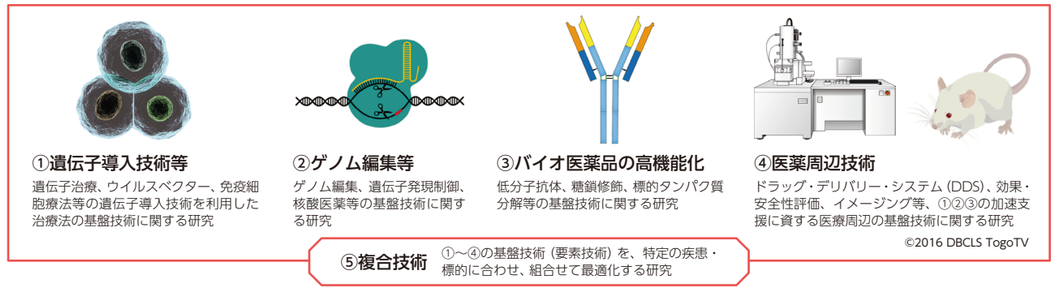
PS
宮田敏男
東北大学大学院医学系研究科 教授

PO
大滝義博
（株）バイオフロンティアパートナーズ 代表取締役社長

金田安史
大阪大学大学院医学系研究科 教授

津本浩平
東京大学大学院工学系研究科 医科学研究所 教授

堀内　正
慶応義塾大学医学部 特別招聘教授



創薬基盤推進研究事業

▶ https://www.amed.go.jp/program/list/06/01/004.html

革新的な医薬品の創出を目指して、創薬の基盤技術に係る研究を推進します。具体的には、新規標的探索や新薬候補物質の効率的な選定等に資するものとして、医薬品の研究開発の効率化・高度化等を支援するための研究を推進します。

PS
髙坂新一
国立精神・神経医療研究センター神経研究所 名誉所長

PO
大野泰雄
木原記念横浜生命科学振興財団 理事長

●医薬品研究開発の効率化等を支援する創薬基盤技術の開発

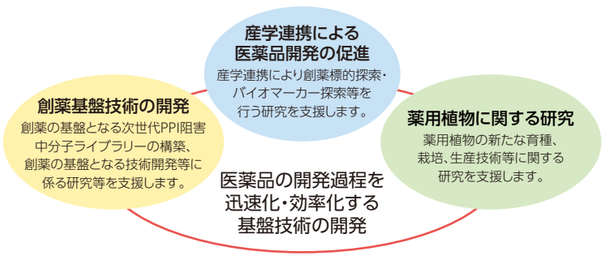
創薬基盤研究（次世代 PPI 阻害中分子ライブラリーの構築、創薬デザイン、医薬品製造工程の高度化、DDS 技術、生物資源の基盤整備等）、臨床情報に基づく創薬研究（ドラッグ・リポジショニング、コンパニオン診断薬、創薬標的探索等）、個別化医療、創薬に係る人材育成等を支援します。

●産学連携等による医薬品開発の促進

革新的な医薬品を創出するためには、疾患に対するアカデミアの先端的な知見を取り入れた臨床研究等を起点にした研究推進が不可欠です。このため、アカデミアの先端的知見に基づく臨床研究等と製薬企業の創薬技術の連携による創薬標的探索等からなる革新的医薬品の研究開発を支援します。

●薬用植物の新たな育種、栽培、生産技術等に関する研究

国内の漢方薬安定供給を目的として、薬用植物の国内自給率の向上に向けて、薬用植物の新たな育種、栽培、生産技術等に関する研究を支援します。



次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業

▶ https://www.amed.go.jp/program/list/06/01/005.html

本事業では、先制医療、個別化医療といった次世代治療・診断の実現を推進するために、次の課題に取り組んでいます。

●糖鎖利用による革新的創薬技術開発

世界トップレベルにある日本の糖鎖に関する基礎研究技術を、創薬標的探索に束ねて支援することにより、国際的にも競争力のある基盤技術を確立し、新たな創薬標的の探索手段の拡充を目指します。

●バイオ医薬品の高度製造技術の開発

抗体医薬品の連続生産等に関わるアップストリーム（細胞構築、生産）からダウンストリーム（分離精製、品質管理）までの要素技術やそれらをプラットフォーム化した技術を一貫して開発することにより、バイオ医薬品の連続生産等に関わる基盤技術の確立を目指します。

