

令和2年8月31日変更

令和〇年〇月〇日変更

# 国立研究開発法人日本医療研究開発機構

## 中長期目標（第2期）

令和2年2月

内閣府

文部科学省

厚生労働省

経済産業省

## 目次

I. 政策体系における法人の位置付け及び果たすべき役割.....	2
II. 中長期目標の期間.....	5
III. 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項.....	5
(1) AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等.....	5
(2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施.....	7
(3) 基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等.....	14
(4) 疾患領域に関連した研究開発.....	165
IV. 業務運営の効率化に関する事項.....	186
V. 財務内容の改善に関する事項.....	198
VI. その他業務運営に関する重要事項.....	198

※III. (1) ~ (4) の各項目を一定の事業等のまとまりとする。

独立行政法人通則法（平成 11 年法律第 103 号）第 35 条の 4 の規定により、国立研究開発法人日本医療研究開発機構が達成すべき業務運営に関する目標（以下「中長期目標」という。）を定める。

## **I. 政策体系における法人の位置付け及び果たすべき役割**

### ＜法人の設立経緯＞

我が国は、世界最高水準の平均寿命を達成し、人類誰もが願う長寿社会を現実のものとした。世界に先駆けて超高齢社会を迎える我が国にあって、国民が更に健康な生活及び長寿を享受することのできる社会（健康長寿社会）を形成することが急務となっている。

このような背景から、「日本再興戦略- JAPAN is BACK-」（平成 25 年 6 月 14 日閣議決定）において、医療分野の研究開発の司令塔機能を創設することとされ、基礎から実用化まで切れ目ない研究管理の実務を行う独立行政法人の創設等の措置を講ずることが明記された。平成 26 年 5 月の独立行政法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年法律第 49 号）の成立を経て、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「AMED」という。）が設立された。

### ＜法人の使命＞

AMED は、医療分野の研究開発における基礎的な研究開発から実用化のための研究開発まで一貫した研究開発の推進及びその成果の円滑な実用化並びに医療分野の研究開発が円滑かつ効果的に行われるための環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、健康・医療戦略推進本部が決定する医療分野研究開発推進計画（以下「推進計画」という。）に基づき、大学、研究開発法人その他の研究機関の能力を活用して行う医療分野の研究開発及びその環境の整備等の業務を行うことを目的としている。

### ＜法人の現状と課題＞

AMED は、推進計画において、医療分野の研究開発及びその環境整備の実施・助成について中核的な役割を担う機関として位置付けられている。医療分野の研究開発関連予算（国が定めた戦略に基づくトップダウンの研究を行うために、研究者や研究機関に配分される研究費等）を統合プロジェクトとして集約し、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を実施してきたところである。

第 1 期中長期目標期間（平成 27 年 4 月から令和 2 年 3 月まで）においては、AMED 設立以降、AMED において基礎から実用化まで一貫した研究開発を推進する体制が構築され、それによりアカデミアのシーズが実用化に至るなど優れた研究開発成果が多数創出された。

一方、課題として、様々な疾患に展開可能なモダリティ（技術・手法）等の開発が疾患別の統合プロジェクトにより特定の疾患に分断されていたこと、「予防／診断／治療／予後・QOL（生活の質）」といった開発目的が必ずしも明確になっていないことなどが挙げられる。

## <政策を取り巻く環境の変化>

また、世界的に医療分野や生命科学分野で研究開発が加速するとともに AI、ロボット、ビッグデータなどのデジタル技術とデータの利活用の分野のイノベーションが加速し、医療分野への展開が見込まれているとされている。我が国の疾病構造をみると、生活習慣病や老化に伴う疾患といった多因子疾患が国民に大きな影響を与えるようになっており、こうした疾患への対応として、診断や治療に加え、予防や共生の取組も重要である。

さらに、新型コロナウイルス感染症のパンデミックを契機として、これまでのワクチン研究開発・生産体制等における課題、内在する要因を踏まえ、政府が一体となって必要な体制を再構築し、長期継続的に取り組む国家戦略として「ワクチン開発・生産体制強化戦略」(以下「ワクチン戦略」という。)が令和3年6月1日に閣議決定された。同戦略では、感染症ワクチンの緊急時の迅速な開発を念頭においた、平時からの研究開発・生産体制を強化することが必要とされている。

## <第2期中長期目標期間における取組等>

これら AMED の使命や現状と課題等を踏まえ、第2期中長期目標期間においては、

- AMED は、健康・医療戦略推進本部の下、医療分野の研究開発において中核的な役割を果たす機関として、推進計画に基づき、産学官の中心となり、大学、研究開発法人その他の研究機関等と連携し、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を引き続き実施していく。
- この目的に資するため、適切な組織・人員体制を構築するとともに、第1期中長期目標期間中にあった統合プロジェクトについて、疾患を限定しないモダリティ等の統合プロジェクトに集約・再編し、6つの統合プロジェクト(①医薬品②医療機器・ヘルスケア③再生・細胞医療・遺伝子治療④ゲノム・データ基盤⑤疾患基礎研究⑥シーズ開発・研究基盤)とした上で、基礎から実用化まで一貫した研究開発支援を行う。
- 6つの統合プロジェクトについては、モダリティ等を軸とした統合プロジェクトとし、AI などデジタル技術の活用を図りつつ、新たな医療技術等を様々な疾患に効果的に展開する。その際には、「予防/診断/治療/予後・QOL」といった開発目的を明確にしつつ研究開発を進める。
- 疾患領域に関連した研究開発はモダリティ等の統合プロジェクトの中で推進するが、プロジェクト間の連携を常時十分に確保し、特定の疾患ごとに柔軟にマネジメントを行う。
- 加えて、より速やかな研究成果の実用化・医療への展開のため、統合プロジェクト間の研究成果の展開を進めるとともに、他の資金配分機関、インハウス研究機関や民間企業など、関連する研究を実施している研究機関や産業界等との連携・分担を図りつつ、研究開発を推進する。
- さらに、感染症への対応については、緊急時においては国策としてワクチン開発を迅速に推進するために、AMED 内に、平時からの研究開発の推進を主導する体制を整備し、一体的かつ機動的な予算の配分を通じ、新規モダリティや感染症ワクチンへの応用等の研

