

令和2年度医療分野の研究開発関連の 調整費(理事長裁量型経費)について

令和2年8月28日

日本医療研究開発機構
理事長 三島良直

医療分野の研究開発関連の調整費について

- 令和2年度の医療分野の研究開発関連予算について、日本医療研究開発機構(AMED)対象経費は1,272億円を計上。
- これに加え、医療分野の研究開発関連の調整費として175億円を確保。※「科学技術イノベーション創造推進費(555億円の一部)」
- 調整費の配分に係る考え方としては、現場の状況・ニーズに対応するため、国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)より提案される「理事長裁量型経費」及び推進本部長又は副本部長等が配分対象事業及び配分額案を策定し、機動的な予算配分を目的とする「トップダウン型経費」がある。
- 健康・医療戦略推進本部の決定により、基本的に、毎年度 2回配分(春と秋)。

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)

① 現場の状況・ニーズに対応した予算配分(理事長裁量型経費)

AMED理事長より提案を受け、理事長と調整の上で配分対象事業及び配分額等の案を策定し、推進本部に諮るもの。

- 年度の途中で研究開発が加速する等の理由により、追加的に研究開発費を配分することが、研究開発の前倒しや研究開発内容の充実等に効果的と判断した事業について配分。
- 健康・医療戦略等の取組を一層推進する観点から、特に優れた課題の採択数の増加や新たな研究課題の公募等が望ましいと判断した事業について配分。

② 推進本部による機動的な予算配分(トップダウン型経費)

推進本部長又は副本部長等が配分対象事業及び配分額等の案を策定し、推進本部に諮るもの。

- ある領域において画期的な成果が発見されたこと等により、当該領域へ研究開発費を充当することが医療分野の研究開発の促進に大きな効果が見込まれる場合等に配分。
- 感染症の流行等の突発事由により、可及的速やかに研究開発に着手する必要が生じた場合に配分。

令和2年度 医療分野の研究開発関連の調整費 (理事長裁量型経費)の提案項目

1. 新型コロナウイルス感染症対策のための研究開発の推進

2. 6つの統合プロジェクト(疾患関連研究を含む)に関連する研究開発の推進

3. 異分野等との横断的・連携的取組の推進

上記1. については、新型コロナウイルス感染症対策に関連する研究開発支援の「**第6弾**」として、健康・医療戦略推進本部において決定された。

令和2年度第2回医療分野の研究開発関連の調整費の配分について

- 「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2年度第2回配分額は総額で95.5億円。
- 主な配分内容は以下の通り。

1. 新型コロナウイルス感染症対策のための研究開発の推進(36.7億円)

- (1) 新型コロナウイルス感染症対策のための支援の充実
 - COVID-19治療薬早期実用化のための環境整備(10億円)
 - 診断・治療・予防に資する実証・改良研究や機器・システムの評価に資する環境整備(10億円) 等
- (2) AI等新技術導入による研究の加速
 - スーパーコンピューター「富岳」の計算結果を活用するためのCOVID-19感染症治療薬探索・評価基盤の整備(1.5億円)
 - 電子化による効率的なコホート調査及び回付を目指したアプリ・システムの構築(1.3億円) 等
- (3) ニューノーマルへの対応
 - 遠隔対応型の精神医療とメンタルヘルスケアの基盤システム開発・検証及び実用化促進(2.0億円)
 - With・postコロナ時代の精神神経疾患サステナブル遠隔臨床研究システム(3.3億円) 等

2. 6つの統合プロジェクト(疾患関連研究を含む)に関連する研究開発の推進(45.8億円)

- ① 医薬品プロジェクト
 - 目的外変異のないゲノム編集法開発(0.3億円)
 - 中枢移行性ヘテロ核酸の開発(0.6億円) 等
- ② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト
 - 生体分子の超高感度センシング技術の開発(0.5億円) 等
- ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
 - 新規がん免疫細胞療法による難治性がんに対する治験(0.3億円) 等
- ④ ゲノム・データ基盤プロジェクト
 - 筋萎縮性側索硬化症(ALS)克服のための治療開発研究(0.7億円) 等
- ⑤ 疾患基礎研究プロジェクト
 - 「心」と「体」をつなぐ脳神経回路のメカニズムの解明(0.6億円)
 - 大動脈病変の指標となるバイオマーカーの開発(0.3億円) 等
- ⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト
 - 新規消毒剤を用いた安価で簡便な感染制御法の確立(0.1億円) 等

