

<b>事業名</b>	<p>スマートバイオ創薬等研究支援事業（新規）</p> <p style="text-align: right;">令和6年度要求額：1,880百万円 （研究事業総額：未定）</p> <p style="text-align: right;">研究事業期間：令和6年度～令和10年度</p>
------------	---

※研究開発事業に関する評価については、科学技術・学術審議会等において、「国の研究開発評価に関する大綱的指針」等を踏まえ、事前評価が行われているため、当該評価をもって政策評価の事前評価に代えることとする。

**【主管課（課長名）】**

研究振興局 ライフサイエンス課（釜井宏行）

**【関係局課（課長名）】**

**【審議会等名称】**

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

**【審議会等メンバー】**

別添参照

**【目標・指標】**

○達成目標

これまで推進してきたバイオ創薬に向けた要素技術開発等に加え、優れたシーズの研究開発を推進するとともに、成果を実用化等に確実に結び付けることで、我が国発の革新的な高機能バイオ医薬品等の創出を目指す。

○成果指標（アウトカム）

基盤技術の企業導出数、創薬シーズの企業導出数

○活動指標（アウトプット）

論文発表数、次の開発段階に進んだシーズ数

**【費用対効果】**

投入する予定の国費総額に対して、上記アウトプット及びアウトカムの結果が見込まれることから、投入額よりも大きな成果が期待される。

なお、事業の実施に当たっては、事業の効率的・効果的な運営にも努めるものとする。

# ライフサイエンスに関する 研究開発課題の事前評価結果

令和5年8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 委員等名簿

相澤	彰子	国立情報学研究所 副所長・教授
●五十嵐	仁一	ENEOS 総研株式会社顧問
菅野	了次	東京工業大学科学技術創成研究院特命教授、全固体電池研究センター長
栗原	美津枝	株式会社価値総合研究所代表取締役会長
田中	明子	国立研究開発法人産業技術総合研究所 活断層・火山研究部門 マグマ活動研究グループ長
原田	尚美※	東京大学大気海洋研究所教授、国立研究開発法人海洋研究開発機構地球環境部門招聘上席研究員
◎観山	正見	岐阜聖徳学園大学・同短期大学部・学長
明和	政子※	京都大学大学院教育学研究科教授
村岡	裕由	国立大学法人東海国立大学機構 岐阜大学流域圏科学研究センター教授
村山	裕三	同志社大学名誉教授
出光	一哉	東北大学特任教授
上田	良夫	大阪大学大学院工学研究科教授
大森	賢治	大学共同利用機関自然科学研究機構 分子科学研究所 教授・研究主幹
上村	靖司	長岡技術科学大学技学研究院教授
佐々木久美子		株式会社グルーヴノーツ代表取締役会長
高梨	弘毅	国立研究開発法人日本原子力研究開発機構先端基礎研究センター長、東北大学名誉教授
土屋	武司	東京大学大学院工学系研究科教授
長谷山	美紀	北海道大学副学長、大学院情報科学研究院長
林	隆之※	政策研究大学院大学教授
原澤	英夫	元国立研究開発法人国立環境研究所理事
宮園	浩平	国立研究開発法人理化学研究所理事／東京大学大学院医学系研究科卓越教授

◎：分科会長、●分科会長代理

※本評価には参加していない

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12期）委員名簿

（敬称略、50音順）

有田 正規	国立遺伝学研究所教授
大津 敦	国立がん研究センター東病院長
大曲 貴夫	国立研究開発法人国立国際医療研究センター病院国際感染症センター長
岡田 随象	東京大学大学院医学系研究科教授
加藤 忠史	順天堂大学大学院医学研究科主任教授
金倉 譲	一般財団法人住友病院長
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	特定非営利活動法人情報計量化学生物学会CBI研究機構、 量子構造生命科学研究所長
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教授
桜井 公美	プレモパートナー株式会社代表取締役
澤田 拓子	塩野義製薬株式会社取締役副会長
鹿野 真弓	東京理科大学薬学部教授
杉本 亜砂子	東北大学大学院生命科学研究科教授
鈴木 蘭美	モデルナ・ジャパン株式会社代表取締役社長
武部 貴則	東京医科歯科大学統合研究機構教授
辻 篤子	中部大学特任教授
豊島 陽子	東京大学名誉教授
西田 栄介	国立研究開発法人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
坂内 博子	早稲田大学理工学術院教授
◎ 宮園 浩平	国立研究開発法人理化学研究所理事、 東京大学大学院医学系研究科卓越教授
宮田 敏男	東北大学大学院医学系研究科教授
山本 晴子	国立研究開発法人国立循環器病研究センターデータサイエンス部長

