

アカデミアにおける 臨床開発支援の経験から

永井 純正

東京大学医学部附属病院
トランスレーショナルリサーチセンター

第24回日本遺伝子細胞治療学会学術集会
COI 開示

筆頭発表者名： 永井 純正

演題発表に関連し、開示すべきCOI 関係にある企業等として

タカラバイオ株式会社 (consulting or an advisory role)

Agenda

1. はじめに
2. 公的資金のプロジェクト
3. 課題

Agenda

1. はじめに
2. 公的資金のプロジェクト
3. 課題

アカデミアで開発される再生医療等製品

1. 遺伝子治療

- 腫瘍溶解ウイルス療法
- 希少疾患に対する補充療法

2. 細胞治療

- CAR-T細胞療法などの養子免疫療法
- iPS細胞等を用いた再生等を目的とした治療法

開発に必要な財源

1. 企業との共同研究

- ・ 公募型のオープンイノベーション
- ・ 大学独自の取り組み等による企業とのマッチング

2. 公的資金

- ・ AMED
- ・ 日本医師会
- ・ 科研費

3. ベンチャー起業

- ・ JSTのSTART事業等によるベンチャーキャピタルとのマッチング

開発に必要な財源

- ・ 公募型のオープンイノベーション

いずれも医薬品開発がメイン

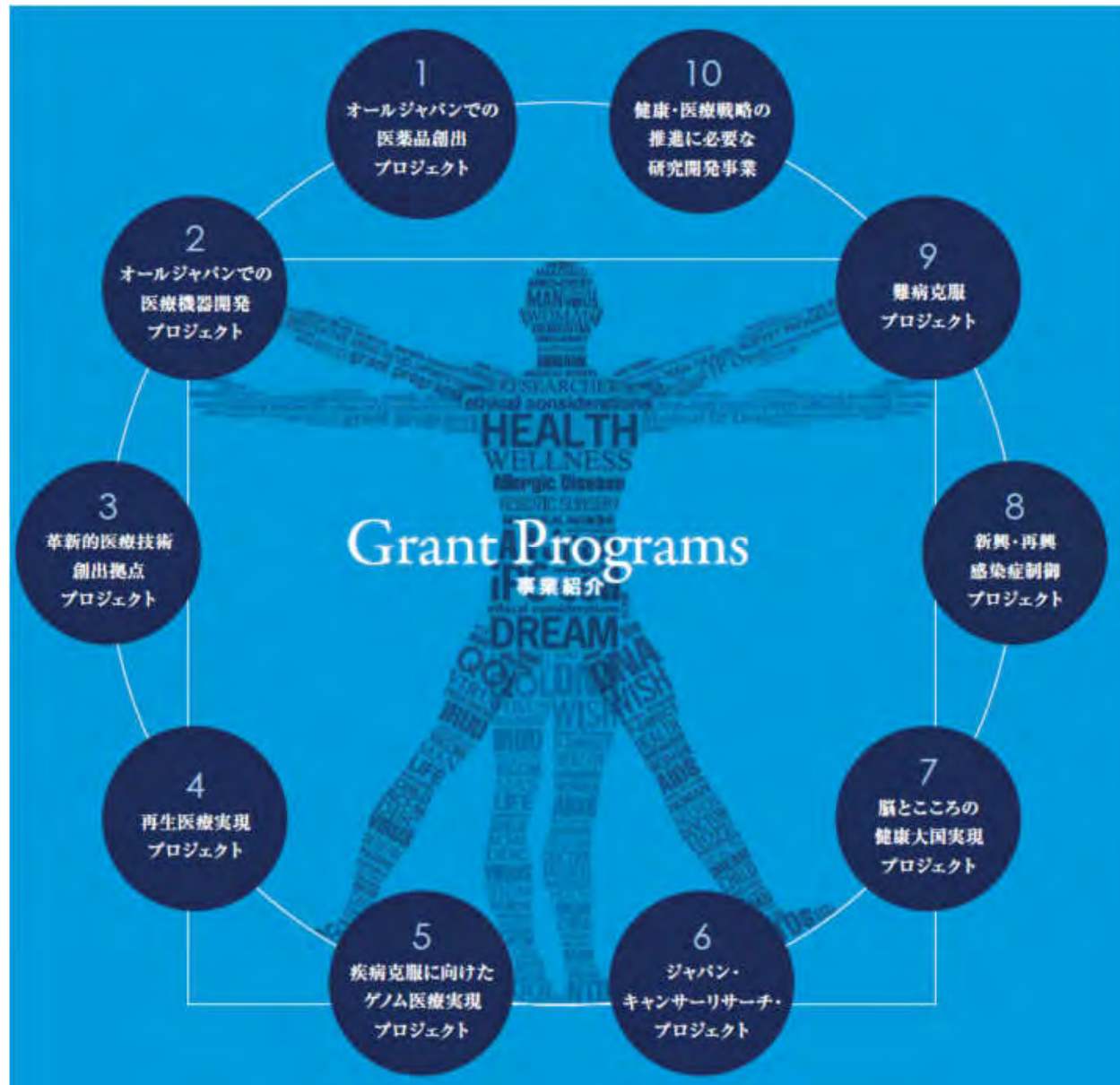
(例)

