

第 117 回 ライフサイエンス委員会	資料 2-4
令和 7 年 1 月 17 日	
革新的先端研究開発支援事業	

研究開発課題の中間評価結果 (案)

令和 7 年 1 月
ライフサイエンス委員会

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名誉院長、 慶應大学医学部予防医療センター特任教授、 一般社団法人がん医療創生機構理事長
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 副院長（感染・危機管理担当、災害・救急担当）、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嘱託教授
杉本 亜砂子	東北大学理事・副学長（研究担当）、 東北大学大学院生命科学研究科教授
鈴木 蘭美	国立がん研究センター発ベンチャーARC Therapies 株式会社代表取締役 社長、ARCHIMED GROUP オペレーティングパートナー
武部 貴則	東京科学大学総合研究院教授、大阪大学大学院医学系研究科教授
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	東北大学副理事（共創研究担当）・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理事、研究振興部長、 データサイエンス部長、臨床研究管理部長

◎：主査 ○：主査代理

令和7年1月現在

革新的先端研究開発支援事業の概要

1. 課題実施期間及び評価時期

平成 26 年度～

中間評価 令和 2 年度、令和 6 年度及び令和 11 年度（以降、5 年毎に実施予定）

2. 研究開発目的・概要

- ・目的 革新的な医薬品や医療機器、医療技術等につながるシーズを創出する。
- ・概要 組織の枠を超えた時限的な研究体制を構築し、画期的シーズの創出・育成に向けた先端的研究開発を推進するとともに、有望な成果について研究を加速・深化する。

3. 研究開発の必要性等

<必要性>

第二期「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）及び「医療分野研究開発推進計画」（令和 2 年 3 月 27 日閣議決定）において、基礎的な研究開発の重要性が示されているところ、優れたシーズを多数創出し、革新的な医薬品や医療機器、医療技術等へとつなげていく本事業は、これらの政府方針を達成するための中核事業である。また、学術研究から生まれた成果を医療や創薬に結びつけるための研究は、市場原理に委ねるのみでは十分に取組まれない。以上により、国の取り組みとして本事業を実施する必要性があると評価する。

<有効性>

本事業は、科学的・学術的に優れた成果を多数創出し、「Nature」「Science」「Cell」などインパクトの高い国際科学誌に多数掲載されている。また、本事業から創出された特許が多数申請・登録に至っている等、社会的・経済的価値の創出に向けても着実に貢献していることに加え、本事業の成果を AMED の他事業に展開する等、応用研究フェーズへの優れたシーズの提供という面においても着実に貢献している。以上により、本事業は画期的シーズの創出・育成に有効であると評価する。

<効率性>

文部科学省が定める研究開発目標の下に、AMED が研究開発領域を定め、研究開発領域毎に課題の採択や運営等を担う研究開発総括（PS）・研究開発副総括（PO）を任命し、PS・PO による適切な助言・指導の下、画期的なシーズの創出に向けて先端的研究開発を推進している。研究成果の最大化に向けて、領域の特性に応じた柔軟・機動的なマネジメントを実施しており、効率的な運営体制であると評価する。

4. 予算（執行額）の変遷

（単位：百万円）

年度	H27	…	R2	R3	R4	R5	R6	R7（案）
当初予算	7,450	…	8,796	9,799	10,619	10,920	11,012	11,045
補正予算	0		0	0	0	0	0	－
調整費	755		52	107	777	758	1,054	－

5. 課題実施機関・体制

別紙参照

6. その他

科学技術振興機構（JST）との連携領域を立ち上げ（令和３年度「マルチセンシング」領域、令和４年度「老化」領域）、AMED-JST のプログラムに共通の研究開発総括を配置することにより、組織・分野の枠を越えた一体的な領域体制を構築した。領域全体のポートフォリオの共有や合同領域会議等の開催、領域連携 DX ツールの構築等の横断的なマネジメントを行うことにより、AMED-JST の各プログラムの研究者の相互連携や交流を活性化し、研究早期段階から医工連携や異分野融合を取り込んだ独創的な共同研究を創出している。

また、「早期ライフ」領域においては、慢性の痛み解明研究事業（厚生労働省所管 AMED 事業）等との連携推進ワークショップを開催し、共同研究の創出につなげている。

研究データについては、研究機関等に対しデータマネジメントプランの提出を義務づけ、研究開発により生み出されるデータの利活用を促進するとともに、AMED 全体として、「AMED 研究データ利活用に係るガイドライン」を適用し、AMED ウェブサイトで公開している。

背景・課題

(事業期間：平成26年度～)

- 「健康・医療戦略」等に基づき、世界最先端の医療の実現に向けて、革新的シーズを将来にわたって創出し続けるための分野横断的な基礎研究を推進する。
- 国が定めた研究開発目標の下、新たな研究開発領域を設定し、組織の枠を超えた時限的な研究体制を構築して、革新的な医薬品や医療機器、医療技術等に繋がる画期的シーズの創出・育成に向けた先端的研究開発を推進するとともに、有望な成果について研究を加速・深化する。

<参考>「健康・医療戦略」(令和2年3月閣議決定 令和3年4月一部変更)、「医療分野研究開発推進計画」(令和2年3月健康・医療戦略推進本部決定 令和3年4月一部変更)
アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制を構築し、新規モデルの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究を行うとともに、国際共同研究を実施し、臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付ける。



文科省

研究開発目標の策定・通知

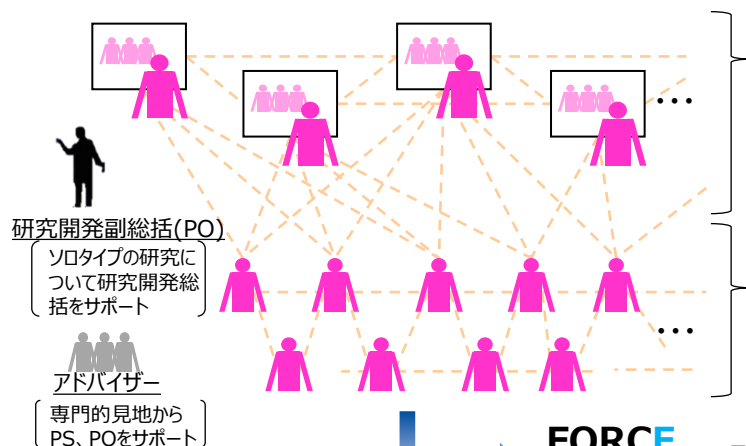
- 研究開発目標例
- 性差・個人差・個人内の変化の解明と予測への挑戦
 - ストレスへの応答と病態形成メカニズムの解明
 - 免疫細胞に宿る記憶の理解とその制御に資する医療シーズの創出

