



令和6年度 公募

次世代治療・診断実現のための 創薬基盤技術開発事業

「次世代送達技術を用いた
医薬品研究開発」領域

国立研究開発法人日本医療研究開発機構
創薬事業部 医薬品研究開発課

次世代送達技術を用いた医薬品研究開発

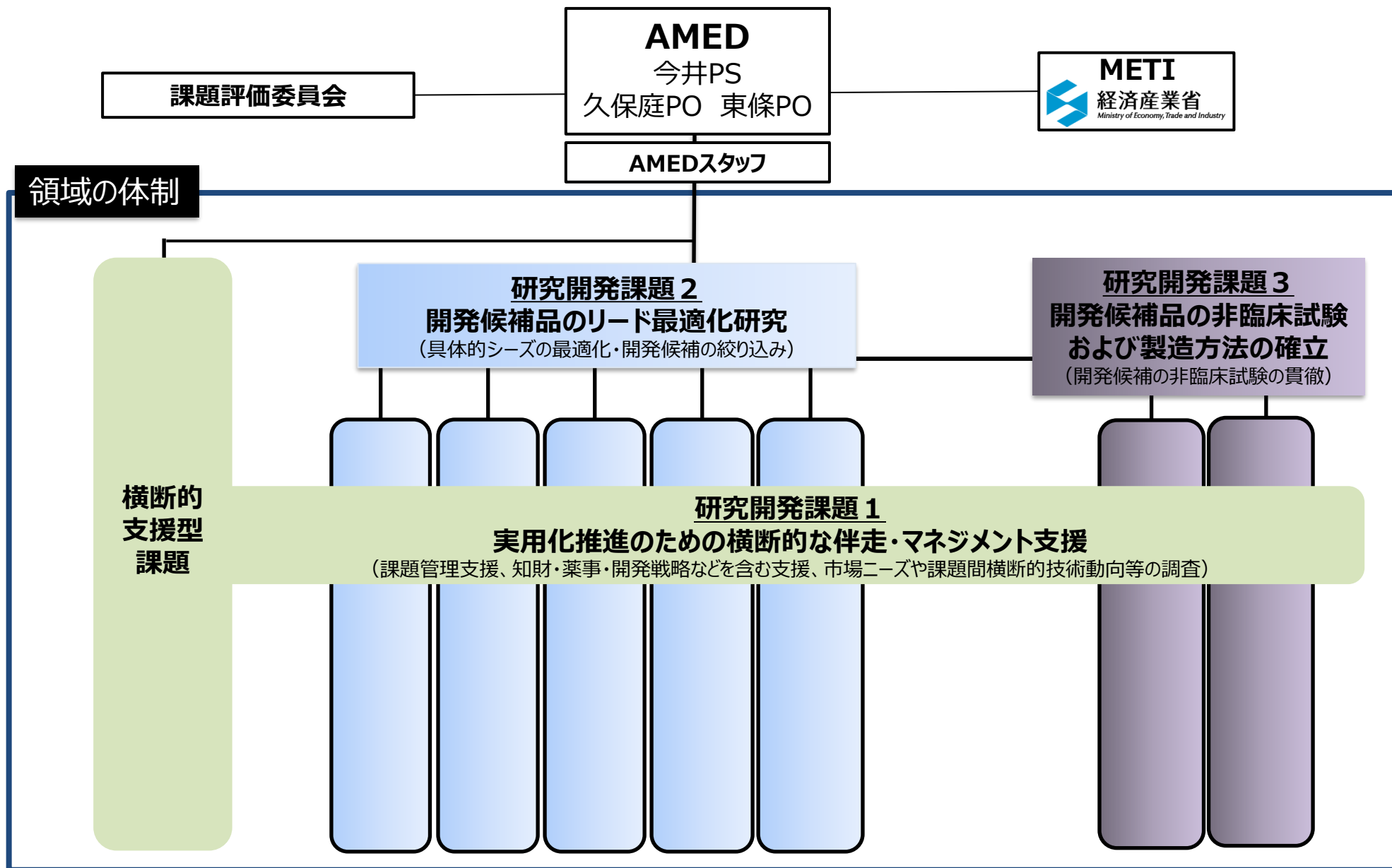
公募要領抜粋（事業概要）

本事業では、次世代治療・診断を実現するための課題を解決し、先制医療、個別化医療といった次世代治療・診断の実現を推進し、患者のQOL向上と医療費増加の抑制を目指します。そのために、AMED創設以来、これまでに7つの領域での研究開発を推進して参りました。現在は、「RNA標的創薬技術開発」、「国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発」、「腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発」の**3領域が進行中で、企業等が産業としての次世代の治療・診断手段を開発するためのボトルネックとなる科学的課題をアカデミア等の知恵を活用して解決していくことを目的としています。**

現在、進行中の「RNA標的創薬技術開発」領域においては、低分子医薬や抗体医薬に続く第三の新たな創薬モダリティとしての大きな期待が寄せられ、近年、国際的な競争が加速する核酸医薬品を対象にして、我が国が得意とする有機合成・分析化学の技術を駆使した製造基盤技術において国際競争力を発揮することを目的に研究開発を推進しています。**核酸医薬品は選択性が高く、薬効の切れ味が鋭い有効な治療手段となることが期待される一方、標的とする特定の組織や細胞への送達技術には課題が多く、眼球や髄腔内などの一部の閉鎖空間臓器への局所投与以外の方法での、全身投与による標的臓器への薬物送達は困難でした。これまでの核酸医薬品の多くは、標的臓器への受動的（パッシブ）な送達に依存していたために、全身投与でも、その分布は肝臓、腎臓に集中しやすく、こうした臓器での意図しない安全性懸念を払拭することが困難でした。**

