

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

① 医薬品プロジェクト



② 新型コロナウイルス感染症やサル痘等の重大な感染症の拡大に対する緊急時対応を含め、医療ニーズに即した研究開発を迅速かつ適切に推進し、薬事承認に至った事例も見られた。

- 患者数が少なく企業での開発が進まない小児領域や難病領域の研究開発を促進するため、臨床研究・治験推進事業において、小児領域を対象とした公募枠を新設した。また、難治性疾患や希少疾患などアンメットメディカルニーズに対する治療薬開発等の支援を継続的に実施し、PMDA戦略相談の指摘事項等を踏まえた進捗管理等、適切かつ丁寧な伴走支援を行った結果、薬事承認に至った。
- 世界的な感染拡大が懸念されるサル痘について、世界保健機構(WHO)の緊急事態宣言(令和4年7月23日)に先んじて、病態解明から診断法・治療法の開発まで、感染症対策に資する幅広い研究開発の公募を実施した(令和4年7月13日公募開始)。海外で承認されている治療薬の国内臨床研究を実施する等、サル痘の流行に備えた研究開発を推進した。
- 新型コロナウイルスの感染拡大により、医療機関への受診が難しくなる等、医療環境が大きく変化したことを契機に、患者や医療従事者の負担軽減が期待される、DCT(Decentralized Clinical Trial:分散型臨床試験)等の新しい手法(デジタルデバイスやオンライン等の活用により来院回数等の軽減を図る手法)を活用した臨床研究・医師主導治験の実施を推進した。

< 薬事承認事例 >

難治性疾患実用化研究事業

視神経脊髄炎スペクトラム障害の再発予防に対してリツキシマブが承認

- 医師主導の第II/III相臨床試験にて製造販売承認を取得 -

国内有病率5.3人/10万人の指定難病である視神経脊髄炎スペクトラム障害の患者に対するリツキシマブの有効性が証明され、効能・効果を追加承認。

研究代表者:田原 将行(国立病院機構宇多野病院)

成育疾患克服等総合研究事業

日本における症候性先天性サイトメガロウイルス感染症に対して

バルガンシクロビル塩酸塩が適応追加承認

- 医師主導治験の成績に基づき治療薬として世界で初めての承認 -

国内において年間1,700人程度が発症する希少疾病である症候性先天性サイトメガロウイルス感染症の患者に対して有効性が示され、当該感染症の適応が追加。

研究代表者:岡 明(東京大学)

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施



① 医薬品プロジェクト

【評価指標】			① 令和2年度～4年度末迄の 累積達成状況	進捗	② ①のうち、令和4年度 の達成状況
ソフトウェア プラットフォーム	1	非臨床POCの取得 25件(5件/年)	128件	○	47件
	2	創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出 10件(2件/年)	7件	○	2件
	3	臨床POCの取得 5件(1件/年)	31件	○	8件
	4	新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%	81.0%	○	81.0%
	5	創薬支援ネットワークの活動状況 -3独法(理研・基盤研・産総研)による支援	12件	○	6件 (R2年度からの継続含む)
	6	創薬支援ネットワークの活動状況 -支援継続/終了の状況	支援を行った課題: 121件 うち 新規採択: 80件 うち ステージアップ: 26件 うち 支援継続: 44件 うち 支援終了の課題: 77件	○	支援を行った課題: 73件 うち 新規採択: 30件 うち ステージアップ: 9件 うち 支援継続: 44件 うち 支援終了の課題: 29件
	7	創薬等の効率化に資する 先進手法の開発状況	課題150以上を採択	○	今年度30課題以上を新たに採択

【評価指標】			① 令和2年度～4年度末迄の 累積達成状況	進捗	② ①のうち、令和4年度 の達成状況
アウトカム	8	シーズの企業への導出 60件(12件/年)	135件	○	48件
	9	薬事承認(新薬、適応拡大) 10件(2件/年)	23件	○	3件
	10	創薬等の効率化に資する先進手法の企業 導出 120件(24件/年)	202件	○	38件
	11	研究成果を活用した臨床試験・治験への 移行状況	29件(参考)	○	7件(参考)

進捗: ○ : 順調に進捗している、△ : 進捗が不十分、- : 現時点で評価が困難

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト



評 定	①実用化に向けた取組を推進するため、1)「 <u>実用化プログラム</u> 」※1の運用を開始し有効性を確認したほか、2)医療機器開発支援のネットワーク強化に向け <u>複数の地域連携拠点間の地域を越えた連携を促進。</u>
自己評価 a	②予防・健康づくりに貢献するヘルスケア分野の新たな研究開発として、 <u>科学的エビデンスに基づいた指針策定、非薬物療法(行動変容介入等)の研究デザイン等の開発を行う新規事業を開始するとともに、ワークショップ、シンポジウム等の開催を通じて、質の向上・均霑化に併せて、社会実装に向けた機運醸成を推進。</u> ③有望なシーズであるが企業連携等の経験不足から採択につながないという実態を踏まえ、 <u>若手研究者及び女性研究者を対象とした新たな公募枠を令和4年度調整費を活用して創設し、令和5年度は当初予算としての支援実施を実現。</u> 以上より、全体として顕著な成果の創出や取組が認められる。

