

## 令和5年度医療分野研究開発推進計画のフォローアップ結果（概要）

- 第2期医療分野研究開発推進計画（令和2～6年度）において、計画の実行状況をフォローアップすることとされていることを踏まえ、第2期推進計画4年度目である令和5年度について、実行状況のフォローアップ結果について報告を行うもの。
- 令和6年5月7日に開催された第38回健康・医療戦略推進専門調査会において、【全体として順調に進捗している、ただ今後の課題については今日の議論を踏まえてまた検討していきたい】、と評価された。

### 令和5年度 医療分野研究開発推進計画の主な成果

- シーズの企業への導出件数累計174件（目標60件）や薬事承認件数（新薬、適応拡大）累計28件（目標10件）など、多数の企業導出や薬事承認取得を達成するなど順調に進捗。【① 医薬品プロジェクト】
- 最先端の科学技術を駆使した医療機器システムや将来の医療機器につながる要素技術の研究開発、介護現場の課題を解決するロボット介護機器の開発支援により、医療機器等の開発・実用化は着実に進展。【② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト】
- iPS細胞を用いた多発性嚢胞腎の治療薬候補の発見や、ウイルスベクター製造のための国産細胞候補株の樹立など、再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けて着実に成果を創出。【③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト】
- シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数累計51件（目標25件）や臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数累計22件（目標15件）など、引き続きゲノム医療の発展に繋がる成果を順調に創出。【④ ゲノム・データ基盤プロジェクト】
- 難治性血液がんに対する新しいエピゲノム治療の有効性と作用機序を解明するなど、着実に成果を創出。【⑤ 疾患基礎研究プロジェクト】
- 研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数累計1,567件（目標550件）、シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数累計379件（目標125件）や医薬品等の薬事承認申請の件数累計43件（目標30件）など順調に進捗。【⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト】

など

## モダリティ技術を活用した医薬品の実用化研究開発の推進

### ① 医薬品プロジェクト

- 難治性疾患等の医療ニーズの高い疾患を対象とした医薬品の研究開発を推進した結果、4件の薬事承認に至った。(臨床研究・治験推進研究事業、難治性疾患実用化研究事業、創薬支援推進事業・希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業：下記承認薬剤)

### AMED支援課題関連の2023年度薬事承認事例

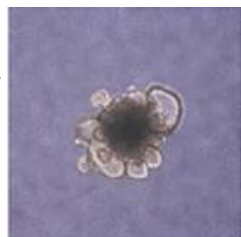
- パリビズマブ(遺伝子組換え)**(シナジス<sup>®</sup>筋注液50mg、同100mg) **(抗体)**  
重症化リスクの高い疾患を有する乳幼児に対するRSウイルス感染による重篤な下気道疾患の発症を抑制する新効能医薬品
- シロリムス(ラパリムス<sup>®</sup>錠1mg、同顆粒0.2%)** **(低分子)**  
難治性脈管腫瘍及び難治性脈管奇形を効能・効果とする新効能・新用量・剤形追加に係る医薬品
- サルグラモステム(遺伝子組換え)**(サルグマリン<sup>®</sup>吸入用250μg) **(ペプチド)**  
自己免疫性肺胞蛋白症を効能・効果とする新有効成分含有医薬品
- アセノイラミン酸(アセノベル<sup>®</sup>徐放錠500mg)** **(低分子)**  
縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーにおける筋力低下の進行抑制を効能・効果とする新有効成分含有医薬品

