

令和4年度第2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

- 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。
- 以下の方針に該当するもののうち、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。
（計50課題、44.4億円）

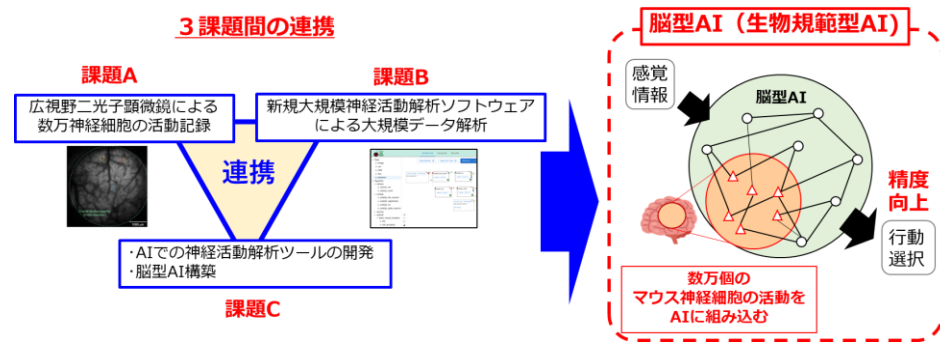
- 1 研究開発の進展を目的とした事業間連携・課題間連携・分野間連携の強化（10課題）
- 2 国際連携の強化及びその促進に資する国内体制・基盤の強化（6課題）
- 3 若手研究者の人材育成（1課題）
- 4 先進的医療実現のための最先端の研究開発・環境整備の一層の加速・充実（33課題）

【重点支援する課題(例)】

- 課題間連携を進めることにより、国際的イニシアチブが獲得できる飛躍的发展が期待できる研究開発を加速。

■ 脳科学とAIの連携による数万個の神経細胞活動を反映した脳型AIの構築

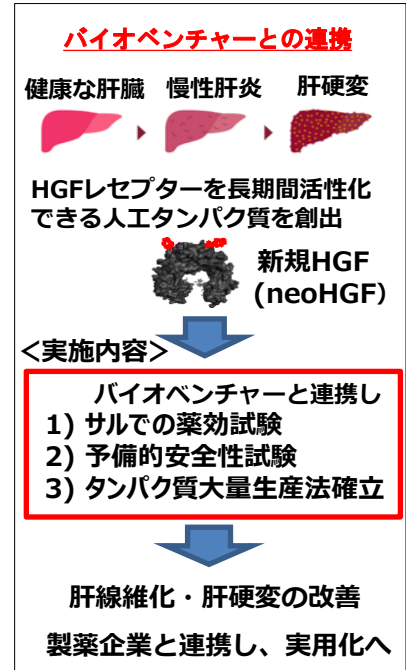
- 感覚刺激から推論し行動決定する複雑な脳機能は、従来のAIでは忠実に再現することが難しく、推論を可能とする実際の神経細胞活動データを組み込んだ脳型AI（生物規範型AI）の構築が重要だが、まだ、その報告はない。
- 数万個の神経細胞活動の同時計測系構築、大規模神経活動解析ソフトウェア開発及び脳型AI構築を実施する3課題が連携し、脳機能を忠実に再現した脳型AIの開発期間を大幅に短縮するとともに、脳科学とAIとの融合分野研究での国際的イニシアチブを獲得する。



- バイオベンチャーとの連携を進めることにより、早期の新薬の実用化を目指せる革新的な研究開発を加速。

■ 新しいタンパク質工学手法を用いた肝線維化治療薬の早期実用化

- 肝線維化・肝硬変の治療薬候補として、肝細胞増殖因子（HGF）の評価技術を持つ金沢大学と、人工タンパク質工学手法を開発した東京大学・大阪大学・バイオベンチャーが共同して、HGFの機能を有し、かつ長期血中動態を有する新規HGF（neoHGF）を創出した。
- 本候補薬剤を早期に臨床試験に繋げるため、バイオベンチャーと連携し、1) サル薬効試験、2) 予備的安全性試験、3) 本タンパク質大量生産法確立を実施する。
- これらのデータの早期取得、特許強化によって、製薬企業との提携を達成し、新薬の早期実用化を目指す。



