

AMED第3期の取組状況について

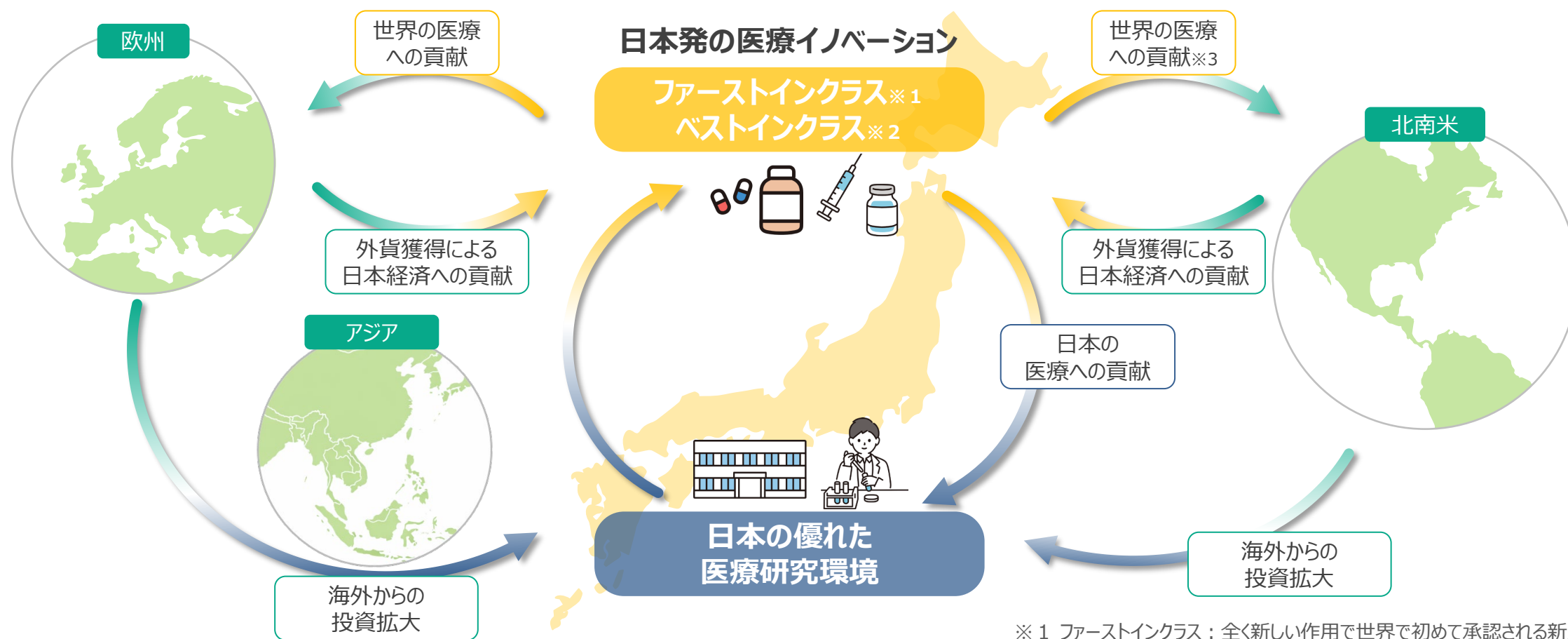
令和8年7月13日

日本医療研究開発機構（AMED）理事長

中釜 齊

日本の健康・医療分野の研究開発において重要な双方向の視点

- 世界の医療への貢献及び外貨獲得による日本経済への貢献を可能とするグローバルな動向を踏まえた日本発の医療イノベーションの促進
他方、日本の医療への貢献及び海外からの投資拡大を可能とする国内状況を踏まえた日本の医療研究環境の整備の双方向の視点が重要



※1 ファーストインクラス：全く新しい作用で世界で初めて承認される新薬
※2 ベストインクラス：同じ作用の製品の中で有用性が最も優れる医薬品
※3 がん、難病・希少疾患、免疫等を対象とした研究開発を含む

