

# 令和7年度第2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

# 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40課題・1施策、27.4億円（第1回配分済：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	(20 [22] 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	(4 [5] 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	(4 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	(2 [6] 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	(10 [13] 課題)
6	事業間連携・企業導出を支援するための施策	(1 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



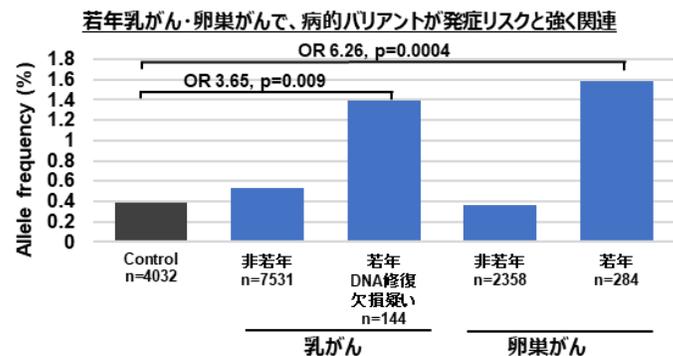
## 【重点支援する課題(例)】

### ○若年発症がん原因因子の同定に向けた研究開発の充実

若年発症リスクに関わるバイオマーカーとしてのPOC取得による企業導出への発展が期待される。

#### ■ 若年性乳がん・卵巣がんに対する、全ゲノムシークエンス解析・細胞実験を用いた検証 充実等

- 疾患コホート研究で収集されているゲノムデータや診療情報をもとに疑似的な家族歴を作成し家系解析を行うことで、がんの早期発見・早期治療に資するリスク因子の抽出を実施した。その結果、若年性乳がん及び卵巣がんにおいて、DNA修復遺伝子の機能喪失型バリエーションが同定され、適切な治療法が確立していない若年性がんの一部では遺伝的要因の関与の可能性が高く、早期発見や治療戦略の確立につながる可能性が示された。
- 調整費により、若年性の乳がんと卵巣がんを中心に同定したDNA修復遺伝子バリエーションの機能的意義、バイオマーカーとしての検証及び合成致死としての標的POC取得を実施する。
- これにより、若年乳がん・卵巣がんにおける発症リスクの検証が加速され、パネル検査等のコンパニオン診断や相同組換え修復を標的にした治療法の適応など臨床応用の実現に近づき、若年日本人のがん予防・治療開発への恩恵が期待できる。



#### 調整費

若年性乳がん・卵巣がん症例に対して、全ゲノムシークエンス解析・細胞実験を用いた検証実験の実施

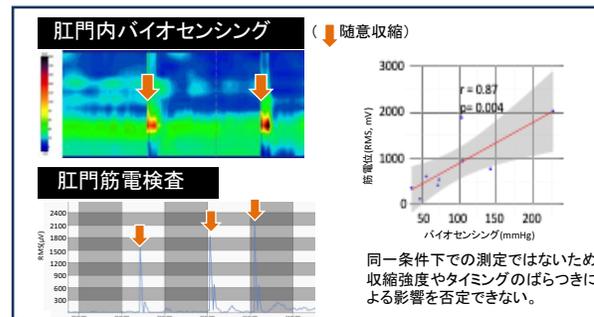
- 病的バリエーションのバイオマーカーの検証と知財の確保
- 若年発症がん原因因子の同定とコンパニオン診断への展開

### ○小児肛門機能障害に対する治療用医療機器開発の充実

システム開発により、便失禁に対するバイオフィードバック療法の社会実装が期待される

#### ■ 肛門収縮に関する複数の評価指標を同一条件下で取得・解析するための機器の製作及びその測定可能性の検討 充実等

- 便失禁に対するバイオフィードバック療法は、肛門内に内圧又は筋電センサを挿入し、肛門収縮による測定値の変化を視認し肛門収縮・弛緩訓練を行う治療法である。筋電位のみ測定可能な小児用センサを開発すべく、肛門内圧と筋電位の相関関係を調べていたが、肛門収縮ごとに収縮強度がばらつき、相関関係を検証できない可能性があった。
- 調整費により、肛門収縮に関する複数の評価指標を同一条件下で取得・解析するための機器を製作し、未解明であった術後便失禁における肛門機能の客観的評価系を確立し、小児用バイオフィードバック療法支援機器の開発を推進する。
- これにより、バイオフィードバック療法の社会実装が飛躍的に加速され、患者の便失禁を克服すれば、薬剤費を含む医療費削減、家族の付き添い通院負担軽減、学業就学機会の拡大によるQOL向上につながることを期待される。



