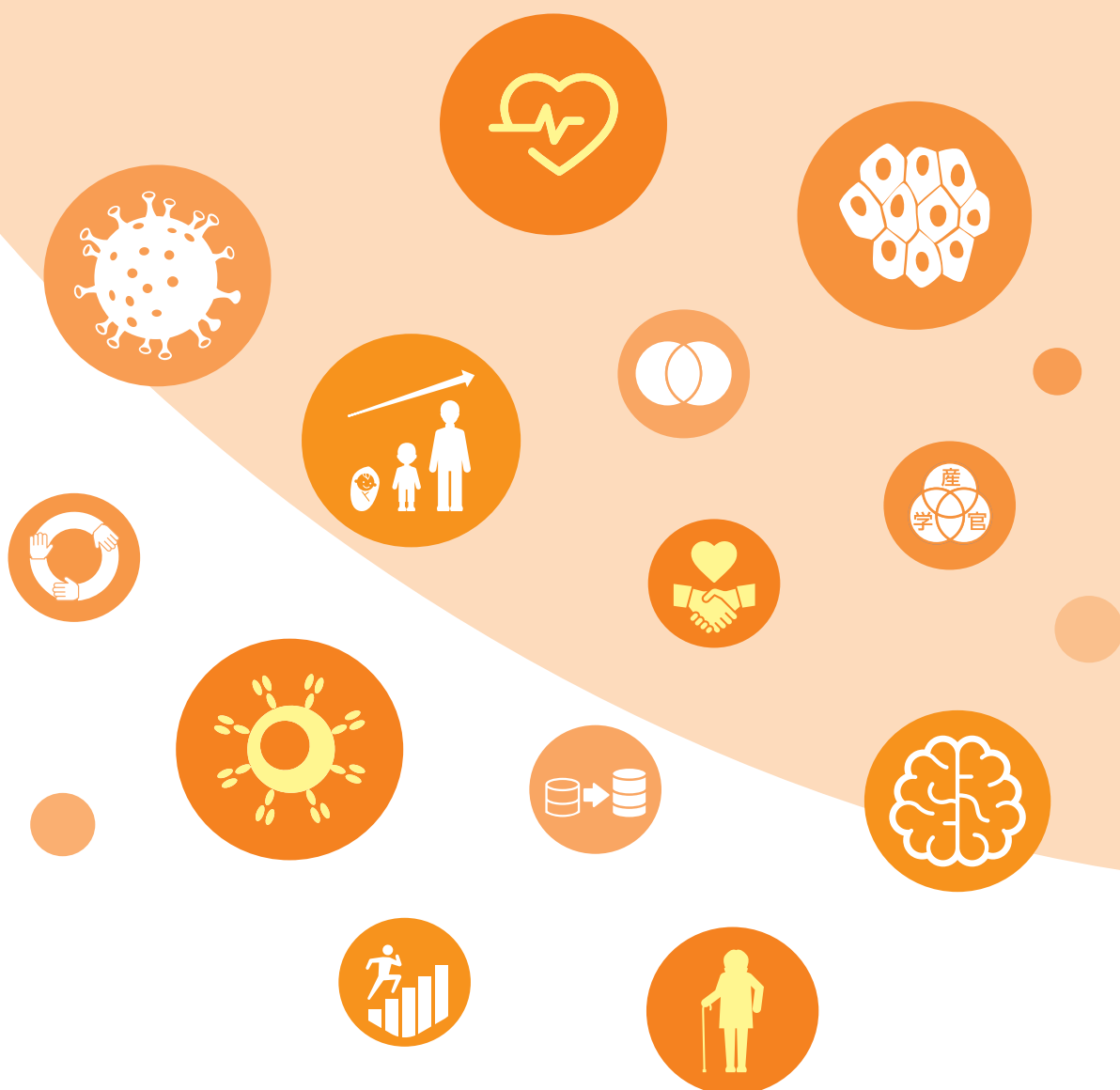


2023年度 AMED成果集



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development

contents

2023年度 AMEDの注目活動紹介！	4
AMEDの研究開発マネジメント	6

研究開発事業のご紹介 6つの統合プロジェクト

医薬品プロジェクト	8
アセノベル®が世界初の遠位型ミオパチーに対する治療薬として薬事承認	
新型コロナウイルス抗原迅速検査システムを開発 4種類のウイルス(新型コロナ、A型・B型インフルエンザ、RS)の抗原を同時に検出可能な検査キットの実用化につなげる	
がん免疫モニタリング法の受託測定を開始	
RSウイルス感染症の重症化を抑える「シナジス®」の肺低形成などを伴う乳幼児に対する適応拡大	
難治性脈管腫瘍及び難治性脈管奇形に対するシロリムスが世界で初めて適応拡大	
自己免疫性肺胞蛋白症に対する治療薬として薬事承認	
がん特異的抗体導入CAR-T細胞の第I相臨床試験開始	
医療機器・ヘルスケアプロジェクト	12
患者体内で幹細胞を集める医療機器を開発し、糖尿病性足潰瘍を治療する世界初の再生医療に成功！	
誤嚥を予防するためにAIにより嚥下機能評価を支援するプログラム医療機器の開発	
心臓病専門病院から発信するウェアラブル腕時計を用いた遠隔心臓リハビリの社会実装	
スマートフォンアタッチメント型眼科医療機器の改良と上市	
歩行動画のみで心不全患者のフレイルの程度を自動推定可能なプログラムの開発に成功	
再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	15
培養ヒト角膜内皮細胞の製造販売が承認され、角膜移植に代わる新たな再生治療法として社会実装される	
患者自身由来のiPS細胞から心筋細胞を作製する心不全治療法の開発	
iPS細胞からヒトパピローマウイルス特異的細胞傷害性T細胞(HPV-CTL)製剤を作製し、その子宮頸がんに対する強力な抑制を示唆	
ゲノム・データ基盤プロジェクト	17
膀胱がんに対する動体追尾VMATの実行可能性の検討	
患者負担のないIgA腎症の予後予測モデルを日常臨床データベースから開発	
胃潰瘍や十二指腸潰瘍の発症と関連する遺伝的要因に新たな知見	
疾患基礎研究プロジェクト	19
難治性血液がんに対する新薬を日本で開発に成功、世界で初めて臨床で有効性と作用機序を解明	
行動を「損得勘定」する意思決定の脳内メカニズムを解明	
子宮頸癌の原因となるHPV18型の標的細胞とウイルス複製の特徴を解明	
B型肝炎ウイルスが感染受容体に結合するしくみを解明	
乳児のアトピー性皮膚炎において早期治療を行うことで鶏卵アレルギーの発症を抑制する効果を証明	
シーズ開発・研究基盤プロジェクト	22
がん化学療法に伴う口腔粘膜炎の痛みを和らげる口腔粘膜保護材の開発及びその薬事承認	
最先端のゲノム解析技術で乳がんの発症経過の全体像を解明	
世界初の高純度キャップ化mRNAワクチン製造技術、PureCap法の確立	

AMEDとは

AMED（エーメド）は、医療分野の研究開発およびその環境整備の中核的な役割を担う機関として、2015年（平成27年）4月に設立されました。基礎から実用化までの一貫した医療研究開発の推進と、その成果の円滑な実用化を図るとともに、研究開発環境の整備を総合的かつ効果的に行うための様々な取組を行う国立研究開発法人です。



研究開発事業のご紹介 基金等を活用した研究開発の促進等

医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)	24
新規疼痛治療薬(ENDOPIN)の開発	
カルバペネム系抗菌薬に耐性を有する菌に対するβ-ラクタマーゼ阻害薬KSP-1007の有効性および安全性の確認	
カルバペネム系抗菌薬に耐性を有する菌に対するβ-ラクタマーゼ阻害薬OP0595の臨床第Ⅲ相国際共同治験を開始	
ムーンショット型研究開発事業	26
自己免疫疾患の制御に関わる新たな加齢関連T細胞を発見	
インスリン抵抗性に関連するヒト腸内細菌の網羅的解析	
加齢に伴う免疫細胞の老化が腸内細菌叢の乱れを引き起こす	
新型コロナウイルスワクチンの開発支援	28
COVID-19に対する国産mRNAワクチンの実用化	
創薬ベンチャーエコシステム強化事業	29
グローバルに接続した創薬ベンチャーエコシステムの形成	
革新的医療技術研究開発推進事業(産学官共同型)	29
幅広い産学連携による研究開発を開始	
先進的研究開発戦略センター(SCARDA) ワクチン新規モダリティ研究開発事業 ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成事業 ...	30
今後起こりうるパンデミックに備えたワクチン開発を推進	
ユニバーサルサルベコウイルスワクチンのヒトでの安全性と有効性の確認	
インフルエンザHAの変異しにくい部位を標的とするワクチン抗原の設計	
すでに生体の中にある抗体が抗原を運ぶことを利用した経鼻ワクチンの開発	
RSウイルス経鼻ワクチン実用化へ向けての第一歩	
重症熱性血小板減少症候群(SFTS)ウイルスの動物間での病原性の違いに関する発見	
ワクチン接種やオミクロン亜株間の違いがCOVID-19の症状に与える影響の発見	

医療研究推進のための横断的取組

実用化、知的財産に関する取組	34
研究倫理・研究公正に関する取組	35
国際連携の取組	36
各国との研究開発連携の推進	37
胆管がんにおけるヒト固有遺伝子NCYMの機能解明と阻害化合物の同定	37
各種手引き・サービス等のご紹介	38
利用者・目的別情報、窓口	40
情報発信	41
ひとめでわかる！AMED	42

アイコンの説明

■開発フェーズ等



■疾患領域



■マネジメント アピール



調整費

事業間・課題間・異分野融合
分野間連携

産学連携

人材育成

社会共創

2023年度 AMEDの注目活動紹介!

基礎から実用化まで一貫して医療研究開発を推進し、事業間を切れ目なくつなげて患者さんのもとに成果を届けました。また、AMED が支援した研究開発課題から創出されるデータが幅広く利活用されるよう必要な制度等の整備を行い、AMED データ利活用プラットフォームのサービスを開始しました。国際分野においては、国際科学トップサークルへの参入を促進し、優秀な若手研究者の交流・コネクションの強化を図ることで国際頭脳循環を推進する、大型国際共同研究を欧米等先進国と開始しました。

基礎から実用化へ事業をつなげて研究開発支援

文部科学省事業×厚生労働省事業の連携

次世代がん医療創生研究事業から革新的がん医療実用化研究事業につなげて患者さんのもとへ届いた膵がんの体外診断用医薬品 (ApoA2-i) の研究開発!

事業名: ①次世代がん医療創生研究事業

<https://www.amed.go.jp/program/list/11/01/002.html>

②革新的がん医療実用化研究事業

<https://www.amed.go.jp/program/list/15/01/010.html>

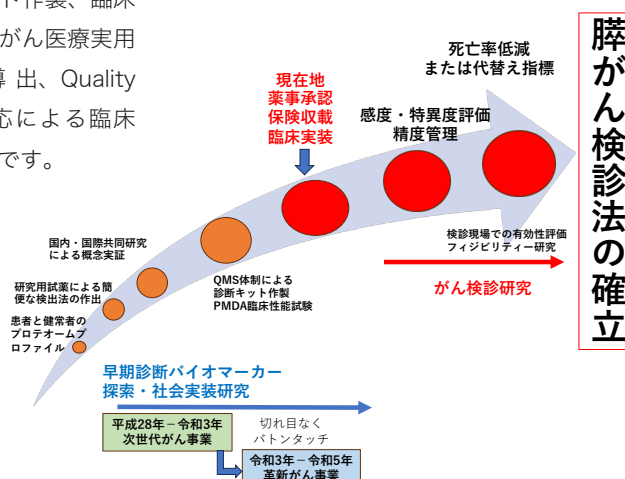


取組

膵がんは予後の悪い難治がんです。血液検査などで早期膵がんや膵がんになりやすい方を絞り込み、検診を含めた予防や治療などで早期介入できれば、膵がんで亡くなる方を減らせるかもしれません。膵がんの診断を補助する体外診断用医薬品として apoA2-i が厚生労働省で薬事承認され、2024 年の 3 月から公的医療保険で使えるようになりました。この成果は膵がん患者血液中のタンパク質網羅の発現解析によりバイオマーカー候補の同定、次世代がん医療創生研究事業における研究用試薬での概念の実証、キット作製、臨床的な基礎性能の確認、また、革新的がん医療実用化研究事業における企業導出、Quality Management System (QMS) 対応による臨床性能試験実施を経て、得られた成果です。

今後

基礎から臨床実装まで、事業間の連携により膵がんの診断を補助する血液バイオマーカー apoA2-i を、患者さんのもとへお届けすることができました。本バイオマーカーを用いた診断法は海外でも臨床研究が実施されていて、今後は日本発のバイオマーカーとして国際的に発展していくことになるでしょう。がん検診や予防の分野でもエビデンスの構築は必要です。膵がんでお亡くなりになる方を一人でも減らすために、がん検診での有効性を評価する研究への展開が期待されています。



研究データの活用に向けた環境整備

AMEDが支援した研究開発で得られたデータの利活用を後押し、研究成果の利用促進

AMEDデータ利活用プラットフォーム(CANNDs)のサービス開始

事業名：①健康・医療研究開発データ統合利活用プラットフォーム事業
<https://www.amed.go.jp/program/list/14/04/001.html>
②AMEDデータ利活用プラットフォーム
<https://www.cannds.amed.go.jp/>



取組

AMED が支援した研究から生み出されたデータを、研究や疾病予防、医薬品・医療機器等の開発の目的において第三者に提供することで、これらのデータが幅広く利活用されるよう、2023 年度（令和 5 年度）末に AMED データ利活用プラットフォーム（呼称「CANNDs」）のサービスを開始しました。

今後

2023～2024 年度（令和 5～6 年度）は、3 大バイオバンク（東北メディカル・メガバンク計画、ナショナルセンター・バイオバンクネットワーク、バイオバンク・ジャパン）が所有する全ゲノムデータのメタデータの横断検索、研究計画の立案を支援するアレル頻度情報の検索、及び全ゲノムデータを処理する計算環境、並びに遺伝型インピュテーションのサービスを提供します。メタデータの横断検索からデータ処理までワンストップで実行可能なサービスを提供することで、ゲノムデータの利活用を推進する役割を果たします。

大型国際共同研究の開始

日本の有望な研究者を国際科学トップサークルへ！

先端国際共同研究推進プログラム(ASPIRE)で初の採択課題を6件決定

事業名：医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業(先端国際共同研究推進プログラム(ASPIRE))
<https://www.amed.go.jp/program/list/20/01/009.html>

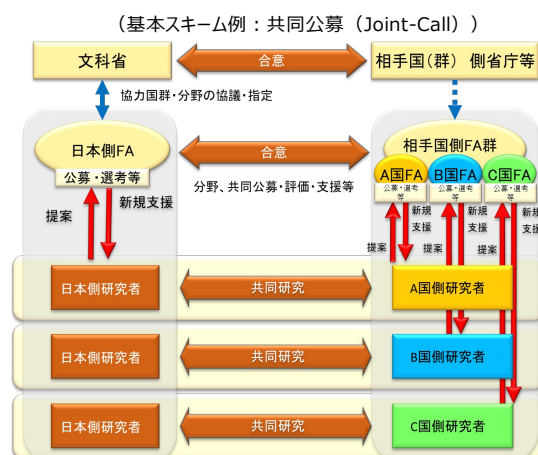


取組

高い科学技術水準を有する欧米等先進国を対象として、日本と相手国のファンディングエージェンシーが協働しつつ、課題単価や支援時期等を柔軟に設定することで、より戦略的・機動的に国際共同研究を支援するプログラムです。今回、初の公募を実施し、多くの応募の中から 6 件を採択しました。

今後

この国際共同研究を通じ、国際科学トップサークルへの日本人研究者の参入を促進するとともに、両国の優秀な若手研究者の交流・コネクションの強化も図ることで国際頭脳循環を推進し、長期的な連携ネットワークの構築に貢献します。



AMEDの研究開発マネジメント

AMEDの理念・運営方針

AMEDの運営は、独立行政法人通則法（平成11年法律第103号）に基づき、中長期計画を策定し、その目標達成に向けて取り組んでいます。現在、第2期中長期計画期間（2020年〈令和2年〉4月1日から2025年〈令和7年〉3月31日までの5年間）であり、AMEDは産学官の中心となって、医療に関する研究開発のマネジメント、研究データマネジメント、実用化に向けた支援、国際戦略の推進、研究不正防止の取組の推進等の機能を果たし、成果の最大化に向け取り組んでいます。

◆ 理念 ◆

AMEDは、医療分野の研究開発及びその環境整備の中核的な役割を担い、「医療分野の研究成果を一刻も早く実用化し、患者さんやご家族の元にお届けすること」を目指します。

