

各統合プロジェクトの最近の取組

日本医療研究開発機構

【目次】

1. 医薬品プロジェクト	3
2. 医療機器・ヘルスケアプロジェクト	12
3. 再生・細胞・遺伝子治療プロジェクト	14
4. ゲノム・データ基盤プロジェクト	17
5. 疾患基礎研究プロジェクト	20
6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト	24

1. 医薬品プロジェクト

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3年度の主な取組・成果

● 令和3年度に15件の承認を達成した。（令和3年3月時点）

<事例①>

代表的な小児がんである神経芽腫に対してジヌツキシマブが承認
- 小児がん用抗がん剤で初めての医師主導治験による国内承認取得 -

世界で初めて、神経芽腫に特化して開発された遺伝子組換えキメラモノクローナル抗体で、わが国において数十年ぶりに神経芽腫に対して承認された新薬

研究代表者：原 純一（大阪市立総合医療センター）

<事例③>

自己免疫疾患である難治性の天疱瘡に対してリツキシマブが承認
- 医師主導の国内第II相臨床試験等にて薬事承認を取得 -

国内で500名程度と推測される難治性天疱瘡の患者に対するリツキシマブの有効性が証明され、効能・効果追加が承認された治療薬
 研究代表者：天谷 雅行（慶應義塾大学）

<事例②>

原因不明の全身性強皮症に対してリツキシマブが承認
- 世界初・医師主導治験によって、薬事承認を取得 -

リツキシマブがβ細胞を除去する作用を持ち、全身性強皮症に対して有効性が証明され、新たに保険適用された治療薬

研究代表者：吉崎 歩（東京大学）

<事例④>

希少疾患である唾液腺癌に対してトラスツズマブが承認
- 併せて、治療薬の適応判定を補助するコンパニオン診断薬も承認 -

標準的な薬物治療の確立していない唾液腺がんに対する個別化治療のアプローチによる初の抗HER2薬

研究代表者：秋田弘俊（北海道大学）

1. 医薬品プロジェクト

令和3年度の主な取組・成果

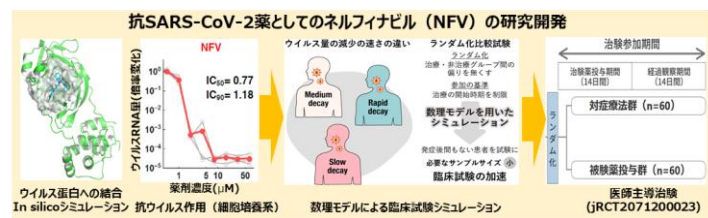
● Covid-19のワクチン・治療薬に関する研究開発を推進した。

<ワクチン>

20課題を支援。支援したモデルナワクチン（武田）が昨年5月に特例承認された。
また、ノババックスワクチン（武田）が昨年12月に承認申請された。
3課題（第一三共、塩野義製薬、kmバイオ）について、厚生労働省事業への橋渡しを実施した。

<治療薬>

50課題を支援。うち、14課題について、臨床試験を実施中。



AMED支援コロナワクチンの開発状況

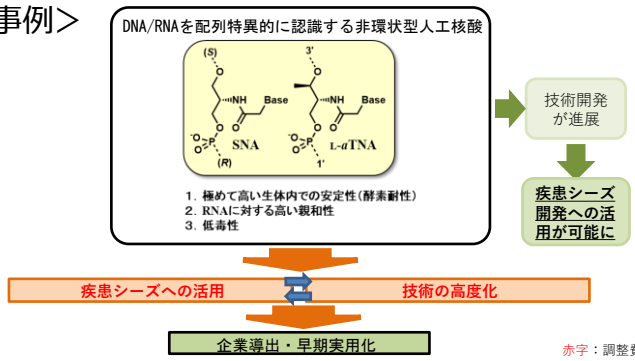
●：支援開始時開発ステージ
○：2022年1月開発ステージ

機関名	モダリティ	開発ステージ					実施中の試験
		前臨床試験	探索的試験	検証的試験	申請	承認	
武田薬品工業株式会社（モデルナ社）	mRNA		●			○	21/5/21 特例承認取得
武田薬品工業株式会社（ノババックス社）	組換えタンパク		●		○		21/12/16 製造販売承認申請
K Mバイオロジクス株式会社	全粒子不活化	●		○			21/10/22～第2/3相試験実施中
塩野義製薬株式会社	組換えタンパク	●		○			21/10/20～第2/3相試験実施中 21/12/3～追加免疫試験実施中 21/12/27～グローバル第3相試験実施中
第一三共株式会社	mRNA	●		○			21/11/17～第2相試験実施中
アンジェス株式会社	DNA	●	○				21/8/17～AG0302高用量製剤 第1/2相試験実施中
VLP Therapeutics Japan 合同会社	RNALепコン	●	○				21/10/12～第1相試験実施中

● 先端バイオ技術の疾患横断的な活用により研究開発を加速した。

先端的なバイオ製品創出に向けた基盤技術開発が進展している。基盤技術をプラットフォームとして、疾患横断的にシーズ開発に応用することで、基盤技術の高度化・応用範囲拡大とシーズ開発のブレイクスルーを一挙に実現する取組を開始した。

<代表事例>



基盤技術	研究代表者	追加課題対象疾患
安全な遺伝子治療を目指した万能塩基編集ツールの創出	濡木理	血液障害、心疾患、神経疾患
遺伝性難治疾患治療のための超高精度遺伝子修正法の確立	中田慎一郎	神経筋疾患、血液障害、皮膚疾患
デリバリーと安全性を融合した新世代核酸医薬プラットフォームの構築	小比賀聡	神経疾患、肝疾患、がん、白血病
核酸医薬への応用を目指した非環状型人工核酸の開発	浅沼浩之	神経疾患、がん
難治性がんを標的とした先端がん特異的抗体創製基盤技術開発とその医療応用	加藤幸成	がん

アカデミア医薬品シーズ開発推進会議(AMED-FLuX)

～AMED支援課題の早期実用化に向けた創薬プロセスの適正化と加速を目指して～

アカデミアの
研究成果を
最短経路で
患者さんの元へ

Frank Conference between Academia and Industry for Leading united Translational Research on Academia Seeds

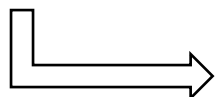
<取組のポイント>

- ・ アカデミアと企業のシーズに関する捉え方に未だギャップが存在
- ・ アカデミア創薬に産業界の意見を取り込み実用化への道のりをより明確化

AMED-FLuX

- アカデミア研究者と企業有識者が自由にディスカッションできる場
- 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
- 意見交換の内容：
 - ・ 医療ニーズと目指す製品のコンセプトを踏まえ、実用化の観点から有望なシーズと判断するために求められることはどのようなものか
 - ・ 次に実施すべき研究開発項目は何か
 - ・ 基礎とする研究開発技術に係る他疾患領域への応用可能性
- 成果の活用：
 - ・ アカデミア研究者及びAMEDは、個別シーズ開発の推進に活用
 - ・ 総論として実用化に向けた課題が抽出された場合、PSPO等と共有し、医薬品PJ全体の課題管理・運営にも活用

AMED・医薬品PJ支援課題
開発早期の具体的なシーズ



企業有識者*：16社より26名（令和3年5月時点）

*創薬研究プロセスの豊富な経験と幅広い多様な専門性を有し、日本の創薬イノベーション全体を盛り上げ貢献するボランティア精神溢れる企業有識者

1. 開催状況

【第1回 AMED-FLuX】 開催日時：令和3年5月28日（金）

【第2回 AMED-FLuX】 開催日時：令和3年8月18日（水）

【第3回 AMED-FLuX】 開催日時：令和3年10月27日（水）

【第4回 AMED-FLuX】 開催日時：令和4年1月26日（水）

- いずれの会議においても、研究者、企業有識者20名以上、岩崎PD、事業PSPO及びDCが参加。
- 会議においては、企業ならではの視点で、シーズ・開発対象の有望性、今後の研究開発に当たっての留意点（研究者が気になっている点が、実は企業側では、現開発段階ではあまり気を払わなくても良い点であるなど、各開発段階でのポイント整理等）について、1 課題当たり 1 時間半を超える充実した議論がなされた。
- 参加した研究者から、以下のようなコメントが届いており、期待に添う成果が得られている。
 - 治療薬開発に向けて目指すべきビジョンがイメージできたのは大きな収穫であった。
 - 全体を通して本研究を好意的に受け取っていただいた印象で、これから研究を進めていくうえで大きなモチベーションとなる。
 - 新しい視点からアカデミア創薬を伸ばして行こうという今回のAMED-FLuXの趣旨、方向性に大変感激した。
- AMED-FLuXの主目的ではないが、参加企業からの協業に向けた検討の申し出があり、研究者との個別意見交換に進む事例も出てきている。

2. 今後の予定

年4回（各回2～3課題程度）を目安に取組を継続していく。

産学官共同Mission-oriented型リバーストランスレーショナルリサーチ創薬プロジェクト (MO型rTR-GAPFREE)

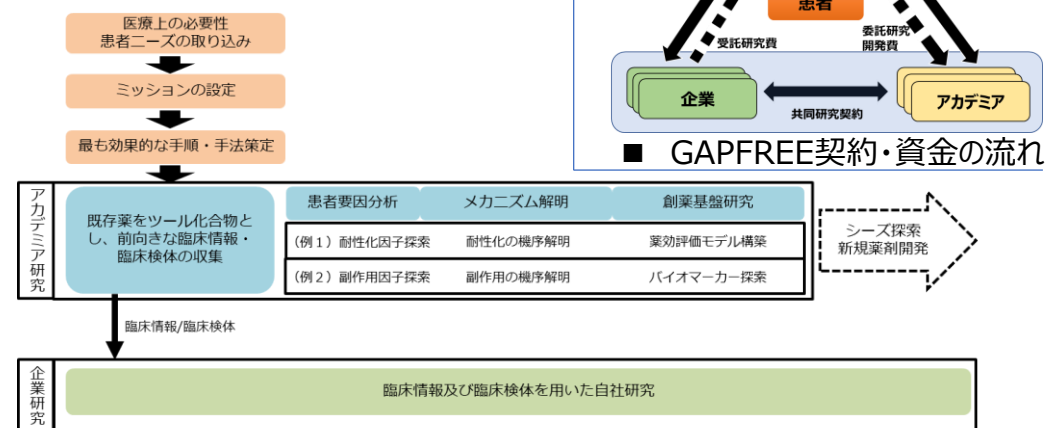
～産学官共同の研究開発プロジェクト（GAPFREE）に、患者さんが参画する新たな試み～