#### 調整費

#### 複数の評価指標を同一条件下で取得・解析するための機器

本技術は既存計測手法の高度化及び相関解析の基盤整備を行い、肛門収縮に関する複数の評価指標を同一条件下で取得・解析する。これにより、未解明であった術後便失禁における肛門機能の客観的評価系を確立し、小児用バイオフィードバック療法支援機器の開発を促進する。

# 1. 企業導出等の実用化に向けた 研究開発の加速・充実

# 2. 基盤技術や拠点の活用等による 課題間連携等の強化



## 【重点支援する課題(例)】

### ○企業導出に向けた研究開発の充実

頭蓋骨透明化技術の企業導出推進により、精神・神経疾患研究に広く貢献することが期待される。

### ■ 頭蓋骨透明化技術による生体マウス脳の高時間解像度イメージングデータの取得

充実等

- 従来のopen skull法による生体脳マウスのライブイメージングは、頭蓋骨及び脳境界領域を剥離してしまう非生理的条件であることが課題となっていた。今般、頭蓋骨を透明化するSeeThrough法を確立し、頭蓋骨と脳境界領域を保持したまま生体脳ライブイメージングデータの取得が可能となったことから、SeeThrough法の幅広い解析への応用可能性を示し、企業導出を推進する。
- 調整費により、SeeThrough法が、脳境界領域を保持したまま、蛍光プローブによる高時間解像度データ取得に適していることを示す。具体的には、脳境界領域の解析が重要と考えられている多発性硬化症モデルマウスにおいて、蛍光プローブを用いて血流や脳脊髄液流等の高時間解像度のデータ取得を行う。
- これにより、SeeThrough法の幅広い解析への応用可能性を示し、企業への導出を促進する。また、多発性硬化症等の病態解明に貢献することが期待される。

#### 頭蓋骨透明化技術「SeeThrough」

- 頭蓋骨を取らずに脳実質や脳境界領域を観察できる画期的な独自技術（特許出願済）
- 低侵襲かつ高精度なイメージングを実現



多発性硬化症モデルにおいて血流や脳脊髄液流等高時間解像度のイメージングデータを取得

### ○課題間連携によるデータ利活用基盤の充実

健常者から認知症に至る試料の測定により、アルツハイマー病（AD）の診断と治療への貢献、国内基盤の強化が期待される。

### ■ AD血液に係る、病期横断的かつ世界標準のバイオマーカー（BM）データの更新

充実等

- 現在、急速にADの血液BMの有用性が高まっている。当事業では仮想的にアルツハイマー病の自然歴を観察するコホートとして①プレクリニカル期、②軽度認知障害（MCI）期、③認知症期の各課題を推進してきた。④健常からプレクリニカル期を対象としたトライアルレディコホートを加え、健常からADにわたる4課題横断的（病期縦断的）にBMデータを世界標準にアップデートすることで、コホートデータの価値を高め、国内外でのデータシェアリングの推進につなげる。
- 調整費により、ADの血液BMデータを充実させる。測定するBMはアミロイド、タウ病理を反映するp-Tau217、mid-p-Tau、Aβ40/42、eMTBR243、及び、神経炎症やグリア活性化を反映するNfL、GFAP、sTREM2である。
- これにより、健常～プレクリニカル期～MCI～認知症～ADの仮想的なプロファイルを示し、認知症関連データとしての有用性が高まる。さらに、これらの研究班の臨床データ等を統合解析することで、今後の日本人におけるADの診断と発症・進行・予後予測に加え、未発症者のスクリーニングなどの診療の進歩に大きく貢献することが期待される。



