

# 医薬品プロジェクトにおける実用化推進について

---

**第3回 がん研究の推進の在り方に関する検討会**  
**令和3年3月23日(火)**

**日本医療研究開発機構(AMED)**  
**創薬事業部 医薬品研究開発課**

# 1. 医薬品プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
令和3年度予算額336億円

インハウス研究機関経費  
令和3年度予算額47億円

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

■ 文科省、■ 厚労省、■ 経産省

医薬品の実用化に向けた研究開発

● 次世代がん医療創生研究事業：  
がんの生物学的本態解明研究等による創薬シーズの導出  
予算額36億円

● 革新的がん医療実用化研究事業：  
個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発や  
免疫療法等をはじめとする新しい治療開発を推進  
予算額23億円

連携

● 難治性疾患実用化研究事業：核酸医薬などの新規モダリティ等の治療薬開発  
予算額37億円

● 新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業：  
有効性の高いワクチン、迅速診断薬、感染症治療薬の開発  
予算額20億円

● 腎疾患実用化研究事業 / 免疫アレルギー疾患実用化研究事業 / 肝炎等克服実用化研究事業 / 成育疾患克服等総合研究事業  
予算額3億円

● 医療分野研究成果展開事業(産学連携医療イノベーション創出プログラム)：  
産学連携による大学・ベンチャー等のシーズ研究開発推進  
予算額5億円

実用化研究開発

実用化研究開発への応用

モダリティ研究への  
フィードバック

モダリティ技術開発

革新的な創薬技術・手法の研究開発推進

● 先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業：  
バイオ医薬品の高機能化、医薬周辺技術、要素技術の研究開発  
予算額13億円

● 創薬基盤推進研究事業：  
開発過程の迅速化等に向けた新規モダリティの創薬技術開発支援、産学共同研究  
予算額22億円

モダリティ技術開発と実用化への連携  
中分子、核酸医薬等のデザイン構築研究や  
DDS・製剤化研究開発等

● 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業：  
企業等とともに事業化を志向した製造技術開発及び  
実用化のための基盤技術開発を実施  
予算額63億円

連携促進・基盤構築

● 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業：  
創薬等のライフサイエンス研究に資する高度な技術や施設等を共用する先端研究基盤を整備・強化  
予算額38億円

● 創薬支援推進事業：アカデミアシーズを三法人等による支援(\*)により企業導出

(\*)創薬支援ネットワークにおける理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所 ※希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業では  
臨床研究・治験フェーズの一部まで支援を実施  
予算額36億円

● 医薬品等規制調和・評価研究事業：最先端技術を用いた医薬品・医療機器等の適切な評価方法を開発する等、評価基盤を構築  
予算額11億円

企業・ベンチャー等による  
研究・実用化の推進

実用化(市販・医療現場への普及等)

医薬品実用化研究開発

創薬技術開発

基盤

他PJのシーズ  
研究等と連携

● 臨床研究・治験推進研究事業：  
革新的医薬品の創出を目指す質の高い臨床研究、医師主導治験等を支援  
予算額30億円

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

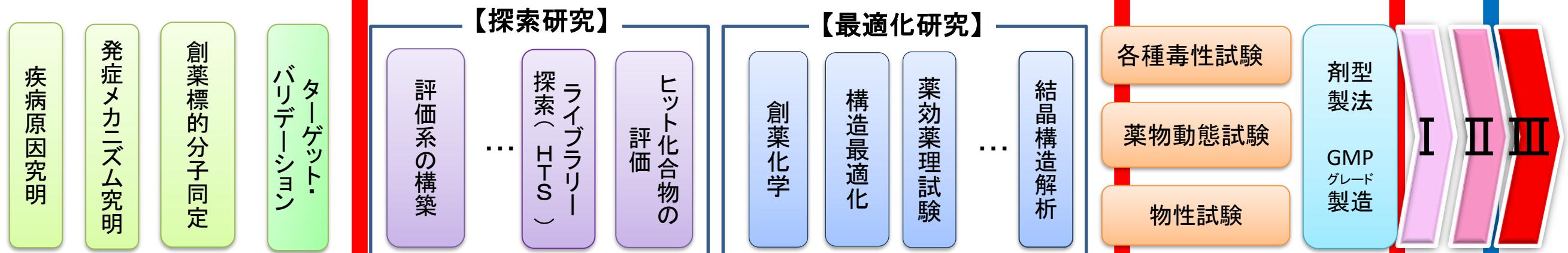
# 医薬品の研究マネジメント（ステージゲートの設置時点）

## 大分類



## 医薬品開発

(流れは低分子の例)



