

令和7年度における業務の実績に係る 自己評価報告書概要

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構

目 次

令和7年度における業務実績における自己評価(概要).....	2
I. 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.....	6
(1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施.....	6
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.....	14
③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	20
④ 感染症プロジェクト	26
⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト.....	38
⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト.....	45
⑦ 橋渡し・臨床加速化プロジェクト.....	53
⑧ イノベーション・エコシステムプロジェクト.....	60
(2) 疾患領域に関連した研究開発.....	74
(3) AMEDに求められる機能の発揮とそのための体制の構築等	79
① 優れたシーズの創出・実用化の加速	80
② 8統合プロジェクトに共通する取組	88
③ 研究開発の環境の整備.....	103
④ 研究開発成果の普及.....	112
全統合プロジェクト共通指標について.....	120
全統合プロジェクト共通モニタリング指標について.....	121
II. 業務運営の効率化に関する事項.....	133
III. 財務内容の改善に関する事項.....	140
IV. その他業務運営に関する重要事項	143

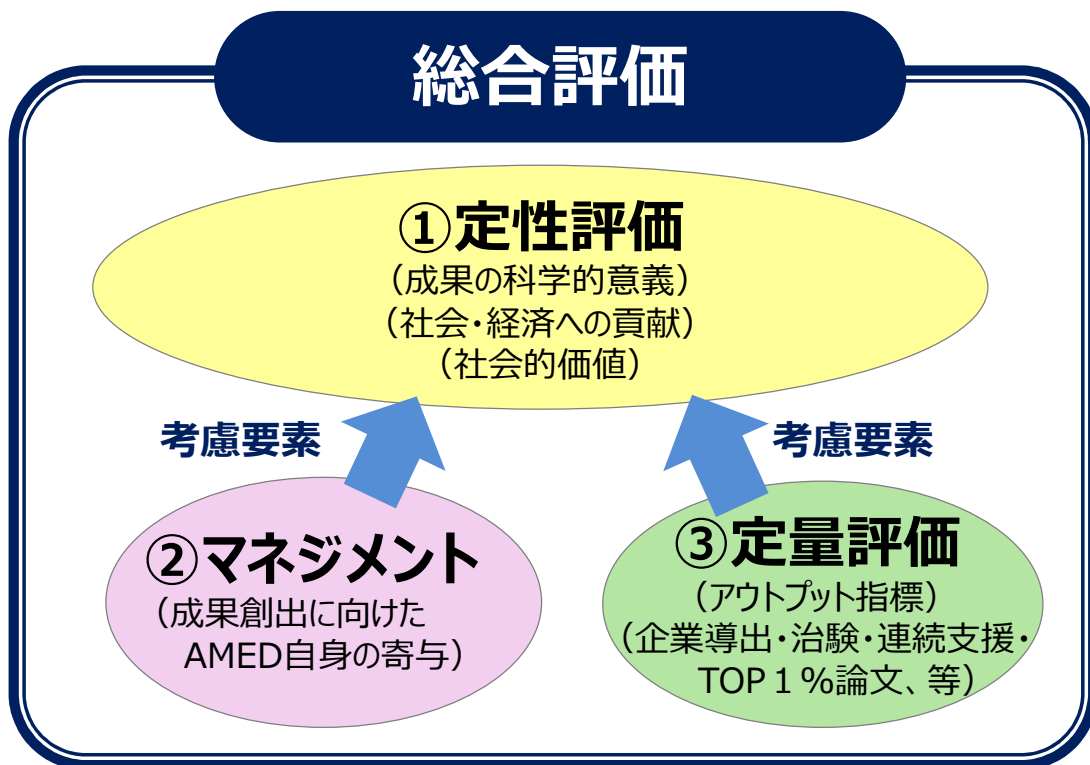
令和7年度における業務実績における自己評価(概要)

中長期目標(中長期計画)等の項目		令和7年度 仮評価
I.(1)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	まとめ	A
	①医薬品プロジェクト	s
	②医療機器・ヘルスケアプロジェクト	a
	③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	s
	④感染症プロジェクト	a
	⑤データ利活用・ライフコースプロジェクト	a
	⑥シーズ開発・基礎研究プロジェクト	a
	⑦橋渡し・臨床加速化プロジェクト	a
	⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト	a
I.(2)疾患領域に関連した研究開発		A
I.(3)AMEDに求められる機能の発揮とそのための体制の構築等	①優れたシーズの創出・実用化の加速	A
	②8統合プロジェクトに共通する取組	
	③研究開発の環境の整備	
	④研究開発成果の普及	
II.業務運営の効率化に関する事項		B
III.財務内容の改善に関する事項		B
IV.その他業務運営に関する重要事項		B

【第3期 評価イメージ】

- 総合評価は、②マネジメントと③定量評価を考慮した上で、①定性評価の内容に基づき、5段階評価(SABCD)を付す。
- ③は組織に課されたアウトプット指標の達成度から、平均値化した評点を一律に付す。

★評価項目の関係図



★評価項目の表

※△は○の考慮要素

第3期中長期目標項目		総合評価	①定性評価	②マネジメント	③定量評価
3(1)PJ実施	1.医薬品	●	○	△	△
	2.機器	●	○	△	△
	3.再生	●	○	△	△
	4.感染症	●	○	△	△
	5.DLC	●	○	△	△
	6.シーズ	●	○	△	△
	7.橋渡し	●	○	△	△
	8.エコ	●	○	△	△
3(2)疾患領域		●	△	○	—
3(3)体制構築		●	△	○	△
4業務運営効率化		●	—	○	—
5財務内容の改善		●	—	○	—
6その他業務運営		●	—	○	—

全統合プロジェクト共通の指標

※アウトプット指標→(1)(2)(3)(6)

※第3期では組織全体に課されている。

※アウトプット指標はモニタリング指標でもある。

(1) シーズの企業導出数

アウトプット指標: 130件/年(累計650件 2025~2029年度)

- ①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)
- ②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)
- ③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)
- ④疾患領域別の導出件数
- ⑤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支援による研究成果を活用して治験へ移行した課題又はAMED支援により治験を実施した課題。)

アウトプット指標: 60件/年(累計300件 2025~2029年度)

- ①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)
- ②企業治験の治験計画届の届出数(うち国際共同治験数)
- ③臨床性能試験の数

(3) 優れたシーズの発展・継続支援件数(※事業間の連続的支援数。同一事業内での課題の受け渡しも含む。)

アウトプット指標: 120件/年(累計600件 2025~2029年度)

- ①ペアリングによる他事業への受け渡し件数
- ②マッチングによる他事業への受け渡し件数
- ③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 モニタリング指標のみ

- ①品目の性格別の承認件数(新規の承認件数、適応拡大の承認件数、海外承認・認証件数、その他)
- ②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) 医療等実装された件数(薬事承認・認証を除く) モニタリング指標のみ

- ①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)
- ②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

①Top1%論文数 ← アウトプット指標: 120件/年(累計600件 2025~2029年)

②Top10%論文数 ← モニタリング指標のみ(健康・医療戦略アウトプット指標 850件/年)

③全論文数 ← モニタリング指標のみ(健康・医療戦略アウトプット指標 数値なし)

(参考)主務大臣評価(年度評価)における評価の定義

「国立研究開発法人日本医療研究開発機構の業務の実績等に関する評価の基準」

(平成27年9月1日内閣総理大臣、文部科学大臣、厚生労働大臣、経済産業大臣決定、令和3年4月6日最終改定)より要約

➤ **「B」を標準** (所期の目標を達成していると認められる状態) とする。

➤ 機構の目的・業務、中長期目標等に照らし、**機構の活動による成果、取組等について**諸事情を踏まえて**総合的に勘案**した結果、適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で「研究開発成果の最大化」に向けて、

S: **特に顕著な成果**の創出や将来的な特別な成果の創出の期待等が認められる。

■「成果・取組の科学的意義(独創性・革新性・先導性・発展性等)」の評価軸:

「世界で初めての成果や従来の概念を覆す成果などによる**当該分野でのブレイクスルー**、画期性をもたらすもの」、「世界最高の水準の達成」など

■「産業・経済活動の活性化・高度化への貢献」の評価軸:

「当該分野での世界初の成果の実用化への道筋の明確化による**事業化に向けた大幅な進展**」など

■「社会的価値(安全・安心な社会等)の創出への貢献」の評価軸:

「研究成果による新たな知見が国や公的機関の基準・方針や取組などに反映され、**社会生活の向上に著しく貢献**」など

■「マネジメント」や「人材育成」の評価軸:

「国内外の大学・法人、民間事業者等との新たな連携構築による優れた研究成果創出への貢献」、「我が国において政策的に重要であるが人材不足となっている分野に対し、多数の優れた研究者・技術者の育成、活躍促進に係る取組の実施」など

A: **顕著な成果**の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

■ S 評価には至らないが**成果の発見による相当程度の意義、成果、貢献**

B: **成果**の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められ、**着実な業務運営**がなされている。

➤ 「研究開発成果の最大化」又は「適正、効果的かつ効率的な業務運営」に向けて

C: より一層の工夫、改善等が期待される。

D: 抜本的な見直しを含め特段の工夫、改善等が求められる。

I . (1)基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

自己評価		評価単位(Ⅰ.(1)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)における項目別の自己評価は以下のとおりであり、本評価単位として、下記(※)に基づき、A評価とする。	
A			
第3期中長期目標_項目		R7評価	
		自己評価	点数
Ⅰ.(1)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		A	3.3
項目別 評定	① 医薬品プロジェクト	s	4
	② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト	a	3
	③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	s	4
	④ 感染症プロジェクト	a	3
	⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト	a	3
	⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト	a	3
	⑦ 橋渡し・臨床加速化プロジェクト	a	3
	⑧ イノベーション・エコシステムプロジェクト	a	3

【評価要領抜粋】

(1)点数化

項目別評定結果を次のとおり点数化する。

s:4、a:3、b:2、c:1、d:0

(2)平均値の算出

(1)による評価単位の点数を平均し、上位の項目の点数を算出する。

(3)ランク付け

(2)で算出した点数を次のとおりランク付けし、ランクに対応する評定を主務大臣評価とする。

3.5以上 :S 2.5以上3.5未満:A 1.5以上2.5未満:B

0.5以上1.5未満:C 0.5未満 :D

①医薬品プロジェクト

設定された第3期の各評価指標において、目標を大きく上回る成果が得られ、AMED独自の仕組みを構築するとともに、技術支援基盤等の積極的な活用により、患者さんに新しい医薬品を数多く届ける等、医薬品研究開発の推進に大きく貢献した。

(1) 継続的な研究開発支援により、社会的意義のある医薬品の承認や、将来的に創薬につながる可能性が高い革新的な成果等、顕著な成果が認められた。

- ① 小児／難治／希少疾病等の社会的意義がある医薬品の承認
- ② 世界に先駆けた革新的医薬品の創出に繋がる疾患メカニズムや作用メカニズム等の解明

(2) 技術基盤やプラットフォーム構築の加速により、社会実装に繋がる成果が得られた。

- ① AMED主導による創薬研究加速に繋がる技術基盤／プラットフォームの構築
- ② 多様なステークホルダーとの連携推進による新たな創薬エコシステムの構築

(3) 国や学会等の公的機関における基準に反映されるとともに、研究成果の理解促進のためにアウトリーチ活動を推進し、AMEDの社会的価値の創出を推進した。

- ① 研究成果の公的機関における基準・方針への反映
- ② 一般社会への理解促進のためのアウトリーチ活動の実施

(4) 実用化に資する事業内／事業間連携等による切れ目のない研究開発支援の新たな取組みを構築し、実用化までの時間短縮に向けて大きく貢献した。

- ① 事業間／省庁間連携による研究開発の実用化を加速する仕組みの構築
- ② 企業からみた社会的ニーズの把握によるアカデミア創薬シーズの実用化の加速

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

① 医薬品プロジェクト

(1) **継続的な研究開発支援(PD/PS/POのマネジメント下での丁寧な伴走支援等)**により、社会的意義のある医薬品の承認や、将来的に創薬につながる可能性が高い革新的な成果等、顕著な成果が認められた。

(1)-① 社会的意義のある医薬品の承認等の顕著な成果

エンハーツが標準的な治療が困難なHER2陽性の進行・再発の固形がんに対する治療薬として承認【適応拡大】

<AMEDが国内第Ⅱ相医師主導治験を支援>

リキッドバイオプシーからHER2遺伝子増幅が検出された、16種の固形がん患者を対象とする臨床試験(HERALD試験)の実施にあたりAMEDが支援を行った。当該試験結果を基に、**日本で初めて**のがん種横断的な抗HER2療法の取得に繋がった。本承認の取得により、多くのHER2陽性の固形がん患者に対する治療への貢献が期待される。

臨床研究・治験推進研究事業：谷口浩也(愛知県がんセンター)

イラリスが世界初の「シュニッツラー症候群」に対する治療薬として承認【適応拡大】

<AMEDが国内第Ⅱ相医師主導治験を支援>

AMEDの支援により、後天性の自己炎症性疾患であるシュニッツラー症候群に対する**世界初(ファースト・イン・クラス)**の治療薬(「IL-1β」の働きを抑える抗体医薬)の承認に繋がった。本効能の取得(適応拡大)によって、これまで治療薬のなかった当該患者に対する治療への貢献が期待される。

難治性疾患実用化研究事業：神戸直智(京都大学)

カルボプラチン「腹腔内投与」が卵巣がんの一次化学療法として承認【新投与経路】

<AMEDが国際共同試験(第Ⅱ/Ⅲ相試験)を支援>

腹腔内投与されたカルボプラチンが腹膜から極めて効率的に全身へ吸収されることが示され、腹腔内投与は局所療法ではなく、最適化された全身投与方法であるという**新たな治療パラダイムの確立**につながった。

臨床研究・治験推進研究事業：藤原恵一(埼玉医科大学)

セルセプトが難治性の頻回再発型/ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対するリツキシマブ投与後の寛解維持を目的とした免疫抑制薬として承認【適応拡大】

