



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

令和元年度第1回医療分野の 研究開発関連の調整費について

令和元年6月21日
日本医療研究開発機構

令和元年度 第1回医療分野の研究開発関連の調整費の配分について(プロジェクト別)

- 「医療分野の研究開発関連の調整費に関する配分方針」(平成26年6月10日健康・医療戦略推進本部決定)に基づき、令和元年度第1回配分予定額は総額で80.2億円。

(参考) 科学技術イノベーション創造推進費555億円のうち175億円を医療分野の研究開発関連の調整費として充当。

1. 横断型統合プロジェクトの事例

- ① オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト 34.2億円
 - 遺伝子・細胞治療用ベクターのプラットフォーム製造技術開発
 - 次世代型中分子ペプチド医薬品の品質及び安全性確保のための規制要件に関する研究 等
- ② オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト 2.0億円
 - 針なし気泡注射器を用いた低侵襲網膜血栓除去新技術の開発
 - 多彩な解析情報を得る機能的NMRの生組織への展開と生体の所望部位を可視化するMRIの開発 等
- ③ 革新的医療技術創出拠点プロジェクト 1.2億円
 - 難治性角結膜疾患に対する培養自家口腔粘膜上皮シート移植
 - バイオ3Dプリンタにより作製した三次元神経導管(Bio 3D Conduit)を用いた革新的末梢神経再生法の開発 等
- ④ 再生医療実現プロジェクト 0.8億円
 - 脊髄再生治療に付随するリハビリテーション治療の構築に関する研究
 - 日本人健常人集団由来iPS細胞株の構築
- ⑤ 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト 11.5億円
 - ヒトゲノムDe Novo情報解析テクノロジーの創出
 - 日本人大規模全ゲノム情報を基盤とした多因子疾患関連遺伝子の同定を加速する情報解析技術の開発と応用 等

2. 疾患領域対応型統合プロジェクトの事例

- ⑥ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト 4.7億円
 - 抗PD-1抗体不応性がん患者に有効な併用治療薬の開発
 - がん認識抗体と遺伝子導入T細胞による難治性B細胞性悪性リンパ腫を対象とした第I相医師主導臨床試験 等
- ⑦ 脳とこころの健康大国実現プロジェクト 1.5億円
 - 神経過興奮とタウ放出・伝播の悪循環を標的とする認知症の病態解明と治療法開発
 - 妊産婦前向きコホート研究の成果を用いた要介入群の同定法と支援策の開発
- ⑧ 新興・再興感染症制御プロジェクト 5.4億円
 - オミックス情報に基づく結核感染制御技術の開発研究
 - デングウイルス及びチクングニアウイルスの迅速検出法及び増殖阻害剤の開発 等
- ⑨ 難病克服プロジェクト 5.8億円
 - 分子病態に基づく筋萎縮性側索硬化症の遺伝子治療開発
 - 小児神経疾患・先天代謝異常症に対する遺伝子治療法開発 等

3. 健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業 13.3億円

- 腸内細菌株カクテルを用いた新規医薬品の創出
- HIV Cureを目指した新規作用機序を有する抗HIV薬開発研究 等

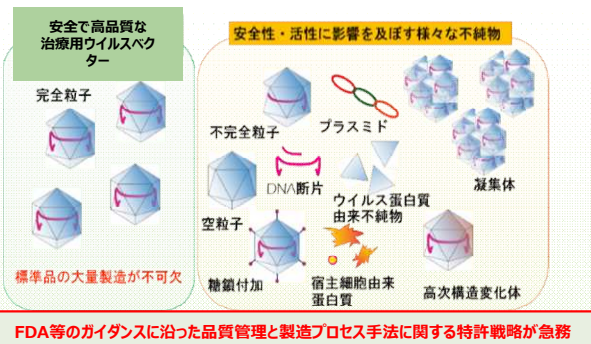
■ 「医療分野の研究開発関連の調整費に関する配分方針」（平成26年6月10日健康・医療戦略推進本部決定）に基づき、**令和元年度第1回配分予定額は総額で80.2億円。**