【事業スキーム】



研究開発総括(PS)

- ・公募選考による研究課題採択を通じ、全国の大学等から最適な研究体制を構築
- ・研究計画への助言・方向付けや進捗に応じた柔軟・機動的な資源配分により、全体をマネジメントし、共同研究等を促進



AMED-CREST ユニットタイプ

- ー研究開発代表者を筆頭とする研究ユニットで研究を推進
- 研究開発期間：5年半
- 研究開発費：総額1.5～5億円程度/課題



PRIME ソロタイプ

- ー研究者個人で研究を推進
- 研究開発期間：3年半
- 研究開発費：総額3～4千万円程度/課題

FORCE ステップタイプ

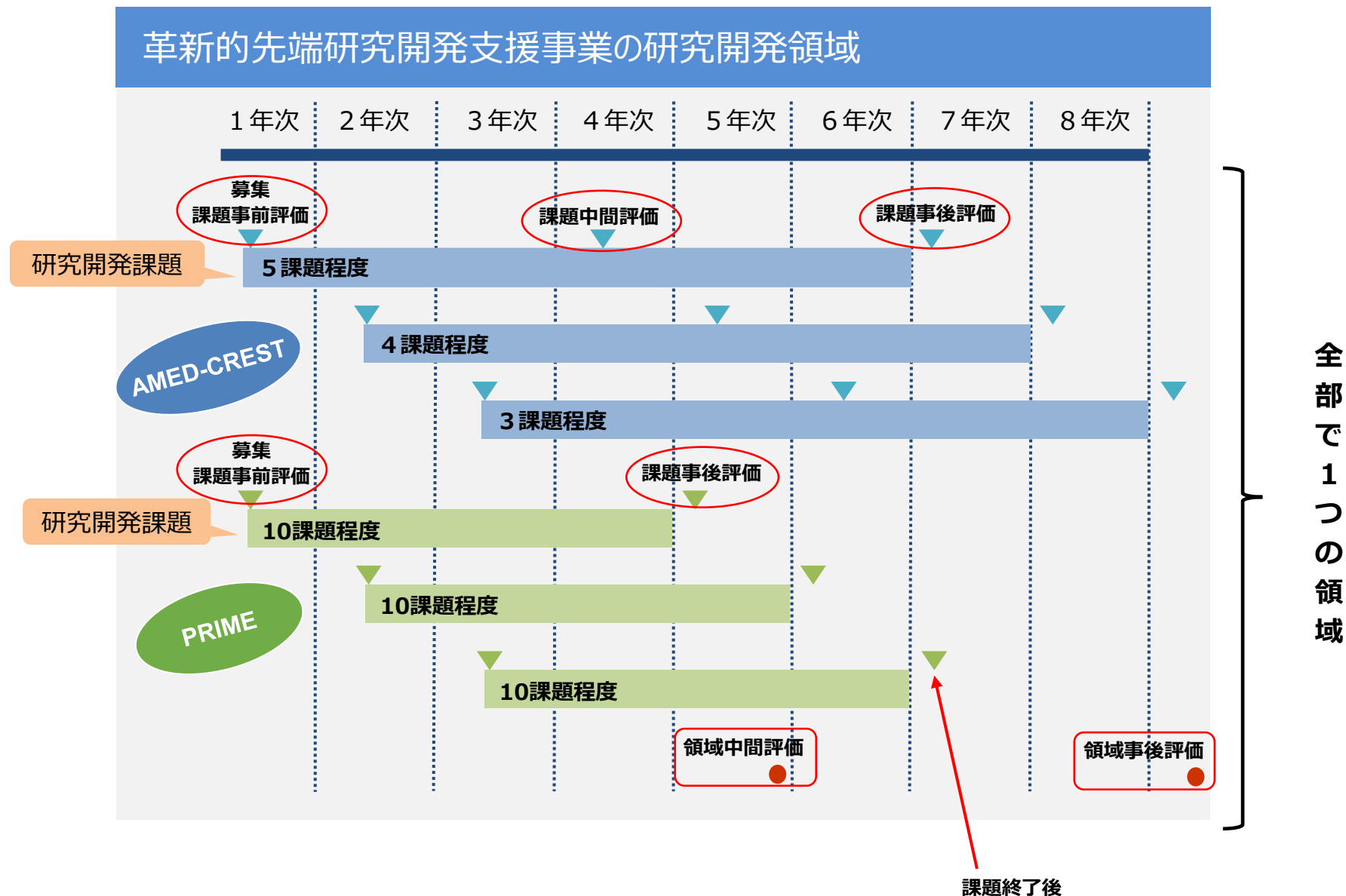
- ーAMED-CREST、PRIME等の成果を展開
- 研究開発期間：2年以内 ●年間研究開発費：上限2千万円



インキュベートタイプ

- ーAMED-CRESTやPRIME等で優れた研究成果を創出した研究者を研究代表者として研究チームを形成
- ープログラムマネージャーによる企業への導出等に関するサポートにより、速やかに研究成果を実用化
- 研究開発期間：5年以内
- 年間研究開発費：上限3億円