日本の創薬研究に対する指摘（＝AMEDの課題）と対応状況



グローバル開発に入れていない
（資金、人脈、技術、経験）



①グローバルエコシステムの構築

進捗：創薬ベンチャーに対する国内外VCの投資増

今後：海外VCの一層の誘引、成功案件創出・再投資、
グローバルエコシステムとの接続深化（人脈、経験）



アカデミア研究成果と企業開発
ニーズにギャップがある



②事業間連携及び企業導出による実用化の加速

進捗：がん分野等での事業間連携の実践

革新的新薬の創製に向けたAND-E(製薬協との連携)新設

今後：全課題スクリーニング本格稼働 (R7.10～)

事業間のギャップを埋めるための採択・評価基準見直し
他事業の成果を積極活用する仕組みの検討



革新的な創薬シーズを創出できて
いない



③グローバルレベルのFIH、臨床試験や製品開発の環境整備

今後：国内での高度FIH※試験の拠点整備の検討

臨床試験や製品開発におけるCRO、CDMOの活用支援



国際的に高い研究水準の臨床試
験を実施できていない



④データ利用環境整備

進捗：医療研究DXチーム発足（R7.11～）、官民投資ロードマップ
への反映、医療情報検討会（個人情報改正等）への貢献

今後：先端解析機能の環境整備及び基盤強化とAI活用研究開発
複数機関の統一した情報収集及びデータ連携の促進



AI・データの利活用環境が整備さ
れていない

※FIH：First in Human（ヒト初回投与）

グローバル創薬ベンチャーエコシステムの構築

①グローバルエコシステムの構築



④国内への還元

- ・ 次シーズへの資金供給
- ・ 経営人材・技術人材供給
- ・ 国外VC・人材とのネットワーク
- ・ 国内製造拠点整備
- ・ 国内における薬事承認 等

③高い市場価値でのExit

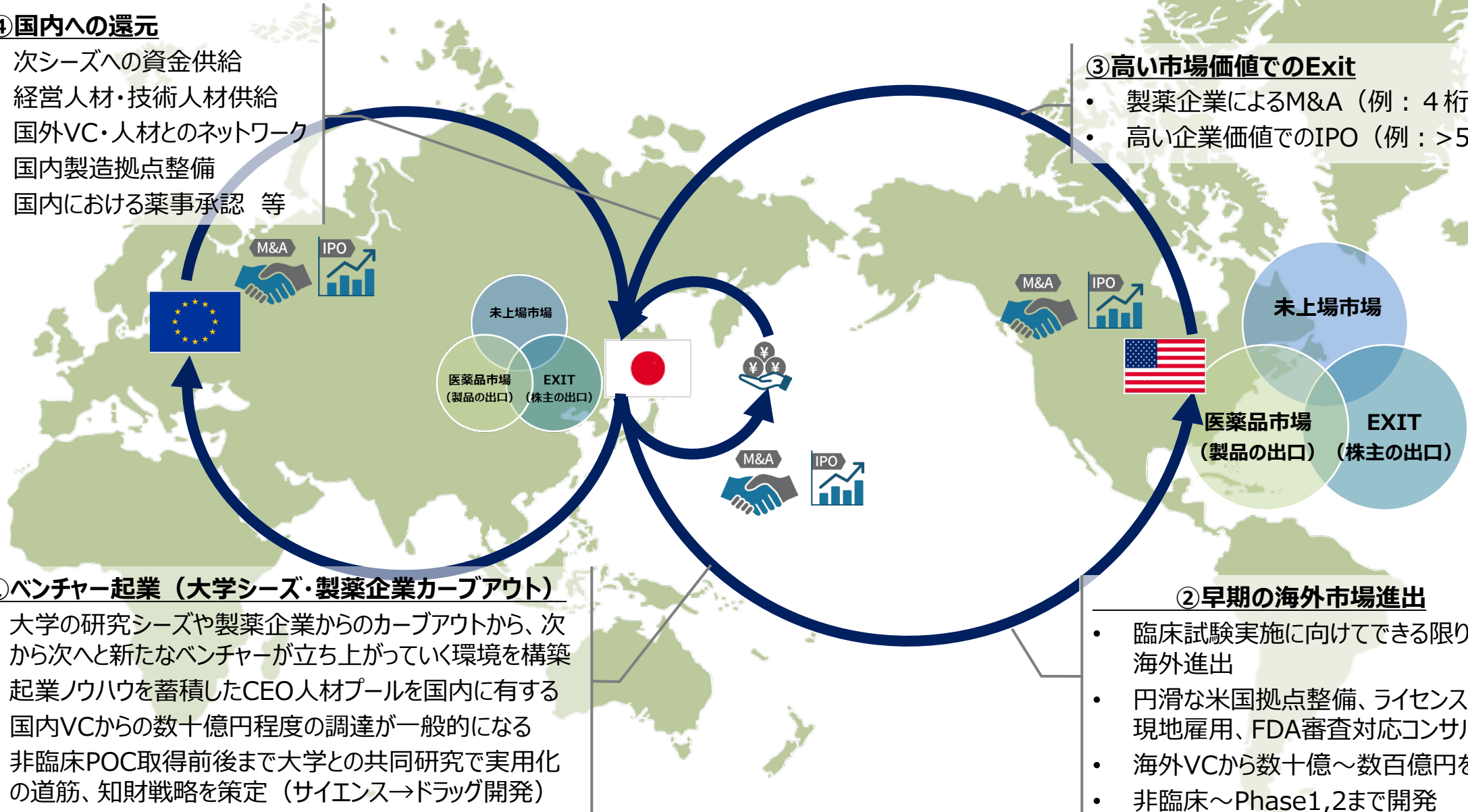
- ・ 製薬企業によるM&A（例：4桁億円規模）
- ・ 高い企業価値でのIPO（例：>500億円）