- ①実用化に向けた取組を推進するため、1)「実用化プログラム」※1の運用を開始し有効性を確認したほか、2)医療機器開発支援のネットワーク強化に向け、複数の地域連携拠点間の地域を越えた連携を促進。
- 令和4年度中に全34課題に対して延べ39回、研究代表者に対して、事業化に向けた多角的な助言を行い、研究開発課題の実用化を促進。具体的には、開発中の製品コンセプトに係る客観的な評価、薬事承認に向けた詳細なプロセス構築、保険償還価格の考え方、海外展開に向けた戦略構築の方法など、それぞれの研究代表者が抱えている課題や予見困難な問題等に関する助言を実施。
 - 研究代表者へのアンケート結果によると、コンサルティングを「良かった」と回答した者が多数を占めており(95%)、前向きなコメントを多数得るなど満足度が高く、実用化プログラムの有効性を確認。
 - また、採択した7か所の地域連携拠点を一同に集めた地域連携拠点全国合同会議を10月に開催し、各拠点で支援できる範囲や得意とする支援分野等を共有するなど、実用化支援の体制強化を実施。

※1 医工連携イノベーション推進事業で実績を上げた伴走支援の取組を、他事業へも展開するために導入した仕組み

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト



② 予防・健康づくりに貢献するヘルスケア分野の新たな研究開発として、科学的エビデンスに基づいた指針策定、非薬物療法(行動変容介入等)の研究デザイン等の開発を行う新規事業を開始するとともに、ワークショップ、シンポジウム等の開催を通じて、質の向上・均霑化に併せて、社会実装に向けた機運醸成を推進。

- 新規事業で15課題を採択・支援。併せて、全研究代表者を集めた横断的なキックオフ会議や、診療ガイドラインで経験のある日本医療機能評価機構(Minds)の講師を迎えた指針作成のワークショップを開催し、作成する指針の質の向上と均霑化を促進。
- また、ヘルスケアサービスの利用者のニーズを着実に把握するため、アカデミア-事業者-利用者を集めた共創・産学連携の機会を設けた他、ステークホルダー会議(4回)、公開シンポジウム等を開催。海外動向の調査結果も紹介しながら、ヘルスケアサービスの早期の社会実装に向けた意見交換・ネットワーキングを実施。



第2回予防・健康づくり領域の社会実装に向けたシンポジウム(R5.3.1)

③ 有望なシーズであるが企業連携等の経験不足から、採択につながっていないという実態を踏まえ、若手研究者及び女性研究者を対象とした新たな公募枠を令和4年度調整費を活用して創設し、令和5年度は当初予算としての支援実施を実現。

- 医療機器等研究成果展開事業の見直しに伴い、医療機器開発に情熱を持つ若手等の人材育成を通じたシーズの水準向上が喫緊の課題となったことから、アカデミアにおいて尖ったシーズを有するものの、医療機器開発のノウハウが十分でないチャレンジングな提案を積極的に支援するため、調整費を活用して若手研究者及び女性研究者を対象とした新たな公募枠として「チャレンジタイプ」を本事業に創設。
- 公募には40件の申込があり、5件を採択。応募40件のうち11件(27.5%)、採択5件のうち1件(20%)が女性研究者の課題であった。
- 「チャレンジタイプ」を通じて支援ニーズが多くあることが明らかになったことから、令和5年度からは同公募枠が当初予算として措置されるなど、調整費を活用した好事例として認められた。

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト



【評価指標】		①令和4年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和4年度の達成状況
アウトプット	1 ○シーズ研究に関する指標 ・非臨床POCの取得件数 25件(5件/年)	41	○	2
	2 ○医療機器の開発に関する指標 ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題の割合 25%	31%	○	41%
	3 ○ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標 ・ヘルスケア関連機器等の実証完了件数 35件(7件/年)	18	△	3

【評価指標】		①令和4年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和4年度の達成状況
アウトカム	4 ○シーズ研究に関する指標 ・シーズの他事業や企業等への導出件数 15件(3件/年)	14	○	5
	5 ○医療機器の開発に関する指標 ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数 20件(4件/年)	5	△	2
	6 ○ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標 ・ヘルスケア関連機器等の上市等の件数 10件(2件/年)	6	○	1
	7 ○医療機器の開発に関する指標 ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	59	○	15

進捗: ○. 順調に進捗している △. 進捗が不十分 -. 現時点で評価が困難

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト



評 定	再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会(以下「協議会」)、文部科学省(以下「文科省」)再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会(以下「検討会」)等の報告を受け、 <u>再生・細胞医療と遺伝子治療の連携、人材育成、知的財産権(以下「知財」)の確保、生産支援体制の構築等の強化を目指した事業設計、運営等を、関連府省と連携して進めた。</u>
自己評価 a	① <u>令和5年度からの新規事業開始に向けた制度設計、公募等の実施。</u> ② <u>遺伝子治療開発の生産技術に関わる高度人材の育成、生産支援の強化。</u> ③ <u>臨床における良好な成果、治験開始など、実用化に向けて堅調に進捗。</u> 以上より、全体として顕著な成果の創出や取組が認められる。

① 令和5年度からの新規事業開始に向けた制度設計、公募等の実施

- 協議会、検討会等報告での強化項目等について、来年度からの5年新規事業「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム(以下「加速PJ」)」等において、当該報告内容や、一部の試行的な先行実施課題のPSPO、評価委員及び研究者ヒアリング、並びに関係府省との協働による研究者、企業、弁理士等の有識者ヒアリング等を踏まえ、新たな仕組みを詳細に設計して関係府省に提案し、公募に反映(詳細例は以下参照。課題名は次頁図中の略称)。
 - 実用化の更なる促進に向けて、非臨床PoC課題では、研究者側に実用化を見通した際の自身の研究の現在地を認識させるために、令和4年度までの規制面での支援課題と協働でTPP(target product profile)を設計し新規導入。基礎応用及び非臨床PoC課題では、課題が明確で早期の治験開始が期待されるrTRに鑑み、これを的確に採択すべく、rTR枠を新たに独立して設定し、審査基準も変更。
 - AMED実用化推進・知的財産支援課の支援実績等からアカデミアにおける知財出願における課題(知識・費用の不足、論文出願と違ったデータ取得の困難さ、発明が展開する事業イメージの不足等)を明確にし、研究者の知財力の底上げを狙った複数の施策をパッケージで提案し、加速PJ内に新たな仕組みを構築(詳細は次頁参照)。