近年、siRNA医薬品においては、肝細胞に特異的に発現するアシアロ糖タンパク質受容体（ASGPR）を標的として、米国Alnylam社で開発された高親和性リガンドの GalNAc を用いた肝臓への能動的な標的化（アクティブ・ターゲティング）の試みが成功しており、この技術を用いた複数の医薬品が創出されました。これをきっかけとして、**標的細胞の表面に存在する分子に対するリガンドを付与したアクティブ・ターゲティングによる送達方法を開発する研究が世界中で進められていますが、依然として、肝臓以外の臓器や細胞への送達は困難を極めており、この克服を目指した国剂的な大競争時代に入っているといえます。この状況を踏まえ、我が国の核酸医薬シーズの開発加速と成功確率の向上のために、実用化を促す送達技術の開発が喫緊の課題と考えられます。**

本事業領域では、**今後の次世代医薬品の実用化・産業化を見据え、医薬品としての有効成分とそれを効率的に標的臓器や細胞に届ける送達技術との組み合わせからなる複合体を、新規医薬品として規格設計された製剤の製造（量産）技術の確立を通じて、我が国発の肝臓以外の臓器や細胞を標的とするアクティブ・ターゲティング技術、いわば第二のGalNAcの創出を目指します。そのために、非臨床段階で達成すべき研究開発を効率的に進め、事業領域の研究開発期間の後期または終了後には、磨き抜かれた開発候補品が臨床開発（治験）段階に進むことを目標にして集中的な研究開発に取り組みます。**



次世代送達技術を用いた医薬品研究開発 令和6年度公募対象課題

#	公募研究開発課題	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
1	実用化推進のための 横断的な伴走・ マネジメント支援	初年度は1課題当たり 年間35 百万円 (上限) 2年目以降は1課題当たり 年間 70 百万円 (上限)	令和6年11月 (予定) ～ 令和11 年度末	0～1課題程度
2	開発候補品の リード最適化研究	初年度は1課題当たり 年間20 百万円 (上限) 2年目以降は1課題当たり 年間 40 百万円 (上限)	令和6年11月 (予定) ～ 令和9 年度末 (中間評 価でステージアップした課題 は令和11 年度末)	0～5課題程度
3	開発候補品の 非臨床試験および 製造方法の確立	初年度は1課題当たり 年間150 百万円 (上限) 2年目以降は1課題当たり 年間 300 百万円 (上限)	令和6年11月 (予定) ～ 令和11 年度末	0～2課題程度

開始4年目に実施する
ステージゲート評価で最大
2課題が移行の予定

各課題に求められる内容や応募条件等の詳細は公募要領の第2章をご覧ください。

No.	必須/任意	必要な提案書類	備考
1	必須	(様式 1) 研究開発提案書	
2	該当する場合は必須	ヒト全ゲノムシーケンス 解析プロトコル様式	ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合
3	該当する場合は必須	研究開発にかかるマネジメント に関する資料等 (* 1)	課題 2 または 3 へ応募する場合
4	該当する場合は必須	TPP (書式自由 ; * 2)	課題 3 へ応募する場合

* 1 : 下記のリンクページより、必要な様式をダウンロードして作成ください。

https://www.amed.go.jp/koubo/iyakuhin_check.html

なお、課題 2 は、「チェック項目記入表」ステージゲート①または②に相当、課題 3 は「チェック項目記入表」ステージゲート②または③に相当いたします。

詳細は、公募要領・第2章の2.2.2および2.2.3を参照ください。

* 2 : TPP (ターゲット・プロダクト・プロフィール、新薬開発のための目標とする製品性能) は、新薬開発の設計図と言える文書であり、開発の初期段階から当該医薬品候補が目標とする製品の特徴を、医薬品の添付文書に記載される内容を想定して、「効能・効果」、「対象患者」、「非臨床および臨床での有効性、その評価指標 (エンドポイント)」、「安全性」、「投与期間」、「投与経路」、「用法・用量」、「剤型・規格」、「原薬の製造方法」などについて、既存治療薬との比較とともに、必達目標や努力目標などの分類で記載した文書です。また、必要に応じて薬価や製造コスト、想定される市場とその獲得率等を踏まえた事業性評価も含めることもあります。TPPは医薬品としての製品の特徴そのものであり、適応症やモダリティにより記載する項目やその方法は異なるため、書式は自由といたします。なお、TPPは、開発のステージによって書き換えることを前提に記載することが必要です。

提案書類の受付期間・選考スケジュール	
提案書類受付期間	令和6年5月28日（火）10時～令和6年7月1日（月）13時
書面審査	令和6年7月上旬～令和6年8月下旬（予定）
ヒアリング審査	令和6年9月中旬（予定）
採択可否の通知	令和6年10月中旬（予定）
研究開発開始 （契約締結等）日	令和6年11月下旬（予定）

ヒアリング審査を実施する対象課題の研究開発代表者に対しては、原則としてヒアリング審査の1週間前までに電子メールにて御連絡します（ヒアリング審査の対象外の場合や、ヒアリング審査自体が実施されない場合には連絡しませんので、採択可否の通知までお待ちください）。

公募課題、申請書の記載方法等について

AMED創薬事業部医薬品研究開発課

次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発 担当

E-mail : jisedai-med@amed.go.jp

※電話でのお問い合わせは受け付けておりません。

※お問合せは、必ず電子メールで、件名に【公募問い合わせ】を最初につけてお願いします。（Ex. 【公募問い合わせ】提出書類について など）