

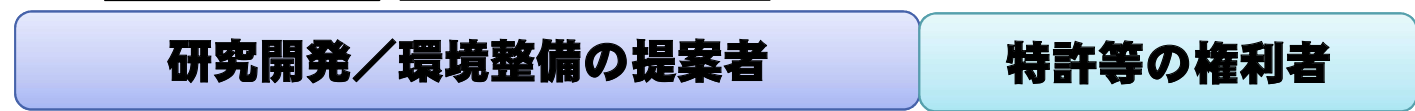
# I (1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等

## ⑦政府出資を利用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等

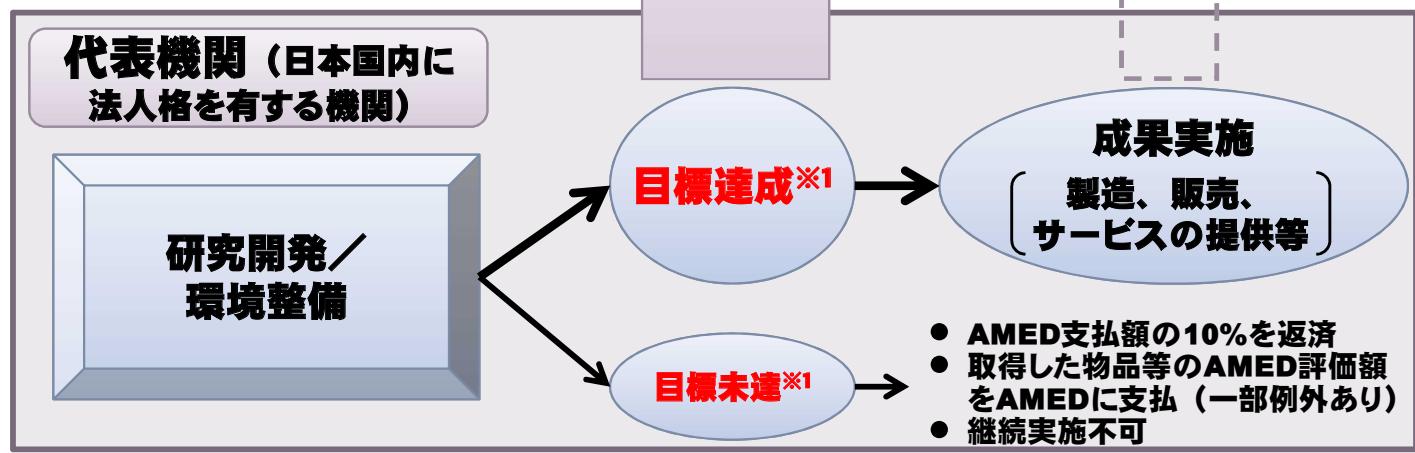
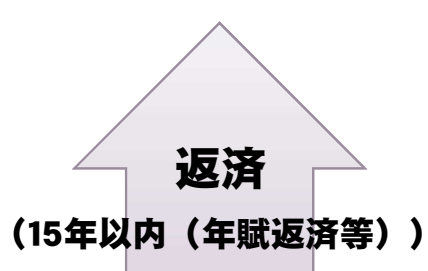
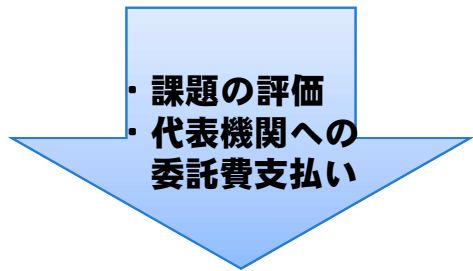


### ①、③ 見込評価 H30年度評価 CiCLE公募

第1, 2回公募: 28年度第2次補正予算550億円  
 第3回公募 : 29年度第1次補正予算300億円  
 第4回公募 : 30年度第2次補正予算250億円



### 日本医療研究開発機構 (AMED)



○ **一般型**  
 産学連携、産産連携など企業や大学等の様々な組合せの混成チームが行う、医薬品や医療機器、再生医療等製品、医療技術などの実用化に向けた研究開発や環境整備を支援  
 期間：原則、最長10年（委託期間終了後15年以内の返済）  
 金額：原則、最大100億円／課題（実用化開発タイプは原則、最大50億円／課題）

○ **スタートアップ型 (ViCLE)**  
 ※第3, 4回公募に実施  
 スタートアップ型のベンチャー企業が、産学連携、産産連携の下に出口戦略をもって短期間に行う医薬品や医療機器、再生医療等製品、医療技術などの実用化に向けた研究開発や環境整備を支援  
 期間：原則、最長3年（委託期間終了後15年以内の返済）  
 金額：原則、最大3億円／課題  
 ※委託費の下限を原則5千万円に引下げ（第4回公募に実施）  
 ※担保/債務保証に緩和措置あり

※1 目標達成/未達は、応募時に想定される、実用上、必要最低限の技術的水準/整備水準の達成で判定  
 ※2 売上げに応じてAMEDに成果利用料を支払う（一部例外あり）。AMEDは支払われた成果利用料を積み立て、研究開発の基となる特許等がある場合は別途、特許等の権利者に還元