## ステージゲート

①

②

③

④

- ① 創薬標的検証終了時点
- ③ 臨床第 I 相開始前時点

- ② 前臨床開発開始前時点
- ④ 探索的試験終了時点

# AEMD医薬品プロジェクト各事業の特徴

- 医薬品プロジェクトの関連各事業は、以下のような特徴を有している。
- 各事業の特性を生かして、事業間連携を推進し、実用化を推進していく。



事業名	概要	特徴
先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業	バイオ医薬品の創出に関する要素基盤技術開発、最適化を実施	<b>バイオ医薬品に係る基盤技術</b> の創出
創薬基盤推進研究事業	創薬の基盤技術に係る研究推進（新薬候補物質の効率的な選定等に向け、迅速化・効率化）	<b>創薬ターゲット創出から製造技術開発まで創薬基盤</b> について幅広い研究開発を実施
次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業	いくつかの個別プロジェクトを設定し、先制医療、個別化医療といった次世代治療・診断の実現を推進	<b>製薬企業等とともに事業化を志向</b> した製造技術及び実用化のための <b>基盤技術開発</b> を実施
創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業（BINDS事業）	放射光施設、クライオ電顕、化合物ライブラリーなどの大型設備を整備・維持し、積極的に外部解放	<b>広く創薬プロセスについてアカデミアの支援を無料で実施</b> できる体制を整備している
次世代がん医療創生研究事業	がんの生物学的本態解明に迫る研究、患者の臨床データに基づいた研究及びこれらの融合研究	<b>がんの創薬ターゲット探索</b> を中心として、ターゲットの妥当性を明らかにする研究を中心に実施
革新的がん医療実用化研究事業	応用領域後半から臨床領域にて、革新的な診断・治療等、がん医療の実用化を目指した研究	<b>がんの非臨床試験から臨床試験まで</b> を中心に研究開発支援を実施
難治性疾患実用化研究事業	難病に対して、病因・病態の解明、画期的な診断・治療法の開発を推進	医薬品PJでは <b>難病にかかるシーズ探索から臨床試験まで</b> を幅広く実施
新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業	感染症の基礎研究及び基盤技術開発から、診断法・治療法・予防法の開発等の実用化研究まで	医薬品PJでは <b>感染症にかかる基盤技術開発から臨床試験まで</b> を幅広く実施
腎、免アレ、肝炎、成育疾患事業	左記疾患に対する治療法の確立に資する研究開発を推進	疾患ターゲットに対して、 <b>非臨床試験や臨床試験などのシーズ開発</b> を推進。
医療分野研究成果展開事業（ACT-M、ACT-MS）	アカデミア発の技術シーズについて、産学連携による研究開発を支援	製薬企業等が参画し、 <b>基礎研究完了後から臨床前までの産学連携の共同研究開発</b> を対象
創薬支援推進事業（創薬ブースターなど）	アカデミア発の実用化の可能性が高い創薬シーズの支援など、医薬品の実用化に様々な支援	製薬企業の開発ノウハウを生かし <b>AMEDが主体的に企業導出までを担い、創薬シーズの支援</b>
橋渡し研究戦略的推進プログラム【シーズ開発・研究基盤PJ】	シーズ開発を積極的に支援するための体制を整備し、アカデミア等の基礎研究を実用化に繋ぐ	<b>橋渡し研究支援拠点により、基礎研究から臨床試験までの実用化</b> に向けた研究開発を支援
臨床研究・治験推進研究事業	質の高い臨床研究・医師主導治験等を支援	疾患領域を問わず、 <b>医療ニーズの高い領域における医師主導臨床試験</b> の実施



# 日本医療研究開発機構 (AMED) の 最新の取組状況と研究開発推進体制について

---

令和2年8月3日  
日本医療研究開発機構理事長  
三島 良直

# 医薬品プロジェクトの推進方針

プログラムディレクター  
岩崎 甫

医薬品PJ

医療機器・  
ヘルスケアPJ

再生・細胞医療・  
遺伝子治療PJ

ゲノム・  
データ基盤PJ

疾患基礎研究PJ

シーズ開発・  
研究基盤PJ

# 1. 医薬品プロジェクトの推進方針

## プロジェクトの概要

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、大学や産業界と連携し、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、品質・有効性・安全性評価法や製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発や規制科学を推進してアカデミア等から生み出される革新的なシーズの活用を図り、さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