（参考）科学技術イノベーション創造推進費555億円のうち175億円を医療分野の研究開発関連の調整費として充当。

1. 研究開発内容の充実(63.1億円)の課題例

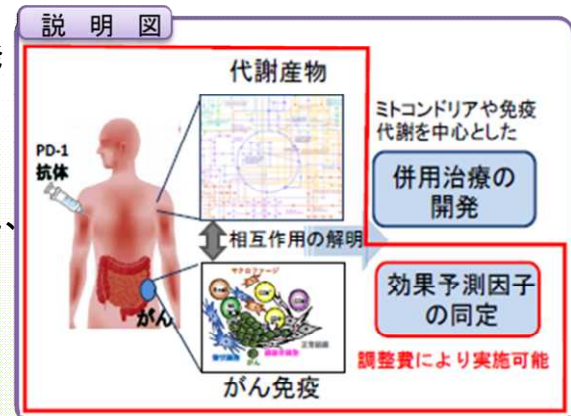
■ 遺伝子・細胞治療用ベクターのプラットフォーム製造技術開発

昨年FDAから発表されたドラフトガイダンスにおいて新たに示された遺伝子治療関連の品質・安全性評価項目に対応するため、必要な機器等を購入し、ガイダンスに対応した日本初の遺伝子ベクター等の品質管理のためのプラットフォームを構築するとともに、最先端分析技術と安全性評価に係る国内の基盤整備を実施する。



■ 抗PD-1抗体不応答性がん患者に有効な併用治療薬の開発

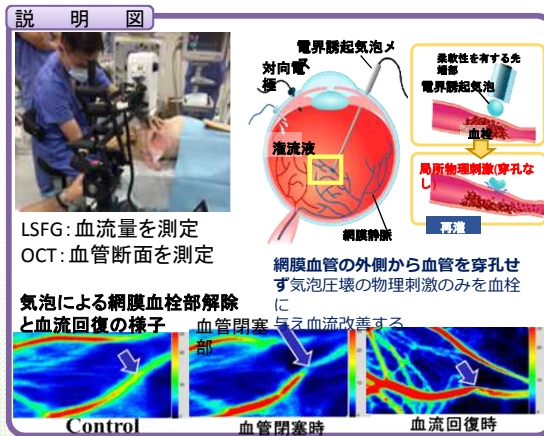
抗PD-1抗体併用治療薬開発の研究過程において、本抗体の有効性を見分けるバイオマーカー候補となり得る代謝産物を見いだしたことを踏まえ、当初予定になかったバイオマーカーの開発を追加的に実施し、併用治療薬の企業への導入等の実用化をより確実にする。



2. 研究開発の前倒し(15.5億円)の課題例

■ 針なし気泡注射器を用いた低侵襲網膜血栓除去新技術の開発

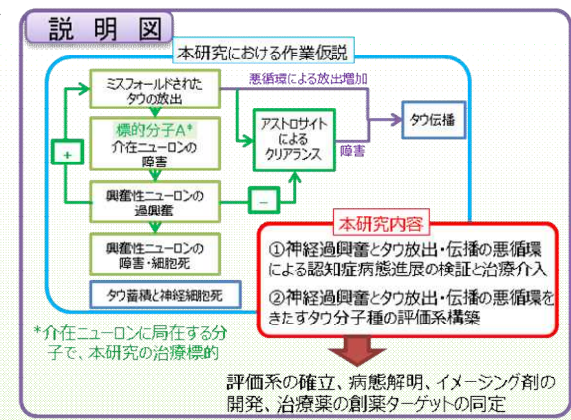
薬事戦略上解決すべき課題がPMDAからの指摘により明確化したため、翌年度に予定していた動物試験を前倒しで実施し、針なし気泡注射器を用いた低侵襲網膜血栓除去新技術の開発の加速、安全性・有効性を示すデータの取得等を実現することで、薬事申請までの期間を短縮する。



3. 特に優れた課題の採択数の増加等(1.6億円)課題例

■ 神経過興奮とタウ放出・伝播の悪循環を標的とする認知症の病態解明と治療法開発

一次公募において当課題が高評価にもかかわらず不採択だったことを踏まえ、調整費を配分して追加採択し、病原性たんぱく質の伝播と脳内蓄積による認知症の病態解明を行い、診断法や新薬の開発の実現を図る。