# I (1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等

## ⑦政府出資を利用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等



### 評価軸

実用化が困難な革新的医薬品・医療機器等の実用化開発の不確実性を踏まえ、採択のための審査(事業計画・事業目標の審査を含む)、進捗確認や課題の相談、終了時の目標達成状況等の評価(判断基準の策定を含む)など、政府出資を活用して研究開発等を支援するために必要な実施体制を構築しているか。

### 見込評価

### H30年度評価

採択や終了時の評価において、より専門性の高い査読を図るべく、第1回公募(平成29年3月～平成29年4月24日)の事前評価において、専門委員31名で査読した。第2回公募(平成29年4月25日～平成29年8月31日)の事前評価では、さらに強化すべく、専門委員を70名追加し、101名とした。また、第3回公募(平成30年3月7日～平成30年5月31日)において、スタートアップ型(ViCLE)が加わることを踏まえ、事業性評価を強化する観点から、ベンチャーキャピタリストや起業経験者等を追加し、専門委員を118名に強化した。さらに、第4回公募に向けて、専門委員を33人追加し、不足気味の分野等を強化した。

他方、課題評価委員会の委員については、第1回公募の事前評価では13名であったのに対し、第2回公募の事前評価では専門分野を考慮し、1名追加し、14名の体制で審査を実施した。

進捗確認や課題の相談など、支援するために必要な実施体制構築については、伴走支援参照のこと。

# I (1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等

## ⑦政府出資を利用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等



### 評価軸

事業フェーズに応じた適切な研究開発マネジメントを行っているか。

### 見込評価

### H30年度評価

多様な分野・事業フェーズの課題を推進するため、PS 3名とPO1名の体制から、PS4名とPO17名の体制に強化した。伴走支援と中間評価については本資料中、補足説明資料を参照のこと。

### 評価軸

AMEDの取組状況や事業の進捗状況について、所管府省に適宜報告をしているか。改善を求められた場合は、これに適切に対応しているか。

### 見込評価

### H30年度評価

適切な頻度で報告をしており、ViCLEの申請金額の下限を下げたいというベンチャーのニーズについて所管府省と検討し、申請金額の下限を1億円から5000万円に変更する等の改善策を図っている。

また、医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)の採択・評価会において、所管府省にも出席してもらっている。さらに、平成30年3月30日と平成31年3月19日に進捗報告会を所管府省に対して行った。

# I 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項

## (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

---

### ① 医薬品創出

# I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

## ①医薬品創出

H30年度評価



評定  
(自己評価)

S

平成29年7月に創薬戦略部を立ち上げ、平成30年度は同部を中心に「オールジャパンの医薬品創出プロジェクト」関係事業を推進。またAMED横断的に創薬関連業務を積極的に実施。この結果、企業導出目標5件に対して、平成30年度単年度で82件の企業導出を達成。具体的には、①全般的取組としては、創薬分野での産学連携を一層推進。マッチングを伴う新たなGAPFREE型産学連携を2事業開始、BINDS事業開始からの2年間で約1,500件の技術支援を実施・民間企業利活用ルールを策定、人材育成分野では生物統計の大学院生21人(第一期生)が平成30年度より在籍中。この他、AMRや認知症に関する産学官クロストーク、NIH・NCATS等との橋渡し研究に関する連携、遺伝子治療に関するAMED内横断的プロジェクトを開始した。②研究開発の成果としては、体液中マイクロRNAの検出によるがん・認知症の早期診断技術の開発、新たなペプチド合成法開発、臨床研究・治験支援を通じた筋ジストロフィーに対する国産初の核酸医薬品が先駆け指定を受け承認申請準備中、RSの観点からは、インフルエンザ治療薬と異常行動に関する疫学研究に基づく添付文書改訂などに貢献。③支援基盤整備については、創薬支援NWのシーズ収集・エコシステム機能強化のための外部機関(ユニット)連携のほか平成30年度2件の導出達成、BINDS事業によるクライオ電顕NWの構築やScience誌掲載の成果創出。CINについては、レジストリ保有者と企業とのニーズマッチングを実施するなど新たな産学連携を開始。以上から、適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で、創薬実用化に関する「研究開発成果の最大化」に向けて、特に顕著な成果の創出や将来的な特別な成果の創出の期待等が認められる。

### ①全般的取組

- ①-1 産学連携の推進(DISC・創薬インフォマを通じた民間アセットの集約・活用、BINDS開始からの2年間で約1,500件の支援実績とクライオ電顕NW整備、AMR・認知症に関する産学官クロストーク立ち上げ、創薬以外の産業を含めたGAPFREE型産学連携2事業の開始(薬用植物・創薬技術開発)、生物統計家育成事業による大学院生21人の教育を開始・技術研究組合との連携によるバイオ医薬品の品質管理人材育成開始 など)
- ①-2 公的機関等との連携(PMDA・国衛研との連携、NIH・NCATS等のFA5機関と橋渡し研究に関する共通課題に関する連携開始 など)
- ①-3 AMED内連携(AMED内横断的に創薬に関する全ての公募課題を対象とした(8事業・約300課題)研究マネジメント(Go/no-go判断)の実施、AMED横断的な遺伝子治療・細胞治療製造技術プロジェクトを立ち上げ など)