●革新的中分子創薬技術の開発

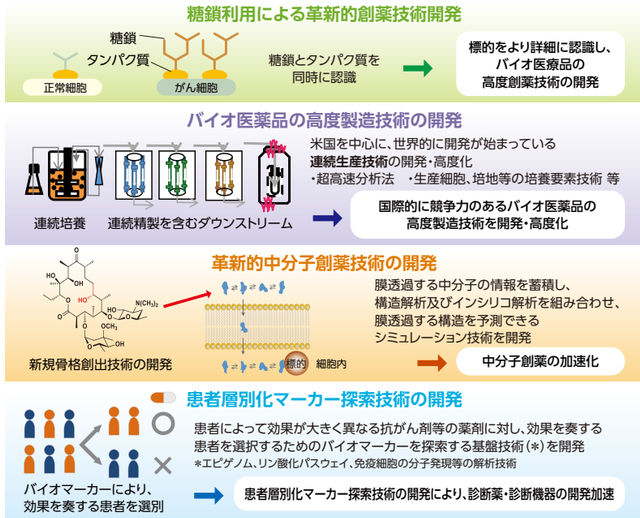
天然化合物の化学構造最適化に必要な誘導体展開を実現するためのバイオ合成創薬技術を開発します。また、中分子化合物が生体膜を透過して創薬標的への特異的な効果を実現できるか、あらかじめ絞り込むための評価・予測のシミュレーション技術の開発を目指します。

●患者層別化マーカー探索技術の開発

精密医療の実現には個人差に基づいて副作用が少なく奏効性が高い医薬品や治療法の開発が必要となります。そのためには疾患の種別や体内状態に応じて適切な治療を提供するための患者層別化マーカーが求められており、今年度より開始いたします。

PS
加藤　紘
山口大学 名誉教授

PO
今井浩三
札幌医科大学 名誉教授



再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業（遺伝子治療製造技術開発）

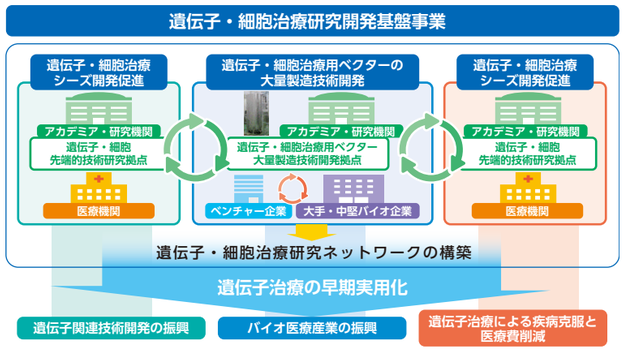
▶ https://www.amed.go.jp/program/list/06/01/006.html

遺伝子・細胞治療の実用化のためのベクター製造技術の開発・技術基盤の整備のため、日本に点在する多様な要素技術を可及的速やかに結集させ、実用化を視野に入れた中核となる遺伝子・細胞治療用ベクター大量製造技術の開発拠点を確立します。

更にこれら先端的技術研究拠点と大量製造技術開発拠点を連携させ、遺伝子・細胞治療研究ネットワークを構築することにより、我が国の高度な技術力とネットワーク力を生かして、医療現場に革新的な治療法を提供する基盤を整備することを目指します。

また、先端的な遺伝子・細胞治療のために必要な高度な製造技術、安全性向上技術等の研究開発の加速化にも取り組みます。

PS 古賀淳一　製薬協バイオ医薬品委員会委員長（第一三共株式会社）
PO 島田　隆　日本医科大学 名誉教授／PMDA 再生医療等製品専門委員
五十嵐隆　国立成育医療研究センター理事長

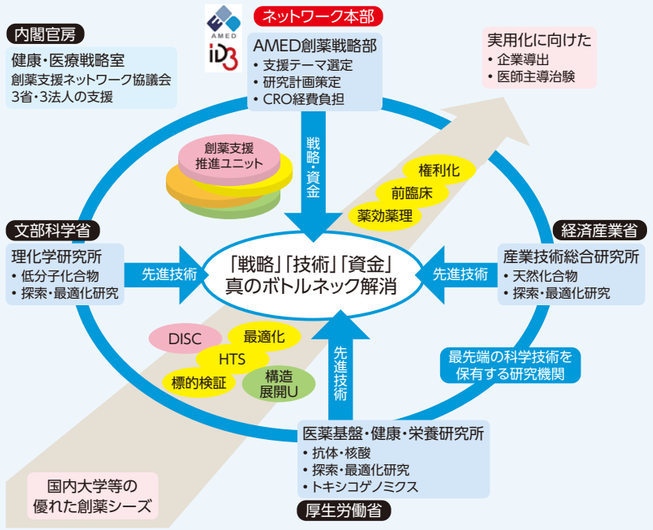


「創薬支援ネットワーク」とは

▶ https://www.amed.go.jp/program/list/06/network.html
▶ http://id3catalyst.jp/j/booster.html

