

# 医療分野研究開発推進計画 (案)

令和〇年〇月〇日  
健康・医療戦略推進本部決定

# 医療分野研究開発推進計画（案）

## 目次

1. はじめに	1
1.1 医療分野研究開発推進計画の位置づけ	1
1.2 現状認識	1
1.3 第1、2期の計画の成果と課題	3
2. 医療分野研究開発等施策についての基本的な方針	4
3. 集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策	6
3.1 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	6
(1) 医療分野の研究開発の一体的推進	6
(2) インハウス研究開発	6
(3) 8つの統合プロジェクト	7
① 医薬品プロジェクト	7
② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト	8
③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	10
④ 感染症プロジェクト	11
⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト	13
⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト	14
⑦ 橋渡し・臨床加速化プロジェクト	15
⑧ イノベーション・エコシステムプロジェクト	16
(4) 疾患領域に関連した研究開発	17
(5) 全8統合プロジェクトに共通する取組	19
3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等	23
(1) 研究基盤の整備	23
(2) 推進体制の整備	26
(3) 制度及び運用の充実	28
(4) 研究開発の適正性の確保と成果の普及	30
3.3 AMED の果たすべき役割	31
(1) 優れたシーズの創出・実用化の加速	32
(2) 統合プロジェクトの運営	34
(3) PD、PS、P0体制の整備	35
(4) 統合プロジェクトに共通する取組及び環境の整備の推進調整	35
(5) 事務の合理化	35
4. 医療分野研究開発等施策を集中的かつ計画的に推進するために必要な事項	35
4.1 医療分野の研究開発に関する成果目標	35
4.2 フォローアップ	40

## 1. はじめに

### 1.1 医療分野研究開発推進計画の位置づけ

「医療分野研究開発推進計画」（以下「計画」という。）は、政府が講ずべき医療分野の研究開発並びにその環境の整備及び成果の普及に関する施策（以下「医療分野研究開発等施策」という。）の集中的かつ計画的な推進を図るため、内閣総理大臣を本部長とする健康・医療戦略推進本部（以下「推進本部」という。）が、健康・医療戦略推進法（平成26年法律第48号）第18条第1項の規定に基づき、健康・医療戦略（2024年12月XX日閣議決定）に即して策定する計画である。また、計画は、同法第19条に基づき、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、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並びに研究機関における医療分野の研究開発及びその環境の整備の助成において中核的な役割を担うよう作成する計画でもある。

第1期の計画は、2014年度から2019年度までを対象期間として、推進本部において2014年7月に決定し、2017年2月に一部変更を行った。

第2期の計画は、2020年度から2024年度までを対象期間として、推進本部において2020年3月に決定し、2021年4月に一部変更を行った。

今回の第3期に当たる計画（以下「本計画」という。）は、2040年頃までを視野に入れ、2025年度から2029年度までの5年間を対象とし、2029年度末までに全体の見直しを行うこととする。情報技術を筆頭に科学技術の急速な進歩で5年先の予想さえ難しくなりつつある今日、長期的視野を持ちつつも、技術革新に迅速に対応することが重要になっている。この5年間の取組は、2030年以降の10年間の国民の健康長寿や我が国における健康安全保障、国際社会における我が国の立ち位置などに大きな影響をもたらすものであり、対象期間内においても、フォローアップの結果等を踏まえ、必要に応じて見直しを行う。

### 1.2 現状認識

我が国における平均寿命と健康寿命は、男女ともに延伸傾向にあり、2010年以降の健康寿命の伸びは平均寿命のそれを上回っている。第2期の期間中にも日本の高齢者の割合は一層増加し<sup>1</sup>、健康長寿社会の実現に向けた医療の必要性はますます高まっている。

平均寿命が延びている中で、健康寿命をさらに延ばしていくためには予防の重要性

---

<sup>1</sup> 令和6年版高齢化白書（2017年17.4%→2023年29.1% 図1-1-2）

が増すと同時に、疾病と共生していくための取組を車の両輪として講じていくことが望まれる。予防については、二次予防（疾病の早期発見、早期治療）、三次予防（疾病が発症した後、必要な治療を受け、機能の維持・回復を図るとともに再発・合併症を予防すること）に留まらず、一次予防（生活習慣を改善して健康を増進し、生活習慣病等を予防するなど、病気の原因をもとから絶つ予防のこと。このほか環境における危険因子の削減を目指す健康保護、病気の発生の予防を目指す疾病予防がある。）も併せて取り組むべきであることが指摘されている。また、高齢化率は今後も上昇が見込まれ、医療介護分野の担い手不足への対応や生産性向上のための取組も求められている。

また、第2期の期間中に、新型コロナウイルス感染症（COVID-19）が世界的に流行した。パンデミックが国家安全保障上の課題と強く認識されるようになり、国に対して感染症危機への平常時からの備えが従前に増して求められるようになった。ワクチン等研究開発体制の整備に加えて、新型コロナウイルス感染症流行時に医療従事者の感染で医療体制の維持が困難に陥った経験に鑑み、医療現場の負荷を低減するシステムの重要性にも留意する必要がある。

こうした情勢の下、我が国の、医薬品<sup>2</sup>や医療機器<sup>3</sup>の輸入超過は増加を続けている。世界では、売上げ上位の新薬の中心が、低分子医薬品からバイオ医薬品、再生・細胞医療・遺伝子治療といった新規モダリティに変化する新たな潮流が出現してきており、我が国も対応を迫られている<sup>4</sup>。

並行して、急速に進歩する科学技術で世界は変わり続け、情報化・デジタル化により生み出された膨大なリアルワールドデータ（RWD）を活用したAI技術が社会変革を引き起こすと予期される。健康・医療とAIの技術融合は、日本の優位性が期待される分野の一つとされている。

また、科学技術が加速的に発達し、人々の生活に及ぼす影響も増大することから社会との対話や協働の重要性がより一層高まっている中、医療分野も同じ状況にある。医療分野の研究開発においては、早期の段階からの倫理的・法的・社会的課題（ELSI）

---

<sup>2</sup> 第37回専門調査会参考資料4 データ集 p4

<sup>3</sup> 厚生労働省薬事工業生産動態統計年報（平成30年：9,530億円→令和4年：1兆8,239億円）

<sup>4</sup> また、薬事規制においても、国際的には、ICH-GCP準拠の臨床試験（クリニカルトライアル）に統一されているが、我が国には、日本独自の省令GCP（J-GCP）準拠の治験があり、ドラッグラグ・ドラッグロスの要因の1つとの指摘がある。

への対応や研究への患者・市民参画（PPI）<sup>5</sup>をはじめとした「社会共創」の取組がますます重要になっている。

このような医療分野の研究開発を取り巻く種々の動向を踏まえ、様々な課題に関係者が一体となって取り組んでいくよう、本計画を策定する。

### 1.3 第1、2期の計画の成果と課題

平成26(2014)年の健康・医療戦略推進法制定以来、関係府省庁及びAMEDは推進本部の下で協力して健康長寿社会の形成を目指した研究開発を推進してきた。各省庁が所管する関係事業をAMEDにおいて統一的に管理し一貫したマネジメントの下で推進する統合プロジェクト体制で取り組み、第2期の計画では、モダリティ等を軸とする6つの統合プロジェクトに再編して、横断的な技術や新たな技術を多様な疾患領域に効果的・効率的に展開する体制を強化した。

第2期の期間中<sup>6</sup>には、AMEDが支援した課題から40件の薬事承認が得られ、シーズの企業への導出件数は434件に上るなど、研究開発成果が社会価値へとつながりつつある。基礎から応用までの各フェーズも着実に進展し、当該期間中に、非臨床PoC（Proof of Concept；有効性確認）の取得357件、論文6千本以上の成果が得られている。

また、第2期の計画と前後して発生した新型コロナウイルス感染症によるパンデミックへの対応として、AMEDは既存の予算や調整費、補正予算等を活用して総額1,515億円を超える研究開発支援を行い、4件のワクチン、23件の医療用検査薬、2件の医療機器の承認につなげてきた。令和4（2022）年3月には、「ワクチン開発・生産体制強化戦略（令和3年6月1日閣議決定。以下「ワクチン戦略」という。）」に基づく先進的研究開発戦略センター（SCARDA）をAMED内に設置し、感染症有事に備えた研究開発や人材育成、国際連携等を進めている。

さらに、第2期の期間中に、創薬ベンチャーエコシステム強化事業や大学発医療系スタートアップ支援事業が開始されたところであり、第3期の期間中の進展が期待される。加えて、第2期中に推進したインハウス研究の成果を踏まえつつ、第3期の期間中も医療分野のインハウス研究を推進する。

（課題）

---

<sup>5</sup> PPI（Patient and Public Involvement）は、医療研究開発のプロセスにおいて患者・市民の知見を参考にするものである。医療研究開発に対する社会からの理解を促進させ、研究開発を進める上で新たな視点と価値が得られる重要な取組である。

<sup>6</sup> 2020～2023年度の4年間の集計

我が国の医薬品産業等の国際競争力低下や、創薬シーズ創出等それらの源泉となるライフサイエンス研究の研究力の低下、ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロス等の問題が指摘される状況があり、解消に向けて、出口志向の研究開発の推進、国際水準の臨床試験実施体制の整備、新規モダリティの国内製造体制の整備、絶え間なくシーズを創出し育成する取組が必要とされている。具体的には、革新的医薬品候補のFIH（First In Human）試験を実施できる国際競争力ある臨床試験体制の整備、臨床研究中核病院の承認要件の見直し、治験薬・バイオ医薬品の製造体制の整備や人材の育成や確保、大学病院の研究開発力強化など、国際水準の研究開発環境の実現に取り組む必要がある。

創薬シーズ創出やバイオテクノロジー開発の源泉であるライフサイエンス研究は、疾患の予防・診断・治療法開発等を通じた健康寿命の延伸等を通じ、人類の福祉や産業競争力の向上に資する重要な研究分野であり、我が国の研究力に大きな役割を果たしているが、国際的に見るとハイインパクトな論文数に占める日本のシェアは低下しており、研究力低下が深刻であるとの懸念も示されている。

また、革新的なシーズの創出から実用化に向けた有望なシーズの企業への導出まで、関係府省庁の補助事業の間で切れ目なく連続的に支援することが求められている。

他方、医療機器については、我が国において画像診断装置を中心に診断用医療機器の国際競争力は有しているが、治療用医療機器の国際競争力は比較的低く、医療機器貿易赤字の多くが治療用医療機器に由来していることが指摘されている。海外製品のみ依存するのではなく、国内での治療用医療機器開発の強化が必要である。

さらに、感染症有事に備え、新興・再興感染症や未知の病原体の出現に対してワクチン、診断薬及び治療薬・検査機器・治療機器の開発・供給が迅速に行われるよう、平時からの体制整備と研究開発力の強化を進めておく必要がある。