■ 配分方針 (健康・医療戦略推進本部決定)

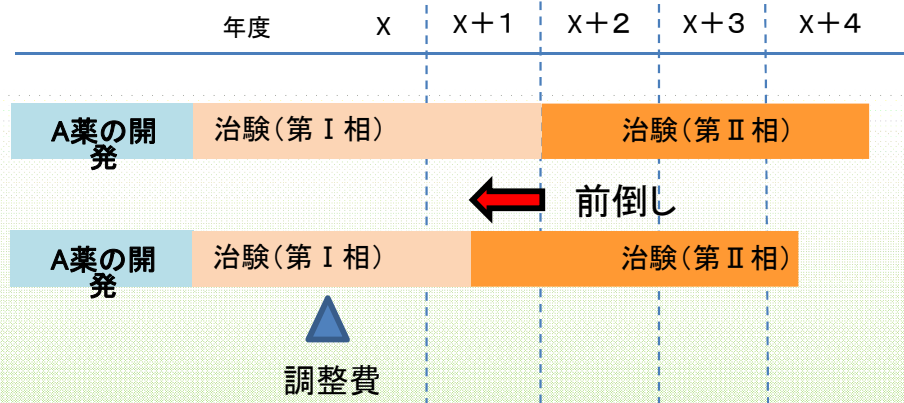
- (1) **加速**: ①前倒し: 研究開発の前倒し、②充実: 研究開発内容の充実等
- (2) **新規**: ①新規事業の開始、②事業内新規研究課題の開始等

