

ライフサイエンスに関する 研究開発課題の中間評価結果

令和4年3月

科学技術・学術審議会

研究計画・評価分科会

科学技術・学術審議会 研究計画・評価分科会
ライフサイエンス委員会（第11期）委員

（敬称略、50音順）

有田 正規	国立遺伝学研究所教授
岡田 随象	大阪大学大学院医学系研究科遺伝統計学教授
加藤 忠史	順天堂大学大学院医学研究科精神・行動科学教授
金倉 譲	一般社団法人住友病院院長
金田 安史	大阪大学理事・副学長
鎌谷 洋一郎	東京大学大学院新領域創成科学研究科教授
上村 みどり	帝人ファーマ株式会社生物医学総合研究所 上席研究員
木下 賢吾	東北大学大学院情報科学研究科教授 東北大学東北メディカル・メガバンク機構副機構長
熊ノ郷 淳	大阪大学大学院医学系研究科呼吸器・免疫アレルギー内科学教授
倉根 一郎	国立感染症研究所名誉所員
古関 明彦	理化学研究所 生命医科学研究センター副センター長
後藤 由季子	東京大学大学院薬学系研究科教授
鹿野 真弓	東京理科大学薬学部薬学科教授
鈴木 蘭美	モデルナジャパン株式会社プレジデント代表取締役
武部 貴則	東京医科歯科大学医学部統合研究機構教授
谷岡 寛子	一般社団法人日本医療機器産業連合会臨床評価委員会委員長、 京セラ株式会社メディカル事業部薬事臨床開発部責任者
辻 篤子	中部大学特任教授
豊島 陽子	東京大学大学院総合文化研究科特任研究員
中釜 斉	国立がん研究センター理事長
中村 幸夫	理化学研究所バイオリソース研究センター細胞材料開発室室長
○ 西田 栄介	理化学研究所生命機能科学研究センター長
畠 賢一郎	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング代表取締役
◎ 宮園 浩平	東京大学大学院医学系研究科教授
宮田 敏男	東北大学大学院医学系研究科教授
山本 晴子	医薬品医療機器総合機構医務管理監 理事長特任補佐

◎：主査 ○：主査代理

令和4年2月現在

先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業の概要

1. 課題実施期間及び評価時期

令和元年度～令和5年度。中間評価 令和3年度、事後評価 令和5年度を予定。

2. 研究開発概要・目的

世界最先端医療のひとつであり、世界市場が約2301億ドルに達するバイオ医薬品は、世界の医薬品売上げ上位100品目のうち45品目を占めているが、そのうち日本発は2品目である（中尾朗（2021）「世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍：2020年の動向」図2・図6、『政策研ニュース』64、80-82ページ。2021 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2020をもとに医薬産業政策研究所が作成。）。先端的医薬品等開発における我が国の国際競争力を確保するためには、アカデミアの優れた技術シーズを用いて革新的な基盤技術を開発し、企業における創薬につなげていくことが必要である。サイエンスに立脚したバイオ創薬技術及び遺伝子治療に係る基盤技術開発や、要素技術の組合せ、最適化による技術パッケージを確立し、企業導出を目指す。

3. 研究開発の必要性等（平成30年度実施の事前評価概要）

<必要性> 創薬標的分子の同定とその制御技術の進展により、抗体医薬に代表されるバイオ医薬品が世界最先端の医療の一つとなっている。先端医薬品開発における我が国の国際競争力を確保するためには、アカデミアにおいて、民間企業では取り組むことが困難な不確実性というリスクにも向き合った研究開発を推進し、革新的な新技術やシーズを育成するとともに、企業における創薬につなげていくことが必要である。

<有効性> 多様な先端的技術シーズは、国内のアカデミアに多数存在するものの、医薬品開発やその先の治療を目的とした利用において十分に活用されているとは言い難い。前身事業「革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業」。平成26-30年度で課題であった要素技術間の連携に向けた取組を強化することで、医薬品等としての実用化の可能性等を更に高めて、企業導出の一層の促進に資することが期待される。

<効率性> 研究者が自ら知財戦略や開発戦略を策定したり、導出先の企業を探して交渉したりすることは困難な中、産学連携や導出のタイミングを見極めつつ、きめ細かな支援を行うことで、研究者が研究に専念する体制を確保して、要素技術間の連携強化を図り、実用化の可能性等を高めて企業導出につなげる。