## 2. 医療分野研究開発等施策についての基本的な方針

医療分野研究開発等施策の推進目的は、国民が健康な生活及び長寿を享受できる社会（健康長寿社会）の形成である。実現に向けて、先端的な科学技術を用いた医療、革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品等を用いた医療その他の世界最高水準の技術を用いた医療の提供に資する研究開発を推進する。さらに、その成果が国内のみならず海外でも実用化されてグローバルな健康長寿への貢献や我が国の産業競争力強化にも資するよう考慮しつつ、以下の方針で取り組む。

- 基礎から実用化までの一貫した研究開発の加速

AMED による支援を中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について、絶え間なく創薬シーズが創出されるよう、基礎研究を継続的・安定的に支援するとともに、実装には戦略的な知財保護が重要との認識を浸透させ、出口志向性を強化して成果の実用化を加速する。第2期までの取組と成果に鑑み、第3期も引続き統合プロジェクトを編成して推進する。また、全統合プロジェクトに共通して、伴走支援の強化、DXの推進、国際展開に取り組む。

基礎研究・応用研究から臨床研究の各段階においてシーズを企業に導出することを含めた社会への還元の視点を持つよう努め、各府省庁事業間をつなぐ支援の仕組みを整備することとし、所要の体制強化を行う。

#### ○ 統合プロジェクトの再編

第2期医療分野研究開発推進計画の下で新たな医療技術等を様々な疾患に効果的に展開する取組が進展していることから、統合プロジェクトについて、モダリティ等を軸とする現行の枠組みをベースにしつつ、社会の要請や情勢の変化を踏まえて再編する。具体的には、モダリティ別に編成した医薬品プロジェクト、医療機器・ヘルスケアプロジェクト、再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトを維持しつつ、感染症有事に備えた対応、臨床試験段階の研究開発活動の強化、スタートアップが仲介するエコシステム形成の促進及び全ての源泉となる革新的なシーズ創出に向けた取組の強化等の観点で、全体構成を再編する。再編に際しては、現場の研究開発活動の安定性や継続性にも配慮して導入する。

#### ○ 最先端の研究開発を支える環境の整備等

臨床研究中核病院等の拠点の活性化、ウイルスベクター、放射性医薬品、バイオ医薬品を含む新規モダリティの治験薬国内製造体制の強化など施設・設備の整備・共用を促進する。

アカデミアにおける医学研究の中核的機関である大学病院・医学部（医学系の研究科を含む）において、研究時間の確保や研究者の多様性・流動性の向上を推進し、研究開発力を強化する。

創造性に富んだ研究、その実用化、異分野・融合研究への挑戦等を高いレベルで推進する人材力を強化し、イノベーションの種を創出する基礎研究を充実させ、バイオバンク・データベースなどの研究基盤の整備を総合的に進めて、骨太の研究推進体制を確立する。

#### ○ 感染症有事に備えた対応

統合プロジェクトに新たに感染症プロジェクトを立ち上げ、内閣感染症危機管理

用統括庁の取組と整合を取りつつ、SCARDA 等の AMED による研究開発の推進と国立健康危機管理研究機構の活動との連携も見据え、有事の際に必要な研究開発等に迅速に着手できるよう準備を進める。SCARDA をはじめとするワクチン戦略に基づく感染症有事に備えた取組も含め、ワクチン、診断薬・治療薬・診断機器・治療機器の開発体制の整備に取り組む。

### 3. 集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策

#### 3.1 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

##### (1) 医療分野の研究開発の一体的推進

(◎健、総、文、厚、経、こ)

他の資金配分機関、各府省庁直轄で行う関連施策、インハウス研究機関、民間企業とも連携しつつ、AMEDによる支援を中核として、医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進する。

AMEDは、資金配分機関として、国が定めた戦略に基づき、科学研究費助成事業等で生まれたシーズも活用しつつ、医療分野の実用化のための研究開発を基礎段階から一貫して推進する。

各インハウス研究機関も医療分野の研究開発を行っており、AMEDの研究開発支援とも適切に連携を図りつつ、全体として戦略的・体系的な研究開発を推進していく。

AMED及びインハウス研究機関が推進する医療分野の研究開発について、医療分野の研究開発の一体的推進を図るため、関連予算を戦略的・重点的に配分するよう、推進本部は、有識者の意見も踏まえつつ関係府省庁・機関に対して一元的な予算要求配分調整を実施する。

また、医療分野の研究開発に関連する他の資金配分機関、インハウス研究機関及びAMEDの間で情報共有・連携を十分に確保できる関係を構築する。

##### (2) インハウス研究開発

(◎健、文、厚、経)

関係府省が所管するインハウス研究機関が行っている医療分野のインハウス研究開発については、推進本部の事務局、関係府省、インハウス研究機関及びAMEDの間で情報共有・連携を確保するとともに、推進本部の有識者会議やAMED等の有識者の意見を伺いつつ、研究開発の進捗状況の把握や資源配分の方向性の取りまとめなど、一元的な予算配分要求調整を推進本部において実施する。関係府省は、インハウス研究機関への着実な資源配分を行うとともに、医療分野のインハウス研究開



発の研究開発活動と、AMED が支援する研究開発活動の連携が促進されるよう、各機関の活動状況について、以下の項目を含めて情報を共有し、意見交換を行う。

- ・各インハウス研究機関が重点的に取り組む医療分野の研究開発活動計画。
- ・各インハウス研究機関における主な共用・提供可能なリソース。
- ・各インハウス研究機関における主な活動実績・事例。特に優れた連携事例については、取組モデルとして各機関に共有し、水平展開を促す。

また、AMED 支援研究とインハウス研究の研究開発現場における連携協力を促進し、実用化に向けた産学官の連携や異分野融合を誘発するよう、各機関は共同での情報発信の充実、研究者同士の交流機会の増進に取り組む。

### (3) 8つの統合プロジェクト

第1期、第2期計画の成果をふまえ、本計画においても、統合プロジェクトにより一元的な管理を行う。

本計画が実施する統合プロジェクトは、第2期の編成をベースとしつつ、実用化志向性の更なる促進、第2期の期間中に発生した感染症有事を踏まえた対応の必要性、第2期の期間中に造成された基金で実施する事業の統合プロジェクトとの一体的推進等を勘案し、以下①～⑧のとおり定める。この枠組みで AMED による支援を中核として研究開発を推進する。

- ① 医薬品プロジェクト
- ② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト
- ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
- ④ 感染症プロジェクト
- ⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト
- ⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト
- ⑦ 橋渡し・臨床加速化プロジェクト
- ⑧ イノベーション・エコシステムプロジェクト

#### ① 医薬品プロジェクト

(文、◎厚、経)

国民に最新の医薬品を速やかに届けるため、創薬標的の探索から臨床研究・治験に至るまで、幅広い研究開発を行う。また、アカデミアやスタートアップに対する絶え間ないシーズ開発支援により、革新的な新薬の創出を目指す。さらに、創薬研

究開発に必要な高度解析機器・技術支援基盤及び大規模生産を見据えた製造技術基盤の構築や創薬エコシステムを構成する人材の育成・拡充など、研究開発力の向上に向けた環境整備に取り組み、持続可能な創薬力の強化を目指す。

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

- ・ 疾患の発症や進展に関するメカニズムに着目した創薬標的の探索
- ・ ライフサイエンスやアカデミア創薬の研究の推進に資する、高度解析機器の効率的かつ効果的な運用や空間オミックス解析等の様々な研究を担う高度専門人材の育成
- ・ バイオ創薬に必要な要素技術の組み合わせによるモダリティの高機能化や、要素技術と創薬シーズの組み合わせによる革新的なバイオ医薬品の創出
- ・ 各種モダリティに対するDDS (Drug Delivery System) 開発、送達性・集積性等薬物動態解析評価系の開発
- ・ 量産を見据えた、核酸・抗体医薬、マイクロバイーム制御治療等のバイオ医薬品の製造技術及び核酸医薬等の薬剤の送達技術の実用化のための研究開発
- ・ 精度管理と再現性が確保された薬効試験データに基づく実用化支援、モダリティや疾患領域に応じた企業導出の伴走支援
- ・ 創薬ターゲット予測とシーズ探索等の初期創薬研究に活用できるAI技術並びに複数のAIの統合によるプラットフォーム化
- ・ 小児等を対象とした臨床研究や医師主導治験
- ・ アンメットメディカルニーズに応える新たな治療薬や治療法等の研究開発
- ・ がんの生物学的な本態解明やゲノム情報など患者の臨床データに基づいた研究及び基礎研究への重点支援による画期的なアカデミアシーズの創生・育成を推進
- ・ より多くの難病を対象にした、疾患レジストリを用いたリアルワールドエビデンスの創出
- ・ 希少疾患治療法の臨床開発のためのDX、特にDCT (Decentralized Clinical Trial) の推進

## ② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

(総、文、厚、◎経)

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、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、グローバル市場獲得を目指すためには、臨床研究によるエビデンス確立及び競争力強化推進の観点が必要であること、治験に依らないヘルスケア機器等においては、普及を見据えてエビデンス構築の観点が重要であることにも留意する他、スタートアップや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み、「国民が受ける医療の質の向上のための医療機器の研究開発及び普及促進に関する基本計画（第2期）」（令和4年5月31日閣議決定）で定める重点5分野（健康無関心層の疾病等予防、診断の一層の早期化、個別化医療に向けた診断と治療の一体化、高齢者等の身体機能の補完・向上、医療従事者の業務効率化に資する医療機器の研究開発）を踏まえながら、革新的な医療機器やSaMD等に重点を置いて、出口志向で海外市場への展開も視野に入れた医療機器の創出を進める。

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

- ・ グローバル市場獲得を目指す医療機器開発、規制対応及びこれらに対応するためのネットワーク構築等に対する支援
- ・ 開発リスクが高く着手が難しいクラスⅢ・Ⅳに分類される医療機器開発
- ・ 革新的な治療用医療機器の開発に取り組むスタートアップに対する、大手企業等との連携支援や臨床試験等の開発支援
- ・ 疾患登録システム（患者レジストリ）を活用した医療機器開発
- ・ 医療機器に関して、医療機関やものづくり企業、医療機器メーカーが連携して拠点を築き、そこでエビデンス構築及び実用化を推進する体制の整備
- ・ 医療機器の安定供給に向けた、開発・製造体制の整備
- ・ プログラム医療機器（SaMD）の早期実用化に向けた研究開発・環境整備
- ・ 介護現場の生産性向上に向けて、介護テクノロジーの開発・普及を促進するとともに社会実装を支援
- ・ アカデミア等からの異分野を含む幅広いシーズ探索、研究者が持つ独創的な技術シーズを革新的な医療機器・システムにつなげる研究開発や事業化・実用化に向けた伴走支援
- ・ 予防・健康づくりの特色を踏まえたエビデンスの構築・整理、サービスの実用化を推進する研究開発・体制整備
- ・ 関連事業との連携などにより、保健事業やヘルスケアサービスの創出を推進

### ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

#### (◎文、厚、経)

我が国に強みがある再生医療をはじめとする再生・細胞医療・遺伝子治療分野から、新たな医療技術になりうる革新的なシーズの発掘・育成、将来的な実用化を見据えた基礎的・基盤的な研究開発の強化、新たな医療技術の臨床研究・臨床試験の推進、これらの医療技術の製品化に向けた研究開発、細胞・ベクターの製造基盤強化（国産のウイルスベクター産生細胞樹立及び産業化を含む）、我が国発の基盤技術開発及びCDMOへのノウハウ蓄積、若手研究者を含む人材育成、新規市場開拓を目指した取組等を進め、有効な技術を実用化につなげる。そのため、再生・細胞医療と遺伝子治療を一体的に取り組む融合研究の推進や臨床研究拠点の整備を進めるとともに、革新的な研究開発・基盤整備を進める。また、再生医療技術を応用し、医薬品の安全性等を評価するための創薬支援ツールの開発も進める。

特に、以下のようなテーマ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
- ・ 萌芽的なシーズの発掘・育成等につながる研究開発の推進
- ・ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究の推進
- ・ 臨床用ウイルスベクター製造基盤を整備し、既存技術に基づいたベクター製造開発の推進
- ・ 再生・細胞医療・遺伝子治療の臨床研究の裾野を広げるため、大学病院等による臨床研究支援や医療機関間連携体制の強化と推進
- ・ オルガノイド（ミニ臓器含む）、異種移植等を含め、革新的な治療手法となりうる新規技術の研究開発の推進
- ・ 「希少性」、「原因不明」、「効果的な治療方法未確立」、「生活面への長期にわたる支障」を満たす希少難治性疾患の克服を目指した画期的な診断・治療・予防法の開発の推進
- ・ 遺伝子治療用医薬品の製造拠点の拡充（拠点数、製造キャパシティ、人材育成）
- ・ 再生医療等製品について、国内における製造体制の整備を推進
- ・ がん研究10か年戦略（第5次）を踏まえ、非ウイルス性遺伝子改変CAR-T細胞療法等の次世代医療提供の促進を見据えた非臨床試験及び医師主導治験の加速
- ・ 再生医療技術を応用し、様々な細胞から臓器を模擬し、医薬品の安全性等を

評価するための創薬支援ツールの開発

- ・ 高品質かつ安価な遺伝子治療薬を製造するために必要な国産の治療用ベクターや遺伝子改変細胞の製造技術の開発や製造関連人材の育成
- ・ 企業等が目指す再生・細胞医療・遺伝子治療の製品開発におけるCDMOと連携した製造プロセス開発や評価手法の開発
- ・ 次世代iPS細胞の自動化製造技術に関する研究開発、及び再生医療、遺伝子治療の製造プロセス開発・製造に汎用可能な自動化プラットフォームの開発

#### ④ 感染症プロジェクト

(健、文、◎厚、経)

新興・再興を含む幅広い感染症の研究を推進するとともに、エイズや肝炎についての新たな知見を獲得し、予防法・治療法等の開発を促進する。新型インフルエンザ等対策特別措置法（平成24年法律第31号）が対象とする感染症の診断薬・治療薬・ワクチンについては、平時に市場の需要がなく、感染症の発生時期や規模等についての予測もできないことを踏まえ、他の疾患領域とは異なる観点からの研究開発支援が必要である。

新型インフルエンザ等対策政府行動計画（令和6年7月2日閣議決定）を踏まえ、令和7年4月に設立される国立健康危機管理研究機構と連携し、今後のパンデミックを見据えた研究開発基盤の強化を行う。加えて、平時に発生する感染症に対する医薬品等の研究開発も極めて重要であり、その基礎となる科学的知見の創出及び社会実装も見据えた研究開発にも取り組む。

さらに、ワクチン戦略に基づき、緊急時の迅速な開発を念頭に、平時からワクチンの研究開発体制を構築し、産学官連携による研究開発を促進するSCARDAの取組と感染症対策領域における取組との密接かつ一体的な運用を推進する。SCARDAにおいては、世界トップレベル研究開発拠点の形成による、出口を見据えた研究開発や重点感染症に対するワクチン開発を通じ、国産ワクチンの開発に資する研究開発を基礎研究から実用化までシームレスに推進する。また、感染症有事の際に研究開発等に迅速に着手できるよう、平時から国内外の関係機関との連携体制の構築と有事に備えたシミュレーション・訓練を行う。

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

- ・ 海外研究拠点の整備及び、当該拠点の活動で得た検体・情報等を活用した研究や多分野融合研究等への支援を通じた幅広い感染症を対象とした基礎研

究と人材育成等を推進

- ・ BSL4施設を中核とした感染症研究拠点に対する研究開発及び研究開発環境の整備に関する支援や、感染症流行地の研究拠点におけるリスク分析・評価に資する疫学研究、病原体研究による創薬標的の探索等、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
- ・ 薬剤耐性（AMR）を含め、ワンヘルス<sup>7</sup>・アプローチに基づく対策に資する研究、重点感染症に対する危機対応医薬品等（MCM）に関する研究、感染症臨床研究ネットワークを活用した研究をはじめ、感染症対策の総合的な強化を目指した、感染症に関する広範囲な病原体の生物学的なリスク評価に資する基礎研究や基盤技術の開発、および診断法・治療法・予防法の開発等の実用化研究の推進
- ・ HIV感染症の新規ワクチン・治療薬開発、新規治療戦略を踏まえたHIV感染の機構解明、HIV関連病態の解明と治療法開発、肝炎のウイルスによる病原性発現の解析、発がん機構の解明や治療・予防法に関する研究の支援、B型肝炎ウイルス感染の治療法の確立
- ・ 新興・再興感染症の発症機序等に関する研究
- ・ 国立健康危機管理研究機構における、感染症有事において必要な科学的知見を政府に速やかに提供するための体制の確保及び国際共同治験への参画を含めた、基礎研究から臨床試験等までを一気通貫で進める体制構築
- ・ 国立健康危機管理研究機構と、ASEAN感染症対策センターおよびアフリカ疾病予防管理センター等との連携を推進
- ・ 新興・再興感染症に対し、研究開発に必要な病原体・検体等を速やかに入手・分与するためのネットワークの構築
- ・ 感染症有事に向けたワクチンの大規模臨床試験等を国際共同を含め実施できる体制の構築
- ・ 感染症有事におけるワクチン開発を目的とした世界トップレベル研究者の継続的な雇用及び世界的なワクチン研究開発拠点の確立等の体制の構築

---

<sup>7</sup> 動物から人へ、人から動物へ伝播可能な感染症（人獣共通感染症）は、すべての感染症のうち約半数を占めている。また、抗菌薬の不適切な使用を背景とした人、動物、食品、環境等における薬剤耐性（AMR）を持つ細菌の出現が、国際社会で大きな課題となっている。人や動物の健康と、それを取り巻く環境を包括的に捉え、関連する人獣共通感染症などの分野横断的な課題に対し、関係者が連携して取り組む概念を「ワンヘルス（One Health）」という。

- ・ 政府による重点感染症に関するワクチンの応用研究や第Ⅱ相までの臨床試験のための研究開発の推進
- ・ 異分野からのシーズの取り込みも含めた、ワクチン開発に資する新規モデルの研究開発の推進
- ・ バイオ医薬品開発（CMC）・製造人材育成の加速
- ・ 感染症有事に備えたワクチン製造方法の技術改良研究の推進
- ・ 感染症有事に備えたワクチン製造販売業者とCDMOとの連携構築

## ⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト

（健、総、◎文、◎厚、経、こ）

がん、難病、認知症等の疾患レジストリ、ゲノム・コホート研究で得られた成果や検体に関する情報をデジタル化した加工データ基盤の整備・利活用を促進し、ライフコースを俯瞰した疾患の発症・重症化予防、病態解明、診断、治療等に資する研究開発を推進することで、ゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。また、医療分野の研究開発等におけるデータ利活用を加速するようデータ基盤整備に取り組む。特に、AMEDが支援した研究開発で得られたデータを共有する仕組みを整備し、運用する。

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

- ・ データの利活用を介した病態の解明、実用可能な予防法・診断法・治療法の新規開発に向けた研究及び臨床試験等の推進
- ・ 生殖・妊娠期から老年期までのライフコース視点や性差に基づく健康課題対策に資する研究開発
- ・ ゲノムデータ基盤の整備・発展・利活用の促進（バイオバンク等におけるゲノム情報を含むマルチオミックスデータの収集・整備を含む）
- ・ 「がん・難病全ゲノム解析等実行プログラム」に基づく、がん・難病に係る創薬推進
- ・ 多層的なデータを活用したがん治療等における臨床上の課題解決に繋がる研究の推進
- ・ 病態解明を含めたゲノム医療、個別化医療の実現に向けた出口を見据えた研究開発
- ・ ゲノムデータや臨床情報といった種々の情報を組み合わせた、異業種・異分野の研究者の知を融合する統合的な研究開発

- ・ データマネジメント（研究開発によって生み出されたデータの質を担保しつつ、適切な扱いがなされるための取組）の推進
- ・ バイオバンク等に蓄積されているゲノム配列等の情報や、現在の技術では個人を特定することができない新たな多層オミックス解析等のデータ等に加え、AMED研究から生み出された社会的要請が高い臨床研究データ等を順次連携可能とし、一体的に活用できるプラットフォームの構築を推進
- ・ 認知症の基礎研究、地域社会におけるコホート研究、治療薬投与者追跡レジストリ研究を通じたゲノム・バイオマーカー研究、認知症のステージに対応した研究、臨床研究プラットフォーム（基盤）研究等を推進し、前臨床期（プレクリニカル期）から発症後進行に至るライフコース全体を通じた、認知症疾患の早期発見、予防・病態解明・創薬・新規診断・治療の社会実装等に包括的に取り組む研究開発
- ・ 希少疾患のレジストリや、医療分野の研究開発に資するための匿名加工医療情報及び仮名加工医療情報に関する法律（平成29年法律第28号。以下「次世代医療基盤法」という。）に基づく医療データベースを活用したリアルワールドエビデンスの創出や診療に直結するエビデンス創出を目指す研究開発
- ・ 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
- ・ 外科医の優れた手術手技等の無形の医療技術のデータ化・定量化を通じた人材育成プログラムの構築や手術支援システム等の革新的な医療機器等の開発に資する基盤の整備
- ・ 医工連携および産業界との連携による、AI技術を活用したエビデンス創出や医療機器プログラム等の研究開発及び医療現場への実装を推進
- ・ 遠隔医療・オンライン診療の効果的かつ質の高い臨床応用の手法の開発と適正で幅広い社会実装に向けて、具体的な活用場面を想定したエビデンスを蓄積するための研究を推進
- ・ 休薬・減薬を含む効果的・効率的な治療に関する研究の推進

## ⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト

（健、◎文、厚）

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推進するとともに、先進国や政策上重要な国々等との国際共同研究を強化する。また、基礎と臨床、アカデミ



アと産業界の連携を強化して、神経疾患・精神疾患の画期的な診断・治療・創薬等シーズ開発に向けた基礎研究を推進する。その上で、異分野融合、他事業連携を促進し、上記①～⑤のプロジェクトに将来的に繋がりを有するような、モダリティの多様化に対応する革新的シーズを創出・育成する。

