

第2期医療分野研究開発推進計画における AMEDの取組と課題、今後の取組の方向性について

令和6年6月14日

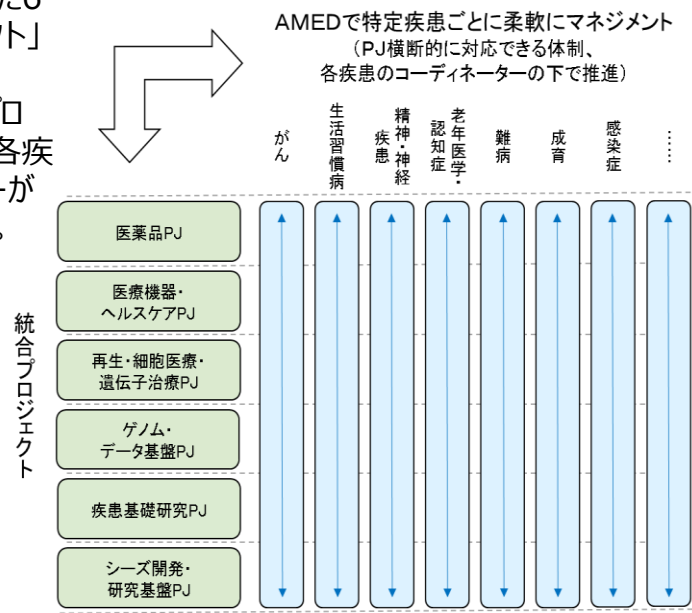
日本医療研究開発機構
理事長 三島 良直

第1期から第2期に当たっての統合プロジェクトの政策的変化

- AMEDでは、各省事業を連携させて一元的に管理する「統合プロジェクト」ごとに研究開発を推進
- 第1期の編成では、モダリティ（技術・手法）等の開発を行うプロジェクトと疾患別のプロジェクトが並列して存在しており、モダリティ等の開発を各疾患に十分に応用できなかった。
- 第2期では、「医療分野研究開発推進計画」の検討の方向性に従い、モダリティ等の6つの領域ごとにプロジェクトを再編し、疾患横断的に研究開発を推進する

【第2期医療分野推進計画】令和2年度～

モダリティ等を軸とした6つの「統合プロジェクト」を推進。
疾患研究は統合プロジェクト横断的に、各疾患のコーディネーターが柔軟にマネジメント。



【第1期医療分野推進計画】平成26年度～

9つの各省連携プロジェクトを推進。

- オールジャパンでの医薬品創出
- オールジャパンでの医療機器開発
- 革新的医療技術創出拠点PJ
- 再生医療の実現化ハイウェイ構想
- 疾病克服に向けたゲノム医療実現化PJ
- ジャパン・キャンサーリサーチPJ
- 脳とこころの健康大国実現PJ
- 新興・再興感染症制御PJ
- 難病克服PJ

【横断型】
【疾患領域対応型】

第2期の統合プロジェクトに対するPD・DCのご意見 1/2

令和4年度から令和5年度にかけて、**統合プロジェクトの全PD6名が参加する統合プロジェクト連携会議を計5回（R4年8月,12月（※）,R5年3月,7月,8月）開催**し、第2期の成果発揮及び第3期に向けた議論を実施。モダリティを軸とした統合プロジェクトと疾患領域の関係とした全体を運営する体制に関して、「有効であった」とするコメントは、以下の通り。（※）R4年12月:DC(疾患領域コーディネーター)6名も参加

(モダリティを軸とした体制)

■機能した点

- ✓ 次世代がん事業は医薬品PJに入り、**がん以外の創薬も学ぶことができてよかった。**
- ✓ モダリティ別になって医薬品開発は位置づけがはっきりし、**研究者も実用化への意識が変わった。**
- ✓ 医療機器・ヘルスケアPJでは、いろいろな疾患を扱っているが、**実用化プログラムで疾患の観点からDCと議論でき有意義**だった。
- ✓ AMEDができて良かったのは、**基礎の研究者が自分の研究がどういう形で臨床に進むのか考えるようになった**こと。モダリティがありながらも、基礎からつなげていければ良い。
- ✓ **モダリティと疾患領域の縦横は良い。**創薬・医療機器開発の視点でどのような開発をすればよいか、そのアウトカムや方針を明確にすることができると考える。
- ✓ 疾患で横串にする事業の重要性を第1期で感じており、**第2期のモダリティと疾患の組み合わせは素晴らしい試み。**

