



令和4年度第1回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

日本医療研究開発機構
理事長 三島 良直

令和4年度 調整費（理事長裁量型経費）の 理事長方針の策定に向けた取組について

- 調整費のうち「理事長裁量型経費」については、現場の状況・ニーズに対応した予算配分をAMED理事長が提案するもの。
- また、調整費の枠組みを活用することにより、所管省庁（文科省、厚労省、経産省）の枠組みを超え、研究開発の進捗に応じた必要な支援を行うこととされている。



令和4年度調整費での重点方針

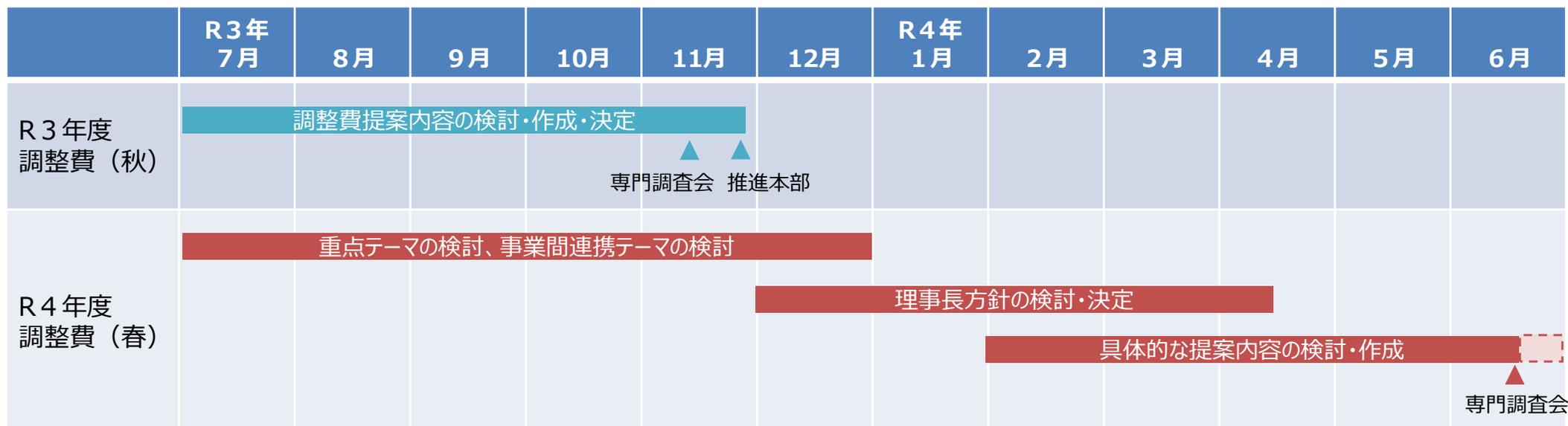
- AMEDを中心に省庁の枠を超えた連携を検討し、研究開発の一層の進展・発展が期待できる課題を調整費で重点的に支援。

調整費提案に向けた取組

■ 令和3年7月から、令和4年度第1回調整費に向けた検討を開始

- ・各統合プロジェクトの現状把握、重点的に支援すべき課題の検討
- ・国内外の動向を踏まえた重点テーマの検討（JST-CRDS、NEDO-TSCとのライフサイエンス・バイオ・医療・介護等に関連する分野の動向に関する意見交換も実施）
- ・**統合プロジェクト間・事業間をまたいで連携すべきテーマの検討（所管省庁が異なる事業間の新たな連携の模索 等）**

■ AMED理事長とPD・PSとの意見交換を行い、研究現場の状況を踏まえた理事長方針の方向性や、提案すべき研究開発事例等について意見交換



研究開発の新たな進展や新たな価値・創造のきっかけとなり得るものを重点的に支援

1 研究開発の進展を目的とした事業間連携・課題間連携・分野間連携の強化

- 省庁の枠を超えて連携することにより、研究開発の一層の発展や、より良い成果が期待できる課題を後押し
- 出口テーマを設定し、AMED内既存事業から連携課題を募集し取り組むものを支援（詳細は次頁以降）
- 国内有数の最先端の設備を導入することにより研究開発の一層の発展が期待でき、他機関へ共用するための仕組（管理）の導入も含めた基盤整備を支援

