

令和7年度第1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 中釜 斉

令和7年度 調整費（理事長裁量型経費）の理事長方針

- 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127課題・2施策、147.6億円）

1	企業導出等の実用化に向けた研究開発の加速・充実	（40 [52] 課題）
2	基盤技術や拠点の活用等による課題間連携等の強化	（17 [20] 課題）
3	医療分野の発展を担う若手研究者の育成及び異分野人材の参入	（8 [11] 課題）
4	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	（7 [8] 課題）
5	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	（55 [66] 課題）
6	事業間連携・企業導出を支援するための施策	（2施策）

[]内は他の方針との重複計上を含めた課題数

1. 企業導出等の実用化に向けた研究開発の加速・充実

【重点支援する課題（例）】

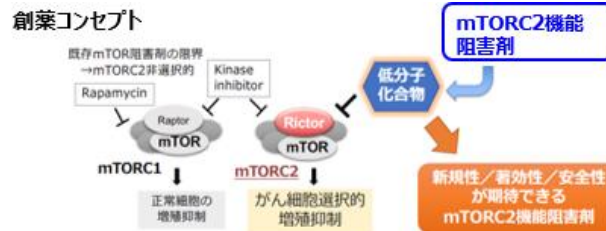
- 画期的低分子抗がん剤創製に向けた研究開発の加速
難治がんや再発がんに対する、日本発の有効性と安全性の高い新規医薬品創製に貢献する。

- 先天性心疾患手術設計支援システム開発の充実
臨床試験プロトコル作成を図り、医療機器化を目指す。
- 次世代創薬支援ツールの充実
革新的なMPS開発を進め、社会実装・国際展開を目指す。

■ mTORC2を標的とした新規医薬品創成に係る取組

前倒し

- 様々ながんの細胞増殖・転移等に関与するmTORC2は、がん選択的な増殖に関わることから、安全で有力ながん治療標的となる可能性が高い一方で、未だ選択的に阻害する薬剤は開発されていない。既存薬に比べ、副作用が軽減され、広いがん種で有効性を示す新規のmTORシグナル伝達経路阻害剤は多くの患者から待望されており、実用化に向け、治療標的としての検証及び評価系の構築を検討中。
- 調整費により、mTORC2選択的阻害剤のHTSを開始し、ヒット化合物及び周辺化合物の高次評価、適応がん種の拡大研究を当初の予定から前倒しで実施する。
- HTSの前倒しにより、適応がん種の拡大研究と導出に必要なデータパッケージを揃え、世界初のmTORC2選択的阻害剤の実用化に向け、製薬企業への導出活動を早期に開始できることが期待される。



■ 小児先天性心疾患患者における手術設計を支援するシステムプログラムの開発に係る取組

充実等

- 先天性心疾患は患者間で心臓の形状が大きく異なるため、個別に設計した手術で適切な血流を作る事が必要である。しかし血流は目視できず詳細評価が困難な為、医師の勘と経験でしか対応できず、複雑な症例の場合、予後は不良であった。本取組では、大型計算機の数値解析にて血流を評価し、最適化された手術設計図を提供できるシステムを開発している。
- 調整費により、海外薬事規制をクリアする臨床試験プロトコルを作成することで、海外市場を開拓・リードし、継続的な社会実装を実現する。それをもって、日本発の心臓手術設計システムを世界標準にすることを目指す。
- 海外向けにAI機能強化及び臨床開発の充実を図ることにより、物理学と数値解析学にもとづく設計と評価を取り入れた、再現性をもったテーラーメイド手術を提供でき、手術成功率向上、患者QOL向上による生産人口の増加、再手術低減による医療費削減も期待できる。