4. 予算（執行額）の変遷

年度	R元(初年度)	R2	R3	R4	R5	総額
予算額	1,261百万	1,412百万	1,676百万	1,466百万 (見込額)	—	—
執行額	1,261百万	1,412百万	1,676百万	—	—	—
(内訳) 当初予算 調整費	1,261百万 0	1,261百万 151百万	1,316百万 360百万	1,466百万 (見込額)	—	—

5. 課題実施機関・体制

次頁以降参照

6. その他

先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業

背景・課題

(事業期間：令和元～5年度)

- バイオ医薬品は、世界の医薬品売上げ上位100品目のうち45品目を占めているが、日本発はわずか2品目であり(2019年(事業開始年度))、先端的医薬品等開発における我が国の国際競争力を確保するためには、アカデミアの優れた技術シーズを用いて革新的な基盤技術を開発し、企業における創薬につなげていくことが必要。
- サイエンスに立脚したバイオ創薬技術及び遺伝子治療に係る基盤技術開発(要素技術課題)や、要素技術の組合せ・最適化による技術パッケージ(複合型技術課題)を確立し、企業導出を目指す。

■ 対象分野

複合型技術

下記(i)～(v)に示す領域における基盤技術(要素技術)を、特定の疾患・標的に合わせ、複数の技術を組み合わせる等により最適化する研究



要素技術

(i) 遺伝子導入技術等を利用した治療法の基盤技術

遺伝子治療、免疫細胞療法等



(ii) 遺伝子発現制御技術を利用した治療法の基盤技術

ゲノム編集、核酸医薬等



(iii) バイオ医薬品の高機能化に資する基盤技術

抗体、糖鎖修飾タンパク質、中分子等



(iv) ワクチンの基盤技術開発

有効性の高い核酸型ワクチン開発、ワクチン効果の増強法や持続性研究、ワクチンの安全性研究、ワクチンの大量調製・安定供給等

(v) (i)～(iv)に代表されるバイオ創薬研究や治療法開発等の周辺基盤技術

効果・安全性評価、イメージング、分子構造解析技術等

(図：© 2016 DBCLS TogoTV)

■ 実施スキーム(課題設定等)

大型・複合型研究開発課題(要素技術の組み合わせ等)

5課題 5年間(R1～5)

個別要素技術に関する研究開発課題

(次世代技術、モダリティ・周辺技術)

18課題

5年間(R1～5)

2課題

3年間(R3～5)【コロナ関係】

PS/POの下、知財・導出戦略、研究課題間の連携を支援

支援班

1課題 5年間

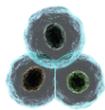
【事業スキーム】



先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業 – 対象分野 –

■ 個別要素技術に関する研究開発課題

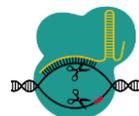
(i) 遺伝子導入技術等を利用した治療法の基盤技術に関する研究



【採択課題例】

- ・新規ゲノム編集技術を用いた次世代CAR-T細胞療法の開発
- ・次世代がん治療用ワクシニアウイルスの研究開発
- ・ゲノム編集iPS細胞による遊走性を利用した悪性神経膠腫に対する遺伝子細胞療法の研究開発
- ・遺伝子改変T細胞療法の有効性を高めるための選択的制御遺伝子（SRG）の開発

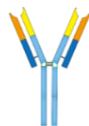
(ii) 遺伝子発現制御技術を利用した治療法の基盤技術に関する研究



【採択課題例】

- ・細胞質に直接導入できる膜透過性オリゴ核酸分子の開発
- ・遺伝性難治疾患治療のための超高精度遺伝子修正法の確立
- ・核酸医薬への応用を目指した非環状型人工核酸の開発

(iii) バイオ医薬品の高機能化に資する基盤技術に関する研究



【採択課題例】

- ・安定構造を持つ網羅的低分子ヒト抗体生成モデル
- ・難治性がんを標的とした先端的がん特異的抗体創製基盤技術開発とその医療応用
- ・人工エクソソームを用いた革新的免疫制御法の開発
- ・抗体薬物複合体の高機能化を実現する生体高親和性ケミストリーの確立
- ・糖鎖付加人工金属酵素による生体内合成化学治療