AMED-CREST, PRIMEの研究開発実施期間

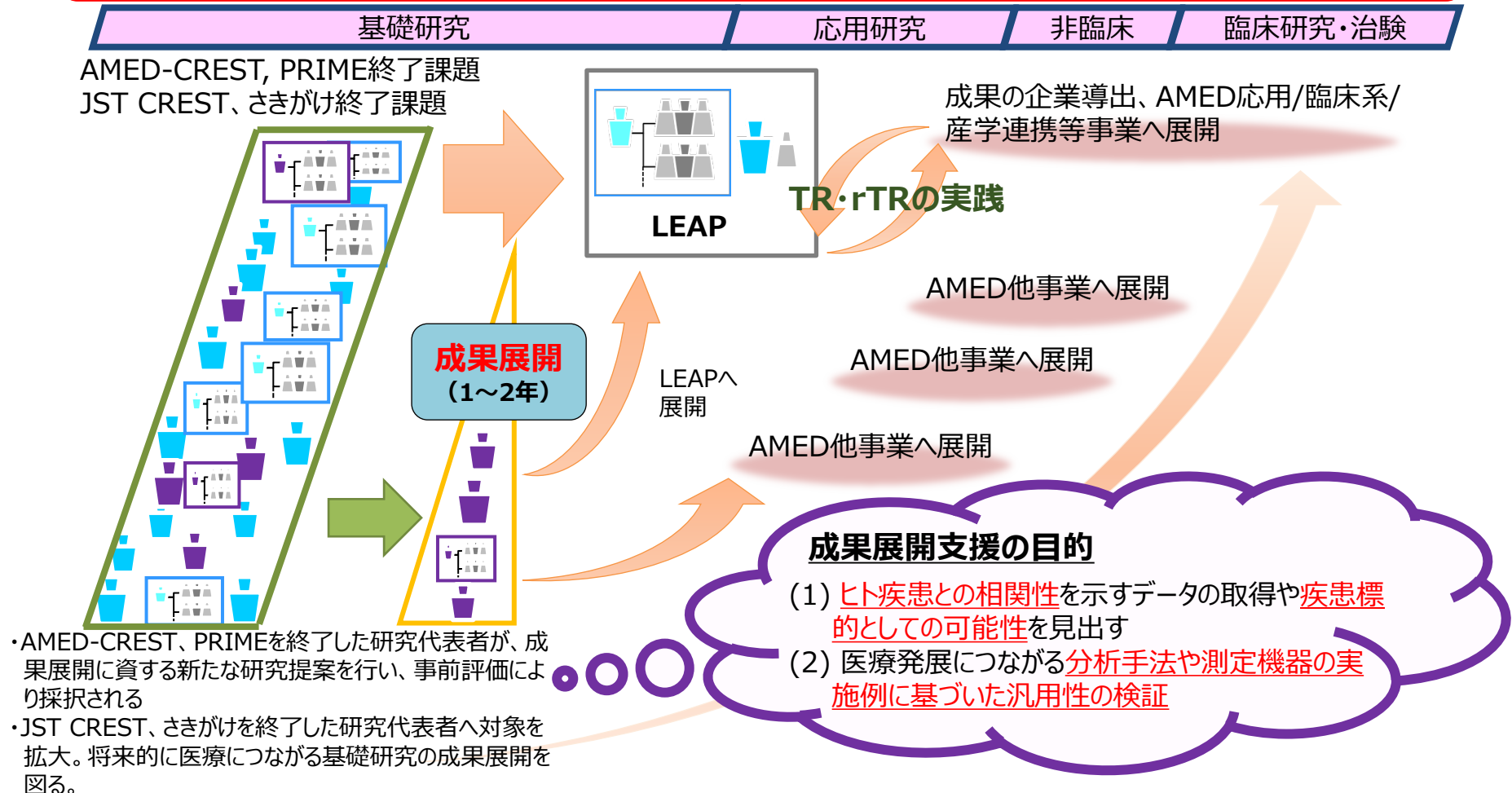


ステップタイプ（FORCE） AMED-CREST、PRIME課題等の成果展開支援

AMED-CRESTやPRIME等の研究開発のうち、科学的あるいは国際的に優れた研究成果が得られたものについて、1～2年の追加支援により大きな「**成果展開**」が期待できる課題について、次の段階へ切れ目無くつなぐための制度。

FORCE: **F**rontier **O**utstanding **R**esearch for **C**linical **E**mpowerment

ヒト疾患サンプルでの実験データや、生み出された技術の汎用性が示されていないため、LEAPまたはAMEDの応用/臨床系他事業での評価・採択が難しい



AMED-CREST、PRIME、FORCE、JST戦略的創造研究推進事業（CERST、さきがけ、ERATO）等で創出された世界をリードする顕著な研究成果を加速的に発展・深化させる。
研究開発期間：5年以内、研究開発費：上限3億円/年（直接経費）



【特徴とねらい】

- プログラスマネージャー（PM）によるイノベーション指向の研究開発マネジメントにより、技術的成立性の証明・提示、および適切な権利化を推進
- 医療応用に向けて、**企業やベンチャー、AMED 他事業などで継承**
- 将来において革新的な医薬品や医療機器、医療技術の創出に繋がることで、社会的変革に向けた広がりのある研究開発の潮流が生まれることを期待

研究開発領域一覧 (AMED-CREST (ユニットタイプ) /PRIME (ソロタイプ))

発足年度	研究開発領域名	研究開発総括 (PS)、副総括 (PO)
令和6年度	性差・ 個人差 の機構解明と予測技術の創出 (AMED-CREST/PRIME)	岡田 眞里子 PS (大阪大学蛋白質研究所 教授) 伊藤 隆司 PO (九州大学大学院医学研究院 教授)
令和5年度	ストレス への応答と疾病発症に至るメカニズムの解明 (AMED-CREST/PRIME)	磯 博康 PS (国立国際医療研究センターグローバルヘルス政策研究センター センター長) 一條 秀憲 PO (東京科学大学総合研究院高等研究府 特別荣誉教授) 関谷 毅 PO (大阪大学産業科学研究所 教授)
令和4年度	根本的な 老化 メカニズムの理解と破綻に伴う疾患機序解明 (AMED-CREST/PRIME)	望月 直樹 PS (国立循環器病研究センター研究所 研究所長) 深水 昭吉 PO (筑波大学生存ダイナミクス研究センター 教授) 安友 康二 PO (徳島大学大学院医歯薬学研究部 教授)
令和4年度	免疫記憶 の理解とその制御に資する医療シーズの創出 (AMED-CREST)	竹田 潔 PS (大阪大学大学院医学系研究科 教授) 清野 宏 PO (千葉大学未来医療教育研究機構 卓越教授/未来粘膜ワクチン研究開発シナジー拠点 拠点長)
令和3年度	マルチセンシング ネットワークの統合的理解と制御機構の解明による革新的医療技術開発 (AMED-CREST/PRIME)	永井 良三 PS (自治医科大学 学長) 竹内 昌治 PO (東京大学大学院情報理工学系研究科 教授) 西田 幸二 PO (大阪大学大学院医学系研究科 教授)
令和3年度	感染症創薬 に向けた研究基盤の構築と新規モダリティ等の技術基盤の創出 (AMED-CREST)	土井 洋平 PS (藤田医科大学医学部 教授/ピッツバーグ大学医学部 教授) 松浦 善治 PO (大阪大学感染症総合教育研究拠点/微生物病研究所 特任教授)
令和2年度	プロテオスタシス の理解と革新的医療の創出 (AMED-CREST/PRIME)	永田 和宏 PS (JT生命誌研究館 館長) 遠藤 玉夫 PO (東京都健康長寿医療研究センター研究所 シニアフェロー)
令和元年度	健康・医療の向上に向けた 早期ライフステージ における生命現象の解明 (AMED-CREST/PRIME)	佐々木 裕之 PS (九州大学生体防御医学研究所 特別主幹教授・特命教授名誉教授) 武田 洋幸 PO (京都産業大学 生命科学部 教授)
平成30年度	生体組織の 適応・修復 機構の時空間的理解に基づく生命現象の探求と医療技術シーズの創出 (AMED-CREST/PRIME)	吉村 昭彦 PS (東京理科大学生命医科学研究所 教授) 横溝 岳彦 PO (順天堂大学大学院医学研究科 教授)
平成29年度	全ライフコースを対象とした個体の 機能低下 機構の解明 (AMED-CREST/PRIME)	西田 栄介 PS (理化学研究所生命機能科学研究センター センター長) 原 英二 PO (大阪大学微生物病研究所 教授)