究開発について、基礎研究から実用化まで産学官が連携して実施する。

このような AMED に期待されている役割が十分発揮され、世界最高水準の医療の提供、ひいては、健康長寿社会の形成に資することを期待しているものである。

なお、評価に当たっては、下記の目標を踏まえ別途定める評価軸等に基づき実施するが、医療分野の研究開発は、長期性や不確実性等といった特性に加え、ヒトを研究対象として健康へ悪影響を及ぼしかねない臨床研究や医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和 35 年法律第 145 号）に基づく承認申請が必要であるなど、他の研究分野にはない特殊性があることを十分踏まえ、目標の達成度のみならず、達成に向けた過程や成果の影響度等を総合的に評価する。

※政策体系図は別紙のとおり。

## II. 中長期目標の期間

AMED の中長期目標の期間は、令和 2 年 4 月から令和 7 年 3 月までの 5 年間とする。

## III. 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項

### (1) AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等

#### ① 医療に関する研究開発のマネジメント

疾患を限定しないモダリティ等の 6 つの統合プロジェクト毎に、関係府省の医療分野の研究開発関連予算を集約し、基礎から実用化までの研究開発を一元的かつ一貫してマネジメントする体制を構築する。

具体的には、世界の最新の情勢を把握したプログラムディレクター (PD)、プログラムスーパーバイザー (PS)、プログラムオフィサー (PO) 等を配置し、研究開発のマネジメント体制を構築する。配置された PD 等が、研究の実施、研究動向の把握・調査、シーズの探査・育成研究の強化 (スクリーニングや最適化研究)、優れた基礎研究成果を臨床研究、治験及び産業化へつなげるためのマネジメント (進捗管理・助言、規制対応等) 並びに適切な研究実施のための監視・管理機能などのマネジメント機能を果たす。

各統合プロジェクトにおいて、「予防／診断／治療／予後・QOL」という開発目的を明確にし、ライフステージを俯瞰した健康寿命延伸を意識した取組となるようマネジメントを行う。また、患者や医療現場、研究者、産業界等からのニーズを理事長の下においたアドバイザリーボード等で把握しつつ、AMED Management System (AMS) の活用、トランスレーショナル・リサーチ (TR) やリバーズ・トランスレーショナル・リサーチ (rTR) による基礎と実用化の橋渡し、研究成果の有効活用や他領域への展開のためのデータシェアの促進などの事業間連携を推進する。

さらに、各統合プロジェクト間の連携を十分に確保する。特に (2) ④ゲノム・データ基盤プロジェクト、⑤疾患基礎研究プロジェクト及び⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクトについては、他の研究の基礎・基盤となる性格のプロジェクトであることから、情報の共有や研究成果の他の研究への展開を図る。また、他の資金配分機関、インハウス研究機関や民間企業の研究開発とも連携して統合プロジェクトを推進する。科学研究費助成事業等で生まれたシーズも活用しつつ統合プロジェクトを推進する。融合領域については、他の資源配分機関とも適切に連携・分担を図る。

疾患領域に関連した研究開発は上記の統合プロジェクトの中で実施する。その際、多様な疾患への対応が必要であること、感染症対策など機動的な対応が必要であることから、統合プロジェクトの中で行われる研究開発を特定の疾患ごとに柔軟にマネジメントできるように推進する。特に、2040 年の人口動態を見据え、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野 (がん、生活習慣病 (循環器、糖尿病等)、精神・神経疾患、老年医学・認知症、難病、成育、感染症 (AMR を含む。) 等) について、戦略的・体系的な研究開発が推進されるよう、具体的な疾患に関するプロジェクト間の連携を常時十分に確保するとともに、研究課題採択後に予算規模や研究状況等を把握・検証し、対外的

に明らかにするほか、関係府省において事業の検討等の参考にする。

このため、統合プロジェクト横断的に対応できる体制の下で、特定疾患ごとのマネジメントを行う。特に、現在及び将来の我が国において社会課題となる上記の疾患分野については、それぞれの疾患領域に豊富な知見を有するコーディネーターの下で、疾患ごとのマネジメントを行う。その際、難病やがん等の疾患領域については、病態解明等の基礎的な研究から医薬品等の実用化まで一貫した研究開発が推進されるよう、十分に留意する。

特に、難病については、その種類が多い一方で症例数が少ないという制約の中で病態解明や治療法の開発を行う特性を踏まえる必要がある。厚生労働科学研究における難病の実態把握、診断基準・診断ガイドライン等の作成等に資する調査及び研究から、AMEDにおける実用化を目指した基礎的な研究、診断法、医薬品等の研究開発まで、切れ目なく実臨床につながる研究開発が行われるよう、厚生労働省と連携し、患者の実態とニーズを十分に把握したうえで、研究開発のマネジメントを行う。

個別研究課題の選定においてピア・レビューを行うための評価委員会を設置し、評価の質及び公正性・透明性の一層の向上を図り、将来的な成果につながるシーズの育成や人材育成等の視点にも留意しつつ、成果が見込まれる研究課題を選定する。ピア・レビューの方法等について、国内外の知見の収集を行い、これまで各分野で異なっていた評価システムの共通化・最適化を進める。

学会、産業界、他の政府機関等の外部の知見も活用し、国内外の技術開発動向を把握し、シンクタンク機能を果たす。

## ② 研究不正防止の取組の推進

基礎研究及び臨床研究における不正防止の取組を推進するため、専門の部署を置き、自らが配分する研究費により実施される研究に対して、公正かつ適正な実施の確保を図るとともに、他の関係機関と連携を図りながら、業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正の防止に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成等に努める。

## ③ 研究データマネジメント

研究の進捗状況の把握、研究データの管理（データ入力、集計、解析）、研究成果や知的財産の管理等の研究マネジメントを効率的に実施する。

AMEDが実施した研究開発から得られたデータが持続的に共有されるよう、研究データ基盤のクラウド化をはじめとするデータ共有の取組を推進する。(2)④ゲノム・データ基盤プロジェクトにおいてデータの共有を推進し、その実施状況を踏まえつつ他の統合プロジェクトへの展開を検討する。

## ④ 実用化に向けた支援

研究成果の実用化に向け、戦略的な知財管理を行うとともに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）や官民の支援機関等とも連携して、インキュベ

ーション機能や産学官連携のマッチング機能を果たす。

具体的には、令和2年度までに研究成果が実用化につながった事例の要因分析や成果活用実績の把握を行い、研究開発マネジメント手法や実用化の支援手法の改善に活用する。また、研究機関の知的財産取得への支援、ホームページ等を活用した研究成果と企業のニーズとのマッチング支援を行う。さらに、PMDA や株式会社 INCJ 等との連携を通じた実用化を促進する取組を行う。これらの取組を実施することにより、第1期中長期目標期間の実績等を踏まえ、令和6年度までの達成目標として、