### 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

### 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)】

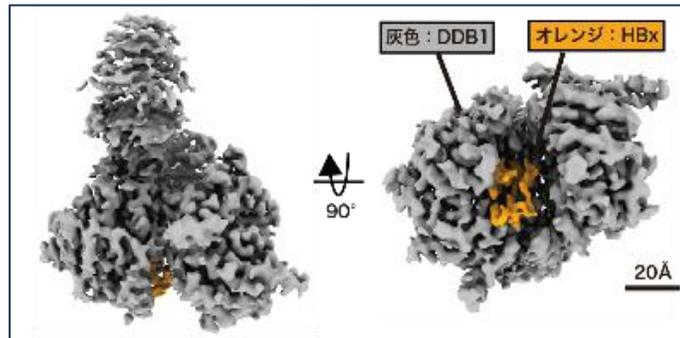
##### ○若手人材の研究開発の充実

B型肝炎ウイルス（HBV）の複製に必須な、ウイルス因子と宿主因子との複合体の分子構造の解明により、B型肝炎に対する創薬開発基盤の確立と展開が期待される。

#### ■ HBx機能阻害低分子化合物の同定

充実等

- HBVは、感染後核内にcccDNA（covalently closed circular DNA）として残存し、現行のHBV治療では除去が困難で根治に至らない。本課題では、このcccDNA転写活性化に必須である、ウイルス因子のXタンパク質（HBx）と宿主因子DDB1との複合体の立体構造を解明し、創薬標的となる疎水性ポケットの存在を見出した。
- 調整費により、上記創薬標的に対するin silico/in vitroスクリーニングを行い、HBx機能阻害低分子化合物の創出を推進する。
- これにより、HBx機能阻害作用による、B型肝炎の根治を目指す薬剤の開発が期待される。



◀ウイルス因子HBx（オレンジ）と宿主因子DDB1（灰色）との複合体の立体構造。この相互作用がHBV複製に必須であることから、この相互作用を阻害する低分子化合物を創出する。

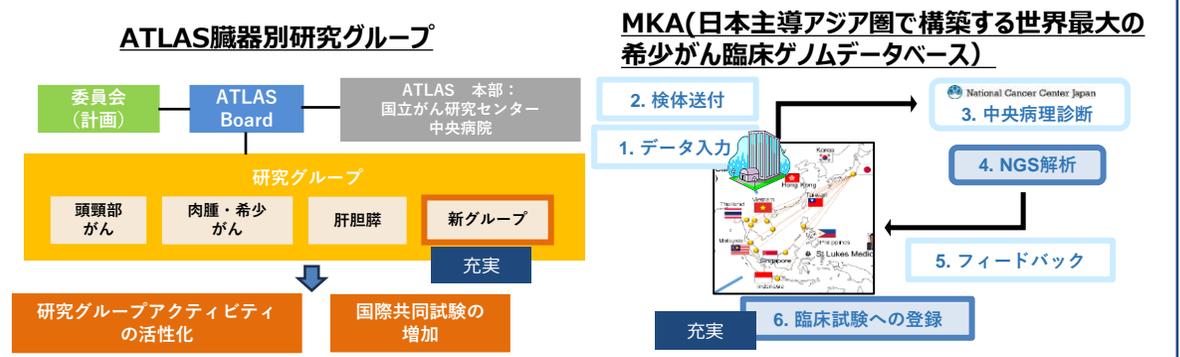
##### ○アジア地域における国際共同研究の充実

国際的連携を通じて、国際共同医師主導治験の増加や、日本発の医薬品のアジア全体での開発促進が期待される。

#### ■ アジアにおける国際共同試験推進基盤の整備及びプラットフォームを活用したデータの充実化

充実等

- ATLASプロジェクトではアジア圏での臨床試験グループの構築を進め、日本主導で多数の国際共同試験を実施し、アジア全体で医薬品・医療機器開発を推進している。今後、国際共同研究をさらに加速するため新たな臓器別グループ設立が求められている。また、新たな治験に先立つ試料解析研究の必要性が増している。
- 調整費により、新たな臓器別研究グループを設立し、次期治験の対象をプラットフォーム研究であるMASTER KEY Asia（MKA）に登録しゲノム解析を行う。
- これらの取組は、日本発の医薬品をアジア全体で開発する良いモデルとなり、アジアに多いがん種で日本発の治療開発促進につながる。また、治験薬の標的であるバイオマーカーの陽性割合の正確な情報を得ることが可能となり、開発の効率化が期待できる。