<AMEDが多施設共同二重盲検プラセボ対照ランダム化比較試験を支援>

難治性の頻回再発型/ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対するリツキシマブ投与後の再発が抑制され、**患者さんのQOLの向上が期待される**。

臨床研究・治験推進研究事業：飯島 一誠(神戸大学)

抗FGF2アプタマー「RBM-007」が軟骨無形成症に対するオーファンドラッグに指定

<AMEDが第Ⅱ相試験を支援>

新生児約25,000人に対して1人の発生率という**希少疾患であり指定難病**である軟骨無形成症の根治療法になることが期待され、骨端線閉鎖を伴わない**軟骨無形成症**を予定される効能・効果として、厚生労働大臣より指定された。今後、速やかな上市に向けて、第Ⅲ相試験を開始予定。

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業：安達健朗(株式会社リボミック)

ATP加水分解酵素阻害剤「KUS121」が網膜中心動脈閉塞症に対するオーファンドラッグに指定

<AMEDが第Ⅱ相試験を支援>

年間10万人に約2.5人が発症する高齢者に多い希少疾患であり、網膜中心動脈の血栓閉塞により不可逆的に視力・視野障害が起こる重篤な疾患に対し、**視力低下の改善**を予定される効能・効果として、厚生労働大臣より指定された。今後、速やかな上市に向けて、第Ⅲ相試験を開始予定。

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業：岡本征己(株式会社京都創薬研究所)

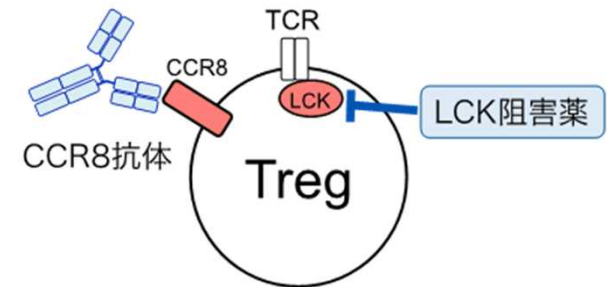
I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

① 医薬品プロジェクト

(1)-② 将来的に創薬につながる可能性が高い革新的な成果等の顕著な成果

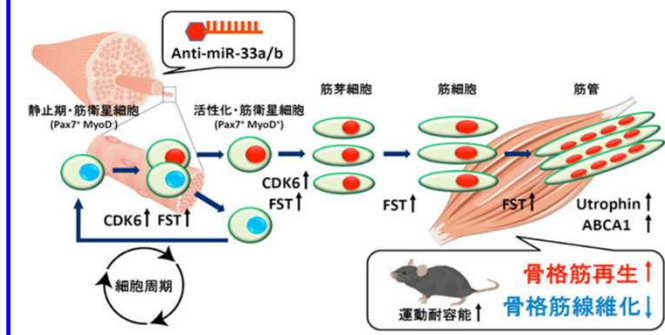
- **2025年のノーベル生理学・医学賞の受賞**につながった、制御性T細胞(Treg)機能を標的とする治療薬研究に対し、次世代がん医療加速化研究事業等において2015年度から2024年度までの9年間にわたり、**実用化を見据えた研究支援を継続的に行った。**(図1)
- 次世代がん医療加速化研究事業において、以下の研究課題に対して研究の進捗状況及び課題特性を踏まえた**機動的・柔軟な支援を行い、社会的価値の高い革新的な成果**が得られた。
 - － 極めて予後不良な成人T細胞白血病リンパ腫及び末梢性T細胞リンパ腫の発症・進行メカニズムの解明
＜世界初の作用機序を有する治療薬(バレメスタット)の承認取得、**第8回日本医療研究開発大賞「内閣総理大臣賞」受賞**>
 - － 様々な造血器腫瘍における網羅的遺伝子解析に係る研究
＜造血器腫瘍の診断、治療法選択及び予後予測を可能とする遺伝子パネル検査「ヘムサイト」の承認取得、**第8回日本医療研究開発大賞「文部科学大臣賞」受賞**>
- スマートバイオ創薬等研究支援事業において、革新的な高機能バイオ医薬品等の創出を推進し、骨格筋の再生に重要な働きを持ち、筋ジストロフィーの病態形成に密接に関わっているマイクロRNAを見い出し、**未だ十分な治療薬が存在しない筋ジストロフィーに対する新たな革新的治療薬の確立につながる顕著な成果**が認められた。(図2)

図1 制御性T細胞を標的とした新規がん免疫療法の開発
－ノーベル生理学・医学賞の受賞－



次世代がん医療加速化研究事業：坂口志文(大阪大学)

図2 核酸医薬による筋ジストロフィーへの治療応用



スマートバイオ創薬等研究支援事業：小比賀聡(大阪大学)

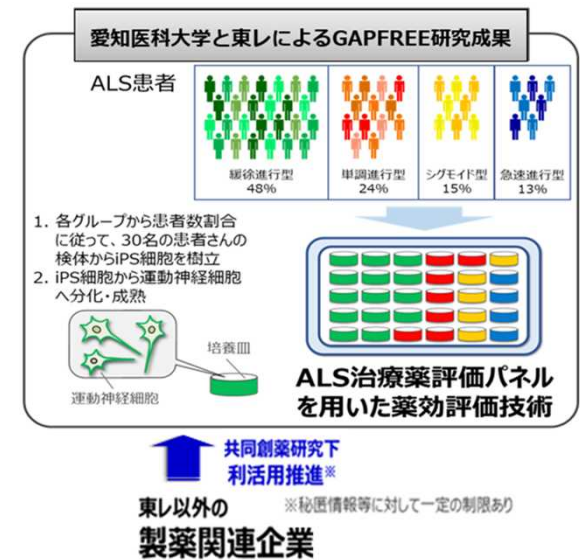
I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

① 医薬品プロジェクト

(2) 技術基盤やプラットフォーム構築の加速により、社会実装に繋がる成果が得られた。

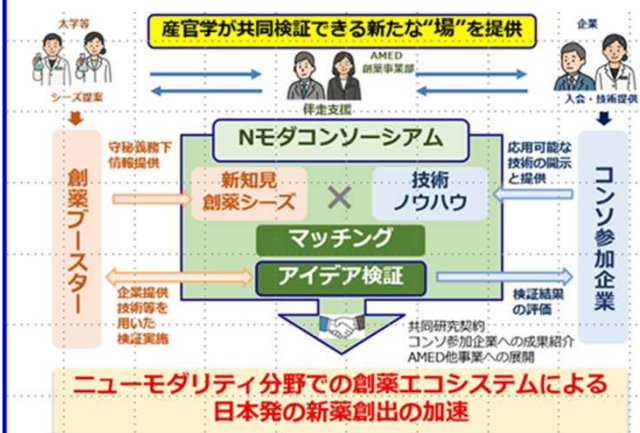
- 創薬基盤推進研究事業において、産学官の共同研究(GAPFREEプロジェクト)を推進し、筋萎縮性側索硬化症(ALS)の様々な病態に対応した患者iPS細胞由来運動神経細胞を用いた薬効評価技術を確立し、製薬企業が創薬に活用可能なオープンイノベーションの枠組みを構築した。(図3)
- 生命科学・創薬研究支援基盤(BINDS)事業において、全自動測定と大規模計算科学計算システムによる即時データ解析により、世界最高水準のタンパク質構造解析の完全自動測定・データ利用を可能にする技術基盤を整備し、日本全国の研究者への一層充実した構造解析支援を開始した。
- 創薬支援推進事業において、大学や公的研究機関の有する優れた創薬シーズの研究開発を推進し、研究成果の社会実装に貢献する以下のような顕著な成果が認められた。
 - 創薬ブースターの伴走支援を効率化するため、AMEDを代表機関とする体制として、新規モダリティ分野における創薬シーズを産学官が共同検証出来る、ニューモダリティコンソーシアムを創設し、企業保有技術を用いた検証試験開始のための準備を2件完了(図4)
 - 製薬企業等による早期導入判断が可能になり実用化の加速につなげるため、アカデミア創薬シーズに対して精度管理された薬効評価試験を実施するプログラムを創設
 - 第2期に構築した統合創薬AIプラットフォーム(DAIIA)をElix社に導出し事業化するとともに、標的探索やシーズ検証の機能を追加し、低分子に加えて中分子・高分子へと対象モダリティを拡大することで、産学官の創薬現場で活用できる産学連携AIプラットフォーム(DAIIA-X)として、製薬企業等12社とともに開発を開始
 - 創薬ブースターにおいて、結核、肺動脈性肺高血圧症を対象とするファースト・イン・クラス創薬シーズ2件を企業等に導出

図3 ALSに対する薬効評価技術の確立



創薬基盤推進研究事業：祖父江元(愛知医科大学)

図4 ニューモダリティコンソーシアム



創薬支援推進事業(産学協働新モダリティ創薬推進事業)

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

① 医薬品プロジェクト

(3) 国や学会等の公的機関における基準に反映されるとともに、研究成果の理解促進のためにアウトリーチ活動を推進し、AMEDの社会的価値の創出を推進した。

(3)-① 公的な基準、ガイドライン等への反映

- 医薬品等規制調和・評価研究事業において、**規制ニーズを踏まえた研究支援を通じてレギュラトリーサイエンス研究を推進し、各モダリティの特性を踏まえた2件のガイドライン策定**に繋げた。本事業の推進により、**薬事規制の考え方が十分に整理されていない新規モダリティについて、製品開発のボトルネックの解消に資することが期待される。**
 - － セラノスティクスを含む放射性医薬品について、従来の医薬品ガイドラインでは明確でなかった非臨床試験および臨床試験の評価の考え方を整理し、「治療用放射性医薬品の非臨床試験と臨床試験デザインに関するガイドライン」として行政通知
 - － 医薬品等の開発のための生物由来原料基準の9つの検討課題を整理し、「生物由来原料基準の一部を改正する件について」として行政通知

(3)-② 積極的なアウトリーチ活動によるAMEDの社会的価値の創出の推進

- 事業間連携を見据えた見据えたアカデミアシーズの実用化促進を目的として、第84回日本癌学会において、**次世代がん医療加速化研究事業/革新的がん医療実用化研究事業/生命科学・創薬研究支援基盤(BINDS)事業の3事業が連携してシンポジウム・セミナーを開催し、がん創薬に資する支援内容やがん予防と根治をめざした課題と展望を情報発信した。**
- 国内外で48件のAMED主導によるアウトリーチ活動を実施し、**AMED事業の支援内容や研究成果の理解促進を推進した。**
 - － シンポジウム・セミナー: 16件 (BINDSシンポジウム2025、レギュラトリーサイエンス公開シンポジウム等)
 - － 講演: 20件 (第40回日本環境感染症学会総会、製薬会社合同研究ニーズ説明会、第54回薬剤耐性菌研究会等)
 - － 執筆: 7件 (科学新聞、月刊グリーンテクノロジー、DDS学会誌、医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス誌)
 - － 学会ブース出展: 3件 (第25回日本蛋白質科学会年会、第48回日本分子生物学会年会、日本薬学会第146年会)
 - － AMEDプレスリリース: 2件 (生命科学・創薬研究支援基盤事業、臨床研究・治験推進研究事業)

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

①医薬品プロジェクト

(4) 実用化に資する事業内／事業間連携等による切れ目のない研究開発支援の新たな取組みを構築し、実用化までの時間短縮に向けて大きく貢献した。

- **調整費の活用によりAMED主導の省庁間連携(事業間連携)を推進**し、第2期に創薬支援推進事業(厚労省所管)で設立した産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)で構築したAMED中分子ライブラリー(約10万化合物)を生命科学・創薬研究支援基盤(BINDS)事業(文科省所管)に移管・整備した。(図5)

これにより、ライブラリーの利用を創薬ブースターの支援課題に限定することなく、**全てのアカデミア研究に対象を拡大し、ライブラリー提供からリード化合物創出までのシームレスな支援体制を構築した。**

- 革新的な医薬品の実用化を加速するため、がん研究2事業(次世代がん医療加速化研究事業／革新的がん医療実用化研究事業)間でのペアリング・マッチング(図6)や、難治性疾患実用化研究事業と創薬支援推進事業(創薬ブースター)の連携強化(図7)等、**切れ目のない研究開発の推進につながる、円滑な事業間連携体制を構築した。**

- 製薬業界(JPMA)との連携をさらに発展・強化し、AMED研究支援シーズの実用化の加速等に資する、より個別具体的な議論の場として「**実務レベル共創会議**」を設立し、**AMEDの研究開発支援への更なる協力体制を構築した。**

- PMDAとの連携協定に基づき定期的な意見交換会を実施したほか、新規モダリティの実用化に向けてAMED-FLuXとの連携の仕組みを構築し、**PMDAの「新規モダリティ医薬品等薬事開発支援プログラム」を活用して医薬品の研究開発を加速させた。**

- 医療分野のトランスレーショナル・リサーチに関する国際連携の場であるTranslation Together[※]の年会合に参画し、**国際的なFunding Agencyとのネットワーク拡大に努めるとともに、研究シーズの実用化に向けた意見交換等を実施した。**

※ 日本、米国、英国、欧州、カナダ、豪州、ブラジルがメンバー

図5 省庁間連携による化合物ライブラリーの移管・拡充

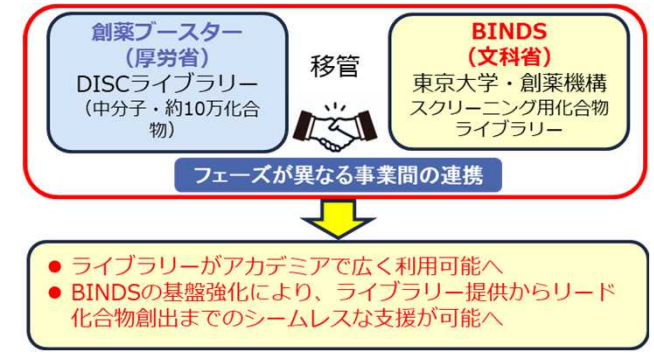


図6 がん事業における事業間連携(ペアリング・マッチング)



図7 難治性疾患実用化研究事業と創薬支援推進事業(創薬ブースター)における事業間連携



I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

① 医薬品プロジェクト



【モニタリング指標】			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	1	非臨床PoC取得件数	70件	

