

医療・健康推進事業（うち次世代治療・  
診断実現のための創薬基盤技術開発事業）

中間評価報告書

2026年6月

産業構造審議会 イノベーション・環境分科会

イノベーション小委員会 評価ワーキンググループ

## はじめに

研究開発の評価は、研究開発活動の効率化・活性化、優れた成果の獲得や社会・経済への還元等を図るとともに、国民に対して説明責任を果たすために、極めて重要な活動であり、このため、経済産業省では、「国の研究開発評価に関する大綱的指針」（平成28年12月21日、内閣総理大臣決定）等に沿った適切な評価を実施すべく「経済産業省研究開発評価指針」（令和7年4月改正）を定め、これに基づいて研究開発の評価を実施している。

経済産業省において実施している「医療・健康推進事業（うち次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業）」は、我が国発のバイオ医薬品等を活用した革新的医療の社会実装を図り、拡大する世界の医療・医薬品市場の取り込みによる経済成長への貢献と、国民が健康な生活及び長寿を享受することの出来る社会（健康長寿社会）の実現を目指すため、2015年度から実施している。

本書は、産業構造審議会 イノベーション・環境分科会 イノベーション小委員会 評価ワーキンググループ（座長：鈴木 潤 政策研究大学院大学 名誉教授／客員教授）において、経済産業省研究開発評価指針に基づく標準的評価項目・評価基準を踏まえ、本事業に係る意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋、目標及び達成状況、マネジメントの妥当性について審議され、了承された評価結果を取りまとめたものである。

2026年6月

産業構造審議会 イノベーション・環境分科会  
イノベーション小委員会 評価ワーキンググループ

**【産業構造審議会 イノベーション・環境分科会 イノベーション小委員会 評価ワーキンググループ委員】**

(2026年6月1日現在)

座長 鈴木 潤 政策研究大学院大学 名誉教授／客員教授

秋澤 淳 東京農工大学大学院 生物システム応用科学府 教授

上條 由紀子 九州工業大学 研究本部未来思考実証センター 特任教授・弁理士

竹山 春子 早稲田大学 先進理工学部生命医科学科 教授

浜田 恵美子 NGK株式会社 取締役

**【分野別専門委員】**

松川 泰久 Veneno Technologies 株式会社 事業開発担当 取締役

(座長除き、五十音順)

**【本研究開発評価に係る省内関係者】**

事業担当部署 商務・サービスグループ 生物化学産業課長 廣瀬 大也

評価担当部署 イノベーション・環境局 研究開発課長 大隅 一聡

# 目次

【事業情報】 .....	1
第1章 評価ワーキンググループ委員からの評価結果 .....	9
1. 評点法による評価結果 .....	10
2. 評価コメント .....	11
3. 評価コメントに対する対処方針 .....	15
第2章 評価対象事業に係る資料 .....	22

## 【事業情報】

事業名	予算事業 ID : 006047 医療・健康推進事業（うち次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業）					
担当部署	経済産業省 商務・サービスグループ 生物化学産業課					
事業期間	2015 年度 ～ 2031 年度 評価時期：事前（2020、2023 年度）、中間（2023、2026、2029 年度）、終了時（2032 年度）					
予算額	2021 年度	2022 年度	2023 年度	2024 年度	2025 年度	総額
(予算)	63 億円	58 億円	53 億円	53 億円	58 億円	285 億円
(執行)	62 億円	58 億円	53 億円	50 億円	58 億円	281 億円
上位施策及び KPI	<p>健康・医療戦略（令和 7 年 2 月 18 日 閣議決定）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>平均寿命の増加分を上回る健康寿命の増加</li> <li>現下で生じているドラッグ・ロスを解消するため、我が国で当該疾患の既存薬がない薬剤等の必要な医薬品等について、2026 年度までに開発に着手する。さらに、官民協議会における議論・検討内容も加えて、新たなドラッグ・ロスの発生を減少させる。</li> <li>官民協議会における議論を踏まえた各施策を通じて、事業予見性を拡大し、製薬産業の投資拡大を図るとともに、我が国の市場の医薬品売上高を増加基調とする。</li> <li>平時より感染症領域の産業振興及び研究開発等に取り組み、感染症有事発生の際には迅速に国産ワクチン・診断薬・治療薬を含めた感染症危機対応医薬品等の研究開発が行われ、利用できる体制を構築する。</li> <li>国内スタートアップと既存企業との連携等により我が国発の革新的な医薬品、医療機器等の開発を進める。</li> <li>世界トップレベルの健康長寿を達成してきた知見や優位性を活かし、G7、G20 諸国、グローバルサウス諸国や国際機関、民間企業、研究機関、市民社会など多様なステークホルダーとの連携を通じて、世界の UHC 達成や PPR 強化等に貢献するとともに、我が国の健康リスクへの備えを更に強化する。</li> <li>グローバルサウス諸国等との連携による我が国の健康・医療関連産業の国際展開や各国との規制調和等の推進を通じ、我が国の経済安全保障に資する健康・医療関連産業のサプライチェーンの多様化を図り、国際保健分野における我が国のプレゼンスを向上させる。</li> <li>情報基盤プラットフォームの整備等に継続的に取り組み、既存のバイオバンク等に加え、医療情報や公的資金による支援で生み出された研究開発データ等、仮名加工医療情報も含めた幅広いデータを連携し、体系的に活用できる仕組みの構築を目指す。</li> </ul>					

		<ul style="list-style-type: none"> <li>医療水準の向上を目指すとともに、我が国の経済成長につながる研究開発の成果が創出できるよう、基礎研究を安定的・継続的に支援するとともに、その成果が絶え間なく企業導出される仕組みの構築を目指す。</li> </ul> <p>【上位施策】産構審の政策評価：政策テーマ4③目標①新規サービスの創出・拡大（ヘルスケア・医療・福祉/バイオ）に該当。</p>		
<b>事業目的</b>		世界の医薬品市場はバイオ医薬品を中心に高い成長率が予測されており、国内において新たなバイオ医薬品の開発・生産等の基盤を構築しておくことは今後の基幹産業育成の観点から極めて重要である。しかし、日本は低分子医薬品からバイオ医薬品へのシフトに立ち遅れ、医薬品の輸入超過が拡大するなど、世界市場における日本の製薬企業のプレゼンスは低下傾向である。本事業では、我が国発のバイオ医薬品等を活用した革新的医療の社会実装を図り、拡大する世界の医療・医薬品市場の取り込みによる経済成長への貢献と、国民が健康な生活及び長寿を享受することの出来る社会（健康長寿社会）の実現を目指す。		
<b>事業内容</b>		<p>バイオ医薬品等の産業化を促進するため、腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術、次世代送達技術、難創薬標的に対する創薬基盤技術等の研究開発を進めるとともに、バイオ医薬品の技術基盤の確立にもつなげる。</p> <p>A：抗体医薬品（国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発）：2021～2025年  B：核酸医薬品（RNA標的創薬技術開発）：2021～2025年  C：生菌製剤（腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発）：2021～2026年  D：次世代送達技術（次世代送達技術開発）：2024～2029年  E：難創薬標的に対する医薬品（難創薬標的に対する創薬基盤技術開発）：2026～2031年</p>		
		<b>アウトカム指標</b>	<b>アウトカム目標/目標値</b>	<b>達成状況</b>
<b>A 抗体医薬品</b>	<b>短期 目標 2027 年度</b>	事業成果である各種技術を活用した我が国発の抗体医薬品シーズの非臨床試験の実施件数	2件 (TRL4相当)	既に1件は非臨床試験を実施しており、もう2件も非臨床試験に向けて最適化等の準備が順調に進んでおり、達成できる見込み。
		開発した製造技術を利用した製造設備の設置拠点	1件 (TRL5～6相当)	国産抗体産生細胞を用いた製造実証を2件実施しており、目標は達成している。
	<b>中期 目標 2030 年度</b>	事業成果である各種技術を活用した我が国発の抗体医薬品シーズの非臨床試験の実施件数	5件 (TRL4～5相当)	短期目標①を達成できる見込みであり、事業成果を活用した医薬品開発が順調に進行して

				いるため、現時点では目標達成が見込まれる。
		開発した製造技術を利用した製造設備の設置拠点	5件 (TRL6~7相当)	短期目標②を達成済みであり、開発した製造技術の社会実装が順調に進行しているため、現時点では目標達成が見込まれる。
	長期目標 2040年度	我が国発の抗体医薬品の世界市場におけるシェア	10%超	野心的な目標ではあるが、事業期間内の研究開発は現在順調に進行しているため、現時点では目標達成が見込まれる。
B 核酸医薬品	短期目標 2027年度	事業成果である各種技術を活用した我が国発の核酸標的医薬品シーズの非臨床試験の実施件数	1件 (TRL4相当)	事業内連携により、5件の非臨床試験を実施し、目標を大きく上回って早期に達成した。
	中期目標 2030年度	事業成果である各種技術を活用した我が国発の核酸標的医薬品シーズの非臨床試験の実施件数	3件 (TRL4~5相当)	同上
	長期目標 2040年度	国産の核酸医薬品の核酸医薬品市場における世界シェア	15%	野心的な目標ではあるが、想定を大きく上回るペースで開発が進行しており、現時点では達成見込み。
C 生菌製剤	短期目標 2028年度	開発した技術を利用したMB改善医薬品シーズの非臨床試験の実施件数	3件 (TRL4相当)	2025年度までに20件の非臨床試験を開始し、目標を大きく上回って早期に達成した。
		開発した技術を利用したMB改善製品（非医薬品）の市場化件数	5件 (TRL9相当)	有用菌の探索に関する基盤技術開発、製造に関する基盤技術開発はそれぞれ順調に進行しており、現時点では目標達成が見込まれる。

		既存医薬品の MB 改善製品との併用による奏効率の向上 確認件数	1 件	有用菌の探索に関する 基盤技術開発、製造に 関する基盤技術開発は それぞれ順調に進行し ており、現時点では目 標達成が見込まれる。
	長期 目標 2035 年度	開発した技術を利用した MB 改善医薬品シーズの非臨床 試験の実施件数	10 件 (TRL5~)6 相当)	2025 年度までに 20 件の 非臨床試験を開始し、 目標を大きく上回って 早期に達成した。
		開発した技術を利用した MB 改善製品（非医薬品）の市 場化件数	15 件 (TRL9 相当)	有用菌の探索に関する 基盤技術開発、製造に 関する基盤技術開発は それぞれ順調に進行し ており、現時点では目 標達成が見込まれる。
		既存医薬品の MB 改善製品との併用による奏効率の向上 確認件数	5 件 (TRL8 相当)	有用菌の探索に関する 基盤技術開発、製造に 関する基盤技術開発は それぞれ順調に進行し ており、現時点では目 標達成が見込まれる。
D 次 世 代 送 達 技 術	短期 目標 2030 年度	本事業で開発した薬剤送達 技術を利用した医薬候補品 の臨床試験の実施件数	5 件 (TRL7 相当)	最適化や非臨床試験が 順調に進んでおり、現 時点では目標達成が見 込まれる。
	長期 目標 2034 年度	本事業で開発した薬剤送達 技術を利用した医薬候補品 の第Ⅱ相試験完了件数	1 件 (TRL8 相当)	最適化や非臨床試験が 順調に進んでおり、現 時点では目標達成が見 込まれる。
E 難 創 薬 標 的 に 対 す る 医 薬 品	短期 目標 2033 年度	本事業で開発した技術を用 いて開発した医薬候補品の 非臨床試験数	8 件 (TRL4~5 相当)	2026 年度開始のため実 績なし
	長期 目標 2038 年度	本事業で開発した技術を用 いて開発した医薬候補品の 第Ⅱ相試験完了件数	1 件 (TRL8 相当)	2026 年度開始のため実 績なし

アウトプット指標		アウトプット目標／目標値	達成状況	
A 抗体 医薬品	中間 目標 2023 年度	各種次世代抗体の品質分析等のために製造したサンプル数（具体例：ADC、RI抗体、VHH、scFv等）	3件 (TRL2相当)	6件（達成）
		国産の抗体生産細胞を用いて試験製造した抗体の件数	1件 (TRL4相当)	1件（達成）
	最終 目標 2025 年度	各種次世代抗体の品質分析等のために製造したサンプル数（具体例：ADC、RI抗体、VHH、scFv等）	7件 (TRL2～3相当)	RI抗体製造、品質分析、国産細胞評価のために合わせて11件のサンプルを製造し、目標を上回って達成した。
		国産の抗体生産細胞を用いて試験製造した抗体の件数	3件 (TRL4～5相当)	2種類の抗体生産細胞を用いて、合わせて11件の試験製造を行い、目標を大きく上回って達成した。
B 核酸 医薬品	中間 目標 2023 年度	本事業で整備した分析拠点等において分析したモデル核酸等の件数 具体例：siRNA、硫黄またはホウ素架橋アンチセンス、モルフォリノ、アプタマー、デコイ、CpGオリゴ等（うち本事業で見出された修飾核酸を分析した数）	4件（2件） (TRL2相当)	3件（3件）達成
		解析した核酸及びタンパク複合体等の構造について、データベース（PDBj：日本蛋白質構造データベース）への登録件数	2件	2件達成
	最終 目標 2025 年度	本事業で整備した分析拠点等において分析したモデル核酸等の件数 具体例：siRNA、硫黄またはホウ素架橋アンチセンス、モルフォリノ、アプタマー、デコイ、CpGオリゴ等	10件（5件） (TRL2～3相当)	分析拠点が整った事業後半は、50件（35件）の品質分析を行い、目標を大きく上回って達成した。

		(うち本事業で見出された修飾核酸を分析した数)		
		解析した核酸及びタンパク複合体等の構造について、データベース (PDBj: 日本蛋白質構造データベース) への登録件数	5 件	構造解析技術を確立した事業後半は、77 件の構造解析・登録を行い、目標を大きく上回って達成した。
C 生 菌 製 剤	中間 目標 2023 年度	菌カクテルを構成する有用菌候補の抽出件数	3 件 (TRL2 相当)	36 件 (達成)
		疾患誘起細菌候補の抽出件数	3 件 (TRL2 相当)	23 件 (達成)
		有用菌の増殖促進等を行う可能性のある候補物質の in vitro 評価件数	5 件 (TRL3 相当)	39 件 (達成)
	最終 目標 2026 年度	菌カクテルを構成する有用菌候補の抽出件数	6 件 (TRL2 相当)	中間目標の達成状況のとおり、目標を大きく上回って早期に達成した。
		疾患誘起細菌候補の抽出件数	6 件 (TRL2 相当)	中間目標の達成状況のとおり、目標を大きく上回って早期に達成した。
		有用菌の増殖促進等を行う可能性のある候補物質の in vitro 評価件数	10 件 (TRL3 相当)	中間目標の達成状況のとおり、目標を大きく上回って早期に達成した。
		有用菌の大量培養条件の確立件数	3 件 (TRL5 相当)	1 件の大量培養条件を確立済みであり、他の菌の大量培養条件についても現在検討中であるところ、現時点では目標達成が見込まれる。
		非臨床試験に使用する無菌の疾患モデルマウス等の樹立件数	3 件 (TRL4 相当)	4 件のモデルマウスを樹立済みであり、目標達成済みであるうえ、さらに他のモデルマウスの構築も検討中である。

D 次世代送達技術	中間目標 2027年度	PoC 取得済みの有効成分及び送達技術（肝臓以外）の両方を有するシーズの件数	5 件 (TRL3~4 相当)	現状、開発候補品の安全性、有効性、標的への送達性の評価は順調に進んでいるため、現時点では目標達成見込みである。
	最終目標 2029年度	本事業で開発した薬剤送達技術を利用した医薬候補品の非臨床試験完了件数	5 件 (TRL5~6 相当)	一部の課題では非臨床試験を開始しており、順調に進んでいるため、現時点では目標達成見込みである。
E 難創薬標的に対する医薬品	中間目標 2029年度	開発された分析技術、化合物取得技術、評価技術等の基盤技術の件数	13 件	2026 年度開始のため実績なし
	最終目標 2031年度	本事業で開発した技術を用いて創出したリード化合物の数	13 件 (TRL3~4 相当)	2026 年度開始のため実績なし
マネジメント	<p>AMED</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 契約管理、研究計画の確認、年度初めの予算配分案の作成を行う。予算増減の必要な項目があれば対応を検討し、経済産業省に提案する。</li> <li>・ 週 1 回程度の進捗会議（PSP0 会議）の主催と、各課題担当者との直接のやり取りを通じて、課題毎の進捗状況の管理を行う。</li> <li>・ 事業の成果について事業外に発信する場（成果報告会等）の企画・開催を行う。</li> <li>・ 3 年目又は 4 年目に外部有識者によるステージゲート審査（中間評価）を行う。</li> </ul> <p>PS・P0</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 連携領域全体の課題を把握し、担当する連携領域の運営や領域間の協力の推進等の高度な専門的調整を行う。</li> <li>・ 研究機関や企業とのネットワークを生かし、事業成果の導出先の創出に協力する。</li> </ul> <p>プロジェクトリーダー</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 採択者の代表として、テーマ毎の研究開発目的と達成度、実用化・事業化の見込みを確認し、目標達成に向けた指導を行う。</li> <li>・ PSP0 からの依頼に応じて速やかに各テーマへの指導等を行う。</li> </ul>			
プロジェクトリーダー等	<p>A: 抗体医薬品 次世代バイオ医薬品製造技術研究組合 大政健史</p> <p>B: 核酸医薬品 東京理科大学 和田猛</p> <p>C: 生菌製剤 一般社団法人日本マイクロバイオームコンソーシアム 寺内淳</p> <p>D: 次世代送達技術 株式会社シード・プランニング 小沢豊彦</p> <p>E: 難創薬標的に対する医薬品 本プロジェクトについては現在公募中であり、研究開発開始は 10 月を予定しているところ、プロジェクトリーダー等も 10 月に決定予定</p>			
実施体制	METI ⇒ [補助] AMED ⇒ 下記			

	A: 抗体医薬品	[委託] 神戸大学、群馬医療福祉大学、国立医薬品食品衛生研究所、次世代バイオ医薬品製造技術研究組合、東京大学、千葉大学、愛媛大学、名古屋大学、自然科学研究機構、大阪大学
	B: 核酸医薬品	[委託] 大阪大学、東京理科大学、一般社団法人バイオ情報産業化コンソーシアム、岐阜大学、京都大学、金沢大学、東京大学、山口大学
	C: 生菌製剤	[委託] 産業技術総合研究所、大阪公立大学、慶応義塾大学、医薬基盤・健康・栄養研究所、JSR 株式会社、物質・材料研究機構、自治医科大学、群馬大学、大阪大学
	D: 次世代送達技術	[委託] 株式会社シード・プランニング、リードファーマ株式会社、東北大学、川崎市産業振興財団、東京科学大学、東京慈恵会医科大学、福岡大学、東京理科大学
	E: 難創薬標的に対する医薬品	本プロジェクトについては現在公募中であり、研究開発開始は 10 月を予定しているところ、実施体制も 10 月に決定予定

## 第 1 章 評価ワーキンググループ委員からの評価結果

## 1. 評点法による評価結果

評価項目・評価基準	評価WG委員の評価					評点
	委員A	委員B	委員C	委員D	委員E	
1. 意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋						
(1) 本事業の位置づけ・意義	A	A	A	A	A	3.0
(2) アウトカム達成までの道筋	A	A	A	A	A	3.0
(3) 知的財産・標準化戦略	B	A	A	A	A	2.8
2. 目標及び達成状況						
(1) アウトカム目標及び達成見込み	B	A	A	A	A	2.8
(2) アウトプット目標及び達成状況	B	A	A	B	A	2.6
3. マネジメント						
(1) 実施体制	A	A	A	B	A	2.8
(2) 受益者負担の考え方	A	A	A	A	A	3.0
(3) 研究開発計画	B	A	A	A	A	2.8

### 《判定基準》

- A：評価基準に適合し、非常に優れている。  
 B：評価基準に適合しているが、より望ましくするための改善点もある。  
 C：評価基準に一部適合しておらず、改善が必要である。  
 D：評価基準に適合しておらず、抜本的な改善が必要である。

(注) 評点はA=3、B=2、C=1、D=0として事務局が数値に換算・平均して算出。

## 2. 評価コメント

本項では、評価ワーキンググループ委員からのコメントを列記している。

### (1) 意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋

#### 【肯定的意見】

- 世界的なバイオ医薬品の拡大を踏まえ、日本の競争力を高めることは重要と考えられる。（秋澤委員）
- 新たなモダリティに関する創薬基盤技術の開発・確立という目標に向けて、A～Eの新たなモダリティそれぞれについて、社会実装までの道筋が明確に示され、また短期／長期アウトカム目標の設定理由等の説明もされている点が評価できる。また、類似事業との役割分担や時間軸における位置づけ等も明確であり、また海外動向を把握した上で我が国の経済成長に資する医薬品開発に資する事業である旨、本事業の意義が示されており優れている。（上條委員）
- A～Eの事業領域毎のオープン戦略、クローズ戦略、戦略の考え方について言及されている点、創薬においてはレギュラトリーサイエンス（RS）の観点からの薬事戦略、規制対応プロセスの取組みに重点を置く点について、言及されている点も評価できる。（上條委員）
- 事業領域はいずれも競争が非常に激しいものの、日本にとって重要性が高く、今後の大きな成長が期待される分野である。国費を投入して推進する戦略的事業であることから、着実な成果創出を期待したい。また、知財戦略について、特許出願のみならず、ノウハウ等の秘匿化が有効となる側面も踏まえて戦略を構築している点は重要であり、適切な方向性であると評価できる。（竹山委員）
- 現状の分析に基づく本事業の重要性の提示は、大変説得力がある。知財戦略においても、提示されたとおりにぜひ特許権を軸に進めていただきたい。（浜田委員）
- 本事業は、バイオ医薬品への構造転換に日本が十分対応できていないという産業政策上の課題に対し、抗体、RNA、マイクロバイオーム、DDS、難創薬標的という将来性の高い5領域を横断して創薬基盤を整備する位置づけが明確であり、高く評価できる。また、世界市場の成長、国内市場の縮小（国際的プレゼンス低下）、輸入超過拡大等の外部環境を踏まえ、健康長寿社会の実現と経済成長への貢献を一体で示している点は妥当である。さらに、アカデミア、創薬ベンチャー、製薬企業・CRO/CDMOの連携が明示され、基盤技術の開発から非臨床、製造方法の確立、橋渡し、普及までの流れが時間軸とともに示されている。（松川委員）
- オープン・クローズ戦略についても、共通基盤は公開しつつ、シーズ、製造ノウハウ、最適化条件は特許化又はKnow-how化で保護する整理がなされている。さらに、ISOやJISなどの国内外の規格より規制を重視する方針も医薬品分野の社会実装のプロセスの実情に即しており、これらの観点から知的財産の保護も望ましい。（松川委員）

#### 【問題点・改善点・今後への提言】

- 第2章 評価対象事業に係る資料（評価用資料）8ページでは「物質特許にとどまらず、製法特許、用途特許、製剤特許も含めた特許ポートフォリオを戦略的に構築・管理する」ことの重要性が述べられているが、サブテーマAやBの特許出願と権利化の実績（特に外国）は実際には少な

く、意図したような知財戦略が実現できるのか、やや疑問である。(鈴木委員)

- 創薬基盤技術の開発・確立への取り組みに対する広報やアウトリーチについての具体的言及が見受けられなかった。日本が医薬品開発の拠点としてグローバルに認識されるためにも、また本事業が将来的には次世代治療や次世代診断実現に役立ち、ひいては経済成長へ貢献し、健康長寿社会の実現、バイオ人材育成、医療品自給率向上に資するものであるとの認識を広めるため、本事業の取り組みを発信していくことが望ましい。(上條委員)
- 創薬製造技術におけるノウハウ等は秘匿化されることも多いが、一方、本事業で確立される創薬基盤技術が事業化され、広く活用されるためには、必要に応じて特許等の権利取得も必要となるケースも想定され、技術内容に応じたオープン・クローズ戦略の検討・立案が望まれる(ライセンス活用等を想定)。薬事戦略・規制受容対応についても国際的な視点での伴走・マネジメント支援を推進していただきたい。(上條委員)
- 知財戦略としてノウハウ等の秘匿化が有効である場合があることは理解できる。一方で、出願可能な成果については積極的に特許出願し、権利化を進めることで、開発力や競争優位性を対外的に示していくことも重要である。(竹山委員)
- これまでの非臨床試験から臨床試験に至るまでの成功確率が約64%であることを踏まえてアウトプット目標が設定されているとのことであるが、その成功確率自体を高めるための技術開発が本事業にどのように位置づけられているのかを、より明確に示してほしい。大きなハードルであることは理解できるが、この点に関する基本的な考え方や戦略が示されることで、事業の実現可能性がより明確になると考えられる。(竹山委員)
- 国内の市場規模が限られるなど製薬企業の制約が様々あるなかでも、将来に向けて開発レベルが維持できるよう、実用化即ち産業化に繋がるスキームの支援をお願いしたい。(浜田委員)
- 社会実装までの道筋はおおよそ妥当であるものの、5領域横断でみた場合の優先順位付け、相互連携の具体像、事業終了後に自立化させる主体、ヒト、資金の確保や支援に不確定要素がある。特にD及びEは今後の進展に依存するため、道筋や要件をより明確に示すことが望ましい。(松川委員)
- 標準化の方法を規制への適合化により達成する方針は理解できるが、その場合はPMDA・FDA・ICH等を意識した対応の方法をより明示すると、社会実装の実現性がさらに高まる。(松川委員)
- 5領域横断という幅広い施策であるが、常に海外とのギャップ、距離感や立ち位置の違いを確認し、スピード感のある施策の実現も検討の余地がある。特に、人材育成面で海外からの技術や経験者の導入が少なく、ゼロベースの事業開始時のスピードアップ、ポテンシャルを上げる必要を感じる。また、国内市場の世界的プレゼンスの低下は、これらの素晴らしい技術に対するニーズの低下にも繋がることから、世界市場への拡大の道筋も不可避となりつつある。(松川委員)

## (2) 目標及び達成状況

### 【肯定的意見】

- 長期アウトカムと短期アウトカムが成功率によって説明づけられている。(秋澤委員)
- アウトプット目標がサンプル数や試験実施件数など、妥当な内容の定量的な指標として表されている。(秋澤委員)