(iv) ワクチンの基盤技術開発

令和3年度開始



【採択課題例】

- ・気道感染ウイルスに対する次世代型ナノゲル噴霧ワクチンの開発
- ・脂質ナノ粒子を基盤としたワクチンプラットフォームの構築

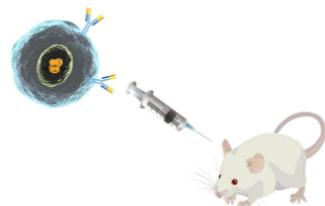
(v) (i)～(iv) に代表されるバイオ創薬研究や治療法開発等の周辺基盤技術に関する研究



【採択課題例】

- ・先端的医療技術に対する全臓器・全身スケールでの評価技術基盤の開発／・拡張結晶スポンジ法によるタンパク質の革新的分子構造解析／・生体組織イメージングに基づいたバイオ医薬品の新規評価基盤技術の開発／・高分子ナノテクノロジーを基盤とするバイオ医薬品送達システムの開発

■ 大型・複合型研究開発課題（要素技術の組み合わせ等）



(i)～(v)の基盤技術（要素技術）を、特定の疾患・標的に合わせ、組合せて最適化する研究

【採択課題】

- ・安全な遺伝子治療を目指した万能塩基編集ツールの創出
- ・デリバリーと安全性を融合した新世代核酸医薬プラットフォームの構築
- ・超汎用性即納型T細胞製剤の開発
- ・次世代血液脳関門通過性ヘテロ核酸の開発による脳神経細胞種特異的分子標的治療とブレインイメージング
- ・完全ヒト抗体×ファージライブラリによる組織特異的移行性抗体AccumBodyの開発と次世代複合バイオロジクスへの応用

先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業－採択課題－

□ 大型・複合型研究開発課題（要素技術の組み合わせ等）

5 課題

課題名	研究開発代表者	所属機関
安全な遺伝子治療を目指した万能塩基編集ツールの創出	濡木 理	東京大学
デリバリーと安全性を融合した新世代核酸医薬プラットフォームの構築	小比賀 聡	大阪大学
超汎用性即納型T細胞製剤の開発	河本 宏	京都大学
次世代血液脳関門通過性ヘテロ核酸の開発による脳神経細胞種特異的分子標的治療とブレインイメージング	横田 隆徳	東京医科歯科大学
完全ヒト抗体×ファージライブラリによる組織特異的移行性抗体 AccumBodyの開発と次世代複合バイオロジクスへの応用	伊東 祐二	鹿児島大学

□ 個別要素技術に関する研究開発課題

2 課題(令和3~5年)

(ワクチン・アジュバントの高機能化に資する基盤技術に関する研究)

領域	課題名	研究開発代表者	所属機関
(iv)	気道感染ウイルスに対する次世代型ナノゲル噴霧ワクチンに関する研究開発	清野 宏	東京大学
(iv)	脂質ナノ粒子を基盤としたワクチンプラットフォームの構築	吉岡 靖雄	大阪大学

□ 支援班

1 班 (1 課題)

課題名	研究開発代表者	所属機関
先端的バイオ創薬等技術創出に向けての包括的支援体制の構築	小泉 智信	東北大学

□ 次世代技術に関する萌芽的研究開発課題

4 課題(令和元~3年)

領域	課題名	研究開発代表者	所属機関
(i)	遺伝子治療ならびにゲノム編集に適した新規ウイルスベクターの開発	三谷 幸之介	埼玉医科大学
(i)	iCAR/TCRハイブリッドT細胞を用いた次世代型がん免疫療法の創出	小林 栄治	富山大学
(ii)	生細胞内セントラルドグマ分子の光操作	湯浅 英哉	東京工業大学
(ii)	ゲノムを標的とし転写調節可能な新奇人工核酸搭載核酸医薬の開発研究	谷口 陽祐	九州大学

