令和2年度における研究開発の主な取組状況

令和3年3月2日 日本医療研究開発機構(AMED)



(目次)

1.	第2期中長期計画期間の推進体制・推進方針・・・・・・・・・・・・2
2.	6つの統合プロジェクトの取組状況 ・・・・・・・・・10
3.	疾患領域に関連した研究開発の取組状況・・・・・・・・・・32
	新型コロナウイルス対策に係る研究開発等に関する AMEDの最新の取組状況50
5.	AMEDが推進するムーンショット・・・・・・・・・・・・・・・・・・60
6.	医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)の取組状況・・・・・66
7.	研究開発を推進する取組等・・・・・・・・・・・・・・・71





1. 第2期中長期計画期間の推進体制・推進方針



国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)の概要



AMED: Japan Agency for Medical Research and Development

1. 目的

医療分野の研究開発における基礎から実用化までの一貫した研究開発の推進・成果の円滑な 実用化及び医療分野の研究開発のための環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、健康・医 療戦略推進本部が作成する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、助成等の業務を行う。

③組織図

- 2. 設立日 2015年4月1日
- 3. 組織等
 - 1)役員
 - 理事長 三島 良直
 - 城 克文 ・理事
 - ・監事(非常勤) 稲葉 カヨ 白山 真一
 - ②職員数(2020年4月1日現在) 常勤職員数:387名
- 4. 当初予算(2020年度)

日本医療研究開発機構向け補助金等 1,272億円 調整費 175億円*

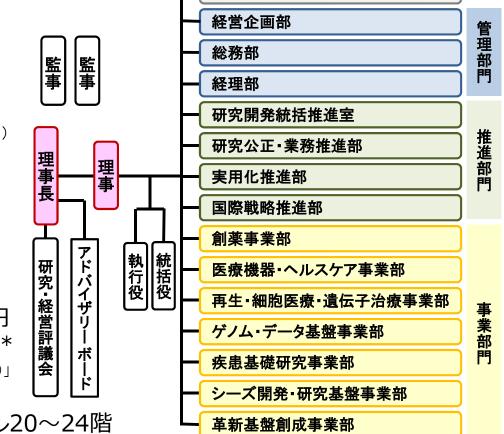
※「科学技術イノベーション創造推進費555億円の一部)」

5. 所在地

東京都千代田区大手町1-7-1 読売新聞ビル20~24階



三島理事長(2020年4月~)



監査室

AMEDの第2期中長期計画について



(役割)

第2期計画期間中においても、国立研究開発法人日本医療研究開発機構(以下「AMED」という。)が産学官の中心となり「成果を一刻も 早く実用化し、患者さんやご家族の元にお届けすること」を目指し、AMEDが触媒となり産学官連携による基礎から実用化までの一貫し た研究開発の推進と成果の実用化を引き続き図る。

(現状・課題)

- ○医療分野の研究開発関連予算を統合プロジェクトとして集約 し、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を実施すること により、多数の研究成果が創出。
- ○様々な疾患に展開可能なモダリティ(技術・手法)等の開発が 疾患別の統合プロジェクトにより特定の疾患に分断。
- ○「予防/診断/治療/予後・QOL」といった開発目的が不明確。

(環境変化)

- OAI、ロボット、ビッグデータなどのデジタル技術とデータの利活 用の分野でのイノベーションが加速し、医療分野への展開見込
- ○我が国の疾病構造をみると、生活習慣病や老化に伴う疾患と いった多因子疾患が国民に大きな影響。これらへの対応として、 診断や治療に加え、予防や共生の取組も重要である。

(第2期中長期計画)

- ○AMEDを核とした産学官連携による基礎から実用化まで一貫した研究開発の推進と成果の実用化を図る。
- ○疾患を限定しないモダリティ等の6つの統合プロジェクト(①医薬品②医療機器・ヘルスケア③再生・細胞医療・遺伝子治療④ゲノム・デー タ基盤⑤疾患基礎研究⑥シーズ開発・研究基盤)に再編し、AIなどのデジタル技術の活用を図りつつ、新たな医療技術等を様々な疾患に 展開する。
- ○疾患領域に関連した研究開発はモダリティ等の統合プロジェクトの中で推進するが、プロジェクト間の連携を常時十分に確保し、特定の 疾患ごとに柔軟にマネジメントを行う。
- ○「予防/診断/治療/予後・QOL」といった開発目的を明確にし、ライフステージを俯瞰した健康寿命延伸を意識した取組を行う。
- ○基金等を活用した中長期的な研究開発等を促進する。
- 〇医療分野の研究開発マネジメント等のAMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等を進める。

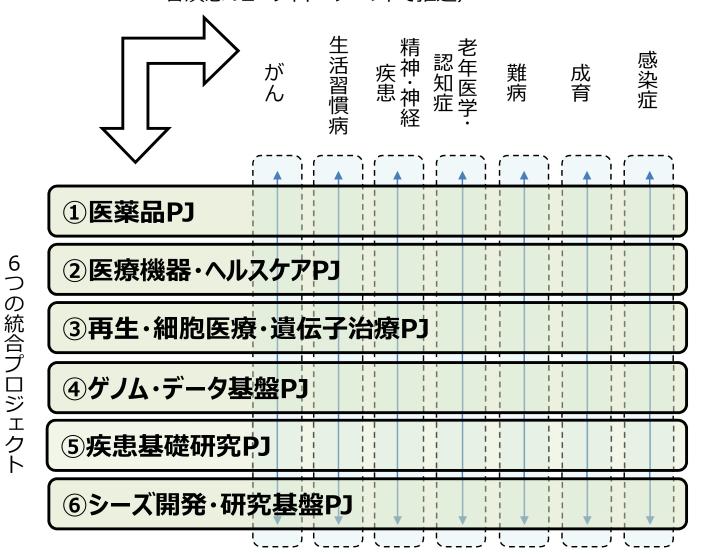


第2期健康・医療戦略、中長期計画に定められた 6つの統合プロジェクトでの研究開発の推進



- ○モダリティ等を軸とした6つの 「統合プロジェクト」を定め、プロ グラムディレクター(PD)の下 で、関係府省の事業を連携さ せ、基礎から実用化まで一元 的に推進。
- ○疾患研究は統合プロジェクトを 横断する形で、各疾患領域の コーディネーター(DC)による 柔軟なマネジメントができるよう 推進。
- ○健康寿命延伸を意識し、「予 防/診断/治療/予後・ QOL」といった開発目的を明確 にした技術アプローチを実施。

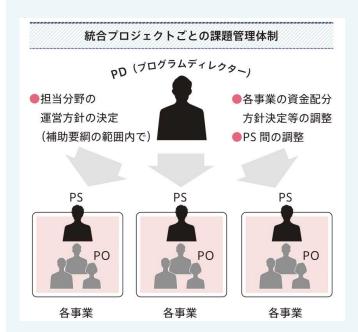
6プロジェクトの成果を最大化するための事業横断的な特定疾 患に柔軟にマネジメント(プロジェクト横断的に対応できる体制、 各疾患のコーディネーターの下で推進)



PD/PS/PO等による6つの統合プロジェクトの研究開発の推進



PD・PS・POの一貫したマネジメント



- 研究分野に関して優れた学識経験や研究開発の実績等を 有し、研究開発課題の評価及び業務運営に関して見識を 有する専門家をPD/PS/POとして配置。
- PD/PS/POは協力して、統合プロジェクト(PJ)全体の 課題を把握し、担当する統合PJの運営や統合PJ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運営を行う。
 - PD(プログラムディレクター):
 - ・統合PJ全体の課題の把握。担当PJの運営やPJ間の協力の推進等の高度な 専門的調整の実施。
 - ・担当PJに関し、研究開発の加速が必要な事業の拡充や新規事業の追加等 について理事長に提言。
 - PS(プログラムスーパーバイザー):
 - ・担当する事業の目的及び課題の把握、事業運営の実施。
 - PO(プログラムオフィサー):
 - ・PSを補佐して事業運営の実務を担当。

疾患研究推進における疾患領域コーディネーター

- 疾患領域への対応を推進するため、豊富な経験を有する疾患領域コーディネーター (DC)を配置。
- DC は、高度な専門的知見と疾患領域における豊富な経験を活かし、機構の理事長、執 行部および各PDへの提案・助言を行うことを基本的な任務とする。



統合プロジェクトのプログラムディレクター(PD) 疾患領域コーディネーター(DC)



PD)プロジェクト名	氏名·所属	
医薬品	岩 崎 甫 国立大学法人山梨大学 副学長 融合研究臨床応用推進センター センター長	
医療機器・ヘルスケア	妙中 義之 国立研究開発法人国立循環器病研究セン ター 名誉所員	
再生·細胞医療·遺 伝子治療	齋 藤 英 彦 独立行政法人国立病院機構 名古屋医療センター 名誉院長	
ゲノム・データ基盤	春日雅人 公益財団法人朝日生命成人病研究所所長	
疾患基礎研究	宮 園 浩 平 国立大学法人東京大学 大学院医学系研究科 教授	
シーズ開発・研究基盤	清水 孝雄 国立研究開発法人国立国際医療研究センター 脂質シグナリングプロジェクト長	

DC 疾患領域名	氏名·所属
がん	堀田知光 国立研究開発法人国立がん研究センター 名誉総長
生活習慣病	寺 本 民 生 学校法人帝京大学 臨床研究センター長
精神•神経疾患	岡部 繁男 国立大学法人東京大学 大学院医学系研究 科教授
老年医学•認知症	高 坂 新 一 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究 センター 神経研究所 名誉所長
難病	葛 原 茂 樹 学校法人鈴鹿医療科学大学 大学院医療科 学研究科長/看護学部 特任教授
成育	和田和子 地方独立行政法人大阪府立病院機構 大阪母子医療センター新生児科主任部長
感染症	倉根 一郎 国立感染症研究所 名誉所員



6つの統合プロジェクト等での研究開発推進のための令和2年度予算



令和 2 年度当初予算額	令和元年度当初予算額	対前年度
1,272億円 (総務:5、文科:608、厚労:474、経産:185)	1,271億円 (総務:5、文科:608、厚労:474、経産:184)	十1億円

※ 毎年調整費 175億円が別途措置されている。

令和2年度(億円)

	-	-
◆ 医薬品プロジェクト	335	
◆ 医療機器・ヘルスケアプロジェクト	121	
◆ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	185	
◆ ゲノム・データ基盤プロジェクト	175	
◆ 疾患基礎研究プロジェクト	170	
◆ シーズ開発・研究基盤プロジェクト	221	

- 上記以外に、基金事業(健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等事業)、 政府出資金事業(医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE))を行っている。
- 新型コロナウイルス感染症対策として、以下の予算が措置されている。
 - ▶ 令和2年度第1次補正予算:469億円
 - ▶ 令和2年度第2次補正予算:559億円
 - ▶ 令和2年度予備費:19億円
 - ▶ 令和2年度第3次補正予算:232億円



第2期の推進方針



新型コロナウイルス感染症対策のための研究開発

新型コロナウイルス感染症対策に係る研究開発等として、令和2年度補正予算及び調整費等を用いて、 診断法開発、治療法開発、ワクチン開発等を迅速かつ着実に取り組む。

政府との協調・協働

医療分野研究開発推進計画の決定により大きな方向性を定めていく政府と、その実現に向けファンディ ングエージェンシーとして研究開発に責任を持つAMEDという大きな役割分担を互いに尊重しつつ、しっ かりとした協調・協働関係を形成する。

体制・運営の強化

第1期5年間において「国民が健康な生活及び長寿を享受できる社会の形成に向けて、世界最高水準の医 療の提供に資するための医療分野の研究開発の推進を支援していく」という方針のもと、得られた成果と 今後の課題をしつかりと検証しつつ、第2期ではより円滑に力強い体制と運営を目指す。

国際競争力の向上

2012年からの6年間、東京工業大学の学長として大学の教育・研究力を世界トップレベルに持ち上げ るための大胆な改革を実現させた組織運営の経験を生かして、健康・医療分野での国際競争力の向上を 目指す。

異分野融合、科学技術系シンクタンクとの連携強化

医療分野の研究開発はもはや医学・薬学に留まらず、理学・工学、そして統計学・情報学、さらに社会 科学・心理学、人間行動学など幅広い学問分野を背景に進められるべきであり、JST-CRDSやNEDO-TSC などの科学技術系シンクタンクとの連携という観点からもAMEDの今後のあり方とマネジメントについて 新しい視野を持って取り組む。



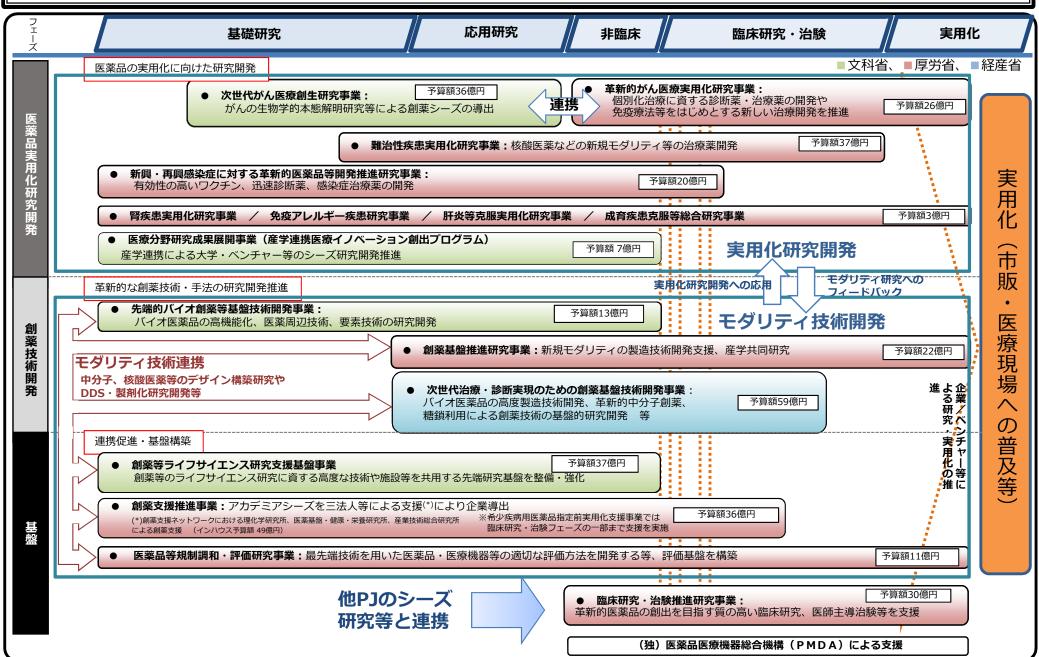


2. 6つの統合プロジェクトの取組状況



日本医療研究開発機構対象経費 令和2年度予算額335億円 インハウス研究機関経費 令和2年度予算額49億円

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。





プロジェクトの概要

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、大学や産業界と連携し、モ ダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、品 質・有効性・安全性評価法や製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発や規制科学を推進してアカデミア等 から生み出される革新的なシーズの活用を図り、さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を 目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

令和2年度の取組状況

令和3年1月末現在で、16事業で989課題(うち令和2年度採択421課題)の研究開発を実施中。

主な取組・成果

- アカデミア創薬の支援
- ①創薬支援推進事業(創薬支援ネットワーク)

(P14参考1参照)

- 創薬支援ネットワークにおいて、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 で支援中。今年度、既に3件の企業導出を達成。
- ■シーズ評価と創薬支援(令和2年4月~令和3年1月)

項目	創薬支援NWの 活動実績	2025年までの 達成目標
相談・シーズ評価※	108件	-
有望シーズへの 創薬支援の開始	21件	-
企業への導出 (ライセンスアウト)	3件	10件

※創薬ナビに申込みのあったものを含む。

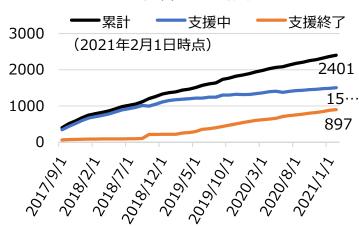
※ 新型コロナウイルス感染症治療薬・ワクチン開発についてはP53~55に記載

②創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業(BINDS)

(P15参考2参照)

• 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げることを目的とし、放射光施 設やクライオ電子顕微鏡などの大型施設・設備を整備・維持、積極的共用を実施中。 これまでに、合計2401件の支援を実施。

支援課題数の推移



■ ユニット別支援中課題

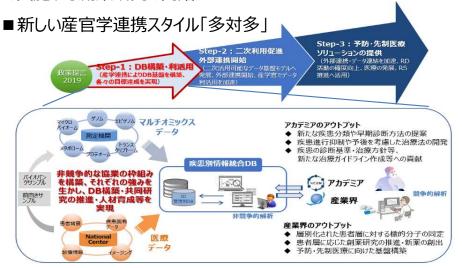
構造解析	393	
タンパク質生産	167	
スクリーニング	509	
構造展開	96	
バイオ	180	
インシリコ	150	
最適化	9	
(2021年2日1日時上)		

(2021年2月1日時点)



主な取組・成果(続き)

- 創薬基盤技術の高度化
- ①創薬基盤推進研究事業(GAPFREEプロジェクト)
- •参画企業も研究費を拠出して推進する産学官共同研究プロジェ クトにおいて、アカデミア・企業双方の多様な視点から研究開発を 推進する「多対多」の新たな枠組みを構築。
- NCが保有するバイオバンクに臨床情報を紐付け、オミックス解析 を実施する創薬研究を開始。



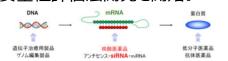
- ②次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業 (バイオ医薬品の高度製造技術の開発プロジェクト)
- •ラマン分光によるリアルタイム分析 技術など最新技術を取り込み バイオ医薬品の連続生産技術 を高度化。

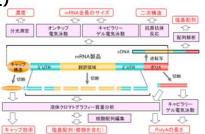
国産要素技術を統合した 連続製造システムの検証実験



人材育成の取組

- ①研究奨励金制度(創薬関連分野)
 - 寄附金を基に、創薬関連分野における研究者育成支援奨励事 業(スカラーシップ)を創設し、若手研究者の育成・海外研鑚を 積む機会を拡充。令和2年12月に募集を開始。
- レギュラトリーサイエンスの推進
- ①医薬品等規制調和:評価研究事業 (RNA製品の品質・安全性評価法の確立)
 - ・ 喫緊の課題となっている、RNA製品 (mRNA製品・siRNA医薬) の品質 ·安全性評価法開発を開始。





日本の臨床研究や治験の更なる活性化

- ①臨床研究·治験推進研究事業
 - 小児難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症候群を対象 としたリツキシマブ治療併用下でのミコフェノール酸モフェチルの多施設 共同二重盲検プラセボ対照ランダム化比較試験を支援中。



その他、患者レジストリを活用した医薬品の実用化を目指す研究とし て、本件を含む15件を実施中。



「創薬支援推進事業(創薬支援ネットワーク)」の概要

「創薬支援ネットワーク」は、大学等の優れた基礎研究の成果を医薬品として実用化に導くため、日本 医療研究開発機構創薬事業部が本部機能を担い、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技 術総合研究所等との連携により、革新的医薬品の創出に向けた研究開発等を支援する。





【日本医療研究開発機構 (本部機能) 創薬事業部】

- ・有望シーズの調査、評価、選定
- ・出口戦略の策定、助言
- ・応用研究等の支援

- ・知財戦略の策定、知財管理支援
- ・製薬企業等への導出、医師主導治験への橋渡し

【理化学研究所】

SACLA・SPring-8・京コンピュータ等によ るタンパク構造解析、インシリコスクリーニ ング等の研究基盤技術を利用した一貫した創 薬プロセスの支援





【医薬基盤・健康・栄養研究所】

創薬デザイン研究センターを中心に技術支 援を実施。

・抗体・人工核酸のスクリーニングと同時 に、最適化のプロセスまで実施等





【産業技術総合研究所】

計測基盤技術・ツールを用いた探索研究およ び最適化研究の実施

【次世代天然物化学技術研究組合】 世界最大級の天然化合物ライブラリー





【創薬連携研究機関】

創薬に必要な研究プロセスを支える研究機関等

日本医療研究開発機構の他プロジェクト、他事業との連携強化を図り、革新的医薬品の創出を目指す







創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業

創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム(BINDS)

創薬支援ネットワークやAMED事業、製薬企業やベンチャー等との連携協力

オープンサイエンスの推進(新規)

構造解析ユニット

タンパク質構造解析手法による創薬標的候補分子の機能解 析や高度な構造生命科学研究の支援等

タンパク質構造解析



- 世界最高水準の 放射光施設
- **・クライオ電顕**

等を活用

マネジメント機能

ユニット間連携や創薬 支援ネットワーク等との



化合物

ライブラリー

大規模な化合物ライブラ リーを整備し外部研究者 等に提供



スクリーニング(HTS)

ハイスループットスクリーニング (HTS) を支援





有機合成

ケミカルシーズ・リード探索ユニット

化合物ライブラリー提供、ハイスループットスクリーニン

グ、有機合成までの一貫した創薬シーズ探索支援等

化合物の構造最適化や新規骨格を持 つ化合物合成を支援

バイオロジカルシーズ探索ユニット

構造解析等で見出された創薬標的候補の臨 床予見性評価やHTSヒット化合物の 活性評価の支援等

高度な機能ゲノミクス解析



- ・シーケンス解析
- ・メチローム解析
- ・トランスクリプトーム解析

プラットフォーム 機能最適化ユニット

情報の統合・分析等に よる創薬等研究戦略の 支援等

統合データベース(VaProS)