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

【重点支援する課題(例)】

- 国際共同研究で得られた成果を、相手国研究者や政府、参画企業と共同し、実用化を目指す課題を加速。

■ 医療資源の限られた環境下で導入可能な、早産児救命パッケージの臨床試験の早期開始

- 本機器は、盗用・模倣のリスクが高いため知財保護に早急に取り組むよう対象国からの要請があったこと、およびシエラレオネとラオスにおける観察研究とプロトコルの精緻化が予定より早く進捗したことから、早産児救命パッケージ（簡易保育器、携帯型呼吸補助機器）に関する知財実態調査、知財補強に必要なデータ収集を前倒しで開始する。
- 競合製品に先んじて特許申請、取得を実現することで、将来的にはWHO推奨機器要覧等への掲載を目指す。
- 商標・特許取得、WHO推奨機器要覧等への掲載により、本機器は開発途上国への国際調達等において選定されやすくなり、我が国の医療技術、医療機器の海外展開推進に資する。



簡易保育器



携帯型呼吸補助機器

- 若手研究者が構想する次世代のヒト評価モデル系を基にした感染症創薬に着目し、より臨床予測性の高い創薬プラットフォームに発展させる研究開発を日米連携の下で加速。

■ ヒト臨床予測性の高い評価モデル系構築に向けた次世代型呼吸器チップの開発

- 呼吸器上皮-内皮バリアを再現できる呼吸器チップを開発し、COVID-19を含む呼吸器感染症におけるバリア破綻や血管障害等のメカニズムを解明することに若手研究者のチームが成功した。
- そこで、本呼吸器チップに免疫細胞を搭載し、治療薬やワクチンの開発におけるヒト臨床予測性の高い評価モデルの構築を目指す。
- 日米共同で実施する新規アジュバント開発研究に本評価系を活用することで実用化への成功確度を高めることができる。これはAMED-NIHの日米連携強化にとっても重要かつ強力な取組となる。



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（１）

【重点支援する課題(例)】

- 発がん分子機構が解明されていない希少難治性がんに対して、日本が優位性を有する先進的技術を活用した薬物療法戦略の確立を加速・充実

■ iPS 細胞技術を応用した創薬スクリーニング による希少難治性がん治療戦略の開発

- 今般、本研究課題で確立したがん細胞をiPS化する独自の技術（iPS化技術）により、明細胞肉腫と骨肉腫の治療薬スクリーニング系が確立したことから、多数の薬剤から有効な治療薬候補を効率良く選定・評価可能なシステムを用いて、治療薬候補化合物の選定と非臨床POC評価を行い、早期の臨床開発に繋げる。
- 更に、本研究課題で確立したiPS化技術を活用した戦略的な新規薬剤探索プラットフォームを活用することにより、未だ治療法・治療薬が確立していない希少・難治性がんの新規治療法開発と実用化が期待される。



- 有効な治療薬がない感染症に対して、日本の感染症創薬の蓄積を生かし、治療薬候補分子の新たな有効性評価手法の確立により最先端の治療薬の開発をさらに加速、充実

■ 腸管出血性大腸菌（EHEC）感染症に対する新規治療薬の創生

- 重症のEHEC感染症は有効な治療薬がなく、主に小児において重症化（溶血性尿毒症候群、死亡等）を引き起こすことから、公衆衛生上の大きな脅威である。
- EHECが産生する毒素を標的とする新規スクリーニング法、薬効を評価するための動物モデル及び臨床分離株の分離同定法が新規に確立した。これらの成果により、新たな治療薬のスクリーニングを幅広く、効率的に進めるための体制が整えられた。
- 本研究の充実により、EHEC産生毒素を標的とした新規治療薬の開発がさらに進捗し、EHEC感染症対策に貢献することが期待される。

EHEC治療薬候補の探索及び 感染モデルマウスを用いた評価

- 1) EHEC産生毒素を標的としたEHEC感染症治療薬候補のスクリーニング
- 2) 感染モデルマウスを用いた、治療薬候補化合物の有効性評価
- 3) 感染モデルマウスのRNAや代謝物の網羅的解析→病原性評価及び有効性評価に有用なバイオマーカーの同定