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

- ・ 社会に貢献する脳科学を目指し、ヒトの高次脳機能の解明のための研究開発・基盤整備を行うとともに、ヒト脳の数理モデルや病態モデルの開発、デジタル空間上での再現等に向けた研究に取り組むことにより、臨床等での社会実装の実現を目指した神経疾患・精神疾患の診断・治療・創薬につながる基礎研究を推進
- ・ 国が定めた目標の下、新たな研究開発領域において、革新的な医薬品や医療機器、医療技術等に繋がる画期的シーズの創出・育成に向けた先端的研究開発を推進し、有望な成果について研究を加速・深化するとともに、異分野との連携や出口を意識した研究を牽引できるような優秀な若手研究者を育成
- ・ 100歳まで健康不安のない未来社会を展望し、実現に向けてムーンショット型の研究開発を推進
- ・ 国際頭脳循環の推進、世界最先端の研究活動への参画。加えて、人材交流による国際的な研究プレゼンスの維持・向上
- ・ 研究成果の国際展開を目指した、地球規模課題の解決に資する我が国と開発途上国間の国際共同研究の推進、我が国の先端的な科学技術を活用した二国間・多国間の科学技術協力等による科学技術外交への貢献
- ・ 低・中所得国の健康・医療問題改善に向け、わが国発の医療機器・医療技術・医療システム等の海外展開推進のための実装・臨床研究を推進
- ・ 1965年の日米両首脳合意に基づく日米医学協力計画を基軸とした汎太平洋地域にまん延する疾病等に関する研究活動、若手・女性研究者育成及び国際連携の推進

## ⑦ 橋渡し・臨床加速化プロジェクト

(◎文、◎厚)

「革新的医療技術創出拠点」の機能を活用して基礎研究から臨床試験段階までの一貫した橋渡し研究開発支援を行うシーズ研究費事業等を引き続き実施するとともに、臨床研究中核病院について、国際共同治験の能力を強化するよう国際水準の

臨床試験実施体制の整備を進める。

また、医療への実用化を加速するため、医療系スタートアップ伴走支援等の取り組みを強化する。

さらに、先端的な医療や臨床試験を実施する大学病院等の研究開発力の向上に向けた環境整備を推進する。さらに、臨床研究中核病院の特色化と高度化を図る。

並行して、ニーズの高い疾患に対する標準的な薬効評価体制の構築や、国際規制調和の最新の動向を考慮しつつ、医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する評価法等に関する研究を実施する。

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

- ・ 国際的な競争力獲得のための臨床試験等の研究開発
- ・ 「医療DXの推進に関する工程表」に基づく政府各関係機関の取組と連携し、治験DX、特にDCTの推進に取り組む。また、FIH試験実施に向けた支援を充実するため、橋渡し研究支援機関の活用・強化を図る
- ・ 橋渡し研究支援機関を核とした異分野融合及び産学連携による研究開発の推進
- ・ アカデミア等の優れた研究シーズの発掘、臨床研究・実用化への効率的な橋渡し研究の推進
- ・ 革新性が高く実用化までのリスクが高いアカデミア発シーズのスタートアップを介した研究開発の推進

## ⑧ イノベーション・エコシステムプロジェクト

(健、◎経)

創薬ベンチャーに対する非臨床試験段階から臨床試験段階までの研究開発及びベンチャーキャピタルによるハンズオン支援を強化するとともに、産学連携による研究成果の実用化を推進し、革新的新薬のグローバル開発、さらには我が国が世界の創薬エコシステムの一部として機能することを目指す。その際、他のプロジェクトの成果が着実に実用化につながるようプロジェクト横断的に出口戦略を見据えた連携を模索する。

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

- ・ 産学官が参画するオープンイノベーションにより、単独のアカデミアや企業では取り組みにくい領域における社会実装に向けた基盤的な研究開発の推進

- ・ 非臨床段階から臨床試験段階までの開発段階にある創薬ベンチャーが実施する実用化開発の支援
- ・ 他のプロジェクトとの連携を含む実用化の推進（実用化に向けた開発支援の在り方の検討を含む）

#### (4) 疾患領域に関連した研究開発

##### (◎健、総、文、厚、経、こ)

統合プロジェクトとは異なる観点で、疾患領域に関連した研究開発については、多様な疾患への対応や感染症等への機動的な対応が必要であることから、第2期と同様に疾患領域別のマネジメントを導入し、モダリティ等の統合プロジェクトを横断する形で、特定の疾患ごとに柔軟なマネジメントを行う。

第3期では、第2期に引き続き、がん、難病の視点でプロジェクトを横断して連携協力を調整する体制を構築するとともに、生活習慣病、神経疾患・精神疾患、老年医学・認知症、成育、歯科口腔保健については、各疾患に注目しつつ、ライフコースの視点で全体的なマネジメントを導入して研究開発を推進する。

これら疾患領域に関連した研究開発においては、各プロジェクトにまたがる研究課題間の連携が常時十分に確保されるように運用する。AMED においては、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。そのため、それぞれの疾患領域に豊富な知見を有する疾患コーディネーターを配置し、領域ごとに管理する。また、AMED は研究課題採択後に予算規模や進捗状況等を把握・検証し、その概要について対外的に明らかにするほか、関連する調査分析を行い、関係府省庁に提供し、施策や事業の検討等の参考に供する。

特に以下のようなテーマに重点的に取り組む。

##### (がん)

「がん研究10か年戦略（第5次）」等を踏まえた以下の研究開発の推進に取り組む。

- ・ 新たなリスク要因の同定やリスク層別化に基づく1次予防の推進、及び高リスク層の同定や新たな早期発見手法の活用による2次予防の推進など「がんの予防」に関する研究開発
- ・ 個別化医療を更に推進する診断技術の開発、新たな医療技術やそれらを活用した新規薬剤・治療法の開発など「がんの診断・治療」に関する研究開発
- ・ 希少がん、難治性がん、小児がん及びAYA世代（Adolescent & Young Adult（思春期・若年成人））のがん、高齢者のがんなど、ライフステージやがんの特

性に着目したがんの研究開発

- ・ がんの本態解明やシーズ探索・育成等の基礎的研究開発の推進、バイオバンク・データベースの整備と利活用の促進など、がんの予防、がんの診断・治療の開発等を促進するための分野横断的な研究開発

(難病)

難病、希少疾患等の国が開発を推進すべき疾患に対する研究開発の取組を継続し、発展させることが重要である。難病の病態解明や治療法の開発研究は、その患者数が多い一方で疾患ごとの患者数が少ないという特性の中で行う必要があり、企業が開発に着手しにくいという制約への対応も求められる。難病のなかでも極めて患者数が少ない超希少疾患では、国際共同研究や国内外のスタートアップ企業との国際連携による実用化研究を進める必要がある。また、創薬を念頭においた国際共同研究については、国内外のファンディングエージェンシーが協働して戦略的に研究を支援する体制を構築していく必要がある。

- ・ 個別の難病に関する画期的な診断・治療・予防法の開発には、それぞれの病態解明や診療のガイドラインに直結するエビデンス創出が求められるため、ゲノム情報や臨床情報等の蓄積と共有に取り組む。
- ・ 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を推進する。

(ライフコース)

以下の疾患に着目した研究開発推進のマネジメントを行う。

- ・ 認知症研究については、病態解明、創薬研究、臨床研究の三段構えで取り組む。病態解明の観点から、ヒトを対象とする基礎研究を支援するとともに、アルツハイマー病 (AD) および非AD認知症において、客観的で簡便な早期診断法・治療効果測定法に資するバイオマーカーの探索・開発・検証を推進する。創薬標的から創薬シーズの創出とモデル動物等を用いた薬効評価・毒性評価を行い、その非臨床PoC取得を目指す。AD新薬である抗アミロイドβ抗体薬の効率的かつ最適化使用に向けたアミロイド関連画像異常 (ARIA) の発生メカニズムの解明研究、地域コホートやレジストリ臨床情報等の利活用を通して、発症リスク因子やARIAリスク因子を同定する研究、認知症診療に資するバイオマーカーの開発と病態層別化等の臨床研究の推進を通して認知症治療体制の支援を包括的に推進する。
- ・ 神経疾患・精神疾患等の課題の克服やイノベーションの創出に向けて、実験

動物、多種・多次元・多階層データ等を活用し、脳の高次機能のダイナミクス解明や神経疾患・精神疾患に関する病態メカニズムの解明を進め、画期的な診断・治療等のシーズ開発につなげていくための研究を推進する。

- ・ 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を推進するとともに、薬事承認を目指した、医薬品・医療機器の研究開発を推進する。
- ・ 慢性疼痛の機序解明及び、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の開発を推進する。
- ・ 成育、小児・周産期、女性を中心に、将来世代への影響も考慮した負担の少ない不妊治療、胎児治療及び周産期合併症に対する治療を含む周産期及び小児の医薬品等の開発、こども及び妊産婦のメンタルヘルスの改善に向けた研究開発を推進する。また、性差や女性ホルモン等の影響による健康課題への対策等に資する研究、医療データを活用した女性特有の疾病等の予防及び治療に資するエビデンス創出と新たな介入方法の開発に取り組む。
- ・ 循環器疾患・糖尿病等の生活習慣病や、免疫アレルギー疾患等の様々な疾患を対象に、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研究開発、各個人に最適な糖尿病の重症化予防方法及び重症化後の予後改善、QOL向上を推進する。
- ・ 高齢者が老いや高齢者特有の疾患等を抱えつつも、その人らしい生活を送るために、適切な医療・介護による支援を目指して、介護を要する状態とならないような予防策や、重度化を防止する方法等の研究開発、医療・介護人材の確保がさらに難しくなることが予想される中、効率的かつ質が担保された医療・介護の提供するための研究開発（介護手法の開発、バイオマーカー開発、メカニズム解明等）を推進する。

## (5) 全8統合プロジェクトに共通する取組

### (◎健、総、文、厚、経、こ)

研究開発の実施においては、上記①～⑧の全統合プロジェクトに共通して、以下に取り組む。これらを包括的に推進するため、研究開発の支援等を一元的に管理するAMED及び内閣府健康・医療戦略推進事務局、並びに各事業を所管する府省庁が

連携・協力して調整を図る。

### ① 基礎から実用化までの一貫した研究開発の加速

#### ○ 伴走支援機能の強化

近年、医療分野の研究開発は、水平分業型の創薬モデルが世界の主流になり、アカデミアに対して、開発フェーズの進んだ完成度の高い医療シーズの創出も期待される<sup>8</sup>。また、研究開発の早い段階から海外市場への展開を考慮した取組も求められている。創薬や事業化の経験がないアカデミアが良質なシーズを開発するため、AMEDの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）の活動を活かしつつ伴走支援を強化する。