□ データベース構築・ 公開解析ツール 活用支援等

インシリコユニット

生物試料分析(Wet)とインフォマティクス(Dry)の 融合研究による創薬標的候補の機能推定や化合物 ドッキングシミュレーションの支援等



構造インフォマティクス技術によるタンパク質立 体構造や生体分子や化合物との相互作用の推定等

幅広いライフサイエンス研究者による基礎研究

タンパク質試料生産

膜タンパク質、高機能抗体、 特殊環状ペプチド、無細胞蛋

白室発現、精製用タグ

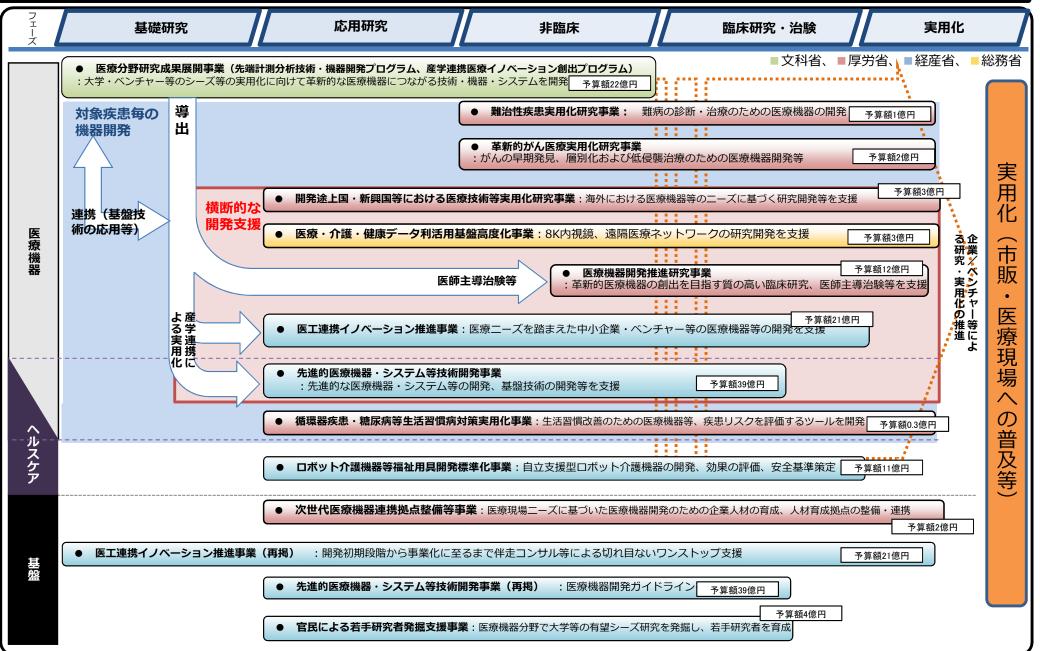
タンパク質試料の

生産(発現、精製、

結晶化及び性状評

日本医療研究開発機構対象経費 令和2年度予算額121億円

AI・IoT技術、計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化や、予防・QOL向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。





プロジェクトの概要

AI・IoT技術や計測技術、ロボティクス技術、モノづくり技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化のための医療機器・システ ム、医療現場のニーズが大きい医療機器や、予防・高齢者のQOL向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。

令和2年度の取組状況

令和3年1月末現在で、12事業で190課題(うち令和2年度採択63課題)の研究開発を実施中。

主な取組・成果

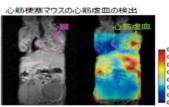
※ 新型コロナウイルス感染症診断法・医療機器開発についてはP56~57に記載

診断・治療の高度化等のための医療機器・システム開発(シームレスな医療機器の研究開発支援)

①先端計測分析技術・機器開発プログラム

工学の若手研究者の優れた技術シーズの支援を実施中: 低磁 場核偏極による生体分子の超高感度センシング技術を開発中。 (北海道大学 松元慎吾)





新生児、小児に革新的な医療機器を提供する技術シーズを支援 中:重症心不全小児の救命を目指した高い耐久性と安全性を 有する超小型な磁気浮上型遠心式補助人工心臓の研究開発 (茨城大学 長真啓)、新生児黄疸治療最適化のためのス マート光線治療器を開発中。(横浜国立大学 太田裕貴)

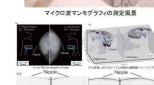




②医工連携イノベーション推進事業

医療ニーズに応えるための企業・スタートアップへの 開発支援や、医療機器開発支援ネットワークを通じた 事業化支援を地域支援機関・専門機関と連携して 実施中。 (P19参考3参照)

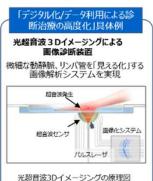




③先進的医療機器・システム等技術開発事業

これまでにない画期的で新たな 医療機器を社会実装し、 健康寿命の延伸、医療 従事者の負担の軽減、 医療費削減などの社会 的な問題を解決すること を目的として、先進的な 医療機器・システム等の 開発支援を実施中。







主な取組・成果(続き)

医療現場のニーズの把握と人材育成の 取組

①次世代医療機器連携拠点整備等事業

14の医療機関でニーズ発見 及び研修プログラムを実施する とともに、臨床現場に企業 人材が参加することにより 人材育成を推進。



各医療機関にてシンポジウムなどを主催し、企業のシーズと 医療機関のニーズのマッチングを推進。

(令和2年度実績)

臨床現場見学者数:約1000人参加(287社) シンポジウムやセミナー開催数:約52回開催

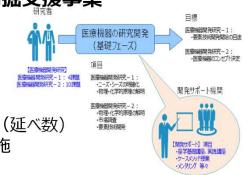
②官民による若手研究者発掘支援事業

サポート機関(東京大学) とともに医療機器の基礎研究 シーズと若手研究者を支援。

(開発サポート機関による支援)

エキスパートメンタリング:60回(延べ数)

メドテックサロン:3回 などを実施



予防・高齢者のQOLの向上

①ロボット介護機器開発事業

- ロボット介護機器等の介護現場への導入を 促進。
- 社会参加の機会を増やすための装着型 歩行支援機器パワードウェアを開発中。

②健康·医療情報活用技術開発課題

IoTデバイスやモバイルアプリケーションから 収集される個人の健康データを医療分野で 活用する手法を開発中。







開発途上国・新興国医療への貢献

○開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業

- 日本と異なる医療・事業環境や公衆衛生上の課題を抱えている途上 国・新興国等のニーズに合わせた医療機器等の開発を支援。
- タイ王国におけるマラリア検査の導入に向けて研究開発中。

■ Malaria-LAMP 既存システム





安価、ロバストな LAMP装置



3種のMalaria-LAMP試薬 Pan:マラリア5種を検出 Pf:熱帯熱特異的に検出 Pv:三日熱特異的に検出

令和2年度実施中

クリニカルイマージョン ユーザビリティー評価



サーベイランスでの使用に適した システムへの改良

- 装置構造の細かな見直し
- 検体採取、検体管理の簡易化
- 操作補助ツールの改良および新 規開発



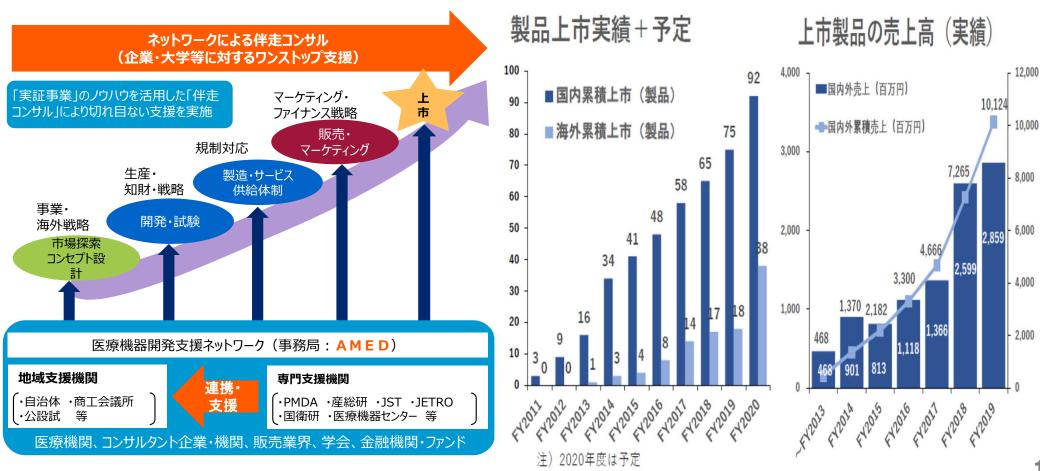


医療機器開発支援ネットワークとその実績

・平成26年10月に、「医療機器開発支援ネットワーク」を立ち上げ。

(令和3年1月31日時点)

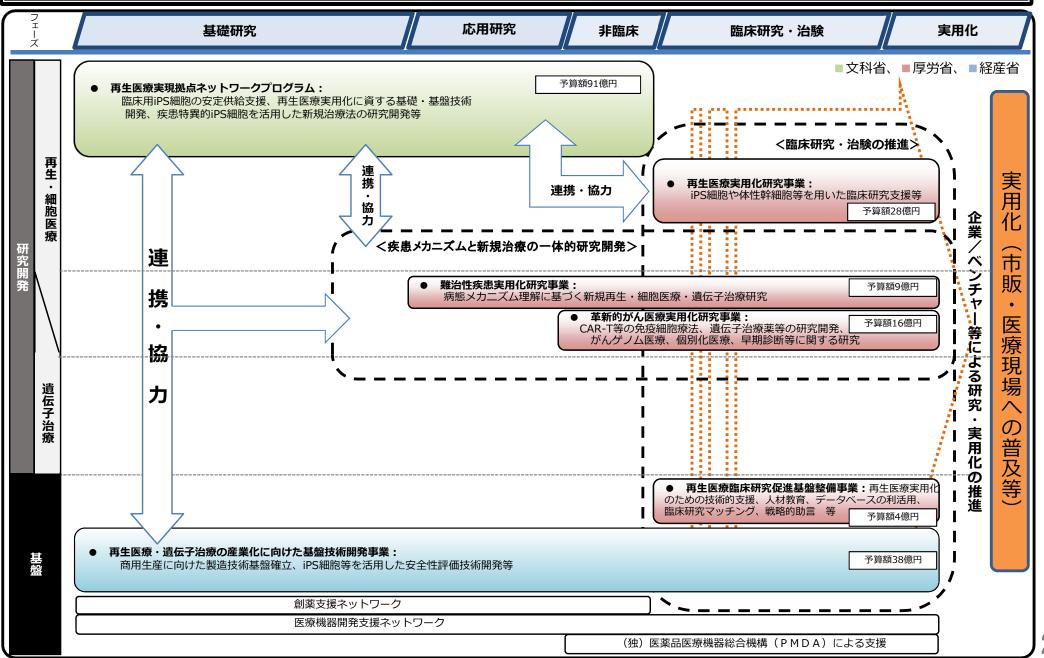
- ・AMEDを事務局として、事務局サポート機関と80の地域支援機関に「ワンストップ窓口 Iを設置。
- ·相談件数はのべ1,856件(令和3年1月末:103件)に達し、このうち、伴走コンサルはのべ917件(令和3年 **1月末:81件)**。と
- ·ベンチャー企業からの相談も増(2016年度:16件 → 2019年度:32件) (主な開発製品:AIを活用した 診断・治療プログラム、手術・リハビリ支援ロボット等)。



3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費 令和2年度予算額185億円

再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床・臨床研究、製造基盤技術の開発、疾患特異的iPS細胞等を活用した病態解明・創薬研究、必要な基盤構築を行う。また、遺伝子治療に関する研究開発を行う。



3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト



プロジェクトの概要

再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床・臨床研究や製造基盤技 術の開発、疾患特異的iPS細胞等を活用した難病等の病態解明・創薬研究及び必要な基盤構築を行う。また、遺伝子治療につい て、遺伝子導入技術や遺伝子編集技術に関する研究開発を行う。さらに、これらの分野融合的な研究開発を推進する。

令和2年度の取組状況

令和3年1月末現在で、6事業で239課題(うち令和2年度採択69課題)の研究開発を実施中。

主な取組・成果

疾患特異的iPS細胞に資する研究開発

<代表事例>

ヒトiPS細胞から別個に分化させた複数の腎前駆細胞から腎組織を再生する

- ・京都大学iPS研究所は、ヒトiPS細胞から後腎ネフロン前駆細胞(NP)と尿管芽 (UB) それぞれに分化する培養システムを構築することに成功した。
- ・その後、培養皿上で糸球体、尿細管などのネフロンの特徴を持った組織と集合管を 連結させたとトの腎組織を作製することに初めて成功、生体内において移植した 腎組織が血管と繋がることを確認した。



事業名:再生医療実現拠点ネットワークプログラム、難治性疾患実用化研究事業 研究代表機関:京都大学iPS研究所 研究期間:平成29年度~令和3年度

- 再生・細胞医療や創薬研究等に用いる細胞原料を含 む生体材料や研究資源の品質管理・供給基盤の構築
- ・「ヒト細胞原料の安定供給実現に向けた検討委員会」の取組を社会に 理解していただくことを目的に、他家細胞を用いた再生医療等製品に ついてと、その原料となるヒト細胞供給を行うための取組についての 動画の配信を開始した。
- 大量培養や精製、品質評価・管理手法等の製造関連 技術の開発
 - ・「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」に おいて、令和2年度より新たに「QbDに基づく再生医療等製品製造 の基盤開発事業」を開始した。
 - ・また、同事業における「遺伝子治療製造技術開発」において、次世代 バイオ医薬品製造技術研究組合が草津集中研に共同利用施設を 設置し、遺伝子治療用ウイルスベクターについて、複数のベクターの 製造法を並列で開発可能な大量製造技術開発を進めるとともに、 本施設を利用した共同研究での国内の遺伝子・細胞治療研究を 支援している。

3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト



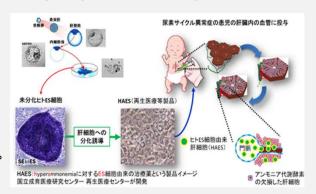
主な取組・成果(続き)

再生医療技術の研究段階から臨床実装

<代表事例>

①先天性尿素サイクル異常症でヒトES細胞を用いた治験を実施

・国立成育医療研究センター において、「先天性尿素サイ クル異常症に対するHAES 移植治療の医師主導治験 ―新生児期発症型患者を 対象とした探索的試験―| という医師主導治験を行った。



事業名:再生医療実現拠点ネットワークプログラム、再生医療実用化研究事業

研究代表機関:国立成育医療研究センター 研究期間:平成27年度~令和3年度

②免疫抑制剤の要らない肝移植を普及させるための医師主導治験を開始

・順天堂大学において、日本 移植学会の後援のもと、大 学発ベンチャーの株式会社 JUNTEN BIOと産学連携し、 「生体肝移植における誘導型 抑制性T細胞(JB-101) による免疫寛容誘導能及び 安全性を評価するI/II相 臨床試験 の医師主導治験 を開始することとなった。

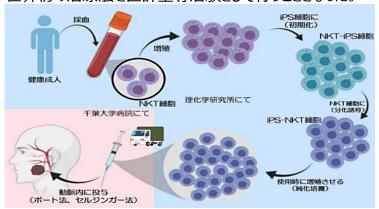


事業名:再生医療実現拠点ネットワークプログラム

研究代表機関:順天堂大学 研究期間:令和1年度~令和3年度

③世界初、iPS-NKT細胞を血管内に直接投与

・千葉大学病院において、頭頸部がんの新たな治療法として、理化学研究所と 連携し、iPS細胞からNKT細胞を作製した「iPS-NKT細胞」をヒトに投与する、 世界初の治療法を医師主導治験として行うこととなった。



事業名:再生医療実現拠点ネットワークプログラム、再生医療実用化研究事業

研究代表機関:千葉大学病院

研究期間:平成27年度~令和3年度

④CAR-T細胞の安全性に関する臨床第I相試験の第一コホート終了/チュ ラロンコン大学での治療抵抗性悪性リンパ腫に対するCAR-T細胞を用いた投 与の開始

・名古屋大学において、非ウイルスベクターであるpiggyBacトランスポゾン法 を用いたキメラ抗原受容体遺伝子改変T細胞の培養法を用い、化学療 法抵抗性または造血細胞移植後再発性のCD19陽性急性リンパ性白血病 に関する第1相試験第一コホートが終了し、その安全性と一定の有効性を 確認した。

事業名:革新的がん医療実用化研究事業(企業治験の準備として、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)

研究代表機関:名古屋大学

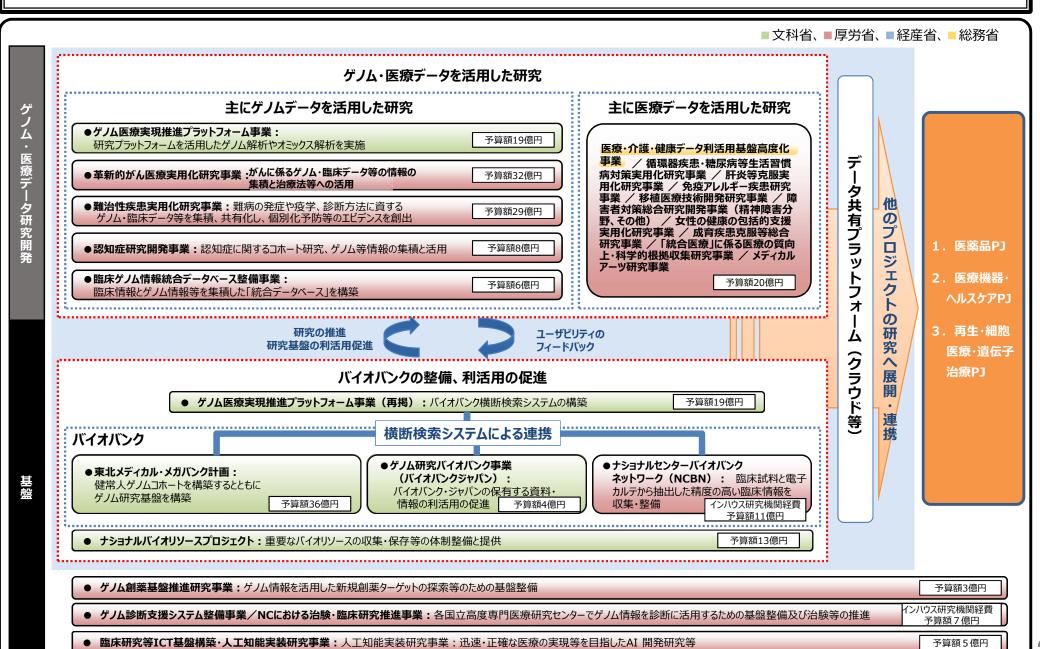
研究期間:平成27年度~令和1年度(令和1年度~令和3年度)



4. ゲノム・データ基盤プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費 令和2年度予算額175億円 インハウス研究機関経費 令和2年度予算額18億円

ゲノム・データ基盤の整備・利活用を促進し、ライフステージを俯瞰した疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進することで個別化 予防・医療の実現を目指す。



4. ゲノム・データ基盤プロジェクト



プロジェクトの概要

バイオバンクやコホート、臨床研究等のゲノム・データ基盤の整備、全ゲノム解析等実行計画等の実行により得られるデータの利活用促進によ り、ライフステージを俯瞰した疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進し、病態解明を含めたゲノム医療、個別化医 療の実現を目指す。また、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシ ステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行う。

令和2年度の取組状況

令和3年1月末現在で、22事業で424課題(うち令和2年度採択159課題)の研究開発を実施中。

主な取組・成果

ゲノム・データ基盤の整備・利活用を推進し、データシェアリングに係る取組を継続しつつ、がん・難病等のゲノム解析、認知症におけるコホー トを利用した病態把握・バイオマーカー研究、生活習慣病の予防のためのエビデンス創出、早期診断に資するAI技術の研究等を実施して いる。

ゲノム・医療データ研究

主にゲノムデータを活用した研究

ユーザビリティの フィードバック

東北メディカル

メガバンク計画

※インハウス

ナショナルセンター バイオバンク

- ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業
- 革新的がん医療実用化研究事業
- 難治性疾患実用化研究事業
- 認知症研究開発事業

バイオバンクの

整備、利活用の促進

ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業

臨床ゲノム情報統合データベース整備事業

ゲノム研究

バイオバンク事業

研究基盤



移植医療技術開発研究事業

肝炎等克服実用化研究事業

革新的がん医療実用化研究事業

成育疾患克服等総合研究事業

免疫アレルギー疾患実用化研究事業

女性の健康の包括的支援実用化研究事業

「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業

主に医療データを活用した研究

循環器疾患·糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

障害者対策総合研究開発事業(精神障害分野、その他)

医療・介護・健康データ利活用基盤高度化事業

メディカルアーツ研究事業

ゲノム創薬基盤推進研究事業

ゲノム診断支援システム整備事業 ※インハウス

臨床研究等ICT基盤構築·人工知能実装研究事業

ナショナルバイオリソースプロジェクト

研究の推進 研究基盤の利活用促進 デ 夕共有プラッ トフ オ (クラウド等)

他 ロジェ の研究 ^ 展開 連携

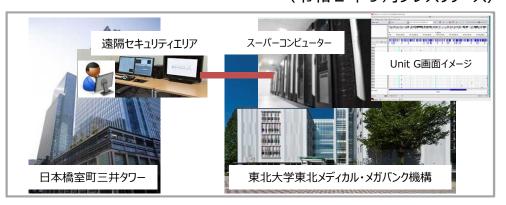
4. ゲノム・データ基盤プロジェクト



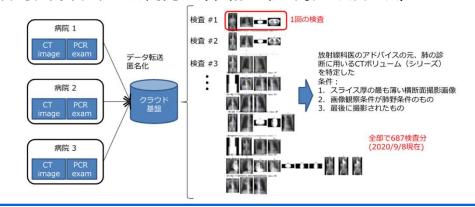
主な取組・成果(続き)

東北メディカル・メガバンク計画では、スーパーコンピュータ内のゲノム解析情 報をより身近に扱えるように、新たな区画 Unit Gを新設し、訪問型遠隔セ キュリティエリアの設置と自席からのアクセスを実現。

(令和2年9月プレスリリース)

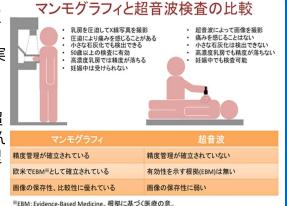


臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業では、国立情報学 研究所が医療画像ビッグデータクラウド基盤を構築し、名古屋大学・順天 堂大学・日本医学放射線学会と新型コロナウイルス肺炎CT画像をAI解 析するプラットフォームを開発。(令和2年9月プレスリリース)



■超音波による乳がん検診の有効性を検証する比較試験

- マンモグラフィ検診と比べた乳房超 音波検診の利益・不利益を検証 するため、大規模な比較試験を実 施。76196名が参加。
- 超音波検査は早期がんの発見 に寄与する事が明らかとなった。超 音波検診の利益・不利益、乳がん 死亡率減少効果を求め、対策型 検診への導入をめざす。



事業名:革新的がん医療実用化研究事業

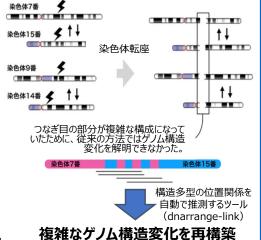
研究代表機関:東北大学

研究期間:令和2年4月~令和5年3月

- ■新技術ロングリード・シークエンサーで複雑なゲノムの構造変化 を解明する手法を開発 (令和2年7月プレスリリース)
- ロングリード・シークエンサーによる全ゲノ ム解析から、複雑なゲノム構造異常 (染色体破砕など) を迅速かつ効率 的に検出する新たな手法を開発した。
- 従来の手法では解析が難しい、非常に 複雑なゲノム構造変化が解き明かされ るようになり、遺伝性疾患の病態解明 に繋がることが期待される。

事業名:難治性疾患実用化研究事業 研究代表機関:横浜市立大学

研究期間:令和2年4月~令和5年3月



掲載雑誌 Genome Medicine (2020)

5. 疾患基礎研究プロジェクト

(※rTR: リバース・トランスレーショナル・リサーチ)

