

I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進

令和元年度評価

① 国際的な研究ネットワーク及び研究環境の基盤の構築

①-1 国際連携ネットワークの構築

14件の国際ワークショップ・ラウンドテーブル開催による研究ネットワークの構築

- 統合プロジェクトのPS等の専門家が、国際的な研究ネットワークを用いて研究対象分野等に関して議論する機会を設け、共同研究の推進・調整や情報収集・分析・発信を可能にする活動をさらに進めるためのワークショップ等を5件開催した。また、事業課主体・プログラム主体のワークショップ等を9件開催した。

北欧 (NordForsk)
(令和元年6月10日-11日)
➢ ライフコース (ワークショップ)



リトアニア (保健省)
(令和元年9月23日-24日)
➢ 難病・がん (ワークショップ)



インド (DST・ICMR)
(令和元年11月27日)
➢ 感染症 (ワークショップ)



英国 (AMR)
(令和2年2月26日)
➢ エイジング (シンポジウム)



Clinical Data Interchange Standards Consortium (CDISC)とPartnership Agreementに署名

- CDISCとPartnership Agreementに署名。AMED採択課題の研究者も会員限定のWEBサービスが受けられるなど、AMED職員同様の特典を得ることができるようになり、実用化研究を推進した。

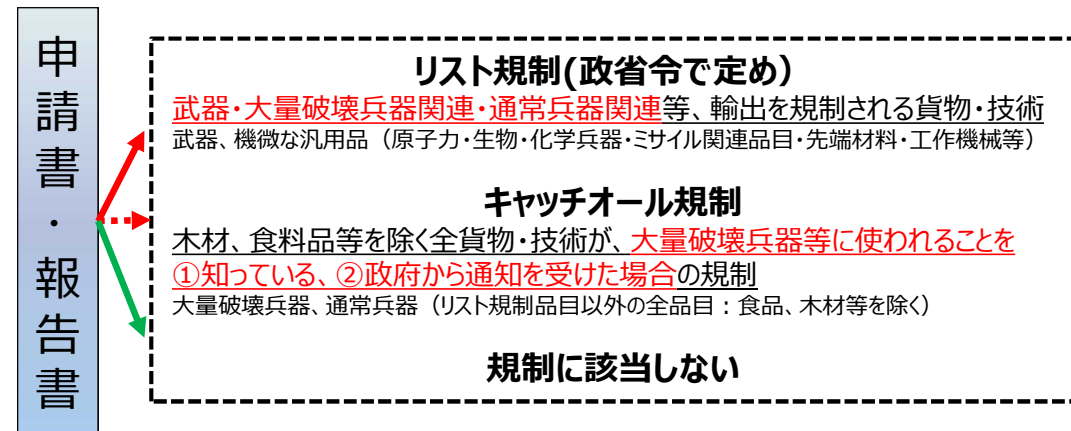
①-2 国際的な研究環境の基盤構築

新型コロナウイルス (COVID-19) に対する対応

- 新型コロナウイルス (COVID-19) の流行に対処するため、令和2年1月31日、COVID-19に関連する研究成果とデータを広く迅速に共有する声明に署名した。これにより、論文投稿前に研究データや結果を共有することが可能となった。

国際レビューアの導入・安全保障輸出管理／ガイドブックの作成

- 国際水準での評価等を目指し、公募・評価プロセスにおける国際レビューアの導入を拡大した。英語を用いた申請・評価のシステム構築に段階的に着手し、平成31年度公募において13事業に導入した。また、AMEDオンライン課題評価システム (ARS) に英語での使用が可能となり、評価システムの改善が行われた。
- デュアルユース技術等の不拡散のための安全保障輸出管理体制を構築し、機構役職員への周知徹底を行った。



I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進



令和元年度評価 ② 国際共同研究等の推進

②-1 我が国にとって真に価値のある研究分野・課題の推進

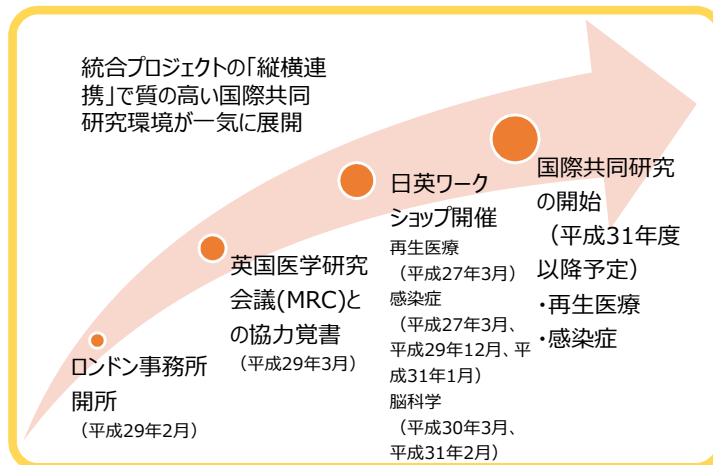
SICORP等を活用した我が国にとって真に価値のある研究分野・課題の推進

➤ 令和元年度にシンガポールと細胞治療分野に関する共同研究を開始した。また、令和2年2月には「AMED Gene&Cell Therapy (遺伝子・細胞治療) シンポジウム」をA*STARと連携して開催した。今後の研究内容について深い議論が行われた。



日英国際共同研究の展開を推進

- 英国医学研究会議 (MRC) 及びAMED戦略推進部と連携し、感染症分野、再生医療分野における日英共同研究の展開を推進している。
- 英国と感染症分野に関する共同研究を開始した。これは、MRCとのMOC署名、日英ワークショップ開催などロンドン事務所と共に国際共同推進の展開を推進してきた成果である。
- ロンドン事務所、英国AMS及びJSPSと共同でエイジングをテーマにシンポジウムを開催した。高齢化の進む日本の施策や研究への関心が高く、問題意識を共有し、共同研究へ向けた意見交換が行われた。



②-2 国際協力体制の整備

全米医学アカデミーと協調し、HLGCを開始

➤ 平成31年2月にMOC署名した全米医学アカデミー (National Academy of Medicine) NAM が提唱する「Healthy Longevity Grand Challenge (HLGC)」に参画する7ヶ国8機関と協調し、HLGCを開始した。また、令和元年6月には、健康長寿 (Healthy Longevity) をテーマとした講演会を行い、連携を強化した。



ヒューマン・フロンティア・サイエンス・プログラム (HFSP) 30周年記念講演会開催

➤ HFSPの30周年を記念しHFSP機構、文科省・経産省・AMEDの共催により式典と記念講演会を東京で行った。各国のFA、HFSP採択者や国内の高校生を招待し、ノーベル賞受賞者4名による講演が行われ国際連携推進に寄与した。同様に、在米日本大使公邸でも大使列席のもと、30周年記念式典が行われ、参加した。



アメリカ国立アレルギー感染症研究所 (NIAID) / アメリカ国立衛生研究所 (NIH) と共同出展

➤ ワシントン事務所においては、NIAID/NIHと共同で、「全米さくらまつりストリートフェスティバル」にて「日米医学協力計画」を始めとした日米の医学分野における研究協力の歴史やその成果等の展示を行い、これまで培った成果を連携して周知した。



I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進



令和元年度評価 ③ 科学技術外交・保健外交上の貢献

③-1 国連の持続可能な開発目標 (SDGs: Sustainable Development Goals) への貢献

SATREPS等の成果を通じた共同研究相手国への貢献

- ▶ 「地球規模課題対応国際科学技術協力プログラム (SATREPS)」では、政府開発援助 (ODA) を行う JICA との連携により、アジア・アフリカ等の開発途上国との感染症に関する国際共同研究 12 課題を 13 か国で推進。また、「アフリカにおける顧みられない熱帯病 (NTDs) 対策のための国際共同研究プログラム」では、アフリカ地域 8 か国で 4 課題を推進。それぞれ、政府の SDGs 実施指針に則し、その具体的施策として国連の SDGs 達成へ貢献した。

【事例】インクジェットプリンターを用いたハンセン病、並びにヒトアフリカトリパノソーマ症遺伝子診断用乾燥型 LAMP キットおよびハンセン病血清診断イムのクロマトグラフィーキットの開発を行った。これらの診断キットは安価かつ既存のキットよりも高い精度および感度で結果が得られている。上記診断法を現地ザンビアに実装し、地域住民のみならず野生動物、家畜、媒介昆虫を対象としてハンセン病、並びにヒトアフリカトリパノソーマ症の実態調査を進めた結果、ザンビア保健省の報告を上回る高さで有病率がある可能性を示した。



アクティブサーベイランスを実施した地域

アフリカにおける顧みられない熱帯病 (NTDs) 対策のための国際共同研究プログラム「迅速診断法の開発とリスク分析に基づいた顧みられない熱帯病対策モデルの創成」(北海道大学人獣共通感染症リサーチセンター 鈴木 定彦 センター長・教授)

「第7回アフリカ開発会議 (TICAD7)」のプレイベントを開催

- ▶ 研究開発課題において、「第7回アフリカ開発会議 (TICAD7)」のプレイベントとして、「TICAD7 Pre-Event, ICREP-NTDs 国際シンポジウム」を開催 (令和元年7月) した。日・アフリカ間の感染症分野研究を推進した。



③-2 地球規模の保健課題への貢献

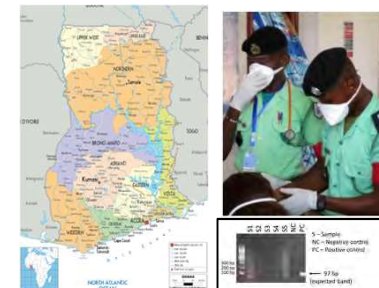
我が国の知見や経験を基盤に共同研究相手国への貢献

- ▶ 地球規模の保健課題についての現状及び我が国の保健外交政策に則り、WHO等の国際機関と適宜連携しながら我が国の知見や経験を基盤に各国の状況に沿った対策を作成・提案し、新規含め4件の研究を着実に実施した。

【事例】ガーナにおける国境検疫に関する研究課題では、調整費を活用し、ベクターサーベイランス・出入国者サーベイランスの量質的な拡充を図り、ガーナの国家感染症対策に貢献した。

地球規模保健問題解決推進のための研究事業「ガーナ国の入国地点における中核的能力整備のための研究」(研究代表者 国立病院機構三重病院 臨床研究部長 谷口清州)

西アフリカで初のリフトバレー熱ウイルス検出



「汎太平洋新興・再興感染症国際会議 (EID国際会議)」を開催

- ▶ NIAIDと共同で第22回汎太平洋新興・再興感染症国際会議 (EID国際会議) をタイにて開催し、「ウイルス」をテーマにした研究成果が共有された。特に、COVID-19に関しては、緊急のセッションを設定し、各国のCOVID-19の感染動向や、今後、重要となる研究内容等を参加者と共有できた。



I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進



令和元年度評価 ④ 国際的に活用が期待される若手研究者の育成

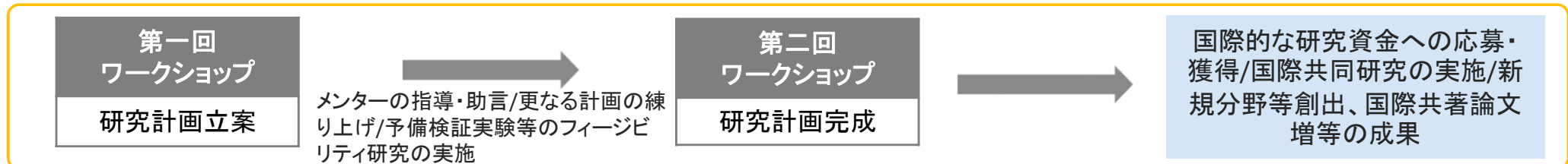
④-1 若手研究者を対象とした国際公募の実施

Interstellar Initiativeを実施し、若手研究者による国際的かつ学際的共同研究を推進

- 世界中から若手研究者を公募し、日本人をリーダーとする国際的・学際的チームを構成。各チームはメンターの指導のもと、医療分野の難課題解決に向けた研究計画を立案し、国際グラントの獲得を経て国際共同研究を実施。平成元年度は事業を通じて、全米科学アカデミー（NAM）のHealthy Longevity Global Grand Challenge事業への登録課題を選定した。
- 11組の国際的かつ学際的チームを形成し、国内外の著名な研究者をメンターに実施した国際ワークショップ（9月、2月）や予備的研究を通じて、医療分野の新規シーズの創出（研究計画の立案）を推進
- これらの若手研究者チームは、今後、完成した研究計画で国際的な研究グラント（HFSP、全米医学アカデミーのHealthy Longevity Global Grand Challenge 等）に応募し、国際共同研究につなげていくことが期待される。



写真：ワークショップ参加者集合



◆平成元年度公募実績

応募数	書類審査数	採択数	採択率
94	64	30	46.9%

◆平成元年度に採択された31名の国別内訳

日本	米国	シンガポール	カナダ	イスラエル	イタリア	ナイジェリア	ポルトガル
10	11	3	2	2	1	1	1

これまでの成果

- 平成29年試行時の参加20チーム中9チームが国際グラントへ応募。
- 応募した国際グラントはHFSP含め12事業。
- また、Interstellar Initiativeの共同研究者との共著論文を執筆中の参加者あり。

◆国際グラント応募状況（*2019年8月時点）

開催年度	H29年度 (試行開催)	H30年度	H31/R1年度
グラント応募件数	12件*	8件*	準備中**

**9チームがNAM（全米医学アカデミー）のHealthy Longevity Grand Challenge Catalyst Award登録へ向け準備中。

米国と若手・女性公募を実施

- 第4回目の「日米医学協力計画の若手・女性育成のための共同研究公募」を感染症分野にて、米国NIAIDと共に実施した。国際共同研究9課題を推進した。

United States-Japan Cooperative Medical Science Program



I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進 (国際的な研究ネットワーク及び研究環境の基盤の構築)



期間実績評価

① 国際的な研究ネットワーク及び研究環境の基盤の構築

- 協力に関する覚書MoC署名国
- H27-R1年度国際共同研究事業実施国
- 感染症 ■ 未診断疾患、■ エイジング

欧州、中東、ロシア、アフリカ

ロンドン事務所

MRC (英国) 平成28年度MoC署名

- 感染症 (SICORP)
- 再生医療 (再生医療研究課)
- ライフコースWS (NordForsk)

- 感染症WS (J-PRIDE)
- 神経科学WS (脳プロ)

- レギュラトリーサイエンス (EC)

リトアニア保健省 平成28年度MoC署名

- 難病・未診断疾患 (IRUD)
- 難病・がんWS (保健省)

- 神経科学 (SICP/ドイツDFG)
- 免疫 (ライブネット協会WS)

SEIDI (スペイン) 平成29年度MoC署名

- ナノメディスン

①-1 海外事務所を活用した国際連携ネットワークの構築

米・欧・アジア三極に事務所を設置、主要国FA6機関・アカデミア1機関と連携

①-2 研究協力に関する覚書 (MOC) に署名

医療研究全分野に強い米英に加え、特定の分野で高い研究ポテンシャルを持つシンガポール、リトアニア、オーストラリア、スペインの研究資金配分機関及び全米科学アカデミーとMOCに署名

アジア・大洋州地域

- 感染症WS (DST-ICMR)

- 感染症 (SATREPS, e-ASIA, 日米医学協力計画, J-GRID)
- がん (e-ASIA, 日米医学協力計画)
- 免疫 (日米医学協力計画)
- 栄養 (日米医学協力計画)
- メンタルヘルス (GACD)
- エイジング (地球規模保健)

シンガポール事務所

A*STAR (シンガポール) 平成27年度MoC署名

- エイジング (SICORP)
- 細胞治療 (SICORP)

豪NHMRC 平成30年9月MoC署名

- 難病・未診断疾患 (IRUD)

北中南米地域

ワシントンDC事務所

NIH (米国) 平成27年度MoC署名

- 難病・未診断疾患 (IRUD) (UDNI含む)
- 感染症 (日米医学協力計画)
- がん (日米医学協力計画)
- 免疫 (日米医学協力計画)
- 栄養 (日米医学協力計画)

NATIONAL ACADEMY OF MEDICINE 平成31年MoC署名 Healthy Aging

The New York Academy of Sciences

- 若手育成WS (Interstellar Initiative)

- 感染症 (SATREPS)

①-3 国際アライアンスへの参加

主要研究支援機関の長、難病、感染症など重要な国際研究アライアンスに加入し、積極的な活動を展開した。



I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進



期間実績評価

② 国際共同研究等の推進

②-1 SICORP等を活用した我が国にとって真に価値のある研究分野・課題の推進

医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業のSICORPでは英国、シンガポール、スペインなど11カ国と各国の強みを活用した51件の国際共同研究を実施した。