研究開発領域一覧(LEAP(インキュベートタイプ)進行中課題)

LEAPについて

AMED-CREST や PRIME 等で創出された世界をリードする顕著な研究成果をプログラスマネージャーによる研究開発マネジメントにより、加速的に発展・深化させ、企業やベンチャーなどに研究開発の流れを継承することを目的とする制度。

プログラmsーパーバイザー (PS)	プログラムオフィサー(PO)
上村みどり CBI研究機構 量子構造生命科学研究所長	内田 毅彦 サナメディ株式会社 代表取締役 小川 淳 ICONクリニカルリサーチ合同会社 社長

発足年度	研究開発課題	研究開発代表者、プログラスマネージャー (PM)
令和6年度	三次リンパ組織を標的とした腎臓病治療法および診断法の開発	柳田 素子 京都大学大学院医学研究科 教授 PM:鈴木 忍 京都大学 成長戦略本部 上席イノベーションプロデューサー/特定教授
令和5年度	デザイン染色体による免疫系ヒト化動物の創成と創薬応用	香月 康宏 鳥取大学染色体工学研究センター 教授 PM: 齋藤 宏暢 鳥取大学染色体工学研究センター 特任教授
令和4年度	運動機能の増進から健康長寿を高めるシーズとモダリティ開発	浅原 弘嗣 東京科学大学大学院医歯学総合研究科 教授 PM: 下川 晃彦 東京科学大学 医療イノベーション機構 特任教授
令和3年度	化学を基盤としたmRNAの分子設計・製造法の革新とワクチンへの展開	阿部 洋 名古屋大学大学院理学研究科 教授 PM:金 承鶴 名古屋大学大学院理学研究科 特任教授
令和2年度	難治性神経筋疾患の画期的治療に向けた筋特異的受容体チロシンキナーゼ活性化剤の開発	菅 裕明 東京大学大学院理学系研究科 教授 PM:久保 祐一 東京大学大学院理学系研究科 特任専門員

研究開発領域一覧 (FORCE (ステップタイプ) 進行中課題)

FORCEについて

AMED-CREST や PRIME 等の研究開発課題のうち、科学的あるいは国際的に優れた研究成果が得られたものについて、1～2年の追加支援により大きな成果展開が期待できる研究を推進。ヒト疾患サンプル等を用いた疾患関連性の検証や、開発した分析法や測定機器の汎用性の検証を行うことを目的とし、次の段階へ切れ目無くつなぐための制度。

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)
大島 悦男 キリンホールディングス株式会社 ヘルスサイエンス事業本部 シニアフェロー	小田 吉哉 東京大学大学院医学系研究科 特任教授 河野 隆志 国立がん研究センター ゲノム生物学研究分野 研究分野長 /ゲノムTR 分野長 本橋 ほづみ 東北大学大学院医学系研究科 教授

発足年度	研究開発課題	研究開発代表者
令和6年度	神経変性疾患の新たな選択肢:AUTACsによるオートファジー活性化	有本 博一 東北大学大学院生命科学研究科 教授
令和6年度	生体ナノ粒子多次元解析による新規診断・治療効果評価法の開発	石井 健 東京大学医科学研究所 教授
令和6年度	腸内細菌叢由来因子による肝がん微小環境の形成メカニズムの解明と 予後予測・予防・治療への応用	大谷 直子 大阪公立大学大学院医学研究科 教授
令和6年度	悪性リンパ腫における細胞内脂質輸送制御破綻の検証	中津 史 新潟大学医歯学系 准教授
令和5年度	ヒト心不全における心筋DNA損傷の病的意義の解明とその制御	小室 一成 東京大学 医学部附属病院 特任教授
令和5年度	ヒト腸管免疫・上皮バリアの機能制御機構の解析	竹田 潔 大阪大学大学院医学系研究科 教授
令和5年度	免疫細胞機能計測チップデバイスの開発と抗腫瘍活性診断への応用	民谷 栄一 大阪大学産業科学研究所 特任教授
令和5年度	血管内皮幹細胞を標的とした虚血性疾患の革新的治療法の開発	内藤 尚道 金沢大学医薬保健研究域医学系 血管分子生理学 教授

革新的先端研究開発支援事業における顕著な研究成果事例

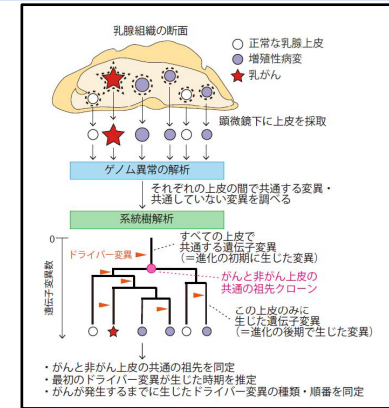
乳がん発生の進化の歴史を解明

ーゲノム解析による発がんメカニズムの探索ー

小川 誠司 京都大学 教授 (2019~AMED-CREST機能低下領域)