- 本事業におけるアウトカム目標及び達成見込みにつき、前回評価時の達成状況や研究開発進捗、事業内容の整理に応じてアウトカム目標を適切に変更している点が評価できる。(上條委員)
- 中間目標についてほぼ達成をしている点、今後の目標達成見込みの設定理由や根拠を明確に示している点も評価できる。(上條委員)
- 前回の指摘を踏まえて目標値の見直しが行われており、そのうえで、設定した目標については既に達成済み、あるいは達成が見込まれる状況にある。また、その費用対効果についても一定の考察がなされている点は評価できる。(竹山委員)
- 常に達成度に基づき目標を上方修正するなど、各課題で順調な進捗が伺える。(浜田委員)
- 目標設定は、TRLを併記しつつ、アウトカムとアウトプットの間関係を意識して再整理されており、外部環境と進捗を踏まえた見直しが適切に行われている。指標の変更では、Aの抗体医薬世界シェア目標を「10%」から「10%超」に厳しく、さらに、Cなどで大幅達成した指標を変更して、量産条件・モデル整備へと評価軸を移し、Dでは技術件数からPoC、非臨床完了、臨床試験実施、第Ⅱ相完了といった開発ステージの移行を指標にしている。これは評価指標を変化・成熟度に応じて適正化したものであり、実際の開発ステージから社会実装の進捗を見える化しており妥当である。(松川委員)
- 実績面でも、A、B、Cでは中間目標又は最終目標を概ね大きく上回る成果が示されており、特にB及びCでは非臨床試験の実施件数が目標を大きく超えている点は高く評価できる。論文発表、特許出願、人材育成、波及効果も着実であり、国費投入に対する成果創出力は高いと評価できる。Eではモダリティーに拘らず、標的の見定めるといった門戸の広い取り組みで、これまで拾えなかった技術が拾える点大きい。(松川委員)

#### 【問題点・改善点・今後への提言】

- 第2章 評価対象事業に係る資料(評価用資料)29、30ページにおいて、アウトカム目標やアウトプット目標を変更したことが説明されている。状況に応じて目標を柔軟に変更することは適切なマネジメントであると考えられるが、やや合理的でない変更もみられる。例えば、サブテーマAのアウトカム目標が「10%」→「10%超」に変更されているが、目標を上方修正するのならば「10%」→「15%」のように検証可能な目標を明記するべきである。(鈴木委員)
- 短期アウトプットを短期アウトカムにつなげる方策を検討していれば示していただけるとよい。(秋澤委員)
- 目標達成に向けた技術開発が開始間もないものや今後開始される新モダリティー(C、D、E)における費用対効果の説明は、国費総額に対して想定されるマクロな市場規模(後発品やバイオシミラーも含めたもの)やその拡大等を示すことで、費用対効果が大きいという説明に留まっているが、今後は、グローバルな市場動向や技術開発進捗に応じて、より具体的な費用対効果の裏付け・説明がなされることが望まれる。(上條委員)
- 今後の技術開発進捗に応じて、評価時のみならず、適宜アウトカム目標(見込み)をより高い設定に変更するなど、技術開発加速化や事業化への後押しを行うことが好ましい。(上條委員)
- 特許出願はされているが、権利化件数が非常に少ない。権利化には1~2年を要する場面があることは理解できるが、権利化に至っていない案件が多い理由について、より明確な説明が必要であ

る。(竹山委員)

- 市場シェアも重要な指標だが、持続的に産業発展に資する指標（資金調達、研究機関の参画数なども）も経産省として検討していただきたい。(浜田委員)
- 費用対効果の説明は方向性として理解できるものの、一部は市場シェアや大型契約を基にした試算であり、前提がやや楽観的に見える部分もある。また、D及びEはこれから成果が対象になることから、現時点では「達成見込み」中心の評価にならざるを得ない。したがって、今後は非臨床 PoC や導出・共同研究の状況、規制相談の進捗、知財ポートフォリオ等の指標も併用し、ポートフォリオ全体としての進捗を管理することが望ましい。(松川委員)

### (3) マネジメント

#### 【肯定的意見】

- 実施体制のうち進捗管理については、PS や P0 に事業化後の産業界のニーズを踏まえた指導・助言ができるよう、製薬企業、コンサルティング業界、スタートアップ経験者等の有識者を迎えた点が評価できる。研究コンソーシアムによる課題間連携に取り組まれている点も好ましい。(上條委員)
- 研究開発の継続・中止要件、ステージゲート方式の実施に際して、成果が著しいものについては予算の増額を検討するなど、インセンティブ設計がなされている点も評価できる。(上條委員)
- 進捗管理や事業の進め方のアウトラインは、適切に整理されており、よくできていると考えられる。(竹山委員)
- 有識者の参加を拡充し、AMED を中心に体制が整えられている。前回評価の意見を取り入れ、適切に進められており、今後の成果に期待したい。(浜田委員)
- 実施体制は、METI が政策目的と評価を担い、AMED が公募、契約、進捗管理を担う構造となっており、創薬基盤技術のような長期・高リスク案件を成長させる枠組みとして妥当である。PS/P0 についても、前回指摘を踏まえて製薬企業、スタートアップ、コンサルティング等の実務経験者を拡充しており、産業界ニーズ、知財、導出を意識した体制に改善がみられる。(松川委員)
- 頻度の高い進捗会議や AMED 中間評価を用いたステージゲート、課題への対応、研究データ管理方針、利益相反管理など、事業運営上の基本的な管理手法は整備されている。実際に採択案件のほぼ全数が目標達成しており、2 件が遅延、1 件はステージゲートで中止としており、競争性と Go-no-Go を機能させている点は評価できる。(松川委員)

#### 【問題点・改善点・今後への提言】

- 概ね研究開発計画の進捗は予定通り順調に進んでいるが、引き続き遅延等が発生しないよう進捗管理を行い、個別の研究開発における障壁が早めに取り除けるような対応を行うことが望ましい。(上條委員)
- 実施体制において各課題が並列的に配置されている場合、課題間の連携に関する取組がやや不明瞭である。次世代抗体の領域では、MAB 組合を事業内連携の場として機能させる方針が示されているが、その成果が具体的に分かる事例はあるのか、あれば示してほしい。また、この組合の枠組みのもと、国の支援終了後に独立採算型で社会実装を推進できるような基盤が十分に構築され

ているのか、その点も明確に示してほしい。(竹山委員)

- 5領域を束ねるプログラムとしてみると、課題間連携と資源再配分の仕組みはさらに強化の余地があると感じる。特にBとD、DとEのようなシナジーのある領域の横断的な連携は実用化上の相乗効果大きい。そこで、技術移転、共通評価系、企業ニーズの共有を含む横断的なマネジメントがさらに求められる。加えて、Eは立ち上がり段階であり、Dも成否が決定するフェーズにあることから、採択後早期にGo/No-Go基準、導出判断基準、追加的資金へのアクセス条件を明文化し、委託事業から民間主導へ橋渡しを円滑に進める制度設計を早めに具体化することが望ましい。(松川委員)

### 3. 評価コメントに対する対処方針

#### (1) 意義・アウトカム(社会実装)達成までの道筋

問題点・改善点・今後への提言	対処方針・見解
<ul style="list-style-type: none"> <li>● 第2章 評価対象事業に係る資料(評価用資料)8ページでは「物質特許にとどまらず、製法特許、用途特許、製剤特許も含めた特許ポートフォリオを戦略的に構築・管理する」ことの重要性が述べられているが、サブテーマAやBの特許出願と権利化の実績(特に外国)は実際には少なく、意図したような知財戦略が実現できるのか、やや疑問である。(鈴木委員)</li> </ul>	<p>サブプロジェクトA、Bは、いずれも基盤技術開発を行う採択課題が多いが、医薬品開発を行う採択課題においては、全ての課題で進捗状況に応じて少なくとも1件以上の物質特許及び/又は用途特許を出願している(全てPCTも出願済み)。また、第2章 評価対象事業に係る資料(評価用資料)8ページに記載のとおり、1つの医薬候補品について、物質特許、製法特許、用途特許、製剤特許を取得することが一般的であるが、製法特許及び製剤特許は、通常、非臨床試験後半以降での出願となるケースが多いところ、本事業で実施するフェーズ(リード創出、リード最適化、非臨床試験前半)においては、必要な特許を出願済みと考えられる。</p>
<ul style="list-style-type: none"> <li>● 創薬基盤技術の開発・確立への取り組みに対する広報やアウトリーチについての具体的言及が見受けられなかった。日本が医薬品開発の拠点としてグローバルに認識されるためにも、また本事業が将来的には次世代治療や次世代診断実現に役立ち、ひいては経済成長へ貢献し、健康長寿社会の実現、バイオ人材育成、医療品自給率向上に資するものであるとの認識を広めるため、本事業の取組みを発信していくことが望ましい。(上條委員)</li> </ul>	<p>AMEDにおいて、本事業の成果をとりまとめたパンフレットを発行しているほか、昨年度終了したサブプロジェクトA、Bについては、外部向けの成果報告会も含め、実用化を促進するための取組を検討中である。また、生物化学産業課が外部で講演する際にも本事業の取組を紹介している。</p>

<ul style="list-style-type: none"> <li>● 創薬製造技術におけるノウハウ等は秘匿化されることも多いが、一方、本事業で確立される創薬基盤技術が事業化され、広く活用されるためには、必要に応じて特許等の権利取得も必要となるケースも想定され、技術内容に応じたオープン・クローズ戦略の検討・立案が望まれる（ライセンス活用等を想定）。薬事戦略・規制受容対応についても国際的な視点での伴走・マネジメント支援を推進していただきたい。（上條委員）</li> <li>● 知財戦略としてノウハウ等の秘匿化が有効である場合があることは理解できる。一方で、出願可能な成果については積極的に特許出願し、権利化を進めることで、開発力や競争優位性を対外的に示していくことも重要である。（竹山委員）</li> </ul>	<p>ご指摘のとおり、権利化による競争優位性の確保等も重要であるため、製造プロセスの最適化条件・ノウハウ等は秘匿化しているものの、事業の中で創出された医薬品シーズ等については積極的に権利化を進めることとしている。また、薬剤送達技術は、通常、異なる有効成分に利用可能であるから、ライセンスによる他社展開を想定している。薬事戦略・規制受容対応については、アカデミア医薬品シーズ開発推進会議（AMED-FLuX）により、バイオ医薬や各種疾患の臨床専門家を含むアドバイザーから意見をもらい、研究開発方針の妥当性確認や必要に応じた見直しを行っている。また、サブプロジェクトDにおいては、マネジメント支援班により、薬事も含めて伴走支援を行っている。</p>
<ul style="list-style-type: none"> <li>● これまでの非臨床試験から臨床試験に至るまでの成功確率が約64%であることを踏まえてアウトプット目標が設定されているとのことであるが、その成功確率自体を高めるための技術開発が本事業にどのように位置づけられているのかを、より明確に示してほしい。大きなハードルであることは理解できるが、この点に関する基本的な考え方や戦略が示されることで、事業の実現可能性がより明確になると考えられる。（竹山委員）</li> </ul>	<p>非臨床試験から臨床試験に移行できない技術的要因は、有効性、安全性、薬物動態特性、品質安定性の不足、大量製造困難などの問題である。一方で、本事業においては、新モダリティを円滑に実用化するために必要となる製造技術、評価技術等の基盤技術研究開発を行っており、製造技術は品質安定性や大量製造の観点で、成功確率の向上に寄与するといえる。また、評価技術は、有効性、安全性、薬物動態特性を適切に判断するためのものであり、評価技術の開発は成功確度の向上につながるといえる。そして、本事業は、基盤技術が未確立の新モダリティについて、基盤技術の確立により、目標設定で用いた既存モダリティの成功確率と同等水準程度まで、成功確率の向上を図るものである。</p>
<ul style="list-style-type: none"> <li>● 国内の市場規模が限られるなど製薬企業の制約が様々ななかでも、将来に向けて開発レベルが維持できるよう、実用化即ち産業化に繋がるスキームの支援をお願いしたい。（浜田委員）</li> </ul>	<p>医薬品分野では水平分業化が進んでおり、製薬企業単独の開発ではなく、アカデミアで生まれたシーズをベンチャーが育ててから製薬企業に導出し、製造はCDMOに委託するといった、創薬エコシステムの形成が欧米で進展している。日本にお</p>

	<p>いても、創薬エコシステムを実現するため、本事業によるアカデミアの支援に加え、創薬ベンチャーエコシステム強化事業によるベンチャー・VCの強化、ワクチン生産体制強化のためのバイオ医薬品製造拠点等整備事業による CDMO の設備投資支援等を行っている。</p>
<ul style="list-style-type: none"> <li>● 社会実装までの道筋はおよそ妥当であるものの、5領域横断でみた場合の優先順位付け、相互連携の具体像、事業終了後に自立化させる主体、ヒト、資金の確保や支援に不確定要素がある。特にD及びEは今後の進展に依存するため、道筋や要件をより明確に示すことが望ましい。(松川委員)</li> </ul>	<p>A、B、Cは基盤技術開発が中心であり、基盤技術開発のみでは社会実装までの道筋が不透明な部分も多いと考えている。これを踏まえ、近年開始したD、Eにおいては、基盤技術開発で終わらず、それを用いた医薬品開発まで事業期間内に求めている。医薬品開発であれば、事業終了後の社会実装までの道筋（(ベンチャー設立、導出)→非臨床試験→(ベンチャー設立、導出、製薬企業導出)→臨床試験Ⅰ相(Ⅱ相)→製薬企業導出）が、簡単ではないものの明瞭であると考えている。なお、AMEDにおいて、ベンチャー設立やVC支援、企業導出等のために必要となるTPPの策定支援を行っているほか、スタートアップ支援事業が多数用意されている。</p>
<ul style="list-style-type: none"> <li>● 標準化の方法を規制への適合化により達成する方針は理解できるが、その場合はPMDA・FDA・ICH等を意識した対応の方法をより明示すると、社会実装の実現性がさらに高まる。(松川委員)</li> </ul>	<p>本事業には、PMDAと連携する国立医薬品食品衛生研究所のメンバーも参画しており、抗体領域においては、抗体産生細胞やデジタル製造の品質管理に関するホワイトペーパーを公表予定であるほか、RNA領域においては、本事業で作成した核酸医薬の品質評価・管理に関する技術的ガイダンスを厚生労働省から公表予定であり、マイクロバイオーム領域では、薬事承認申請書類における製造・品質管理に関するパートのモックアップを作成中である。</p>
<ul style="list-style-type: none"> <li>● 5領域横断という幅広い施策であるが、常に海外とのギャップ、距離感や立ち位置の違いを確認し、スピード感のある施策の実現も検討の余地がある。特に、人材育成面で海外からの技術や経験者の導入が少なく、ゼロベースの事業開始時のスピードアップ、ポテンシャルを上げる必要を感じる。また、国内市場の世界的プレゼンスの低下は、これらの素晴</li> </ul>	<p>世界情勢も踏まえたスピード感のある政策実行が重要であると認識。サブプロジェクトの新規立ち上げにおいては、製薬企業等へのヒアリングや、国際動向も含めた委託調査を行っているほか、例えば、サブプロジェクトDにおいては、マネジメント支援班により国際動向も含めた調査を継続して行っている。また、事業の中で創出された医薬品シーズについては、将来のグローバル展開も見</p>

<p>らしい技術に対するニーズの低下にも繋がることから、世界市場への拡大の道筋も不可避となりつつある。(松川委員)</p>	<p>据え、海外への特許出願を進めている。今後は、海外の知見や人材の活用も視野にいれつつ、事業の加速化に取り組んでいく。</p>
---	--

(2) 目標及び達成状況

<p>問題点・改善点・今後への提言</p>	<p>対処方針・見解</p>
<p>● 第2章 評価対象事業に係る資料(評価用資料)29、30ページにおいて、アウトカム目標やアウトプット目標を変更したことが説明されている。状況に応じて目標を柔軟に変更することは適切なマネジメントであると考えられるが、やや合理的でない変更もみられる。例えば、サブテーマAのアウトカム目標が「10%」→「10%超」に変更されているが、目標を上方修正するのならば「10%」→「15%」のように検証可能な目標を明記すべきである。(鈴木委員)</p>	<p>サブプロジェクトAのアウトカム目標「シェア10%超」について、15%のような具体的な数値設定も検討したが、現在の10%は、1品目で4%のシェアを有する大型品の存在が大きく、当該製品の特許切れ(後発医薬品の参入)が間近なうえ、対象疾患は細分化して1品目あたりの獲得シェアは小さくなる傾向にある。このような状況の中、成熟しつつある抗体市場においてシェア15%等の獲得は非常に困難であり、2040年にシェア10%超を獲得することが現実的かつ挑戦的な目標であると考えている。</p>
<p>● 短期アウトプットを短期アウトカムにつなげる方策を検討していれば示していただけるとよい。(秋澤委員)</p>	<p>サブプロジェクトA~Dのアウトプット中間目標はいずれも医薬候補品となり得るものの件数であり、事業期間内にリード創出、リード最適化等の研究開発を進め、事業終了後にAMEDの橋渡し研究プログラムや(ベンチャーに導出した場合は)創薬ベンチャーエコシステム強化事業等を利用して、短期アウトカムの非臨床試験又は臨床試験を実施することを想定している。サブプロジェクトEについては、基盤技術の開発件数をアウトプット中間目標とし、事業後半は、当該基盤技術を用いて医薬品開発を行う計画としており、アウトプット最終目標は医薬候補品の件数としている。そのため、事業終了後は同様に、AMEDの橋渡し研究プログラム等を利用して、短期アウトカムの非臨床試験を実施することを想定している。</p>
<p>● 目標達成に向けた技術開発が開始間もないものや今後開始される新モダリティ(C,D,E)における費用対効果の説明は、国費総額に対して想定されるマクロな市場規模(後発品やバイオシミ</p>	<p>サブプロジェクトC、D、Eは、現時点では、市場がほとんどない領域であるため、これ以上の説明は困難と思われるが、今後の市場動向や技術開発進捗に応じて、より具体的な費用対効果の裏付け・説明を検討する。</p>

<p>ラーも含めたもの) やその拡大等を示すことで、費用対効果が大きいという説明に留まっているが、今後は、グローバルな市場動向や技術開発進捗に応じて、より具体的な費用対効果の裏付け・説明がなされることが望まれる。</p> <p>(上條委員)</p>	
<ul style="list-style-type: none"> <li>● 今後の技術開発進捗に応じて、評価時のみならず、適宜アウトカム目標(見込み)をより高い設定に変更するなど、技術開発加速化や事業化への後押しを行うことが好ましい。(上條委員)</li> </ul>	<p>サブプロジェクトAにおいて、市場動向に応じてアウトカム目標の変更を検討したように、今後も市場動向・技術開発進捗に応じて、適切な目標設定を検討する。</p>
<ul style="list-style-type: none"> <li>● 特許出願はされているが、権利化件数が非常に少ない。権利化には1~2年を要する場合があることは理解できるが、権利化に至っていない案件が多い理由について、より明確な説明が必要である。(竹山委員)</li> </ul>	<p>審査請求期間は出願日から3年間であり、審査請求期間の終了間近に審査請求を行うことも一般的であるところ、現時点では、本事業関連の権利化件数の多寡は判断できない。なお、審査請求期間が2026年3月末時点で終了している2021年度、2022年度の国内特許出願について、審査請求率は77.8%であり平均(2021年出願:75.8%)よりも高く、審査請求済みの案件は現在審査中であり、拒絶査定が確定している案件はまだない状況である。</p>
<ul style="list-style-type: none"> <li>● 市場シェアも重要な指標だが、持続的に産業発展に資する指標(資金調達、研究機関の参画数なども)も経産省として検討していただきたい。(浜田委員)</li> </ul>	<p>最終的な指標としては市場シェアが有効と考えているが、資金調達、研究機関の参画数、研究機関からの企業の導出数なども取り入れることを検討する。</p>
<ul style="list-style-type: none"> <li>● 費用対効果の説明は方向性として理解できるものの、一部は市場シェアや大型契約を基にした試算であり、前提がやや楽観的に見える部分もある。また、D及びEはこれから成果が対象になることから、現時点では「達成見込み」中心の評価にならざるを得ない。したがって、今後は非臨床PoCや導出・共同研究の状況、規制相談の進捗、知財ポートフォリオ等の指標も併用し、ポートフォリオ全体としての進捗を管理することが望ましい。(松川委員)</li> </ul>	<p>A、B、Cは基盤技術開発が中心となっており、事業期間内における医薬品開発は一部に限られていた。一方、近年開始したD、Eについては、基盤技術開発で終わらず、事業期間内に医薬品開発を求めている。特に、Dについては事業期間内に非臨床試験の完了を目標としているところ、アウトプット中間目標において、ご指摘のような非臨床PoC取得を目標にするなど適切な目標設定を試みており、今後も改善に努める。</p>

(3) マネジメント

問題点・改善点・今後への提言	対処方針・見解
<ul style="list-style-type: none"> <li>概ね研究開発計画の進捗は予定通り順調に進んでいるが、引き続き遅延等が発生しないよう進捗管理を行い、個別の研究開発における障壁が早めに取り除けるような対応を行うことが望ましい。(上條委員)</li> </ul>	<p>研究開発、特に医薬品開発においては、解決困難な課題が生じる場合もあるが、必要に応じて継続可否を見極め、別の開発を進めるなど、限られた時間・予算の中で成果を生み出せるように進捗管理を行う。</p>
<ul style="list-style-type: none"> <li>実施体制において各課題が並列的に配置されている場合、課題間の連携に関する取組がやや不明瞭である。次世代抗体の領域では、MAB 組合を事業内連携の場として機能させる方針が示されているが、その成果が具体的に分かる事例はあるのか、あれば示してほしい。また、この組合の枠組みのもと、国の支援終了後に独立採算型で社会実装を推進できるような基盤が十分に構築されているのか、その点も明確に示してほしい。(竹山委員)</li> </ul>	<p>次世代抗体の領域においては、辻課題※1の非臨床試験を進めるにあたり、大政課題※1の国産抗体産生細胞を用いて、MAB 組合が抗体の大量製造を担当したほか、石井課題※1で評価技術を開発するに際し、MAB 組合を介して、辻課題※1の RI 抗体等を被評価物として提供した。社会実装の点では、MAB 組合の枠組みのもと開発された国産抗体産生細胞について、製薬企業が当該細胞を用いて臨床開発中であるほか、当該細胞を用いた抗体発現細胞株の構築受託サービスも企業が実施している。</p> <p>なお、RNA の領域では、小比賀課題※2の製造技術等を用いて、課題3の医薬品シーズの開発を進めた他、マイクロバイオームの領域では、課題1、3、4が連携してマイクロバイオーム創薬エコシステムを構築しており、医薬候補品を用いてその実証を行っているところである。</p> <p style="text-align: right;">※1：評価用資料 P50 参照 ※2：評価用資料 P51 参照</p>
<ul style="list-style-type: none"> <li>5領域を束ねるプログラムとしてみると、課題間連携と資源再配分の仕組みはさらに強化の余地があると感じる。特にBとD、DとEのようなシナジーのある領域の横断的な連携は実用化上の相乗効果が大きい。そこで、技術移転、共通評価系、企業ニーズの共有を含む横断的マネジメントがさらに求められる。加えて、Eは立ち上がり段階であり、Dも成否が決定するフェーズにあることから、採択後早期にGo/No-Go基準、導出判断基準、追加的資金へのアクセス条件を明文化し、委託事業から民間主導へ橋渡しを円滑に進める制</li> </ul>	<p>B(核酸医薬)の一部の研究開発代表者は、D(送達技術)において分担研究者と参画しており、Bの成果がDにおいても活用されると見込まれる。また、Bで設けた分析拠点は事業終了後も利用可能となっており、Dの医薬候補品の分析に活用可能な状況である。</p> <p>Dの研究開発課題2については、ステージゲートにおいて、「開発候補品の非臨床試験および製造方法の確立」に移行できることを基準として、最大2課題に絞り込んで選択と集中を行うことを公募要領に記載している。試行錯誤の段階ではあるが、支援課題の選択と集中によって、限られた予</p>

度設計を早めに具体化することが望ましい。  
(松川委員)

算の中で、企業への橋渡しを円滑に進める制度設計を引き続き検討していく。

## 第2章 評価対象事業に係る資料

# 医療・健康推進事業（うち次世代治療・ 診断実現のための創薬基盤技術開発事業）

## 中間評価

### 評価用資料

商務・情報サービスグループ 生物化学産業課

事業基本情報

## 事業基本情報（1）

事業名	【予算事業ID 006047】医療・健康推進事業（うち次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業）					
事業期間	2015年度～2031年度（今回対象となるサブプロジェクトは2021年度～） 評価時期：事前（2020、2023年度）、中間（2023、2026、2029年度）、終了時（2032年度）					
予算額(年度)	2021	2022	2023	2024	2025	総額
（予算）	63億円	58億円	53億円	53億円	58億円	285億円
（実績） <sup>*暫定値</sup>	62億円	58億円	53億円	50億円	58億円*	281億円*
実施体制	METI（補助） → AMED（委託） → 大学・民間企業等					
事業目的	世界の医薬品市場はバイオ医薬品を中心に高い成長率が予測されており、国内において新たなバイオ医薬品の開発・生産等の基盤を構築しておくことは今後の基幹産業育成の観点から極めて重要である。しかし、 <b>日本は低分子医薬品からバイオ医薬品へのシフトに立ち遅れ、医薬品の輸入超過が拡大</b> するなど、世界市場における日本の製薬企業のプレゼンスは低下傾向である。本事業では、我が国発のバイオ医薬品等を活用した革新的医療の社会実装を図り、拡大する世界の医療・医薬品市場の取り込みによる経済成長への貢献と、国民が健康な生活及び長寿を享受することの出来る社会（健康長寿社会）の実現を目指す。					

2

## 事業基本情報（2）

事業概要等	<p>バイオ医薬品等の産業化を促進するため、腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術、次世代送達技術、難創薬標的に対する創薬基盤技術等の研究開発を進めるとともに、バイオ医薬品の技術基盤の確立にもつなげる。</p> <p>A：抗体医薬品（国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発）：2021～2025年  B：核酸医薬品（RNA標的創薬技術開発）：2021～2025年  C：生菌製剤（腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発）：2021～2026年  D：次世代送達技術（次世代送達技術開発）：2024～2029年  E：難創薬標的に対する医薬品（難創薬標的に対する創薬基盤技術開発）：2026～2031年</p> <p>プログラム評価との関連：本事業は産構審の政策テーマ4③目標①新規サービスの創出・拡大（医療・福祉、バイオ）と関連している。</p>
-------	---