EHECの分離同定

- 4) 分離培養法の改良及び最適化
→新たに臨床検体から分離した
EHECも2)、3)に提供可能

調整費の措置により1)～4)を並行して実施し、EHEC感染症に対する新規治療薬の創生を進捗させる。

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）

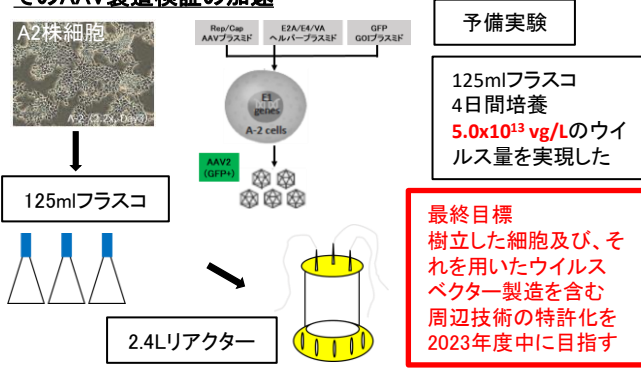
【重点支援する課題（例）】

- 高額ライセンス料が必要な海外製品に代わり得る、新規の国産ウイルス産生宿主細胞株に関する戦略的な特許化の推進。

■ 国産技術によるAAV製造技術の開発加速

- 国産細胞株であるA2株細胞はヒト羊膜上皮細胞を元に樹立された新規細胞株であり、多額のライセンス料の支払いが発生する海外製のHEK（ヒト胎児腎）293細胞が由来のVPC2.0細胞に代わり、アデノ随伴ウイルス（AAV）ベクターを安定かつ安価に製造、供給しうる可能性がある。
- A2株細胞を宿主細胞としてAAV製造に関する培養条件やトランスフェクション条件等の検討を行い、その後、2.4LスケールでのAAV製造検証を行うことで、A2株細胞の戦略的な特許化を推進する。

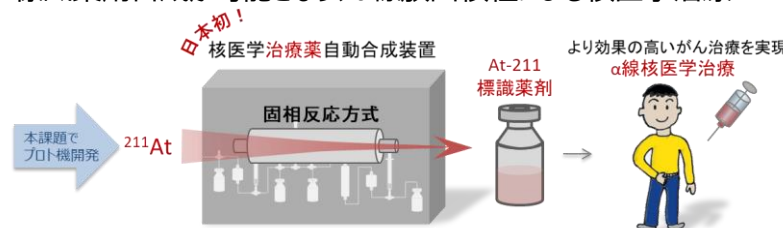
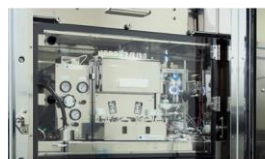
羊膜・絨毛膜由来宿主細胞（A2株細胞）による2.4LスケールでのAAV製造検証の加速



- がんへの高い治療効果が期待されるα線治療用の標識薬剤を簡便・安全に合成できる自動合成装置を開発。
- 世界に先駆けた先進的医療をより多くの患者さんに届けるため治療現場での研究を加速。

■ α線放出核種による核医学治療の普及促進に向けた標識薬剤合成装置の開発

- 日本初の核医学治療薬を製造可能な自動合成装置の開発を目的とする。
- 本装置により、簡便・安全・再現性の高い標識薬剤合成が可能となり、α線放出核種による核医学治療の普及促進が期待される。
- 自動合成装置 核医学(PET)診断薬自動合成装置の開発を前倒しし、臨床試験へ向けた準備を加速する。



■ 初発膠芽腫に対する新規標準治療法の早期確立

- 脳腫瘍の一種である初発膠芽腫に対して、腫瘍摘出率、検証に足る症例数、治療プロトコルの精度の要素を満たし、WHO脳腫瘍分類(2021年)新診断基準で治療効果が検証された標準治療法は全世界的に確立していない。
- 本支援により、手術前後のMRI画像上の特徴とゲノム変異・エピゲノムプロファイル等との関係を検証し、治療効果を評価する統合的遺伝子解析を実施、早期の成果発表を目指す。
- これにより、高いエビデンスを備えた標準治療をより多くの患者や医師に届けることが可能となる。