- ・ 医療分野の研究開発に特有の知財戦略や企業連携に関する専門人材を確保し、サポート体制の強化に取り組む。
- ・ 企業ニーズも踏まえたオープン・クローズ戦略に基づき、特許取得及び周辺技術の権利化、周辺データの取得・整備をはじめ薬事承認申請を見据えた必要事項の特定と準備、上市時期と特許期間のバランスを考慮した出願タイミング、市場性の見通しや将来の国際展開（国際共同治験等）等、実用化に向けて必要となる様々な業務についての助言を行う。特に後述する「ペアリング」「マッチング」の対象案件など特に有望なシーズについては、能動的な支援を行う。
- ・ 薬事承認の申請経験も持つような企業人材・投資家等のプロジェクトマネジメントへの活用を検討し、可能なものから実施する。
- ・ 伴走支援体制は原則として統合プロジェクト単位で整備し、研究に関する助言や実用化に必要な業務の助言に加え、必要に応じて、関連する専門家及び施設の紹介や協力の調整を行う。また、AMEDは、伴走支援者に対する情報提供など、伴走支援者がより効果的に活動できるよう情報支援を行う。
- ・ 実用化に向けた進捗状況を適切に評価・把握し、課題の継続の可否について、支援期間中も含め、各課題及び事業の目標に応じた、メリハリのあるGo/No Go判断を行う。ただし、挑戦的な研究に関しては、画一的なGo/No Go判断がかえって研究を阻害する可能性や、方向性を変更することで想定外の成果が得られる可能性があることに留意する。

#### ○ 成果の移転の促進

---

<sup>8</sup> 一方で、「最近では、産業界が、より初期の研究を求める方向になっている」との見方も示されている。

研究開発の成果を実用化によって社会的価値へと発展させるためには、産業界への受け渡しが不可避である。ライセンス、共同研究、研究者自らの起業など、様々な形態により企業導出をより早期に実現するよう、伴走支援を充実する。その際、導出後のシーズが着実に実用化・事業化されるよう、導出先の選定にあたってはwin-winとなるパートナーシップを目指すとともに、導出後の継続的なコミュニケーションやフォローアップを考慮する。

- ・ 成果の実用化において、戦略的な特許出願と獲得は非常に重要な役割を持つ。研究開発成果は、基本的に知財で保護されることによって社会実装されることを研究開発の実施者が十分認識し、知財を戦略的かつ効果的に獲得する必要がある。このため、AMEDは専門の相談体制を整備し、研究者等を支援する。
- ・ 研究開発活動のオープンイノベーションモデルへの転換を促進する。
- ・ 成果移転を促進する観点から、特にイノベーション・エコシステムプロジェクトのスタートアップ強化と他のプロジェクトの連携を推進する。
- ・ 研究開発のより早期の段階から、アカデミア、ベンチャー、ベンチャーキャピタル、製薬企業等の連携を促進する機会を創出し、オープンイノベーションを促進する。企業導出のために有効であった研究開発活動を特定し、AMED支援課題への横展開や、各省補助事業の見直し検討につなげる。

## ② 新規モダリティの創出・育成

従来のモダリティの研究を深化させるとともに新規モダリティの創出、育成、導入及び利活用に取り組む。

- ・ 我が国発の新規モダリティの創出・育成と国際競争力の強化、国際標準化、及び普及展開などへの発展も見据えて研究開発を推進する。
- ・ 各種モダリティ等に対する DDS、評価系の開発、レギュラトリーサイエンス研究を推進する。

## ③ 研究 DX、オープンサイエンスの推進

研究開発の手法として、生成 AI をはじめとした AI 利活用や量子技術の利活用、これらの技術を用いた研究開発の加速（新たな創薬ターゲットの創出、画期的な医療診断システムの構築、データを統合的に利用する技術等）を推進する。また、生成 AI 活用を含めてデータ利用を研究開発の基礎的要件とする研究活動の増加を念頭に、我が国の研究者が、世界に遅れることなくデータを利活用できるよう、あらゆる研究開発の局面で研究 DX を追求する。そのための基盤になるデータ整備、データマネジメントを推進する。

- ・ レギュラトリーサイエンスにおいて、医療DX（AIの利用含む）の進歩を前提とした薬事規制分野のDX化を推進する。
- ・ 学術論文等の即時オープンアクセス、機関リポジトリ等の情報基盤への学術論文及び根拠データ掲載を進め、オープンアクセスの確立を推進する。
- ・ 適切なオープン・クローズ戦略の下、各資金配分機関のデータマネジメントプランの対象になる研究開発で得られたデータについて、できるだけ速やかに公開へ移行できるよう適切な管理を進める。
- ・ 次世代医療基盤法に基づくデータ利活用基盤の整備や社会実装に向けた取組、各統合プロジェクトでの利活用を促す。
- ・ 各統合プロジェクトにおける研究DXの取組について、統合プロジェクトを横断して情報やコア技術を共有する機会を設けることで、AMED事業全体として研究DXを推進する。

#### ④ 国際展開

- ・ 国際的な規制調和、海外との共同臨床試験・臨床試験ネットワーク拡大・グローバル人材の育成、海外への情報発信を推進する。
- ・ 各事業と、シーズ開発・基礎研究プロジェクトで取り組む国際研究開発各事業との連携を推進する。
- ・ 我が国の医療に係る研究能力を活用して国際的に貢献しつつ、世界の知を取り込み、国民への世界最高水準の医療提供に資するため、海外事務所も活用しつつ、共同研究の推進・調整や情報収集を行う。

#### ⑤ その他の取組事項

- ・ 実務生物統計家の必要性に鑑み、育成や確保に資する研究開発活動を奨励する。
- ・ 成果の社会実装段階で、体格や身体の構造と機能の違いなど性差による不適切な影響が及ぶ恐れが生じないように、ジェンダード・イノベーションの概念を取り入れ、計画段階から研究開発のプロセスに性差分析を組み込む等の対応を行う。
- ・ 医療用ラジオアイソトープ製造・利用アクションプラン（2022年5月原子力委員会決定）の取組が医療の観点から経済安全保障の確保に寄与する目的で実施されていることを踏まえ、研究開発における国産ラジオアイソトープの利用を促進する。
- ・ 政府が令和8年度から順次導入する予定の、経済安全保障上の重要技術に関す



る技術流出防止策に対応し、経済安全保障に配慮し研究開発を推進する。

- ・ 研究開発の計画変更が必要な場合の実施可能な範囲と手順を研究実施者及び事務担当者に周知するなどにより、判断の透明性を確保しつつ、柔軟で効率的な研究開発の実施を推進する。
- ・ 研究者が研究開発活動に専念できるよう、研究管理事務の合理化、事務支援者の活用をはじめ、研究時間の確保の取組を推進する。

### 3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

#### (1) 研究基盤の整備

##### ① 臨床研究中核病院等拠点

臨床研究中核病院の特色化と機能強化を推進するとともに、臨床研究中核病院による質の高い臨床研究や医師主導臨床試験の実施、他施設への支援等を促進する。また、治験 DX の実装を進めるため DCT に関する研修の強化等を推進する。

(厚)

アカデミアの優れた研究成果に基づくシーズを切れ目なく実用化するため、基礎研究段階から臨床試験段階まで一貫した研究開発支援を行う拠点となる橋渡し研究支援機関や臨床研究中核病院を整備するとともに、機械工学、情報工学等の関連分野及び拠点外の大学等との更なる連携強化やシーズ発掘・評価機能の向上を行う。(◎文、厚)

次世代医療基盤法をはじめとした医療情報の二次利用の枠組みについて、臨床研究中核病院や国立高度専門医療研究センター等が率先して参画することを促す仕組みを講じる。(健、◎厚)

##### ② 国際水準の治験・臨床試験実施体制の整備

(◎健、総、文、厚、経、こ)

世界に通用する臨床試験成績をいち早く取得でき、特に有望なシーズが国際的な目線で選別される開発環境を構築することが重要であり、我が国の創薬力向上のために、以下の国際レベルの治験・臨床試験が実施できる体制強化を行う。

- ・ 新たに、GMP (Good Manufacturing Practice) 準拠の治験薬製造施設・研究施設を併設する、革新的なモダリティに対応可能な国際的に競争力のある FIH試験実施施設の整備を進めることで、海外発シーズも含む革新的新薬候補の国内での研究開発を促進する。(厚)
- ・ 日本国内に開発拠点を有さない海外スタートアップや企業による国内での

治験・臨床試験の実施を支援し、誘致するワンストップサービス窓口の設置を行う。また、英語で治験・臨床試験の契約・調整、治験・臨床試験全体のマネジメントを行う人材（メディカルスタッフや事務系職員も含む）の育成・配置を支援する。（厚）

- ・ 欧米等で先端的な臨床試験を実施する医療機関等への人材派遣を拡充し、海外の規制当局や企業等との交渉力を高める等により、日本国内で国際共同治験・臨床試験を主導できる人材の育成を強化する。（厚）
- ・ 治験における薬事規制の国際調和を図るため、ICH E6ガイドライン<sup>9</sup>の早期策定及び国内導入を進める。その上で、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）及び臨床研究法（平成29年法律第16号）の両法制度について、可能な限り整合性を確保するため、規制調和の観点から見直しの検討を行う。（厚）
- ・ 日本国内における治験・臨床試験の質を向上し、国際共同治験・臨床試験をさらに呼び込み、実施件数の増加にも対応するため、プロジェクトマネージャー、スタディマネージャー、治験コーディネーター（CRC）、生物統計家、データマネージャー、臨床検査技師、倫理審査・治験事務局担当者等や治験・臨床試験業務に従事する医師、看護師（リサーチナース）、薬剤師等の人材育成を強化する。また、これらの研究支援人材について、能力や役割に応じた適切な処遇やキャリアパスの構築を行う。（厚）
- ・ 国際共同治験・臨床試験を推進するため、アジアを中心とした治験・臨床試験ネットワークの強化を行うとともに、国内での FIH 試験を含む治験・臨床試験のネットワークを強化するべく、臨床研究中核病院、国立高度専門医療研究センター、独立行政法人国立病院機構等の間での知見の共有、人材交流、共同治験・臨床試験の実施等の連携強化を図る。（厚）
- ・ ヒトチャレンジ試験<sup>10</sup>は、海外の一部で実施されているものの、倫理的にも安全性の観点からも課題が指摘されていることを踏まえ、国際的な動向を調査・分析することにより、我が国における導入の必要性について慎重に検討する。（厚）

---

<sup>9</sup> 医薬品規制調和国際会議（ICH）は、各国又は地域の医薬品規制当局と製薬業界の代表者が協働して医薬品規制に関するガイドラインを作成することを目的とした国際会議。ICH E6 は医薬品の臨床試験の実施に関する基準のガイドライン（ICH-GCP）。

<sup>10</sup> いわゆる「ヒトチャレンジ試験」とは、ウイルスなどの病原体を意図的に研究参加者に感染させて、その後の病気の発症や病状の経過を見ていく研究方法。ワクチン等の有効性評価に用いられる場合もある（参考：WHO TRS No. 1004）

- ・ 感染症領域における治験・臨床試験については、ワクチン等の健常者や流行時の感染者を対象とすることなどの特殊性をふまえ、アジア地域等の感染症流行地域とのネットワークを強化し、国際共同治験・臨床試験推進体制構築を進める。（厚）