①ベンチャー起業（大学シーズ・製薬企業カーブアウト）

- ・ 大学の研究シーズや製薬企業からのカーブアウトから、次から次へと新たなベンチャーが立ち上がっていく環境を構築
- ・ 起業ノウハウを蓄積したCEO人材プールを国内に有する
- ・ 国内VCからの数十億円程度の調達が一般的になる
- ・ 非臨床POC取得前後まで大学との共同研究で実用化の道筋、知財戦略を策定（サイエンス→ドラッグ開発）

②早期の海外市場進出

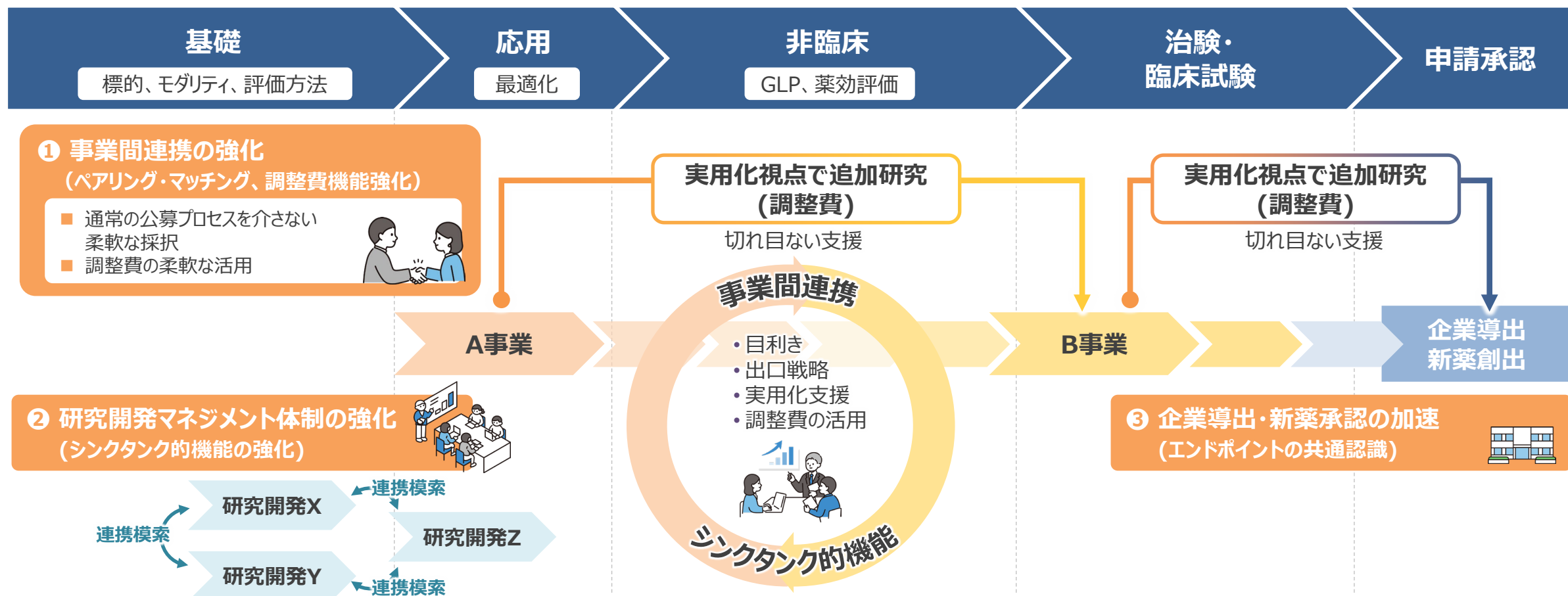
- ・ 臨床試験実施に向けてできる限り早期に海外進出
- ・ 円滑な米国拠点整備、ライセンスアウト、現地雇用、FDA審査対応コンサル契約
- ・ 海外VCから数十億～数百億円を調達
- ・ 非臨床～Phase1,2まで開発