## 具体的な研究開発内容

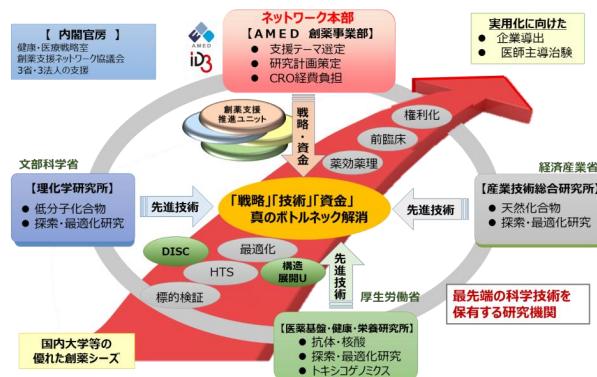
### ● 創薬基盤技術の高度化

産学官共同創薬研究プロジェクトなど創薬の基盤技術に係る研究により、革新的な医薬品の創出や実用性の高い医薬品関連技術の確立を目指す。



### ● アカデミア創薬の支援

ライフサイエンス研究の成果を医薬品等の実用化につなげることを目的とし、放射光施設やクライオ電子顕微鏡などの大型施設・設備を整備・維持、積極的共用を行う。また、創薬支援ネットワーク構成機関が保有する創薬技術や設備等を活用し、HTS、構造最適化、非臨床試験等を切れ目なく支援する。



### ● 疾患横断的な創薬研究の推進

がん、腎疾患、免疫アレルギー疾患、成育疾患、難病、新興・感染症、肝炎等の疾患の観点から、創薬標的の探索から臨床研究に至る、医薬品開発を推進する。



### ● 日本の臨床研究や治験の更なる活性化

日本で生み出された基礎研究の成果を薬事承認に繋げ、革新的な医薬品・医療機器を創出すること等を目指して、基礎研究の成果を治験等に適切に橋渡しするための非臨床試験や、科学性及び倫理性が十分に担保され得る質の高い臨床研究等を推進する。

# 1. 医薬品プロジェクトの推進方針

## プログラムディレクターとしての推進方針

### <第1期の取り組み>

- 第一期の5年を通じて、様々な事業を通してアカデミアシーズの発掘・育成に努力し、またその環境の整備を図ってきており、その成果も現れ始めている。KPIとして設定されている「企業への導出」が220件を超えていることがそれを物語っている。
- また、特に、AMED設立以降、産学官の距離が縮まったと感じられる。

### <世界的研究開発動向>

- 近年の画期的新薬の源泉の多くはアカデミアである。
- 欧米等の先進国以外の国でも研究開発力を増強しており、そのため競争が激化している。また、モダリティの多様化が進み、より高度な創薬研究が必要となってきた。

### <第2期の推進方針（PDとしての重点化課題）>

- 第一期において推進された創薬研究の状況を詳細に把握し、また課題を抽出して解決策を講じることにより、成果を実際に臨床の現場により多く提供する。今後、この方向性をより明確にして、日本の持つ高い新薬創出のポテンシャルを具現化する施策が求められる。
- 具体的な取組としては、異分野融合による新規性の高いシーズ創造に向け、大学等のアカデミアとの連携をより強固なものとする。
- 医薬品プロジェクトでは、患者に有効で安全な医薬品を速やかに届け、世界最高水準の医療を提供するという最終的アウトカムを目指した事業運営やAMEDの他の事業も含め関係各方面との広範な連携の在り方について、実例を踏まえ具体的な方策についての検討に着手している。
- 関係省庁におかれては、こうした検討を踏まえ、2022年度予算要求への反映など必要な措置についてご検討をお願いしたい。
- また、新型コロナウイルス感染症に対する治療薬やワクチン開発については、喫緊の対応として優先的に行っていくたい。