### ③ 施設・設備

研究開発のインフラである研究開発基盤の整備を、統合プロジェクトによって推進する。研究開発活動の質やスピードは基盤施設・設備の有無やその技術水準、利便性に影響されるため、最先端の設備整備に努めるとともに用途や応用方法を開拓し、共用により、より多くの研究者が利用できる体制を整備する。特に、活動規模が小さく最先端設備や大型設備を使った研究開発が困難になりやすいと指摘される若手の研究者やベンチャー企業等が創造性を存分に発揮できるよう、共用の推進によりアクセスを確保する。

- ・ 重粒子線施設、RI医薬製造用原子炉・加速器施設、放射光施設等の大型研究基盤施設の共同利用・共同研究を促進し、医療応用に向けた研究開発を加速する。また、大型施設に研究目的や専門分野が異なる多様な研究者が集まることに着目し、異分野連携の場としての活用を図る。加えて、共用システムの成果を発展させ、研究機関全体の研究基盤として戦略的に導入・更新・共用する仕組みを強化する「コアファシリティ化」の取組を支援する。（文）
- ・ 世界的に魅力ある研究開発基盤の整備を図り、海外の研究コミュニティとの連携を促進する視点も重要である。（健、文）
- ・ 最先端機器を運用し、適用拡大等により研究の発展を促す専門人材の重要性に鑑み、分野全体として該当する人材を常に一定数雇用する体制になることにも留意して事業運用を行う。（健）
- ・ 最新のAI活用も含めたデータ駆動型研究や、アンダー・ワン・ルーフで融合を実現できる環境の整備を推進する。（健、文、厚、経）
- ・ 研究開発を推進する上で必要となる霊長類等の実験動物について、引き続き安定的な確保に努める。（厚）
- ・ 国内の研究機関における感染症に係る基礎研究能力の向上及び病原体等の取扱いに精通した人材の育成・確保等を図るため、BSL4施設の整備等について、必要な支援を行う。（文、厚）
- ・ スタートアップを外から支えるインキュベーション機能やアクセラレーター機能など各地の創薬クラスターで不足している要素を補うことで、更なる民

間投資の呼び水とし、創薬クラスターの育成・発展を目指す。(厚)

## (2) 推進体制の整備

### ① 研究人材力の強化

医療分野の研究開発を実施し、実用化を目指していくには、新しい医薬品・医療機器等を生み出す創造性に富んだ人材と、医療の実用化に向けてこうした創造的な人材の活動を支える人材が必要である。また、人口減少社会に直面し、人材配置の最適化が不可避と考えられる。異分野間での人材交流によって知の創造を活性化することも重要である。

- ・ 分野横断的な人材の育成、異分野人材の参入を促す。最先端の健康・医療研究分野での人材育成、異分野・融合研究が推進されるよう、数理学、情報科学、統計学分野、人文・社会科学の専門家の呼び込みを図る。その際、異分野挑戦のリスクに報いる待遇面の改善も含めて支援方策を検討する。
- ・ 我が国の研究者が世界最先端の研究活動へ参画できる機会を設けるなどにより国際競争力のある若手研究者の育成に取り組むと同時に、我が国の研究者が国際頭脳循環に参画することによる、医療研究分野での国際的なプレゼンスの維持・向上をはかる。(◎健、文、厚、経)
- ・ 競争的研究費の枠組みにおいて、優秀な若手研究者の能力や創造性を引き出す仕組みを構築し、異分野・融合研究を担う若手研究者を育成する。また、時間的余裕の確保や経済的な基盤構築も含めた研究に専念できる環境整備に努める。(◎健、文、厚、経)

### ② 人材流動の促進

企業・アカデミア連携による人材育成・強化及び産学官間での人材の流動性を高めることを通して人材配置の最適化が進むよう、セクターを越えた人材の登用・積極支援を進めるとともに、人材交流の機会を増加させ、人材流動を誘導する。同様に、異分野間での人材の流動を促進する。企業とアカデミア等の連携・人材流動を促進する観点では、流動に伴う待遇変化への対応について、引き続き検討する。(◎健、総、文、厚、経、こ)

### ③ バイオリソース

バイオリソース<sup>11</sup>は産学の研究開発に不可欠な基盤であり、安定的に提供できる体制の整備が重要である。最新の施設・設備を備え安定的に運営する中核

<sup>11</sup>研究用材料としての動物・植物・微生物の系統・集団・組織・細胞・遺伝子材料等及びそれらの情報

拠点や、拠点を担う若手の育成に対する支援を行い、必要なバイオリソースを随時利用できる体制の国内整備を支援する。(◎文、厚)

#### ④ バイオバンク、データベース

研究で得られたデータが産業利用を含めて有効かつ継続的に活用されるよう、国際的なデータ連携を想定したデータの標準化等の取組を進める。また、様々なデータ基盤に関する情報を見える化し、体系的な取組となるよう関係者間で連携を図る。(◎健、文、厚、経)

バイオバンクについて、精密医療・個別化医療等への活用や研究開発成果の世界市場への展開を目指し、海外の取組も参考にしつつ、バイオバンクの構成や、試料・検体の種類の選択等を含め、戦略的に構築を進める。また、健康・医療・介護情報等とも連携して、臨床や社会実装に向けた研究基盤として、将来の民間の利活用も含め、関係者が活用出来る体制を産学官が連携して整備する。(文、厚)

#### ⑤ 基礎研究の推進

創薬・医療機器開発の源泉となる基礎研究を充実しイノベーションの種を絶え間なく創出していくことを目指し、基礎研究段階を主な対象とする事業では、研究者が自由な発想で最大限に創造力を発揮できる研究環境の重要性に配慮して取り組む。特に、基礎と臨床の連携を進めつつ、トランスレーショナルリサーチ等を通じ、基礎研究の成果をイノベーションや社会実装・社会貢献へつなげるとともに、臨床の観点を取り入れることにより基礎研究を活性化することも重要である。その際、基礎研究の継続的・安定的支援を行うとともに、基礎研究から実用化への連続的な支援について成果目標を定めて管理する。また、生殖、早期ライフステージから老化までのライフコースを通じた研究など、空間的・時間的な広がりを持つ研究や、臓器システム連関に着目した研究、ヒト脳の動作原理の解明等に資する研究等を推進する。

- ・ 医学、薬学、理学等に加え、AI・ロボティクス×創薬等の新規モダリティの分野横断的な研究を推進し、絶え間ない創薬シーズ・新モダリティの創出による創薬標的枯渇の解消と、創出された創薬シーズからの開発候補品創出の効率化・加速化を図る。また、創薬ターゲット予測とシーズ探索等の初期創薬研究に活用できるAI技術と複数AIの統合によるプラットフォーム化を推進する(再掲)。(健、文、厚)
- ・ 配偶子形成、受精から発生、出生後から成長期に特に注目して、親と子の間で

世代をつないで継承される健康・疾患の実体、時空間プロセス、メカニズムを解明、さらにはこれらの操作に向けた技術基盤等を構築することにより、生殖寿命の延伸や生殖補助医療・小児医療の土台となる早期ライフステージの研究を推進する。(文)

- ・ さらに、重粒子線がん治療等、成果の世界展開が見込める研究の更なる推進とともに、光工学、電磁場、音波、放射線、量子技術等の多様な技術を駆使し、非侵襲の方法も含めて生物を総体として計測していく観点が重要である。また、量子技術やナノテクノロジー、バイオリソース利用等と分野や領域を越えた連携を推進することにより、既存枠にとらわれない発想や研究開発活動を促す。(文)
- ・ ポテンシャルのあるアカデミアシーズ等の実用化に向け、基礎研究の段階から創薬を見据えた官民連携の事業に対する支援等を行う。(厚)

### (3) 制度及び運用の充実

#### ① レギュラトリーサイエンス、国際規制調和の推進

- ・ 独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）は、新規モダリティ等に対する各種規制要件や留意事項を早期の段階で示すとともに、アカデミア研究者やスタートアップ等の研究開発者に対し、開発の早期段階から相談・支援を行う。(厚)
- ・ 国際的な規制調和を前提とした医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する研究の支援、最新動向の把握や専門的知識の向上等を通じて、研究開発におけるレギュラトリーサイエンスを普及・充実させる。(健、厚)
- ・ 新規モダリティ等に対する評価系の開発等の研究推進と合わせて、規制当局が新規モダリティの国際的な開発動向を把握し、レギュラトリーサイエンス研究によりその特徴を踏まえたガイドラインを作成し、国際的な規制調和の場であるICHやICMRAに提案する等により、国際標準の作成をリードする。(厚)
- ・ 海外非臨床試験データ（特にGLP試験）を受け入れる際の生データ保存義務の合理化を検討する。(厚)
- ・ PMDAは、レギュラトリーサイエンスセンターと関係部門が連携し、リアルワールドデータの活用や、品目横断的な情報の統合等により、審査・相談の高度化や医薬品の開発等に資するガイドラインの策定等の取組を推進する。その際、国際的な規制調和の動向を適宜反映する。(厚)

- ・ PMDAは、新規モダリティの実用化推進のための相談・支援、各種英語対応や国際共同審査枠組みへの参加、国際的に開かれた薬事規制であることの発信等を行うこととし、そのための組織・人員体制を確立する。(厚)
- ・ 新たなモダリティの研究開発やスタートアップ創出にも貢献できる人材を確保・育成するため、アカデミアにおけるグローバル人材の受け入れを進める。また、医学部・薬学部の教育の段階から、創薬に貢献するための医療人材の養成に向けて、大学の教育のプログラムの充実について検討する。(文)
- ・ 医療の研究開発は、先端技術の先鋭化や提供、実用化への貢献など専門性や創造性を要する多様な要素がある。論文偏重の研究者評価から、多様な価値観の評価を取り入れ、実用化、非臨床試験・臨床試験に従事するインセンティブ設計を検討する。(◎健、文、厚、経)
- ・ 多施設共同治験において、単一の治験審査委員会での審査(single IRB)を原則化し、そのための手続き上の課題解消を図る。(厚)

## ② 次世代医療基盤法に基づく研究開発の推進

認定作成事業者の事業の運営状況に関する国や認定作成事業者からの情報提供を受けて、医療分野の研究開発の効果的・効率的な推進を図る観点から、医療分野の研究開発に従事する者に対して、研究の内容に応じて、匿名加工医療情報及び仮名加工医療情報の活用について適切に助言や情報提供を行うとともに、保健・医療・介護現場のICT化に資する研究を推進する。

## ③ 研究開発と社会制度・規制

医療分野の研究開発を持続的な推進する環境を整備するためには、以下の観点の取組も重要である。

- ・ 創薬をはじめ我が国の医療分野においてイノベーション創出のエコシステムが循環的に発展していくためには、内外からの投資が継続する必要がある。民間投資は経済合理性を踏まえて行われるものであり、医薬品や医療機器等、上市後のリターン面の予見可能性及びイノベーションへの評価が重要となる。
- ・ 研究開発促進のために、小児疾患、希少疾病、感染症用の薬事・薬価制度の充実や、医療保険制度におけるイノベーションに対する適切な評価を推進する。
- ・ 医療情報を研究開発活動により活用していくためには、研究当初の同意取得に加え、ダイナミックコンセントやICT/AI技術を用いた同意取得の在り方や、