AMED内事業間連携の強化（基礎研究から実用化までの戦略的支援）

第3回 創薬・先端医療WG（2026/03/16）
AMED説明資料 一部改編

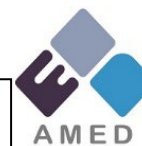
1. 各省縦割りと指摘される事業間をつなぐための新たな仕組み（ペアリング・マッチング）の導入
2. 文科省、厚労省、経産省等からの約60事業2,700課題を全体最適化するシンクタンクの機能の強化
3. 企業導出等の成果へ無駄なくつなぐための目標明確化に取り組んでいるところ



国内の高度なFIH試験の推進

③グローバルレベルのFIH、臨床試験や製品開発の環境整備

第3回 創薬・先端医療WG (2026/03/16)
AMED説明資料 一部改編



- トップクラスの海外研究者が日本の地で我が国研究者と共同研究を行うことで研究成果の高度化・加速及びグローバル人脈の構築を図る。
- 特に、FIH（First in Human）試験や第I相国際共同治験を日本が主導して海外研究者とともに実施する環境整備に取り組む
- 具体的には、臨床研究中核病院を中心に国際的に評価される治験・臨床試験を行う医師・研究者（KOL※を含む）を育成するとともに、グローバルに使われる医薬品、医療機器、医療技術等に繋がる質・規模の研究開発を推進し、ドラッグラグ・ロスの解消を実現する

動物モデル（非臨床）検証の限界を突破する 早期でのヒトでのPOC取得を可能とする仕組み

- ・ モダリティの変化
In vivo CAR-Tなどヒトにだけ効く新規モダリティが増加
- ・ 動物データだけで開発を進めても薬事承認のフェーズに進むことができず、「ヒトでのデータ」が必須



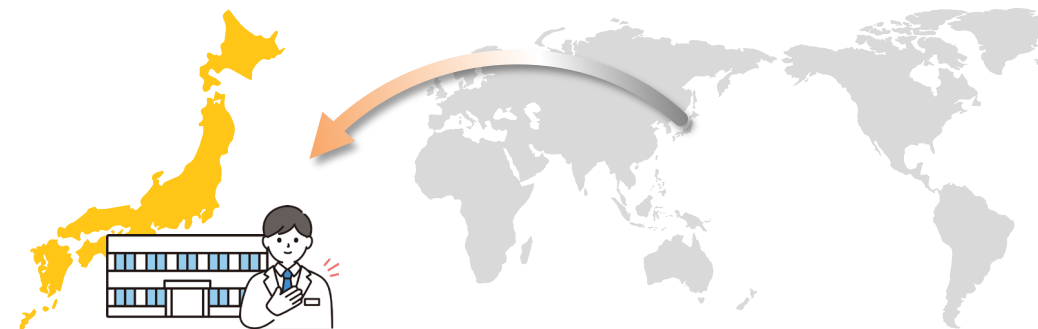
世界各国が
臨床環境整備を
強化

▶ 現状では、開発コストが高まり、スピードも遅くなる

特定機能病院や臨床研究中核病院における医療安全の整理

- ・ 承認された治療とは異なり、未承認（特に早期開発）治療における医療安全は、予測が不可能であり、未知の毒性への対応が必要

▶ 医療安全を確保するために特別なPDCAを回せる
組織・体制・資金、倫理委員会の運用が必要



● 我が国が強みを持つ技術領域で臨床試験を先導

例

モダリティ：iPS細胞、放射線治療・医薬品、次世代遺伝子等
疾患領域：がん、神経・精神、感染症等



- Phase 0 臨床試験（特定臨床研究等）、解析環境、データ利活用、高品質な医薬品製造が可能なCDMO等が一体的になった拠点の整備



- 被験者の安全性担保、倫理・科学面の配慮、薬事承認へのパスウェイ構築等



- 医療分野の研究開発等における全ゲノムデータや画像データ等の利活用を加速するようデータ基盤を整備
- 蓄積したデータをAIにより利活用する研究開発を推進
- ファーストインクラス医薬品／ベストインクラス医薬品／フィジカルAI医療と育成された人材により医療分野の革新的な成長を目指す

