

令和4年度医療分野研究開発推進計画のフォローアップ結果（概要）

- 第2期医療分野研究開発推進計画（令和2～6年度）において、計画の実行状況をフォローアップすることとされていることを踏まえ、第2期推進計画3年度目である令和4年度について、実行状況のフォローアップ結果について報告を行うもの。
- 令和5年5月17日に開催された第34回健康・医療戦略推進専門調査会において、前年度と同様に【新型コロナウイルスによる研究現場への影響や、進捗が不十分となった若干の項目を考慮しても、全体として、順調に進捗している】、と評価された。

令和4年度 医療分野研究開発推進計画の主な成果

- シーズの企業への導出件数累計135件（目標60件）や薬事承認件数（新薬、適応拡大）累計23件（目標10件）など、多数の企業導出や薬事承認取得を達成するなど順調に進捗。【① 医薬品プロジェクト】
- ロボット技術を用いて、介護業務における腰の補助と歩きやすさを両立した防塵防水性のある軽量かつ小型な装着機器が開発されるなど、医療機器等の開発・実用化は着実に進展。【② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト】
- iPS細胞から作成した角膜上皮を移植する世界初の臨床研究の完了や、家族性アルツハイマー病患者を対象とした医師主導治験の実施など、再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装に向けて着実に成果を創出。【③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト】
- シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数累計43件（目標25件）や臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数累計17件（目標15件）など、引き続きゲノム医療の発展に繋がる成果を順調に創出。【④ ゲノム・データ基盤プロジェクト】
- 神経変性疾患の原因となるαシヌクレインの病変を、製薬企業3社と連携してヒト生体脳で明瞭に画像化することに成功するなど、着実に成果を創出。【⑤ 疾患基礎研究プロジェクト】
- 研究成果の科学誌への論文掲載件数累計1,166件（目標550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累計288件（目標125件）や医薬品等の薬事承認申請の件数累計31件（目標30件）など順調に進捗。【⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト】

など

モダリティ技術を活用した医薬品の実用化研究開発の推進

① 医薬品プロジェクト

AMED支援課題関連の令和4年度薬事承認された主な薬剤

- 組換えコロナウイルス (SARS-CoV-2) ワクチン** (ヌバキソビッド筋注)

組換えタンパクを用いた、Matrix-M™アジュバントを含有する新型コロナウイルス感染症ワクチン
- リツキシマブ** (リツキサン®点滴静注100mg、同500mg)

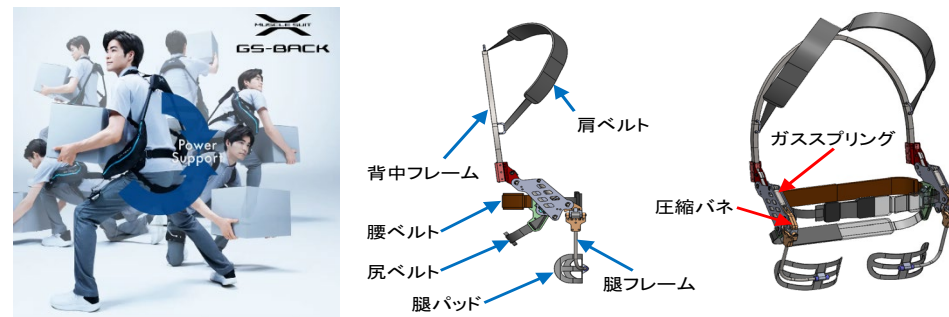
国内有病率5.3人/10万人の指定難病である視神経脊髄炎スペクトラム障害の患者に対して、医師主導第II/III相臨床試験にて有効性が証明された再発予防を効能・効果とする新効能・新用量医薬品 (希少疾病用医薬品)
- バルガンシクロビル塩酸塩** (バリキサドライシロップ5000mg)

国内において年間1,700人程度が発症する希少疾病である症候性先天性サイトメガロウイルス感染症の患者に対して、医師主導治験の成績に基づき世界で初めて治療薬として承認され、効能追加された新効能・新用量医薬品 (希少疾病用医薬品)