日本医療研究開発機構創薬戦略部を中心に、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が強固な連携体制を構築し、国内の大学や公的研究機関の優れた研究成果から革新的新薬の創出を目指した実用化研究をオールジャパンで支援する日本初の創薬支援制度です。

大学等で生み出された実用化の可能性が高い創薬シーズ（新標的・新物質）を対象に、主として探索研究から前臨床開発までを支援します。具体的には、知財・研究戦略策定、プロジェクトマネジメント、探索研究及び前臨床開発に関わる技術支援、支援によって得られた成果の企業導出や医師主導治験への橋渡し等、実用化の成功に必要な様々な支援をワンストップで提供します。



創薬支援推進事業「創薬総合支援事業（創薬ブースター）」

▶ https://www.amed.go.jp/program/list/06/03/001_01-01.html

創薬ブースターでは、大学や公的研究機関で生み出された基礎研究の成果の実用化の加速を目的として、創薬戦略部が医薬品としての実用化の可能性が高いと判断した創薬シーズに対し、創薬戦略部が策定した知財戦略、研究戦略に基づき、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の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します。

創薬ブースターによって得られた成果については、確実に医薬品としての実用化につなげるため、創薬戦略部が製薬企業等への導出等に係る支援を行います。

創薬ブースターによる支援は、創薬戦略部が広く収集した創薬シーズを起点として実施していますが、その創薬シーズ収集の一環として、アカデミア研究者からのシーズ提案を通年で受け付けています。日本国内の大学や公的研究機関等で創薬研究に取り組んでいる研究者であれば、どなたでも創薬シーズを提案することができます。外部に公表していない、特許も未出願であるようなフレッシュで独創的なシーズの提案を歓迎します。詳細は、以下の Email アドレスまでお問い合わせください。

国立研究開発法人
日本医療研究開発機構　創薬戦略部 創薬企画・評価課
Department of Innovative Drug Discovery and Development (iD3)

東日本統括部：TEL 03-3516-6181
西日本統括部：TEL 06-6372-1771
Email：id3info@amed.go.jp

臨床研究・治験推進研究事業

▶ https://www.amed.go.jp/program/list/05/01/002.html

本事業では、国民により安全で有効な医療技術を早期に提供することを目的とし、日本で生み出された基礎研究の成果を革新的な医薬品等の薬事承認につなげる研究や、実用化への見込みが高く、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支援します。具体的には、産学連携による薬事承認申請を目指した医薬品シーズの実用化を推進する研究、疾患登録システム（患者レジストリ）を有効活用した臨床研究・医師主導治験、患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・医師主導治験、臨床研究の質を確保するための基盤整備に関する研究等を推進します。