### ②各事業を通じた創薬研究開発の成果

体液中マイクロRNAの検出によるがん・認知症の早期診断技術を開発。抗体の連続生産に関するシステム構築、マイクロフロー技術によるペプチド合成法開発、臨床研究・治験推進研究事業を通じた国産初の核酸医薬品開発が先駆け指定を受け承認申請準備中、RSに関しインフルエンザ治療薬と異常行動に関する疫学研究に基づく添付文書改訂への貢献 など

### ③支援基盤

- ③-1 創薬支援NWに関し多様なモダリティ対応、シーズ収集強化、ベンチャー化支援、導出支援なども含めたエコシステム構築。2件の導出を達成 など
- ③-2 BINDS事業によるクライオ電子顕微鏡NW構築、民間利用ルールの策定、サイエンス誌掲載の顕著な成果創出、ワンストップ窓口構築により大幅な支援実績を達成(事業開始2年目で、前身事業(5年間)を上回る支援件数(1,465件)を達成、今年度のみで37件の導出を達成 など)
- ③-3 クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)に関し、レジストリ保有者と企業のニーズマッチングを実施するなど新たな産学連携を開始 など

#### 【平成30年度の主な成果】

- ① 導出成果 平成30年度単年度で計82件の導出を達成。【シーズ15件(感染症:4件、悪性腫瘍:4件等)、技術:67件(抗体生産:29件等)】
- ② BINDS事業のワンストップ窓口の構築等による顕著な支援件数、クライオ電顕による研究成果
- ③ その他、大型機器・データ・化合物のシェア、人材育成支援など、様々な産学連携に関する取り組みを実施



# I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

## ①医薬品創出

見込評価



評定  
(自己評価)

A

平成27年4月のAMED設立以降4年間の医薬品創出に関する取り組み状況について、①全般的な取組としては、創薬支援NWの安定的運営と導出、製薬企業各社が有する各種アセットを集約したDISC/創薬インフォマの構築、製薬以外の産業を交えたGAPFREE型産学連携スキームの構築、BINDSによる創薬基盤共同利用スキーム構築、生物統計家育成、AMED内の全創薬課題を対象とした研究マネジメントの運用など。②研究成果としては、がん治療薬の効率的開発に資するMANO法開発、革新バイオ事業の成果として40件の導出を達成、抗体製造技術開発、希少疾病治療薬開発、レギュラトリーサイエンスの推進など。③創薬支援基盤としては、創薬支援ネットワークに関する外部ユニットと連携したエコシステム構築、BINDSでの顕著な創薬支援成果、CIN拠点整備などを実施。「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」を通じ、成果目標の中で最も重要な企業導出について、所期の目標を大きく上まわるとともに、創薬活性化に資する新たな産学連携・創薬基盤構築に大きく貢献した。研究開発成果の最大化に向けて顕著な成果を生み出すとともに将来的に更なる成果創出に大きな期待が認められる。

	H27	H28	H29	H30
自己評価	A	A	A	S
主務大臣評価	A	A	A	

### ①全般的取組

#### ①-1 創薬分野の産学連携推進

- 創薬支援NWの安定的運営とこれまでに6件のシーズ導出、製薬企業各社が有する各種アセットを集約したDISC/創薬インフォマシステム構築 など
- アカデミア企業とのマッチングを含めた新たな産学官共同研究プロジェクト(GAPFREE)を計4プロジェクト実施。
- BINDSによる創薬技術基盤共同利用スキーム構築
- 民間資金を活用した生物統計家育成事業による育成スキーム構築

#### ①-2 公的機関との連携

- PMDA/国衛研との連携を含めたレギュラトリーサイエンス研究の推進、NIH・NCATS等との国際コンソーシアム(Translation Together)参画 など

#### ①-3 AMED内連携

- AMED内の全創薬関連事業を対象とした研究マネジメント(Go/no-go判断)の実施 など

### ③支援基盤

③-1 創薬支援推進ユニット構築を通じた創薬エコシステムの構築、創薬支援NWを通じ4年間で6件の導出を達成 など

③-2 創薬等ライフサイエンス支援基盤事業(BINDS)による事業内連携、ワンストップ相談窓口創設により、2年間で1,500件の支援、66件の導出を達成。

③-3 クリニカルイノベーションネットワーク(CIN)について、患者レジストリの更なる利活用促進のためのワンストップサービスの実施、レジストリ保有者と企業とのマッチング実施 など。

### ②各事業を通じた創薬研究開発の成果

②-1 数百種の遺伝子変異の働きを一度に解析可能な「MANO法」を開発。

がん治療薬と遺伝子変異との関係・有効性評価を実現

②-2 革新バイオ事業において40件の導出を達成。一例として、抗体医薬品の高機能化に関する技術が企業導出、CiCLE事業によるがん診断・治療薬への開発研究を実施中。

