

別紙



# 令和8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

---

# 令和8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81課題・2施策、99.3億円（第1回配分済：1施策（14課題）、18億円）

1	企業導出等の実用化に向けた研究開発の加速・充実	(46 [49] 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	(3 [6] 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	(0 [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 [3] 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	(30 [38] 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)】

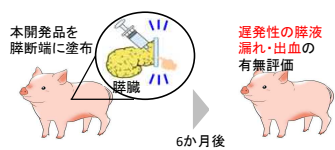
- 臍液瘻を主因とする遅発性合併症抑制に向けた研究開発の充実  
独自開発の自己集合性ペプチド臍液瘻予防材の企業導出による  
早期社会実装が期待される。

### ■ 臍液漏出抑制能力を有する自己集合性ペプチドゲルの 長期安全性有効性等の評価

充実等

- 現在、臍切除後には10~30%と高頻度で臍液瘻が発生し、致死的な合併症や長期入院が患者の重い負担となっている。臍液瘻を主因とする合併症関連死が全死亡の45~65%を占め、術後数週間に降に遅発性に顕在化し、全身状態悪化から死に至ることが明らかとなった。そのため、臍液漏出抑制の役割を果たす吸収性被覆材起因の事象と疾患進行を客観的に区別する追加評価を早期に実施し、検証的治験に進むためのエビデンス構築が急務である。
- 調整費により、本開発機器の有効性・長期安全性及び腫瘍学的安全性を先行評価することにより、国際臍臓外科研究グループが公表した初の国際統一基準下での製品の安全性を確立する。
- これにより、臍断端全面が隙間なく被覆可能であり、吸収分解後も長期安定的な臍液漏出抑制効果が兼ね備えられた世界初の長期に臍液瘻が防止できるゲル状製剤としての競合優位性が確保され、企業導出による早期実用化が期待される。さらに実用化に向けたPMDAとの協議や海外展開における説明力も高まる。また、本機器の実用化により、臍切除手術を受けた患者の早期退院へと繋がり、医療費の削減が期待される。

#### 本開発機器の長期安全有効性評価



#### 本開発機器の全身性・腫瘍学的安全性評価



- 生殖補助医療の成功率向上に向けたプログラム医療機器開発の充実  
胚評価AI(SaMD)の開発により、不妊治療の成功確率を高める  
次世代の生殖医療AIの早期社会実装が期待される。

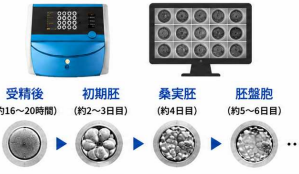
### ■ AIを用いた正倍数性胚予測器/良好胚予測器の薬事承認に向けた治験及び海外展開のための準備

充実等

- 不妊治療において出産可能性の高い胚を的確に選択することは、治療成績の向上と患者負担の軽減に直結する。現在、海外製AI機器が未承認のまま国内に参入しつつあり、国内発かつ承認を得た胚評価AIの実用化が急務である。
- 調整費により、良好胚選定AIの前向き評価に向けた医師主導治験のプロトコル等の作成及び治験準備を行い、海外のIRB申請も加速する。
- これにより、胚評価AIの薬事承認・実用化を加速し、不妊治療成績の向上、患者の身体的・精神的・経済的負担の軽減、日本発のプログラム医療機器(SaMD)の国際展開を実現する。

#### タイムラプス画像をAIで解析し、胚の「質」を非侵襲的に評価

タイムラプス培養で得られる胚の発育動態データ



#### Deep Learning による 高度な画像解析



着床の不成功・流産を防ぐため、染色体の正倍数性・異数性の可能性を予測

#### 提供価値

- 胚移植成功率の向上・流産リスクの低減
- 治療(胚移植)回数・期間の削減
- 身体的、精神的、経済的負担の軽減

追加検査や胚への負担なしに、現在よりも効率的な移植胚選択を支援するAI技術です

## 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)】

- 課題間連携によるサルコペニアの診断・治療法開発基盤の充実  
血液バイオマーカー開発により、サルコペニア進展の分子基盤の可視化による介護予防・攻めの予防医療の基盤構築が期待される。