- (1) 新しい医療的価値を持ったインパクトの高い医療機器を医療現場に届けるための取組や科学的エビデンスが担保されたヘルスケアサービスを社会に届けるための取組
 - ① 国内レジストリのみを用いた評価によって迅速に薬事承認を取得した本邦初の事例
 - ② 科学的エビデンスを備えたヘルスケアサービス創出の推進
- (2) 「医療機器開発エコシステム」を通じて、グローバル市場獲得も見据えた進出を後押しするための取組やヘルスケア分野における市場活動の活性化等のための取組
 - ① 医療機器開発を行うスタートアップ企業と医療機器メーカーとのコンテストピッチ等を実施するアクセラレーションプログラム「MedTech ROUND」の開始
 - ② ヘルスケア研究開発の成果普及の実施
- (3) 医療機器の安定供給、ガイドライン等の創出、介護テクノロジーの開発・普及の促進、国民の健康課題に貢献する成果の創出のための取組
 - ① 開発・実用化の隘路を解消するガイダンスの策定と2040年を見据えたガイダンステーマの議論を開始
 - ② 介護テクノロジーのパッケージで効果の検証
 - ③ ヘルスケア産業育成のための環境整備
- (4) 切れ目ない研究開発支援、実用化プログラムの活用、エコシステムの形成や基礎研究の推進と次世代を担う若手研究者の育成への寄与
 - ① 研究開発成果の実用化を推進する「実用化プログラム」の運用、実施
 - ② 継続的な研究開発支援や若手育成を行うための「事業内ステップアップ」事例

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

②医療機器・ヘルスケアプロジェクト

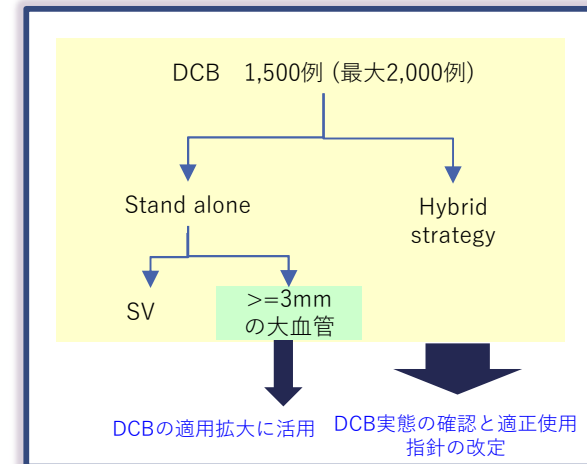
(1) 新しい医療的価値を持ったインパクトの高い医療機器を医療現場に届けるための取組や科学的エビデンスが担保されたヘルスケアサービスを創出し社会に届けるための取組

① 国内レジストリのみを用いた評価によって迅速に薬事承認を取得した本邦初の事例

冠動脈疾患に対する経皮的冠動脈インターベンション(PCI)治療における薬剤塗布型バルーン(DCB)の安全性及び有効性を確認することを目的に、リアルワールドデータを収集し、日本心血管インターベンション治療学会(CVIT)と連携した医師主導の国内レジストリを構築し、このエビデンスを用いた研究開発を実施。対照血管径が3.0mm以上の新規冠動脈病変への適応拡大を目指し、登録された症例(57施設・1795例)のうち、バルーン径3.0mm以上のDCBを使用した症例成績を用いて令和8年2月19日に一部変更承認を得た。これまで、海外の市販後レジストリや企業主導の国際共同レジストリを活用した承認事例はあったが、本成果は本邦レジストリ結果のみを用いた評価をもって薬事承認を取得した初の事例である。

学会の協力(適正使用のためのステートメント発出)、同意文書の統一(研究計画段階からレジストリのプロトコルやデータの信頼性に関してPMDAとの対面助言を活用、2次利用を含めた患者同意を全例で取得)の工夫や、PMDA相談をマイルストーンとし、AMEDでマネジメントすることにより、研究開発期間内での迅速な薬事承認申請及び承認取得に繋がった。

ALLIANCE registry概略



② 科学的エビデンスを備えたヘルスケアサービス創出の推進

令和6年度までの事業における検討の結果、科学的エビデンスの構築に加え、持続的な収益化を支える経済的エビデンスの確立が不可欠であることが明らかになったことから、令和7年度より「予防・健康づくりの社会実装に向けた研究開発基盤整備事業(ヘルスケアサービス実用化研究事業)」をスタートした。本事業では、IoTデバイスやアプリ等を活用した予防・健康づくりサービスを対象に、科学的・経済的価値のエビデンス構築から事業化までを一体的に支援している。さらに、科学的・経済的エビデンスに基づくサービスの実用化を確実に進めるため、「同じく令和7年度からスタートした「予防・健康づくりの社会実装加速化事業」により、ビジネスの専門的見地からの伴走支援を行うことで、社会実装の実現に向け支援を行い、計画の精度向上を図った。いずれの事業も令和7年度にスタートしたところであり、両事業の相乗効果による着実な成果の創出に向け、支援を継続しているところである。

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

(2) 「医療機器開発エコシステム」を通じて、グローバル市場獲得も見据えた進出を後押しするための取組やヘルスケア分野における市場活動の活性化等のための取組

① 医療機器開発を行うスタートアップ企業と医療機器メーカーとのアクセラレーションプログラム

「MedTech ROUND」の開始

医療機器メーカーがスタートアップを育成し、**グローバル市場も含めた市場競争力の高い製品／ビジネスを共創する環境構築**を目指し、日本発のイノベーションをより早く世界につなぎ、次世代の医療を切り開くことを目的に、「医工連携グローバル展開事業（国際展開伴走支援事業）」内にて、「**MedTech ROUND**」を実施。令和7年度においては、**日米欧の大手企業15社がアクセラレーターとして参画し、エントリーしたスタートアップ企業80社の内、13社がアクセラレーターとマッチング**した。今後、ピッチイベントなどを通じて、**さらなる開発のアクセラレーションが期待**される。



アクセラレータ企業との意見交換の様子

② ヘルスケア研究開発の成果普及の実施

「予防・健康づくりの社会実装に向けた研究開発基盤整備事業（ヘルスケア社会実装基盤整備事業）」において、医学会が整理し策定した指針の普及に向けて、令和7年度は「**予防・健康づくり領域の社会実装シンポジウム**」（会場約150名・オンライン約700名）や、**東京・大阪・名古屋・小倉で計6回のワークショップ（各回20～50名）を実施**し、参加者数・開催回数ともに前年度を上回る成果を得た。

「介護テクノロジー社会実装のためのエビデンス構築事業」では、**介護現場と開発企業の連携を促す「介護テクノロジー導入・活用セミナー」**や、在京大使館を招待した「**海外展開を見据えた介護テクノロジーの研究開発シンポジウム**」を開催し、国内普及と海外展開を視野に入れた市場活動の推進に寄与した。

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

(3) 医療機器の安定供給、ガイドライン等の創出、介護テクノロジーの開発・普及の促進、国民の健康課題に貢献する成果の創出のための取組

① 開発・実用化の隘路を解消するガイダンスの策定と2040年を見据えたガイダンステーマの議論を開始

「次世代型医療機器開発等促進事業」のガイダンス策定プロジェクトにおいて、革新的な医療機器の開発及び海外市場の獲得に向け、開発基盤整備・海外規制対応に対象を拡大して3件のガイダンス(生成AI／ユーザビリティエンジニアリング／ソフトウェアライフサイクルプロセス)作成に取り組んだ。

また、領域策定プロジェクトにおいて、2040年に見込まれる医療・社会状況に対応するガイダンステーマ選定に向け、議論を開始させた。

② 介護テクノロジーのパッケージで効果の検証

「介護DXを利用した抜本的現場改善事業」では、複数の介護テクノロジーを組み合わせたパッケージを介護施設・在宅事業所に導入し、業務負担軽減、効率化、ケア品質向上の効果をデータと現場の声から検証した。導入コンサルティングや研修を含む定着支援も併せて実施し、運用の定着を促進した。得られた知見は成果報告会を通じて研究課題同士共有・意見交換を行い、今後はさらなる介護DXの普及と現場改善の横展開を目指す。

③ ヘルスケア産業育成のための環境整備

医学会が整理したヘルスケアサービスに関する「指針」を効率的に普及させるため、E-LIFEヘルスケアナビ(プライマリ・ヘルスケアプラットフォーム)を活用し、ヘルスケアサービスの利用者側・開発側の双方が指針を容易に参照・活用できる環境整備を進めた。動画による指針の解説やイベントの案内、AMED研究の成果普及等にこのプラットフォームを活用することにより学識者、開発者、利用者がヘルスケアサービスに係る情報を一元的に得られることが期待される。

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

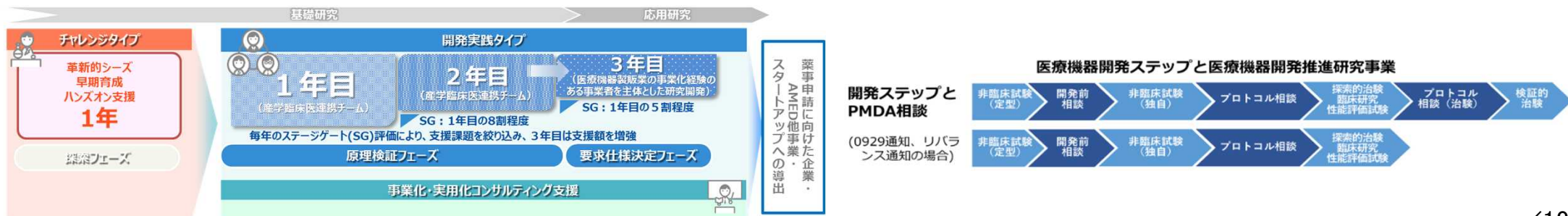
(4) 切れ目ない研究開発支援、実用化プログラムの活用、エコシステムの形成や 基礎研究の推進と次世代を担う若手研究者の育成への寄与

① 研究開発成果の実用化を推進する「実用化プログラム」の運用、実施

医療機器・ヘルスケアプロジェクト内の事業において、PDPSP0の研究開発支援のマネジメントツールとして整備し、より適切な専門家の知見を横展開させるフレームワークとして令和4年度から運用を開始した「実用化プログラム」について、採択12課題及び不採択5課題の計17課題を対象に延べ21回、研究代表者に対して事業化に向けた多角的な助言を行い、研究開発課題の実用化を推進。具体的には、開発中の製品コンセプトに係る客観的な評価、薬事承認に向けた試験プロトコル策定等の詳細なプロセス構築、保険償還価格の考え方、海外展開に向けた戦略構築の方法等、それぞれの研究者が抱えている課題や予見困難な問題等に関する専門家の知見導入を実現した。

② 継続的な研究開発支援や若手育成を行うための「事業内ステップアップ」事例

医療機器等研究成果展開事業においては「チャレンジタイプ」「開発実践タイプ」の2段階、医療機器開発推進研究事業においては「臨床評価準備」「探索的治験」「検証的治験」の3段階でのStep by Stepの公募を行っており、これを活用することで「事業内ステップアップ」で継続的な研究開発支援を実現。医療機器等研究成果展開事業では13件中8件のステップアップ実績。医療機器開発推進研究事業では2件（うち1件については明確なマイルストーン管理を実施したことで、2年計画であった臨床評価準備を1年で終了し早期にステップアップ、令和7年度中の探索的治験実施につながった）。



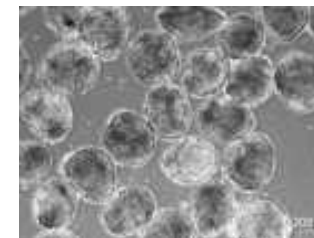
I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

②医療機器・ヘルスケアプロジェクト

【モニタリング指標】			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	1	PMDA対面助言実施件数	20件	

(1) iPS細胞研究の社会実装加速

- ①世界初となるiPS細胞由来再生医療等製品2品目承認
- ②AMEDの一貫支援体制が成果創出を後押し



iPS細胞由来ドパミン
神経前駆細胞



iPS細胞由来
心筋シート

(2) 再生医療・遺伝子治療の産業化を加速する製造技術革新

- ①国産AAVベクター産生細胞(HAT細胞)の樹立による製造基盤強化
- ②QbDに基づくヒト細胞加工製品製造の考え方を公開
- ③製造移行を見据えたチェックリスト整備による実用化支援強化

(3) 令和7年度におけるプロジェクトの画期的な成果

- ①日本医療研究開発大賞 AMED理事長賞の受賞
- ②社会実装に向けた顕著な成果

(4) AMEDマネジメントを通じた成果最大化

- ①調整費を活用し、実用化に向けた事業間連携を推進
- ②PJ3において事業横断で展開した目覚ましい研究事例

Ⅲ. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

(1) iPS細胞研究の社会実装加速

① 世界初となるiPS細胞由来の再生医療等製品2品目の製造販売承認

平成18年に山中伸弥教授が世界で初めてiPS細胞を樹立。令和7年度、日本においてiPS細胞由来の再生医療等製品2品目が条件及び期限付きで製造販売承認され、実用化段階へと大きく前進。虚血性心筋症およびパーキンソン病を対象とし、日本発の基礎研究成果が社会実装に至った画期的事例。本事例についてはAMEDのホームページにて日本語版および英語版で掲載し、これまでの取組を社会に広く発信。加えて、iPS細胞由来の腎前駆細胞、胸腺上皮細胞、網膜色素上皮細胞、肝臓オルガノイド、呼吸器オルガノイド等でも顕著な成果。

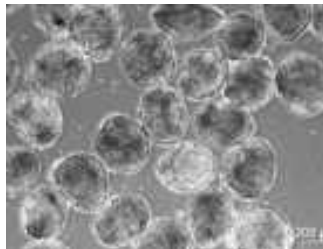
② AMEDの一貫支援体制が成果創出を後押し

①の成果は単独の事業によるものではなく、基礎・応用研究からの支援、疾患特異的なiPS細胞を用いた研究の推進、製造・品質評価技術の高度化、医師主導治験支援、規制対応への支援等の段階的な成果の積み上げが寄与。