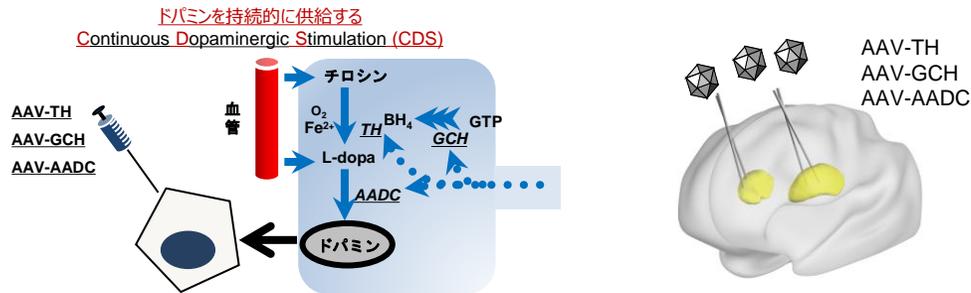
# 5. 先進的医療実現のための最先端の研究開発・環境整備の一層の加速・充実

## 【重点支援する課題(例)】

- パーキンソン病への遺伝子治療に係る研究開発の加速  
パーキンソン病に対する遺伝子治療薬の早期実用化が期待される。

### ■ パーキンソン病に対する、酵素遺伝子を被殻に導入する遺伝子治療の医師主導治験の実施 前倒し

- パーキンソン病患者に対して、L-ドパ製剤の継続服用なしに、摂食で得られるチロシンから脳内で持続的にドパミンが産生できるよう、有効性、安全性の確認されているAADC遺伝子の他、THの遺伝子、GCHの遺伝子とドパミン合成に必要な三種類の酵素遺伝子をそれぞれ別のAAVベクターに搭載して同時に導入することで、L-ドパ服用における薬効の減弱や持続時間の短縮の解消が期待される。  
医師主導治験において、これまでに3例の投与が実施され、現時点で安全性上の問題はなく、治験希望患者も多いことから、患者組入れを加速させる。
- 調整費により、次年度予定していた3例の投与を前倒しで実施する。
- これにより、医師主導治験の終了が前倒しとなり、高投与量群を早期に投与開始することで、早期に臨床推奨用量を決定し、次相試験実施をより早期に計画することができ、パーキンソン病の遺伝子治療薬の実用化を早期に実現することが期待される。



- 難治性アレルギー疾患治療薬開発に向けた研究の充実  
難治性アレルギー疾患の病態解明により、根本的治療法の開発に直結することが期待される。

### ■ 細胞動態と3次元的細胞移動パターンの解析や遺伝子発現変動解析の実施 充実等

- 病原性Th2細胞が転写因子HLF (Hepatic Leukemia Factor) を介してCD4陽性組織常在性記憶T細胞 (CD4+TRM細胞) として組織常在性を獲得し、さらに、このCD4+TRM細胞が、転写因子HLFを低下させex-CD4+TRM細胞として血中へ移行し、炎症誘導能を保持しながら遠隔臓器へ転移することを発見した。この新規血中移行・遠隔転移の分子機構解明を目指す。
- 調整費により、新規ex-CD4+TRM細胞トラッキングマウスと透明化技術、ライトシート顕微鏡、空間トランスクリプトーム解析を用い、CD4+TRM細胞及びex-CD4+TRM細胞動態/3次元的細胞移動パターン/1細胞レベルの遺伝子発現変動解析を行う。
- これにより、CD4+TRM細胞/ex-CD4+TRM細胞の生体内動態を高い解像度で網羅的に解析し、ヒト難治性アレルギー疾患における病原性Th2細胞選択的かつ効果的な治療ターゲット分子の同定を通じた、新たな診断・治療標的となることが期待される。