※いずれも上段は当初計画、下段は調整費投入後の計画を図示した。

●「加速」の例

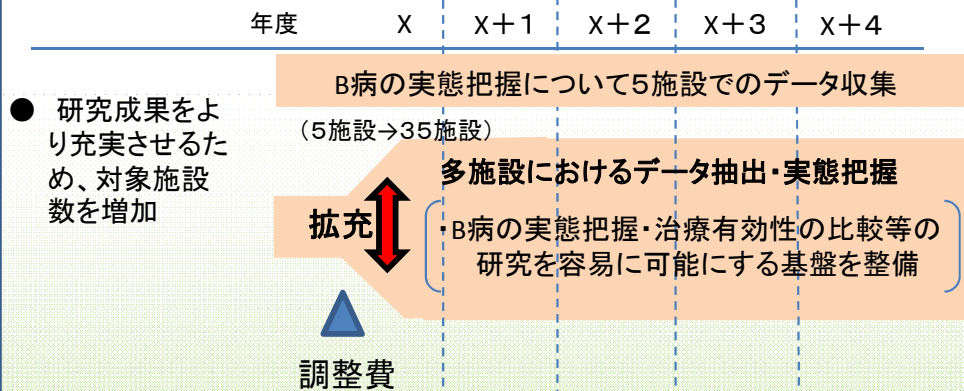
【①前倒し: 新たな医薬品開発スケジュールの前倒し】

★ 治験(第I相)の期間を半年程度短縮して、全体の行程を前倒し



【②充実: B病の研究基盤の構築を拡充】

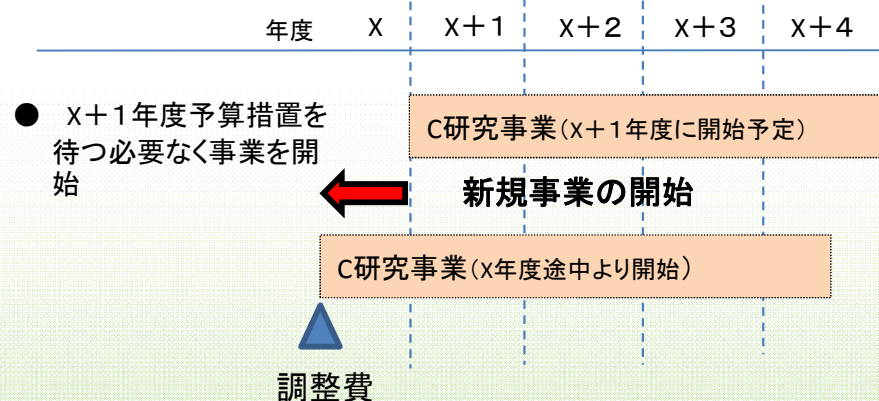
★ 対象施設を増やし、B病の研究基盤を拡充



●「新規」の例

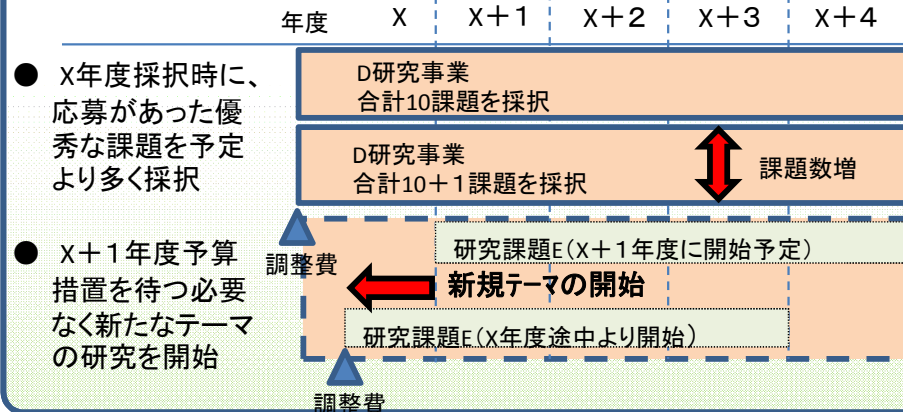
【①新規事業: 新たに推進が必要なC研究事業の開始】

★ 新規事業であるC研究事業を年度途中から開始



【②事業内新規研究課題: 既存事業の中で新しい課題を開始】

★ 既存事業であるD研究事業において、



課題名：遺伝子・細胞治療用ベクターのプラットフォーム製造技術開発

プロジェクト名：オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト

調整費配分額：26.3億円

<お問い合わせ先>
 日本医療研究開発機構
 創薬戦略部 医薬品研究課
 TEL：03-6870-2219
 E-mail: gene_therapy@amed.go.jp

概要

遺伝子治療に関する製造プラットフォーム構築に必要な要素技術を有する産官学が結集し、カルタヘナ法も含めて治験等実施とその規制対応まで想定した我が国における日本発の製造技術基盤を構築することを目的として、ベクター大量製造技術開発拠点を整備し、製造基盤技術の確立を目指す。

具体的内容

【要求理由】

海外では遺伝子治療用ウイルスベクター製造技術開発が激化している一方で、製品として一定の品質をコントロールできていない例も報告されており、2018年7月には米国FDAより遺伝子治療に関する企業向けガイダンス案6報が発出され、品質管理項目（製造用細胞、核酸、糖鎖解析等）について、新規技術（ddPCR、超遠心分析、高分解能質量分析など）を用いた管理戦略や製法変更等に対する考慮事項の検討が求められるようになった。海外企業はすでにこのガイダンス案に対応した製造と品質のプロセス開発手法を確立させ、特許取得に向けた動きを見せるなど、次世代技術を駆使した迅速な対応を進めていることが明らかになった。また2019年1月には、FDA長官が新しいガイダンスを策定予定と発表している。一方、このような手法に則した技術開発は国内では行われておらず、当該ガイダンス案に則した対応が急務となっている。またベクターの品質、製法変更等が安全性に与える影響を評価する手法も確立されていない。既に確立した培養、製造基盤を活用して、今後、実用化研究を進める上で、大量製造・分析・臨床のサイクルの確立についてレギュラトリーサイエンス（RS）を含めた対応が急務であることから、以上を満たすために不足する費用を調整費として要求する。