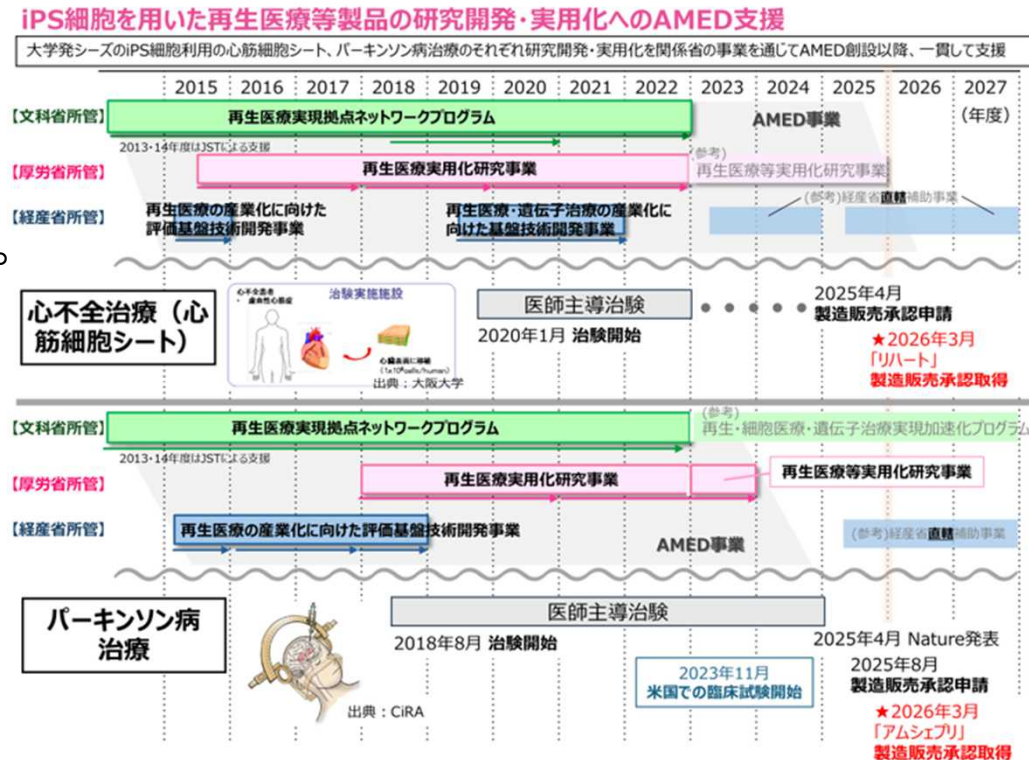
AMEDは平成27年度の創設以降、PD、PS及びPOによる進捗管理の下で文部科学省・厚生労働省・経済産業省の事業を通じて複層的・重点的に支援。長期的・一貫的な研究開発支援が、製造販売承認の取得という明確な成果に結実し、AMEDに期待されている機能を発揮。



iPS細胞由来心筋シート



iPS細胞由来ドーパミン神経前駆細胞



Ⅲ. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト



(2) 再生医療・遺伝子治療の産業化を加速する製造技術革新

①国産AAVベクター産生細胞(HAT細胞)の樹立による製造基盤強化

次世代バイオ医薬品製造技術研究組合、ちとせ研究所、国立成育医療研究センター、大阪大学の協働により、安定した増殖性と高いAAVベクター生産性を両立する国産細胞によるGMP/GCTP準拠のマスターセルバンクを樹立。AMEDによる産学連携体制の構築と伴走型マネジメントの支援が有効に機能。今後は、国産AAVベクター製造プラットフォームの確立による供給安定性とコスト競争力の向上、ひいては日本の遺伝子治療研究開発の活性化が期待される。

②QbDに基づくヒト細胞加工製品製造の考え方を公開

「QbDに基づく再生医療等製品製造の基盤開発事業」における製造工程開発の指南書およびAppendixの公開。従来の医薬品製造とは全く異なる細胞加工製品開発に対し、Quality by Design (QbD) 概念に基づくヒト細胞加工製品製造の実践的指針。

③製造移行を見据えたチェックリスト整備による実用化支援

研究段階から製造段階への移行円滑化を目的とした「製造タスクフォース」の設置。実用化支援課題と再生医療イノベーションフォーラムが連携して、開発状況や規制論点を整理するチェックリストを整備。アカデミア発シーズの事業化成功確率向上と企業導出加速への貢献。

Ⅲ. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

(3) 令和7年度におけるプロジェクトの画期的な成果

①日本医療研究開発大賞 AMED理事長賞の受賞

- ・日本医療研究開発大賞 AMED理事長賞を2件受賞。

京都大学・大野特定拠点講師らによるスプリットRNAスイッチ技術の開発、慶應義塾大学・森本特任准教授らによるALS治療薬候補の医師主導治験研究。臨床応用までを見据えた研究成果。



②社会実装に向けた顕著な成果

- ・自家滑膜間葉系幹細胞による半月板損傷治療の再生医療等製品
東京科学大学・関矢教授の医師主導治験で有効性・安全性を確認。富士フイルム富山化学(株)が厚生労働省へ製造販売承認を申請。複数のメディアで報道。
(参考)当該製品は、令和8年5月に製造販売承認を取得。
- ・新たな遺伝子編集技術の発展
iPS細胞とエピゲノム編集によるプラダー・ウィリー症候群治療研究
慶應義塾大学・東京医科大学の研究グループ(根本研究員、岡野教授、尾崎教授、奥野講師)。
患者由来iPS細胞と改良型CRISPR-Cas9で遺伝子機能を回復。複数のメディアで報道。
国産CRISPR-Cas3を活用した遺伝子治療においても(東京大学 真下教授)大きな前進。

Ⅲ. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

(4) AMEDマネジメントを通じた成果最大化

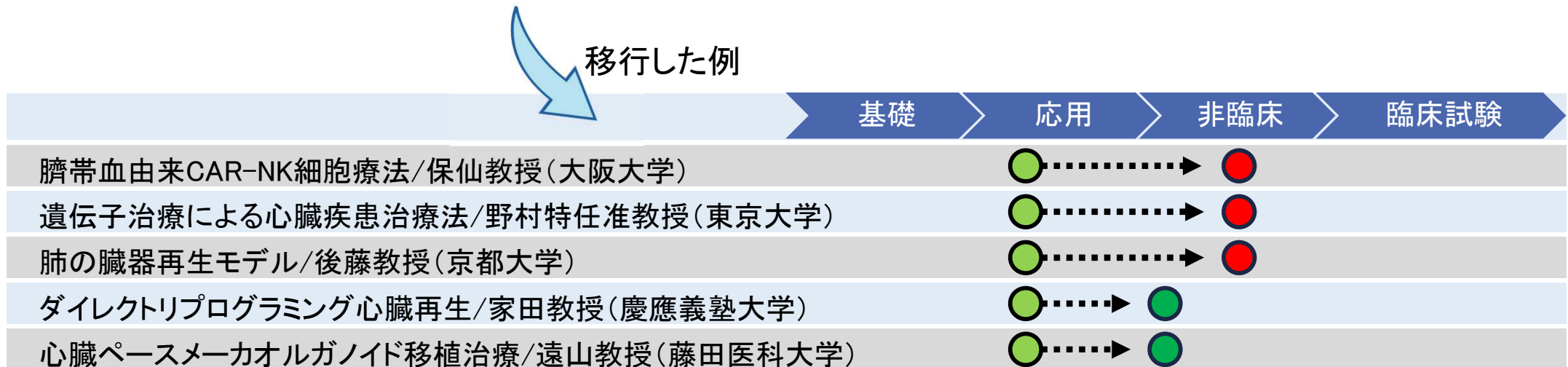
①調整費を活用し、実用化に向けた事業間連携を推進

調整費の戦略的活用により有望課題を次段階事業へ展開。研究を加速し、成果を最大化した。

- ・腫瘍溶解性ワクシニアウイルスによるがん治療研究をスタートアップ支援プログラムへ接続。
- ・再生医療ナショナルコンソーシアムの成果を基盤技術開発事業へ展開準備。
- ・GJB2変異型難聴を対象とした新型AAV研究を再生等ステップ1からステップ2へ。

②PJ3において事業横断で展開した目覚ましい研究事例

- ・PD、PS及びPOの助言やAMED担当者の寄り添ったサポートを通じた研究開発マネジメント。
 - ・再生・細胞医療・遺伝子治療研究交流会等を通じた産学連携強化。PMDAによる助言機会の提供。
- ⇒次の研究開発フェーズへの移行を後押し。



●、● : 文部科学省事業

● : 厚生労働省事業

Ⅲ. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

【モニタリング指標】(事業間連携の強化)		令和7年度の達成状況	補足
1	非臨床PoC取得件数	29件	
2	再生医療等安全確保法下での臨床研究件数	1件	
3	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	5件	

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ 感染症プロジェクト

R7年度
自己評価

a



(1) 明確な課題設定と戦略による研究開発の実施進展に資する成果の創出

- ・調査分析の成果としては、出願動向に関するレポートを作成し、課題採択や伴走支援に活用することで、知的財産戦略を踏まえた研究開発を推進
- ・研究開発基盤の強化等としては、高病原性H5N1鳥インフルエンザについて性状分析及び備蓄ワクチンの効果検証を実施し、喫緊の感染症流行動向を踏まえた研究開発を推進
- ・ワクチン・モダリティ等の研究開発推進の成果としては、第Ⅱ相試験1件、第Ⅰ相試験3件の開始、非臨床PoC 8件の取得など、研究開発が着実に進展

(2) 事業間連携等の切れ目ない支援による産業・経済活動への貢献

- ・開発上の好機を捉えた支援の成果としては、臨床現場で使用可能なSFTS迅速診断キット試作品の作製に成功
- ・継続的な支援の成果としては、日本発のB型慢性肝炎経鼻治療ワクチン、B型慢性肝炎新規経口薬、新規作用機序を有するB型慢性肝炎の治療薬に対する非臨床試験等が着実に実施され、いずれも臨床試験の実施が可能な段階に到達

(3) 感染症有事におけるワクチン開発・生産体制の整備と社会的価値の創出への貢献

- ・感染症有事に備えた準備・体制構築としては、迅速なワクチン実用化に向け、新たな2つの公募を新設し、研究開発基盤の整備を推進
- ・また、国内関係機関との連携強化により、一部の重点感染症ワクチンについて国内臨床試験の実施に係る規制上の課題解決を支援
- ・学術会議への出展、市民公開講座における患者・市民参画の機会から、研究成果を社会還元

(4) 若手を含む多様な研究者・技術者の育成及び活躍促進と必要な基盤整備

- ・若手研究者または女性研究者のみが応募可能な公募枠を設け、若手・女性研究者の登用、活躍を促進

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ 感染症プロジェクト

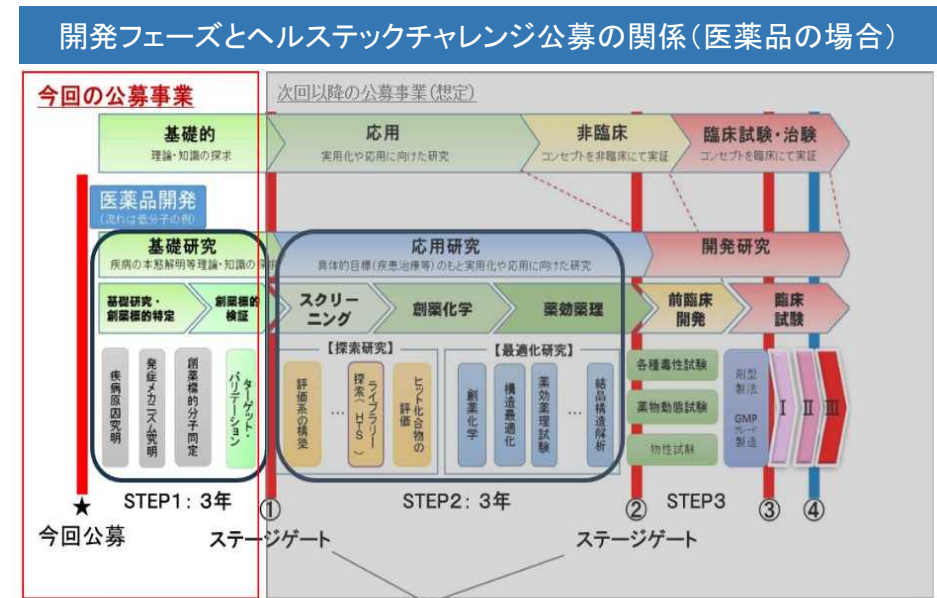
(1) 明確な課題設定と戦略による研究開発の実施進展に資する成果の創出

① ヘルスケア分野の社会課題解決に資する 新たなマイルストーン型公募を開始

ヘルステック開発を行うスタートアップ企業の創出及び支援により、イノベーションを加速、開発リスクが高く着手が困難とされる課題の開発を促進し、ヘルスケア分野の社会課題を解決することを目指した公募を新たに開始。

AI診断支援、デジタルバイオマーカーなど革新性の高いテーマの20課題を採択。

今後、中間評価、応用研究のステージへ進む公募を経て課題を絞り込み、令和12年度までに国内でスタートアップの起業を実現することを求める(右図)。



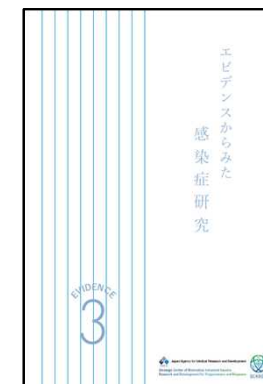
② 戦略の企画・立案に必要な調査・分析

・知的財産の観点に基づく調査分析

SFTS等6種の感染症に関する感染症危機対応医薬品(MCM)、外膜小胞(OMV)ワクチン、ファージワクチン、LNP、5'-capping、マイクロニードル等の出願動向に関するレポートを取りまとめ、課題採択や伴走支援に活用した。