■改善が必要な点

- ✓ 革新がん事業は2期に**5つの統合PJに分割され基礎から臨床までバラバラになった。統合PJを越えた予算の流動性が乏しく、柔軟な予算配分が難しい。**
- ✓ **PD、PS、DCの間の意思疎通を図り、融合しながら支援することを考えなければならない。**

第2期の統合プロジェクトに対するPD・DCのご意見 2/2

(基礎研究)

■機能した点

- ✓ AMEDができて良かったのは、基礎の研究者がどういう形で臨床に進むのか考えるようになった。

■改善が必要な点

- ✓ 基盤技術の活用や異分野からの参入を含めて、基礎研究が出口に向かうための支援も必要。
- ✓ 異分野連携として、情報・数理系との連携や若手のデータサイエンティストの育成が重要。
- ✓ 基礎研究は無理に連携を強いるのではなく、研究者間の情報交換を積極的にすることで連携や研究が進む。

(実用化)

■機能した点

- ✓ AMED-FLuXや実用化プログラムにおいて、早期段階からの実用化に向けた伴走支援を実施。

■改善が必要な点

- ✓ 良いシーズであるが、臨床試験（特にフェーズ2以降）の実施が困難となるケースがある。
- ✓ AMEDの成果を最終目的にするようなところに持っていくために、成果の受け手とのマッチング、マッチングした後の支援の仕方などを考えるべき。
- ✓ 伴走支援の二一ズ増加への対応、伴走支援の結果をどう次に繋げるかが課題。
- ✓ 開発の上流下流の事業間で課題の進捗情報を共有して活用することで、評価プロセスの簡略化・集中化するなどの工夫があってもよく、また、それが実用化の促進や予算の選択的集中に繋がる。

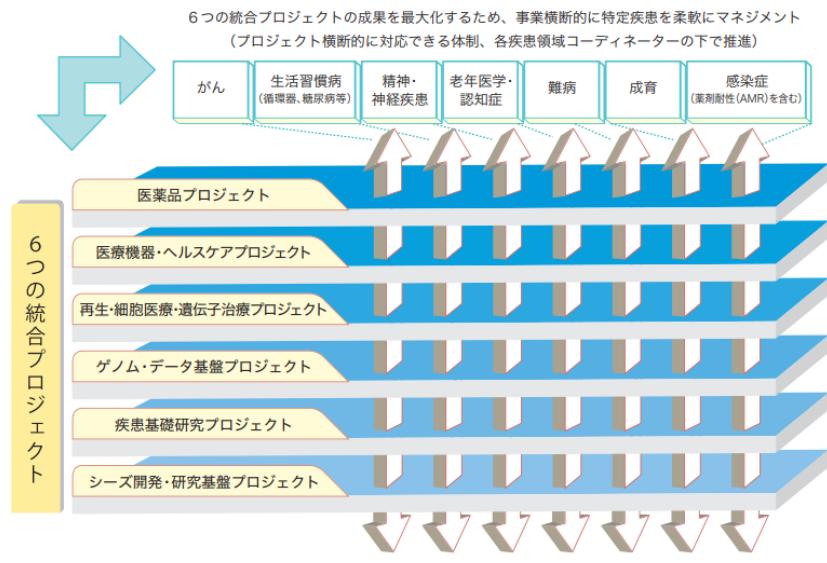
⇒ これらの議論等を踏まえ、昨年11月の健康・医療戦略推進専門調査会において説明

6つの統合プロジェクトでの研究開発の推進

昨年度以降、統合プロジェクト連携推進会議の開催等を通じて、各プロジェクトのPD等の参加のもと、第2期における活動の振り返りや第3期に向けた課題等について継続的に議論を実施。