□ 個別要素技術に関する研究開発課題（モダリティ・周辺技術）

18 課題

領域	課題名	研究開発代表者	所属機関
(i)	新規ゲノム編集技術を用いた次世代CAR-T細胞療法の開発	真下 知士	東京大学
(i)	次世代がん治療用ワクシニアウイルスの研究開発	中村 貴史	鳥取大学
(i)	ゲノム編集iPS細胞による遊走性を利用した悪性神経腫瘍に対する遺伝子細胞療法の研究開発	戸田 正博	慶應義塾大学
(i)	遺伝子改変T細胞療法の有効性を高めるための選択的制御遺伝子 (SRG) の開発	小澤 敬也	自治医科大学
(ii)	細胞質に直接導入できる膜透過性オリゴ核酸分子の開発	阿部 洋	名古屋大学
(ii)	遺伝性難治疾患治療のための超高精度遺伝子修正法の確立	中田 慎一郎	大阪大学
(ii)	核酸医薬への応用を目指した非環状型人工核酸の開発	浅沼 浩之	名古屋大学
(iii)	安定構造を持つ網羅的低分子ヒト抗体生成モデル	石川 俊平	東京大学
(iii)	難治性がんを標的とした先端的がん特異的抗体創製基盤技術開発とその医療応用	加藤 幸成	東北大学
(iii)	人工エクソソームを用いた革新的免疫制御法の開発	華山 力成	金沢大学
(iii)	抗体薬物複合体の高機能化を実現する生体高親和性ケミストリーの確立	細谷 孝充	東京医科歯科大学
(iii)	糖鎖付加人工金属酵素による生体内合成化学治療	田中 克典	国立研究開発法人理化学研究所
(iii)	二重特異性を有する完全ヒト抗体の迅速取得とそのシームレスな最適化※	瀬尾 秀宗	東京大学
(iii)	高性能中分子医薬のスマートデザイン基盤技術開発※	門之園 哲哉	東京工業大学
(v)	先端的医療技術に対する全臓器・全身スケールでの評価技術基盤の開発	上田 泰己	東京大学
(v)	拡張結晶スポンジ法によるタンパク質の革新的分子構造解析	藤田 大士	京都大学
(v)	生体組織イメージングに基づいたバイオ医薬品の新規評価基盤技術の開発	石井 優	国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所
(v)	高分子ナノテクノロジーを基盤とするバイオ医薬品送達システムの開発	西山 伸宏	東京工業大学

領域：(i) 遺伝子導入技術等を利用した治療法の基盤技術, (ii) 遺伝子発現制御技術を利用した治療法の基盤技術, (iii) バイオ医薬品の高機能化に資する基盤技術, (iv) ワクチン・アジュバントの高機能化に資する基盤技術に関する研究, (v) バイオ創薬研究や治療法開発等の周辺基盤技術
※：萌芽的研究のうち中間評価で延長が認められた課題

中間評価票

(令和4年2月現在)

<p>1. 課題名 先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業</p>
<p>2. 上位施策（研究開発計画又はその他の戦略・計画）との関係</p> <hr/> <p>施策目標：健康・医療・ライフサイエンスに関する課題への対応</p> <p>大目標（概要）：健康・医療戦略推進本部の下、健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画に基づき、国立研究開発法人日本医療研究開発機構を中心に、オールジャパンでの医薬品創出・医療機器開発、革新的医療技術創出拠点の整備、再生医療やゲノム医療など世界最先端の医療の実現、がん、精神・神経疾患、新興・再興感染症や難病の克服に向けた研究開発などを着実に推進する。</p> <p>中目標（概要）：「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」等に基づき、医薬品・医療機器開発への取組：医薬品創出のための支援基盤の整備等により、革新的医薬品・医療機器開発を推進する。</p> <p>重点的に推進すべき研究開発の取組（概要）：「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」等に基づき、医薬品・医療機器開発への取組：医薬品創出のための支援基盤の整備等により、革新的医薬品・医療機器開発を推進する。</p> <p>本課題が関係するアウトプット指標：なし</p> <p>本課題が関係するアウトカム指標：企業等への技術移転件数</p>
<p>3. 評価結果</p> <hr/> <p>(1) 課題の進捗状況</p> <p>① 事業の概要</p> <p>本事業では、遺伝子治療、核酸医薬、ゲノム創薬、バイオ医薬品の高機能化など、モダリティや要素技術が多様化する中、我が国がその変化に適切に対応しつつ国際的な競争力を確保するとともに、アカデミア創薬に関する技術的な基盤を更に強化する観点から、以下のとおり取り進めている。</p> <p>本事業では以下の技術領域を対象とする。令和3年度からは、COVID-19パンデミックを起因として「(iv)ワクチンの基盤技術開発」の2件の研究開発課題を新たに採択し、開始した。</p> <ul style="list-style-type: none">(i) 遺伝子導入技術等を利用した治療法の基盤技術（遺伝子治療、免疫細胞療法等）(ii) 遺伝子発現制御技術を利用した治療法の基盤技術（核酸医薬、ゲノム編集等）(iii) バイオ医薬品の高機能化に資する基盤技術（抗体、糖鎖修飾タンパク質、中分子等）