病院ソフトウェア



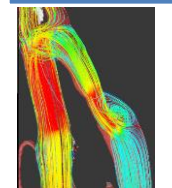
手術を設計

- ・血管サイズ・ルート
- ・縫合位置・角度
- ・パッチサイズなど



その設計で血流に問題ないか？

クラウド大型計算機



設計を評価

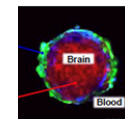
- ・血流の加速
- ・血流量分配
- ・圧較差
- ・乱流など

■ 生体（サル）とMPSの相関性の検証に係る取組

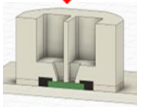
充実等

- FDAは今年、「MPS等新しいアプローチ方法論を活用した抗体医薬品の安全性評価系構築を推進する」として、動物実験削減に関するロードマップを発表。我が国としても、国産MPSの信頼性確保ならびに抗体を用いた安全性評価系の開発を強く推進する必要がある。
- 調整費により、BBB透過性に関してMPSのvivo相同性に関するエビデンスを取得することで国産MPSの信頼性を確保する。また、中枢神経毒性評価を可能とする複合デバイス(MEA-MPS)を開発する。
- MPSにおける信頼性データの充実を図り、さらに異なるCOU（「BBB透過性」と「中枢神経毒性」）を複合することで、より有用性の高い高次のMPS開発につながる事が期待される。

カニクイサル



オルガノイド



MPS

MEA-MPS: 中枢神経毒性評価

2. 基盤技術や拠点の活用等による 課題間連携等の強化

3. 医療分野の発展を担う若手研究者の育成及び異分野人材の参入

【重点支援する課題(例)】

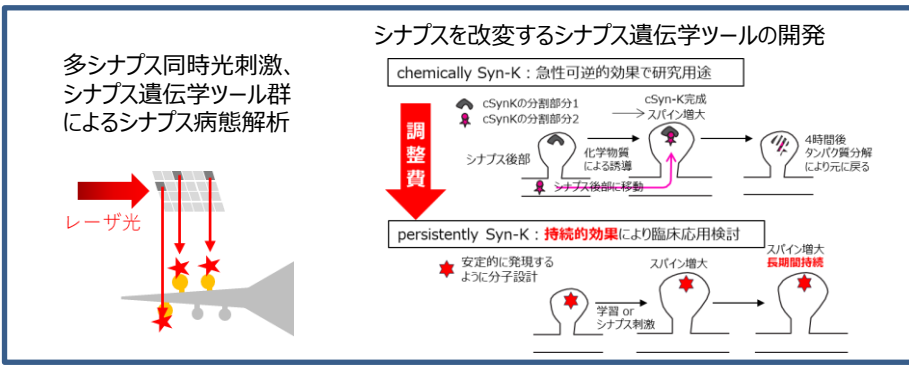
○新規ツールを活用した連携による解析の高度化

シナプス病態のハイスループット解析体制構築により、統合失調症のシナプス病態解明を目指す。

■ 統合失調症の病態解明に係る 研究開発

充実等

- 統合失調症は思春期から青年期に発症する主要な精神疾患であり、特にシナプス病態の解明と創薬候補の同定が喫緊の課題である。
- 調整費により、シナプス病態解明の高度化及び、シナプス病態と認知機能障害を結びつけるシナプス遺伝学ツール群開発の充実と病態解析への応用を行い、統合失調症の病態メカニズムにせまる。
- シナプス病態解析とシナプス遺伝学ツール群開発との連携により、機能や局在異常を示すシナプスタンパク質を見つけたことで新規治療薬候補となることが期待される。