1. 研究開発プロジェクトの概要

- rTR研究を通じた病気の進展や薬剤応答性のメカニズム解明（以下「メカニズム解明」）とそれに伴う創薬基盤研究に対する研究を推進
- アカデミアは、**患者の意見を取り込みながら創薬企業と連携して解決または到達すべき医療ニーズを明確に設定し（ミッションの設定）、そのミッションを遂行するための最も効果的な手順・手法（研究開発計画）を策定し実行**
- 研究開発計画は「**患者・市民参画(PPI)ガイドブック**」を考慮した計画とする。
- 応募時に、ミッションの設定において**患者からの意見書など患者ニーズを取り込んだエビデンスを提出**

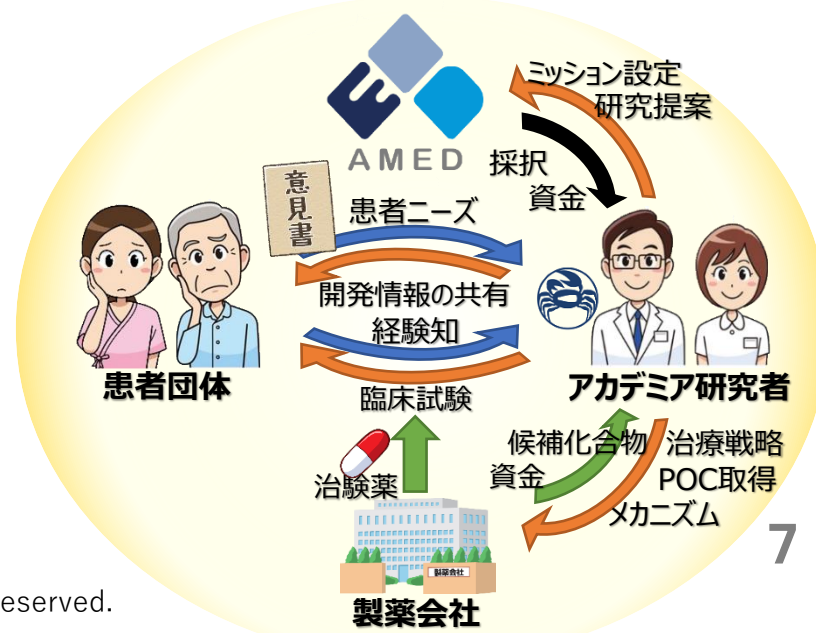
採択時の評価委員会では、患者ニーズに基づく研究の必要性についても議論され、より適切な評価につながった。

■ MO型rTR-GAPFREE 研究イメージ図



2. 採択課題の概要

- 課題名：PI3K阻害剤のプロドラッグ化による新規肉腫治療薬開発に関する研究
- 研究代表者：旦 慎吾（公益財団法人がん研究会がん化学療法センター）
- ミッション設定：**肉腫領域におけるアンメットニーズを充足する新規治療薬の開発**
※患者2団体からの意見書：「肉腫は他のがん種と比べて承認された治療薬が少なく、とりわけ分子標的薬の開発が遅れていることから、有効な新薬を渴望」
- ミッション遂行：
独自に開発を進めてきたシース化合物について、肉腫患者に奏効する可能性が示されている。rTR研究として、肉腫に対するシース化合物の抗がん効果のPOC取得と、より安全で効果的なプロドラッグの開発を実現し、上記ミッションを遂行する。
- 患者団体との今後の関わり：
患者参加型の学会の開催を通じて交流を図り、研究チームによる開発状況を情報共有するとともに、患者の経験知を反映させた開発方針策定・治験プロトコル作成等にご協力いただく。



創薬ブースターとプレオーファン事業の連携概要

「創薬ブースター支援テーマの導出支援」ページ

- ① 創薬ブースター導出候補テーマ一覧（導入希望企業を常時募集）
- ② プレオーファン事業の公募案内（通年公募）

創薬ブースター

導入希望企業：研究開発計画書提出



PIと導出先候補企業との独占交渉期間
(原則6か月間)



導出入に関する契約締結（＝企業導出）



創薬ブースター支援終了

プレオーファン事業（通年）

支援希望企業：提案書提出（年3回取りまとめ）



プレオーファン事業への
採択可否決定（課題評価委員会の開催）
※企業導出前に採択を決定する場合、「導出入に関する契約締結」を条件とした採択とする



プレオーファン事業による補助開始

- プレオーファン事業の通年公募への応募は、支援テーマの導出入に係る独占交渉期開始後から当該テーマの創薬ブースターによる支援終了後3年間。
- プレオーファン事業に採択されたが、創薬ブースターによる支援終了後1年以内に導出入に関する契約締結に至らなかった場合、プレオーファン事業への採択は取り消し。
- 創薬ブースターの支援テーマの導出入に関する契約締結以降にプレオーファン事業による補助を開始。

- グローバルヘルス向上や経済安全保障の戦略的自立に向けて、AMR対策を含むワクチン・感染症研究における主導的役割が求められている。
- 産学官連携や国際連携を強化し、バリューチェーン全体を踏まえた研究開発を推進する。

①現在推進中の課題

- AMEDでは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っており、AMR関連の幅広い研究開発を支援。

■ これまでのAMED支援課題* <研究の性格>

医薬品、医療機器、診断	実態把握、病態解明	基盤整備その他
24	24	8

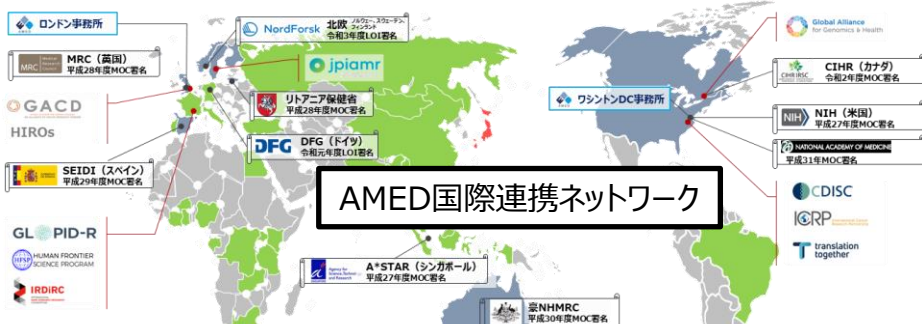
■ これまでのAMED支援課題* <開発フェーズ>

基礎	橋渡し	臨床	その他
26	9	3	18

*「薬剤耐性」にタグ付けされたもの（明らかに感染症以外の疾患を対象とするものを除く）

③ 国際連携

- ・令和3年3月に、「薬剤耐性（AMR）に関するアジア-大洋州ワークショップ」（共催：AMED、豪州NHMRC、ニュージーランドHRC、米国NIAID）を開催。
- ・研究開発動向の共有とアジア-大洋州地域内連携促進を議論。



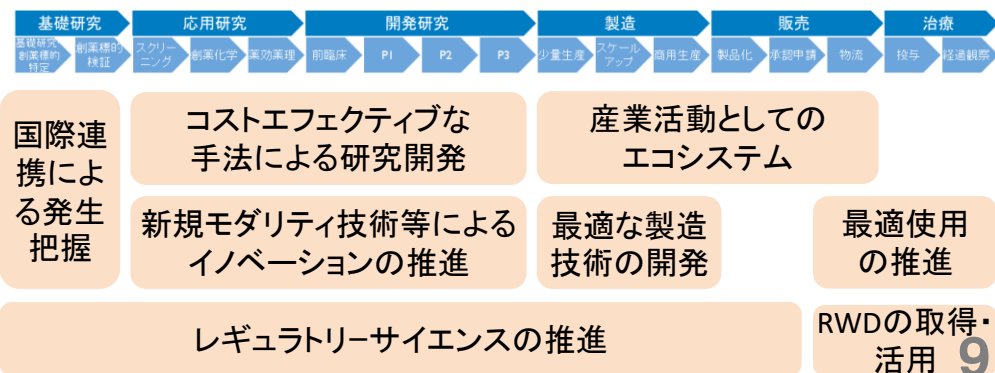
②AMED抗菌薬産学官連絡会

- AMEDの主導により、感染症領域の医療ニーズ及び製薬企業の開発動向等について意見交換し、産学官連携を一層推進。
- 臨床現場で課題になっている薬剤耐性菌に対する日本の創薬研究を支援するため、「AMR創薬研究で標的とする病原菌リスト」を作成。