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

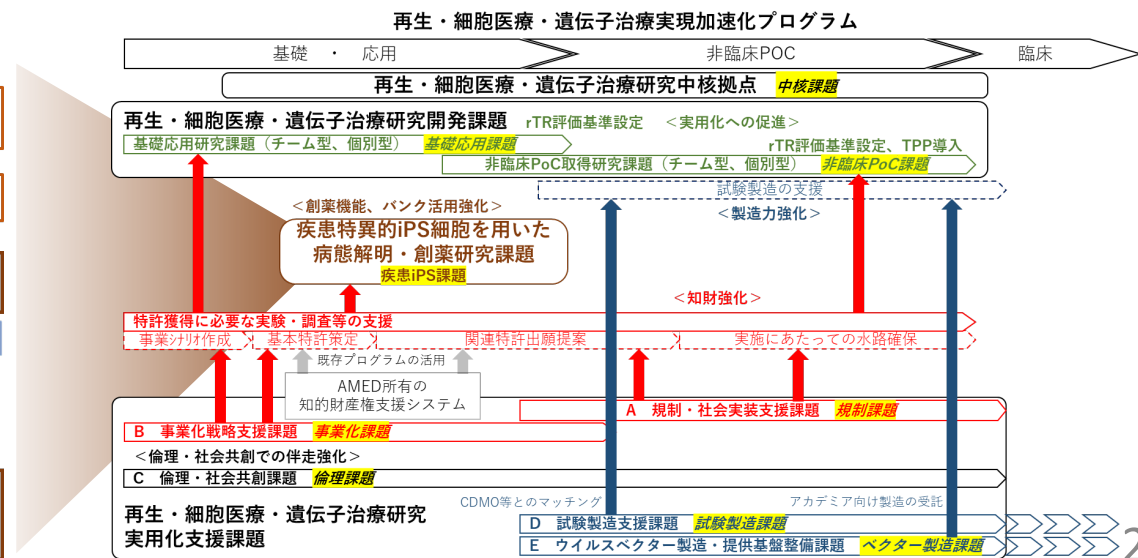
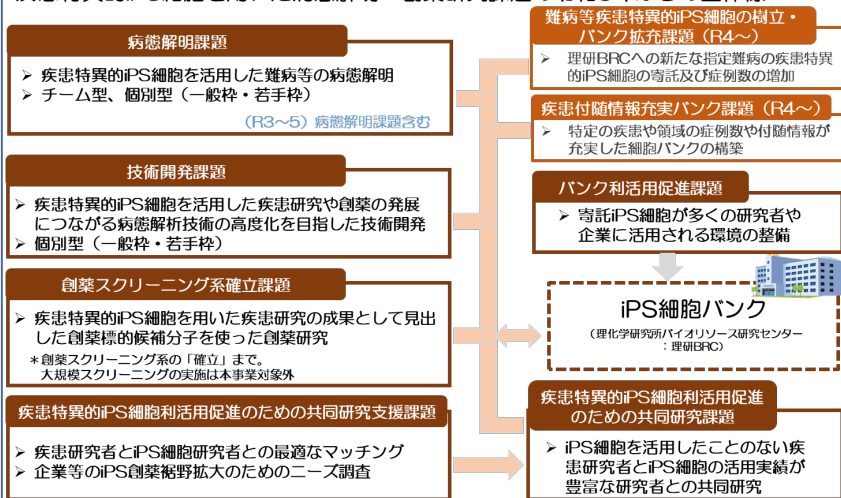


③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

- a) 請求範囲が広い特許の獲得には論文とは異なる実験・調査等が必要であることから、特許出願に向けた新たな支援(追加実験、調査等の資金支援)の枠組みを構築(基礎応用・非臨床PoC・疾患iPS課題)
- b) アカデミアの弱点である知財の戦略的出願を進めるために、技術から将来の事業を早期に想定し、基本特許に強い抑止力をもたせる請求項を設定する支援を行う課題を設計し公募(事業化戦略支援課題)
- c) 再生医療等製品の社会実装には多数の特許の集積が必須であることから、競合特許の回避・対抗出願等の水路確保を支援する課題を設計し公募(規制・社会実装支援課題)
- 令和2年度のAMED委託調査結果(疾患 iPS バンクを中心とした創薬iPSエコシステム構築等を提言)等を踏まえ、エコシステム構築に向けた企業等ニーズの収集、バンク充実及びその利活用の促進枠組みの新設等を提案し、詳細設計の上、公募。(疾患iPS課題)
- 既存課題からの情報からアカデミアが製造先の確保に苦慮していることを把握し、アカデミアとCDMO等をマッチングする課題を提案し、詳細に設計。(試験製造支援課題)等
- 再生・細胞医療と遺伝子治療の更なる連携強化に向けて、再生医療等実用化研究事業において、in vivo遺伝子治療の治験及び治験準備の支援枠を新たに加えた公募を実施。