◆ 運営方針 ◆

基礎から実用化までの一貫した医療研究開発を推進し、研究開発の成果の普及と円滑な実用化を図ります。

研究開発を推進する触媒となり、医療イノベーション創出への道を拓きます。

研究成果の実用化に向けて産学連携の支援を行います。

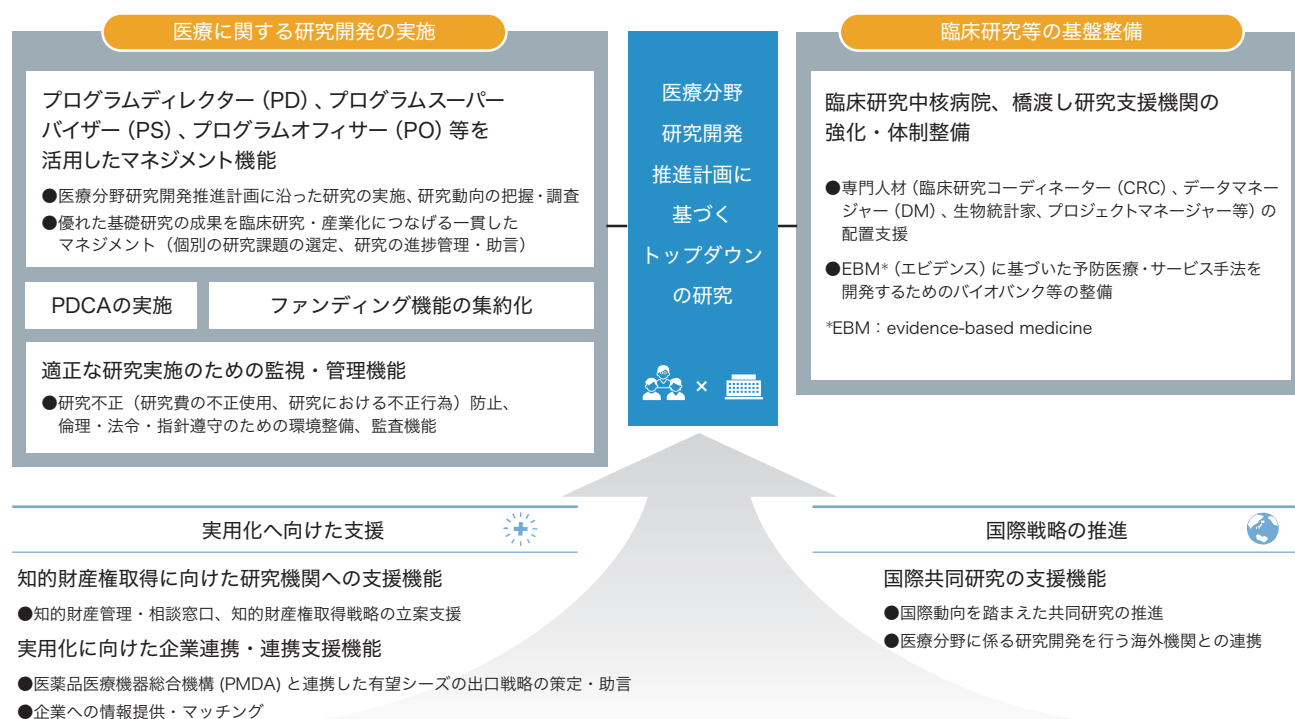
海外機関と連携して国際動向を踏まえた共同研究を推進します。

研究費の効果的な運用や業務の効率化について改善を続けます。

適正な研究実施のための不正防止や法令遵守に取り組めます。

AMEDが果たすべき機能

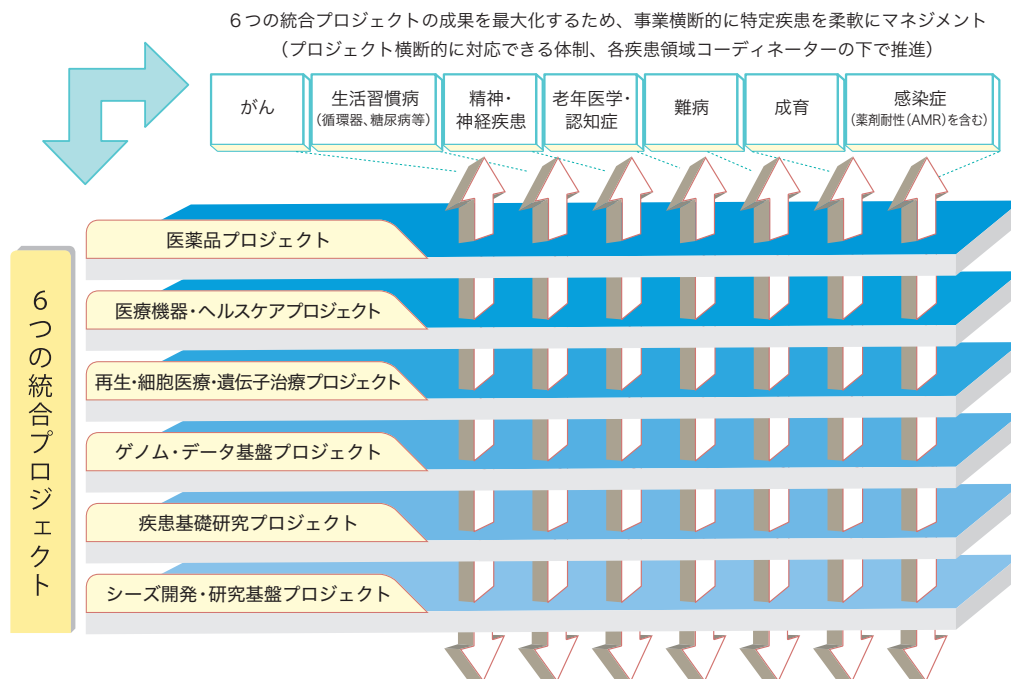
AMEDは、Plan（計画）、Do（実行）、Check（評価）、Action（改善）のPDCAにより、一貫したマネジメント機能をもって医療分野研究開発推進計画に沿った研究課題の実施を推進します。そして、優れた基礎研究の成果を臨床研究や実用化につなげることで、医療の質を高め、世界最高水準の医療サービスの実現および健康長寿社会の形成に努めます。



AMEDが推進する研究開発

● 6つの統合プロジェクト

AMEDは、国が定める「第2期医療分野研究開発推進計画」に基づき、モダリティ（創薬手法や治療手段等）を軸とした6つの「統合プロジェクト」を中心に、医療分野の基礎から実用化までの研究開発を一元的に推進しています。また、日本における社会課題として主要な7疾患領域（がん、生活習慣病〈循環器、糖尿病等〉、精神・神経疾患、老年医学・認知症、難病、成育、感染症〈薬剤耐性（AMR）を含む〉）に関しても、豊富な経験を有する疾患領域コーディネーター（DC）を配置して十分な配慮をしつつ、事業運営に努めています。



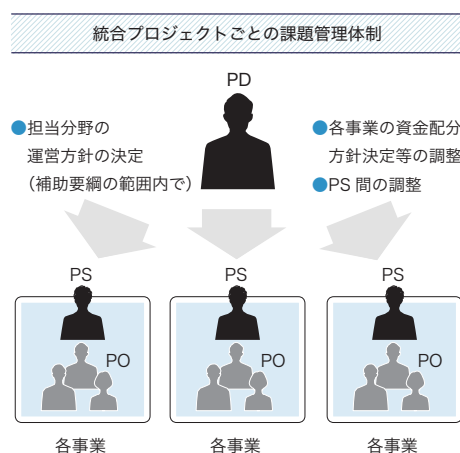
● 基金等を活用した研究開発の促進等

特に先進的で緊要な革新的技術の創出や中長期的な研究開発の促進等のため、基金等の枠組みを活用した研究開発も実施しています。

医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）
新型コロナウイルスワクチンの開発支援
健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等事業
ワクチン開発・生産体制強化戦略関連事業

● プロジェクトのマネジメント体制

事業の実施に当たっては、大学、研究機関、企業等の研究者、あるいは機関等から広く提案を募集し、適切に評価・選考を行い、実施者を決定します。また、研究開発課題の評価および運営は、その研究分野に関して高い見識を有する専門家を「プログラムディレクター（PD）」「プログラムスーパーバイザー（PS）」「プログラムオフィサー（PO）」として選任し、PD、PS、POは協力して重点分野全体の課題を把握し、担当する分野（事業）の運営や分野間の協力等の調整を行います。AMEDはこうした体制の下、一貫したマネジメントで研究開発を推進しています。



① 医薬品プロジェクト

<https://www.amed.go.jp/program/list/index01.html>



2023年度 の取組

革新的な医薬品の創出に向けて、基礎研究から臨床研究・治験に至るまで、切れ目なく研究開発を推進しました。また、プロジェクト間・事業間の有機的な連携により、「創薬基盤技術」を「シーズ開発」に応用し、研究開発の加速を図りました。これらの取組により、薬事承認を達成し、医薬品の実用化に繋げることができました。

アセノベル®が世界初の遠位型ミオパチーに対する治療薬として薬事承認

事業名：難治性疾患実用化研究事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/003.html>

実施機関（研究開発代表者）：東北大学（青木正志）

研究開発課題名（期間）：遠位型ミオパチーにおけるN-アセチルノイラミン酸の第2/3相試験
(2015年度～2017年度)

遠位型ミオパチーにおける承認申請に向けたアセノイラミン酸の長期投与試験
(2018年度～2019年度)

事業名：創薬支援推進事業・希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業

https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/001_03-01.html

実施機関（研究開発代表者）：ノーベルファーマ株式会社（鈴木良一）

研究開発課題名（期間）：遠位型ミオパチーに対するN-アセチルノイラミン酸の開発（2015年度～2017年度）



臨床研究
治験

薬事
承認

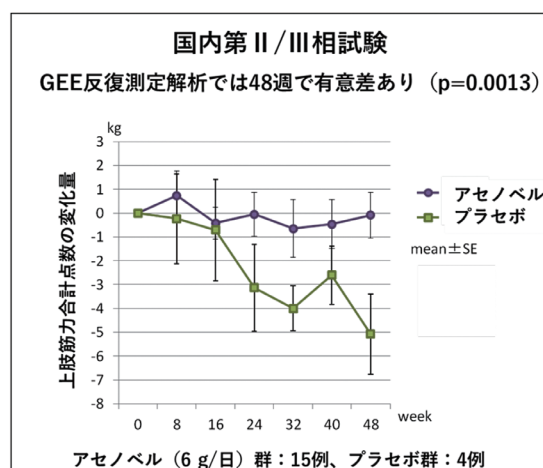


▶ 成果・取組概要

縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー（指定難病「遠位型ミオパチー」の一種、別名GNEミオパチー）は、特に体幹から離れた部位の筋肉（遠位筋）から萎縮・変性して次第に筋力が低下し、体の自由が奪われていく希少疾患です。本疾患に対する主な治療として、リハビリテーションなどの対症療法が行われていますが、本邦も含めて全世界的に遠位型ミオパチーに対する治療薬はありませんでした。本研究グループは、本疾患に対して有効性が期待できる化合物としてアセノイラミン酸を見出し、本疾患患者を対象とした医師主導治験の実施やこの試験に使用する治験薬の製造などのAMED事業間の連携支援を行いながら開発を進めてきました。これらの結果に基づき、2024年（令和6年）3月、「縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーにおける筋力低下の進行抑制」を効能・効果として薬事承認を取得しました。

▶ 今後

希少疾病である縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー患者の早期治療につながる事が期待されます。



(図) 国内第Ⅱ/Ⅲ相試験における上肢筋力合計点数のベースラインからの変化量の推移

一般化推定方程式(GEE)反復測定解析：この手法では、筋力の変化量を調べる際に、治療前後の筋力変化に加えて、性別や6分間歩行距離(200メートル未満か200メートル以上か)、治療を受けた時期など、さまざまな要因も考慮して解析した。

新型コロナウイルス抗原迅速検査システムを開発 4種類のウイルス(新型コロナ、A型・B型インフルエンザ、RS)の抗原を 同時に検出可能な検査キットの実用化につなげる

事業名：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 <https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/002.html>

実施機関（研究開発代表者）：富山大学（磯部正治）

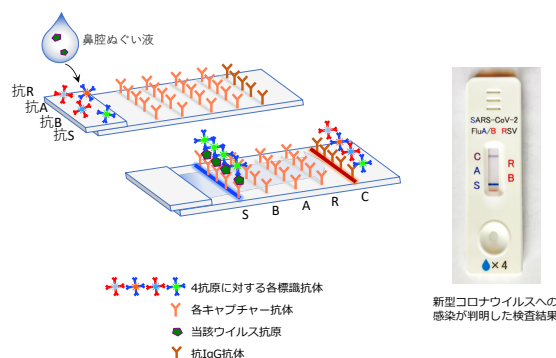
研究開発課題名（期間）：SARS-CoV-2の臨床現場即時検査法開発に関する研究（2020年度）



▶成果・取組概要

新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）に対する抗体を短期間に数百種類取得し、それらの中からウイルス抗原の捕捉用と検出用の抗体を複数選定し、その抗体セットを用いて高感度かつ簡便なSARS-CoV-2抗原検出法を開発しました。また、研究開発分担者（東洋紡株式会社）の協力を得て、SARS-CoV-2抗原の高感度迅速検出システムを開発しました。

この研究で得られた成果を基に、SARS-CoV-2検査キット及び4抗原（SARS-CoV-2、インフルエンザウイルス（A型、B型）、RSウイルス）同時検出検査キットの薬事承認を取得しました。



（図）研究成果をふまえて実用化された4抗原同時検出検査キットの概要

▶今後

2023年10月末に販売された本検査キットは、同時に4種類のウイルスを区別して検出できるため、患者の検体採取の負担軽減や検査の効率化への貢献等が期待されます。

鼻腔ぬぐい液に、4種類のウイルス（新型コロナウイルス、A型／B型インフルエンザウイルスおよびRSウイルス）のどれを含んでいるか、1つの検体から同時に判定することが可能（キットは東洋紡（株）と共同開発）。

がん免疫モニタリング法の受託測定を開始

事業名：次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発 <https://www.amed.go.jp/program/list/11/01/005.html>

実施機関（研究開発代表者）：バイオ産業情報化コンソーシアム（上田龍三）

研究開発課題名（期間）：免疫応答モニタリングによるがん免疫の全容理解に基づく新規層別化マーカーの開発（2019年度～2023年度）

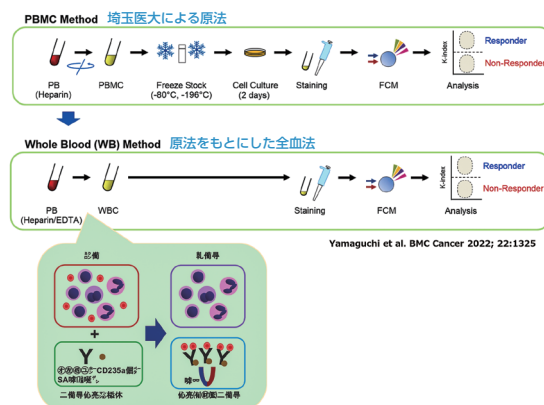


▶成果・取組概要

本グループでの産学連携により、埼玉医科大学国際医療センターで見出された免疫チェックポイント阻害薬の投与前効果予測マーカーを用いたがん免疫チェックポイント方法をもとに、より実用性の高い測定法を確立しました。これにより全血から簡便にがん免疫の状態を測定することが可能となり、シスメックス株式会社が受託測定を開始しました。

▶今後

本がん免疫モニタリング方法を更に発展させ、がん患者の層別化マーカーとして臨床現場で実用化されることにより、免疫チェックポイント阻害薬を用いた適切な医療の提供に繋がることが期待されます。



（図）全血法の確立

赤血球を磁気で簡便かつマイルドに分離し、マーカーを保持することにより、全血での測定を可能とした。

RSウイルス感染症の重症化を抑える「シナジス®」の肺低形成などを伴う乳幼児に対する適応拡大

事業名：臨床研究・治験推進研究事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/11/03/002.html>

実施機関（研究開発代表者）：聖マリアンナ医科大学（森雅亮）

研究開発課題名（期間）：RSウイルス感染による新生児、乳児及び幼児を対象としたパリビズマブの多施設医師主導治験の推進（新規ハイリスク患者対象）（2019年度～2022年度）



臨床研究
治験

薬事
承認

実用化

▶ 成果・取組概要

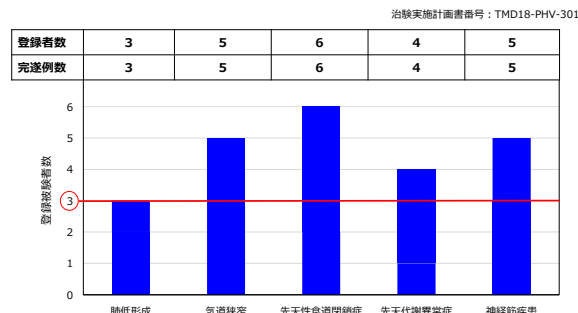
RSウイルス感染症の重症化により、肺炎や細気管支炎を起こしやすい早産児や慢性肺疾患のある乳幼児等には、「シナジス®」が保険適用されています。本研究において、RSウイルス感染症の重症化リスクが同等に高い疾患を伴う乳幼児に対し、「シナジス®」の適応拡大を目的とした医師主導治験を行い、有効性と安全性が確認された結果、薬事承認^{*2}を取得しました。

*1 抗RSウイルスヒトモノクローナル抗体製剤（一般名：パリビズマブ（遺伝子組換え））

*2 製造販売承認事項一部変更承認

▶ 今後

これまで有効なワクチンも治療薬もないRSウイルス感染症で重症化する肺低形成、気道狭窄、先天性食道閉鎖症、先天代謝異常症、神経筋疾患を伴う患者さんに対し、「シナジス®」を使用できるようになりました。



（図）多施設共同医師主導治験

対象となる乳幼児にはRSウイルス感染による入院は認められなかった。安全性について特段の懸念はなく、血中薬物動態も過去の試験と同様の結果が得られた。

※赤線：最小登録被験者数＝3名

難治性脈管腫瘍及び難治性脈管奇形に対するシロリムスが世界で初めて適応拡大

事業名：難治性疾患実用化研究事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/003.html>

実施機関（研究開発代表者）：岐阜大学（小関道夫）

研究開発課題名（期間）：シロリムス（顆粒剤・錠剤）による難治性の脈管腫瘍・脈管奇形に対する分子標的治療法を開発する研究（2021年度～2022年度）



臨床研究
治験

薬事
承認

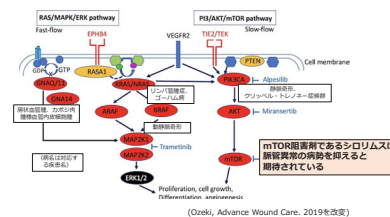
実用化

▶ 成果・取組概要

シロリムスの適応拡大に向け同剤（難治性の脈管腫瘍・脈管奇形に対するNPC-12T（顆粒剤・錠剤）の有効性および安全性を検討する多施設共同第Ⅲ相医師主導治験）を実施しました。当該結果をもとに2023年（令和5年）4月に製造販売承認事項一部変更申請（新効能・新剤型追加）を行い、2024年（令和6年）1月に薬事承認を取得しました。また、長期の安全性・有効性を検証する特定臨床研究も並行して実施し、131例の臨床的データを収集し、検証を行うことができました。

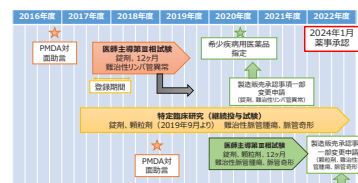
▶ 今後

シロリムスの臨床的効果・安全性データをまとめ、治療におけるエビデンスの確立を目指します。また、mTOR関連蛋白の免疫組織学的検討やサイトカイン、miRNA分析でバイオマーカーを確立し、同医薬品とのコンパニオン診断薬の開発を目指します。



（図1）脈管異常関連の遺伝子異常とシグナル伝達経路

脈管異常の病変部位よりRAS/MAPK/ERK、PI3K/AKT/mTOR経路上の遺伝子の異常が検出されることより、本経路が病態と関連していると考えられている。mTOR阻害剤であるシロリムスはこれらの経路を抑制し、脈管異常の病勢を抑えると考えられている。