2 国際連携の強化及びその促進に資する国内体制・基盤の強化

- 国際連携に発展させるにあたり、必要な国内の研究開発、基盤を強化
- 既に国際連携に取り組んでいる課題の一層の推進

3 若手研究者の人材育成

- AMED-Flux等の産学協働事業の対象となり得る若手研究者によるシーズ研究に対する支援
- 若手研究者の育成に資する取組の強化

4 先進的医療実現のための最先端の研究開発・環境整備の一層の加速・充実

- 国際競争上不可欠な研究開発、世界に類を見ない日本が優位性を持つ課題等を支援
- 海外からの供給に依存しているものなど、国内での供給体制構築を目指した最先端研究開発等を支援
- データ利活用の推進等を支援

調整費提案に向けて 今年度から開始した新たな取組について

【概要・効果】

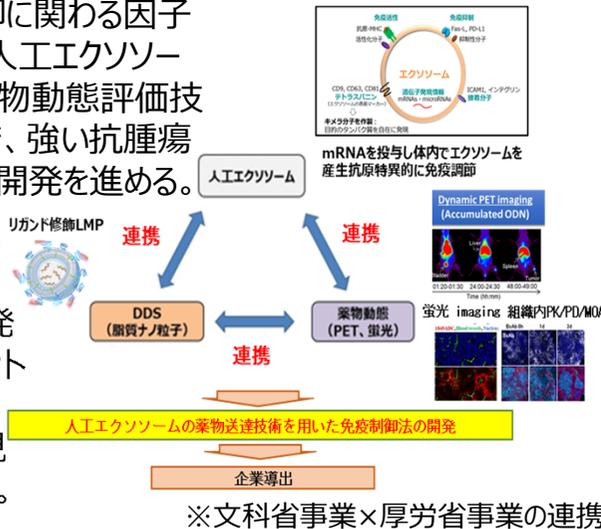
- ・達成すべき「**出口テーマ**」を設定し、AMEDで支援している課題の中から、**複数の課題が一体となり研究開発に取り組む**ことで、**課題解決が期待できるものや、最先端技術の普及・展開が期待できるものをマッチング**
- ・AMEDが中心となり、所管省庁が異なる複数の事業間コラボレーションを後押しすることにより、**単独の課題では取り組むことが困難な研究領域にチャレンジ**することができ、**新たな知見・成果を得ることや、新たな視点に基づく研究開発が飛躍的に加速**するなど**相乗効果が期待できる**
- ・患者数が少ない等の理由により、**特に研究支援を要する分野を支援することも重要**

【出口テーマの例】

- ・ DDS技術のシーズ開発への応用
- ・ 先端バイオ医薬品基盤技術の疾患横断的な活用
- ・ がん、難病の希少疾患に関する研究プラットフォームの強化による研究の加速

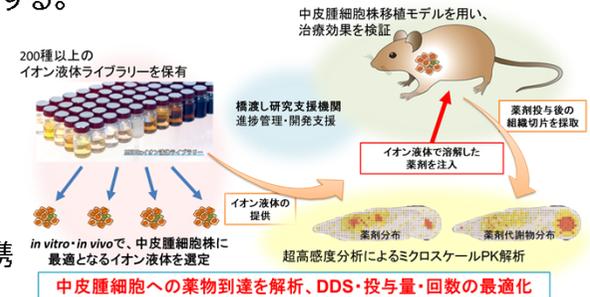
■ “先端バイオ事業×創薬基盤事業” による人工エクソソームを用いた革新的免疫制御法の開発

- mRNAの投与により免疫制御に関わる因子をエクソソーム上に発現させる人工エクソソーム作製技術に、送達技術・薬物動態評価技術を有機的に連携させることで、強い抗腫瘍効果をもたらすmRNA医薬の開発を進める。
- 従来の免疫制御法とは異なる革新的な免疫制御法による副作用の少ない治療法の開発を早期実現することで、アンメットメディカルニーズの高い膵がん、悪性リンパ腫などに対する新規治療薬となることが期待される。