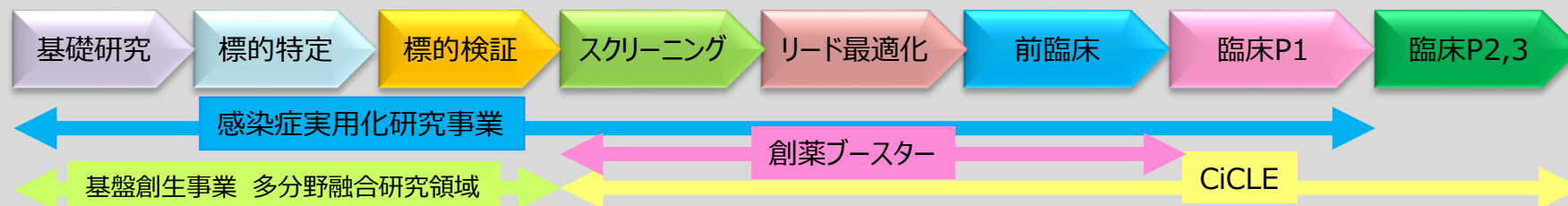


④バリューチェーン構造と研究推進

- 国際的な発生状況把握から医療現場での治療薬提供までのバリューチェーン全体をとらえて、より効果的に研究開発を推進。



AMEDにおけるAMR関係の創薬研究支援テーマ（令和3年8月）



No.	課題名	代表研究者	所属機関	制度	研究ステージ
1	革新的天然物創製法に基づく薬剤耐性菌に対する抗菌薬リード化合物の開発	浅井 禎吾	国立大学法人東北大学	新興・再興感染症研究基盤創生事業 多分野融合研究領域	基礎
2	多剤耐性腸球菌に存在するV-ATPaseを分子標的とした新規抗菌薬の開発	村田 武士	国立大学法人千葉大学	感染症実用化研究事業（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）	基礎～検証
3	抗生物質の再評価と既承認薬の再配置による新規抗菌薬の創製	鈴木 仁人	国立感染症研究所	感染症実用化研究事業（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）	基礎～検証
4	多剤耐性菌を標的とした中分子創薬研究	三澤 隆史	国立医薬品食品衛生研究所	感染症実用化研究事業（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）	基礎～検証
5	網羅的メタゲノム解析を基盤とした革新的なファージ療法の開発	植松 智	大阪市立大学	感染症実用化研究事業（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）	基礎～検証
6	侵襲性酵母様真菌感染症に対する疫学研究及び診断・治療法の開発	宮崎 義継	国立感染症研究所	感染症実用化研究事業（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）	基礎～検証
7	薬剤耐性菌対策に資する新規遺伝子検査法・抗菌治療法の開発研究	崔 龍洙	自治医科大学	感染症実用化研究事業（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）	基礎～検証
8	潜在性結核感染者及び発症高リスク者の検出技術、プライム組換えBCGと追加免疫法、及び多剤耐性結核の治療薬の開発による総合的な結核対策の構築	田村 敏生	国立感染症研究所	感染症実用化研究事業（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）	基礎～検証
9	抗酸菌感染症に対する治療薬（新規治療ワクチン）・潜在性結核診断法開発に関する研究	岡田 全司	国立病院機構近畿中央呼吸器センター	感染症実用化研究事業（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）	P1/2
10	DNW-16014 結核菌必須遺伝子を標的とした抗結核薬の探索	松本 壮吉	国立大学法人新潟大学	創薬ブースター（創薬支援推進事業）	スクリーニング
11	DNW-17017 カルバペネマーゼ等産生多剤耐性菌を抑制する阻害物質及び抗菌性物質の探索	荒川 宜親	国立大学法人名古屋大学	創薬ブースター（創薬支援推進事業）	スクリーニング
12	DNW-19014 SRP（シグナル認識粒子）に作用する抗生剤の探索	尾仲 宏康	国立大学法人東京大学	創薬ブースター（創薬支援推進事業）	標的検証
13	DNW-20004 薬剤耐性 性感染症治療薬の探索	広川 美視	大阪大谷大学	創薬ブースター（創薬支援推進事業）	標的検証
14	DNW-20016 遺伝子Aの薬剤耐性菌におよぼす効果の	阿部 章夫	北里大学大村智記念研究所	創薬ブースター（創薬支援推進事業）	標的検証
15	DNW-20017 ERG25機能阻害による抗真菌薬の探索	知花 博治	国立大学法人千葉大学	創薬ブースター（創薬支援推進事業）	標的検証
16	DNW-21009 非結核性抗酸菌症治療薬創出のための標的検証	港 雄介	藤田医科大学	創薬ブースター（創薬支援推進事業）	標的検証
17	薬剤耐性（AMR）菌感染症治療薬を目的とした創薬研究		大日本住友製薬（株）	革新基盤創成事業部（CiCLE部）	
18	新規迅速遺伝子診断法ならびに非臨床PK/PD理論を活用した新規β-ラクタマーゼ阻害剤（OP0595）の単味製剤の研究開発		Meiji Seikaファルマ（株）	革新基盤創成事業部（CiCLE部）	

創薬関連分野におけるAMED研究奨励金制度について

- 我が国における創薬関連研究分野の優れた若手研究者が国内外の研究機関において研究に専念できるよう、当該研究者個人を対象とした奨励金の支給を行うもの。
- 支援に当たっては、民間資金を活用することとし、趣旨に賛同する製薬企業等から広く寄附を募る。

製薬企業等



寄附金



AMED



奨励金

(所属機関を通じて支給)



交通費・海外渡航費
現地生活費 等

若手研究者



【支援対象者】 若手研究者、【支援期間】 1～3年程度

【支援内容】 交通費・海外渡航費、現地生活費等（研究に関連する費用は支給しない）

【原資】 製薬企業等、民間から広く寄附を募る。受け入れた寄附金は、AMEDにおいて複数年にわたり管理・運用。

【公募】 第1回募集期間：令和2年12月11日～令和3年3月11日

【採択結果】

研究代表者	機関名	役職	研究課題名
岩崎 広高	滋賀医科大学	助教	加齢、糖尿病によるサルコペニアに対する骨格筋を標的とした治療薬の開発
上野 圭吾	国立感染症研究所	主任研究官	Development of the third-generation intranasal vaccine against pulmonary mycosis
梶野 英俊	東京大学	特任研究員	脳における膜電位感受性色素の細胞種選択的な化学的活性化法の開発
元根 啓佑	大阪府立大学	客員研究員	ナノポアを用いた1分子プロテオミクスの実現に向けた「amino acid caller」の開発
安原 敦洋	東京大学	特任研究員	Characterization of antibody and B cells in the development of SARS-CoV-2 and influenza vaccines

【今後の予定】 寄付金の提供状況を踏まえ、適時のタイミングで新たな公募を検討。

2. 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

プロジェクトの概要

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。

令和3年度の主な取組・成果

<事例①>

海外からの供給途絶リスクがある医療機器の開発改良（医療機器等における先進的研究開発・開発体制強靱化事業（医療機器開発体制強靱化））

導入と管理に適したブラッドアクセスチューブの研究・開発

- ECMO等のブラッドアクセスに用いるカニューレの機能改良（抵抗軽減機能・復元性向上）と、安定供給体制の確立を目指している。

図1 現行デザイン（単一樹脂材料、ワイヤ補強無し）

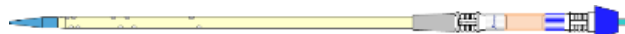


図2 開発品1（編組ワイヤ補強チューブ）

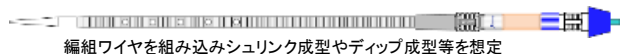
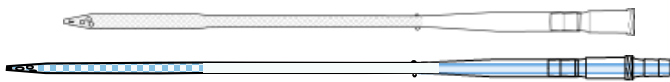
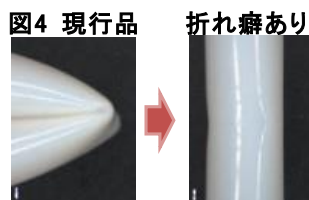


図3 開発品2 拡張機能付きブラッドアクセスチューブ（上：挿入後循環時、下：挿入時のダイレーター操作時）



水色のダイレータをブラッドアクセスチューブに挿入し、先端を押し切ると、拡張部が伸びて縮径することで挿入時の抵抗を軽減

図4 現行品 復元性 耐キンク性



<事例②>

医療機器の実用化に向けた医師主導治験・臨床研究支援（医療機器開発推進研究事業）

麻酔薬投与を自動的に制御するロボット麻酔システムの医師主導治験が完了

- 医師の働き方改革を推進する技術として全身麻酔における薬物投与を自動調節するシステム（ソフトウェア）を開発した。
- 令和2年より計5施設における医師主導治験を開始し、123例の登録症例から安全性及び有効性が確認された。
- 治験結果を開発企業に移管し、薬機法に基づく承認申請を実施し、令和4年以降の販売開始を目指す。



ロボット麻酔システム（イメージ）

事業概要

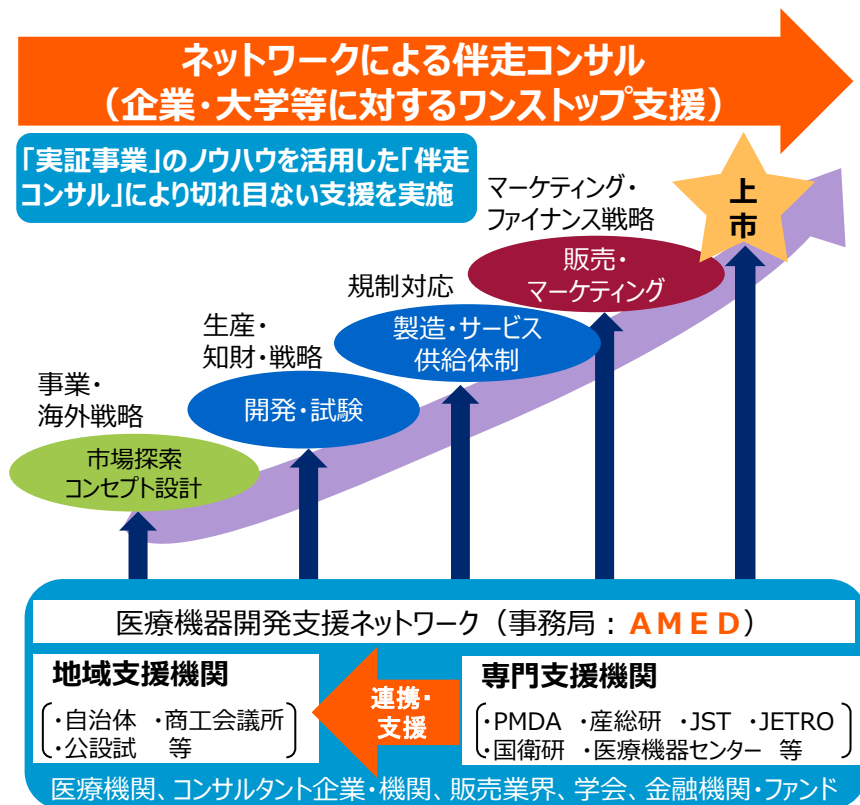
○ 我が国の中小企業が有する高度なものづくり技術を活用した、医療ニーズに応える医療機器開発の事業化を支援します。特に、国際競争力のある日本発の高度管理医療機器の開発やベンチャー企業の参入を促進し、医療機器産業のイノベーションを推進します。

・「医療機器開発支援ネットワーク」（平成26年10月～）を立ち上げ、専門コンサルタントによる対面助言（伴走コンサル）等を行い、切れ目ない支援を実施

・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」を設置

・相談件数はのべ2,964件（令和3年度：154件）に達し、このうち伴走コンサルはのべ1,033件（令和3年度：102件）

令和3年12月31日時点



主な地域支援機関

【北海道・東北地区】

○北海道立総合研究機構 ○青森県
○いわて産業振興センター ○インテリジェント・コスモス研究機構 ○秋田県 ○山形県産業技術振興機構 ○ふくしま医療機器産業推進機構

