

革新的先端研究開発支援事業 LEAP 令和6年度公募説明会

プログラムスーパーバイザー（PS）：

情報計算化学生物学会CBI研究機構

量子構造生命科学研究所 所長

上村 みどり

LEAP (Leading Advanced Projects for medical innovation)



【特徴とねらい】

- AMED-CREST、PRIME、FORCE、JST戦略的創造研究推進事（CERST、さがけ、ERATO）等で創出された世界をリードする顕著な研究成果を発展させる。
- **プログラスマネージャー（PM）**によるイノベーション指向の研究開発マネジメントにより、技術的成立性の証明・提示、および適切な権利化を推進
- LEAPは、基礎研究としては有望ではあるものの現時点で企業などではリスクの判断が困難な成果について、速やかな実用化を目指す。
- 将来において革新的な医薬品や医療機器、医療技術の創出に繋がることで、社会的変革に向けた広がりのある研究開発の潮流が生まれることを期待

LEAPマネージメント体制

プログラムスーパーバイザー (PS)

上村 みどり

情報計算化学生物学会CBI研究機構
量子構造生命科学研究所 所長

プログラムオフィサー (PO)

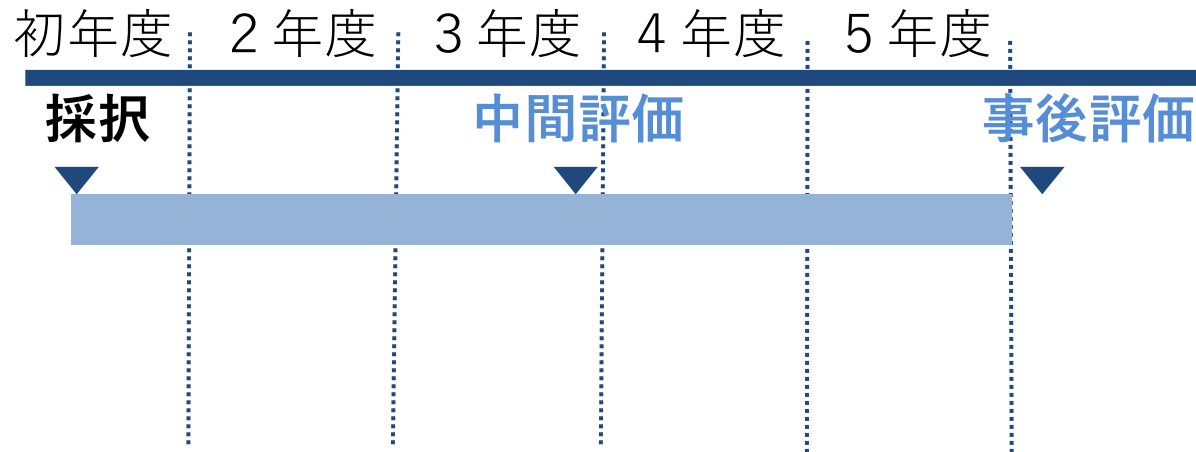
内田 毅彦

サナメディ株式会社 代表取締役

小川 淳

ICONクリニカルリサーチ合同会社 社長

研究開発実施期間と評価



- 3年度目に中間評価、課題終了後に事後評価を実施します。
- PSPOによる進捗管理のため、年1回以上の進捗報告会を実施します。
- 異分野の研究者間の交流を目的として、LEAP課題全体の会議を年1回行う予定です。
- 課題の進捗に応じて、報告書等の資料を求めることがあります。
- 特に、PMには、AMEDへの定期的な進捗報告を行っていただきます。

予算規模と研究開発期間

タイプ	研究開発費の規模 (間接経費を含まず)	研究開発実施予定期間	新規採択課題 予定数
インキュベートタイプ (LEAP)	研究開発実施初年度 約 1.5億円まで 研究開発実施2～5年度目 3億円まで／年間	5年以内 令和6年度～令和10年度	0～1課題 程度