世界初の承認に向けた先進的な研究として薬事承認と治療法確立のエビデンスを作ることができた

（図2）シロリムス（錠剤、顆粒剤）の適応拡大のロードマップ

本研究は世界でも先進的な研究として進められ、シロリムス（商品名：ラパリムス）の本疾患への適応拡大は世界初の薬事承認となった。

自己免疫性肺胞蛋白症に対する治療薬として薬事承認

事業名：難治性疾患実用化研究事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/003.html>

実施機関（研究開発代表者）：新潟大学（中田光）

研究開発課題名（期間）：自己免疫性肺胞蛋白症に対する酵母由来組換えGM-CSF吸入の多施設共同医師主導治験（2015年度～2017年度）



薬事承認

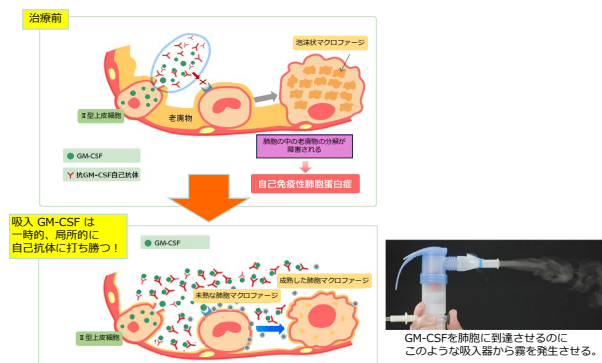
実用化

▶成果・取組概要

自己免疫性肺胞蛋白症は、肺に老廃物が溜まり呼吸困難が進行する難病で、従来は全身麻酔下での肺洗浄という患者の負担が高い治療法しかありませんでした。本研究において、長期GM-CSF吸入の安全性をサルへの投与により確認後、全国12施設共同偽薬対照二重盲検試験により、安全性と有効性が示されました。これらの結果をもとに、2024年（令和6年）3月、「自己免疫性肺胞蛋白症」を効能効果として薬事承認を取得しました。

▶今後

GM-CSF吸入療法は自己免疫性肺胞蛋白症の治療にとどまらず、肺の感染防御能を高めることが期待されます。今後は、非結核性抗酸菌症や慢性下気道感染症などの肺難治性感染症の治療につながることを期待されます。



（図）GM-CSF吸入療法の開発

GM-CSF吸入療法が自己抗体の産生を変化させるのではなく、肺胞マクロファージのお掃除力を高めることで効いている。

がん特異的抗体導入CAR-T細胞の第I相臨床試験開始

事業名：先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/11/01/001.html>

実施機関（研究開発代表者）：東北大学（加藤幸成）

研究開発課題名（期間）：難治性がんを標的とした先端的がん特異的抗体創製基盤技術開発とその医療応用（2019年度～2023年度）



臨床研究
治験



▶成果・取組概要

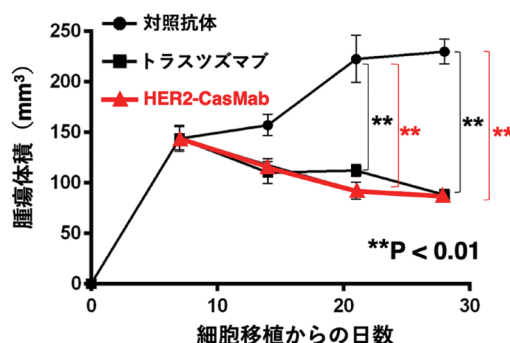
AMED先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業において、ヒト上皮細胞増殖因子受容体2（HER2）を標的とするHER2-CasMabを作製しました。HER2-CasMabは、正常の上皮細胞には全く反応せず、乳がんに対しトラスツズマブと同等の抗腫瘍効果を示しました。2020年（令和2年）に小野薬品工業株式会社と実施許諾契約を締結し、2024年（令和6年）1月、提携企業のFate Therapeutics社（米国）が、HER2-CasMabの遺伝子を導入した多重遺伝子編集キメラ抗原受容体（CAR）-T細胞製品候補FT825/ONO-8250の第I相臨床治験を開始しました。

▶今後

難治性固形がんに対する副作用のない、これまでにない治療法となることが期待され、世界最高水準の技術を用いた医療を患者さんに提供できるようになります。



（図1）HER2-CasMabは正常細胞には全く反応しない（免疫組織染色）



（図2）HER2-CasMabは乳がんに対しトラスツズマブと同等の抗腫瘍効果を示す

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

<https://www.amed.go.jp/program/list/index02.html>



2023年度 の取組

先進的なAI・IoT技術や計測技術、生体工学等を融合的に活用し、診断・治療の高度化や医療・介護の負担軽減、予防や予後の向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発と社会実装、エコシステムの構築を推進しました。特に、SaMDの研究開発や治療機器の医師主導治験を推進することで、医師や患者の負担が少ない診療機器の創出や画期的な治療機器の実証に繋げることができました。

患者体内で幹細胞を集める医療機器を開発し、糖尿病性足潰瘍を治療する世界初の再生医療に成功!

事業名：医療機器開発推進研究事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/12/01/002.html>

実施機関（研究開発代表者）：バイオチューブ株式会社（中山泰秀）

研究開発課題名（期間）：多能性体性幹細胞の体内集積具の開発と探索的医師主導治験（2022年度～2024年度）



▶ 成果・取組概要

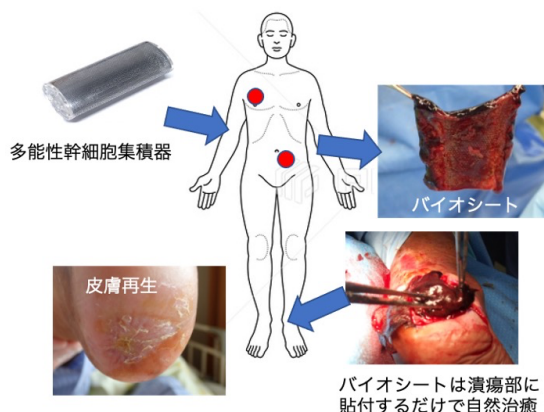
再生医療には幹細胞を使って組織や臓器の欠損や機能不全を回復する治療があります。幹細胞を受精卵や通常細胞から人工的に作成、あるいは採取した少量の幹細胞を体外で増殖することは、倫理面や経済性で課題があり、本研究は、これらの課題に取り組み、世界で初めてとなる再生医療の手法での治療に成功しました。

再生医療に十分量の多能性を含む幹細胞と成長因子やサイトカイン等の有効成分、コラーゲン組織からなるバイオシートを患者体内で形成できる多能性幹細胞集積器を開発し、これを用いた新たな治療法の確立を目指して糖尿病性足潰瘍患者を対象とした探索的医師主導治験を実施しました。

糖尿病性足潰瘍は神経障害や血管障害などの合併症により既存の外科的治療においても難治性であり、創閉鎖が困難な場合は足切断のリスクも非常に高く、また切断1年後の死亡率は25%、対足の切断率は25%と非常に予後が悪いものです。本治験では足切断が検討される重症例に対して、バイオシートを創部に1回貼付するだけで、自己治癒能力により足の形状を復元しながら自然に創閉鎖することを全10症例で確認できました。

自分の体は自分で治す、医療機器ベースの実践的再生医療

基盤技術は生体内組織形成術(iBTA)：機器を胸や腹の皮下に埋植することで、多能性幹細胞組織体（バイオシート）を形成できる



▶ 今後

検証的医師主導治験を早期に実施します。多能性幹細胞集積器の薬事承認・上市により本手法を普及させ、年間数万人の糖尿病性足潰瘍による足切断の撲滅を最優先で取り組みます。その後、脳梗塞や心筋梗塞、脊髄損傷などに対する幹細胞治療への応用やバイオシートに含まれる免疫系の細胞に着目し、がん治療への応用についても検討していきます。

(図) 患者体内で集めた幹細胞で糖尿病性足潰瘍を治療する新しい再生医療

誤嚥を予防するためにAIにより嚥下機能評価を支援するプログラム医療機器の開発

事業名：医工連携イノベーション推進事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/12/01/007.html>

実施機関（研究開発代表者）：PLIMES株式会社（鈴木健嗣）

研究開発課題名（期間）：AIによる嚥下自動解析に基づく誤嚥予防プログラムの開発（2022年度～2023年度）



▶成果・取組概要

嚥下機能低下は加齢や重篤疾患後遺症等により頻繁に生じる病態です。定期的に嚥下機能と誤嚥リスクを評価し食形態を変更することがQOL維持や誤嚥性肺炎等の予防に有効です。本研究グループは頸部に装着して嚥下音等を計測するGOKURITM頸部装着型電子聴診器を開発し、医療機器として認証されました。また、本品と水飲みテストにより適切な食形態を選定する嚥下機能判定テストと、誤嚥の徴候である咳ムセ等を判別・集計することで日常的に誤嚥リスクをモニタリングするプログラムを開発しました。

▶今後

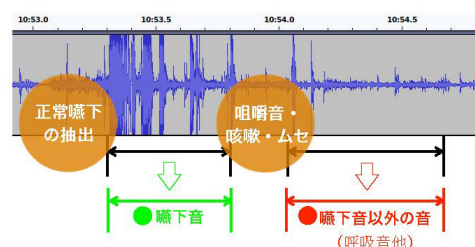
嚥下機能判定テストと誤嚥リスクモニタリングの有効性を検証する臨床研究を実施し、プログラム医療機器として薬事承認・保険収載を目指します。これにより嚥下機能低下に関連する疾患と負担の低減を目指します。

世界初の機器で低侵襲でどこでも特別な訓練なく容易に使用可能

嚥下音によりスクリーニング及び誤嚥リスクの簡易検査として利用



（図1）誤嚥予防プログラム



* 特許6914525号：嚥下機能解析システム及びプログラム

（図2）AIによる嚥下自動解析

心臓病専門病院から発信するウェアラブル腕時計を用いた遠隔心臓リハビリの社会実装

事業名：予防・健康づくりの社会実装に向けた研究開発基盤整備事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/12/02/002.html>

実施機関（研究開発代表者）：榊原記念財団附属 榊原記念病院（中山敦子）

研究開発課題名（期間）：ウェアラブルデバイスを用いた心臓リハビリテーション遠隔管理システムの開発と無作為化非盲検比較試験（2021年度～2023年度）

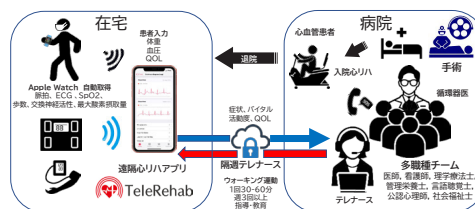


▶成果・取組概要

遠隔心臓管理アプリ「TeleRehab」を開発し、退院後の心血管患者を対象にして、「遠隔心リハ群」と外来心リハを行った「外来心リハ群」の2群にランダムに割付を行いました。両群ともに、3か月間心リハプログラムを実施し、全例で心肺機能検査等を行い、運動耐容能の改善率、心理スコアの改善率を調査しました。計135名の患者が登録され、両群において運動耐容能は改善し、心理スコアは遠隔心リハ群で有意に改善しました。

▶今後

本研究で遠隔心リハに最適な対象患者層を特定し、注意点も明らかにしました。今後は、多施設試験を実施し、プログラム医療機器として薬事申請をします。遠隔心リハは患者の日常生活での不安を解消し、再発予防となるだけでなく、医療従事者の在宅勤務等を可能にすることもできるため、遠隔医療の人材育成プログラムを構築します。また、地方自治体や民間ジムと連携し、国内で幅広く提供を行うこととしています。



（図）遠隔心リハアプリを用いた多職種による包括的遠隔医療システム

心血管患者は入院中に心リハを実施するが、遠隔心臓管理群では、退院時には遠隔心リハアプリ「TeleRehab」がインストールされたウェアラブルデバイスセットが配布され、テレトレーニングを受けながら在宅運動療法を行う。

スマートフォンタッチメント型眼科医療機器の改良と上市

事業名：開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/12/01/003.html>

実施機関（研究開発代表者）：株式会社OUI（中山慎太郎）

研究開発課題名（期間）：新眼科医療機器スマートアイカメラを用いた、開発途上国・新興国等における、予防可能な失明と視力障害の根絶方法の開発（2020年度～2022年度）



薬事
承認

基盤
整備

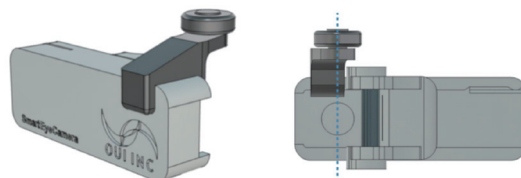
実用化



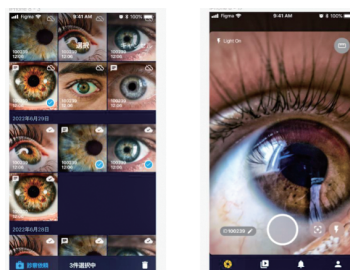
▶成果・取組概要

本研究グループが開発したSmart Eye Cameraはスマートフォンに固定・接続して使用する医療機器で、眼科診察をどこでも/安価に/誰でも簡単に可能とした画期的な発明です。

本研究開発は、ベトナムの医療機関の現状を観察し、そこで発見した課題を解決するアイデアを試作品として形にするとともに、現地で繰り返しテストと改良を行いました。その結果、完成した本品は2023年9月からベトナムでの販売を開始しました。



Smart Eye Cameraのハードウェア：カメラアタッチメント



Smart Eye Cameraのソフトウェア：前眼部画像撮影時

▶今後

販売と並行して使用者からの意見を継続して収集しています。収集した意見を製品に反映させることで、その国や地域の全ての必要な方に眼科医療が効果的に届く体制を現地医療機関と連携して構築して他の開発途上国・新興国への展開も目指していきます。

歩行動画のみで心不全患者のフレイルの程度を自動推定可能なプログラムの開発に成功

事業名：医療機器等研究成果展開事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/12/01/013.html>

実施機関（研究開発代表者）：北海道大学（永井利幸）

研究開発課題名（期間）：高齢心不全患者におけるフレイル自動診断を支援する新医療機器プログラムに関する研究開発（2022年度～2024年度）



基礎的
・応用

非臨床

臨床研究
治験



▶成果・取組概要

患者が規定のコースを歩行する動画から機械学習を用いて臨床フレイルスケールを推定するプログラムを開発しました。機械学習では、患者の関節位置座標情報から算出された歩行特徴量を入力データと定義し、75歳以上の高齢心不全患者について日本循環器学会循環器専門医10名が合議により決定した臨床フレイルスケール518例を教師データとして用いました。従来は専門医が10分以上かけて決定していた臨床フレイルスケールが、短時間（48.4秒）かつ高精度（quadratic weighted kappa=0.857）に自動で推定することが可能になりました。

▶今後

本プログラムをPCからスマートフォンに実装し、高齢心不全患者歩行の動画撮影から臨床フレイルスケール推定まで行うプログラム医療機器として医師主導治験を行い、薬事承認を目指します。

開発プログラムのスマートフォン実装

iOSアプリケーション

動画撮影画面
(撮影アシストガイド付き)

患者登録、歩行動画撮影、フレイル結果出力まで一連の操作を一括して実施可能

客観的フレイル評価を行うアプリケーション

判定レポート出力

(図) 高齢心不全患者の歩行動画撮影から臨床フレイルスケール推定をスマートフォン上で一貫して行うプログラム医療機器

③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

<https://www.amed.go.jp/program/list/index03.html>



2023年度 の取組

ヒトの細胞を活用した再生医療、体内外で行う遺伝子治療に関する研究開発を進め、細胞を用いた再生医療等製品の薬事承認の取得等の成果が得られました。また、シーズの社会実装加速化に向けての事業化や製造等の支援体制構築や、戦略的な国産ウイルスベクター産生細胞樹立などに取り組みました。

培養ヒト角膜内皮細胞の製造販売が承認され、 角膜移植に代わる新たな再生治療法として社会実装される

事業名：再生医療実用化研究事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/13/01/002.html>

実施機関（研究開発代表者）：京都府立医科大学（木下茂）

研究開発課題名（期間）：培養角膜内皮細胞を用いた水疱性角膜症に対する革新的再生医療の薬事承認による社会還元（2019年度）



薬事
承認



▶ 成果・取組概要

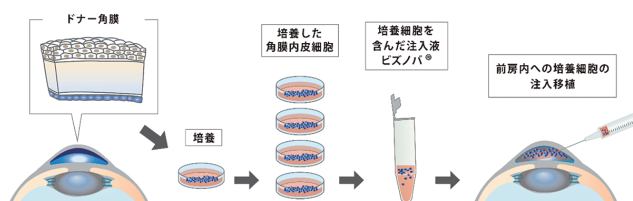
京都府立医科大学の木下茂教授をはじめとする眼科グループが角膜移植に代わる新規治療法として培養したドナー由来の角膜内皮細胞を水疱性角膜症*患者の前房内に移植する革新的な再生医療技術を開発しました。2013年（平成25年）に京都府立医科大学附属病院で水疱性角膜症に対する臨床研究を世界で初めて開始し、2017年（平成29年）からは京都府立医科大学附属病院、京都大学医学部附属病院と国立長寿医療研究センター病院の3施設での多施設共同医師主導治験を通じてその有効性と安全性が確認されました。培養ヒト角膜内皮細胞「ビズノバ®」は、2022年（令和4年）に厚生労働大臣より水疱性角膜症を対象疾患とした希少疾病用再生医療等製品の指定を受けました。AMED「再生医療実現拠点ネットワークプログラム（再生医療の実現化ハイウェイ、技術開発個別課題）」、「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」「再生医療実用化研究事

業」等での支援を経て、2023年（令和5年）に合同会社オーリオンバイオテック・ジャパン社が再生医療等製品として製造販売承認を取得しました。

* 角膜内皮疾患や手術的な外傷などにより角膜が浮腫状に混濁する。既存の治療法は、ドナー角膜を用いた角膜移植術のみ。

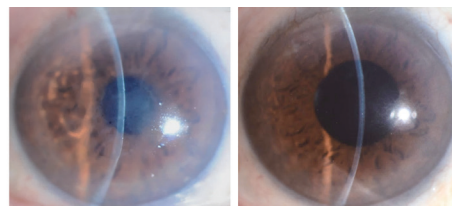
▶ 今後

角膜内皮細胞は生体内で再生しないため、水疱性角膜症の治療ではドナー角膜を用いた角膜移植術が行われてきましたが、ドナー角膜の供給は慢性的に不足しています。1名分のドナー角膜から複数患者分のビズノバを製造することができまますのでドナー角膜不足に対する解決の糸口になることが期待されます。著しい視力低下から失明の恐れのある患者を救う新たな再生医療として、オーリオンバイオテック社にて米国での臨床試験などグローバルな展開が進められています。



（図1）水疱性角膜症に対する培養角膜内皮細胞の注入移植

ドナー角膜から角膜内皮細胞を分離し、その細胞群を至適に調整した培養液を用いて、増殖そして成熟分化させる。成熟分化させた培養角膜内皮細胞から細胞懸濁液を作成し、水疱性角膜症の前房内に注入移植する。



（図2）培養角膜内皮細胞の注入移植の一例

水疱性角膜症（手術前）と培養角膜内皮細胞の注入移植後（手術後）を示す。スリット光観察による手術前後の角膜厚さと混濁の変化により、注入移植後に角膜浮腫が消失し、角膜が透明化しているのが分かる。

患者自身由来のiPS細胞から心筋細胞を作製する 心不全治療法の開発

事業名：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 <https://www.amed.go.jp/program/list/13/01/010.html>