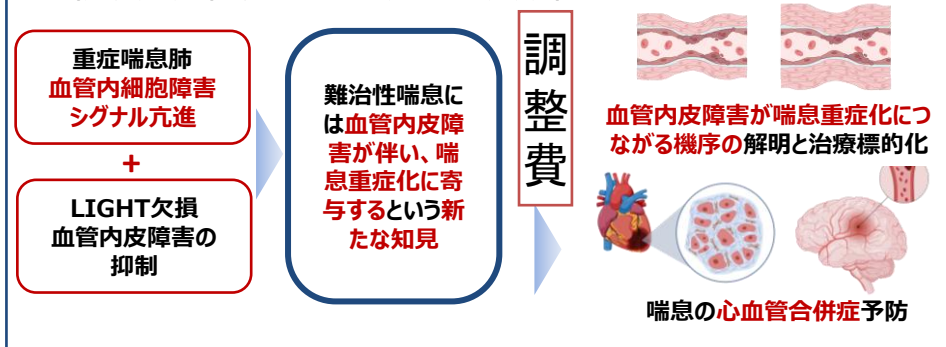
○若手人材の研究開発の充実

研究対象を充実し、重症喘息における新規治療標的のシーズ開発を目指す。

■ 重症喘息の気道リモデリングを直接標的とする治療の創出

充実等

- 重症喘息における肺での血管内皮障害や活性化シグナル亢進は、これまで知られておらず、喘息重症化における血管内皮障害/活性化の役割はほぼ未解明である。
- 調整費により、新たに血管内皮細胞を対象とした、炎症性サイトカイン (LIGHT)に関連する血管内皮障害/活性化と炎症及び肺機能との関連解析を行う。
- 若手研究者が代表者である本研究の充実により、新規治療標的のシーズ開発あるいはドラッグリポジショニングに関する特許を取得することにつながり、喘息の重症病態の根本的治療や、将来的に重症喘息に合併する心血管系イベントの発症予防法の新規知財開発にもつながることが期待される。



4. 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

【重点支援する課題(例)】

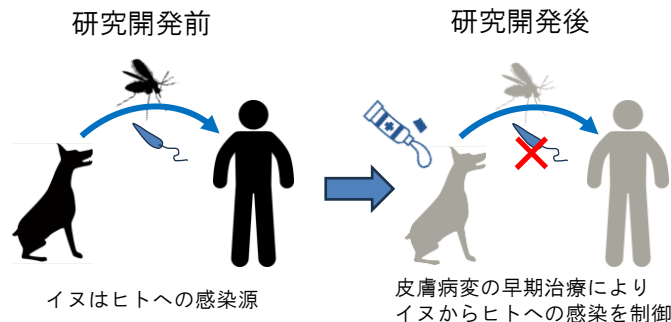
○トルコにおける感染症制御への貢献

**節足動物媒介性感染症におけるベクター昆虫及び
リザーバー動物制御技術開発の拡充を目指す。**

■ イヌリーシュマニア症の治療薬の新たな可能性の探索

充実等

- イヌのリーシュマニア症の現在の治療薬は、腎毒性が強く食欲不振、嘔吐、下痢等の副作用を伴うため、新治療薬の開発が求められている。ヒトのリーシュマニア症の治療薬として用いられているアムホテリシンBが、物質Xと混合することにより皮膚病変に有用であることをマウスを用いた試験で確認した。
- 調整費により、イヌを用いた試験でアムホテリシンBと物質X混合による塗り薬としての有用性を確認し、リザーバーコントロールに関する研究開発を充実させる。
- トルコとの共同研究により、リザーバー制御技術の開発が拡充し、イヌのリーシュマニア症に対する治療薬の実用化加速が期待される。

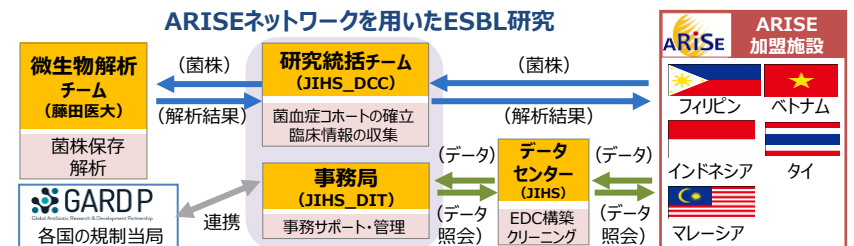


- グローバルヘルス全体に寄与する感染症対策の実施
国際的連携を通じて、感染症分野の臨床試験の推進
と世界的なパンデミックの対策において主導的な役割を
果たすことを目指す。

■ ARISEネットワークを活用した、薬剤耐性菌対策としての調査

充実等

- ARISEの中の感染症研究者によるグループの中で、アジア地域において推進すべきテーマについて具体的な議論を進めていたところ、AMR関連のESBL研究を計画するアイデアが提案され、研究実施の方向性がまとまった。
- 調整費により、現地調査に基づく本研究の詳細なデザイン、現地候補機関での倫理委員会への申請などの各種調整及び菌株収集を含む包括的なプロジェクトマネジメント業務を実施する。
- ARISEに加盟するアジア地域5か国すべての機関との共同研究実施により、平時からのパンデミック等有事に向けた国際臨床試験実施体制の準備となり、平時から緊急時まで広くカバーする形での感染症対策として、グローバルヘルス全体に寄与することが期待される。