詳しくは公募要領の「第2章 公募対象課題」をご参照ください。

LEAPの研究開発課題

研究開発課題名	研究開発代表者（代表機関）	開始年度
デザイン染色体による免疫系ヒト化動物の創成と創薬応用	香月 康宏（鳥取大学）	R5年度
運動機能の増進から健康長寿を高めるシーズとモダリティ開発	浅原 弘嗣（東京医科歯科大学）	R4年度
化学を基盤としたmRNAの分子設計・製造法の革新とワクチンへの展開	阿部 洋（名古屋大学）	R3年度
難治性神経筋疾患の画期的治療に向けた筋特異的受容体チロシンキナーゼ活性化剤の開発	菅 裕明（東京大学）	R2年度
メチニコフ創薬：AIMによる食細胞機構の医療応用実現化	宮崎 徹（AIM医学研究所）	R1年度
制御性T細胞を標的とした免疫応答制御技術に関する研究開発	坂口 志文（大阪大学）	H30年度
リソリン脂質メディエーター研究の医療応用	青木 淳賢（東京大学）	H29年度
腸内細菌株カクテルを用いた新規医薬品の創出	本田 賢也（慶應義塾大学）	H28年度
DOCKファミリー分子の生体機能と動作原理の理解に基づく革新的医薬品の創出	福井 宣規（九州大学）	H27年度
発生原理に基づく機能的立体臓器再生技術の開発	中内 啓光（東京大学）	H27年度
※ インフルエンザ制圧を目指した革新的治療・予防法の研究・開発	河岡 義裕（東京大学）	H26年度
※ がん治療標的探索プロジェクト	間野 博行（東京大学）	H26年度

↑ 実施中 ↓
↑ 期間終了 ↓

（敬称略、期間終了時の機関名を記載）

※ の 2 課題については、旧・創薬戦略部医薬品研究課が所管

選考基準

（１）事業趣旨等との整合性

- ・事業趣旨、目標等に合致しているか

（２）科学的・技術的な意義及び優位性

- ・現在の技術レベル及びこれまでの実績は十分にあるか
- ・独創性、新規性、革新性を有しているか
- ・医療分野の進展に資するものであるか
- ・新技術の創出に資するものであるか
- ・社会的ニーズに対応するものであるか
- ・医療分野の研究開発に関する国の方針に合致するものであるか

（３）計画の妥当性

- ・全体計画の内容と目的は明確であるか
- ・年度ごとの計画は具体的なもので、かつ、実現可能であるか
- ・生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守した計画となっているか

選考基準

(4) 実施体制

- ・申請者を中心とした研究開発体制が適切に組織されているか
- ・十分な連携体制が構築されているか
- ・申請者等のエフォートは適切であるか
- ・不合理な重複／過度の集中はないか

(5) 所要経費

- ・経費の内訳、支出計画等は妥当であるか

(6) 事業で定める項目及び総合的に勘案すべき項目

- ・AMED-CREST、PRIME、FORCE、CREST、さがけまたはERATOの研究開発期間において優れた研究成果を創出しているか
- ・AMED-CREST、PRIME、FORCE、CREST、さがけまたはERATOで得られた研究成果に基づいて、技術的成立性の証明・提示、および適切な権利化を推進する計画となっているか
- ・PM候補者は適任か
- ・LEAP終了時点での達成目標とその後の実用化等に向けた展望が描けているか
- ・民間企業との連携計画が予定されている場合は、連携計画は適切であり、妥当性があるか

PMの役割

LEAPは、研究開発代表者とPMが協働して、他の分担研究者も含むチーム全体をマネージし、技術的成立性の証明・提示に向けた研究開発を推進します。なお、PMについては、課題採択後、研究開発代表機関において雇用いただくことを原則とします。

- A. 研究開発課題ごとにPMを配置します。研究開発代表者は、課題提案時にPM候補者案を提示します。
- B. 研究開発代表者は、研究開発全体に責任を持ち、PMが示す技術成立性の証明・提示に必要となる研究開発を推進します。PMは研究開発代表者と協力し、担当する研究開発課題のマネジメントを行います。
- C. 開発代表者及びPMは、技術的成立性の証明・提示を行うために必要十分で最適な研究開発体制を編成します。
- D. PMは、**PSPOの助言および課題評価委員会の評価結果の下**、医療応用への展開を見据えて、参画研究者間の相互連携、また国内外との連携によるネットワークを自ら積極的に形成し、活用しながら、研究開発を推進します。

※公募要領「1.2.2 研究開発体制」をご参照ください。

PM候補者

※PMの資質・実績

下記のような資質や実績をお持ちの方が望ましいと考えます。

- ・研究開発、製品開発、権利化等に携わった経験及び専門的な知識を有すること。
- ・技術移転、起業、製品化等における経験及び実績を有すること。
- ・事業運営に関するプロジェクトマネジメントの経験又はその素養を十分に有すること。
- ・その他、研究開発課題ごとに特に必要と思われる実務経験及び専門知識等を有すること。