1. アステラス エーキューブ
2. 第一三共 TaNEDS
3. 大日本住友 PRISM
4. 武田薬品 COCKPI-T

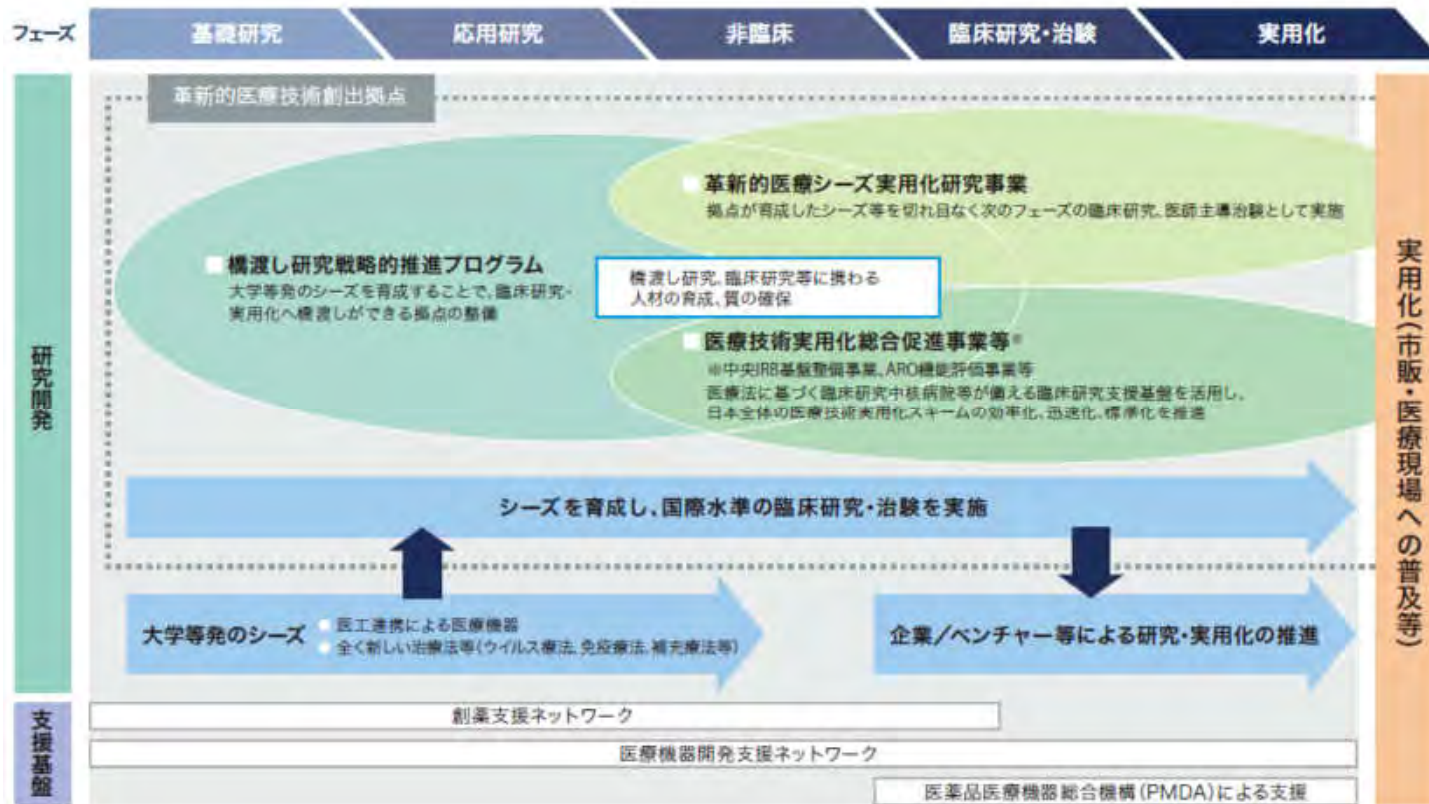
Agenda

1. はじめに
2. 公的資金のプロジェクト
3. 課題

AMEDプロジェクト



革新的医療技術創出拠点プロジェクト

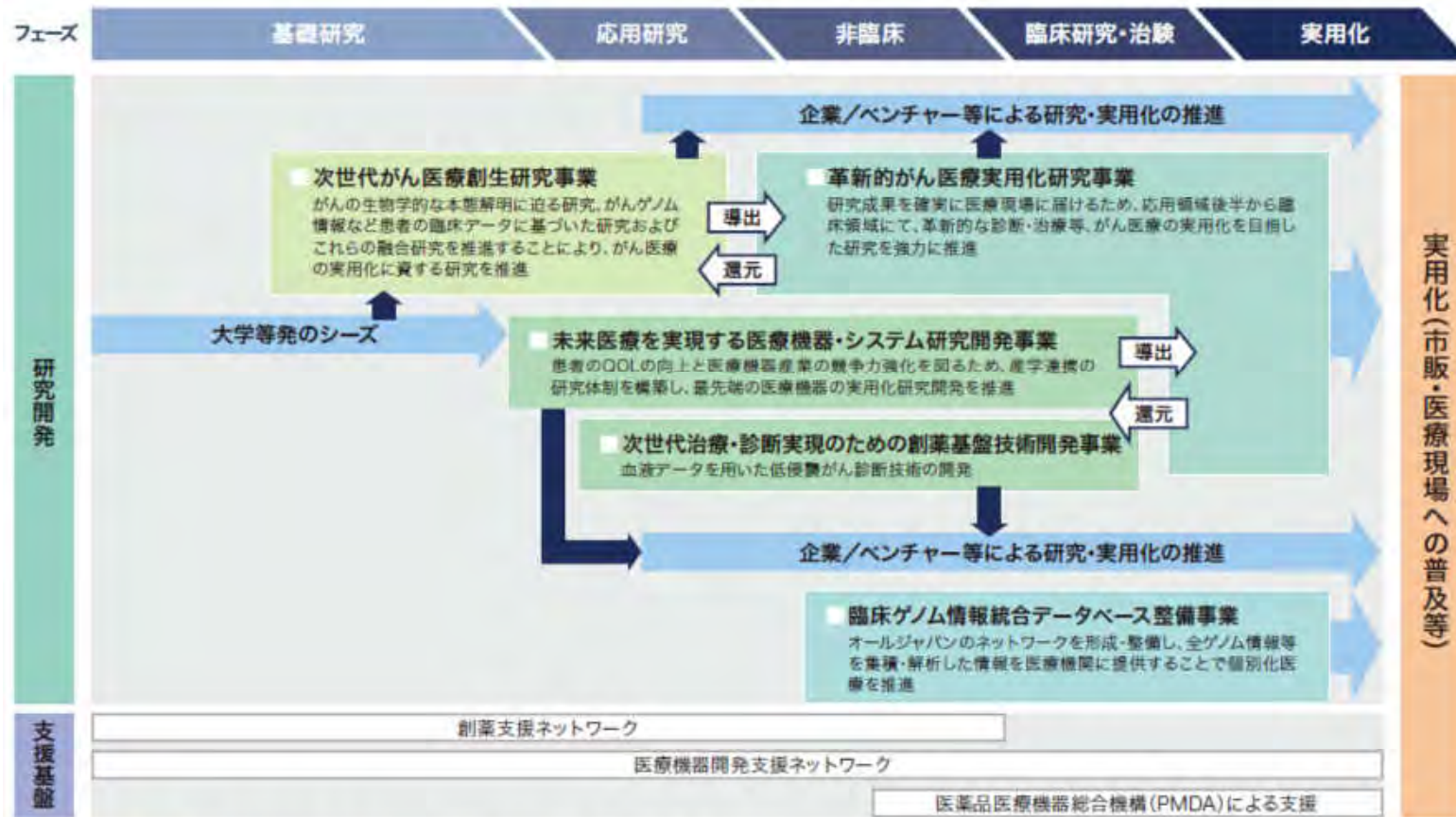


成果事例
1

高性能国産新規RNAウイルスベクターによる虚血肢治療製剤の開発

下肢慢性閉塞性動脈硬化症は、生活習慣病や高齢者の急速な増加を背景に歩行障害や疼痛を来し、QOLに大きく影響します。今までに明確なエビデンスがある薬剤は1剤のみで、効果も限定的でした。九州大学の米満吉和教授らのグループでは、細胞質転写型RNAウイルスベクターを用いて、日本発・世界初となる本疾患に対する新しい治療法を開発し、現在、第Ⅱb相の医師主導治験を開始し、2020年以降に製造販売承認を目指しています。