【実施内容】

本件事情変更により、最先端分析技術と安全性評価に係る国内での基盤整備を至急実施することが必要となったことに加え、来年度に実施した場合、国内で開発中のパイプラインの品質・安全性の担保を海外に依存せざるを得なくなり、さらに実用化が遅れる原因となる。今回の調整費配分により、早期に品質管理、製法変更等の戦略を立てるために必要な分析技術開発拠点等のサイクルが整備でき、我が国の指針策定が可能となる。具体的には、分析技術拠点等の整備としてウイルスベクター専用の自動画像解析電子顕微鏡、ウイルスの高次構造変化体解析のための重水素交換質量分析装置、ウイルスの翻訳後修飾（糖鎖・酸化など）特定・定量分析のための高感度液体クロマトグラフィー高感度質量分析装置等を購入し、品質管理項目の追加に対応する。

【実施効果】

精度の高い遺伝子治療製品の臨床試験用ベクターの製造が可能となり、本研究課題の目的であったベクター製造技術拠点の製造基盤技術を達成するとともに、国内の治療用ウイルスベクターの品質管理に係る人材育成、規制上の指針策定に寄与することができる。また、開発期間の短縮により我が国の国際競争力の強化を図ることができる。

対象課題

【研究代表者】 大政 健史

【研究期間】2018～2023年度

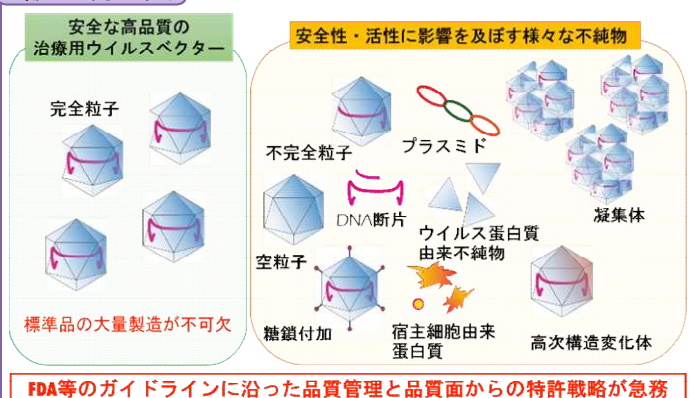
【所属機関・部署】次世代バイオ医薬品製造技術研究組合／大阪大学

【調整費履歴】2018年度春（新規公募）845百万円

工程

年度	2018	2019	2020	2021	2022	2023	(課題の全実施期間)
当初計画		オープンラボ構築	ベクター大量製造技術開発・外部研究者支援分析基盤整備・安全性評価基盤整備				
手当前	新規採択	オープンラボ構築	ベクター大量製造技術開発・外部研究者支援分析基盤整備・安全性評価基盤整備				
手当後		オープンラボ構築	ベクター大量製造技術開発・外部研究者支援分析基盤整備・安全性評価基盤整備				
	充実等	最先端分析技術整備安全性評価基盤整備			成果向上		

説明図



課題名：抗PD-1抗体不応答性がん患者に有効な併用治療薬の開発

プロジェクト名：ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

調整費配分額：1,600万円

<お問い合わせ先>

日本医療研究開発機構

戦略推進部 がん研究課

TEL：03-6870-2221

E-mail：cancer@amed.go.jp

概要

PD-1阻害抗体治療不応答性がん患者の救済のため、PD-1阻害効果を増強する併用治療法の開発を行い、日本のがん免疫研究の強化を目指す。

具体的内容

【要求理由】

これまでの研究でPD-1阻害効果を増強する併用治療法の開発を行っていたが、その過程でバイオマーカーの候補となりうる代謝産物を同定した(2019年1月に特許出願)。2018年12月の次世代がん医療創生研究事業のステージゲート評価委員会においてバイオマーカー同定は本研究分野でも急務であるため併用治療の開発と併せて行う必要が有ると指摘があった。この分野は世界的な競争にさらされており、より有効なマーカーをいち早く導出する必要があることから、調整費を充当してPD-1阻害抗体の有効性を見分けるバイオマーカーの開発で実施する。