3

## 評価項目 1. 意義・アウトカム(社会実装)達成までの道筋

4

### 1-1-1. 本事業を行うべき背景・課題

評価項目1

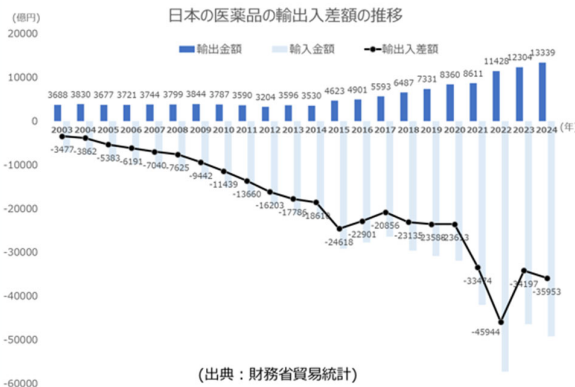
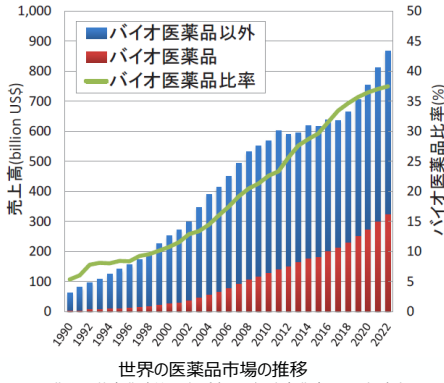
- ・世界の医薬品産業の市場は高い伸びを続けており、今後も成長を続ける見込みである（2019年以降5年間年平均成長率+3～+6%と推定。出典：IQVIA資料）。
- ・世界の医薬品市場の成長の主要因はバイオ医薬品、とりわけ抗体医薬品の拡大（2010年から2020年の市場成長分のうち、約7割がバイオ医薬品。うち約7割は抗体医薬品。出典：医薬品産業政策研究所資料）であり、今後も新たな抗体医薬品の投入により、成長が続くと予想されている。
- ・バイオ医薬品分野においては、抗体医薬品のほか、新たな創薬分野（新モダリティ）の開拓の努力が世界的に続けられている。新分野としては、抗体医薬品の進化形である次世代抗体医薬品、核酸医薬品、遺伝子治療、再生・細胞治療のほか、今後新たにプラットフォームとして期待されているマイクロバイオーム関連医薬品の開発が活発に進められており（出典：医薬品産業政策研究所資料）、将来の医薬品市場は、従来型の抗体医薬品に加えてこれらの新モダリティが牽引していくものと予想され、新モダリティに対する投資が活発に行われている。
- ・日本においては、これまでも関係府省による技術開発支援等が行われているが、欧米の開発規模・スピードに対して十分とは言えず、欧米企業との差が縮まっているとは言い難い状況である（世界の医薬品売上ランキング（2024年度）の売上上位10品目のうち、5品目がバイオ医薬品であり、日本創製品はなし。抗体医薬品の世界売上トップ70品目のうち、日本創製品は5品目。出典：株式会社BBQブリッジ「2025年版 世界の抗体医薬品開発の方向性とビジネス展望」）。その背景には、バイオ医薬品等の新モダリティは、従来の低分子医薬品と比較して、細胞のような生物を扱う新たな医薬品分野であるが故に、安定的かつ効率的に製造を行う技術や有効性・安全性等を評価する分析・評価技術が確立されておらず、いくら医薬品候補品が創出されても、上記技術がボトルネックとなりその実用化を阻んでいる、といった状況がある。

5

# 1-1-2. 政策的な位置づけ及び目指す将来像

評価項目1

世界の医薬品市場の伸びは、従来主流の低分子医薬品ではなく、抗体医薬品（バイオ医薬品の一種）を中心とした新たなモダリティによるものであり、今後も成長が続くとされている。新たなモダリティの創出においては、欧米企業存在感が圧倒的に大きく、医薬品の輸入超過は拡大している。そうした中で、政府の定める「健康・医療戦略」には「世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発の推進」が定められており、新たなモダリティに関する基盤的な技術の開発を実施することとしている。



## 目指す将来像

新たなモダリティに関する創薬基盤技術の確立により、優れた医薬品シーズが円滑に実用化され、それによる収益も十分に得られている状態。それにより、世界的にも日本の研究開発シーズに注目が集まり、研究開発を行う企業等の資金調達や新規ベンチャーの参入が円滑化し、さらなる研究開発が進む状態。加えて、基盤となる製造技術そのもののノウハウが日本に蓄積され、優位性のある技術としてグローバルに評価されることで、海外からも日本で医薬品製造を行う事例が増え、日本が医薬品開発の拠点としてグローバルに認識されている状態。

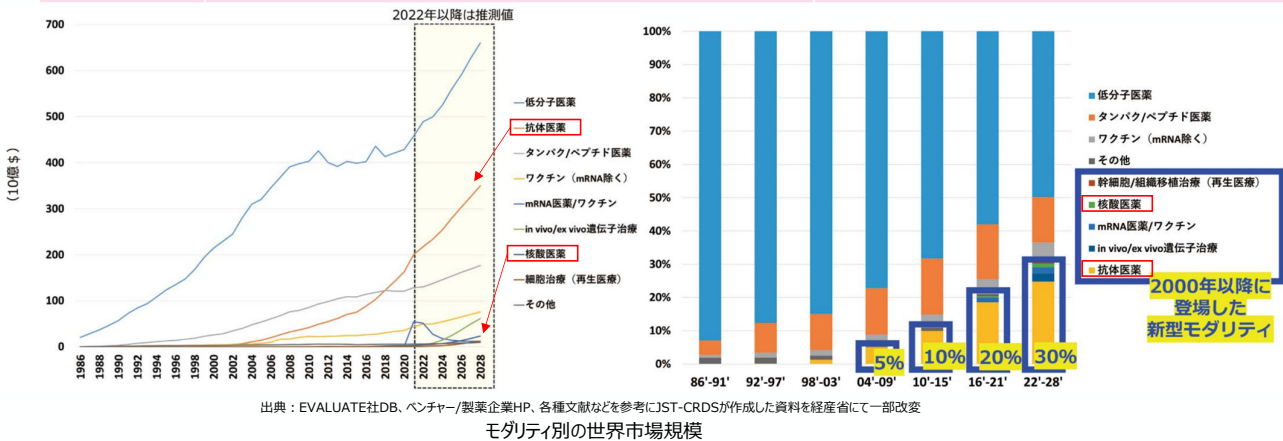


イノベティブな医薬品シーズや創薬基盤技術が連続的に日本に集まり、実用化されることで、健康長寿社会を形成するほか、**拡大し続ける世界の医療・医薬品市場の取り込みにより我が国の経済成長に貢献する。**

# 1-1-3. 外部環境調査（海外動向）及び技術上の位置づけ

評価項目1

新たなモダリティ	上市製品数	技術的な特徴・課題
A: 抗体医薬品	日米欧で150品目以上が承認済みであり、日本創製は10品目。日本は次世代抗体に強く（抗体薬物複合体及び多重特異性抗体の世界売上トップはいずれも日本創製）、世界の抗体医薬品売上における日本創製品シェアは約10%（29頁参照）	標的特異性が高く、オフターゲット毒性（副作用の一種）が比較的少ない。一方、細胞を培養して生産するため、複雑で生産コストも高い。抗体に抗がん剤等を結合させた抗体薬物複合体や多重特異性抗体等の次世代抗体医薬品の開発が主流となりつつある。
B(D): 核酸医薬品	日米欧で25品目が承認済みであり、日本創製は1品目。低分子医薬品、抗体・タンパク質医薬品に次ぐ第三のモダリティ。	従来の創薬標的であるタンパク質ではなく、mRNA等を対象とするため、遺伝子異常疾患等に有効。一方、体内での安定性や標的への薬剤送達技術が課題。
C: 腸内マイクロバイーム医薬品	米国で2品目（糞便移植タイプ）が承認されているのみであり、特定の菌を培養して製剤化した、疾患治療を目的とする医薬品の承認はまだない。	腸内細菌等の制御という新たなメカニズムによる創薬が可能。萌芽期のモダリティであり、シーズ探索、評価、製造等の基盤技術が未確立。
E: 難創薬標的に対する医薬品	標的タンパク質分解薬については、初の薬事承認申請が米国でなされた状況で承認薬はまだない。国内で60以上のタンパク質分解薬の開発が進行中。	従来創薬ターゲットとすることが困難であったタンパク質を標的とする医薬品。難創薬標的部位やその相互作用等を解析可能な高度な構造解析技術等の確立がボトルネック。



● 腸内マイクロバイーム医薬品の承認薬は、米国の2品目のみで市場は限定的。2035年の市場規模は約9.8億ドルの予測。

● 標的タンパク質分解薬の承認薬はまだない。2035年の市場規模は約50億ドルの予測。

● 2000年以降に登場した新型モダリティ

● なお、細胞治療(再生医療)、mRNA医薬、遺伝子治療は、再生医療等製品であり、医薬品とは異なる扱いのため、本事業の対象外。

規制、標準化について

- ・ 医薬品分野は規制当局によって、安全性、有効性、品質が厳格に管理されている。この規制については、レギュラトリーサイエンスの観点から評価技術の開発・検証を進め、規制当局においてそれを検討するというプロセスが先行しており、ICH（医薬品規制調和国際会議）において医薬品規制に関する各種ガイドラインが策定されている。
- ・ 加えて、医薬品は製品ごとの固有性が高く、同じモダリティでも製造条件が大きく異なり得るため、ISO等の国際標準を獲得しそれを規制に反映させるというプロセスは、医療機器や再生医療等の分野を除いては、必ずしも活発ではない。

知財について

- ・ 創薬は長期にわたり多額の投資を要する一方、成功確率も高くない、いわゆる「長期・高リスク、高コスト」の取組である。そのため、研究開発の成果を適切に知的財産として保護し、事業化段階における投資回収の予見可能性を高めることが不可欠である。この観点から、物質特許にとどまらず、製法特許、用途特許、製剤特許も含めた特許ポートフォリオを戦略的に構築・管理することが重要である。
- ・ 加えて、バイオ医薬品等の新たなモダリティにおいては、製造プロセスそのものが品質・安定供給・コスト競争力を左右する重要な競争優位性の源泉である。一方で、特許権取得の場合、情報が公開され権利期間も限定的であるうえ、製造プロセスの特許権侵害は発見が困難であることから、製造プロセスの最適化条件・ノウハウ等については秘匿化が有効な場面も多い。

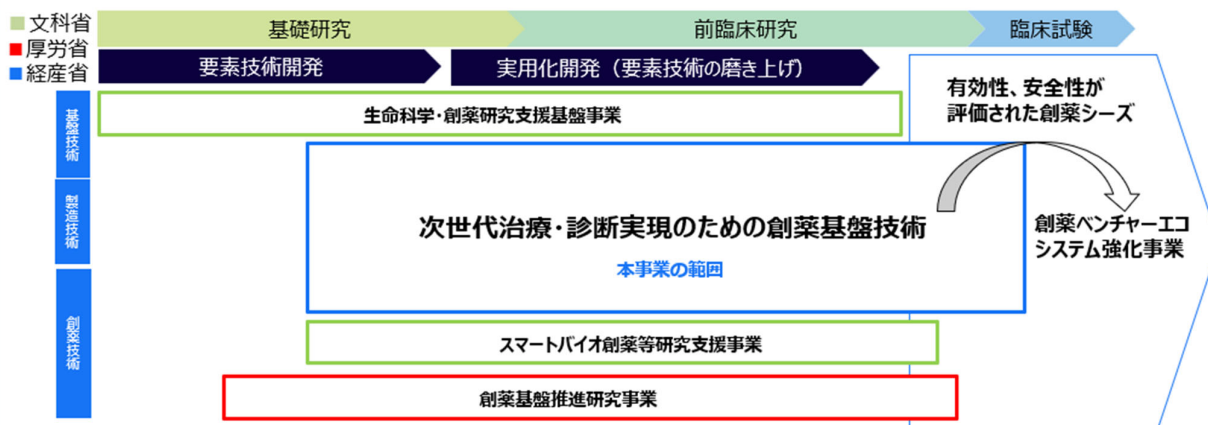
1-1-5. 類似事業

大まかな要素技術の開発は各省の類似事業で実施済みであるが、得られた要素技術は実用化には達していないレベルである。本研究開発では、①既存事業等で確立した要素技術の磨き上げと、②基盤技術・創薬技術・**製造技術**まで一気通貫で開発するものであるため、各省の類似事業とは重複しないものである。

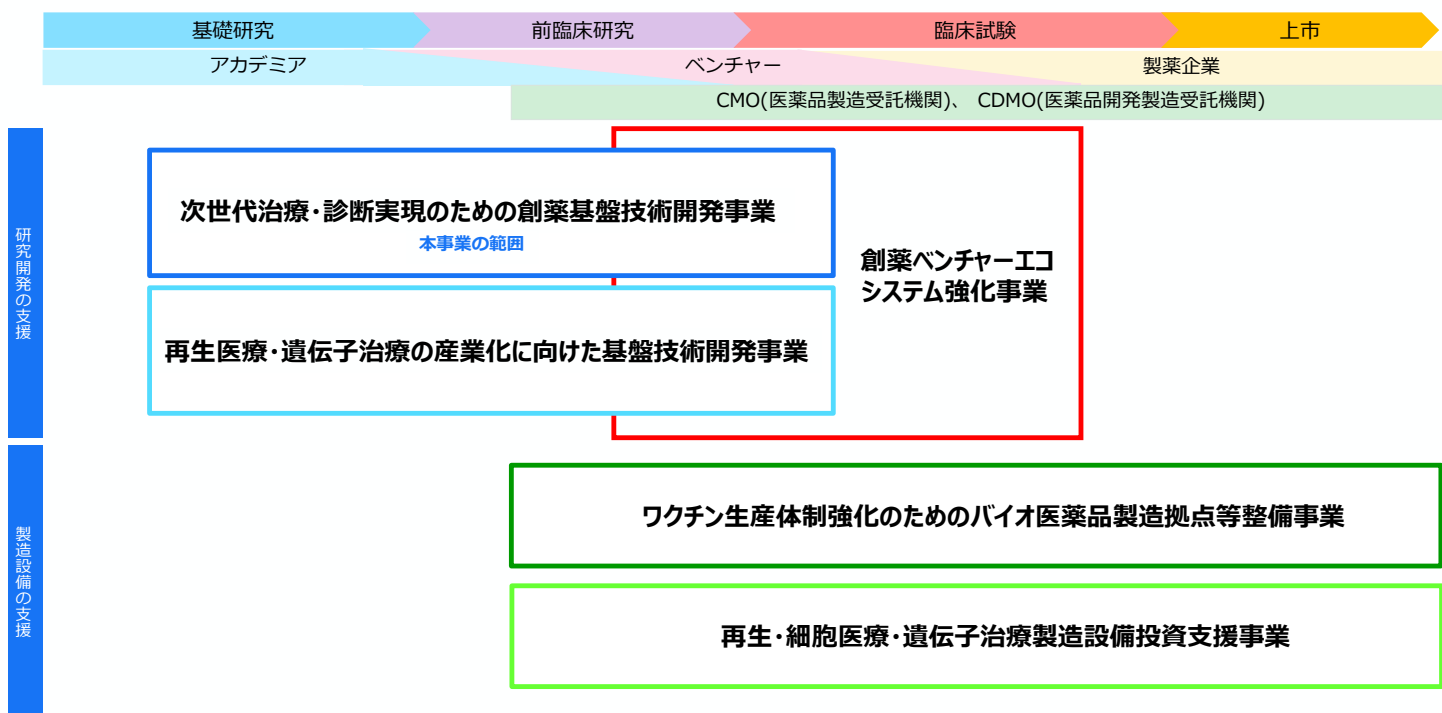
創薬ベンチャーエコシステム強化事業は、AMEDの認定を受けたベンチャーキャピタル（認定VC）による出資が要件であり、言い換えれば、支援対象となる創薬ベンチャーが保有する創薬シーズの有効性、安全性は認定VCによるお墨付きを得ているものが多いと考えられる。また、創薬ベンチャーエコシステム強化事業では、補助対象は治験に要する費用に限定されており、研究開発の費用は支援対象とはなっていない。

本事業で開発する創薬シーズは、実用化までは時間を要するものであり、有効性や安全性が未評価のものであるため、認定VCによる出資が要件である創薬ベンチャーエコシステム事業の範囲外となる。

※NEDOで実施しているシード期の研究開発型スタートアップに対する事業化支援事業（DTSU事業）は、創薬（医薬品開発）に係る開発は対象外となっているため、本事業と重複する部分はない。



## (参考) 生物化学産業課の主な医薬品関連事業



10

### 1-1-6. 国が実施する意義(モダリティ別)

評価項目1

新モダリティ創薬は、従来の創薬以上に成功確率が不確実でリスクが高く、基盤技術も十分に整備されていない。分析、評価、製造等の創薬基盤技術は、個別製品に特有のものではなく、産業全体の土台となる公共財的性質を有することから、国が先導的に整備する意義がある。創薬基盤技術の確立により、医薬品シーズの円滑な実用化が期待される。

#### A: 抗体医薬品



- ・培養プロセスが複雑で生産コストが高いことに加え、培養に必要な部素材の海外依存度も高い。
  - ・次世代抗体医薬品の登場により、さらなる市場の伸びが期待される。
- ⇒国産抗体生産細胞の商用化に必要な基盤技術の開発や、次世代抗体医薬品等の製造基盤技術開発により、国産の抗体関連技術の幅広い実用化を促進。

#### C: 生菌製剤 (マイクロバイーム制御)



- ・マイクロバイーム制御の利用が検討される生菌製剤は単菌もしくは複数の嫌気性菌から構成されるところ、嫌気性環境条件における培養・製剤化技術や、品質管理技術等の開発が必要。
- ⇒有用菌の探索・スクリーニング技術、評価系の構築、大量培養、安定製剤化技術の開発により、マイクロバイーム創薬エコシステムを構築。

#### B: 核酸医薬品(D: 次世代送達技術)



- ・核酸の立体構造の解析・予測技術も含め、製造、分析、品質評価等の基盤技術が未成熟。
  - ・体内での安定性や標的への薬剤送達技術が課題。
- ⇒核酸医薬品の製造・精製・分析技術から規制まで一貫した技術開発や、核酸の立体構造・薬物ドッキングの解析・予測技術開発により、実用化を促進。新規の薬剤送達技術の創出。

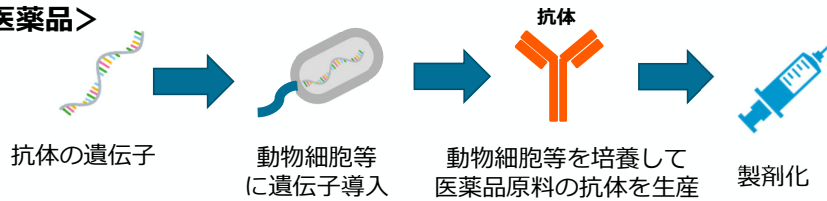
#### E: 難創薬標的に対する医薬品

- ・難創薬標的に対する医薬品は、難創薬標的部位との相互作用等を解析可能な高度な分析技術等が求められるが、そのような技術が不足しており、医薬品開発が効率的に行われていない。
- ⇒ボトルネックである分析・構造解析技術等を開発し、国産シーズの実用化が進みやすい環境の構築を推進。

11

## (参考) A : 抗体医薬品について

### <抗体医薬品>



- 人体が持つ免疫細胞が生産する抗体を人為的に設計し、動物細胞等で生産して、医薬品として活用するのが抗体医薬品。
- 抗体医薬品は、特定の異物（がん等）に対して特異的に結合する性質があることから、身体他の部位を傷つけることなく異物のみを排除できる（＝効果が高く、副作用が小さい）。

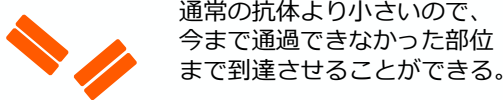
### <次世代抗体医薬品>

#### 1.抗体-薬物複合体（ADC: Antibody-drug conjugate）

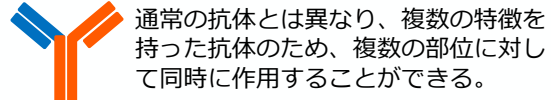


- 抗体が特定の異物に特異的に結合する性質を活かして、抗がん剤や放射性医薬品をがん細胞等まで直接到達させる。
- 抗体はバイオ技術で作製するが、抗がん剤の結合等は化学技術を用いる。

#### 2.低分子抗体医薬品

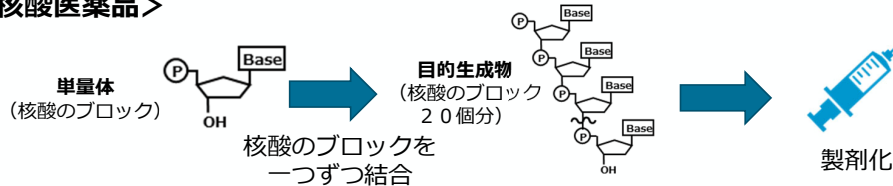


#### 3.二重特異性抗体医薬品



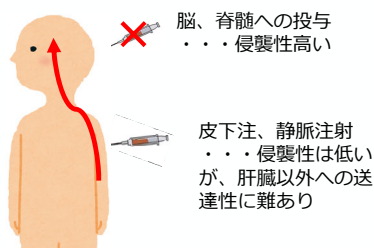
## (参考) B : 核酸医薬品、D : 次世代送達技術について

### <核酸医薬品>



- 人体が持つDNA、RNAと類似の構造を持つ人工分子であり、化学合成により核酸のブロックを個程度つなげて、医薬品として活用するのが核酸医薬品。
- 核酸医薬品は、通常の低分子医薬品や抗体医薬品とは異なり、体内のタンパク質ではなくRNAに作用することで、遺伝子由来の異常を上流で制御でき、新たな治療が可能となる。

### <薬剤送達技術>



- 核酸医薬品は、体内安定性及び標的臓器等への送達に課題があり、薬剤送達技術と組み合わせることが重要。
- 現在、実用化されている特定臓器への薬剤送達技術は、肝臓を標的としたものに限られている。脳や脊髄への注射による投与は、侵襲性が高いため、脳等を標的とした薬剤送達技術を確立できると、核酸医薬品の適用範囲は大きく拡大する。

## (参考) C : 生菌製剤 (マイクロバイオーム制御) について

### <生菌製剤>



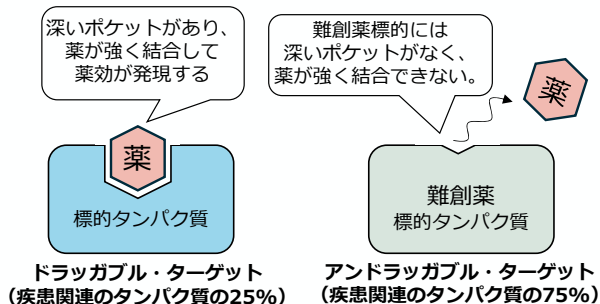
- ヒトの糞便等から有用な腸内細菌を分離し、それを大量培養、製剤化して、医薬品として活用するのが生菌製剤。
- 生菌製剤は、従来の医薬品と異なり、特定のタンパク質やRNA等に作用するわけではなく、体内の腸内細菌の生態系そのものを制御するという新たな治療アプローチ。患者の体質（免疫環境）を変化させることにより、併用する医薬品の効果を向上させる効果も報告されている。

14

## (参考) E : 難創薬標的に対する医薬品について

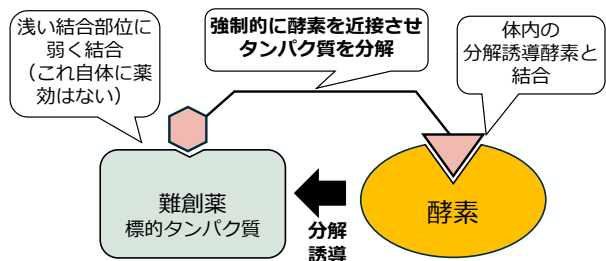
### <難創薬標的に対する医薬品>

#### 一般的な医薬品



#### 標的タンパク質分解誘導剤 (PROTAC等)

分解酵素等を近接させる二官能基性分子

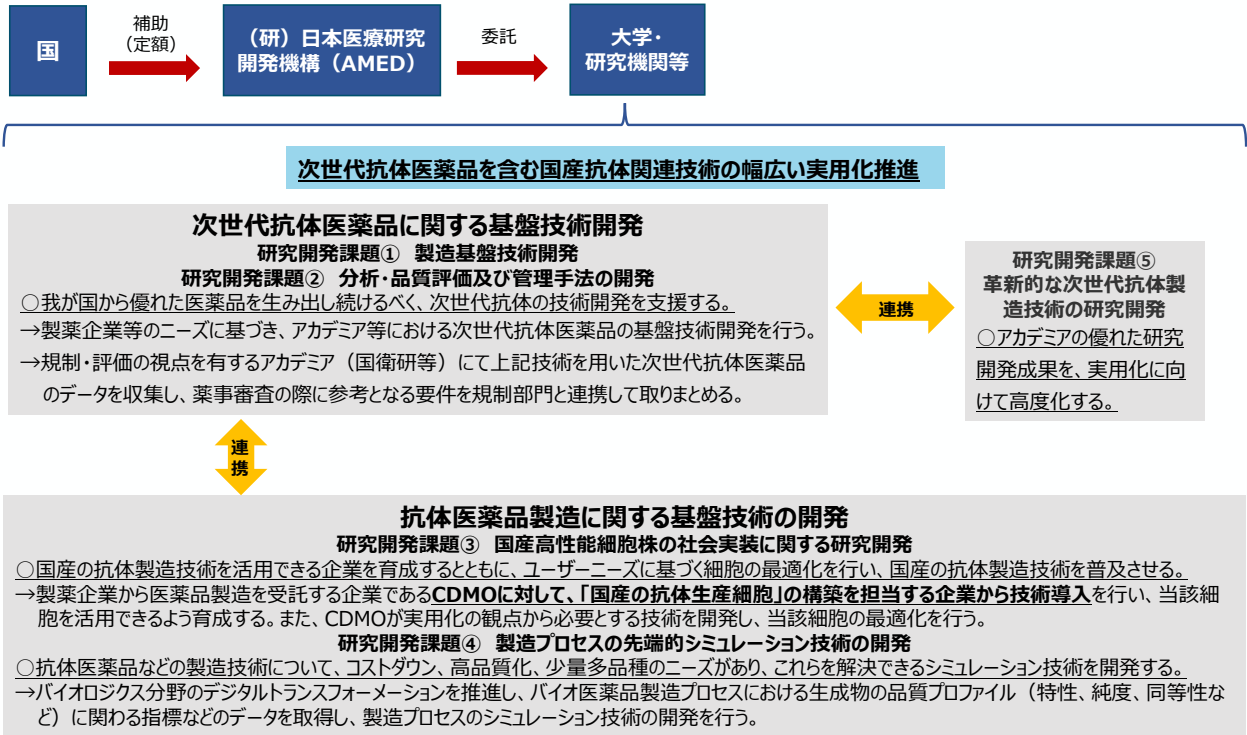


- 難創薬標的に対する医薬品は、通常、化学合成により得られる低分子・中分子化合物。PROTAC等の標的タンパク質分解薬は、標的タンパク質に弱く結合する化合物と、体内の分解誘導酵素に結合する化合物をリンカーでつないだ医薬品。
- 従来の低分子医薬品では作用できないタンパク質（難創薬標的）を標的可能とする新たなアプローチであり、構造解析技術の進展により、合理的な分子設計が可能となりつつある。