【近畿地区】

○ふくい産業支援センター
○滋賀県産業支援プラザ
○京都リサーチパーク ○大阪商工会議所
○先端医療振興財団
○奈良県地域産業振興センター
○わかやま産業振興財団

【中国地区】

○鳥取県産業振興機構
○しまね産業振興財団
○岡山県産業振興財団
○ひろしま産業振興機構
○山口県産業技術センター

※医工連携イノベーション推進事業の一部として実施

医療機器生産額

伴走コンサル地方開催

【関東地区】

○つくば研究支援センター
○栃木県産業振興センター
○群馬県産業支援機構
○埼玉県産業振興公社
○千葉県産業振興センター
○大田区産業振興協会
○神奈川科学技術アカデミー
○にいがた産業創造機構
○やまなし産業支援機構
○長野県テクノ財団
○静岡産業振興協会

【中部地区】

○富山県新世紀産業機構
○石川県産業創出支援機構
○岐阜県研究開発財団
○名古屋商工会議所
○三重県産業支援センター

【四国地区】

○とくしま産業振興機構
○かがわ産業支援財団
○えひめ県産業創造センター
○高知県産業振興センター

【九州地区】

○福岡県
○佐賀県地域産業支援センター ○くまもと産業支援財団
○大分県 ○宮崎県 ○鹿児島県 ○沖縄県産業振興公社

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。特に、以下の具体例に示すテーマの研究開発に重点的に取り組む。

令和3年度の主な取組・成果

- 再生医療技術の研究段階から臨床実装を実施中。（代表事例を次ページに記載）

- 疾患特異的iPS細胞に資する研究開発を実施中。

＜代表事例＞

AI画像認識により細胞の老化度をスコア化、血管老化を抑制する薬剤候補同定に成功—高速で低コストな大規模創薬スクリーニングを実現—
研究支援：再生医療実現拠点ネットワークプログラム

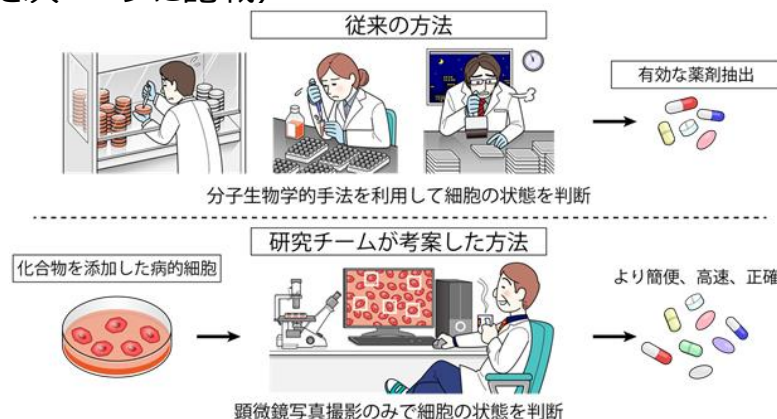
慶應義塾大学医学部の湯浅慎介専任講師、同予防医療センターの楠本大助教らの研究グループは、人工知能（AI）を用いた新しい創薬スクリーニング手法（Deep-SeSMo）の開発を行い、血管内皮細胞の老化を抑制する薬剤候補を同定することに成功した。

- 再生・細胞医療に関する基盤整備事業を設置した。

平成28年度より、日本再生医療学会を中心に再生医療の知識・経験を有する大学、医療機関、企業団体が参画する連合体『日本再生医療ナショナルコンソーシアム（以下、NC）』を構築し、高度な技術を要する再生医療等の臨床研究及び医師主導試験等の支援・受け入れに対応可能な『再生医療等臨床研究推進モデル病院』とNCが連携することで、我が国の再生医療等の実用化を推進する支援を行ってきた。社会実装を推進する基盤を整備する事業として、より実用化を意識した事業として本年度より開始した。

- 再生・細胞医療・遺伝子治療に関する産業化促進事業を設置した。

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、再生医療と遺伝子治療を統合して支援する再生・細胞医療・遺伝子治療産業化促進事業を設置し、当該領域でのベンチャー支援の推進を開始した。



3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

令和3年度の主な取組・成果

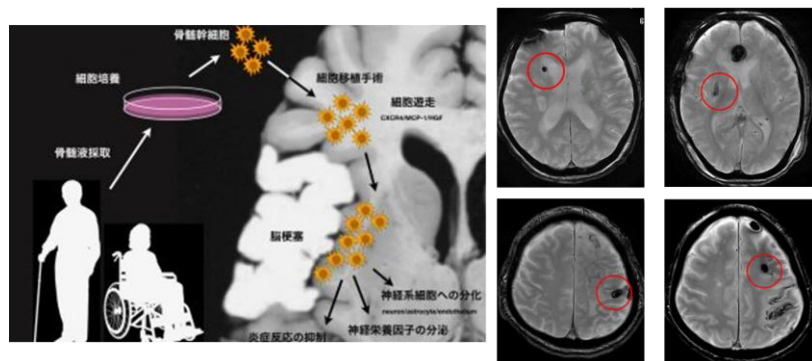
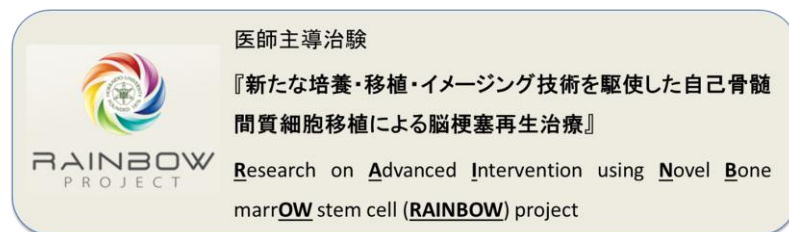
＜再生医療技術の研究段階から臨床実装に関する代表事例＞

脳梗塞に対する再生医療等製品の研究開発 —医師主導治験 RAINBOW研究の結果報告—

研究支援： 再生医療実用化研究事業

北海道大学病院脳神経外科（藤村幹教授）の研究グループは、脳梗塞になり重度の麻痺が生じた患者さんに対して、患者さん自身の骨髄から製造した自家骨髄間質細胞（BMSC）製品（HUNS001）を脳内に移植する医師主導治験を行い、その安全性や有効性を調べた。

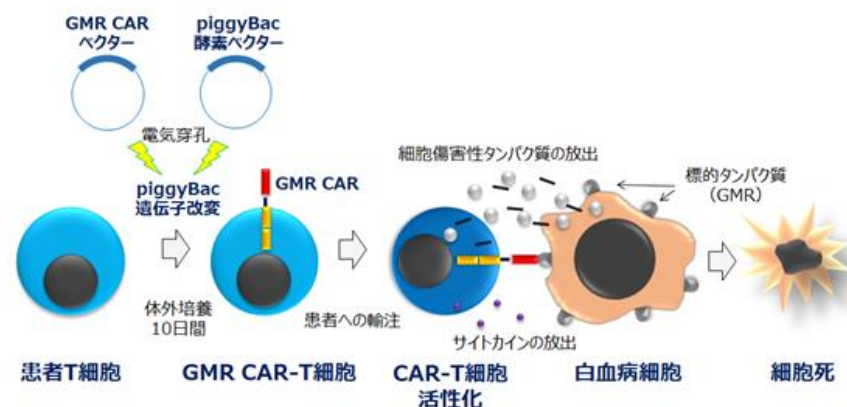
安全性に関しては、HUNS001の脳内移植が原因と考えられる重大な合併症はありませんでした。有効性に関しては、個人差が大きいものの、患者さんが自力で歩行できるようになる例もあり、機能回復が推定される結果であったと考えている。



世界初、非ウイルス遺伝子改変GMR CAR-T細胞を用いた医師主導治験（ヒト初回投与試験）開始

研究支援： 革新的がん医療実用化研究事業、
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

信州大学医学部附属病院（以下、信大病院）小児科 中沢洋三教授らの研究グループは、世界初のGM-CSF受容体（CD116／CD131複合体、以下、GMR）を標的とするキメラ抗原受容体（CAR）-T細胞の臨床開発を進めています。このたび、急性骨髄性白血病および若年性骨髄単球性白血病（CD116陽性骨髄系腫瘍）の患者を対象として、GMR CAR-T細胞療法の安全性と有効性の評価を目的とした第I/II相医師主導治験（ヒト初回投与試験）を開始した。



3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

「再生・細胞医療・遺伝子治療事業(文/厚/経)」支援課題(抜粋)の
進捗状況

文科省(厚労省・経産省)作成資料
(令和4年4月末時点)