(iv) ワクチンの基盤技術開発〔令和3年度より開始〕

(v) (i)～(iv)に代表されるバイオ創薬研究や治療法開発等の周辺基盤技術

また、要素技術間の連携強化のため、将来的な創薬技術や医薬品としての実用化の可能性及び付加価値を高める観点から、最終的な医薬品等のイメージや当該技術の次なる展開の方向性を見据えつつ、戦略的に各要素技術等を組み合わせて、それらの最適化を図っていくことも重要である。このため本事業では、基盤技術に関する個々の研究開発課題【個別要素技術に関する研究開発課題】に加え、各要素技術を連携させた最適化に取り組む研究【大型・複合型研究開発課題】を推進している。

事業運営は、マイルストーン管理や知財戦略への対応などに取り組む。PS・P0及び医薬品開発等の全体を俯瞰しつつ、要素技術間の連携や最適化に向けた助言・支援を行う機能【支援班】の設置により、ヘッドクォーター機能を強化し、アカデミア発の技術やシーズ等の企業導出の一層の促進につなげる。

② 研究開発課題の進捗

全30件の研究開発課題を実施している。

- ・大型・複合型研究開発課題：5件
- ・個別要素技術に関する研究開発課題：16件
- ・次世代技術に関する萌芽的研究開発課題（3年間）：6件
- ・個別要素技術に関する研究開発課題（ワクチンの基盤技術開発）：2件〔令和3年度開始〕
- ・支援班：1件

本課題が関係するアウトカム指標である企業導出数の目標値は、事業最終年度である令和5年度までに研究開発課題13件以上の達成である（目標設定根拠：大型・複合型研究開発課題のうち60%、個別要素課題に関する研究開発課題のうち50%）。

令和4年1月現在の企業導出の実績は、8課題（20件）であった（表1）。事業開始3年目において目標の研究開発13課題達成までの進捗率は62%（8/13課題）であった。

表1. アウトカム指標に対する実績（令和4年1月現在）

	研究開発課題		企業導出実績	
	採択数	令和4年度以降継続数	研究開発課題数	件数
大型・複合型研究開発課題	5	5	3	4
個別要素技術に関する研究開発課題	16	18 ^{※4}	5	16
個別要素技術に関する研究開発課題 （令和3年度開始 ^{※1} ）	2	2		
次世代技術に関する萌芽的研究開発課題 ^{※2}	6	-	-	-
支援班 ^{※3}	1	1 ^{※3}	-	-
合計	30	26	8	20

※1 ワクチンの基盤技術開発

※2 研究開発期間が3年間のためアウトカム指標の対象とならない

※3 アウトカム指標の対象とならない

※4 次世代技術に関する萌芽的研究開発課題（3年間）のうち、AMED 中間・事後評価にて研究開発期間を2年間延長した研究開発課題2件を含む

また、AMEDにおける本事業の課題評価委員会では、中間評価、次世代技術に関する萌芽的研究開発課題（以下、萌芽的研究開発課題）は事後評価（以下、AMED中間・事後評価と表記）を行っており、研究開発計画に対する進捗状況、研究開発成果、実施体制、今後の見通しなどを総合的に評価している。開始後3年目において個別要素技術研究開発課題、大型・複合型研究開発課題及び支援班では、「極めて優れている（8.5点以上）」が0件、「大変優れている（7.5-8.4点）」が5件、「優れている（6.5-7.4点）」が10件、「妥当である（5.5-6.4点）」が7件、「やや不十分である（5.4点以下）」が0件であった。また、萌芽的研究開発課題では半数の研究開発課題で「優れている」以上の評価であった。

以上のことから、本事業の進捗状況は、順調であると評価できる。

なお、令和4年度以降の研究開発課題の内訳は、萌芽的研究開発課題2件において2年間の延長が認められたことから、以下の全26件となる。

- ・大型・複合型研究開発課題：5件
- ・個別要素技術に関する研究開発課題：18件（萌芽的研究開発課題の延長2件を含む）
- ・個別要素技術に関する研究開発課題（ワクチンの基盤技術開発）：2件〔令和3年度開始〕
- ・支援班：1件

（2）各観点の再評価

<必要性>

評価項目：

- ・科学的・技術的意義（先導性、発展性等）
- ・社会的・経済的意義（社会的価値（持続可能な社会の実現等））
- ・国費を用いた研究開発としての意義（国や社会のニーズへの適合性等）