データ利活用促進に向けた入口規制の緩和に見合った出口規制の厳格化について検討が必要と指摘されている。

#### (4) 研究開発の適正性の確保と成果<sup>12</sup>の普及

研究開発成果を社会的価値へと転換していく過程で、様々な活動主体へと協力を発展させていく普及活動が重要である。研究開発の公正かつ適正な実施による信頼性確保を前提条件とし、成果の産業展開や海外展開等の取組を、ネットワーク形成から個別協力まで様々なレベルで実施する。

加えて、医療分野の研究開発のプロセスや成果が人々の生命や生活、社会に変化や影響を与える点に鑑み、医療分野の研究開発を社会との対話や協働を通じて進め、研究開発の成果が人々の安全・安心を確保し、理解・信頼を得ながら患者・家族に届けられるよう、「社会共創」の取組を強化する。

研究開発の実施と、その成果の利用による医療の発展を持続的に推進していくため、医療を通して成果を社会に役立て、その対価を投資に回して研究開発を行うサイクルを形成していく必要がある。成果普及の一環で、こうしたサイクルが円滑に回るような呼びかけと仕組みの検討を進め、必要な提案等を行う。

##### ① 研究開発の公正かつ適正な実施の確保

(◎健、総、文、厚、経、こ)

生命倫理への配慮及び個人情報適切な管理を行うとともに、医療分野の研究開発の公正かつ適正な実施の確保に必要な施策を講ずる。

- ・ 基礎研究及び臨床研究における研究不正防止の取組を推進するため、AMEDは、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開発に対して、公正かつ適正な実施の確保を図る。
- ・ 研究倫理に関連する法令・指針等の遵守を促すとともに、研究開発を円滑に実施できるよう、必要に応じ見直しを行う。

##### ② 研究開発における「社会共創」の取組推進

(◎健、総、文、厚、経、こ)

基礎から実用化まであらゆるフェーズにある医療分野の研究開発が社会の理解や信頼を得つつ進められるよう、責任ある研究・イノベーション(RRI)の考え方に基づき研究開発を推進・展開するために必要な施策を講ずる。

- ・ 社会の理解を得つつ実用化を進めることが必要な研究開発テーマについて、

---

<sup>12</sup> 健康・医療戦略推進法第18条「政府が講ずべき医療分野の研究開発並びにその・・・成果の普及」に沿って、研究開発の中核的役割を担うAMEDが支援した研究開発の成果を対象とする。



研究開発の早期の段階から倫理的・法的・社会的課題（ELSI）への対応を行う。

- ・ 医療分野の研究開発におけるダイバーシティ推進や、研究への患者・市民参画（PPI）など「社会共創」の取組を充実・普及させる。

### ③ 情報発信

#### （◎健、総、文、厚、経、こ）

AMED を主体に各事業が協力して研究開発の成果に係る情報発信を実施する。また、各府省庁及びインハウス研究機関は、各々の主体が行う情報発信の際に、積極的に医療分野研究開発の成果等情報を発信する。

情報発信は、製薬企業・医療機器企業・ベンチャーへの成果導出、海外関係機関等を通じた国際展開、異分野連携や共同研究による研究開発の進展、国民の治験・臨床試験への理解等の土壌形成に資することを目的に行う。また、国民への説明責任を果たし、さらには国民の共感と応援を得る観点、関係人材の獲得に向けた関心の喚起なども目的とする。発信情報の専門性が高いことに留意し、専門家から一般国民まで各ターゲット層の関心を考慮した情報を多様な媒体で発信する。また、情報発信の際には、アカデミア研究者が発明等により経済的な成功を収める例など、多様なキャリアやチャンスがあることを具体的に提示するなど、若手人材の獲得に資するよう配慮することも重要な観点である。

さらに具体的に、国民向けの治験・臨床試験のリテラシー向上に役立つ情報発信の施策及び治験・臨床試験へのアクセス向上に向けた施策を検討し、国民の治験・臨床試験等への理解を深め、更なる治験への参加の促進につなげていく。（厚）

### 3.3 AMED の果たすべき役割

#### （◎健、総、文、厚、経、こ）

AMED は、医療分野の研究開発及びその環境の整備の中核的な役割を果たし、医療分野の研究開発に取り組む関係府省庁の事業を一元的に運営し、戦略的な資金配分を実現する。官民の役割分担に関して、AMED は、成否のリスクが高い革新的な基礎研究や、難病・希少疾患のようにニーズはあるものの市場性が低い分野、感染症を筆頭に市場性が読みづらい分野など、民間企業が取り組まない分野を中心に研究開発を実施し、その成果を民間企業に受け渡し、民間企業が製品化及び製造の実装を担う。

第3期では、基礎研究・応用研究から臨床研究の各段階において特に有望なシー

ズをいち早く企業へ導出することを目指して実用化フローを強化する。

特に、AMEDの裁量性を高め、革新的なシーズを創出し、早期の実用化を目指すために、各府省庁の補助及び委託事業（以下「補助等事業」）の間で支援の切れ目が生ずることなく連続的な支援ができる仕組みをAMED内に構築し運用する。（健）

また、3.1(5)に示した複数の統合プロジェクトや個別事業で共通する取組については、各事業の特性に配慮しつつも全体的な取組として効率的・効果的に実施されるよう、AMEDが主体的な役割を果たす。実行においては当該事業所管府省庁と十分に認識を共有し、必要に応じて事業設計に係る改善内容を提案する。AMEDの提案を受けた関係府省庁は、事業の改善方策の要否を含めて検討する。環境整備等に関しては、個別事業で明示的に取り上げられている取組やインハウス研究機関その他関係機関でも独自の取組が行われているものも少なくないことから、適宜連携しながら取り組むことが重要である。個別事業を所管する府省庁は、これらの共通事項も含めて、適切に資源配分を行う。

## (1) 優れたシーズの創出・実用化の加速

### ① 出口志向の研究開発マネジメント

医療分野の基礎的な研究開発から実用化のための一貫した研究開発で世界最高水準の医療の提供を実現していくために、国は、市場原理が働きにくい研究開発領域を支援する。成果の円滑な企業導出に向けて、早期から技術開発動向、疾患別の社会要請等も考慮しつつ、実現可能性、実用化インパクト、知財やデータセットの整備など出口戦略を明らかにして、魅力的なシーズの育成に取り組むことが重要である。

- ・ 実用化までのプロセスを熟知している人材を登用することなどを軸に、研究開発段階から出口戦略の立案を支援し、円滑な企業導出を目指した効果的なプロジェクトを管理する体制整備を進める。
- ・ 基礎段階のシーズ探索に数年を要し高い確率で失敗する医薬品等の研究開発の特性を前提に、資金配分機関であるAMEDの目利き能力を向上するため、調査・分析機能を整備する。
- ・ 事業化に向けたマイルストーン設定や、社会実装を見据え必要な関連研究・技術の探索、研究者・技術者、医療関係者や企業等の仲立ち等の出口戦略の立案を行う。
- ・ AMEDは、上記の取組などで得られる、企業導出に必要なデータセットや知財

の特徴、研究開発計画戦略の在り方など暗黙知を含めたノウハウについて、関係者が共有し、AMEDが支援する研究開発課題に適用していく方策を検討し、実施する。

- ・ これまでのAMEDを通じた研究開発支援の事例について、成功事例のみならず失敗事例も含めて分析等を進め、これに基づき各府省庁の補助等事業の効果向上を目指した改善を検討する。また、直ちに実施可能なグッド・プラクティスは、各事業所管府省庁とも認識を共有しながら、AMED内での横展開や伴走支援を通じて適用する。

## ② 事業間連携の強化

優れたシーズの実用化を加速するため、各府省庁に紐づく様々な支援事業について、事業間をまたいで連続的に研究開発を支援する仕組みを構築し、企業の開発に受け渡す仕組みを導入する。そのため、上記①の高度な知識と判断に基づく情報の収集・整理・分析機能を、研究開発支援の中核的な役割を担うAMEDに整備して、以下を推進する。

- ・ 医療業界等の動向情報、患者・家族等からの情報、国際的な研究動向等やデータベース等を活用した分析を行う。
- ・ 基礎研究から応用研究、非臨床、臨床研究・臨床試験等の各補助等事業の間の連携を確保するための仕組みとして、AMEDは以下の「ペアリング」「マッチング」の仕組みを関係府省庁と共に検討して実施し、採択プロセスの柔軟な運用を導入する。

ペアリング：基礎段階の補助事業を選定する時に、次の応用段階へと連続的に支援する可能性を検討して採択し、基礎段階の終了時には、確認を経て応用段階へと連続的に支援することで、補助等事業間で切れ目なく支援する運用の仕組み

マッチング：基礎段階の補助事業による研究開発の完了前に、次の応用段階へ進める是非を判断し、採用の場合は、次の補助等事業へと切れ目なく支援する運用の仕組み

- ・ 上記「ペアリング」「マッチング」の実施について、設定と実施を通して適切な規模を見極め、全体を管理する。
- ・ 各府省庁の補助等事業の切れ目を埋めるため、運営費交付金及び調整費の有効な活用も含め、様々な方策を検討し、実施する。制度設計の変更が望まれる事業とその内容が特定されたときは、AMEDが関係府省庁に具体案を提案し、

当該府省庁が対応する。

- ・ AMEDへの事業間連携の機能の追加とそのため的人员措置など、必要な体制整備を行う。
- ・ 各府省庁の補助等事業の切れ目を埋めるための調整費の機能強化として、従来の調整費による追加配分では対応できなかった、公募時期や事業年度の壁を超える、切れ目のない柔軟な支援、各府省庁の補助等事業には必ずしも含まれない共通基盤的なテーマや先端的・先取りテーマについてAMED発意・提案による複数年のプロジェクト創設など、AMEDの裁量と責任において柔軟かつ機動的な支援が可能となる調整費の活用の在り方について検討を行う。
- ・ 上記の実施による知見を蓄積しつつ、所要の検討を経て、AMEDの支援事業全般を対象に、事業単位、統合プロジェクト単位、疾患単位でポートフォリオ管理を開始する。
- ・ ペアリング・マッチングを含む事業間連携の仕組みについて、これまでAMEDの支援を受けたことがない研究者や成果の導出先である企業を含め、広く広報や意見交換を行い、取組の周知や継続的な改善に努める。

### ③ シーズの育成

- ・ プロジェクト横断的なステージゲートの考え方を導入する等により、Go/No Goを早期に判定し、創薬という出口に向けて次の段階に繋がらない研究開発課題や取組み内容の入れ替えを研究開発期間の途中でも実施する。その際、Go判断とならなかったものについても、方向性を変更することで想定外の成果が得られる可能性があることも考慮し、それまでの研究成果を活かせる道がないかを検討する。また、可能な場合は、支援事業の完了を待たず、ベンチャー支援事業への移行や企業導出を行う。
- ・ AMED Management System (AMS) の整備、活用により支援活動及び成果をデータで把握し、分析する。また、支援課題の追跡調査の合理的・効果的な方策を検討し、実施する。