英国

令和元年度評価②-1

- ▶ 平成29年1月にMoCに署名した英国医学研究会議(MRC)と、令和元年度に感染症分野で国際共同公募を実施。8件の国際共同研究を令和2年1月に開始した。
- ▶ また、医療分野では、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」において共同研究の公募を行った。



シンガポール

令和元年度評価②-1

- ▶ 平成28年3月にMoCに署名したシンガポールA*STARとは、少子高齢社会が両国共通の社会問題であることから、エイジング分野で国際共同公募を実施。平成29年度にシンガポール事務所のサポートの下で、両国研究者による合同評価委員会を実施し、3件の国際共同研究を平成29年6月に開始した。また、令和元年度には細胞治療の分野で3件の国際共同研究を開始した。



スペイン

- ▶ 平成29年4月にMoCに署名したスペイン経済競争力省 研究開発イノベーション庁(SEIDI)と、ナノメディシン分野で若手研究者を対象とした国際共同公募を実施。
- ▶ 採択された3課題と、「ナノメディシン」、「難病分野」の若手研究者交流が参加するシンポジウムを日本スペイン外交関係樹立150周年事業として、平成30年11月にマドリッドで開催した。

②-2 新たな枠組みによる国際共同研究の推進

- ▶ グローバルなデータシェアリングや、難病・未診断疾患、感染症、再生医療、Healthy Agingなどの重要な研究分野について、国際的研究ネットワーク及び研究環境を元に国際共同研究を推進した結果、未診断疾患患者の確定診断、低コスト診断薬の開発などの成果を得た。

MOCに基づくデータシェアリングの推進

リトアニア保健省や米国NIH、スペインSEIDIとのMOCに基づく共同研究により、2件の未診断疾患の確定診断に成功

新規疾患の発見 (うち13疾患はOrphanet登録済)	35疾患	診断確定数 (注1) 1,593家系	いずれにも 該当しない疾患	
2019年9月	225	722	646	0
2019年3月	111	630	543	0
2018年7月	49	330	425	212

遺伝性指定難病 全196疾患・823原因遺伝子 (全6,172疾患・5,454原因遺伝子) (ミトコンドリア病は除く)
 Orphanet (注2) 収載希少疾患 (2019年10月時点)

全米医学アカデミー(NAM)との連携

- ▶ 平成30年2月、全米医学アカデミー(NAM)とのMOCに署名した。また、NAMが提唱するHealthy Longevity Global Grand Challenge 事業に参画予定。令和2年2月、Interstellar Initiative等の事業を通じてカタリスト・アワードに課題を登録した。



国際アライアンスとの協調公募に参加

- ▶ 慢性疾患国際アライアンス(GACD)と協力し、国際協調公募を実施するとともに、Implementation Research(実装研究)を推進するためのワークショップを開催した。



I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進



期間実績評価

③ 科学技術外交・保健外交上の貢献

③-1 e-ASIA、SATREPS、日米医学共同事業等の成果を通じた科学技術外交

- ASEAN及び環太平洋諸国の研究資金配分機関と共催でアジア・環太平洋ワークショップを開催。12カ国から計50名を超える感染症・がん研究者が参加し、研究情報等の共有とe-ASIA事業、日米医学共同事業等を活用した共同研究プロジェクトによる課題解決を促進。
- 医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業では、平成27年度以降、36か国111課題で国際共同研究・国際交流を推進、地球規模保健課題解決推進のための研究事業では20課題を推進、地球規模の保健課題についての現状及び我が国の保健外交政策に則り、研究開発上の成果に加え、
- 令和2年2月開催のEID国際会議では、COVID19に関する緊急セッションを設定し、各国のCOVID19の感染動向や、今後、重要となる研究内容等を参加者と共有できた。



ケニアにおける黄熱病およびリフトバレー熱に対する迅速診断法の開発とそのアウトブレイク警戒システムの構築

【事例】リフトバレー熱 (RVF) のIgM検出用イムノクロマト(POC)テストの生産技術をケニア中央研究所製造部門に技術移転が完了し現地生産を可能とした。携帯電話のSMS機能を用いたアウトブレイク情報の通信プログラム (mSOS) を開発し、有効性を実証。ケニア政府の疾病サーベイランス対策システムと統合



フィリピンでの重症肺炎治療薬の開発

【事例】ベトナムとフィリピンとの共同研究成果に基づき、1歳-15歳の重症肺炎小児患者を対象とした適応外使用探索的臨床試験をフィリピンFDAに申請し、日本主導によりフィリピンで実施した。



さらに10年以上にわたる研究開発活動がベトナム政府から高く評価され「Medal For People's Health」を受賞。

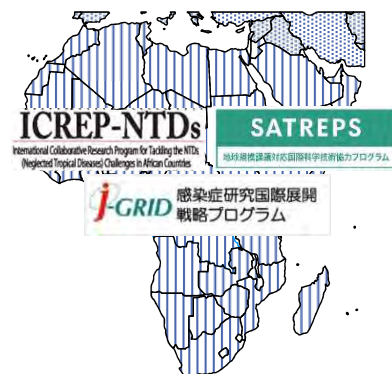
WHOによる妊婦健診等に関する母子保健分野のガイドライン策定に貢献

【事例】診療記録を妊婦自身が保持することの効果、妊娠中の各栄養素やたんぱく質に関する栄養介入効果、妊娠中における重症感染症の予防・治療効果に関して、系統的レビューを行った。その成果が妊婦健診や妊娠中の重症感染症予防・治療に関するWHOの母子保健ガイドラインに反映された。



③-2 顧みられない熱帯病 (NTDs) の研究事業の創設等

- 首脳宣言に基づいた取り組みとして、医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業において、アフリカにおける顧みられない熱帯病 (NTDs) 対策のための国際共同研究プログラム (ICREP-NTDs) を平成27年度第1回調整費を活用して新たに立ち上げた。NTDsを対象にアフリカでの研究を推進しつつ、TICAD会議等の機会を利用して5年間で7回のシンポジウム等を開催し成果を共有した。



H27 国際シンポジウム (ケニア)



H28 TICAD 6 プレイベント (東京)



H28 TICAD 6 サイドイベント (ケニア)



H28 TICAD 6 ポストイベント (ケニア)



H29 国際シンポジウム (ザンビア)



H30 国際シンポジウム (ガーナ)

新規事業を立ち上げ、アフリカでの感染症プロジェクトの推進と成果の共有 (面での国際連携)

- Malaria Vaccine BK-SE36 (SATREPS→GHIT→CICLE)
- MucoRice Vaccine (SATREPS→CICLE)
- Surveillance System for Viral Diseases (SATREPS)
- Infectious Disease Transmission Models and Climate Prediction Models (SATREPS)
- International Health Regulation (IHR) (地球規模保健)
- Dengue (NTDs)
- Tuberculosis (NTDs)
- Trypanosomiasis (NTDs)
- Yellow Fever (NTDs)
- Rift Valley Fever (NTDs)
- Ebola (SATREPS)
- Viral zoonoses (SATREPS)
- Human African trypanosomiasis (NTDs)
- Leprosy (NTDs)
- Buruli ulcer (NTDs)
- Multi-diagnostics (NTDs)

I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進



期間実績評価

④ 国際的に活用が期待される若手研究者の育成

④-1 Interstellar initiative 事業を創設し革新的シーズ創出を促進

- 世界中から若手研究者を公募し、日本人をリーダーとする国際的・学際的チームを構成。各チームはメンターの指導のもと、医療分野の難課題解決に向けた研究計画を立案し、国際グラントの獲得を経て国際共同研究を実施。これにより、日本の医療分野国際研究力の強化に加え、医療ニーズに応える革新的新規シーズの創出等を通して世界に貢献。平成元年度は事業を通じて、全米科学アカデミー（NAM）のHealthy Longevity Global Grand Challenge事業への登録課題を選定した。
- これまでの開催（試行開催を含む）で41チームが生まれ、各チームは立案した研究計画をHuman Frontier Science Programや全米医学アカデミー（NAM）のHealthy Longevity Global Grand Challenge 等をはじめとする挑戦的な研究グラントへ応募。
- Interstellar Initiativeの開催にあたり、若手研究者の周知やメンターの紹介のため、米NIHやNSF、英MRC、星A*STAR、豪NHMRC、独DFGなど、カウンターパートである海外FAと連携。

◆平成30年度公募実績

応募数	書類審査数	採択数	採択率
98	68	30	44.1%

◆令和元年度公募実績

応募数	書類審査数	採択数	採択率
94	64	30	46.9%

◆平成30年度に採択された30名の国別内訳

日本	米国	ドイツ	シンガポール	英国	カナダ
12	4	4	4	3	3

◆令和元年度に採択された31名の国別内訳

日本	米国	シンガポール	カナダ	イスラエル	イタリア	ナイジェリア	ポルトガル
10	11	3	2	2	1	1	1

令和元年度評価④-1

④-2 地球規模の保健課題への対応や若手・女性研究者の育成に向けた取組

米国NIAIDと4回の若手・女性公募を実施

- 平成27年度に実施した日米医学協力計画50周年記念行事のフォローアップとして、若手・女性育成のための公募を開始した。これまで米国NIAIDと4回の公募を実施、22件を採択し、若手・女性研究者の育成に貢献した。

United States-Japan Cooperative Medical Science Program



④-3 既存プログラムでの若手研究者を対象とした公募を実施

若手研究者を対象とした海外FA等との共同公募

- SICORPでは、細胞治療分野（シンガポール）でのA*STARとの共同公募、感染症（英国）でのMRCとの共同公募において、若手研究者を対象にして共同研究公募を行い、若手研究者の発掘を推進した。



Agency for Science, Technology and Research

MRC Medical Research Council

I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進

評価軸

我が国にとって真に価値のある国際共同研究を推進したか。

令和元年度評価

国際的研究ネットワーク及び国際的な研究環境を構築し、若手研究者等の国際共同研究を加速

- 新たに5件のMOC署名に向けたワークショップ(4件)・ラウンドテーブル(1件)を開催した(①-1)。また、事業課主体・プログラム主体のワークショップを10件開催した。
- 「医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業」において、シンガポールA*STARと細胞治療分野で3件、英国MRCと感染症分野で8件の共同研究を開始した(②-1)。これらの公募において、若手研究者を対象にして共同研究公募を行い、若手研究者の発掘を推進した(④-3)。
- さらに同事業Interstellar Initiativeにおいて、健康長寿を主要分野に国際公募を実施し、世界中から優秀な若手独立研究者(PI)31名を採択。医療分野の新規シーズの創出(研究計画の立案)を推進した。また、NAMのHealthy Longevity Global Grand Challenge事業への登録課題を選定した。(④-1)。
- 平成27年度に実施した日米医学協力計画50周年記念行事のフォローアップとして、若手・女性育成のための公募を開始し、若手・女性研究者の育成に貢献した。(④-2)。
- ヒューマン・フロンティア・サイエンス・プログラム(HFSP)では、30周年を記念しHFSP機構、文科省・経産省・AMEDの共催により式典と記念講演会を東京で行った。各国のFA、HFSP採択者や国内の高校生を招待し、ノーベル賞受賞者4名による講演が行われ、国際連携推進に寄与した。また、在米日本大使公邸でもNIH、NSF両長官、末松理事長、米国大使ほかの出席のもと、30周年記念式典が行われ、参加した(②-2)。

モニタリング指標	H27年度	H28年度	H29年度	H30年度	R1年度
相手国への派遣研究者数*	515件	514件	451件	340件	264件
相手国からの受入研究者数*	148件	165件	201件	190件	232件
参加している国際コンソーシアムの数	5件	7件	8件	11件	11件
開催した国際ワークショップの数*	8件	11件	19件	20件	14件

*Interstellar Initiativeで実施したWS参加者を含む

- 新型コロナウイルス(COVID-19)の流行に対処するため、令和2年1月31日、COVID-19に関連する研究成果とデータを広く迅速に共有する声明に署名した。これにより、感染症の流行に対処するために研究データや結果を共有することが可能となった。

期間実績評価

国際レビューの導入や連携相手国機関との協力を通じて、質の高い評価及び国際共同研究を推進

- SICORP等を活用した我が国にとって真に価値のある研究分野・課題の推進。シンガポール、スペイン、英国など11カ国と各国の強みを活用した51件の国際共同研究を着実に実施した(②-1)。
- 主要研究支援機関間の情報共有、難病、感染症などの研究開発に関わる重要な国際研究アライアンス11件に加入し、積極的な活動を展開した(②-2)。
- グローバルなデータシェアリングや、難病・未診断疾患、感染症、再生医療、Healthy Agingなどの重要な研究分野について、国際的研究ネットワーク及び研究環境を元に国際共同研究を推進した結果、未診断疾患患者の確定診断、低コスト診断薬の開発などの成果を得た。
- 慢性疾患国際アライアンス(GACD)の国際協調公募では、実装研究に関するワークショップを開催した(②-2)。
- 平成30年度にはInterstellar Initiativeを立ち上げ、日本人の若手独立研究者をリーダーとした国際的・学際的研究チームによる医療分野での先進的な研究シーズの創出を推進した。また、ニューヨーク科学アカデミー(NYAS)と連携し、国内外のノーベル賞級の研究者をメンターとする若手育成国際ワークショップを開催するなどの取組を行い、質の高い国際共同研究を推進した(④-1)。
- 国際水準での評価等を目指し、平成31年度公募において13事業に導入し、公募・評価プロセスにおける国際レビューの導入を拡大した。また、AMEDオンライン課題評価システム(ARS)に英語での使用が可能となり、評価システムの改善が行われた。(①-2)。

I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進



評価軸

我が国の医療に係る研究能力を活用して国際的にも貢献したか。

令和元年度評価

科学技術外交・保健外交上の貢献

- 「地球規模課題対応国際科学技術協力プログラム (SATREPS)」では、政府開発援助 (ODA) との連携によりアジア等の開発途上国と感染症分野等の地球規模課題の解決につながる医療分野の国際共同研究を実施。継続課題9件の共同研究を着実に推進するとともに、新規課題2件について研究開発を開始した(③-1)。
- 東アジア諸国との共同研究については、同事業「e-ASIA共同研究プログラム」において、アジア・大洋州等の15か国による国際共同研究プログラムに参画して感染症領域(6件)及びがん領域(2件)の国際共同研究を着実に推進するとともに、感染症領域の新規課題3件を採択し、研究開発を開始した(③-1)。
- 地球規模保健に関する研究課題を国際機関と連携しながら、我が国の知見や経験を基盤に各国との共同研究を着実に推進した。ガーナにおける国境検疫(水際対策)に関する研究課題では、ガーナの国家感染症対策に貢献した(③-2)。
- 省庁間合意に基づく欧米等先進諸国との国際共同研究等については、戦略的国際共同研究プログラム (SICORP) において、国が戦略的に重要なものとして設定した相手国との国際共同研究を着実に推進した。具体的には、シンガポールとはエイジング分野、スペインとはナノメディシン分野の共同研究を引き続き推進するとともに、シンガポールA*STARと細胞治療分野で3件、英国MRCと感染症分野で8件の共同研究を開始した(②-1)。

期間実績評価

科学技術外交・保健外交上の貢献

- 医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業では、36か国111課題で国際共同研究・国際交流を推進し、研究開発上の成果に加え、相手国への研究成果の実装や現地での臨床試験の開始、相手国政府からの表彰など計画を上回る顕著な成果が得られた。(③-1)。
- 首脳宣言に基づいた取り組みとして、アフリカにおける顧みられない熱帯病 (NTDs) 対策のための国際共同研究プログラム (ICREP-NTDs) を平成27年度第1回調整費を活用して新たに立ち上げ、NTDs制圧に向けた研究開発の推進及び国際貢献により、医療分野研究の我が国の国際プレゼンスを向上し、科学技術外交を強化した(③-2)。
- ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ (UHC) の視点を踏まえ、地球規模の保健課題(感染症対策、母子保健、新型インフルエンザ等への緊急対策、高齢化、生活習慣病など)に関して、疾病の原因究明、予防法の検討、疾病の治療法や診断法の標準化等に関する研究を推進するため、地球規模保健課題解決推進のための研究事業では22件の課題を着実に実施した(③-1)。また、慢性疾患国際アライアンス (GACD) と協力し、国際協調公募を実施するとともに、Implementation Research (実装研究) を推進するためのワークショップを開催した(②-2)。
- 日米医学協力計画においては、AIDS等ウイルス分野、コレラ等寄生虫・細菌分野、栄養・代謝、がんの9分野において、アジア地域に蔓延する疾病に関する研究内容を米国国立アレルギー・感染症研究所 (NIH/NIAID) と共有して実施した。NIAIDとは毎年汎太平洋新興・再興感染症国際会議 (EID国際会議) を共同で開催し、日米の研究成果を共有した。さらに、平成27年度に実施した日米医学協力計画50周年記念行事のフォローアップとして、若手・女性育成のための公募を開始し、若手・女性研究者の育成に貢献した(④-2)。