15

## 1-1-7. 事業スキーム (A: 国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発)

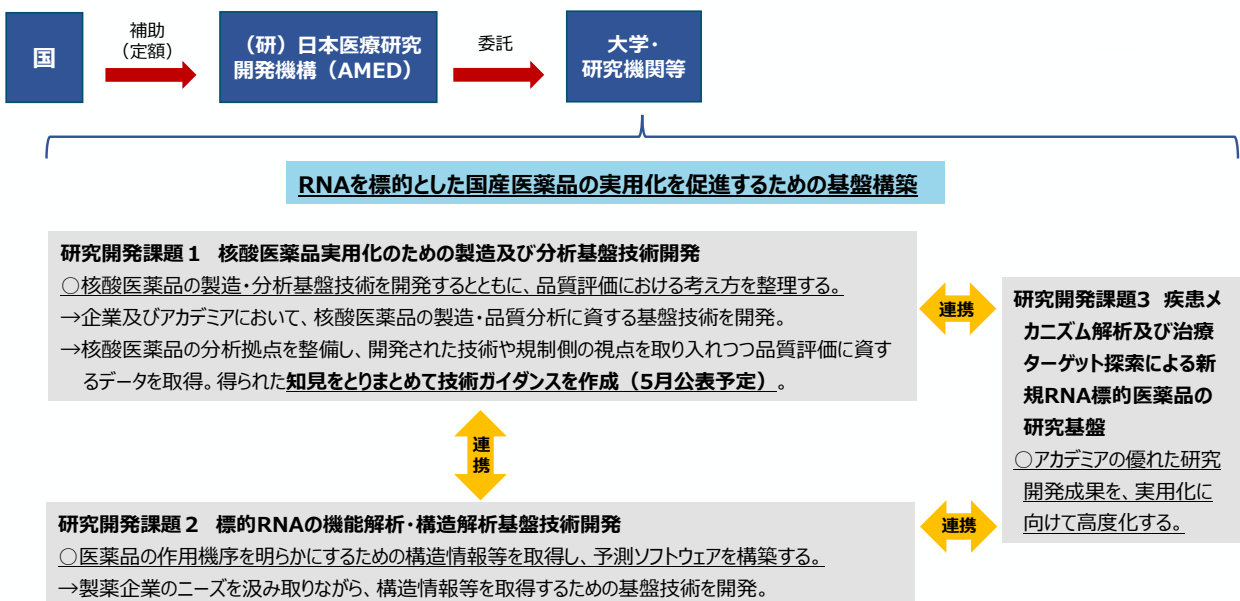
評価項目1



16

## 1-1-7. 事業スキーム (B: RNA標的創薬技術開発)

評価項目1

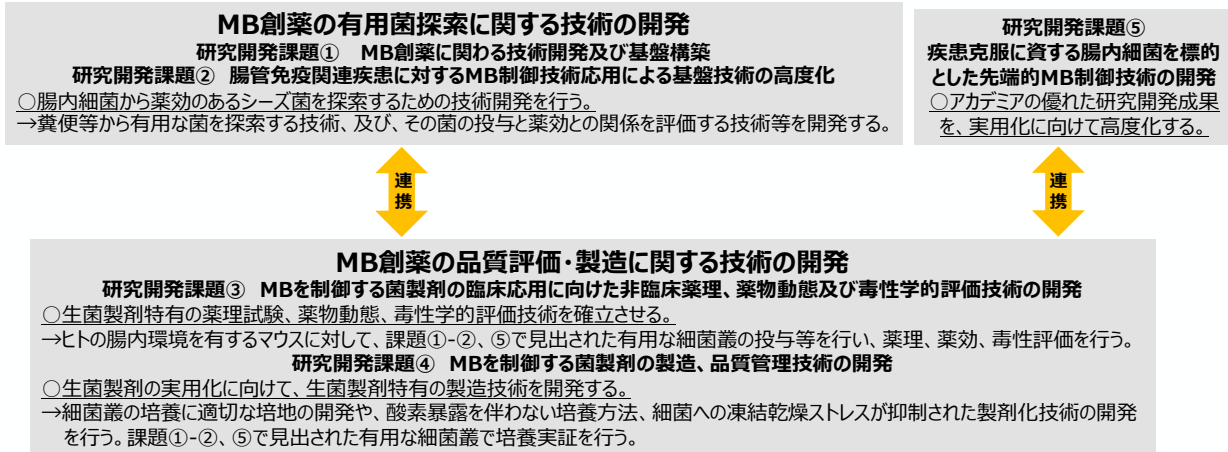


17

## 1-1-7. 事業スキーム (C: 腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発)



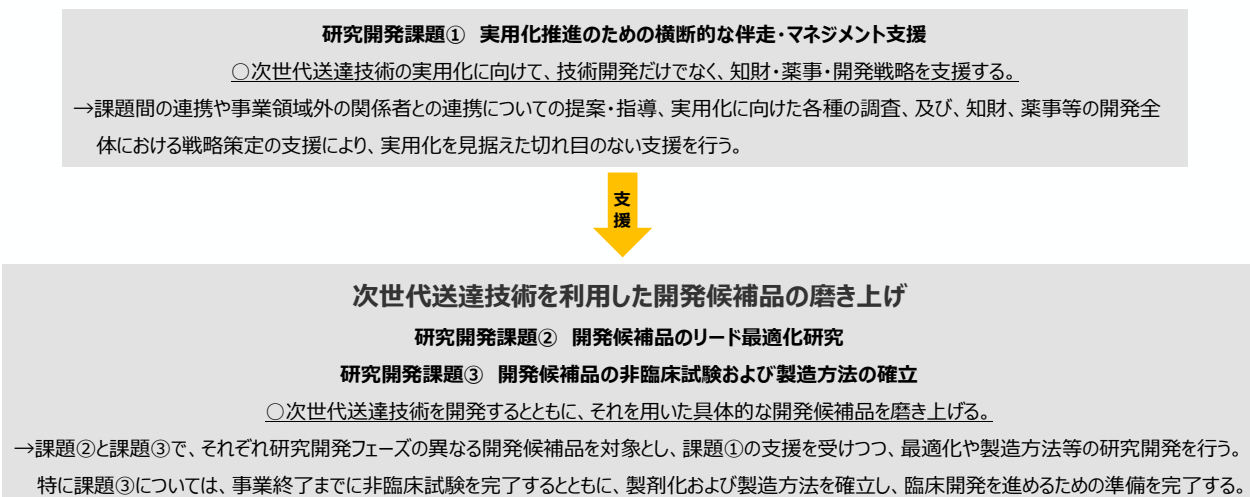
### マイクロバイーム制御による医薬品の奏効率向上等、新たな創薬を可能とするマイクロバイーム創薬エコシステムの構築



## 1-1-7. 事業スキーム (D: 次世代送達技術開発)



### 新規の(肝臓以外を標的とした)薬剤送達技術の創出とそれを用いた医薬品研究開発



# 1-1-7. 事業スキーム (E: 難創薬標的に対する創薬基盤技術開発)



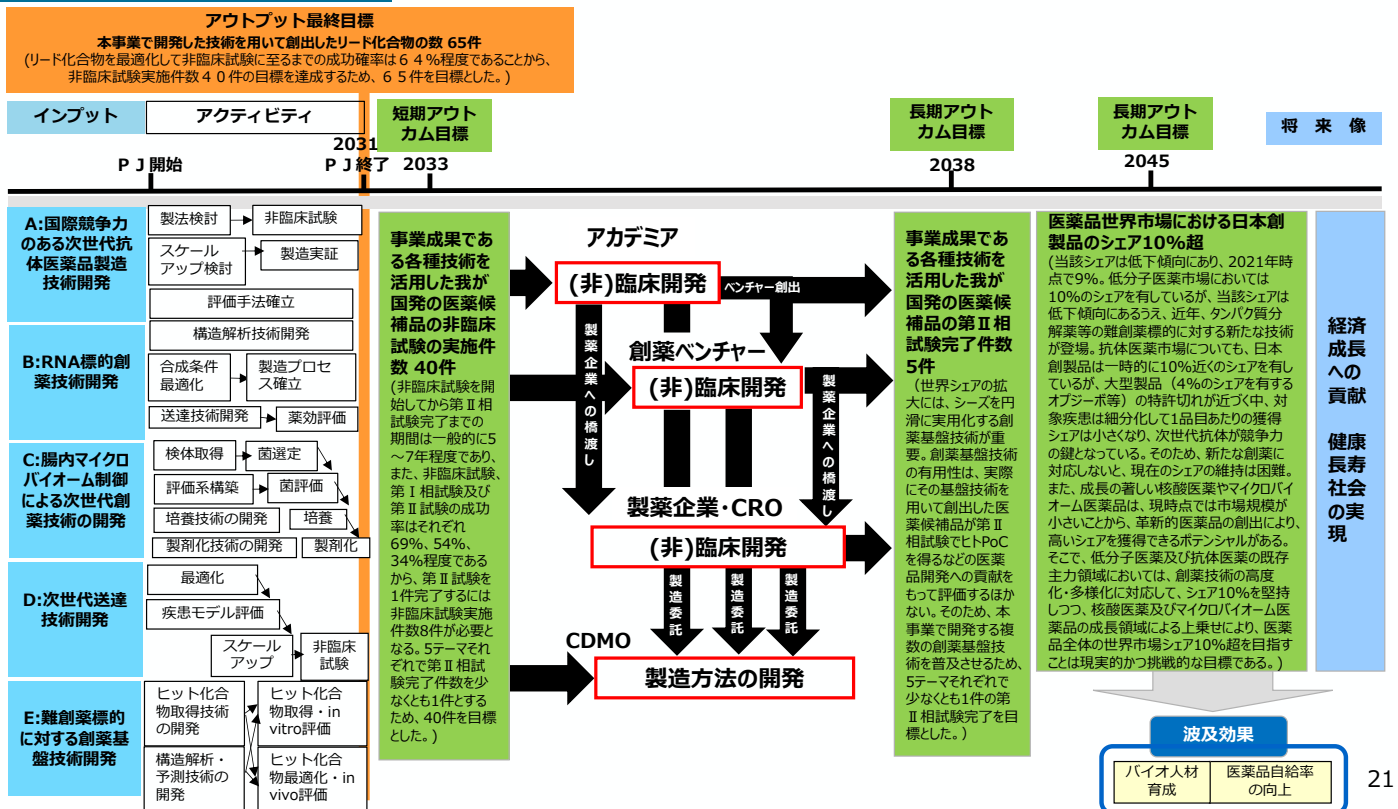
ボトルネックである分析・構造解析技術等を開発し、国産シーズの実用化が進みやすい環境を構築

**研究開発課題① 最先端基盤技術を用いたアンドラッグブル標的医薬品の研究開発**  
 ○アンドラッグブル標的や薬物との相互作用に関して、分析・構造解析技術等の基盤技術を開発する。  
 →アンドラッグブル標的部位を探索するための構造解析技術や、標的物質と候補分子の相互作用を計算機科学的に分析する技術等の各種基盤技術を開発するとともに、開発した技術を用いて開発候補品を創出する。また、必要に応じて、課題②の具体的な医薬品シーズを対象にして分析・構造解析を行いフィードバックする。



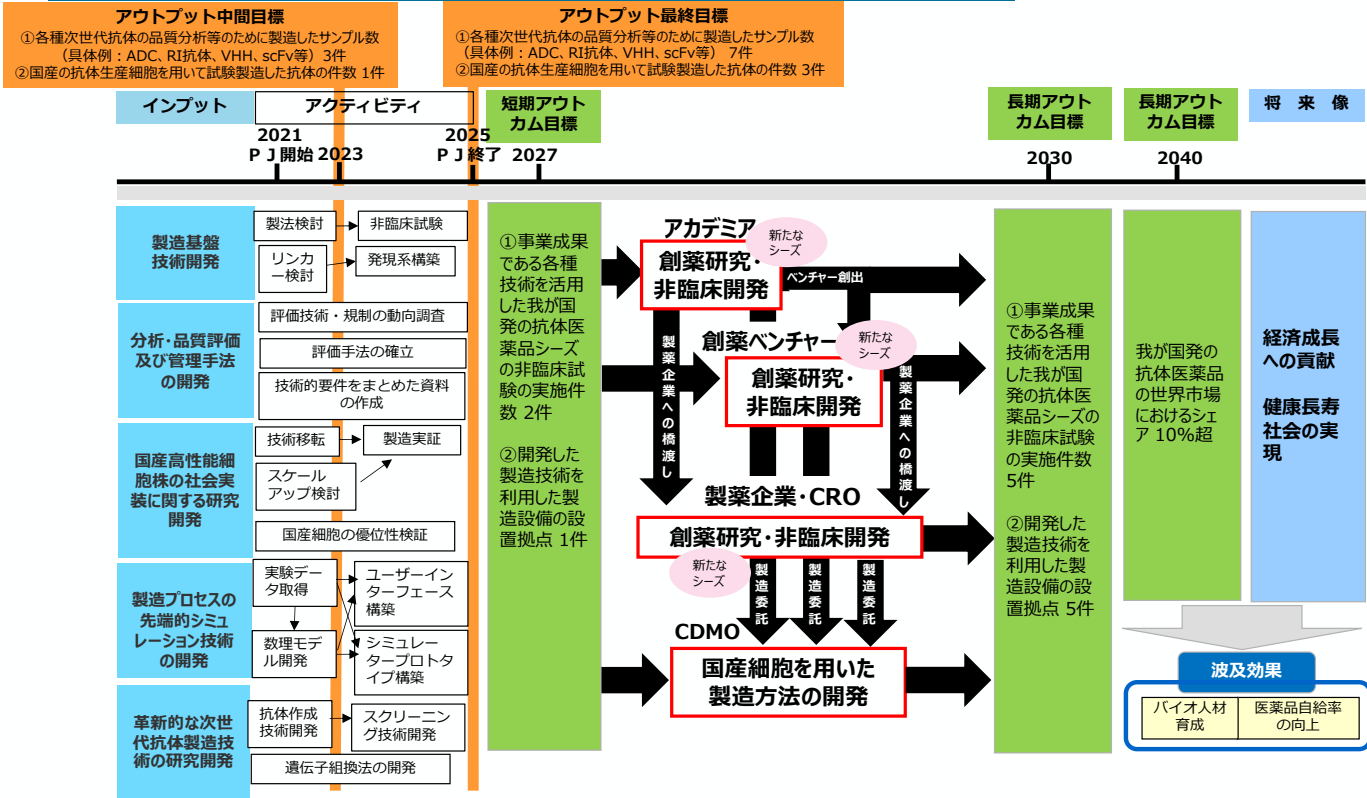
**研究開発課題② アンドラッグブル標的医薬品の開発開発**  
 ○アンドラッグブル標的医薬品について具体的なシーズを開発する。  
 →アンドラッグブル標的を標的としたスクリーニング技術等の化合物取得技術の開発や薬効評価系の開発を行い、開発した技術を利用して、必要に応じて課題①の分析技術等も活用しながら、医薬品シーズの創出、最適化等を実施する。

## 1-2. 意義・アウトカム (社会実装) までの道筋



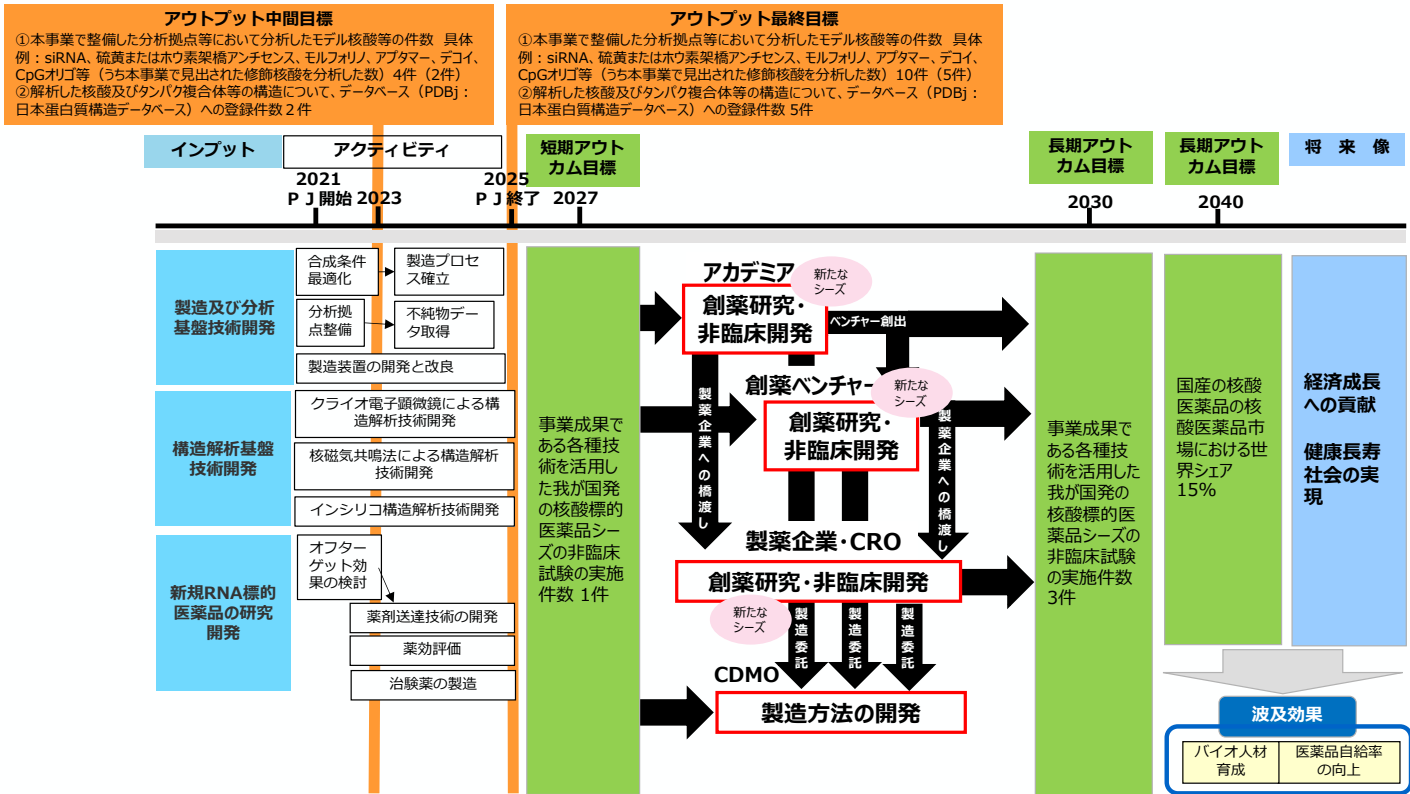
1-2. 意義・アウトカム（社会実装）までの道筋（A:国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発）

評価項目1



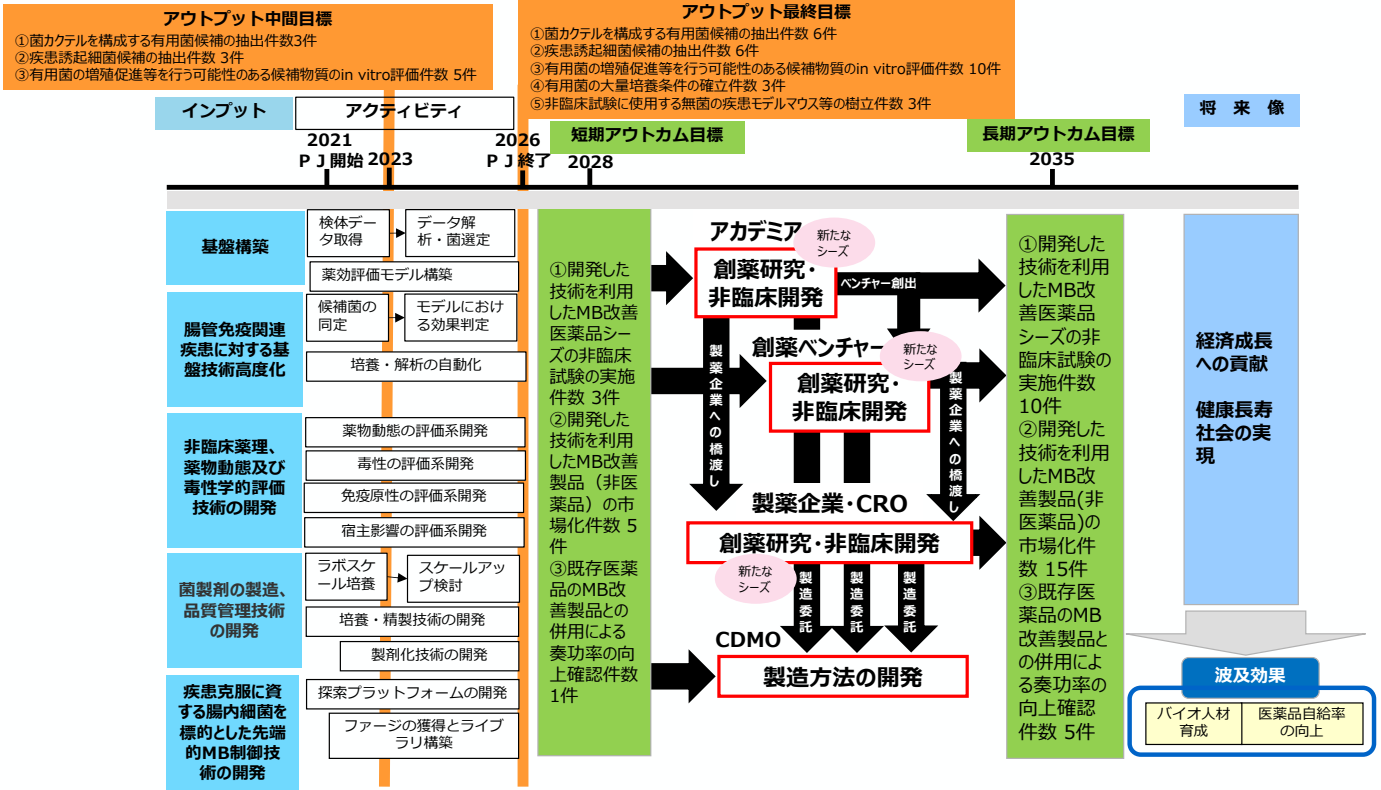
1-2. 意義・アウトカム（社会実装）までの道筋（B:RNA標的創薬技術開発）

評価項目1



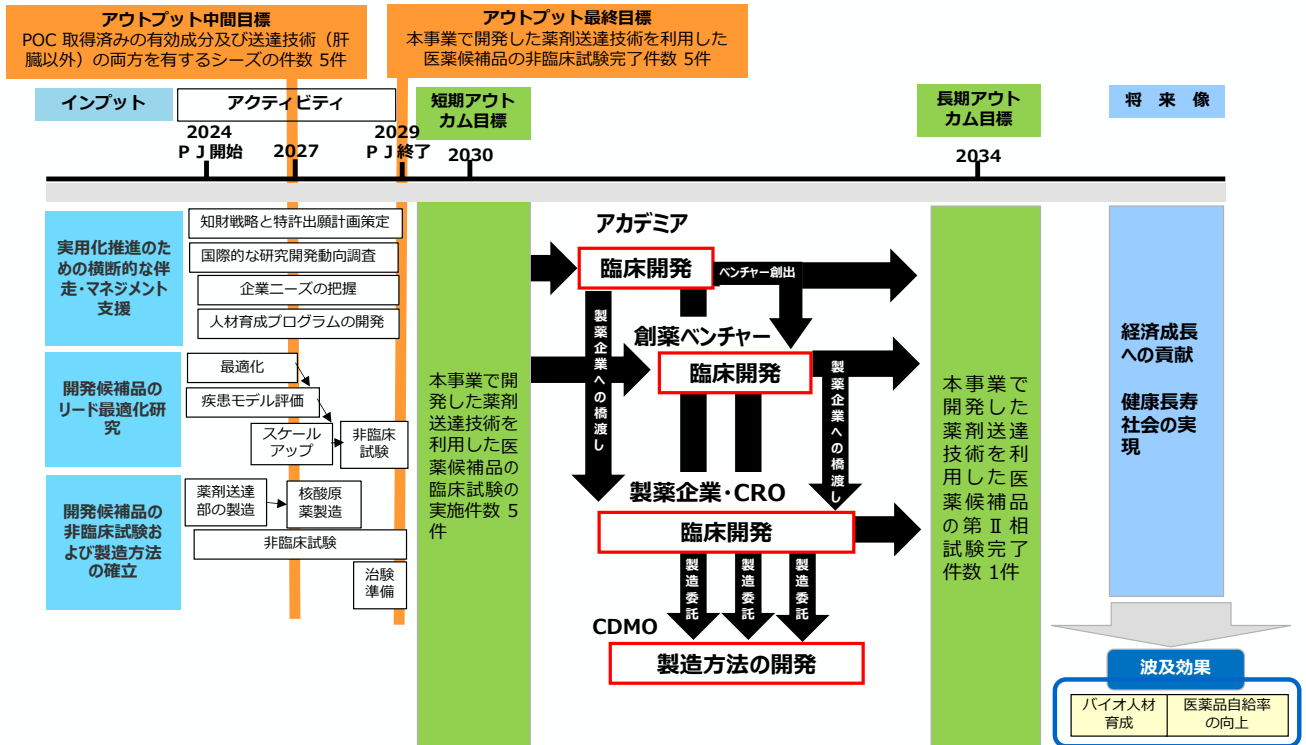
1-2. 意義・アウトカム（社会実装）までの道筋（C:腸内マイクロバイオーム制御による次世代創薬技術の開発）