日本医療研究開発機構対象経費 令和2年度予算額170億円

医療分野の研究開発への応用を目指し、脳機能、免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。

応用研究 非臨床 臨床研究・治験 実用化 基礎研究 ■文科省、■厚労省、■経産省 疾患メカニズムの解明、 生命現象の機能解明等を目的とする研究(170.1億円) 導出 企業(製薬、医療機器、ベンチャー等) ●革新的がん医療実用化研究事業 がん・難病 (16.8億円) 難治性疾患実用化研究事業 他PJの臨床 研究等と連携 ●循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業 1. 医薬品PJ ●腎疾患実用化研究事業 牛活習慣病 (9.4億円) ●免疫アレルギー疾患研究事業 2. 医療機器・ヘルスケアPJ 循環型の研究 ●女性の健康の包括的支援実用化研究事業 支援体制を構 3. 再生・細胞医療・遺伝子治療 研究開発 ●脳科学研究の戦略的な推進 PJ 老年医学• (脳科学研究戦略推進プログラム/革新的技術による脳機能ネット ワークの全容解明プロジェクト/戦略的国際脳科学研究推進プログラム) 認知症 4. ゲノム・データ基盤PJ ●老化メカニズムの解明・制御プロジェクト 精神• rTR*の実施 ●認知症研究開発事業 神経疾患 (78.3億円) ●長寿科学研究開発事業 ●慢性の痛み解明研究事業 臨床研究中核病院 新興·再興感染症研究基盤創生事業 による医師主導治 感染症 ●肝炎等克服実用化研究事業 験等の支援 (65.6億円) ●エイズ対策実用化研究事業 橋渡し研究支援拠点 臨床研究中核病院 認知症対策官民イノベーション実証基盤整備事業 創薬支援ネットワーク 医療機器開発支援ネットワーク

(独) 医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

5. 疾患基礎研究プロジェクト



プロジェクトの概要

医療分野の研究開発への応用を目指し、脳機能、免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患 メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。

これらの研究開発成果を臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付けるとともに、臨床上の課題を取り 込んだ研究開発を行うことにより、基礎から実用化まで一貫した循環型の研究を支える基盤を構築する。

令和2年度の取組状況

令和3年1月末現在で、16事業で435課題(うち令和2年度採択145課題)の研究開発を実施中。

主な取組・成果

■プロジェクトの一体的運用と成果の最大化

・研究成果等を疾患横断的に活用するために、事業間連携、合同公募 を促進。

<事業間連携の事例>

- ・調整費により、新型コロナウィルス感染 症に関連した血管炎、血栓症の病態 解明を目指した合同公募を行い、4課 題を採択、研究を開始。
- ・合同MTGなどを通じて事業が連携した 課題管理を実施予定。
- <採択課題例>
- ・COVID-19感染症に伴う血管内皮障 害の発生メカニズムの解明とその制御 (代表機関:東京医科歯科大学)

COVID Toes·川崎病等 COVID-19 ・メカニズム解明 ・シーズ同定 脳梗塞·心筋梗塞等

事業名:免疫アレルギー疾患実用化研究事業、

循環器疾患•糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

研究期間:令和2年12月~令和5年3月

■成果の導出に向けた取組

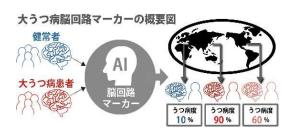
・戦略的国際脳科学研究推進プログラムでは、他事業で重複支援と ならないように研究計画を確認しつつ、成果の導出に向けたシームレス な支援を実施。

く導出の事例>

多施設で取得したfMRI(機能 的磁気共鳴画像)データを、ハー モナイゼーション法を用いて統合。

この大規模データにAIによる機 械学習を適用して個人の脳回 路に基づき健常者と大うつ病患 者を判別する脳回路マーカーを 率でうつ病の判別が可能。

本技術を企業が活用し、医療 研究開発革新基盤創成事業 (CiCLE)に採択。



開発。本マーカーは約70%の確 事業名:戦略的国際脳科学研究推進プ

研究代表機関:(株)国際電気通信基礎 技術研究所(ATR)

研究期間:平成30年6月~令和6年3月

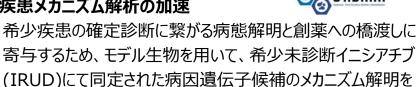
5. 疾患基礎研究プロジェクト



主な取組・成果(続き)

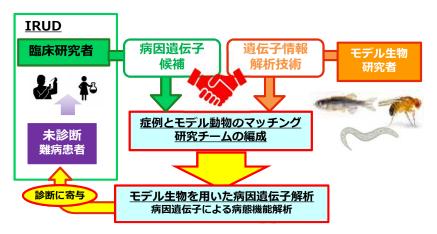
■顕著な研究開発成果事例①

・疾患メカニズム解析の加速



実施している。

臨床研究者とモデル生物研究者のマッチング目標1年30件 に対し、半年で23件を実施していたため、さらなる成果の創出 が見込めたことから追加支援を行って、目標を大幅に超える 41件を達成し(令和2年12月25日時点)、希少疾患の 病因となることが示唆される遺伝子を多数報告している。

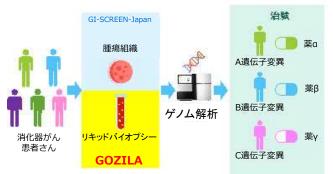


事業名:難治性疾患実用化研究事業 研究代表機関:国立遺伝学研究所 研究期間:令和2年4月~令和5年3月

■顕著な研究開発成果事例②

血液循環腫瘍DNA解析を活用した切除不能・進行再発大腸がんにおける がんゲノム異常のClonal Evolutionに関する網羅的カタログの作成

- ・消化器がんを対象とした治験のスクリーニング検査として、血液を用いた リキッドバイオプシーの臨床的有用性を初めて証明した。
- ・血液を用いたリキッドバイオプシーが、従来の腫瘍組織を用いたバイオプシー に比べて低侵襲であるばかりでなく、迅速にがんのゲノム異常を明らかに できることから、様々な治験への活用を通じて、より多くの患者に最適な がんゲノム医療を届けられるようになることが期待される。
- ・新たな革新的がん診断法の創出に向け、がんゲノム異常と治療抵抗性と の関連性の解明を行い、さらにAIを用いたがん細胞クローン進化予測モデ ルの確立のための追加支援も行っている。



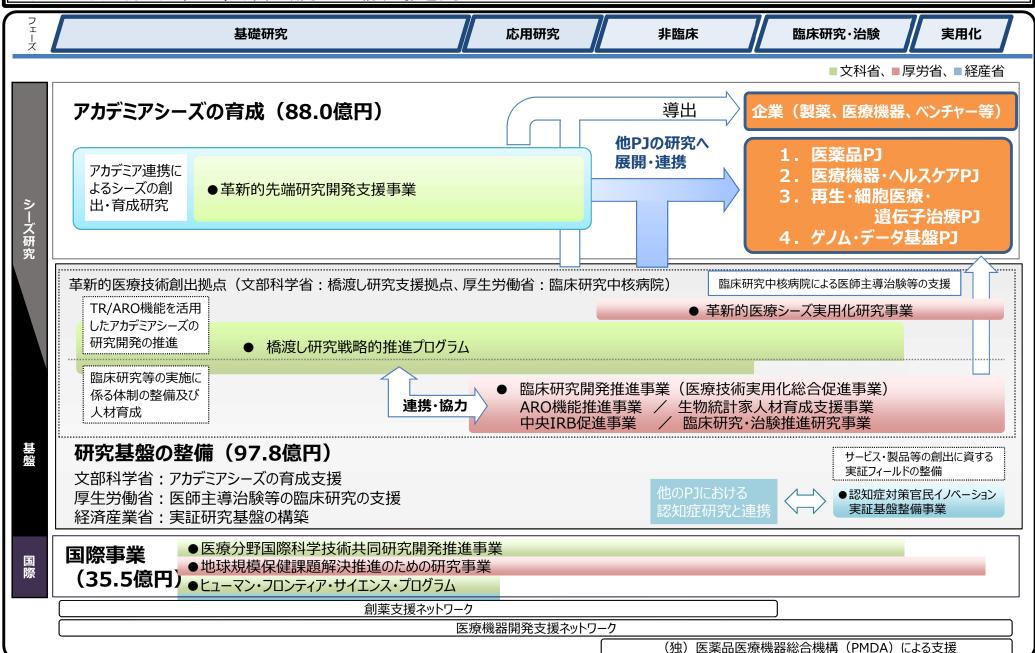
事業名:革新的がん医療実用化研究事業 研究代表機関:国立がん研究センター 研究期間:平成30年4月~令和3年3月 異なる2つの治験プロジェクト (GI-SCREEN-JapanとGOZILA) において以下の項目を比較

- ・患者登録から遺伝子検査の結果判 明までの期間
- ・治験に登録された患者さんの割合
- ・ 治験治療の効果

6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費 令和2年度予算額221億円

アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制を構築し、新規モダリティの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究や、国際共同研究を実施する。また、革新的医療技術創出拠点においてシーズの発掘・移転や、質の高い臨床研究・治験の実施のための体制や仕組みを整備するとともに、リバース・トランスレーショナル・リサーチ(r TR)や実証研究基盤の構築を推進する。



6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト



プロジェクトの概要

アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制を構築し、新規モダリティの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究を行うとともに 国際共同研究を実施し、臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付ける。

また、橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院において、シーズの発掘・移転や質の高い臨床研究・治験の実施のための体制や仕組みを整備 するとともに、リバース・トランスレーショナル・リサーチ(rTR)、実証研究基盤の構築を推進し、基礎研究から臨床研究まで一貫した循環型の研究 支援体制や研究基盤を整備する。

特に、異分野・モダリティ融合的なシーズの研究開発や、①~⑤のプロジェクトと連携し、将来的に繋がりうるシーズの継続的発掘、育成に取り組む。

令和2年度の取組状況

令和3年1月末現在で、13事業で449課題(うち令和2年度採択164課題)の研究開発を実施中。

主な取組・成果

革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST, PRIME, FORCE, LEAP)

文部科学省が定めた研究開発目標の下、組織の枠を超えた時限的な研究体制を構築し、革新的な医薬品等につながるシーズの創出に資する基礎研究 を実施中。

成果事例①

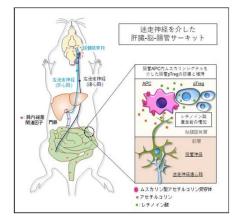
自律神経が紡ぐ新しい炎症抑制メカニズムの解明 - 迷走神経を介した感染症・がん・炎症性腸疾患の治療に新たな光 -

2016~2021 AMED-CREST 微牛物叢領域

金井 隆典 採択時~現在:慶應義塾大学医学部

- ▶ 腸管からの腸内細菌情報を肝臓で統合し脳 へ伝え、迷走神経反射によって腸管制御性T 細胞の産牛を制御する機構が存在することを 世界で初めて明らかに。
- ▶ 腸内環境の変化に起因する現代病(炎症性 腸疾患、メタボリックシンドローム、うつ病など) がん、COVID-19を含む消化管感染症などの さまざまな病気の病態機序の解明や新規治療 法の開発に繋がるものとして期待。

本成果は2020年6月に「Nature」に掲載。



● 成果事例②

自己免疫疾患の発症を防ぐ新たなタンパク質を同定

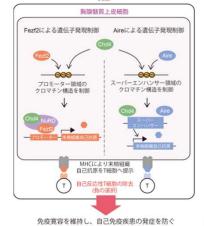
- クロマチン制御因子Chd4は自己抗原の発現を制御し、 自己免疫疾患の発症を防ぐー

2019~2024 AMED-CREST 適応·修復領域

採択時~現在:東京大学大学院医学系研究科

- ▶ クロマチン制御因子Chd4は、自己免 疫疾患に関わる自己抗原の発現を制 御するタンパク質であることを明らかに。
- ➤ Chd4はこれまで報告されてきた自己 抗原を誘導するタンパク質Fezf2と Aireの双方へ働きかけることを明らかに。
- ▶ 自己免疫疾患の発症をChd4が防い でいることを明らかにし、免疫寛容とい う免疫システムの根源的なメカニズムの 一端を解明。

本成果は2020年6月に「Nature Immunology」に掲載。



6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト



主な取組・成果(続き)

● 革新的医療技術創出拠点の一体的な運用と情報共有

- ▶ 革新拠点(橋渡し研究支援拠点、臨床研究中核病院)13拠点を訪問 して行う拠点調査会議をWebハイブリッド形式で実施。
- ▶ 初の試みとして、当日の議事のうち「拠点紹介」と「総合討論」について、事前 に登録した他12拠点の担当者も陪席して取組や課題を共有し、拠点間の 連携を強化。

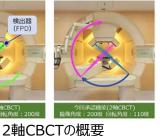


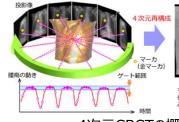
● TR/ARO機能を活用したアカデミアシーズの研究開発の推進

- ▶ 革新拠点における基礎研究の成果を一貫して実用化に繋ぐ体制の構築に より、今年度、革新拠点の支援シーズにおいて製造販売承認申請4件、 製造販売承認3件を達成(令和2年4月~令和3年1月)。
- ▶ 北海道大学の清水伸一教授らの研究グループと日立製作所の共同研究 により、新たな高精度陽子線治療のための2軸CBCT機能及び2軸四次元 CBCT機能を開発し、令和2年9月10日に製造販売承認を取得。CBCT 撮影の高速化及び動く部位の鮮明な三次元画像の取得が可能となり、より 多くの患者に対して高精度な陽子線治療を提供できるようになると期待。









4次元CBCTの概要

国際事業

▶ 相手国・地域との政府間合意に基づき国際共同研究を実施する 「SICORP」、開発途上国のニーズに基づきODAと連携して国際共同研究 を推進する「SATREPS」、アフリカの顧みられない熱帯病対策に貢献する「ア フリカにおける顧みられない熱帯病 (NTDs) 対策のための国際共同研究 プログラム」、国内外の若手研究者が医療分野の革新的シーズ創出を目指 す「Interstellar Initiative」、大学等研究機関と連携して地球規模の保 健課題に係る研究を推進する「地球規模保健課題解決推進のための研究 事業」、日米医学協力計画に基づく共同研究、及びHFSPを推進している。

● 国際事業の主な取組・成果

- > SICORP 新たにSICORPドイツ「神経科学分野 (Computational Connectomics)] 、 SICORPカナダ(先端エピジェネティック 技術)の共同研究を開始した。 (ドイツ2件、カナダ3件)
- > SATREPS, NTDs アフリカにおいて進行中の課題の研究者 と相手国研究者、およびアフリカの 関係機関(アフリカCDC等)と、 今後の研究開発、社会実装に関する アフリカシンポジウムをオンライン開催した。
- > 日米医学協力計画 NIH/NIAIDらとe-ASIA共同研究 プログラムの新型コロナウイルス感染症 緊急公募へ参画して、若手・女性研究者 が実施する4件の研究を採択し、開始した。





2020.11.5 東京会場-オンライン













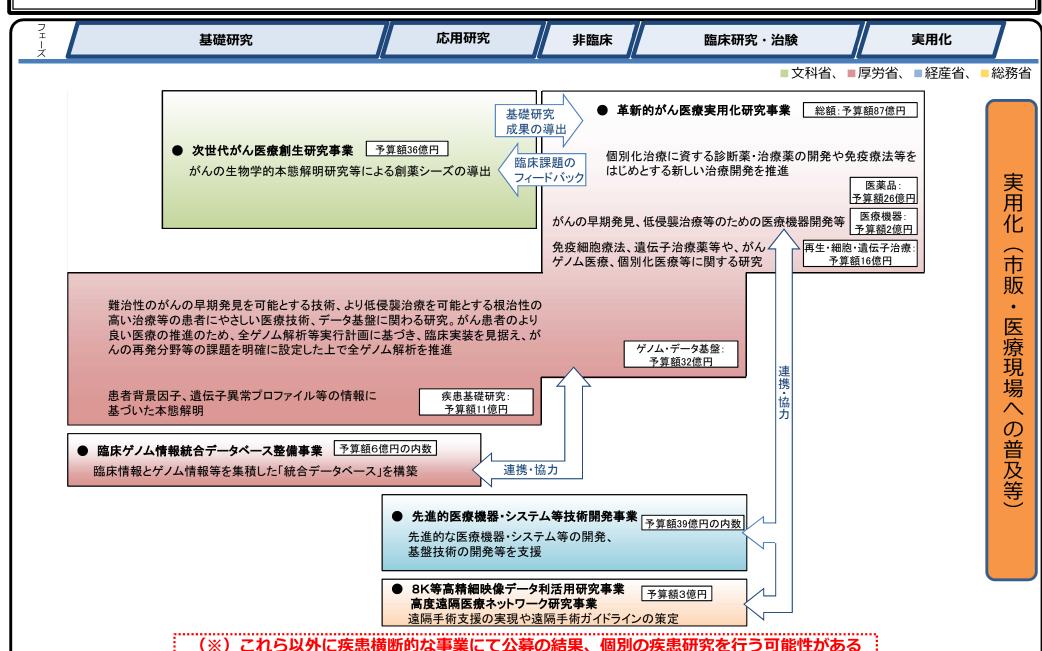


3. 疾患領域に関連した研究開発の取組状況



日本医療研究開発機構対象経費 令和2年度予算額170億円の内数

- ▶ がんの生物学的本態解明に迫る研究開発や、患者のがんゲノム情報等の臨床データに基づいた研究開発
- ▶ 個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発や免疫療法や遺伝子治療等をはじめとする新しい治療法の開発 等



疾患領域に関連した研究開発(がん)



令和2年度の取組状況

※「令和3年2月18日付けAMSデータを用いて集計」

令和2年11月末現在で、5事業で390課題(うち令和2年度採択154課題)の研究開発を実施中。

主な取組・成果

■ がん関連線維芽細胞の多様性の機序解明とその改変にもとづく腫瘍免疫 制御法の開発

-大腸がん細胞の周囲で増える正常細胞の多様性を解明-

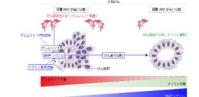
がん細胞周辺の間質のがん関連線維芽細胞(CAF)と呼ばれる細胞が存在し、がん細胞 増殖の抑制と促進に関わっており、そのメカニズムは、間質細胞や上皮細胞が分泌する骨形 成因子(BMP)がグレムリン1およびメフリンにより規定されていることを解明した。

がんに対する新規治療法の開発において、間質細胞を介した「がん抑制性BMPシグナル」の増強は、

今後の重要な治療標的となる転移性大腸がんにおいてがん細胞の周囲環境を変える新規治療法の開発が期待される。

事業名:次世代がん医療創生研究事業

研究代表機関:名古屋大学 研究期間:令和2年度~令和3年度 *Gastroenterology(doi.org/10.1053/j.gastro.2020.11.011)*



Gastroenterology(doi.org/10.1053/j.gastro.2020.11.011)

■MAPKシグナル抑制が誘導するフィードバック機構の不均一性解明と制御に基づくKRAS/BRAF変異腫瘍に対する新規治療開発

-肺がん細胞が分子標的薬に抵抗するメカニズムを解明-

分子標的薬抵抗性の肺がん細胞が、インスリン様増殖因子1受容体(IGF-1R)のタンパク質量を増やすことにより、抵抗し生き延びることを初めて明らかにした。動物実験において分子標的薬にIGF-1R阻害薬を短期間併用することにより、**肺がん細胞をほぼ死滅させ、再発をほとんど防ぐことが可能**であったことから、臨床での実用化が期待される。



事業名:次世代がん医療創生研究事業

研究代表機関:金沢大学 研究期間:平成28年度~令和3年度

Nature Communications (doi.org10.1038/s41467-020-18442-4)

■血液循環腫瘍DNA解析を活用した切除不能・進行再発大腸がんにおける がんゲノム異常のClonal Evolutionに関する網羅的カタログの作成(再掲) 消化器がんを対象とした治験のスクリーニング検査として、血液を用いたリキッド バイオプシーの臨床的有用性を初めて証明した。

血液を用いたリキッドバイオプシーが、従来の 腫瘍組織を用いたバイオプシーに比べて低侵襲 であるばかりでなく、迅速にがんのゲノム異常を 明らかにできることから、様々な治験への活用を 通じて、より多くの患者に最適ながんゲノム医療 を届けられるようになることが期待される。



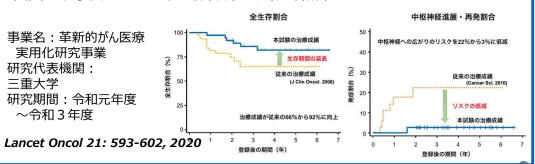
事業名: 革新的がん医療実用化研究事業

研究代表機関:国立がん研究センター 研究期間:平成30年度~令和2年度

Nat Med 2020 Dec;26(12):1859-1864. doi: 10.1038/s41591-020-1063-5.