I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進



評価軸

グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応を行っているか。

令和元年度評価

リトアニア保健省とのワークショップ開催

- ▶ 平成28年度にMOCに署名したリトアニア保健省と共同でナノテク、ゲノム編集をテーマとしたワークショップを開催した。リトアニアはシンガポールと並び、電子カルテを活用した国家的な臨床治療・研究が実施可能な数少ない国であり、難病・未診断疾患、がん分野を中心とするデータシェアリングをベースにした国際連携を見据え、ゲノム編集技術開発までを網羅する、両国に有益な研究課題を明らかにした(①-2)。

期間実績評価

7つのMOC・11の国際アライアンスを通じたデータシェアリングを推進

写真提供※1：米国国務省、※2：共同通信社

- ▶ 国際的な研究資金配分機関の連携、データシェアリングを念頭に、7つのMOCに署名(①-2)、11の国際的アライアンスに加盟した(①-3)。
 - 国際的な枠組みを通じたグローバルなデータシェアリングが研究の加速するため、希少疾患・未診断疾患の分野では、未診断疾患イニシアチブ(IRUD)の取組を通じて、リトアニア保健省や米国NIH、スペインSEIDIとのMOCに基づく共同研究やUDNI(Undiagnosed Diseases Network International)との研究上の国際協力により2件の未診断疾患の確定診断に成功した。
 - 国際希少疾患研究コンソーシアムのIRDIRCでも新10ヶ年目標の策定や加盟機関総会の招致・開催で貢献した。
 - 慢性疾患国際アライアンスであるGACDでは運営に直接関して予算運営や次期戦略計画の骨子策定に貢献するとともに、GACD加盟国と国際協調研究公募を平成28年度から実施した。
 - 感染症のアウトブレイクに対する国際連携ネットワーク(GloPID-R)では、ブラジルにおけるジカ熱流行(2016年)、コンゴ民主共和国におけるエボラ出血熱流行(2018年)に際して、英国Wellcome Trust 主導のもと世界の研究支援機関や学術出版社と連携して、研究成果とデータを広く迅速に共有する声明に署名した。

7件のMOCに署名



11の国際コンソーシアム加盟



I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進



評価軸

海外事務所を活用しつつ、共同研究の調整・推進や情報収集・発信等を行っているか。

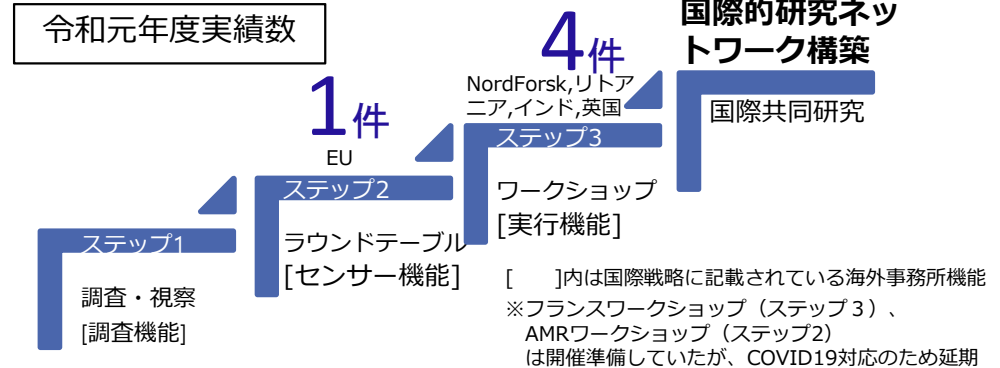
令和元年度評価

1件のラウンドテーブル、4件のワークショップ等を開催し国際的なネットワーク構築を推進

国際連携の進め方のステップの中での各事務所の貢献状況【右図】

- ステップ1：海外動向調査・視察
- ステップ2：AMED戦略・事業に資する海外先進ワークショップ
- ステップ3：AMED国際戦略を推進する縦横連携ワークショップ

→ 国際的研究ネットワーク構築を推進



期間実績評価

海外事務所と主要な研究資金配分機関 (FA) や各事業との連携による国際連携を展開

主な活動実績	領域(地域)	FA等との連携推進	調査・視察による情報収集	イベント等での情報発信
ワシントンDC事務所	全般 (北米・中南米)	<ul style="list-style-type: none"> NIH: 研究支援情報の公的データベース (World RePORT) 等での連携 NAM: Healthy Longevity Grand Challenge の共同実施 NSF: International Brain Initiativeの会合に参加 Japan Clinical Trials in Oncology WSを在米大使館と共同開催 (3回) 	<ul style="list-style-type: none"> 北米・中南米の医療分野研究開発の最新動向調査 バイオテックエコシステム (ボストンのベンチャー企業育成) 視察 NIH、ガルベトン国立研究所BSL4施設視察 All of Us 研究プログラムについての調査、NIHにおけるエージング研究開発ファンディングのトレンド調査 等 	<ul style="list-style-type: none"> 桜まつりストリートフェスティバルでのNIHとの共同展示 在米日本人研究者向けに海外から応募が可能なAMED公募情報を発信 HFSP30周年記念セミナーを在米日本大使公邸にて開催
シンガポール事務所	全般 (アジア・大洋州)	<ul style="list-style-type: none"> シンガポールA*STAR: 再生医療分野WS開催 オーストラリアNHMRC、米国NIAID、ニュージーランドHRC: がん、感染症分野WSの開催 科学技術合同委員会、e-ASIA理事会等に参加 オーストラリアNHMRC、米国NIAID、タイNASDA: AMRのWS企画 (次年度に延期) 	<ul style="list-style-type: none"> アジア、大洋州の医療研究開発関連の最新動向調査 豪NHMRCやニュージーランドHRCでの公募審査会 (Peer Review Panel) 視察による評価手法の調査 マレーシア・インドネシアにおけるSDGs調査 	<ul style="list-style-type: none"> 在ベトナム日本大使館と共催でベトナム研究者向けセミナーを開催 タイ科学技術博覧会2018にAMED研究成果を出展 Gene & Cell Therapy Symposium – 遺伝子・細胞治療シンポジウムの開催を支援
ロンドン事務所	全般 (欧州・アフリカ)	<ul style="list-style-type: none"> 英MRC: 認知症、感染症、再生医療分野での連携 科学技術合同委員会、GACDボードミーティング、WS等に出席 	<ul style="list-style-type: none"> 欧州・アフリカの医療研究開発関連の最新動向調査 J-PRIDE事業の研究者と、日英の国際共同研究を検討するため現地研究機関の視察 EU一般データ保護規則 (GDPR) の施行に関する調査 	<ul style="list-style-type: none"> 「予防」に着目した地域介入等の研究を進めるための「ヘルシーエイジングに関するシンポジウム」を開催 MRC及びSPSと共同でヘルシーエイジングをテーマとしたワークショップを開催

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基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

令和元年度評価



評定(自己
評価)

B

①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について、①-1 医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)第4回(令和元年11月採択決定)公募の採択課題を決定し、支援を開始した。①-2「総合コンサルテーションによりオールAMEDで行う伴走支援」や「各課題の状況に合わせた丁寧な課題マネジメント」により、強化された新たなPS/PO体制の下で課題を推進している。事後評価を1課題に対して実施し、目標達成と評価した。①-3 平成30年度第2次補正予算の政府出資金を活用した第5回公募を開始した。

②健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等事業について、令和元年度補正予算において国から交付される補助金により基金を設置した。

以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①-1

外部有識者により構成される医療研究開発革新基盤創成事業課題評価委員会を設置し、CiCLEでは多様な分野の研究開発を対象とすることから、多数の専門委員を委嘱し、それら協力の下、医療研究開発革新基盤創成事業採択・評価会による公平で厳格な事前評価を実施した。その結果、第4回公募では49件の応募から10課題を採択した。

①-2

・多様な分野・事業フェーズの課題を推進するため、PS4名とPO17名の体制からPS5名とPO21名に強化した。
・PS/POの下、AMEDのCiCLE課題担当者、AMED関連部署(感染症研究課等)、外部有識者、外部コンサルタント(薬事、知財、財務、マーケティング、等)らによるチームを形成し、総合的コンサルテーションにより、効果的かつ効率的な事業運営を伴走型で支援した。

(右上②に続く)

①-2

・令和元年度において6課題において中間評価を実施した。さらに1課題において事後評価を実施し、目標達成として終了した。

①-3

平成30年度第2次補正予算を活用して第5回公募を開始した。「スタートアップ型ViCLE」において、提案上限額を原則3億円から原則10億円、開発期間を原則3年から5年に引き上げ、ベンチャーでも規模の大きい研究開発が実施できるよう改善した。特に、新型コロナウイルス対策として、スピード感を持った研究開発を実施するため、通常スケジュールとは異なる迅速審査を設計し、関係府省庁へ提案し、通常の場合に先立ち新型コロナ案件に限る早期採択を2回行うことを含めた全3回の公募を行うこととした。

②

ムーンショット型研究開発等を推進するため、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律に基づき、国から交付される補助金により基金を設置した。

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基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等



期間実績評価

評定
(自己
評価)

B

①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について、①-1 政府出資金(28年度第2次補正予算 550億円、29年度第1次補正予算 300億円、30年度第2次補正予算 250億円)を活用して、医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)第1~5回公募を実施した。①-2「総合コンサルテーションによりオールAMEDで行う伴走支援」や「各課題の状況に合わせた丁寧な課題マネジメント」により、強化された新たなPS/PO体制の下で課題を推進している。事後評価を1課題に対して実施し、目標達成と評価した。

②健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等事業について、令和2年度からムーンショット型研究開発の公募・採択等の本格化に向け、必要な基金を設置した。

以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

	H 27	H 28	H 29	H 30	R 1	見 込	期 間
自己 評価	-	B	B	B	B	B	B
主務 大臣 評価	-	B	B	B		B	

①-1

- ・ 28年度第2次補正予算550億円を活用して、革新的な新薬・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進するCiCLEを設計し、第1回公募と第2回公募を実施し、それぞれ7課題と10課題を採択した。
- ・ 29年度第1次補正予算300億円を活用して、第3回公募を実施した。スタートアップ型のベンチャー企業が利用しやすい「スタートアップ型(ViCLE)」も追加で設定した。一般型において10課題、ViCLEにおいて4課題採択した。
- ・ 30年度第2次補正予算250億円を活用して、第4回公募ではViCLEの委託費の下限を引き下げ、ベンチャーが申請しやすいように見直し、一般型7課題、ViCLEにおいて3課題採択した。第5回公募では、ベンチャーでも規模の大きい研究開発が実施できるよう改善し、特に、新型コロナウイルス対策として、スピード感を持った研究開発を実施するため、通常スケジュールとは異なる迅速審査を設計し、関係府省庁へ提案し、通常の場合に先立ち新型コロナ案件に限る早期採択を2回行うことを含めた全3回の公募を行うこととした。

①-2

- ・ 多様な分野・事業フェーズの課題を推進するため、PS3名とPO1名の体制から、PS5名とPO21名の体制に強化した。
- ・ PS/POの下、AMEDのCiCLE課題担当者、AMED関連部署(感染症研究課等)、外部有識者、外部コンサルタント(薬事、知財、財務、マーケティング、等)らによるチームの形成を行い、総合的コンサルテーションにより、効果的かつ効率的な事業運営を伴走型で支援した。
- ・ 平成30年度において、4課題に対して中間評価を実施した。令和元年度において、6課題に対して中間評価を行い、1課題に対して、事後評価を実施し、目標達成と評価され、成功に導いた。

②

- ・ 令和2年度に政府による研究開発目標が決定されることを踏まえ、ムーンショット型研究開発制度の円滑な運用等を図るため、基金を令和2年3月に設置した。

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基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

期間実績評価



①-1 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

令和元年度評価

【イノベーション創出環境整備タイプ】

【研究開発タイプ】

【実用化開発タイプ】

第1回公募結果（7課題）（H29年度実施）

採択課題名	代表機関名
特殊ペプチド原薬CMO創設	ペプチドリーム株式会社
経口コメ型バイオ医薬品のプラットフォーム化を目指した実証研究	アステラス製薬株式会社
産医連携拠点による新たな認知症の創薬標的創出	イーザイ株式会社
進行性骨化性線維異形成症（FOP）に対する革新的治療薬の創出	第一三共株式会社
薬剤耐性（AMR）菌感染症治療薬を目的とした創薬研究	大日本住友製薬株式会社
マラリアワクチンの医薬品開発と商業製造の確立	ノーベルファーマ株式会社
新規核酸送達技術を用いたウイルス感染症遺伝子ワクチン開発	第一三共株式会社

第2回公募結果（10課題）（H29年度実施）

採択課題名	代表機関名
がん医療推進のための日本人がん患者由来PDXライブラリー整備事業	株式会社LSIメディエンス
創薬ライブラリーの共同管理・運用及び産官学連携によるその相互利用推進	株式会社CACクロア
手足口病VLPワクチンの開発	一般財団法人阪大微生物病研究会
新規の核酸合成とデリバリー技術を用いた核酸創薬研究	株式会社カン研究所
ゲノム編集により作製した疾患iPS心筋細胞を用いた肥大型心筋症治療薬の開発	武田薬品工業株式会社
オピオイドδ受容体活性化を機序とする画期的情動調節薬の開発	日本ケミファ株式会社
タンパク質構造解析のハイスループット化へ向けた装置開発	日本電子株式会社
セラノスティクス概念を具現化するための創薬拠点整備を伴う、抗体等標識治療薬（アルファ線）とコンパニオン診断薬の開発	日本メジフィジックス株式会社
サイトメガロウイルス（CMV）特異的完全ヒト型モノクローナル抗体の臨床POC確立	ノーベルファーマ株式会社
クローン病を対象とした産学連携による本邦発バイオ医薬品と新規薬効予測マーカーの開発	EAファーマ株式会社

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基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

期間実績評価



①-1 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

令和元年度評価

【イノベーション創出環境整備タイプ】

【研究開発タイプ】

【実用化開発タイプ】

第3回公募結果（14課題）（H30年度実施）

公募タイプ：一般型

採択課題名	代表機関名
リバースジェネティクス法を用いた新規インフルエンザワクチン株の創成	一般財団法人化学及血清療法研究所
遺伝性眼科疾患に対する遺伝子治療薬の研究開発	参天製薬株式会社
病的近視に対する光線架橋療法の研究開発	参天製薬株式会社
網膜中心動脈閉塞症に対する神経保護薬の開発	千寿製薬株式会社
血友病Bに対する遺伝子治療用製品の研究開発	田辺三菱製薬株式会社
フレイルの予防薬・治療薬の研究開発	帝人株式会社
新規迅速遺伝子診断法ならびに非臨床PK/PD理論を活用した新規β-ラクタマーゼ阻害剤（OP0595）の単味製剤の研究開発	Meiji Seikaファルマ株式会社
肝硬変の生命予後を改善する革新的抗線維化薬の研究開発	大原薬品工業株式会社
至適分解性により術後遠隔期に血管再生を促す生体吸収性マグネシウム合金スキャフォールドの非臨床・臨床POC取得	株式会社日本医療機器技研
アルツハイマー病の新規治療薬の創出	日本臓器製薬株式会社

公募タイプ：ViCLE

採択課題名	代表機関名
造血幹細胞の体外増幅技術の開発と移植医療への応用	ネクスジェン株式会社
Tribを標的とする急性骨髄性白血病の創薬研究	ファイメクス株式会社
制御性T細胞の減弱作用と分子標的阻害による新規固形がん治療法の開発	レグセル株式会社
液相セグメント合成法による核酸大量製造法開発	四国核酸化学株式会社

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基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

期間実績評価

令和元年度評価



①-1 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

【イノベーション創出環境整備タイプ】

【研究開発タイプ】

【実用化開発タイプ】

第4回公募結果（10課題）（令和元年度実施）

公募タイプ：一般型

採択課題名	代表機関名
全身性エリテマトーデス（SLE）に対する新規治療薬の開発	第一三共株式会社
万能インフルエンザワクチンの研究開発	大日本住友製薬株式会社
NY-ESO-1特異的高機能ゲノム編集T細胞の製造基盤技術の確立	Repertoire Genesis株式会社
遺伝子組換えヒト肝細胞増殖因子を用いて世界に先駆ける「成因に制限されない肝硬変疾患修飾薬」の創出	EAファーマ株式会社
産学連携オールジャパン体制による本邦Toll様受容体研究の実用化：全身性エリテマトーデス薬の創製	イーザイ株式会社
患者レジストリを活用した日本発の新規作用機序を有する革新的デュシエンヌ型筋ジストロフィー治療薬の開発	大鵬薬品工業株式会社
精神症状を伴う月経前症候群/月経前不快気分障害患者に対するピリドキサミンの臨床開発	株式会社レナサイエンス