実施機関（研究開発代表者）：Heartseed 株式会社（福田恵一）

研究開発課題名（期間）：自家iPS細胞由来再生心室筋細胞移植による難治性重症心不全治療法の開発（2023年度～2025年度）



▶ 成果・取組概要

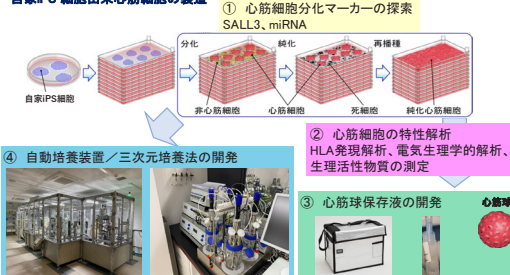
我々の独自技術である他家 iPS 細胞由来の再生心筋球を用いた治療では、免疫抑制剤の使用が必要ですが、子供や免疫低下した重症心疾患患者はその使用を避けることが望めます。自家 iPS 細胞治療では免疫抑制剤の使用は不要ですが、様々な患者から作製する iPS 細胞由来心筋の分化では心筋球の原料となる心筋細胞の純度が大きくバラつくことが難点でした。本研究において、自家 iPS 細胞由来心筋球の開発に、これまで培ってきた他家 iPS 細胞由来心筋球形成の経験を活かし、目的外細胞を死滅させる手法により他家 iPS 細胞由来と同程度の高純度心筋細胞を得ることに成功しました。

▶ 今後

様々な患者由来の iPS 細胞から心筋細胞への分化誘導のバラツ

キを抑え純化する技術の規模を拡大し商用製造スケールで確立します。実用化に備え同源性・同質性確保のため製品保存液や自動製造装置への適応検討、非臨床試験に向けて進めます。

自家iPS細胞由来心筋細胞の製造



（図）自家iPS由来心筋球実用化事業の概要

iPS細胞からヒトパピローマウイルス特異的細胞傷害性T細胞(HPV-CTL)製剤を作製し、その子宮頸がんに対する強力な抑制を示唆

事業名：再生医療等実用化研究事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/13/01/002.html>

実施機関（研究開発代表者）：順天堂大学（安藤美樹）

研究開発課題名（期間）：子宮頸がんに対する持続可能な iPSC 由来 CTL 療法の臨床研究（2021 年度～ 2023 年度）

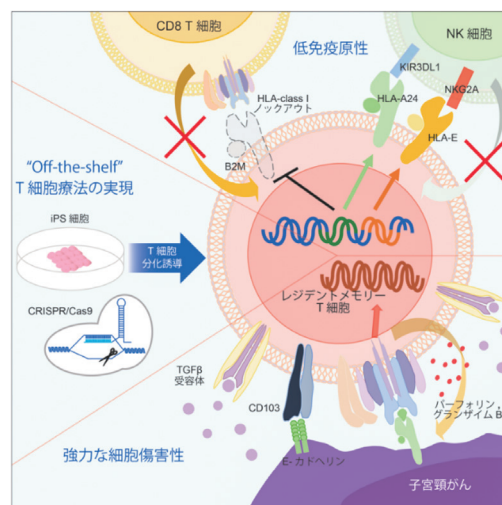


▶ 成果・取組概要

健康な人から樹立した iPS 細胞にゲノム編集を施し、その iPS 細胞から作製したヒトパピローマウイルス特異的細胞傷害性 T 細胞 (HPV-CTL) 製剤が、患者の免疫細胞から拒絶されずに子宮頸がんを強力に抑制できることを明らかにしました。さらに、その iPS 細胞由来 CTL 製剤が高い細胞傷害活性を持つ理由は大量の組織レジデントメモリー T 細胞を含むためであると解明し、難治性子宮頸がんに対して、有望な新規治療法となりうる可能性を示しました。

▶ 今後

順天堂大学細胞療法・輸血学のセルプロセッシングセンターで、臨床用 iPS 細胞由来 CTL 製剤の作製を進め、子宮頸がんを対象とした iPS 細胞由来 CTL 製剤の医師主導治験の実施に向けて取り組みを推進します。



（図）本研究で作製した健康人 iPS 細胞由来 HPV-CTL 製剤に豊富に含まれる組織レジデントメモリー T 細胞の特徴

TGFβ シグナリングによる CD103 発現量の上昇等で HPV 抗原特異的細胞傷害活性が増強する。B2M の消失により HLA クラス I 抗原の発現が消失することで T 細胞からの攻撃を、HLA-E と HLA-A24 を発現させることで NK 細胞からの攻撃をそれぞれ抑制する。

④ ゲノム・データ基盤プロジェクト

<https://www.amed.go.jp/program/list/index04.html>



2023年度
の取組

実臨床において、データベースの構築・充実やその利活用を通じた病態の解明、標準的治療法の開発、オンライン診療の治療効果検証、リアルワールドデータ解析による予後予測因子の検出、薬事承認に至る医療機器の開発等の研究開発を進め、新たな医療技術研究の実装化を加速しました。

膵がんに対する動体追尾VMATの実行可能性の検討

事業名：革新的がん医療実用化研究事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/15/01/010.html>

実施機関（研究開発代表者）：京都大学（溝脇尚志）

研究開発課題名（期間）：動体追尾強度変調回転放射線治療技術の開発と実行可能性臨床試験（2021年度～2023年度）



実用化



▶ 成果・取組概要

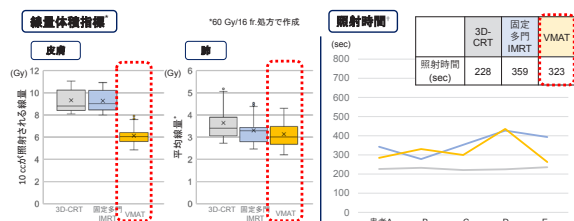
胸部（肺）に関して各照射法を比較し、動体追尾強度変調回転放射線治療（Volumetric Modulated Arc Therapy：VMAT）は従来の追尾法（固定多門）と比較して正常臓器の線量を低減しうることを明らかにし、10%程度の照射時間短縮が得られることを示しました。また、動体追尾VMATの呼吸位相による標的体積と正常組織の線量体積指標の変化を解析し、呼吸性移動に対する堅牢性が高いことを示しました。上腹部（膵臓）に関しては、動体追尾VMATは、追尾固定多門強度変調放射線治療（Intensity Modulated Radiation Therapy：IMRT）と比して、腫瘍線量やリスク臓器の高線量・低線量は同等でしたが、リスク臓器の中線量は低減可能であり、照射時間を約6割短縮できる可能性を示しました。その後、上記プランニングスタディの結果を基に、胸部・上腹部腫瘍に対する、動体追尾VMATの実行可能性を評価する臨床研究プロトコルを作成しました。医学物理検証に関しては、プランニングスタディで得られた情報を解析し、動体追尾照射の適用でガンマパス率が有意に改善することを示しました。さらに動体追尾VMAT時の情報を用いて照射時の4D-CBCTの再構成が可能なシステムを開発しました。さらに日立製作所の工場において、2023年（令和5年）7月にリリースされた新型ジナル搭載放射線治療装置の性能を評価し、精度が基準内であることを確認しました。

▶ 今後

胸部・上腹部癌に対する動体追尾VMATの実行可能性臨床試

験のプロトコルに対し当施設倫理委員会の承認を得た後、速やかに臨床試験に進めます。また、新型ジナル搭載放射線治療装置を用いて動体追尾VMATのアクセプタンス試験ならびにコミッショニングの実施を準備しております。さらに臨床試験症例に関しては、治療前に線量分布評価を行い、治療後は照射中に得られるデータを用いて動体追尾精度を評価することとしています。

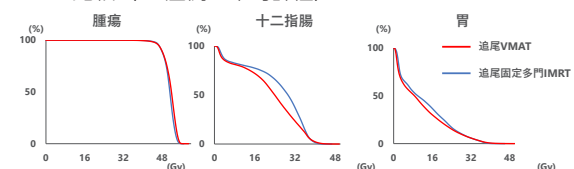
（図1）肺癌における追尾3D-CRT、追尾固定多門IMRT、追尾VMATの比較



・ 追尾VMATで皮膚高線量が低減、平均肺線量も同等に抑制

・ VMATの照射時間は追尾固定多門IMRTより短縮

（図2）局所進行膵癌における追尾VMATと追尾固定多門IMRTの比較（10症例の平均評価）



・ 追尾VMATは追尾IMRTに対してリスク臓器の中線量を軽減可能
・ 高線量、低線量は同等

患者負担のないIgA腎症の予後予測モデルを 日常臨床データベースから開発

事業名：難治性疾患実用化研究事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/003.html>

実施機関（研究開発代表者）：川崎医科大学（柏原直樹）

研究開発課題名（期間）：難治性腎障害の重症化要因の解析と治療法最適化を実現するためのリアルワールドデータ/ICT技術を活用したエビデンス創出（2021年度～2023年度）



臨床研究
治験

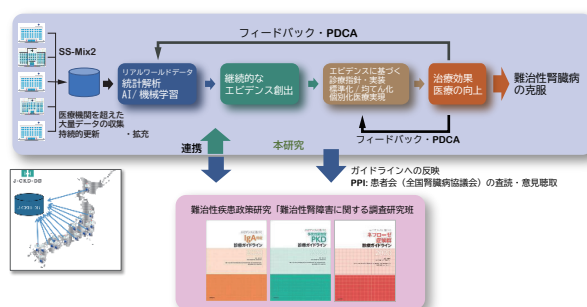
盤整

实用化



▶成果・取組概要

電子カルテ上で腎臓病患者を同定し、医療情報を一括して自動抽出するシステムと大規模リアルワールドデータベースを構築しました。人工知能 (AI) を用いた解析などにより、希少難治性疾患であるIgA腎症患者の予後予測モデルを開発しました。IgA腎症患者の精緻な予後予測と最適な治療が可能となります。このように、希少難治性疾患であってもリアルワールドエビデンスを得られることを証明しました。



▶ 今後

リアルワールドデータをさらに拡充し、希少疾患のリアルワールドエビデンス創出や、長期間追跡研究への展開、さらには腎臓病患者の生命・腎予後改善への寄与が期待されます。

胃潰瘍や十二指腸潰瘍の発症と関連する 遺伝的要因に新たな知見

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）

<https://www.amed.go.jp/program/list/14/05/010.html>

実施機関（研究開発代表者）：東京大学（松田浩一）

研究開発課題名（期間）：利活用を目的とした日本疾患バイオバンクの運営・管理（2023年度～2027年度）



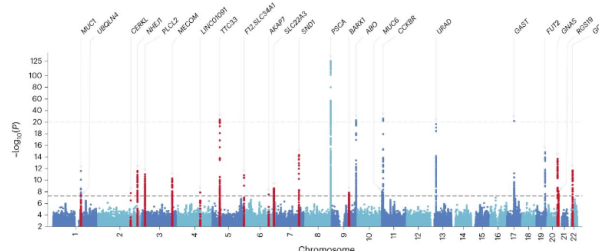
基礎的
・応用



▶成果・取組概要

日本人と欧米人を統合する最新のゲノムワイド関連解析により、胃・十二指腸潰瘍の発症と関連する25カ所の遺伝的座位を新たに同定しました。

また、一細胞トランスクリプトーム解析などのデータと統合することで、胃の修復過程における消化管細胞の分化および、胃酸分泌を促す主要なホルモンであるガストリンとその受容体との連携が、胃・十二指腸潰瘍のなりやすさを左右する因子であることが示唆されました。



(図) ゲノムワイド関連解析結果 (マンハッタン プロット)

▶ 今後

本研究は胃・十二指腸潰瘍やその後の胃癌との関わりに関する更なる医学研究のための洞察を与える他、ポリジェニック・リスク・スコアの計算に基づく予防的医療の構築、ひいては医療費削減につながると期待されます。

5 疾患基礎研究プロジェクト

<https://www.amed.go.jp/program/list/index05.html>



2023年度
の取組

医療分野の研究開発への応用を目指し、基礎的な研究開発に取り組むことで、脳機能、免疫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研究成果の創出につながりました。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構築を推進しました。

難治性血液がんに対する新薬を日本で開発に成功、世界で初めて臨床で有効性と作用機序を解明

事業名：新興・再興感染症研究基盤創生事業（多分野融合研究領域） https://www.amed.go.jp/program/list/15/01/001_001.html

実施機関（研究開発代表者）：東京大学（山岸誠）

研究開発課題名（期間）：HTLV-1 感染症のエピゲノムコードの解読と戦略的創薬を目指した基礎・臨床融合データサイエンス（2023年度～2025年度）

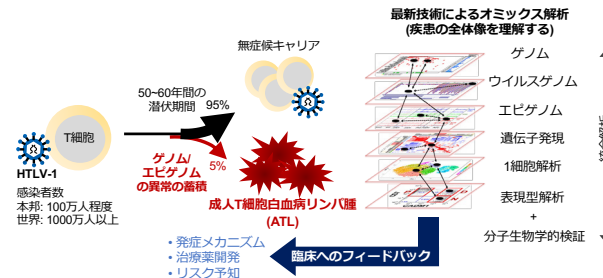


▶ 成果・取組概要

日本に罹患者が多いHTLV-1感染者が発症する極めて予後不良な成人T細胞白血病リンパ腫(ATL)と末梢性T細胞リンパ腫(PTCL)のエピゲノム異常と治療標的分子を特定し、産官学連携によってファーストインクラスEZH1/2阻害薬バレメトスタット(エザルミア®)の日本における創薬に成功しました。オミクス解析と検証実験を実施し、EZH1とEZH2の2分子によりメチル化ヒストンが蓄積し、ゲノム構造が凝集することが根本的なメカニズムの1つであることを発見し、実用化研究と産学連携により、エピゲノム異常を標的とした前臨床有効性と早期治療の理論的根拠を示すことができました。さらに臨床において世界で初めてメチル化ヒストン阻害薬の有効性と作用機序並びに長期投与後の耐性化機序を世界で初めて解明し(Nature 2024)、適切な医療提供に重要なバイオマーカーを検討しました。これらは国内のアカデミア基礎研究と国内製薬企業による薬剤開発の連携が結実した日本での創薬であり、難治希少がん対策、新興感染症対策に貢献する成果です。

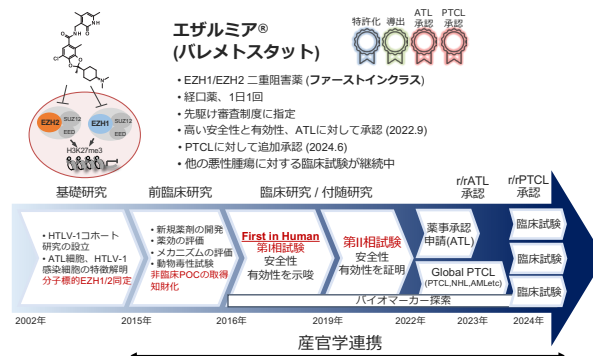
▶ 今後

メチル化ヒストンを標的とした新たなモダリティの登場により、革新的な感染症対策につながる可能性があります。メチル化ヒストンの蓄積は多くの疾患に見られる異常であり、次世代エピゲノム治療としてさらに適応拡大や併用療法開発の加速が期待されます。また作用機序や耐性化機序の解明により、実臨床への応用やバイオマーカーの同定も期待されます。



(図1) 血液難治がん、HTLV-1感染症に対する次世代技術によるアプローチ

大規模な多層のオミクス解析によって極めて予後不良な成人T細胞白血病リンパ腫(ATL)のエピゲノム異常の実態と分子標的を同定し、新たな治療法開発に成功した。



(図2) 日本発エピゲノム創薬の道のり

産官学連携研究による日本発エピゲノム薬の道のり。基礎研究からスタートし、前臨床研究、臨床付随研究を経て、新しい治療薬の有効性、作用機序、長期投与による耐性化機序を解明した。

行動を「損得勘定」する意思決定の脳内メカニズムを解明

事業名：脳とこころの研究推進プログラム（脳科学研究戦略推進プログラム 柔軟な環境適応を可能とする意思決定・行動選択の神経シ

テムの研究）／（戦略的国際脳科学研究推進プログラム） <https://www.amed.go.jp/program/list/15/01/002.html>

実施機関（研究開発代表者）：京都大学（伊佐正）

研究開発課題名（期間）：柔軟な意思決定の基盤となる神経回路に関するヒトと非ヒト霊長類を用いた統合的研究（2016年度～2020年度）

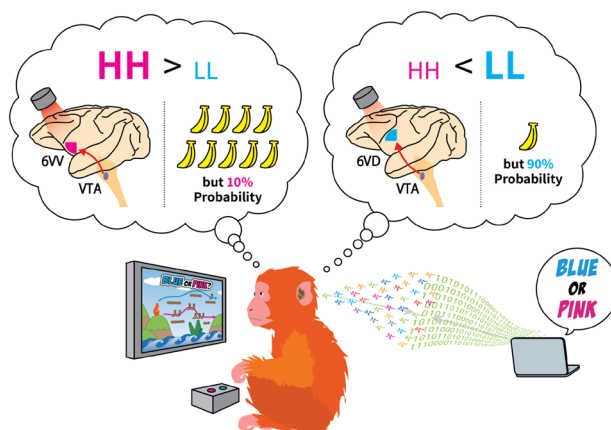


▶成果・取組概要

私たちは生得的に、リスク回避的な行動を選択しますが、時にはリスクを冒して行動します。報酬と失敗確率との損得勘定から行動の意思決定がどのように行われているか、脳のメカニズムは未解明でした。本研究は、利益とリスクの情報を統合し行動選択に関わる脳神経回路（中脳の腹側被蓋野から腹側ブロードマン領域6への経路）を特定し、さらに、行動選択を回路操作によって制御できることを示しました。ギャンブル依存症等に特徴的な意思決定の障害の治療において、リスク嗜好性の緩和に繋がる脳内経路の発見です。

▶今後

意思決定に関わる脳の神経回路を特定し、それを制御することによって霊長類の行動選択を変えられることを示した本研究をもとに、特定の神経回路および行動と精神疾患との関係の解明が進み、依存症等の治療法開発が期待されます。



（図）ハイリスクハイリターン（HH）とローリスクローリターン（LL）の、非ヒト霊長類における意思決定ゲーム（行動実験の模式図）

行動の選択を脳活動から解読すること、および行動の選択の光遺伝学技術による操作に成功した。

子宮頸癌の原因となるHPV18型の標的細胞とウイルス複製の特徴を解明

事業名：新興・再興感染症研究基盤創生事業（多分野融合研究領域）

https://www.amed.go.jp/program/list/15/01/001_001.html

実施機関（研究開発代表者）：大阪大学（田口歩）

研究開発課題名（期間）：単一細胞解析技術の統合によるHPV18型幹細胞発癌機構の解明（2023年度～2025年度）

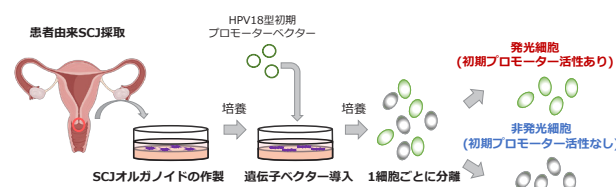


▶成果・取組概要

悪性の子宮頸癌を誘発するHPV18型の標的細胞の特徴を解明しました。HPV18型初期プロモーターを搭載したベクターを作製し、患者由来SCJオルガノイドに導入することで、HPV18型の標的細胞を単離しました。さらに、初期プロモーターを活性化した細胞のシングルセル解析により、HPV18型の標的細胞はSCJの中でもより未分化な細胞であること、ヌクレオフォスミン蛋白であるNPM3がHPV18型の複製に関わることを解明しました。