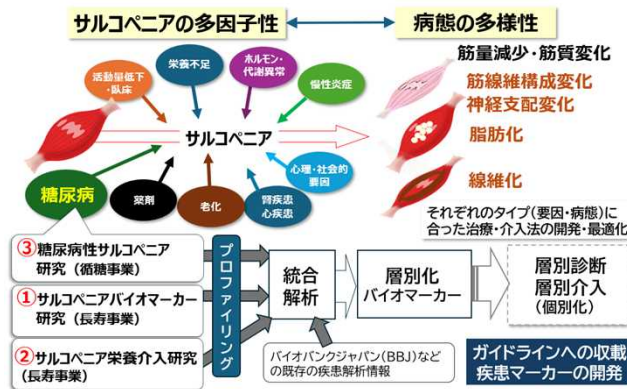
### ■ サルコペニアの診断・介入効果予測のための層別化に 資する血液バイオマーカーの探索

充実等

- 高齢化社会における介護予防・重症化抑制の観点から、フレイルの中核であるが、病態や病因が多様であり、未だ多様性について整理されていないサルコペニアに関する①バイオマーカー(BM)研究課題・②栄養介入研究課題、③糖尿病性サルコペニアに特化した研究課題のそれぞれの専門性を活かし、共通基盤を用いた統合解析によるエビデンスで裏付けられた疾患層別化のため、事業間連携を図る必要がある。

- 調整費により、サルコペニアの診断、介入効果予測のための層別化に資する血液BM探索の研究開発を推進するため、サルコペニアの多様な病態について網羅的血液プロテオーム解析による分子プロファイルに基づく層別化を効率的・効果的に実施する。

- これにより、BM、栄養評価、糖尿病とそれぞれの専門性を活かすとともに、異なるコホート間での検証も可能とし、これまでの「運動・栄養」に偏った一元的対策から発展し、個々の患者に適した精緻な介入方法の開発とともに、介護予防・攻めの予防医療の基盤となる知見を得ることが期待される。

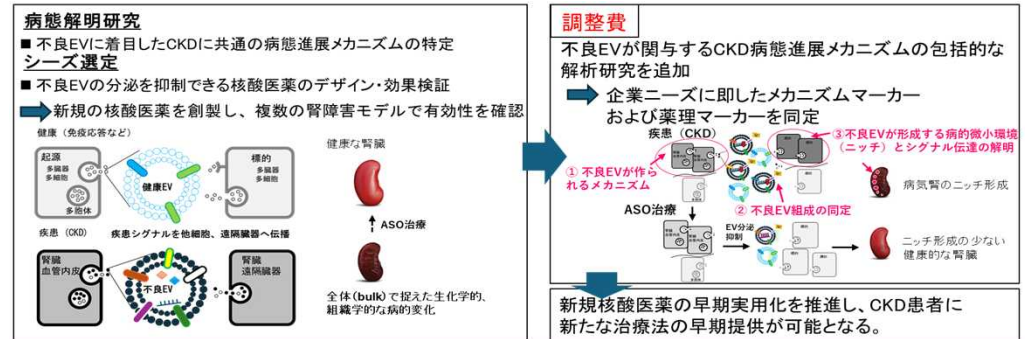


- 若手人材の研究開発の充実  
慢性腎臓病(CKD)に対する新規核酸医薬の企業導出等、早期実用化が期待される。

### ■ 不良EV関与CKD病態進展メカニズムの包括的解析によるメカニズムマーカー及び薬理マーカーの同定

充実等

- 不良小型細胞外小胞(不良EV)が関与するCKDの共通した病態進展メカニズムを特定するとともに、これらの機序に基づいた新規CKD治療薬開発を進め、不良EVの産生を抑制するとともに、標的組織である尿細管上皮細胞への移行性が高く低用量で効果のある新規の核酸医薬が複数の腎障害モデルで有効性を示すことが確認された。
- 調整費により、不良EVが関与するCKD病態進展メカニズムの包括的な解析研究を追加し、治験が長期にわたるCKDにおいては、薬効を早期に評価できるため、治験をよりの確に進めることができ、企業としても開発が進めやすくなるメカニズムマーカー及び薬理マーカーを同定する。
- これにより、企業との連携による新規核酸医薬の早期実用化を推進し、CKD患者に新たな治療法の早期提供を実現す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