公募タイプ：ViCLE

採択課題名	代表機関名
アンチセンス核酸を用いた脊髄損傷治療薬の開発	ルクサナバイオテック株式会社
家族性小児四肢疼痛発作症に対する新規治療薬の研究開発	AlphaNavi Pharma株式会社
ナノゲル型広域肺炎球菌経鼻ワクチン治験のための原薬及び製剤のGMP製造	株式会社HanaVax

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基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等



期間実績評価

令和元年度評価

伴走支援

①
-2

CiCLE支援課題

PS/POによる支援課題マネジメント

- ・ 研究開発の指導・助言等
- ・ 研究開発の進捗管理
- ・ 研究開発や技術動向等の情報の提供
- ・ 知的財産の管理等への助言・支援
- ・ 既存AMED事業・採択課題との連携支援
- ・ CiCLE採択課題間の連携支援

革新基盤創成事業部における支援課題進捗管理

各種報告書等の確認・受領や中間評価・事後評価等の課題進捗に関する定型的な業務

基盤的事業連携支援チーム (チームA)

- ・ CiCLE担当PS/PO
- ・ 革新基盤創成事業部
- ・ AMED関係部署 (創薬戦略部ほか)
- ・ 外部有識者

情報共有

感染症分野支援チーム (チームB)

- ・ CiCLE担当PS/PO
- ・ 感染症フロンティア担当PS/PO
- ・ 革新基盤創成事業部
- ・ AMED関係部署 (戦略推進部感染症研究課ほか)
- ・ 外部有識者
- ・ オブザーバー

複合リスク関連疾患課題支援チーム (チームC)

- ・ CiCLE担当PS/PO
- ・ 革新基盤創成事業部
- ・ AMED関係部署 (戦略推進部難病研究課ほか)
- ・ 外部有識者
- ・ オブザーバー

ベンチャー支援チーム (チームV)

- ・ CiCLE担当PS/PO
- ・ 革新基盤創成事業部
- ・ AMED関係部署 (産学連携部ほか)
- ・ 外部有識者
- ・ オブザーバー

【CiCLEの伴走支援】

総合的コンサルテーションにより、支援課題の目標達成及び開発費返済完了の確度を上げる。取りまとめは革新基盤創成事業部が行う。

【CiCLEの進捗管理】

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基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等



期間実績評価

令和元年度評価

中間評価・事後評価

①

ー2

平成30年度 中間評価 4課題

課題名	代表機関名	評価結果
経口コメ型バイオ医薬品のプラットフォーム化を目指した実証研究	アステラス製薬株式会社	継続可
産医連携拠点による新たな認知症の創薬標的創出	エーザイ株式会社	継続可
がん医療推進のための日本人がん患者由来PDXライブラリー整備事業	株式会社LSIメディエンス	継続可
オピオイドδ受容体活性化を機序とする画期的情動調節薬の開発	日本ケミファ株式会社	継続可

令和元年度 中間評価 6課題

課題名	代表機関名	評価結果
サイトメガロウイルス（CMV）特異的完全ヒト型モノクローナル抗体の臨床POC確立	ノーベルファーマ株式会社	継続可 （一回目）
経口コメ型バイオ医薬品のプラットフォーム化を目指した実証研究	アステラス製薬株式会社	中止
薬剤耐性（AMR）菌感染症治療薬を目的とした創薬研究	大日本住友製薬株式会社	継続可
サイトメガロウイルス（CMV）特異的完全ヒト型モノクローナル抗体の臨床POC確立	ノーベルファーマ株式会社	継続可 （二回目）
新規迅速遺伝子診断法ならびに非臨床PK/PD理論を活用した新規β-ラクタマーゼ阻害剤（OP0595）の単味製剤の研究開発	Meiji Seikaファルマ株式会社	継続可
タンパク質構造解析のハイスループット化へ向けた装置開発	日本電子株式会社	継続可

令和元年度 事後評価 1課題

課題名	代表機関名	評価結果
特殊ペプチド原薬のCMO創設	ペプチスター株式会社	目標達成

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基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

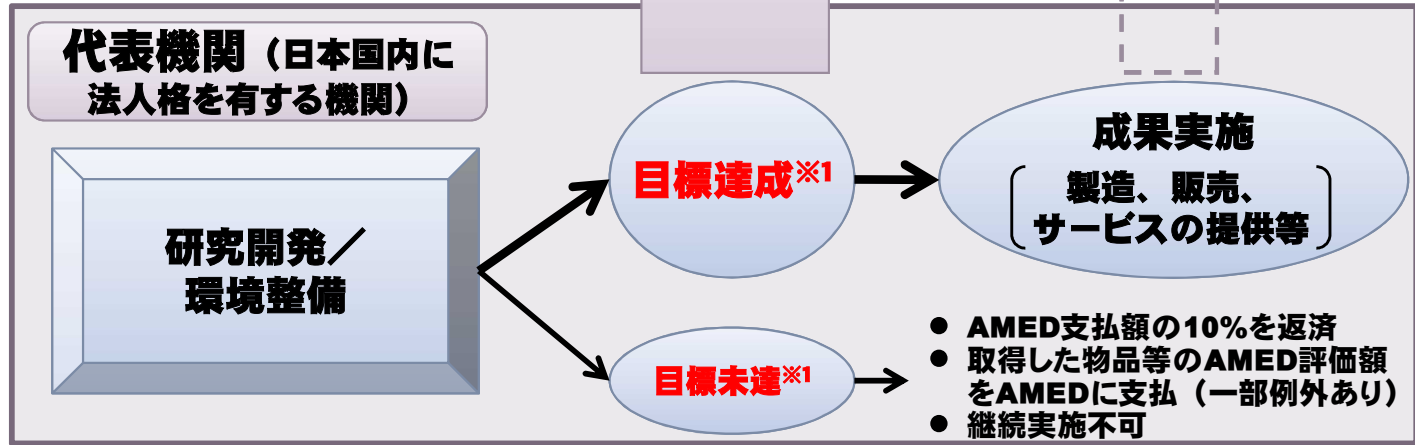
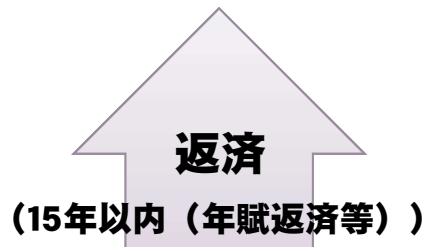
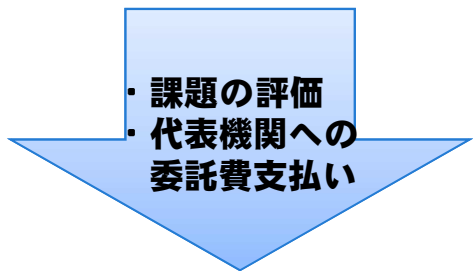
①-1 令和元年度評価 ①-3 期間実績評価 **CiCLE公募**

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4,5回公募: 30年度第2次補正予算250億円

研究開発/環境整備の提案者 特許等の権利者



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3,4,5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 (第3, 4回)
 原則、最長5年 (第4回)
(委託期間終了後15年以内の返済)

金額: 原則、1~3億円/課題 (第3回)
 原則、5千万~3億円/課題 (第4回)
 原則、5千万~10億円/課題 (第5回)

※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基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等



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。

令和元年度評価

期間実績評価

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においては、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122とし、不足気味の分野等を強化し、評価を実施した。

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2,3回公募の事前評価では専門分野を考慮し、14名の体制で審査を実施した。第4回公募においては、委員の専門性を考慮し、委員の入れ替えを行い13名の体制とした。

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基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等



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。

令和元年度評価

期間実績評価

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においては、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名の体制にし、令和元年度にはPS5名とPO21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。

令和元年度評価

期間実績評価

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においては、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、第4回公募において、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た。さらに、第5回公募においては、ViCLEの提案上限額を原則3億円から原則10億円に引き上げ、開発期間を原則3年から5年に引き延ばし、ベンチャー企業でも規模の大きい研究開発が実施できるように設計を改善した。また、新型コロナウイルス対策として国民の命と健康を守ることを最優先に、スピード感を持った研究開発を実施するため、新型コロナウイルス課題は通常スケジュールから前倒した採択を行うこととした。

さらに、医療研究開発革新基盤創成事業の採択・評価会において、所管府省にもアドバイザーとして出席してもらっている。

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基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等



評価軸

国から交付される補助金による基金を設置し、研究開発を推進する体制の整備が進捗したか。

令和元年度評価

期間実績評価

科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律(平成20年法律第63号)に基づき、基金補助金の交付を受けるため、「基金設置規程」を制定し、内閣府制定の補助金交付要綱に基づき、基金造成事業に係る補助金の交付を受け、基金造成を行った。また、ムーンショット型研究開発等を推進するために必要な人件費等の管理費については、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省の各省が交付する補助金により運用するため、各省の補助金交付要綱に基づき毎年度、補助金交付を受ける体制が確立された。

令和2年度以降、健康・医療戦略本部が決定するムーンショット目標の実現に向けた取組等が本格化される。

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

令和元年度評価



評定
(自己評価)

A

AMED内外において積極的に連携、創薬関連業務を実施。この結果、企業導出目標5件に対して、令和元年度単年度で63件の企業導出を達成【シーズ15件(悪性腫瘍:4件、感染症:2件等)、技術:48件(抗体生産:12件等)】。
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。COVID-19の医薬品開発における製薬協との迅速な連携、AMED抗菌薬産学官連絡会における連携体制強化、GAPFREE等における産学連携プロジェクトの推進、寄附金事業の創設など業界との連携を重視。この他、シード化合物を生産する菌株の優先的な使用を可能とするNITEとの連携を開始など。②研究開発の成果としては、筋ジストロフィーに対する国産初の核酸医薬品開発における薬事承認、国産の高性能な抗体生産用CHO細胞を用いた各企業との協働開発開始、さらに連続培養に成功、膵臓・胆道癌の早期診断に係る先駆け審査指定制度の対象品目指定、RSに関して、薬物動態や薬剤応答のモデル解析に関するガイドライン案の作成など。③支援基盤については、BINDSのクライオ電子顕微鏡に関する若手の滞在型研修プログラムの実施、画期的な論文の創出、PSPO主導による事業内連携の推進、創薬支援NWのシーズ収集機能強化など。CINについては、患者レジストリ検索システムを構築・公開、産学協同によるレジストリ利活用のための改修の実施など。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的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(新型コロナウイルス感染症(COVID-19)の医薬品開発における製薬協との迅速な連携、AMED抗菌薬産学官連絡会におけるAMR菌株の供給等や疾患ごとのアプローチを議論する分科会の新設、及びGAPFREEにおける臨床試験の開始、BINDSにおける関係拠点と産業界との連携強化、寄附金を原資とした研究奨励金制度の創設 など)。
- ①-2 公的機関等との連携(NITEと希少放線菌培養抽出物活用に関する連携の開始 など)
- ①-3 AMED内連携(遺伝子治療製造技術開発プロジェクトのオープンラボ開設、遺伝子事業と難病事業との連携ワークショップの開催 など)

②研究開発

国産初の核酸医薬品開発(薬事承認済み)。国内抗体製造体制構築に向け国産の高性能な抗体生産用CHO細胞を用いた各企業との協働開発開始、さらに連続培養に成功。体液中マイクロRNAの検出による膵臓・胆道癌の早期診断技術を活用した、体外診断薬用医薬品が先駆け審査指定制度対象品目として指定、薬物動態や薬剤応答のモデル解析に関する3種のガイドライン案を作成(うち1報はガイドラインとして発出済み)など

③支援基盤

- ③-1 BINDS事業に関し、OIST(沖縄科学技術大学院大学)におけるクライオ電子顕微鏡に関する若手人材育成プログラムの開始、画期的な論文の創出、PSPOによる進捗把握、重点化課題の認定等。COVID-19の治療薬探索を目的した既存薬のインシリコスクリーニングの開始 など
- ③-2 創薬支援NWに関し、シーズ収集機能強化、中分子ライブラリーの運用方針(案)の策定開始、3件の導出を達成、脊髄損傷急性期治療薬の希少疾病用医薬品指定 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産学協同によるレジストリ利活用のための改修実施 など

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

期間実績評価

評定
(自己評価)

S

①全般的な取組としては、業界との連携を重視、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の構築、GAPFREE型産学連携スキームの構築、PMDA等との連携によるRS研究の推進、研究マネジメント(チェック項目)の運用など。②研究開発成果としては、腎慢性疾患の臨床試験に関するGL策定などRSの成果、筋ジストロフィーに対する国産初の核酸医薬品開発における薬事承認、国内抗体製造技術開発、など。③創薬支援基盤としては、創薬支援NW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目標を大きく上まわる225件を達成するとともに、業界との密な連携により、AMED主導の新たな産学連携体制構築に大きく貢献した。以上より、「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成果の創出の期待等が認められる。

	H 27	H 28	H 29	H 30	R 1	見 込	期 間
自己 評価	A	A	A	S	A	A	S
主務 大臣 評価	A	A	A	A		A	

①全般的取組

①-1 創薬分野の産学連携推進

- 製薬企業の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
- 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
- 製薬協と連携したBINDS「企業利用ルール」策定など、産業界のニーズを踏まえたスキームを構築
- 民間資金(寄附金)を活用した生物統計家育成支援事業による育成スキーム構築、研究奨励金制度の創設

①-2 公的機関との連携

- PMDA/国衛研との連携を含むRS研究の推進、NIH・NCATS等との国際コンソーシアム参画/総説公表 など

①-3 AMED内連携

- 研究マネジメントチェック項目(医薬品)のAMED内事業における活用 など

③支援基盤

③-1 BINDSによるワンストップ相談窓口創設、3年間で2,030件の支援、クライオ電子顕微鏡NWの構築 など

③-2 創薬支援推進ユニット構築、臨床研究中核病院との連携などによる創薬エコシステムの構築、創薬支援NWで9件の導出を達成 など

③-3 CINIについて、患者レジストリ検索システムを構築・公開、企業ニーズを踏まえたレジストリの改修を産学共同にて実施 など

②研究開発

②-1 PMDAと連携した、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(eGFR変化率の低下を代替エンドポイントとし、観察期間とサンプルサイズを短縮)作成など、レギュラトリーサイエンス研究を推進

②-2 デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)を対象とした国産初の核酸医薬品などの希少疾病治療薬開発(薬事承認済)

②-3 技術研究組合による国内抗体製造トータルプラットフォーム化の実現 など



(②-2)

- ・男の子が生まれるごとに、1/4,000-5,000人
- ・ジストロフィン遺伝子の変異が原因
- ・筋力が弱くなり、筋量も減る
- ・ステロイド剤の他に確立した治療がない

④KPI

【2020年までの達成目標】	2020年3月迄の累積達成状況
相談・シーズ評価(1,500件)	1,659件
有望シーズへの創薬支援(200件)	142件
企業への導出(5件)	225件
創薬ターゲットの同定(10件)	33件

① 全般的取組

①-1 創薬分野の産学連携推進

- 製薬企業各社所有の化合物等民間アセットの集約・活用スキーム(DISC)、薬物動態等のデータ共有システム(創薬インフォマ)を構築・運用した。
- 民間資金の活用・AMEDによるマッチングを通じた新たな産学連携スキーム(GAPFREE)を計4プロジェクト立ち上げ、これまでにオミックス分野、リバーストラシヨナル・リサーチ、漢方・生薬原料の国内自給促進、創薬技術開発に関する産学連携PJを実施した。
- BINDSにおいて、製薬協と連携し「BINDS企業利用ルール」策定、「クライオ電顕勉強会」を立ち上げるなど、産学共同利用を推進した。
- 感染症領域の産学連携推進のため、関連学会及び製薬協メンバーを中心に「AMED抗菌薬産学官連絡会」を設置した。
- 製薬企業からの寄附金と国の研究資金を活用した生物統計家育成事業を整備。現在39名(修士1、2年)が在籍中。

①-2 公的機関等との連携

- RSに関し、PMDAと連携協定を締結、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。また、国際的な規制調和に関して、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。
- 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(TT)に参画している。「TRに従事する人材の在り方」を示した総説を発表したほか、AMEDの主導で「TR国際用語集」の作成を進めている。

①-3 AMED内連携

- 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、研究マネジメントチェック項目(医薬品)を作成、運用開始した。これまでに、医薬品の実用化に関する公募課題を有する17事業(約560課題)について活用した。



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

令和元年度評価



① 全般的取組

①-1 創薬分野の産学連携推進

- 新型コロナウイルス感染症 (COVID-19) の医薬品開発における製薬協との連携を迅速に進めた。
- 「AMED抗菌薬産学官連絡会」について、「AMRサーベイランス分科会」等を設置、体制を強化した。
- GAPFREE1について、新たな2件の臨床試験、100報以上の英語論文の成果が示された。
- BINDSにおける産業界との連携強化、産業界のニーズを踏まえた「産学連携高度化推進PJ」を本格開始した。
- 若手研究者を対象にした研究奨励金制度を創設、製薬企業等から広く寄附金を募集することとした。