・アカデミア等の論文・文献に基づく調査分析

予測不可能なパンデミック病原体(Disease X)への対応の観点も含め、地球温暖化がもたらす影響の一つとして永久凍土から出現する病原体の可能性等についての調査・分析を行った。なお、結果については、冊子にまとめて関連イベント等で情報発信した。



I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ 感染症プロジェクト

③ 感染症分野における研究開発基盤の強化及びプラットフォームの確立等体制の構築

・感染症

我が国において喫緊の感染症流行動向に対応して、機動的な計画変更・予算配分を行った。特に、高病原性H5N1鳥インフルエンザについては、東大フラッグシップ拠点と滋賀医大によるサル実験を実施し、その性状分析及びわが国備蓄ワクチンの効果検証を行った。

・感染症有事に備えた研究開発拠点の特徴的な実装

令和6年度にWHOワクチン候補株として選定され、厚生科学審議会では国家備蓄ワクチンとして選定された、北大拠点が分離したH5N1型高病原性鳥インフルエンザウイルス株A/Ezo red fox/Hokkaido/1/2022(NIID-002)が、令和7年度も継続して選定され、計1000万人分の備蓄ワクチンが企業において製造完了している。

・感染症危機対策医薬品等の研究開発プラットフォームの確立等体制の構築

令和7年度補正予算で措置されたMCM拠点事業について、内閣府感染症協議会のMCM提言を踏まえ、PS及びPOによる既存ワクチン拠点へのヒアリングを実施し、既存のワクチン開発基盤を維持しつつMCMを包含した研究開発成果の創出に資する拠点運営方針を策定し、事業設計を進めた。

④ 戦略的かつ機動的なワクチン・モダリティ等の研究開発の推進

・新たな公募の開始

mRNA医薬の標準的品質評価法の確立と技術支援体制の構築：用途に応じた標準的な品質評価法が未確立なmRNA医薬について、新たな分析技術の開発と標準的評価法の確立を進めるとともに、その成果を活用して既採択課題等を技術的に支援する新たな課題公募を実施・採択した。

・進捗状況に応じた機動的伴走支援とメリハリある課題推進

採択課題への機動的な技術・相談支援や各マイルストーンにおけるGo/No-go判断等を行った結果、第Ⅱ相試験(Ph2)を1件、第Ⅰ相試験(Ph1)を3件開始するとともに、非臨床PoCを8件取得。

・研究課題への知財調査・マネジメント支援の強化

特許調査(アンケートや面談に基づく課題対応2件、内部依頼3件)実施し、伴走支援等に活用。調査結果を踏まえ、実用化を見据えた知財戦略の相談対応及び研究成果公表時の注意喚起を行った。

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ 感染症プロジェクト

・成果導出に向けた新たな取組

➤ PMDAとの連携強化によるワクチン開発・薬事対応支援の推進

ワクチン開発・新規モダリティの臨床開発及び薬事承認を見据え、PMDAワクチン等審査部と意見交換を実施し、薬事承認に向けた課題整理や情報交換を行った。また、12月に支援中の研究者等を対象とした研修会を開催し、臨床開発及び薬事承認に向けた課題への対応を支援した。

➤ SCARDA支援課題の事業化促進に向けた取組

創薬ベンチャーエコシステム強化事業と連携し、SCARDAで支援中の研究者やPS及びPOに対し同事業を紹介するとともに、VCとのマッチングイベントや個別相談会も案内した。加えて、AMED認定VCに対してSCARDA事業合同フォーラムの案内を行う等、ベンチャー設立後に活用可能な支援事業の紹介やVCとのマッチングを促進した。BioJapanにおける『AMEDシーズアクセラレーションピッチ』への登壇や、その後のVCとの面談に繋がった。

➤ 各モダリティに対応した専門的伴走支援体制の強化

実用化に近いステージのCMC・臨床試験準備での課題解決に向け、各モダリティ（RNA/saRNA/タンパク・アジュバント/不活化全粒子）に精通した**ワクチンメーカー（生産機能を有する企業）の有識者をモダリティアドバイザーとして委嘱**し、伴走支援体制を強化した。

➤ 事業合同フォーラム開催による研究交流・連携促進の推進

研究者間の交流及び成果導出の促進を目的として、11月に初の**事業合同フォーラムを開催**し、アカデミア、VC、ワクチン関連企業等を対象に、**SCARDA事業の実施状況や研究成果を報告するとともに、交流機会を提供し、共同研究や事業化に向けた連携を促進**した。開催後の調査では、約9割が今後の研究に活かせる交流があった旨回答しており、新たな連携及び成果導出の促進に繋がった。

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ 感染症プロジェクト

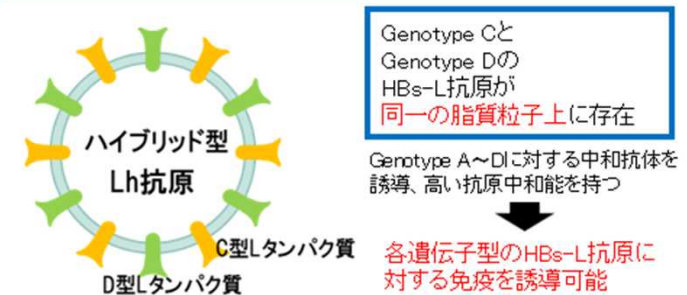
(2) 事業間連携等の切れ目ない支援による産業・経済活動への貢献

① 基礎研究、開発初期段階から継続的に支援した研究開発課題が社会実装に向けて進捗

PS、PO及び所管省と連携し、公募設計及び進捗管理を通じて、**基礎研究、開発初期段階の複数課題を事業開始時から継続的に支援した。令和7年度には非臨床試験等実施され、社会実装に向け成果が着実に創出された。**

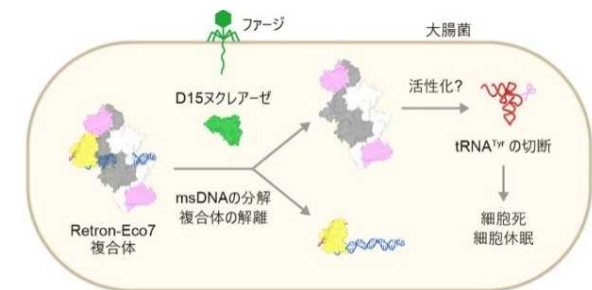
- B型慢性肝炎新規経口薬(SA-5:TLR-7アゴニスト)を基盤とした治療法開発のための物性試験、安全性試験が終了し、GLP準拠非臨床試験を実施。FIH/POC試験実施に向け準備中。
- B型慢性肝炎患者のHBs抗原消失を目指した治療法として、既存のB型肝炎経鼻ワクチンより強い細胞性免疫を惹起する日本発の経鼻治療ワクチンHBNET-369を開発(右図)し、GMP試製造が完了。
- 従来の薬剤とは異なる機序を持つ新規化合物HBV RNA destabilizer (SAG)を同定。経口投与可能で大型動物での毒性は認めず、良好な忍容性を示した。

次世代型HBs-L抗原: HBs-Lh抗原の構造



② 開発上の好機を捉えた研究費の追加により、企業導出/実用化にむけた加速を支援

- 重症熱性血小板減少症候群(SFTS)について、大阪大学シナジー拠点及び長崎大学シナジー拠点(国際機関であるCEPI支援によるワクチン研究開発を実施中)において診断薬の追加支援を行った。
- 患者の急増が懸念されているSFTSの臨床現場で利用できる迅速診断キット試作品の作製に成功。調整費措置により、増産及び同試作キットのヒト検体等を用いた感度・特異度の評価を進行中。
- 抗ウイルス薬の存在しないフラビウイルス感染モデルマウスにおいて、生存率の向上と重症化活性を防ぐ最初の抗体医薬シーズを開発した。調整費措置により開発抗体の決定に向け、ハイスループットかつ網羅的な抗体評価系を駆使した、より高機能な抗体候補の選定作業を進行中。
- 細菌の抗ファージ防御システムの分子メカニズムの解明に成功し、ファージ療法では殺菌が困難だった細菌に対しても、有効に作用させることが可能となった(Nature Communications 2025、右図)。調整費措置により、特定臨床研究を実施する体制の整備等を進めることで、個別化ファージ療法について、日本で初めての実用化に向けた重点的な支援を行った。



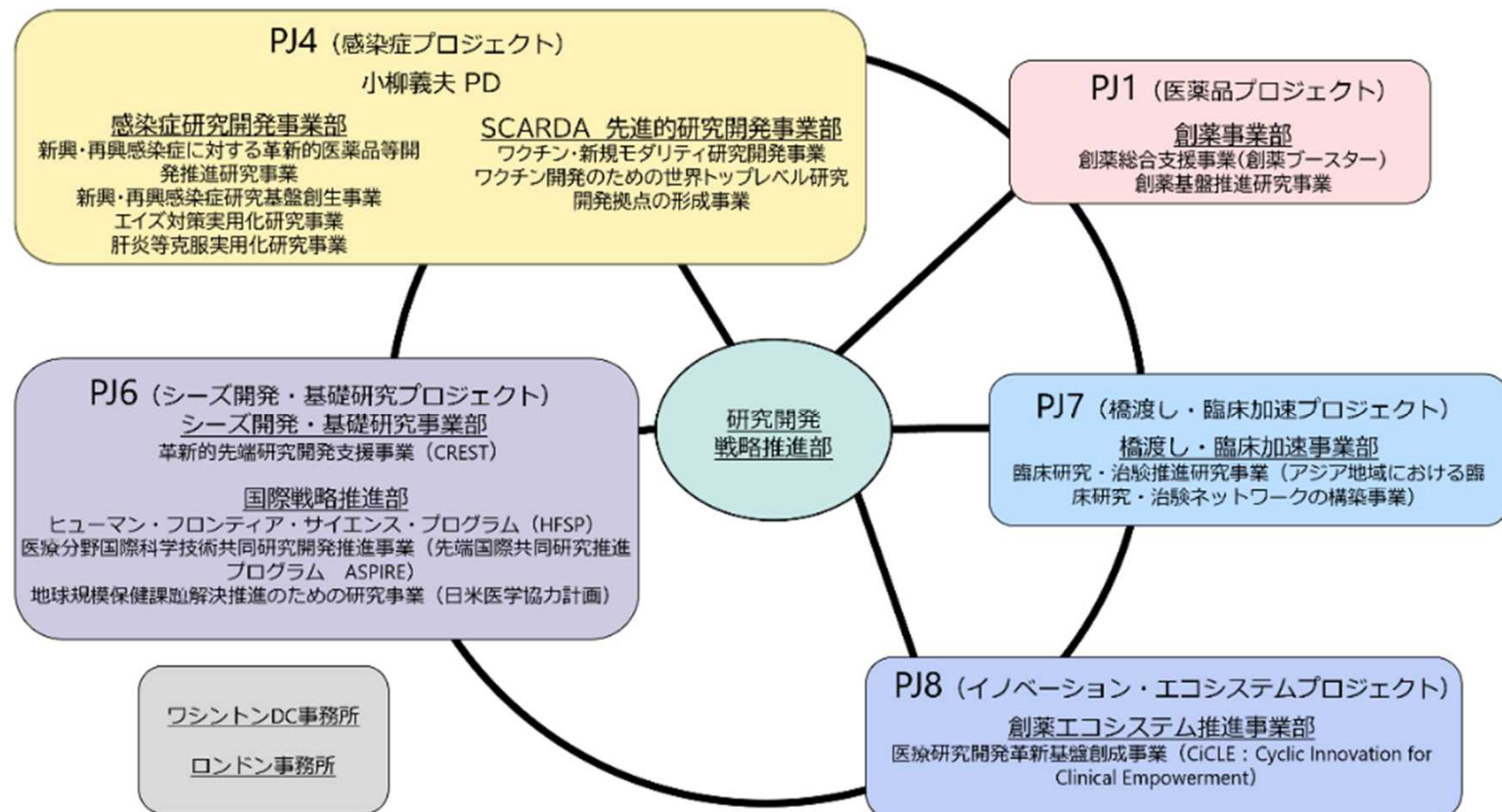
I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ 感染症プロジェクト

③ ペアリング、マッチングを見据えた統合PJを超えた事業間連携の取組の強化

感染症に関する課題を支援する事業部で構成される「感染症横串の会」に、AMED第3期の運営方針(事業間連携の取組み強化、企業導出の促進)に鑑み感染症プロジェクトPD及び研究開発戦略推進部を新たにメンバーに加え、マッチングを見据えた統合PJを超えた事業間連携を強化した。令和7年度は5回(毎月1回)開催し、各事業の動向の共有、AMED国際戦略への寄与について議論。AMEDが支援している感染症関連の研究開発課題をポートフォリオとして取りまとめ、病原体ごと、モダリティごとに俯瞰的に動向を把握した。

感染症横串の会 参加PJ及び参加事業



I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ 感染症プロジェクト

(3) 感染症有事におけるワクチン開発・生産体制の整備と社会的価値の創出への貢献

① 感染症有事に備えた準備及び体制構築

・感染症有事において迅速なワクチンの実用化を行うための新たな公募の設計及び実施

感染症有事における迅速なワクチン実用化に対応するため、既存の3つの公募枠に加え、以下の2つの公募枠を新設した。

- 感染症有事に即応するための既存ワクチン基盤技術を骨格としたワクチンの設計・評価：有効性及び安全性が確認されている**既存のワクチンモダリティを基盤として、幅広い病原体に対して有事にも迅速に対応できるよう平時より抗原設計・評価等を実施し知見を集積する課題公募を開始した。**
- 感染症有事における迅速なワクチン開発・製造に資する革新的基盤技術の研究開発：感染症有事における**ワクチン開発・製造工程の律速要因解消に資する研究開発の公募を開始した。**