②-3 抗体製造技術について、GMPに準拠したマザー工場等稼働、製造実証試験をこれまで6件実施。更に連続生産に関する研究開発を開始。また、高性能な国産CHO細胞株の樹立に成功。

②-4 進行性骨化性線維異形成症を対象に、疾患iPS細胞を活用した創薬研究として世界初の医師主導治験を開始。

②-5 デシエンヌ型筋ジストロフィーを対象とした国産初の核酸医薬品の臨床試験支援などの希少疾病治療薬開発

②-6 PMDAと連携し、腎領域における慢性疾患の臨床試験に関するガイドライン作成など、レギュラトリーサイエンス研究を推進

### ④KPI

【2020年までの達成目標】	2019年3月迄の累積達成状況
相談・シーズ評価(1,500件)	1,376件
有望シーズへの創薬支援(200件)	117件
企業への導出(5件)	162件
創薬ターゲットの同定(10件)	33件

# I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

## ①医薬品創出

H30年度評価

見込評価



### ① 全般的取組

\* 平成30年度取組実績は下線付き

平成29年7月に創薬戦略部を立ち上げ「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」の関係課室の集約・一体化を図るとともに、創薬分野の産学連携を一層進めるための各種連携 / 横断的取組を行うことにより、様々な研究開発及び支援基盤整備等を実施、同プロジェクトの開始以降これまでの間で162件の導出(シーズ41件、技術121件)を達成、平成30年度単年で82件の導出を達成。

#### ①-1 創薬分野の産学連携推進

- 製薬企業各社が有する各種アセットを集約し、産学連携で活用できる仕組みを構築。具体的には、創薬支援ネットワークの一環として、産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)及び創薬インフォマティクスシステムを構築。また、三独法(理研・基盤研・産総研)の技術だけでなく、創薬に資する技術・機能を有する機関を創薬支援推進ユニットとして整備。DISCについては、参加企業を通じて約27万化合物(平成30年度に約7万化合物追加)を収集し、その他市販化合物と合わせて計約30万化合物を活用するとともに参加企業とのクロストークを継続的に実施。創薬インフォマティクスシステムについては、製薬企業から2万化合物以上の薬物動態及び毒性情報等をデータベース化、非臨床段階での臨床予測性向上のための機能を構築。また、大阪商工会議所(DSANJ)をユニットに指定するなど、シーズ収集の多様性を図るための体制を構築。
- クライオ電子顕微鏡等の大型機器については、アカデミアで共有して効率的に活用する仕組みが必要。平成29年度以降、創薬支援基盤としてBINDSを整備し、支援開始からこれまでの2年間で約1,500件の支援実績を達成。また、平成30年度単年でBINDSを通じ37件の企業導出を達成。この支援基盤については製薬企業にとっても有用であり、製薬協協力の下「BINDS企業利用ルール」を策定、産学共同利用を推進した。また、クライオ電子顕微鏡を用いた研究を促進するためのクロストークを製薬協と実施し、平成30年度は産学連携による「クライオ電子顕微鏡勉強会」を立ち上げ。
- 既存の抗生物質が無効な薬剤耐性菌の問題(AMR)については、国際的にもその対策が急務。感染症領域の産学連携推進のため、関連学会(日本感染症学会及び日本化学療法学会)及び製薬協メンバーを中心とする「AMED抗菌薬産学官連絡会」を平成30年度に設置、医療ニーズや開発動向等について意見交換を行うことにより、感染症領域における戦略的アプローチを推進。
- 民間資金の活用・AMEDによるマッチングを通じた産学連携スキーム(GAPFREE)をAMED設立当初より実施。これまでにオミックス分野での研究基盤、リバーストランスレーショナル・リサーチ基盤等を構築。平成30年度には漢方・生薬原料の国内自給促進を目的とするGAPFREE型研究基盤を構築、TOYOTAなど製薬以外の産業を含む産学連携を開始。また、創薬技術開発に関するGAPFREE型産学連携基盤を構築中。
- 製薬企業からの寄附金と国の研究資金を活用した大学院と病院が一体となって座学・実践を教育する生物統計家育成事業を整備。平成28年度に「東京大学大学院」と「京都大学大学院」をそれぞれ中心とする2つの拠点を選定。各大学院には「生物統計講座」を新設し平成30年度より大学院生21人が在籍中。



# I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

## ①医薬品創出

H30年度評価

見込評価



\*平成30年度取組実績は下線付き

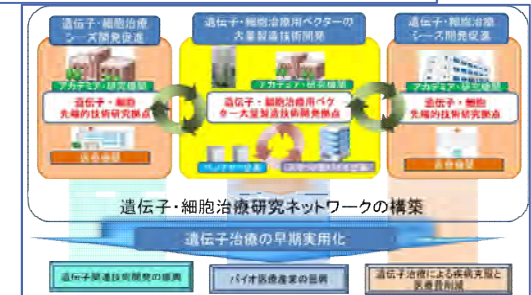
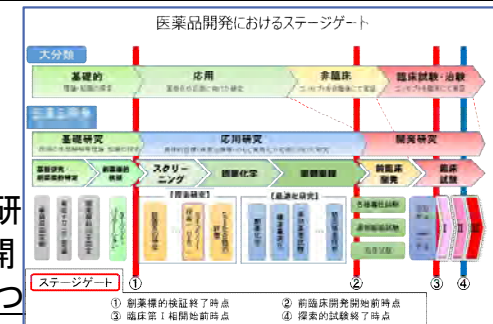
### ① 全般的取組 (続き)