COVID-19の医薬品開発におけるAMEDと製薬協の連携を国内外へ発信



NITEとの覚書締結

①-2 公的機関等との連携

- 独立行政法人製品評価技術基盤機構 (NITE) と覚書を締結し、創薬総合支援事業の支援テーマにおいてNITEが保有する希少放線菌培養抽出物を活用する連携を開始した。

①-3 AMED内連携

- 遺伝子治療用ベクター製造施設 (オープンラボ)、サルの非臨床試験設備を整備。アカデミアシーズの非臨床試験用ベクター製造に役立てることを目的とし、難病事業との連携ワークショップを開催した。

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

期間実績評価



② 研究開発

②-1 医薬品等規制調和・評価研究事業

PMDAと連携し、腎領域における慢性疾患の臨床試験の観察期間を短縮しサンプルサイズを低減する代替エンドポイント（eGFR変化率の低下[30~40%]）に関するガイドライン案を作成・公表した。インフルエンザ治療薬と異常行動に関する疫学研究等により、関連医薬品の添付文書の注意喚起が変更された。

②-2 臨床研究・治験推進研究事業

これまでの5年間で導出:14件（シーズ7件・技術7件）、臨床研究・治験:45件、薬事承認申請:10件、薬事承認取得:10件などの成果を達成。具体例として、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）が平成27年度に先駆け審査指定制度の対象品目となり、令和2年3月に薬事承認を取得した。

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

これまでの5年間で33件（シーズ4件・技術29件）の導出を達成した他、技術組合員による製品化等につながった事例も約40件となった。具体的には、バイオ医薬品製造技術について、バイオ医薬品製造のトータルプラットフォーム化の実現と、国産の高性能な抗体生産用CHO細胞株の樹立に成功した。53,000検体以上の血清中のマイクロRNAを網羅的に解析し、癌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した。

②-4 創薬基盤推進研究事業

これまでのAMED5年間で9件（技術8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AMED設立初年度に創設。これまでにオミックス分野、リバーストランスレーショナル・リサーチ、漢方・生薬原料の国内自給促進、創薬技術開発に関する産学連携PJを実施。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、短時間・高収率なペプチド合成に成功した。

②-5 革新的先端研究支援事業（インキュベートタイプ）

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、9件の導出、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、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」を開発、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。

②-6 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業、先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業

事業終了時まで40件（シーズ1件・技術39件）の企業導出を達成。具体的には、抗体医薬品を高機能化する技術開発により、日本メジフィジックス（株）に導出され、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行中。また、令和元年度より後継事業として先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業が開始された。

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

令和元年度評価



② 研究開発

②-1 臨床研究・治験推進研究事業

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)が、令和2年3月に薬事承認を取得した。この他にもオクトレオチド(ソマトスタチンアナログ)の持続皮下注が先天性高インスリン血症治療薬として公知申請による薬事承認申請がなされた。

②-2 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業

抗体連続生産技術については、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実施し、令和元年度はCHO-MK細胞の連続培養に成功。また、要素技術開発の成果として、糖鎖分析用試薬、小型培養システム等の製品化や国産の高性能な抗体生産用CHO細胞の実用化に向けて複数企業と開発契約を締結した。

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、令和元年度には、膵臓・胆道癌検査キットが体外診断用医薬品として先駆け審査指定制度の対象品目となった。



②-3 医薬品等規制調和・評価研究事業

細胞加工製品の造腫瘍性評価試験法および体内動態試験法の標準プロトコール作成と多施設検証を実施し、当局を含めた関係者間で造腫瘍性評価の考え方と試験法における合意を形成した。さらに、国際コンソーシアム(HESI)にて意見交換を行い、留意点文書として発表した。

薬物動態や薬剤応答のモデル解析に関する3種のガイドライン案を作成した。このうち「母集団薬物動態/薬力学解析ガイドライン」に関しては令和元年5月にガイドラインとして発出済み。

②-4 創薬基盤推進研究事業

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設立初年度に創設。最初に実施したGAPFREE1では新たな2件の臨床試験、これまでに100報以上の英語論文の成果を創出した。

医薬品シーズに関し、中分子化合物ライブラリーが構築され、生物学的評価からライブラリーの有用性が検証された。さらにAIを活用したスクリーニングも可能であることが示された。また、新たな予防手段となりうる、粘膜での抗体産生を増加させる革新的な粘膜免疫誘導型アジュバントを見いだした。

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



③ 支援基盤

期間実績評価

③-1 創薬等ライフサイエンス支援基盤事業 (BINDS)

- 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。これら取り組みにより、BINDS開始からの3年間で前身の事業(5年間)の累積支援件数約1,000件を上回る2,030件の支援を達成した。
- 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。新規網かご状タンパク質を開発し、その構造が特異な正多面体形状であることを明らかにする(Nature on line, 2019/5/9)など、クライオ電子顕微鏡による画期的な成果(論文、学会発表など)が表れている。

③-2 創薬支援推進事業

- 「創薬支援ネットワーク」を平成26年度に構築。有望シーズ収集強化、新たなモダリティへの対応として、国家戦略特区域内の臨床研究中核病院と連携、理研・基盤研・産総研が有する技術に加え、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するなど、機能を拡充した。
- その結果、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9件を達成した(さらに3件の導出に向けて準備中)。

③-3 クリニカル・イノベーション・ネットワーク (CIN)

- 患者レジストリに関し、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、令和元年度に患者レジストリ検索システムを構築・公開した。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を産学協同にて実施し、レジストリデータの利活用のための基盤を整備した。

令和元年度評価

③-1 創薬等ライフサイエンス支援基盤事業 (BINDS)

- 支援進捗管理に報告システムを導入し、PSPOが進捗状況を即時に把握、事業内連携／重点化に適した課題を新たに7課題認定した。
- クライオ電顕で画期的な論文の創出等、またOISTにおいて「滞在型人材育成プログラム」を開始、10名以上/年の人材育成を行っている。
- COVID-19の治療薬探索を目的として、既存薬のインシリコスクリーニングを開始した。

③-2 創薬支援推進事業

- シーズ収集能力強化のための国家戦略特区域内の臨床研究中核病院と連携において、事前面談、シーズ評価、支援を実施した。令和元年度の導出は3件であった(さらに3件の導出に向けて準備中)。
- タンパク-タンパク質間相互作用(PPI)標的に対応すべく、DISC中分子ライブラリーの構築に向け、参加製薬企業との間で意見交換等を実施し、運用方針(案)の策定を開始した。
- 事業で支援した「組換えヒトHGF蛋白質による脊髄損傷急性期治療薬」が令和元年9月12日付けで希少疾病用医薬品として指定された。

③-3 クリニカル・イノベーション・ネットワーク (CIN)

- 患者レジストリ検索システムを構築・公開、また産学協同にて企業ニーズを踏まえレジストリを改修、データの利活用のための基盤を整備した。

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

令和元年度評価

期間実績評価



<成果目標達成状況>

KPI	【2020年までの達成目標】	① 令和2年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
相談・シーズ評価	1,500件	1,659件	283件
有望シーズへの創薬支援 (200件)		142件	25件
企業への導出 (5件)		225件	63件
創薬ターゲットの同定 (10件)		33件	-

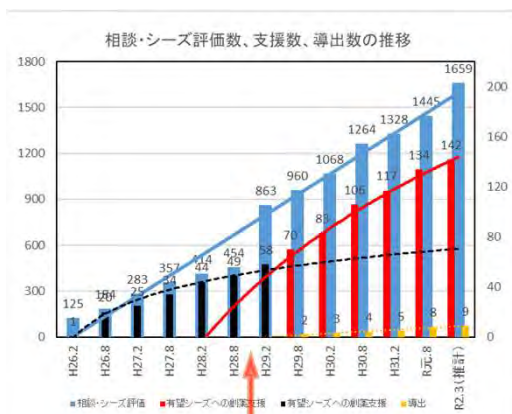
総括

○ 企業導出

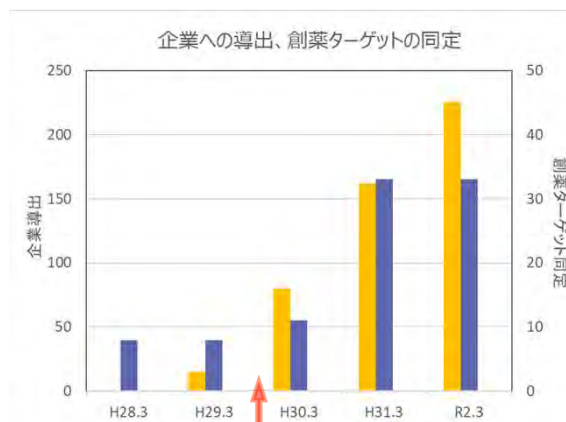
- 企業導出は成果目標の中でも研究成果の実用化に関する重要な指標であり、目標 5件に対し、これまでに225件を達成（うち 令和元年度だけで63件）。創薬支援NWだけでも令和元年度末までにシーズの企業導出9件を達成。さらに、10件目【**DISCを活用**】、11、12件目についても導出に向けて準備中。

○ その他

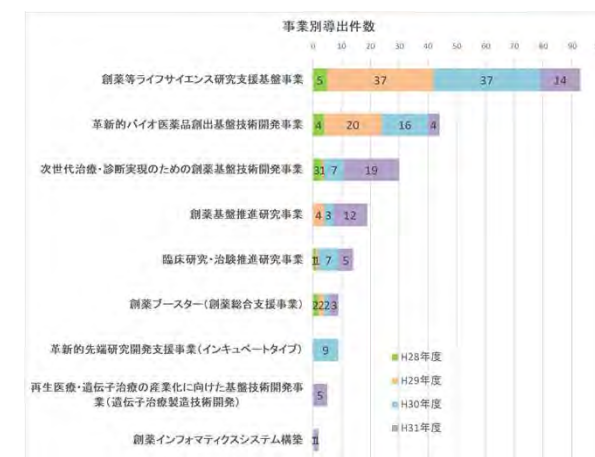
- 革新的医薬品創出が期待される相談・シーズ評価に関する指標についても、同プロジェクト実施期間の目標1500件を今年度達成、さらに令和元年度末までに1659件達成。
- 有望シーズへの創薬支援は目標未達となるが、創薬支援NWにおける導出達成率【企業への導出件数/有望・シーズへの創薬支援件数】については、当初目標2.5%（5件/200件）に対し、6.4%（9件/142件）を達成、創薬支援NWにおいて優れた目利き及び創薬支援を実施できたと考える。



創薬戦略部を設置 (H29. 7)



創薬戦略部を設置 (H29. 7)



導出事例(平成27年度～令和元年度)【計225件(うち、シーズ56件、技術:169件)】

シーズ56件※(うち、令和元年度:15件※※)

※56件の内訳

①悪性腫瘍:20件 ②感染症:10件 ③中枢性疾患:8件 ④肝疾患:2件、筋骨格系疾患:2件 他

※※15件の内訳

①悪性腫瘍:4件 ②感染症:2件 ②炎症性疾患:2件 ④中枢性疾患、肝疾患、筋骨格系疾患:各1件 他

【緑内障を対象とした神経保護薬の探索】(創薬支援推進事業/創薬支援NW)

➡事例①紹介(11ページ)

・網膜神経節細胞に対する保護作用により病態の進行を抑制する新しいメカニズムの緑内障治療薬

【筋ジストロフィー核酸医薬品】(臨床研究・治験推進研究事業)

・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した、国産初の核酸医薬品

➡事例③紹介(13ページ)

・平成27年10月に先駆け審査に指定され、令和2年3月に薬事承認取得

【薬用植物】(創薬基盤推進研究事業)

➡事例②紹介(12ページ)

・医薬品原料用シャクヤクの品質と生産性を高めた新品種を開発
・新品種の育成により高品質・高収量化が可能となり収益性向上に期待

【HSVワクチン】(創薬支援推進事業/創薬支援NW)

・性器ヘルペス等の単純ヘルペスウイルス(HSV)に対するワクチン
・新規コンセプトによりHSVの感染又は繰り返し発症を防ぐことを目指す

【脊髄損傷治療薬】(創薬支援推進事業/創薬支援NW)

・脊髄損傷患者を対象とした核酸医薬品
・神経軸索再生を促すことにより運動機能改善を目指す脊髄損傷治療薬

【新規がん免疫アジュバント】(創薬支援推進事業/創薬支援NW)

・がん治療ワクチンの効果増強を期待
・化学療法や放射線療法が奏功せず、分子標的薬の適応とならないような難治性がん等へ適用

【熱帯性ウイルスワクチン】(創薬支援推進事業/創薬支援NW)

・デングウイルス感染予防ワクチン
・ウイルスの感染増強現象を引き起こす可能性を低減させ安全性に優れるワクチン

【がん細胞DNA脱メチル化酵素を分子標的とするFirst-in-classのがん治療薬の探索】(創薬支援推進事業/創薬支援NW)【DISCを活用】

・がん細胞で働く酵素の働きを抑えることで、既存薬が効かない前立腺がん、膵臓がん等への適用を目指す

【マイクロRNA】(次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業)

・血液中マイクロRNA等を解析し、がん標的となる分子を同定し、そのアルゴリズムを作成、検証を目的とした探索研究を企業と協働で開始

【がん間質を標的とした抗体・薬物複合体】(創薬支援推進事業/創薬支援NW)

・薬物と抗体を結合させた抗がん剤
・悪性度の高いがんの組織学的特徴を標的とすることから、ほぼ全ての固形がんへの適用を期待

【先天性高インスリン血症治療薬】(臨床研究・治験推進研究事業)

・ソマトスタチンアナログであるオクトレオチドの持続皮下注
・公知申請による薬事承認申請がなされ、現在審査中【NF- κ B標的遺伝子の発現を阻害する抗がん剤の探索】(創薬支援推進事業/創薬支援NW)・上皮がんをターゲット
・遺伝子の発現を調節するタンパク質を標的としてがん細胞の増殖を阻害することで、抗がん効果を示すことを目指す

【口内炎疼痛緩和薬】(創薬支援推進事業/創薬支援NW)

・がん治療中の口内炎の疼痛緩和薬
・既存薬と異なり、味覚・食感の知覚を遮断しないため、患者のQOL向上への貢献に期待

導出事例(平成27年度～令和元年度)【計225件(うち、シーズ56件、技術:169件)】

技術169件※(うち、令和元年度:48件※※)

※169件の内訳

①抗体生産:59件 ②構造解析:27件 ③DDS:10件 ④タンパク質生産:9件 ⑤人工核酸:9件 他

※※48件の内訳

①抗体生産:12件 ②構造解析:8件 ③DDS:4件 ④インシリコ:3件 ⑤人工核酸、疾患動物:各2件 他

【国産CHO細胞】(次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業)

- ・バイオ医薬品の高度生産に関係する高性能な国産CHO細胞株(CHO-MK)を開発
 - ・バイオ医薬品製造への国産CHO株の利用に向けて複数企業と協働開始
- ➡事例④紹介(14ページ)

【ヒト化マウス】(創薬等ライフサイエンス基盤事業(BINDS))

- ・人工染色体技術を用いて薬物排出に関わるMDR1をヒト化したマウスを作出
- ・医薬品候補化合物の評価に活用すべく企業と協働開始

【クライオ電顕人材育成】(創薬等ライフサイエンス基盤事業(BINDS))

- ・標的タンパク質の3次元構造解析実施による支援と解析ノウハウの提供による人材育成を目的とした企業との共同研究を開始

【化合物デザイン】(創薬基盤推進研究事業)

- ・アプタマー(特異的に標的物質に結合する能力を持った核酸分子)情報を低分子化合物のデザインに利用する技術を開発
- ・本技術を用いた低分子医薬品創製に向けて企業と協働開始

【クライオ電顕利用技術】(次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業)

- ・高分解能クライオ電顕による単粒子解析法がより広範に活用されるようになるため、遠隔の操作ができるシステムを開発
- ・革新的な創薬に向けて企業と協働開始

【DNA/RNAヘテロ2本鎖核酸】(革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業)

- ・DNAとRNAのヘテロ2本鎖による革新的な核酸医薬を開発
- ・従来の核酸医薬に比べて臓器特異的な送達性能が向上

【インフォマティクスシステム構築】(創薬支援推進事業/創薬インフォマティクスシステム構築)

- ・創薬研究効率化のため、薬物動態と毒性の予測システムを開発
- ・国内主要製薬企業7社から提供された大規模データを集約
- ・予測システムを継続的に運用するための商用版システムの開発

【MANO法】(革新的先端研究開発支援事業)

- ・数百種の遺伝子変異の働きを一度に解析可能な手法を開発
- ・がん治療薬と遺伝子変異との関係・有効性を効率的に評価可能

【抗体薬物複合体】(革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業)

- ・様々な機能性素子(抗がん剤、放射性核種、中枢移行性、細胞内移行性など)を抗体に付加できる技術を開発
- ・企業導出とCiCLE採択で開発加速

【人材育成プログラム】(創薬基盤推進研究事業)