◎：主査      ○：主査代理

令和5年8月現在

## スマートバイオ創薬等研究支援事業の概要

### 1. 課題実施期間及び評価時期

令和6年度～令和10年度

中間評価 令和8年度、事後評価 令和10年度を予定

### 2. 研究開発目的・概要

近年、世界的に医薬品産業の市場規模が急成長し、特にバイオ医薬品の割合が急拡大している。一方、世界の医薬品売上高上位100品目のうちバイオ医薬品は45品目だが、我が国発はわずか2品目であり、バイオ創薬における我が国の競争力の低下が顕著となっている。これらの状況を踏まえ、これまで推進してきたバイオ創薬に向けた要素技術開発等に加え、優れたシーズの研究開発を推進するとともに、成果を実用化等に確実に結び付けることで、我が国発の革新的な高機能バイオ医薬品等の創出を目指す。

### 3. 予算（概算要求予定額）の総額

年度	R6（初年度）
概算要求予定額	調整中

### 4. その他

特になし

# 事前評価票

(令和5年8月現在)

1. 課題名 スマートバイオ創薬等研究支援事業	
2. 開発・事業期間 令和6年度～ 令和10年度	
3. 課題概要	
(1) 関係する分野別研究開発プラン名と上位施策との関係	
プラン名	ライフサイエンス分野研究開発プラン
プランを推進するにあたっての大目標	健康・医療・ライフサイエンスに関する課題への対応（施策目標9-3） 概要：「生命現象の統合的理解」を目指した研究を推進するとともに、「先端的医療の実現のための研究」等の推進を重視し、国民への成果還元を抜本的に強化する。
プログラム名	医薬品・医療機器・ヘルスケアプログラム 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、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。AI・IoT技術、計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化や、予防・QOL向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。
上位施策	第6期科学技術・イノベーション基本計画（令和3年3月26日閣議決定） 統合イノベーション戦略2023（令和5年6月9日閣議決定） 健康・医療戦略（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更） 医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日健康・医療戦略推進本部決定、令和3年4月6日一部変更） バイオ戦略フォローアップ（令和3年6月11日統合イノベーション戦略推進会議決定）
(2) 目的	
<p>近年、世界的に医薬品産業の市場規模が急成長し、特にバイオ医薬品の割合が急拡大している。一方、世界の医薬品売上高上位100品目のうちバイオ医薬品は45品目だが、我が国発はわずか2品目であり、バイオ創薬における我が国の競争力の低下が顕著となっている。これらの状況を踏まえ、これまで推進してきたバイオ創薬に向けた要素技術開発等に加え、優れたシーズの研究開発を推進するとともに、成果を実用化等に確実に結び付けることで、我が国発の革新的な高機能バイオ医薬品等の創出を目指す。</p>	
(3) 概要	
① これまでの取組及び課題	
<p>バイオ医薬品の市場規模が急速に拡大する中、我が国が後塵を拝しているとの認識の下、アカデミア等の優れた技術シーズを用いて革新的な基盤的技術を開発し、企業にお</p>	

ける創薬につなげ、もって我が国発の革新的なバイオ医薬品等の創出に資することを目的とし、「先端バイオ創薬等基盤技術開発事業」（令和元-5年度、以下「先端バイオ事業」という。）を実施してきた。先端バイオ事業では、プログラムスーパーバイザー（PS）/プログラムオフィサー（PO）による強力なリーダーシップに加え、知財・導出戦略、研究課題間の連携を支援する支援班を設置し、出口を具体的に見据えた技術開発を行うべく、丁寧なマイルストーン管理により、研究成果の企業導出を積極的に推進し、成果を上げてきた（企業導出件数11課題（令和5年7月現在））。