■ “橋渡しプログラム×創薬基盤事業”の事業連携による悪性中皮腫に対する新たな治療薬の開発を目的とした研究開発

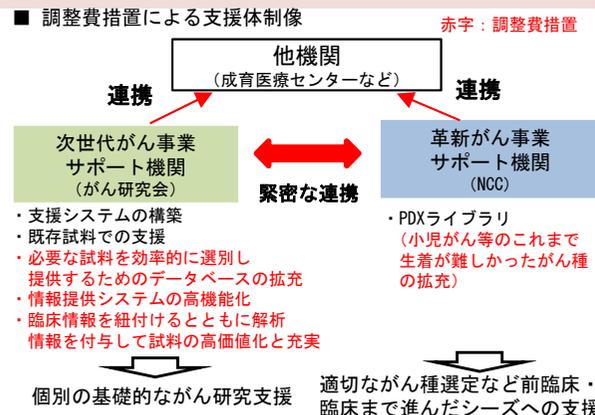
- 文科省「橋渡しプログラム」において、悪性中皮腫の治療薬候補を発見したが、非特異的な副作用が出現する可能性が懸念されるため、投与の手法の改善が課題となった。
 - この課題に対し、厚労省「創薬基盤事業」のイオン液体によるDDS*技術により副作用を回避できることを同事業の超高感度の薬物濃度測定技術を用いて明らかにする。
 - これにより、化合物の用途特許を申請するとともに、悪性中皮腫に対する新たな治療薬の開発をいち早く進めることができる。
- ※文科省事業×厚労省事業の連携
*：ドラッグデリバリーシステム



■ “次世代がん事業×革新がん事業”のサポート機関の連携によるがん研究に必要なバイオリソース提供基盤構築のための研究開発

- 希少がんや小児がんを含む生体サンプルを、質の高い臨床情報やオミックス解析情報と紐付けて高付加価値化し、PDXやオルガノイドによる薬効評価・薬剤スクリーニング支援などを実施する。
- 両事業のサポート機関やその他必要な機関の連携を目指し、斬新なアイデアを有する多くの研究者が研究ツールにアクセスできる体制を早急に整え、日本のがん研究の新たな推進策とする。

※文科省事業×厚労省事業の連携



■ “診断基準の確立・診療ガイドライン策定×患者レジストリ”を活用した超希少難治性疾患のエビデンス創出研究

- 超希少であるが故に診療に直結したエビデンスを創出しにくい領域での研究基盤を強化し、研究を加速

※厚労省(本省)事業×厚労省(AMED)事業の連携

理事長方針の各柱に沿った 調整費配分のポイント及び具体的な事例について

1. 研究開発の進展を目的とした事業間連携・課題間連携・分野間連携の強化
2. 国際連携の強化及びその促進に資する国内体制・基盤の強化
3. 若手研究者の人材育成
4. 先進的医療実現のための最先端の研究開発・環境整備の一層の加速・充実

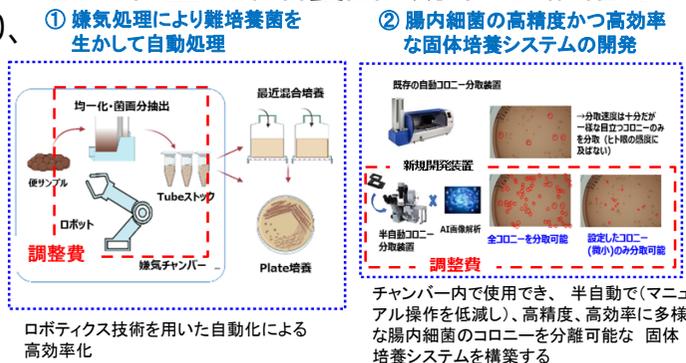
【調整費配分のポイント】

- 事業間・課題間で連携を進めることにより、研究開発の飛躍的な発展が期待できる連携課題を後押し。
- 最先端の設備を導入することにより、研究開発の一層進展や基盤強化が行えることに加え、他機関への共用により、研究領域全体の発展にも寄与する課題を積極的に後押し。