- ・研究機関の知財取得件数 100 件
- ・企業とのマッチング成立（協力協定締結、企業導出等）件数 290 件

を目指す。ただし、上記の目標の達成に向けて、知的財産取得への支援、マッチング支援を行う際には、支援対象の質に十分配慮する。

## ⑤ 国際戦略の推進

最先端分野における欧米等の研究開発先進国との協力、ゲノム研究におけるアジア諸国との連携をはじめとする国際貢献及び協力は、我が国の研究開発にとっても必要であり、ひいては世界の持続可能な発展につながるものである。加えて、産業化の視点では、真に相手国の医療の発展に寄与する持続的な事業展開を意識しつつ、日本の産業競争力の強化を図る必要がある。

このような認識の下、研究開発の推進に当たり、海外の主要なファンディング機関等の関係機関や専門人材とのネットワーキングを活用するなど適切な国際連携を図る。また、グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応を行う。さらに、海外事務所も活用し国際共同研究の推進・調整や情報収集・発信等を行う。

## (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

推進計画に基づき、疾患を限定しないモダリティ等の6つの統合プロジェクトに再編し、統合プロジェクト毎にプロジェクトを推進する。また、6つの統合プロジェクトの中で、(4)に記載するような疾患領域に関連した研究開発も行う。

### ① 医薬品プロジェクト

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法や製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。



- ・ 疾患メカニズムに関するタンパク質間相互作用等に着目した創薬標的の探索
- ・ 化合物の構造解析技術や計算科学を活用した創薬デザイン
- ・ 抗体医薬の高機能化・低分子量化や、核酸・中分子医薬のデザイン・合成・評価など、新たなモダリティに関する基盤的な技術
- ・ 新規ドラッグ・デリバリー・システムや、新たなモダリティの活性・物性等評価技術などの周辺技術
- ・ DNA ワクチン等の予防・治療用ワクチン、アジュバント技術
- ・ バイオ医薬品の連続生産技術などの医薬品製造技術
- ・ 免疫チェックポイント阻害剤等の患者層別化に資する、免疫細胞解析とパスウェイ解析等との統合解析による新規バイオマーカー探索技術

これらの取組を実施することにより、令和6年度までの成果目標（KPI）<sup>1</sup>を以下のとおり設定する。

#### <アウトプット>

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・ 非臨床POCの取得件数 25件
- ・ 創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出件数 10件

##### ○実用化に関する指標

- ・ 臨床POCの取得件数 5件

##### ○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標

- ・ 新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%

（その他管理指標）

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・ 創薬支援ネットワークの活動状況
  - 3独法（国立研究開発法人理化学研究所/国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所/国立研究開発法人産業技術総合研究所）による支援の状況
  - 支援継続／終了の状況

##### ○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標

- ・ 創薬等の効率化に資する先進手法の開発状況

#### <アウトカム>

##### ○実用化に関する指標

---

<sup>1</sup> 研究開発の直接的な成果に関する指標（アウトプット）及び当該プロジェクトによる波及効果も含めた成果に関する指標（アウトカム）を設定する。それぞれにつき、数値目標に加え、数値目標は置かないもののPDCAサイクルの中で適時適切に状況を把握し検証の参考とする指標（その他管理指標）を必要に応じて置く。

- ・シーズの企業への導出件数 60件
- ・薬事承認件数（新薬、適応拡大） 10件
- 新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標
  - ・創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 120件
 （その他管理指標）
- 実用化に関する指標
  - ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況

## ② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

AI・IoT 技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化のための医療機器・システム<sup>2</sup>、医療現場のニーズが大きい医療機器や、予防・高齢者のQOL 向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。また、医療分野以外の研究者や企業も含め適切に研究開発を行うことができるよう、必要な支援に取り組む。特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。

- ・ 計測、微細加工、生体親和性の高い素材等、医療分野への応用を目指した要素技術
- ・ 検査・診断の簡易化や、精度向上・常時計測等の早期化に関する技術
- ・ 診断・治療の高度化や一体化のための、デジタル化・データ利活用や複数機器・システムの統合化等に関する技術
- ・ 生活習慣病等の予防のための行動変容を促すデバイス・ソフトウェア
- ・ 高齢化により衰える機能の補完や QOL 向上のための機器

これらの取組を実施することにより、令和6年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。

### <アウトプット>

- シーズ研究に関する指標
  - ・非臨床 POC の取得件数 25 件
- 医療機器の開発に関する指標
  - ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題の割合 25%
- ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標
  - ・ヘルスケア関連機器等の実証完了件数 35 件

### <アウトカム>

- シーズ研究に関する指標
  - ・シーズの他事業や企業等への導出件数 15 件

<sup>2</sup> 医療機器プログラム（治療アプリ等）を含む。

○医療機器の開発に関する指標

- ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数 20件

○ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標

- ・ヘルスケア関連機器等の上市等の件数 10件

(その他管理指標)

○医療機器の開発に関する指標

- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況

### ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床・臨床研究や製造基盤技術の開発、疾患特異的 iPS 細胞等を活用した病態解明・創薬研究及び必要な基盤構築を行う。また、遺伝子治療について、遺伝子導入技術や遺伝子編集技術に関する研究開発を行う。さらに、これらの分野融合的な研究開発を推進する。

特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。

- ・ 再生医療技術の研究段階から臨床実装への一層の推進
- ・ 幹細胞の特性に応じた細胞株の樹立、培養、分化誘導等に関する基礎的な技術
- ・ 疾患特異的 iPS 細胞の適応拡大に資する研究開発、灌流培養を用いた臓器チップの開発、及びこれらを応用した難病等の病態解明・創薬研究や薬剤代謝等の前臨床試験
- ・ 再生・細胞医療や創薬研究等に用いる細胞原料を含む生体材料や研究資源の品質管理・供給基盤構築
- ・ 細胞組織の三次元化等の臓器再生に関する技術
- ・ 遺伝子治療に関する安全で高生産かつ安価な国産ホスト細胞樹立及び標準的なウイルスベクターの構築
- ・ オフターゲットでの変異発現等の既存の技術課題への対応可能な遺伝子編集技術、及び免疫細胞機能の強化や幹細胞を経ない分化誘導等の、再生・細胞医療と遺伝子治療の融合研究を進めるための基礎的な技術
- ・ 大量培養や精製、品質評価・管理手法等の製造関連技術

これらの取組を実施することにより、令和6年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。

#### <アウトプット>

○シーズ研究に関する指標

- ・ 非臨床POCの取得件数 25件（うち遺伝子治療 5件）
- ・ 研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数 400件