低分子医薬品と比較し、バイオ医薬品ではアカデミアがより優れた技術を有し、実用化に近い段階までアカデミアが独自で達成可能であるが、アカデミアが企業側のニーズやボトルネックを把握しておらず、有望な技術が事業化・実用化につながらないケースが存在している。バイオ医薬品の各モダリティ（要素技術）について、実用化に向けた課題も各々に存在しており、アカデミアと企業等との連携等により各課題を解決し、革新的なイノベーションを創出することが求められる。

先端バイオ事業の開始以降、多様なモダリティの研究開発が著しく進展しており、最新の研究動向を踏まえた研究開発支援が必要となっているが、先端バイオ事業では採択後の進捗に関わらず研究期間終了まで研究費支援が継続されており、必ずしも最新の研究動向を捉えているとは言えない状況である。また、先端バイオ事業の目標である企業導出を達成したものの、導出後の開発動向がフォローできず、企業方針の変更等により開発を継続していないと考えられる場合があるため、可能な限り事業終了後も企業が開発を継続し、実用化を進めるような仕組みが必要である。さらに、事業化・実用化に対する見通し、例えばレギュレーション（CMCや薬事規制対応等）について企業との間に溝があるため実用化に至らない場合があり、研究初期段階から事業化・実用化を念頭に置くことが重要となる。また、実用化に向け、基盤技術研究と疾患応用研究を結びつけた更なる取組が必要である。

## ② 事業の方向性

これまでの課題等を踏まえ、以下の取組を実施する。

### i) 対象となる研究課題

本事業では、バイオ医薬品等に関する国際的競争力を確保し、我が国発のバイオ医薬品等の実用化や革新的なイノベーションの創出につなげるべく、バイオ・中分子分野（ペプチド医薬、抗体医薬、核酸医薬、細胞治療、遺伝子治療、薬物動態評価、DD S、その他周辺基盤技術）の組み合わせ等による既存モダリティ（要素技術）の高機能化や新規モダリティの開発を目指す。

さらに、実用化を推進するため、上記に掲げる要素技術の組合せ等の研究開発課題に加え、要素技術と疾患を組み合わせた革新的創薬シーズの創出を目指す研究開発課題を推進する。

また、次世代研究者育成のため、上述の要素技術の組合せ等に関する課題、疾患応用の課題に加え、若手研究者の課題（要素技術の組合せ等に関する研究を想定）を設定する。

### ii) 事業運営

（企業連携と課題の評価について）

先端バイオ事業では要素技術の企業導出を目標に、多様なモダリティ研究の支援を実施し、多数の企業導出を達成した一方、企業導出後の開発動向をフォローできず、企業

経営方針の変更等により開発が進んでいないと考えられるケースがある。そのため、実用化への成功確度を上げるべく、研究開始時から企業と連携することを推奨する。また、企業導出後の社会実装確度を高めるため、徹底した進捗管理と課題評価を実施する。

具体的には、各課題の研究期間の3年度目にステージゲートを設定する。ステージゲート通過の要件は、課題ごとに応募時に設定した3年目時点の目標の達成とする。目標は研究者自らが設定し、課題審査の採択時にその妥当性を含めて評価する。

実用化に資する企業連携を加速するため、目標には企業連携に関する指標（拠出金額、研究への企業人員の参画人数等）を設定することとし、研究開始当初、3年度目にかけて、企業連携が維持または加速されるよう指標を設定し、進捗状況を評価する。このほか、事業化・実用化の見通し、マネジメント体制の状況、研究進捗状況等に関する目標を設定する。