ジャパンキヤンサーリサーチプロジェクト

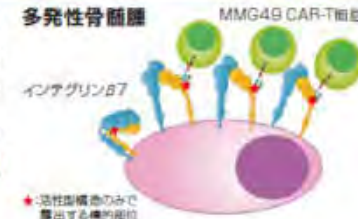


成果事例

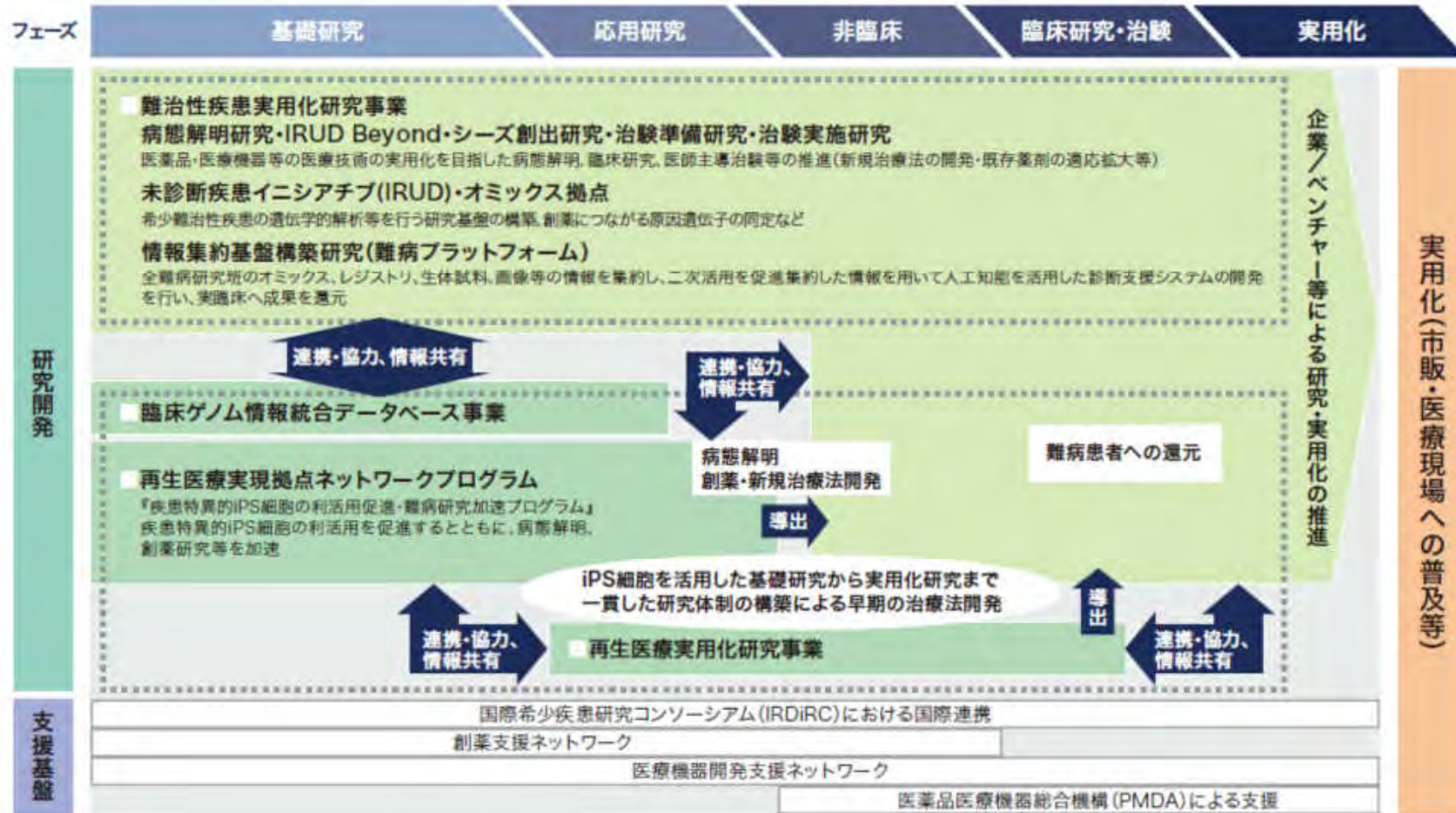
1

多発性骨髄腫に対する新規「CAR-T細胞療法」を開発

大阪大学の保仙直毅准教授らの研究グループは、血液がんの一種、多発性骨髄腫において、活性型の構造を有するインテグリンβ7というタンパク質が特異的に高発現することを発見しました。さらに、このタンパク質に特異的に結合する抗体であるMMG49に由来する人工的免疫細胞「MMG49 CAR-T細胞」を開発し、多発性骨髄腫に対して抗腫瘍効果を発揮することを示しました。現在、ヒトへの応用を目指して、医師主導治験の準備が進められています。



難病克服プロジェクト



再生医療実現プロジェクト



成果事例
1

他人由来のiPS細胞から作製した網膜細胞移植に成功、再生医療の開発に期待

理化学研究所の高橋政代プロジェクトリーダーらの共同研究グループは、滲出型加齢黄斑変性の患者さんに、京都大学で備蓄している健常者のiPS細胞を使用して網膜の細胞を作製し、移植する手術を世界で初めて実施しました。患者さん自身の細胞を使う従来法に比べ、備蓄してある他人由来のiPS細胞を用いる治療は、コストや治療期間を圧縮できる利点があります。本事業により、iPS細胞を利用する再生医療の本格的な普及が期待できます。

AMED橋渡し研究プロジェクト

- 第1期：平成19年度～23年度
橋渡し研究支援推進プログラム
- 第2期：平成24年度～28年度
橋渡し研究加速ネットワークプログラム
- 第3期：平成29年度～現在
橋渡し研究戦略的推進プログラム
- トランスレーショナルリサーチ（橋渡し研究）の臨床応用に向けたAMEDの研究費助成事業だが、各研究者が直接AMEDに応募することはできず、拠点を介して応募する形式。
- シーズ：将来、医薬品・医療機器・再生医療等製品として市販される候補となる研究成果

橋渡し研究戦略的推進プログラム

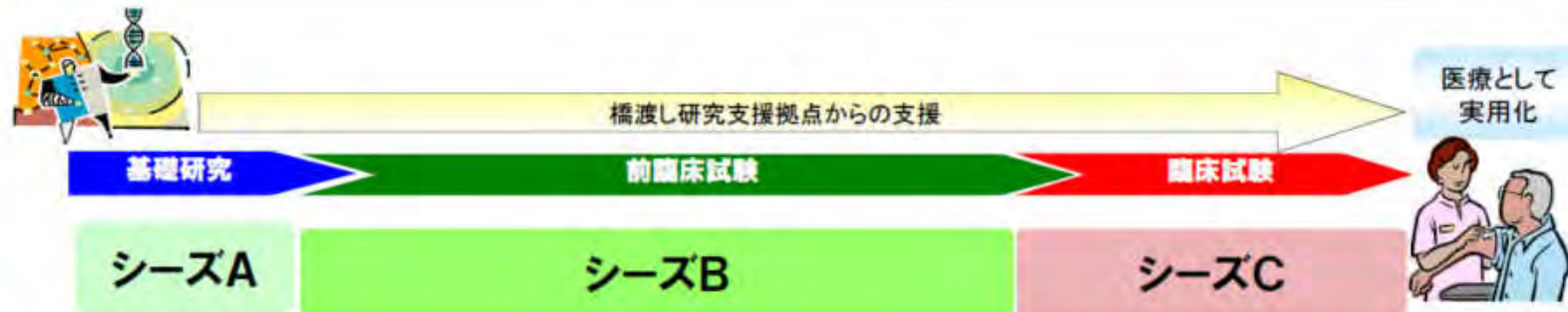
シーズパッケージ制度について

シーズパッケージ制度とは、橋渡し研究支援拠点と研究者を連携させ、拠点の判断により、様々な開発段階にあるシーズに関し、最適な資金配分を実施する仕組みを含めた橋渡し研究支援を行う制度

シーズA: 関連特許出願を目指す基礎研究課題

シーズB: 関連特許出願済みで、**非臨床POC取得**及び治験届提出を目指す医薬品及び医療機器等、薬事申請用臨床データ取得を目指す体外診断用医薬品等の研究課題

シーズC: 関連特許出願及び非臨床POCを取得済みで、健常人又は患者を対象とした**臨床POC取得**、治験又は性能試験を行い承認・認証を目指す医療機器等の臨床研究課題



橋渡し研究戦略的推進プログラム

1. 橋渡し研究戦略的推進プログラムの概要

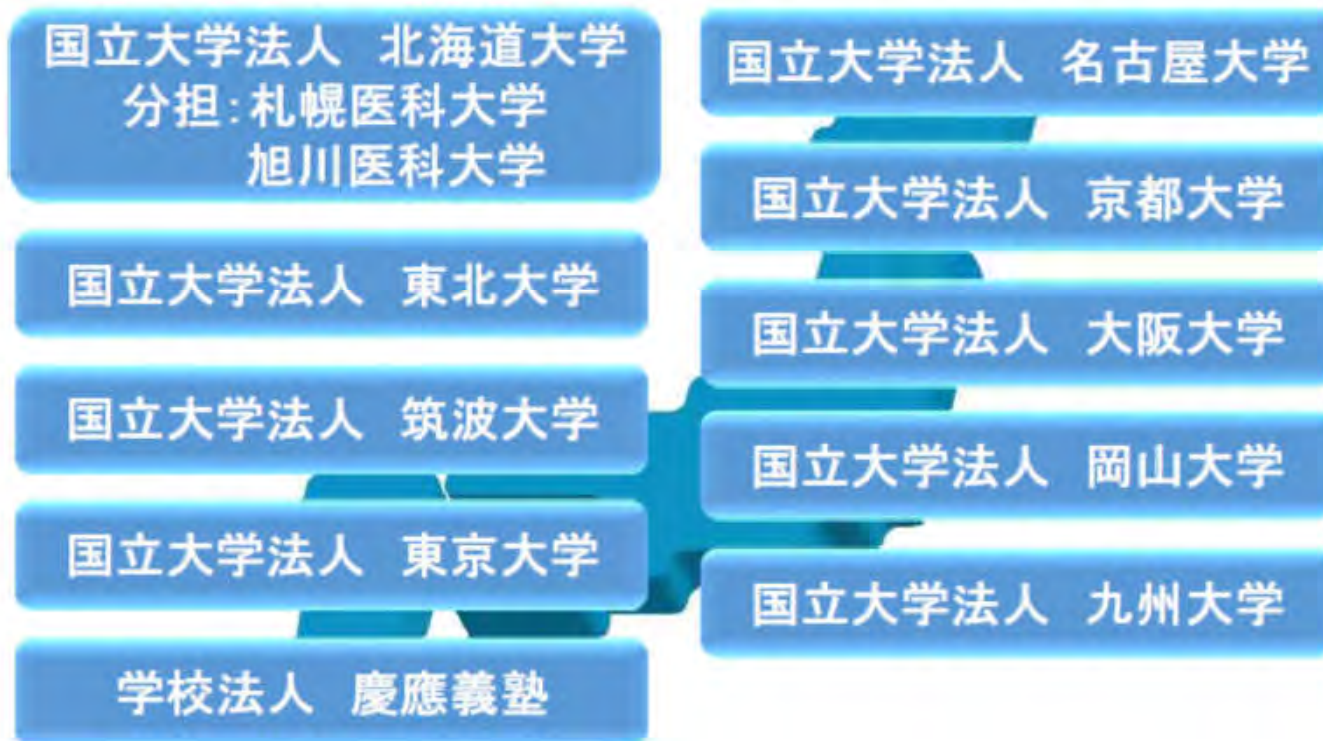
平成29年度に開始された橋渡し研究戦略的推進プログラム(以下「本プログラム」という)では、医療法上の臨床研究中核病院等と連携して日本全体で橋渡し研究を推進する体制を強化・発展させ、日本発の革新的な医薬品・医療機器等をより多く持続的に創出することにより、世界一の健康長寿社会の実現に貢献することを目指し、1次公募において橋渡し研究支援拠点として10機関の事業実施機関を採択しました。