#### ①-2 公的機関等との連携

- レギュラトリーサイエンス(RS)研究に関し、平成27年にPMDAと連携協定を締結しハイレベル意見交換を実施。この他、各種実用化研究実施に当たりRS戦略相談等を通じたRSの観点からのアドバイスを受けている。国立医薬品食品衛生研究所(国衛研)からは、各種RS研究やRSシンポジウムの企画立案等に際して様々な協力を受けている。また、RS研究実施に当たっては国際的な規制調和が重要であり、PMDA及び国衛研との意見交換を通じ、ICHに関する国内外の情勢等を把握した上で研究支援等を実施している。
- トランスレーショナルリサーチの共通課題に取り組むため、米国NIH・NCATSを始めとする5カ国・地域/5機関から構成される国際的コンソーシアムTranslation Togetherに平成30年度より参画。また同年度に研究支援の不成功確率とその原因のレビュー及びTranslational Science(橋渡し研究を実現するための科学)の現状を参加機関でまとめ、投稿準備を進めている。

#### ①-3 AMED内連携

- AMED各部の各種医薬品実用化研究に関し、創薬戦略部で横断的な取り組みを実施。適切な時点(ステージゲート)において、それまでの進捗状況等にかかる評価(Go/no-go判断)を個別に行うことにより研究成果を一層高めることを目的に、平成29年度に研究マネジメントチェック項目(医薬品)を作成、運用開始、平成30年度にはAMEDが支援する医薬品の実用化に関する全ての公募課題8事業(約300課題)について実施した。
- 新たなモダリティへの研究支援を積極的に実施。遺伝子・細胞治療の実用化に関し、平成30年度よりベクター製造技術の開発・技術基盤の整備を開始。この運営に当たっては、産学連携による技術研究組合を中心を実施。また、この製造基盤と医療機関等における難病、がん等に対する各種遺伝子・細胞医療研究との連携協力を進めるため、AMED内関係各部と連携を図りつつ遺伝子・細胞治療製造技術開発の横断的プロジェクトを立ち上げた。
- レギュラトリーサイエンス研究に関するAMED内連携に関し、再生医療研究課との連携のもと、平成28年度にはICHでの国際標準化を目指したiPS細胞を用いた心毒性評価法を開発。医療機器課との連携のもと、平成30年度には侵襲性の高い医療機器の非臨床試験による臨床予測性向上に関するアカデミアの研究支援について検討。また、革新基盤創成事業部(CiCLE)での伴走支援策として、規制動向調査研究に関する企画立案に支援した。
- この他、平成30年度には脳と心の研究課による認知症のプレクリニカルコホート構築に関し、産学連携のための意見交換会立ち上げを支援した。





# I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

## ①医薬品創出

H30年度評価

見込評価



### ② 各事業を通じた創薬研究開発の成果

創薬の基礎研究に必要な技術、製造技術など、研究段階にある様々な創薬技術を実用化に結びつけるとともに、希少疾病を含めた様々な革新的医薬品等のシーズ開発に成果をあげた。また、新たな産学連携の仕組みを立ち上げた。

#### ②-1 革新的先端研究支援事業(インキュベートタイプ)

本事業は平成26年度より開始、基礎的研究の実用化を目指し、革新的な機能アッセイ法等の技術開発や多数の創薬ターゲットを同定するなど、これまでの間で9件の導出(シーズ2件・技術7件)、33件の創薬ターゲットの同定(がん関連12件・インフルエンザ関連21件)を達成。具体的には、がん細胞中の臨床的意義不明な遺伝子変異に着目し、数百種類の遺伝子変異の働きを一度に解析可能な「MANO法」を平成28年度に開発、機能不明だった遺伝子変異の網羅的解析を通じ、幅広いがん腫を対象に治療薬と遺伝子変異の関係を明らかにするとともに、治療薬の有効・無効の判断等が可能となった。

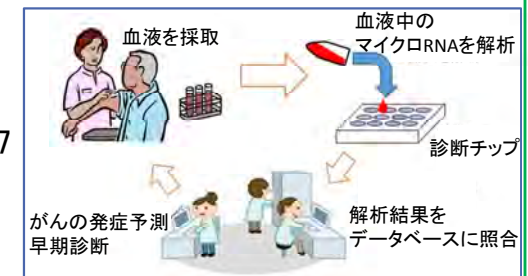
#### ②-2 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業