<成果の概要・インパクト>

- 最初の変異がいつ獲得されるのか、また、その変異を獲得した細胞が、更にいつ、どのような変異を獲得し、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についてはよくわかっていなかった。
- 最先端のゲノム解析技術を駆使することで、思春期前後に生じた最初の変異の獲得から数十年後の発症にいたるまでの全経過を世界で初めて明らかにした。
- 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ことが期待される。
- 本成果は2023年7月に「Nature」に掲載。



乳がんの進化の歴史を解明するための系統樹解析

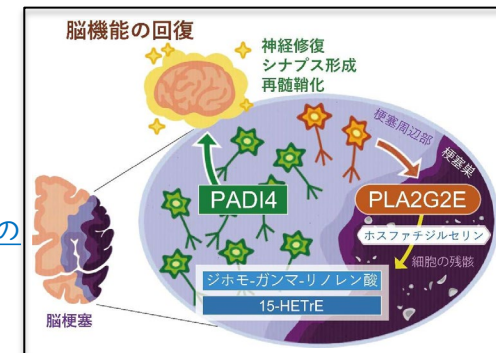
脂肪酸代謝を介した脳の修復メカニズムを発見

ー脂質を投与することにより脳梗塞後の神経症状が改善ー

七田 崇 東京医科歯科大学 教授 (2020~AMED-CREST適応・修復領域)

<成果の概要・インパクト>

- 脳梗塞により失われた脳の機能を代償するための神経修復メカニズムは不明であった。
- 脳梗塞後に産生される脂肪酸代謝物が引き金となり、シトルリン化酵素PADI4によるヒストンタンパク質のシトルリン化を介して神経修復に働く遺伝子の発現が誘導される神経修復メカニズムを発見。
- PADI4の発現を誘導する神経修復性の脂質の脳梗塞モデルマウスへの投与により、脳梗塞後の神経症状の改善が示されたことから、脳卒中の新規治療法開発への応用が期待される。
- 本成果は2023年7月に「Neuron」に掲載。



脂肪酸代謝物によって神経修復が誘導されるメカニズム

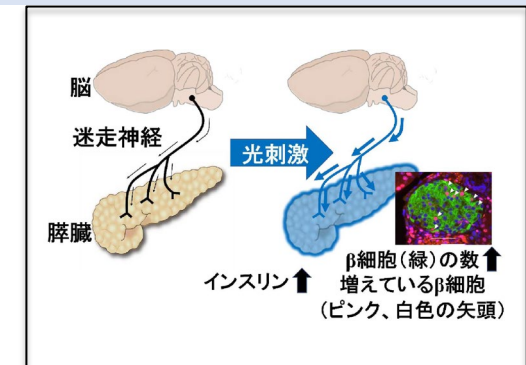
神経の活性化によりインスリン産生細胞を再生

ーマウス糖尿病の治療に成功ー

今井 淳太 東北大学 准教授 (2018~2021 PRIME適応・修復)

<成果の概要・インパクト>

- 脳と膵臓をつなぐ自律神経を個別に刺激する方法を独自に開発し、これにより、マウスにおいてインスリンを作る細胞を増やせることを発見。
- インスリン産生細胞が減ってしまった糖尿病マウスの自律神経を刺激することで、インスリン産生細胞を再生し治療することに成功。
- 自律神経刺激によってインスリン産生細胞を増やす糖尿病治療法・予防法の開発や、インスリンを作る細胞の数や働きを調節するメカニズムの解明が進むことが期待される。
- 本成果は2023年11月に「Nature Biomedical Engineering」に掲載。



マウスの膵臓の迷走神経を光刺激で活性化することで、血中インスリンとβ細胞数を増やすことに成功

革新的先端研究開発支援事業における顕著な研究成果事例

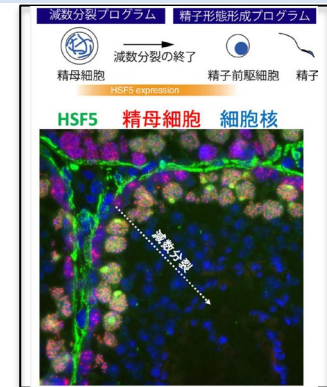
雄性不妊にかかわる新規の遺伝子を発見

ー精子形成の減数分裂に熱ショック因子が関与するメカニズムを明らかにー
石黒 啓一郎 熊本大学 教授 (2021~2024 PRIME早期ライフ)



<成果の概要・インパクト>

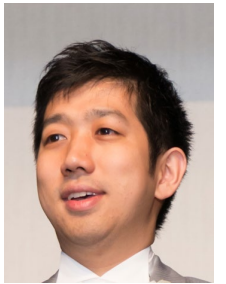
- ・精子が作られる際に減数分裂進行のコントロール役として働く遺伝子として「HSF5」を特定。
- ・SF5遺伝子に障害が起きると精子が作られず不妊となることを発見。
- ・HSF5は熱ショック因子と分類されるタンパク質の一つであるが、熱ショック応答には関係せず、減数分裂の終了プロセスと精子の形成の調節に役割を果たす新規の重要な遺伝子であることを解明。
- ・本成果は、特に精子の形成不全を示す不妊症の病態解明だけでなく、将来的には減数分裂のクオリティを担保する技術開発への応用など、生殖医療に大いに貢献することが期待される。
- ・本成果は2024年4月に「Nature Communications」に掲載。



体細胞分裂から減数分裂に切り替わるメカニズム

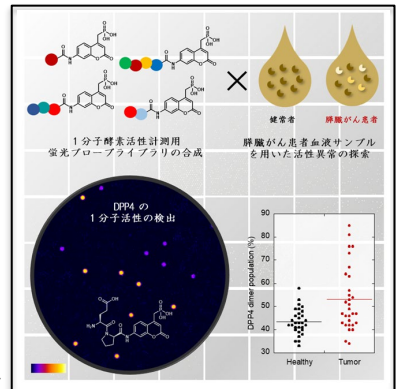
膵臓がんにおける血液中の酵素活性異常の発見

小松 徹 東京大学 助教 (2022~2023 FORCE)