○実用化に関する指標

- ・ 治験に移行した研究課題数 20件（うち遺伝子治療 2件）

（その他管理指標）

○シーズ研究に関する指標

- ・ 研究成果の科学誌（インパクトファクター5未満等の他の科学誌）への論文掲載状況

○実用化に関する指標

- ・ 臨床研究に移行した研究課題数（うち遺伝子治療の研究課題数）

<アウトカム>

○シーズ研究に関する指標

- ・ シーズの他事業への導出件数 30件

○実用化に関する指標

- ・ 企業へ導出される段階に至った研究課題数 10件  
（うち遺伝子治療 2件）（うち企業へ導出された件数 2件）
- ・ 薬事承認件数（新薬、適応拡大） 2件以上

（その他管理指標）

○シーズ研究に関する指標

- ・ 関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況

○実用化に関する指標

- ・ 研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況
- ・ 遺伝子治療の製造に関する要素技術の研究開発の進展状況

#### ④ ゲノム・データ基盤プロジェクト

健常人及び疾患のバイオバンク・コホート等の情報に加え、臨床研究等を行う際のコホート・レジストリ、臨床情報等を統合し、研究開発を推進するために必要なデータ基盤を構築する。また、一人ひとりの治療精度を格段に向上させ、治療法のない患者に新たな治療を提供するといったがんや難病等の医療の発展や、個別化医療の推進など、がんや難病等患者のより良い医療の推進のため、全ゲノム解析等実行計画に従い、全ゲノム解析等を推進する。特にがんの全ゲノム解析は、臨床実装を見据え、がんの再発分野等の課題を明確に設定した上で推進する。その際、詳細で正確な臨床情報等が得られる検体を重点的に解析するとともに、個人情報等に配慮しつつ研究開発や創薬等に活用できるデータシェアリングを進め、研究成果として得られたデータを共有する。

ゲノム・データ基盤の整備を推進するとともに、全ゲノム解析等実行計画に従い実行した全ゲノム解析結果等のデータの利活用を促進することで、ライフステージを俯瞰して遺伝子変異・多型と疾患の発症との関連等から疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進し、病態解明を含めたゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。

また、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行う。

特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。

- ・ 全ゲノム解析を活用したがんの新規原因遺伝子等の探索や、さらにオミックス解析も活用した難病等の新規原因遺伝子等の探索による、病態解明、早期診断に資する研究
- ・ ゲノム解析等を活用した糖尿病、認知症等の多因子疾患に関する予防、早期診断及び治療最適化に資する研究

これらの取組を実施することにより、令和6年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。

#### <アウトプット>

##### ○データ基盤を活用した研究に関する指標

- ・ 非臨床POCの取得件数 5件
- ・ 臨床POCの取得件数 10件
- ・ 研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数 900件
- ・ 新たな疾患発症メカニズム解明件数 10件
- ・ 新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 25件

（その他管理指標）

##### ○データ基盤構築・活用に関する指標

- ・ データ基盤構築の状況（連携、解析体制を含む。）
- ・ アカデミア及び企業によるデータ基盤の利活用実績

##### ○データ基盤を活用した研究に関する指標

- ・ 研究成果の科学誌（インパクトファクター5未満等の他の科学誌）への論文掲載状況

#### <アウトカム>

##### ○データ基盤を活用した研究に関する指標

- ・ シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 25件
- ・ 臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 15件
- ・ 疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 5件

### ⑤ 疾患基礎研究プロジェクト

医療分野の研究開発への応用を目指し、脳機能、免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。これらの研究開発成果を臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び

付けるとともに、臨床上の課題を取り込んだ研究開発を行うことにより、基礎から実用化まで一貫した循環型の研究を支える基盤を構築する。

これらの取組を実施することにより、令和6年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。

#### <アウトプット>

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数 400件  
（その他管理指標）

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター5未満等の他の科学誌）への論文掲載状況

#### <アウトカム>

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 10件

## ⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト

アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制を構築し、新規モダリティの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究を行うとともに、国際共同研究を実施し、臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付ける。

また、橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院において、シーズの発掘・移転や質の高い臨床研究・治験の実施のための体制や仕組みを整備するとともに、リバース・トランスレーショナル・リサーチ（rTR）、実証研究基盤の構築を推進し、基礎研究から臨床研究まで一貫した循環型の研究支援体制や研究基盤を整備する。

特に、異分野・モダリティ融合的なシーズの研究開発や、上記①～④のプロジェクトに将来的につながりうるシーズの継続的発掘及び育成に取り組む。

これらの取組を実施することにより、令和6年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。

#### <アウトプット>

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数 550件

##### ○研究基盤に関する指標

- ・医師主導治験届の提出件数（体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数） 170件

(その他管理指標)

○シーズ研究に関する指標

- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター5未満等の他の科学誌）への論文掲載状況

<アウトカム>

○シーズ研究に関する指標

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 125件

○研究基盤に関する指標

- ・医薬品等の薬事承認申請の件数 30件

### (3) 基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

#### ① 政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等

政府出資を活用し、革新的な医薬品・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進する。

当該事業を進めるに当たっては、実用化が困難な革新的医薬品・医療機器等の実用化開発の不確実性を踏まえ、研究開発に係る事業計画・事業目標を含む事業採択のための審査、事業の進捗状況の確認や進捗過程における課題の相談、事業終了時の事業目標等の達成状況等の評価など、政府出資を活用して研究開発等を支援するために必要な実施体制を構築する。また、その進捗状況については、内閣府、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省（以下「所管府省」という。）に適宜報告するとともに、所管府省から改善を求められた場合には、これに適切に対応する。

#### ② 健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等

科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律（平成20年法律第63号）第27条の2第1項に基づき、国から交付される補助金により基金を設けた。これを活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、ムーンショット型研究開発制度の下で、ムーンショット型研究開発制度に係る戦略推進会議等を通じて、総合科学技術・イノベーション会議で定める目標とも十分に連携しつつ、ビジョナリー会議の助言等を踏まえて健康・医療戦略推進本部が決定する目標の実現のため、我が国発の破壊的イノベーションの創出を目指し、従来技術の延長にない、より大胆な発想に基づく挑戦的な研究開発（ムーンショット）を、AMEDの業務内容や目的に照らし所管府省と連携して推進するとともに、基金と企業原資の研究費を組みあわせ、医療上の必要性が高く特に緊要となった医薬品・医療機器等の研究開発を、産学官共同により推進する。また、研究開発の推進においては、その途中段階において適時目標達成の見通しを評価し、研究開発の継続・拡充・中止などを決定する。