第2期の取組

- 第2期よりモダリティ等を軸とした6つの統合プロジェクトに再編したことで、医薬品、医療機器開発、再生医療などの開発目的が明確になり、研究者の実用化への意識が変わった
- 第1期は横断型のプロジェクトと疾患別のプロジェクトの別々に配置されていた事業が、第2期で共通の研究開発モダリティのPJに集約されたことで、ドラッグデリバリーシステム（DDS）等の横断的に活用できる新たな医療技術等を様々な疾患に展開が可能になった
- 医薬品PJのAMED-FluX、医療機器PJの実用化プログラム、再生・細胞医療・遺伝子治療PJのネットワークプログラムにおいて、技術開発、規制、企業連携等に向けた戦略構築など多様な視点で、基礎から実用化につなげる伴走支援などの取組を促進



第2期のモダリティ等を軸とした統合プロジェクト体制は、基本的に有効に機能

第3期医療分野研究開発推進計画に向けた検討課題

新たな創薬モダリティの研究開発

創薬力の強化は、我が国の医療研究開発上における喫緊の課題。特に、細胞医療や遺伝子治療等に関わる再生医療等製品については、新規創薬モダリティにおける創薬プロセスの多様化や、実用化までに関わるステークホルダーの多様性を踏まえ、早期段階から開発ステージごとの伴走支援や創薬技術の展開等の取組強化が必要。

臨床研究の更なる充実

臨床研究として進めるシーズの応用研究をさらに実用化（薬事承認）の方向に向けるために、治験薬製造施設等の整備を含めた治験実施拠点の機能強化等による橋渡し研究支援機関・臨床研究中核病院、臨床研究・治験ネットワークのさらなる活性化、ひいては、国際共同治験体制の整備が必要。

データの利活用方策

先進諸国に比して医療情報の電子化と共有に遅れがみられる我が国で、その推進が図られている中、例えば、ゲノム・データ基盤PJで整備したデータをプログラム医療機器で利活用するなど、全ての研究開発において、疾病の診断、治療、予防のためにデータを利活用する研究開発の加速が不可欠。

基礎研究の強化の在り方

基礎研究は、革新的な医薬品、医療機器等の創出につながる優れた研究成果を生み出す源泉。脳科学研究や認知症研究と数理科学・情報科学との異分野連携をはじめとして、疾患特異的な基礎研究と疾患横断的な基礎研究の連携など、イノベーション創出への蓋然性を高める成果の創出促進が重要。

将来起こり得る新たな感染症パンデミックに対する対応

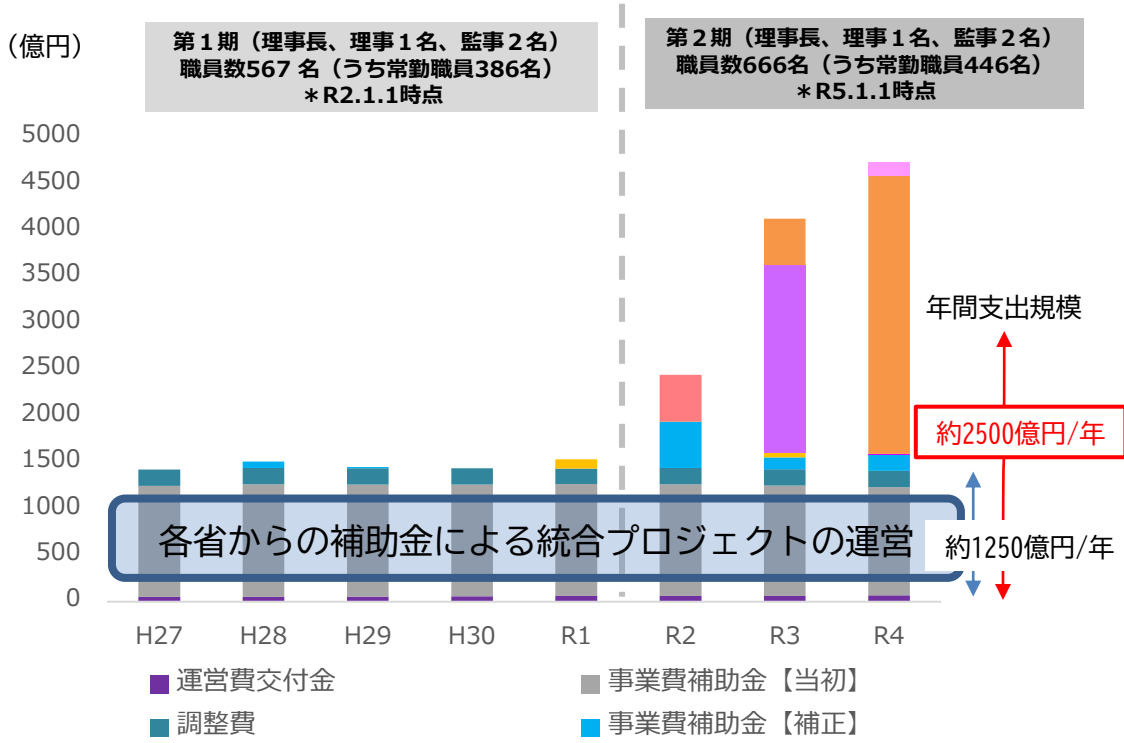
現時点では、政府においてワクチンに関する戦略（ワクチン開発・生産体制強化戦略）のみが策定されており、この戦略に基づいて、SCARDAはワクチンの研究開発に取り組んでいるところ、治療薬・診断薬・基礎研究は主に医薬品PJと疾患基礎研究PJに分散しており、感染症への対応においては、国立健康危機管理研究機構等の連携も考慮しつつ、集約的な政策の下での取組が必要。