- ・製薬協・PMDAと連携したバイオ医薬品品質管理人材育成プログラム
- ・(一社)バイオリジクス研究・トレーニングセンターへ導出し研修を開始

【抗体】(創薬等ライフサイエンス基盤事業(BINDS))

- ・作製した抗体(18種類)を試薬として4企業にそれぞれ導出
- ・導出された抗体は創薬研究等に活用

【疾患モデル動物作出法】(創薬等ライフサイエンス基盤事業(BINDS))

- ・従来、歩留まりが悪く非効率的だったゲノム編集法を工夫することで5～10倍効率化
- ・新規手法の実用化のために企業と協働開始

【緑内障を対象とした神経保護薬の探索】（創薬支援推進事業／創薬支援NW）

・ 網膜神経節細胞に対する保護作用により病態の進行を抑制する新しいメカニズムの緑内障治療薬

【主任研究者（PI）】 林 秀樹
（東京薬科大学 薬学部 准教授）

【標的疾患】 緑内障、特に正常眼圧緑内障

【創薬標的】 網膜神経節細胞（retinal ganglion cell, RGC）に
発現するLRP-1（LDL receptor related protein-1）

【医療ニーズ】 日本では正常眼圧緑内障が7割を占め、
眼圧をコントロールしてもなお進行する症例が多数存在している。
現在は眼圧下降が唯一の進行予防治療法となっており、新たな作用機構、
特に網膜神経節細胞保護作用に基づく治療法開発が望まれている。

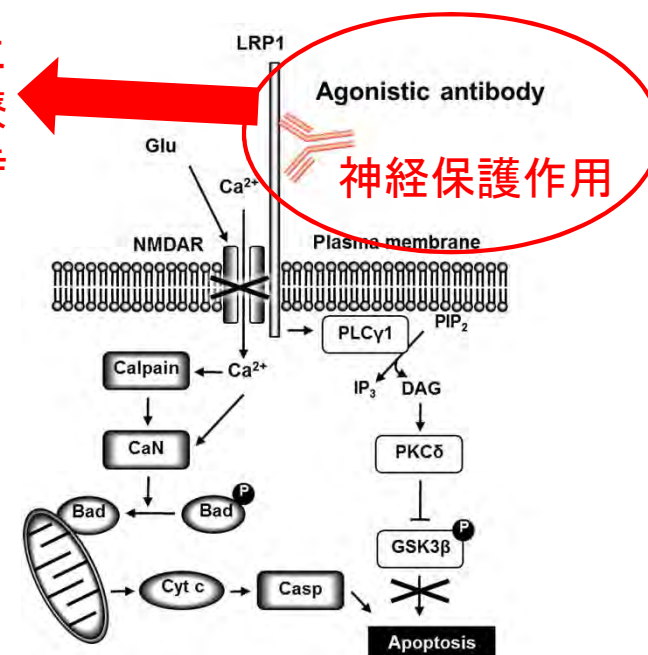
【創薬コンセプト】 網膜神経節細胞保護作用を有するLRP-1アゴニスト抗体による緑内障治療薬

【本シーズの魅力】

- 正常眼圧緑内障は現在、有効な治療薬がなく、本剤は最初の治療薬になることが期待される。
- 新規の作用メカニズム（神経保護作用）による治療効果が期待される。
- 糖尿病性網膜変性や加齢黄斑変性など他の病態に対しても有用な治療薬となる可能性がある。

【モダリティの設定】 抗体

新規作用機序による
緑内障治療薬の開発に期待



【薬用植物】（創薬基盤推進研究事業）

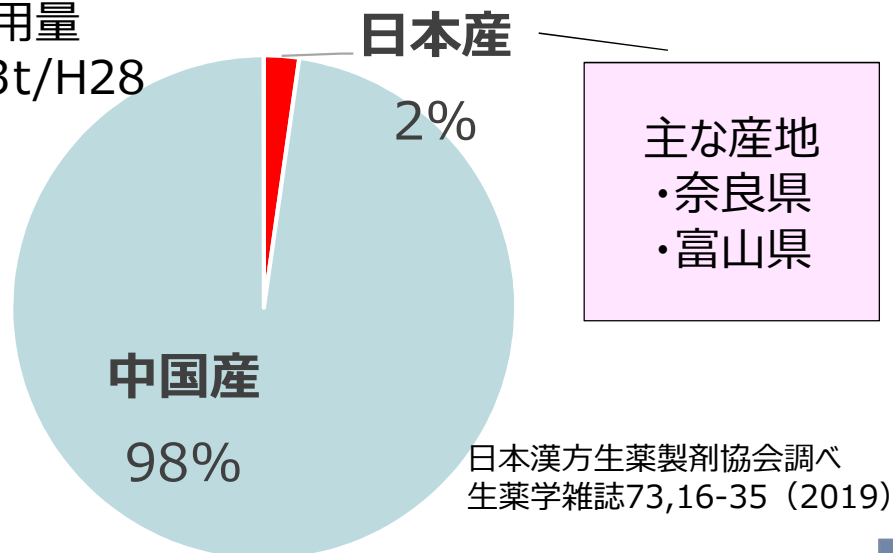
- ・医薬品原料用シャクヤクの品質と生産性を高めた新品種を開発
- ・新品種の育成により高品質・高収量化が可能となり収益性向上に期待

研究代表者：川原信夫（医薬基盤・健康・栄養研究所薬用植物資源研究センター） 研究課題名：薬用植物の国内栽培推進を指向した基盤技術及び創薬資源の開発に関する研究

現状

日本産シャクヤクの使用率は2%だけ

総使用量
1513t/H28



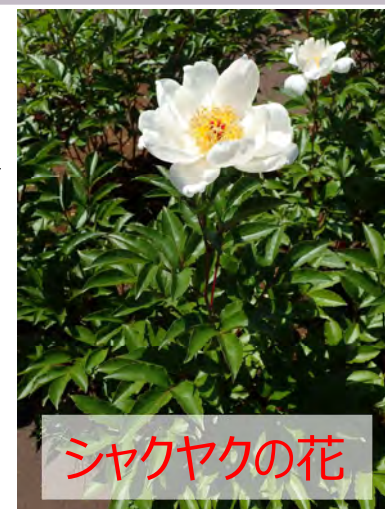
課題

- ・中国での需要拡大による輸入量低下懸念
- ・国内栽培拡大に向けた期待と課題

高品質・高収量の生薬の選別が不可欠

シャクヤク（芍薬）

- ・女性向けの漢方処方
当帰芍薬散などに配合



成果

- ★新品種「夢彩花」を新規品種登録
- ⇒ 薬局方適合した品質の安定した生薬
- ⇒ 日本の風土に適合し、国産化を牽引
- ⇒ 単位面積当たり高収量で収穫

収益向上し、参入しやすい
(医薬品素材 & 化粧品素材)

国産シャクヤクの生産拡大

【筋ジストロフィー核酸医薬品】(臨床研究・治験推進研究事業)

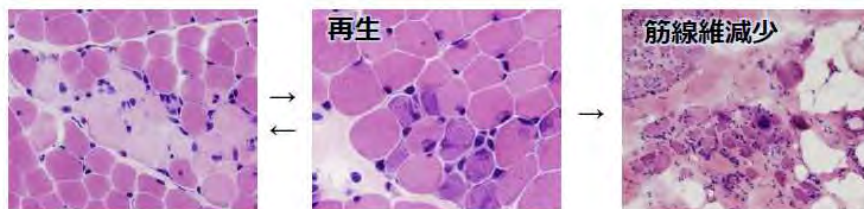
- ・デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)の進行抑制を目標にした、国産初の核酸医薬品
- ・平成27年10月に先駆け審査に指定され、令和2年3月に薬事承認取得

DMD患児

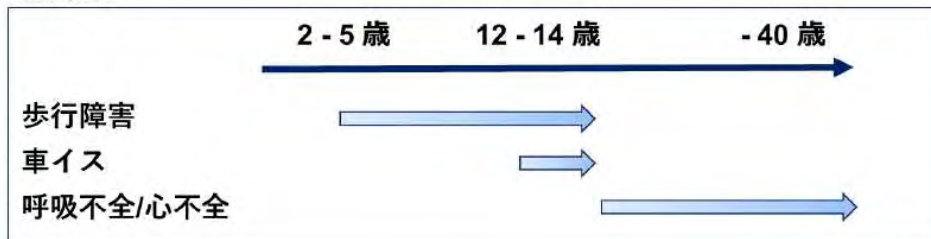


男の子が生まれるごとに、
1/4,000-5,000人
ジストロフィン遺伝子の変異が原因
筋力が弱くなり、筋量も減る
ステロイド剤の他に確立した治療がない

出典：埜中征哉
臨床のための筋病理 第4版

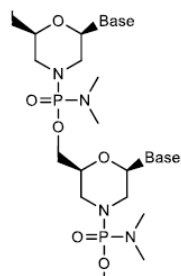


臨床経過



- 日本新薬(株)との共同開発
- 希少疾病用医薬品の指定制度
- 条件付き早期承認制度の対象品目

医師主導第I相(ファーストインマン)試験に成功



NS-065/NCNP-01:
ビルトラルセン(モルフォリノ核酸)
ジストロフィン遺伝子のエクソン53スキップを誘導
静脈内投与(点滴)により週1回, 12回投与
安全性・有効性を確認

Sci Transl Med. 2018

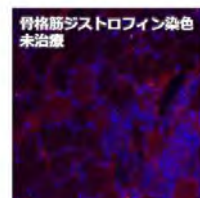
エクソン53スキップによるジストロフィンの回復

ジストロフィンのmRNA前駆体



エクソン52の欠失変異

ジストロフィン欠損



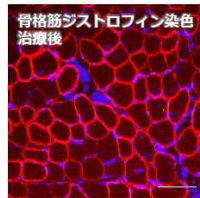
ジストロフィンは筋膜から消失

エクソン53スキップ後のmRNA前駆体



エクソン53スキップ

短縮型
ジストロフィン発現



少し短いジストロフィンが筋膜に回復

平成27年10月 先駆け審査指定品目に指定



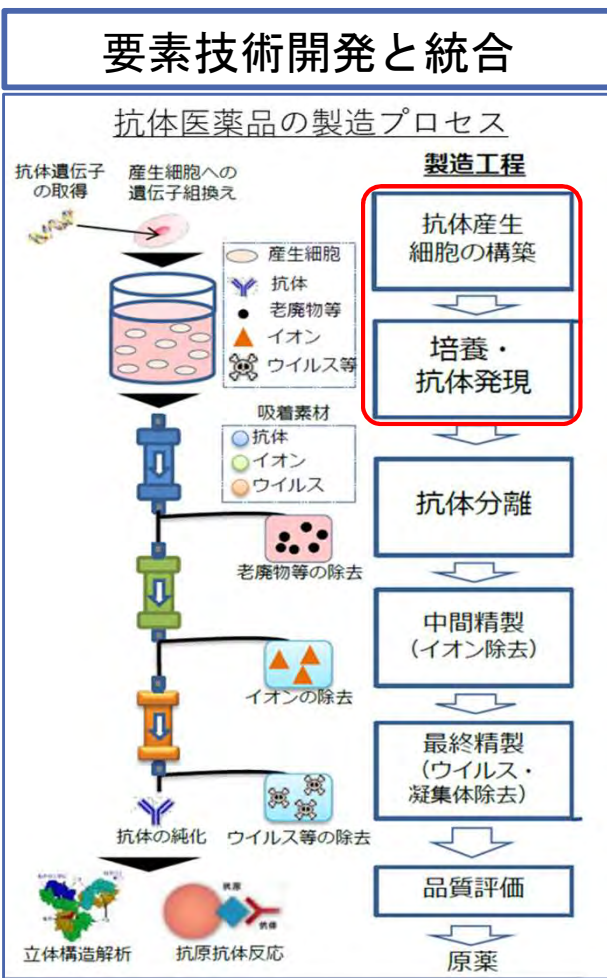
令和2年3月 薬事承認取得

【国産CHO細胞】（次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業）

- ・ バイオ医薬品の高度生産に関する高性能な国産CHO細胞株（CHO-MK）を開発
- ・ バイオ医薬品製造への国産CHO株の利用に向けて複数企業との協働開始

研究代表者：上平 正道（次世代バイオ医薬品製造技術研究組合） 研究課題名：バイオ医薬品の高度製造技術の開発

バイオ医薬品製造の現状	課題	取り組み
大量製造から少量多品種製造へ バイオシミラーの増加	製造プロセス開発期間の短縮、製造コスト・製造期間削減が求められている	高性能抗体産生細胞株の開発 連続生産技術の開発（省スペース、スケールアップ不要）
製造プロセス・要素技術を 欧米企業が独占	高価な製造機器、細胞株ライセンス費用の高騰、製造プロセス開発の遅延	産生細胞構築技術を含む「上流プロセス」から「下流プロセス」の各要素技術開発・製品化とプラットフォーム化



国産の高性能な抗体産生細胞CHO-MK株を開発

生細胞密度 (VCD (10⁶ cells/mL))

Hours	CHO-MK	CHO-K1
0	0	0
24	~1	~1
48	~2	~1
72	~8	~2
96	~26	~4
120	~30	~5

ATCC株CHO-K1と比較して
速い細胞増殖・高密度培養

抗体生産量

Culture days	CHO-MK (IgG production/mg/L)
1	~1000
2	~2000
3	~3500
4	~5000
5	~6000
6	~6500
7	~7000

7 g/L within 7 days
5 g/L / 4 days

短期間で
高い抗体産生量を達成

開発プロセス：ベクター構築 → クロニング → 安定性試験 → 初期培養プロセス開発

抗体医薬品産生細胞株の構築と培養プロセス開発にかかる期間の大幅短縮

商用生産時の高額なライセンス費用の回避

抗体生産性の大幅向上（培養時間と容積の削減・高生産量）

複数企業・アカデミアと抗体医薬品製造の協働開発を開始し、CHO-MKを軸とした製造プラットフォームの社会実装とアカデミア創薬を推進。

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

評価軸

・創薬支援ネットワークの構築や創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業などにより、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図ったか。

令和元年度評価

- ・創薬等ライフサイエンス基盤事業(BINDS)については、クライオ電顕の人材育成体制の強化、産学官連携高度化推進PJの本格開始により重点化課題を選定した(前ページ等 ①-1、③-1参照)。
- ・創薬支援ネットワークについては、シーズ収集能力強化のための国家戦略特区域内の臨床研究中核病院との連携を進めるなど、アカデミアでのシーズ評価支援等を幅広く実施した(前ページ等 ③-2参照)。
- ・その他、AMED抗菌薬産学官連絡会の体制強化、NITEとの覚書を締結するなど、大学等アカデミアや産業界と連携しながら、創薬支援のための基盤強化を図った(前ページ等 ①-1、①-2参照)。

見込評価

- ・創薬等ライフサイエンス基盤事業(BINDS)については、「ワンストップ窓口」の設置、クライオ電顕NWの構築・運用、BINDSの利活用に関する製薬協とのクロストークを通じ、事業開始からの3年間で約2,000件の支援を実施(前ページ等 ①-1、③-1参照)
- ・創薬支援ネットワークについては、その安定的運営と導出成果、臨床研究中核病院との連携、創薬支援ユニットの機能強化、DISCライブラリー・創薬インフォマシステムの構築・運用、産学官による意見交換等を継続して行った(前ページ等 ①-1、③-2参照)。
- ・その他、民間資金を活用した生物統計家育成事業の実施、技術研究組合による抗体製造技術開発、CIN推進による患者レジストリ検索システムを構築・公開など、大学等アカデミアや産業界と連携しながら、創薬支援のための基盤強化を図った(前ページ等 ①-1、②-3、③-3参照)。

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



評価軸

・創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援したか。

令和元年度評価

- ・創薬支援ネットワークを通じたアカデミア創薬支援により、令和元年度単年度で3件の企業導出を達成。「組換えヒトHGF蛋白質による脊髄損傷急性期治療薬」の開発など希少疾病医薬品として指定された(前ページ等 ③-2参照)。
- ・「高性能な国産CHO細胞株の樹立と連続培養の成功」、「中分子化合物ライブラリー構築」などの創薬基盤技術を開発するとともに、臨床研究・治験の実施支援を通じ、希少疾患治療薬を含めた革新的医薬品開発を支援した(前ページ 等 ②-1、②-2、②-4参照)。
- ・その他、創薬基盤整備、研究開発支援を通じ、令和元年度単年度で63件の導出(うち、シーズ15件・技術48件)を達成した。

見込評価

- ・「抗体の連続生産技術」「ペプチドのマイクロフロー合成法」「抗体医薬品の高機能化技術」などの創薬基盤技術を開発するとともに、「デュシェ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」の開発など、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援した(前ページ等 ②-2、②-3、②-4、②-6参照)。
- ・このような取り組みを通じ、これまでに新たな創薬ターゲットとして33件を同定、225件の導出(うち、シーズ56件・技術169件)を達成し、KPIの最終目標を大幅に上回る成果を得た(前ページ成果目標達成状況参照)。