橋渡し研究支援拠点は、本プログラムにおいて、これまでに整備されてきた橋渡し研究支援基盤を強化し、自機関だけでなく他機関のシーズ発掘と支援を行います。そして、戦略的にシーズの育成や産学連携、臨床研究中核病院との連携を実施して成果の早期企業導出や実用化の促進、質の高い研究実施体制を構築します。さらには多様な収入源を確保すること等により、本プログラム期間中に基盤整備費の補助なく運用できる体制を構築し、全国で橋渡し研究を継続的に推進する体制の確立を目指します。

橋渡し研究戦略的推進プログラム

2. 橋渡し研究戦略的推進プログラムの概要

平成29年度1次公募における採択拠点



橋渡し研究戦略的推進プログラム

(2) プロジェクトの目標・成果

2020年までの成果目標（key performance indicator, KPI）は、医師主導治験届出数年間40件、及び、FIH（First in Human）試験（企業治験を含む）年間40件です。

(3) 事業の目標と成果

橋渡し研究支援拠点では、5年間で1拠点あたり新規シーズ6件以上（このうち、拠点以外の大学等の研究機関におけるオリジナルな基礎研究成果によるシーズについて、拠点以外の機関が実施責任組織となる医師主導治験を2件以上含むこと）の医師主導治験の開始、他の3拠点以上と協力して実施する医師主導治験の開始1件、企業へのライセンスアウト30件以上を目指し、様々な開発段階にあるシーズをシーズA、B及びCに振り分け、拠点の機能を最大限に活かす研究支援を実施します（別紙1：シーズパッケージ制度を参照）。

橋渡し研究戦略的推進プログラム

(3) レギュラトリーサイエンス戦略相談

新医薬品創出のための承認申請を目指した臨床試験（治験）は省令 GCP に基づき実施する必要があります。非臨床試験の段階であっても新医薬品の創出を見据えた安全性試験等においては、GLP に基づき信頼性を担保した上で実施することが必要となります。また、再生医療等製品、医療機器を含めて、承認申請時に必要となる資料について、十分な理解の下で試験を遂行する必要があります。

実用化段階に移行する研究開発課題（レギュラトリーサイエンス戦略相談において対象範囲^{※2}となる研究開発課題）においては、採択条件として、原則採択後1～2年目^{※3}にPMDAの実施するレギュラトリーサイエンス戦略相談（対面助言）を受けていただくこととなります。採択前に既にレギュラトリーサイエンス戦略相談（対面助言）を受けている研究開発課題については、研究開発期間中に必要に応じて再度受けることでも差し支えありません。なお、本公募に対する申請時点までにレギュラトリーサイエンス戦略相談（対面助言）を受けていることは必須ではありませんが、レギュラトリーサイエンス戦略相談（対面助言）を受け、その相談結果を研究計画に反映させていることが望まれます。

※2 レギュラトリーサイエンス戦略相談に関する実施要綱（平成29年3月16日付）「2. 相談区分とその対象範囲」の項を参照

※3 臨床試験（治験）を対象とした研究開発課題については、「治験開始前まで」の実施を求める。

橋渡し研究戦略的推進プログラム

2. 平成30年度の公募課題

	分野、公募研究 開発課題名	研究開発費の規模 (間接経費を含まず)	研究開発実施 予定期間	新規採択課題 予定数
1	シーズB	1課題当たり 年間 30,000～50,000千 円程度	最長3年 平成30年度～ 平成32年度	0～10課題程 度
2	シーズC	1課題当たり 年間 50,000～80,000千 円程度	最長3年 平成30年度～ 平成32年度	0～5課題程 度

1. シーズB

関連特許出願済みで、シーズBに相当する研究のうち、**3年以内**に下記の目標への到達を目指す

- ・非臨床POC取得及び治験届提出を目指す医薬品及び医療機器等の研究開発課題
- ・薬事申請用臨床データ取得を目指す体外診断用医薬品等の研究開発課題

2. シーズC

関連特許出願及び非臨床POC取得済みで、シーズCに相当する研究のうち、**3年以内**に以下の目標への到達を目指す

- ・健常人又は患者を対象とし、臨床POC取得を目指す医薬品等の研究課題
- ・治験又は性能試験を行い、承認・認証を目指す医療機器等の臨床研究課題

橋渡し研究戦略的推進プログラム

3. 応募に際して満たすべき事項

- (1) 大学等の研究機関のオリジナルな基礎研究成果によるシーズであり、革新的な医薬品・医療機器等の実用化を目指す研究開発課題
- (2) 「橋渡し研究戦略的推進プログラム」の 橋渡し研究支援拠点による支援シーズであること。
拠点が平成30年度補助事業計画書に支援シーズとして記載すること。
- (3) 迅速な承認・認証を目指すシーズ
- (4) 市場又は医療現場でのニーズが高い領域に対する画期的な治療法に関する研究でありながら、開発ノウハウや研究資金が不足しており、拠点の支援なしでは開発が難しいシーズ
- (5) 原則として、研究開発代表者の所属する研究機関により、関連特許出願済み
- (6) 原則として、実質的に同一の内容について、国又は独立行政法人による他の競争的資金制度による助成を受けていないこと、又は受けることが決定していないこと
- (7) 本プログラムでは拠点の自立的運営を求めていることから、研究開発代表者は、委託研究開発費に拠点が提供する研究支援業務の対価に相当する額を計上すること。拠点は研究支援計画を作成した上で料金表等に基づく対価の徴収方法を提案書に示すこと。

・ 応募数の上限

1拠点が申請できるシーズ数は、拠点を構成する大学の機関から発掘した課題については、シーズBは最大4課題、シーズCは最大3課題としますが、研究開発代表者が拠点を構成する大学以外の機関所属である課題については、申請数の上限はありません。
本公募に応募するシーズは、拠点の支援シーズとして登録し、拠点が平成30年度補助事業計画書に記載してください。

橋渡し研究戦略的推進プログラム

6. 採択課題の管理と評価

- ・本研究費は、企業との連携や他の競争的資金制度等への採択による外部研究資金の獲得に繋げるための研究費です。そのため、研究開発実施予定期間であっても、企業や他の競争的資金等の本事業以外からの研究費の確保、及び、将来的な企業導出に向けた交渉に努めることとします。
- ・研究開発代表者と拠点は、提案書及び採択条件に付された事項を踏まえて計画書を作成し、Go/No-go decision 判断やステージアップの判断基準、支援継続・中止の基準等の開発方針について研究開発の開始前に合意するようにしてください。
- ・AMEDが実施する臨床研究に係る倫理指針の遵守状況の調査及び橋渡し研究戦略的推進プログラムに係る調査や会合等に協力するとともに、臨床研究の倫理性の向上に努めてください。
- ・研究開発の実施にあたり、原則として、毎年度書面及び必要に応じたヒアリングによる中間評価を実施し、次年度の研究開発継続の可否について決定します。研究期間中であっても、当該基準の達成が見込めないと判断される場合や、毎年度のマイルストンの達成が不十分である場合には、研究開発の打ち切りを直ちに検討します。

橋渡し研究戦略的推進プログラム

5. 審査項目と観点

・本公募の提案書類の審査における審査項目と観点の詳細は、公募要領P. II-10～II-11に掲載していますのでご確認ください。

- (a) 事業趣旨等との整合性
- (b) 事業目標達成の可能性
- (c) 科学的・技術的な意義及び優位性
- (d) 計画の妥当性及び実施可能性
- (e) 研究開発実施と支援の体制
- (f) 実用化に向けて総合的に勘案すべき項目
- (g) 総合評価*