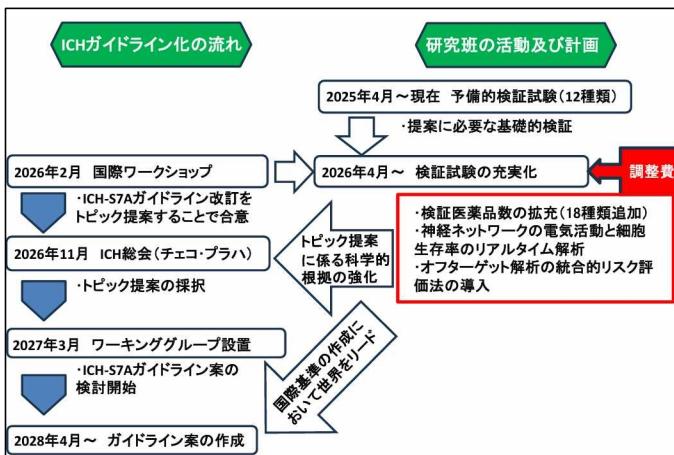
### 【重点支援する課題(例)】

- 国際規制調和の枠組みにおけるガイドライン改定活動の充実  
本邦主導の国際基準の作成及び医薬品開発環境の整備を通じて、創薬力の一層の強化が期待される。

#### ■ ヒトiPS細胞由来神経細胞等を用いた安全性薬理評価法に対する国内検証試験の実施 充実等

- ICH-S7A安全性薬理試験ガイドライン改定に向け、ヒトiPS細胞由来神経細胞を活用した実験動物を使用しない安全性薬理評価法の導入が国際的に議論されており、ガイドライン改定に活用可能な検証データの取得が求められている。
- 調整費により、30種類の医薬品を対象として、神経細胞への影響と細胞生存率の同時解析、動物データとの比較検証試験を実施し、安全性の評価系を確立する。

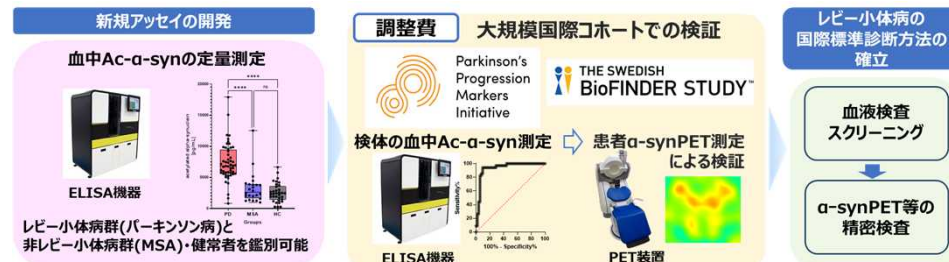
● これにより、ヒトiPS由来細胞を用いた安全性薬理評価法の再現性・予測性を明確化し、ICH-S7A改定に向けた科学的根拠を取得する。さらには、本課題が今後国際的な協議の場で日本がガイドライン改定をリードするモデルケースとなり、今後の医薬品開発における日本のプレゼンスを高めるものと期待される。



- 国際標準化に向けた血液バイオマーカー診断方法開発の充実  
レビー小体病に対する、迅速かつ信頼性の高い、新規の血液バイオマーカーを用いた診断方法の国際的な普及が期待される。

#### ■ 国際大規模コホートを活用した血中アセチル化α-シヌクレインバイオマーカーの共同検証の実施 充実等

- α-シヌクレインの異常蓄積に基づくレビー小体病は、臨床症状で診断することが困難であり、病態を定量評価可能な客観的バイオマーカー(BM)の開発が求められている。これまでに血中アセチル化α-シヌクレイン(血中Ac-α-syn)を定量的に測定可能な独自アッセイにより、レビー小体病群と非レビー小体病群・健常者が高い精度で鑑別可能であることを示した。そこで、本BMを用いたレビー小体病の診断方法の国際標準化を目指し、2つの国際大規模コホートとの共同検証を実施する。
- 調整費により、上記コホートから取得する多数の検体のデータを取得可能な体制を整備し、測定を進め、血中Ac-α-synの疾患BMとしての妥当性を検証すると共に、論文・国際学会等を通じ、本診断方法の国際標準化を目指す。
- これにより、臨床現場でレビー小体病を迅速かつ高信頼で診断できる診断方法の確立につなげ、国内外で普及が図られることが期待できる。