3. 異分野等との横断的・連携的取組の推進(12.9億円)

- 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(0.5億円)
- RNA製品の品質・安全性評価法の確立(1.7億円) 等

※ 主な配分内容であるため、総額と個々の研究開発課題の合計は一致しない。

1. 新型コロナウイルス感染症対策のための研究開発の推進①

(1) 新型コロナウイルス感染症対策のための支援の充実

新規治療薬開発のための環境整備

公募

■ COVID-19治療薬早期実用化のための環境整備

- COVID-19治療薬の早期実用化を目指すためには、BSL-3試験で効率的に治療薬候補を評価できる、予測性の高い動物モデルの開発と供給、効果的にモニターするためのバイオマーカーやその迅速測定法の開発が不足している。
- 当該課題解消のための研究開発および臨床サンプル供給体制の確立を行うと共に、重症化に至る病態解析、病態機序解明を行い、それらの知見を利用して効果的な臨床試験を実施する体制を整備する。

インシリコスクリーニング モノクローナル抗体作製
・既存薬/その他化合物 ・モノクローナル抗体

In vitroスクリーニング

In vivoスクリーニング

非臨床試験

治験

実用化

予測性が高い動物モデル
やバイオマーカーやその迅速測定法の開発

多様な病態に対する治療
効果や副作用を適切に見積もるための新たな実験
手法や測定技術の開発、
重症化に至る病態解明

動物モデルや測定技術
の供給、医療機関と研
究者を結ぶ臨床サンプ
ルの供給体制

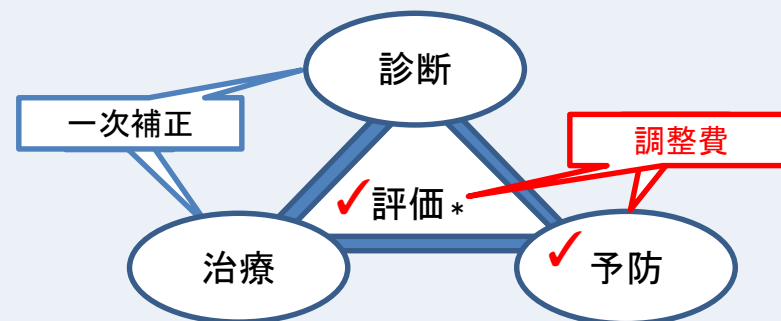
国際共同治験も可能な
臨床研究実施の基盤

診断・治療・予防のための 機器・システム開発等

公募

■ 診断・治療・予防に資する実証・改良研究 や機器・システムの評価に資する環境整備

- 令和2年度第1次補正予算により公募を行い、感染初期に社会的に問題とされ注目度が高かったPCR、抗体検査等の迅速性、簡便性、正確性を実証・改良する研究や、国内で不足しているECMOや人工呼吸器の実証・改良研究を支援してきた。
- 今後は、「感染予防対策」を中心としたシステムやその実現に必要な医療機器等の実証・改良研究、並びに、感染症対策技術を開発する上で有効性を評価する環境を整備する取り組みの支援を強化する。



* 新型コロナウイルスを用いた評価(検証)も重要。

1. 新型コロナウイルス感染症対策のための研究開発の推進②

(2) AI等新技术導入による研究の加速

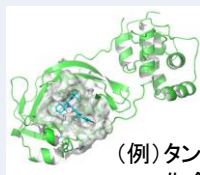
スパコンを用いた研究加速

充実

■ スーパーコンピューター「富岳」の計算結果を活用するためのCOVID-19感染症治療薬探索・評価基盤の整備

- スーパーコンピューター「富岳」を用いて、新型コロナウイルス感染症に有効な既存薬が既に複数ヒットしている。
- これまでは直接細胞培養評価系で抗ウイルス活性を測定して評価しているが、効率的に薬効発現の作用メカニズムを明らかにするため、SARS-CoV-2の各種ウイルスタンパク質のin vitro評価が必要となる。
- COVID-19感染症治療薬探索の支援を効率的に行うため、in vitro評価基盤を整備する。