* 10段階評価

難治性疾患実用化研究事業

(2) 事業の方向性

本事業は、「希少性」、「原因不明」、「効果的な治療方法未確立」、「生活面への長期にわたる支障」の4要件を満たす希少難治性疾患を対象として、病因・病態の解明、画期的な診断・治療・予防法の開発を推進することで、希少難治性疾患の克服を目指すものです。なお、研究開発費の効率的活用の観点から、「がん」「生活習慣病」「精神疾患」等、他の事業において組織的な研究の対象となっている疾病等は本事業の対象としません。

(3) 事業の目標と成果

本研究事業が含まれる難病克服プロジェクトでは、2020年頃までに難病をターゲットに医薬品・医療機器等の薬事承認や適応拡大を11件以上達成すること、欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験を開始すること、未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を5件以上達成することを目標としており、その達成に向けた成果が望まれます。

難治性疾患実用化研究事業

(4) 研究開発費の規模等

#	分野等、公募研究開発 課題名	研究 フェーズ	研究開発費の規模	研究開発 予定期間	採択予定数
2-1	希少難治性疾患に対 する画期的な医薬品 医療機器等の実用化 に関する研究	薬事承認を目指す シーズ探索研究 (ステップ0)	1課題あたり年間 8,000千円～ 24,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 2018年度～ 2020年度	0～20課題 程度
2-2		治験準備 (ステップ1)	1課題あたり年間 24,000千円～ 60,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 2018年度～ 2020年度	0～7課題 程度
2-3-1		新規化合物等治験 (ステップ2)	1課題あたり年間 45,000千円～ 90,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 2018年度～ 2020年度	0～10課題 程度
2-3-2		ドラッグ・リポジ ショニング治験 (ステップ2)	1課題あたり年間 23,000千円～ 45,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 2018年度～ 2020年度	0～5課題 程度

(注) 本ステップへの応募は原則として1期のみとする。

革新的がん医療実用化研究事業

(3) 事業全体の目標と成果

革新的がん医療実用化研究事業では、「がん研究10か年戦略」を踏まえて、我が国の死亡原因の第一位であるがんについて、患者・社会と協働した研究を総合的かつ計画的に推進することにより、がんの根治、がんの予防、がんとの共生をより一層実現し、「がん対策推進基本計画」の全体目標である「がんによる死亡者の減少」、「全てのがん患者とその家族の苦痛の軽減と療養生活の質の維持向上」、「がんになっても安心して暮らせる社会の構築」を達成することを目指します。また、AMEDの中長期目標で掲げられている以下の目標達成に資する研究を推進します。

【2020年までの達成目標】

- 日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出
- 小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた12種類以上の治験への導出
- 小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加
- 小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ（開発ラグ）の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等の推進
- 小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン（3件以上）作成に資する多施設共同臨床試験の実施

革新的がん医療実用化研究事業

公募課題

<領域3-1> 「革新的がん診断・治療薬の実用化に向けた非臨床試験」

求められる成果:

- **主たる成果:** 医師主導治験への移行もしくは企業治験への導出を目的とした非臨床POCを取得できていること。
- **副次的な成果:** 非臨床試験 (GLP準拠の安全性薬理試験、毒性試験、薬物動態試験等)、製剤又は製品の確保 (治験薬のGMP製造等)、治験プロトコルの作成、治験相談等を研究開始から3年以内 to 実施し、原則として研究期間終了までに医師主導治験又は企業治験へ進める状況となっていること。
- **具体的な成果の内容 (研究期間終了時):** 非臨床POC取得に係る書類、非臨床安全性評価に係る非臨床試験総括報告書、試験物の規格決定に係る書類、試験物の製造体制整備に係る製造工程記録一式、治験開始に係る治験薬概要書、医師主導治験実施計画書
- 採択にあたっては、**上記の成果に至るマイルストーンを明示していることを重視**します。

革新的がん医療実用化研究事業

公募課題

＜領域3-1＞「革新的がん診断・治療薬の実用化に向けた非臨床試験」

研究の規模

研究費の規模：1 課題当たり年間、**38,000～77,000千円**（**間接経費を含まず**）*1

- *1. ゲノム編集に係る研究課題のうち、革新的がん医療実用化研究事業にて「がん医療へのゲノム編集技術導入へ向けた安全性の高いベクター等の開発」として採択された課題及びそれらと同等の研究開発段階にある課題については、1課題当たり年間、**上限 15,000千円**（**間接経費を含まず**）を原則とします。

新規採択課題予定数：0～5 課題程度

研究実施予定期間：原則**3年度***2（平成30年度～平成32年度）

- *2. 平成32年度における研究開発の状況等を踏まえて、**2年度を上限**とした必要最小限の研究期間の延長が認められる場合があります。

革新的がん医療実用化研究事業

公募課題

<領域3-2> 「日本発の革新的がん診断・治療薬の実用化に関する臨床研究」

特記事項(一部抜粋, 1/2):

- 研究開発期間に実施する**臨床研究のプロトコール**(目的、対象、選択基準、除外基準、症例数、観察内容、介入内容、統計的手法、研究体制等の情報を含む)を提出してください。
- 研究に参画する国内の研究機関・企業等※が、研究開発対象の知的財産権を取得済又は取得見込みである研究開発課題や、臨床試験を開始するために必要な非臨床試験のデータを有する開発薬をGMPグレードで作製・利用できる体制を有している研究開発課題を優先的に採択します。(※企業治験については対象外)
- 省令GCPに則った第Ⅰ相又は第Ⅱ相の医師主導治験、もしくは、国際標準である「臨床試験の実施の基準」(ICH-GCP)に準じた体制のもとで医師主導臨床試験を行う研究開発課題を優先的に採択します。
- 出口戦略としての企業導出や企業連携が具体的に示されている開発提案を優先的に採択します。また、採択後も企業資金等の研究費確保の活動を積極的に行うことが期待されます。

革新的がん医療実用化研究事業

公募課題

<領域3-2> 「日本発の革新的がん診断・治療薬の実用化に関する臨床研究」

研究の規模

研究費の規模：1 課題当たり年間、38,000～77,000千円（間接経費を含まず）

新規採択課題予定数：0～4 課題程度

研究実施予定期間：原則3年度^{*1}（平成30年度～平成32年度）

- *1. 平成32年度における研究開発の状況等を踏まえて、
2年度を上限とした必要最小限の研究期間の延長が
認められる場合があります。

平成30年度第1回医療分野の 研究開発関連の調整費の配分について

平成30年5月30日
日本医療研究開発機構

AMED追加公募

平成30年度 第1回医療分野の研究開発関連の調整費の配分について(プロジェクト別)

- 「医療分野の研究開発関連の調整費に関する配分方針」(平成26年6月10日健康・医療戦略推進本部決定)に基づき、平成30年度第1回配分予定額は総額で148.5億円。

(参考) 科学技術イノベーション創造推進費(555億円)のうち175億円を医療分野の研究開発関連の調整費として充当。

1. 横断型統合プロジェクト

- ① オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト 14.4億円
 - 遺伝子・細胞治療用ベクターの大量製造技術開発拠点等の整備、MANO法による抗がん剤スクリーニング手法開発や患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験の加速等
- ② オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト 3.7億円
 - 高濃度乳房等の乳房のタイプに依らず、無被曝・無痛で深部まで画像化可能な極微弱マイクロ波を用いた高精細乳癌画像診断機器の開発や認知症の早期診断のためのMRIによる撮像・解析手法の開発の加速等
- ③ 革新的医療技術創出拠点プロジェクト 26.4億円
 - 大学等が保有するがん・遺伝病等の難治性疾患等に関する有望なシーズへの支援による革新的な治療法の開発の加速や臨床研究中核病院における臨床研究の質を向上を目的とした医療情報データの標準化及び利活用体制の整備等
- ④ 再生医療実現プロジェクト 0.2億円
 - AIを活用したiPS細胞の分化指向性判別システム構築の加速
- ⑤ 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト 20.9億円
 - 認知症のゲノム医療研究推進のための健常人バイオバンク基盤整備の加速やゲノム医療実用化のための臨床ゲノム情報データベースの充実等