# 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

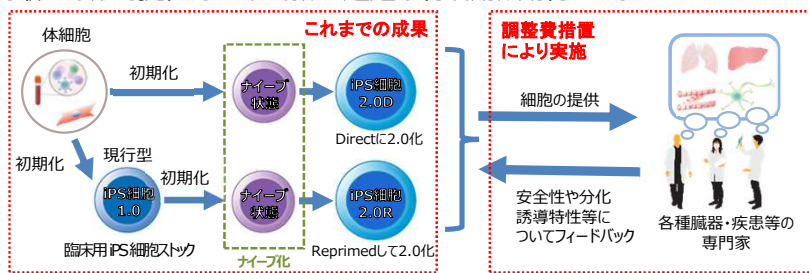


## 【重点支援する課題(例)】

- 次世代iPS細胞（iPS細胞2.0）の品質評価データの充実  
iPS細胞2.0の品質基準の確立により、国内外のユーザーに対する円滑かつ迅速な利活用の推進が期待される。

### ■ iPS細胞の臨床実績を有する専門家による細胞の分化誘導効率・安定性及び安全性等の評価検証 充実等

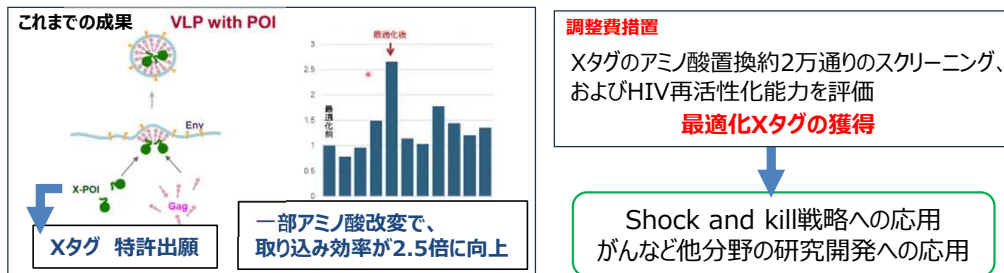
- 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点では、低い樹立・分化誘導効率や株間のばらつきといった従来型iPS細胞（iPS細胞1.0）の課題を克服するため、iPS細胞をより未分化な状態にすること（ナイーブ化）により、iPS細胞1.0及び体細胞から次世代の「iPS細胞2.0」を開発した。その高い分化誘導能は既に複数の細胞種で確認している。今後、安定的かつ効率的な細胞供給を実現するためには、研究や臨床に求められる品質基準を予め満たした状態で整備しておく必要がある。
- 調整費により、iPS細胞の臨床実績のある研究機関の専門家による細胞の分化誘導特性や安全性等の評価を実施し、多様な臓器、疾患等に対応したiPS細胞2.0の品質評価データを充実させる。
- これにより、中核拠点は専門家からの分化試験や安全性・品質評価のフィードバックを通じてiPS細胞2.0の品質基準を確立することができる。一般提供開始当初から国内外のユーザーにとって最適な形で提供でき、円滑かつ迅速な利活用が期待される。



- HIV根治を目指した革新的技術開発の充実  
タンパク質を効率的にVLPへ内包させる革新的DDS技術の改良により、HIV根治戦略確立への展開が期待される。

### ■ HIV感染者に潜伏感染したウイルス排除に資する革新的DDS技術開発 充実等

- HIVは宿主細胞に潜伏感染するため、HIV感染者からのウイルスの完全排除は極めて困難である。本研究開発では、HIVを再活性化するタンパク質（protein of interest; POI）を標的指向性ウイルス様粒子（VLP）に内包してHIV潜伏感染細胞に送達する革新的DDS（Drug Delivery System）技術を開発し、HIVを人為的に再活性化、その後排除するHIV根治戦略（Shock and kill戦略）の確立を目指している。
- 調整費により、タンパク質に付加するモチーフ（Xタグ）の最適化を行ない、HIV潜伏感染細胞への取り込み効率のスクリーニングを実施するとともに、HIVの再活性化に関する解析を実施する。
- これにより、効率的なDDSが開発されることで、HIV感染症の根治に向けたShock and Kill戦略の確立につながる事が期待できる。さらには、この革新的DDS技術は他の機能性タンパク質に最適化Xタグを付加し、目的細胞に応じてVLPエンベロープを改変することが可能なため、がんなど他分野への研究開発にも応用することが期待できる。