第8回再生・細胞医療・
遺伝子治療開発協議会
令和4年5月31日
参考資料3

	再生・細胞医療・遺伝子治療								iPS創薬
対象疾患	眼	神経	循環器	消化管・ 肝・膵	骨・軟骨・関節	血液・免疫	その他	がん	創薬(薬剤名)又は病態 解明を目指す疾患
臨床応用に至った研究・開発 再生医療等製品名		重症心不全 ハートスタート 【H27年9月条件・期限付承認】 ~H29	全身性強直性 自覚神経痛 移植による血管 再生療法 【R3年7月先進 医療開始】		膝関節の軟骨疾患 ジャック 【H24年7月承認】 ~H30	急性移植片対 宿主病 テムセル®HS注 【H27年9月承認】 ~H27	腹圧性尿失禁 セル・ワンセル 【R4年2月承認 承認】 ~H30	子宮頸がん TIL療法 【R2年12月先進 医療承認】 悪性神経膠腫 デリダ®注 【R3年6月条件・ 期限付承認】	
臨床研究/治験 の初回を完了した研究・開発	加齢黄斑変性 加齢黄斑変性 水疱性角膜炎 角膜上皮幹細胞 眼移植	低酸素血症 脳梗塞	左室低形成症 群 ~H27 重症下肢虚血 ~H28	術後食道狭窄 ~H29 肝硬変 ~H28	半月板損傷 軟骨欠損 難治性骨折 ~H28		難治性四肢潰瘍 ~H29 中耳炎 ~H30 肺炎腫 ~H29 表皮水疱症 ~H30 歯周病 ~H28	成人T細胞白血病 腎臓腫瘍	
臨床研究/治験 を開始した研究・開発	網膜色素変性症 網膜色素変性症 水疱性角膜炎	パーキンソン病 重症急性脊髄損 傷 脳梗塞 ~H28 脊髄損傷 ~H28 筋萎縮性側索硬 化症 ~H28 筋萎縮性側索硬 化症	心不全 心不全 虚血性心筋症 急性心筋梗塞 ~H28 末期腎不全 (シャント再建)	潰瘍性大腸炎 食道狭窄 肝硬変 ~H30 肝硬変 ~H27 クローン病 ~H30 がん術後消化管 閉塞 肝硬変 ~H29 代謝性肝疾患 肝硬変	軟骨損傷・欠損 膝関節軟骨欠損 ~H27 膝軟骨損傷 ~H27 変形性膝関節症	血小板減少症 移植片対宿主病 原発性免疫不全 症 ~H30 生体肝移植時免 疫寛容	難治性四肢潰瘍 ~H29 中耳炎 ~H30 肺炎腫 ~H29 表皮水疱症 ~H30 歯周病 ~H28 歯周病 家族性高コレス ロール血症 先天性代謝異常 ~H30 シェーレン症候群 筋ジストロフィー	卵巣がん 悪性リンパ腫 急性骨髄性白血 病他 頭頸部がん 十二指腸腫瘍 胆管がん 前立腺がん	進行性骨化性 線維異形成症 (シリウス) 筋萎縮性側索 硬化症(ロビニ ール塩酸塩) 筋萎縮性側索 硬化症(ボスチ ニブ)
非臨床研究		慢性期不全 脊髄損傷	閉塞性動脈硬化 症 下肢虚血	肝疾患 代謝性肝疾患・ 肝硬変 糖尿病	変形性膝関節症 骨折		家族性高コレス ロール血症 熱傷創 ニモロピカ病	子宮頸がん 難治がん 悪性軟部腫瘍 悪性中皮腫	成人T細胞白血 病リンパ腫 リンパ腫 T-NHL
応用研究 非臨床POC取得まで	ドライアイ 網膜色素変性症 ~R01	脳梗塞 慢性期完全 脊髄損傷 脊髄小脳変性症 脳梗塞 遺伝性難聴 筋萎縮性側索硬 化症 筋萎縮性側索硬 化症	心筋症 拡張型心筋症 ファブリー病/拡 張型心筋症	糖尿病 ~H29 肝硬変 ~H29 肝硬変 クローン病 肝線維症 肝硬変		血液疾患 高IgE症候群 高IgM症候群	筋ジストロフィー LOH症候群 下垂体機能 低下症 慢性腎臓病 低コファインシ ン酸	表皮水疱症 先天性代謝異常 OTC欠損症等	精神・神経疾患 血液・免疫疾患 骨・軟骨疾患 呼吸器疾患 筋疾患 軟骨形成性 ~H28 下垂体疾患 心筋症 致死性不整脈 を起こす心筋症 内分泌・代謝疾 患 早老症 遺伝性腎疾患 てんかん性脳症 ダウン症 拡張型心筋症
基礎研究		脳梗塞 自閉スペクトル 症 脳疾患 脳梗塞 ~H30	心筋梗塞後の 心不全(心筋リ プログラミング) 潰瘍性大腸炎 心疾患(心筋の 成熟化を誘導) ~H30	糖尿病 ~H30 潰瘍性大腸炎 肝線維化 1型糖尿病	軟骨組織	血液疾患 ~H30 移植時免疫抑制 血小板減少症 造血幹細胞輸血	難治性呼吸器疾 患 軟骨損傷 腎不全 ~H30 皮膚潰瘍	妊娠高血圧症候 群 筋ジストロフィー 新生児肺障害	肺がん 臓器線維症 肝線維化 ~H30 成育期疾患 運動神経疾患 ミトコンドリア病 無虹彩症 先天性代謝異常 心疾患
基盤整備	国内医療機関からのヒト(同種)体幹細胞原料の安定供給モデル事業 再生医療産業化促進基盤整備 再生医療臨床研究促進基盤整備事業 再生医療実用化研究事業 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								再生医療技術を用いた創薬支援基 盤技術の開発 疾患特異的iPS細胞バンク事業

種別分類:	細胞:	他家iPS細胞 を用いた課 題	自家iPS細胞 を用いた課 題	ES細胞を用 いた課題	体性(幹)細胞 を用いた課 題	「ダイレクトリ プログラミング」 を用いた課題	疾患特異的 iPS細胞を用 いた課題	ベクター:	ex vivo 遺伝 子治療課題 (ウイルス)	ex vivo 遺伝 子治療課題 (非ウイルス)	in vivo 遺伝 子治療課題	ゲノム編集 技術を用い た課題
事業別分類:	① 文部科学省 再生医療実現拠点ネットワークプログラム ② 厚生労働省 再生医療実用化研究事業 再生医療臨床研究促進基盤整備事業 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 ③ 経済産業省 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 ④ または②が③と連携											

注1:AMEDで支援する再生・細胞医療・遺伝子治療に関する課題のうち、①②③に記載されている事業で支援している課題を抜粋して記載 注2:支援が終了した課題は、支援終了年度(末尾に付随する~H数字)における進捗状況で配置

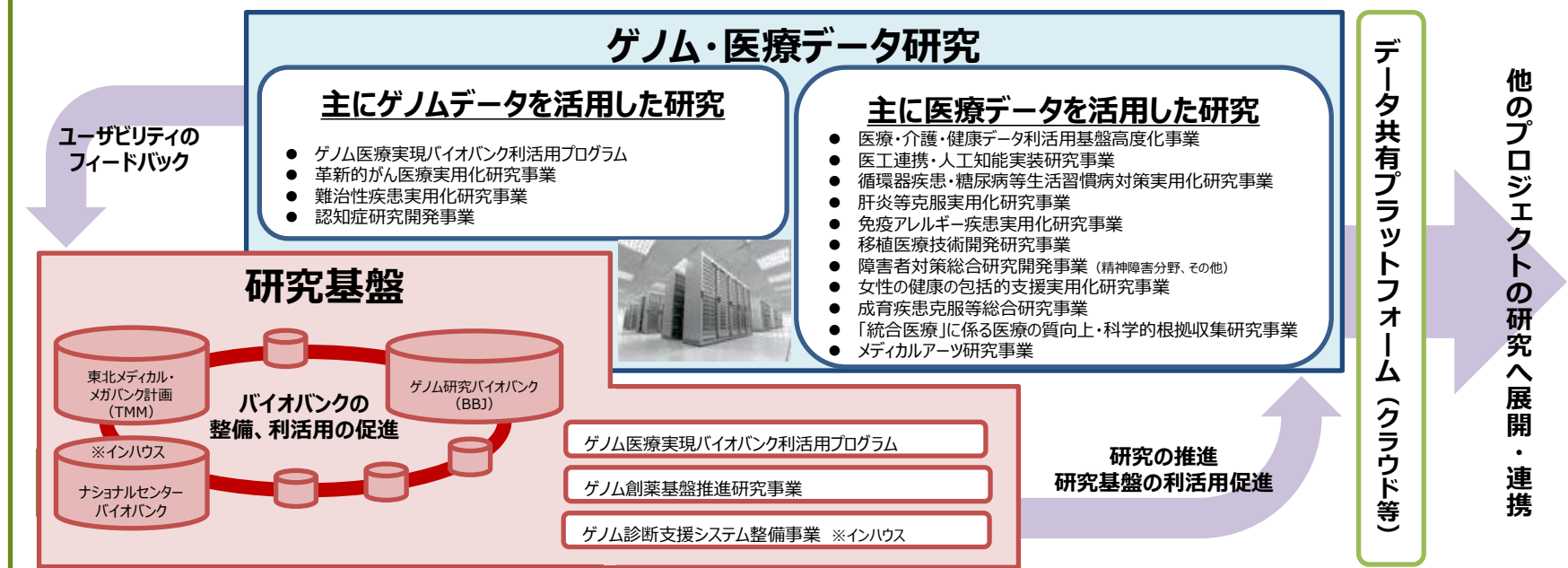
4. ゲノム・データ基盤プロジェクト

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3年度の主な取組・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みを継続しつつ、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技術の研究等を進めている。



4. ゲノム・データ基盤プロジェクト

令和3年度の主な取組・成果

■ 36.6万人規模の大規模ゲノムコホートを構築

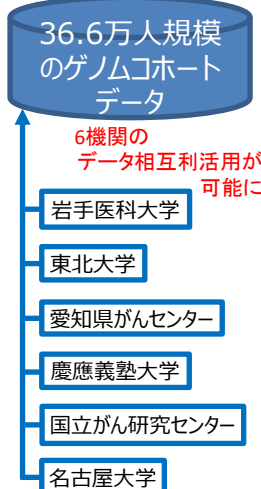
東北メディカル・メガバンク計画では、研究代表機関の主導により国内6研究機関が各コホート研究で収集した情報を相互利用するための包括的な共同研究の枠組みを構築。

この枠組みにより36.6万人規模のゲノムコホートデータを6機関で順次相互活用することが可能へ。

このことにより、日本人の疾患発症に影響を与える遺伝的素因の解明や発症リスク予測モデルの構築などのゲノム疫学研究が促進され、一人ひとりの体質に合わせた個別化医療・個別化予防やリスク予測などの次世代医療の早期実現へ貢献することが期待。

事業名：ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム
(東北メディカル・メガバンク計画)

研究代表機関：岩手医科大学、東北大学
研究期間：令和3年4月～令和8年3月



■ 大規模血清メタボローム解析で日本の個別化医療・疾患予防研究推進へ

日本国内で20万人以上の研究参加者の試料・情報を保有しているバイオバンク・ジャパン（以下BBJ）は、ナイチンゲールヘルスジャパン株式会社との共同研究を開始。本共同研究ではBBJより提供される最大65万本の血清検体を対象に代謝物質の解析を実施。この解析研究により、様々な疾患における日本人の食習慣、生活習慣、遺伝的背景の影響が世界各国と比べて異なっているかどうかなど、これまで明らかにされていなかった側面や新たな知見が得られることを期待。



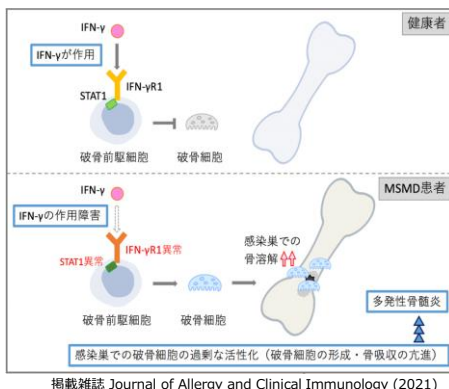
事業名：ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(ゲノム研究バイオバンク)
研究代表機関：東京大学医科学研究所
研究期間：平成30年4月～令和4年3月