2. 疾患領域対応型統合プロジェクト

- ⑥ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト 5.5億円
 - がん創薬シーズやバイオマーカー候補を見いだすための標的探索研究の加速や難治がん・希少がんなどに対する革新的な遺伝子治療等の実用化に向けた非臨床試験の加速等
- ⑦ 脳とこころの健康大国実現プロジェクト 27.1億円
 - マーモセット研究を強化することにより、世界初の若年性ADモデル等を作成し、神経変性疾患の病態解明、治療薬シーズの加速や横断的に追跡可能なレジストリの構築等により認知症バイオマーカーの開発を加速等
- ⑧ 新興・再興感染症制御プロジェクト 24.4億円
 - 発症予防効果が期待できるインフルエンザワクチンの開発と実用化の加速や国内侵入・流行発生が危惧されるジカウイルス感染症に対するワクチン開発の加速等
- ⑨ 難病克服プロジェクト 5.4億円
 - ベクターを用いた難治性疾患の遺伝子治療の開発シーズ取得に向けた研究の充実や「医薬品の条件付き早期承認制度」を活用し難病の薬事承認を促進するバイオマーカーを開発する研究等の加速等

3. 健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業 20.5億円

クリニカルバスデータの標準化・利活用のための診療プロセス解析システムの開発、ICT技術や人工知能(AI)等による利活用を見据えた、診療画像等データベース基盤構築及び研究の加速、早期のライフステージにおける疾病予防のための臨床研究の加速等

AMED追加公募

4. AROネットワーク機能の強化

調整費配分額：29.5億円

【①大学等発のシーズ育成】

大学等発のシーズを育成することで臨床研究・実用化へ橋渡し

○がん・遺伝病等の難治性疾患への革新的治療法開発に資するシーズ支援

遺伝子治療や核酸医薬等を用いた革新的な技術を用いたシーズ等の支援することで、新たな治療法の開発やその研究支援基盤を構築し、橋渡し研究支援拠点における実用化を推進 配分額：1,144百万円 [橋渡し研究戦略的推進プログラム]

○橋渡し研究支援拠点のシーズ開発推進力強化

橋渡し研究支援拠点が保有する多数の革新的なシーズのうち、早期に成果導出が見込まれるシーズに対して重点的に臨床研究への橋渡しをより強く推進することにより、シーズの価値を最大化して企業導出に結び付け、早期実用化及び拠点の戦略的なシーズ育成を強化 配分額：356百万円 [橋渡し研究戦略的推進プログラム]

○ARO機能を活用したアカデミア発医療シーズ導出促進

臨床研究中核病院のARO機能を最大限に活用して導出企業側のニーズを踏まえた適切なPOC取得による早期企業導出を促進し、いち早く実用化に繋げる新たな実用化スキームを提示 配分額：500百万円 [革新的医療シーズ実用化研究事業]

○有効性の代替エンドポイントとなるバイオマーカー開発及び製造販売後バスターリの構築・活用

治験の短期化を図るための方策及びリアルワールドにおける薬剤の有効性/安全性検討の体制整備を図ることにより、難病患者に有効な治療薬をいち早く届けるための方法として「医薬品の条件付き早期承認制度」の利用を推進。 配分額：186百万円 [難治性疾患実用化研究事業]

○画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究の前倒し

ALS治療薬の治験実施体制を強化し、承認取得による治療薬実用化を促進。 配分額：39百万円 [難治性疾患実用化研究事業]

○患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験の推進

ARO機能や疾患登録システム（患者レジストリ）を活用した医薬品開発を目指す治験を支援することにより、患者のニーズに応える医薬品開発の早期創出をめざす 配分額：90百万円 [臨床研究・治験推進研究事業]

【②臨床研究基盤の整備】

革新的医療技術創出拠点が育成したシーズ等を切れ目なく臨床研究、医師主導治験として実施するための基盤整備

○非介入研究におけるセントラル倫理委員会への基盤整備

非介入研究における倫理審査のガイドラインを策定し、審査の効率化や多岐にわたることが予測される非介入研究の質の向上へとつなげる。 配分額：40百万円 [中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業]

○未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム

病院情報システム内の医療情報データの標準化を図ると共にそのデータを研究等にも活用できる体制を整備し、標準化されたヒストリカルデータを利活用した研究体制を整備することで、臨床研究中核病院における臨床研究の質を向上させ、臨床研究のさらなる安全性を確保 配分額：600百万円 [臨床研究開発推進事業（医療技術実用化総合促進事業）]

AMED追加公募

5. 遺伝子治療・ゲノム編集等の基礎臨床研究基盤整備

調整費配分額17.0億円

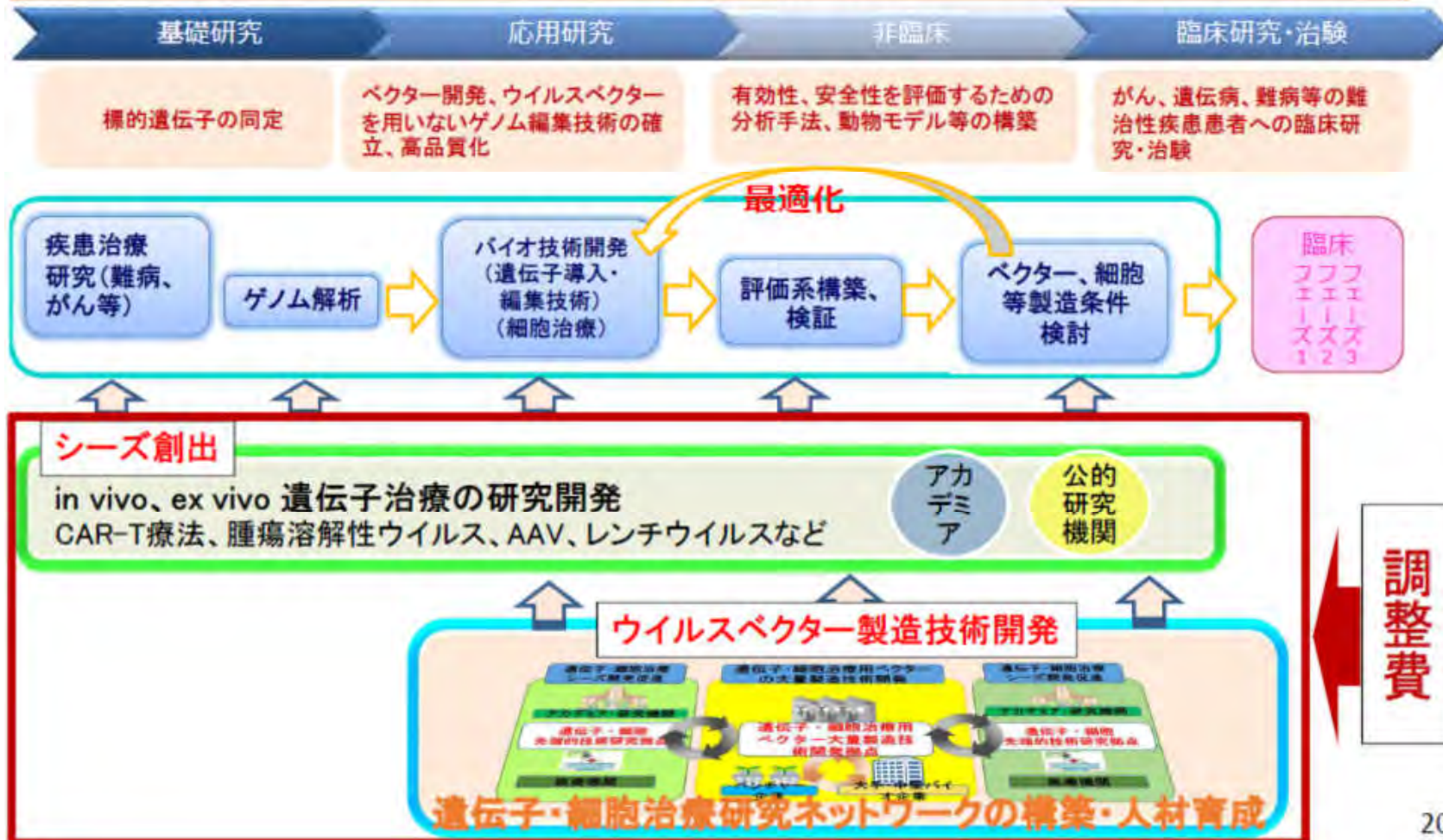
- ・ 遺伝子・細胞治療は、明確な原因遺伝子介入により、奏効率が極めて高く、様々な疾患で根本治療の可能性が期待される新しいモダリティの一つと位置づけられている。最近、CAR-T療法など欧米では相次いで遺伝子治療薬が実用化されている。
- ・ 現在、ゲノム医療実現推進に関するアドバイザリーボードにおいて、取りまとめられている「遺伝子治療の研究開発の推進について」においても、**難病・希少疾患、がん**について、遺伝子治療の研究開発について重点的な支援が必要とされている。
- ・ 関連病院と連携したウイルスベクターの大量製造技術の研究開発、ベクターに関する研究開発、これら技術を活用することを前提とした難病・希少疾患、がんに係る個別疾患の治療法開発に関する研究を推進する。