評価基準：

- ・我が国から創薬シーズや先端技術が継続して生み出されるよう、アカデミアでの創薬研究を振興し、革新的な医薬品の創出に資する独自技術を育成できたか。
- ・アカデミアのバイオ創薬や遺伝子治療等の基盤技術に関する要素技術の組合せ・最適化に取り組むことで、実用化の可能性等を高めつつ、国内外でのライセンス供与が見込まれる知的財産の形成につながったか。

（評価）

創薬標的分子の同定とその制御技術の進展により、抗体医薬に代表されるバイオ医薬品が世界最先端の医療の一つとなっている。その規模は2020年^{※1}には2301億ドルに達し、開発品目も増加傾向にあり、更なる売上げの増加が予想されている。

このような中、世界の医薬品売上げ上位100品目のうちバイオ医薬品は、本事業開始前の2016年^{※2}は34品目であったが、2020年^{※1}は45品目と4年で11品目増えている一方、日本発のバイオ医薬品は変わらず2品目に留まっているのが現状であり、革新的な新技術

やシーズの創出による新たなブレークスルーが必要な状況となっている。

※1：中尾朗（2021）「世界売上高上位医薬品の創出企業の国籍：2020年の動向」図2・図6、『政策研ニューズ』64、80-82ページ。2021 IQVIA. IQVIA World Review Analyst, Data Period 2020をもとに医薬産業政策研究所が作成。

※2：赤羽宏友（2018）「バイオ医薬産業の課題と更なる発展に向けた提言」、日本製薬工業協会・医薬産業政策研究所・リサーチペーパー・シリーズNo.71、32ページ。

また、本事業は、第6期「科学技術・イノベーション基本計画」（令和3年3月閣議決定）において、「医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進する」とされており、また、「健康・医療戦略」（令和2年3月閣議決定）では「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、有効性・安全性評価手法、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を行う。」とされていることから、今後も、アカデミアにおいて民間企業では取り組むことが困難な不確実性というリスクにも向き合った研究開発を推進し、革新的な新技術やシーズを育成するとともに、企業における創薬につなげていくことが必要である。

以上より、医薬品の新たなモダリティの創出のための基盤的な研究開発に貢献することが求められていることから、本事業の「必要性」は高かったと評価できる。

<有効性>

評価項目：

- ・優れた基盤技術の企業への導出
- ・新しい知の創出への貢献
- ・人材の育成

評価基準：

- ・アカデミアの強みであるサイエンスに立脚したバイオ創薬や遺伝子治療等に係る基盤技術、更には要素技術等の連携・最適化による技術パッケージ等を確立し、それらを企業に移転できたか。
- ・バイオ創薬や遺伝子治療等において、アカデミア発の画期的な技術を生み出し、育成する研究開発が行われたか。
- ・特許出願と論文発表の両立に配慮しつつ、研究成果の価値を高めることができたか。

（評価）

本中間評価時点において、5つの技術領域別では、令和3年度開始の「(iv)ワクチンの基盤技術開発」を除いて、ほとんどの基盤技術から研究開発課題2件以上で企業導出が達成されたが、「(i)遺伝子導入技術等を利用した治療法の基盤技術」からの企業導出はなかった（表2）。

特許出願や論文発表の成果は、大手製薬企業や大手化学メーカー等への企業導出に貢献するものとして実を結んだ。具体的には、令和3年9月時点において、特許出願数44件及び論文発表数201件であった（表3、表4）。

令和4年1月時点において、導出先企業規模の内訳は、大企業への導出11件、中小企業への導出8件、ベンチャー企業への導出1件（表5）、導出技術の内訳は、抗体10件、人工核酸3件、イメージング技術3件、デリバリー技術2件、医薬品製造技術2件であった

(表 6)。

人材育成としては、将来の発展に期待して採択された萌芽的研究開発課題から、今後の企業導出が期待できるものと評価された 2 件について、2 年間の研究開発期間延長が認められており、アカデミア発の画期的な技術を生み出して育成する研究開発が行われた。また、大型・複合型課題では導出責任者の設定や支援班が安全性試験の早期実施の助言や技術の優位性を実証する研究対象の提案を行うことで、企業導出を念頭に研究成果を社会に還元することを重視した人材の育成に貢献した。