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム

疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題の令和5年からの全体像



I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト



【評価指標】		①令和2年度～4年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令4年度の達成状況	
アウトプット	1	非臨床POCの取得 25件(うち遺伝子治療 5件)	79件(40件)	○	54件(17件)
	2	研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上※)への論文掲載件数 400件	450件	○	206件
	3	治験に移行した研究課題数 20件、関連課題数(うち遺伝子治療 2件、関連課題数)	27件、36課題(15件、18課題)	○	9件、11課題(6件、7課題)
	4	研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満※等の他の科学誌)への論文掲載状況	449件	○	123件
	5	臨床研究に移行した研究課題数(うち遺伝子治療の研究課題数)	12件(1件)	○	4件(0件)

【評価指標】		①令和2年度～4年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和4年度の達成状況	
アウトカム	6	シーズの他事業への導出件数 30件	42件	○	28件
	7	企業へ導出される段階に至った研究課題数 10件(うち遺伝子治療 2件)(うち企業へ導出された件数 2件)	38件(9件)(企業へ導出された件数 21件)	○	26件(2件)(企業へ導出された件数 14件)
	8	薬事承認件数(新薬、適応拡大) 2件以上	4件(先進医療B2件、医療機器1件)	○	1件(先進医療B1件)
	9	関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況	11件	○	7件(ISO/TC198WG9、ISO/TC276 WG4、The Standards Initiativeステアリングコミッティ等)
	10	研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況(臨床研究を含む)	39件	○	治験移行9件、臨床研究移行4件に加え、治験第2相へ移行2件、治験第3相へ移行1件、臨床研究でFIH1件
	11	遺伝子治療の製造に関する要素技術の研究開発の進展状況	133件	○	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でベクター作製、大量製造、精製、製品評価等の44件、再生医療実用化研究事業1件、再生医療実現拠点ネットワークプログラムで2件の製造関連要素技術開発が進展。

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

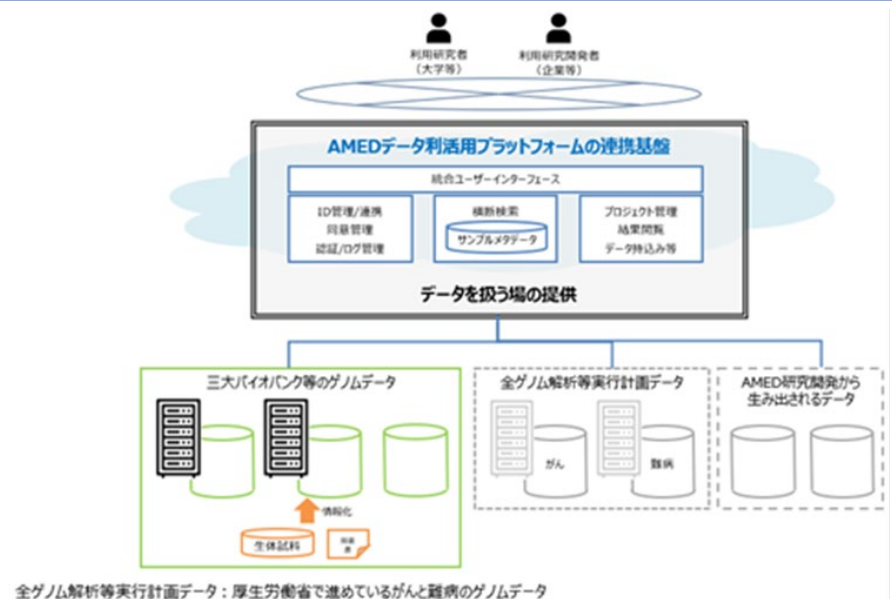
④ゲノム・データ基盤プロジェクト



評 定	世界最高水準の医療の提供に資するデータ利活用推進基盤の構築を進めパイロット運用を開始。全ゲノム解析を活用した研究を着実に推進しつつ、バイオバンク、レジストリやコホート等のデータ基盤の整備及び利活用研究を加速。さらに外科領域における無形の医療技術データを医療システムへ還元
自己評価 a	①AMEDデータ利活用プラットフォームの連携基盤構築を進め、パイロット運用を開始 ②小児がんサバイバーレジストリや認知症治験即時対応コホート構築研究を加速 ③無形の医療技術データを医療システム(手術指導ガイドライン, 人材育成等)へ還元 ④評価指標の達成に向けて顕著な進捗 以上より、全体として顕著な成果の創出や取組が認められる。

①AMEDデータ利活用プラットフォームの連携基盤構築を進め、パイロット運用を開始

- 利用者がシームレスにデータの横断検索、データ利用申請、連携スパコン環境での解析を一気通貫で実施できるよう、ゲノムデータを格納する連携スパコンのストレージと計算機環境を下に位置づけるアーキテクチャでAMEDデータ利活用プラットフォームの連携基盤を構築した。
- 三大バイオバンクから提供される大規模ゲノムデータのメタデータ横断検索を可能とするため、令和5年3月からパイロット運用を開始した。
- 個人情報等を含むデータの利活用の適正化に向け、AMEDデータ利活用プラットフォームを介して利用される際のデータ利用審査・承認・監督の基本的考え方を整理した。