（支援班の設置について）

先端バイオ事業では、PS/POによる丁寧な研究進捗管理・支援、マイルストーン管理、知財戦略への対応（知財戦略課題）を行うとともに、事業運営全体に関するヘッドクォーター機能として支援班を設置し、要素技術を俯瞰してそれらの組合せ・最適化や知財戦略等に係る助言や支援を行ってきた。引き続き、PS/POによる丁寧な進捗管理・支援等を行うとともに、本事業では支援班を複数設置し、実用化に向けた課題として明らかになったCMC やレギュラトリーサイエンス（RS）に関する伴走支援を特に拡充し、効果的・効率的な研究開発、開発された技術やシーズの実用化を推進する。

プログラム全体に関連する アウトプット指標	過去3年程度の状況		
	令和2年	令和3年	令和4年
化合物提供件数	791	917	269

※累積値。令和4年度は当該指標に資する事業の開始年度であるため、累積値をリセット

プログラム全体に関連する アウトカム指標	過去3年程度の状況		
	令和2年	令和3年	令和4年
創薬支援により新たに創薬シーズが見つかった件数、革新的医療機器の実用化に資する成果の件数	87	81	80



#### 4. 各観点からの評価

##### (1) 必要性

評価項目	評価基準	
科学的・技術的意義（先導性、発展性等）	定性的	バイオ創薬等に関する基盤技術について、国際競争力を高める取組（海外市場も見据えた研究計画の策定、市場調査、企業連携等の取組、国際特許の取得等）を実施しているか。
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）	定量的	アカデミアでの創薬研究を推進し、企業での創薬につなげたか。（創薬シーズの企業導出件数）
	定量的	新規課題公募における採択件数及び採択率

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年に世界市場で約2,301億ドルに達し、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、日本発のバイオ医薬品は2品目に留まっている。一方で、バイオ医薬品開発の標的分子の8割以上は20年以上前に報告されたものであり、革新的な新技術やシーズの創出による新たなブレイクスルーが必要な状況となっている。また、例えば核酸医薬は約25年前に実用化されたものの、DDSや製造面での課題があり、現在までに承認されているのはわずか10数品目に留まるなど、モダリティごとに実用化に向けた課題が存在している。

これらのことから、バイオ創薬等における我が国の国際競争力を確保するため、例えば海外市場も見据えた研究計画の策定や市場調査、企業連携等の取組、国際特許の取得等を実施する必要がある。

また、現在我が国における臨床医学分野のTOP10%補正論文数シェアは3.2%であり、全分野合計のTOP10%補正論文数シェアが2.2%であることを踏まえると、当該分野では優れた研究がより多く存在していることが推察できる。これらの研究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、研究課題への支援を充実させ、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創薬研究を推進するとともに、実用化可能性を高め、企業における創薬につなげていく必要がある。

以上より、科学的・技術的意義や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）の観点から、本プログラムの必要性は高いと評価する。

##### (2) 有効性

評価項目	評価基準	
新しい知の創出への貢献	定量的	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 基盤技術の企業導出件数</li> <li>・ 次の開発段階に進んだシーズ数</li> <li>・ 論文発表数</li> </ul>
人材の養成	定量的	挑戦的な研究課題に意欲的に取り組む若手研究者課題の採択数

バイオ創薬等の基盤技術について、国内のアカデミアには多様な先端的技術シーズが存在するものの、医薬品開発やその先の治療を目的とした利用の観点で十分に活用されていない。本事業では、アカデミアの有する各要素技術等を組み合わせて最適化させる取組及び疾患応用研究を強化することで、医薬品としての利用可能性及び付加価値を更に高め、企業導出等を目指す。また、先端バイオ事業では、アカデミアの研究成果を企業へ導出したものの、その成果が導出された企業において開発が進捗していない可能性が考えられ、可能な限りアカデミアの研究成果を実用化へ結びつけるべく、本事業においては、課題毎に企業連携に関する目標を設定し、その進捗状況を評価する仕組みを考えており、研究開始当初から企業との連携意識が醸成されることが期待できる。これらにより、企業導出などの産学連携を通じた大きな成果が期待されることから、有効性がある。