表 2. 技術領域別の企業導出件数（令和 4 年 1 月現在）

技術領域	研究開発 課題数 (大型/個別)	企業導出実績	
		研究開発 課題数 (大型/個別)	件数
(i) 遺伝子導入技術等を利用した治療法の 基盤技術	5 (1/4)	0	0
(ii) 遺伝子発現制御技術を利用した治療法の 基盤技術	6 (3/3)	3 (2/1)	3
(iii) バイオ医薬品の高機能化に資する 基盤技術	8 (1/7 ^{※2})	2 (1/1)	12
(iv) ワクチンの基盤技術開発 ^{※1}	2 (0/2)	0	0
(v) (i)～(iv)に代表されるバイオ創薬研究や 治療法開発等の周辺基盤技術	4 (0/4)	3 (0/3)	5
合計	25 (5/20)	8 (3/5)	20

※1 令和 3 年度から開始

※2 「次世代技術に関する萌芽的研究開発課題」のうち、AMED 中間・事後評価により研究開発期間を 2 年間延長した 2 件を含む

表 3. 年度別の特許出願数と論文発表数（令和 3 年 9 月現在）

特許出願数 [※]			論文発表数 [※]		
2019 年度	2020 年度	2021 年度	2019 年度	2020 年度	2021 年度
11	23	10	32	125	44

※研究開発代表者からの自発的な報告に基づき集計

表 4. 技術領域別の特許出願数と論文発表数（令和 3 年 9 月現在）

技術領域	研究開発 課題数	実績	
		特許 出願数	論文 発表数
(i) 遺伝子導入技術等を利用した治療法の基盤技術	7	6	22
(ii) 遺伝子発現制御技術を利用した治療法の基盤技術	8	29	55

(iii) バイオ医薬品の高機能化に資する基盤技術	8	6	85
(iv) ワクチンの基盤技術開発※	2	0	0
(v) (i)～(iv)に代表されるバイオ創薬研究や治療法開発等の周辺基盤技術	4	3	39
合計	29	44	201

※ 令和3年度から開始

表 5. 企業導出に係る導出先企業規模（令和4年1月現在）

大企業	中小企業	ベンチャー企業
11	8	1

表 6. 企業導出に係る導出技術（令和4年1月現在）

抗体	人工核酸	イメージング技術	デリバリー技術	医薬品製造技術
10	3	3	2	2

また、成果の事例（論文発表）としては、以下のものがあげられる。

○独自開発した「糖鎖を付加したアルブミンタンパク質と金触媒の複合体」を、マウス体内のがん細胞に結合させ、がん組織上で、プロドラッグを活性体へと変換させることに成功した。これにより重篤な副作用を起こすことなく、がん転移の阻害やがん細胞の増殖を抑えることができることを、マウスの疾患モデルで示した（世界初のマウス体内におけるタギング治療－体内での金属触媒反応による次世代がん治療戦略－）。

○これまでの“がんウイルス療法”では、がん原発巣への直接注射投与が必要であったが、細胞融合を起こすウイルス（FUVAC と命名）を見つけ、マウス大腸がんモデルにおいて、注射した部位の腫瘍に加え、注射していない部位の腫瘍にも治療効果を発揮した。これにより次世代がん治療用ワクシニアウイルスとしての臨床応用が期待される。さらにFUVAC と抗 PD-1 抗体の併用で、腫瘍が完全退縮することを見出し、新たながん治療手段の創出につながる可能性が示唆された（ウイルスでがん退治－強力な抗がん効果を発揮する次世代がん治療用－ワクシニアウイルスの開発に成功－）。

○核酸医薬では効率よく通過できなかった血液脳関門（BBB）の突破を可能にした「BBB 通過型ヘテロ 2 本鎖核酸」を開発した。従来、中枢神経疾患を標的にする場合、髄腔内に直接投与（腰椎穿刺）する必要があったが、患者にとって負担の少ない全身投与方法により、中枢神経の様々な RNA（mRNA、miRNA 等）などの遺伝子に対して発現を抑制する。アルツハイマー病・筋萎縮性側索硬化症・パーキンソン病などのこれまで根本的な治療法がなかった中枢神経の難治疾患や、狂牛病を含めた神経感染症への治療にも応用が期待される（血液脳関門通過を可能にしたヘテロ核酸医薬の開発－アルツハイマー病などの神経難病の根本治療に大きな進歩－）。