I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

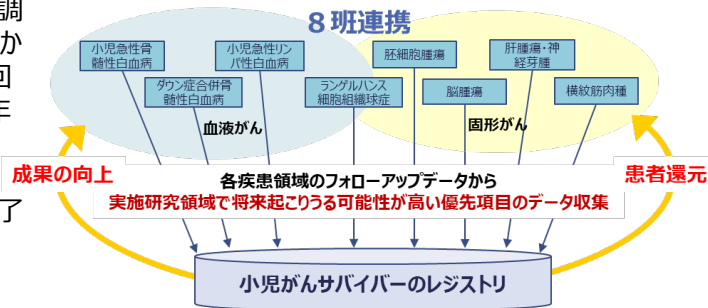
④ゲノム・データ基盤プロジェクト



②小児がんサバイバーレジストリや認知症治験即時対応コホート構築研究を加速

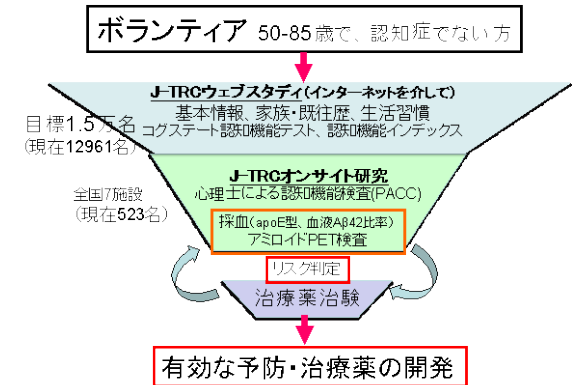
■ 全国規模の小児がんサバイバーのレジストリ構築に着手し、一次登録を完了。本態解明や治療法開発研究を可能とするデータ基盤づくりを加速

- 多様ながん種の研究班（血液がん4班と固形がん4班）が連携し、日本小児がん研究グループ参加施設の協力で、国内初、全国規模の小児がんサバイバーのレジストリを構築した。
- 1990年以降の小児がん診断例（診断時0～18歳未満）を対象にデータ登録を開始し、1次登録調査では全国の施設から約37,000例の回答があり、令和4年度末に目標数21,000例をカバーする1次登録を終了（予定）。



■ J-TRC（認知症前臨床期を対象とする治験に即時対応できるコホート構築研究）への登録を加速し、疾患修飾薬の開発促進に向けて本格稼働

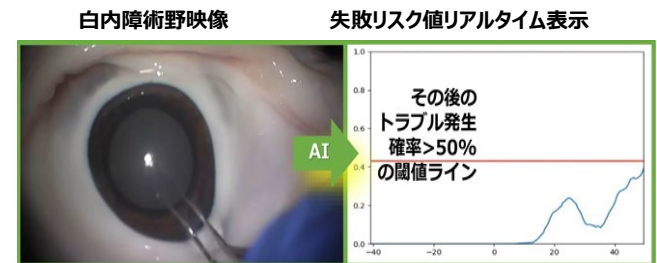
- J-TRCウェブスタディ（WS）から参加者を募り、PET検査等のJ-TRCオンサイト研究（OS）に招聘、アミロイドリスク増大の疑われる被験者の希望に応じて治験を紹介。
- 令和5年2月までに、ウェブスタディに総計12,961名、オンサイト研究に累計523名を登録。
- リクルートが難しいアルツハイマー病のプレクリニカル期の登録を加速化させ、オンサイト研究による絞り込みを通して、疾患修飾薬等の治験の効率化を可能とした。



③無形の医療技術データを医療システム（手術指導ガイドライン、人材育成等）へ還元

メディカルアーツ研究事業の令和2年度新設時の全4課題は、外科領域における無形の医療技術のデータ化を完了し、開発した外科的手技の評価システム等を、手術指導ガイドラインや手術手技支援プログラム等へ収載・反映する予定

- 眼科手術動画における手術器具の動き（振動、加速度、移動量、軌跡パターン等）をAI画像解析を用いてトレース、定量化した。各パラメータにより作成した手術技能評価法は、日本眼科AI学会等と連携し、手術指導ガイドラインに反映予定。
- 小児外科内視鏡手術データから構築したトレーニングシステムを、日本内視鏡外科学会後援セミナーの評価に利用。
- 大腸外科腹腔鏡手術データから開発したAI技術評価システムを、日本内視鏡外科学会と連携し、学会推奨技術認定審査に導入予定。
- 呼吸器外科手術データから作成した可変形3次元バーチャル画像を用いた手技アトラスを若手医師の手術ナビゲーションへ活用予定。



I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ゲノム・データ基盤プロジェクト



④ 評価指標の達成に向けて顕著な進捗 【全ゲノム解析を活用した研究を推進】

■ がん、難病の全ゲノム解析プラットフォームの高度化、創薬研究の基盤整備を推進

- 国内の第一線の研究者が共同してデータを創出する体制、最新の技術を適時に導入しノウハウを蓄積する体制を整えた。
- 本体制のもと、がん種ごとの特性および治療選択にもつながる精緻で重層な世界レベルのマルチオミクス解析データを創出した。
- 多種多様な難病の全ゲノム解析を実施し、未診断難病の病名特定における全ゲノム解析の有用性を示し医療実装に資する重要な基礎データを提供した。さらに既診断難病にオミクス解析を追加することで、創薬シーズの探索および創薬へ向けた基盤整備を行った。

事業名：革新的がん医療実用化研究事業

事業名：難治性疾患実用化研究事業

【AIによる認知症介護支援の成果】

■ AIを用いた認知症患者の焦燥や攻撃行動の発生予測とケア方法提案システムを構築

- AIを活用してIoTデータや介護記録を解析し、認知症に伴う問題行動（BPSD）の事前発生予測・ケア方法提案システムを開発。
- IoTデータ基盤を構築し、収集した大量のデータを用いて予測精度を上げ、認知症患者と介護者双方のQoLの改善に貢献。