第3期医療分野研究開発推進計画に向けた検討課題

- 第1期から継続して実施する各省からの補助金事業を主としたプロジェクト運営に加え、第2期以降、新型コロナへの対応やスタートアップ・ベンチャー支援、新たな産学官連携による研究開発事業への支援等のために複数の基金事業を開始
- 医療分野の研究開発に係るモダリティやステークホルダーの多様性・複雑性が大幅に増大する中で、第3期に移行するこの機に、今後本格化していく業務や役割の増大に応じた体制整備が必要

従来の補助金事業を主とした運営の延長にはない、多様な機関・人材との交流・連携や充実した研究環境整備の推進が必要。(事業期間は、予定)

AMED予算額の推移



先端国際共同研究推進プログラム *R5~未定 61億円
革新的医療技術研究開発推進事業 (産学官共同型) *R4~R9 80億円

先進国等のFA・研究者との国際共同研究を通じた国際頭脳循環の推進や、複数の産学官の連携による「非競争領域」の研究開発の推進

創薬ベンチャーエコシステム強化事業 *R4~R13 10年間 3,500億円

創薬に特化したハンズオンを行うVCを認定。認定VCによる出資を要件に、創薬ベンチャーが実施する実用化開発を支援

(SCARDA関連) ワクチン開発のためのトップレベル研究開発拠点の形成事業 *R4~R8 5年間 515億円
 ワクチン・新規モダリティ研究開発事業 *R4~R8 5年間 1,504億円

国産ワクチン等の実現に向け、世界トップレベル研究開発拠点を整備/感染症有事に国策としてワクチン開発を迅速に推進するため、機動的に感染症ワクチンの開発等を支援

ワクチン開発推進事業 (新型コロナ対策関連) *R2~R6 5年間 500億円

ムーンショット型研究開発事業 *R2~R9 8年間 150億円

我が国発の破壊的イノベーションの創出を目指し、従来技術の延長にない、より大胆な発想に基づく挑戦的な研究開発を推進

第2期中長期計画における評価指標の達成状況

5年間の目標設定がある指標33項目のうち、4年間で28項目の目標を達成済み

①医薬品PJ	目標	達成状況
○非臨床POCの取得	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	10件	8件
○臨床POCの取得	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%
●シーズの企業への導出	60件	174件
●薬事承認（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	120件	239件

②医療機器・ヘルスケアPJ	目標	達成状況
○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
●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

③再生・細胞医療・遺伝子治療PJ	目標	達成状況
○非臨床POCの取得（うち遺伝子治療）	25件（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（うち遺伝子治療）	20件（2件）	35件（16件）
●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（うち遺伝子治療）	10件（2件）	50件（10件）
●企業へ導出された件数（うち企業へ導出された件数）	（2件）	（28件）
●薬事承認件数（新薬、適応拡大）	2件以上	5件

④ゲノム・データ基盤PJ	目標	達成状況
○非臨床POCの取得	5件	7件
○臨床POCの取得	10件	21件
○研究成果の科学誌（IF5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
●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

⑤疾患基礎研究PJ	目標	達成状況
○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※
●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