## (2) 統合プロジェクトの運営

第1期、第2期計画の経験を活かし、各府省庁の関連する研究開発事業を統合的に連携させ、一つのプロジェクトとして一元的に管理する。また、プロジェクト間連携、事業間連携に取り組む。同時に、疾患領域別のマネジメントとして疾患領域コーディネーター（DC）を配置して実施する。

### (3) PD、PS、PO 体制の整備

世界の最新の情勢を把握した現役世代研究者を含む PD、PS、PO 等が、研究の実施、研究動向の把握、シーズの探査・育成研究の強化や優れた基礎研究成果を臨床研究及び臨床試験、産業化へつなげる一貫したマネジメント（研究の進捗管理・助言、規制対応等）及び、適切な研究実施のための監視・管理機能など、研究開発の開始、推進、監視・管理、さらには、方針の転換に至るまで一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメント機能を果たす。

- ・ PDは上記のAMED機能強化のための活動と深く連携し、PSは要請に応じて協力する。
- ・ AMEDは、最新の情報や方針をPOに提供したり、研究開発活動のトレンドに合わせてPOの交替を行ったりするなどして、伴走支援者の能力がより発揮される環境を整える。
- ・ 人選においては、COIに留意しつつ現役世代研究者の参画も積極的に推し進め、最新情報によるプロジェクトマネジメントを促すルールの下で行う。

### (4) 統合プロジェクトに共通する取組及び環境の整備の推進調整

医療分野の研究開発及びその環境の整備において関係事業を一元的に管理し運用する AMED は、上記の 3.1(5)に掲げる全 8 統合プロジェクトに共通する取組及び、3.2(2)に掲げる推進体制の整備を主体的に実施する。また、研究開発支援現場における課題や改善提案等を取りまとめて関係府省庁に報告する。

### (5) 事務の合理化

関係府省庁の研究開発支援事業を一元的に実施するAMEDは、研究開発資金に対する説明責任に留意しつつ、事務手続きが研究者等にとって過度な負担とならないよう、事務手続きの簡素化・合理化を進める。

## 4. 医療分野研究開発等施策を集中的かつ計画的に推進するために必要な事項

### 4.1 医療分野の研究開発に関する成果目標

本計画の実施に係る全ての関係者は、以下の戦略目標を共有し、期間中にアウトカム指標が継続して上昇するように行動する。

また、より具体的な目標として、本計画の対象期間（2025 年度から 2029 年度末まで）中に達成すべき数値目標をアウトプット指標のとおり設定する。さらに、本計画の目標

の達成状況をより深く理解し、アウトカム指標の上昇及び戦略目標を目指す目的との整合性等を確認する目的でモニタリング指標を設定し、フォローアップに活用する。モニタリング指標の観測等に基づき数値目標の設定が適切と判断された項目については、期間中に計画の見直しを行い、アウトカム指標に追加する。

### 【戦略目標】

- 国の支援による研究開発成果をもとにした医薬品・医療機器等が、国内はもとよりグローバルにその価値が認められる（FDA や EMA の承認を受ける等）
- これまで治療法がない疾患に対する治療法が開発される（アンメットメディカルニーズに応える）
- 国の支援による研究開発成果をもとに優れたスタートアップが創出される（AMED が支援した研究開発成果をもとにしたスタートアップ／AMED の支援を受けたスタートアップについて、企業価値が 10 億ドルを超える）
- 医療水準の向上を目指す研究開発の成果の創出とその成果が絶え間なく企業導出される

### 【アウトカム指標】

研究開発成果を産業界等に受け渡した結果や医療としての社会実装を、以下の定量情報で観測する。

- 薬事承認
- ガイドライン等
- 製品上市数

### 【アウトプット指標】

研究開発の直接の成果目標として、以下の全体目標と特設目標に分け、それぞれ数値目標を設定して管理する。

<全体目標><sup>13</sup>

- 1) シーズの企業導出数 130 件／年
- 2) 治験に至った件数※ 60 件／年  
※AMED 支援により治験を実施する課題、または AMED 支援による研究成果を活用して治験へ移行した課題
- 3) 他事業へのシーズの導出（受け渡し）件数※ 120 件／年  
※AMED 内の事業。同一事業内で課題の受け渡しがあつた場合もカウントする
- 4) 論文数（Top10%論文） 前年度比で増加 →Top1%論文数  
※過年度五年間の移動平均をカウントする

<sup>13</sup> AMED が実施する事業についての目標。下記の特設目標 20) は 1) と 3) の合計値。

## ＜特設目標＞<sup>14</sup>

医療分野の研究開発等を効果的に加速するため、以下の目標値については、令和10年度中に達成する。

- 5) 小児用医薬品の開発計画の策定件数：令和6～10年度累積で50件
- 6) 希少疾病用医薬品の承認件数：令和6～10年度累積で150件
- 7) 創薬ベンチャー採択件数：70社
- 8) 新たに整備する施設における国内FIH試験実施件数：10件
- 9) FIH試験実施に関する研修プログラム受講者の勤務施設数：20施設
- 10) 橋渡し研究支援機関による支援数：過去3年度平均以上の支援シーズ数
- 11) 臨床研究中核病院における治験数：360件/年
- 12) 臨床研究従事者に対する研修プログラム修了者数（修了証発行数）：1100人/年
- 13) 臨床研究中核病院におけるDCTを活用した治験の実施件数：15試験
- 14) JRCTのアクセス数：120万件/年
- 15) デュアルユース設備を有する拠点数：16拠点
- 16) バイオ製造人材研修の累積受講者数：令和6～10年度累積で750名
- 17) 理化学研究所において最先端の研究開発の融合による革新的な創薬シーズを年平均3件以上創出
- 18) 薬学部・薬系大学院修了者のうち、創薬関連の仕事・研究等につく者を1,225名/年より増加
- 19) 大学病院の医師等の職務活動時間に占める研究時間の割合及びTop10%論文の増加
- 20) AMED支援シーズの企業導出件数及び事業間の連続的支援数：3年平均で250件/年
- 21) AMRを含む重点感染症に対する医薬品の承認件数：令和6～10年度累積で5件

### 【モニタリング指標】

本計画の目標の達成状況をより深く理解するため、以下の1)から8)の事項について、それぞれに記載する件数等をモニタリングする。加えて、各統合プロジェクトの特徴に即した進捗を把握するために、統合プロジェクト単位のモニタリング指標を①から⑤のように設定する。

- 1) シーズの企業導出数

---

<sup>14</sup> 政府は「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」中間とりまとめを踏まえた政策目標と工程表を策定するとともに、アウトプット指標（KPI）を設定し進捗状況をフォローアップすることとした（令和6年7月内閣官房健康・医療戦略室）。各項目の進捗状況は取りまとめ府省庁が確認する。

工程表及びKPIについては、成果目標（アウトカム）の達成状況や施策の進捗状況、創薬を巡る状況変化を踏まえ、適時、適切に見直すこととし、フォローアップの実施に際しては有識者による総合評価を行うとしている。

- ・ 導出形態別の件数
  - 権利譲渡契約件数
  - 実施許諾契約（オプション契約は除く）件数
  - 共同研究開発契約件数
- ・ 導出先別の件数
  - ベンチャー企業への導出件数
  - ベンチャー以外の企業への導出件数
    - ※それぞれについて、国内企業と外資系企業を区別する
- ・ 導出時の開発フェーズ（開発ステージ）別の件数
  - 非臨床試験開始以前に導出した件数
  - 非臨床試験開始後かつ治験開始前までに導出した件数
  - 治験開始後に導出した件数
- ・ 疾患領域別の導出件数
- ・ 導出内容別の件数
  - 技術導出件数、開発候補品の導出件数
- 2) 治験に至った件数
  - ※AMED 支援により治験を実施する課題、または AMED 支援による研究成果を活用して治験へ移行した課題。
  - ・ 医師主導治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数）
  - ・ 企業治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数）
  - ・ 臨床性能試験の数
- 3) 他事業へのシーズの導出（受け渡し）件数
  - ※同一事業内で課題の受け渡しがあってもカウントする
  - ・ ペアリングによる他事業への受け渡し件数
  - ・ マッチングによる他事業への受け渡し件数
  - ・ 過去に AMED 支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数
- 4) 薬事承認・認証
  - ・ 案件の性格別の承認件数
    - 新規案件の承認件数
    - 適応拡大案件の承認件数
    - 海外承認・認証件数
    - その他
  - ・ 医療における利用形態別の件数
    - 医薬品の承認件数（モダリティ別の内訳）
    - 医療機器の承認・認証件数（治療用／診断用の内訳）
    - 体外診断用医薬品の承認・認証件数



#### 再生医療等製品の承認件数

- 5) 医療等に実装された件数（薬事承認を除く）
  - ・ ガイドライン等の策定又は改定件数（診療ガイドライン、開発ガイドライン、省令、基準、日本薬局方、添付文書改訂、国又は学会の技術文書（通知）等）
  - ・ ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数
- 6) 論文数
  - ・ Top1%論文数
  - ・ Top10%論文数
  - ・ 全論文数
- 7) 研究環境における人的ダイバーシティ
  - ・ 女性研究者の比率
  - ・ 外国人研究者の比率

※異分野、若手の参画のモニタリングについて引続き検討

#### 【個々の統合プロジェクトで定めるモニタリング指標】

- ① 医薬品プロジェクト
  - ・ 非臨床 PoC 取得件数
- ② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト
  - ・ PMDA 対面助言実施件数
- ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
  - ・ 非臨床 PoC 取得件数
  - ・ 再生医療等安全性確保法下での臨床研究件数
  - ・ RS 戦略相談の再生医療等製品の品質及び安全性に係る相談の対面助言件数
- ④ 感染症プロジェクト
  - ・ 非臨床 PoC 取得件数
- ⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト
  - ・ データ基盤構築の状況（データの蓄積・統合・連携および解析・実装を行った課題数）
  - ・ アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績（分譲可能な試料数/情報数、共同研究または分譲実施数）
  - ・ 新たな疾患発症メカニズム解明の件数（各対象課題において、原著論文を根拠に解明された疾患発症メカニズム数）
  - ・ 新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数
  - ・ 臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数（論文化されている物）
  - ・ 疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の実験件数
- ⑧ イノベーション・エコシステムプロジェクト

- ・採択課題のフェーズ移行（エグジットを含む）件数

## 4.2 フォローアップ

内閣府は、毎年度終了後、関係省庁の協力を得て進捗状況のフォローアップを行う。具体的には、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省の協力を得て専門調査会の庶務を担う内閣府健康・医療戦略推進事務局は、フォローアップ結果を専門調査会に報告し、有識者の助言を得て、翌年度の資源配分方針案を作成して推進本部に提案することを通じて、予算への反映等の必要な措置を講じる。