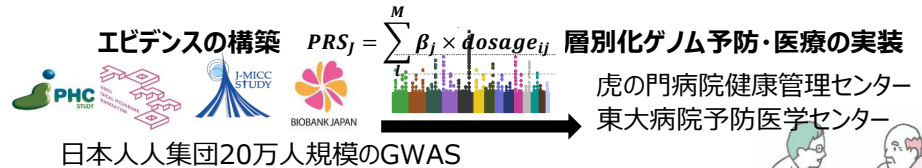
事業名：認知症対応型AI・IoTシステム研究推進事業
研究代表機関：認知症介護研究・研修東京センター

掲載雑誌 認知症ケア研究誌(2021)

【糖尿病の遺伝・環境因子の包括的解析成果を日本発次世代型精密医療の社会実装へ】

■ 糖尿病の遺伝・環境因子の包括的解析成果を創出。日本発次世代型精密医療の社会実装へ

- オール・ジャパン研究体制を構築し、疾患症例数 世界最大規模の国際GWASを主導し、新規に96の2型糖尿病感受性領域を同定し、薬剤反応性マーカーを見出した（H28~R2年度）。この成果を社会実装するため、a) 薬剤反応性予測法の確立、b) 健診センターにてゲノム情報に基づく個別化保健指導の実証研究、を計画し、糖尿病の遺伝・環境因子の包括的解析成果の社会実装に向けた研究に着手。



事業名：ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム

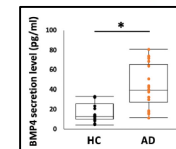
(ゲノム医療実現推進プラットフォーム・先端ゲノム研究開発) 研究代表機関：東京大学



【バイオバンクの利活用促進】

■ バイオバンク・ネットワークを構築し、試料・情報の利活用を促進。基礎研究者による利活用を含め、ゲノム医療研究を加速。

- 9機関14バイオバンク（今年度、神戸大学と信州大学が新規参画）の連携を通して、より多くの試料・情報を横断的に検索する「バイオバンク横断検索システム」の充実化を高め、50万人の協力者からの94万検体の試料、27万件の解析情報を検索可能にした（令和5年2月時点）。
- 基礎研究者が、本システムを介して臨床検体（髄液）を入手し、アルツハイマー病に関する解析を行うことによりその病態解明に寄与した。



Stem Cell Reports. 2023



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）

研究代表機関：東北大学

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ ゲノム・データ基盤プロジェクト



【評価指標】		①令和2年度～4年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和4年度の達成状況	
アウトプット	1	非臨床POCの取得 5件(1件/年)	5	○	3
	2	臨床POCの取得 10件(2件/年)	12	○	9
	3	研究成果の科学誌(IF5以上)への論文掲載件数 900件(180件/年)	1099 ※	○	467 ※
	4	新たな疾患発症メカニズム解明件数 10件(2件/年)	34	○	8
	5	新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 25件(5件/年)	131	○	25
	6	データ基盤構築の状況(連携、解析体制を含む)	23	○	10
	7	アカデミア及び企業によるデータ基盤の活用実績	203	○	91
	8	研究成果の科学誌(IF5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	1729 ※	○	497 ※

【評価指標】		①令和2年度～4年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和4年度の達成状況	
アウトカム	8	シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 25件(5件/年)	43	○	10
	9	臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 15件(3件/年)	17	○	5
	10	疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 5件(1件/年)	5	○	0

進捗: ○ : 順調に進捗している、△ : 進捗が不十分、- : 現時点で評価が困難

※クラリベイト InCites Benchmarkingより集計

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

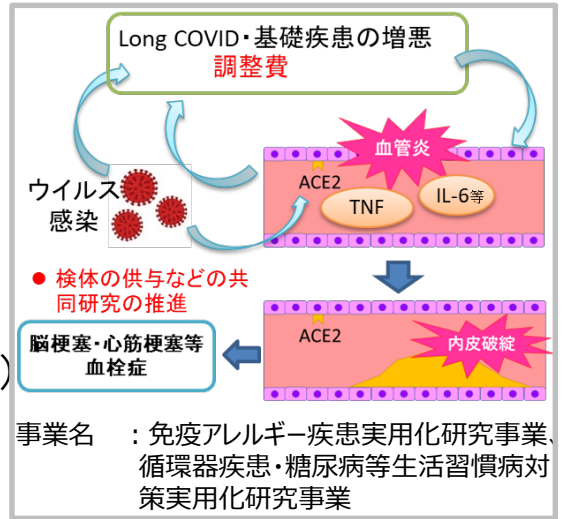
⑤ 疾患基礎研究プロジェクト



<p>評 定</p>	<p>より大きな成果の一刻も早い創出、実用化を実現するため、戦略的な研究費の配分等により、研究開発の効果的な推進やそのための基盤の構築と、研究開発成果の導出を加速するための「双方向トランスレーショナルリサーチ」の枠組み構築に取り組んだ。</p>
<p>自己評価 S</p>	<p>①統合PJを越えた異なる疾患・事業間連携の更なる発展による成果創出と研究基盤の強化 ②国際的に高い価値を有する研究の導出 ③双方向トランスレーショナルリサーチの推進による成果導出の加速 ④若手育成に関する取組と若手研究者の挑戦的研究開発による成果創出 ⑤評価指標の達成に向けて顕著な進捗が見られる 以上より、全体として特に顕著な成果の創出や取組が認められる。</p>