▶今後

今回の成果は、HPV感染症研究への幅広い応用が期待できます。また、NPM3のHPV18型の初期複製への関与を明らかにし、HPV18型による発癌の機序解明、予防法・治療法開発の進展が期待されます。



（図）SCJオルガノイドを用いたHPV18型初期プロモーター発現細胞の同定

B型肝炎ウイルスが感染受容体に結合するしくみを解明

事業名：肝炎等克服実用化研究事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/15/01/007.html>

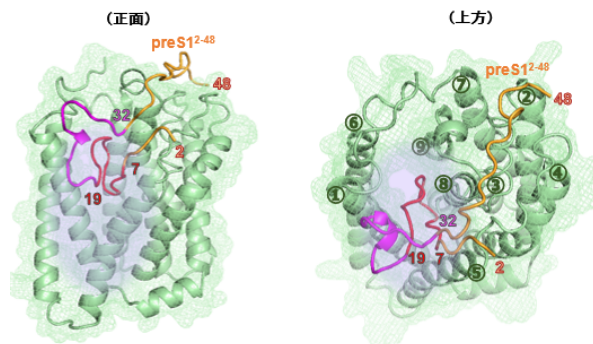
実施機関（研究開発代表者）：国立感染症研究所（渡士幸一）

研究開発課題名（期間）：受容体共役因子によるB型肝炎ウイルス感染制御と創薬研究（2022年度～2024年度）



成果・取組概要

B型肝炎ウイルス（HBV）は、人体に侵入後、ウイルス粒子の表面抗原のpreS1と呼ばれる領域を介して肝細胞表面の胆汁酸輸送体NTCPに結合し、感染を開始します。本研究は、HBV preS1/NTCP複合体の構造をクライオ電子顕微鏡により解明しました。構造解析とウイルス感染試験、胆汁酸輸送試験により、HBV preS1が投げ縄状に複雑に折りたたまれてNTCPとの接触表面積を最大化することで、肝細胞との高親和性結合を獲得することを明らかにしました。



（図）HBV preS/NTCP複合体の立体構造

HBV preS1²⁻⁴⁸は少なくとも4回のターンから成る複雑な投げ縄状構造により、NTCPとの接触表面積を広く確保している。NTCP（緑）の胆汁酸トンネル（紫）に深く入り込むpreS1の7-19アミノ酸（赤）、浅く入る20-32アミノ酸（マゼンタ）、NTCPの細胞外表面に沿う33-48アミノ酸（オレンジ）を示す。丸数字はNTCPの膜貫通領域を示す。preS1はNTCPの胆汁酸トンネルから細胞外表面までを広く覆うように結合する。

今後

HBV preS1と感染受容体NTCPの相互作用様式が可視化されたことで、HBVの感染制御機構の解明およびB型肝炎に対する新規治療薬の合理的設計に役立つと期待されます。

乳児のアトピー性皮膚炎において早期治療を行うことで鶏卵アレルギーの発症を抑制する効果を証明

事業名：免疫アレルギー疾患実用化研究事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/15/01/005.html>

実施機関（研究開発代表者）：国立成育医療研究センター（斎藤博久）

研究開発課題名（期間）：経皮感作対策による食物アレルギー発症予防研究（2019年度～2021年度）

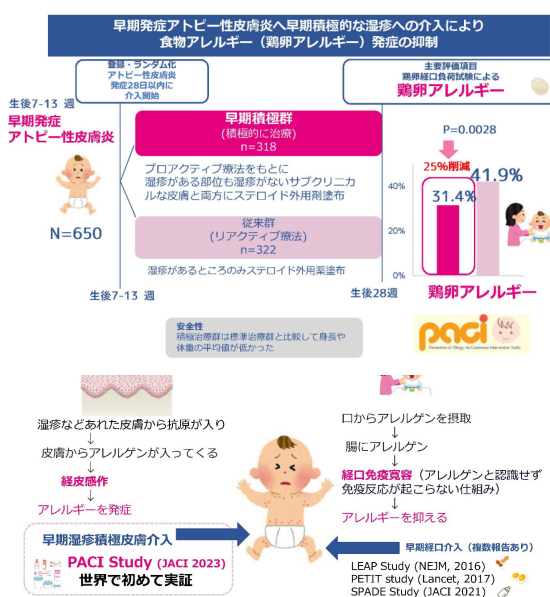


成果・取組概要

食物アレルギーの発症リスクが高いとされている乳児期早期発症のアトピー性皮膚炎の赤ちゃんに対して、早期の積極的治療（プロアクティブ療法を基に、湿疹部位・サブクリニカルな部位にステロイド外用薬を塗布）を行うことにより、湿疹があるところだけ薬を塗る今までの治療を行った赤ちゃんに比べて、鶏卵アレルギーの発症を抑制できることを世界で初めて、ランダム化比較試験で実証しました。

今後

乳児期早期発症のアトピー性皮膚炎に対して、早期介入による食物アレルギーや気管支喘息、アレルギー性鼻炎を含むアレルギーマーチのリスクを軽減できるかどうかを、長期的に追跡し、今後のアトピー性皮膚炎の治療に活かすことを視野に入れ調べています。



（図）本研究（PACI study）について

⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト

<https://www.amed.go.jp/program/list/index06.html>



2023年度
の取組

科学技術振興機構（JST）等の外部機関との連携やAMED内事業間連携による研究開発において、画期的な創薬シーズの創出に向けた多数の独創的な研究成果を創出しました。また、臨床研究中核病院を中心とした臨床試験の実施の強化により、DCT（分散型臨床試験）やアジア地域の国際共同試験の実施等の成果をもたらしました。

がん化学療法に伴う口腔粘膜炎の痛みを和らげる 口腔粘膜保護材の開発及びその薬事承認

事業名：橋渡し研究戦略的推進プログラム <https://www.amed.go.jp/program/list/16/01/009.html>

実施機関（研究開発代表者）：岡山大学（大森一弘）

研究開発課題名（期間）：がん化学療法に伴う口腔粘膜炎の疼痛緩和・発症制御を目指す新規口腔粘膜保護材の開発（2020年度～2021年度）



薬事
承認



▶ 成果・取組概要

がん治療時に経験する口腔粘膜炎による痛みは、生活の質（QOL）を著しく低下させる要因の一つです。痛みの原因となる歯と口腔粘膜との接触を緩和することを目的に、簡便で安全に使用できる口腔粘膜保護材を、岡山大学橋渡し拠点の支援のもと、サンメディカル株式会社、株式会社モリタと共同開発し、2023年（令和5年）5月に医療機器として承認を取得しました。本粘膜保護材は、接触を緩和させるだけでなく、市販の歯磨き粉やうがい薬に配合されている殺菌剤の塩化セチルピリジニウムを緩徐に徐放して、保護材表面で抗菌作用を発揮する特性があります。よって、本材を歯に装着することによって、がん化学療法中に口腔粘膜炎を発症しても、楽に会話や食事ができることで、がん治療に専念できる環境が整います。

▶ 今後

今回開発した治療法を既存の治療と組み合わせることで、口腔粘膜炎による痛みを和らげる新たな治療法の開発につながり、患者さんのQOLのさらなる向上に寄与することが期待されます。

性能・性質：ソフトな被覆・感染対策・既存治療との差別化

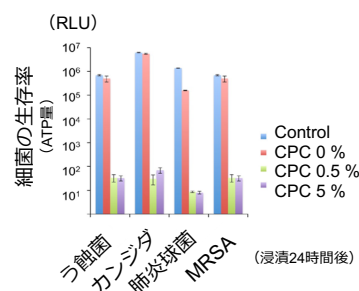
- ・口腔内（歯）へ**手指で充填、除去が簡便にできる**
- ・**短い処置時間**（光照射3秒で十分硬化、モリタ社 Pencure2000使用時）
- ・**病室等（歯科診療室外、屋外）**での使用が可能
- ・**約4週間継続するCPCの緩徐な徐放**
- ・プリスター包装採用による**徹底した感染管理**（個包装）
- ・切削器具等による**咬合調整が不要**（適度な軟らかさ）



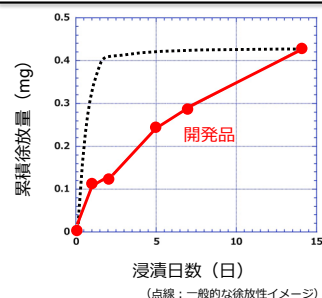
商品名：ソフトプロテクターCPC
（承認/認証番号：30500BZX00107000）

付加的な特性：材料の抗菌性

① 強い抗菌特性



② 緩徐なCPC徐放特性



最先端のゲノム解析技術で乳がんの発症経過の全体像を解明

事業名：革新的先端研究開発支援事業 ユニットタイプ <https://www.amed.go.jp/program/list/16/02/001.html>

実施機関（研究開発代表者）：京都大学（小川誠司）

研究開発課題名（期間）：加齢や炎症に伴う組織の再構築と機能低下（2019年度～2023年度）

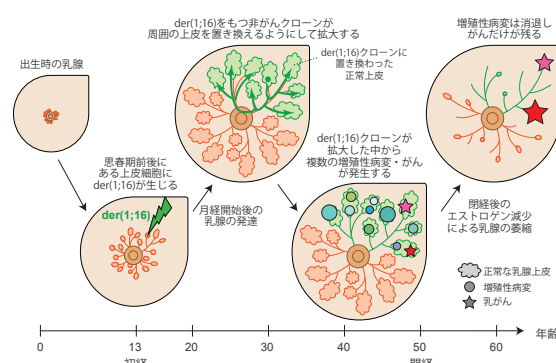


▶ 成果・取組概要

がんは我が国を含む多くの先進諸国で死因の第一位を占め、我々の健康に重大な影響を及ぼす疾患です。変異を獲得した細胞にはじまることは知られていますが、がんの発症経過の全体像についてはよくわかっていませんでした。近年増加の一途を辿っている乳がんについて、最初の変異の獲得から数十年後の発症にいたるまでの全経過を、最先端のゲノム解析技術を駆使することによって、世界で初めて明らかにすることに成功しました。

▶ 今後

本成果をもとに、このような経過において、がんに進展するクローンと消退するクローンの違いを明らかにする研究が更なる進展には重要です。この違いが解明されれば、乳がんの発症のリスク予測や効率的な検診、発がん予防などの方策の開発につながることを期待されます。



（図）der(1;16)陽性乳がんが発生するまでの進化の歴史

思春期前後に生じた特定の染色体異常（der(1;16)）陽性の細胞が、様々なドライバー変異を追加で獲得しながら増殖し、数十年の年月を経て、乳がんとなる。

世界初の高純度キャップ化mRNAワクチン製造技術、PureCap法の確立

事業名：革新的先端研究開発支援事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/16/02/001.html>

実施機関（研究開発代表者）：名古屋大学（阿部洋）

研究開発課題名（期間）：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（2021年度～2025年度）

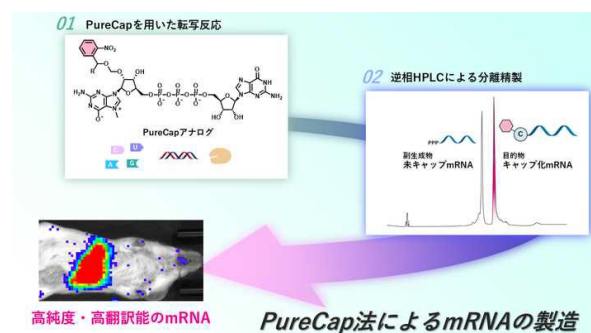


▶ 成果・取組概要

mRNA医薬がかかえる様々な課題の解決に貢献できるプラットフォーム技術の開発をすすめている中で、疎水性タグを有するPureCapアナログを原料に用いた転写反応から、mRNA分子を高純度で単離精製することを可能とするPureCap法を確立しました。この手法により製造されたCap2型構造を有するmRNAは、高いタンパク質合成量および低い炎症作用を示すことが明らかになりました。

▶ 今後

本成果は、国産mRNAワクチンの製造に貢献することが期待されます。また、癌や遺伝性疾患に対するmRNA治療薬の開発に応用できる可能性があります。本研究は、mRNA科学の基礎的な知見を深めるとともに、mRNA医療の実用化に向けた重要な一歩となります。



（図）PureCap法によるmRNAの製造

PureCapアナログを原料に用いた転写反応は目的物と副生成物の混合物を産生するが、逆相HPLCによる精製で副生成物が分離可能となることがPureCap法の大きな利点である。その結果、高純度のmRNA分子を得ることが可能となり、このものは高翻訳能を示した。

医療研究開発革新基盤創成事業 (CiCLE)

<https://www.amed.go.jp/program/list/index07.html>2023年度
の取組

基盤の形成を推進するCiCLEでは、大規模かつ長期の返済型資金を提供することで、医薬品・医療機器等の実用化を加速する研究開発を支援しており、依存性の少ない新規疼痛治療薬や、社会的な課題である薬剤耐性菌感染症治療薬等の開発を含め、基盤の形成促進に対する支援を行いました。

新規疼痛治療薬 (ENDOPIN) の開発

事業名：医療研究開発革新基盤創成事業 (CiCLE) <https://www.amed.go.jp/program/list/17/01/007.html>

実施機関（研究開発代表者）：株式会社BTB創薬研究センター

研究開発課題名（期間）：非NSAIDs・非オピオイド新規疼痛治療薬ENDOPINの実用化研究（2021年度～2025年度）



非臨床

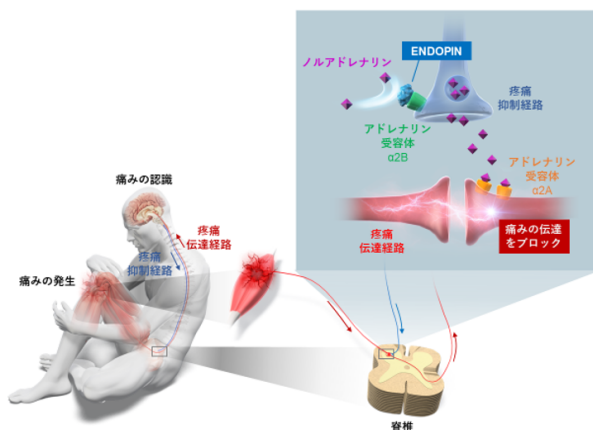
臨床研究
治験

▶ 成果・取組概要

ENDOPINは、京都大学大学院医学研究科のオリジナル化合物ライブラリーから見出した、全く新しい作用機序の疼痛治療薬候補化合物であり、アドレナリン受容体 $\alpha 2B$ を選択的に阻害することで鎮痛作用を示します。オピオイドと同等の鎮痛効果を示し、かつ依存性を有しないことから、欧米で深刻化する、オピオイドクライシスを解決する画期的な疼痛治療薬となる可能性があり、米国市場への展開を視野に入れて開発を進めています。また、臨床試験実施のために必要な非臨床試験を充足させ、医師主導第I/II相試験（単回投与試験）を開始しました。現在は、健康成人男性を対象とした第I相パートを完了し、安全性が確認されたことから、術後疼痛患者を対象とした第II相パートを実施しています。第II相パートでは、安全性および有効性を検討し、探索的な臨床POC取得を目指しています。

▶ 今後

国内での臨床試験のほか、欧米で深刻化するオピオイドクライシスを解決する画期的な疼痛治療薬としての実用化に向けて、米国市場への展開を視野に米国での第II相試験の実施に取り組みます。



ENDOPIN 医師主導第I/II相試験（単回投与試験：P2 進行中）



カルバペネム系抗菌薬に耐性を有する菌に対する β-ラクタマーゼ阻害薬KSP-1007の有効性および安全性の確認

事業名：医療研究開発革新基盤創成事業（CICLE） <https://www.amed.go.jp/program/list/17/01/007.html>

実施機関（研究開発代表者）：住友ファーマ株式会社

研究開発課題名（期間）：薬剤耐性（AMR）菌感染症治療薬を目的とした創薬研究（2017年度～2027年度）

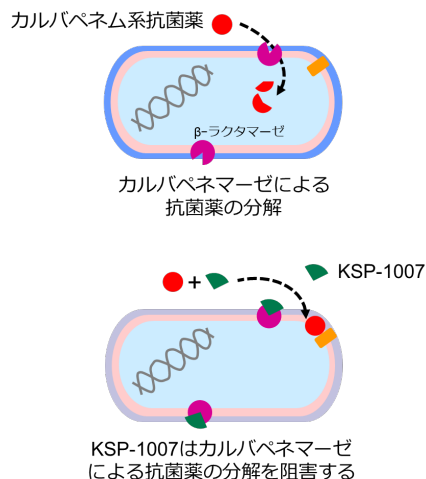


▶ 成果・取組概要

サイレント・パンデミックともいわれる薬剤耐性菌の蔓延という世界的な社会課題解決のため北里研究所との協働により、新規AMR感染症治療薬KSP-1007を見出しました。KSP-1007は、セリン型だけでなくメタロ型カルバペネマーゼも阻害することでカルバペネム系抗菌薬であるメロペネムとの併用により広く強い抗菌活性を示します。非臨床試験において有効性と安全性を確認し、米国FDAにIND申請を実施し、第1相臨床試験を実施しました。良好な薬物動態と重篤な副作用が認められないことが確認できました。

▶ 今後

KSP-1007の早期の社会実装に向けて、重症感染症患者を対象とした第2相試験を実施します。現在第2相試験を実施するために必要な追加の非臨床試験ならびに臨床試験を実施しています。



カルバペネム系抗菌薬に耐性を有する菌に対する β-ラクタマーゼ阻害薬OP0595の臨床第Ⅲ相国際共同治験を開始

事業名：医療研究開発革新基盤創成事業（CICLE） <https://www.amed.go.jp/program/list/17/01/007.html>

実施機関（研究開発代表者）：Meiji Seika ファルマ株式会社

研究開発課題名（期間）：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（2018年度～2027年度）



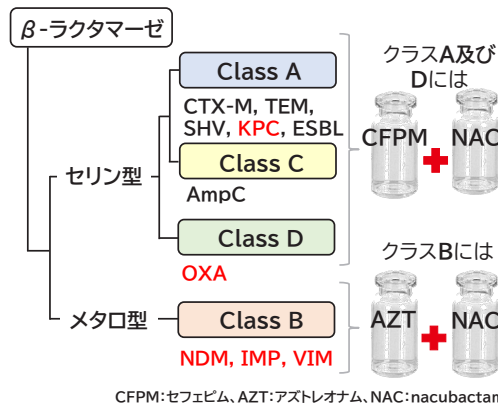
▶ 成果・取組概要

世界的に非常に深刻な公衆衛生上の問題となっているカルバペネム耐性グラム陰性菌による感染症の治療薬を目指し、新規β-ラクタマーゼ阻害剤であるnacubactam（OP0595）と、既存のβ-ラクタム薬（セフェピム又はアズトレオナム）とを併用投与する2つの臨床第Ⅲ相国際共同治験を開始しました。また、カルバペネム耐性菌に対する薬剤感受性の調査結果等について、国際学会（ESCMID Global 2024）で3演題を発表しました。