評価項目1



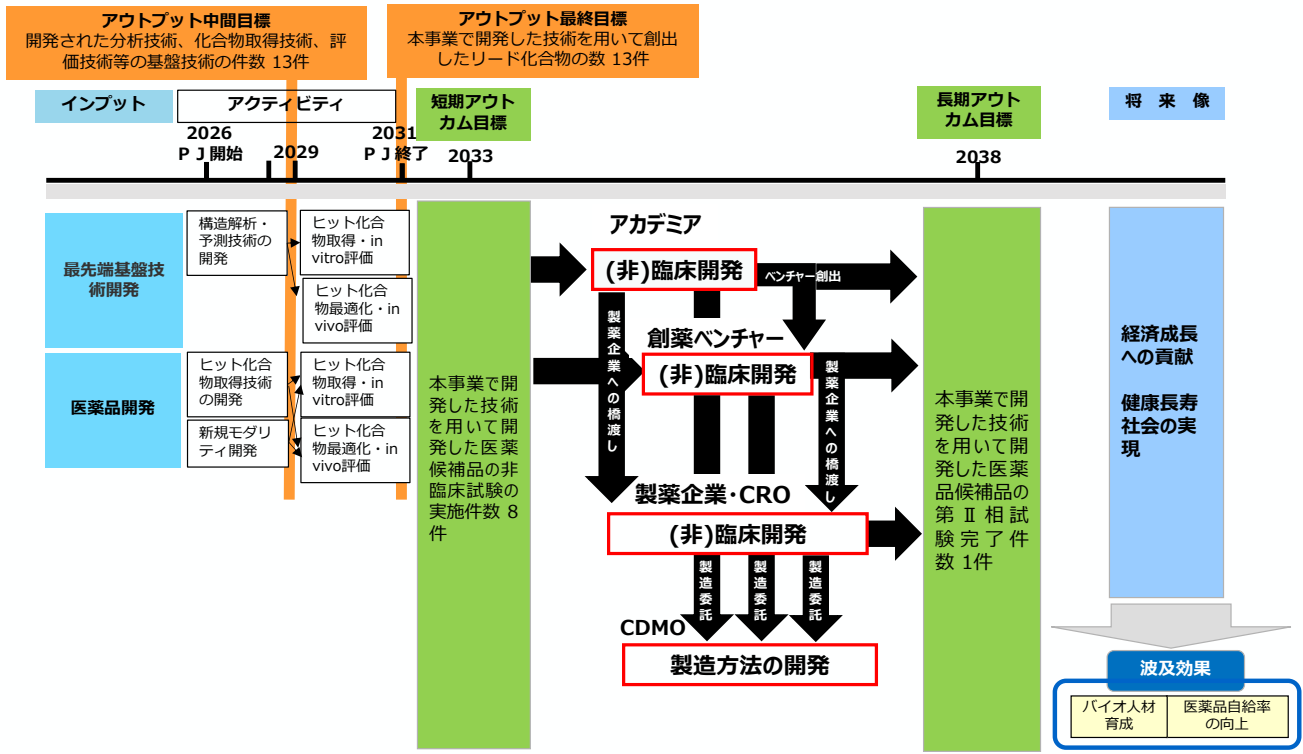
1-2. 意義・アウトカム（社会実装）までの道筋（D:次世代送達技術開発）

評価項目1



1-2. 意義・アウトカム（社会実装）までの道筋（E:難創薬標的に対する創薬基盤技術開発）

評価項目1



1-3. 知的財産・標準化戦略

評価項目1

事業領域	オープン戦略	クローズ戦略	戦略の考え方
A: 国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発	次世代抗体医薬品の物性・品質評価及び管理手法に関する技術的要件をまとめた資料の作成・教材としての利用	医薬品シーズの特許権取得と、製造プロセスにおける最適化条件・ノウハウの秘匿化	次世代抗体医薬品の評価及び管理手法等の共通基盤技術についてはオープン化して創薬エコシステム全体の効率化を図る。一方、事業の中で創出された医薬品シーズ及びその製造プロセスの最適化条件・ノウハウ等は、競争優位性の源泉であるため、特許権取得又は秘匿化により保護する。
B: RNA標的創薬技術開発	核酸医薬の分析手法に関する技術ガイダンスの作成・公表、構造解析基盤技術に関する論文発表、及び、構造予測ソフトの公開	医薬品シーズの特許権取得と、製造プロセスにおける最適化条件・ノウハウの秘匿化	核酸医薬の解析や評価等の共通基盤技術についてはオープン化して創薬エコシステム全体の効率化を図る。一方、事業の中で創出された医薬品シーズ及びその製造プロセスの最適化条件・ノウハウ等は、競争優位性の源泉であるため、特許権取得又は秘匿化により保護する。
C: 腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発	マイクロバイーム医薬品について、薬事承認申請書類における製造・品質管理に関するセクションのサンプル作成・公表	医薬品シーズの特許権取得と、製造プロセスにおける最適化条件・ノウハウの秘匿化	マイクロバイーム医薬品の国内承認はまだないところ、その製造・品質管理に関する申請書類のサンプルをオープン化して創薬エコシステム全体の効率化を図る。一方、事業の中で創出された医薬品シーズ及びその製造プロセスの最適化条件・ノウハウ等は、競争優位性の源泉であるため、特許権取得又は秘匿化により保護する。
D: 次世代送達技術開発	薬剤送達技術のライセンス（※）	医薬品シーズ（薬剤送達技術も含め）の特許権取得と、製造プロセスにおける最適化条件・ノウハウの秘匿化	新規の薬剤送達技術はコア技術であるものの、特定の有効成分に限らず広く利用できる場合は特許権を取得したうえでライセンスにより、他社にも展開して利益を最大化する。一方、事業の中で創出された医薬品シーズ及びその製造プロセスの最適化条件・ノウハウ等は、競争優位性の源泉であるため、特許権取得又は秘匿化により保護する。
E: 難創薬標的に対する創薬基盤技術開発	難創薬標的の構造解析基盤技術に関する論文発表	医薬品シーズの特許権取得と、製造プロセスにおける最適化条件・ノウハウの秘匿化	難創薬標的の解析技術等の共通基盤技術についてはオープン化して創薬エコシステム全体の効率化を図る。一方、事業の中で創出された医薬品シーズ及びその製造プロセスの最適化条件・ノウハウ等は、競争優位性の源泉であるため、特許権取得又は秘匿化により保護する。

※次世代送達技術領域におけるオープン戦略について、前回評価でのご指摘を踏まえて検討し、デファクトスタンダード戦略やCTD作成ではなく、ライセンスにより他社に展開して利益を最大化する方針とした。

なお、医薬品分野の技術開発においては安全性評価が極めて重要であり、この点については、レギュラトリーサイエンスの観点から評価技術の開発・検証を進め、規制当局においてそれを検討するという規制対応のプロセスが先行している。そのため、ISO等の国際標準を獲得しそれを規制に反映させるというプロセスは、医療機器や再生医療等の分野を除いては、必ずしも活発ではない。現段階では、ISOやJISを目指した標準化戦略を取るのではなく、規制当局との対話をはじめとする規制受容に向けた取組を重視する方針である。

## 評価項目 2. 目標及び達成状況

28

### 前回評価時との変更点

評価項目2

【A：国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発】

- 長期アウトカム目標について、前回評価時は「我が国発の抗体医薬品の世界市場におけるシェア10%」と設定していたが、2024年時点では当該目標をクリアしている。しかし、現在の10%は、1品目で4%のシェアを有する大型品の存在が大きく、当該製品の特許切れ（後発医薬品の参入）が間近なうえ、対象疾患は細分化して1品目あたりの獲得シェアは小さくなる中、2040年においてシェア10%超を獲得することは現実的かつ挑戦的な目標であると考えている。また、成熟分野である抗体医薬において、シェア15%等の獲得は非常に困難であり現実的でないため、10%超と設定した。

<アウトカム目標>

【前回評価時】 我が国発の抗体医薬品の世界市場におけるシェア10%

【今回】 我が国発の抗体医薬品の世界市場におけるシェア10%超

29

## 前回評価時との変更点

### 【D：次世代送達技術開発】

- 前回評価時から予算決定までの間に事業内容を整理し、事業期間内に非臨床試験5件の完了を目指すこととしたため、短期アウトカム目標は臨床試験数5件に変更した。また、前回評価時は、評価・製造等の基盤技術開発を行う予定であったため、外部の開発フェーズの進んでいる医薬候補品に当該基盤技術を利用する想定で、長期アウトカムを「事業成果である各種技術を活用した医薬品の薬事承認申請件数1件」と設定していた。しかし、上述の事業内容の整理により、基盤技術開発に特化した内容ではなく、送達技術を有効成分と組み合わせた具体的な医薬候補品として研究開発を進める方針に変更し、外部の開発フェーズの進んだ医薬候補品ではなく、本事業で非臨床試験を完了した医薬候補品の進捗として長期アウトカムを設定したため、一般的な開発スピード・成功確率を考慮して、「薬事承認申請件数1件」は「第Ⅱ相試験完了件数1件」に変更した。

#### <アウトカム目標>

- 【前回評価時】 事業成果である各種技術を活用した我が国初の医薬品の非臨床・臨床試験数 3件  
事業成果である各種技術を活用した医薬品の薬事承認申請件数 1件
- 【今回】 本事業で開発した薬剤送達技術を利用した医薬品の臨床試験の実施件数 5件  
本事業で開発した薬剤送達技術を利用した医薬候補品の第Ⅱ相試験完了件数 1件

- 前回評価時から予算決定までの間に事業内容を整理し、事業期間内に非臨床試験の完了を目指すこととしたため、アウトプット最終目標を非臨床試験の完了件数とするとともに、アウトプット中間目標をPoC取得済み件数に変更した。

#### <アウトプット目標>

- 【前回評価時】 開発された薬剤送達技術、製造技術、薬剤送達評価技術の件数 6件（2026年度）  
開発された薬剤送達技術、製造技術、薬剤送達評価技術の件数 12件（2029年度）
- 【今回】 PoC取得済みの有効成分及び送達技術（肝臓以外）の両方を有するシーズの件数 5件（2026年度）  
本事業で開発した薬剤送達技術を利用した医薬候補品の非臨床試験完了件数 5件（2029年度）

30

## 2-1-1. アウトカム目標及び達成見込み (A：国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発)

	アウトカム指標	アウトカム目標	達成見込み
短期目標 2027年度	①事業成果である各種技術を活用した我が国発の抗体医薬品シーズの非臨床試験の実施件数	2件 (TRL4相当)	既に1件は非臨床試験を実施しており、もう2件も非臨床試験に向けて最適化等の準備が順調に進んでおり、達成できる見込み。
	②開発した製造技術を利用した製造設備の設置拠点	1件 (TRL5~6相当)	国産抗体産生細胞を用いた製造実証を2件実施しており、目標は達成している。
長期目標 2030年度	①事業成果である各種技術を活用した我が国発の抗体医薬品シーズの非臨床試験の実施件数	5件 (TRL4~5相当)	短期目標①を達成できる見込みであり、事業成果を活用した医薬品開発が順調に進行しているため、現時点では目標達成が見込まれる。
	②開発した製造技術を利用した製造設備の設置拠点	5件 (TRL6~7相当)	短期目標②を達成済みであり、開発した製造技術の社会実装が順調に進行しているため、現時点では目標達成が見込まれる。
長期目標 2040年度	③我が国発の抗体医薬品の世界市場におけるシェア	10%超	野心的な目標ではあるが、事業期間内の研究開発は現在順調に進行しているため、現時点では目標達成が見込まれる。

#### (設定理由・根拠)

長期目標③について、抗体医薬品世界市場における日本創製品のシェアは**2024年時点で10%あるものの、4%を占めるオプジーボや1.2%を占めるアクテムラの特許切れが迫っており、当該シェアの大幅な低下**が懸念される。一方、抗体医薬品の市場規模は低分子医薬品に次いで大きく、本事業全体の2045年度目標を達成するには、抗体医薬のシェアを維持・拡大することが必須である。日本創製品のパイプライン数は20程度であり、臨床試験の成功確率を考慮して、4品目程度が上市に至ると考えられる。しかし、近年は**対象疾患の細分化が進み、日本創製品の1品目あたりの平均獲得シェアは1%未満**である。そこで、**本事業により、獲得シェア率の高い次世代抗体医薬品等の上市を上乗せすることにより、世界シェア10%超を維持・拡大**することを目指す。

本テーマは、**国産抗体産生細胞の実用化に向けた開発や、次世代抗体の基盤技術等の研究開発を行い、得られた成果を広く普及させることで、抗体医薬品を円滑に実用化し、世界シェア拡大を目指す**ものである。このため、長期アウトカム①②については、**本事業で開発した技術を、本事業で扱う医薬品シーズ以外にも適用し、実際の医薬品開発（非臨床試験）や医薬品製造に活用する件数を指標として、それぞれ5件に設定した**。また、短期アウトカムについては、**外部の医薬品シーズへの適用を促すことで長期アウトカムの達成につなげる観点から、まずは本事業で扱う医薬品シーズの非臨床試験や製造設備の設置を進め、本事業で開発した基盤技術の有用性を示す**こととし、その件数をそれぞれ2件及び1件に設定した。

#### (計測方法)

計測は、事業者からのヒアリングや統計の調査により行う。

31

費用対効果

本事業に要する国費総額は84億円の見込み。  
 世界の抗体医薬品市場は2021年では約25.6兆円であり、2028年には約43.5兆円と予測されており、また、抗体医薬品の後発品に位置づけられているバイオシミラーの市場も2021年の約2.1兆円から2026年には6.0兆円にまで拡大すると予測されている。  
 本事業の成果はこれらの抗体医薬品分野における拡大する市場の確保に寄与するため、本事業のもたらす費用対効果は非常に大きいと思われる。

2-2-1. アウトプット目標及び達成状況 (A: 国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発)

	アウトプット指標	アウトプット目標	達成状況
中間目標 2023年度	①各種次世代抗体の品質分析等のために製造したサンプル数 (具体例: ADC, RI抗体, VHH, scFv等)	3件 (TRL2相当)	6件 (達成)
	②国産の抗体生産細胞を用いて試験製造した抗体の件数	1件 (TRL4相当)	1件 (達成)
最終目標 2025年度	①各種次世代抗体の品質分析等のために製造したサンプル数 (具体例: ADC, RI抗体, VHH, scFv等)	7件 (TRL2~3相当)	RI抗体製造、品質分析、国産細胞評価のために合わせて <b>11件のサンプルを製造</b> し、目標を上回って達成した。
	②国産の抗体生産細胞を用いて試験製造した抗体の件数	3件 (TRL4~5相当)	2種類の抗体生産細胞を用いて、合わせて <b>11件の試験製造</b> を行い、目標を大きく上回って達成した。

(目標の設定理由・根拠)

最終目標①について、アウトカム短期目標①「事業成果である各種技術を活用した我が国発の抗体医薬品シーズの非臨床試験の実施件数2件」の**非臨床試験を行う候補品、及び、次世代抗体医薬品の品質評価等に関する技術資料作成に利用**するため、各種次世代抗体をそれぞれ複数品得ることとして7件を目標とした。また、中間目標①について、最終目標①を達成するため、各種次世代抗体を1種類ずつ製造することとして3件を目標とした。  
 最終目標②について、アウトカム短期目標②「開発した製造技術を利用した製造設備の設置拠点1件」を実現するためには、**特定の抗体に限らず、あらゆる抗体の製造に国産抗体生産細胞を利用できることを示す**必要があるから、3件を目標とした。中間目標②について、最終目標②を達成するため、まずは国内抗体生産細胞の特徴を把握する必要があるので、特定の抗体を対象にして製造条件等を検討することとして1件を目標とした。

(計測方法)

計測は、事業者からのヒアリングにより行う。

## 2-1. アウトカム目標及び達成見込み (B: RNA標的創薬技術開発)

アウトカム指標		アウトカム目標	達成見込み
短期目標 2027年度	①事業成果である各種技術を活用した我が国発の核酸標的医薬品シーズの非臨床試験の実施件数	1件 (TRL4相当)	事業内連携により、 <b>5件の非臨床試験を実施し</b> 、目標を大きく上回って早期に達成した。
長期目標 2030年度	①事業成果である各種技術を活用した我が国発の核酸標的医薬品シーズの非臨床試験の実施件数	3件 (TRL4~5相当)	同上
長期目標 2040年度	②国産の核酸医薬品の核酸医薬品市場における世界シェア	15%	野心的な目標ではあるが、想定を大きく上回るペースで開発が進行しており、現時点では達成見込み。

(設定理由・根拠)  
 長期目標②について、日本が創製した核酸医薬品 (Viltepro 218億円) の**2024年世界シェアは2.6%**にとどまるものの、核酸医薬品は、低分子医薬品、抗体・タンパク質医薬品に次ぐ第三のモダリティであり、CAGRは10~20%と市場の大きな伸びが期待されるところ、本事業全体の2045年度目標達成において重要なモダリティである。2024年に最も売れた核酸医薬品である**Spinrazalは、初期上市及び希少疾患での独占により世界シェア30%**を有するが、今後は**競合増加により1品目で同水準のシェア確保は困難**である。一方、現在の**上市品は希少疾患を対象としたものが多いところ、患者数が多く、適応拡大も期待できるがんを対象とした核酸医薬品であれば1品目でシェア10%超も現実的であるから、本事業成果を活用してがん等を標的とした核酸医薬品を創出**することを目指し、世界シェア15%を目標とした。  
 本テーマは、**核酸医薬品の製造、精製、分析技術や、核酸を標的とする創薬に関するシミュレーション等の研究開発を行うとともに、得られた成果を広く普及させることで、核酸医薬品を円滑に実用化し、世界シェア拡大を目指す**ものである。このため、長期アウトカム①については、**本事業で開発した技術を、本事業で扱う医薬品シーズ以外にも適用し、実際の医薬品開発(非臨床試験)に活用する**件数を指標として、3件に設定した。また、短期アウトカムについては、**外部の医薬品シーズへの適用を促すことで長期アウトカムの達成につなげる観点から、まずは本事業で扱う医薬品シーズの開発を進め、本事業で開発した基盤技術の有用性を示す**こととし、その件数を1件に設定した。  
 (計測方法)  
 計測は、事業者からのヒアリングや統計の調査により行う。

### 費用対効果

<p>本事業に要する国費総額は107億円の見込み。                  本事業の研究開発成果を活用することにより、我が国の製薬企業が創出した核酸医薬品が2030年の世界市場の例えば10%を確保した場合、年間約2000億円の売上がもたらされることとなる。また、今後の対象疾患拡大により、さらに大きな市場成長も期待されている。                  したがって、本事業のもたらす費用対効果は非常に大きいと思われる。</p>
--

## 2-2-1. アウトプット目標及び達成状況 (B: RNA標的創薬技術開発)

アウトプット指標		アウトプット目標	達成状況
中間目標 2023年度	①本事業で整備した分析拠点等において分析したモデル核酸等の件数 具体例: siRNA、硫黄またはホウ素架橋アンチセンス、モルフォリン、アダマー、デコイ、CpGオリゴ等 (うち本事業で見出された修飾核酸を分析した数)	4件 (2件) (TRL2相当)	3件 (3件) 達成
	②解析した核酸及びタンパク複合体等の構造について、データベース (PDBj: 日本蛋白質構造データベース) への登録件数	2件	2件達成
最終目標 2025年度	①本事業で整備した分析拠点等において分析したモデル核酸等の件数 具体例: siRNA、硫黄またはホウ素架橋アンチセンス、モルフォリン、アダマー、デコイ、CpGオリゴ等 (うち本事業で見出された修飾核酸を分析した数)	10件 (5件) (TRL2~3相当)	分析拠点が整った事業後半は、 <b>50件 (35件) の品質分析</b> を行い、目標を大きく上回って達成した。
	②解析した核酸及びタンパク複合体等の構造について、データベース (PDBj: 日本蛋白質構造データベース) への登録件数	5件	構造解析技術を確認した事業後半は、 <b>77件の構造解析・登録</b> を行い、目標を大きく上回って達成した。

(目標の設定理由・根拠)  
 最終目標①について、アウトカム短期目標①「事業成果である各種技術を活用した我が国発の核酸標的医薬品シーズの非臨床試験の実施件数1件」の**非臨床試験を行う候補品、及び、核酸医薬品の分析手法に関する技術的ガイダンス作成に利用**するため、医薬品開発課題から少なくとも1件ずつ (合わせて5件) と既存の核酸5件を合わせて10件を目標とした。中間目標①について、アウトカム長期目標①を達成するため、初年度は分析拠点の整備に時間がかかることも考慮しつつ、半分未満の4件を目標とした。  
 最終目標②について、核酸の立体構造データはタンパク質と比較して圧倒的に不足している状況であり、構造ベースの創薬が困難な状況。アウトカム短期目標①「事業成果である各種技術を活用した我が国発の核酸標的医薬品シーズの非臨床試験の実施件数1件」の**非臨床試験を行う候補品を創出すること、及び、標的核酸の立体構造や薬物との相互作用を解析して構造ベースの創薬を可能とすることを**目指して、5件を目標とした。なお、従来明らかにできなかった核酸の立体構造を明らかにすることにより、本事業成果である構造解析技術が注目され、製薬企業との共同研究等による利活用につなげることも期待できる。また、中間目標②について、最終目標②を達成するため、初年度は分析拠点の整備に時間がかかることも考慮しつつ、半分未満の2件を目標とした。  
 (計測方法)  
 計測は、事業者からのヒアリングにより行う。

## 2-1-1. アウトカム目標及び達成見込み (C: 腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発)

アウトカム指標		アウトカム目標	達成見込み
短期目標 2028年度	① 開発した技術を利用したMB改善医薬品シーズの非臨床試験の実施件数	3件 (TRL4相当)	2025年度までに <b>20件の非臨床試験</b> を開始し、目標を大きく上回って早期に達成した。
	② 開発した技術を利用したMB改善製品（非医薬品）の市場化件数	5件 (TRL9相当)	有用菌の探索に関する基盤技術開発、製造に関する基盤技術開発はそれぞれ順調に進行しており、現時点では目標達成が見込まれる。
	③ 既存医薬品のMB改善製品との併用による奏効率の向上確認件数	1件	有用菌の探索に関する基盤技術開発、製造に関する基盤技術開発はそれぞれ順調に進行しており、現時点では目標達成が見込まれる。
長期目標 2035年度	① 開発した技術を利用したMB改善医薬品シーズの非臨床試験の実施件数	10件 (TRL5~6相当)	短期目標①と同様
	② 開発した技術を利用したMB改善製品（非医薬品）の市場化件数	15件 (TRL9相当)	短期目標②と同様
	③ 既存医薬品のMB改善製品との併用による奏効率の向上確認件数	5件 (TRL8相当)	短期目標③と同様
<p>(設定理由・根拠)</p> <p>本テーマは、<b>マイクロバイーム医薬品のシーズ探索から、評価、大量培養、製剤化まで一貫した研究開発を行うとともに、得られた成果を広く普及させることで、マイクロバイーム医薬品の円滑な実用化を目指す</b>ものである。このため、長期目標①について、<b>本事業で開発した技術を、本事業で扱う医薬品シーズ以外にも適用し、実際の医薬品開発（非臨床試験）に活用する</b>件数を指標として、10件に設定した。また、短期アウトカムについては、<b>外部の医薬品シーズへの適用を促すことで長期アウトカムの達成につなげる観点から、まずは本事業で扱う医薬品シーズの開発を進め、本事業で開発した基盤技術の有用性を示す</b>こととし、その件数を3件に設定した。</p> <p>長期目標②について、本事業成果は医薬品に限らず、MB改善につながる特定保健用食品（トクホ）等の開発にも利用可能であり、特定保健用食品であれば医薬品よりも早期に上市できる。<b>本事業成果を特定保健用食品で実用化するとともに、医薬品につながる追加的な研究開発も呼び込む</b>ため、15件を目標とした。短期目標②について、まずは本事業で扱うシーズの開発を進め、本事業で開発した技術が特定保健用食品の開発に活用できることを示すため、5件を目標とした。</p> <p>長期目標③について、MB医薬品を既存の抗がん剤と組み合わせることにより、抗がん剤の奏効率を高められる研究成果が報告されている。これを踏まえ、市販のMB改善製品や長期目標②で得られた製品を<b>既存の医薬品と併用することによる奏効率向上を示すことで、MB改善医薬品の追加的な研究開発を呼び込む</b>ため、5件を目標とした。また、短期目標③について、まずは本事業で扱う医薬品シーズの開発を進め、併用による奏効率向上を治験等で実証するため、1件を目標とした。</p> <p>(計測方法) 計測は、事業者からのヒアリングにより行う。</p>			

## 2-1-2. 費用対効果 (C: 腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発)

費用対効果
<p>本事業に要する国費総額は82億円の見込み。</p> <p>本事業で開発するMB制御による次世代治療技術（MB制御医薬品）及び当該医薬品を高効率で開発するためのスクリーニング技術、大量培養技術等の基盤技術は、多様なMBの中でもエリート菌と称される高性能な菌株、及び菌カクテルについて、in vitroで高効率、高再現性をもって開発するツールであり、これら一連の基盤技術は、次世代治療技術だけでなく、美容、衛生、食品等の多様な分野に活用されるべき技術である。</p> <p>MB関連の世界市場は、食品のみで2016年当時において約5兆円といわれているが、さらに医療分野における対象疾患は極めて多様であり、グローバルエイジングの時代における世界への貢献と画期的な市場拡大とが予想されている。</p> <p>本事業の成果はこれらのMB分野における拡大する市場の確保に寄与するため、本事業のもたらす費用対効果は非常に大きいと思われる。</p>