# アカデミア発創薬技術・シーズの実用化 推進に向けて

---

令和2年10月27日  
第1回 医薬品開発協議会

山梨大学 副学長 融合研究臨床応用推進センター長

岩崎 甫

# アカデミア発創薬技術・シーズの実用化推進に向けて①

## ■ 本協議会での検討に向けて

- ① 第1期の取組により、アカデミア発の創薬技術・シーズについて実用化を推進するツールは揃ってきている。各事業については、関係省庁により獲得された予算をもとに課題を採択し、PDPSP体制にて個別課題の進捗管理を行ってきた。
  - ② これを如何にして連結させ、有効に機能させていくかが、第2期における医薬品プロジェクトの課題の一つと認識している。特に、疾患系研究がモダリティ毎に分類され実用化に向けた取組を進めやすい環境となっており、PDとしてしっかりと推進していく。
  - ③ 他方で、本協議会では、**医薬品研究開発の推進に向けて、マクロの視点で課題を抽出し、関係省庁にまたがる総体的な議論が重要**と考える。
- 以上の考え方に基づき、本資料を取りまとめた。

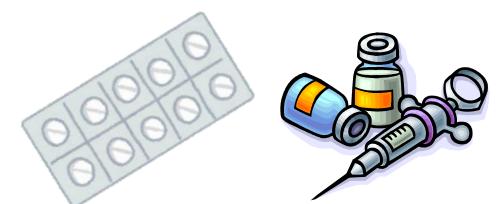
## ■ 研究開発を推進すべき領域に対する考え方

- 現在、期待されている主な研究開発領域は以下のとおり。
- ① 基盤技術-Technology Drivenの開発推進
  - ・低分子：AIを活用した創薬プロセスの強化
  - ・中分子（核酸医薬、ペプチド）：新たなモダリティ領域としての技術開発
  - ・バイオ医薬品：次世代抗体技術の開発、製造技術の高度化
  - ・共通の基盤技術としてドラッグデリバリーシステム（DDS）関連技術の推進
- ② シーズ開発
  - ・シーズの枯渇が懸念される中、創薬ターゲットから有望なシーズの創出までを、産学官の連携などにより推進
  - ・特に、小児、希少疾患など一企業だけではなかなか手が出しづらい分野に対しては、AMED研究として積極的に取り組む必要
- ③ 医師主導治験
  - ・新薬の薬事承認に向けて、質の高いエビデンス創出に向けた取組
- ④ レギュトリーサイエンス
  - ・革新的技術に対する品質・有効性・安全性の評価技術の開発及び標準化など
- ⑤ 人材育成
  - ・若手研究者、製造技術関連人材の育成

→これらについては、AMED事業において既に進められており、**取組の継続・充実が望ましい**。特に、新型コロナウイルス感染症を契機として、日本の創薬基盤環境整備をより強化していく必要があると感じている。

## ■ さらなる実用化推進に向けた今後の課題について

- 第一期の5年を通じて、様々な事業を通してアカデミアシーズの発掘・育成に努力し、またその環境の整備を図ってきており、その成果も現れ始めている。特に、AMED設立以降、産学官の距離が縮まったと評価できるが、更なる実用化推進に向けた今後の課題としては、以下の点があげられる。
- ① 実用化に向けた研究開発の推進
  - ・研究成果の社会実装、すなわち薬事承認につながるよう支援が必要
  - ・実用化に向けて、企業への導出が有効な手段であるが、**アカデミア側と産業界側にシーズに対する捉え方のギャップがなおも存在**。
  - ・企業導出に至らない場合は、アカデミアで研究開発を進めることになるが、**基礎研究、応用研究、臨床研究までの研究開発へのつなぎの充実が重要**。
  - ・特に、構造最適化や非臨床安全性試験などいわゆる**死の谷と呼ばれてきた研究開発ステージをどのように超えていくか**が依然として難しい課題。
  - ・AMED研究課題に対しては、一つ一つ丁寧な進捗管理が必要であるが、限られた予算を有効に活用していくためには、**産業界の意見も考慮しながら如何に優れたシーズを見出すか（目利き機能）**が一つの課題。
- ② 第一期の取組の実用化
  - ・第一期の研究開発課題で、**最終的に実用化までつながったかどうか把握することが重要**。
- ③ 事業運営の効果向上に向けた措置
  - ・個々のシーズの特徴によらずある程度類似する**非臨床安全性試験のより効率的・効果的な運用**や他律的要因が大きい**治験等のより柔軟な計画設定を容易にする方策を検討する余地はないか**（例えば、現状では、公募の際に研究実施期間が限られているが、長期間の試験を必要とする研究者でも適切な支援が受けやすくなる仕組み）。
- ④ 確実に実用化につながるための仕組み
  - ・アカデミアとして治験まで進めたとしても、特に採算がとりづらい疾患領域では、企業が引き取るかどうか先行きが見えない状況で進めることとなる。**最終的に企業側が確実に引き取るための仕組み作りなどについて検討の余地はないか**。