① 統合PJを越えた異なる疾患・事業間連携の更なる発展による成果創出と研究基盤の強化

- 調整費措置も含め、令和2年度より支援してきた新型コロナウイルス感染症による血管炎・血栓症をテーマとした病態解明研究(2事業合同公募)において、重症化の一因として血管老化の関与可能性を同定(令和4年7月)、また重症例での腸管内免疫機構の異常発生機序を解明(令和4年8月)等の成果を挙げた。
更に令和4年度の調整費措置により、新たな問題となっているLong COVID等に関する病態解明を推進すべく、臨床検体へのアクセスや特殊な測定系等、各研究班の特徴を生かした協力体制を構築し共同研究を進めた。(右図)
- 新興・再興感染症研究基盤創生事業(多分野融合領域)や脳とこころの研究推進プログラムでは、PJ⑥AMED-CREST事業の関連領域と最新の研究成果などの情報共有を行うことで、効果的に成果創出するための研究基盤を強化した。新興・再興感染症研究基盤創生事業では、連携を図った19の研究班のうち9研究班がPJ⑥の研究班との共同研究を進めた。



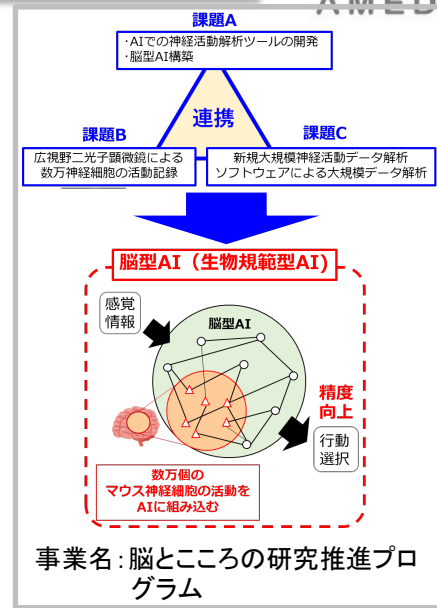
I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑤ 疾患基礎研究プロジェクト



② 国際的に高い価値を有する研究の導出

- 肝炎等克服実用化研究事業では令和3年度の調整費措置の成果として、令和4年5月及び8月にNK細胞移入療法の臨床試験プロトコル論文を報告した。さらに、米国スタンフォード大学への細胞調製技術移転を実施するとともに、若手研究者の交流促進により国際共同臨床試験の基盤を構築した。
- 令和4年度の調整費措置により複数の研究開発課題を連携させ、脳機能を忠実に再現した脳型AI(生物規範型AI)の開発に向け、脳科学とAIとの融合分野研究での国際的イニシアチブを獲得できる脳科学研究の加速・充実に取り組んだ。(右図上段)



③ 双方向トランスレーショナルリサーチの推進による成果導出の加速

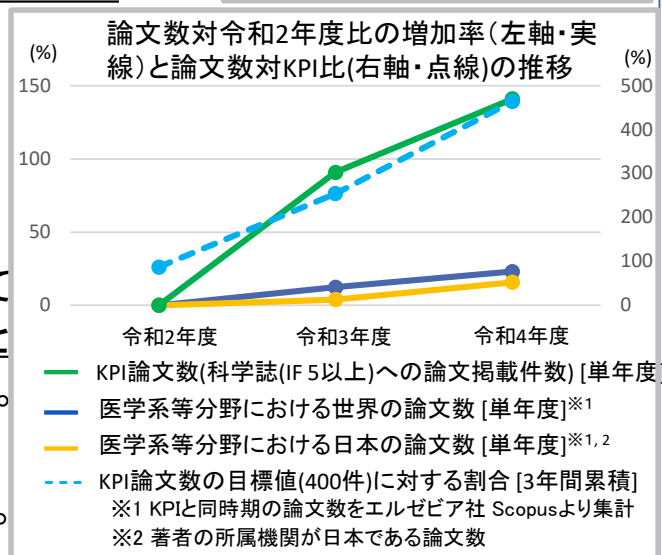
- 非アルコール性脂肪性肝炎(NASH)について令和3年度の調整費措置の成果として、令和4年12月にDNAメチル化に着目した発がんリスク診断法を開発した。
- 成果導出の加速をはかるべく、PJ①と連携してAMED-FLuXに積極的に参画し、3件が議題となった。そのうち1件は、企業専門家からのご意見を参考として特許申請を行い、Drug Repositioningでの創薬開発を進めた。

④ 若手育成に関する取組と若手研究者の挑戦的研究開発による成果創出

- 脳とこころの研究推進プログラムでは今後の研究推進に役立つ機会として日英ニューロサイエンスシンポジウムやAMED-CRESTマルチセンシングとの連携推進ワークショップを開催した。若手研究者も発表し交流を深めた。
- 革新的がん医療実用化研究事業の若手育成枠課題では、EGFR遺伝子変異肺がんの薬剤耐性克服に有効な併用療法を発見した(令和4年9月)。

⑤ 評価指標の達成に向けて顕著な進捗が見られること(右図下段)

- 科学誌(IF 5以上)への論文掲載: 841件【80件/年】、他の統合プロジェクト等への導出: 4件【2件/年】



※PJ①: 医薬品プロジェクト

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑤ 疾患基礎研究プロジェクト



【評価指標】		①令和4年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和4年度の達成状況	
アウトプット	1	研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 400件(80件/年)	1,856 件※	○	841 件※
	2	研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	2,122件※	○	594 件※

【評価指標】		①令和4年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和4年度の達成状況	
アウトカム	3	シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 10件(2件/年)	10 件	○	4 件

※クラリベイト InCites Benchmarkingより集計

進捗: ○. 順調に進捗している △. 進捗が不十分 - . 現時点で評価が困難

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト



評 定	プロジェクト内外の事業間連携及び外部機関との連携により、共同研究を実施することでシーズ開発を強化した。さらに、国際展開を視野に置いてネットワークを活用した取組を実施した。
自己評価 a	① <u>橋渡し研究支援機関を活用した事業間連携による共同研究の実施</u> を行った。 ② JST等の <u>外部機関との連携領域運営等による共同研究の促進とシーズの創出</u> を行った。 ③ <u>ネットワークを活用した取組による国内外の研究体制整備</u> を実施した。 以上より、全体として顕著な成果の創出や取組が認められる。