## iPS細胞を用いた多発性嚢胞腎※1の治療薬候補の発見

### ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

- iPS細胞から腎集合管オルガノイドを作製し、多発性嚢胞腎の病態モデルを作製した。また、このモデルを活用して、嚢胞形成を強力に抑制する薬剤の候補を同定した。

培養7週目

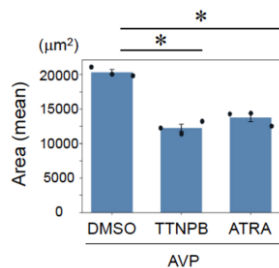


培養10週目



多発性嚢胞腎の腎集合管オルガノイド

薬剤候補として同定したTTNPBやATRAで嚢胞のサイズが縮小



## 空気圧人工筋肉Pneumuscleを搭載した腰部補助スーツに関する研究

### ② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

- 介護現場を支える介護者人口が減少している中、介護者の負担軽減は大きな課題であり、特に介護者の身体的負担が大きいとされる腰部負担の軽減は効率的な介護の実現に向けて重要なポイント。
- R3年度～R4年度に支援を行った本課題において、競合商品と比較検証しながら試作機の改良を重ねた結果、軽量で装着が簡単な、中腰姿勢・前傾姿勢の腰部負担を低減するアシストスーツ「Assist Lumber (アシストラバー)」の製品化を実現。令和5年8月に販売開始。



**Assist Lumber**  
アシストラバー

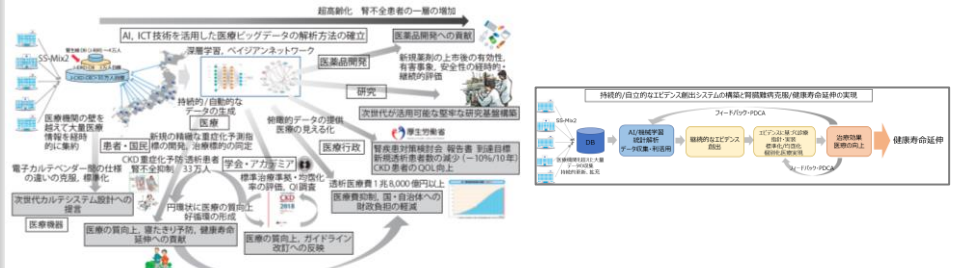
中腰姿勢・前傾姿勢の腰部負担を低減するアシストスーツ



## リアルワールドデータ解析により、IgA腎症の非侵襲的重症化・予測指標を見出す

### ④ ゲノム・データ基盤プロジェクト

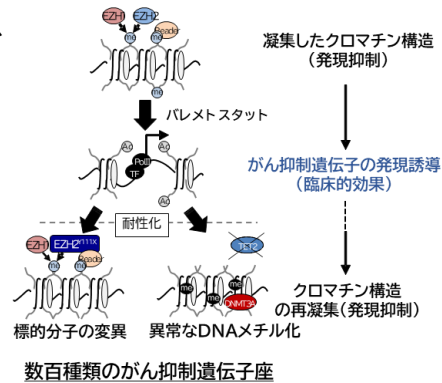
- オールジャパン体制で電子カルテの医療情報を自動的に抽出する精緻、大規模な腎臓病のリアルワールドデータ (RWD)が、日本腎臓学会等の全面的な協力で構築された。
- AMED研究ではこのRWDを人工知能 (AI) の機械学習・深層学習を用いて解析し、指定難病であるIgA腎症の尿を用いた非侵襲的な重症度・予後予測モデルを新たに開発した。難病 (希少疾患) でもリアルワールドエビデンスが得られることを証明した。



## 難治性血液がんに対する新しいエピゲノム治療の有効性と作用機序を解明

### ⑤ 疾患基礎研究プロジェクト

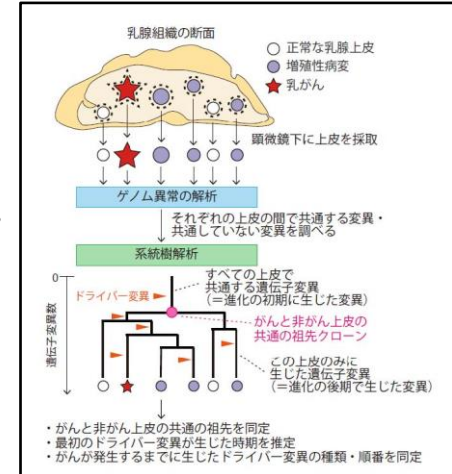
- ヒストンメチル化阻害剤バレメトスタットの治療を受けた成人T細胞白血病リンパ腫(ATL)患者の体内でどのような変化が起こるかを、高精度のマルチオミクス解析技術により詳細に検討した。バレメトスタットの投与により、多くのがん抑制遺伝子の発現は治療開始後から徐々に正常化し、再発・難治のATL細胞の増殖を長期間抑制することを初めて観測し、また長期治療後に発生しやすい薬剤耐性化のメカニズムも明らかにした。
- 本研究成果は、今後、同様の異常を持つ多くのがんに対する新しい治療法への応用が期待される。