AMED追加公募

遺伝子・細胞治療研究開発の流れと調整費のポイント

遺伝子・細胞治療の研究開発ステージは、医薬品等とは異なるため、迅速かつ的確に研究を進める上では、その特徴にあわせたシーズ創出戦略や実用化を目指したウイルスベクター製造技術の基盤構築が必要。



AMED追加公募 橋渡し事業

2. 平成30年度2次公募課題

分野、公募研究 開発課題名	研究開発費の規模 (間接経費を含まず)	研究開発実施 予定期間	新規採択課題 予定数
1 シーズB	1課題当たり 年間 30,000～50,000千円程度	平成30年度	10課題程度
2 シーズC	1課題当たり 年間 50,000～80,000千円程度	平成30年度	5課題程度

がんや遺伝性疾患をはじめとする難治性疾患等の克服を目指す遺伝子治療や核酸医薬等の革新性の高いシーズの実用化を目指す課題

・応募数の上限

- ・ 1拠点可以申请できるシーズ数は、シーズBは最大4課題、シーズCは最大2課題とします。
- ・ このうち、研究開発代表者が拠点を構成する大学以外の機関所属である課題を、シーズBについては少なくとも2課題、シーズCは少なくとも1課題以上含めて下さい。

AMED追加公募 橋渡し事業

6. 採択課題の管理と評価

- ・本研究費は、企業との連携や他の競争的資金制度等への採択による外部研究資金の獲得に繋げるための研究費です。本事業における実施期間は平成30年度のみとし、企業や他の競争的資金等の本事業以外からの研究費の確保、及び、将来的な企業導出に向けた交渉に努めることとします。
- ・研究開発代表者と拠点は、提案書及び採択条件に付された事項を踏まえて計画書を作成し、Go/No-go判断やステージアップの判断基準、支援継続・中止の基準等の開発方針について研究開発の開始前に合意するようにしてください。
- ・AMEDが実施する臨床研究に係る倫理指針の遵守状況の調査及び橋渡し研究戦略的推進プログラムに係る調査や会合、AMEDの他の統合プロジェクトとの連携促進等に協力するとともに、臨床研究の倫理性の向上に努めてください。
- ・研究開発の実施にあたっては、革新的な医薬品・医療機器等の創出に繋がるシーズであり、目標への到達が見込める課題を重視します。研究期間中であっても、当該基準の達成が見込めないと判断される場合や、マイルストンの達成が不十分である場合には、研究開発の打ち切りを直ちに検討します。

AMED追加公募 難治性疾患事業

分野等、公募研究開発課題名		研究開発費の規模	研究開発 予定期間	採択予定数
希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究	難治性疾患に対する遺伝子治療製品の研究開発の推進（ステップ0）	1 課題あたり年間 24,000 千円程度 （間接経費を含まず）	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	0～5 課題 程度

日本医師会治験促進センター

平成16年1月の研究開始以降、

- ・研究採択：69課題
- ・治験計画届：62件（薬物52、機器10）
- ・承認取得：21品目（医薬品16、医療機器5）

承認申請済（1課題）

- ・ラジコ被焼灼システム*

承認申請準備中（2課題）

- ・肺動脈ステント*
- ・シクロステリン

企業導出（4課題）

- ・オパリア*
- ・PEG-ADA
- ・アリリアントフルーG
- ・ケルカビターゼ*

研究計画中（4課題）

- ・脱細胞化ヒト肺動脈弁*
- ・魚油由来静脈注射用脂肪製剤
- ・ヒトiPS細胞由来心筋シート
- ・AdSOCS3

研究実施中（18課題）

- ・サリドマイド
- ・エブレレノン
- ・レンバチニブ（大腸がん）
- ・フィルグラスチム
- ・5-アミルグリ酸（腹膜播種）
- ・プレントキシマブベトチン
- ・多孔化カバードステント*
- ・WT1ペプチドワクチン
- ・PLD*
- ・レンバチニブ（胸腺がん）
- ・ペランパネル
- ・ザルトプロフェン
- ・耳管ピン*
- ・血管形成術用カテーテル*
- ・ヘリウム酸素混合ガス*
- ・人免疫グロブリン
- ・ファズル塩酸塩水和物注射液
- ・トシリスマブ

承認取得済（21品目）

- ・フエンタコルヒン酸塩
- ・インフルエンザワクチン(H5N1:成人) (2件)
- ・アムガトロン水和物
- ・フェバルルビタルNa
- ・ペプアリル塩酸塩水和物
- ・タクリムス水和物
- ・PDT半導体レーザー*/タラホルフィリンNa
- ・滅菌調整タルク（悪性胸水）
- ・脳血管拡張ステント*
- ・リリカ塩酸塩水和物
- ・リキシマブ（小児ネオセ）
- ・小児補助人工心臓*
- ・自家培養表皮*
- ・リキシマブ（ITP）
- ・モノタノールアミノレイン酸
- ・リュポドリン酢酸塩
- ・5-アミルグリ酸（膀胱がん）
- ・液体塞栓システム*
- ・A型ホトリヌ毒素

研究終了（21課題）

- ・イマチニブメシル酸塩・イマチニブメシル酸塩、ヒトロシカラムニド・テカフルキメシル、チリシム配合剤
- ・ラバチニブ、トラスツマブ・インフルエンザワクチン（H5N1:小児）・アンブテシル・メルファン・CH14.18
- ・テムシロリム（小児肝芽腫）・テムシロリム（卵巣明細胞がん）・フェニル酪酸Na・迅速がん診断支援装置*
- ・L-アルギニン製剤・シロリム・アルカシン硫酸塩・ch14.18/CHO・5-アミルグリ酸+Fe(ミトコンドリア病)
- ・イントリアニングリオン*・滅菌調整タルク（気胸）*・ペプアリル塩酸塩水和物注射液・シロリムス・チリチコ

* 機器機械等（平成30年7月2日現在）

日本医師会治験促進センター

4. 研究課題の公募

治験促進センターは、本事業についてその研究分野を定めた上で、本事業への参加者を広く募集するものとする。なお、治験促進センターは、研究課題の性質を勘案し、公募によらず研究課題を実施する者を指定することができる。

(1) 本事業における研究分野は、次のとおりとする。

①治験の計画に関する研究 (A 研究)

<研究概要>

本研究は、治験候補薬等に対して、医師主導治験の実施に必要な資料（治験実施計画書、治験薬概要書又は治験機器概要書及び説明文書・同意文書等）（以下、「治験実施計画書等」という。）を作成、大規模治験ネットワーク登録医療機関の中から治験実施医療機関を選定するための要件設定及びその他治験実施体制（モニタリング、監査、検査機関等）を整備するものである。なお、治験実施計画書等の作成にあたっては、必要に応じて独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下、「PMDA」という。）による開発段階に応じた相談を受けるものとする。

<採択方針>

研究費：研究期間あたり基準上限額を500万円とする。なお、研究期間内で研究を遂行する為に追加の研究費が必要であり、事前に治験促進センターと協議し妥当と判断された場合は、その金額を追加申請することが可能である。

研究期間：1年以内（研究採択日によっては年度を跨ぐ研究の実施も可能）

採択数：1年度あたり3課題程度

日本医師会治験促進センター

②治験の調整・管理に関する研究（B 研究）

<研究概要>

本研究は、治験候補薬等の承認取得までの開発計画が決定されていて、治験実施計画書等が作成済で、治験実施医療機関を選定するための要件（必要経費を含む）が策定済である医師主導治験において、大規模治験ネットワーク登録医療機関の中から公募（治験実施医療機関の選定要件によっては公募に限らない。他の方法を適応する場合は、事前に治験促進センターと協議を行い、決定するものとする。）により治験実施医療機関を選定するとともに、治験の実施に際して、治験調整医師として治験の実施、総括報告書の作成に係る調整及び管理並びにその他必要な事項を実施するものである。

<採択方針>

研究費：年度ごとの基準上限額を 1,500 万円（治験調整事務局支援費用等を含む）とする。また、モニタリング・監査・データマネジメント・統計解析・総括報告書（案）の作成等について外部委託又は自ら実施するために必要な費用に関しては、事前に治験促進センターと協議を行い、その費用を加えた金額で申請することが可能である。