① 橋渡し研究支援機関を活用した事業間連携による共同研究の実施を行った。

- 橋渡し研究プログラムでは、産学協働でPOC取得を目指すシーズFを新設して6件を採択し、AMEDと橋渡し研究支援機関が連携して支援管理を行った。
- 医薬品プロジェクト(PJ①)と連携し、調整費を活用して創薬技術×シーズの共同研究6件開始に繋がった他、橋渡し研究支援機関が発掘したシーズを創薬ブースターに推薦、12課題の支援を開始し、新規治療薬の研究開発を加速・充実させた。
- 医療機器・ヘルスケアプロジェクトとの連携では、実用化プログラムを積極的に活用し、橋渡し研究プログラムの12課題の研究者と橋渡し研究支援機関のPMへ事業化に向けた助言を提供し、課題推進に役立てた。
- 異分野融合型研究開発推進支援事業では5拠点を採択して事業を開始し、異分野連携シーズの発掘のため、5拠点合同でRA協議会等における発表やシンポジウムを開催して、医歯薬系以外の研究者やURAに事業の仕組みを周知した。

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト



② JST等の外部機関との連携領域運営等による共同研究の促進とシーズの創出を行った。

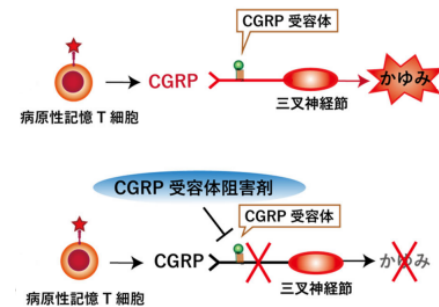
- 革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST/PRIME)のマルチセンシング領域、老化領域において、JST(CREST、さきがけ)と連携マネジメントの下、合同領域会議の開催等を通して、研究早期の段階から共同研究(マルチセンシング領域:5課題、老化領域:1課題)を促進し、連携による研究加速を推進した。
- マルチセンシング領域では、疾患基礎研究プロジェクトの脳とこころの研究推進プログラム、慢性の痛み解明研究事業、JSTとの連携推進ワークショップを開催し、実験動物の提供等、リソースの基盤活用等による研究を促進し、またプロテオスタシス領域では、JST、JSPSの関連領域とタンパク質研究シンポジウムを開催し、FAの垣根を越えた新たな連携ネットワーク構築等、シーズ創出の開拓に幅広く取り組んだ。
- 革新的先端研究開発支援事業のメカノバイオロジー領域、感染症領域、微生物叢領域では、海外の当該分野の著名な研究者が出席する国際会議を開催し、国際的な研究者間の交流や連携のさらなる推進を図った。
- LEAP課題において、調整費を機動的に活用してPJ①創薬基盤推進研究事業との共同研究の立ち上げや、適応・修復領域での大型機器の導入を通じた領域内外の課題間連携の促進等、研究開発を充実・加速させた。

【シーズ創出の具体例】目のアレルギーの新たな治療薬開発に期待

・炎症を引き起こすIL-33というタンパク質が免疫細胞を刺激し、かゆみ誘導物質(CGRP)の分泌を促し、目のかゆみが引き起こされる仕組みを解明。

CGRPの阻害薬はすでに偏頭痛の治療に使われており、早期の治療薬開発に期待。

- 革新的先端研究開発支援事業 AMED-CREST「適応・修復」領域
- 令和4年9月に「Immunity」に掲載



③ ネットワークを活用した取組による国内外の研究体制整備を実施した。

- 地球規模保健課題解決推進のための研究事業(日米医学協力計画)をはじめとした機構内複数事業のPSPO、研究者、AMEDスタッフが参加する日米連携強化プランニングワークショップを米国NIAIDとともに企画・開催し、感染症分野における日米の研究者がより連携できるような将来的な取組・方向性を検討した。
- 地球規模課題対応国際科学技術協力プログラム(SATREPS)では、インドネシア、マレーシアと共同で実施しているマラリア、赤痢アメーバ症を対象とした創薬研究の課題について、創薬事業部が推進するAMED-FLuXで28名の企業有識者から創薬に向けたコメントを得て、課題管理に役立てた。

I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト



【評価指標】		①令和2年度～4年度末迄の 累積達成状況	進捗	②①のうち、令和4年度 の達成状況
アウトプット	1 ○シーズ研究に関する指標 ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 550件(110件/年)	1,166件※	○	521件※
	2 ○研究基盤に関する指標 ・医師主導治験届の提出件数(体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数) 170件(34件/年)	93件	△	29件
	3 (その他管理指標) ○シーズ研究に関する指標 ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	723件※	○	212件※

【評価指標】		①令和2年度～4年度末迄の 累積達成状況	進捗	②①のうち、令和4年度 の達成状況
アウトカム	4 ○シーズ研究に関する指標 ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 125件(25件/年)	288件 〔他の統合プロジェクトへの導出 141件 企業等への導出 147件〕	○	110件 〔他の統合プロジェクトへの導出 55件 企業等への導出 55件〕
	5 ○研究基盤に関する指標 ・医薬品等の薬事承認申請の件数 30件(6件/年)	31件	○	11件

※クラリベイト InCites Benchmarkingより集計

進捗: ○. 順調に進捗している △. 進捗が不十分 - . 現時点で評価が困難