#### ③ 新型コロナウイルスワクチンの開発支援

新型コロナウイルス感染症の感染拡大を根本的に解決するため、有効なワクチンの開発・普及は最優先の課題であり、基礎研究から臨床試験、薬事申請、生産に至る全過程の加速化により実用化を目指す必要がある。

このため、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第27条の2第1項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、ワクチン開発推進事業において、新型コロナウイルスワクチンの実用化に向けた研究開発を産学官共同により推進する。また、研究開発の推進においては、適時目標達成の見通しを評価し、研究開発の継続・拡充・中止などを決定する。

#### **④ ワクチン・新規モダリティの研究開発**

今後脅威となりうる感染症有事に備え、ワクチンの迅速な開発・供給を可能とするため、ワクチン開発に資する革新的な新規モダリティや感染症ワクチンへの応用等の研究開発を推進する必要がある。

このため、先進的研究開発戦略センター（Strategic Center of Biomedical Advanced Vaccine Research and Development for Preparedness and Response：SCARDA、以下「SCARDA」という。）<sup>3</sup>において、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第27条の2第1項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、ワクチン・新規モダリティ研究開発事業を推進する。同事業においては、ワクチン戦略を踏まえ、国内外における関連分野の研究開発状況を把握・分析し、戦略的な資金配分等を通じた革新的な新規モダリティの研究開発を推進するとともに、ワクチンに関する応用研究や第Ⅱ相までの臨床試験のための研究開発を推進する。また、研究開発の推進においては、適時目標達成の見通しを評価し、研究開発の継続・拡充・中止などを決定する。

#### **⑤ ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成**

感染症有事における迅速なワクチン開発のため、独立性・自律性を確保した柔軟な運用を実現し、世界の研究者を惹きつける、これまでにない世界トップレベルの研究開発拠点を中核として、平時から感染症分野に留まらない多様な研究開発及びその環境の整備を促進する必要がある。

このため、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第27条の2第1項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成事業を推進する。同事業においては、ワクチン戦略を踏まえ、研究開発拠点（フラッグシップ拠点とシナジー効果が期

<sup>3</sup> SCARDAには、平時・緊急時を通じたマネジメント及び全体調整を行うセンター長や、国内外の研究開発動向等を踏まえ研究開発の進捗管理を行うプロボスト等を配置し研究開発のマネジメントを行うとともに、ワクチン戦略に基づいて実施されるワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成事業及び創薬ベンチャーエコシステム強化事業と有機的な連携が可能となるようマネジメントを行う。



待できる拠点)としての体制整備等を行うとともに、出口を見据えた関連研究を強化・促進する。また、研究開発の推進においては、適時目標達成の見通しを評価し、研究開発の継続・拡充・中止などを決定する。

## ⑥ 創薬ベンチャーエコシステムの強化

大学等の優れた研究成果や創薬シーズを実用化につなげるため、創薬ベンチャーへの長期的な育成・支援が必要であるが、疾患や対象市場によっては期待される収益率が低く、また、投資の回収までに長期間を要する創薬分野に持続的な投資を呼び込むためには、これまでベンチャーキャピタル (VC) 出資の増大に効果のあったベンチャー支援策を参考にしつつ支援を行っていくべきである。具体的には、VC等の目利き力を活かした優良ベンチャーの発掘・育成、VC等の投資能力・規模の拡大、リターンの向上、連続起業家 (シリアルアントレプレナー) の育成を含め、我が国における創薬ベンチャーエコシステム全体の底上げを図る必要がある。

このため、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第27条の2第1項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、創薬ベンチャーエコシステム強化事業を推進する。同事業においては、ワクチン戦略を踏まえ、認定VCの目利き力を活かして、感染症ワクチン・治療薬開発に転用できる可能性のある革新的なモダリティの実用化開発を行う創薬ベンチャーに対して支援を行う。また、実用化開発の推進においては、適時目標達成の見通しを評価し、実用化開発の継続・拡充・中止などを決定する。

## (4) 疾患領域に関連した研究開発

Ⅲ (1) ①で述べた、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野については、以下のようなテーマをはじめとして研究開発を推進する。

(がん)

- ・ がんの生物学的本態解明に迫る研究開発や、患者のがんゲノム情報等の臨床データに基づいた研究開発
- ・ 個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発や免疫療法や遺伝子治療等をはじめとする新しい治療法の開発

(生活習慣病)

- ・ 個人に最適な糖尿病等の生活習慣病の重症化予防方法及び重症化後の予後改善、QOL 向上等に資する研究開発。AI 等を利用した生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法の確立
- ・ 循環器病の病態解明や革新的な予防、診断、治療、リハビリテーション等に関する方法に資する研究開発
- ・ 慢性腎臓病の診断薬や医薬品シーズの探索及び腎疾患の病態解明や診療エビデン

スの創出に資する研究開発

- ・ 免疫アレルギー疾患の病態解明や予防、診断、治療法に資する研究開発

(精神・神経疾患)

- ・ 可視化技術導入等による慢性疼痛の機序解明、QOLの向上に資する治療法や、画期的な治療法開発に向けた慢性疼痛の定量的評価の確立に資する研究開発
- ・ 精神・神経疾患の克服に向けて、国際連携を通じ治療・診断の標的となり得る分子などの探索及び霊長類の高次脳機能を担う脳の神経回路レベルでの動作原理等の解明
- ・ 精神疾患の客観的診断法・障害 (disability) 評価法や精神疾患の適正な治療法の確立並びに発症予防に資する研究開発

(老年医学・認知症)

- ・ モデル生物を用いた老化制御メカニズム及び臓器連関による臓器・個体老化の基本メカニズム等の解明
- ・ 認知症に関する薬剤治験対応コホート構築やゲノム情報等の集積及びこれらを活用したバイオマーカー研究や病態解明等
- ・ 認知症に関する非薬物療法の確立及び官民連携による認知症予防・進行抑制の基盤整備

(難病)

- ・ 様々な個別の難病に関する実用化を目指した病因・病態解明、画期的な診断・治療・予防法の開発に資するエビデンス創出のためのゲノムや臨床データ等の集積、共有化
- ・ 上記の取組による病態メカニズム理解に基づく再生・細胞医療、遺伝子治療、核酸医薬などの新規モダリティ等を含む治療法の研究開発

(成育)