本事業はバイオ医薬品創出にあたり企業が直面する技術的課題を解決するとともに、革新的次世代技術創出を目指した事業として平成26年度より開始。これまでに40件(シーズ1件・技術39件)の企業導出を達成。具体例は、ペプチドを利用し抗がん剤や放射性金属キレート剤等を抗体に部位特異的結合させ、抗体医薬品を高機能化する技術で、本技術は平成28年度に日本メジフィジクス(株)に導出され、平成29年度からは医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)において、がん診断・治療薬の開発研究が進められている。

#### ②-3 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業

本事業は、先制医療や個別化医療等の次世代治療・診断の実現、実用化推進を産学連携で目指し、平成27年度より開始。これまでの4年間で11件(シーズ1件・技術10件)の導出を達成の他、技術組合員による製品化等につながった事例も約30件となった。具体的には、以下の成果を達成した。

- ▶ がん細胞等が分泌する特定のマイクロRNA検出技術を開発、53,000検体以上の血清中のマイクロRNAを網羅的に解析し、これまでの4年間で肺癌・食道癌や希少癌を含め13種のがん(うち平成30年度は3種)について診断性能の高い解析アルゴリズムを開発。平成30年度には三大認知症(アルツハイマー病、血管性認知症、レビー小体型認知症)を高感度かつ特異的に判別可能な予測アルゴリズムを開発。
- ▶ 抗体製造技術については、技術研究組合により、GMPに準拠したマスターセルバンク製造施設、製造実証試験を行うマザー工場及び治験薬等製造施設を整備し、順次稼働、バイオ医薬品製造のトータルプラットフォーム化を実現した。抗体生産細胞については、優れた増殖能、生産性を示す高性能な国産CHO細胞株を平成30年度に樹立。また、連続生産技術については、ハイブリッド又はインテグレート型の個々の要素技術開発及びそれらを統合化した生産システム構築などの技術開発を平成30年度に実現した。



# I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

## ①医薬品創出

H30年度評価

見込評価



\*平成30年度取組実績は下線付き

## ② 研究開発成果 (続き)

### ②-4 創薬基盤推進研究事業

本事業は医薬品開発過程の迅速化、効率化をする基盤技術の開発を目指し、平成19年度から開始。具体的には、以下の成果を達成。またこれまでのAMED4年間で7件(技術7件)の導出を達成した。

- 民間資金の活用・AMEDによるマッチングを通じた産学連携スキーム(GAPFREE)を新たなスタイルの産学官共同研究としてAMED設立当初の平成27年度より実施(再掲)。これまでに「オミックス創薬(GAPFREE1)」及び「rTRからの創薬(GAPFREE2)」を実施。平成30年度は「薬用植物国産化」及び「創薬技術」を対象に立ち上げ。
- 創薬技術に関し、環境負荷が少なく、効率、安全面でも優れているフロー合成法について、平成27年度には不斉炭素有する医薬品合成に適用可能とした。また、神経性疼痛治療薬(プレガバリン)の連続フロー合成法を開発するとともに、マイクロフロー技術によるペプチド合成法を開発した。
- 医薬品シーズに関し、希少難病である進行性骨化性線維異形成症(FOP)患者から疾患特異的iPS細胞を樹立するとともに、mTOR 阻害剤(シロリムス)が異所性骨化を抑制することを確認、この結果をもとに、iPS 細胞を活用した創薬研究として、世界初の医師主導治験を平成29年度に開始した。
- 人材育成に関し、次世代治療・診断実現事業と連携してバイオ医薬品の品質管理人材育成プログラムを平成29年度に開発、平成30年度には(一社)バイオリジクス研究・トレーニングセンターに導出し、研修を開始。

### ②-5 臨床研究・治験推進研究事業

本事業は、患者ニーズに応える医薬品開発として、臨床研究・医師主導治験の実施及び臨床研究の質を確保するための基盤整備を推進を目指し平成27年度に開始、これまでの4年間で導出:9件(シーズ5件・技術4件)、臨床研究・治験:32件、薬事承認申請:8件、薬事承認取得:7件などの成果を達成。具体的には、デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)の進行抑制を目標に、国産初の核酸医薬品(ジストロフィン遺伝子を標的にしたエクソン53スキップ薬)の国内第I/II相臨床試験を平成28年1月に開始し既に終了。同医薬品は平成27年度に先駆け審査に指定され、現在承認申請準備中。

### ②-6 医薬品等規制調和・評価研究事業

本事業は、国際調和を踏まえた医薬品等の有効性・安全性・品質に関する評価技術開発や判断基準の検討に資するレギュラトリーサイエンス研究に関するもので、平成27年度より実施、具体的には以下の成果を達成した。

- PMDAと連携し、腎領域における慢性疾患の臨床試験に関するガイドライン案を平成29年度に作成・公表。医薬品の承認・申請時に必要な試験のエンドポイントに関する考え方を明らかにした。
- インフルエンザと患者の異常行動に関する疫学的研究等により、インフルエンザ治療薬と異常行動との因果関係が否定的であることを示し、このことにより、平成30年度に関連医薬品の添付文書の注意喚起が変更された。
- 医師主導治験実施時の健康被害の補償についての考え方を取り纏め平成30年度に公表、日本での医師主導治験実施環境整備に貢献し