▶ 今後

Nacubactamは、セフェピム又はアズトレオナムの併用投与により使用する治療薬として、単味製剤での製造販売承認に向けて研究開発を進めていきます。

国内外で分離される主な薬剤耐性菌（カルバペネマーゼ産生薬剤耐性菌）に対応できるよう、β-ラクタマーゼの酵素型に応じてβ-ラクタム薬（セフェピム、またはアズトレオナム）と組み合わせ使用可能な単味製剤（注射剤）として開発している。



（図）Nacubactam(OP0595)単味製剤開発のコンセプト

ムーンショット型研究開発事業

<https://www.amed.go.jp/program/list/18/03/001.html>



2023年度 の取組

ムーンショット型研究開発事業は、目標7の「2040年までに、主要な疾患を予防・克服し100歳まで健康不安なく人生を楽しむための持続可能な医療・介護システムを実現」のため、加齢による様々な疾患の原因と考えられている「慢性炎症」の制御をキーワードとして、8つの研究開発課題を推進しています。

自己免疫疾患の制御に関わる新たな加齢関連T細胞を発見

事業名：ムーンショット型研究開発事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/18/03/001.html>

実施機関（研究開発代表者）：代表機関：北海道大学（村上正晃）

実施機関：東京大学（藤尾圭志）

研究開発課題名（期間）：病気につながる血管周囲の微小炎症を標的とする量子技術、ニューロモデュレーション医療による未病時治療法の開発（2021年度～2025年度）



基礎的
・応用

▶ 成果・取組概要

自己免疫疾患の病態制御に関わる新たな加齢関連T細胞を発見しました。自己免疫疾患は、免疫という本来は身体を守る仕組みに異常が起こり、自分の組織を攻撃してしまう病気です。その発症には遺伝的および環境的な要因が関与しますが、「加齢」も重要な要因であり、免疫学的な細胞レベルでの老化が、自己免疫疾患の発症に関わっているとも考えられています。本研究では、加齢で増加するT細胞を発見し、「ThA（Age-associated helper T/加齢関連ヘルパーT）細胞」と名付けました。ThA細胞は、若年齢の自己免疫疾患でも増加し、その細胞は健康な方のThA細胞とは性質が異なることが分かりました。ThA細胞の機能を詳細に調べたところ、これまでは別々の細胞が担うと考えられていた、抗体産生を導く機能と、周囲の細胞を傷害する機能の2つを併せ持っていることが分かりました。加齢で増加し、かつこれら2つの機能を持つ細胞は、世界で初めての発見となります。



（図）概念図：加齢により増加するThA細胞と新規治療法開発の可能性

▶ 今後

今回の研究で得られた知見は、ThA細胞が、自己免疫応答と健康長寿の違いを知ることができる重要な細胞であることを示唆しており、自己免疫疾患の新たな治療法開発、健康長寿社会実現への展開が期待されます。

インスリン抵抗性に関連するヒト腸内細菌の網羅的解析

事業名：ムーンショット型研究開発事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/18/03/001.html>

実施機関（研究開発代表者）：代表機関：慶應義塾大学（本田賢也）

実施機関：理化学研究所（大野博司）

研究開発課題名（期間）：健康寿命伸長に向けた腸内細菌動作原理の理解とその応用（2022年度～2026年度）



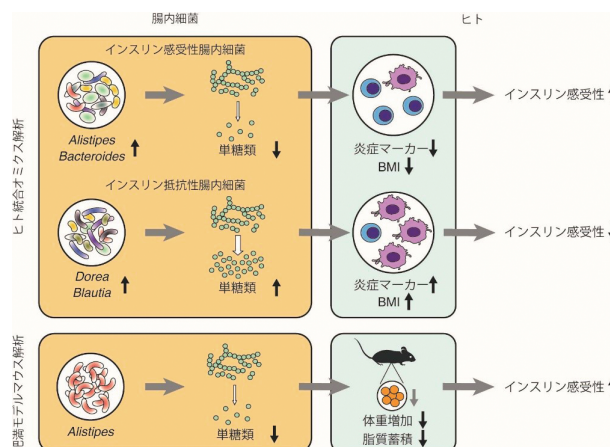
基礎的
・応用

▶ 成果・取組概要

2型糖尿病の基盤であるインスリンの働きが悪くなるインスリン抵抗性に関連する特徴的な腸内細菌および糞便代謝物を特定しました。統合オミクス解析という従来にはない多角的な視点から調べることで、腸管内の単糖類がインスリン抵抗性に強く関連すること、特定の腸内細菌種とその遺伝子機能がこれら単糖類と関連することを見いだしました。さらに、統合オミクス解析を通じて同定した *Alistipes* 属の細菌株が、実際にマウスのインスリン抵抗性を改善させることを明らかにしました。

▶ 今後

本研究成果をもとに、新しいプロバイオティクスやインスリン抵抗性の治療薬が創出されるものと期待されます。



(図) 統合オミクス解析によるインスリン抵抗性に関連する腸内細菌の同定

加齢に伴う免疫細胞の老化が腸内細菌叢の乱れを引き起こす

事業名：ムーンショット型研究開発事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/18/03/001.html>

実施機関（研究開発代表者）：代表機関：理化学研究所（古関明彦）

実施機関：大阪大学（原英二）

研究開発課題名（期間）：細胞運命転換を用いた若返りによるがんリスク0の世界（2022年度～2026年度）



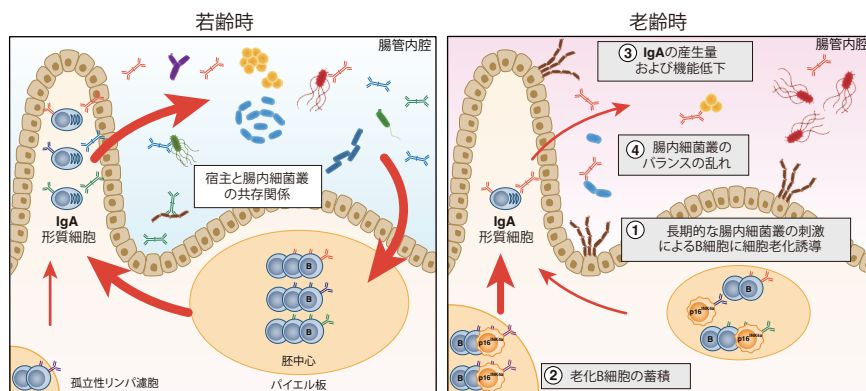
基礎的
・応用

▶ 成果・取組概要

免疫グロブリンA (IgA) を産生するB細胞が腸内細菌により長期的に刺激を受けることで細胞老化を起こし、IgAの産生量や多様性に変化が生じることで、腸内細菌叢の乱れを引き起こすことを明らかにしました。本研究成果は加齢に伴い腸内細菌叢が変化することの原因の一端を明らかにすると同時に、様々な加齢性疾患の発症原因の一つと考えられている加齢に伴う腸内細菌叢の乱れを改善する方法の開発につながる可能性がある研究成果です。

▶ 今後

今回の研究で得られた知見は、加齢に伴い腸内細菌叢が乱れる原因の理解につながると同時に、腸内細菌叢の乱れを防ぐ新たな予防法の開発につながり、健康寿命の延伸への貢献が期待されます。



(図) 加齢に伴って変化する腸内細菌叢とB細胞の相互作用

左：若齢時では腸内細菌叢の刺激により産生されたIgAが腸内細菌叢を制御し腸内細菌叢と宿主の間に正の相互作用が形成されている。
右：老齢時では、長期的な腸内細菌叢の刺激によってB細胞に細胞老化が誘導され、腸管内に蓄積することでIgAの産生量および機能低下へとつながり、腸内細菌叢のバランスの乱れの原因となる。

新型コロナウイルスワクチンの開発支援

<https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/004.html>2023年度
の取組

新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対するワクチンの早期実用化に向けた研究開発を産学官共同により推進しました。また、**高度な知見を有する専門家を構成員として**各研究機関の課題を適宜評価し、機動的な課題管理や運営を行いました。その結果、国内の製薬企業が開発するワクチンについて、国内における製造販売の承認を経て、国産のワクチンが初めて実際の接種で使えるようになり、国産ワクチンの実用化に向けた成果が認められました。

COVID-19に対する国産mRNAワクチンの実用化

事業名：新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対するワクチン開発（ワクチン開発推進事業、創薬支援推進事業）

<https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/004.html>

実施機関（研究開発代表者）：第一三共株式会社（眞鍋淳）

研究開発課題名（期間）：新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対するmRNAワクチン開発（2020年度～2024年度）



実用化



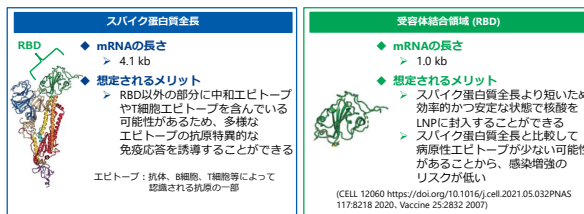
▶ 成果・取組概要

DS-5670は、事業実施機関が見出した新規核酸送達技術を用いたCOVID-19に対するmRNAワクチンで、新型コロナウイルスのスパイク蛋白質のReceptor-Binding Domain (RBD: 受容体結合領域) を標的としています。2022年（令和4年）1月から開始した1価（起源株）による追加免疫に対する国内第I/II/III相臨床試験に基づき、2023年（令和5年）1月に国内製造販売承認申請を行い、同年8月に薬事承認を取得しました。そして、その直後より速やかにオミクロン株に対応するワクチンの開発および生産体制の構築も推進しました。具体的には、2価（起源株/オミクロン株 BA.4-5）ワクチンによる追加免疫に対する第III相臨床試験を2023年（令和5年）5月より実施しました。また、オミクロン株 XBB.1.5に対する非臨床薬理試験を実施して、同年11月に1価（オミクロン株 XBB.1.5）ワクチンの製造販売承認事項一部変更承認を取得し、同年12月に特例臨時接種に用いるワクチンとして接種適用されました。一方、5～11歳小児への適応拡大を目的とした臨床試験を実施し、製造販売承認事項一部変更申請を2024年（令和6年）4月に行いました。

▶ 今後

WHOが指定する注目すべき変異株や監視中の変異株について、最新の流行株に対応したマウス薬理評価モデルを用いた免疫原性プロファイリングを継続的に実施しています。また、今後の定期接種に向けて、変異株対応ワクチンの供給にも取り組んでいます。

■ 本課題で研究開発されたワクチンは、新型コロナウイルスのスパイク蛋白質全長ではなく**受容体結合領域（RBD）**を標的にしている



(図1) LNP-mRNAの特徴

本課題で研究開発したワクチンは、受容体結合領域 (RBD) を標的にした mRNA ワクチンである。

■ 一般名：コロナウイルス（SARS-CoV-2）RNAワクチン

■ 日本初国産mRNAワクチン

用法及び用量：追加免疫として、1回0.6mLを筋肉内に接種

貯法：2-8℃

包装：1.5mL (2回分) × 2バイアル



(図2) 新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対するmRNAワクチンの製品概要

貯法 2-8℃の液状バイアル製品を開発し、供給・実用化を果たした。

創薬ベンチャーエコシステム強化事業

<https://www.amed.go.jp/program/list/19/02/005.html>

グローバルに接続した創薬ベンチャーエコシステムの形成

事業名：創薬ベンチャーエコシステム強化事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/19/02/005.html>

▶ 成果・取組概要、今後

日本における創薬ベンチャーエコシステムの強化のため、認定ベンチャーキャピタル（認定VC、AMEDが認定）が補助対象経費の1/3以上を出資する創薬ベンチャーが行う医薬品の実用化開発にAMEDが補助金を交付する事業です。公募は、AMEDが認定するVCの公募と、認定VCの出資を受ける創薬ベンチャーが行う医薬品の実用化開発課題の公募の2段階で行います。特に、創薬ベンチャーの十分な売上や成長を図るべく、日本に加えて海外市場での事業化を行う計画についても積極的に支援します。さらに、創薬ベンチャーの早期の海外進出を実現すべく、海外VCの事業参画を進めています。2023年度（令和5年度）は、海外VC4社を含む9社のVCを認定し、創薬ベンチャーの実用化開発課題を9件採択しました。また、創薬ベンチャーエコシステム強化に向けた成果導出及び資金調達機会の創出のため、認定VCをコメンテーターとする「AMEDシーズアクセラレーションピッチ」を開催し、AMED内他事業との連携を進めています。

(図) 創薬ベンチャー採択課題（2023年度）

補助事業課題名	実施機関	リード認定ベンチャーキャピタル
下行性疼痛抑制経路を活性化する経口鎮痛薬 ENDOPINの開発	株式会社BTB創薬研究センター	京都大学イノベーションキャピタル株式会社
ヒトIPS細胞由来心筋細胞製剤OZTx-556の重症心不全患者を対象としたグローバル治験によるProof of Concept (PoC)検証	オリヅルセラピューティクス株式会社	京都大学イノベーションキャピタル株式会社
視覚再生遺伝子治療薬のグローバル第2相臨床試験におけるPOC取得	株式会社レストアビジョン	Remiges Ventures, Inc.
K _{ATP} チャネル阻害作用を有する低分子アルツハイマー型認知症治療薬NTX-083の開発	Neusignal Therapeutics 株式会社	株式会社ファストトラックイニシアティブ
ミトコンドリア置換自己T細胞製剤によるがん治療薬の研究開発	イメル創薬株式会社	Remiges Ventures, Inc.
GPC3 発現固形がんを対象とした低免疫原性同種iPS 細胞由来細胞傷害性T細胞療法の開発	サイアス株式会社	Impresa Management LLC
iPS細胞由来角膜内皮代替細胞(CLS001)のグローバル開発とP1/P2臨床試験	株式会社セルージュン	株式会社東京大学エッジキャピタルパートナーズ
治療抵抗性転移再発HER2陰性乳癌に対する新規治療法の開発	ベリオセラピア株式会社	大阪大学ベンチャーキャピタル株式会社
腫瘍内のM2様マクロファージに選択的なナノ粒子ドラッグデリバリーシステムに搭載したTLR刺激薬による新規がん免疫療法の開発	ユナイテッド・イムニティ株式会社	株式会社東京大学エッジキャピタルパートナーズ

革新的医療技術研究開発推進事業(産学官共同型)

<https://www.amed.go.jp/program/list/18/03/002.html>

幅広い産学連携による研究開発を開始

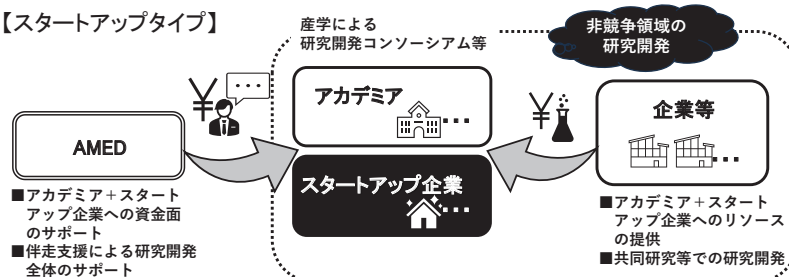
事業名：革新的医療技術研究開発推進事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/18/03/002.html>

▶ 成果・取組概要、今後

本事業は、非競争領域で、複数年にわたり幅広く産学が連携し、国費と民間資金からなるマッチングファンドによる研究開発を支援します。その研究成果は、企業により、医薬品、医療機器開発などに繋がります。2022年度（令和4年度）末に、アカデミアタイプの課題①「宮地弘幸PJ（東大）：創薬

研究を加速する革新的スクリーニングライブラリープラットフォームの産学連携構築を開始し、計画通り順調な進捗でした。また、課題②「小濱和貴PJ（京大）：患者由来がん幹細胞培養を基盤とした革新的個別化医療開発」を開始しました。更に、ワークショップを開催するなどして、スタートアップタイプの課題を4件採択し研究開発の開始となります。

【スタートアップタイプ】



(図) 産学官連携の仕組み

先進的研究開発戦略センター(SCARDA) ワクチン・新規モダリティ研究開発事業 ワクチン開発のための世界トップレベル 研究開発拠点の形成事業

<https://www.amed.go.jp/program/list/21/index.html>


2023年度 の取組

ワクチン・新規モダリティ研究開発事業では、情報収集・分析機能等を強化するとともに、幅広い研究領域からの研究者の参画を可能にするなどの取組を進め、研究開発支援を拡大しました。また、ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成事業では、研究成果をワクチン・新規モダリティ研究開発事業に繋げるなど、研究開発の進展に取り組みました。

今後起こりうるパンデミックに備えたワクチン開発を推進

事業名：ワクチン・新規モダリティ研究開発事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/21/02/001.html>



基礎的
・応用

非臨床

臨床研究
・治験

▶ 成果・取組概要

今後起こりうるパンデミックの脅威に備え、感染症有事にいち早く国際的に貢献できるワクチンを国内外に届けるための取り組みを進めました。新規モダリティであるユニバーサル型ワクチンやmRNAの混合ワクチンの研究開発課題も採択するなど、新たに感染症ワクチンの研究開発は3課題を、新規モダリティの研究開発は15課題を採択し、戦略的に研究開発を支援して、ワクチンの早期実用化を目指します。

ワクチン枠（採択課題数：8課題）

採択課題マッピング

令和6年2月時点

重点感染症	採択課題	モダリティの種類
コロナウイルス	○	組換えタンパク saRNA mRNA (混合ワクチン) 不活化 (混合ワクチン)
インフルエンザウイルス	○	mRNA
RSウイルス		
エンテロウイルス		
デングウイルス	○	弱毒生
ジカウイルス		
ニパウイルス	○	ウイルスベクター
天然痘・サル痘	○	弱毒生

新規モダリティ枠（採択課題数：24課題）

大分類	モダリティの種類、特徴	
	新たな特徴を有するものなど	新たな生産系や製造法
mRNA	- 副反応が少ないもの - 即効性かつ副反応が少ないもの - mRNAの翻訳活性を高めるもの	mRNAの純度を高める製造法
ウイルスベクター	- アデノ随伴ウイルス - 非増殖型のラインフルエンザウイルス	
組換えタンパク・ペプチド	- 経鼻用に最適化したインフルワクチン - 舌下用の合成エボラ - 糖ペプチド - 化学合成可能な抗原を提示するナノ粒子 - キメラ型のウイルス様粒子の新規デザイン - 粉体噴射型（経鼻）	- 昆虫（カイコ）由来（経口） - コメ由来（経口） - 耐酸性微生物由来（経口） - 無細胞合成技術・マイクロ回路技術
不活化		増殖に必要な遺伝子を欠損させ不活化
弱毒生	- 組換え非増殖型のコロナウイルス - 非増殖型のワクシニアウイルス	
その他	- AIによるユニバーサルワクチン設計 - 人工アジュバントベクター細胞のワクチン - IPS細胞由来のエクソソーム - 自然免疫メモリー誘導ワクチン - 非炎症性核酸型のアジュバント	