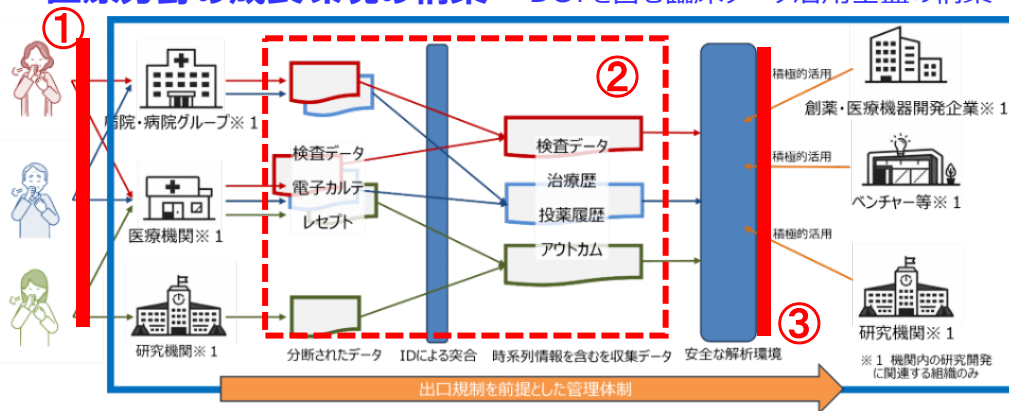
医療研究DXの定義

医療現場や関連するデータ基盤及び医療分野の研究開発から得られる知見やデータを、研究者が目的や文脈に応じて有効に活用できるようにするため、デジタル技術を活用し、制度・技術・運用面を再設計する枠組み。

医療分野の成長環境の構築～ 国際共同治験も想定したDCT環境の構築 ～

コホートを含むデータベースの運用・構築や、ビッグデータを活用したAI創薬（ゲノム解析、マルチモーダル画像解析、マルチオミックス解析）の実現に向け、
①統一した情報収集を行う体制・環境整備 ②既取得情報を含め、複数機関に分散しているDBを統合・連携し繰り返し活用できるような環境整備を目指す

医療分野の成長環境の構築 ～DCTを含む臨床データ活用基盤の構築～



ビッグデータ利活用研究開発の推進

先端解析機能の環境整備

革新的医薬品／医療機器創出スキーム

- AI創薬
- AI医療機器／AI手術室
例えば、AIMGAIN事業に「AI創薬・医療機器」枠を設置するなど
- AMED IND Engine

高度研究人材の創出

医療分野での革新的な成長を目指し
●ファーストインクラス医薬品
●ベストインクラス医薬品
●フィジカルAI医療
の創出を介してAI活用を促進する

課題解決の必要性⇒ ①同意プロセス(ICFの管理含む)の適正化 ②ゲノム情報の2次利用を可能に ③機関間の情報搬送を実現 等

日本医療研究開発機構（AMED）第3期の運営方針（令和8年1月）



～ 現場中心主義（研究現場や成果導出先との対話を基礎とする組織体制/風土の形成）の推進 ～

「現場中心主義」を徹底しつつ、以下の取組を通して、研究開発とその環境整備及び人材育成等を牽引・後押しすることにより、健康・医療分野における我が国の研究開発活動の活性化や底上げ、ひいては健康長寿社会の実現に向けて貢献する。

1. 事業間連携の取組の強化

研究開発事業及び課題の間をつなぎ、切れ目なく連続した支援を可能とする仕組み（ペアリング、マッチング）を構築・導入する。その際、研究開発の目利きをはじめ出口戦略の立案やそれら実施に向けた案件調整等に取り組むシンクタンクの機能と機動性を向上させた調整費を有効に活用し、研究支援を充実させていく。