<成果の概要・インパクト>

- ・JSTさがき「疾患代謝」では、種々の酵素活性を計測する蛍光基質及びマイクロデバイスを用いた1分子酵素活性測定法を開発した。この測定法を用いて、FORCEでは、ヒト血液中の様々なタンパク質加水分解酵素の活性異常を1分子のレベルで網羅的に解析する方法を開発した。
- ・膵臓がん患者血液中の酵素活性異常の解析により、早期から観察される特異な酵素活性異常を見出した。
- ・見出された活性異常に基づく早期膵臓がん診断技術の社会実装が期待される。
- ・本成果は2024年1月に「Cell Reports Methods」に掲載。
- ・計測システムの特許4件について、国内企業との独占ライセンス契約を締結。



血液中の1分子レベルの酵素活性解析に基づく疾患診断手法の開発

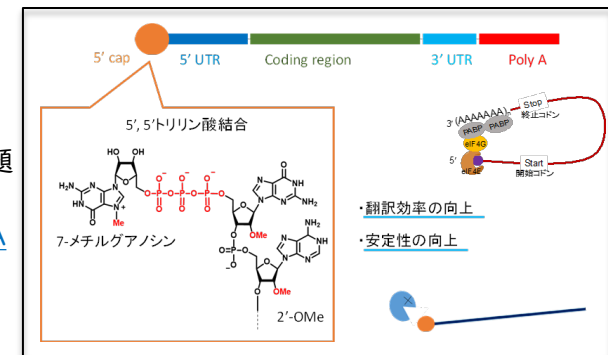
世界初の高純度キャップ化mRNAワクチン製造技術、PureCap法の確立

ーCap2型mRNAは、低免疫刺激・高翻訳能を有することを明らかにー
阿部 洋 名古屋大学 教授 (2021~LEAP)



<成果の概要・インパクト>

- ・mRNAはワクチンとして実用化されているが、不純物の混入により免疫刺激を引き起こすという課題がある。
- ・Cap2型構造を有するmRNAを高純度で製造することに世界で初めて成功し、このCap2型mRNAは、高翻訳能を有し、また、炎症作用も低いことが明らかになった。
- ・将来的には、キャップ化された目的mRNAを高純度で単離精製することが可能となり、安心・安全な純国産mRNAワクチンの製造に貢献することが期待される。
- ・本成果は2023年5月に「Nature Communications」に掲載。
- ・ベンチャー企業を設立し、国産mRNA医薬の開発を進めている。



真核生物のmRNAの構造的特徴を表した図

革新的先端研究開発支援事業の施策成果について

世界三大科学誌への投稿論文を多数輩出

➤ 「Cell」、「Nature」、「Science」誌に投稿された国内論文のうち、4%程度が本事業によるもの

過去9年間に、世界三大科学誌に国内から投稿された総論文数と本事業により投稿された論文数の比較

対象	H27	H28	H29	H30	R1	R2	R3	R4	合計
日本全体	158	170	158	174	217	234	221	236	1568
本事業	0	5	11	8	10	11	7	14	66
割合	0.0%	2.9%	7.0%	4.6%	4.6%	4.7%	3.2%	5.9%	4.2%

→予算額において、競争的研究費総額の1%程度(R4予算)のみを占める本事業による論文の割合が4%程度も占める

(出典:AMED調べ)

本事業より応用研究フェーズ・企業へ成果を多数展開

(本事業で創出した技術シーズは、フェーズに応じて、AMEDの応用研究フェーズ事業や企業へ円滑に展開。)

- ・特許申請・登録等に至った研究開発(R1~R4年度)・・・140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(R1~R4年度)・・・45件
- (成果展開事例)

課題名(代表者・所属)	成果	導出および他事業採択状況
リゾリン脂質メディエーター研究の医療応用 (青木淳賢・東大薬)	疾患バイオマーカーとしての成果	・血中LPA産生酵素オートタキシン(ATX)が肝硬変のバイオマーカーとして保険収載。
	リゾリン脂質測定に関する成果	・橋渡し研究戦略的推進プログラム・シーズBに採択。実用化に関しては、国内企業S社と共同研究契約を締結
化学を基盤としたmRNAの分子設計・製造法の革新とワクチンへの展開 (阿部 洋・名古屋大学)	ベンチャー設立	・大学発ベンチャークラフトンバイオテクノロジー株式会社を設立
腸内細菌株カクテルを用いた新規医薬品の創出 (本田賢也・慶應大)	胆汁酸を合成できる腸内細菌株を同定	・次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業に採択。実用化に向けて研究を展開している。

中間評価票

(令和 7 年 1 月現在)

1. 課題名 革新的先端研究開発支援事業

2. 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	シーズ開発・研究基盤プログラム 概要：アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制を構築し、新規モデルの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究や、国際共同研究を実施する。また、橋渡し研究支援拠点において、シーズの発掘・移転や質の高い臨床研究・治験の実施のための体制や仕組みを整備するとともに、リバーズ・トランスレーショナル・リサーチや実証研究基盤の構築を推進する。
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 2024（令和 6 年 6 月 4 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） バイオエコノミー戦略（令和 6 年 6 月 3 日統合イノベーション戦略推進会議決定）

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 3 年	令和 4 年	令和 5 年
橋渡し研究支援拠点で支援しているシーズ数	1,326 件	1,501 件	1,270 件

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 3 年	令和 4 年	令和 5 年
治験届出件数のうち医師主導治験の数	37 件	29 件	32 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	98 件	110 件	94 件

※アウトプット指標・アウトカム指標の実績はプログラム全体での数値であり、そのうちアウトプッ

ト指標及びアウトカム指標 1 つ目の実績には本事業の成果を含まない。

3. 評価結果

(1) 課題の進捗状況

○事業の概要

本事業は、革新的な医薬品や医療機器、医療技術等につながる画期的シーズの創出・育成を目的に、国が定めた研究開発目標の下、大学等の研究者から提案を募り、チーム型の AMED-CREST、個人型の PRIME、それらの成果を応用・臨床へと展開するための追加支援を行う FORCE、それらの成果を企業導出等に向けて加速・深化させる LEAP の 4 つのプログラムによって、組織の枠を超えた時限的な研究体制を構築して先端的研究開発を推進するものである。