5. 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

【重点支援する課題(例)】

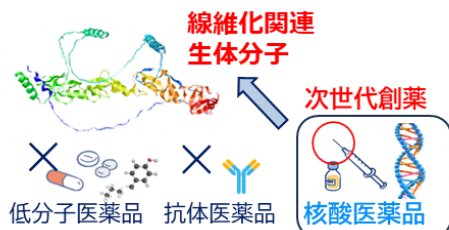
- 線維化関連疾患の治療薬解明に向けた研究開発の促進
新規創薬標的、新規モダリティー創薬シードの非臨床試験を加速し、治療薬の企業導出を推進する。

- 重症新生児に対するゲノム診断研究の充実
重篤な症状がある新生児に対する迅速ゲノム解析に基づく原因診断等を目指す。

■ 線維化関連疾患に対するアンチセンス核酸治療薬の開発

充実等

- 線維化関連生体分子を新規創薬標的とするアンチセンス核酸 (ASO) について、2 種のマウス肝内線維化モデルにて薬効及び安全性を確認した。また、同じく線維化を一因とする原発性硬化性胆管炎 (PSC) のマウスモデルにおいて薬効を確認し、線維化疾患に広く適用できる前臨床候補化合物になる可能性が示唆された。
- 調整費により、本ASOの大量合成、薬効試験、PK試験、安全性試験等を実施し、また、本ASO周辺化合物の合成展開を推進する。
- ASOの非臨床試験に向けたデータの充実により、肝硬変を含む線維化関連疾患（間質性肺炎、脾線維症、肺線維症、PSC 等）の治療薬としての可能性を追求し、未解決の臨床ニーズに応えることが期待される。