■ メンデル遺伝型マイコバクテリア易感染症（MSMD）患者における多発性骨髄炎の発症メカニズムを解明（令和3年6月プレスリリース）

非常に稀な先天性の免疫不全症候群であるMSMD（指定難病65）患者で頻発する多発性骨髄炎の発症メカニズムを探究した

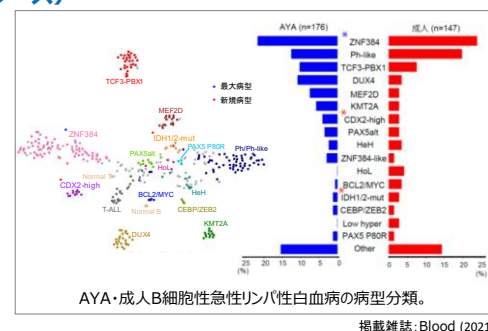
IFN- γ の作用減弱による破骨細胞の過剰な活性化が、多発性骨髄炎の発症に関与する可能性を新規に見いだした

事業名：難治性疾患実用化研究事業
研究代表機関：広島大学
研究期間：令和2年4月～令和5年3月



■ 新しい成人急性リンパ性白血病の分子分類～成人に好発する予後不良病型と日本人最大病型の発見～（令和3年10月プレスリリース）

日本人のAYA・成人急性リンパ性白血病354症例を分類・ゲノム解析をし、85%の症例に分子分類を行った結果、成人に好発する予後不良の2つの新規病型と日本人最大（約20%）の病型の同定に成功した。病型の特徴に応じた最適な治療法の確立と、急性リンパ性白血病の治療にも分子標的薬の有効性を見いだした。



事業名：革新的がん医療実用化研究事業
研究代表機関：名古屋大学
研究期間：令和2年4月～令和4年3月

4. ゲノム・データ基盤プロジェクト

世界最高水準の医療の提供に資するデータ利活用推進基盤の構築

デジタル社会における医療研究開発を推進するプラットフォーム構築に取り組み、データの速やかな研究利用を実現します。

データ利用環境整備

利用者
民間企業を
含めた研究者

データ利用委員会

CANNDs※

データ利活用サービスCANNDsを提供

- 三大バイオバンクを含む多様なリソースから生成されたゲノム・臨床データを横断して利活用できるOne Stopサービス

※Controlled shAring of geNome and cliNical Datasets

データ解析

バイオインフォマティクス研究者の育成

大規模ゲノム解析基盤を整備

- 既存の計算資源の能力を最大化し運用を効率化するクラウド化の推進

情報化

バイオバンク連携を推進

- 試料の情報化（全ゲノム解析等）を推進し安定した利用と付加価値を実現

コントロール群
がん
難病

生体試料

医療
機関

コホート

バイオバンク・
ジャパン

ナショナルセンター
バイオバンクネットワーク

東北メディカル・
メガバンク

研究参加者の同意

三大バイオバンクと横断検索システム

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3年度の主な取組・成果

双方向トランスレーショナルリサーチの推進

- ・ 新興・再興感染症研究基盤創生事業（多分野融合研究領域）の公募において、臨床、臨床医学との連携を評価の観点とする公募であることを明記して公募を実施し、課題を採択、支援している。
- ・ 脳とこころの研究推進プログラム（領域横断的かつ萌芽的脳研究プロジェクト）の令和3年度公募において、「脳病態についてのリバーストランスレーショナル研究」及び「基礎研究で得たシーズ等の実用化に向けたトランスレーショナル研究」として、合計15題採択した。
- ・ 脳とこころの研究推進プログラム（精神・神経疾患メカニズム解明プロジェクト）の令和3年度公募において、「双方向トランスレーショナル研究を基軸にする疾患横断的な精神・神経疾患研究」として、13課題を採択した。

若手育成に関する取り組み

- ・ 新興・再興感染症研究基盤創生事業（多分野融合研究領域）の公募では、原則4割以上が若手研究者となるよう採択するとして二次公募を実施。14課題中、「若手研究者」が代表となる課題を6課題採択、支援開始。
- ・ 免疫アレルギー疾患実用化研究事業では、採択済みの若手研究者課題に対しては、PSPOによる進捗管理ヒアリング等の際に、若手研究者への指導の時間を確保し、PSPOによる指導の拡充を図った。
- ・ 革新的がん医療実用化研究事業では若手研究者を対象としたワークショップを令和4年1月に開催。本ワークショップの目的は、若手研究者に対して、研究への意欲や問題解決につながるきっかけとなり、異分野を含めた新しい出会いの中で人脈を形成する一助となることを期待するもの。

5. 疾患基礎研究プロジェクト

令和3年度の主な取組・成果

国際的に高い価値を有する研究の導出に関する更なる取り組み

- ・ 新興・再興感染症研究基盤創生事業（多分野融合研究領域）では一次公募、二次公募において、海外研究機関との協力を提案に含めることを要件化して公募を実施し、課題採択、支援を開始している。
- ・ 肝炎等克服実用化研究事業では、米国で最大の肝移植プログラム実施施設の1つであるクリーブランドクリニックより共同研究の申し出があり、国際共同臨床試験の実施に調整費を充てるなどして研究の充実をはかった。
- ・ 脳とこころの研究推進プログラム（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）では世界を牽引するマーマセット脳構造・機能データベースの構築を推進。MRIの標準脳にISH、トレーサーデータの統合が進み、マルチモーダルなデータベースとしての価値を高めている。調整費の措置により、標準脳への機能データのマッピングの推進を行った。

統合PJ内、または統合PJを超えた異なる疾患・事業間連携の更なる発展

- ・ 新興・再興感染症研究基盤創生事業（多分野融合領域）では、令和3年度AMED-CREST「感染症創薬基盤」領域との連携を図る二次公募を実施し、課題支援を開始。両事業共通のPO配置等による事業を推進。
- ・ 令和2年度に採択した新型コロナウイルス感染症関連血管炎・血栓症の病態解明研究の4課題に加え、令和3年度は新型コロナウイルスの腸管影響を介した病態解明を行う研究班に調整費を措置。ウイルス蛋白や腸内細菌叢が血管炎・血栓症に与える影響につき研究を推進。複数回の合同MTGを通して、課題間・事業間の連携を強化し、研究開発を効果的に推進。

アウトリーチ活動

脳とこころの研究推進プログラムでは研究者のみならず一般市民も対象とした研究成果報告会やシンポジウムを開催を通じて、社会とのコミュニケーションを図るためのアウトリーチ活動を推進。

5. 疾患基礎研究プロジェクト

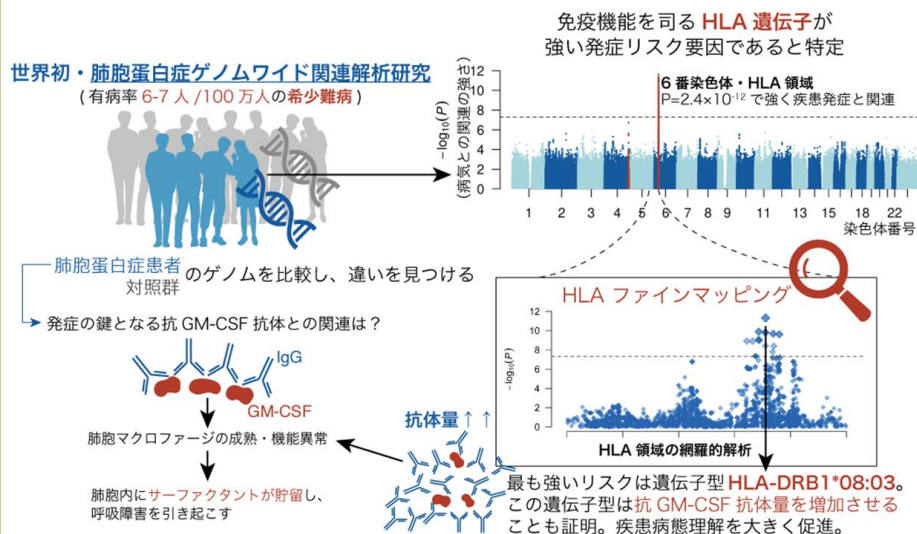
令和3年度の主な取組・成果

創薬・医薬品開発に資する研究開発の推進

<成果事例>

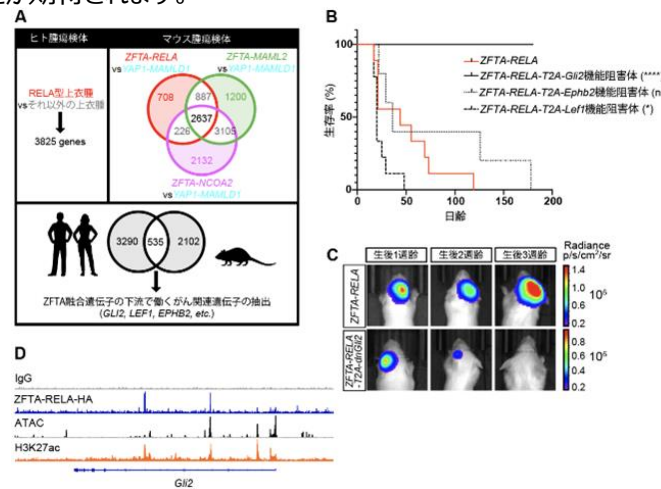
希少難病・肺胞蛋白症の発症に関わる遺伝子を発見
—免疫関連遺伝子HLA領域の遺伝的変異の関与を証明—
 研究支援： 難治性疾患実用化研究事業

肺胞蛋白症は、有病率が100万人に6-7人の希少難病であり、主に中年で発症し呼吸不全が進行していく指定難病です。肺胞蛋白症の発症に関連する遺伝的変異に着目し、肺胞蛋白症の患者群と対照群との遺伝的背景を網羅的に比較するゲノムワイド関連解析を世界で初めて実施し、ヒトの免疫機能を司るHLA遺伝子領域の遺伝的変異が強く発症リスクと関連することを証明しました。肺胞蛋白症の病態理解を大きく進めるとともに、特定したHLAリスク遺伝子型を基にして患者さんごとの臨床病態を予測したり、最適な治療を選択したりする個別化医療の促進に貢献することが期待されます。