【実施内容】

調整費配分により、バイオマーカー同定のために患者検体を用いた代謝産物や免疫細胞の評価を行う。具体的には、患者検体収集と免疫細胞(T細胞)分画の単離の実施、解析関連試薬(磁石ビーズ・FACS抗体)の購入、及び単離免疫細胞のメタボライト測定・遺伝子解析の実施・委託である。

【実施効果】

本追加により当初予定にないPD-1阻害抗体の有効性を見分けるバイオマーカー(効果制御因子)の開発を行うことができ、当該内容に関する特許内容の充実、企業への導出等の実用化が進むこととなる。

対象課題

【研究代表者】本庶 佑

【研究期間】2016～2021年度

【所属機関・部署】国立大学法人京都大学 特別高等研究院

【調整費履歴】なし

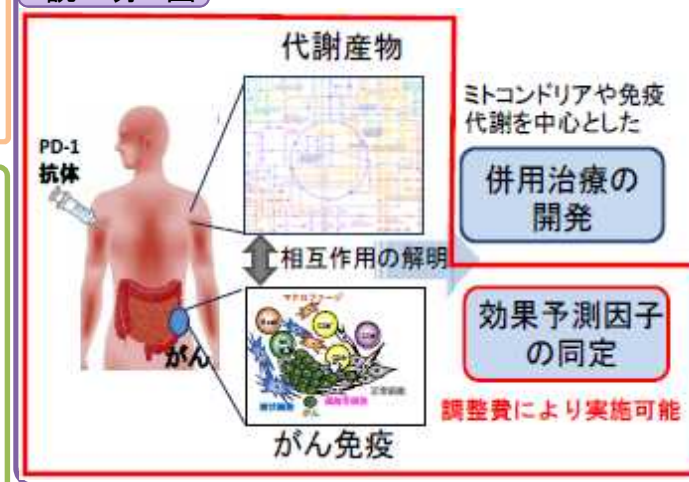
工程

年度	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
当初計画		併用治療剤のスクリーニング・機序解明			併用治療薬の機序解明		
手当後		併用治療剤のスクリーニング・機序解明			併用治療薬の機序解明 バイオマーカー同定		企業等への導出

(課題の全実施期間)

▲ 充実

説明図



課題名：針なし気泡注射器を用いた低侵襲網膜血栓除去新技術の開発

プロジェクト名：オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

調整費配分額：9,330万円

<お問い合わせ先>

日本医療研究開発機構

産学連携部 医療機器研究課

TEL：03-6870-2213

E-mail：amed-sentan@amed.go.jp

概要

本研究課題は網膜静脈分枝閉塞症に対して、網膜静脈血栓部へ電界誘起気泡による低侵襲物理的的刺激を血管（血栓）へ与えることにより血流を回復・改善させる技術である。これまで輸入抗VEGF薬による対症療法しかなかったため、年間約500億円（薬価）もの医療費が支払われてきた。このような現状を打破すべく、網膜静脈血栓の根治療法を目指すオールジャパンの技術による医療機器開発である。

具体的内容

【要求理由】

2018年9月以降に実施したモデル大型動物（豚眼）を用いた予備試験、前倒しを目的とした先端計測プログラムの加速費による11月以降の豚眼のパイロット試験結果から、本技術は電界誘起気泡の血栓分解による血流回復に有効な方法であることが判明した。研究が前倒しで進展しており、早期実用化に向けて、2019年1月にPMDAと面談した際、今後の薬事戦略上解決すべき課題がPMDAからの指摘により明確化した。よって、最終年度に予定していた動物試験を前倒しで実施し、血流及び静脈閉塞改善に関する客観的なデータを示したうえで、今後の治験の可否を含めた薬事戦略を固める。先端計測プログラムでの研究を早期に完了させ、医工連携事業化推進事業に橋渡しをすることで、本疾患の根本治療に資する国産医療機器を早期に実用化する。

【実施内容】

豚眼血流回復をレーザースペックルフローグラフィ（LSFG）、血管断面測定を光干渉断層撮影（OCT）にて実施する。本試験実施のために必要な、静脈血流測定用LSFG購入費、豚眼内での気泡の作用観察用ハイスピードカメラシステムの購入費、手術用顕微鏡インバーターの購入費、実験用消耗品・旅費、電気パルス出力装置の安全装置機能向上、ブタ動物実験18回分、間接費を計上する。