# I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

## ①医薬品創出

H30年度評価

見込評価



### ③ 支援基盤

\* 平成30年度取組実績は下線付き

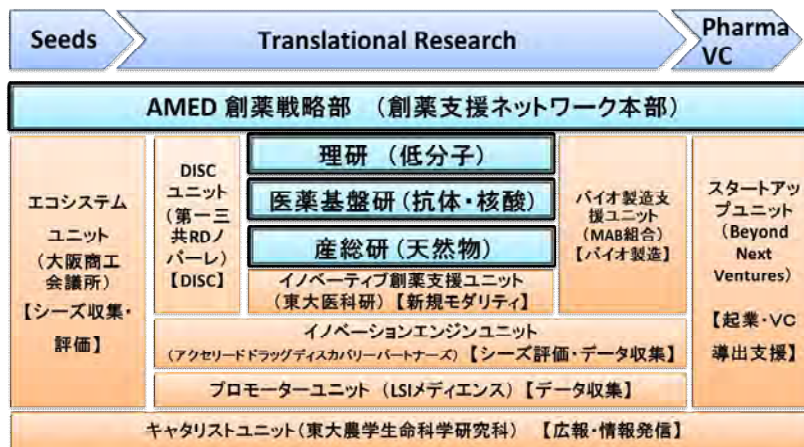
創薬支援基盤の整備としては、個別シーズ実用化に関するアカデミア支援(創薬支援NW)、創薬技術の共通基盤構築(BINDS)レジストリ構築(クリニカルイノベーションネットワーク(CIN))などを支援し、顕著な導出や支援実績をあげている。

#### ③-1 創薬支援推進事業

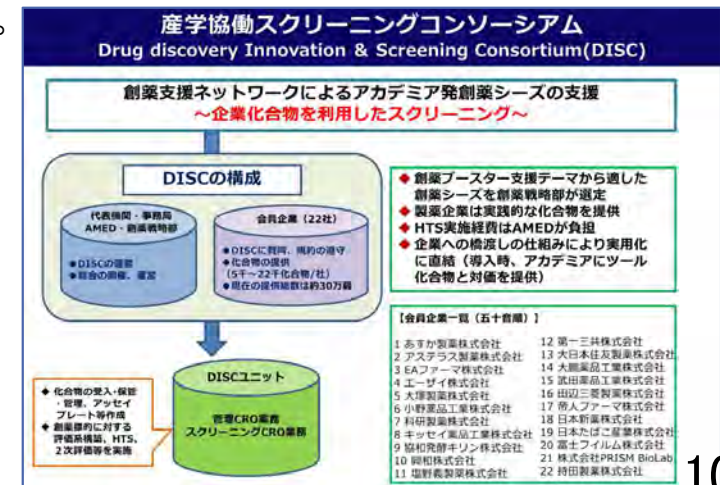
創薬研究に関連する三独法(理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所)との連携により、革新的なアカデミアシーズの実用化支援の枠組み「創薬支援ネットワーク」を平成26年度に構築、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」実施期間でのシーズ導出5件の目標に対し、同プロジェクト開始以降これまでの間で導出6件を達成。うち平成30年度には2件の創薬シーズ導出を達成した。この他、有望シーズ収集強化に関する取り組み、新たなモダリティへの対応等に関する取り組みも実施。

- シーズ収集能力強化のため、国家戦略特区域内の臨床研究中核病院7機関と連携する等の体制を構築。
- 平成29年度より創薬に資する技術・機能を有する機関を創薬支援推進ユニットとして整備。遺伝子治療用医薬品やバイオ医薬品など新たなモダリティ製造支援機能や、ベンチャースタートアップ支援など、平成30年度までに8箇所の創薬支援推進ユニットを整備。更にユニット間連携を推進し、創薬支援エコシステムを強化。
- 製薬各社が保有するユニークな化合物群を創薬支援ネットワークで活用できるよう、産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)を平成27年度に構築。平成30年度には企業9社から新たに約7万化合物を追加することでライブラリを拡充するなど、平成30年度までに約30万化合物のライブラリを整備し、スクリーニング体制を強化した。また、創薬基盤推進研究事業で創製された中分子ライブラリ(次世代創薬シーズライブラリ(約24,000の化合物))とも連携し、平成29年度よりスクリーニングを開始した。
- 非臨床段階での臨床予測性向上のための創薬インフォマティクス構築を平成27年度より推進。製薬企業7社と連携し、約2万化合物の薬物動態及び毒性に関するデータをシェア。システムの自立的運用を目指すとともに、インシリコの統合解析プラットフォーム(データベース、モデリング機能、予測機能から構成されるシステム)構築に向け、システム開発を着実に実施。

創薬支援  
推進ユニット



DISC



# I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

## ①医薬品創出

H30年度評価

見込評価



### ③支援基盤(続き)

\*平成30年度取組実績は下線付き

#### ③-2 創薬等ライフサイエンス支援基盤事業

優れたライフサイエンス分野の研究成果を医薬品等の実用化に繋げることを目的に、高度な技術を保有する研究者が外部研究者の研究を支援すると共に、大型施設・設備を整備・維持し、積極的な供用等を行う仕組みとして、平成24年度より実施。「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」の開始以降これまでの間で79件(シーズ26件・技術53件)の導出を達成。