■未治療血管内大細胞型B細胞リンパ腫に対する治療研究

血管内大細胞型B細胞リンパ腫(IVLBCL)は希少な疾患であり、標準的な治療法はなく中枢神経での再発が多発する。B細胞リンパ腫の標準化学療法であるR-CHOP療法(リツキシマブ、シクロホスファミド、ドキソルビシン、ビンクリスチン、プレドニゾロン)に、中枢神経浸潤予防として高用量メトトレキサートと髄腔内抗がん薬投与を組み合わせた新しい治療法の安全性と有効性を、未治療のIVLBCL患者を対象とする世界初の臨床試験で検討し、IVLBCL患者にとって安全で有効な治療法であることを証明した。英国血液学会Websiteなど海外各種メディアで紹介された。



Copyright 2021 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

J

疾患領域に関連した研究開発(生活習慣病)

日本医療研究開発機構対象経費 令和2年度予算額14億円

- ▶ AI等を利用した生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法の確立、個人に最適な生活習慣病の重症化予防方法及び重症化後の予後改善、 OOL向上等に資する研究開発
- ▶ 免疫アレルギー疾患の病態解明や予防、診断、治療法に資する研究開発 等

応用研究 実用化 臨床研究・治験 基礎研究 非臨床 ■厚労省 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化事業 総額:予算額7億円 生活習慣病予防のための行動変容促進や、診断・治療の高度化のための医療機器等の開発 医療機器:予算額0.3億円 ライフステージを俯瞰したゲノム解析情報等の利活用による生活習慣病に関する ゲノム・データ基盤: 予算額4億円 予防、早期診断、治療最適化、QOL向上に資する研究 疾患基礎研究: 生活習慣病の疾患メカニズムの解明等の研究 予算額3億円 腎疾患実用化研究事業 総額:予算額1億円 新規透析導入患者減少の早期実現等を目的とした病態解明に基づく医薬品・診断薬の開発 医薬品:予算額0.2億円 疾患基礎研究: 新規透析導入患者減少等を目的とした腎疾患の病態解明等の研究 予算額1億円 免疫アレルギー疾患研究事業 総額:予算額7億円 免疫アレルギー疾患を対象とした創薬標的の探索から臨床研究に至る研究開発 医薬品:予算額1億円 ゲノム・データ基盤: ゲノム解析等を活用した免疫アレルギー疾患に関する予防、早期診断、治療最適化、QOL向上に資する研究 疾患基礎研究: 免疫アレルギー疾患の病因・病態の解明等に関する研究 予算額6億円

実用化(市販・医療現場への普及等)

(※) これら以外に疾患横断的な事業にて公募の結果、個別の疾患研究を行う可能性がある

疾患領域に関連した研究開発(生活習慣病)



令和2年度の取組状況

※「令和3年2月18日付けAMSデータを用いて集計」

COVID Toes · 川崎病等

令和2年11月末現在で、3事業で88課題(うち令和2年度採択39課題)の研究開発を実施中。

主な取組・成果

■異分野融合の推進

生活習慣病領域での異分野融合を推進するため、ゲノム研 究者や人工知能(AI)研究者との連携を目指した公募を 行い、合計5課題を採択、研究を開始。

<採択課題例>

・臨床・オミクス情報の統合解析による、アトピー性皮膚炎と それに併発する他臓器アレルギー疾患の病態解明 (代表機関: 理化学研究所)

・脳動脈瘤ビッグデータとAIを用いた増大破裂関連因子抽 出と予測システムの構築

(代表機関:国立循環器病研究センター)

事業名:循環器疾患•糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

研究期間:令和2年度~令和4年度 事業名:免疫アレルギー疾患実用化研究事業 研究期間: 令和2年度~令和4年度

■疾患に応じた治療法の開発

免疫アレルギー疾患・腎疾患をターゲットとした医薬品開発を 推進するための公募を行い、合計2課題を採択、研究を開始。

<採択課題例>

・転写因子IRF5阻害剤による全身性エリテマトーデスの革新 的治療法とそのコンパニオン診断法の開発

(代表機関:横浜市立大学)

事業名: 免疫アレルギー疾患実用化研究事業

研究期間:令和2年度~令和4年度 事業名:腎疾患実用化研究事業 研究期間:令和2年度~令和4年度

■事業間連携 (再掲)

生活習慣病領域における事業間連携を促進するため、 調整費(1.6億円)を原資に、新型コロナウィルス感 染症に関連した血管炎、血栓症の病態解明を目指し た合同公募を行い、合計4課題を採択、研究を開始。

<採択課題例>

・COVID-19感染症に伴う血管内皮障害の発生メカニ ズムの解明とその制御

(代表機関:東京医科歯科大学)

事業名:免疫アレルギー疾患実用化研究事業/

循環器疾患•糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

研究期間:令和2年度~令和4年度

COVID-19 血管炎 ・メカニズム解明 ・シーズ同定 脳梗塞·心筋梗塞等 血栓症

■代表的成果

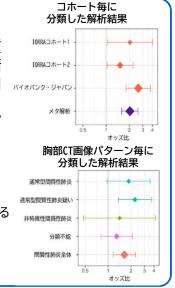
・5千人の関節リウマチ患者に対して、間質 性肺炎発症者と非発症者のヒトゲノム情 報解析により、関節リウマチに合併する間 質性肺炎に関わる遺伝子領域を同定。

・同定した遺伝子多型は、胸部CT画像パ ターンにおける肺の線維化と強く関連。

事業名:免疫アレルギー疾患実用化研究事業 課題名:免疫オミクス情報の横断的統合による

関節リウマチのゲノム個別化医療の実現 代表機関:大阪大学

研究期間:令和2年度~令和4年度



■受賞

・免疫アレルギー疾患実用 化研究事業で採択してい る岡田随象氏は、「遺伝 統計学を駆使したゲノム個 別化医療」への貢献によ り、令和2年度に第4回 日本医療研究開発大賞 AMED理事長賞を受賞。

事業名:免疫アレルギー疾患実

用化研究事業

疾患領域に関連した研究開発(精神・神経疾患)

日本医療研究開発機構対象経費 令和2年度予算額66億円の内数

- ▶ 精神・神経疾患の克服に向けて、国際連携を通じ治療・診断の標的となり得る分子などの探索及び霊長類の高次脳機能を担う脳の神経回路レベルでの動作原理等の解明
- ➤ 精神疾患の客観的診断法・障害(disability)評価法や精神疾患の適正な治療法の確立並びに発症予防に資する研究開発 等

基礎研究 応用研究 非臨床 臨床研究・治験 実用化 ■ 文科省、■ 厚労省

連携・協力

脳科学研究の戦略的推進

予算額62億円の内数

脳科学研究戦略推進プログラム

精神・神経疾患の分子レベルでの発症メカニズムの解明及び診断 法・治療のシーズ創出等の推進

革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト

霊長類の高次脳機能を担う神経回路のニューロンレベルでの全容 解明

戦略的国際脳科学研究推進プログラム

国際連携による神経回路レベルでのヒトの脳の動作原理等の解明

● **障害者対策総合研究開発事業 (精神障害分野)** 予算額 3 億円

精神疾患の病因・病態の解明や根本的治療法の開発とその研究基盤の整備

● **慢性の痛み解明研究事業** 予算額1億円

慢性の痛みに関する病態解明、評価・診断法、治療法の開発

(※) これら以外に疾患横断的な事業にて公募の結果、個別の疾患研究を行う可能性がある

実用化(市販・医療現場への普及等)

37

疾患領域に関連した研究開発(精神・神経疾患)



令和2年度の取組状況

※「令和3年2月18日付けAMSデータを用いて集計」

令和2年11月末現在で、5事業で116課題(うち令和2年度採択11課題)の研究開発を実施中。

主な取組・成果

基礎研究

■ミトコンドリアのマイトファジーを可視化する蛍光技術を開発

- 古くなったミトコンドリアの分解機構であるマイトファジーを定量的に可視化する蛍光センサー 「mito-SRAI lを開発。
- mito-SRAI を用いて、76,000の化合物の中からパーキンソン病治療薬の候補を見いだすことに 成功。
- アルツハイマー病等の神経変性疾患モデルマウス脳の個体レベル解析を実施中。

事業名:革新脳

研究代表機関:理化学研究所脳神経科学総合研究センター

研究期間:平成26年4月~令和6年3月

マイトファジー センサー mito-SRAI モデルマウス中脳におけるマイトファジーの可視化 →パーキンソン病の病理診断

mito-SRAIにより、パーキンソン病の治療薬や 病理診断の開発が可能に!

■うつ病を脳回路から見分ける先端人工知能技術の開発 (再掲)

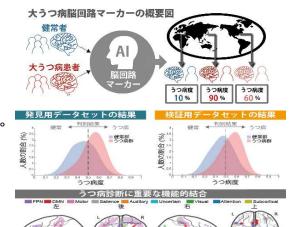
- 多施設で取得したfMRI(機能的磁気共鳴 画像)データを、当研究グループが開発した ハーモナイゼーション法を用いて統合。
- その大規模データにAIによる機械学習を適 用して個人の脳回路に基づき健常者と大う つ病患者を判別する脳回路マーカーを開発。
- 本マーカーは約70%の確率でうつ病の判別 が可能。臨床応用へ向けて研究開発中。

事業名:戦略的国際脳科学研究推進プログラム(国

研究代表機関:(株)国際電気通信基礎技術研究

所(ATR)

研究期間:平成30年6月~令和6年3月

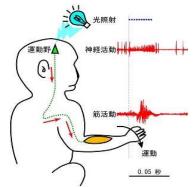


■神経細胞を光で操作し、サルの手を動かす

ことに成功

光によって細胞の機能を制御す る技術(オプトジェネティクス)で、 サルの手を動かすことに世界で初 めて成功。

光による脳深部刺激療法などと トの病気治療への応用につなが る期待。



サルの大脳皮質運動野にレーザー光を照射 する実験のセットアップ

事業名:革新脳、国際脳

研究代表機関:自然科学研究機構 生理学研究所

研究期間:平成29年4月~令和3年3月

疾患領域に関連した研究開発(精神・神経疾患)



主な取組・成果(続き)

応用研究

■性格による層別化がうつ病血液バイオマーカーの識別性能 を向上させることを発見―ヒトとマウスのクロスバリデーション研究―

- 従来のうつ病の血液バイオマーカーの識別性能 が特定の性格を有する集団で飛躍的に向上す ることを発見。
- 件格検査による層別化後、血液メタボローム解 析情報に基づく機械学習モデルで、うつ病か否 かの判別に成功。
- 性格の偏りが少ない集団に限定した場合、その 識別性能が飛躍的に向上。

事業名:脳科学研究戦略推進プログラム

研究代表機関:カ州大学病院精神科神経科/加藤隆弘講師ら

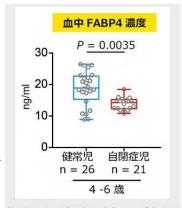
研究期間:平成28年4月~令和3年3月

(外向性 4・神経症へ) 強い うつ病

セロトニン ↓

■自閉スペクトラム症のバイオマーカー候補の発見 - 自閉スペクトラム症の生物学的再分類に役立つ可能性-

- 血液サンプルを用いた解析により、低年齢の自閉 症児では定型発達児と比較して血中のFABP4 濃度が低いことを明らかにした。自閉症のDNA検 体を用いた遺伝子配列解析により、機能的変化 につながるまれなFabp4遺伝子の変異を発見。
- Fabp4遺伝子破壊マウスに、自閉症類似の行動 および組織学的特徴を検出。
- FABP4が自閉症バイオマーカーになり得る可能性、 FABP4の機能低下が自閉症の病態形成に関与 する可能性を提示。



定型発達児および自閉症児の血中FABP4濃度の比較

事業名:脳科学研究戦略推進プログラム

研究代表機関:理研 脳神経科学研究センター/前川素子上級研究員ら

研究期間:平成28年5月~令和3年3月

■応急的遠隔対応型メンタルヘルスケア 基盤システム構築と効果検証

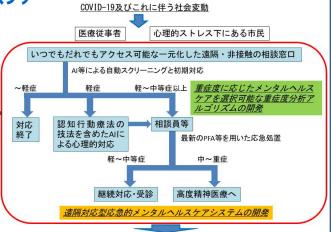
- ストレス下にある市民が、誰でもアクセスが容 易で、重症度に応じて、相談員等による応 急処置を行い、重症の場合は、地域の精 神科医等が対応する基盤システムを構築中。
- 重症度分析アルゴリズムを開発し、システム の効果検証を行い、実用化を促進。

事業名:障害者対策総合研究開発事業

(精神障害分野)

研究代表機関:国立精神・神経医療研究センター

研究期間:令和2年11月~令和4年3月



COVID-19の再パンデミック等の社会変動下のメンタルヘルス問題を予防・克服

■精神疾患レジストリの構築・統合による 新たな診断・治療法開発

精神疾患の同一診断内の異種性を考慮し、診断力 テゴリーを超えた三層構造(第1層:臨床情報、第2 層:症状評価/心理検査、第3層:血液/脳神経画 像等)からなる、利活用可能なオールジャパン体制の 縦断的な精神疾患レジストリシステムを構築し、デー タを収集中。

事業名:障害者対策総合研究開発事業(精神障害分野)

研究代表機関:国立精神・神経医療研究センター

研究期間:平成30年4月~令和3年3月

疾患領域に関連した研究開発(老年医学・認知症)

日本医療研究開発機構対象経費 令和2年度予算額101億円の内数

- ▶ モデル生物を用いた老化制御メカニズム及び臓器連関による臓器・個体老化の基本メカニズム等の解明
- ▶ 認知症に関する薬剤治験対応コホート構築やゲノム情報等の集積及びこれらを活用したバイオマーカー研究や病態解明
- > 認知症に関する非薬物療法の確立および官民連携による認知症予防・進行抑制の基盤整備 等

応用研究 基礎研究 非臨床 臨床研究・治験 実用化 ■文科省、■厚労省、■経産省、■総務省 ● 脳科学研究の戦略的推進 予算額62億円の内数 脳科学研究戦略推進プログラム 精神・神経疾患の分子レベルでの発症メカニズムの解明及び診断法・ 実用 治療のシーズ創出等の推進 連携·協力 革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト 霊長類の高次脳機能を担う神経回路のニューロンレベルでの全容解 明 市 戦略的国際脳科学研究推進プログラム 販 国際連携による神経回路レベルでのヒトの脳の動作原理等の解明 医療現場 **老化メカニズムの解明・制御プロジェクト** 予算額12億円 高齢者に特有の疾患や老化・加齢メカニズムの解明・制御 ● 認知症研究開発事業 総額:予算額10億円 認知症コホート・レジストリ研究およびゲノム研究等の推進 ゲノム・データ基盤: 連携・協力 予算額8億円 普及等 疾患基礎研究: 認知症の早期発見、層別化、病態解明等を目指した研究の推進 予算額2億円 ● 認知症対策官民イノベーション実証基盤整備事業 ■ 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業 予算額6億円の内数 認知症研究、サービス・製品等の 予算額7億円 連携・協力 創出に資する官民連携の実証 臨床情報とゲノム情報等を集積した「統合データベース」を構築 フィールドの整備 ● **長寿科学研究開発事業** 予算額1億円 認知症対応型AI・IoTシステム 予算額2億円 高齢者の医療・介護を支援する基盤整備の推進 連携・協力 研究推進事業 IoT×AIにより、BSPDの発症を予測等する研究開発

疾患領域に関連した研究開発(老年医学・認知症)



令和2年度の取組状況

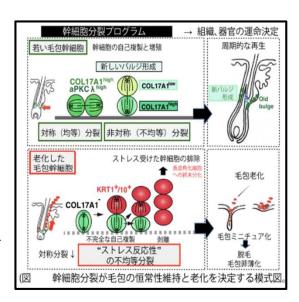
※「令和3年2月18日付けAMSデータを用いて集計」

令和2年11月末現在で、9事業で70課題(うち令和2年度採択7課題)の研究開発を実施中。

主な取組・成果

■幹細胞分裂タイプの違いが毛包の再生・老化を決定

- 加齢やストレスなどにより、毛包の幹細胞分裂が"ストレス 応答性の非対称分裂"に転換する分子機構を明らかにし た(2021.2, Nature Aging)
- 加齢に伴う脱毛 の原因が、幹細 胞分裂によること をつきとめ、皮膚 の再生と老化を 司る新たな幹細 胞分裂と新たな メカニズムを見い だした。
- 脱毛症の治療法 の開発だけでなく、 その他の上皮系 臓器の加齢関連 疾患の治療、さら に新たな再生促 進や抗老化戦略 等へ繋がることが 期待できる。



事業名:

老化メカニズムの解明・制御プロジェクト 研究代表機関:東北大学 研究期間:

平成29年10月~令和4年3月

■大規模認知症コホートを活用した病態研究

久山町コホート約1,000例の解析から海 馬容量に関連する遺伝子候補を見いだ し、さらに大規模な被験者を対象とするゲ ノム解析を行い、認知症発症関連因子 の同定に向けた解析を実施中である。

事業名:認知症研究開発事業 研究代表機関:九州大学

研究期間:

平成28年4月~令和3年3月

大規模認知症コホートの概要 青森県弘前市 石川県中島町 (金沢大学) 東京都荒川区 熊本県荒尾市

■認知症プレクリニカル期・プロドローマル期を対象とする トライアルレディコホート (J-TRC) 構築研究

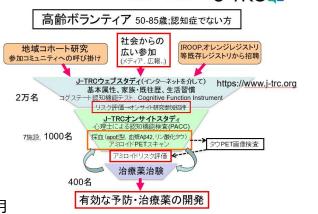
2020年12月までに累計4,674名のウェブ登録を達成し、現在も更なる 登録者のリクルートを実施中。 J-TRC研究の概要 J-TRC

全国7臨床施設でオンサイト 立ち上げを完了し、2020年 12月までに120例の登録を 達成。

企業コンソーシアムとの連携 も進め、個別企業治験との 連携に向けて協議中。

事業名:認知症研究開発事業 研究代表機関:東京大学

研究期間:平成31年4月~令和6年3月



疾患領域に関連した研究開発(老年医学・認知症)

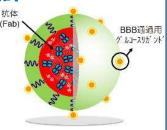


主な取組・成果(続き)

■低用量抗体医薬によるアルツハイマー型認知症の治療を 可能にするスマートナノマシン®の分子設計

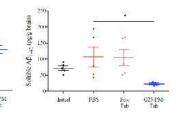
脳内に抗体医薬を効率良く送達するスマート(Fab ナノマシン®の分子設計と合成を実施。

アルツハイマー型認知症モデルマウスにて、脳 内アミロイドβ(Aβ)の凝集抑制を低用量 の抗体投与で検証することに成功した。



アルツハイマー型認知症の治療目的で開発中の抗 直径: 45 nm 体医薬の用量設定を下げ、効果を高める可能性が 示された。

アルツハイマー型認知症モデルマウスにおける 3D6-Fab を搭載した スマートナノマシン® (G25-PM-Bab) のAβ凝集抑制効果



事業名:脳科学研究戦略推進プログラム 研究代表機関:東京医科歯科大学 研究期間:平成28年4月~令和3年3月

■認知症予防を目指した多因子介入の効果検証

認知症のリスクのある高齢者を対象として運動、栄養、認知訓練等 からなる18か月の多因子介入を行い、認知機能障害の進行が抑制 されるか検証を実施中。

事業名:認知症対策官民イノベーション実証基盤整備事業

研究代表機関:国立長寿医療研究センター

研究期間:令和元年7月~



■ BPSD予測・予防により介護負担を軽減する 認知症対応型AI・IoTサービスの開発と実装

多地域・多施設へIoTネットワークを展開し、より多くのかつ多様なデータ を収集することで、 BPSDケアに資するAIの精度向上(より正確、早 期、詳細な予測)と医学的見地からのエビデンスの確立、医療現場や 在宅ケアへの展開の検討、その他認知症ケアに有用なシステムの研究 開発を実施中。

BPSD (Behavioral and Psychological Symptoms of Dementia) : 認知症に伴う行動・心理症状

事業名:

認知症対応型AI・IoT システム研究推進事業

研究代表機関: 認知症介護研究• 研修東京センター

研究期間:

令和2年4月~令和5年3月

クラウド上のデータ基盤の構築 IoTセンサーからのデータと データを開放 介護記録等を収集・統合 収集・ 介護記録 研究機関 (観察したこと、対応等) BPSDを予測し 環境データ 適切なケア方法 (温度、湿度等) を提示 生体データ (心拍、呼吸等) 他の研究 機関・ 介護負担の 介護施設 介護システ 軽減 ム事業者

■フレイル・サルコペニアのバイオマーカー開発

地域コホートや糖尿病患者コホート を活用し、フレイルやサルコペニアな ど、老年性疾患を対象としたバイオ マーカー同定に向けた大規模調査、 およびバイオマーカーを活用した早 期発見等の手法開発を実施中。

事業名:長寿科学研究開発事業

研究代表機関:京都大学

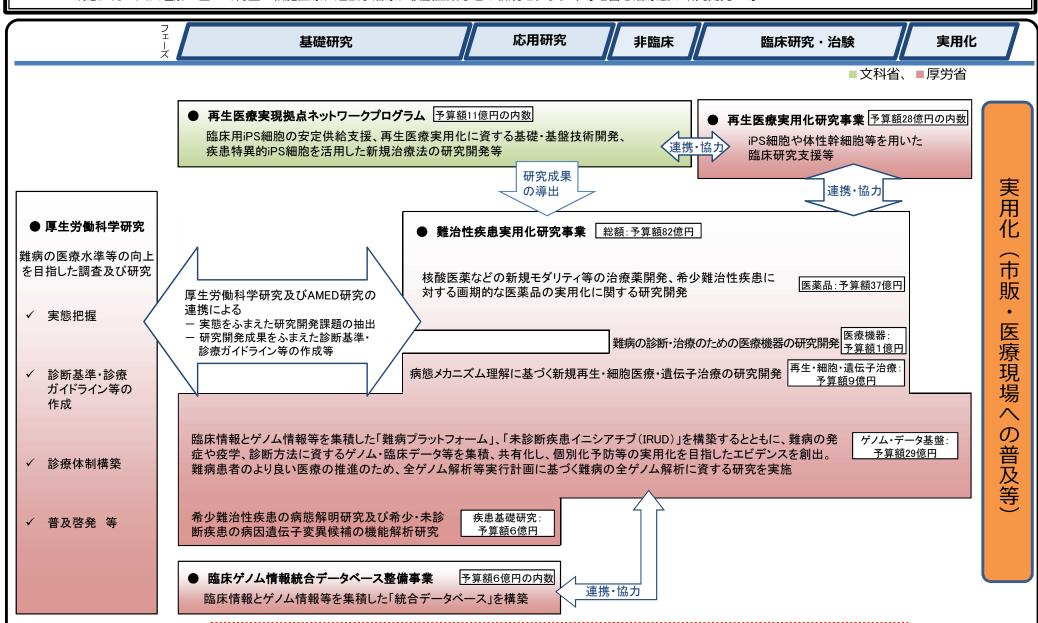
研究期間:平成31年4月~令和5年3月



疾患領域に関連した研究開発(難病)

日本医療研究開発機構対象経費 令和2年度予算額127億円の内数

- ▶ 厚生労働科学研究における難病の実態把握、診断基準・診療ガイドライン等の作成等に資する調査及び研究から、AMEDにおける実用化を目指した基礎的な研究、診断法、医薬品等の研究開発まで、切れ目なく実臨床につながる研究開発
 - 様々な個別の難病に関する実用化を目指した病因・病態解明、画期的診断・治療・予防法開発に資するエビデンス創出のためのゲノムや臨床データ等の集積、共有化
 - 病態メカニズム理解に基づく再生・細胞医療、遺伝子治療、核酸医薬などの新規モダリティ等を含む治療法の研究開発 等



43

疾患領域に関連した研究開発(難病)



令和2年度の取組状況

※「令和3年2月18日付けAMSデータを用いて集計」

令和2年11月末現在で4事業で262課題(うち令和2年度採択86課題)の研究開発を実施中。

主な取組・成果

基礎研究の充実 【再生医療実現拠点ネットワークプログラム】

■【疾患研究】とトiPS細胞から多発性嚢胞腎の病態の再現に成功

変異型PKD1導入ヒトiPS細胞 から腎集合管を誘導

フォルスコリン投与で多発性 嚢胞腎の病態を再現

• バゾプレッシンが嚢胞形成を 増悪させることを確認

事業名: 再牛医療実現拠点ネットワークプログラム

研究代表機関:熊本大学

研究期間:平成29年4月~令和5年3月

今回の成果 集合管 患者由来iPS細胞 尿管芽の誘導 嚢胞の誘導 メカニズムの解明 治療薬の開発

実用化の加速 【難治性疾患実用化研究事業】

■ 角膜上皮幹細胞疲弊症の治療として自家培養口腔粘膜上皮

由来の細胞シート COMET01の 承認申請を実施

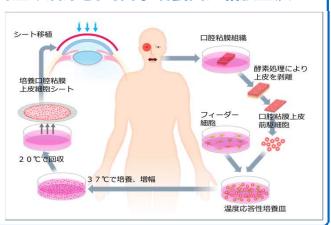
事業名:

難治性疾患 実用化研究事業

研究代表機関: 大阪大学

研究期間:

平成26年4月~ 平成30年3月



■ 【再生医療】筋ジストロフィーモデルマウスにおけるヒトiPS細胞由来 骨格筋幹細胞の移植効果を確認

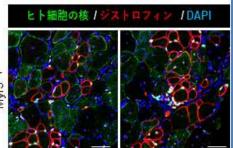
- 筋肉への高い再生能をもつ骨格筋幹細胞をヒトiPS細胞から分化することに 成功
- 分化誘導させた骨格筋幹細胞を筋ジスモデルマウスへ移植することで、

ジストロフィン陽性筋線 維の再生と筋張力の改善 効果を確認

事業名: 再牛医療実現拠点 ネットワークプログラム

研究代表機関:京都大学

研究期間:平成29年4月~ 令和 5年3月



■ ALSに対するメチルコバラミン筋注の第Ⅲ相試験(128例)

を達成

事業名:

難治性疾患 実用化研究事業 研究代表機関:

徳島大学

研究期間:

平成29年4月~ 令和 2年3月



- 孤発性又は家族性ALSと診断
- ・ 同意取得時の年齢が20歳以上
- ALS発症から1年以内(患者が症状を 自覚した日を基点とする)
- ALSの重症度基準で重症度1度又は 2度(日常生活、就労が独力で可能)
- 検査及び投薬のための外来通院可能
- 気管切開を施行している
- 観察期登録4週以内にエダラボン使用



疾患領域に関連した研究開発(難病)



主な取組・成果(続き)

全ゲノム解析等実行計画【難治性疾患実用化研究事業】

- ・全ゲノム解析実行計画に対応できる先行解析班(AMED研究班)を公募
- ・厚労省の研究班で示された方針に基づく本格解析に向けた体制を整備
- ・先行解析班以前での、全ゲノムに関する個別研究班を公募により支援

全ゲノム解析等実行計画(令和元年12月)



難病ゲノム医療推進統合研究班

- ゲノム基盤の運営・管理
- 国際連携・人材育成
- 産業利活用等、政策的方針を議論

AMED



厚生労働省と連携した課題管理

先行解析班(國土班) 本格解析に向けた体制整備

(医療連携、臨床情報、ゲノム基盤運営、 同意書、産業利活用、国際連携、人材育成)





協力 (検体・臨床情報)

オミックス/全ゲノム個別研究班

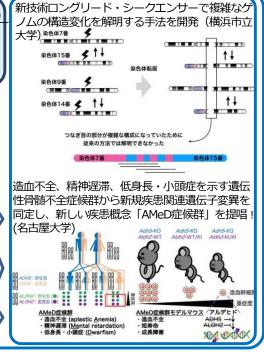
(R2年4月~、R2年度第2回調整費)

公募研究開発課題

全エクソームシークエンス解析でも未解決の 疾患に対する新技術による診断法の開発

有効な治療法がない希少難治性疾患を対象と した新世代解析技術による病態解明と治療 シーズ探索につながる研究

難病克服のための成人発症型難病の Deep-Phenotyping の統合解析を通じた開発研究



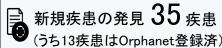
未診断を起点とした研究の展開「難治性疾患実用化研究事業

■難治事業内連携への取組

IRUD - IRUD Beyond 連携

「モデル生物コーディネーティングネットワーク による希少・ 未診断疾患メカニズム解析(国立遺伝学研究所) | によるIRUD 研究者、モデル生物研究者とのマッチング事業を継続して実施

■ IRUDの実績(2015年~)



Ų₀診断確定数 1,593 家系



全196疾患・823原因遺伝子 (ミトコンドリア病は除く)

722

(全6,172疾患・5,454原因遺伝子) (2019年10月時点)

いずれにも 該当しない疾患

診断確定数 1.593

遺伝学的解析による診断率

43.8%

IRUD解析センターによる解析実績 4,658 家系



■難病領域間連携の取組

難治性疾患実用化推進事業 🔫

➡ 再生医療実現拠点ネットワークプログラム

「疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」に おける連携

- ■第3期IRUDに求めること R3年度一次公募採択条件概要 -
- 「全ゲノム解析等実行計画」と連携した実施計画
- 遺伝学的診断技術等の向上と医療実装
- データシェアリングの義務化と公的データベースへの登録

疾患領域に関連した研究開発(成育)

日本医療研究開発機構対象経費 令和2年度予算額6億円

- ▶ 周産期・小児期から生殖期に至るまでの心身の健康や疾患に関する予防・診断、早期介入、治療方法の研究開発
- ▶ 月経関連疾患、更年期障害等の女性ホルモンに関連する疾患に関する研究開発や疾患性差・至適薬物療法など性差にかかわる研究開発 等

基礎研究 応用研究 非臨床 臨床研究・治験 実用化

■厚労省

成育疾患克服等総合研究事業

総額:予算額4億円

成育医療の質の向上に資する治療・診断法やエビデンスの創出 医薬品:予算額1億円

成育医療の質の向上に資する治療・診断法やエビデンスの創出

ゲノム・データ基盤: 予算額4億円

● 女性の健康の包括的支援実用化研究事業

総額:予算額1億円

女性特有の疾患の予防法等の開発や性差に着目した診断、治療法等の開発

ゲノム・データ基盤: 予算額1億円

女性特有の疾患の予防法等の開発や性差に着目した診断、治療法等の開発

疾患基礎研究: 予算額0.3億円

(※) これら以外に疾患横断的な事業にて公募の結果、個別の疾患研究を行う可能性がある

疾患領域に関連した研究開発(成育)



令和2年度の取組状況

※「令和3年2月18日付けAMSデータを用いて集計し

令和2年11月末現在で、2事業で35課題(うち令和2年度採択6課題)の研究開発を実施中。

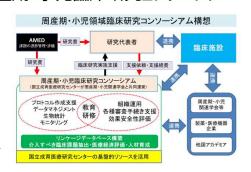
主な取組・成果

■周産期・小児領域における高品質臨床研究推進のための 臨床研究コンソーシアムの構築

関連学会と連携して、人材を育成し、大規模多施設共同研究ができる 研究実施基盤の構築を目指し、「周産期・小児臨床研究コンソーシア

ム」を結成。さらに、生殖・周産期・ 小児に関わるリンケージデータベースの 構築や研究実施支援体制整備なら びに研究支援等を実施中。

事業名:成育疾患克服等総合研究事業 研究代表機関: 国立成育医療研究センター 研究期間:平成31年4月~令和6年3月



■出生コホート研究の連携基盤の構築

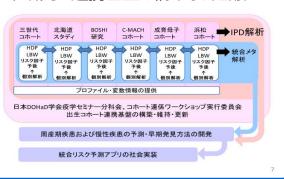
周産期疾患に関する本邦独自のエビデンス創出の効率化と相乗効果 の推進のため、本邦の出生コホート研究の連携基盤を構築し、妊娠

高血圧症候群および低出 生体重に関するリスク因子 および予後の解明を実施中。

事業名:成育疾患克服等 総合研究事業

研究代表機関:東北大学 研究期間:平成31年4月

~令和6年3月



■症候性先天性サイトメガロウイルス(CMV)感染症を対象 とした医師主導治験

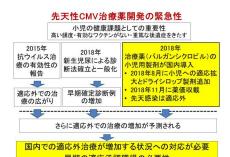
難聴等の小児の発達発育障害の原因となることが多い、先天性CMV 感染症に対する抗ウイルス療法(バルガンシクロビル※)の臨床試験を実 施中。

※HIVや臓器移植等におけるCMV感染 症治療に使用されている抗ウイルス薬

事業名:成育疾患克服等総合研究事業

研究代表機関:東京大学

研究期間:平成31年4月~令和6年3月



■ビッグデータの解析により

日本人女性の月経周期と基礎体温に新知見 ―月経周期や高温期の基礎体温は年齢によって大きく変化-

- 世界的に前例のない規模の日本人女性31万人、600万月経周期 のビッグデータを解析。
- 平均月経周期は23歳で最も長く、45歳にかけて徐々に短くなり、その 後また長くなる年齢変化を示した。また、基礎体温は低温期が年齢に よらず一定である一方、高温期が年齢により変化し、30代で最も高い ことがわかった。

令和2年9月11日 プレスリリース 掲載雑誌 Obstetrics & Gynecology (2020)

事業名:女性の健康の包括的支援実用化研究事業

研究代表機関:東京大学 研究期間:平成31年4月~令和4年3月

疾患領域に関連した研究開発(感染症)

日本医療研究開発機構対象経費令和2年度予算額94億円の内数

▶ ゲノム情報を含む国内外の様々な病原体に関する情報共有や感染症に対する国際的なリスクアセスメントの推進、新型コロナウイルスなどの新型ウイルス等を含む感染症に対する診断薬・治療薬・ワクチン等の研究開発及び新興感染症流行に即刻対応出来る研究開発プラットフォームの構築 等

応用研究 実用化 非臨床 臨床研究・治験 基礎研究 ■文科省、■厚労省 新興・再興感染症研究基盤創生事業 予算額30億円 我が国における感染症研究基盤の強化・充実や 連携・協力 新興・再興感染症制御のための基礎的研究 実用化 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 予算額20億円 市 インフルエンザ、結核、動物由来感染症、薬剤耐性菌、HTLV-1等、重要な病原体に対する基盤的研究、診断薬、 治療薬、 販 ワクチン開発等の実用化に向けた開発研究 医療現場 ● 肝炎等克服実用化研究事業 総額:予算額33億円 肝炎医療に必要な医薬品・医療機器の開発等の研究 医薬品:予算額1億円 肝疾患患者のQOL向上、発症予防、早期発見等に係る研究開発に資するデータストレージ等の構築 ゲノム・データ基盤: Range 1 April 2 Apr 0 疾患基礎研究: 肝炎の予防、診断、治療に係る技術の向上、肝炎医療に必要 普及等 予算額30億円 な医薬品・医療機器の開発等の研究 エイズ対策実用化研究事業 予算額 5 億円 HIV感染症の治癒を目指す根治療法等の開発 **臨床ゲノム情報統合データベース整備事業** 予算額 6 億円の内数 連携・協力 臨床情報とゲノム情報等を集積した「統合データベース」を構築

疾患領域に関連した研究開発(感染症)



令和2年度の取組状況

※「令和3年2月18日付けAMSデータを用いて集計」

令和2年11月末現在で、5事業で281課題(うち令和2年度採択154課題)の研究開発を実施中。

主な取組・成果

※ 新型コロナウイルス感染症治療薬・ワクチン開発についてはP53~55に記載

■ウイルス遺伝子の新しい解読法の開発に成功

- 効率的かつ包括的に同定可能な「ウイルス遺伝子の新しい解読法」を開発。解読遺伝子より 単純ヘルペスウイルス(HSV)の新規ウイルス蛋白質piUL49を発見し、ヘルペス脳炎の発症の 什組みを解明。
- ヘルペス脳炎の新規治療法の開発に繋がることが期待される。
- 新規解読された複数遺伝子による新規蛋白同定、病原性・病態解明を実施中。

事業名: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

新興·再興感染症研究基盤創生事業

研究代表機関:東京大学医科学研究所 研究期間:平成31年4月~令和4年3月

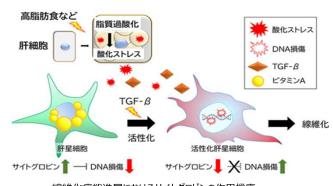
Step-1: AHAによる新規合成蛋白質の標識 蛋白質の Step-3: 質量解析 Alkyne-conjugating

開発したウイルス遺伝子解読法の概要

■肝炎の肝線維化機序の解明

脂肪肝患者における肝線維化の進展において、サイトグロビンの発現量が 低下することを発見。

- サイトグロビンが肝線 維化の診断マーカーと なる可能性、及びサイ トグロビンの発現誘導 剤による治療の可能 性が示唆された。
- 診断マーカーとしての 実用性の検証、及び 発現を誘導する物質 の探索を実施中。



線維化病態進展におけるサイトグロビンの作用機序

事業名:肝炎等克服実用化研究事業

研究代表機関:大阪市立大学

研究期間:平成31年4月~令和4年3月

■生体内におけるHIV-1感染細胞のマルチオミクス解析

- ヒト細胞を移植させたマウスを用い た新たなヒト免疫不全ウイルス1型 (HIV-1) 感染モデルを開発。
- これを用いて、ligationmediated PCR(LM-PCR)法に よる解析を行ったところ、HIV-1は 転写が活発なヒトゲノム領域に多く 組み込まれていることを発見。
- このことは、ウイルスの組み込み 部位によって、ウイルスの産生能 力が規定される可能性があり、 検証のための研究を実施中。



LM-PCR法によるHIV-1のヒトゲノムへの 組み込み部位の網羅的同定解析結果

事業名:エイズ対策実用化研究事業 研究代表機関:東京大学医科学研究所 研究期間:平成30年4月~令和3年3月



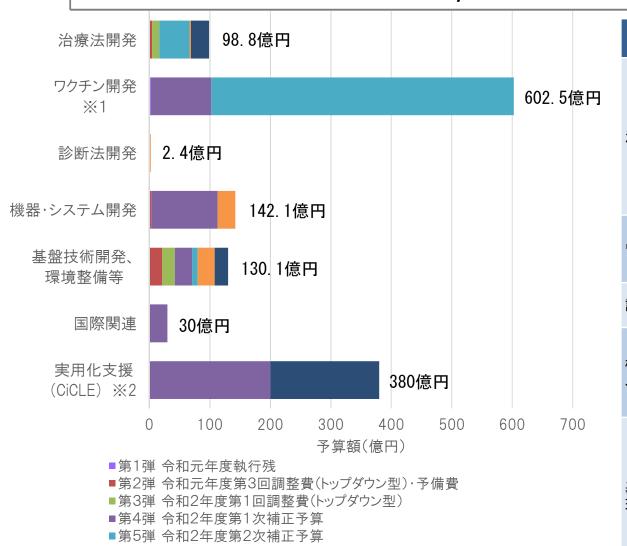
4. 新型コロナウイルス対策に係る研究開発等 に関するAMEDの最新の取組状況



新型コロナウイルス感染症対策に係る研究開発等の支援状況



政府における予算額1,930億円のうち、AMED経費1,386億円



- ■第6弾 令和2年度第2回·第3回調整費(理事長裁量型)、予備費
- ■第7弾 令和2年度第3次補正予算

注:複数の分類に関連する予算は、主なものに分類。

※1: ワクチン開発のうち500億円は、基金事業を造成し複数年度で執行。

※2: 政府からの出資金を基に、新たな医薬品、医療機器等の実現を目指す事業(CiCLE:

医療研究開発革新基盤創成事業)のことであり、複数年度で執行。

分類		予算の種類	予算額 (億円)	
	第1弾	令和元年度執行残	0. 9	
	第2弾	令和元年度第3回調整費(トップダウン型)	3. 5	
	第3弾	令和2年度第1回調整費(トップダウン型)	12	
治療法開発	第5弾	令和2年度第2次補正予算	50	
	笠の部	令和2年度第2回調整費(理事長裁量型)	0. 4	
	第6弾	令和2年度第3回調整費(理事長裁量型)	2	
	第7弾	令和2年度第3次補正予算	30	
	第1弾	令和元年度執行残	2. !	
ワクチン開発	第4弾	令和2年度第1次補正予算	100	
	第5弾	令和2年度第2次補正予算	500	
=◇ 业C : + 日日 2 %	第1弾	令和元年度執行残	1. 2	
診断法開発	第6弾	令和2年度第2回調整費(理事長裁量型)	1. 2	
	第2弾	令和元年度予備費	3.	
機器・システ	第4弾	令和2年度第1次補正予算	110	
ム開発	第6弾	令和2年度第2回調整費(理事長裁量型)	10	
	弗 0坪	令和2年度予備費	19	
	第2弾	令和元年度第3回調整費(トップダウン型)	21.	
	第3弾	令和2年度第1回調整費(トップダウン型)	20.	
++ 60.11.71.00.00	第4弾	令和2年度第1次補正予算	28.	
基盤技術開発、 環境整備等	第5弾	令和2年度第2次補正予算	9.	
水光正開刊	第6弾	令和2年度第2回調整費(理事長裁量型)	25.	
	弗 0坪	令和2年度第3回調整費(理事長裁量型)	;	
	第7弾	令和2年度第3次補正予算	2:	
国際関連	第4弾	令和2年度第1次補正予算	30	
実用化支援	第4弾	令和2年度第1次補正予算	200	
(CiCLE)	CiCLE) 第7弾 令和2年度第3次補正予算			
総額 1,				

新型コロナウイルス感染症対策に関連するAMEDの研究開発



新型コロナウイルス感染症対策の補正予算等にて、延べ約300課題(令和3年1月現在)を支援。

治療法開発

- 既存治療薬(ファビピラビル(アビガン)等) の効果及び安全性の検討等
- 新たな作用機序等による治療薬開発
- In silico 解析による治療薬候補の選定
- 体外式膜型人工肺(ECMO)の高性能化・ 小型化 等

ワクチン開発

■ 新規ワクチン開発

- 組換えタンパクワクチン
- mRNAワクチン
- DNAワクチン
- 不活化ワクチン
- ウイルスベクターワクチン 等
- 基礎研究から、非臨床試験(薬理試 験、毒性試験)、臨床試験まで支

診断法-検査機器開発

- 診断・治療・予防のための機器・シス テム開発
- LAMP法、イムノクロマト法等による迅 速診断キット開発に必要な技術開発
- 既存の迅速ウイルス検出機器を新型 コロナウイルスの検査に活用するため の導入実証 等

政府からの出資金を活用した医薬品・医療機器等の創出(CiCLE)

新型コロナウイルス感染症対策に関する「予防ワクチン開発」、「診断技術開発」、「治療法・治療薬開発」、「基盤技術開発」の支援

分子疫学•病熊解明

- 新型コロナウイルスの ゲノム分子疫学調査
- COVID-19患者検体の ゲノム解析、免疫レパ トア解析
- 国内外の検体の確 保•解析 等

研究を支える基盤整備等

- 感染モデル動物を用いた研究開発等のためのBSL3ユニットの改修・整備
- BSL2、BSL3施設への300keVクライオ電子顕微鏡の整備
- 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業による創薬支援機能の強化
- 戦略的に整備することが重要なバイオリソースの維持
- 新興感染症に対する研究開発に係る新規技術基盤の開発
- 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治療薬探索・評価 基盤の整備
- コホート調査のためのアプリ・システムの構築
- 遠隔対応型の精神医療・メンタルヘルスケアの基盤システム開発・検証 等

国際連携

- アジア地域における臨床 研究・治験ネットワークの 構築
- アジア地域の海外研究 拠点(ベトナム、フィリピ ン、中国、タイ、ミャン マー、インドネシア)にて、 疫学研究、全ゲノム解析 研究、予防・診断・治療 法に関する基盤的技術 開発の実施支援 等

https://www.amed.go.jp/news/topics/covid-19.html AMEDの新型コロナウイルス感染症(COVID-19)に関する研究開発支援について(まとめ)

AMED支援による治療薬開発の状況 ①



【マネジメント】

治療薬・ワクチンの研究開発については、PD・PS・PO等の有識者をメンバーとする課題運営委員会を各々設置し、 リアルタイムで進捗を確認しつつ、実用化に向けて弾力的に支援。特に進捗していると認められた課題には、追加支 援を行い開発を加速。

【AMED支援課題(54課題の内訳)】

[フェーズ別]

フェーズ	課題数
基礎	33
前臨床試験	8
第 I 相試験	2
第Ⅱ相試験※	10
第Ⅲ相試験	1

「標的別〕

標的	課題数
抗ウイルス	36
重症化改善	16
両方	2

※ 1 つの治療薬(アドレノメデュリン)に対して、2つの課題が 研究開発を実施している。(次ページ参照)

「モダリティ別)

モダリティ	課題数
ドラッグリポジショニング	11
低分子医薬	16
抗体·血漿療法	16
核酸医薬	2
細胞療法	3
バイオ医薬品	5
遺伝子治療	1



AMED支援による治療薬開発の状況 ②



【臨床試験実施中のもの 11課題】

治療薬	代表機関	概要·進捗状況		
免疫グロブリン	国立国際医療研究センター	・罹患後に回復しSARS-CoV-2に対する中和抗体を発現したとト血漿に由来する高度免疫グロブリン製剤・末端臓器不全が生じる前にとト免疫応答を増強し疾患進行及び死亡リスクの抑制を検討する国際共同第Ⅲ相試験を実施		
イベルメクチン	北里大学	・抗寄生虫薬として承認された、抗ウイルス作用が期待される製剤 ・COVID-19患者を対象にSARS-CoV-2増殖抑制効果を検討する治験を実施		
アドレノメデュリン	宮崎大学/ひむか AMファーマ株式会社	・機械換気が必要となった重症肺炎患者に対し、候補薬剤を使用することで、患者の重症化を防ぎ、患者の 予後改善に貢献できることを証明する第 II 相試験を実施		
アビガン (ファビピラビル) /ステロイド併用	名古屋大学	・抗ウイルス薬ファビピラビル(RNA依存性RNAポリメラーゼ阻害剤)に全身ステロイド投与を併用 ・肺炎例における呼吸不全進行阻止等の回避効果を評価する第Ⅱ相試験を実施		
ファビピラビル + オルベスコ (シクレソニド) +フオイ パン(カモスタット)	国際医療福祉大学	・COVID-19肺炎患者(中等症)において、ファビピラビル単剤治療群と、ファビピラビル+カモスタット+シクレソニド吸入の多剤併用治療群との多剤併用治療有効性検証を行う ・多施設共同非盲検ランダム化比較試験を行い、退院までの期間、有害事象の発現率の群間比較する		
TM5614	東北大学	・線溶系に関与するプラスミノーゲンアクチベーターインヒビター(PAI)-1を特異的に阻害する薬剤 ・COVID-19肺炎に対する有効性および安全性を評価する第 II 相試験を実施		
コルヒチン	琉球大学	・抗炎症作用を有する薬剤・入院中の重症化因子を有する軽症及び中等症患者において、炎症反応亢進抑制作用を検討する治験を 実施		
rhGM-CSF	ノーベルファーマ	・免疫機能調節により抗炎症効果を有する組換え顆粒球単球コロニー刺激因子 ・COVID-19患者に対する効果を検討するための第Ⅱ/Ⅲ相試験を実施		
PDE阻害剤	ARTham Therapeutics	・抗炎症作用を有するホスホジエステラーゼ4型(PDE4)阻害薬 ・尿中L-FABP濃度を用い重症化リスクの高い患者を同定し、本剤の効果を検討する第 II 相試験を実施		
臍帯由来間葉系細胞	ヒューマンライフコード	・抗炎症効果と組織修復能を有する細胞療法 ・重症例における急性呼吸窮迫症候群(ARDS)による呼吸不全改善を目指し第 I 相試験を実施		