## 2-2-1. アウトプット目標及び達成状況 (C: 腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発)

アウトプット指標		アウトプット目標	達成状況
中間目標 2023年度	①菌カクテルを構成する有用菌候補の抽出件数	3件 (TRL2相当)	36件 (達成)
	②疾患誘起細菌候補の抽出件数	3件 (TRL2相当)	23件 (達成)
	③有用菌の増殖促進等を行う可能性のある候補物質のin vitro評価件数	5件 (TRL3相当)	39件 (達成)
最終目標 2026年度	①菌カクテルを構成する有用菌候補の抽出件数	6件 (TRL2相当)	中間目標①の達成状況のとおり、目標を大きく上回って早期に達成した。
	②疾患誘起細菌候補の抽出件数	6件 (TRL2相当)	中間目標②の達成状況のとおり、目標を大きく上回って早期に達成した。
	③有用菌の増殖促進等を行う可能性のある候補物質のin vitro評価件数	10件 (TRL3相当)	中間目標③の達成状況のとおり、目標を大きく上回って早期に達成した。
	④有用菌の大量培養条件の確立件数	3件 (TRL5相当)	<b>1件の大量培養条件を確立済みであり、他の菌の大量培養条件についても現在検討中</b> であるところ、現時点では目標達成が見込まれる。
	⑤非臨床試験に使用する無菌の疾患モデルマウス等の樹立件数	3件 (TRL4相当)	<b>4件のモデルマウスを樹立済み</b> であり、目標達成済みであるうえ、さらに他のモデルマウスの構築も検討中である。
<p>(目標の設定理由・根拠)                      最終目標④⑤について、マイクロバイーム医薬品は<b>萌芽期の新たなモダリティであり、製造技術や評価技術等の基盤技術が確立していない状況</b>である。アウトカム短期目標「開発した技術を利用したMB改善医薬品シーズの非臨床試験の実施件数3件」等を達成するためには、<b>有用菌の大量培養技術やモデルマウス等のin vivo評価技術が必須</b>であり、特定の菌に限らずあらゆる菌に対応できることを目指し、それぞれ3件を目標とした。                      中間目標①②③について、アウトカム短期目標を達成するためには、<b>MB改善医薬品のシーズ又は標的となる有用菌、及び、MB改善医薬品の標的となる疾患誘起細菌を得たうえで、それらに作用する候補物質のin vitro評価技術や、最終目標①②の大量培養技術及びマウスモデルの確立につなげる</b>必要があるから、中間目標①②についてはそれぞれ3件を目標とした。中間目標③については、アウトプット短期目標①②で得られた菌を評価することとし、実施期間を考慮して5件を目標とした。                      (計測方法)                      計測は、事業者からのヒアリングにより行う。</p>			

## 2-1. アウトカム目標及び達成見込み (D: 次世代送達技術開発)

アウトカム指標		アウトカム目標	達成見込み
短期目標 (2030年度)	本事業で開発した薬剤送達技術を利用した医薬候補品の臨床試験の実施件数	5件 (TRL7相当)	最適化や非臨床試験が順調に進んでおり、現時点では目標達成が見込まれる。
長期目標 (2034年度)	本事業で開発した薬剤送達技術を利用した医薬候補品の第Ⅱ相試験完了件数	1件 (TRL8相当)	最適化や非臨床試験が順調に進んでおり、現時点では目標達成が見込まれる。
<p>(設定理由・根拠)                      本テーマは、<b>新たな送達技術を創出するとともに、それを用いた医薬候補品を開発して実用化を目指す</b>ものであり、主なプレイヤーはアカデミアである。<b>アカデミア発の医薬候補品について、ベンチャーで開発を進めたのち製薬企業に導出しやすい代表的なタイミングは、ヒトでの有効性データを示すこととなる第Ⅱ相試験</b>である。このため、長期目標については、本事業成果を実用化につなげるため、「本事業で開発した薬剤送達技術を利用した医薬候補品の第Ⅱ相試験完了件数1件」とした。                      短期目標について、第Ⅰ相試験開始から第Ⅱ相試験終了まで4～5年程度であり、第Ⅰ相試験の成功率は54%、第Ⅱ相試験の成功率は34%程度であるから、アウトカム長期目標を達成するため、「本事業で開発した薬剤送達技術を利用した医薬候補品の臨床試験の実施件数5件」を目標とした。                      (計測方法)                      計測は、事業者からのヒアリングにより行う。</p>			
<b>費用対効果</b>			
<p>本事業に要する国費総額は85億円の見込み。                      Ionis社はBicycle社が開発したDDSのライセンス契約一時金として\$56mをBicycle社に支払うことになっており、一つの有望なDDSの開発が莫大な経済効果に直結する。DDSの開発で31のパイプラインを構築したGalNAcの事例を考慮すると、一つのDDSの開発は契約一時金のみで\$56m×31≒2230億円の経済効果が期待される(※1ドル=128.43円)                      また、DDSの開発により対象疾患の拡大が期待され、さらに大きな市場成長も期待される。                      したがって、本事業のもたらす費用対効果は非常に大きいと思われる。</p>			

## 2-2. アウトプット目標及び達成状況 (D: 次世代送達技術開発)

アウトプット指標		アウトプット目標	達成状況
中間目標 (2027年度)	PoC取得済みの有効成分及び送達技術 (肝臓以外) の両方を有するシーズの件数	5件 (TRL3~4相当)	現状、開発候補品の安全性、有効性、標的への送達性の評価は順調に進んでいるため、現時点では目標達成見込みである。
最終目標 (2029年度)	本事業で開発した薬剤送達技術を利用した医薬候補品の非臨床試験完了件数	5件 (TRL5~6相当)	一部の課題では非臨床試験を開始しており、順調に進んでいるため、現時点では目標達成見込みである。
<p>(設定理由・根拠) 最終目標について、アウトカム短期目標「本事業で開発した薬剤送達技術を利用した医薬候補品の臨床試験の実施件数 5件」を達成するため、「本事業で開発した薬剤送達技術を利用した医薬候補品の非臨床試験完了件数 5件」を目標とした。 中間目標について、非臨床試験について、非臨床PoC取得から非臨床試験完了まで、毒性試験等に2年程度かかる。そのため、最終目標を達成するため、「PoC取得済みの有効成分及び送達技術 (肝臓以外) の両方を有するシーズの件数 5件」を目標とする。</p> <p>(計測方法) 計測は、事業者からのヒアリングにより行う。</p>			

## 2-1. アウトカム目標及び達成見込み (E: 難創薬標的に対する創薬基盤技術開発)

アウトカム指標		アウトカム目標	達成見込み
短期目標 (2033年度)	本事業で開発した技術を用いて開発した医薬候補品の非臨床試験数	8件 (TRL4~5相当)	2026年度開始のため実績なし
長期目標 (2038年度)	本事業で開発した技術を用いて開発した医薬候補品の第II相試験完了件数	1件 (TRL8相当)	2026年度開始のため実績なし
<p>(設定理由・根拠) 本テーマは、<b>アンドラッグブル標的や薬物との相互作用に関する分析・構造解析等の基盤技術開発を行い、得られた成果を広く普及させることで、難創薬標的に対する医薬品の円滑な実用化を目指す</b>ものである。開発した創薬基盤技術を普及させるためにはその有用性を示す必要があり、<b>創薬基盤技術の有用性は、実際にその基盤技術を用いて創出した医薬候補品が第II相試験でヒトPoC取得を得るなどの医薬品開発への貢献をもって評価することが重要</b>である。このため、長期目標については、本事業で開発する複数の創薬基盤技術を普及させるため、「本事業で開発した技術を用いて開発した医薬候補品の第II相試験完了件数 1件」を目標とした。 短期目標について、非臨床試験を開始してから第II相試験完了までの期間は一般的に5~7年程度であり、また、非臨床試験、第I相試験及び第II相試験の成功率はそれぞれ69%、54%、34%程度であることから、長期目標を達成するため、「本事業で開発した技術を用いて開発した医薬候補品の非臨床試験数8件」を目標とした。</p> <p>(計測方法) 計測は、事業者からのヒアリングにより行う。</p>			
<b>費用対効果</b>			
<p>本事業に要する国費総額見込みは、120億円 (約20億円×6年間) を予定している。 本事業によって、分析・構造解析技術等の開発を支援し、難創薬標的に対する創薬の基盤技術を国内で確立することにより、PROTAC、分子糊、及び、アロステリック調節薬における日本プレーヤーのシェアを1~2%増加させ、合計550億円/年程度の売り上げ増加効果が見込まれていることから、本事業のもたらす経済的価値は非常に大きいと考えられる。</p>			

## 2-2. アウトプット目標及び達成状況 (E: 難創薬標的に対する創薬基盤技術開発)

アウトプット指標		アウトプット目標	達成状況
中間目標 (2029年度)	開発された分析技術、化合物取得技術、評価技術等の 基盤技術の件数	13件	2026年度開始のため 実績なし
最終目標 (2031年度)	本事業で開発した技術を用いて創出したリード化合物の 数	13件 (TRL3~4相当)	2026年度開始のため 実績なし
<p>(設定理由・根拠) 最終目標について、リード化合物を最適化して、非臨床試験開始に至るまでの期間は一般的に3~4年程度であり、その成功確率は64%程度であることから、アウトカム短期目標「本事業で開発した技術を用いて開発した医薬候補品の非臨床試験数 8件」を達成するため、新規のモダリティであることも考慮して、「本事業で開発した技術を用いて創出したリード化合物の数 13件」を目標とした。 中間目標について、本事業では、構造解析・予測技術やヒット化合物取得技術等の基盤技術を開発するとともに、その技術を用いて具体的な医薬品シーズの開発を行うものである。そのため、最終目標を達成するため、13程度の課題を採択し、「開発された分析技術、化合物取得技術、評価技術等の基盤技術の件数 13件」を目標とする。</p> <p>(計測方法) 計測は、事業者からのヒアリングにより行う。</p>			

## 2-2. アウトプット目標及び達成状況 副次的成果・波及効果

- 本事業を通じて育成されたバイオ人材及び蓄積された技術基盤は、後続の研究開発や関連分野へと波及し、持続的な創薬基盤の強化につながることを期待される。
- 本事業を通じて日本発の医薬品シーズ創出が促進されることにより、中長期的には国内の医薬品供給基盤の強化及び医薬品自給率の向上に寄与することが期待される。

## 2-2. アウトプット目標及び達成状況 特許出願、論文発表等 (A:国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発)

評価項目2

年度	論文数	発表	国内特許出願 又はダイレクトPCT	左記のうち、PCT又は 外国出願済みの件数
2021年度	26件 (うち査読21件)	75件	5件 (うち権利化4件)	5件
2022年度	52件 (うち査読22件)	153件	2件 (うち権利化0件)	0件
2023年度	57件 (うち査読41件)	185件	4件 (うち権利化0件)	2件
2024年度	46件 (うち査読38件)	170件	5件 (うち権利化0件)	1件
2025年度	27件 (うち査読22件)	183件	4件 (うち権利化0件)	2件

開発した国産抗体生産細胞について、特許出願に伴い微生物寄託を要する場合、第三者が研究目的で分譲を受けることが可能となり、外部への流出リスクを回避できないことから、そのような特許出願は避けている。

44

## 2-2. アウトプット目標及び達成状況 特許出願、論文発表等 (B:RNA標的創薬技術開発)

評価項目2

年度	論文数	発表	国内特許出願 又はダイレクトPCT	左記のうち、PCT又は 外国出願済みの件数
2021年度	49件 (うち査読28件)	130件	2件 (うち権利化1件)	1件
2022年度	60件 (うち査読46件)	202件	4件 (うち権利化1件)	4件
2023年度	82件 (うち査読46件)	198件	4件 (うち権利化0件)	1件
2024年度	71件 (うち査読44件)	239件	6件 (うち権利化0件)	3件
2025年度	60件 (うち査読52件)	212件	12件 (うち権利化1件)	5件

45

## 2-2. アウトプット目標及び達成状況 特許出願、論文発表等 (C:腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発)

評価項目2

年度	論文数	発表	国内特許出願 又はダイレクトPCT	左記のうち、PCT又は 外国出願済みの件数
2021年度	44件 (うち査読37件)	40件	3件 (うち権利化1件)	1件
2022年度	119件 (うち査読103件)	234件	5件 (うち権利化1件)	2件
2023年度	127件 (うち査読95件)	206件	8件 (うち権利化0件)	4件
2024年度	115件 (うち査読81件)	249件	4件 (うち権利化1件)	2件
2025年度	120件 (うち査読110件)	251件	5件 (うち権利化0件)	1件

46

## 2-2. アウトプット目標及び達成状況 特許出願、論文発表等 (D:次世代送達技術開発)

評価項目2

年度	論文数	発表	国内特許出願 又はダイレクトPCT	左記のうち、PCT又は 外国出願済みの件数
2024年度	0件 (うち査読0件)	0件	0件 (うち権利化0件)	0件
2025年度	8件 (うち査読8件)	41件	2件 (うち権利化0件)	0件

47

## 評価項目3. マネジメント

48

評価項目3

### 前回評価時との変更点

#### 【進捗管理】

- 研究開発課題の評価及び業務運営に関して見識を有する専門家であるプログラムスーパーバイザー（PS）及びプログラムオフィサー（PO）として、産業界のニーズを踏まえた指導・助言を行えるように、製薬会社やバイオコンサル、スタートアップ経験を有する有識者を新たにPOとして選定した。

#### <PS・PO>

【前回評価時】 PS：今井浩三（北海道大学）

PO：久保庭均（バイオインダストリー協会）、東條有伸（東京医科歯科大学）

#### 【今回】

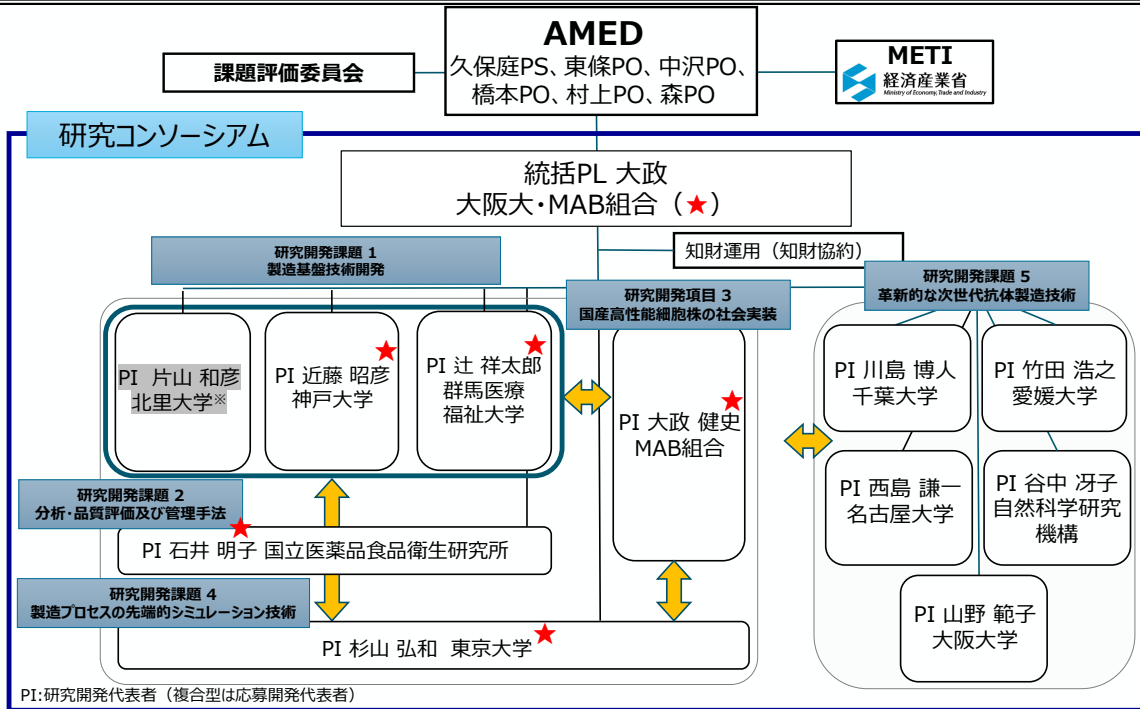
PS：久保庭均（Renzoku Biologics株式会社 代表取締役CEO）

PO：東條有伸（東京科学大学 副学長）、中沢洋三（信州大学 教授）、橋本千香（ガラス合同会社 代表社員）、村上雅人（ペプチドリーム株式会社 チーフメディカルオフィサー）、森しのぶ（Forest & Co.）

49

### 3-1-1. 実施体制 (A: 国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発)

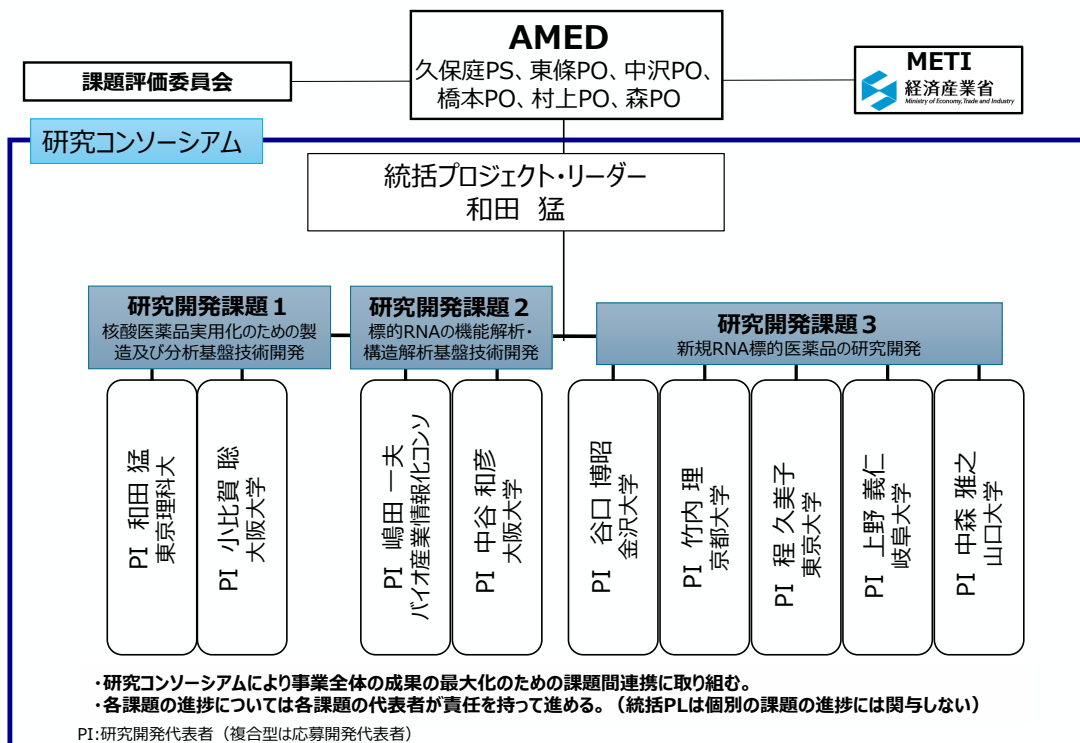
評価項目3



★: 次世代バイオ医薬品製造技術研究組合 (Manufacturing Technology Association of Biologics)  
 ※: ステージゲートで中止

### 3-1-1. 実施体制 (B: RNA標的創薬技術開発)

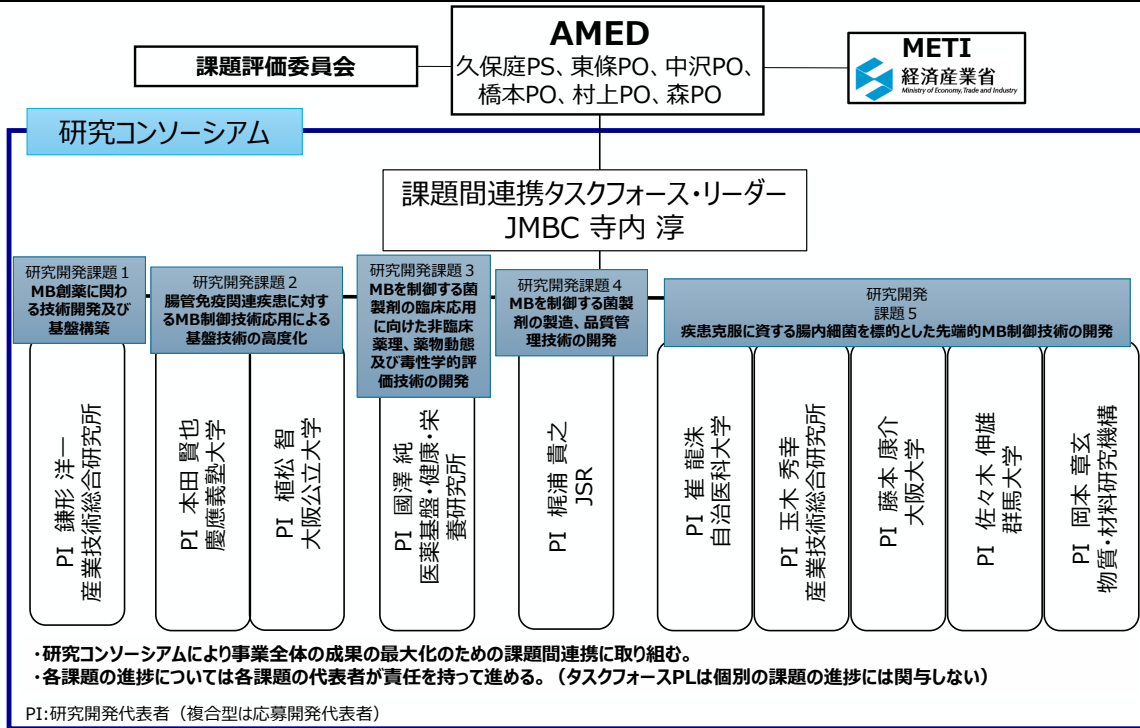
評価項目3



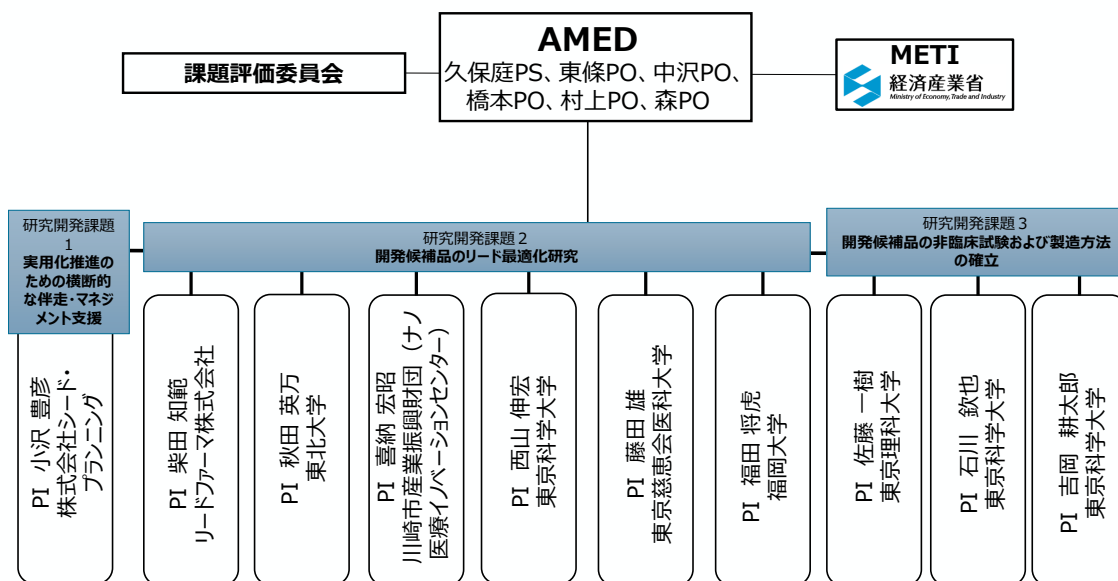
・研究コンソーシアムにより事業全体の成果の最大化のための課題間連携に取り組む。  
 ・各課題の進捗については各課題の代表者が責任を持って進める。(統括PLは個別の課題の進捗には関与しない)

PI: 研究開発代表者 (複合型は応募開発代表者)

### 3-1-1. 実施体制 (C: 腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発)



### 3-1-1. 実施体制 (D: 次世代送達技術開発)



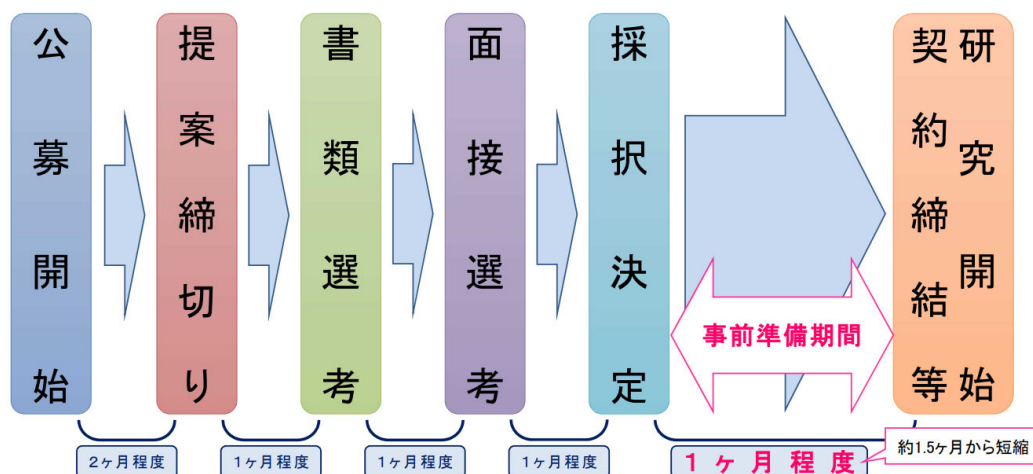
PI:研究開発代表者

本領域については、現在公募中であり、実施体制はまだ決まっていない。  
 研究開発開始時期は10月を予定しており、実施体制も10月に決定予定。

3-1-2. 個別事業の採択プロセス

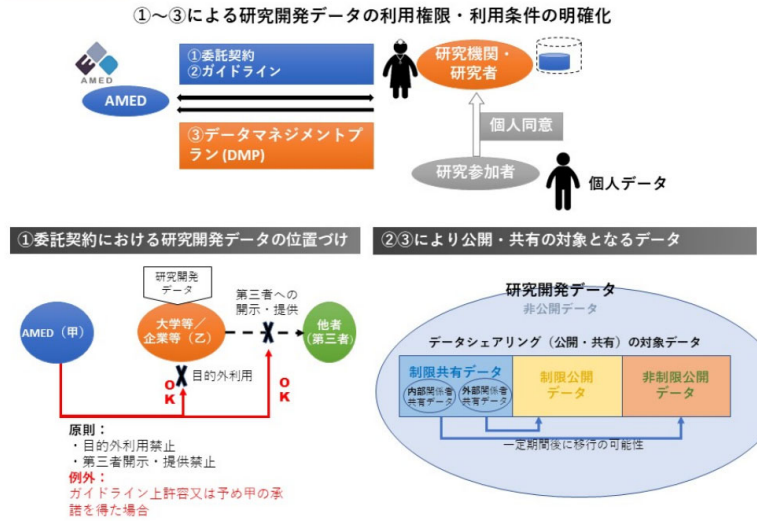
- 公募はAMEDのHP上での周知の他、研究開発事業に関連のある事業者等には直接コンタクトをとり周知をしている。
- 交付条件については、研究成果の最大化に資する補助率・対象経費等を確認している。
- 採択プロセスは以下のとおり。AMEDでは、最先端の科学、その社会的意義を熟知している方を評価委員として選定し、評価委員に対して利益相反マネジメントを実施することで、評価の公正性及び透明性を担保している。