PS
中西洋一
北九州市立病院機構 理事長

PO
佐藤典宏
北海道大学病院 臨床研究開発センター長

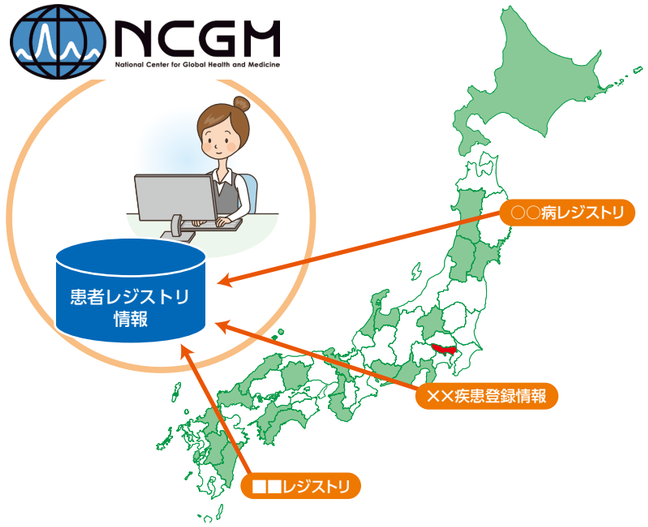
中田　光
新潟大学医歯学総合病院 臨床研究推進センター部長

クリニカル・イノベーション・ネットワーク推進支援事業

▶ https://www.amed.go.jp/program/list/05/01/015.html

疾患登録システム（患者レジストリ）は、患者の把握、臨床研究・治験へのエントリー、治験対照群、製造販売後安全対策等、様々な目的と用途で、医薬品等の治験・臨床研究の推進への寄与が期待されていますが、必ずしも研究者や企業がそれらを利活用しやすい環境ではありません。このような背景を踏まえ、患者レジストリを臨床開発に利活用しやすい環境を整備し、国内臨床開発を活性化することを目指した「クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）」構想が厚生労働省を中心に推進されています。本事業では、国内レジストリ情報を収集・集約・公開し、さらに将来的には患者・研究者・企業等へのレジストリに関する情報提供・相談等を行う CIN 推進拠点を支援するとともに、患者レジストリを具体的に活用した研究開発等を支援することで、CIN 構想の推進に貢献することを目的としています。

PS 中西洋一　北九州市立病院機構 理事長
PO 佐藤典宏　北海道大学病院 臨床研究開発センター長
中田　光　新潟大学医歯学総合病院 臨床研究推進センター部長



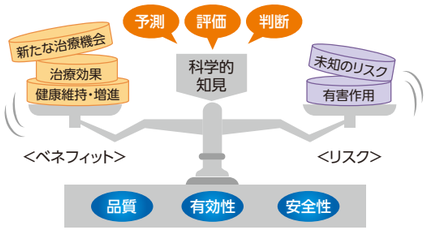
医薬品等規制調和・評価研究事業

▶ https://www.amed.go.jp/program/list/06/02/001.html

医薬品等規制調和・評価研究事業はレギュラトリーサイエンス研究に特化した公募研究を行っており、科学的合理性と社会的正当性に関する根拠に基づいた審査指針や基準等の策定、あるいは最先端の技術を活用した医薬品、医療機器等の医療製品に係る評価法開発等を通じ、世界に先駆けた国際規格・基準の提案等を目指しています。

産官学の医療製品開発者や規制関係者がこれら医療製品のレギュラトリーサイエンス研究を行い、その成果を開発等の指針（ガイダンス）等として公表します。これにより、開発者と規制当局との間で対立しがちなポイントを第三者の意見も交えながら透明性をもって整理し、開発のスピードアップ、承認申請・審査の円滑化を推進し、最終的には新しい医療製品の適正かつ早期の臨床応用及び実用化に結びつくことが期待されます。

PS 奥田晴宏　国立医薬品食品衛生研究所 所長
PO 片倉健男　国立医薬品食品衛生研究所 客員研究員
佐瀬一洋　順天堂大学大学院医学研究科 教授
松山晃文　藤田医科大学 医学部 講座教授
矢守隆夫　医薬品医療機器総合機構 理事



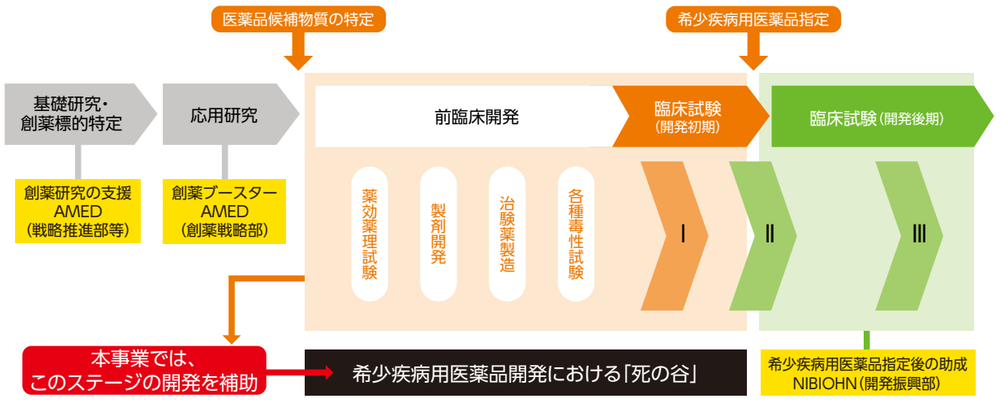
創薬支援推進事業「希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業」

▶ https://www.amed.go.jp/program/list/06/03/001_03-01.html

国内で希少疾病用医薬品の製造販売承認取得を目指す研究開発型企業等の開発を促進するため、2015年度より、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創設しました。

本事業では、ヒト初回投与試験実施前またはヒト初回投与試験以降の開発を推進するため、一定の開発費用を補助することで、希少疾患領域の研究開発を支援します。ただし、厚生労働大臣による希少疾病用医薬品の指定を保証するものではありません。