# アカデミア発創薬技術・シーズの実用化推進に向けて②



■ 創薬ターゲット創出の推進

→如何に優れたシーズを産みだし続けるか

■ シーズ開発の推進

→如何に目利き機能を働かせ、開発をつなげていくか

■ 非臨床試験・治験の推進

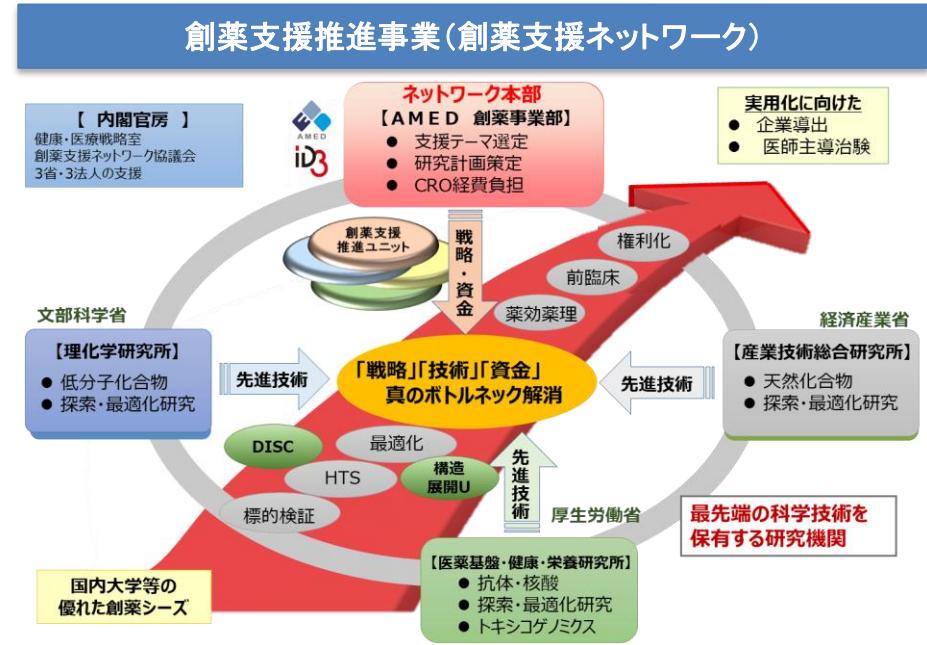
→効果的な運用

- 基盤技術の研究開発推進
- レギュラトリーサイエンスの推進
- 人材育成の推進
- 企業導出の推進

→確実な導出の仕組み検討

→実用化アウトカムの把握

(参考) 医薬品プロジェクトにおけるアカデミア創薬支援



# 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業

## 概要

我が国の優れた基礎研究の成果を医薬品等としての実用化につなげるため、創薬等のライフサイエンス研究に資する高度な技術や施設等を共用する先端研究基盤を整備・強化して、大学・研究機関等による創薬標的探索研究や作用機序解明に向けた機能解析研究等を支援する。

創薬支援ネットワーク、先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業等のAMED事業、製薬企業やベンチャー等との連携協力

### 構造解析ユニット

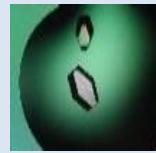
タンパク質構造解析手法による創薬標的候補分子の機能解析や高度な構造生命科学の支援等

#### タンパク質構造解析



- ・世界最高水準の放射光施設
- ・最新型クライオ電子顕微鏡等を活用

#### タンパク質試料生産



- 膜タンパク等高難度タンパク質試料の生産（発現、精製、結晶化及び性状評価など）

### 技術基盤の活用 創薬標的候補の探索

#### ヘッドクォーター 〔PS/PO〕

ユニット間連携や先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業等との連携を促進

### ケミカルシーズ・リード探索ユニット

化合物ライブラリー提供、ハイスループットスクリーニング、有機合成までの一貫した創薬シーズ探索支援等

#### 化合物ライブラリー

大規模な化合物ライブラリーを整備し外部研究者等に提供



#### スクリーニング（HTS）

ハイスループットスクリーニング（HTS）を支援



#### 有機合成

化合物の構造最適化や新規骨格を持つ化合物合成を支援



### バイオリジカルシーズ探索ユニット

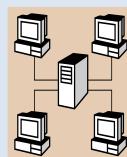
構造解析等で見出された創薬標的候補の臨床予見性評価やHTSヒット化合物の活性評価の支援等