インシリコスクリーニング
(富岳プロジェクト、BINDSなど)



(例) タンパク質と治療薬候補化合物の結合図
(スーパーコンピュータによる計算結果)

ヒット化合物選択

In vitro評価
(ウイルスタンパク質結合系など)

ウイルスタンパク質と治療薬候補化合物の結合の強さを評価
(スーパーコンピュータによる計算結果の確認)

細胞培養 (感染実験) 系評価

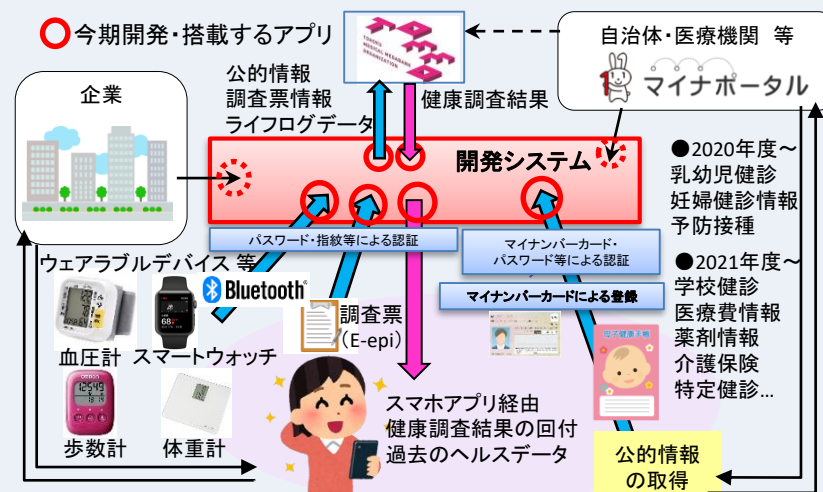
タンパク質に結合する治療薬候補化合物の抗ウイルス活性評価【第1弾で対応】
(スーパーコンピュータによる計算結果とタンパク質結合評価結果の確認)

コホート調査のための新システム構築

充実

■ 電子化による効率的なコホート調査及び回付を目指したアプリ・システムの構築

- COVID-19感染拡大に伴い対面型コホート調査が困難になり、コホート調査の質を下げることなく効率的・合理的に健康調査や結果回付を電子的に実施できる体制構築が急務となった。
- 相当な労力とコストを要している現在の調査手法からの脱却を目指し、パスワード・生体認証等を用いたセキュアな環境下で、調査票情報、公的情報、及びウェアラブルデバイス情報等を電子的に収集し、各個人に紐付けするとともに保管・回付可能なアプリ・システムを開発する。



1. 新型コロナウイルス感染症対策のための研究開発の推進③

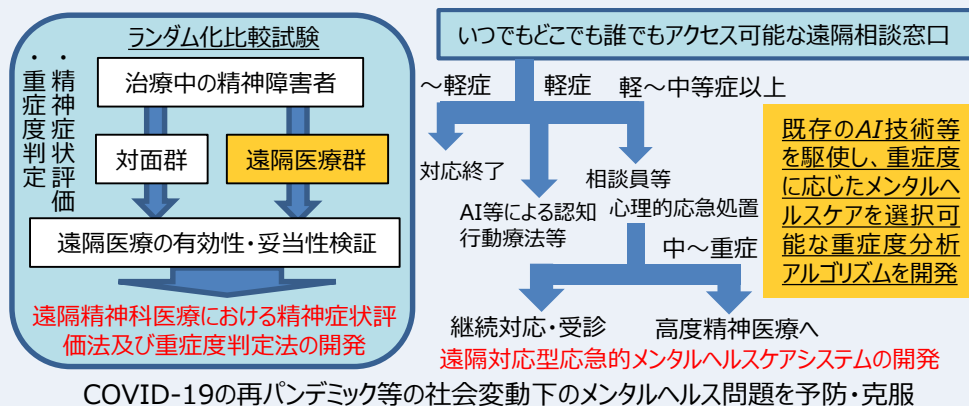
(3) ニューノーマルへの対応

遠隔対応型の精神医療・メンタルヘルスケア

公募

■ 遠隔対応型の精神医療とメンタルヘルスケアの基盤システム開発・検証及び実用化促進

- 精神疾患患者のみならず、医療従事者や一般市民においても、不安、睡眠障害、うつ症状の顕在化等が懸念されており、遠隔対応型のシステム開発が急務。
- 精神疾患患者を対象とし、遠隔診療による抑うつ等の精神症状評価法と重症度判定法を開発し、自殺予防等に有効な遠隔精神科医療の実用化を目指す。
- 重症度に応じたメンタルヘルスケアを選択可能な重症度分析アルゴリズムを開発し、いつでもどこでも誰でもアクセスが容易な遠隔対応型メンタルヘルスケアシステムに実装し、システムの効果検証を行い、実用化を促進する。