ガススプリングを用いた軽量小型こし支援機器に関する実用化開発及び実証試験

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

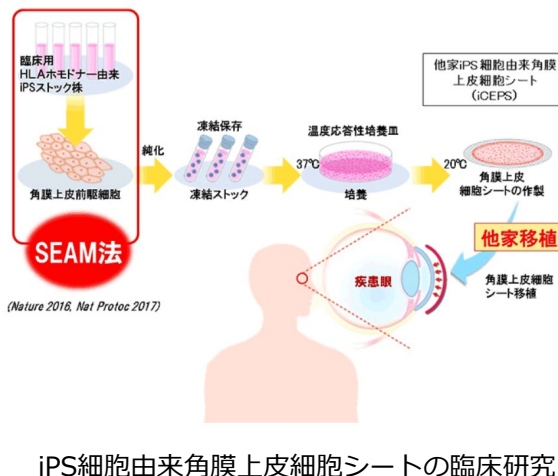
- 2種類のバネを組み合わせることで、腰補助と歩きやすさを両立させた製品であり、特に中腰姿勢の多い、おむつ交換、体位変換、移乗、シーツ交換等介護現場での腰の負担を軽減。
- 防塵防水性があることから入浴介護等に利用することも可能。
- 電気を使用しておらず、作動音がないため、夜間の使用も可能。



iPS細胞から作成した角膜上皮を移植する世界初の臨床研究が完了

③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

- 大阪大学 (西田幸二教授ほか) で、ヒトiPS細胞から角膜上皮を作製し、4例の角膜疾患患者に移植して再生させる臨床研究の経過観察を完了した。
- いずれの症例においても拒絶反応や腫瘍形成といった重篤な副作用は認められず、安全性や有効性を示す結果が得られた。

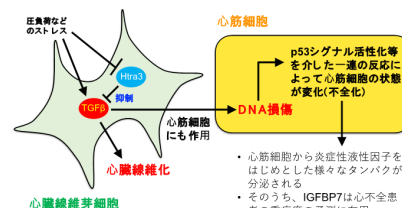


iPS細胞由来角膜上皮細胞シートの臨床研究

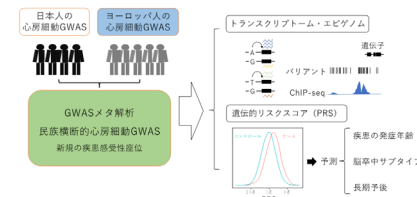
最先端の生化学測定・解析技術から、多様な心不全患者の病態の層別化に成功

④ ゲノム・データ基盤プロジェクト

- 心臓組織検体の空間的オミックス解析とシングルセル解析によって心不全の病態を解析する手法を開発し、多様な心不全患者の病態の層別化に成功。
- さらにゲノム・エピゲノム統合解析とiPS由来心筋細胞を用いて心房細動の発症機序を再現することに成功。これらの成果は、様々な先端解析技術の統合解析をいち早く臨床医学に取り入れて確立し、循環病学に新しい局面を切り拓くものであり、「シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出」3件に紐付く。



Nature Communications. 2022



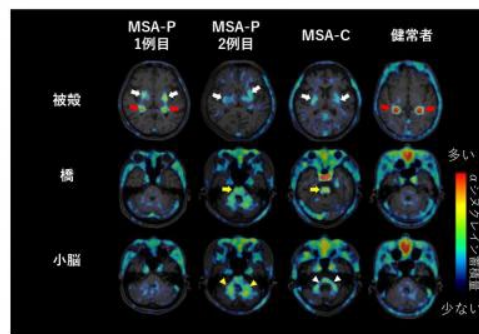
民族横断的な大規模ゲノムデータを用いた心筋細胞のゲノム解析

Nature Genetics. 2023

産学連携で神経変性疾患の原因タンパク質病変のPET画像診断薬剤の開発

⑤ 疾患基礎研究プロジェクト

- 様々な神経変性疾患の患者において脳内にαシヌクレインの病変が蓄積することが知られている。
- 量子科学技術研究開発機構の樋口真人部長らは、αシヌクレインの病変をヒト生体脳で明瞭に画像化することに、製薬企業3社との連携により成功した。
- この成果はαシヌクレイン病変を標的とした根本的治療薬の開発に大きく寄与すると期待され、これらの疾患の患者を対象とした臨床研究が進行している。