⑥シーズ開発・研究基盤PJ	目標	達成状況
○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
●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

□達成率100%未満
 ■達成率100%以上300%未満
 ■達成率300%以上
 ○アウトプット指標
 ●アウトカム指標


注1：※の項目は、AMEDにおいてケリベイトIncites Benchmarkingより集計
 注2：「達成状況」は、令和2年度から令和5年度末時点の累計数

第2期中長期計画において薬事承認に到った事例

各プロジェクトの研究開発成果から40品目が薬事承認に到った。

医薬品 **新たなアプローチにより患者負担が軽減される希少がん治療薬**
【新薬】


- 有効な治療法が十分でなく、日本で年間新規患者数が約1000人発症する希少疾患「再発又は難治性の成人T細胞白血病リンパ腫」に対する**有効な治療薬**を提供した
- ヒストンメチル化酵素EZH1/2を選択的に阻害する新たなアプローチの医薬品であり、**特異性が高く、副作用が少ないため、1日1回経口投与になり、患者負担が軽減される**



エザルミア (令和4年9月承認)

医薬品 **外科的処置・対症療法が中心であった小児難病に薬剤療法を提供**
【適応拡大】


- 小児期に発生し、**外科的処置や対症療法中心であった難治性リンパ管疾患**に対して、**既承認薬を用いた適用拡大が承認され、新しい治療選択肢を提供**、年間発症患者数の半数程度に投与されている
- 難治性脈管腫瘍及び難治性脈管奇形への適応追加、**顆粒剤の承認も取得できたことで、乳幼児から小児までの幅広い年齢層に医薬品の提供が可能**になった
- 効果も高く、症状が治まり進学や就職など今まで諦めていたことができるようになり、**患者のQOL向上に大きく貢献した**



ラリムス (令和3年9月承認、令和6年1月適応追加・剤形追加)

医療機器 **小児の術後QOLを改善させる心・血管修復パッチ**

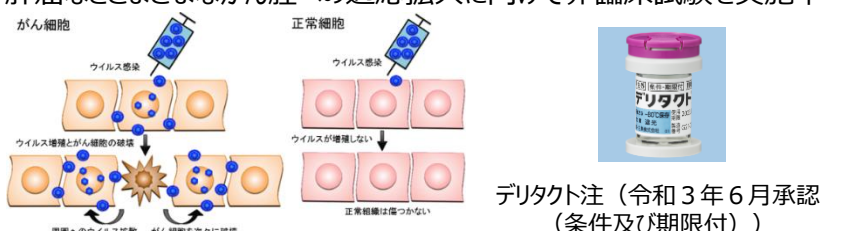
- 身体の成長に合わせて材料の伸長が必要となる**先天性心疾患の小児**に対して、**再手術の低減が期待できるパッチを開発**
- 医療現場のニーズを起点に、中小企業の繊維技術と大企業のポリマー解析技術を持ち寄り創出されたイノベティブな医療材料



シンフォルム (令和5年7月承認)