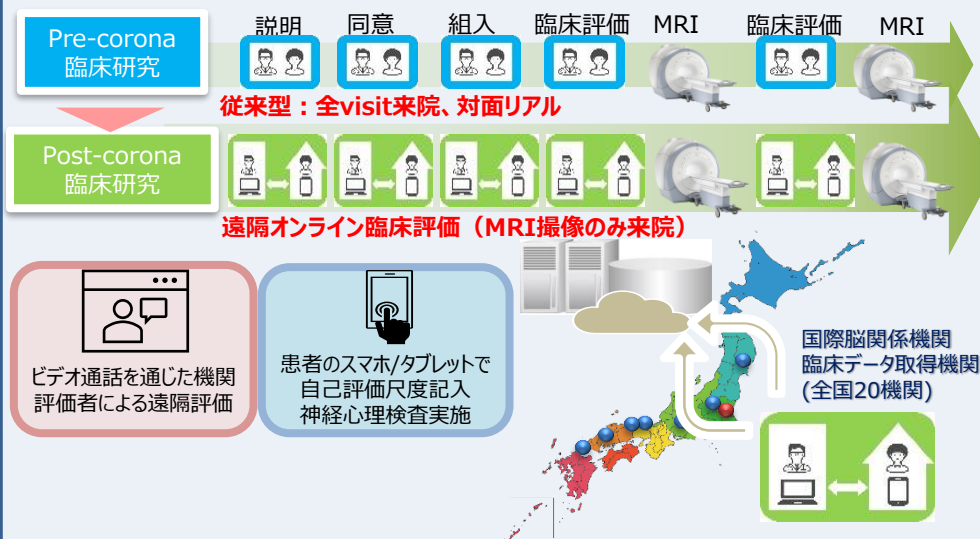


遠隔ICT技術による臨床研究システムの構築

充実

■ With・postコロナ時代の精神神経疾患サステナブル遠隔臨床研究システム

- コロナ禍で被験者リクルートが事実上停止し、MRI計測を含む臨床研究の目標達成が困難な状況となった。
- MRI撮像部分を除くプロセス（被験者同意、精神神経疾患分野の特徴である面談、会話による臨床評価）をシステム化することで、遠隔化、標準化を進める必要がある。
- 全国20機関で統合的AI解析を含む遠隔ICT技術による臨床研究システムの導入と遠隔診療のプロトコルの標準化技術を確立し、次世代型の診断・治療基盤を構築する。

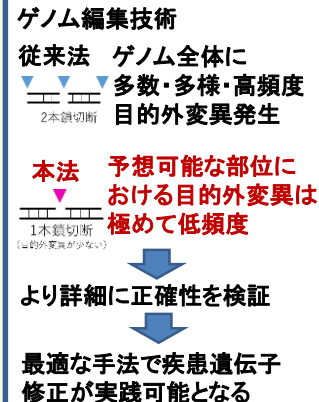


2. 6つの統合プロジェクト（疾患関連研究を含む）に関連する研究開発の推進①

① 医薬品プロジェクトの課題例

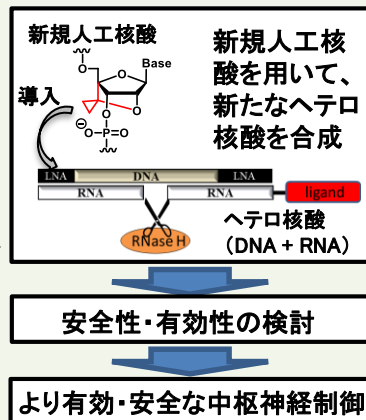
■ 目的外変異のないゲノム編集法開発 充実

- 目的外変異のない方法として開発中の新規ゲノム編集法について、当初の想定を超え広範にゲノム編集可能となることを見出した。
- 当該技術の高度化を図るため、難病のゲノム解析で構築した広範な知見を組み合わせ研究を推進することにより、難病への新たな治療法の早期提供にもつなげる。