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



評価軸

・医薬品の実用化支援について、最新の特許関連情報データベースを活用しつつ、創薬支援コーディネーターチームの目利き評価により大学等で生み出された研究成果から有望シーズを選抜し、創薬支援ネットワークが保有する創薬支援資源を集中的に投下することにより、応用ステージ(スクリーニング、最適化研究、非臨床試験)を中心に、革新的新薬の創出を目指したオールジャパンでの強力な支援を行ったか。

令和元年度評価

- ・創薬支援ネットワークについては、DISCライブラリーの多様なモダリティへの対応、特区内の臨床中核拠点病院との連携などのシーズ収集強化、導出支援などによる積極的な支援の実施により、令和元年度単年度で相談・シーズ評価283件、有望シーズへの創薬支援25件、企業導出3件を達成するなど、革新的新薬の創出を目指した強力な支援を行った(前ページ等 ③-2、成果目標達成状況参照)。

見込評価

- ・創薬支援ネットワークにおいては、同ネットワークの安定的な運営と導出成果、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を構築、活用した。また、連携三独法(理研・基盤研・産総研)が有する技術に加え、多様なモダリティへの対応、シーズ収集強化、導出支援など様々な創薬支援を可能とするエコシステム(ユニット)を構築・運用した(前ページ等 ①-1、③-2参照)。
- ・このことにより、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」開始以降これまでの間で相談・シーズ評価1,659件、有望シーズへの創薬支援142件、企業導出9件を達成するなど、革新的新薬の創出を目指した強力な支援を行った(前ページ等 成果目標達成状況参照)。

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

②医療機器開発

令和元年度評価



評定(自己
評価)

A

全体的な取組としては、医療機器開発の重点分野別に対応すべき課題と課題解決に向けた方向性を公開し、令和元年度事業の公募等に反映するとともに、さらなる検討を行った。①革新的医療機器の開発支援と普及については、「先端計測事業」で3年連続で日本医療研究開発大賞AMED理事長賞を受賞するほか、「先進的医療機器・システム等技術開発事業」において14件の先端機器開発を開始した。「8K等高精細映像データ利活用研究事業」で、大腸内視鏡画像中の病変の有無を推測する人工知能(AI)に基づくソフトウェアがクラスⅡとして承認を得た他、「医療機器開発推進事業」では医師主導治験を行うなど、基礎・応用・実用化研究それぞれで成果を上げた。また、「ロボット介護事業」では、開発補助のみならず、効果測定、評価手法・環境の開発・整備を実施した。②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援としては、「医療機器開発支援ネットワーク」で伴走コンサルを135件実施して開発から事業化まで幅広く支援。「医工連携事業化推進事業」で35件の課題を推進してものづくり技術を有する中堅・中小企業、ベンチャー企業を支援した。「途上国事業」において、日本企業の、現地ニーズに応じた機器開発を5件実施。③医療機器開発のマネジメントの改善については、医療機器開発のマネジメントチェック項目を活用し普及に努めた。④医療機器開発人材育成についても、14の医療機関で企業人材の育成を実施した。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

オールジャパン医療機器開発分野における全体的な取り組み <AMEDの医療機器開発支援の方向性を検討>

H30年度に「医療機器開発の重点化に関する検討委員会」で医療上の価値、我が国の競争ポテンシャル等の視点で重点分野を設定。令和元年度は重点分野に沿った支援課題の設定・運用を事業の特性に応じて進めるとともに高齢化分野の「医療上対応すべき課題」の深掘り検討を実施。

①革新的医療機器の開発支援と普及

- (1) 先端計測分析技術・機器開発プログラムにおいて9件の革新的医療機器のシーズを採択。また、実施中の課題「令和元年度：針なし気泡注射器を用いた低侵襲網膜血栓除去新技術の開発」が、日本医療研究開発大賞AMED理事長賞を受賞。
- (2) 先進的医療機器事業では、医療機器開発の重点分野を意識した14件の応用フェーズの先端医療機器開発課題を採択、研究開始。
- (3) 8K等高精細映像データ利活用研究事業で、平成29年度に開始した課題の成果として、大腸内視鏡画像中の病変の有無を推測する人工知能(AI)に基づくソフトウェアがクラスⅡとして承認を得た他、医療機器開発推進事業で、2件の革新的医療機器の医師主導治験を開始。
- (4) ロボット介護機器開発事業において、13件の開発補助を行う他、ロボット介護機器の効果測定、評価手法・環境の開発・整備を実施した。

②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援

- (1) 文科省、厚労省、経産省、各地支援機関の連携による「医療機器開発支援ネットワーク」を通じて、伴走コンサルを135件(R1)実施。開発初期段階から事業化にむけ幅広く支援。更に製品評価サービスを提供した。
- (2) 医工連携事業化推進事業において、31件(新規採択含む)の課題を推進し、高度なものづくり技術を有する中堅・中小企業を支援。また、医療機器ベンチャー支援事業として採択された4件に対しては個別対面指導を密に実施し、ベンチャーキャピタルからの投資等につなげた。
- (3) 途上国/新興国医療技術実用化事業において、日本企業の現地ニーズに応じた機器開発を5件支援。

③医療機器開発マネジメントの改善

医療機器開発の研究開発マネジメントチェック項目(平成30年11月策定)について令和元年度の公募より適用開始。

④医療機器開発人材育成

医療機器開発を目指す企業人材を臨床現場に受け入れるための体制構築を実施。本年度は次世代医療機器連携拠点整備等事業として新たに14の医療機関を採択し、医療ニーズ発見及び研修プログラムや拠点間連携を通じて、医療機器開発の人材育成としての拠点整備を開始。臨床現場等見学者数は約1,300人。

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

②医療機器開発

期間実績評価



評定(自己評価)

B

全体的な取組としては、医療機器開発のあり方の検討や、重点分野を設定。課題と課題解決に向けた方向性を整理し、公開した。①革新的医療機器の開発支援と普及については、「先端計測事業」では74件を推進、「未来医療機器・システム開発事業」において、34テーマを通じて革新的医療機器・システムの開発及び実用化を推進。「医療機器開発推進事業」で医師主導治験を4件実施。また、「ロボット介護事業」では、開発補助(46件)のみならず、環境整備を行った。②「医療機器開発支援ネットワーク」で伴走コンサルを776件実施して開発から事業化まで幅広く支援。「医工連携事業化推進事業」で167件推進してものづくり技術を有する中堅・中小企業を支援。「途上国事業」において、日本企業の、現地ニーズに応じた機器開発を5件実施。③臨床ニーズへの対応については291件のニーズを収集し、9課題を実施。④医療機器開発人材育成についても、のべ25医療機関で企業人材の育成を実施した。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

	H 27	H 28	H 29	H 30	R 1	見込	期間
自己評価	B	A	B	B	A	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

オールジャパン医療機器開発分野における全体的な取り組み <AMEDの医療機器開発支援の方向性を検討>

「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」及び「医療機器開発の重点化に関する検討委員会」を設置し、医療機器開発のあり方の検討や医療機器開発の重点分野を設定を実施。重点分野別に将来あるべき姿の実現に向けて医療上の課題と、解決に向けた方向性を整理、研究計画に活用。

①革新的医療機器の開発支援と普及

- (1) 先端計測分析技術・機器開発プログラムにおいて74件の革新的医療機器のシーズを推進。日本医療研究開発大賞AMED理事長賞を3件受賞
- (2) 未来医療/「スマート治療室」プロジェクトにおいて、「スマート治療室」の標準モデル、ハイパーモデルそれぞれで、臨床研究を開始。普及と展開に向けた活動を加速。「メディカル・デジタル・テストベッド」プロジェクトにおいて、医師の暗黙知をデジタルデータ化/数値化し、解析できるプラットフォームを構築し、熟練者の手技の評価に成功。
- (3) 医療機器開発推進事業において、革新的医療機器の医師主導治験を4件実施した。
- (4) ロボット介護機器開発事業において、46件の開発補助を行う他、安全性・効果・性能に関する基準・試験方法をハンドブック等を作成して公開するとともに、ロボット介護機器の効果測定、評価手法・環境の開発・整備を実施した。

②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援

- (1) 「医療機器開発支援ネットワーク」を通じて、伴走コンサルを776件(R1まで)実施。開発初期段階から事業化にむけ幅広く支援。製品評価サービスを提供。
- (2) 医工連携事業化推進事業において、累計167件の課題を推進し、高度なものづくり技術を有する中堅・中小企業を支援。
- (3) 途上国/新興国医療技術実用化事業において、日本企業の現地ニーズに応じた機器開発を7件支援。

③臨床ニーズへの対応

平成29年度に収集した291件のニーズから2件を絞り込み、未来医療事業で新規にテーマ設定し、9件の課題を実施した。

④医療機器開発人材育成

医療機器開発を目指す企業人材を臨床現場に受け入れるための体制構築を全国のべ25医療機関で実施。臨床現場等見学者数はのべ約5,400人。

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

②医療機器開発

オールジャパンの医療機器開発分野における全般的な取組

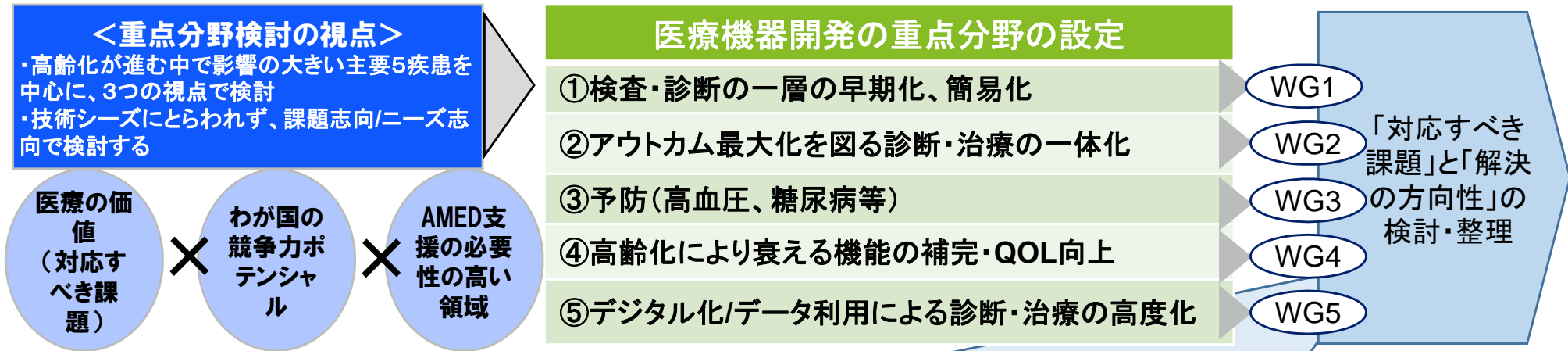
令和元年度評価

期間実績評価

AMEDでは、医療機器開発支援のあり方を検討するため、「医療機器開発の重点化に関する検討委員会」を設置して検討を進め、H31年3月に報告書を取りまとめた。

目的

- ①戦略性をもったリソースの重点化／ポートフォリオ運用を実現する。
- ②課題オリエンテッドな研究開発強化のため、重点分野毎に「対応すべき課題」や「解決の方向性」を整理・提示する。



重点分野毎に、将来のあるべき姿を検討。実現に向けての対応すべき課題と、課題解決に向けた方向性を整理した。
(対応すべき課題の具体例)

- がんなどの無症候性疾患を早期発見する一次スクリーニングシステムの開発
- 手術の簡易化、均てん化、効率化、医療経済性を向上するための治療システムの開発
(AI、ロボティクス等を用いた医師の暗黙知の形式知化)
- その他

令和元年度の取組

- 令和元年度公募では、上記「重点分野」に沿った支援課題のポートフォリオ設定・運用を、事業特性に応じて進めた。(例:「先進医療機器・システム等技術開発事業」では、重点分野別に課題を設定して公募した)
- 上記「重点分野」のうち、「④高齢化により衰える機能の補完・QOL向上」では、「対応すべき課題」についてWGを開催して深掘りの検討を実施。

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

②医療機器開発

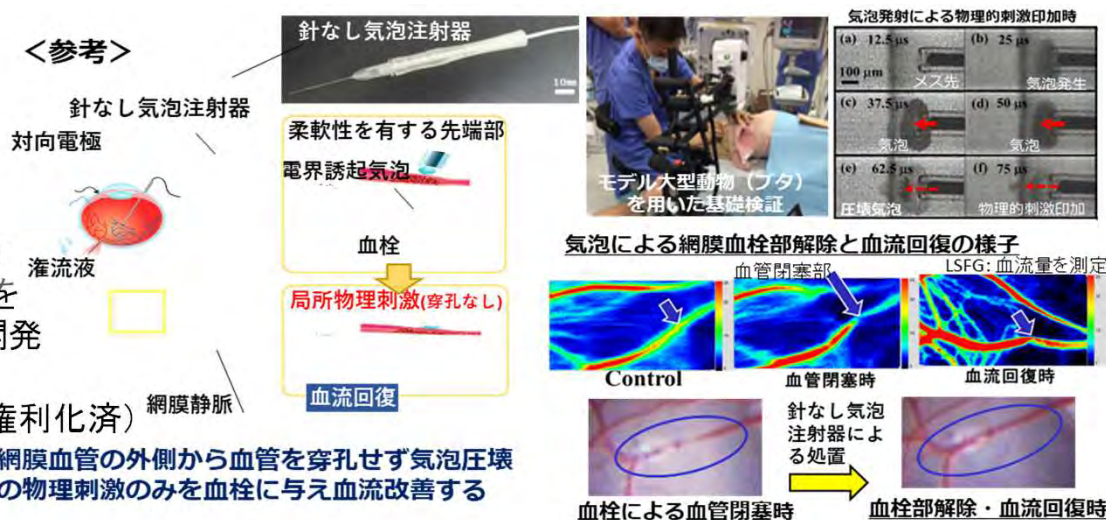
令和元年度評価

①革新的医療機器の開発支援と普及

(1)先端計測分析技術・機器開発プログラム

網膜静脈分枝閉塞症に対して、網膜静脈血栓部へ電界誘起気泡による低侵襲物理的的刺激を血管(血栓)へ与えることにより血流を回復・改善させる技術を開発しており、対症療法ではなく、根本的に病態を解決する新手法として期待される。

- 毛細管内の微小な空間内に電界を集中させ、液中に指向性を有する高速気泡列が発射される現象を発見し、この現象を利用して「針なし気泡注射器」を実現した。
- モデル大型動物(ブタ)を用いた基礎検証により、本技術は電界誘起気泡の血栓分解による血流回復に有効な方法であることを示す成果が得られた。
- これまで輸入抗VEGF薬による対症療法しかなかったため、年間約500億円(薬価)もの医療費が支払われてきた。このような現状を打破すべく、網膜静脈血栓の根治療法を目指す医療機器研究開発を行っている。
- 日本、米国、欧州等に基本技術等を4ファミリー出願中(一部は権利化済)
- **第3回日本医療研究開発大賞 AMED理事長賞受賞課題**



(2)先進的医療機器・システム等技術開発事業

令和元年度より医療機器開発の重点分野に係る医療機器・システム等の事業化に向けた開発(14件)を開始

例)アウトカム最大化をはかる診断と治療の一体化

「超低侵襲リアルタイムアダプティブ(RA)放射線治療」開発開始
腫瘍形状の変化に対応したリアルタイムで低侵襲な治療最適化のため、診断技術と放射線治療装置及び治療計画装置を融合し、低コスト・小型粒子線治療システムを開発する。

低侵襲リアルタイム診断
低侵襲マルチモダリティ診断
AIによる位置予測精度向上

リアルタイムアダプティブ治療
腫瘍追従型治療
リアルタイム腫瘍情報追従
毎日の腫瘍追従型治療
リアルタイム最適再計画
日々の患者情報変化対応
最適化プランを提供

小型・低コスト粒子線治療プラットフォーム
医療機関・医療従事者の負担軽減
国内医療産業の競争力強化

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

②医療機器開発

期間実績評価

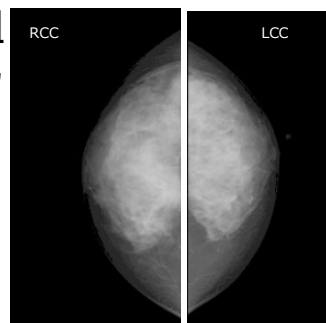


①革新的医療機器の開発支援と普及

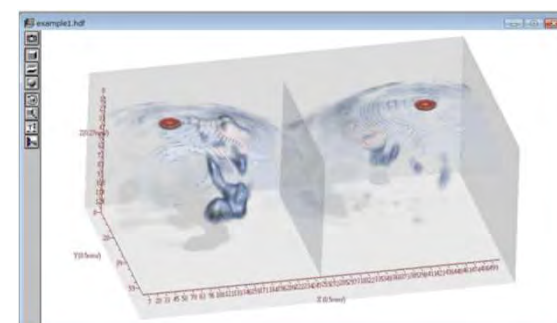
(1)先端計測分析技術・機器開発プログラム

現行技術のX線マンモ画像や超音波では発見が困難であった高濃度乳房の乳癌を画像化することに成功。これにより、乳癌のより正確な診断が可能に。乳癌検診の被検者負担の軽減により早期発見と医療経済効果が期待される。