小児悪性脳腫瘍の進行に関わる新たながんシグナルを発見
—がんドライバー遺伝子の研究が導く新しい治療戦略—
 研究支援： 革新的がん医療実用化研究事業

小児の脳半球に生じる悪性腫瘍である「テント上上室腫」で、これまで機能が知られていなかったヒト *C11orf95* 遺伝子が様々な遺伝子と融合した複数の異常遺伝子 (*C11orf95* (*ZFTA*) 融合遺伝子) を発見し、小児悪性脳腫瘍の WHO 分子分類名が変更となる国際的な影響をもたらしました。これらの融合遺伝子が腫瘍形成に与える影響について、独自の腫瘍モデル動物を作出して解析を行った結果、いずれの融合遺伝子産物も脳に腫瘍を誘発する活性をもつことを明らかにし、そこで働くがんシグナルとして他の脳腫瘍や基底細胞がんで細胞増殖を担う分子である *GLI2* が主要な原因因子であることを突き止めました。更に、腫瘍モデル動物に *GLI2* の機能阻害剤として知られる三酸化ヒ素 (ATO: 製品名トリセノックス) を投与することで、腫瘍進展が抑制される効果が確認されました。また、脳腫瘍へのより効率的な薬剤輸送に関する基盤的研究開発も進めており、有効な薬物療法の存在しない本疾患に対して、新しい治療法の創出につながることを期待されます。



C11orf95 (*ZFTA*) 融合遺伝子が *GLI2* を介して腫瘍形成を誘発することを証明

(A) *ZFTA* 融合遺伝子の下流で働く分子のスクリーニング図。(B) *ZFTA-RELA* 融合遺伝子とその標的候補分子の機能阻害剤を同時に誘導した場合のマウスの生存曲線。(C) ルシフェラーゼによる化学発光を利用した遺伝子導入細胞の経時的観察。 *GLI2* の機能阻害剤 (dn*GLI2*) により腫瘍形成が完全に阻害。(D) *ZFTA-RELA-HA* 融合遺伝子によってつくられた腫瘍に対して抗 HA 抗体 (青) と抗 H3K27ac 抗体 (オレンジ) を用いた ChIP シーケンス。 *ZFTA-RELA* 融合遺伝子産物は *GLI2* 遺伝子座に結合。

5. 疾患基礎研究プロジェクト

令和3年度の主な取組・成果

臨床上の課題の解決に資する研究開発（rTR）の推進

・事例1：令和2年度に採択した新型コロナウイルス感染症関連血管炎・血栓症の病態解明研究の4課題に加え、新型コロナウイルスの腸管影響を介した病態解明を行う研究班に調整費を措置。ウイルス蛋白や腸内細菌叢が血管炎・血栓症に与える影響につき研究を推進。複数回の合同会議を通して、課題間・事業間の連携を強化し、研究開発を効果的に推進。

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

・事例2：脳とこころの研究推進プログラムでは、認知症や精神疾患等の現代社会が直面する課題の克服に向けて脳科学研究を戦略的に推進。その中でも、基礎・臨床双方からの疾患横断的なトランスレーショナル研究等により、精神・神経疾患の分子的機序の解明等を目指し、精神・神経疾患メカニズム解明プロジェクトでは令和3年度から21課題の研究を開始。

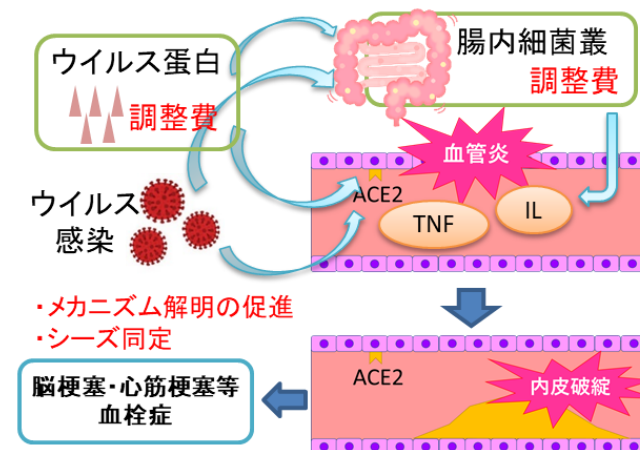
事業名：脳とこころの研究推進プログラム

若手研究者の育成の取組

- 革新的がん医療実用化研究事業では、若手研究者に対して、研究への意欲や問題解決につながるきっかけとなり、異分野を含めた新しい出会いの中で人脈を形成する一助となることを期待して、ワークショップを開催。
- 疾患基礎研究プロジェクトでは、令和3年度公募において若手研究者枠の37課題を採択し研究を開始。

アウトリーチ活動

研究者のみならず一般市民も対象とした研究成果報告会やシンポジウムを開催を通じて、社会とのコミュニケーションを図るためのアウトリーチ活動を推進。



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や、国際共同研究を実施する。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・リサーチや実証研究基盤の構築を推進する。特に、以下の具体例に示すテーマの研究開発に重点的に取り組む。

令和3年度の主な取組・成果

- **画期的なシーズを創出し、基礎研究段階から臨床実装まで研究を実施中。**（代表事例を次ページに記載）
- **革新的先端研究開発支援事業における新規2領域の立ち上げ**
革新的先端研究開発支援事業では、令和3年度に新たに「感染症創薬基盤」領域および「マルチセンシング」領域を立ち上げた。前者では感染症創薬研究を飛躍的に加速させるための基盤および技術の確立を目指した基礎研究を推進し、後者では生体感覚システムおよび末梢神経ネットワークを包括した「マルチセンシングシステム」の統合的な理解とそれらに基づく革新的な医療技術開発につながる基礎研究を推進する。令和3年度は両領域で、AMED-CREST 12課題、PRIME 10課題を採択。また、LEAPでは、世界をリードする顕著な研究成果を加速的に発展させるため、1課題を採択。FORCEでは、ヒト疾患サンプル等を用いて大きな成果展開が期待できる課題を5件採択。
- **橋渡し研究プログラムの先行的実施と産学連携の強化**
毎年安定的にシーズ開発を行うため、橋渡し研究戦略的推進プログラムの令和3年度事業終了を待たずに橋渡し研究プログラムを開始し、複数年支援課題を17件採択（このうちシーズB2件・シーズC1件は、新型コロナウイルス感染症を含む感染症に係るシーズを対象とした公募枠において採択）。さらに、革新的医療技術創出拠点の機能を活用して基礎研究から臨床試験段階まで一貫した研究開発支援を行うシーズ研究費事業等について令和4年度から新事業体制を開始するため、「産学連携医療イノベーション創出プログラム」の強みである産学連携の仕組みを橋渡し研究プログラムに応用して、優れた基礎・応用研究の価値を最大化して効率的に企業に移転し、産学協働でPOC取得を目指すシーズ枠【preF、シーズF】を新設して令和3年度中に公募を開始。

6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト

令和3年度の主な取組・成果

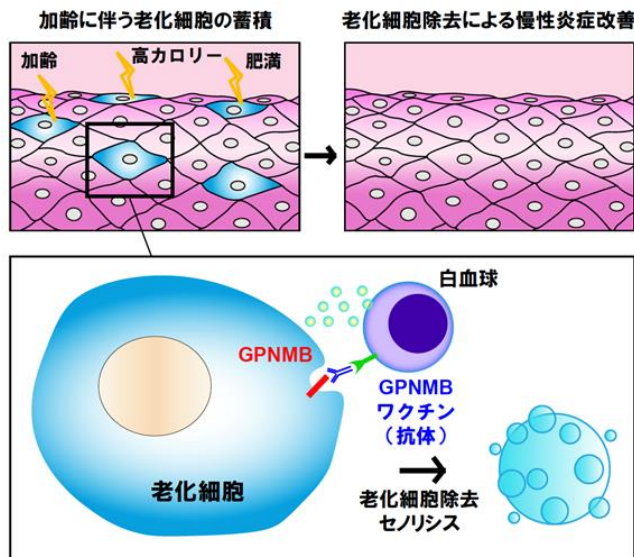
＜研究成果に関する代表事例＞

老化細胞除去ワクチンの開発に成功 —アルツハイマー病などの加齢関連疾患への治療応用の可能性—

研究支援：革新的先端研究支援事業（AMED-CREST 機能低下領域）

【南野 徹 採択時～現在：順天堂大学大学院医学研究科 教授】

- 加齢関連疾患への治療応用を可能にするマウス老化細胞除去ワクチンの開発に成功。
- 老化血管内皮細胞の遺伝子情報から特異的に発現する老化抗原GPNMBを同定。
- 本ワクチンにより、肥満に伴う糖代謝異常や動脈硬化、加齢に伴うフレイルが改善するばかりでなく、早老症マウスの寿命を延長しうることを確認。将来的に、アルツハイマー病を含めた様々な加齢関連疾患の治療への応用の可能性が期待。



本成果は令和3年12月に「Nature Aging」に掲載。

がん細胞を経由するiPS細胞の新しい樹立経路の発見 —遺伝子変異を介さない細胞初期化によるがん化メカニズムを解明—

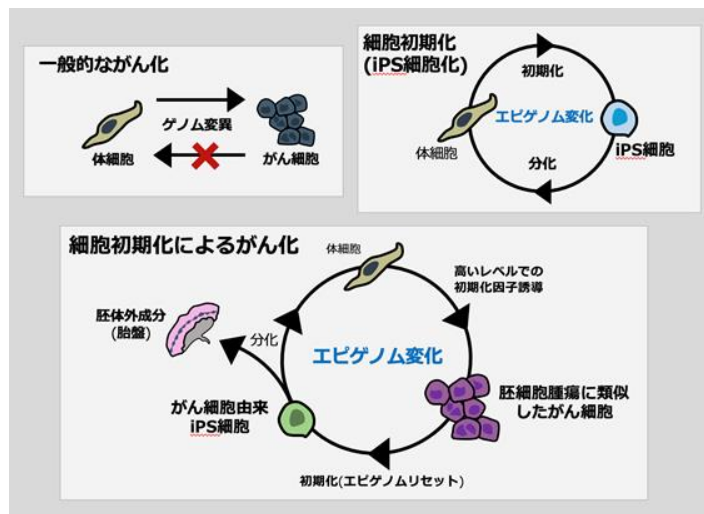
研究支援：戦略的国際共同研究プログラム（SICORP）

革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST）

次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE）

【山田泰広 東京大学医科学研究所 教授】

- 山田教授らのグループは、生体内で細胞初期化（iPS細胞化）を誘導できる遺伝子改変マウスを使用することで、全能性の特徴を持つがんである胚細胞腫瘍の発生過程には、遺伝子変異とは独立した、エピゲノム制御の変化にもとづいた細胞の初期化が重要であることを明らかにした。
- 本研究では、がん細胞を経由するiPS細胞の新しい樹立経路を提示するとともに、特定の遺伝子変異が見つからないがんの発生メカニズムの解明や、その特徴に着目した新規がん治療法の開発につながる可能性が示された。