- 疾患モデル動物やヒト疾患組織等に対するオミクス解析などの支援
- ・ゲノム解析
- ・非臨床評価（探索的ADMET）

### プラットフォーム 機能最適化ユニット

情報の統合・分析等による創薬等研究戦略の支援等



データベース構築・公開解析ツール活用支援等

### インシリコユニット

生物試料分析（Wet）とインフォマティクス（Dry）の融合研究による創薬標的候補の機能推定や化合物ドッキングシミュレーションの支援等



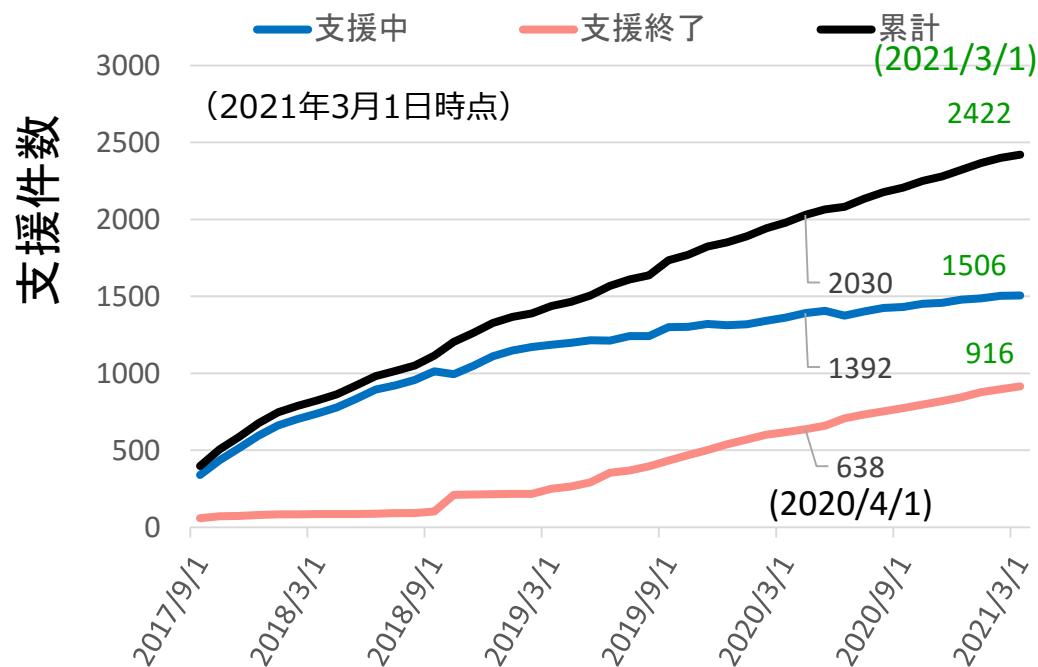
構造インフォマティクス技術によるタンパク質立体構造や生体分子や化合物との相互作用の推定等