AMEDにおける公募から研究開始までの標準的なスケジュール

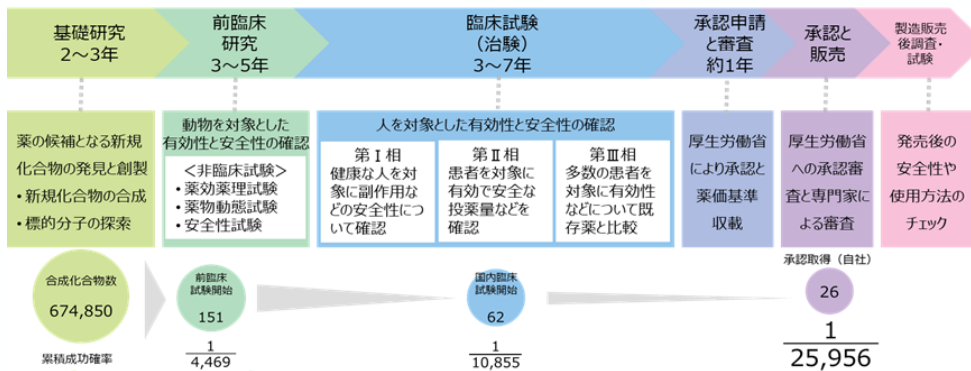


- AMEDでは、①委託契約、②利活用に係るガイドライン、③データマネジメントプランによる研究開発データの利用権限・利用条件の明確化をしている。
- 研究開発データの公開・共有の方法に関して、研究機関は、AMED との間で締結する委託研究開発契約等に基づき、個別の状況又はデータの性質等に応じて、研究開発データごとに、「AMED 研究データ利活用に係るガイドライン」に定める①非制限公開、②制限公開、③制限共有、④非公開のいずれかの方法を選択し、AMED の承認を得た上で当該方法に従って公開・共有が行われる。

全体の整理

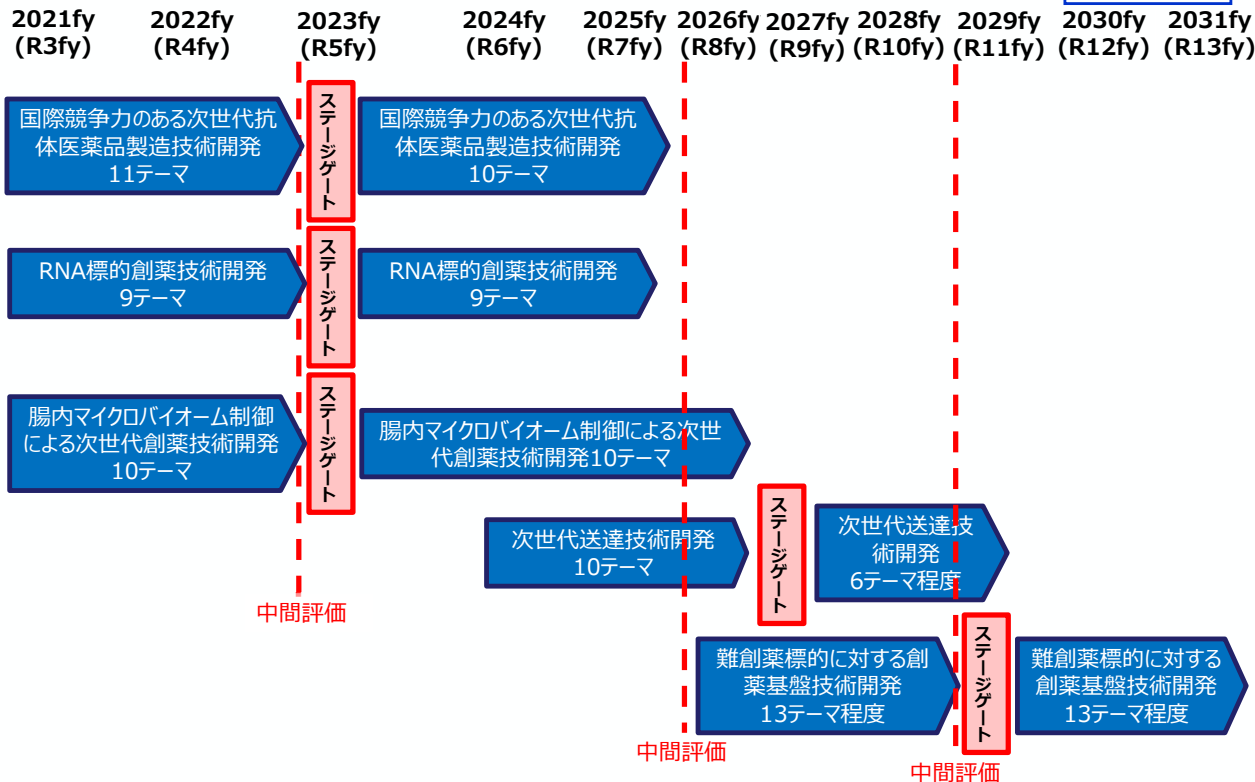


- 医薬品開発の技術分野において、基礎研究から薬事承認されて販売されるまでに多くのステップが必要であり、9～17年の期間を要するとされている。このように医薬品業界は「研究開発事業の開始から事業化まで10年以上かかるもの」に該当する。
- 本研究では、個社単独にのみ利用できる技術ではなく、製薬業界に広く活用できる基盤技術を開発するものであるため、この研究開発成果の事業性を算出することは困難であり、「事業性を予測できない」ものに該当する。
- したがって、本研究は「事業化のために長期間の研究開発が必要かつ事業性が予測できない」事業に該当しているため、委託事業とすることが適当である。



### 3-3-1. 研究開発計画 進捗状況(スケジュール表)

評価項目3



### 3-3-1. 研究開発計画 進捗状況

評価項目3

目標達成件数	37	
目標未達	遅延のない件数	0
	遅延のある件数	2
合計採択件数	39	

事業領域	採択件数	目標達成件数	目標未達遅延なし	目標未達成あり	進捗概要
A:国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発	11	10	0	0	1件はステージゲートで中止したため、当該課題を除いた10課題について記載。計画どおりに研究開発を進め、 <b>全課題が目標を達成</b> した。早期に非臨床試験を実施している課題もあるほか、他の課題においても、非臨床試験に向けて準備を進めている。
B:RNA標的創薬技術開発	9	8	0	1	<b>技術的な課題（マウスモデルの作成）への対応に時間を要して遅延した研究開発項目が一部あったものの、全体としては概ね順調に進行</b> した。事業内連携により、早期に目標を上回る件数の非臨床試験を実施した。
C:腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発	10	10	0	0	<b>研究開発は順調に進行</b> しており、早期に想定を上回る件数で非臨床試験を実施している。
D:次世代送達技術開発	10	9	0	1	<b>技術的な課題（薬物動態試験）への対応に時間を要して遅延した研究開発項目が一部あるものの、全体としては概ね順調に進行</b> している。

進捗管理の体制

	役割
AMED	<ul style="list-style-type: none"> <li>○契約管理、研究計画の確認、年度初めの予算配分案の作成を行う。予算増減の必要な項目があれば対応を検討し、経済産業省に提案する。</li> <li>○週1回程度の進捗会議（PSPO会議、個別課題担当者を招集して進捗報告等）の主催と、各課題担当者との直接のやりとりを通じて、課題毎の進捗状況の管理を行う。</li> <li>○事業の成果について事業外に発信する場（成果報告会等）の企画・開催を行う。</li> </ul>
PSPO	<ul style="list-style-type: none"> <li>○研究開発課題の評価及び業務運営に関して見識を有する専門家を配置。</li> <li>○連携分野全体の課題を把握し、担当する連携分野の運営や分野間の協力の推進等の高度な専門的調整を行う。</li> <li>○研究機関や企業とのネットワークを生かし、事業成果の導出先の創出に協力する。</li> <li>○PS：久保庭 均（Renzoku Biologics株式会社 代表取締役CEO）、PO：東條 有伸（東京科学大学 副学長）、中沢 洋三（信州大学 教授）、橋本 千香（ガラス合同会社 代表社員）、村上 雅人（ヘブチドリーム株式会社 チーフメディカルオフィサー）、森しのぶ（Forest &amp; Co.）</li> </ul>

進捗管理スケジュール案

2026fy	2027fy	2028fy	2029fy	2030fy	2031fy	2032fy	2033fy
3月 公募開始（難創薬標的に対する医薬品） 3 5月 経済産業省中間評価 6 7月 採択審査 9 10月 キックオフ 週一回程度の進捗会議	1月 AMED中間評価（次世代送達技術） 3月 AMED終了時評価（腸内マイクロバイオーム） 週一回程度の進捗会議	週一回程度の進捗会議	3 5月 経済産業省中間評価 1月 AMED中間評価（難創薬標的に対する医薬品） 3月 AMED終了時評価（次世代送達技術）	週一回程度の進捗会議	3月 AMED終了時評価（難創薬標的に対する医薬品）	10 12月 経済産業省終了時評価	

3-3-3. 継続・中止を判断する要件・ステージゲート方式

3-3-4. 参加者のモチベーションを高める仕組み

- 事業開始3年目又は4年目にAMEDで行う中間評価をステージゲートとして進捗状況等を確認し、成果が著しいものについては増額を検討する。参加者にとっては成果に応じて後半年度の事業規模を拡大できることとなり、モチベーションを高める仕組みとなる。一方で、達成状況が著しく遅れている事業については、研究内容の見直し、あるいは中止も含めて厳正に判断することとしている。

<参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(A : 国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋)                      これまで、米国発のデファクトスタンダード技術に依存し、高価な使用料を払ってきた。これを超える一つには完全に拘束を逃れることはできないまでも、自前の高性能ホスト細胞株を開発することがあることは理解する。但し、医薬品の上市には十数年がかかることを考えると、低分子抗体や抗体工学のように、これから開発が活発化する分野での知財構築に力を入れておかないと、同じ轍を踏むのではないかと懸念する。</p> <p>今後は、AMED 側でサポートする知財専門家に加えて、製薬企業出身又は現役の知財専門家が各プロジェクトにアサインされる体制づくりがあると尚良い。その際、シーズ毎に臨床家が策定するTarget Product Profile に基づいた、製薬会社目線の価値ある知財ポートフォリオ及び出願計画を策定し、出口戦略を意識したオープン・クローズ戦略の実行を意識したい。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】                      ご指摘のような懸念を前提として、現行のプロジェクトにおいては国産高性能ホスト細胞株を活用した医薬品の上市を目指しているだけでなく、新たな低分子抗体技術やプロセスシミュレーションのような抗体工学も含めて研究開発を進めているところであり、今後一層の戦略的な知財構築を目指す。</p> <p>【現在の対処状況】                      新たな低分子抗体技術やプロセスシミュレーションのような抗体工学についても、知財戦略に配慮しながら研究開発を実施した。また、抗体医薬に留まらず、この事業領域から創出された基盤技術が他のバイオ関連の新規モデルにも応用できる可能性を産業界等との議論を通じて模索中である。</p> <p>【前回評価時の対処方針】                      プロジェクトの採択段階で、参加機関で締結した知財合意を事業途中で変更するためには、マネジメント面での工夫が必要であるものの、研究開発実施者にもモチベーションが生まれるような形での知財戦略の支援体制を検討することとした。</p> <p>【現在の対処状況】                      事業途中で各プロジェクトに対して知財専門家のアサインを義務化することは困難であることから、可能な対処法として、<b>製薬会社やバイオコンサル、スタートアップ経験を有する有識者を新たにPOとして選定し、知財戦略に対しても、出口戦略を強く意識した、産業界のニーズを踏まえた指導・助言を行った。(49,60頁参照)</b></p>

<参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(A : 国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋)                      米国におけるINDは医薬品の製造法を確認するための試金石となっている。将来、国内の抗体シーズを神戸で製造して米国でINDするようなプログラムが実現させるような支援をぜひ行ってほしい。</p> <p>現在国内で抗体を商業ベースで製造できるのは製薬企業以外には少ない状況であり、国内の拠点5か所をうまく実現してほしい。</p> <p>高性能ホスト細胞やシミュレーション技術等も抗体製造におけるコア技術であることから、オープン戦略と言えど国内企業に利する形での提供が望まれる。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】                      最終的な抗体医薬品の事業化は製薬企業の責務であるが、FDAへのIND申請等によるホスト細胞等の開発技術に関する承認実績を獲得するための支援は出来る限り実施するよう努力したい。</p> <p>【現在の対処状況】                      本事業終了後も、抗体の製造プロセス開発等に関する新規事業を立ち上げて、引き続き支援を行う予定。</p> <p>【前回評価時の対処方針】                      国産ホスト細胞等の開発技術を活用して、国内の製薬企業やCMO等において製造できる拠点の整備については、本プロジェクト以外にデュアルユース補助事業等も活用して実現を目指したい。</p> <p>【現在の対処状況】  <b>デュアルユース補助事業により、富士フィルム（富山）やAGC（神奈川）が平時に抗体医薬品を商用生産可能な拠点を整備しており、いずれも2027年に稼働開始予定。</b></p> <p>【前回評価時の対処方針】                      高性能ホスト細胞は、MAB組合の成果普及事業として国内の製薬企業、CDMO等への提供を進めているところであり、プロセス開発を合理化するシミュレーション技術についても、開発成果の国内企業による活用を積極的に推進するよう取り組みたい。</p> <p>【現在の対処状況】  <b>高性能ホスト細胞は製薬企業の開発パイプラインで活用中。プロセス開発を効率化するシミュレーション技術については関係者が企業を立ち上げている。</b></p>

<参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(A : 国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(目標及び達成状況)</p> <p>産業基盤を確固たるものにするための、特許の出願が現状では2件であり、今後、事業化に必要な特許戦略をマネジメント部門と共同で立案・実行していることが肝要と思われる。</p> <p>世界における抗体医薬品は激しい開発競争の中にある。この状況で知的財産の確保は非常に厳しいことは理解するものの、将来、成長すると思われる低分子抗体や抗体工学の分野では、特許性のある技術が今後出てくることが予想できる。そこで、本事業参加者を中心として、将来の抗体医薬品の流れをブレイン・ストーミングする場を設置、新規技術のアイデア創出に努め、手分けして実施例を作ることにより世界に先駆けて知財化する「共創と競争」の集団として育てることが国家戦略なのではないか。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>高性能な生産細胞を中心とした製造技術は、アメリカと同様に使用契約書とノウハウによって権利を保護する戦略であるものの、今後革新的な次世代抗体医薬品のシーズが開発成果から期待されることから、事業化を目指した特許戦略をMAB組合の知財担当やマネジメント部門等と連携して推進していきたい。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p><b>20件の特許(国内特許又はダイレクトPCT)を出願済み。</b>また、高性能ホスト細胞の普及を進めていることもあり、他者に類似特許を取得されることを防ぐため、事業化を目指した知財戦略をMAB組合の知財担当やマネジメント部門等と連携して、特許出願も含め検討中である。</p> <p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>採択機関としての MAB組合をエコシステムの場として、産学官の関係者が頻繁に情報共有する機会を設けており、賛助会員としての製薬企業等も参加することにより、ユーザーニーズの確認と共有、開発方針の改善等を進めているところである。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p>MAB組合をエコシステムの場として、ユーザーニーズの確認と共有、開発方針の改善等を進めながら、研究開発を実施した。</p>

<参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(A : 国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(目標及び達成状況)</p> <p>各種技術として、下流工程における精製技術が低分子抗体やラム抗体などに対応可能かどうかは確認する必要がある。</p> <p>長期目標も残り2年で達成する必要があることから、最後まで慎重に進めて欲しい。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>すでに参加機関において合成したVHH等に最適な精製技術の評価に着手しているところであり、新しいタイプの抗体に最適なプロセス開発を継続する予定である。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p>低分子抗体はプロテインAに結合しないので、通常の前製技術をそのまま適用することはできないが、別途、低分子抗体を対象とした精製系の構築も実施した。</p> <p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>アウトプットの長期目標を達成するために、着実な研究開発の推進を目指したい。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p>着実に研究開発を推進し、アウトプットの長期目標を達成した。</p>

<参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(A : 国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(マネジメント)</p> <p>残すこと2年であることから、事業内連携を密にし、研究開発から製造に至るまでの抗体創薬システムとして組み上げる努力を続けてほしい。</p> <p>研究開発計画の策定、管理については、製薬会社・CRO等からの現役トップ・マネジメント層からの直接的な助言や評価を期待したい。</p> <p>次世代抗体の品質に対する課題設定はうまく行われている。今後、世界展開を考える上で規制に関するギャップをどこかで確認する必要があると思う。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>採択機関としてのMAB組合を事業内連携の場として活用し、大政統括PLの指揮のもとで研究開発から製造に至るまでの抗体創薬プラットフォームの構築を目指す。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p>MAB組合を事業内連携の場として活用し、大政統括PLの指揮のもとで課題間の協力・連携等を積極的に推進した。</p> <p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>参画している製薬企業、CMO等の一部には該当する方々も関与しているが、今後はより一層現役トップ層からの助言等を求める運用に配慮していきたい。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p><b>POとして、製薬会社やバイオコンサルのトップ・マネジメント層を新たに選定し、研究開発の進行管理等を行っている。(49,60頁参照)</b></p> <p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>国際的な規制の取決めであるICHの見直し等には、プロジェクトの関係者によって着実に対応する作業を進めており、規制関係部門等のリーダーシップによる海外規制との調和も視野に入れた検討作業も進展していることから、世界展開を視野に入れた作業を着実に推進していきたい。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p><b>次世代抗体医薬品の物性・品質評価及び管理手法に関する技術的要件をまとめた資料を作成した。</b></p>

<参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(A : 国際競争力のある次世代抗体医薬品製造技術開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(マネジメント)</p> <p>国産ホスト細胞の社会実装を進める上でもプロセス開発などへの支援はもう少し厚くてもいいように思う。</p> <p>今後、企業主体の実用化に移行するが、規制面や資金面での対応も含めて、うまく移行するような仕組みが必要と思う。</p> <p>各研究代表者が事業の目的を共有し、協力・連携を図る機会を積極的に設けていただけると、より実り多い事業になると思います。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>本プロジェクトにおいて国産ホスト細胞を使用したCMOにおけるプロセス開発の作業を推進すると共に、国際展開を想定した規制対応の解析評価作業を進めているところであり、さらに経産省の他の支援事業の活用によって社会実装が確実に進むように努めたい。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p>本事業終了後も、抗体の製造プロセス開発を支援する事業を立ち上げる予定である。</p> <p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>国衛研のリーダーシップによって、開発される次世代抗体の安全性評価等の研究を行うと共に、ホワイトペーパーの作成や専門人材の育成を進めることとしており、併せて本プロジェクト以外にも、ベンチャー支援補助事業やデュアルユース事業等の支援を実施していることから、引き続き企業主体の実用化が円滑に進むように努めたい。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p><b>国衛研を中心に、次世代抗体の安全性評価等の研究を行うと共に、ホワイトペーパーの作成や専門人材の育成を推進した。</b></p> <p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>大政統括PLの指導のもとで、全体会合等の場を活用して事業目的の共有と共に、課題間の協力・連携等を積極的に推進しているところである。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p>大政統括PLの指導のもとで、全体会合等の場を活用して事業目的の共有と共に、課題間の協力・連携等を積極的に推進した。</p>

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況（B：RNA標的創薬技術開発）

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>（意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋） 「薬剤送達技術の開発による対象疾患の拡大等によって更なる市場拡大が期待される」との記載もあり、この分野の革新的な技術開発が成長戦略のカギとなることは間違いのないことから、この分野の更なる強化が必要と考えられる。</p> <p>アカデミア/創薬ベンチャー/製薬企業/CRO等を結集した一気通貫の開発体制を目指している点は評価できる。但し、本当にオール・ジャパン体制を構築するためには、開発品や情報などの成果が十分に橋渡しされる体制となっているかが重要となる。研究成果が事業参加者内だけで死蔵されることがないように、オープン化できる情報は非参加企業であっても定期的に受け取り社内に関連部署に伝達してくれる情報受け取り窓口の設定等を各企業に要望し、核酸関連の製薬企業の底上げを目指すことも国家プロジェクトとしてあっても良いのではないかと考える。これらの窓口ができれば、各企業のニーズや意見を集約する仕組みとしても働き、まさに、産官学連携の核酸創薬エンジンとして機能するのではないかと考える。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 本分野の一層の競争力強化のために、令和6年度に「次世代送達技術開発事業」を新規要求することを予定している。 【現在の対処状況】 令和6年度から「<b>次世代送達技術開発事業</b>」を新たに開始している。</p> <p>【前回評価時の対処方針】 採択された各グループには、提案の際の条件として製薬企業等の参加が前提となっており、新たな核酸モダリティ開発グループでは当該技術に関心を持つ製薬企業等が、構造解析のグループでは製薬企業の構造解析等の担当部門が、またmRNA標的制御やデータベース開発グループには製薬協の企業コンソーシアム（研究分担者として登録された大手製薬企業の幹部が会議に出席）が参加していることから、必要な製薬企業内の該当部門との連携体制が出来ているものと考えられるが、今後一層企業内での情報の周知に配慮した運用に努め、核酸関連の製薬企業の底上げを目指す。 【現在の対処状況】 必要な製薬企業内の該当部門との連携体制をとったうえで、研究開発を実施した。</p>

68

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況（B：RNA標的創薬技術開発）

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>（意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋） 核酸医薬の研究開発分野では、世界的に熾烈な競争が繰り広げられており、技術開発も日進月歩の状況にある。このような中で、適切な知的財産・標準化戦略を進めていくためには、最低でも1年に1度は、本分野での世界の研究開発動向を調査し、事業参加者に周知させることが必要ではないかと考える。</p> <p>今後は、AMED側でサポートする知財専門家に加えて、製薬企業出身又は現役の知財専門家が各プロジェクトにアサインされる体制づくりがあると尚良い。その際、シーズ毎に臨床家が策定するTargetProductProfileに基づいた、製薬会社目線の価値ある知財ポートフォリオ及び出願計画を策定し、出口戦略を意識したオープン・クローズ戦略の実行を意識したい。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 これまでも公益法人JBAの知財専門家の協力を得て知財調査等を行っているが、今後は戦略的な知財の確保のために、AMEDの研究開発管理費等を活用して国際的な研究開発動向の調査を行い、事業参加者への周知に努めたいと考えている。 【現在の対処状況】 公益法人JBAの知財専門家の協力を得て知財調査等を行った。また、令和6年度から開始した「次世代送達技術開発事業」においては、調査も含め知財戦略の策定等を伴走支援する支援班を設けている。</p> <p>【前回評価時の対処方針】 プロジェクトの採択段階で、参加機関で締結した知財合意を事業途中で変更するためには、マネジメント面での工夫が必要であるものの、研究開発実施者にもモチベーションが生まれるような形の知財戦略の支援体制を検討することとしたい。 【現在の対処状況】 事業途中で各プロジェクトに対して知財専門家のアサインを義務化することは困難であることから、可能な対処法として、<b>製薬会社やバイオコンサル、スタートアップ経験を有する有識者を新たにPOとして選定し、知財戦略に対しても、出口戦略を強く意識した産業界のニーズを踏まえた指導・助言</b>を行った。（49,60頁参照）</p>

69

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況（B：RNA標的創薬技術開発）

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>（意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋） 核酸医薬はバイオロジーと核酸医薬モダリティの組み合わせが必要であり、核酸モダリティ研究は合成化学者が主導する場合が多い。チーム内にバイオロジーや疾患研究者が入ることが望ましい。</p> <p>残り2年間のプログラムであるが、2030年の臨床試験を考えると早期の治療ターゲットの設定が望まれる。そのため、橋渡しのプログラムが必要と考える。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 ご指摘のとおり核酸モダリティ研究は我が国の強みでもある合成化学者が主導する場合が多いが、本プロジェクトにおいては市場化のために不可欠なレギュラトリー系の専門家なども参加しており、今後は補足的にバイオロジーや疾患研究者の協力についても検討することとしたい。</p> <p>【現在の対処状況】 一部のテーマでは、<b>アカデミア医薬品シーズ開発推進会議（AMED-FLuX）を活用し、実用化への道筋を明確化するため、バイオ医薬や各種疾患の臨床専門家を含むアドバイザーと意見交換を行ったうえで、研究開発を進めた。</b></p> <p>【前回評価時の対処方針】 すでに参加している製薬協のコンソーシアム企業によって、競争領域である治療ターゲットに関する検討が進められることから、円滑な橋渡しが進むように支援したい。</p> <p>【現在の対処状況】 研究開発課題3には、本事業終了後にベンチャー企業にて開発を進める予定のテーマもあり、<b>製薬企業への橋渡しとしては、創薬ベンチャーエコシステム強化事業等の活用</b>が想定される。</p>

70

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況（B：RNA標的創薬技術開発）

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>（意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋） 核酸医薬の開発研究はベンチャー企業により進められているプログラムが多い。そのため、製薬協などの団体加盟企業に支援が集中すると、有効成分の開発研究に繋がらないことも考えられる。そこで、創薬ベンチャーのプログラムも採択されるように公募をして欲しい。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 研究開発課題③は創薬ベンチャーの参画も想定したプログラムであり、さらにAMEDで実施する個別技術課題の中間評価によってステージゲートが行われた際には、創薬ベンチャー等を想定した新規RNA標的医薬品に関する追加公募が行われる可能性もある。</p> <p>【現在の対処状況】 本事業のプレイヤーは主にアカデミア主体であるが、令和6年度開始の「次世代送達技術開発事業」ではベンチャー企業主体の課題も採択されている。</p>