- 世界で初めて波動散乱の逆問題を解析的に解くことに成功し、癌組織と正常組織のマイクロ波の反射の違いを利用したマイクロ波散乱場断層イメージングシステムを実現、プロトタイプ機を開発。
- 約350人の臨床試験を実施し、高濃度乳房等において現行技術を凌駕する本技術の有効性を実証。
- 日本、米国、欧州6か国で基本特許が成立
- 第1回日本医療研究開発大賞 AMED理事長賞受賞課題
- 被験者へ物理的負荷が少なく、現状約40%の乳がん検診の受診率向上(90%を目標)と早期発見・治療による医療費削減効果(手術・医薬品費用)が期待される。



X線マンモグラフィで撮影した乳がん患者の乳房
乳房全体が白く写る高濃度乳房の特徴がみられ、がん組織と正常組織の判別が困難。



本技術：がん組織を立体的に可視化(同じ患者での比較)

(2)未来医療

14プロジェクト、34テーマを推進し、スマート治療室の臨床研究開始など実用化に向けた開発に成功。

- 日本が強みを有するロボット技術、ICT等を応用し、日本発の革新的医療機器・システムの開発及び実用化を推進し、スマート治療室や認知症の早期診断が可能となるMRIなど新規な医療機器の開発に成功した。
- 「医療機器開発の重点分野」も踏まえて、我が国における高齢化の進展や、新興国における医療需要の増大などに対応した、戦略的な医療機器開発を着実に実施。
- また、こうした先進的な医療機器等の開発指針となる開発ガイドラインの策定も実施。

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

②医療機器開発

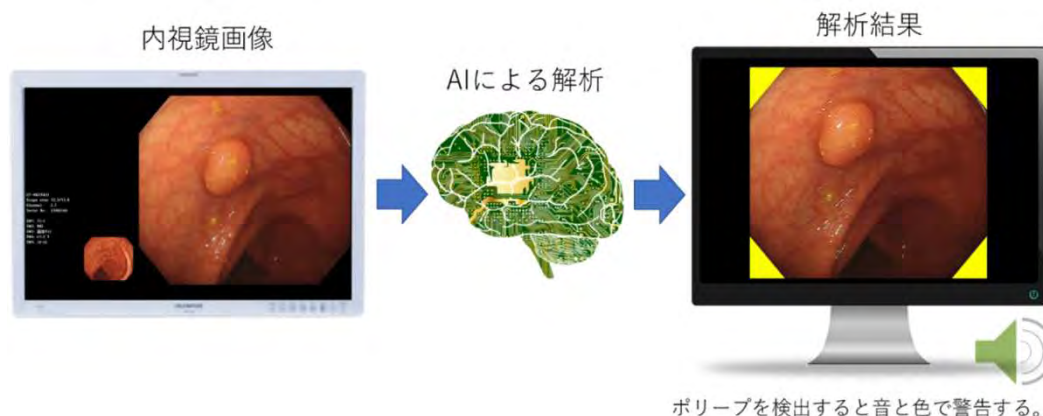
令和元年度評価



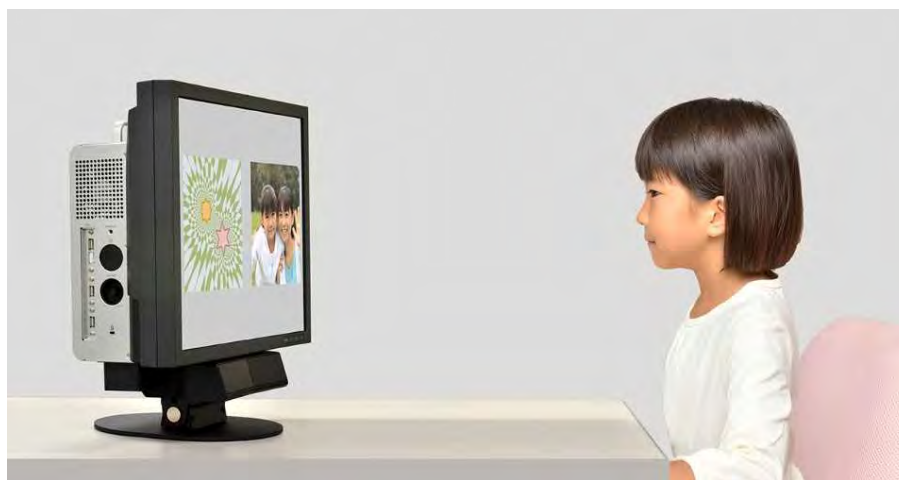
①革新的医療機器の開発支援と普及

(3) 8K等高精細映像データ活用研究事業／医療機器開発推進事業

- 昭和大学横浜市北部病院消化器センターの工藤進英教授らが開発を進めてきた人工知能(AI)内視鏡画像診断支援ソフトウェア(EndoBRAIN®-EYE)が、臨床性能試験を経て「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律(医薬品医療機器等法)」に基づき、クラスII・管理医療機器として承認を取得した。本ソフトウェアにより、内視鏡診療レベルの均てん化が可能となる。



- 令和元年度採択課題「視線計測装置及び視線計測装置用診断プログラム(GF01)による自閉スペクトラム症(ASD)の診断能に関する多施設共同試験」プロジェクトにおいて、医師主導治験を開始した。本プロジェクトの実用化により、定量的かつ客観的なASD診断補助が可能となり、治療成績の向上等が期待される。



②医療機器開発

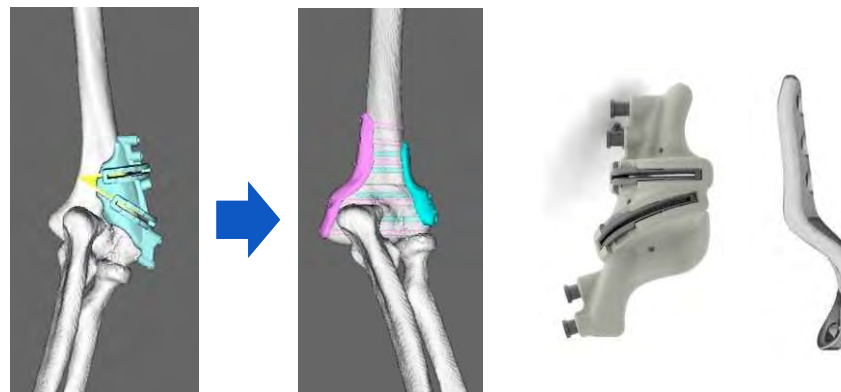
期間実績評価

①革新的医療機器の開発支援と普及

(3)医療機器開発推進事業

- 大阪大学大学院医学研究科の村瀬剛准教授らが開発を進めてきたカスタムメイド手術ガイドが、臨床試験を経て「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律(医薬品医療機器等法)」に基づき、クラスⅢ・高度管理医療機器として承認を取得した。本ガイドにより、術前シミュレーションによる精度の高い矯正骨切り術が可能となる。

術前シミュレーション



カスタムメイド手術ガイドを用いて骨切(黄色の楔状部分)

変形矯正後にカスタムメイドプレートで内固定を行う

- H30年度採択課題「自家骨採取量の削減を可能にする生体吸収性アドヒーズゲルの臨床応用」プロジェクトにおける開発機器「リン酸化プルランバイオアドヒーズ」が先駆け審査指定制度に選定された。本プロジェクトの実用化により、歯槽骨・顎骨欠損に対する低侵襲な自家骨移植治療が可能となり、治療成績の向上等が期待される。



	リン酸化プルラン	コラーゲン	ヒアルロン酸	アルギン酸	ポリグリコール酸	ポリ乳酸
生体親和性	○	○	○	○	溶解時に酸性になるため炎症を惹起	炎症惹起(ポリグリコール酸より軽度)
接着性・粘着性	○	×	湿性組織に付着	湿性組織に付着	××	××
ガンマ線滅菌	○	×	×	×	×	×
製造法	プルラン(黒酵母産生)を加工処理	ウシ、ブタ、サカナ由来(動物由来)	鶏のトサカから抽出(動物由来)	昆布から抽出(植物由来)	合成	合成

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

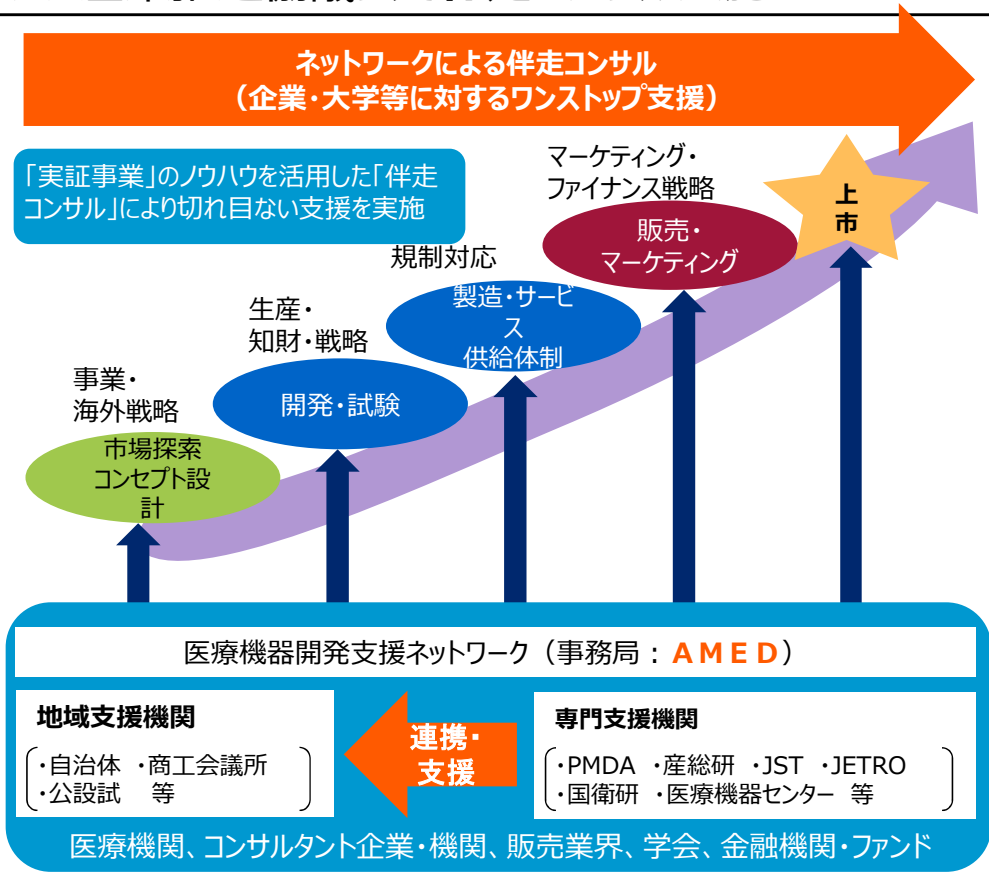
②医療機器開発 ②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援

令和元年度評価

期間実績評価

(1)医療機器開発支援ネットワーク

- 平成26年10月に、「医療機器開発支援ネットワーク」を立ち上げ。(令和2年2月27日時点)
- AMEDを事務局として、事務局サポート機関と76の地域支援機関に「ワンストップ窓口」を設置。
- 相談件数はのべ1,690件(うち令和元年度は150件)に達し、このうち、伴走コンサルはのべ776件(うち令和元年度は135件)。
- 異業種(電機電子・自動車部品・素材・化学・光学・製薬等)から相談も増。
- 地域連携拠点強化事業として、ふくしま医療機器産業推進機構、浜松医大、大阪商工会議所、九州ヘルスケア産業推進協議会で伴走コンサル実施。



主な地域支援機関

【北海道・東北地区】

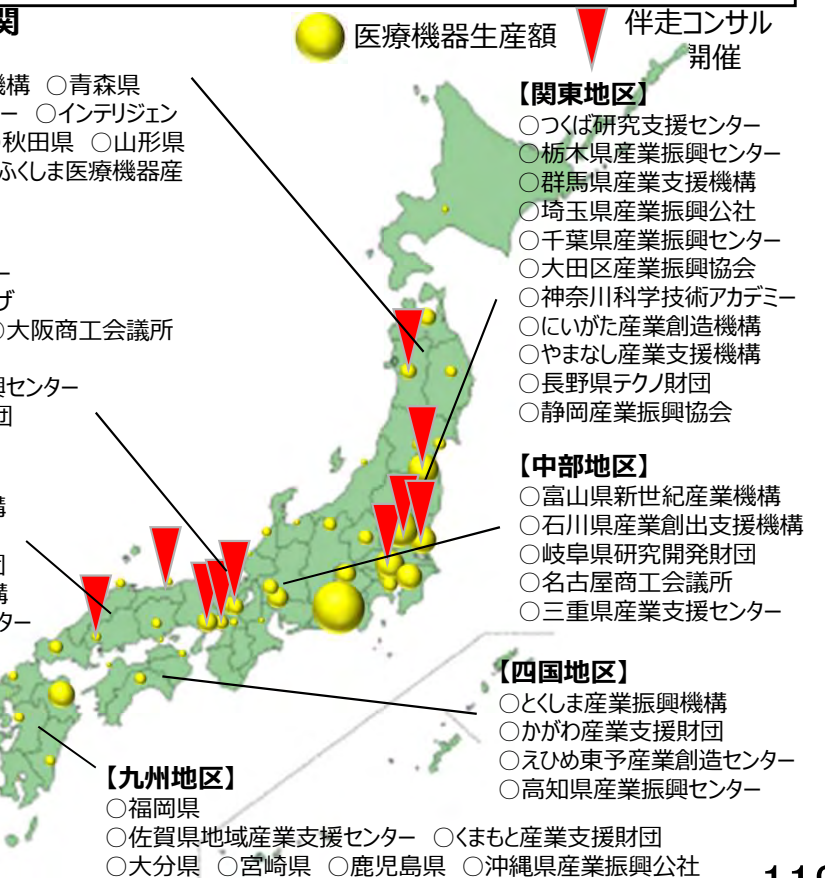
- 北海道立総合研究機構 ○青森県
- いわて産業振興センター ○インテリジェント・コスモス研究機構
- 秋田県 ○山形県
- 産業技術振興機構 ○ふくしま医療機器産業推進機構

【近畿地区】

- ふくい産業支援センター
- 滋賀県産業支援プラザ
- 京都リサーチパーク ○大阪商工会議所
- 先端医療振興財団
- 奈良県地域産業振興センター
- わかやま産業振興財団

【中国地区】

- 鳥取県産業振興機構
- しまね産業振興財団
- 岡山県産業振興財団
- ひろしま産業振興機構
- 山口県産業技術センター



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

②医療機器開発

令和元年度評価



- ②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援
- (2)医工連携事業化推進事業

眼疾患を多角的に把握する次世代偏光感受型OCTの開発・事業化

代表機関 製造販売業者
トーマコーポレーション株式会社

令和元年10月国内薬事申請(クラスⅡ)
令和2年10月国内上市



安全なマイクロサージェリーを提供する小型3Dビデオ蛍光顕微鏡の事業化・海外展開

代表機関 製造販売業者
三鷹光器株式会社

令和元年3月国内薬事申請(クラスⅠ)
令和2年4月国内上市
令和2年4月米国510K申請
令和2年後半米国上市



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

②医療機器開発



期間実績評価

- ②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援
- (2)医工連携事業化推進事業

血栓除去デバイス

販売名 Tron FX®
 開発 株式会社Biomedical Solutions
 製造販売業者 株式会社JIMRO
 販売 テルモ株式会社
 2018年12月承認 販売



抗菌性粘膜調整材

販売名 ティッシュコンデショナー
 CPC
 製造販売業者
 メディカルクラフトン株式会社
 2018年10月承認 販売



- H27年度採択課題「世界初の人工気管の製品化事業」第一医科株式会社 医師主導治験を終了。

本プロジェクトの実用化により、国産利用機器市場の拡大が期待される。



- H28年度採択課題「金属製骨折治療デバイスの課題克服を目指した次世代新素材骨折治療デバイスの開発・事業化」株式会社ビー・アイ・テック

医師主導治験を実施、PMDAに製造販売申請中で令和2年度の上市予定。

本プロジェクトの実用化により、国産利用機器市場の拡大が期待される。