【重点支援する課題(例)】

■ 生菌製剤開発に資する難培養菌の単離・培養技術の開発

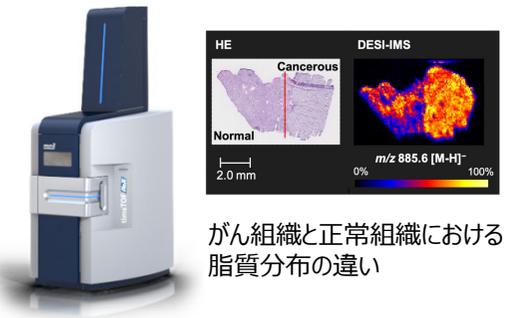
- 「容易に培養できない菌」である難培養菌が、特定の医薬品の薬理効果に影響を与える等、新たに重要な生理的役割を担っていることが示された。
- 慶応義塾大学の腸内細菌培養技術と産業総合研究所のロボティクス技術を組み合わせることで、難培養菌の単離・培養技術を飛躍的に発展させることを目指す。
- これにより、創薬シーズとして有望な難培養菌の効率的・網羅的な培養が可能となり、創薬シーズ探索の加速化、生菌製剤開発における世界的な競争力強化に繋がる。



■ 皮膚バリア破綻・修復機序に関わって変動する脂質の組織内分布の可視化

- 皮膚バリア破綻・修復機序に関わって変動する脂質を同定したため、次に組織内局在と偏在を可視化する必要が生じた。
- そこで、最先端のイメージング質量分析計を導入し可視化を行い、世界に先駆けて組織の恒常性の破綻や維持に関わる機序を解明し、それに基づき乾癬、アトピー性皮膚疾患等の新規治療法の開発を目指す。
- 研究者のニーズが高いイメージング質量分析計をオープンに利用可能とし、疾患や損傷治癒のメカニズム解明に大いに資するとともに、国全体の解析基盤の構築にも繋がる。

【イメージング質量分析計を用いた解析例】



2. 国際連携の強化及びその促進に資する国内体制・基盤の強化

3. 若手研究者の人材育成

【調整費配分のポイント】

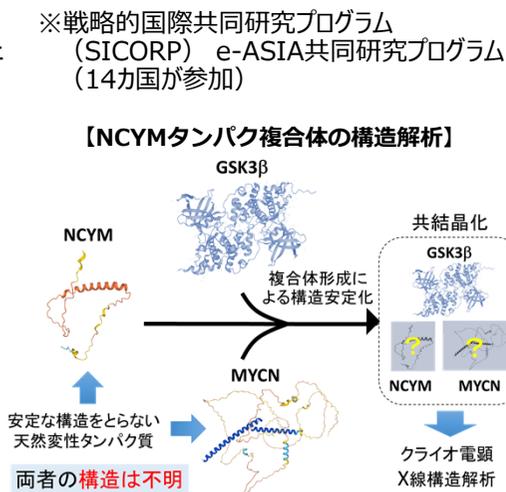
- 日本のみならず、世界的にも課題となっている疾患について、国際共同研究で得られた成果を更に発展させることにより、成果創出の加速が期待できる課題を支援。
- AMED-FLuX※等の産学協働事業の対象となり得る若手研究者によるシーズ研究を、企業が求める成果に発展させていくための研究開発を積極的に支援。

※「AMED-FLuX」とは、アカデミアと企業のシーズをめぐるギャップを埋めることを目指し、アカデミア研究者と企業有識者に自由闊達な議論を通じ、創薬に関する理解を深め合うことなどを目的とした会議体。有望なシーズを見出す目利き機能を果たし、進むべき創薬プロセスをガイドする役割も担う。