■ 中枢移行性ヘテロ核酸の開発 前倒し

- 難治性神経疾患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、安定性等が優れた新たな人工核酸の早期提供が可能となった。
- 安全性・有効性の向上のためには、技術の応用可能性を早期に検討する必要があるため、新規人工核酸を利用した、安全性試験や動物実験を前倒しで実施する。



② 医療機器・ヘルスケアプロジェクトの課題例

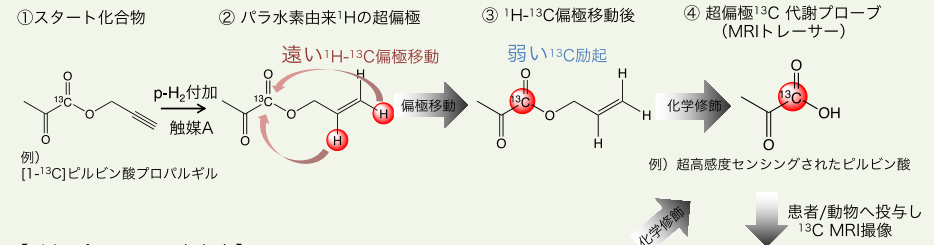
充実

■ 生体分子の超高感度センシング技術の開発

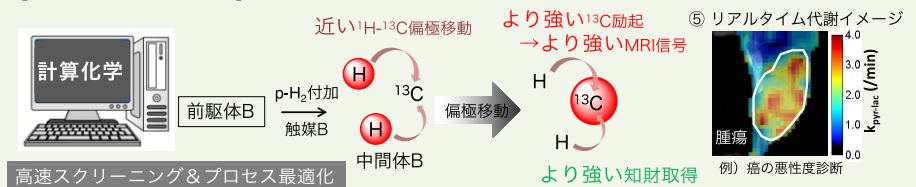
- がんの悪性度等の画像診断に用いる ^{13}C MRIについて、従来の数万倍の高感度化と院内製造工程の簡略化に繋がる新たな分子センシングの化学反応（励起プロセス）の知見が得られ、世界に先んじて、PETのような分子イメージング診断を無被曝かつ安価に実現できる革新的MRI検査法の開発に目処が立った。
- 実機的设计・作製と併せ、計算化学の導入による分子センシングの化学反応の最適化スクリーニングを実施するとともに、特許を出願し、知財戦略の強化も図る。

励起プロセス改良による ^{13}C 偏極率(=MRI感度)の向上

【従来の励起プロセス】



【励起プロセスの改良案】



2. 6つの統合プロジェクト（疾患関連研究を含む）に関連する研究開発の推進②

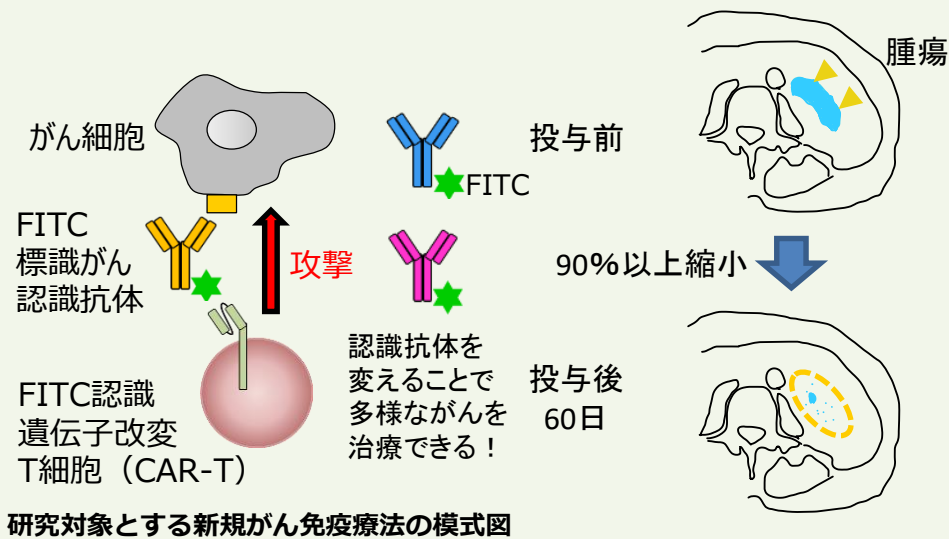
③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトの課題例