その他のAMED支援課題については、HPに掲載(https://www.amed.go.jp/news/topics/covid19_03.html)



AMED支援によるワクチン開発の状況



コロナワクチン開発の進捗状況(国内開発)<主なもの>

	基本情報	取り組み状況	目標 (時期は開発者から聞取り)	生産体制の見通し	研究費
①塩野義製薬感染研/UMNファーマ※組換えタンパクワクチン	ウイルスのタンパク質(抗原)を遺伝子組換え技術で作成し人に投与	第 / 相試験を開始 (2020年12月)		2021年末までに3000万人 分の生産体制構築を目標 生産体制等緊急整備事業 で223億円を補助	 AMED (R1年度) 100百万円 感染研 AMED (R2年度一次公募) 1,309百万円 塩野義 AMED (R2年度二次公募)
②第一三共 東大医科研 ※mRNAワクチン	ウイルスのmRNAを人に投与 人体の中でウイルスのタンパ ク質(抗原)が合成される	動物を用いた試験で、新型コロナウイルスに対する抗体価の上昇を確認	The state of the s	生産体制等緊急整備事業 で60.3億円を補助	・AMED(R1年度) 150百万円 東大医科研 ・AMED(R2年度二次公募)
③アンジェス 阪大/タカラバイオ ※DNAワクチン	ウイルスのDNAを人に投与 人体の中で、DNAからmRNA を介して、ウイルスのタンパ ク質(抗原)が合成される	第 / 相試験を開始 (大阪市立大、大阪大) 第 / 相試験を開始 (東京・大阪の8施設)	大規模第Ⅲ相試験 を2021年内に開始 の意向。		・厚労科研(R1年度) 10百万円 大阪大・AMED(R2年度一次公募) 2,000百万円 アンジェス・AMED(R2年度二次公募)
④KMバイオロジクス東大医科研/感染研/基盤研※不活化ワクチン	不活化したウイルスを人に投 与(従来型のワクチン)	動物を用いた試験で、新型コロナウイルスに対する抗体価の上昇を確認		生産体制等緊急整備事業 で60.9億円を補助	・AMED(R2年度一次公募) 1,061百万円 KMバイオロ ジクス・AMED(R2年度二次公募)
⑤ IDファーマ 感染研 ※ウイルスベクターワクチン	コロナウイルスの遺伝情報を センダイウイルスに載せて、 経鼻又は注射で投与 人体の中でウイルスのタンパ ク質(抗原)が合成される	動物を用いた有効性評価を実施中	最短で2021年3月 から臨床試験開始 の意向。		・AMED(R 2 年度一次公募) 124百万円 IDファーマ
⑥VLP therapeutics 大阪市立大学/国際医療センター/医薬基盤研/大分大学	レプリコン(自己複製RNA) 投与により細胞内でコロナウ イルスRNAを安全かつ効率的 に増やすことで高い免疫原性 を示す。	動物試験で強力な新型コロナウイルスの中和抗体価の誘導を確認。一回のワクチン接種で感染動物での有効性も確認。	1 1 1 1 1 1 1 1 1 1 1 1 1 1 1 1 1 1 1 1	生産では、富士フイルム と連携 E労働省ホームページ(令和	・AMED(R2年度二次公募) 3年1月末時点)を元に一部追加

https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/vaccine 00184.html

AMED支援による医療機器開発の状況



補正予算等を活用して、診断・遠隔医療・治療等の課題、具体的には、宿泊療養患者のモニタリング、プールド検査の実証、 変異株への対応、迅速診断などの課題に対応した技術開発を支援中。

【予防】

■ LINEと連携した新型コロナウイルス感染症自宅・ 宿泊療養患者向けSpO₂測定スマホアプリモニタ リングシステムの実証研究

カメラで血圧やSpO。 呼吸数等バイタルを スマホアプリで非接 触•自動測定

スマホで遠隔モニタリ ング



事業名:ウイルス等感染症対策技術開発事業

研究代表機関:株式会社アルム

研究期間:令和2年6月~令和3年3月

【治療】

■ 新型コロナウイルス肺炎に対する高性能新規ECMO システムの有効性・安全性に関する臨床研究

「抗血栓性に優れ安全に長期間使 用可能なECMOシステムIを用いて、 新型コロナウイルスによる肺炎患者 への中長期ECMO治療の安全性と 有用性を検討。



事業名:ウイルス等感染症対策技術開発事業 研究代表機関:国立循環器病研究センター 研究期間:令和2年5月~令和3年3月

【検査】

■ 多検体検査を可能にする次世代型オートメーション技術 を利用した画期的な新型コロナウイルス検査法の確立

次世代型自動化システ 煌ニー ムを確立し、高精度大 量のPCR検査の実現と、 検査員の感染リスクから の解放を目指す。

検査数13,000検体/24h を目指す。



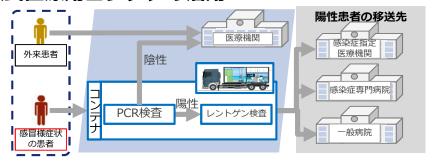
事業名:ウイルス等感染症対策技術開発事業

研究代表機関:北里大学

期間: 令和2年12月~令和3年3月

【施設内クラスター発生の防止】

■ 施設外部で診察・検査(PCRやX線撮影)・処置への 可搬式医療用コンテナの活用



事業名:ウイルス等感染症対策技術開発事業

研究代表機関:千葉大学/東千葉メディカルセンター

研究期間:令和2年6月~令和3年3月



AMED支援による成果や取組の例(診断法・医療機器開発)



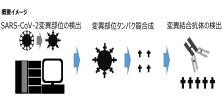
■SARS-CoV-2変異検出アプリケーション開発と変異 に対応した防御抗体の特定研究

- ウイルス変異を可視化するアプリケーションの開発、及び変異型 ウイルス診断法として応用出来るシーズを開発。
- 7804種類のウイルスゲノムの遺伝子解析により、遺伝子変異 に特徴があることが判明。今後は、変異の可視化によりウイルス の重症化分類に役立つと考えられる。

事業名:ウイルス等感染症対策技術開発事業

研究代表機関:東北大学

研究期間:令和2年6月~令和3年3月



■ナノポア技術と機械学習を用いた新型コロナウイルス 検査法の開発

- ウイルスの性状で判定するため、RNA抽出は不要であり、唾 液の10分以内の検査・分析で、感度95%・特異度92%を 達成。
- イオン電流の計測により1個のウイルス粒子を検出できるナノ ポアセンサと機械学習解析ソフトを組合せた新型コロナウイル ス検査装置の実証研究。

事業名:ウイルス等感染症対策技術開発事業

研究代表機関:大阪大学

研究期間:令和2年6月~令和3年3月



■目視で判定できる迅速診断法の開発

日本大学と東京医科大学が、インフルエンザウイルスを対象に 開発していた革新的核酸増幅法(SATIC法)を新型コロナ ウイルスに転用し、唾液などのサンプルから25分の反応で検出 機器を必要とせず目視で判定できる迅速診断法を共同開発し、 塩野義製薬に導出。



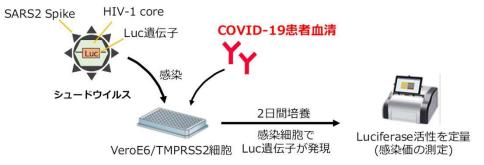
事業名:橋渡し研究戦略的推進プログラム

橋渡U研究支援拠点:慶應義塾大学; 研究代表機関:日本大学

研究期間:平成30年4月~令和3年3月

■感染防御抗体(中和抗体)の迅速測定法の開発

- HiBiT標識ウイルス様粒子を用いて血清中の中和抗体を3時 間以内に検出可能とした。
- 牛ウイルスや遺伝子組換えウイルスを使用しないため、通常の 実験室で安全かつ簡易に測定が可能であり、今後は、大規模 集団における免疫保有者の迅速スクリーニング検査や、ワクチ ン評価などに役立つと考えられる。



事業名: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

研究代表機関:国立感染症研究所(分担機関:横浜市立大学)

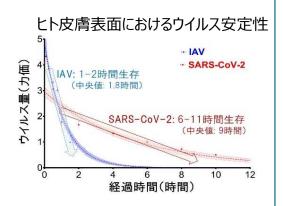
研究期間: 今和元年2月~今和3年3月

AMED支援による成果や取組の例(基礎研究等)



■ヒトの皮膚上に存在する新型コロナウイルスと インフルエンザウイルスの生存評価

新型コロナウイルス (SARS-CoV-2)は皮膚 表面上で9時間程度生存 し、インフルエンザA型ウイ ルス(IAV)よりも長期にわ たり皮膚上で感染力を保 ち続ける。

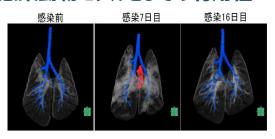


事業名:新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業

研究代表機関:京都府立医科大学 研究期間:平成30年4月~令和3年3月

■新型コロナウイルス感染症の病態解明/予防・治療法 の開発 ―ハムスターの感染動物モデルとしての有用性―

新型コロナウイルスに 感染したハムスターは、 重い肺炎症状を呈す るなど、ヒトに類似した 病態を示した。



青: 気管+気管支

赤: 空気, 気胸

SARS-CoV-2感染したハムスターの肺CT画像 ととの患者と同様の肺炎が認められた。7-8日目がピークで、16日目には回復した。

事業名: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

研究代表機関:東京大学

研究期間:令和2年2月~令和4年3月

新興•再興感染症研究基盤創生事業 (海外拠点研究領域)

東京大学

令和2年4月~令和7年3月

研究開発課題支援の展開事例(より実用化へ)

<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の例>

■新型コロナウイルス感染症の重症化予防法・ 治療法の開発

• 感染増強抗体が関与 する重症化機構を、免 疫学的、ウイルス学的 双方の研究から解明し、 重症化の予防法、治 療法の開発を行い、感 染増強抗体の測定法 を樹立した。

研究代表機関:大阪大学 微生物病研究所

研究期間:令和2年5月~令和3年3月





感染増強抗体の測定方法

Anti-S2 Ab

(2454)

Enhancing Ab

令和2年度第2回調整費

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)

実用化にむけた 課題を公募

「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(新型コロナウイルス感染症 (COVID-19) に対する治療薬開発推進のた めの技術開発等)」に係る公募(4次公募)

加速する支援技術の開発課題を採択

新型コロナウイルス感染症治療薬開発を

既存AMED課題から派生した課題例:

- 現行の実験レベルでの感染増強抗 体の測定法をもとに、臨床検査レベ ルで多検体を迅速に測定する測定 法の開発をおこなう。
- 測定対象に感染増強抗体だけでな く、中和抗体なども含めることで、感 染増強作用と中和作用のバランスも 検討することができるようになる。

研究代表機関: HuLA immune 株式会社 研究期間: 令和3年1月~令和4年3月



Copyright 2021 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

Latex

beads

DyLight 650

8D2

C144

(参考)新型コロナウイルス感染症対策に係るAMED支援による成果の例



(1)治療薬・ワクチン・診断法開発

富士レビオは、従来の鼻咽頭拭い液に加 えて、唾液を検体として使用して新型コロ ナウイルスの抗原検出が可能な試薬を開 発。6月に製造販売承認。



新型コロナ 抗原検査試薬 (富十レビオプレスリリースより)

事業名: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

研究代表機関:国立感染症研究所

研究期間: 令和2年2月~令和3年3月※令和元年度事業として実施

横浜市立大学を中心とする研究グループ は、ELISA法とイムノクロマト法を用いて、 新型コロナウイルス患者血清中に含まれる 抗ウイルス抗体(IgG)を迅速・簡便に検 出する検査キットを開発。6月に試薬販売 開始。



新型コロナ 抗体検出キット (横浜市立大学)

事業名: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

研究代表機関:横浜市立大学

研究期間:令和2年5月~令和3年3月

(2)医療機器開発

第24回健康 医療戦略推進専門調査会 (2020年8月3日)資料2の抜粋

- ウイルスを迅速に検出するPCR検出機器GeneSoC (ジーンソック) の性能実証を実施。検出試薬を3月に 製品化·保険収載。
- 全国16カ所の医療機関に導入、全217症例について GeneSoCを用いたPCR検査を実施し、陽性症例の検出 に対する有用性が確認。
- 実利用におけるさらなる利便性向上に向けた検討を継続。



高速PCR検査機器 (キョーリン製薬)

事業名:先進的医療機器・システム等技術開発事業

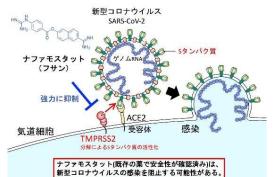
研究代表機関: 杏林製薬株式会社

研究期間:令和2年3月17日~令和2年3月31日

※令和元年度事業として実施

(3)基盤技術開発

- 東京大学医科学研究所は、急性膵炎既存薬(ナファモ スタット)に感染初期のウイルス侵入過程を阻止し、効率 的感染阻害の可能性があることを発見。
- ナファモスタットについては、令和2年度1次補正により措 置された厚生労働科学研究費において引き続き医師主導 治験により治療効果等について検討されている。



事業名:感染症研究国際展開戦略プログラム (J-GRID)

研究代表機関:東京大学

研究期間:平成27年度~令和元年度

※平成28年に感染阻害化合物の膜融合測 定系を開発し、ナファモスタットの中東呼吸器症 候群(MERS)感染阻害を同定。今回、同測定 系により同じくナファモスタットが新型コロナウイル スの感染を阻止する可能性を見い出した。



5. AMEDが推進するムーンショット

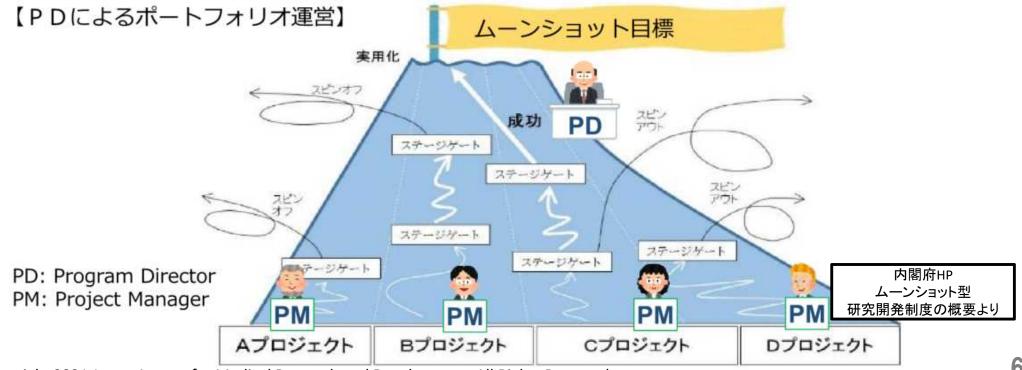


ムーンショット型研究開発制度の特徴





- (1) 困難だが実現すれば大きなインパクトが期待される社会課題等を対象とした野心 的な目標及び構想を国が策定。
- (2) 複数のプロジェクトを統括する<u>PD</u>の下に、国内外のトップ研究者を<u>PM</u>として 公募。
- (3) 研究全体を俯瞰したポートフォリオを構築。「失敗を許容」しながら挑戦的な 研究開発を推進。
- (4) ステージゲートを設けてポートフォリオを柔軟に見直し、スピンアウトを奨励。 データ基盤を用いた最先端の研究支援システムを構築。
- (5) 平成30年度補正予算で1,000億円を計上、基金を造成。令和元年度補正予算で 150億円を計上。最長で10年間支援。



ムーンショット型研究開発制度の目標





目標設定に向けた3つの領域

(人々の幸福で豊かな暮らしの基盤となる 「社会・環境・経済」の領域)

急進的イノベーションで 少子高齢化時代を切り拓く

社会

少子高齢化、労働人口減少、人生百年時代、 一億総活躍社会等

環境

地球環境を回復させながら 都市文明を発展させる

<課題>

地球温暖化、海洋プラスチック問題、 資源の枯渇、環境保全と食料生産の両立等

経済

サイエンスとテクノロジーで フロンティアを開拓する

<課題>

Society 5.0実現のための計算需要増大、人 類の活動領域拡大等

長期的に達成すべきフつの目標

2050年までに、人が身体、脳、空間、時間の制約から解放された

目標1 社会を実現

2050年までに、超早期に疾患の予測・予防をすることができる社

目標2: 会を実現

2050年までに、AIとロボットの共進化により、自ら学習・行動し人と 目標3

共生するロボットを実現

2050年までに、地球環境再生に向けた持続可能な資源循環を実

目標4:現

2050年までに、未利用の生物機能等のフル活用により、地球規

模でムリ・ムダのない持続的な食料供給産業を創出

2050年までに、経済・産業・安全保障を飛躍的に発展させる誤り 目標6

耐性型汎用量子コンピュータ を実現

2040年までに、主要な疾患を予防・克服し100歳まで健康不安なく人生を

目標 7 楽しむためのサステイナブルな医療・介護システムを実現

"Moonshot for Human Well-being"

(人々の幸福に向けたムーンショット型研究開発)

※目標1~6は他のFA (JST,NEDO,BRAIN)において研究開発を推進。 目標7は、AMEDが推進するムーンショット目標

内閣府HP ムーンショット型研究開発 制度の概要より(抜粋)



AMEDが推進するムーンショット(MS)目標7 & MOONSHOT





2040年までに、主要な疾患を予防・克服し100歳まで健康不安なく人生を楽しむための サステイナブルな医療・介護システムを実現

【ターゲット】

1.日常生活の中で自然と予防ができる 社会の実現

- 2040年までに、免疫システムや睡眠の制御等により健康を維持し 疾患の発症・重症化を予防するための技術や、日常生活の場面で 個人の心身の状態を可視化・予測し、各人に最適な健康維持の 行動を自発的に促す技術を開発することで、心身共に健康を維持 できる社会基盤を構築する。
- 2030年までに、全ての牛体トレンドを低負荷で把握・管理できる技 術を開発する。

2.世界中のどこにいても必要な医療にアクセス できるメディカルネットワークの実現

- 2040年までに、簡便な検査や治療を家庭等で行うための診断・ 治療機器や、一部の慢性疾患の診断・治療フリー技術等を開発 することで、地域に関わらず、また災害時や緊急時でも平時と同等 の医療が提供されるメディカルネットワークを構築する。また、データ サイエンスや評価系の構築等により医薬品・医療機器等の開発期 間を大幅に短縮し、がんや認知症といった疾患の抜本的な治療法 や早期介入手法を開発する。
- 2030年までに、小型・迅速・高感度な診断・治療機器や、医師 の医学的所見・診断能力をさらに引き上げる技術等を開発し、個 人の状況にあった質の高い医療・介護を少ない担い手でも適切に 提供できる技術基盤を構築する。

3.負荷を感じずにQoLの劇的な改善を実現 (健康格差をなくすインクルージョン社会の実現)

- 2040年までに、負荷を感じないリハビリ等で身体機能を回復させる 技術、不調となった生体制御システムを正常化する技術、機能が 衰えた臓器を再生・代替する技術等を開発することで、介護に依存 せず在宅で自立的な生活を可能とする社会基盤を構築する。
- 2030年までに、負荷を低減したリハビリ等で身体機能の改善や在 宅での自立的生活をサポートする技術、不調となった生体制御シス テムを改善する技術を開発する。

(参考:目指すべき未来像)

100歳まで人生を楽しめる 医療・介護システムの実現







ムーンショット(MS)目標7





- ○令和元年度補正予算による100億円の基金造成、令和2年7月、健康・医療戦略推進本部によるムーンショット目標7の決定。
- ○関係府省により策定された研究開発構想及び運用・評価指針に基づき実施。
- ○プログラムディレクター(ムーンショットPD)は、平野俊夫氏(現:量子科学技術研究開発機構理事長)を任命。
- ○86件の応募があり、令和3年1月に、以下の5名のPMの採択を決定。
- ○今後、ムーンショット目標の達成に向けて、PDの指揮・監督の下、外部有識者による中間評価等を得ながら、必要な支援に取り組む。

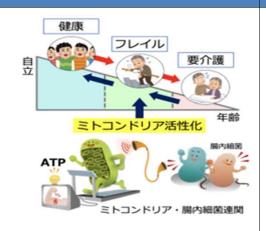
研究開発プロジェクト概要

阿部 高明PM 「ミトコンドリア先制医療」

(東北大学・教授)

ミトコンドリアと腸内細菌が協奏して宿主をコントロールする 「ミトコンドリア・腸内細菌連関」を網羅的・統合的に解析す ることでその制御メカニズムを明らかにし、非侵襲的な診断法 と新たな治療薬を開発します。

それにより2040年にはミトコンドリア機能低下を早期に検知 し介入・治療することで健康長寿を達成する社会を目指し ます。



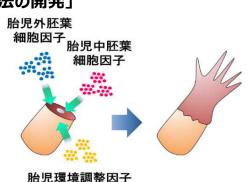
2040年までに期待されるブレイクスルー

- ・ミトコンドリアと腸内細菌連携が解明され健康 長寿のミッシングリングを発見。
- ・ミトコンドリア機能低下が家庭や地域で容易 に検出。
- 効果的な治療薬・リハビリ・食品が開発され、 難聴・フレイル・うつ病・癌にならない健康長寿 社会が達成。

「組織胎児化による複合的組織再生法の開発」 栗田 昌和 PM

(東京大学·助教)

本研究では、生体内組織への遺伝子導入によって、成体を 構成する複数種の細胞を胎児期の前駆細胞に近い状態に 誘導し、広範に欠損した複合的組織・器官の新生、不調・ 機能不全に陥った組織・器官の回復を図る方法、具体的に は「臨床応用が可能な哺乳類の切断四肢を再生する方法、 加齢性組織変化を回復する方法」を開発します。



- ・欠損四肢を再生する治療的介入法の確立
- ・皮膚加齢性変化を回復する治療的介入 法の確立
- 筋骨格加齢性変化を回復し、高齢者の運 動能力を向上する治療的介入法の確立
- ・障がい者・高齢者の自立的生活機会の拡 大によるインクルージョン社会の実現

ムーンショット(MS)目標7





中西 真 PM 「炎症誘発細胞除去による 100歳を目指した健康寿命延伸医療の実現」

(東京大学·教授)

老化や老年病の共通基盤を構成する慢性炎症の原因とな る老化細胞を除去する技術を開発します。これにより高齢 者の加齢性変化を劇的に改善し、多様な老年病を一網 打尽にする健康寿命延伸医療を実現化します。また簡便 な個々人の老化度測定技術を開発することで、誰もが容 易にアクセスできる医療ネットワークを構築します。