- ・ 周産期・小児期から生殖期に至るまでの心身の健康や疾患に関する予防・診断、早期介入、治療方法の研究開発
- ・ 月経関連疾患、更年期障害等の女性ホルモンに関連する疾患に関する研究開発や疾患性差・至適薬物療法など性差にかかわる研究開発

(感染症)

- ・ ゲノム情報を含む国内外の様々な病原体に関する情報共有や感染症に対する国際的なリスクアセスメントの推進、新型コロナウイルスなどの新型ウイルス等を含む感染症に対する診断薬・治療薬・ワクチン等の研究開発及び新興感染症流行に即刻対応出来る研究開発プラットフォームの構築

- ・ BSL 4 施設を中核とした感染症研究拠点に対する研究支援や、感染症流行地の研究拠点における疫学研究及び創薬標的の探索等、予防・診断・治療に資する基礎的研究、将来のアウトブレイクに備えた臨床・疫学等のデータの蓄積・利活用

#### **IV. 業務運営の効率化に関する事項**

##### **(1) 業務改善の取組に関する事項**

###### **① 組織・人員体制の整備**

AMED に求められる機能（医療に関する研究開発のマネジメント、研究不正防止の取組の推進、研究データマネジメント、実用化に向けた支援及び国際戦略の推進）を果たすため、適切な組織・人員体制を整備する。また、関連する政策や医療分野の研究開発動向の変化、業務の進捗状況に応じ機動性・効率性が確保できるような柔軟な組織・人員体制を整備する。

特に、AMED におけるマネジメントにおいて重要な役割を果たす PD、PS、PO 等、高度の専門性が必要とされる者については、産学官からの優れた人材の登用を積極的に行う。また、利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用する。

###### **② PDCA サイクルの徹底**

AMED で行っている事業については厳格な評価を行い、不断の業務改善を行う。評価に当たっては、外部の専門家・有識者を活用するなど適切な体制を構築する。また、評価結果をその後の事業改善にフィードバックするなど、PDCA サイクルを徹底する。

###### **③ 適切な調達の実施**

調達案件については、主務大臣や契約監視委員会によるチェックの下、一般競争入札を原則としつつも、随意契約できる事由を会計規程等において明確化し、公正性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施する。公正かつ透明な調達手続による適切で、迅速かつ効果的な調達を実現する観点から、AMED が策定した「調達等合理化計画」に基づく取組を着実に実施する。

###### **④ 外部能力の活用**

費用対効果、専門性等の観点から、AMED 自ら実施すべき業務、外部の専門機関の活用が適当と考えられる業務を精査し、外部の専門機関の活用が適当と考えられる業務については、外部委託を活用する。

###### **⑤ 業務の効率化**

運営費交付金を充当して行う事業については、新規に追加されるもの、拡充分及び特殊要因により増減する経費は除外した上で、一般管理費（人件費、公租公課及び保険料の所要額計上を必要とする経費を除く。）は毎年度平均で 2 % 以上、事業費は毎年度平均で 1 % 以上の効率化を達成する。

また、総人件費については、政府の方針に従い、必要な措置を講ずる。

さらに、給与水準については、ラスパイレス指数、役員報酬、給与規程、俸給表及び総人件費を公表するとともに、国民に対して納得が得られるよう説明する。また、給与水準の検証を行い、これを維持する合理的な理由がない場合には必要な措置を講ずることにより、給与水準の適正化に取り組み、その検証結果や取組状況を公表する。

医療研究開発を円滑に促進するために、AMED から交付される研究費について現場で効果的に使えるよう工夫を行う。

## **(2) 業務の電子化に関する事項**

電子化の促進等により事務手続の簡素化・迅速化を図るとともに、AMED の制度利用者の利便性の向上に努める。また、幅広い ICT 需要に対応できる AMED 内情報ネットワークの充実を図る。情報システム及び重要情報への不正アクセスに対する十分な強度を確保するとともに、震災等の災害時への対策を確実に行うことにより、業務の安全性及び信頼性を確保する。

## **V. 財務内容の改善に関する事項**

### **(1) 運営費交付金の適切な執行に向けた取組**

各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を厳格に分析し、減少に向けた努力を行う。

### **(2) 保有資産の処分等**

AMED が保有する資産については、有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い保有する必要がなくなったものについては処分等を行う。

## **VI. その他業務運営に関する重要事項**

### **(1) 内部統制に係る体制の整備**

内部統制については、法人の長によるマネジメントを強化するための有効な手段の一つであることから、法人の長による法人運営の基本理念／運営方針／職員の行動憲章を定めるなど、必要な取組を推進する。この際、「『独立行政法人の業務の適正を確保するための体制等の整備』について」（平成 26 年 11 月 28 日付け総務省行政管理局長通知）等に記載された事項を参考にする。

### **(2) コンプライアンスの推進**

AMED が医療分野の研究開発等の中核的な役割を果たしていくためには、独立行政法人制度や国の制度等の法令等様々なルールを遵守し適切に行動していく必要がある。このため、コンプライアンス体制について、必要な規程を整備するとともに、定期的な取組

状況の点検や職員の意識浸透状況の検証を行い、適宜必要な見直しを行う。

### **(3) 情報公開の推進等**

AMED の適正な業務運営及び国民からの信頼を確保するため、適切かつ積極的に情報の公開を行うとともに、個人情報の適切な保護を図る取組を推進する。具体的には、独立行政法人等の保有する情報の公開に関する法律（平成 13 年法律第 140 号）及び独立行政法人等の保有する個人情報の保護に関する法律（平成 15 年法律第 59 号）に基づき、適切に対応するとともに、職員への周知徹底を行う。

### **(4) 情報セキュリティ対策の推進**

政府の情報セキュリティ対策における方針（情報セキュリティ対策推進会議の決定等）を踏まえ、研修を行う等、適切な情報セキュリティ対策を推進する。

### **(5) 職員の意欲向上と能力開発等**

AMED における業務のノウハウを継承・蓄積し、業務を効率的・効果的に進めるため、医療分野の研究開発のマネジメントを行う人材の確保・育成方策を策定し、人材確保・育成を進める。その際、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律に基づき策定している「人材活用等に関する方針」に留意する。

個人評価においては、適切な目標を設定し、その達成状況を多面的かつ客観的に適切にレビューすることにより、評価結果を賞与や昇給・昇格に適切に反映させるとともに、職員の勤労意欲の向上を図る。また、職員の能力開発を図るため、業務を行う上で必要な知識の取得に向けた研修の機会を設けるなど、当該業務実施に必要な知識等の獲得に資する能力開発に努める。