補助対象：希少疾病用医薬品として製造販売承認取得を目指す開発品目を有する企業等※
※医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和35年法律第145号）第12条第1項の医薬品の製造販売業の許可を有している、または医薬品の製造販売業の許可の申請を予定していること。ただし、医薬品の研究開発についての十分な知識、経験、実績等を有している場合はこの限りでない。



研究マネジメントに関してのチェック項目

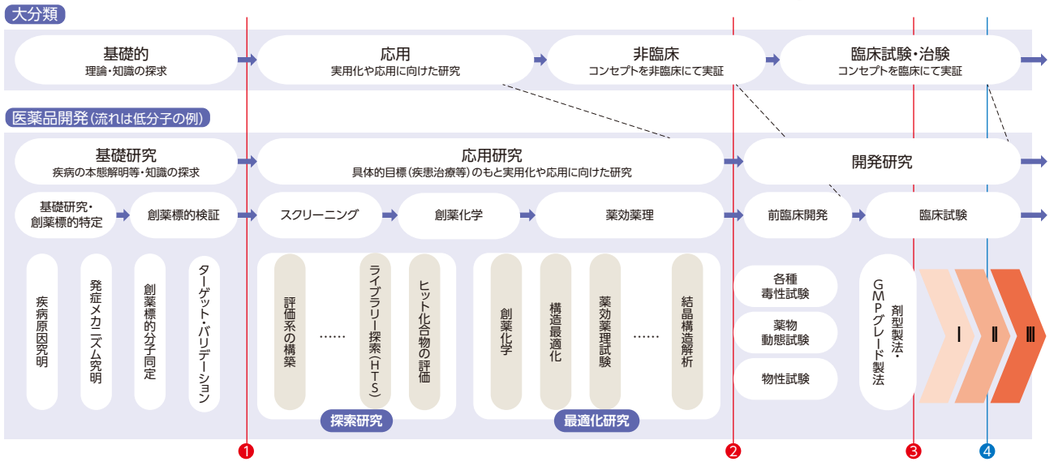
▶ https://www.amed.go.jp/koubo/iyakuhin_check.html

AMED全体で、医薬品の研究開発の重要なステージゲートごとに、個別の課題の進捗評価をより適切に行えるよう、研究開発マネジメントチェック項目（医薬品）を作成し、2018年度に開始する課題から運用を開始しています。

チェック項目を確認することで、各ステージゲートまでに最低限満たすべき事項を整理するとともに、次のステージゲートまでに検討・解決すべき事項を整理することで、今後の開発研究の計画・実施に役立てることが可能となります。

● 医薬品開発の流れとステージゲート

① 創薬標的検証終了時点、② 前臨床開発開始前時点、③ 臨床第Ⅰ相開始前時点、④ 探索的試験終了時点
AMEDは4つのステージゲートで、進捗状況等の評価（Go/no-go判断）を行います。

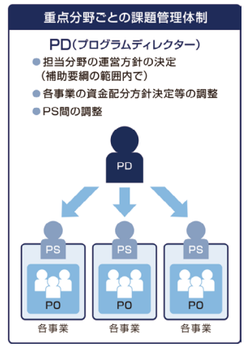


PD・PS・POによる評価・運営体制

▶ https://www.amed.go.jp/aboutus/hyouka_unei.html

AMEDでは、研究分野に関して優れた学識・研究開発の経験・実績等及び高い見識を有する専門家を、プログラムディレクター（PD）、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）として配置しています。

PD、PS、POは協力して、その分野全体の課題を把握し、担当する事業の運営や分野間の協力の推進等の高度な専門的調整を行うとともに、優れた研究開発提案の評価・発掘や基礎研究の成果を臨床研究・実用化につなげる一貫したマネジメントを行います。



研究成果の情報発信

▶ https://www.amed.go.jp/news/event/aj189-pj2019_R.html

AMEDでは、各種シンポジウムやフォーラム等で、研究成果の情報公開や共有・交換を行っています。

2019年3月4日には、プロジェクト全体のシンポジウムを開催し、第1部では「プロジェクト各事業の顕著な成果」について、14名の著名な研究者から紹介いただきました。第2部では「オールジャパンでの医薬品創出に寄せられる期待」として、成果を実用化に繋げていくために、特に産学官連携をテーマとして、パネルディスカッションを行いました。当日の概要はウェブサイトに公開しています。