充実

■ 新規がん免疫細胞療法による難治性がんに対する治験

- 新規がん免疫療法※での最初の患者への投与に関し、本年5月に、対象とする腫瘍の大幅な縮小を示し、かつサイトカイン放出症候群等の有害事象は見られないなど、顕著な治療効果を示した。
- 本治験完了後の企業導出の加速を見据え、当該療法のメカニズム解明のための詳細な解析を追加で行う。

※FITC（蛍光色素分子）で標識したがん認識抗体と免疫細胞（CAR-T）を組み合わせるもの



④ ゲノム・データ基盤プロジェクトの課題例

前倒し

■ 筋萎縮性側索硬化症(ALS)克服のための治療開発研究

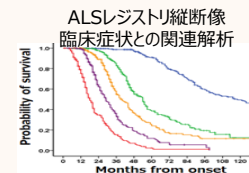
- 特定の遺伝子発現がALSの予後に強い影響を示すデータを得ており、さらにALSの発症、進行、予後に関連するゲノム構造多型（non-coding regionのリピート延長など）の探索が必要である。
- このため、ロングリード全ゲノム解析等によりphenotypeと関連する新規のゲノム構造多型を同定する。
- あわせて、ALS病態を再現した疾患iPS細胞を用いて、核酸医薬などの新規医薬品の開発を加速し、有効な治療法をいち早く患者に届ける。

ALSの予後などに関連する遺伝子構造変異の同定

ALS患者300例以上
ToMMo
コントロールゲノム

ロングリード全ゲノム解析

- ・ 新規手法を用いたゲノム構造多型のスクリーニング
- ・ ゲノム構造多型の確認



患者由来iPS細胞を用いた検証、治療法開発

孤発性ALS患者
iPS細胞パネル

ALS病態の再現

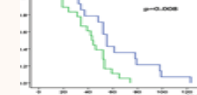
iPS細胞由来運動ニューロンの
遺伝子多型in vitro生存曲線

治療開発展開

病態をレスキューする
核酸医薬などの
開発・検証

運動ニューロン
前駆細胞

成熟運動ニューロン



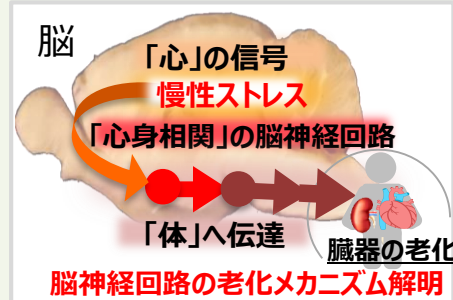
2. 6つの統合プロジェクト（疾患関連研究を含む）に関連する研究開発の推進③

⑤ 疾患基礎研究プロジェクトの 課題例

充実

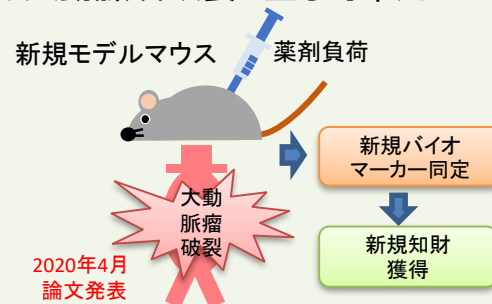
■ 「心」と「体」をつなぐ脳神経回路のメカニズムの解明

- 「心」のストレス信号を「体」へ伝達する新たな脳神経回路を解明し、ストレス信号を遮断した「ストレス反応フリーラット」の作製に成功したことを踏まえ、老化に伴い、慢性ストレスが脳神経回路や様々な臓器の老化に及ぼす影響を解明し、ストレスの影響が示唆される加齢性疾患の新たな治療法や予防戦略の開発等に繋げる。