※PMの候補者像

- ・企業において研究開発、製品開発、権利化等に携わった経験を持つ方。
- ・大学の技術移転（TLO）機関等において研究開発成果の産業化の経験を有する方。
- ・大学もしくはは行政機関等において研究開発成果の展開、社会実装に関わった方。

※公募要領「1.2.2 研究開発体制」をご参照ください。

LEAP課題例

1. 次のステージ（臨床治験）に進むための対象疾患の絞り込み

製薬会社において、通常競争力のある適応疾患を定めても、上市するまでに15年から20年は要します。LEAPの期間中にはCREST等の完全基礎研究から臨床治験等への応用研究へのスイッチ期間と考えております。

中間評価前後から対象疾患の選択と集中が不可欠です。次の臨床治験で、競争力のある最適な適応疾患の絞り込みが必要であり、LEAPの期間内に次のステップである臨床治験デザインを如何に具体化するかが重要です。

2. PMの経験不足

上記においても、LEAPにおいて、PMはもっとも重要で、実際製薬会社で研究開発から臨床治験、製品化まで、経験した人材が理想だが、製薬会社においても、すべてを経験している人材は、そう多くありません。ましてや、アカデミア出身者では圧倒的に経験が不足しておりプロの仕事ができないと思われます。

1. 2を解決するために、採択後に適切なコーディネーターを
AMED側で委嘱し、プロジェクト推進を促進する場合があります。

チーム体制

- ・疾患の診断、治療法の創出を目指すために、対象疾患の病態に詳しいだけでなく、当該基礎研究の臨床的意義を判断し、現行の診断・治療法の課題点を認識し、医療ニーズを把握する**臨床研究者の参画**は重要と考えます。
- ・目的によっては、データサイエンス、薬学、工学、有機化学、疫学等の専門家の参画も必要になります。以上の観点から、**目的達成のために最適で且つ各分担の役割が明確な、総合力を重視したチーム体制**を求めます。

※公募要領「2.2 LEAPのプログラムについて」をご参照ください。

チーム体制（企業）

- ・ チーム内に企業の研究者が参画する場合もあり得ますが、LEAPでは**共同開発に向けて企業から資金が十分確保出来ているケースは対象としません**。一方で、チーム内において企業研究者が特定の解析や開発を担う等、基礎研究の範囲で共同研究を行う場合は可とします。
- ・ 候補化合物・製剤の薬理・薬物動態試験や安全性試験、製造量スケールアップ等の実用化に向けた研究を加速するために、（事業化の際の権利分与が発生しない契約形態において）**CRO・CDMOなどの外部研究支援サービスを積極的に活用することも可とします**。ただし、LEAPは参画するベンチャー企業等をサポートする仕組みではありませんので、ご注意ください。

※公募要領「2.2 LEAPのプログラムについて」をご参照ください。

研究計画の立案

- ・研究期間終了時の到達点を具体的に設定し、そこから逆算して、**開発へ向けての明確なロードマップ**を描いてください。
- ・研究期間内に想定通りに結果が出ない場合や新たな競合企業の出現等があり得ます。このため、不測の事態の際のプランBを想定してください。
- ・研究計画を支持するこれまでの成果や予備実験の結果を適宜提示し、提案書内でフィージビリティが判断できるように記載ください。
- ・**対象とする疾患（疾患の予防や健康維持も含め）の対象者数、市場規模、現時点での治療・診断法およびその課題点、国内外の競合状況を正確に把握し、それに対する優位性を合理的に示してください。**
- ・研究期間内の治験の実施は必須としておりません。治験には多額の資金と医療機関との連携、マンパワー、支援体制等を必要とするため、企業との緊密な連携による推進が望ましいと考えます。

※公募要領「2.2 LEAPのプログラムについて」をご参照ください。

研究項目の選択と集中

- ・課題の採択後に、PS、PO等による研究進捗の確認及び開発へ向けての指導を行います。
- ・基礎研究段階においては、必ずしも計画通りに期待された結果が得られない（または得られる見込みがない）ことは十分起こり得ることで、複数の研究開発項目のうち、**研究の進展、研究開発の加速の必要性、または研究資源の有効活用の観点で、一部の研究開発項目の打ち切り、および有望な研究開発項目への資源のシフト（選択と集中）**を行うことがあります。
- ・予めPS、POと研究開発代表者、PMとで各項目のマイルストーン及び到達すべきクライテリアを議論、共有し、研究進捗の報告会や課題中間評価の結果等に基づいて、各項目のgo/no-goを判断します。

※公募要領「2.2 LEAPのプログラムについて」をご参照ください。

ご清聴ありがとうございました。