

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
リバーシ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

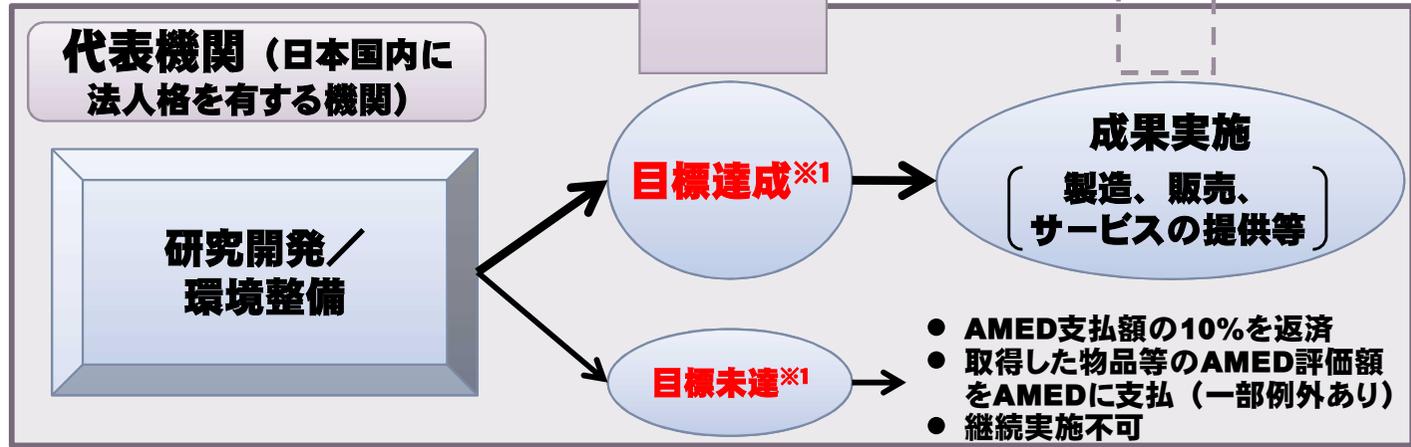
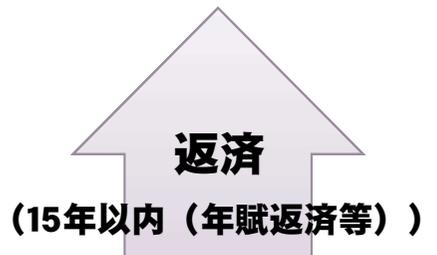
①-1 令和元年度評価 ①-3 期間実績評価 **CiCLE公募**

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

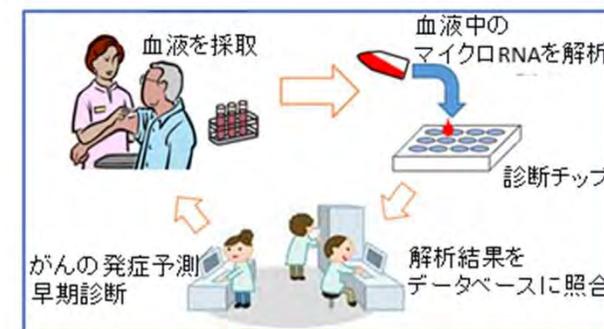
②-1 臨床研究・治験推進研究事業

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	-

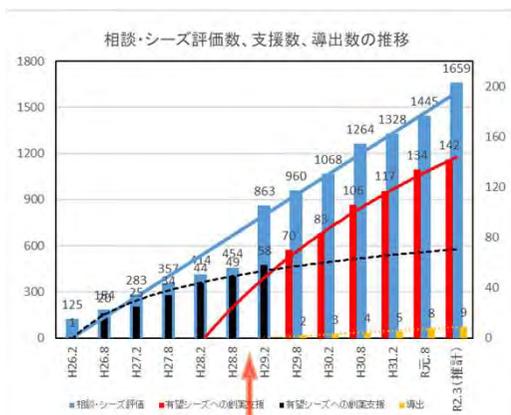
総括

○ 企業導出

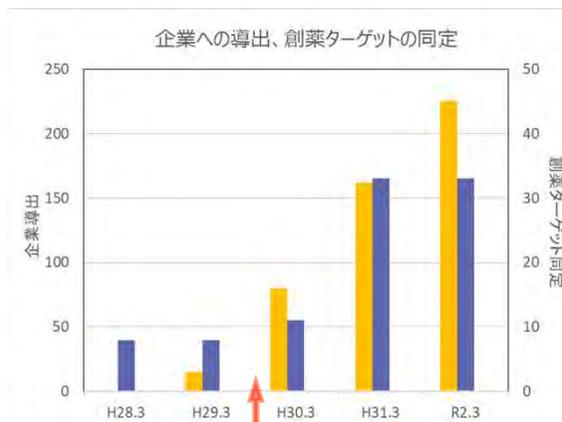
- 企業導出は成果目標の中でも研究成果の実用化に関する重要な指標であり、目標 5件に対し、これまでに225件を達成（うち 令和元年度だけで63件）。創薬支援NWだけでも令和元年度末までにシーズの企業導出9件を達成。さらに、10件目【**DISCを活用**】、11、12件目についても導出に向けて準備中。

○ 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-κB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