研究期間：3 年程度

採択数：1 年度あたり 3 課題程度

日本医師会治験促進センター

③治験の実施に関する研究（C研究）

<研究概要>

本研究は、「②治験の調整・管理に関する研究」で実施される医師主導治験を計画とおり実施するために、大規模治験ネットワーク登録医療機関の中からの実施医療機関として公募等により選定された医師が「自ら治験を実施する者」として自組織における治験実施の一連の行為を行うことを目的として参加するものである。なお、治験の実施に関連する医療費等の考え方は「保険外併用療養費に係る厚生労働大臣が定める基準等」等の関連通知を遵守すること。

<採択方針>

研究費：「②治験の調整・管理に関する研究」の研究代表者と治験促進センターで協議のうえ、研究毎に定めることとする。なお、研究機関において内部受託規程等（症例単価の算定根拠となる経費算定明細書、ポイント表等の経理手順を含む）に基づき自組織における治験実施の一連の行為が実施可能な体制が整備されている場合は「症例単価表を用いた契約管理方式」を選択することができるものとする。この場合は、以下「症例単価表を用いた契約管理方式」を参照のこと。

研究期間：3年程度

JST STARTプログラム

研究成果展開事業 大学発新産業創出プログラム

START

Program for Creating Startups from Academic
Research and Technology



大学発新産業創出プログラム(START)の枠組み

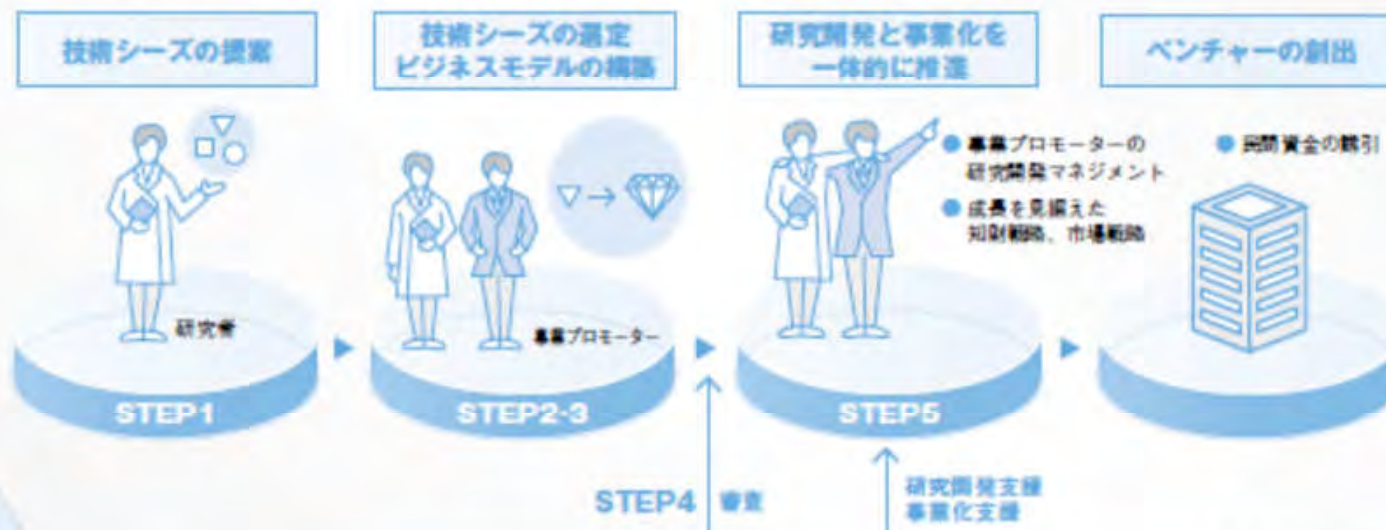
STARTは、事業プロモーターと大学等の研究者をつなぎ、研究開発と事業育成を支援します。
事業プロモーターの活動を支援する「事業プロモーター支援型」と大学等でのプロジェクトを支援する「プロジェクト支援型」から構成されます。



JST STARTプログラム

プロジェクト実施のイメージ 事業プロモーターと研究者の連携・協力

起業前段階より事業プロモーターのプロジェクトマネジメントのもとで事業化構想を策定し、知財戦略・事業戦略を構築し、市場や出口を見据えて事業化を目指します。

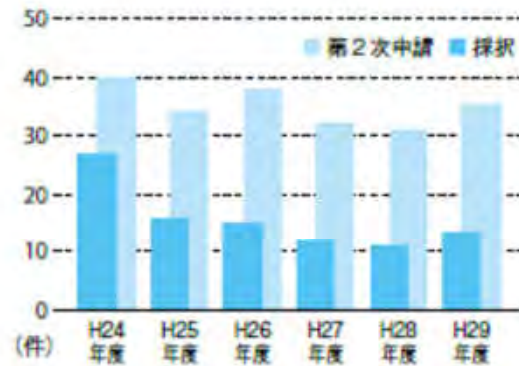


科学技術振興機構

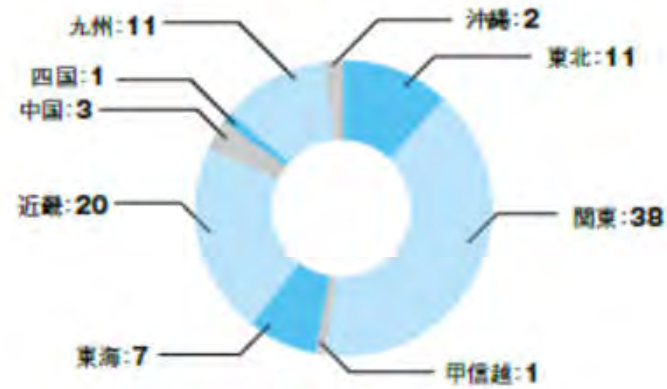
実施期間: 原則3年。STARTは、原則1～3年以内でのベンチャー企業の立ち上げを目指します。また、支援期間の延長は原則認められませんが、事業領域の特性や概念実証(POC)取得の必要性等に応じて、最大5年間の支援を行う場合があります。

JST STARTプログラム

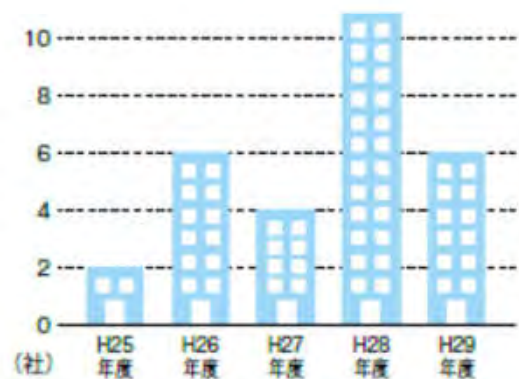
▶プロジェクト支援型 第2次申請・採択状況



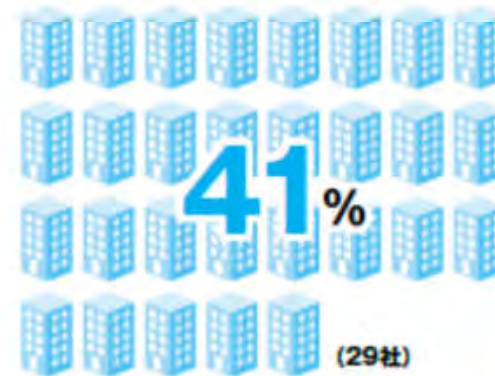
▶地域別採択状況 (H24年度～H29年度累計)



▶ベンチャー設立数 (設立年度別)



▶終了課題 (70 課題) におけるベンチャー設立割合



OiDEファンド

《 POINT 》

1. アカデミアのシーズを製薬会社の視点で実用化段階まで育成
2. 有望なシーズに対しては全額出資でベンチャーを設立し、第一三共株式会社が研究開発、当社が経営について全面的に支援
3. 一定の要件を満たす場合、第一三共株式会社がベンチャーの株式または知的財産を予め設定した価格と条件で買い取ることが可能



Agenda

1. はじめに
2. 公的資金のプロジェクト
3. 課題

課題

1. 早期からの企業導出
2. 長期的な公的資金獲得
3. アカデミアでのリソース（ヒト、金）
4. 治験開始までのスピードにおける国際的競争力（生物由来原料基準、非臨床試験）
5. 開発早期段階での予見性（先駆け審査、オーファン）
6. 治験成績の評価（条件付き承認）