・感染症有事における速やかなワクチン実用化のための国内外関係機関との連携強化

- 厚生労働省感染症対策部及び感染症危機管理統括庁との既存の会議に、**国内で公衆衛生対応や感染症リスクのインテリジェンス機能を担う国立健康危機管理研究機構(JIHS)**を新たに参加機関として加え、定期連絡会議として実施することで関係機関との連携を強化。**これらの連携体制を活用し、研究開発上の制度的課題の解決を支援した。その一例として、一部の重点感染症のワクチンについて、厚生労働省との協議を通じて、病原体等管理規制からの除外の考え方が整理され、国内での臨床試験実施における規制上の障壁の解消につながった。**なお、この事例は第102回感染症部会において審議され、了承された「除外の対象となる病原体の考え方」の修正後、病原体管理規制からの除外を行う初めての事例となった。
- 国際的な情報入手ルートの拡大を図るため、**感染症流行対策イノベーション連合(CEPI)**が主催する世界の主要なワクチン開発支援組織が参集する 第5回 **MCM ラウンドテーブル会合**(9月、カナダ)に参加した。また、**カナダ健康危機対応準備機関(HERC)、フランス国立保健医学研究所／新興感染症研究機関(INSERM/ANSR)、及び英国健康安全保障庁(HSA)**と継続的な情報共有及び連携を実施した。特にカナダHERCとは、HERCワクチンハブプロジェクトとSCARDA拠点事業間の情報交換を実施することとし、令和8年3月26日に連携推進キックオフ会議を開催した。

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ 感染症プロジェクト

② 学術会議への出展、市民公開講座における患者・市民参画の機会から、研究成果を社会還元

- 肝炎等克服実用化研究事業公開報告会を開催(R7.10)。最新の肝炎医療、異分野融合研究の話題を紹介、本事業における研究成果等を含めた近年の研究開発の進展について広く社会に分かりやすく紹介。オンライン開催後、YouTube公開(R8.3)。
- エイズ対策実用化研究事業の研究班が主催の血友病が抱える課題の解決を目指した市民公開講座を開催。研究成果の紹介のほか、患者を交えた座談会も設けられ、アカデミアと患者・市民がともに血友病治療について考える機会となった。AMEDは協賛として支援。
- 日本エイズ学会にエイズ対策実用化研究事業として出展し、公募時に優れた研究提案が集まることを目指すとともに、本事業の支援課題との共同研究や導出の機会を創出につなげるべく、研究シーズ・研究内容等を参加者に広く周知。



(4) 若手を含む多様な研究者・技術者の育成及び活躍促進と必要な基盤整備

① 感染症分野における研究開発基盤の強化及びプラットフォームの構築＜人材育成＞

各拠点で基礎・応用研究を進めているワクチン及びモダリティのシーズ総数は約100件(コロナ、インフルエンザ、RSウイルス、エンテロウイルス、デング熱等)。これまでに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の研究開発を基にした11課題がワクチン・新規モダリティ研究開発事業に採択された。全拠点の参画研究者数は253人(令和4年10月)から711人(令和8年3月)に増加。うち若手研究者は51人から348人に増加。

② 若手・女性研究者の登用を推進する応募枠を新たに設定

通常の公募枠と分けて若手研究者もしくは女性研究者のみが応募可能な枠を新たに設定した。いずれも関係省及びPS等と検討対象が絞られ過ぎないよう、幅広く応募可能となるよう考慮した。その結果、**いずれの公募枠においても採択課題予定数以上の応募があり、予定最大数の採択に至った。**

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ 感染症プロジェクト

【評価指標】			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	1	ワクチン開発に資する国内外における関連分野の研究開発動向の把握・分析の状況	SFTS等6種の感染症に関する感染症危機対応医薬品(MCM)、外膜小胞(OMV)ワクチン、ファージワクチン、LNP、5'-capping、マイクロニードル等の出願動向や論文動向等に関するレポートを取りまとめ、課題採択や伴走支援に活用した。	
	2	有事の際ワクチン開発を迅速に推進するための体制等の構築状況	感染症有事における迅速なワクチン実用化に対応するため、以下の2つの公募枠を新設した。 (1)「感染症有事に即応するための既存ワクチン基盤技術を骨格としたワクチンの設計・評価」:有効性及び安全性が確認されている既存のワクチンモダリティを基盤として、幅広い病原体に対して有事にも迅速に対応できるよう平時より抗原設計や評価等を実施し知見を集積する課題の公募を開始した。 (2)「感染症有事における迅速なワクチン開発・製造に資する革新的基盤技術の研究開発」:感染症有事におけるワクチン開発・製造工程の律速要因解消に資する研究開発の公募を開始した。	
	3	国内外の関連機関との平時及び有事における情報共有体制の状況	厚生労働省感染症対策部及び感染症危機管理統括庁との既存の会議に、国内で公衆衛生対応や感染症リスクのインテリジェンス機能を担うJIHSを新たに参加機関として加え、定期連絡会議として実施することでJIHSとの連携強化を図った。 また、国際的な情報入手ルートの拡大を図るため、CEPIが主催する世界の主要なワクチン開発支援組織が参集する第5回MCM ラウンドテーブル会合(9月、カナダ)に参加した。また、カナダ健康危機対応準備機関(HERC)、フランス国立保健医学研究所/新興感染症研究機関(INSERM/ANSR)、及び英国健康安全保障庁(HSA)との個別の定期会議を設置し、継続的な情報共有及び連携を実施した。特にカナダHERCとは、HERCワクチンハブプロジェクトとSCARDA拠点事業間の情報交換を実施した。その一環として、令和8年3月26日に連携推進キックオフ会議を開催した。	

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ 感染症プロジェクト



【モニタリング指標】			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	4	非臨床PoC取得件数	「肝炎等克服実用化研究事業」において18件、「エイズ対策実用化研究事業」において1件、「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発研究事業」において10件、「ワクチン・新規モダリティ研究開発事業」において8件。	

【評価指標】(ワクモダ)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	5	MCM研究開発の推進状況	「ワクチン枠」の採択課題に対し、機動的な技術支援・相談対応や各マイルストーンにおけるGo/No-go判断等を行った結果、第Ⅱ相試験(Ph2)を1件、第Ⅰ相試験(Ph1)を3件開始した。加えて、用途に応じた標準的な品質評価法が未確立であるmRNA医薬について、新たな分析技術の開発と標準的評価法の確立に向けた取組を開始するとともに、その成果を活用して既採択課題等を技術的に支援する新たな課題公募を実施・採択した。	
	6	ワクチン開発に資する新規モダリティ研究開発の推進状況	「新規モダリティ枠」の採択課題に対し、機動的な技術支援・相談対応や各マイルストーンにおけるGo/No-go判断等を行った結果、非臨床PoCを8件取得した。 令和7年度に実施した1回の公募では「新規モダリティ①枠」1件、「新規モダリティ②枠」2件を採択し、「新規モダリティ①枠」11課題、「新規モダリティ②枠」14課題の進捗管理を行った。	
	7	開発予定のMCMの有効性・安全性又は臨床性能の確認状況	Ph2を開始した課題は1件であり、合わせて3課題の進捗管理を行った。Ph2の結果が得られている課題はない。	
	8	新規モダリティの安全性のヒトでの確認状況	Ph1を開始した課題はないが、前年度から継続の1課題の進捗管理を行った。Ph1の結果が得られている課題はない。	
	9	新規モダリティのコンセプトの確認状況	非臨床PoCを取得した課題は8件である。	

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ 感染症プロジェクト

【モニタリング指標】(ワクモダ)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	10	専門家による研究進捗確認・伴走支援のための 会合の実施回数	採択・評価会7回、課題評価委員会1回、PSPO会議11回、 個別課題毎のPI・PO等打ち合わせを144回実施した。	
	11	第Ⅰ相臨床試験を実施した課題数	Ph1を開始した課題は3件であり、合わせて5課題の進捗 管理を行った。Ph1の結果が得られている課題はない。	
	12	MCMの研究開発について、第Ⅱ相臨床試験又は臨床性 能試験を終了し、有効性・安全性又は臨床性能が示唆さ れた課題・シーズ数	Ph2や臨床性能試験が終了した課題は0件である。	

【評価指標】(プラットフォーム)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	13	拠点形成数	拠点形成数5件	
	14	研究開発の推進体制整備の進捗状況	令和7年5月にアドバイザリー委員会による5拠点・6機関 のヒアリングを実施して、拠点形成や研究開発の進捗状況 を確認し、期待できる成果や改善点や今後の展望等につ いて、アドバイザリー委員会からの助言指摘としてPS及び POへ伝達。さらにPS及びPOが運営側の視点でコメントをと りまとめて各拠点・機関へ伝達した。(内閣府のMCM提言を 踏まえて、これまでのワクチン開発の基盤を維持しつつ、 MCMプラットフォーム構築のためのSCARDA方針を策定し、 令和8年度に詳細設計予定)	
	15	MCMの研究開発の進捗状況と、その研究成果の 創出状況	各拠点で基礎・応用研究を進めているワクチンシーズ・モダ リティシーズ総数は約100件(コロナ、インフルエンザ、RSウ イルス、エンテロウイルス、デング熱 等)。これまでに本事 業の研究開発を基にした11課題がワクチン・新規モダリティ 研究開発事業に採択され、MCMの研究開発が順調に進展。	

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④ 感染症プロジェクト

【モニタリング指標】(プラットフォーム)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	16	事業に参画している研究者延べ人数	全拠点の参画研究者数は253人(令和4年10月)から711人(令和8年3月)に増加した。うち若手研究者は51人から348人に増加した。	
	17	課題評価委員会等の実施状況	1回開催 アドバイザリー委員会開催 (令和7年5月14日、19日、21日)	
	18	拠点長会議の開催状況	2回開催 第4回ミニ拠点長会議 令和7年9月10日 第4回拠点長会議 令和8年3月2日	
	19	論文数	Top1%論文数15件(内Top0.1%論文数2件)(令和6年出版)	
	20	シーズの導出数	ワクモダ事業への導出件数 3件(令和7年度)	
	21	産学官連携コンソーシアムを通じた成果の導出数	産学官連携コンソーシアムを通じた成果の導出数(企業実施許諾・共研件数) 7件(令和7年度)	
	22	企業からの資金による共同研究・受託研究の件数	企業との共同研究・受託研究数 75件(令和8年3月)	

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト

R7年度
自己評価

a



(1) データ駆動型研究を通じて、新たな仮説・方向性創出を推進

- ① データ利活用・ライフコース研究開発事業部主催のシンポジウム等を通じてデータ基盤の利活用による疾患研究の成果創出を推進
- ② ゲノム基盤活用研究(ゲノム研究を創薬等出口に繋げる研究開発)の推進
- ③ 東北メディカル・メガバンク計画(TMM) 及び バイオバンクジャパン(BBJ) の試料・情報の利活用の推進
- ④ データ利活用促進基盤の整備(AMED DataCat(AMEDデータカタログデータベース)とCANNDs(AMEDデータ利活用プラットフォーム: Controlled shAring of geNome and cliNical Datasets))

(2) ライフコースを俯瞰した研究から、疾患・健康状態の変化と、介入の意義を説明できる研究成果創出を推進

- ① 重症新生児に対する迅速なゲノム診断の医療実装に関する研究開発(Priority-iプロジェクト)を推進
- ② HTLV-1関連レジストリ・バイオレポジトリの一元化及び企業導出に向けた支援
- ③ 乳がん検診において、超音波検査の併用で、乳がん発見数のみならず進行乳がん罹患率の低下を証明
- ④ 妊娠糖尿病(GDM) 女性と出生児についてリスク予測に基づくライフコース型糖尿病予防戦略の構築

(3) 革新的なシーズの創出および出口志向のマネジメントを推進

- ① ゲノム研究を基盤とした心不全を治療する新たな医薬品の開発に向けた革新的成果を創出
- ② 重症患者を救う遠隔ICUシステムの実現と普及
- ③ 指定難病ネフロン癆(ろう)を再現したiPS細胞由来疾患モデルによる病態解明と新規治療薬候補の創出
- ④ 慢性炎症の発症・増悪の原因となるタンパク質(HLF)を特定し、免疫アレルギー領域の研究開発の加速

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト

(1) データ駆動型研究を通じて、新たな仮説・方向性創出を推進

① データ利活用・ライフコース研究開発事業部主催のシンポジウム等を通じてデータ基盤の利活用による疾患研究の成果創出を推進

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の加工データ等の基盤情報の利活用によるデータ駆動型研究を推進するため、AMEDが主体となってシンポジウムや研究者交流会を開催することで、参加者の意識醸成を図ったほか、研究者同士の共同研究(新規調整費提案)等へ繋げることができた。

データ利活用・ライフコース研究シンポジウム

2026年3月20日 トラストシティ カンファレンス・丸の内

データ駆動型研究の最前線を紹介することで約350名の参加者に向けてAMEDの取組みを広く周知したことに加え、データ利活用・ライフコースプロジェクトのPD及び部長が座長を務めた総合討論では、AMEDがこれまで構築・整備してきたデータ基盤を連携し、医療研究DXを導入することで、ライフコースの視点を取り入れた疾患研究に利活用できることが示された。



【参加者数】 約350名
現地：約65名
Web：約285名

小児・AYA世代のドラッグラグ・ロス解消に向けた日英共同シンポジウム（革新的がん医療実用化研究事業）

2026年2月23日・24日 トラストシティ カンファレンス・神谷町

AMEDと英国国立保健医療研究所(NIHR)と共催で、小児・AYA(adolescent and young adult)世代のがんに関するシンポジウムを開催した。日本と英国の研究者・患者をAMEDがつなぎ、ドラッグラグ・ドラッグロスの解消に向けての課題を抽出し、新規治療を遅滞なく患者に届けるための国際連携のあり方を議論した。



【参加者数】 285名
現地：59名(英国:26名 日本:33名)
Web：226名

第2回 がん・難病全ゲノム合同班会議

2025年5月9日 大手町三井ホール

革新がん事業の全ゲノム領域、難治事業の全ゲノム領域の支援課題の研究者を集めての研究発表・交流会を開催した。それぞれの事業をつなぐことで、令和7年度末の日本ゲノム医療推進機構の設立に向け、両事業の共通認識を深めた。



【参加者数】 223名
現地：161名
Web：62名

GRIFIN成果報告会 ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム（ゲノム医療実現プラットフォーム・先端ゲノム研究開発）