# 6. 事業間連携・企業導出を支援するための施策

## 【重点支援(例)】

### 膵臓がんに対する新規核酸医薬の非臨床試験を目指した事業間連携の支援

事業間連携

#### <現状>

- 「次世代がん医療加速化研究事業」において、膵臓がんに対する新規核酸化合物の評価・最適化の後、開発候補化合物を同定し、膵臓がんに対する核酸医薬の非臨床試験に向けた準備を行っている。

#### <事業間連携の概要>

- 膵臓がん等で高発現し、がん細胞の維持・増殖に必須の長鎖非翻訳RNAであるTaurine upregulated gene1 (TUG1)を標的とするアンチセンス核酸化合物(TUG1-ASO)に、化合物の安定性を向上させる技術を組み合わせたと、想定を超える極めて高い血中残存量を示し、TUG1-ASOの大幅な能力向上の可能性が見いだされた。
- この結果をもとに、調整費にて、今回の膵臓がん治療に最適化するTUG1-ASOの構造的改善を早急に図り、最終候補化合物同定、非臨床試験に向けた化合物の合成等を進める。
- この成果により、令和9年度から「革新的がん医療実用化研究事業」において非臨床試験を開始するとともに、令和12年度から医師主導治験に進めることが期待できる。

#### <事業間連携に向けた工程>

次世代がん医療加速化研究事業

調整費

【後継候補】  
革新的がん医療  
実用化研究事業

### 心不全に対する遺伝子治療薬の臨床試験加速に向けた事業間連携の支援

事業間連携

#### <現状>

- 「ゲノム研究を創薬等の出口に繋げる研究開発プログラム」において、心不全に対する遺伝子治療薬の開発のため、心筋細胞におけるレア・コモンバリエーションの機能的評価よりヒト心不全の病態解明を進め、遺伝子変異と化合物の関係性をシングルセルレベルで理解し、原因となる分子病態に応じたきめ細かい治療法を開発を行っている。

#### <事業間連携の概要>

- これまで得られた成果（心不全に対する遺伝子治療薬及び治療法等）を社会実装するため、ベンチャーキャピタル（VC）と連携して臨床試験を開始する準備を進めている。
- 臨床試験を実施するため、調整費にて、大動物（非ヒト霊長類）を用いた非臨床POCの取得が重要との指摘を受けたことから、大動物での安全性試験を実施する。
- この成果により、令和9年度から「創薬ベンチャーエコシステム強化事業」に採択されることで、大型投資の獲得により遺伝子治療薬の臨床試験（phase1/2）を加速でき、前倒して製販企業（導出先の目処あり）におけるphase3試験及び承認申請の開始が期待できる。

#### <事業間連携に向けた工程>

ゲノム研究を創薬等の出口に  
繋げる研究開発プログラム

調整費

【後継候補】  
創薬ベンチャー  
エコシステム強化事業

### ヒトのSFTS迅速診断キットの開発加速化による企業導出に向けた支援

企業導出

#### <現状>

- 「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」において、重症熱性血小板減少症候群（SFTS）に対するより効果的な治療法の開発のため、既存薬とは作用機序の異なる有望な治療薬候補や複数薬剤の組み合わせによる治療効果を動物モデルでの検証と、臨床で使用できるSFTSの簡便な診断法がないことから、迅速診断キットの研究開発を行っている。

#### <企業導出の概要>

- 日本国内におけるSFTSの年間患者数が、これまでで最も多かった一昨年の同じ時期を上回り、患者急増が予想されるとともに、ヒト-ヒト感染事例だけでなく、複数の獣-ヒト感染事例が報告され、感染リスクが急増している。
- 本年5月に、迅速診断キット（イムノクロマト試作キット）の作成に成功したため、調整費にて、メーカーにおいて試作キットを増産し、長崎大学・宮崎大学及び2地衛研と連携してヒト検体やネコ検体を用いてSFTSウイルスの感度、特異度などを評価し、SFTS迅速診断キットの臨床有用性を示す。
- この成果により、1年前倒してプロトタイプを完成させ、特許出願、企業への導出、企業による薬事申請の後押しが期待できる。

#### <企業導出に向けた工程>

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

調整費

企業側からの要請

企業導出