以上より、ほとんどの技術領域から研究開発課題 2 件以上の企業導出が達成され、特許出願と論文発表の両立に配慮しつつ研究成果の価値を高めることができた。また、令和 3 年度から、要素技術開発に一定の目途が立った研究開発課題について、当該要素技術を用いて、薬効・安全性等の非臨床試験等を進める取組が開始されているなど、企業導出に向けた研究を加速している。

これらのことから、本事業の「有効性」は高かったと評価できる。今後も引き続き、先端的なバイオ医薬品創出に資する基盤技術の確立に向けて取り組み、本中間評価時点で企業導出が未達である技術領域の「(i) 遺伝子導入技術等を利用した治療法の基盤技術」及び令和 3 年度から開始した「(iv) ワクチンの基盤技術開発」からの企業導出が達成されることが期待される。

<効率性>

評価項目：

- ・計画・実施体制の妥当性
- ・目標・達成管理の向上方策の妥当性

評価基準：

- ・ヘッドクォーター機能を通じて、成果の企業導出を目指した課題管理、知財戦略等により、研究者が研究に専念できる体制が構築されたか。
- ・幅広い専門分野の研究者を集め、創薬研究を効率的に推進する体制を作ることにより、実用化の可能性等が高まったか。
- ・マイルストーン管理など適切な事業運営により、各研究開発課題における目標が達成できたか。

(評価)

本事業では、PS/P0 のリーダーシップの下、マイルストーン管理や知財戦略及び導出戦略の策定支援等を行う「支援班」が設置されている。毎月開催される PS/P0/支援班と AMED 担当者間の会議では、支援班から各研究開発課題の進捗が共有され、知財戦略及び導出戦略が検討されている。各研究開発課題におけるマイルストーンは、ほとんどの研究開発課題で達成しており、当初計画よりも進んでいる研究開発課題もあった。萌芽的研究開発課題の 2 件では、企業導出が見込めると評価されて 2 年間の延長が認められた。

支援班は、研究開発課題ごとに最適な導出のタイミングを見極めつつ、導出先の企業を探して交渉したり、製薬協を介した成果の紹介を定期的に行ったりするなど、導出に向けたきめ細かな支援を行うことで、研究者が研究に専念できる体制が構築された。また、各研究開発課題で開発中の基盤技術に関連する周辺特許や技術動向、市場/企業ニーズなどの包括調査を継続的に行い、知財戦略や導出戦略の策定に協力し、日本発のバイオ創薬に向けた支援ができています。具体的には、変異原性試験の早期実施への助言や技術の優位性を実証する研究対象の提案を行った。また、事業内連携では、アンチセンス核酸の肝毒性リスクを大幅に軽減できることを見出した等の成果においても、PS/P0 のリーダーシップの下、これら支援班による取組が有機的に機能し企業導出につながっている。

事業間連携では、令和 2 年度から「難治性疾患実用化研究事業」や「次世代がん医療創生研究事業」等と連携して共同研究が実施された。具体的には、難治性疾患実用化研究事

業との連携では、新規ゲノム編集法の正確性についてより詳細に検討し、目的外変異発生の抑制を確認した。次世代がん医療創生研究事業との連携では、抗体-薬物複合体の高機能化に関する研究を推進し、新規化合物の合成に成功した。また、前身事業から発展し、本事業で採択された研究開発課題から企業導出の成果も見られている。

以上より、支援班によるマイルストーン管理や知財戦略及び導出戦略の策定支援や事業内外連携が実施されており、本事業の「効率性」は高かったと評価できる。

(3) 科学技術基本計画又は科学技術・イノベーション基本計画等への貢献状況

第6期「科学技術・イノベーション基本計画」（令和3年3月閣議決定）では、「医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進する」とされており、また、「健康・医療戦略」（令和2年3月閣議決定）で「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、有効性・安全性評価手法、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を行う。」とされた目標の達成に大きく貢献している。

(4) 今後の研究開発の方向性

本課題は「**継続**」、「中止」、「方向転換」する（いずれかに丸をつける）。

理由：上記で示したとおり、進捗状況は順調であり、「必要性」、「有効性」、「効率性」のいずれも認められることから、本事業は「継続」すべきと評価できる。

(5) その他

○AMED の医薬品開発プロジェクト全体の成果創出への貢献の観点から、PS/P0、研究開発課題実施者、事務局の各関係者が連携を引き続き意識することが重要である。

○産学連携や AMED 事業内外の連携については、オープンイノベーションなど産学連携等の促進に係る既存事業との連携を含め、効率的な実施に留意すべきである。