【重点支援する課題(例)】

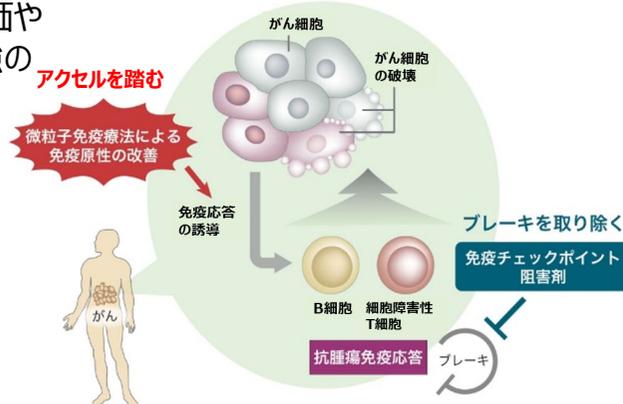
■ がん特異的なタンパクNCYMを標的とした肝がんの新規治療薬開発

- アジア太平洋地域における肝がん発生率は、世界の全症例の約75%を占めていることから、アジア諸国を中心とした地域共通課題の解決を目指す多国間共同研究プログラム※を活用し、NCYMの制御機構の解明と肝がんの新規治療法の開発を目指している。
- NCYMは構造が不安定で合成・精製が困難であったが、実験条件の最適化により、これに成功し、構造や動態の解析が可能になった。そこで、クライオ電子顕微鏡やX線構造解析により、NCYM標的治療薬を設計するための構造解析を進める。
- 日本人を含むアジア人に特異的な肝がんに対する世界初のNCYM標的治療薬の創出の加速が期待される。



■ がん細胞の免疫原性を標的とした微粒子免疫療法の研究開発

- がん細胞が免疫応答を誘導する性質（＝免疫原性）を高めるような微粒子（金ナノ粒子）をデザインし、これをがん免疫療法に応用することを目標に研究が進められている。
- AMED-FLuX会議において複数の企業有識者から、本技術の実用化のためには体内動態等のヒトへの外挿性に係るデータの拡充と薬物作用機序の詳細な解析が重要であるとの指摘を受け、ヒトモデル系での金ナノ粒子の動態評価や免疫系細胞の機能増強のメカニズム解明を行う。
- 将来的には、免疫チェックポイント阻害剤の効かないがんへの新規治療法開発につなげていく。



4. 先進的医療実現のための最先端の研究開発・環境整備の一層の加速・充実（1）

【調整費配分のポイント】

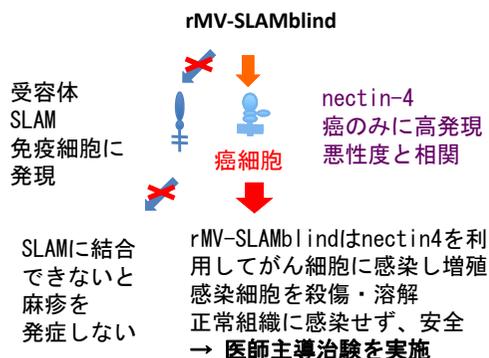
- 世界初など国際競争の中で日本が優位性を有する研究開発や、国際的に進展が目覚まし研究領域について、更なる研究開発の加速・充実、早期特許取得等が重要である課題を中心に支援。
- 一刻も早く新たな治療法等を実用化できるように、研究開発の一層の加速や検証を実施すべき課題を重点的に支援。

【重点支援する課題(例)】

■ 遺伝子組換え麻疹ウイルスを用いた抗がんウイルス療法の免疫応答解析による作用機序解明

- 腫瘍溶解性麻疹ウイルス(rMV-SLAMblind)は、悪性の高い腫瘍で高率に発現する受容体を認識して腫瘍細胞を直接溶解する新たな治療法である。
- 今般、rMV-SLAMblind自身の殺傷能力だけでなく、免疫による腫瘍殺傷効果を示す新たな知見が得られたことから、この治療法の作用機序を科学的に明確にするべく、調整費において詳細な免疫応答解析を実施する。

- これにより、薬事承認にあたって必要なエビデンスを整理することができ、将来的には、治療選択がなくなったがん患者に対して新たな治療手段の提供も期待できる。

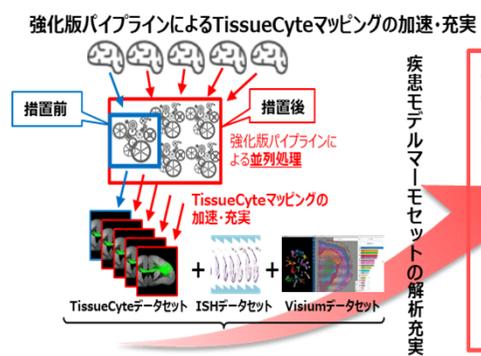


■ 霊長類（マーモセット）の高次脳機能の全容をニューロンレベルで解明する世界初のモダリティ統合的な脳構造・機能アトラスの充実・強化

- 令和3年末に一般公開した世界初の高密度高精細なマーモセット脳TissueCyte※データの国際的な優位性を更に盤石なものとするため、生データから公開データへの処理を高速化し、全脳皮質マッピングを加速させるとともに皮質下領域及び病態回路マッピングの充実を図る。