本成果は令和3年8月に「Nature Communications」に掲載。

6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト

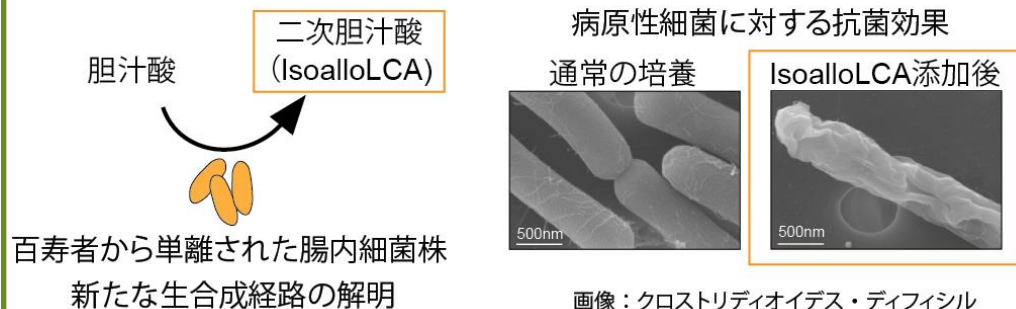
・AMEDの支援により、基礎から実用化まで一貫した研究開発を推進

＜LEAPにおける研究成果事例＞

腸内細菌株カクテルを用いた新規医薬品の創出 ～腸内細菌から産生される健康長寿に関わる胆汁酸～

【本田賢也 慶應義塾大学医学部 教授】(H28～R3 LEAP)

- 腸内細菌は消化器疾患のみならず精神・神経疾患を含め様々な疾患と関連することが明らかになりつつあり、将来的に健康長寿や疾患予防の標的になることが期待。
- 様々な機能を有するヒトの腸内細菌株を同定すると共に代謝化合物を解析し、分子メカニズムを解明。
- AMED-CREST「恒常性」領域（総括 永井良三）よりLEAPにて継承。
- 「次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業」へ継承され、特許出願戦略を含む実用化を展開。
- ヒト感染症に対する予防・治療法、そして健康長寿の秘訣の解明につながる事が期待。
- 本課題の成果は「Cell」「Nature」「Science」誌をはじめ一流国際誌へ多数掲載。
- 最近の成果事例では、百寿者の便中に特定の胆汁酸が多く含まれることを見だし、その胆汁酸を合成できる腸内細菌株を同定。
- この胆汁酸は病原性細菌に対し、強い抗菌活性を示し、健康長寿のメカニズム解明につながる成果として期待。



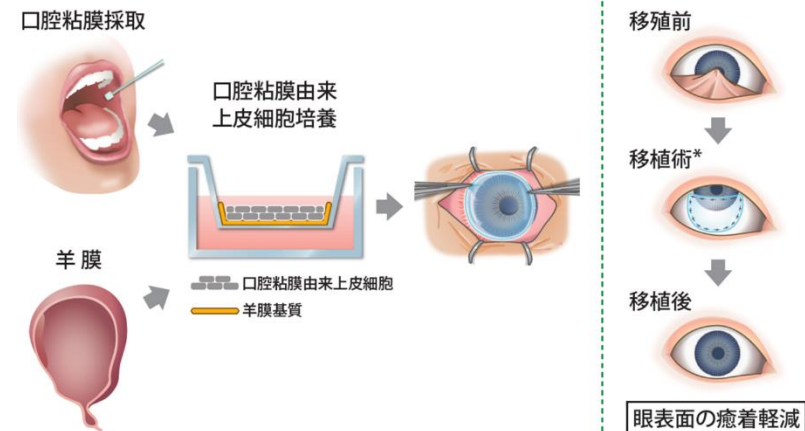
本成果は令和3年7月に「Nature」に掲載。

＜橋渡し研究戦略的推進プログラムにおける薬事承認事例＞ ヒト羊膜基質使用ヒト（自己）口腔粘膜由来上皮細胞シート の製造販売承認

【外園千恵 京都府立医科大学大学院医学研究科 教授】(H29～R1 シーズC)

- 難治性眼表面疾患と呼ばれる疾患群は角膜上皮ステムセルの疲弊により重篤な視力障害を招くが、従来型の角膜移植では効果を得られず、視力改善に有効な治療法がなかった。
- そこで外園教授らは新規治療法として、患者自身より採取した口腔粘膜組織から分離した細胞をヒト羊膜から調整した羊膜基質上に播種・培養して製造した培養自家口腔粘膜上皮シート移植を開発、平成14年に世界で初めて移植に成功。
- 橋渡しシーズCでは、橋渡し研究支援拠点（京都大学）の支援により、難治性眼表面疾患患者（スティーヴンス・ジョンソン症候群、眼類天疱瘡、熱・化学外傷）を対象に培養自家口腔粘膜上皮シート移植の多施設共同医師主導治験を実施し、有効性を確認。
- 導出先のひろさきLI（株）において、令和4年1月20日角膜上皮幹細胞疲弊症における眼表面の癒着軽減を目的とした再生医療等製品として製造販売承認取得。

口腔粘膜上皮細胞シートの製造と移植



・臨床研究等の実施に係る体制の整備及び人材育成の支援

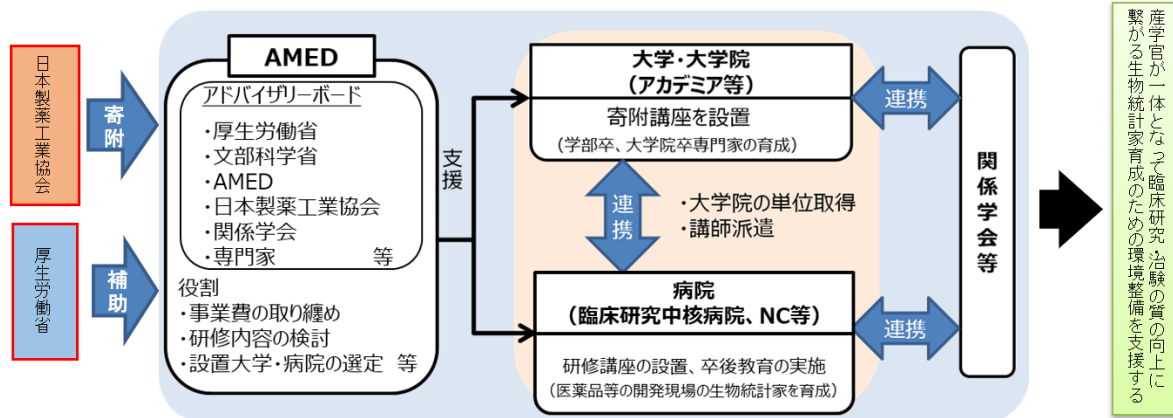
＜臨床研究・治験推進研究事業＞

生物統計家育成事業における若手人材育成

【育成拠点：東京大学、京都大学】（H28～R2, R3～R7）

日本の臨床研究において、欧米と比較して研究支援体制が遅れていることは、これまでに指摘されてきたところである。近年、質の高い臨床研究を行うための体制整備が進められているなか、生物統計家の不足が指摘され、健康・医療戦略においても、「生物統計家などの専門人材及びレギュトリーサイエンスの専門家の育成・確保等を推進する。」と明記されている。質の高い臨床研究を行うためには生物統計家の人材育成が急務である。

- 生物統計家が臨床研究・治験の初期段階から最終段階まで関与することにより、質の高い臨床研究・治験の実施できるとされているが、生物統計家の人材は不足している状況が課題であった。その課題に対し、本事業は実務家としての生物統計家を育成し、臨床研究実施機関（アカデミア等）に送り出すサイクルの確立に寄与。
- 令和3年度末までの修了生56名のうち、43名（77%）が当初の目的通り、アカデミア等に就職。
- 修了生の活躍の事例としては以下の通り。
 - ①臨床試験学会学術集会における演題発表、②ARO協議会学術集会における企画立案、③各地に就職した修了生を中心に若手統計家のネットワークを構築し、情報交換や参加者のスキルアップのための交流会を開催等。
- 令和3年度からは、自立した生物統計家を育成するために既存のネットワークを活用した卒後教育を実施。



注釈：生物統計家とは臨床研究の目的に適合したデータの取り方、過去のデータから推察した予定症例数の設定を検討するなど、統計学的な観点から研究計画書（プロトコル）の作成を支援し、また、得られたデータの統計解析を実施する職種をいう。

＜研究開発推進ネットワーク事業＞

(国民に向けた医学系研究の情報発信)

医学研究成果をわかりやすく発信する手引きの提案

【井出博生（東京大学未来ビジョン研究センター 特任准教授）】（R3）

➤ 目的

科学的根拠に基づいた医学系研究の成果を国民が正しく理解できるように医学系研究者が情報発信するノウハウを構築し、将来的には、研究を国民に対して適切に発表できる人材の育成につなげる。

➤ 研究の背景と概念

- ・医学系研究を読み解くためには、「研究の基本的な知識(研究デザイン、統計など)」「特有の語彙や文脈」の理解が、暗黙のうちに、読者に期待されていることが多く、逆に言えば、“暗黙の既知”を前提に情報発信する医学系研究者と、“暗黙の既知”がない一般の方の間にコミュニケーションギャップが生じると考えられる。
- ・本研究では、文献的レビュー、医学系研究を取り扱った記事のコーパス作成、それらを基にしたアンケートという手順を踏み、コミュニケーションギャップを引き起こす問題を可視化、パターン化した。さらに、多様な立場から議論を行い、解決方法として具体例を多く提示することで、医学系研究を一般にわかりやすく発信する際の手引きを作成した。



(<https://ez2understand.ifi.u-tokyo.ac.jp/about/> を引用・一部改変)