71

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況（B：RNA標的創薬技術開発）

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>（目標及び達成状況） 2040年度に世界シェア15%という高い目標設定にしては、短期目標2027年度の前臨床試験数（アウトカム目標）1件は少ない印象がある。</p> <p>製造・分析技術/機能解析・構造解析等の基盤技術構築におけるアウトカム目標設定は困難ではあるものの、知財が発生した技術については、企業にどれだけライセンスできたか等も積算しておく必要があるのではないか。開発した技術の有用性の判断も可能となる。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 RNA標的創薬の各種モダリティについては、国衛研、PMDAが参加して不純物の安全性評価等における課題解決を目指している現状であるため、短期目標としては慎重な設定をしているものの、評価技術等の課題解決を契機に急速にパイプラインが増加することが期待されることから、合成技術に強みのある我が国として2040年には世界シェアの15%という高い目標設定をしている。</p> <p>【現在の対処状況】 令和6年度から開始した「次世代送達技術開発事業」においては、2029年までに非臨床試験の完了件数5件を目標としており、当該事業も、核酸医薬品市場におけるシェア拡大に寄与する。</p> <p>【前回評価時の対処方針】 知財権の戦略的な確保と共に、企業への導出実績に関しても把握することで、開発技術の有用性を一層高めるような運用に配慮する。</p> <p>【現在の対処状況】 製造技術は秘匿化することも多く、また、機能解析・構造解析等の基盤技術については論文等でオープン化することが多いが、知財を取得したものがあれば、企業導出件数についても事業終了後のフォローアップで調査することとしたい。</p>

72

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況（B：RNA標的創薬技術開発）

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>（目標及び達成状況） 事業が中間地点を過ぎたことから、残り2年で特許出願できる技術は確実に知財化してほしい。現状、国内特許4件のみであるので、AMEDの知財部、各大学のTLOも巻き込んで知財化に向けた支援体制をしっかり構築する必要があるのではないか。</p> <p>オープン・クローズド戦略で異なる有効成分と組み合わせで、多くの開発品が生まれることを期待している。この点からはより多くの研究が行われることを期待する。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 事業後半での開発成果の確実な知財化に向けて、関係機関で連携して支援体制を構築することを検討する。</p> <p>【現在の対処状況】 <b>28件の特許(国内特許又はダイレクトPCT)を出願済み。</b>知財としての可能性のあるシーズや技術については、AMED実用化推進部への相談を行うなど、特許出願やノウハウ秘匿等の検討を進めた。</p> <p>【前回評価時の対処方針】 中間評価以降は、研究開発課題間での連携も含めて、多くの開発品が生まれることを目指しており、引き続き多くの研究開発が成果につながるように推進する。</p> <p>【現在の対処状況】 研究開発課題3の一部テーマは、核酸医薬品の実用化のための基盤技術開発を担う課題1や課題2との課題間連携を行い、連携先の課題に参加している製薬企業等の協力も得ながら、研究開発を実施した。また、課題1では、<b>事業内のみならず、他事業のシーズとも連携し、アカデミアシーズの開発加速に貢献した。</b></p>

73

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況（B：RNA標的創薬技術開発）

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>（マネジメント） 技術の産業化によって、よりスムーズに医薬品（製品）に結び付けるためには、規制当局（国衛研やPMDA）との情報交換が重要であり、このような情報交換の体制を構築する必要がある。</p> <p>これまでは各要素技術の確立に向けて進んできたが、中間地点を超えた今後は、各要素技術を適切に組み合わせ、継続的な核酸医薬創出のための創薬エンジンに仕上げる必要がある。そのためには、全体を俯瞰できる人材にも参加を求め、各要素を創薬システムとして組み上げ固定化する作業を行わないと事業期間終了と共に胡散霧消してしまうことにもなりかねないので注意が必要。国としては本事業参加者をコアとして、全国の関連研究者、企業を結集して日本版核酸創薬エンジンの構築を試みても良いのではないかと。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 すでに大阪大学小比賀グループにおいて、国衛研のリーダーシップによって品質評価・解析拠点を整備しており、PMDAの協力も得て安全性等の評価を実施する体制を構築していることから、評価技術の確立と共に円滑な医薬品の市場化が進むものと期待している。</p> <p>【現在の対処状況】 <b>国衛研を中心に、PMDAの協力も得ながら安全性等の評価に関する技術的ガイダンスを作成した。</b></p> <p>【前回評価時の対処方針】 現在参画している各採択課題は、我が国の本分野での中核的な産学官の結集グループであり、事業後半においては将来に向け、ご指摘の点を踏まえた核酸創薬エンジンを構築することを想定して、新規要求中の次世代送達技術開発プロジェクト等も含めた継続的な推進体制を検討していただくよう問題提起する予定である。</p> <p>【現在の対処状況】 統括プロジェクトリーダーの指導のもと、課題間の協力・連携等を行った結果、事業終了後、<b>ベンチャーで開発を継続して製薬会社への導出を目指したり、成果物であるシミュレーションモデル・データベースを公開して、製薬企業等の創薬に活用してもらうこと</b>となっている。</p>

74

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況（B：RNA標的創薬技術開発）

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>（マネジメント） 研究開発計画の策定、管理については、製薬会社・CRO等からの現役トップ・マネジメント層からの直接的な助言や評価を期待したい。</p> <p>早期にアカデミアから企業への基盤技術の供与が重要であり、コンソーシアムの技術のオープン化の道筋をもう少し明確化した方が良い。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 現状においても、製薬協の企業コンソーシアムメンバーの一部に該当する方も関与しているが、今後はより一層現役トップ層からの助言等を求める運用に配慮していきたい。</p> <p>【現在の対処状況】 POとして、<b>製薬会社やバイオコンサルのトップ・マネジメント層を新たに選定し、研究開発の進行管理等</b>を行っている。<b>（49,60頁参照）</b></p> <p>【前回評価時の対処方針】 統括プロジェクトリーダーの指揮のもと、既に全体会議での技術情報の共有を踏まえて複数の課題間連携も進んでおり、今後は中間評価を経て、一層の開発基盤技術の産業界への供与を推進することしたい。</p> <p>【現在の対処状況】 基盤技術に関する一部のテーマにおいては、<b>成果物であるシミュレーションモデル・データベースを公開し、企業等の創薬に活用してもらう予定</b>である。また、基盤技術の評価は、それを活用した具体的シーズの開発への貢献をもって評価する以外には困難であり、この点を研究者に理解してもらうように課題管理マネジメントを推進した。</p>

75

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況 (B : RNA標的創薬技術開発)

前回評価時 (令和5年度) の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(マネジメント)</p> <p>オープン戦略における受益者の範囲をコントロールして管理するための組織がないなどの問題点がある。本プログラムでは知財がアカデミアにあることが想定されるので、各アカデミアの産学連携部門が担当すると考えられる。しかしながら、産学連携部門では管理や公開に限界があるので、何らかの支援体制が必要と考える。</p> <p>研究課題3がアウトプットを確実にするために非常に重要であり、多くの企業情報が使えるような仕組みがあるといいが、競争領域ではあるがうまくアクセスして欲しい。</p> <p>各研究代表者が事業の目的を共有し、協力・連携を図る機会を積極的に設ける(支援する)ことが重要であると考えます。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>東京理科大学の集中研を支援する公益法人JBAにおいて、特許はINPITからの知財PDの支援を得ながら管理を行っており、中間評価を踏まえて現状の知財合意を前提とした全体管理等の可能性について検討したい。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p>中間評価を踏まえ、知財活用の目的が創薬シーズの加速であることを意識した課題マネジメントを進めた。また、令和6年度から開始した「次世代送達技術開発事業」においては、調査も含め知財戦略の策定等を伴走支援する支援班を設けている。</p> <p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>研究開発課題3には、すでに課題1や2との課題間連携が進んでいるテーマもあり、今後は一層の産学での緊密な連携を目指したい。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p>連携先の課題に参加している製薬企業等の協力も得ながら、研究開発を実施した。</p> <p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>統括プロジェクトリーダーの和田教授の指導のもとで、全体会合等の場を活用して事業目的の共有と共に、課題間の協力・連携等を積極的に推進しているところである。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p><b>課題間連携に加え、他事業のシーズとも連携し、アカデミアシーズの開発加速に貢献した。</b></p>

76

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(C : 腸内マイクロバイオーーム制御による次世代創薬技術の開発)

前回評価時 (令和5年度) の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(意義・アウトカム (社会実装) 達成までの道筋)</p> <p>本分野の実用化は多岐にわたるため、将来の発展を勘案した知財戦略が重要となる。個別の有望な菌株については種の特定を行った上で特許出願できるが、ノウハウとしてクローズ化する技術も含めたパテント・マップを作成して、漏れないようにしてほしい。</p> <p>今後は、AMED側でサポートする知財専門家に加えて、製薬企業出身又は現役の知財専門家が各プロジェクトにアサインされる体制づくりがあると尚良い。その際、シーズ毎に臨床家が策定するTarget Product Profileに基づいた、製薬会社目線の価値ある知財ポートフォリオ及び出願計画を策定し、出口戦略を意識したオープン・クローズ戦略の実行を意識したい。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>プロジェクト全体の戦略的マネジメントを担当している産学連携組織のJMBC (日本マイクロバイオーームコンソーシアム) において、特許戦略と共に、クローズ化することによる権利保護も含めた、ビジネスモデルを想定したパテント・マップを作成する方向で調整を進めていきたい。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p><b>製薬会社やバイオコンサル、スタートアップ経験を有する有識者を新たにPOとして選定し、知財戦略に対しても、出口戦略を強く意識した、産業界のニーズを踏まえた指導・助言を行っている。(49,60頁参照)</b></p> <p>【前回評価時の対処方針】</p> <p>プロジェクトの採択段階で、参加機関で締結した知財合意を事業途中で変更するためには、マネジメント面での工夫が必要であるものの、研究開発実施者にもモチベーションが生まれるような形の知財戦略の支援体制を検討することとしたい。</p> <p>【現在の対処状況】</p> <p>事業途中で各プロジェクトに対して知財専門家のアサインを義務化することは困難であることから、可能な対処法として、<b>製薬会社やバイオコンサル、スタートアップ経験を有する有識者を新たにPOとして選定し、知財戦略に対しても、出口戦略を強く意識した、産業界のニーズを踏まえた指導・助言を行った。(49,60頁参照)</b></p>

77

<参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(C : 腸内マイクロバイオーーム制御による次世代創薬技術の開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋)                      マイクロバイオーームに関連する医薬品に関しては規制もなく、その結果製品もない状態であり、規制の整備は最も重要な課題と考える。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】                      すでにPMDA科学委員会のマイクロバイオーーム専門部会の報告書が公開されており、規制整備に向けた大枠の考え方は公表されている。これらを指針としつつ事業実施機関に対して国衛研等が研究協力をを行う体制の整備を進めると共に、日本マイクロバイオーームコンソーシアム（JMBC）やCMOとの連携を密にすることによって、CTDモックアップの作成等の規制への対応を円滑に進めることを目指したい。</p> <p>【現在の対処状況】                      日本マイクロバイオーームコンソーシアム（JMBC）やCMOとの連携を密にすることによって、<b>CTDモックアップの作成等の規制への対応</b>を進めている。</p>

<参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(C : 腸内マイクロバイオーーム制御による次世代創薬技術の開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(目標及び達成状況)                      腸内細菌は大部分が嫌気性菌であることから、培養技術の改良によっては、アウトプット目標値を大幅に積み増すことが期待できる。将来的な腸内細菌ライブラリー構築に向けて、システマチックな探索、分離、培養の仕組みを確立してほしい。</p> <p>マイクロバイオーーム医薬品の開発パイプラインは、アメリカ、フランス、スペイン等と続いているが、プロバイオティクス分野で先行していると言われるにもかかわらず0である。これは、技術があるにもかかわらず、医薬品が出来ていない理由を深掘する必要がある。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】                      すでに参加機関である産総研において腸内細菌ライブラリーを構築していることから、今後は探索から製剤技術までをシステマチックにプラットフォーム化出来るように、参加メンバーでの連携の強化に努めていきたい。</p> <p>【現在の対処状況】                      参加機関である産総研において腸内細菌ライブラリーをすでに構築済みである。また、特定の有用菌をモデルとして用い、課題1(シーズ菌開発)、課題3(ADMET)、課題4(菌製造CMC)で連携して、マイクロバイオーーム創薬エコシステムの構築を目指している。</p> <p>【前回評価時の対処方針】                      海外のマイクロバイオーーム医薬品の開発パイプラインの多くはFMT（糞便移植）であるが、我が国がプロバイオティクス分野で先行している製品は健康食品の延長としての経口摂取であることから、投与方法の違いや、各種のリスクに対応した規制の整備の観点から医薬品としてのパイプラインの立ち上げが遅れたものと考えられる。一方で、嫌気性細菌の培養・製剤技術等において国際的にも先行している我が国で、初めての本格的なマイクロバイオーーム創薬の推進事業であり、当初設定目標を遙かに上回るアウトプットが達成されていることから、今後の本分野の発展が期待出来ると考えている。</p> <p>【現在の対処状況】                      同上。</p>

<参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(C : 腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(目標及び達成状況) 有用菌の増殖促進物質に関して、in-vitroのみならずin-vivoで効果的なモタリティの選択なども重要である。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 我が国はプレバイオティクスにおいても優れた製品が多数市場化されているものの、それらの客観的な評価は不足しているとの指摘もあることから、本プロジェクトではin vivoでの定量的な効果の測定と並行して、低コストでハイスループットに半定量的な評価を行う技術も開発しているところである。in vitroとin vivoの両方の技術を活用することで、当初の目標を大きく上回る達成状況となっており、今後も戦略的に推進することとしたい。 【現在の対処状況】 同上。</p>
<p>その達成基準の定義について、充実度や質を評価出来る指標の設定、または具体的な事例を挙げることは可能であるか？</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 本分野は、培養技術自体が発展途上であり、また菌種についても概念の定義等が未解明であることから、現状ではこれ以上の具体的な指標や事例をアウトプット目標として設定することは困難な状況である。 【現在の対処状況】 同上。</p>

<参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(C : 腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(マネジメント) マイクロバイームの分野は、今後、研究が進み、腸内細菌—生体の相互作用による各種機能性が続々明らかになってくると思われる。これらの進歩にもフレキシブルに対応できる研究開発計画、および、研究者の集団へと育てほしい。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 上流のアカデミアから製剤技術等の薬事対応まで、一貫通貫のエコシステムが構築されたプロジェクトであり、全体を産業界の専門家集団であるJMBCがマネジメントしていることから、今後の新たな技術進歩にもフレキシブルに対応することが期待されている。 【現在の対処状況】 同上。</p>
<p>研究開発計画の策定、管理については、製薬会社・CRO等からの現役トップ・マネジメント層からの直接的な助言や評価を期待したい。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 参画している製薬企業、CMO等の一部には該当する方々も関与しているが、今後はより一層現役トップ層からの助言等を求める運用に配慮していきたい。 【現在の対処状況】 POとして、<b>製薬会社やバイオコンサルのトップ・マネジメント層を新たに選定し、研究開発の進行管理等</b>を行っている。<u>(49,60頁参照)</u></p>
<p>レギュラトリーサイエンスのグループも配しているバランスが良いように思う。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 研究開発課題③のグループには、国衛研も研究協力者として参加しており、レギュラトリーの観点からの連携・支援を行うと共に、AMED内にPMDA関係者のグループを整備して、将来の薬事審査の円滑化を目指した連携を進めている。 【現在の対処状況】 同上。</p>

<参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(C : 腸内マイクロバイオーーム制御による次世代創薬技術の開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(マネジメント) マイクロバイオーーム研究は食品企業で行われており、それらの企業参入が進捗に大きく関与する。</p> <p>令和7年度に治験薬製造はハードルが少し高そうに思える。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 プロジェクト全体の研究コンソーシアムをマネジメントする組織として、JMBCが課題間連携を担当しており、このJMBCには食品企業等もメンバーとして参加しているため、開発成果の導入・普及が円滑に進むことが期待されている。 【現在の対処状況】 同上。</p> <p>【前回評価時の対処方針】 すでに市場化している免疫チェックポイント阻害剤の奏効率を向上させるための併用治療を想定しており、製剤技術等の開発が順調に進展するならば、製薬企業や病院が連携して令和7年度に治験薬として製造する可能性はあると考えている。 【現在の対処状況】 令和7年度中に治験薬製造には至らなかったが、嫌気性条件下における数十リットル規模での培養技術は開発済みであり、現在、凍結乾燥工程のスケールアウト・スケールアップを検討中である。</p>

<参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(D : 次世代送達技術開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋) 多くのアイデアがアカデミアに埋もれていることから発掘のための外部情報の収集機能の設置が必要と考える。</p> <p>DDSシーズの採択について、ゼロから技術開発を行うことはリスクもあるため基盤技術が固まったシーズを半数程度採択することが期待される。</p> <p>より斬新なアイデアを前広に、また有効成分の開発研究を進めている創薬ベンチャーも採択できるよう検討されたい。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 本研究開発では、知財の専門家や事業コーディネーターからなるサポート体制を構築する予定であり、そこにおいてFTO調査を含めた外部情報の収集機能を持たせる予定である。 【現在の対処状況】 本研究開発では、<b>実用化推進のため、横断的な伴走・マネジメント支援を行う課題を採択しており、マネジメント支援班において、FTO調査を含めた外部情報の収集も行っている。</b></p> <p>【前回評価時の対処方針】 本研究開発ではある程度技術開発されているものをメインで採択する予定であるため、ゼロから技術開発するものは含まないことを想定している。 【現在の対処状況】 本研究開発では、非臨床試験等によりPoCが取得／または取得見込みの予備結果が示されている有効成分と送達技術（肝臓以外）の少なくとも一方を有するシーズを採択条件としている。</p> <p>【前回評価時の対処方針】 有効成分、DDS、リンカーいずれにおいても創薬ベンチャーなどに優れた技術があるならば、採択できるよう検討する。 【現在の対処状況】 本研究開発では、ベンチャー企業主体の課題も採択されている。</p>

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(D：次世代送達技術開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>（意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋） 臨床試験実施時期のハードルがやや高い。</p> <p>枠組みとして、アカデミアと製薬企業の共同研究への助成金補助とあまり変わりがない。いかに、オープン・クローズド戦略を実施するのが判りにくい。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 臨床試験実施時期についてはGalNacの事例を元として検討したものであり、この時期に前臨床試験が実施できるよう、研究開発体制のマネジメントはしっかりしていく予定である。</p> <p>【現在の対処状況】 当該時期に非臨床試験が実施できるよう、マネジメント支援班を活用して研究開発を推進している。</p> <p>【前回評価時の対処方針】 オープン・クローズド戦略は単独の産学の連携とは異なり、既存のAMED事業の枠組みに追加して、知財の専門家及び事業コーディネーターによるハンズオン支援と共に、CTD等の参加企業等での共有等による技術のデファクト化を目指すこと等により、戦略的な開発と事業化を目指すこととしている。（詳細は非公開）</p> <p>【現在の対処状況】 マネジメント支援班により、事業化を見据えた戦略的な開発を伴走支援している。</p>

84

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(D：次世代送達技術開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>（意義・アウトカム（社会実装）達成までの道筋） 主として個別企業の個別の有効成分に対するDDSとなることから、デファクトと呼べるサイズのものが出るかどうかは不明である。また、デファクトの定義とCTDに関しては、若干認識が異なると考える。DDSはすべての有効成分に共通して使用できないことから、いわゆる、iOSとAndroid、VHSとベータなどのどちらかが領域を独占するデファクト戦略とは若干異なると考える。また、CTDは申請資料の品質を担保し、承認プロセスの短縮を図るものでもあることから標準化について少し整理が必要と思われる。</p> <p>オープン・クローズド戦略の策定には、規制当局側で規制を実際に作成した経験豊富な人材との密な連携が不可欠であり、いかにして実施するか検討する必要がある。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 本事業の狙うべきはGalNacのような広範な有効成分が活用できる、デファクトと呼べるサイズのDDSの開発である。しかしながら、それが困難な場合には個別のシーズに有効なDDSの開発にもなり得る。デファクトと呼べるサイズの優れたDDSが開発された場合には、規制を交えたCTDの作成等によってデファクトスタンダード戦略を立てることとするが、個別のシーズに有効なDDSが開発された場合には、デファクトを狙う戦略ではなくオープン・クローズド戦略を立てることを検討する。なお、CTDは製薬企業が規制部門に承認申請する際のCQAやCPP等も含めた審査条件を満たす内容となっているが、これをモックアップ化してCDMO等とも共有することにより、国内ベンチャーや製薬企業の新規参入の障壁を低くする効果等も期待され、こうした運用を戦略的に進めることにより開発技術の普及を促進するツールとしても利用可能である。</p> <p>【現在の対処状況】 ご指摘を踏まえて検討し、<b>送達技術について、デファクトスタンダード戦略やCTD作成ではなく、ライセンスにより他社に展開して利益を最大化する方針</b>とした。（27頁参照）</p> <p>【前回評価時の対処方針】 CTDの作成においては、実際にCTDの作成に関わっている人材を入れ込む予定であり、採択する際には規制当局側での経験の有無を評価して考慮することを検討する。</p> <p>【現在の対処状況】 マネジメント支援班が、ステアリングコミティの専門家とともに、コア技術、非コア技術の見極めを行った上で、オープン＆クローズ戦略を含めた知財戦略と特許出願計画の策定に協力することとしている。</p>

85

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(D：次世代送達技術開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(目標) アウトプット目標・アウトカム目標についてはもう少し高い数値でもよいと考える。</p> <p>予算が限られていることから、1件あたりのシーズに対する予算が分散しないよう留意が必要である。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 アウトプット目標については、予算額が20億円、一課題当たり2億円とすると、6年間で20件ほどの採択数となるが、そのうち6割（12件）がAMEDの課題評価で高評価を得て、次へ進めることを想定しているところ、6割以上は目標として高すぎると考えている。アウトカム目標については、GalINAcの事例を参考にして、アウトプット12件から、医薬品の非臨床・臨床試験数3件（2030年）へつなげることとし、そのうち医薬品の承認申請1件（2035年）を目標としており、十分高い目標と考えている。</p> <p>【現在の対処状況】 アウトプット・アウトカムについて、実際の公募・採択課題に合わせて内容を変更した。特に、<b>非臨床試験は本事業中に実施する計画</b>であることから、長期目標の指標は第Ⅱ相試験完了件数とした。 <b>(30,39,40頁参照)</b></p> <p>【前回評価時の対処方針】 本事業は有望な薬剤送達技術の開発が最終目標であるため、事業目標が達成されるよう、予算が分散しすぎないことに留意する。</p> <p>【現在の対処状況】 課題採択数を10件に留めるとともに、<b>ステージゲートにおいて課題2については6課題→最大2課題に絞り込みを行い、限られた予算の選択・集中</b>を行う計画である。</p>

86

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(D：次世代送達技術開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(マネジメント) PLだけでは十分なソリューションが見いだせないケースもあり、知財をもつ各アカデミアへの支援体制、知財専門家とハンズオンで支援出来るシステムの構築が必要である。オープン戦略における受益者の範囲をコントロールして管理するための組織がないなどの問題点がある。</p> <p>ゲートを通過できなかったシーズのフォローアッププロジェクトを検討されたい。</p> <p>製薬会社等からの研究開発計画等の提供については、現役トップ・マネジメント層からの直接的な助言や評価を期待したい。DDSに関しては、成功事例や革新的先行研究が少ないことからPD/PS/PO体制に関して、アカデミアと製薬企業の意見が反映できるような体制かつ柔軟なアイデアの拾い上げが可能な組織と人材が望ましい。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】 AMEDにおいて、研究開発実施者とは別にサポート体制の公募も実施し、それによりハンズオンで支援できるシステムを構築することを検討している。</p> <p>【現在の対処状況】 マネジメント支援班が、ステアリングコミティの専門家とともに、コア技術・非コア技術の見極めを行った上で、オープン＆クローズ戦略を含めた知財戦略と特許出願計画の策定に協力することとしている。</p> <p>【前回評価時の対処方針】 ゲートを通過できなかったシーズについて、有望であるが予算の制限で落ちてしまったものについては、AMEDの他の事業の紹介などによりフォローアップの実施を検討する。</p> <p>【現在の対処状況】 同上。</p> <p>【前回評価時の対処方針】 研究開発計画の提供については、各製薬企業等の研究開発部門のマネジメント層からの直接的な評価や説明する機会が得られるような形で実施できるよう、公募要領を検討していきたい。</p> <p>【現在の対処状況】 POとして、<b>製薬会社やバイオコンサルのトップ・マネジメント層、スタートアップ立ち上げ経験を有するアカデミアの先生を新たに選定し、産業界のニーズを踏まえた助言</b>を行っている。<b>(49,60頁参照)</b></p>

87

## <参考> 前回評価時の指摘事項と対処状況(D : 次世代送達技術開発)

前回評価時（令和5年度）の問題点・改善すべき点	対処状況
<p>(マネジメント)            DDSに関しては、成功事例や革新的先行研究が少ないことからPD/PS/PO体制に関して、アカデミアと製薬企業の意見が反映できるような体制かつ柔軟なアイデアの拾い上げが可能な組織と人材が望ましい。</p> <p>オープン戦略における受益者の範囲をコントロールして管理するための組織がないなどの問題点がある。</p>	<p>【前回評価時の対処方針】            PD/PS/PO体制を大きく変更することは困難であるものの、事業コーディネーターや科学調査員を配置することで、アカデミアと製薬企業の意見が反映できるような体制かつ柔軟なアイデアの拾い上げが可能な組織の構築と運営を目指す。</p> <p>【現在の対処状況】            POとして、<u>製薬会社やバイオコンサルのトップ・マネジメント層、スタートアップ立ち上げ経験を有するアカデミアの先生を新たに選定している。</u> (49,60頁参照)</p> <p>【前回評価時の対処方針】            事業コーディネーター、知財の専門家、PSPOからなる体制においてオープン戦略における受益者の範囲を検討する体制とする。</p> <p>【現在の対処状況】            マネジメント支援班が、ステアリングコミティの専門家とともに、コア技術、非コア技術の見極めを行った上で、オープン&amp;クローズ戦略を含めた知財戦略と特許出願計画の策定に協力することとしている。</p>