科学技術振興機構（JST）の戦略的創造研究推進事業（新技術シーズ創出）から創出された成果のうち、特に医療応用に向けた特筆すべき進展があった 2 課題について、平成 26 年から革新的先端研究開発支援事業として医薬品としての実用化につなげる支援を開始し、平成 27 年 4 月 1 日をもって AMED へ移管した。その際、戦略的創造研究推進事業（新技術シーズ創出）において運営されていた研究領域のうち、医療・創薬に資するものも併せて移管し、運営を始めた。

○運営体制

本事業では、文部科学省が定める研究開発目標の下に、AMED が研究開発領域を定め、領域毎に課題の採択や運営等を担う研究開発総括（PS）・研究開発副総括（P0）を任命し、PS・P0 によるサイトビジットや年 1 回以上の研究開発領域会議の開催等、きめ細かな研究マネジメントを実施している。

採択課題及び研究開発領域については、各々中間評価・事後評価を実施し、適切な進捗管理を行っている。

○進捗状況

前回中間評価（令和 2 年度実施）以降、令和 2 年度に 1 研究開発領域、令和 3 年度に 2 研究開発領域、令和 4 年度に 2 研究開発領域、令和 5 年度に 1 研究開発領域、令和 6 年度に 1 研究開発領域を設定し、現在までに 20 研究開発領域を設けて研究開発を推進している。現在までに AMED-CREST237 課題、PRIME292 課題、LEAP13 課題、FORCE27 課題の計 569 課題を支援している。

本事業から、インパクトの高い国際科学誌（IF 5 以上の論文誌を集計）に令和元年度から令和 4 年度までに 1,050 報掲載される等、科学的・学術的に優れた成果を多数創出している。本事業から得られたシーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数は、令和元年度から令和 4 年度までに 45 件あるなど、アカデミアの基礎研究による優れたシーズを実用化までつなぐことができている。また、令和元年度から令和 4 年度までに累計で 140 件の特許が申請・登録に至っている等、社会的・経済的価値の創出に向けても着実に貢献している。

(2) 各観点の再評価

<必要性>

評価項目	評価基準		評価項目・評価基準の適用時期
国費を用いる必要性、社会的・経済的要請の適合性	定性的	国が関与する必要性・喫緊性があるか	中
	定性的	社会的・経済的要請に合致しているか	中

本事業は、学術研究から生まれた優れた成果をベースに、国が定めた研究開発目標の下で、戦略的に基礎研究を推進することにより、将来の医療・創薬のあり様を変えるような革新的なシーズを創出することを目的とした事業である。学術研究から生まれた成果を医療や創薬に結びつけるための研究は、市場原理に委ねるのみでは十分に取組まれないことから、国が取り組むべき必要性は高い。

また、本事業は、学術研究の進展状況や政策的な要請、国際情勢等を踏まえて文部科学省が毎年度定める研究開発目標の下で、その達成に向けて大学等の研究者を組織や分野を超えて結集し基礎研究を進めるものであり、その時々社会的・経済的な要請を踏まえて、柔軟・機動的に研究開発が進められている。「ライフサイエンス研究の研究力向上に向けて（中間とりまとめ）（令和6年7月31日ライフサイエンス委員会）」においても、基礎研究における分野横断的なチーム構成や、AI や量子などの異分野との融合の重要性が示されているところ、研究開発目標により分野融合を促進する本事業の必要性は高い。近年の研究開発目標は、「性差・個人差・個人内の変化の解明と予測への挑戦（令和6年度）」や「ストレスへの応答と病態形成メカニズムの解明（令和5年度）」等、特定の疾患に限らない目標へと大きくくり化を行い、更なる革新的シーズの創出・育成を推進している。

第二期「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）及び「医療分野研究開発推進計画」（令和2年3月27日閣議決定）において、6つの統合プロジェクトの1つとして、シーズ開発・研究基盤プロジェクトが定められ、基礎的な研究開発の重要性が示されている。優れたシーズを多数創出し、革新的な医薬品や医療機器、医療技術等へとつなげていく本事業は、これらの政府方針を達成するための中核事業であり、政策的必要性は極めて高い。

<有効性>

評価項目	評価基準		評価項目・評価基準の適用時期
科学的・学術的な価値の創出及び社会的・経済的な価値の創出への貢献	定量的	科学的・学術的に質の高い成果を創出しているか	中
	定量的	革新的な医薬品や医療機器、医療技術等の創出につながる成果を創出しているか	中
	定量的	得られた成果が AMED の他の事業等に効果的に展開しているか	中

本事業は、インパクトの高い国際科学誌（IF 5 以上の論文誌を集計）に令和元年度から令和4年度までに1,050報掲載され、うち、「Nature」「Science」「Cell」誌の世界三大科学誌に42報を輩出する等、科学的・学術的に優れた成果を多数創出している。

具体的には、「早期ライフ」領域では、がんの進展を骨膜が止めることを発見し、免疫系以外の細胞が持つ抗がん効果とその重要性を明らかにした（令和6年8月「Nature」掲載）、他、「機能低下」領域において、乳がんの最初の変異の獲得から数十年後の発症にいたるまでの全経過を明らかにした（令和5年7月「Nature」掲載）等、将来の医療・創薬に革新をもたらす優れた成果を輩出している。

また、本事業は、AMEDの疾患別他事業等につながる優れたシーズを提供する役割を担っており、令和元年度から令和4年度までに45件がAMEDの他事業や企業等に展開する等、応用研究フェーズへの優れたシーズの提供という面においても着実に貢献している。また、令和元年度から令和4年度までに累計で140件の特許が申請・登録に至っている等、社会的・経済的価値の創出に向けても着実に貢献している。

具体的には、AMED-CREST「恒常性」領域からLEAPに継承された研究開発課題において、百寿者の便中に特定の胆汁酸が多く含まれることを見だし、その胆汁酸を合成できる腸内細菌株を同定した（令和3年7月「Nature」掲載）。この胆汁酸は病原性細菌に対して強い抗菌活性を示し、健康長寿のメカニズム解明につながる成果として期待されており、現在はAMED次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業（経済産業省所管）に継承され、実用化に向けて研究を展開している。さらに、LEAPにおいては、世界初の高純度キャップ化mRNAワクチン製造技術PureCap法を開発し、本手法を基盤技術とした大学発ベンチャーのクラフトンバイオテクノロジー株式会社を設立し、安心安全な国産mRNA医薬の開発を進めており、成果の社会実装・企業導出等についても着実に貢献している。