また、女性の活躍を促進するための取組を推進する。

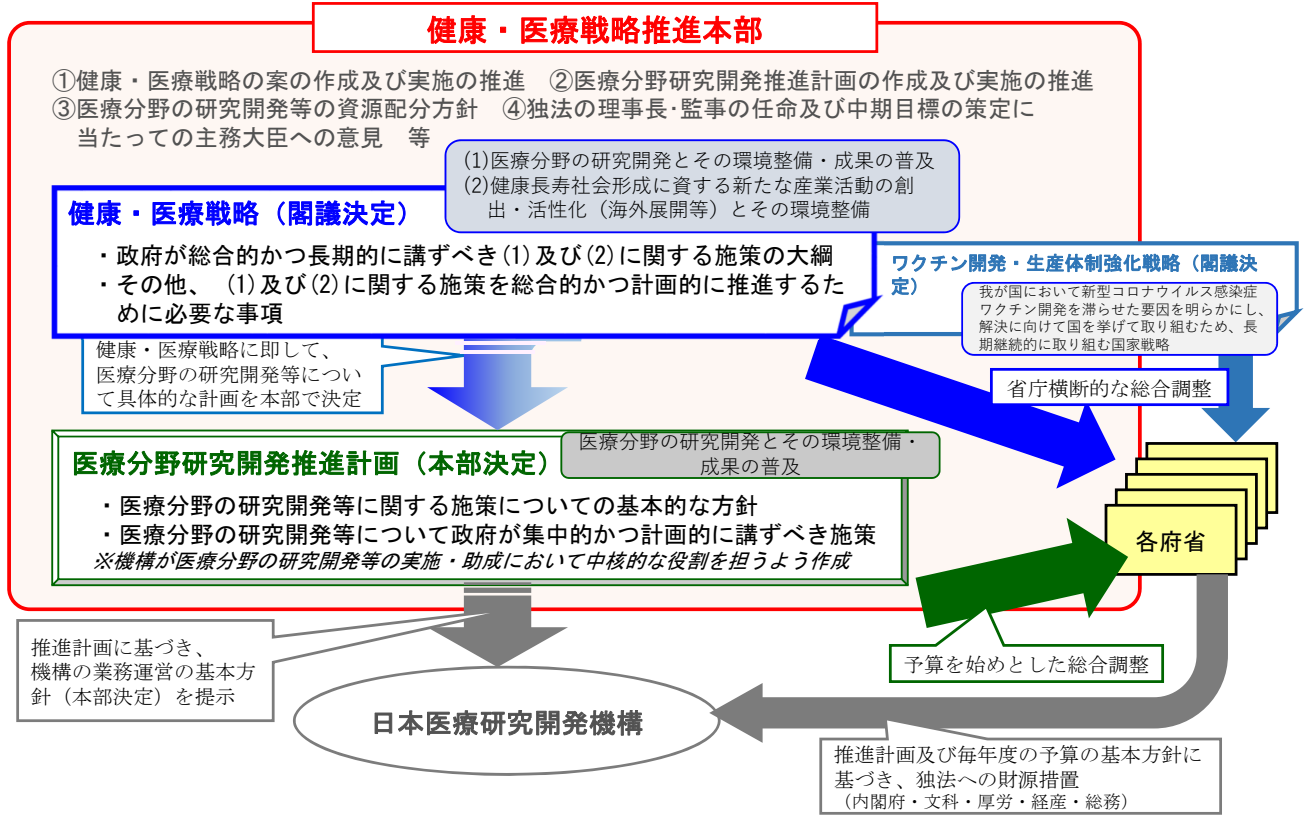
用語集は別添の通り。

## 別添：用語集

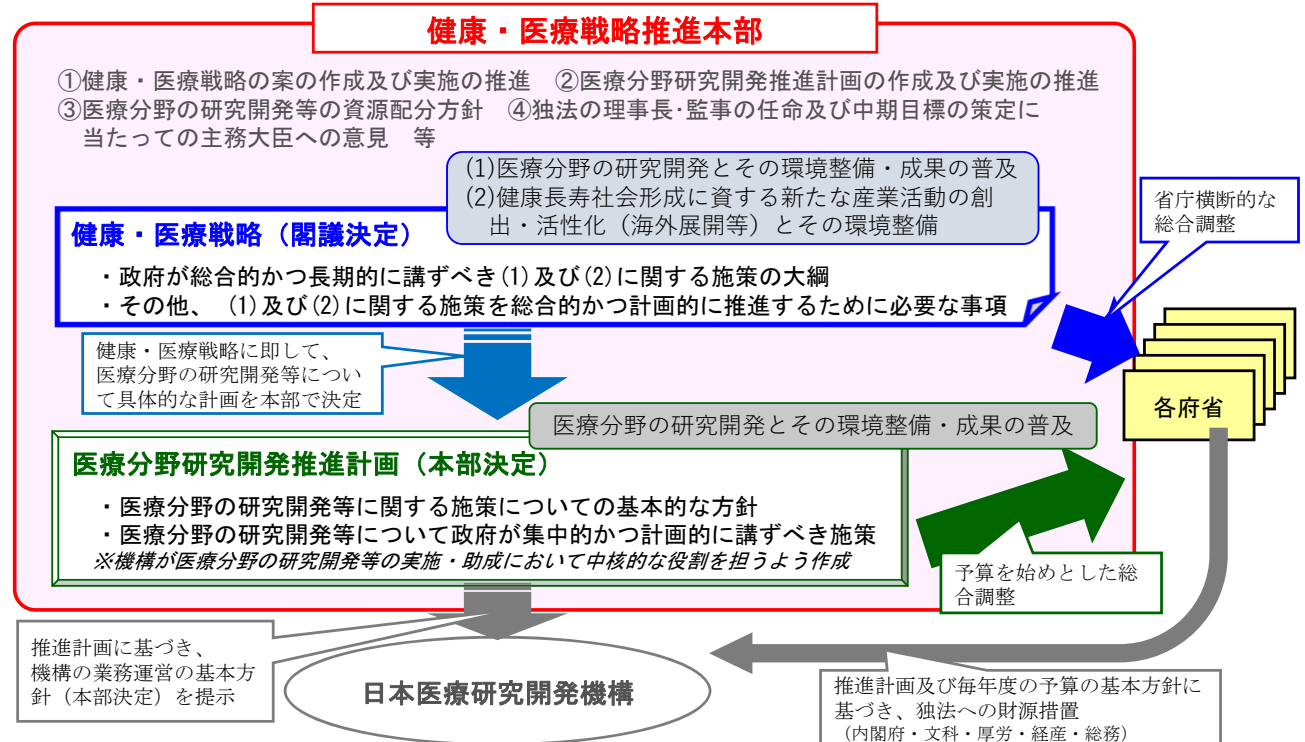
- AMR : Antimicrobial Resistance の略  
抗菌剤（抗生物質及び合成抗菌剤）をはじめとする抗微生物剤への薬剤耐性のこと
- ICT : Information and Communication Technology の略  
情報通信技術
- PMDA : Pharmaceuticals and Medical Devices Agency の略  
独立行政法人医薬品医療機器総合機構。国民保健の向上に貢献することを目的として、医薬品の副作用等による健康被害に対する迅速な救済、医薬品・医療機器等の品質・有効性・安全性に対する審査、市販後の安全性に関する情報の収集・分析・提供を行っている。
- POC : Proof of Concept の略  
研究開発の段階にある新たな概念が実証されること
- ゲノム  
遺伝子 (gene) と染色体 (chromosome) から合成された言葉で、DNA の全ての遺伝情報のこと
- ゲノム医療  
ヒトの遺伝情報 (ゲノム情報) を利用して、個々の患者の薬剤に対する反応性や副作用を予測したり、患者ごとの罹患予想に基づいた予防等を行う医療
- 治験  
医薬品や医療機器等の製造販売承認申請に際して提出すべき資料のうち、臨床試験の試験成績に関する資料の収集を目的として実施する臨床試験
- バイオマーカー  
客観的に測定され、評価される特性値であり、正常な生物学的プロセス、病理学的プロセス、又は治療的処置に対する薬理学的反応の指標
- ピア・レビュー  
専門分野の近い複数の研究者による審査
- 臨床研究  
医療における疾病の予防方法、診断方法及び治療方法の改善、疾病原因及び病態の理解