2. 研究開発の初期段階からの産学協創・企業導出

上記の研究支援の充実を図りつつ、初期段階からアカデミアと企業が協創して研究開発を進め、企業の視点による各シーズ・技術への支援等を実施することにより、最適な開発段階（基礎・応用研究から臨床研究まで）での企業導出を促進する。

革新的新薬の創製に向けて、各事業及び課題についてバリューチェーンの観点からも捉えながら、仕組みづくりや各段階の取組を進める。

3. 社会実装・貢献へつながる成果創出のための基礎研究の充実

研究者の自由な発想と社会的な要請を踏まえた基礎研究を継続的・安定的に支援し、また、その基礎研究の成果と先端技術開発との融合を図ることにより、医薬品及び医療機器等の開発の源泉となるイノベーションの種を絶え間なく創出していく。

4. 国際展開の推進

国際的に優れた研究成果の創出に向け、国際共同研究の戦略的・機動的な推進や海外ニーズを取り込んだ国際共同治験への参画により、日本人研究者の国際的なトップサークルへの参入を促進するとともに、次世代の優秀な研究者同士の交流や関係構築の強化をする。また、国内外の医薬品市場を見据えた創薬エコシステムを構築する。

5. 医療分野の研究開発のDX

AIをはじめ、生成AIや量子技術等の先端技術を用いた医療分野の効果的・効率的な研究開発を促進する。そうした取組において基盤となるデータベースの構築・整備及び活用を見据えたデータマネジメントに取り組む。

1. 事業間連携の取組の強化

- ・ 難治性がん克服フラグシッププログラムの立ち上げ
- ・ 調整費（ウ）による支援 7 件

2. 研究開発の初期段階からの産学協創・企業導出

- ・ AND－Eの立ち上げ
- ・ 調整費（ウ）による支援 7 件

3. 社会実装・貢献へつながる成果創出のための 基礎研究の充実

- ・ 坂口志文博士ノーベル賞「制御性T細胞」
- ・ 再生医療条件・期限つき承認「虚血性心筋症」「パーキンソン病」
- ・ 日本医療研究開発大賞「バレメトスタット」
(成人T細胞白血病リンパ腫及び末梢性T細胞リンパ腫の発症・進行メカニズムを解明した世界初の治療薬)

4. 国際展開の推進

- ・ ASPIREの事業中間評価が総合評価S。日本と海外のトップ研究者同士を結び付け、国際頭脳循環を促進

5. 医療分野の研究開発のDX

- ・ 攻めの予防医療に向けた性差に由来するヘルスケアの推進に資するデータとして成果の活用が期待される遺伝子と環境の相互作用（G×E）（Natureに掲載）。

組織マネジメント上の改革

- ・ 戦略企画機能の強化
- ・ 現場中心主義の徹底
- ・ 契約・事務等の合理化
- ・ 電子契約一部導入
- ・ 検査の重点化・合理化
- ・ 事務処理説明会実施
- ・ 事務手続きの提案箱導入

①グローバルエコシステムの構築

②事業間連携及び企業導出による実用化の加速

- ・ 複数年に跨がる継続的かつ弾力的な予算措置
- ・ 後継事業候補における枠の拡充
- ・ 経済安保を始めマネジメントに必要な人材の確保・育成及システム基盤の強化

③グローバルレベルのFIH、臨床試験や製品開発の環境整備

- ・ 国際共同治験推進に向け、高度なFIH試験を実施するために必要な治験環境（治験設備、治験薬提供設備等）の整備及び人材育成

④データ利用環境整備

- ・ 先端解析機能の環境整備及び基盤強化とAI活用研究開発（全ゲノムデータを用いた解析や画像解析、マルチオミックス解析等）による医療研究DXの推進

健康・医療戦略(2025年2月18日閣議決定) ▶ 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 ▶ 4.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(4) 研究開発の成果の普及

(中略)、健康・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得る点に鑑み、健康・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、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及び研究への患者・市民参画(PPI)等「社会共創」の取組を充実・普及させる。(■)

1. ELSI等、研究の倫理性向上のための業務

① AMED事業全体に資する研究開発とプラットフォーム

- 公募事業「AMED研究倫理・社会共創推進プログラム」

② 事業部門における倫理関連の事業設計・マネジメント・取組支援等

(代表的なもの)