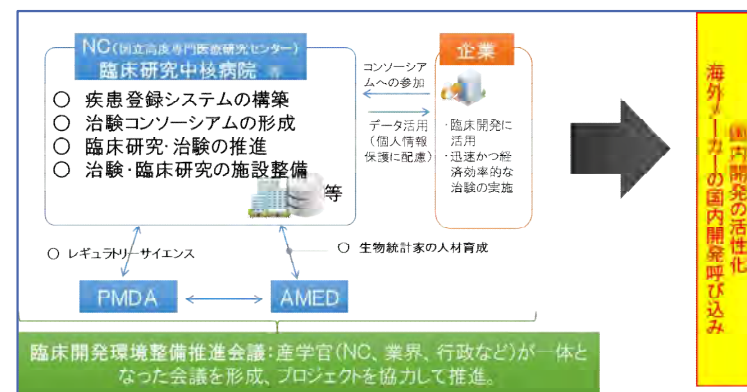
具体的には、以下の成果を達成した。

- 平成29年度に開始したBINDS事業では、前身事業(PDIS)の経験を踏まえ、利用者のユーザビリティ向上のため、支援窓口を一本化し、BINDS傘下の計60課題についてワンストップサービスを構築した。この取り組みにより、事業内ユニット/領域間連携だけでなく、AMED所管の次世代がん医療創生研究事業など他事業との連携が促進され、BINDS開始からの2年間で前身のPDIS事業5年間の累積支援件数約1,000件を上回る1,465件の支援を達成した。
- 本事業では、平成30年度単年度で37件の導出(うちシーズ7件、技術30件)を達成。また、国内の有限な電顕資源の有効活用を目的として、H30年度に「BINDSクライオ電子顕微鏡ネットワーク」を構築。従来のX線結晶解析では明らかにすることができなかった、RNAポリメラーゼIIが染色体構造中のDNAを読み取る姿を解明した。(Science (2018.10), (2019.2))



#### ③-3 クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)

患者把握や臨床研究・治験へのエントリーのほか、治験対照群、市販後安全対策等に資する疾患登録システム(患者レジストリ)に関し、CINDY事業を平成27年度より実施。この中で、利用目的毎にレジストリ情報を収集し、将来的に治験・臨床研究等のコーディネートを行うなどのワンストップサービス実現に向けた拠点として、国立国際医療研究センターの支援を開始。平成29年度より患者レジストリ情報収集のための調査を実施しており、平成31年度中に一般公開予定。また平成30年度には、CIN推進拠点にて収集された患者レジストリ情報も活用し、レジストリ保有者と企業のニーズマッチングを実施したうえで、企業ニーズを踏まえたレジストリの改修及び改修レジストリを活用した産学協同の課題を採択、研究開発の立ち上げの支援を開始した。



# I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

## ①医薬品創出

H30年度評価

見込評価



### <成果目標達成状況>

KPI【2020年までの達成目標】	① 平成31年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、平成30年度の達成状況
相談・シーズ評価 1,500件	1,376件	238件
有望シーズへの創薬支援(200件)	117件(その他、ステージアップ件数11件)	34件
企業への導出(5件)	162件	82件(うち12件は過年度判明分)
創薬ターゲットの同定(10件)	33件	22件

### 総括 ○ 企業導出

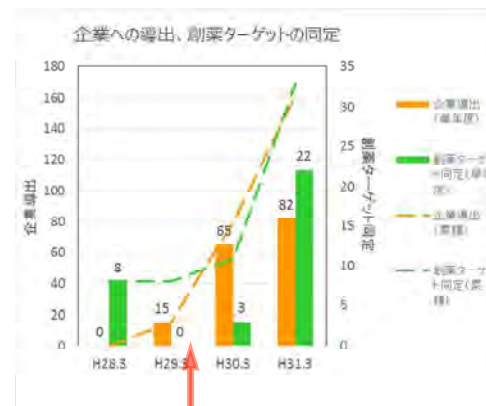
➢ 企業導出は成果目標の中でも研究成果の実用化に関する重要な指標であり、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」実施期間の企業導出目標 5件に対し、同プロジェクト開始以降これまで間で162件を達成(うち H30年度だけで82件(うち12件は過年度判明分))。創薬支援ネットワークだけでも平成30年度末までにシーズの企業導出6件を達成するとともに現在更に2件の導出を公募中。

### ○ その他

- 革新的医薬品創出が期待される創薬ターゲットの同定に関する指標についても、同プロジェクト実施期間の目標10件に対し、平成30年度末までに33件達成。うち、平成30年度で22件達成。
- 上記企業導出や創薬ターゲットの目標のみならず、他の目標についても、平成29年度の創薬戦略部創設以降、件数の伸びが顕著。



創薬戦略部を設置(H29. 7)



創薬戦略部を設置(H29. 7)