幅広いライフサイエンス研究者による基礎研究

# 支援件数とその内訳（参考：令和3年3月時点）

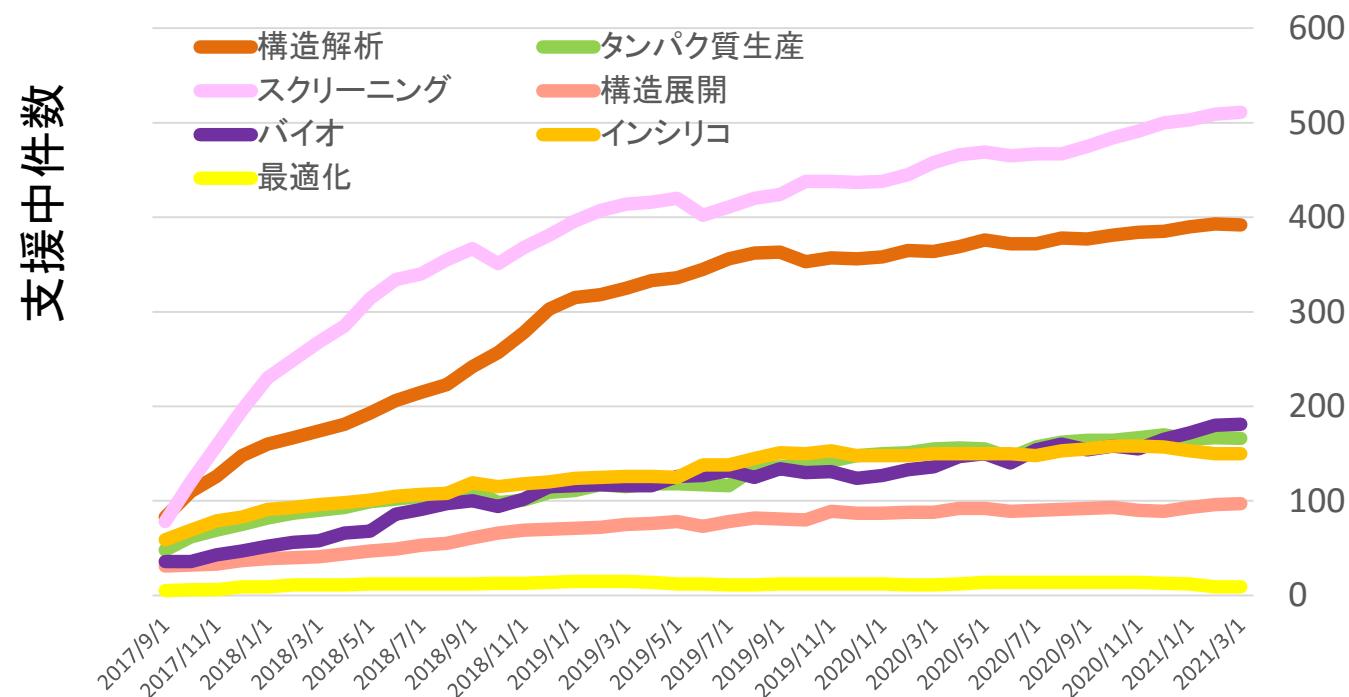
## 支援件数の推移（全体）

● 支援件数・支援終了件数は堅調に増加。



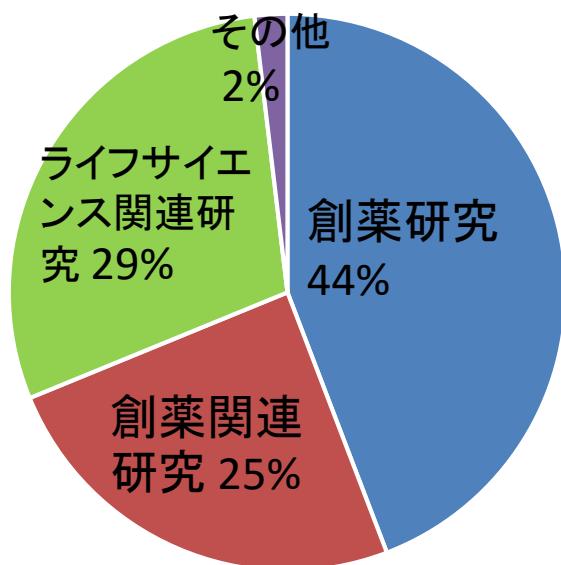
## 支援中件数の推移（ユニット別）

● ユニットにより支援件数に偏り。



## 支援の内訳

● 創薬研究のみならず、ライフサイエンス研究全体を幅広く支援。



ユニット/領域	創薬研究	創薬関連研究	ライフサイエンス関連研究	その他	合計
構造解析領域	54	176	244	29	503
タンパク質生産領域	48	117	119	7	291
ライブラリー・スクリーニング領域	678	0	47	1	726
構造展開領域	104	16	13	4	137
バイオリジカルシーズ探索ユニット	32	107	148	0	287
インシリコユニット	37	106	55	0	198
プラットフォーム機能最適化ユニット	2	10	7	0	19
<b>合計</b>	<b>955</b>	<b>532</b>	<b>633</b>	<b>41</b>	<b>2161</b>