■ 大動脈病変の指標となるバイオマーカーの開発

- 大動脈瘤の破裂直前、さらには直後のバイオマーカーの解析が可能となったことを踏まえ、大動脈瘤破裂に至る時系列に沿った病理学的変化と血液中バイオマーカー候補物との関連を検討し、大動脈瘤の破裂を予測出来るバイオマーカーを同定し、迅速検出キットを開発する。



⑥ シーズ開発・研究基盤 プロジェクトの課題例

前倒し

■ 新規消毒剤を用いた安価で簡便な感染制御法の確立

- 高い除菌効果と安全性を示す革新的、かつ安価な新規消毒剤であるMA-T® が、新型コロナウイルスに対する消毒効果についても確認された。
- これを踏まえて、医療環境での利用を実証する目的で、将来の商品展開を見込む低・中所得国地域に位置し特に薬剤への耐性を持つ菌が蔓延するタイ国において、環境消毒及び院内感染伝播率に対する評価を行い、MA-T®を用いた院内感染対策手法の確立を目指す。

新型コロナウイルスに対し、99.8%の除菌効果
(接触試験による消毒効果、100ppm, 1分)



	MA-T	二酸化塩素	次亜塩素酸	アルコール
①除菌効果	◎	◎	○	◎
②消臭効果	◎	△(塩素臭)	○(塩素臭)	△
③安全性	◎	△	△(腐食性)	△(可燃性)
④作業性	◎	×(毒性)	△(塩素臭)	△(揮発性)
⑤使用期間	◎	○	○	△

3. 異分野等との横断的・連携的取組の推進

医工連携による機器開発

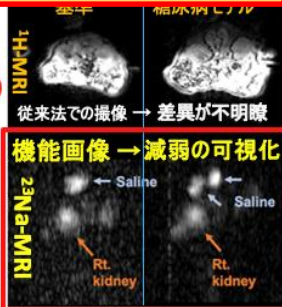
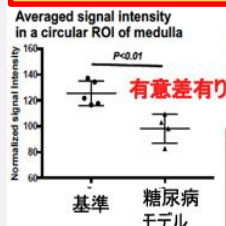
充実

■ 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

- 糖尿病モデルマウスに対し、非侵襲で糖尿病性腎臓病の早期診断が可能となる ^{23}Na -MRI撮像を世界で初めて成功。
- この技術を活用することで当初のヒト用アタッチメント開発計画を加速化し、世界中に配置されているヒト用プロトンMRI装置に入れることでヒトの ^{23}Na -MRI撮像が可能となる臨床用アタッチメントの設計・試作を実施する。

ヒト用MRI装置とアタッチメントによるNa撮像

早期(6週齢)糖尿病モデルマウスにおいて
臨床的有用性を確認



Na⁺を撮影可能に

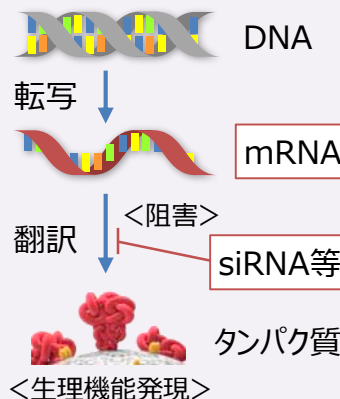


製造現場との連携による新薬の早期 実用化を可能とする研究開発環境整備

公募

■ RNA製品の品質・安全性評価法の確立

- 核酸配列に基づいて迅速に設計される「mRNAワクチン」や「siRNA医薬」のシーズ開発が注目を集めている。
- RNA製品（mRNAワクチン・siRNA医薬）はRNAで構成されるために不安定であり、また、自然免疫活性化機構もそれぞれ異なるなど特有の性質を有している。その品質・安全性評価法は世界でも整備されていない。
- 製造現場との連携により、RNA製品の品質・安全性評価法を確立し、画期的新薬の開発基盤を構築する。



生理機能を持つタンパク質を発現させるmRNAや、その翻訳を阻害するsiRNA等の開発が進んでいる。
(開発例: ワクチン、がん、肺線維症等)

しかし、RNAは非常に不安定で、品質管理が難しい。また、しばしば活性化される自然免疫は、ワクチン以外では有害作用とみなされる。

そこで、RNA製品（mRNA・siRNA）の不純物定量法・自然免疫活性化能・オフターゲット効果評価法等を開発する。