・赤字は2023年度の採択案件
・上記のほかに、ワクチンの研究開発を支援する研究課題2課題あり（非臨床評価系支援、アジュバント開発支援） 1

ユニバーサルサルベコウイルスワクチンの ヒトでの安全性と有効性の確認

事業名：ワクチン・新規モダリティ研究開発事業 <https://www.amed.go.jp/program/list/21/02/001.html>
実施機関（研究開発代表者）：塩野義製薬株式会社（山本美奈）
研究開発課題名（期間）：ユニバーサルサルベコウイルスワクチンの研究開発（2022年度～2024年度）



非臨床

▶ 成果・取組概要

KOTAI 社と共同で行うユニバーサルサルベコウイルスワクチンの抗原デザインについて、中和抗体誘導能に関するクライテリアを達成しました。本研究開発で見出されたユニバーサル抗原は、サルベコウイルス亜属間で相同性が高く、変異が起きにくい領域に対する中和抗体を選択的に誘導することで、新型コロナウイルスの変異株だけでなく、他のサルベコウイルス亜属を起点とするパンデミックに対する備えとしても期待されます。

▶ 今後

感染症領域において、免疫やタンパク質構造の情報解析を担当するKOTAI 社と共同し、今後出現する可能性のあるサルベコウイルス亜属のウイルス（パンデミックを含む）に対しても有効なユニバーサルワクチンの創製を目指します。

インフルエンザHAの変異しにくい部位を標的とする ワクチン抗原の設計

事業名：ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成事業
<https://www.amed.go.jp/program/list/21/02/002.html>

実施機関（研究開発代表者）：東京大学（河岡義裕）

研究開発課題名（期間）：ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点群 東京フラッグシップキャンパス（東京大学新世代感染症センター）（2022年度～2026年度）



基礎的・応用

非臨床

▶ 成果・取組概要

現在使われているインフルエンザワクチンは、流行株ウイルスとの不一致によるワクチン効果の低減が頻発しています。ヘマグルチニン（HA）タンパク質の変異しやすい箇所すべてにランダムなアミノ酸置換を導入した変異体HAを混合したワクチン抗原（スクランブルドHA）を本研究にて作製し、この抗原について、HAのアミノ酸変異が起こりにくい部位を標的とする抗体を誘導することで感染防御に寄与することを、動物実験で明らかにしました。

▶ 今後

HAのアミノ酸変異が起こりにくい部位を標的とする抗体は、抗原性が変化したウイルスにも交差反応性を示すことから、より持続性のあるワクチン効果を発揮することが期待されます。

スクランブルド HA



18種類の変異体HA
混合ワクチン抗原



ウイルス増殖の抑制
発熱症状の軽減



変異しにくい部位を
標的とする抗体

すでに生体の中にある抗体が抗原を運ぶことを利用した経鼻ワクチンの開発

事業名：ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成事業

<https://www.amed.go.jp/program/list/21/02/002.html>

実施機関（研究開発代表者）：大阪大学（審良静男）

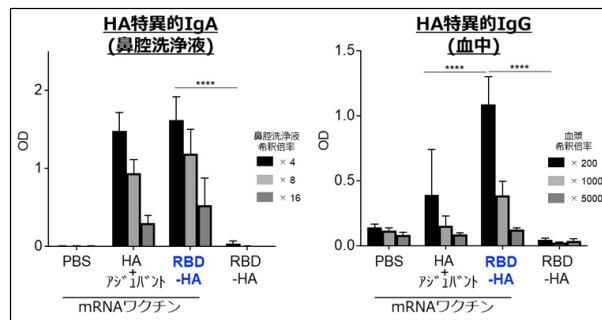
研究開発課題名（期間）：ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点群 大阪府シナジーキャンパス
（大阪大学ワクチン開発拠点）（2022年度～2026年度）



基礎的・応用

▶ 成果・取組概要

過去の感染やワクチン接種により誘導された生体内の抗体が抗原を運ぶことを利用することで、経鼻ワクチンにおいてアジュバントを用いることなく、免疫反応を強く誘導することが可能であることを明らかにしました。本研究成果は、感染症に対する安全で有効な経鼻ワクチンの開発に大きく貢献することが期待されます。特にアジュバント不要の本システムは、有効かつ安全な経鼻ワクチンを提供できると期待できます。



(図) 新型コロナウイルスに対するmRNAワクチンを接種した経験のあるマウスへのRBD-HA経鼻ワクチン

RBDがキャリア蛋白質となり、HAがワクチン抗原となる。その結果、アジュバントを加えずとも、鼻腔中および血中にHA特異的抗体を強力に誘導することが明らかとなった。

▶ 今後

生体内抗体を活用したワクチン開発は、経鼻ワクチンのみならず、従来の注射型ワクチンにも応用できるものであり、多種多様なワクチンの開発を可能にするものと考えています。

RSウイルス経鼻ワクチン実用化へ向けての第一歩

事業名：ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成事業

<https://www.amed.go.jp/program/list/21/02/002.html>

実施機関（研究開発代表者）：千葉大学（清野宏）

研究開発課題名（期間）：ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点群 千葉シナジーキャンパス
（千葉大学 未来粘膜ワクチン研究開発シナジー拠点）（2022年度～2026年度）



基礎的・応用



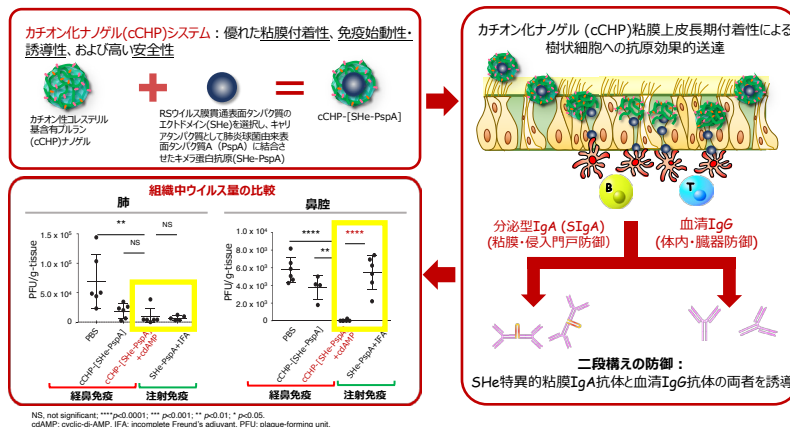
▶ 成果・取組概要

RSウイルス (RSV) は、特に小児と高齢者における上気道及び下気道感染症の主な原因であり、重症化リスクが高く、肺炎、入院、死亡などの重篤な転帰につながる可能性があります。本研究開発は、侵入門戸である粘膜面でのRSV感染阻止を目指したRSV疎水性低分子タンパク質エクストドメイン抗原を含むカチオン化ナノゲル経鼻ワクチンの研究開発であり、VED*を誘導することなく、マウスとコトンラットの粘膜面と全身免疫の両方で特異的防御免疫を誘導することを実証しました。

* Vaccine enhanced disease (ワクチン増強疾患)

▶ 今後

カチオン化ナノゲルRSV経鼻ワクチンは、ウイルスの侵入門戸である気道粘膜においてRSVに対して効率よく免疫応答を誘導することにより、ウイルスの感染を防ぐワクチンとして期待されます。



(図) 経鼻ワクチン研究開発：カチオン化ナノゲル型経鼻ワクチンは効果的にRSウイルス感染に対して二段構えの防御免疫を誘導する

重症熱性血小板減少症候群 (SFTS) ウイルスの動物間での病原性の違いに関する発見

事業名：ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成事業

<https://www.amed.go.jp/program/list/21/02/002.html>

実施機関（研究開発代表者）：長崎大学（森田公一）

研究開発課題名（期間）：ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点群 長崎シナジーキャンパス（出島特区）（2022年度～2026年度）



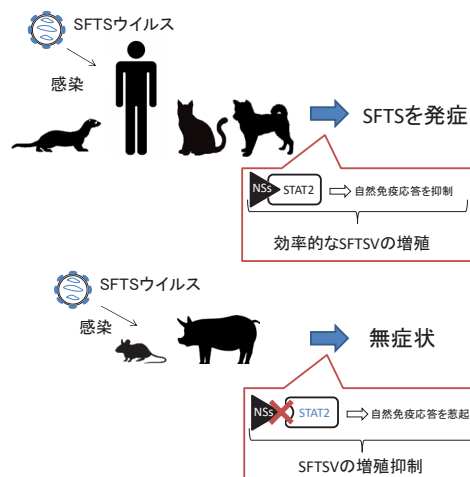
基礎的・応用

▶ 成果・取組概要

SFTS ウイルスはヒトを含む様々な動物（ネコやイヌ等）に対して高い病原性を示す一方、マウスやブタ等に対しては低病原性でほとんど病気をおこしません。本研究は、SFTS ウイルスの NSs タンパク質が宿主動物の STAT2 タンパク質と相互作用することで、ウイルス増殖を抑制する遺伝子群の発現誘導が阻害されること、すなわち、宿主動物の自然免疫機構が抑制されることを示しました。このことが、動物種ごとに病原性が異なる原因となっている可能性があります。

▶ 今後

様々な細胞で増殖力が低く、致死性マウスモデルで病原性を示さない NSs 欠損 SFTS ウイルスの作出にも本研究で成功しています。この欠損ウイルスは弱毒生ワクチンとして期待されています。



(図) 動物間での SFTS ウイルスの病原性の違いとそのメカニズムについて

ワクチン接種やオミクロン亜株間の違いが COVID-19 の症状に与える影響の発見

事業名：ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成事業

<https://www.amed.go.jp/program/list/21/02/002.html>

実施機関（研究開発代表者）：北海道大学（澤洋文）

研究開発課題名（期間）：ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点群 北海道シナジーキャンパス（北海道大学 ワクチン研究開発拠点）（2022年度～2026年度）



臨床研究・治験



▶ 成果・取組概要

2022 年（令和 4 年）に札幌市が立ち上げた COVID-19 感染者の自動療養判定システムから得られたデータを、全数把握システムやワクチン記録システムと統合し解析しました。オミクロン亜株間での症状の特徴の違い、ワクチン接種と症状の関連、特定の症状と重症化との関連を主とした数多くの知見を見出しました。特にワクチン接種者が COVID-19 に感染すると、接種していない人に比べて発熱等の全身症状が少ない一方で上気道症状が出やすいことがわかり、ワクチンを含めた様々な要因が COVID-19 の症状の特徴を変化させていることを示唆する世界初の知見となりました。

▶ 今後

本研究結果から発展させ、COVID-19 患者の臨床検体を収集し、ワクチン接種歴などの要因がヒトの免疫応答に与える影響をマルチオミクス解析で解明することとしています。



(図) 本研究で明らかになった、COVID-19 の症状と関連する因子

医療研究推進のための横断的取組

2023年度
の取組

組織横断的に、知財・実用化に関する専門知識等の提供、研究活動の国際化に鑑みた研究公正の普及、社会共創に関する啓発活動に取り組みました。各種セミナーに多くの方が参加され、患者、市民、研究者、関係企業の方から反響がありました。

実用化、知的財産に関する取組

<https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/index.html>



実用化



▶「医療分野の成果導出に向けた研修セミナー」実施

研究成果の導出に必要な知識とスキルを習得するため、「医療分野の成果導出に向けた研修セミナー」を開催し、大学等の研究機関に所属する知的財産や産学官連携を担当する事務職員、実務担当者等を対象にした「成果導出・基礎コース」「成果導出・応用コース」「契約交渉・実践コース」の3つの研修コースを対面で、どなたでも参加できる「オープン講座」をオンラインで開講しました。「国際認定資格」として技術移転プロフェッショナルのポイント取得が可能なコースもあり、のべ約40名が登録し、17名が終了認定されました。オープン講座3講座にも各50～70名程度の登録者がありました。事後アンケートでは、「交渉に對しましての心構えを初歩からご教示をいただきました。」「普段定型文として使用していた英文契約の条文の成立ちや意味が理解できました。」等の反響がありました。



セミナーの様子（写真）

医療研究推進のための横断的取組

2023年度 の取組

医療分野の研究開発の倫理性・公正性を高めるためには、研究倫理の専門家や日頃から研究倫理に関する業務に携わる方々との連携が欠かせません。AMEDは、関係する学会と連携・協働する等、医療研究開発に関する研究倫理・研究公正の向上のための取組を推進しています。

研究倫理・研究公正に関する取組

https://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/index.html



▶ 令和5年度研究公正シンポジウム

文部科学省研究公正推進事業の取組として、日本医療研究開発機構（AMED）が主催者となり、日本学術振興会（JSPS）、科学技術振興機構（JST）、新エネルギー・産業技術総合開発機構（NEDO）、農業・食品産業技術総合研究機構生物系特定産業技術研究支援センター（BRAIN）共催のもとで令和5年度研究公正シンポジウムを開催しました。「責任ある研究・イノベーション」をテーマとして設定したシンポジウムには410名のオンライン参加があり、社会との対話を通じた責任ある研究活動の推進や、最先端の研究開発を支える研究公正・研究倫理教育のあり方に関する理解や議論を深める機会となりました。

▶ 第9回研究倫理を語る会（RIOネットワーク提供）

研究倫理を語る会世話人会との連携・協働により、第9回研究倫理を語る会を2024年（令和6年）3月2日（土）に開催しました。研究倫理の専門家や関連業務に携わる方等、会場となった東北大学星陵キャンパスに全国から165名が集まり、研究倫理に関する最新のトピックの数々について語り合いました。また、開催後のオンデマンド配信を約450名の方にご視聴いただきました。第10回大会も開催する方針です。



研究公正シンポジウム：パネルディスカッションには三島良直理事長も登壇した



研究倫理を語る会：プレナリーセッションの様子

医療研究推進のための横断的取組

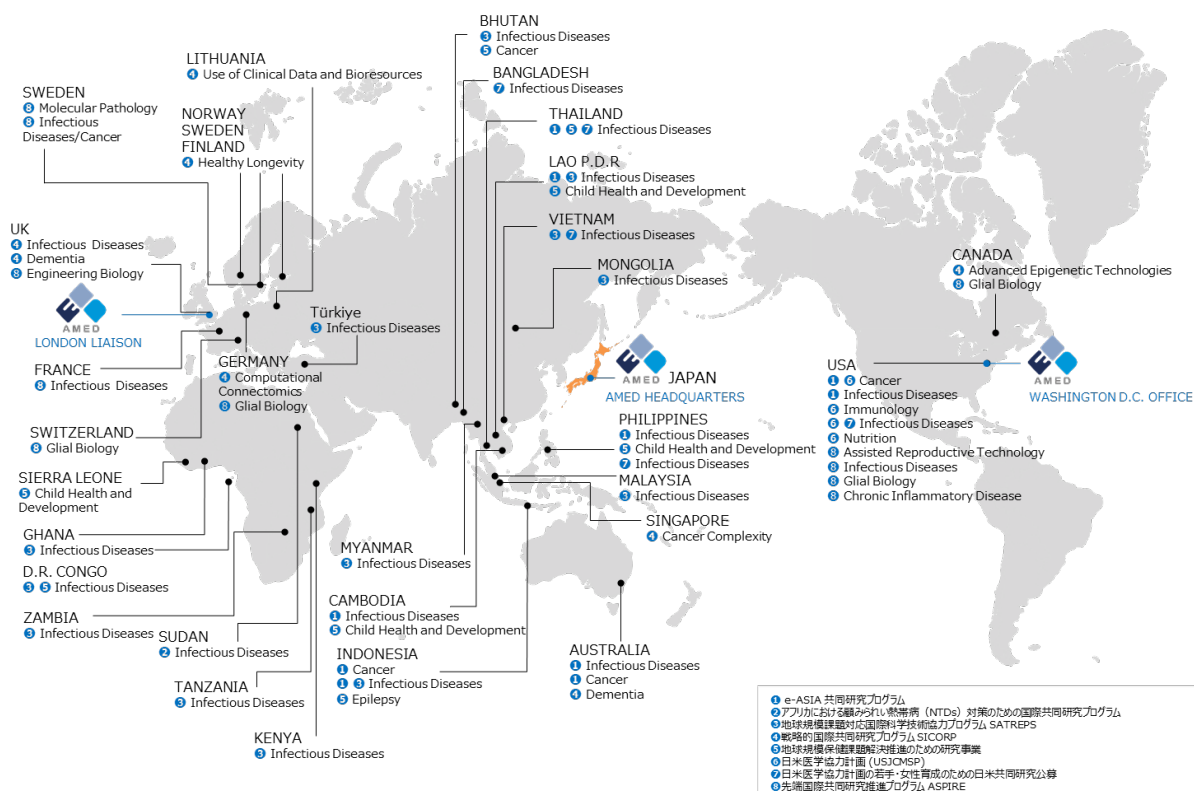
2023年度 の取組

医療分野研究開発計画の成果の最大化に向けて、これまで構築した国際的なネットワークの基盤を効果的・効率的に活用し、重点的に連携強化すべき地域・国（米国、欧州主要国）や重点分野（感染症、がん・ゲノム、認知症研究）を念頭におき、国際連携を戦略的に推進しました。

国際連携の取組



国際ネットワークを活用して情報共有や海外機関との連携を拡大し、2023年度は30を超える国々と国際共同研究を推進しました。



（図）国際共同研究の相手国と活動内容

各国との研究開発連携の推進



▶再生医療分野に関する日韓合同シンポジウムを開催

2023年（令和5年）11月、再生医療分野における橋渡し研究をテーマに、AMEDと韓国保健産業振興院（KHIDI）により、日韓合同シンポジウムを東京で開催し、日韓の大学、研究機関、企業等から、会場参加とオンラインを合わせ、計130名を超える参加者がありました。シンポジウムでは両国の最新の研究開発動向・成果の紹介に加えて、両国間の将来的な研究協力についてのパネルディスカッションが行われました。（https://www.amed.go.jp/news/event/20231116_report.html）

今後ともこうした国際ネットワークを活用し、各国との研究連携の推進に取り組んで参ります。



シンポジウム来賓、登壇者らの集合写真



パネルディスカッションの様子

胆管がんにおけるヒト固有遺伝子NCYMの機能解明と阻害化合物の同定

事業名：医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業（戦略的国際共同研究プログラム e-ASIA共同研究プログラム）