2026年1月23日 トラストシティ カンファレンス・丸の内

本事業で生み出された新しい技術や成果をいち早く他の研究者が応用し、成果の拡充とゲノム医療実現の加速を図るために開催。共同研究先を記載した要旨集を用意するなどの工夫を行った結果、同事業内の研究者による新たな共同研究が生まれ、その成果に基づき、令和8年度調整費の提案へとつながった。【参加者数】 107名(現地：64名+Web：43名)

オミックスデータの利活用に関するユースケース、CANNDsに求められる機能、データ提供を円滑にする方法などについて議論する「AMEDデータ利活用プラットフォーム研究会」等を含む全9件開催

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト

(1) データ駆動型研究を通じて、新たな仮説・方向性創出を推進

② ゲノム基盤活用研究(ゲノム研究を創薬等出口に繋げる研究開発)の推進 (令和7年度(春・秋)調整費)

- 「ゲノム創薬基盤推進事業(ゲノ創)」と「ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(ゲノム医療実現プラットフォーム・先端ゲノム研究開発)(GRIFIN)」の枠組みを活用し、新たに複数年度に渡って調整費を措置し有効に活用するマネジメントを実施し、「ゲノム研究を創薬等出口に繋げる研究開発プログラム(ゲノドラ)」という新規事業を立ち上げた(右図)。
- 15課題を採択し、民間企業19社との協業を含む異業種・異分野連携の下、既存のゲノムデータ基盤を利活用し、12種類の医薬品、6種類の医療機器、7種類の研究支援システムについて、今後の開発に繋がる研究成果が得られた(下表)。
- 成果の創出が明確な4課題(下表「★」)に調整費(ウ)を措置し、令和8年度末まで研究期間を追加し確実な実用化を推進。
- 今後も複数の事業(GRIFIN/D4及びゲノ創)を一体的に進め、ゲノム研究を創薬等の出口に繋げるための研究開発を推進する。



【参考】調整費について

- (ア) 研究開発の加速・前倒し・充実等
- (イ) 採択数の増加及び新たな研究課題の公募等
- (ウ) 事業間連携又は企業導出

疾患	モダリティ
循環器疾患	新規化合物治療薬(2種類)
循環器疾患	遺伝子治療薬★
循環器疾患	ワクチン(2種類)
循環器疾患	核酸医療
精神疾患	新規化合物治療薬
精神疾患	既存薬適用拡大
血液がん	コンパニオン診断薬★
リンパ腫	新規化合物治療薬
がん全般	ワクチン
大腸がん	抗体医薬

疾患	用途	技術
循環器疾患	診断	ウェアラブルデバイス
心血管障害	診断	画像AI
がん全般	診断	リキッドバイオプシー・AI
がん全般	予防	リキッドバイオプシー・AI★
肝がん	診断	バイオマーカ
血液がん	診断	画像AI

疾患	用途	技術
精神疾患	薬効検証	iPS
精神疾患	薬効検証	eQLT★
精神疾患	創薬シーズ探索支援	全脳リン酸化マップ
がん全般	薬効検証	マウスPDxモデル
がん全般	病理診断支援	画像AI
がん全般	パネル研究支援	マルチオミックス
がん全般	がん免疫療法最適化	質量分析

★ …調整費(ウ)を措置し、令和8年度末まで研究期間を追加した課題における成果

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト

(1) データ駆動型研究を通じて、新たな仮説・方向性創出を推進

③ 東北メディカル・メガバンク計画(TMM)及びバイオバンクジャパン(BBJ)の試料・情報の利活用の推進

【バイオバンク・ネットワークジャパン】TMM、BBJ、National Center Biobank Network(6NC)、医療機関のバイオバンクが保管する大規模な試料・情報(71万人, 194万検体, 34 万件のゲノム等解析情報)について、横断検索システムとして臨床情報収集時の共通パイプラインや大規模言語モデルを用いた問合せ対応チャットシステムの開発等により更なる充実化を図ったほか、利活用ハンドブックを作成と周知、倫理審査等の手続きを支援し、革新的な成果の創出に貢献した。

ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(B-Cure)

TMMの利活用

国立がん研究センターとTMMの連携で、リキッドバイオプシーによる多種類のがんの早期発見法を開発
(令和7年度(春・秋)調整費)
(ゲノム研究を創薬等出口に繋げる研究開発)

非侵襲性のリキッドバイオプシーでがん再発診断を開発した成果(国がん)を、TMMの一般住民データと組み合わせ、多種類のがんを同時に早期検出する技術MCEDを世界に先駆けて開発し、企業への導出を目指す。

攻めの予防医療(令和8年2月20日施政方針演説)を実現しうる技術開発であり、産業として大きな成長が見込まれる。

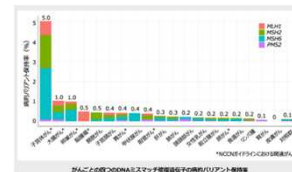


BBJの利活用

がん発症リスクを高める遺伝子疾患の大規模ゲノム解析
ーリンチ症候群患者への個別化医療の発展に寄与ー
(ゲノム創薬基盤推進研究事業)

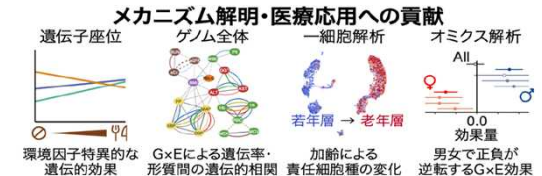
約11万人のDNAサンプルを用いて、リンチ症候群関連がん遺伝子であるMLH1、MSH2、MSH6の病的バリエーションが大腸がん、子宮体がん、またMSH2の病的バリエーションが膀胱がんの発症リスクを高めることが明らかになった。

遺伝診療の指針への反映が期待される。



国際バイオバンク横断解析でゲノムと環境の相互作用を解明ー相互作用のメカニズム解明・個別化医療・創薬に貢献ー
(ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム)

約98万例を対象に47の疾患形質及び12の環境因子の全組合せの網羅的解析を行い、遺伝子と環境の相互作用(G×E)が人類に普遍的に存在することを示した(Natureに掲載)。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。



④ データ利活用促進基盤の整備



- AMED支援研究開発課題のデータマネジメントプラン(DMP)情報をまとめたデータカタログを検索可能なシステムとしてAMED Data Catをリリースし、検索・分析の利便性が大幅に向上した。
- CANNDsは、全ゲノムデータにオミクスデータを追加し連携するとともに、認知症の脳画像を含む臨床情報の拡充(約350項目)に向けたシステムの大規模改修を開始。メタデータの統計解析が可能なプレリサーチの仕組みを整備し、研究立案に向けた支援を促進した。
- AMEDデータ利用申請管理システムを導入し、各種申請受付・審査の電子化による手続きの効率化及び利用者の利便性向上に貢献した。

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト

(2) ライフコースを俯瞰した研究から、疾患・健康状態の変化と介入の意義を説明できる研究成果創出を推進

ライフコースアプローチは胎児期から老年期に至るまで時間軸を導入するアプローチであり、研究成果の創出まで長期にわたる追跡が必要である。疾患レジストリ等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・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成果を創出した。

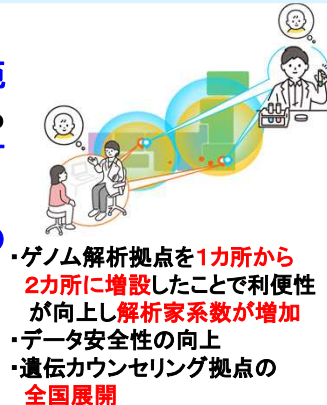
① 重症新生児に対する迅速なゲノム診断の医療実装に関する研究開発(Priority-iプロジェクト)を推進

(成育疾患克服等総合研究事業)

(令和7年度(春)調整費)

AMED 第1期から本研究を段階的に支援。
原因不明の重症新生児に対しゲノム解析を実施し、51%で先天性の遺伝性疾患が判明。そのうち55%で適切な治療に繋がれ、ゲノム解析の有用性が示された。

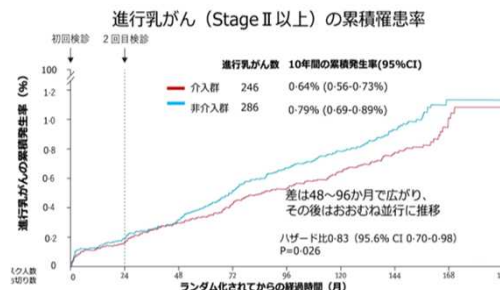
第3期では調整費を活用し、ゲノム解析拠点の拡充及び遺伝カウンセリング提供体制を確立し、全国NICUでの実用化を目指している。
(Priority-iプロジェクト)



③ 乳がん検診において、超音波検査の併用で、乳がん発見数のみならず進行乳がん罹患率の低下を証明

(革新的がん医療実用化研究事業)

乳がん検診における超音波検査の有効性を検証するため、40歳代の女性を対象に、マンモグラフィ単独とマンモグラフィ+乳房超音波併用を比較したランダム化比較試験を約15年間の長期追跡した結果、超音波併用検診が乳がん発見数の増加にとどまらず、進行乳がんの罹患率を低下させる重要な科学的根拠を示した(Lancetに掲載)。

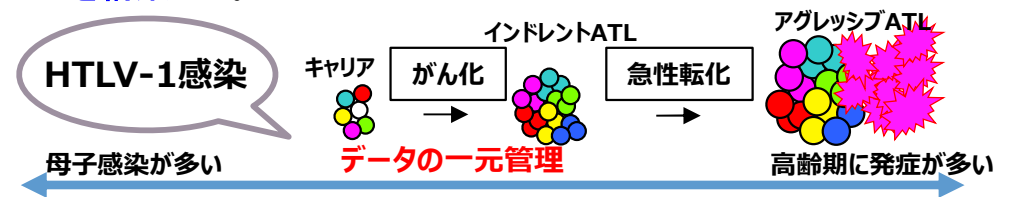


② HTLV-1関連レジストリ・バイオレポジトリの一元化及び企業導出に向けた支援

(革新的がん医療実用化研究事業)

(令和7年度(秋)調整費)

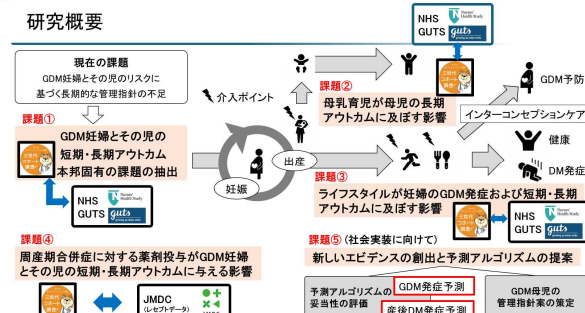
感染からATL発症までを一元管理することで早期のATL発症予測から予防・治療に繋がるライフコースアプローチの実現を目指し、事業間連携にてHTLV-1キャリア(新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業)とATL(革新的がん医療実用化研究事業)を統合したデータベースを構築した。



④ 妊娠糖尿病(GDM)女性と出生児についてリスク予測に基づくライフコース型糖尿病予防戦略の構築

(循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業)

GDMの女性及びその児における短期・長期アウトカムに関連する因子を東北メディカル・メガバンクのデータを用いて解析し、GDM発症予測、将来の2型糖尿病発症リスク予測アルゴリズムを構築することで、ライフコースを見据えた予防・管理指針の確立を目指す。



I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト

(3) 革新的なシーズの創出および出口志向のマネジメントを推進

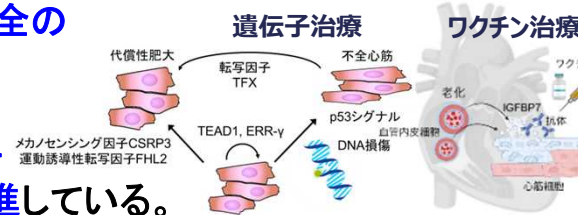
次世代の医療を担う革新的な研究シーズを創出し、臨床現場への社会実装を見据えた出口戦略に基づくマネジメントを強力に推進

① ゲノム研究を基盤とした心不全を治療する新たな医薬品の開発に向けた革新的成果を創出

(ゲノム研究を創薬等に繋げる研究開発) (令和7年度(春・秋)調整費)

高齢化に伴い急増している心不全は、高い再入院率や長期予後に係る社会的負担が大きい。この課題解決を目指し、心不全患者の大規模ゲノム・オミックス解析で心不全の原因遺伝子を同定する等、先端技術解析で心不全の分子機序を解明した。

心不全の新規治療薬を開発に向けアカデミア発ベンチャー企業を創設し、臨床試験を推進している。



② 重症患者を救う遠隔ICUシステムの実現と普及

(医工連携・人工知能実装研究事業)

スタートアップ
奨励賞

生体看視アプリケーション「iBSEN DX」の展開による遠隔ICUの普及等を通じ、地域でもICUと同等の医療が受けられる“ICU Anywhere”を実践。2024年度の診療報酬改定の加算対象となり、全国展開を進めている。第8回日本医療研究開発大賞スタートアップ奨励賞を受賞するなど社会実装が高く評価された。現在はさらなる支援機能として、AIで判定する自動重症度スコアリング機能や自己抜管などの危険行動検知機能の開発を進めている。

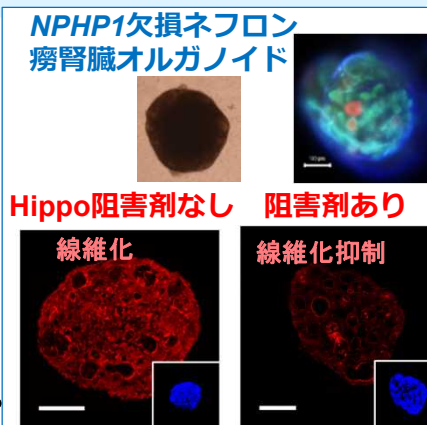


③ 指定難病ネフロン癆(ろう)を再現したiPS細胞由来疾患モデルによる病態解明と新規治療薬候補の創出

(難治性疾患実用化研究事業)