並びに患者の生活の質の向上を目的として実施される医学系研究であって、人を対象とするもの

日本医療研究開発機構に係る政策体系図



日本医療研究開発機構に係る政策体系図





（使命）

AMEDは、医療分野の研究開発における基礎的な研究開発から実用化のための研究開発まで一貫した研究開発の推進及びその成果の円滑な実用化並びに研究開発が円滑かつ効果的に行われるための環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、健康・医療戦略推進本部が決定する医療分野研究開発推進計画に基づき、大学、研究開発法人等の能力を活用して行う医療分野の研究開発及びその環境整備等の研究支援を実施。

（現状・課題）

- 医療分野の研究開発関連予算を統合プロジェクトとして集約し、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を実施することにより、多数の研究成果が創出。
- 様々な疾患に展開可能なモダリティ(技術・手法)等の開発が疾患別の統合プロジェクトにより特定の疾患に分断。
- 「予防/診断/治療/予後・QOL」といった開発目的が不明確。

（環境変化）

- AI、ロボット、ビッグデータなどのデジタル技術とデータの利活用の分野でのイノベーションが加速し、医療分野への展開見込。
- 我が国の疾病構造をみると、生活習慣病や老化に伴う疾患といった多因子疾患が国民に大きな影響。これらへの対応として、診断や治療に加え、予防や共生の取組も重要である。
- 新型コロナウイルス感染症のパンデミックを踏まえ、感染症ワクチンの緊急時における迅速な開発を念頭においた、平時からの研究開発・生産体制の強化が必要。

（中長期目標(第2期)）

- AMEDを核とした産学官連携による基礎から実用化まで一貫した研究開発の推進と成果の実用化を図る。
- 疾患を限定しないモダリティ等の6つの統合プロジェクト(①医薬品②医療機器・ヘルスケア③再生・細胞医療・遺伝子治療④ゲノム・データ基盤⑤疾患基礎研究⑥シーズ開発・研究基盤)に再編し、AIなどのデジタル技術の活用を図りつつ、新たな医療技術等を様々な疾患に展開する。
- 疾患領域に関連した研究開発はモダリティ等の統合プロジェクトの中で推進するが、プロジェクト間の連携を常時十分に確保し、特定の疾患ごとに柔軟にマネジメントを行う。
- 「予防/診断/治療/予後・QOL」といった開発目的を明確にし、ライフステージを俯瞰した健康寿命延伸を意識した取組を行う。
- 基金等を活用した中長期的な研究開発等を促進する。
- 医療分野の研究開発マネジメント等のAMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等を進める。

（使命）

AMEDは、医療分野の研究開発における基礎的な研究開発から実用化のための研究開発まで一貫した研究開発の推進及びその成果の円滑な実用化並びに研究開発が円滑かつ効果的に行われるための環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、健康・医療戦略推進本部が決定する医療分野研究開発推進計画に基づき、大学、研究開発法人等の能力を活用して行う医療分野の研究開発及びその環境整備等の研究支援を実施。

（現状・課題）

- 医療分野の研究開発関連予算を統合プロジェクトとして集約し、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を実施することにより、多数の研究成果が創出。
- 様々な疾患に展開可能なモダリティ(技術・手法)等の開発が疾患別の統合プロジェクトにより特定の疾患に分断。
- 「予防/診断/治療/予後・QOL」といった開発目的が不明確。

（環境変化）

- AI、ロボット、ビッグデータなどのデジタル技術とデータの利活用の分野でのイノベーションが加速し、医療分野への展開見込。
- 我が国の疾病構造をみると、生活習慣病や老化に伴う疾患といった多因子疾患が国民に大きな影響。これらへの対応として、診断や治療に加え、予防や共生の取組も重要である。

（中長期目標(第2期)）

- AMEDを核とした産学官連携による基礎から実用化まで一貫した研究開発の推進と成果の実用化を図る。
- 疾患を限定しないモダリティ等の6つの統合プロジェクト(①医薬品②医療機器・ヘルスケア③再生・細胞医療・遺伝子治療④ゲノム・データ基盤⑤疾患基礎研究⑥シーズ開発・研究基盤)に再編し、AIなどのデジタル技術の活用を図りつつ、新たな医療技術等を様々な疾患に展開する。
- 疾患領域に関連した研究開発はモダリティ等の統合プロジェクトの中で推進するが、プロジェクト間の連携を常時十分に確保し、特定の疾患ごとに柔軟にマネジメントを行う。
- 「予防/診断/治療/予後・QOL」といった開発目的を明確にし、ライフステージを俯瞰した健康寿命延伸を意識した取組を行う。
- 基金等を活用した中長期的な研究開発等を促進する。
- 医療分野の研究開発マネジメント等のAMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等を進める。