<https://www.amed.go.jp/program/list/20/01/003.html>

実施機関（研究開発代表者）：千葉県がんセンター（筆宝義隆）

研究開発課題名（期間）：肝がんに対するMYCN/NCYM標的治療薬の開発（2021年度～2024年度）



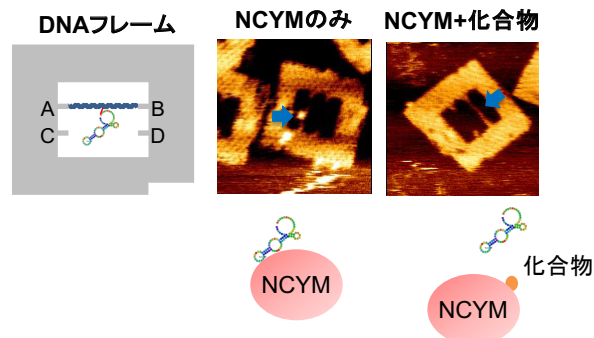
▶成果・取組概要

アジア太平洋地域で発生率が高い肝がんでは、ヒト固有遺伝子NCYMの関与が示唆されていましたがその意義は不明でした。また、進化的に新しい遺伝子のため、タンパクとしての構造も不明でした。本研究は、発がんモデルを確立することで、NCYMが肝内胆管がんのがん遺伝子として作用すること、また意外なことに日本人特異的な一塩基多型が発がん抑制に働くことを見出しました。さらに、NCYMの構造についても解析を進め、NCYMに結合して機能を阻害する化合物の同定にも成功しました。

今後ともこうした国際ネットワークを活用し、各国との研究連携の推進に取り組んで参ります。

▶今後

本研究において確立したアッセイ系とリード化合物をもとに、NCYM阻害剤の最適化を進めます。これにより難治がんである肝内胆管がんに対する新規治療法の確立が期待されます。



（図）原子間力顕微鏡によるNCYMの一分子観察
NCYM に直接結合する化合物を添加すると NCYM が DNA フレームから外れ、白いスポットが消える（青矢印）。この手法により化合物の NCYM 結合性を効率よく探索できる。

各種手引き・サービス等のご紹介

AMEDは「成果を一刻も早く実用化し、患者さんやご家族の元にお届けすること」を目指し、基礎研究から実用化に至る一貫した研究開発を推進し、新たな医療技術等の様々な疾患への展開を図っています。

また、研究開発環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、医療研究に携わる方々向けに、様々な教育資料の制作やサービスの提供等を行っています。ぜひ、ご活用下さい。

研究公正におけるヒヤリ・ハット集

https://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/kiyouzai_hiyarihatto.html



実際に研究不正を行ってしまう人もいますが、何らかの理由のために不適切な研究行為をしてしまおうか悩みながら思いとどまった例や、周りの人にそれは不適切な行為だと指摘されて不正をせずに済んだ例の方がはるかに多いと考えられます。研究者にそのような事例を紹介し、似たような境遇になった時に思いとどまれるようにするために、AMEDは「研究公正に関するヒヤリ・ハット集」を作成・公開しています。2020年（令和2年）3月の第1版発行以来、多くの研究機関における研究倫理教育に活用していただいています。その後、新たな不適切な研究行為の事例を収載した第2版（日本語版）を2023年（令和5年）3月に、第2版（英語版）を2024年（令和6年）1月に作成・公開しました。第2版では、初版の31事例・6コラムに、21事例・2コラムを加えた、計52事例・8コラムを収載しています。



実用化に向けた知財戦略を理解するための知的財産教材

https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/chizai_kyouzai.html

実用化



▶ 医療系学生向け知的財産教材

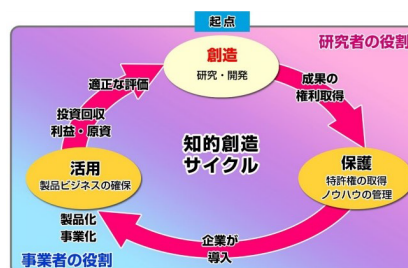
将来医療研究の最前線を担う、大学・大学院等の学生が、研究成果の実用化の重要性や実用化に必要な知的財産戦略を理解するために、教育機関や研究機関の授業や組織内の研修等で利用いただける医療系学生向けの教材を作成しました。閲覧・利用を希望する場合は、利用規約を確認の上、利用申請書を提出してください。

基礎	概論	1	導入（医学・医療と知的財産）
	制度	2	知的財産制度の基礎
応用	概論	3	導入（研究開発プロセスと知的財産）
		4	実用化を目指した研究計画
	研究	5	医療分野の研究と契約
		6	医療分野の研究と特許制度
導出		7	医療分野の研究と事業化戦略
		8	医療機器開発における産学連携
		9	ライセンス契約

（図）学生向け知財教材

▶ 医療研究者向け知的財産教材

医療分野の研究者・研究管理者が、医薬品・医療機器分野特有の出願戦略、権利化戦略、活用戦略等について理解を深めることを目的とした動画を公開しています。第1部～第4部（各10分程度の動画）で構成され、どなたでも視聴することができます。



（図）研究者向け知財教材

AMEDぷらっと®をリニューアルしました。

https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/amed_plat.html

実用化



「AMEDぷらっと®」は、医療分野*1におけるアカデミア発のシーズと企業のニーズとを早期にマッチングし、アカデミアと企業の両方でインキュベートを促すツールです。

十分にセキュリティの担保されたWebシステム上にて、アカデミアの研究シーズ情報と企業ニーズ情報をそれぞれ登録することができ、アカデミア・企業間のコミュニケーションを促進することで、医療分野*1における研究開発成果の早期実用化を目指します。2018年（平成30年）にリリースし、多くの方々にご利用いただいておりますが、2024年（令和6年）3月18日にセキュリティ向上等の機能改善によるリニューアルを行いました。

【対象ユーザー】

- ・国内で医薬品に関する研究開発を行っている大学、研究機関等
- ・国内で医薬品の研究開発、又は上市を行っている企業等*2

*1 医療機器分野を除く

*2 試薬、診断薬、医薬品研究開発及び研究受託サービスを提供している組織を含む



バイオバンク・ネットワークの共通の利用申請システムを開発

事業名：ゲノム医療実現推進プラットフォーム（ゲノム研究プラットフォーム利活用システム）

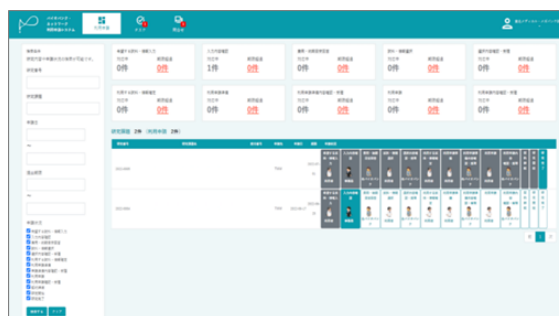
https://www.amed.go.jp/program/list/14/01/008_01.html

実施機関（研究開発代表者）：東北大学（荻島創一）

研究開発課題名（期間）：ゲノム医療実現推進のためのバイオバンク・ネットワーク構築とバイオバンク利活用促進に関する研究開発（2023年度～2027年度）



世界各国でゲノム医療・研究、創薬開発のためのインフラとして、バイオバンクの整備が進み、欧州ではそのネットワーク構築も行われています。本研究グループは14のバイオバンクが参画するバイオバンク・ネットワークを構築し、バイオバンク横断検索システムの運用を行うなど利活用の促進に取り組んできました。2024年（令和6年）3月にバイオバンク・ネットワークに参画するバイオバンクの分譲申請を共通して行える利用申請システムを開発し、試行的な運用を開始しました。アカデミアや企業のゲノム医療研究、創薬開発の研究者などの利用者は、バイオバンク横断検索システムで検索した試料・情報について、共通の利用申請フォームに一度記入するだけで複数のバイオバンクの担当者にアクセスでき、分譲申請がスムーズに進むことを可能にしました。バイオバンクが協力して構築した本申請システムを用いて、総計60万人分を超える試料・情報が一つのバイオバンクに集約されているかのようにスムーズに利活用できるようになるための一歩となり、さらなるゲノム医療研究や創薬開発が実現し、成果の創出につながると考えられます。



（図）利用申請システムの表示画面

利用者・目的別情報、窓口

AMED事業をご検討の方(公募関連)

公募情報検索ページ

AMEDで実施する公募に関する情報を、分野、開発フェーズ、研究期間など、様々な情報から検索することが可能です。

<https://www.amed.go.jp/search.php>



その他、公募一覧、公募予告、採択情報等は下記のページに掲載されていますので、ぜひご参照ください。

<https://www.amed.go.jp/koubo/index.html>



AMED Research Compass (AReC)

「どの事業に応募すればよいのか?」「自分の研究がどの分野に当てはまるのか?」といった相談を一元的にお受けする窓口です。相談の流れ等を記載していますので、ぜひご活用ください。

<https://www.amed.go.jp/contact/arec.html>



AMEDで実施しているスタートアップ支援

AMEDはスタートアップ企業の支援を行うため、様々な支援事業を実施しています。また、AMED以外の政府系スタートアップ支援機関と連携した支援活動も実施しています。

https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/start_up_shien.html



AMED事業を実施中の方

事務手続

委託研究開発契約および補助事業の事務手続について、事務処理説明書・様式集を掲載しています。

<https://www.amed.go.jp/keiri/index.html>



研究開発にあたっての利益相反管理

研究開発の透明性・公正性・信頼性を保つため、研究機関による研究者の利益相反の管理をお願いしています。AMED事業に参加する研究者(研究開発代表者及び分担者)の利益相反の管理及びその報告を行ってください。

https://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/riekisohan_kanri.html



実用化に向けた相談窓口

医療分野の知財相談全般について Medical IP Desk

医療分野の知的財産の保護や活用等に関する相談に、医療分野の知財コンサルタントが、研究成果の実用化を見据えながら、具体的な解決策をアドバイスします。まずは、メールでご連絡ください。

<問い合わせ先>

AMED実用化推進部 実用化推進・知的財産支援課 Medical IP Desk
E-mail : medicalip@amed.go.jp

https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/medical_ip_desk.html



創薬シーズの実用化に向けた相談について 創薬ナビ

大学や公的研究機関で生み出された優れた研究成果(創薬シーズ)の実用化を加速化するため、豊富な経験を持つ創薬事業部の創薬コーディネーターが、創薬研究に取り組む研究者からの様々な相談に応じます。相談方法、申込書等が掲載されていますのでご参照ください。

https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/001_01-02.html



情報発信

ウェブサイト

AMEDに関する基本情報や、AMEDが推進している医療研究開発事業のご紹介、公募情報、イベント、プレスリリース、成果情報等、AMEDのあらゆる情報を掲載しています。AMED事業を活用したい方も、最新の医療研究情報を知りたい方も、ぜひご覧ください。

<https://www.amed.go.jp/>



公式X

公募開始や採択結果、イベントのご案内、AMEDからのお知らせなど、AMEDのさまざまな情報や活動を、日々、発信しています。

日本語：https://x.com/AMED_officialJP

英語：https://x.com/amed_officialgl



フォロー
お願いします！

メール配信サービス

公募情報やイベント開催、研究公正に関する取組や、入札等の調達に関する情報など、ご希望に応じた情報を、電子メールにてお送りしています。

<https://www.amed.go.jp/pr/mailmagazine.html>



配信登録
お願いします！

AMEDチャンネル(YouTube)

シンポジウムや報告会の様子、事業の公募や手続に関する説明会など、紙の資料だけではわかりづらい内容について動画でご紹介しています。

<https://www.youtube.com/@amed>



チャンネル登録
お願いします！

広報ウェブマガジン「AMED Pickup」(note)

今、日本でどのような研究が行われているのか、研究を効果的に進めて実用化につなげるためAMEDはどのような活動をしているのかについて、わかりやすくご紹介しています。

<https://amed-gov.note.jp/>



フォロー
お願いします！

概要

名称 国立研究開発法人日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development (AMED)
※略称の「AMED」は「エーメド」と読みます。

目的 医療分野の研究開発における基礎から実用化までの一貫した研究開発の推進、成果の円滑な実用化及び医療分野の研究開発のための環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、健康・医療戦略推進本部が作成する医療分野研究開発推進計画に基づき、医療分野の研究開発及びその環境の整備の実施、助成等の業務を行う。

設立日 2015年(平成27年)4月1日

主務大臣 内閣総理大臣、文部科学大臣、厚生労働大臣、経済産業大臣

組織等

①役員

理事長 三島 良直
理事 屋敷 次郎
監事(非常勤) 稲葉 カヨ 白山 真一

②職員：689名(2024年〈令和6年〉1月1日現在)

予算

2024年度(令和6年度)

日本医療研究開発機構向け補助金等 1,245億円
調整費 175億円*

*科学技術イノベーション創造推進費の一部を充当
※上記の他、基金事業・政府出資金事業を実施

本部所在地

東京都千代田区大手町1-7-1 読売新聞ビル20～24階



ひとめでわかる！AMED

AMEDが推進する医療研究開発は多岐にわたるため、AMEDはどんな組織でどんなことをやっているのか、全体像をひとめでわかるよう、データを使ってご紹介します！

設立

2015年
(平成27年)
4月

2024年度現在で
設立10年目です

役職員数

693名

※2024年1月1日現在
※上記の内、役員4名

評価・運営体制

プログラム ディレクター	PD	6名
プログラム スーパーバイザー	PS	約130名
プログラム オフィサー	PO	約370名

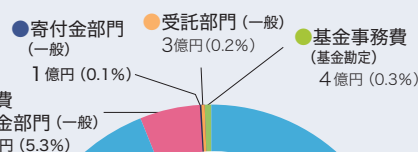
上記人材を配置し、
研究開発課題の評価及び
業務運営を進めています

※2024年1月時点

支出予算の内訳と事業

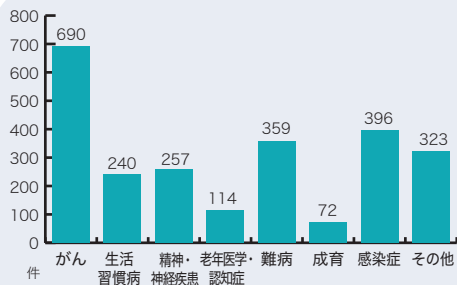


※2024年度の支出予算
(2024年3月時点)
※上記経費に加え、内閣府に計上される「科学技術イノベーション創造推進費(555億円)」のうち、175億円を医療分野の研究開発関連の調整費として充当される見込
※内訳は単位未満を四捨五入している



※2024年度の収入予算
※支出予算の「基金等その他事業」に係る収入は、「基金事務費」のみを計上
※上記経費に加え、内閣府に計上される「科学技術イノベーション創造推進費(555億円)」のうち、175億円を医療分野の研究開発関連の調整費として充当される見込
※当初予算のうち「競争的資金事務費」を除く

研究開発課題



※研究開発課題数は、新規並びに継続分を含む2023年度の実施課題数
 ※2024年6月時点のデータをもとに集計。ただし、医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）を除く
 ※「その他」には、疾患を特定できない基礎的な研究開発課題や、研究基盤・創業基盤整備等の研究開発課題などが含まれる
 ※分類項目が未確定なものを除く

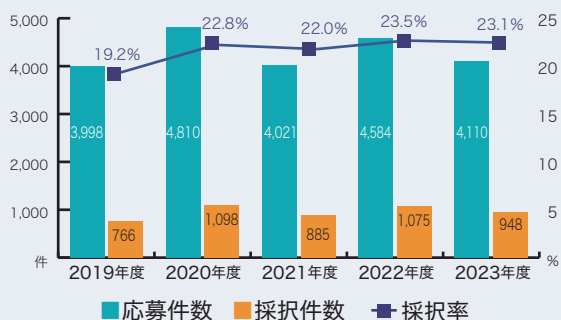
2023年度

基礎から実用化まで

2,629件の

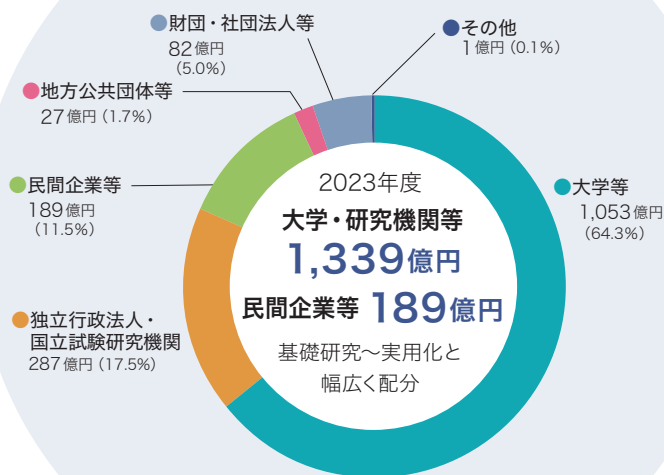
研究開発課題を
実施しました

公募に対する 応募件数・採択件数・採択率



※2024年6月時点の公募に関するAMED公開情報等をもとに、年度ごとに集計
 ※採択率は、各年度の全応募件数に対する全採択件数の割合

研究機関分類別の 研究開発費配分状況



2023年度
**大学・研究機関等
 1,339億円**
民間企業等 189億円
 基礎研究～実用化と
 幅広く配分

※2024年6月時点のデータをもとに集計
 ただし、医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）を除く
 ※研究開発費は、委託事業または補助事業における契約・交付金額（間接費等を含む年度末の最終契約額）で研究代表者のもとで研究開発の一部を他の研究機関に分担又は再委託されたものを含めた2023年度の研究開発費の総額
 ※内訳は単位未満を四捨五入している

2023年度

応募件数 **4,110件**

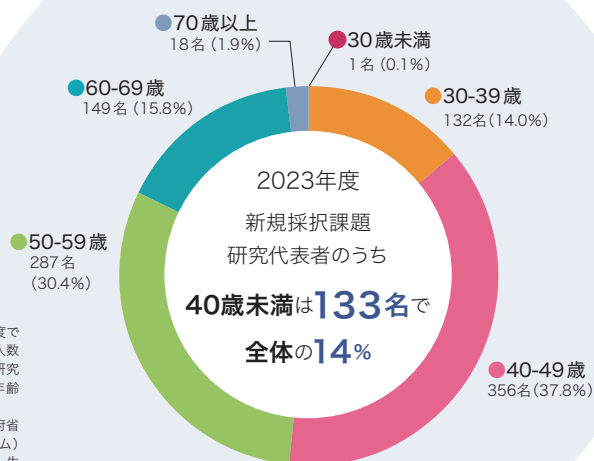
採択件数 **948件**

採択率 **23.1%**

バイ・ドール報告

2023年度
 研究機関からの知財報告
 （発明等の創出・出願・権利化の報告）は
2,756件
 ありました

新規課題 研究代表者年齢層



2023年度
 新規採択課題
 研究代表者のうち
**40歳未満は133名で
 全体の14%**

※研究開始年度が2023年度である課題の研究代表者延べ人数
 ※年齢は生年月日をもとに、研究開始年度当初の年齢から年齢階級別に集計
 ※2024年6月時点のe-Rad(府省共通研究開発管理システム)データをもとに集計。ただし、生年月日が不明の者は除く



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development