## 乳がん発生の進化の歴史を解明

### ⑥ シーズ研究・研究基盤プロジェクト

- 思春期前後の早期に変異を獲得した細胞が、最終的に「がん」と診断されるまでのがんの発症経過の全体像を世界で初めて解明した。
- 正常な乳腺における遺伝子変異の蓄積が加齢だけでなく、エストロゲンの増減も影響を与えることを明らかにした。正常な乳腺上皮細胞に最初に変異が生じてから、乳がんの発症に至るまでのゲノム異常(ドライバー変異)について、遺伝学的・形態学的な過程を解明した。
- 今後、乳がんの発症予防や早期発見、早期治療の開発に貢献すると期待される。



# (参考) 第2期医療分野研究開発推進計画の達成目標の進捗状況

①医薬品プロジェクトの達成目標	最新の数値
<b>&lt;アウトプット&gt;</b>	
非臨床POCの取得件数 25件	168件
創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出件数 10件	8件
臨床POCの取得件数 5件	31件
新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%	82.2%
<b>&lt;アウトカム&gt;</b>	
シーズの企業への導出件数 60件	174件
薬事承認件数(新薬、適応拡大) 10件	28件
創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 120件	239件
研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	36件

④ゲノム・データ基盤プロジェクトの達成目標	最新の数値
<b>&lt;アウトプット&gt;</b>	
・非臨床POCの取得件数 5件	7件
・臨床POCの取得件数 10件	21件
・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 900件	1,452件※
・新たな疾患発症メカニズム解明件数 10件	51件
・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 25件	150件
・データ基盤構築の状況(連携、解析体制を含む)	-
・アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績	328件
・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	2,224件※
<b>&lt;アウトカム&gt;</b>	
・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 25件	51件
・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 15件	22件
・疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 5件	8件

②医療機器・ヘルスケアプロジェクトの達成目標	最新の数値
<b>&lt;アウトプット&gt;</b>	
非臨床POCの取得件数 25件	77件
クラスIII・IV医療機器の開発を計画する採択課題の割合 25%	37%
ヘルスケア関連機器等の実証完了件数 35件	27件
<b>&lt;アウトカム&gt;</b>	
シーズの他事業や企業等への導出件数 15件	50件
クラスIII・IV医療機器の薬事承認件数 20件	7件
ヘルスケア関連機器等の上市等の件数 10件	7件
研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	70件

⑤疾患基礎研究プロジェクトの達成目標	最新の数値
<b>&lt;アウトプット&gt;</b>	
・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 400件	2,506件※
・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	2,759件※
<b>&lt;アウトカム&gt;</b>	
・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 10件	26件

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトの達成目標	最新の数値
<b>&lt;アウトプット&gt;</b>	
非臨床POCの取得件数 25件 [うち遺伝子治療 5件]	105件 [57件]
研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 400件	565件※
治験に移行した研究課題数 20件 [うち遺伝子治療 2件]	35件 [16件]
研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	564件※
臨床研究に移行した研究課題数 [うち遺伝子治療の研究課題数]	15件 [1件]
<b>&lt;アウトカム&gt;</b>	
シーズの他事業への導出件数 30件	63件
企業へ導出される段階に至った研究課題数 10件 [うち遺伝子治療 2件] [うち企業へ導出された件数 2件]	50件 [10件] [28件]
薬事承認件数(新薬、適応拡大) 2件以上	5件
関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況	-
研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	50件
遺伝子治療の製造に関する要素技術の研究開発の進展状況	162件

⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクトの達成目標	最新の数値
<b>&lt;アウトプット&gt;</b>	
・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 550件	1,567件※
・医師主導治験届の提出件数(体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数) 170件	127件
・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	1,094件※
<b>&lt;アウトカム&gt;</b>	
・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 125件	379件
・医薬品等の薬事承認申請の件数 30件	43件

注1：※の項目は、AMEDにおいてクラリベイトIncites Benchmarkingより集計。  
 注2：「最新の数値」は計画開始から令和5年度末までの通算の数値。