老化細胞の蓄積

過剰な炎症反応



老化細胞の除去

炎症反応抑制

- ・臓器・組織の機能低下
- •老化促進
- •老年病発症
- 臓器・組織の機能改善
- ・若仮り
- •老年病改善•予防

- ・高齢者に対する老化細胞除去技術の開発
- ・高齢者の老化予防・筋力増強・臓器機能 改善によるQOLの向上
- ・がん、動脈硬化、認知症などの老年病予防 と改善による若返り医療の実現
- ・老化度測定技術開発による誰もが容易にア クセス可能な医療の構築

慢性炎症の超初期である「微小炎症」の検

①ナノダイヤモンド量子センサーを用いた自己

反応性T細胞とIL-6アンプの多次元解析か

ら微小炎症を超高感度に診る技術を開発

出と除去について2つの技術を開発。

村上 正晃 PM

「病気につながる血管周囲の微小炎症を標的とする量子技術 ニューロモデュレーション医療による未病時治療法の開発し

(北海道大学·教授)

現在、慢性炎症の起点である血管周囲の「微小炎症」が生 じた時期「未病」を検出・除去する技術はありません。本提案 では、量子計測技術と、AIによる情報統合解析により、微 小炎症形成機構であるIL-6アンプを超早期に検出する技術 と神経回路への人為的刺激で微小炎症を除去する新規 ニューロモデュレーション技術 にて未病を健常へ引き戻す技 術を開発します。



微小炎症

・ ②血管を制御するゲートウェイ反射をもたらす 神経回路へのニューロモデュレーション医療か ら微小炎症を摘む技術を開発

柳沢 正史PM

「睡眠と冬眠:二つの「眠り」の解明と操作が拓く

新世代医療の展開し

(筑波大学·教授)

未だ謎に包まれた「睡眠と冬眠」の神経生理学的な機 能や制御機構を解明することで、睡眠を人為的にコン トロールする技術やヒトの人工冬眠を可能とする技術 を開発し、医療への応用を目指します。また、人工冬 眠は人類の夢である宇宙進出を可能にすると期待さ わます。



- ・睡眠時間セットポイント調整技術の実用化
- ・睡眠負債によって発症・重症化する疾患の 予防技術の実用化
- ・睡眠ビッグデータによる疾患リスク予測と予防 技術
- ・災害対応睡眠メディカルネットワークの全国 展開
- 人工冬眠技術の実用化



医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE) の取組状況



医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)

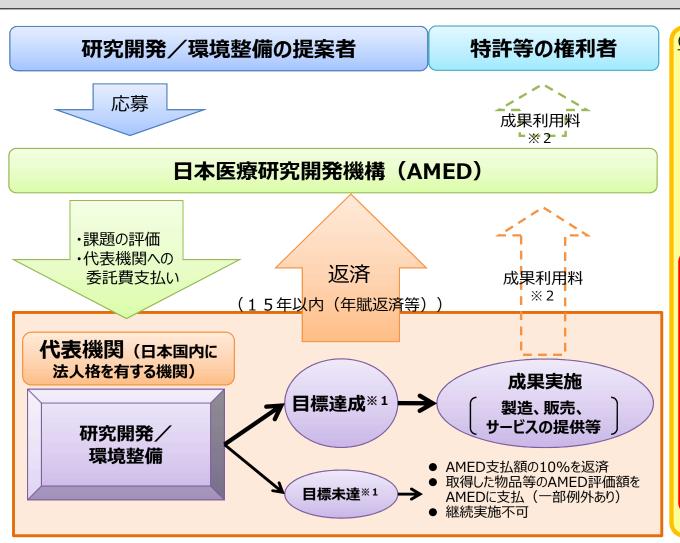
~ Cyclic Innovation for Clinical Empowerment ~



28年度第 2 次補正予算 550.0億円 29年度第 1 次補正予算 300.0億円 30年度第 2 次補正予算 250.0億円 2年度第 1 次補正予算 200.0億円 2年度第 3 次補正予算 180.0億円



産学官共同による医薬品・医療機器等の研究開発を推進



○ 一般型

産学連携、産産連携など企業や大学等の 様々な組合せの混成チームが行う、医薬品や 医療機器、再生医療等製品、医療技術など の実用化に向けた研究開発や環境整備を支 援

期間:原則、最長10年(委託期間終了後

15年以内の返済)

金額:原則、最大100億円/課題(実用化

開発タイプは原則、最大50億円/課題)

○ スタートアップ型(ViCLE)

~ Venture Innovation for Clinical Empowerment ~

スタートアップ型のベンチャー企業が、産学連携、産産連携の下に出口戦略をもって行う医薬品や医療機器、再生医療等製品、医療技術などの実用化に向けた研究開発や環境整備を支援

期間:原則、最長5年(委託期間終了後

15年以内の返済)

金額:原則、最大10億円/課題

※担保/債務保証に緩和措置、段階的設定の選択可

- ※1 目標達成/未達は応募時に想定される、実用上、必要最低限の技術的水準/整備水準の達成で判定
- ※ 2 売上げに応じてAMEDに成果利用料を支払う(一部例外あり)。AMEDは支払われた成果利用料を積み立て、研究開発の基となる特許等がある場 ▶ 合は別途、特許等の権利者に還元
 - Copyright 2021 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE) 第5回公募



- ○第5回公募において、①新型コロナウイルス感染症対策に関する課題3課題、②通常課題14課題、合計17課題を採択。
 - ・新型コロナウイルス感染症対策に関する課題については、一般型1課題、スタートアップ型(ViCLE)2課題。
 - ・通常課題については、一般型5課題、スタートアップ型(ViCLE)9課題。

募集枠	型	採択課題名	代表機関名
コロナ1次	一般型	新型コロナウイルスワクチンの開発	一般財団法人阪大微生物病研究会
コロナ2次	ViCLE	COVID-19予防のためのナノ粒子型蛋白ワクチンの開発	ユナイテッド・イミュニティ株式会社
JU) 2/X		ミトコンドリア製剤による新型コロナウイルス治療薬の研究開発	ルカ・サイエンス株式会社
	一般型	希少がんならびに難治性がんに対する抗がん剤治療開発を加速させる創薬研究手法に関する研究	エーザイ株式会社
		長期寛解を目指した革新的重症筋無力症治療薬の開発	日本製薬株式会社
		次世代型イベルメクチン誘導体によるCOVID-19に対する画期的治療薬創出と抗ウイルス薬の基盤構築	Meiji Seika ファルマ株式会社
		核酸を用いた新型コロナウイルス感染症治療薬の開発	株式会社ボナック
		根治的前立腺全摘除術にて損傷した海綿体神経を修復するアルギン酸シート神経再生補助材の開発	持田製薬株式会社
	ViCLE	外傷診療におけるVR遠隔臨床学習プラットフォームの構築に関する研究	株式会社ジョリーグッド
2名岩田昭		医療用ブタ製造を目指した基盤整備	株式会社ポル・メド・テック
通常課題		腫瘍関連マクロファージ選択的ナノゲルDDS による新規がん免疫療法の開発	ユナイテッド・イミュニティ株式会社
		mRNA医薬を用いた変形性関節症 (OA)に対する革新的な機能維持治療法の開発	アクセリード株式会社
		人工知能技術と脳科学の精神疾患診断治療への応用	株式会社XNef
		膝前十字靭帯再建術に用いる脱細胞化動物組織由来の医療機器の開発・治験の実施	CoreTissue BioEngineering株式 会社
		非NSAIDS・非オピオイド新規疼痛治療薬ENDOPINの実用化研究	株式会社BTB創薬研究センター
		iPS 細胞由来HLA ホモ型血小板の実用化	株式会社メガカリオン
		TMEM180を高発現する大腸がんに有効な新規とト化抗TMEM180抗体の開発	株式会社凜研究所

【イノベーション創出環境整備タイプ】

・・・・・産学連携又は産産連携の下で実施する医薬品、医療機器、再生医療等製品、医療技術等の実用化に向けた研究開発に資する連携基盤の形成 (人材育成を含む) や共同利用設備の整備などの環境整備

【研究開発タイプ】

・・・・・産学連携の下で実施する医薬品、医療機器、再生医療等製品、医療技術等の実用化に向けた研究開発

【実用化開発タイプ】

・・・・シーズに基づく、産学連携の下に行われる医薬品、医療機器、再生医療等製品、医療技術等の実用化開発

(応募時に研究開発の元となるシーズ (特許など) が必要)
Copyright 2021 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

(令和2年12月)

医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)の進捗状況



第1回公募(平成29年度採択)以降毎年公募・採択し、各回50課題から70課題程度の応募がある。 第5回公募については新型コロナ対策課題を公募し、3課題を採択したほか、ViCLEの応募数・採択数が増えた。 これまでに採択した57課題のうち、3課題が目標達成で終了しており、52課題について研究開発推進中もしくは契約締 結準備中である。(2課題は代表機関都合により中止)

		応募(課題)	採択(課題)	金額(億円)	備考(採択年度、進捗状況)
第1[回公募	4 8	7	283	平成29年度採択 目標達成1課題 推進中4課題 中止2課題
第2回	回公募	6 4	10	220	平成29年度採択 目標達成2課題 推進中8課題
第3回	回公募	5 2	14 (4)	289	平成30年度採択 推進中14課題
第4回	回公募	4 9	9 (2)	162	令和元年度採択 推進中9課題
第5回	回公募	7 2	17 (11)	3 2 0	令和2年度採択
(内 訳)	コロナ 一次	4	1 (0)	6 2	推進中1課題
	コロナ 二次	1 2	2 (2)	11	推進中2課題
	通常	5 6	14 (9)	2 4 7	契約締結準備中14課題
合	計	2 8 5	57 (17)	1,274	

注:課題数の括弧書きはスタートアップ型(ViCLE)で、内数

令和3年2月現在

医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)の進捗状況



イノベーション創出環境整備タイプの3課題が目標達成して環境整備を終了、事業化を進めている。

令和3年2月現在

特殊ペプチド原薬CMO創設(ペプチスター株式会社)

- ●ペプチスター株式会社(本社:大阪府摂津市、代表取締役社長:亀山豊)が代表機関となり、平成29年10月にAMED と委託環境整備契約を締結したCiCLEにおける課題「特殊ペプチド原薬CMO創設」において、計画通り供給体制の基盤構築 を達成。
- ●この基盤を活用することで本格的に事業が加速され、特殊環状ペプチド医薬品を含む画期的な特殊ペプチド医薬品創出への **貢献が期待される。**

創薬ライブラリーの共同管理・運用(株式会社CACクロア)

- ●株式会社CACクロア(本社:東京都中央区、代表取締役社長:加藤肇)は、平成30年3月にAMEDと委託環境整備契 約を締結した環境整備課題「創薬ライブラリーの共同管理・運用及び産官学連携によるその相互利用推進」における創薬ライ ブラリーの管理・運用基盤を計画通り構築し、目標を達成。
- ●より多くの製薬企業が本施設を利用し、「All Japan創薬ライブラリー」を構築することで、アカデミアを含む研究組織が本創薬ラ イブラリーを有効利用できるようになることが期待される。

日本人がん患者由来 PDX ライブラリー整備(株式会社LSIメディエンス)

- ●株式会社LSIメディエンス(本社:東京都千代田区、代表取締役社長:渡部晴夫)が代表機関となり、平成30年3月に AMEDと委託環境整備契約を締結したCiCLEの環境整備課題「がん医療推進のための日本人がん患者由来PDXライブラリー 整備事業」において、計画を上回る規模のPDXライブラリーを構築し、がん医療・医薬品開発に活用するための基盤整備を達 成。
- ●本事業の成果を継続的に発展させてサステナブルな創薬支援事業として成長させるために、LSIメディエンスと国立がん研究セン ターは連携を継続し、J-PDXライブラリーの拡充とPDX株の付帯情報を整備してがん医療・創薬に貢献する。





7. 研究開発を推進する取組等

- (1)研究成果の実用化にむけた知財マネジメント支援
- (2)国際連携の取組
- (3)医療研究分野の人材育成(若手研究者等の育成)
- (4)倫理的・法的・社会的課題への対応と患者・市民参画
- (5)国際レビューアの導入
- (6)研究公正に関する取組
- (7)情報発信・広報に関する取組





(1)研究成果の実用化にむけた知財 マネジメント支援



研究成果の実用化にむけた知財マネジメント支援



バイ・ドール対象の知財管理、及び、総合相談窓口を通じた研究機関に対する知財マネジメント支援を行う

知財コンサルテーション

令和2年度支援件数:

- 研究機関からのバイ・ドール報告受付 約1700件
- ・総合相談窓口への相談対応 約170件
- ・ AMED機構内の6名の知財コンサルタントと、主要地域 に配置し全国をカバーするべく外部に嘱託した18名の AMED知財リエゾンとが連携して支援を実施。

知財調査

令和2年度支援件数:

- · 総数 36件
- 先行文献調査(7件) 先行する特許文献、論文を調査し、出願の可否判断、 適切な権利範囲の策定、研究の方向性の検討等を支援。
- ・ライセンス可能性調査(6件) 導入可能性のある企業を選定し、意向を調査。実用化 に向けたパートナー候補企業の探索を支援。
- ・医療ニーズ実用化調査(医療機器)(15件) 臨床現場からの開発ニーズに対し、連携企業の候補等 を調査。企業との連携による医療機器開発を促進。
- 出願状況調査(8件) 簡易的な特許マップを作成し、競業他者の状況等の分 析を支援。

AMEDぷらっと(医薬分野のマッチングシステム)

登録件数:

- ・参加者(企業+大学等研究機関)約140者
- ・登録シーズ約170件
- ・セキュリティの担保されたクローズドシステム上に て、公開前のシーズを含むアカデミア発のシーズと 企業のニーズとを早期マッチングし、研究開発成果 の実用化を促す。

マッチングイベント等出展支援

令和2年度支援件数:

•約60課題

令和2年度参加実績:

- ・国内商談会(DSANJ、BIO JAPAN)
- ・海外商談会(BIO at JPM)
- ・面談前コーチング、英語PR資料作成、商談同席等。

インキュベーション支援

令和2年度より試行的に<u>1件</u>支援を実施中。

- ・追加データの取得に係る試験委託費用を支援。
- ・アカデミア発シーズの実用化推進を目的とし、強い特 許の取得や、企業への魅力度をアップさせるような データを取得。





(2)国際連携の取組



これまでにAMEDが進めてきた国際連携活動



国際連携が必要な背景

牛物医学研究では、大規模データ・試料を活用できる技術の進展とそれを利 用した研究開発が発展してきており、その傾向の強いゲノム、がん、脳科学や 臨床研究で、国際的なデータ・試料の収集とその標準化・共有が重要となって きている。

- 1) 大規模データ共有ではゲノムが先行し、それに基づくがんゲノム研究が 急速に進展
- 2) 脳科学では、ゲノムから人の行動までの多階層の高次元大規模データの 取り扱いを中心とした大型プロジェクトが日米欧で同時進行し、それらの データ共有が検討されている
- 3) 臨床・健康データなどのリアル・ワールド・データの利活用が、AIの進展と共 に実現可能となり、それらの大規模データの取得・共有が重要
- 4) 感染症や希少疾患など診断、治療法開発において、病原体及び患者な どの確保が国内だけでは困難な研究開発での国際臨床試験などの国際 的枠組への参加が必要

国際連携についての考え方: 2つの柱

- 1) AMED単独では解決することのできない研究課題や萌芽領域の研究課 題に対し、世界最先端の共同研究、および大規模な臨床・健康データや 感染症病原体・症例などのリソースの国際的な共有・利用を進め、我が国 の研究ポテンシャルを高め研究開発を加速する
- 2) 科学技術外交、保健外交の観点から国際研究ネットワーク活動を通じた 国際貢献や協力を行い、我が国の国際的なプレゼンスを高める









オーストラリアNHMRC









AMED第1期で推進してきた国際連携活動

- ◆ 海外事務所を活用した国際連携ネットワークの構築
 - ✓ 米・欧・アジア三極に事務所を設置、主要国FAや機関・アカデミア機関等と積極的に情報交換をすすめ、連携の機会・可能性を追求してきた
- ◆ 研究協力に関する覚書 (MOC) にもとづく、国際共同研究の推進
 - ✓ 戦略的なMOCの署名:医療研究全分野に強い米NIH、英MRCに加え、特定の分野で高い研究ポテンシャルを持つシンガポールA*STARとMOCに署名
 - ✓ 共同研究事業の(SICORP)推進に繋ぐMOCの署名: リトアニア、スペイン、カナダ、ドイツ、オーストラリア、全米医学アカデミーNAM
- ◆ 国際アライアンスへの参加
 - ✓ 主要研究支援機関の長だけが参加を許されるアライアンス、難病や感染症など重要な国際研究アライアンスに加入して、積極的な活動を展開した HIROs会議 = FAトップの会合、 GA4GH=ゲノム、 データ共有、 GloPID-R = 感染症、 データ共有、 JPIAMR = 感染症、 ICRP = がん、 GACD=慢性疾患、保健外交、 IRDiRC=難病、 CDISC=臨床標準化、 HFSPO=純粋基礎研究、 TT=橋渡U研究
- 国立がん研究センターでは、AMED「アジアがん臨床試験ネットワーク構築に関する事業」(東南アジアの国々と日本との間で国際共同治験を行い、アジア地域にお けるがん治療開発を加速させる)や国際臨床研究コンサルテーションを実施、またOECDグローバル・サイエンス・フォーラムが進める臨床研究国際パートナーシップ CRIGHに参加
- 国立国際医療研究センターはグローバルヘルス政策研究センターやグローバルヘルス人材戦略センターを置き、地球規模保健課題解決に向けた科学的エビデンスの 構築と国内外への発信、国際保健人材の養成等の活動や、医療通訳の育成なども

第2期のAMED国際連携活動について



ポイント

医療分野研究開発計画の成果の最大化に向けて、 これまで構築した国際連携ネットワークの基盤を効果的・効率的に活用していく

国際的に取り組む研究開発の重点分野

- ✓ データ共有による国際協力: ゲノム、がん
- ∨ 脳神経科学(認知症)は高齢化対策にも重要
- ✓ COVID-19の経験から、機動的な対応で パンデミックに備える感染症

これらの分野に重点的に取り組むことにより、世界の医療研究 の成果を取り込み、我が国の研究の一層の発展を図る

重点的に連携強化すべき地域・国

- ✓ 北米地域においては、特に米国(NIH)
 - 重点分野の研究ポテンシャル、研究の層の厚みは米国が世界で もっとも高く、更なる研究の高度化を狙った連携を実現する
 - 重点分野への研究予算配分は米国も厚い 例) アルツハイマー型認知症関連研究には特別な予算制度で多 額の予算が投入されている(NIHが直接米大統領府に予算申 請できるバイパス予算を編成している)
- 欧州においては、EU及び欧州主要国
- ∨ アジア・アフリカ地域で科学技術外交、保健外交を展開

チャレンジ

- 重点分野における国際共同研究の実現
- 異分野融合による更なる国際競争力の向上
- 人材輩出の観点から、NIH等とAMEDプロジェクトとの研究者交流の仕組みを構築



- 重点分野に関する世界トップレベルの専門家と、PD、PS、DCの意見を踏まえつつ以下を実施する
 - ✓ 米国等との国際共同研究
 - ✓ 関連する国際アライアンスへの新規加入、既存参加国際アライアンスとの関係強化などにより、重点化を推進
 - ✓ 様々なAMEDの事業を横断的に活用した国際連携
- ワシントンD.C.事務所を強化しNIHとの国際共同研究の調整を行う

強力なリーダーシップ×Withコロナの中においても、適切なコーディネーション×オールジャパン体制 による国際連携を推進する

令和2年度の主な取組と成果 — 国際連携



国際的に取り組む 研究開発の重点分野

ゲノム

脳神経科学

感染症

重点的に連携強化すべき 地域・国との連携

> 重点分野/地域に応じて 多面的な国際連携を推進

カナダCIHRとMOC署名および国際共同研究 (先進エピジェネティクス分野) を開始 (再掲)

> 評価はAMEDがリードエージェンシーとして実施 (写真: 覚書に署名を終えた在宅勤務中のストロングCIHR理事長と三島理事長)

- ドイツDFGとLOI交換及び国際共同研究(脳神経科学分野) を開始(再掲) 2020年4月
- 「日米医学協力計画の若手・女性育成のための日米共同研究」の 二次公募として「COVID-19感染症に対する日米アジア共同研究」緊急公募を実施、 4課題を採択 (再掲) 2021年1月
- Virtual Workshop on COVID-19 開催 2021年2月 日米医学協力計画に基づきアジア各国で年次開催していたEID会議の代替としてオンライン開催
- AMRに関するアジアー大洋州ワークショップ開催 2021年3月
- アフリカシンポジウムをオンライン開催(再掲) アフリカにおいて進行中の課題の研究者と相手国研究者、およびアフリカの関係機関(アフリカCDC等)と今 後の研究開発、社会実装をテーマに開催 2020年11月
- 遺伝子ドライブ生物の野外試験を実施するためにはどのようなことが求められているのか、Science誌に国際 共同声明を発表
- NAM Healthy Longevity Catalyst Award 第1ラウンドにAMEDから44件のカタリスト・アワード 受賞者を登録 2020年10月 全米医学アカデミー (NAM) が提唱、7つの国と地域の8機関が参加し、 全体で124件が受賞
- ワシントンDC事務所の強化を準備
- シンガポールA*STAR、NMRCとの連携が確立したのでシンガポール事務所閉鎖

チャレンジ

人材輩出の観点から、海外機関とAMEDプロジェクトとの研究者交流の仕組みを構築

- 欧州委員会 (EC) とIA (研究者交流に関する取決め) に署名 2020年11月 欧州研究会議 (ERC) が支援する研究プロジェクトに、AMEDの日本人研究者を派遣・参加させる研究者交流。令和3年度開始。 (写真:2020年11月13日、駐日EU代表部にて署名を終えた三島理事長(左から2番目)とフロア駐日EU大使(右から2番目)。 中央のスクリーンにはブリュッセルのEU本部から遠隔参加した関係者が多数映っている。)
- 米国ローレンス・リバモア国立研究所のデータ・サイエンス・サマー・インスティテュートに AMEDプロジェクト参加研究者が指導している学生を1名派遣 2020年6月~9月
- 研究奨励金制度(創薬関連分野) 寄附金を基に、創薬関連分野における研究者育成支援奨励事業 (スカラーシップ)を創設し、若手研究者の育成・海外研鑚を積む機会を拡充。 2020年12月募集開始。(再掲)



ECとのIA署名式↑ 概念図→

erc ECが支援する

様々なAMEDの事業を横断的に活用した国際連携を目指して

様々なAMEDの事業を横断的に活用した国際連携のためAMED全体で国際案件を共有するツール、データベースを運用開始



(3)医療研究分野の人材育成 (若手研究者等の育成)