新規性の高い標的分子
■ 従来は創薬標的にならない
■ 複数臓器の線維化制御

線維化関連疾患の
治療薬としての可能性追求

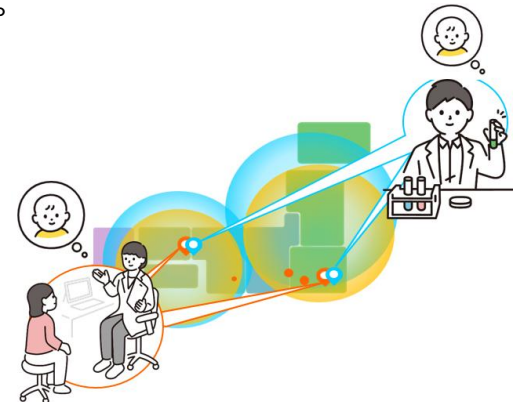
■ 重症新生児に対する迅速なゲノム診断のための基盤構築及び拡充

充実等

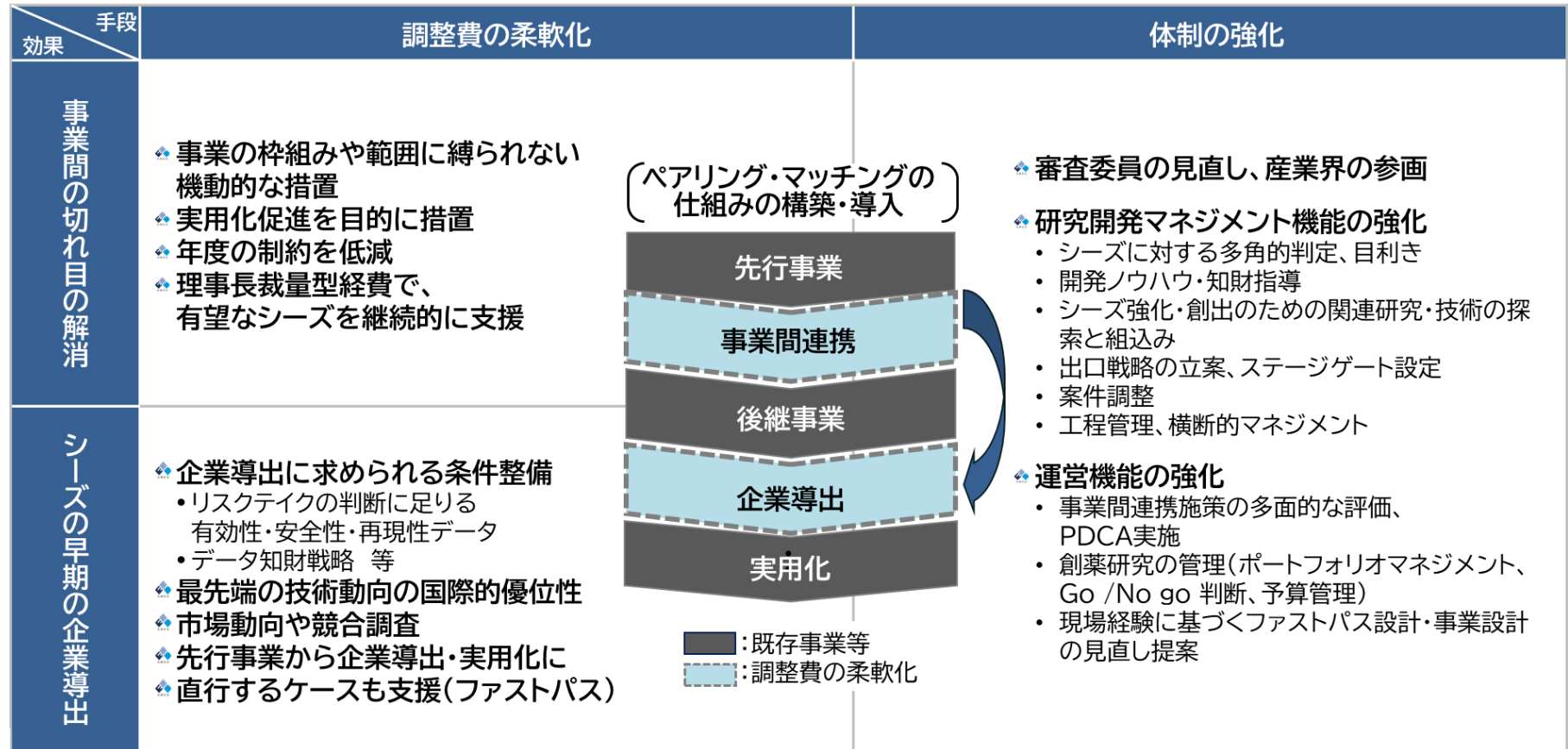
- 重篤な症状がある新生児に対し、迅速かつ精緻なゲノム診断の全国NICUでの実用化に向け取り組んでいる。これまでゲノム解析1拠点にて、次世代シーケンサーを用いて迅速遺伝子診断を行い、児の速やかな疾患同定、治療導入につなげる研究を進めてきた。
- 調整費により、解析拠点を拡充し、データの安全性確保、遺伝カウンセリング拠点の増加を行う。
- 解析拠点的拡充により、受け入れ症例の急速な増加に対応可能となり、出生地域を問わず迅速なゲノム診断および適切な医療の提供の全国化が期待される。

調整費措置後

- ・ ゲノム解析拠点1か所
→ 2 か所へ拡充
- ・ データ安全性の向上
- ・ 遺伝カウンセリング
拠点的全国化



6. 事業間連携・企業導出を支援するための施策



1. 事業間連携・企業導出に結び付けるために必要な研究開発等の実施

AMEDにおいて支援中の課題の研究開発状況や、国内外の研究開発動向等を踏まえ、事業間連携や企業導出に必要な試験・研究開発等を適時に支援する。

2. 事業間連携・企業導出に資する調査・分析等の実施

新たな知見の創出を受け、飛躍的な発展や市場の拡大が見込まれる領域等について、研究開発動向や競合分析等を実施することにより、事業間連携・企業導出に資する。