

革新的先端研究開発支援事業
令和元年度採択インキュベートタイプ（LEAP）研究開発課題
事後評価結果

革新的先端研究開発支援事業
インキュベートタイプ（LEAP）
課題評価委員会
※本報告書内の所属・役職は研究開発期間終了時

I. 概要

1 研究開発領域の概要

2 評価の概要

(1) 評価会の実施時期

(2) 評価委員一覧

(3) 評価項目

II. 課題別評価結果

令和元年度採択研究開発課題 研究開発代表者

宮崎 徹（一般社団法人 AIM 医学研究所）

I. 概要

1. 研究開発領域の概要

インキュベートタイプ（Leading Advanced Projects for medical innovation：LEAP）は、革新的先端研究開発支援事業で推進するプログラムのひとつです。革新的先端研究開発支援事業のユニットタイプ（AMED-CREST）、ソロタイプ（PRIME）、ステップタイプ（FORCE）等で創出された世界をリードする顕著な研究成果を加速的に発展させて、企業やベンチャーなどに研究開発の流れを継承することを目的としています。

具体的には、世界をリードする顕著な研究成果について、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します。これにより、トップサイエンスの成果を基にした研究開発の流れが、医療応用に向けて、企業や臨床医、他事業などで継承され、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しています。

2. 評価の概要

(1) 評価の実施期間

研究開発終了時に実施。

(2) 評価委員一覧

◎秋永 士朗	NANO MRNA 株式会社	代表取締役社長
井上 克枝	山梨大学大学院総合研究部医学域	教授
小林 博幸	塩野義製薬株式会社ヘルスケア戦略推進本部	イノベーションフェロー
平山 謙二	長崎大学熱帯医学研究所	所長・教授
福井 宣規	九州大学生体防御医学研究所	主幹教授
森 一郎	神戸大学大学院科学技術イノベーション研究科	客員職員
山下 俊英	大阪大学大学院医学系研究科	教授
柳田 素子	京都大学大学院医学研究科	教授
※◎委員長		

(3) 評価項目

本評価委員会においては、以下の評価項目に基づき総合的に評価が実施された。

①研究開発進捗状況

- ・研究開発計画に対する進捗状況はどうか

②研究開発成果

- ・予定していた成果が着実に得られたか
- ・成果は医療分野の進展に資するものであるか
- ・成果は新技術の創出に資するものであるか
- ・成果は社会的ニーズに対応するものであるか
- ・必要な知的財産の確保がなされているか

③実施体制

- ・研究開発代表者を中心とした研究開発体制が適切に組織されていたか
- ・十分な連携体制が構築されていたか
- ・PM は研究開発マネジメント活動を適切に行っていたか

④今後の見通し

- ・今後、研究開発成果のさらなる展開が期待できるか

⑤事業で定める項目及び総合的に勘案すべき項目

- ・技術的成立性の証明・提示、および適切な権利化ができたか
- ・民間企業との連携が実施された場合、連携は適切であり妥当性があったか

- ・ 生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守していたか
- ・ 若手研究者のキャリアパス支援が図られていたか
- ・ 専門学術雑誌への発表並びに学会での講演及び発表など科学技術コミュニケーション活動（アウトリーチ活動）が図られていたか

⑥総合評価

①～⑤を勘案しつつこれらと別に評点を付し、総合評価を行う。

II. 課題別評価結果

革新的先端研究開発支援事業インキュベートタイプ (LEAP)
令和元年度採択課題 事後評価結果

1. 研究開発課題名：

メチニコフ創薬：AIM による食細胞機構の医療応用実現化

2. 研究開発代表者名、プログラクマネージャー (PM) 名及び研究開発分担者名：

研究開発代表者

宮崎 徹 (一般社団法人 AIM 医学研究所 所長)

プログラクマネージャー (PM)

黒川 清 (一般社団法人 AIM 医学研究所 名誉所長)

研究開発分担者

岡上 武 (大阪府済生会吹田病院 名誉院長)

岡部 隆義 (一般社団法人 AIM 医学研究所 客員研究員)

鈴木 祐介 (順天堂大学大学院医学研究科 教授)

3. 総合評価コメント

本研究開発課題では、死細胞から放出される自己炎症性物質 (DAMPs) の除去に関わる血液中のタンパク質である AIM (Apoptosis Inhibitor of Macrophage) について、基礎研究 (立体構造解明、活性メカニズム解明、疾患抑制効果等)、創薬開発 (リコンビナント AIM タンパク質、低分子化合物)、そしてバイオマーカーとしての可能性の探究など、多岐に渡る研究を実施した。

基礎研究では、クライオ電子顕微鏡にてヒト IgM / AIM 複合体の立体構造を決定し、両者の結合様式を明らかにした点は評価出来る。創薬開発では、腎臓結石や自己免疫性関節リウマチを始め、多くの動物疾患モデルにおいて、AIM 投与による治癒効果を実証し、医療分野での進展に貢献できる成果を得た。さらに、健常者に比べ、CKD 患者では血清 free/total AIM 比が上昇することを見出し、疾患の早期スクリーニングのためのバイオマーカーとして有用である可能性を見出した点は大きな成果である。専門学術雑誌への発表等のアウトリーチ活動や、若手研究者のキャリアパス支援もある程度行われたことも評価出来る。

一方で、ヒトでの実用化に向けた取り組みについては、ヒトではタンパク質補充療法としての POC は未達であり、今後、疾患によっては Drug Delivery System の開発や AIM 活性化低分子の開発などが求められる。AIM タンパク質の臨床試験は当初計画より遅れており、同時に追加での基礎的、臨床的な解析と研究が今後必要である。

研究開発代表者をはじめとするプロジェクト参画研究者と PM の密な連携のもと、ヒトへの実用化に向けて乗り越えるべき課題は依然残っているものの、CKD のアンメットニーズは高く、また AIM タンパク質はネコ CKD の医療薬として確立されつつあり、ヒトに応用可能であれば大きな強みになる。今後は、企業からの資金調達や競争的資金の獲得を図るとともに、治験を見据えたリコンビナントタンパク質の製造や非臨床試験にかかる綿密な計画を立て、さらなる展開を期待したい。

以上により、優れた成果が得られたと評価できる。