## 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)】

#### アルポート症候群に対する新規治療薬開発に向けた事業間連携の支援

##### <現状>

- アルポート症候群は慢性腎炎、難聴、目の異常を特徴とする進行性遺伝性疾患である。現在のところ根本的な治療法はなく、疾患の進行を遅らせるための対症療法が治療の中心であり、最終的には透析や腎移植に至る。
- 「難治性疾患実用化研究事業（医薬品ステップ1）」において、「アルポート症候群腎症進展抑制薬の研究開発」として、酸化ストレスを抑制する転写因子Nrf2を顕著に活性化する新規化合物（GP-051）の開発を行っている。

##### <事業間連携の概要>

- これまでに、GP-051がNrf2（酸化ストレスや炎症反応から細胞を守る転写因子）を顕著に活性化することが明らかになっていたが、新たに、アルポート症候群モデルマウスにおいて、GP-051が聴力低下の進行を用量依存的に抑制すること、及びRAS阻害薬との併用により末期腎不全への移行が顕著に抑制されることが示された。この結果を受けて、本剤に関心を持った国内外の製薬企業への導出交渉を開始したところ。
- 上記を踏まえ、調整費により、治験開始に必要な非臨床安全性試験と治験用製剤のGMP製造等を前倒しで実施する。
- この成果により、令和10年度からの「難治事業（医薬品ステップ2）」における 医師主導治験の早期開始が可能となり、その結果、臨床POCデータの取得により、企業への導出が加速することが期待される。

##### <事業間連携に向けた工程>

【厚】 難治性疾患実用化研究事業  
医薬品ステップ1

調整費

【後継候補】  
【厚】 難治性疾患実用化研究事業  
医薬品ステップ2

#### 近位筋優位遺伝性運動感覚ニューロパチー（HMSN-P）に対する遺伝子治療開発に向けた事業間連携の支援

##### <現状>

- 近位筋優位遺伝性運動感覚ニューロパチー（HMSN-P）は、筋力低下と感覚障害を特徴とする致死的な遺伝性神経疾患であり、未だ治療法の無い致死的な疾患である。また、ウイルスベクターを用いる *in vivo* 遺伝子治療には、補充療法と編集療法があるが、これまで国内で上市された3製品はいずれも補充療法であり、原因遺伝子を編集（修復）する根本治療法はない。
- 「再生医療等実用化研究事業（臨床開始準備段階）」では、「近位筋優位遺伝性運動感覚ニューロパチーに対する遺伝子治療開発に向けた非臨床試験」として、HMSN-Pに対して、原因遺伝子であるTRK-fused gene (TFG) における1塩基変異を修復する遺伝子治療法（根本治療法）の開発を行っている。

##### <事業間連携の概要>

- これまでに、一塩基修復システムを搭載したアデノ随伴ウイルス（AAV）を脊髄軟膜下に投与する一塩基置換編集（Base Editing）治療法において、非臨床の有効性試験で有望な結果が得られた。また、東京大学・医科学研究所において、GMP製造施設の準備が整い、2年間で本研究のGMP製造が実施できる見通しが立った。一方、基本技術である“*in vivo* Base Editing”の開発が、米国FDAによりファストラック指定されるとともに、中国では今年3月に臨床試験において患者で効果が示されるなど、世界的な競合が加速している。
- 上記を踏まえ、調整費により、GMPグレードのプラスミド及びAAVベクターの製造を前倒しで実施するとともに、非臨床安全性試験等を実施することで治験実施に必要なデータ取得を行い、その後に治験届を提出する。
- この成果により、令和10年度から「再生医療等実用化研究事業（臨床段階）」において、神経疾患が対象の“*in vivo* Base Editing”治療として、前臨床段階からステップアップし、世界初の治験を開始することが期待できる。

##### <事業間連携に向けた工程>

【厚】 再生医療等実用化研究事業  
（臨床開始準備段階）

調整費

【後継候補】  
【厚】 再生医療等実用化研究事業  
（臨床段階）