※自動的に切り出した断面の蛍光を連続撮像する最新2光子顕微鏡システム。

- これにより、自閉症・神経変性疾患・認知症などの疾患モデルマーモセットの遺伝子変異、脳機能異常及び行動異常の因果関係の包括的な解析が著しく進展し、精神・神経疾患の治療研究の一層の加速が期待できる。



4. 先進的医療実現のための最先端の研究開発・環境整備の一層の加速・充実（2）

■ がん、難病の全ゲノム解析プラットフォームの高度化、創薬研究の基盤整備

- 最新鋭のロングリード技術を用い、多様ながんゲノム異常の全体像を明らかにし、高精度な全ゲノム解析を実施する。併せて、がんの特性に応じたマルチオミクスデータの取得や解析手法を導入し、解析プラットフォームの高度化を図り、がん分野の世界における研究開発競争力の強化を目指す。
- また、未診断疾患を中心に難病の全ゲノム解析を行い、難病の診断精度を向上させるとともに、オミクス解析の追加により創薬に向けた基盤的研究を進める。

世界動向の急速な変化

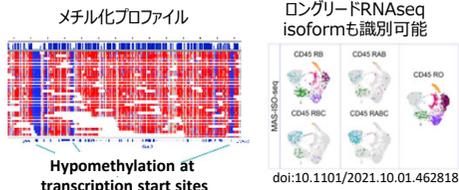
高精度ロングリード等の技術革新による新たなマルチオミクス解析の高まるニーズ

ロングリード解析

ショートリードでは見つけられない構造変異

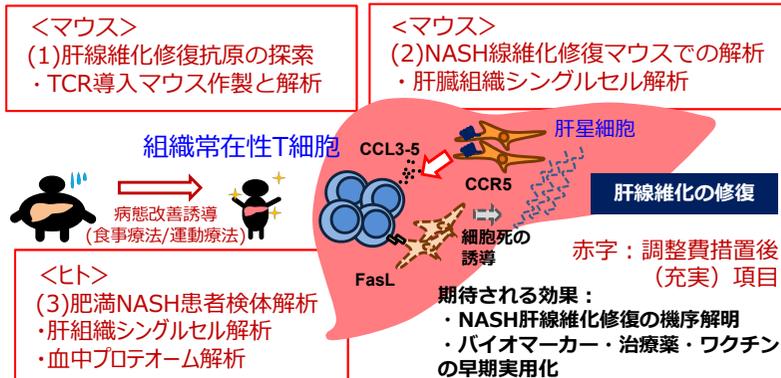


マルチオミクス解析



■ 脂肪性肝炎における肝線維化修復の根幹的な機序解明

- (1)肝線維化修復する組織常在性T細胞のT細胞受容体（TCR）導入マウス作製と解析、
- (2)非アルコール性脂肪性肝炎（NASH）モデルマウスでの肝臓1細胞レベルの網羅的解析、
- (3)高度肥満NASH患者の肝臓組織・血液サンプルの高精度解析を行う。
- これらにより、組織常在性T細胞によるNASH肝線維化修復効果の機序解明が出来、海外の研究者に先んじた特許の申請を行い、肝線維化の予防・治療に効果的なバイオマーカー・治療薬・ワクチンの実用化が早期に実現できる。



■ 遠隔医療における心不全早期検出システムの実現

- 携帯型心電計より得られる I 誘導心電図情報のみから心不全の有無と程度を検出できる世界初のシステムで、既往歴のある心不全患者へ再発時の早期発見・介入を可能とする。
- 開発構想時は、特定の心不全原因疾患への適用を想定していたが、開発を進める中で、全ての心不全原因疾患患者と健常者への適用が可能であることが判明したため、適用範囲拡大と検査精度向上を目指すべく、調整費を活用し多施設臨床研究を行う。