以上のとおり、本事業は学術的にインパクトの高い成果を多数創出するとともに、革新的シーズを社会実装に向けて育成しており、革新的な医薬品、医療機器、医療技術等への貢献を目指す事業として有効性が高いと評価される。

<効率性>

評価項目	評価基準		評価項目・評価基準の適用時期
制度設計、運営体制の効率性・妥当性	定性的	事業の制度設計、運営体制は適切か（公募のテーマの設定、研究課題の選定プロセス、評価の体制等）	中
	定性的	AMEDによる研究開発マネジメントは適切か	中

本事業では、文部科学省が定める研究開発目標の下に、AMEDが研究開発領域を定め、研究開発領域ごとに課題の採択や運営等を担うPS・POを任命し、PS・POによる適切な助言・指導の下、研究リソースの利活用や共通基盤支援の構築、プロジェクト内外の事業間連携等に取り組み、画期的なシーズの創出に向けて先端的研究開発を推進している。また、研究成果の最大化に向けて、研究期間中に優れた成果が出た課題への追加支援による研究の加速や、研究進捗報告会において企業研究者から実用化に向けたアドバイスをもらう等、領域の特性に応じた柔軟・機動的なマネジメントを実施している。

AMEDとJSTに共通に設定した研究開発目標（戦略目標）の下、AMEDとJST共通のPSを配置した連携領域である「マルチセンシング」領域（令和3年度発足）と「老化」領域（令和4年度発足）を立ち上げて、組織・分野の枠を越えた一体的な領域体制を構築するなど、

プロジェクト内外の事業間連携を推進している。領域内での包括的な連携を促進するため、合同領域会議の開催や共通 DX ツールの構築等に取り組み、異分野間の情報共有や人材交流を活性化することにより、研究早期段階から医工連携や異分野融合を取り込んだ独創的な共同研究（22 課題）を創出している。

FORCE において、令和 4 年度の公募から、応募対象枠を JST の CREST/さきがけ終了課題へと拡大し（従来の応募対象枠は AMED-CREST、PRIME のみ）、医療分野への展開が期待できる成果を採択し、基礎研究の切れ目ない成果展開に取り組んでいる。

また、LEAP において、研究成果を発展させて企業やベンチャーなどに継承するというプログラムの目的を考慮して、新たに企業経験者を P0 に加え、伴走支援体制を強化し、世界初の高純度キャップ化ワクチン製造技術開発に成功するなどの成果創出につなげた。

以上のとおり、本事業では特徴的なマネジメントを行うとともに、事業の有効性を高めるべく、絶えず運営・マネジメント体制の改善に向けた工夫を続けており、優れた研究成果の創出に対する効率性は高いと評価できる。

（３）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状況

「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）や「統合イノベーション戦略 2024」（令和 6 年 6 月 4 日閣議決定）において、基礎研究の強化に向けた「競争的研究費の一体的改革」の具体的施策として、科学研究費助成事業の研究成果からの切れ目のない支援や、新興・融合研究を促進する取組の強化の必要性が示されているところ、本事業は毎年度新しい研究開発領域を戦略的に設定し、学術研究から生まれた成果を医療や創薬に結びつけるための基礎科学研究を適切に推進している。

また、第二期「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）及び「医療分野研究開発推進計画」（令和 2 年 3 月 27 日閣議決定）において、6 つの統合プロジェクトの 1 つとして、シーズ開発・研究基盤プロジェクトが定められ、基礎的な研究開発の重要性が示されているところ、本事業は多数の優れたシーズ創出に貢献している。

（４）事前評価結果時又は直近の中間評価結果時の指摘事項とその対応状況

<指摘事項>

○ 令和 2 年度中間評価時の留意事項

- ・ JST の戦略的創造研究推進事業（新技術シーズ創出）については、科学技術・学術審議会基礎研究振興部会において、事業の一層の充実・強化に向けた諸点がとりまとめられている（「戦略的創造研究推進事業（新技術シーズ創出）の充実・強化に向けて（検討の整理）（令和元年 7 月 31 日基礎研究振興部会）」）。
- ・ 本とりまとめにおいて以下の具体的な改善策について提言されている。
 - さきがけにおいて多様な分野の研究者が集い、研究領域内で効果的なインタラクションが形成されるような配慮
 - さきがけから CREST への接続強化
 - 事業実施段階における機動性・柔軟性の確保
 - 他の制度関係者や他の資金配分機関との連携強化（研究領域や課題の評価結果等に関する情報交換・共有の強化等）

- 戦略目標を定める国と事業運営を担う JST、領域運営を担う研究総括との情報共有、インタラクションの強化
 - これまでの事業運営・領域運営から得られたグッドプラクティスの蓄積
 - 提出書類の簡素化等の研究者の事務負担軽減
- ・ 本事業についても、本提言を踏まえて、医療・創薬分野の特性に応じた事業運営の改善に不断に取り組んでいくことが必要である。

<対応状況>

前述のとおり、異分野融合を促す研究開発目標の設定、研究開発の進捗に応じた機動的で柔軟な資金配分、AMED 内他事業との連携活動や JST 戦略的創造研究推進事業（新技術シーズ創出）との連携領域の設定など、事業運営の改善に向けて工夫を続けてきており、引き続き事業の一層の充実・強化に向けて取り組んでいく。

（５）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：本事業については、着実な成果を上げていることから、目標管理及び運営体制は適切であり、「必要性」「有効性」「効率性」はいずれも高く、今後も研究の成果が多数輩出されることが見込まれることから、本事業は継続して実施すべきである。

<本課題の改善に向けた指摘事項>

革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST、PRIME 等）など一部の競争的研究費では、組織の壁を越えて、アドバイザーや有識者が多様な立場から助言し、トップサイエンティストを核とするコミュニティが形成されつつある。こうした取組を加速しつつ、ライフサイエンス研究を担う若手研究者への支援をさらに充実させるため、より若い研究者を対象とする新たなメニューを創設することが必要である。他方、多くの中堅・シニアの研究者が、その経験を生かして第一線で研究活動を担っていることを踏まえ、研究費支援にあたっては、支援が幅広く行き渡るよう留意することも重要である。（ライフサイエンス研究の研究力向上に向けて（中間とりまとめ）令和6年7月31日ライフサイエンス委員会より抜粋）

（６）その他

特になし