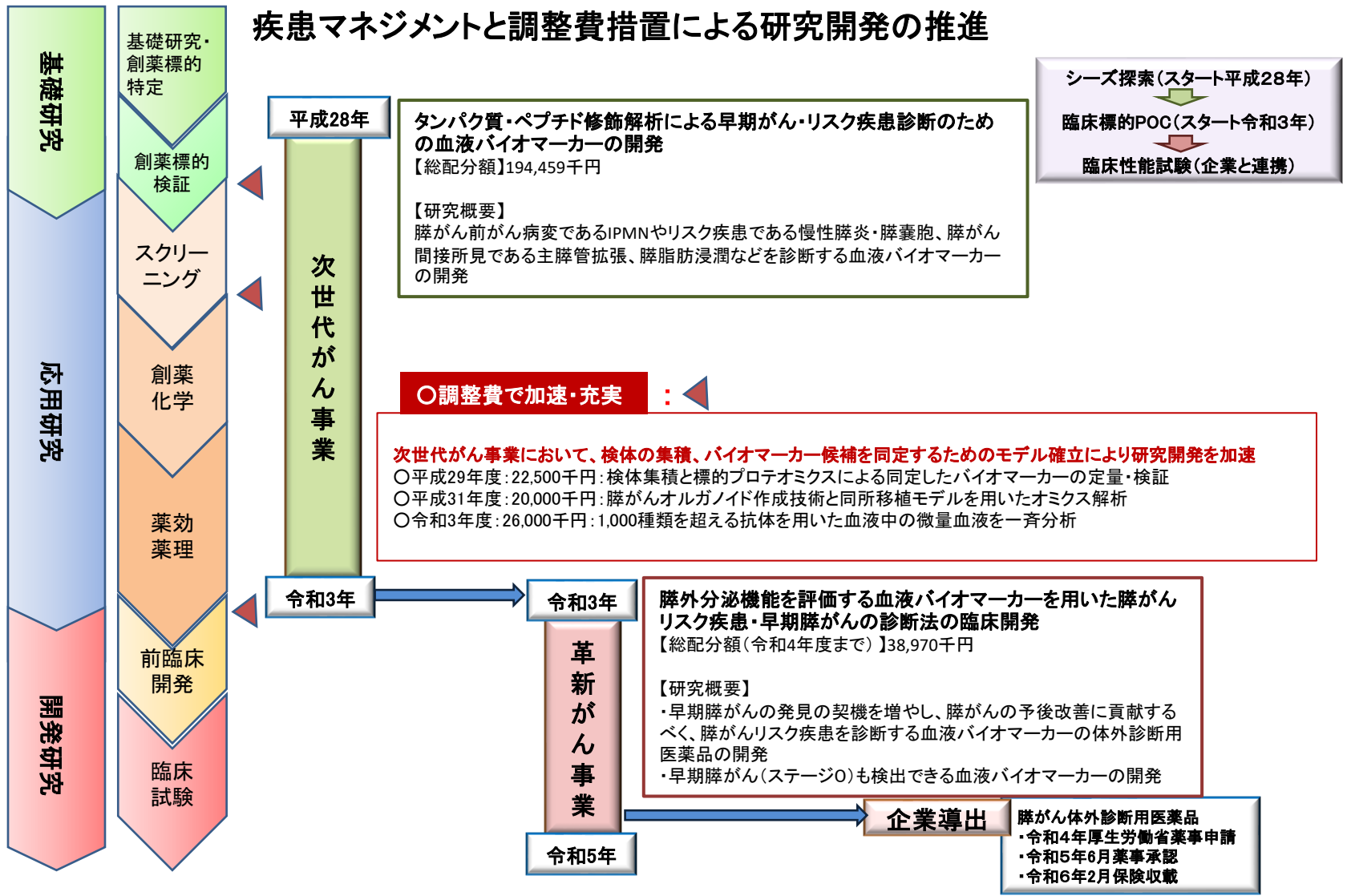
再生・細胞医療・遺伝子治療 **既存の治療が効かないがん幹細胞を根絶し得る日本初のウイルス療法**

- **がん細胞に感染させたウイルスが増えることによって直接がん細胞を破壊する全く新しい機序によるがん治療ウイルス療法として、日本で初めて実用化**
- 現在の悪性神経膠腫への適応に加え、消化管癌、頭頸部癌、血液がん、肝癌などさまざまながん腫への適応拡大に向けて非臨床試験を実施中



デリタクト注 (令和3年6月承認 (条件及び期限付))

事業間連携による研究開発推進の事例(膵がん早期診断薬の開発)



AMEDの今後の取組の方向性について 1/3

(統合プロジェクトの構成の考え方)

- 健康・医療戦略及び医療分野研究開発計画における「統合プロジェクト」という政策的打ち出しが、研究現場への大きなメッセージとなる。
 - 昨年来、専門調査会等で説明してきたとおり、第2期のモダリティ等を軸とした統合プロジェクトの構成は、

- ① 医薬品、医療機器開発などの開発目的が明確になり、研究者の実用化への意識が変化
 - ② ドラッグデリバリーシステム（DDS）等の横断的に活用できる新たな医療技術等の様々な疾患への展開
 - ③ 医薬品のAMED-FLUX、医療機器の実用化プログラム等において、技術開発、規制、企業連携等に向けた戦略構築を多様な視点で基礎から実用化につなげる伴走支援