【実施効果】

針なし気泡注射器を用いた低侵襲網膜血栓除去新技術の開発が加速し、革新的技術であるがゆえに求められる安全性・有効性を示すPMDAへのデータの取得、知財や学会への認知が実現できる。それにより、医療機器としての承認を確実にすることが期待でき、これまでの対症療法であった医薬品から治療用医療機器が実用化され、年間約193億円以上の医療費削減が見込まれ、医療分野への貢献が達成される。

対象課題

【研究代表者】山西陽子

【研究期間】2017～2020年度

【所属機関・部署】九州大学大学院工学研究院・機械工学部門

【調整費履歴】なし

工程

年度	2017	2018	2019	2020	（課題の全実施期間）			
当初計画	メス・装置の機器開発			動物試験	設計開発	非臨床試験 (GLP)	臨床試験	薬事申請
手当前	メス・装置の機器開発			動物試験	設計開発	非臨床試験 (GLP)	臨床試験	薬事申請
手当後	メス・装置の機器開発			動物試験	設計開発	非臨床試験 (GLP)	臨床試験	薬事申請
				前倒し				

客観的データ取得によるPMDA薬事戦略構築

薬事申請早期化実現

説明図

LSFG: 血流量を測定
OCT: 血管断面を測定

網膜血管の外側から血管を穿孔せず
気泡圧壊の物理刺激のみを血栓に
与え血流改善する

気泡による網膜血栓部解除
と血流回復の様子

血管閉塞部

Control 血管閉塞時 血流回復時

課題名：神経過興奮とタウ放出・伝播の悪循環を標的とする認知症の病態解明と治療法開発

プロジェクト名：脳とこころの健康大国実現プロジェクト

調整費配分額：7,500万円

<お問い合わせ先>

日本医療研究開発機構

戦略推進部 脳と心の研究課

TEL：03-6870-2222

E-mail：brain-d@amed.go.jp

概要

認知症の病態には病原性タンパク質の関与が指摘されているが、発症への関与は十分に解明されていない。ヒトにおける病原性タンパク質の脳内蓄積の病態解明をすることにより診断法や新薬の開発につなげることを目標とする。

具体的内容

【要求理由】

認知症の機序解明、創薬研究加速のため認知症病原性タンパク質の脳内蓄積に関する課題を1課題採択すべく2019年度一次公募した。2019年2月の事前評価委員会及びPSPO会議において、採択予定課題と遜色のない高い評価が得られていることを踏まえて、予算の確保の努力をして追加採択を検討するよう指摘されたため、調整費による当該課題を追加採択する。また、本課題代表者が従来より構築してきた、タウを標的とする創薬における産官学連携の母体である「タウトランスレーショナルコンソーシアム」を引き続き活かしつつ、病原性タウタンパク質の研究開発を進める。なお、追加採択した課題について加速化を図ることで早期に知財獲得や技術移転の達成に繋げる。

【実施内容】

本研究課題では、①神経過興奮とタウ放出・伝播の悪循環による認知症病態進展の検証と治療介入、神経過興奮とタウ放出・伝播の悪循環をきたすタウ分子種の評価を行う。

【実施効果】

本追加採択により、病原性タンパク質の伝播と脳内蓄積による認知症の病態解明、認知症の診断・治療に資する研究を充実させ、早期に知財獲得や技術移転の達成に繋げる。

対象課題

【研究代表者】樋口真人

【研究期間】2019年度

【所属機関・部署】量子科学技術研究開発機構

【調整費履歴】なし

工程

年度	2019	2020	2021
手当前	採択 保留	病原性タウタンパク質の脳内蓄積の病態解明 ①神経過興奮とタウ放出・伝播の悪循環による認知症病態進展の検証と治療介入 ②神経過興奮とタウ放出・伝播の悪循環をきたすタウ分子種の評価系構築	
手当後	病原性タウタンパク質の脳内蓄積の病態解明		

(課題の全実施期間)

説明図