また、PS/P0及び支援班が研究開発、知財戦略や開発戦略の策定を丁寧に支援する事業運営は、先端バイオ事業でも大きな成果を上げてきており、バイオ医薬品等においてアカデミア発の画期的で新たな技術を生み出し、育成する研究開発を行うことが可能であるため、有効性は高い。出口を見据えた研究を実施する中で、創薬研究の技術基盤がアカデミアに形成されることに加え、当初の想定とは異なる現象の発見を得て、新たな知の創出につながる可能性も期待し得る。

さらに、若手研究者の研究枠を設定することにより、挑戦的な研究課題に意欲的に取り組むことに加え、支援班による知財戦略や企業連携の支援により若手研究者を育成することができるため、人材の養成にも有効である。

以上より、新しい知の創出への貢献や人材の養成の観点から、本プログラムの有効性は高いと評価する。

### (3) 効率性

評価項目	評価基準	
計画・実施体制の妥当性	定性的	・ 支援班を設置し、成果の企業導出等を目指した課題管理、知財戦略、事業間連携を実施する体制の構築により、研究者が研究に専念できたか。 ・ 各課題における企業連携の状況
	定量的	・ 支援班が支援した課題数 ・ 本事業への参画企業数
目標・達成管理の向上 方策の妥当性	定性的	マイルストーン管理など適切な手法で管理することにより、各課題における目標が達成できたか。
	定量的	ステージゲート評価の実施状況

研究者自身が知財戦略や開発の方向性を定めること、導出先の企業を探し交渉することは困難であるため、支援班を設置し、専門家が知財戦略等を丁寧に支援し、研究者が研究に専念する体制を構築することは効果的かつ効率的である。本事業では、バイオ医薬品の実用化に向けた課題として明らかになったCMCやRSに関する伴走支援を特に拡充し、研究者が研究に専念できるよう、支援班を複数設置し更なる効率化を図る。

また、本事業では、医薬品等としての実用化への成功確度を上げるべく、研究開始時から企業と連携することを推奨するとともに、企業導出後の社会実装確度を高める

ため、徹底した進捗管理とステージゲート評価を実施し、進捗状況に応じて研究継続可否を判断する効率的な研究体制を構築する。出口を見据えてアカデミアの技術シーズを育成し、企業に導出するためのマイルストーン管理を行う事業運営の仕組みは、技術シーズの実用化可能性を高めることができ、効率的である。

さらに、各PS/P0が研究課題の進捗状況を共有する機会を定期的に設けることにより、技術的な支援が必要な研究課題については、AMED内の他事業、特にBINDSと連携することで効率的な事業運営を図るとともに、研究課題間の円滑なマッチングの推進も期待できる。

以上より、計画・実施体制の妥当性や目標・達成管理の向上方策の妥当性の観点から、本プログラムの効率性は高いと評価する。

## 5. 総合評価

### (1) 評価概要

以上、バイオ創薬における我が国の国際競争力の確保、産学連携を通じた成果への期待、ステージゲート評価や支援班を通じた事業運営等により、各視点に照らして評価を総合的に踏まえると本事業を実施することは妥当である。中間評価については事業開始から3年目となる令和8年度に、事後評価については事業終了年度の令和10年度に実施する。

### (2) 科学技術・イノベーション基本計画等の上位施策への貢献見込み

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、健康・医療分野は重要政策課題の一つとして掲げられている。本事業の着実な推進により、第2期「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」に基づき、「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」とされた目標の達成に貢献する。

### (3) 本課題の改善に向けた指摘事項

特になし

### (4) その他（研究開発を進める上での留意事項）

- ・ AMEDの医薬品開発プロジェクト全体の成果創出に貢献するよう、PS/P0、研究課題実施者、事務局の各々が連携を意識すべきである。
- ・ 多様なモダリティの研究開発が著しく進展しており、最新の研究動向を踏まえた研究開発支援が必要。そのため、毎年採択を実施するとともに、徹底した進捗管理と評価を実施すべきである。
- ・ 産学連携や課題間連携について、橋渡し研究事業をはじめとした実用化や産学連携を促進する事業との連携等により、効率的に実施すべきである。