など、まだ課題はあるものの、有効に機能しつつあることから、第3期の基本とすべきと考える。
 - 基礎研究・シーズ創出に始まり、モダリティ等を軸として研究開発を進め、臨床・実用化とエコシステムに繋げる。これらを全体俯瞰的に捉えるとともに、第2期中から特に対応を求められてきている橋渡し・臨床加速化、実用化までのハンズオン支援、感染症、基礎研究と人材育成の強化に対応していくことが必要。
 - 疾患領域からのマネジメントも引き続き重要であり、統合プロジェクトとの親和性も考慮したより戦略的な研究マネジメントを遂行できる体制の構築及び事業配置の最適化が必要。また、胎児期から老年期までのライフコースに繋がりを持たせる必要のある疾患研究については1つの統合プロジェクトにまとめることが適切である。
- ⇒ これら統合プロジェクトを、AMED内外の連携を含め、実態として効果的・有機的により高いレベルで繋げていくには、AMED予算の柔軟性や推進体制の整備、一層のシンクタンク的な機能等が重要であると思料。

AMEDの今後の取組の方向性について 2/3

(創薬力及び研究開発力の向上、それらエコシステムの実現)

- 医薬品プロジェクトでは、アカデミア発の有望シーズの創薬プロセスのガイド役を担う会議の創設 (AMED-FLuX) 等により、評価指標を大きく超える成果、また、いくつか薬事承認に至った事例も出ている。
 - 一方、創薬開発の後期では、資金需要が大きくなり、また、モダリティやステークホルダーの多様性・複雑性が増すため、それらを繋ぎ合わせていく必要がある等、求められる業務や役割、出口も変わってくる。(現在のAMEDの研究開発費は、主として早期の臨床試験までを対象として設計されている。)
 - 基礎・応用段階から実用化段階まで一貫した研究開発を推進するためには、事業の対象や予算が措置されている範囲が整理されていることが重要。また、成功事例の要因分析や進捗していない事例の原因分析等についても、関係府省と連携して進めていければと考えている。
 - また、基礎研究には研究者発意を含めた生態や病態の原理解明などがあり、欧米では創薬の主流となりつつある。アカデミアシーズやその人材の多様性と厚みの確保に始まり、それらを実用化に向けて橋渡しをし、大学病院等の臨床試験や治験に繋いでいく拠点形成やハブ機能の強化等の基盤構築に取り組んできている。
- ⇒ 今後はさらに、創薬力及び研究開発力の向上、それらエコシステムの実現に向けて、各プロジェクト・事業の連携や実用化を目指すAMED事業のルール作り (データの再現性等) を含めた支援パッケージを検討中。

AMEDの今後の取組の方向性について 3/3

(各省事業間の連携と成果展開)

- 同じ統合プロジェクト内に配置される事業それぞれが相互に、政策上の繋がりや整合性、それに見合った事業設定となっているか、また、それらがAMEDを含めた関係府省間で検討段階から摺り合わされていることがまず重要。
 - 実用化には医薬品や医療機器、再生・遺伝子治療、医療技術等があり、全てが同じ出口を意識したものではなく、事業それぞれの目的や特徴に適した形で進めていくものと思料。
 - また、中長期的な視点に立ち、分野連携も意識しつつ基礎研究を充実させ、絶え間ないシーズ創出をすることが重要。
- ⇒ 事業間連携と成果展開には、馴染む事業とそうでない事業があるが、がんや再生医療の領域では、これまでも実績があり、関係府省と調整の上、試行的な導入が考えられる。
また、親和性のある事業が適時でない場合においてシームレスに支援するためには、現状の調整費をより柔軟な研究費とし、それを活用した開発促進も有効と思料。

第3期に向けた検討の全体イメージ

- 第2期のモダリティ等を軸とした統合プロジェクト構成は、**まだ課題はあるものの、有効に機能しつつあることから、第3期の基本**とすべきと考える。
- **基礎研究・シーズ創出に始まり、モダリティ等を軸として研究開発を進め、臨床・実用化とエコシステムに繋げる。これらを全体俯瞰的に捉える**とともに、第2期中から特に対応を求められてきている**橋渡し・臨床加速化、実用化までのハンズオン支援、感染症**といった課題に対応することが必要である。
- これらを進めていくに当たっては、**全てのプロジェクトにおいて環境整備及び人材育成**を行っていくべきである。