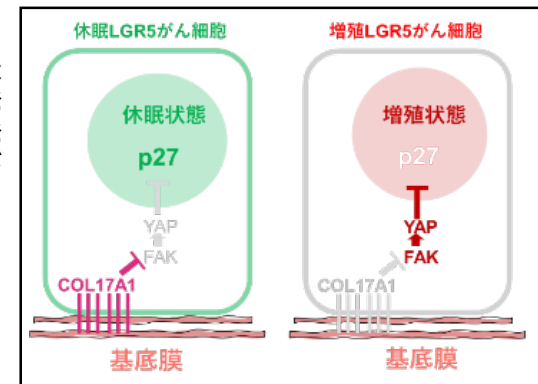
多系統萎縮症患者(左から3列)と健常高齢者(右1列)におけるαシヌクレイン蓄積画像の比較

大腸がん幹細胞が化学療法後に再発するメカニズムを解明

⑥ シーズ研究・研究基盤プロジェクト

- 慶應義塾大学医学部の佐藤俊朗教授らのグループは、大腸がんの増殖を司るヒトの“がん幹細胞(*)”が化学療法後も死滅せず、再燃・再発につながるメカニズムを解明した。
- 本成果は、大腸がんの生命予後を決めているがんの再燃・再発に着目した新しい治療法の開発へとつながり、臨床への還元が期待される。

(*) がん幹細胞
: がん細胞全体の元になる細胞。がんの根治を達成し、再発や転移を防ぐにはこのがん幹細胞を見つけて、根絶させる必要があると考えられている。



がん幹細胞の休眠スイッチの概念図

(参考) 第2期医療分野研究開発推進計画の達成目標の進捗状況

①医薬品プロジェクトの達成目標	最新の数値
<アウトプット>	
非臨床POCの取得件数 25件	128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件数 10件	7件
臨床POCの取得件数 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%	81.0%
<アウトカム>	
シーズの企業への導出件数 60件	135件
薬事承認件数(新薬、適応拡大) 10件	23件
創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 120件	202件
研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	29件

④ゲノム・データ基盤プロジェクトの達成目標	最新の数値
<アウトプット>	
・非臨床POCの取得件数 5件	5件
・臨床POCの取得件数 10件	12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 900件	1,099件※
・新たな疾患発症メカニズム解明件数 10件	34件
・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 25件	131件
・データ基盤構築の状況(連携、解析体制を含む)	-
・アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績	203件
・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	1,729件※
<アウトカム>	
・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	43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	17件
・疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の実用件数 5件	5件

②医療機器・ヘルスケアプロジェクトの達成目標	最新の数値
<アウトプット>	
非臨床POCの取得件数 25件	41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%	31%
ヘルスケア関連機器等の実証完了件数 35件	18件
<アウトカム>	
シーズの他事業や企業等への導出件数 15件	14件
クラスIII・IV医療機器の薬事承認件数 20件	5件
ヘルスケア関連機器等の上市等の件数 10件	6件
研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	59件

⑤疾患基礎研究プロジェクトの達成目標	最新の数値
<アウトプット>	
・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	1,856件※
・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	2,122件※
<アウトカム>	
・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	10件

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトの達成目標	最新の数値
<アウトプット>	
非臨床POCの取得件数 25件 [うち遺伝子治療 5件]	79件 [40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	450件※
治験に移行した研究課題数 20件 [うち遺伝子治療 2件]	27件 [15件]
研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	449件※
臨床研究に移行した研究課題数 [うち遺伝子治療の研究課題数]	12件 [1件]
<アウトカム>	
シーズの他事業への導出件数 30件	42件
企業へ導出される段階に至った研究課題数 10件 [うち遺伝子治療 2件] [うち企業へ導出された件数 2件]	38件 [9件] [21件]
薬事承認件数(新薬、適応拡大) 2件以上	4件
関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況	11件
研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	39件
遺伝子治療の製造に関する要素技術の研究開発の進展状況	133件

⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクトの達成目標	最新の数値
<アウトプット>	
・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	1,166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	93件
・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	723件※
<アウトカム>	
・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	288件
・医薬品等の薬事承認申請の件数 30件	31件

注1: ※の項目は、AMEDにおいてクラリベイトIncites Benchmarkingより集計。
注2: 「最新の数値」は、2023年3月31日時点の累計数。