医療研究分野の人材育成(若手研究者等の育成)



○若手枠の定義の拡大、等

- 平成29年度に、AMED内で研究課題の公募における統一的な若手枠の定義を設定。平成30年度研究公募より適用。
- 平成30年度に、「若手研究者」の定義の拡大等。
- ◆ 具体的な取組は、以下のとおり。

ロ 若手研究者を対象とした公募

令和2年度においては、13事業で若手研究者を対象とした公募を行い、令和3年1月までに62課題を採択。

- 次世代がん医療創生研究事業
- 難治性疾患実用化研究事業
- 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
- 医薬品等規制調和:評価研究事業
- 創薬基盤研究推進事業
- 再牛医療実現拠点ネットワークプログラム(幹細胞・再牛医学イノベーション創出プログラム)
- 革新的がん医療実用化研究事業
- 「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業
- 免疫アレルギー疾患実用化研究事業
- 循環器疾患•糖尿病等牛活習慣病対策実用化研究事業
- 新興•再興感染症研究基盤創生事業
- 肝炎等克服実用化研究事業
- 革新的医療シーズ実用化研究事業



医療研究分野の人材育成(若手研究者等の育成)



80

○若手研究者の活躍の場を増やす取組

○創薬事業部

- ◆ 研究奨励金制度(創薬関連分野)を創設(再掲)
 - ・ 寄附金を基に、創薬関連分野における研究者育成支援奨励事業(スカラーシップ)を創設し、若手研究者の育成・海外研鑚を積む機会を拡充。 昨年12月に募集を開始。
- ◆ 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業 (BINDS)
 - ・10月に公開シンポジウムを開催。また学会シンポジウムを2回開催。さらに、AMEDが主体となって「BINDS紹介セミナー」を順天堂大学と長崎大学において開催。OISTのクライオ電子顕微鏡研究者養成のための滞在型人材育成プログラムも継続。 例年、東京大学や早稲田大学などで開催しているユニット連携講習会も実施。

○医療機器・ヘルスケア事業部

- ◆ 官民による若手研究者発掘支援事業 (再掲)
- ・サポート機関(東京大学) とともに医療機器の基礎研究シーズと若手研究者を支援。 (開発サポート機関による支援)エキスパートメンタリング:60回(延べ数)、メドテックサロン:3回 などを実施

○ゲノム・データ基盤事業部

- ◆ ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業(先端ゲノム研究開発)
 - ・多因子疾患のゲノム医療研究を目的とした事業(H28年度~)において、若手研究者の育成を研究者に課している。R1年度に若手を対象とした 新規公募を行った結果、採択課題6課題のうち、半数の3課題の研究代表者は、H28年課題で分担として参加した若手研究者であった。
- ・同事業で採択している岡田随象氏は、「遺伝統計学を駆使した「ゲノム個別化医療」への貢献」により、令和2年度に第4回日本医療研究開発大 賞AMED理事長賞を受賞するに至った。(P82参考4参照)
- ◆ 革新的がん医療実用化研究事業
 - ・ 令和 2 年度一次公募にて、リサーチレジデント(人材育成の推進を図る事を目的とした若手研究者登用)を募集。4名のリサーチレジデントを採用。

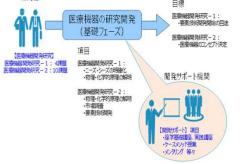
○疾患基礎研究部

- ◆ 領域横断的かつ萌芽的脳研究プロジェクト(公募中)
 - ・研究開発代表者の約3割以上が若手研究者となるように採択する予定。

○国際戦略推進部

- Interstellar Initiative
 - ・令和2年度のInterstellar Initiativeにおいては、対象分野を健康長寿(Healthy Longevity)とし、公募で採択した60名の若手研究者を 国際的・学際的な3名1組のチームに編成し、ワークショップを実施(第1回:令和2年9月、第2回:令和3年2月)。立案した研究計画の検証 のため第1回WS直後にAMEDより各チームへ研究費を支援。 (P83参考5参照)
- AMED

Copyright 2021 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.



医療研究分野の人材育成(若手研究者等の育成)



○若手以外の人材育成の取組

○医療機器・ヘルスケア事業部

- ◆ 次世代医療機器連携拠点整備等事業 (再掲)
 - ・14の医療機関でニーズ発見及び研修プログラムを実施するとともに、臨床現場に企業人材が参加することにより人材育成を推進。
 - ・各医療機関にてシンポジウムなどを主催し、企業のシーズと医療機関のニーズのマッチングを推進。 (令和2年度実績) 臨床現場見学者数:約1000人参加(287社)、シンポジウムやセミナー開催数:約52回開催

○再生·細胞医療·遺伝子治療事業部

◆ 未来志向、デザイン思考の観点から2040年の未来社会のイラストを作成。 また、シンポジウムでは3名の若手研究者、山中伸弥教授、理事長により、未来社会に向けた パネルディスカッションを設けた。



○シーズ開発・研究基盤事業部

- ◆ 橋渡し研究支援拠点のネットワークを活用した人材育成
 - ・橋渡し研究支援拠点における拠点間ネットワークを活用した3つの人材育成プログラム(TSMTP, Japan Biodesign, Research Studio) について、令和元年度より橋渡し10拠点全てがいずれかのプログラムに参画して実施している。 令和2年度には新たにプロジェクトマネージャー(PM)育成に係る取組を開始した。 若手PM21名に対し、拠点間で連携して座学講義やOJTによるプログラムを実施している。
- ◆ 生物統計家育成拠点による人材育成
- ・生物統計家育成拠点を2拠点選定し、官民共同で生物統計学の講座を設置(平成28年10月:東京大学大学院、京都大学大学院)。 平成30年度から学位授与コースを開始し、専門教育・育成研修を実施。令和2年3月に第I期生修了。令和2年度も継続して支援。



ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業(先端ゲノム研究開発) 参考4





○ゲノム医療関係者の人材育成

- ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業(先端ゲノム研究開発)は、多因子疾患のゲノム医療研究を目的とした事業を H28年度より実施しているが、若手研究者の育成を研究者に課している。本事業ではR1年度に若手を対象とした新規公募を 行った結果、採択課題6課題のうち、半数の3課題の研究代表者は、H28年課題で分担として参加した若手研究者であった。
- 研究開発マネジメントの一環として行ったヒアリングでは、PS・POからの進捗確認の他、PIとしての自立に向けた指導・助言を 行った。
- 同事業で採択している岡田随象氏は、「遺伝統計学を駆使した「ゲノム個別化医療」への貢献」により、 令和2年度に第4 回日本医療研究開発大賞AMED理事長賞を受賞するに至った。

研究開発課題名		研究開発代表機関・代表者		開 始 年度	終 了年度
	遺伝統計学に基づく日本人集団のゲノム個別化医療の実装	大阪大学 大学院医学系研究科	岡田 随象	R1	R5
	失明回避を目指す開放隅角緑内障の遺伝的リスク予測に関する研究開発	九州大学 大学院医学研究院	秋山 雅人	R1	R5
	層別化polygenic risk scoreによる形質・疾患構造の解明	大阪大学 大学院医学系研究科	鈴木 顕	R1	R5
	オリゴジェニックモデルに基づくヒト疾患の遺伝的構造の解析	横浜市立大学 大学院医学研究科	高田 篤	R1	R5
	TOPMED panelを用いた高密度Imputationによる、バイオバンクジャパン18万症例のphenotype横断的解析	東京大学医科学研究所 ヒトゲノム解析センター	谷川 千津	R1	R5
	ノンコーディング領域を考慮した大規模ゲノムワイドコピー数変異による精神疾患発症 リスク予測モデルの開発	名古屋大学 大学院医学系研究科	中杤 昌弘	R1	R5

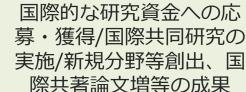


若手研究者による国際的かつ学際的共同研究を推進

- ▶世界中から若手研究者を公募し、日本人をリーダーとする国際的・学際的チームを構成。各チームはメ ンターの指導のもと、医療分野の難課題解決に向けた研究計画を立案し、国際グラントの獲得を経て 国際共同研究を実施。これにより、日本の医療分野国際研究力の強化に加え、医療ニーズに応える 革新的新規シーズの創出等を通して世界に貢献。
- ▶ 2 0 組の国際的かつ学際的チームを形成し、国内外の著名な研究者をメンターに実施した国際ワーク ショップ(令和2年9月、令和3年2月、いずれも新型コロナウイルスの影響を受けリモートで開催) や予備的研究を通じて、医療分野の新規シーズの創出(研究計画の立案)を推進
- ▶これらの若手研究者チームは、今後、完成した研究計画で国際的な研究グラント(HFSP、全米医学 アカデミーのHealthy Longevity Global Grand Challenge 等)に応募し、国際共同研究につな げていくことが期待される。



メンターの指導・助言/更なる計 画の練り上げ/予備検証実験等の フィージビリティ研究の実施







(4)倫理的・法的・社会的課題への対応と 患者•市民参画



倫理的・法的・社会的課題(ELSI) への対応と患者・市民参画(PPI)

Ethical, Legal and Social Issues





医療分野研究開発推進計画

(令和2年3月27日健康・医療戦略推進本部決定)

- 3:集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策
 - 3.4 研究開発の公正かつ適切な実施の確保
 - 〇倫理的・法的・社会的課題への対応
 - ・社会の理解を得つつ実用化を進めることが必要な研究開発テーマに

ついて、患者・国民の研究への参画の観点も加えながら、研究開発

を推進するとともに、ELSI研究を推進する。 (◎文、厚)

令和2年度感染症研究開発ELSIプログラム

- 今般の新型コロナウイルス感染症流行への対応として、感染症研究の領域における 倫理的・法的・社会的課題やコミュニケーションのあり方に関する調査を実施する ことにより、感染症の医療研究開発に資する知識や技術等の創出を目指すプログラム
- 昨今の科学技術基本法改正、責任ある研究・イノベーションの動向に鑑み、 人文科学・社会科学領域からのアプローチによる調査提案を募集
- JST社会技術研究開発センター(RISTEX)と連携を図りながら実施
- 患者の立場を代表する方に課題評価委員を委嘱し、事前評価業務を依頼
- (1) 感染症の研究開発に資する倫理的・法的・社会的課題(ELSI) に関する調査

		代表機関	役職
新興感染症流行時の未承認薬利用と研究開発に対する 市民の態度に関する研究	中田 はる佳	国立がん研究センター	研究員
COVID-19重症呼吸不全におけるECMO再配分に対する市民・社会の理解に関する実態調査	吉田 雅幸	東京医科歯科大学	教授

(2) 感染症流行時の適切な情報発信に資するリスクコミュニケーションに関する調査

課題名	代表者	代表機関	役職
「新しい生活様式」の具現化に向けた コミュニケーション・デザイン調査研究	西井 正造	横浜市立大学	助教
不適切なリスクコミュニケーションの析出に基づく通切なリスクコミュニケーションの探究: SNS事例分析と質問紙調査		大阪大学	教授

AMEDのミッションの実現に向けて

患者さん一人一人に寄り添い、 その「LIFE(生命・生活・人生)」 を支えながら、

医療分野の研究成果を一刻も早く 実用化し、患者さんやご家族の 元に届ける



患者・市民参画ガイドブック ~患者と研究者の協働を目指す第一歩として~ (2019年4月公開)

現在、英語版を作成中

患者・市民参画(PPI)に関する取組

ガイドブックに基づく啓発活動(依頼講演対応等実績:5件)

日付	講演セッション
令和2年	2020年度 大阪大学薬学研究科 PRP/Pharmatrain教育コース
6月6日	「臨床試験の研究倫理」
令和2年	DIA Webinar ペイシェント・エンゲージメント(第1回)
8月28日	医薬品開発における産官学患者の枠をこえた協働とその必要性
令和2年	レギュラトリーサイエンス学会 第10回学術大会シンポジウム
9月11日	日本におけるPPI (Patient and Public Involvement)の実践
令和2年	第61回日本肺癌学会学術集会 Patient Advocate Program (PAP)
11月13日	患者会提案「PPI企画・ガイドブックを作る側から眺めてみると」
令和2年	第61回日本肺癌学会学術集会 ワークショップ18
11月14日	Patient-Reported Outcome : PROの未来

患者・市民参画(PPI)に関連する事業・プログラムの実施

- AMED免疫アレルギー疾患等実用化研究事業:1.【免疫アレルギー疾患領域】 診療の質の向上に資する研究「患者・市民参画を取り入れた、 診療の質の向上に資する研究し
- AMED臨床研究・治験推進研究事業:5.治験・臨床研究の質の向上に向けた 国民の主体的参加を促すための環境整備に関する研究

その他

● AMED役職員を対象とした患者・市民参画に関する業務研修

Copyright 2021 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.



(5)国際レビューアの導入



国際レビューアの導入



~課題評価の質の一層の向上と日本の研究環境の国際化への貢献のため、国際レビューアを導入~

目的と 期待される効果	 ・課題評価の質の一層の向上 ・世界水準での課題評価により海外での研究開発動向を適切に反映 ・COIによる評価者確保困難の克服 ・日本の研究環境の国際化への貢献 ・世界最先端の基礎研究への日本の研究者の参加促進 波及効果として、日本国内の研究施設に在籍する外国人研究者の研究 提案の促進等日本国内の多様な研究者の応募の可能性拡大 ・多国籍・多施設の臨床研究への日本の研究者の参加促進
国際レビューアとは	・国外の施設に在籍する外国人または日本人専門家 ・世界水準の研究を理解し、海外FAの課題評価を実施
導入方法	・公募要領→英文化 ・申請者提出書類(特に科学的評価部分)→英文化 ・書面評価に導入
平成30年度	・AMED-CRESTを含む4事業で先行実施
令和元年度	 ・13事業に拡大(全事業部での導入) ・申請や評価体制の構築 ・データベースを活用したレビューア候補者の探索の仕組み ・レビューア候補者への依頼等の手続きをオンラインで実施するためのシステム (AMED Reviewer Management System: ARMS)を構築
令和2年度	 ・ARS(AMED Online Project Review System)を活用した評価 ・14事業17枠に拡大 ・AMEDレビューア候補者プールサイトの構築 ・ARMS画面上で全てのAMEDレビューア候補者を一元管理



(6)研究公正に関する取組



研究公正に関する取組





1. R I Oネットワーク

研究公正活動を効率的に推進するにあたっては、AMEDと研究機関、あるい は研究機関同士が情報を交換し、互いに協力しあって推進していくことが重要 である。

全国的に効率的な研究公正活動を推進するため、研究機関の研究公正関 係者が気軽に情報交換ができる場を提供すべく、「RIOネットワーク」を設立 した。

RIO: Research Integrity Officer (研究公正責任者) の略

- ○RIOネットワークのメンバー
- ■AMEDから研究資金の配分を受けている研究機関等に所属する次の者 研究公正責任者(研究倫理教育責任者及びコンプライアンス推進責任者) 研究公正担当者(不正防止の教育研修に携わっている教員や事務職員等)
- ■研究活動における不正防止あるいは研究費の不正使用防止に関する活動を 行っている者
- 登録者数:**約2800名、**登録機関数:約900機関(令和3年2月1日現在)
- ○主な活動等
 - ■原則毎週水曜日にメールマガジンを発行
 - 分科会「倫理審査委員教育実施に向けたワークショップ」
 - ●令和元年9月20日に開催、参加者45名
 - ●倫理審査委員の教育・研修を企画する者(事務局等)が対象
 - ●e-ラーニング教材を用いた研修の進め方、及び日ごろ疑問に思って いたり悩んでいることについての情報交換
 - 分科会 「**第6回科学者倫理研究会** |
 - ●令和元年8月26日に開催、参加者61名
 - ●前半のテーマ 捕食学術問題(ハゲタカ問題)について
 - ●後半は若手研究者の研究報告

メールマガジンの例

☆★☆ AMED RIOネットワークメールマガジン

2019年02月06日号

こんにちは。

AMEDのRIOネットワークに関する情報をお届けするメールマガジン 「AMED RIOネットワークメールマガジン」です。 どうぞよろしくお願いいたします。

RIOネットワーク分科会

第2回「倫理審査委員教育実施に向けたワークショップ」開催のご案内

1月30日に開催しました第1回のワークショップでは活発な情報交換が行われ、 似たような立場の方々のネットワークが形成されました。

第2回の分科会は、第1回と同様に次のような内容で開催します。

RIOネットワークメンバー又はメンバーからの紹介者、Receducationプログラム 登録者で倫理審査委員の教育・研修を企画する者(事務局等) 日時:2019年2月20日(水)13:30-16:30

場所: AMEDの会議室(東京都千代田区大手町、地下鉄大手町駅直結) 定員:30名程度

第一部 動画教材を用いたグループディスカッション Rec-educationプログラムの

テーマ8:インフォームド・コンセントに関する審査ポイント1 テーマ9:インフォームド・コンセントに関する審査ポイント2 を中心に議論します。

第二部 全休フリーディスカッション

皆様が悩んでいることについて、参加者の機関での工夫を中心に紹介します。

詳細はRIOネットワークのホームページの「分科会活動」をご覧ください。



ワークショップの題材

研究公正に関する取組



- 2. ケースブックシリーズの活用
- (1) 事例から学ぶ公正な研究活動 ~気づき、学びのためのケースブック~

実際の不正行為等の具体的事例に基づいて、様々な類型の事 例と、個々の事例へどのように対応することが適切なのかを考えさせ る、様々な視点からの設問を提示した「ケースブック」を作成した。 令和2年度には、海外からの留学生も利用できるように英訳版を 作成した。

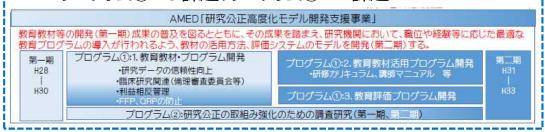
(2) 研究公正に関するヒヤリ・ハット集

何らかの理由のために不適切な研究行為をしてしまおうか悩みながら 思いとどまった例や、周りの人にそれは不適切な行為だと指摘されて 不正をせずに済んだ例を研究者から収集してヒヤリ・ハット集を作成し た。令和2年度はこのヒヤリ・ハット集を活用したワークショップを2回開 催した。

4. 研究公正高度化モデル開発支援事業 研究不正防止の取組推進のため、各研究機関が行う研究公正高 度化のための各種取組を支援する。

第一期 平成28年度~平成30年度 プログラム① 8課題、プログラム② 1課題 作成した教材等は、AMEDの研究公正HPに掲載

第二期 令和元年度~令和3年度 プログラム① 5課題、プログラム② 2課題



3. 研究公正シンポジウム開催

国内外の研究機関における研究公 正の指導的な人材の例について、 その役割、育成方法、求められる 資質・経歴等を具体的に紹介する シンポジウム(研究公正において指 導的役割を果たす人材 ~その役 割、資質、育成~)を、令和2年12 月に、5配分機関※の共催で開催 した。

*AMED、JST、JSPS、NEDO 農研機構生物系特定技術産業支援センター

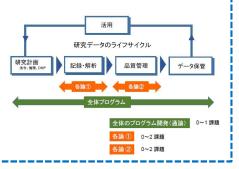


- 5.研究データの質向上の指導者育成事業
- (1) 研究データの質向上の指導者育成プログラム開発事業

研究データライフサイクル全体について、研究現場で研究者を直接指 導する者を育成するための<mark>体系的なプログラム</mark>を、 公募により平成30~令和元年度に開発した。

(2) 研究データの質向上の指導者 育成研修事業

令和2年10月に研究データの質向上 に関するシンポジウムを開催した。また、 研修プログラムのweb版を作成して3 月にトライアル講習会を開催する。





(7)情報発信・広報に関する取組



情報発信・広報に関する取組



ホームページ、メールマガジン、パンフレット・成果集等の刊行物、YouTube、twitter等の多 様なツールを活用し、理事長記者説明会やシンポジウム・成果報告会等の様々な機会を捉 えて、研究開発事業成果やAMEDの取組について、広報活動を積極的に展開。

●ホームページ(HP)

- ・第2期の組織・プロジェクト改編に伴い、事業紹介や公募情 報の分野等の掲載情報を大幅に改修。
- ・今年度社会的ニーズの特に高いCOVID-19関連の研究開 発については、HP内に特設サイトを設け、一元的に情報 発信。研究者自身が研究成果を紹介する音声付スライド (動画)を掲載。





COVID-19関連の情報について、特設サイトや音声付きスライドで紹介

·公募·採択、事業 概要・成果、プレス リリース等の情報を HPに掲載し、twitter、 YouTube、メール マガジンと連動させ、 幅広く情報発信。



ホームページの充実と誘導強化

●記者説明会

・AMEDの取組、AMEDが支援を行った研究成果を、理事長、 研究者が記者等に説明。

令和2年度第1回(令和2年8月28日)

- ✓ AMEDの研究開発推進体制と最新の取組状況
- 令和2年度調整費(理事長裁量型経費)

令和2年度第2回(令和2年12月25日)

- ✓ データ利活用推進基盤の構築 ※理事長のイニシアティブ第1弾
- ✓ AMEDによるCOVID-19関連研究開発の支援状況 ※2名の研究者(国立感染症研究所病原体ゲノム解析研究セ ンター 黒田誠 センター長、東京大学医科学研究所 河岡義裕 教授) からも研究成果を説明







第2回理事長記者説明会の様子: COVID-19研究について



情報発信・広報に関する取組



●プレスリリース

・AMEDが支援した研究課題 成果等について、研究機関等 と共同発表を含む202件の プレスリリースを実施(2/10現在)。



令和2年度は240件以上となる見込み。

● パンフレット・成果集

・AMED紹介パンフレットや AMED支援による代表的な研究成 果(2019年度)をまとめた成果集を作成し、配布。





パンフレット

第2期プロジェクトや疾患研究の推進などわかりやすく記載。





成果集

令和元年度の成果で特筆すべきものを紹介。

●シンポジウム・成果報告会、事業説明等

- ・研究公正、実用化推進等を テーマにしたシンポジウムを 計4回、6プロジェクト関連の 成果報告会等を計29回開催 (オンライン開催中心) (2/24現在)
- ・理事長、理事等が、学会や シンポジウム、事業説明会等 において、AMEDの概要、 事業等について計11回講演。
- ・また、AMEDの視察要望に 対して、理事長からAMEDの 取り組みを説明するとととも に、意見交換を実施。



シンポジウム、成果報告会



ウエブ講演の様子

(令和2年10月20日、こやり隆史厚生労働大臣政務官、 令和2年11月20日三ッ林裕巳内閣府副大臣)

●テレビでの紹介

・NHKサイエンスZERO、TBS報道特集等で、AMED 及び研究成果等を紹介。

●新たな広報誌の創刊

・研究者の紹介やAMED事業の成果等を広く一般に 分かりやすく発信するため、新たに広報誌を創刊予定。