- ゲノム医療実現推進プラットフォーム・社会共創推進領域
- 再生医療実用化基盤整備促進事業／再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題(倫理・社会共創課題)
- 脳神経科学統合プログラム(研究倫理支援班)
- ムーンショット型研究事業

③ 当該領域の研究振興と課題解決に向けた取組

- 研究倫理を語る会の開催
- 学会等との連携による研究倫理に関するリテラシー向上に係る取組

2. PPI等「社会共創」の取組普及に係る業務

① AMED事業における取組支援

- AMED事業におけるPPIの取組に関する企画・運用・管理
- 機構内外からの要請に基づくPPI導入に関するコンサルティング業務
- ■ AMED事業の研究者からの問合せ対応
- ■ 役所や他FA等からの問合せ対応

② PPIの普及啓発に係る取組

- ■ 外部からの依頼に基づく講演・研修講師等の対応(年30件程度)
- 研究現場におけるPPI・RRI初学者に向けた研修(年3件程度)
- AMED事業と患者・市民との交流を促進するイベント等

③ 社会との対話や協働の促進に向けた取組

- AMED社会共創EXPO
- 高校「探求の活動」等への対応

3. 社会共創推進に向けた基盤的取組の充実 等

- ① 医学系研究をわかりやすく伝えるプロジェクト ■ 医学系研究をわかりやすく伝えるワークショップの開催
- ② SDGsに関する取組 ■ AMED事業におけるSDGsの取組紹介動画の制作・公開

参考

日本の成長戦略・勝ち筋に向けた創薬・先端医療の研究開発へのアプローチ

- 「現場中心主義」を徹底、アカデミアからの基礎研究を継続的・安定的に支援し、活性化を図りつつ、その成果をいち早く戦略的かつ弾力的に展開させることにより、日本発の医療イノベーションを促進し、患者さんに届ける。また、それらを我が国の地で実現できる創薬・先端医療に向けた優れた医療研究環境の構築、整備に関係省庁とともに取り組む。これらを通じ、健康長寿社会の実現や日本の成長戦略に貢献

① 日本発の医療イノベーションの促進

② 優れた医療研究環境の整備

1

複数年度に跨がる継続的かつ弾力的な予算措置及びマネジメント強化

- 基礎研究から創薬への実用化のために長期的な計画の下に、**複数年に跨がる執行が可能な継続的かつ弾力的な予算措置**
- また、後継事業候補における枠の拡充、柔軟化
- これらマネジメントに当たり、必要な人材の確保・育成及びシステム基盤の強化

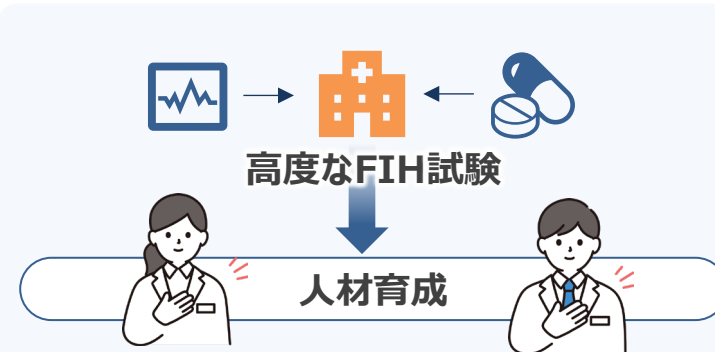
継続的かつ弾力的な支援が重要



2

高度なFIH試験推進のための環境整備に基づく研究開発の推進

- 臨床研究中核病院を中心に、高度なFIH試験を実施するために必要な**治験環境（治験設備、治験薬提供設備等）の整備**
- 治験・臨床試験を行う医師・研究者（KOLを含む）の**育成**



3

先端解析機能の環境整備及び基盤強化とAI活用研究開発による医療研究DXの推進

- 国際共同治験も想定したDCT環境の構築など**ビッグデータ利活用研究開発の推進に必要な先端解析機能の環境整備及び基盤強化**
- 医療研究DXを前提としたAI創薬（全ゲノムデータを用いた解析や画像解析、マルチオミックス解析等）やAI医療機器（AI手術室、フィジカルAI等）分野、データ連携等に関わる世界水準での研究開発の強化・推進

個々の医療データを統合して先端解析の環境整備を