希少難治性疾患である指定難病ネフロン癆について、ヒトiPS細胞から作ったNPHP1欠損腎臓オルガノイドを用いて、病気の特徴である線維化を再現する疾患モデルを世界で初めて確立。

線維化を引き起こす仕組みを解明し、Hippoシグナル阻害剤が線維化を抑える有望な治療薬候補となることを示し、治療法開発に繋がる重要な成果を得た。

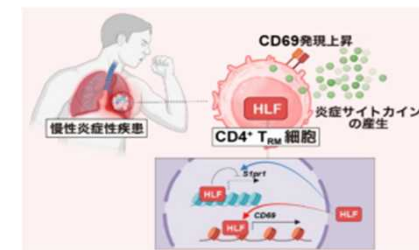


④ 慢性炎症の発症・増悪の原因となるタンパク質(HLF)を特定し、免疫アレルギー領域の研究開発の加速

(免疫アレルギー疾患実用化研究事業) (令和7年度(秋)調整費)

慢性炎症を悪化させる原因として、原因タンパク質(HLF)を発見し、慢性炎症が原因となる疾患の新たな治療法開発の可能性が示唆された(Scienceに掲載)。

革新的先端研究開発支援事業(CREST)との連携を通じて、創薬等に繋がる研究成果を導出し、免疫アレルギー領域の研究開発の加速が期待される。



I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト

【モニタリング指標】			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	1	データ基盤構築の状況(データの蓄積・統合・連携及び解析・実装を行った課題数)	125件	
	2	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、共同研究又は分譲実施数等)	142件	
	3	新たな疾患発症メカニズム解明の件数	46件	
	4	新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数	35件	
	5	臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数	18件	
	6	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	4件	

I. (1)基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥シーズ開発・基礎研究プロジェクト

R7年度
自己評価

a



(1)アカデミア基礎研究の深化と実用化を見据えた取組

- ①基礎研究の切れ目ない支援による画期的シーズ創出、世界トップレベルの成果創出の実現
- ②研究者ニーズを踏まえた基礎研究の深化、実用化を見据えたWトラックの取組と課題マネジメントの強化
- ③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研究基盤構築を推進
- ④革新的モダリティ創出につながる画期的シーズ発掘・育成の取組や国際連携等の取組

(2)ムーンショット目標7の達成に向けた挑戦的な研究開発の推進

- ①目標達成に向けたポートフォリオの改訂
- ②社会実装に向けた研究開発の進展
- ③国民との対話の促進
- ④マネージメントによる連携の推進

(3)先進国やグローバルサウス等重要な国々との国際共同研究を継続・強化

- ①国際共同研究による成果の創出と社会実装の取組
- ②事業中間評価の実施
- ③国際頭脳循環に資する研究者の交流活動の推進

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト

(1) アカデミア基礎研究の深化と実用化を見据えた取組

① 基礎研究の切れ目ない支援による画期的シーズ創出、世界トップレベル成果創出の実現

- 令和7年ノーベル賞受賞した坂口志文博士の「制御性T細胞(Treg)」に関する先端的基礎研究は、平成27年度にJSTから承継した革新的先端研究開発支援事業AMED-CRESTで、Tregのメカニズム解明を進め、LEAP(平成30～令和4年度)にて、この結果を更に発展させた。

具体的には、慶應義塾大学のグループとの連携により「尋常性天疱瘡」に対する細胞療法の研究開発へ集中・加速するとともに、高機能で安定的なiTregの供給等の基盤技術に注力・確立したことが、複数の疾患事業への導出・応用展開につながっている(右図)。

- オートファジー機構を利用したタンパク質分解促進剤のシーズ(東北大学 有本課題)や肺高血圧症の病態形成に基づくシーズ(国立循環器病研究センター 中岡課題)等を創出し、当PJ又は他のPJにつなぎ、S2S(※)ファイナリストに選出され、後者はベンチャー企業の立上げ、VCからの資金調達など実用化に向かって進んでいる。(※)S2S(Science to Startup: 国内外のVC等にアピールするイベント)

- 新潟大学 田井中課題では、生きているマウスの頭蓋骨を簡便かつ高度に透明化する新技術「シースルー法」を開発。本技術に調整費を充当して企業導出に向け研究加速を推進した。脳内のニューロンや神経ネットワークを非侵襲的にライブ観察可能にする成果で、従来法に比べ、脳の炎症や物理的ダメージを大幅に抑え得るため、よりいっそう様々な行動や病態における脳内情報処理の理解が進むと期待される(右図)。

- 脳神経科学統合プログラム 中核拠点では、認知症の原因物質の一つであるタウタンパク質の脳内沈着を、PETを用いて可視化し、中高齢発症の気分障害において、認知機能が正常な段階でタウ病変が出現していることを明らかにした。タウ病態に基づいた気分障害の新規診断法・治療法の開発や、中高齢発症の気分障害の一部が認知症の前駆状態である可能性から気分障害患者への認知症早期診断につながる事が期待される。

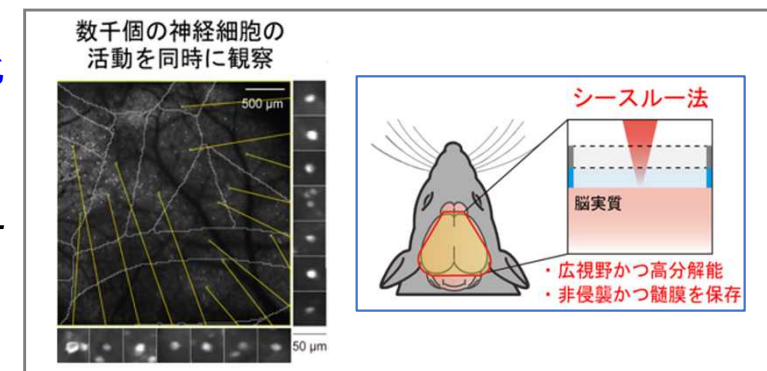
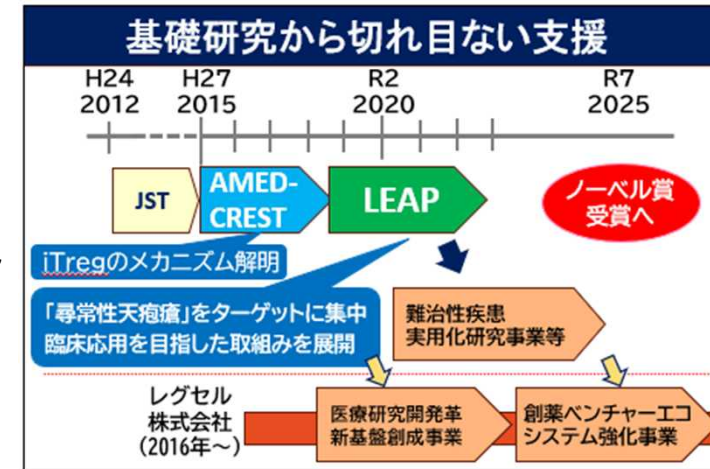


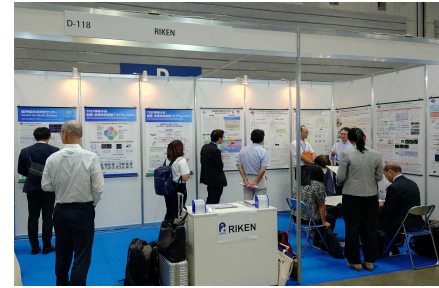
図:シースルー法による脳の観察画像

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト

② 研究者ニーズを踏まえた基礎研究の深化、実用化を見据えたWトラックの取組と課題マネジメントの強化

- ・部内にシンクタンク機能を設置し、実用化研究につながった事例分析をはじめ、アカデミア基礎研究者（約200名）に対し、実用化支援・展開の意識・ニーズ調査を実施した。ニーズ分析結果を踏まえ、PJ・事業間連携により、実用化支援説明会の開催、バイオバンク説明会やデータ解析研究会等を企画・立案し、体系的な実施を開始した。



BioJapan2025の出展会場

- ・脳神経科学研究者向けの実用化を促進する取組として、支援班を通じ研究者（約350名）の意識調査の実施、個別支援ニーズの把握を行い、VCへのアプローチなどの支援を開始した。また、BioJapan2025の紹介展示において、企業の関係者を含め約120名程度の来場者があり、デジタル脳や認知症治療に対する高い関心と期待が寄せられるなど、研究者の実用化意識の向上につながった。

③ 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研究基盤構築を推進

- ・数理研究者との連携促進により、スーパーコンピュータ「富岳」の計算能力を駆使し、デジタル空間上で、約1,000万のニューロン、260億のシナプス、相互接続された86の脳領域の形態と機能を再現した精緻なシミュレーションモデルの構築に成功した。このモデルの活用により、脳神経疾患予測や認知・意識のメカニズム解明につながることが期待される。
- ・脳神経科学研究で重要とされている神経活動の可視化や神経回路の操作など、種々の目的に最適化されたウイルスベクターの確保に向け、脳神経科学統合プログラムの中核拠点に提供体制（ウイルスベクターコア）を構築した。令和7年度は、研究者の細かい要望や最新技術を取り入れたウイルスベクターを200件作成し、本事業参画者を中心にウイルスベクターを必要とする多くの脳神経科学者に提供した。

④ 革新的モダリティ創出につながる画期的シーズ発掘・育成の取組や国際連携等の取組

- ・老化研究分野ではニーズの高いモデル動物供給を2倍に拡大し、系統別スタンダードデータを共有化する等、法人間連携としてJSTさきがけとの共通研究基盤の構築、技術解析支援の強化、利活用を促進し、共同研究等の加速に取り組んだ。
- ・感染症治療の実用化を見据えた新規モダリティの創出に向け、先進的研究を行っている仏国CNRS（フランス国立科学研究センター）等の研究機関へ2つの研究班を1週間～2ヶ月派遣し、新たな抗菌治療薬研究技術の習得、人材育成等、国際連携を強化し、研究拡充を進めた。
- ・性差・個人差の変化を捉える研究分野からの革新的モダリティ創出に向け、2月に英国MRC（医学研究協議会）のLMS（医科学研究所）等の研究機関と国際合同シンポジウムを開催。若手研究者の国際人材交流を深めるとともに、データ駆動型研究の推進に有益な性差研究の戦略動向や最新知見・技術を取得し、新たなシーズ開拓に取り組んだ。

I. (1)基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥シーズ開発・基礎研究プロジェクト

(2) ムーンショット目標7の達成に向けた挑戦的な研究開発の推進

①目標達成に向けたポートフォリオの改訂

- ・ムーンショットPDを中心に、目標7の早期達成に向けて、5年を経過したプロジェクトの内、3件を継続、1件を終了とするなど、ポートフォリオの戦略的な改訂・見直しを行い、終了課題の研究開発分担者の統合・再編を行った(右図)。

②社会実装に向けた研究開発の進展

- ・研究開発に関するプレスリリース(共同6件を含む)は36件、特に実用化が期待できる顕著な成果として2件を報告。

1) ミトコンドリア機能改善薬MA-5の第Ⅱ相臨床試験の開始(東北大 阿部PJ):ミトコンドリア病及び難聴の治療薬の承認を目指し、臨床試験を行っている。第Ⅰ相試験の結果を受け、統合プロジェクト①につなげ、難聴を伴うミトコンドリア病患者を対象とする第Ⅱ相試験を、国内の4医療機関で令和7年12月から開始した。

2) がん免疫薬に効果のある腸内細菌YB328株を同定し、成果をベンチャーに導出(京都大 西川PJ):免疫チェックポイント阻害薬の治療効果を高める新たな腸内細菌の同定、培養及び作用メカニズムの解明に成功した。国立がんセンター発ベンチャーに導出し、社会実装を目指す。

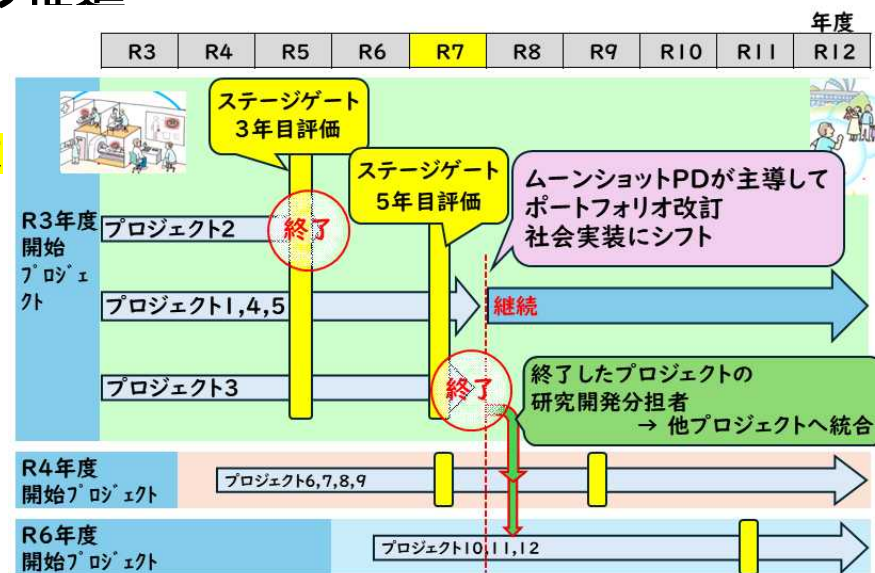
- ・令和6年度の成果論文の総数は353報(内Top10%論文:57報(16.1%)、Top1%論文:7(1.98%)、Top0.1%論文:1報(0.28%))。AMED全体(Top10%:10.7%、Top1%:1.53%、Top0.1%:0.18%)と比較し、海外からも評価される論文をより多く発表している。

③国民との対話の促進

- ・令和7年7月に大阪・関西万博にて、主に一般国民を対象とした体験型展示及び双方向型イベントを行い、ムーンショット目標7及びAMEDへの認知度向上につとめた。

④マネジメントによる連携の推進

- ・認知症ワークショップを令和8年1月に開催し、目標7で採択された認知症関連の研究者同士の交流や、目標2の研究者も参加することで目標間での交流も併せて実施するなど、連携の推進を後押しした。



(体験型展示@万博)

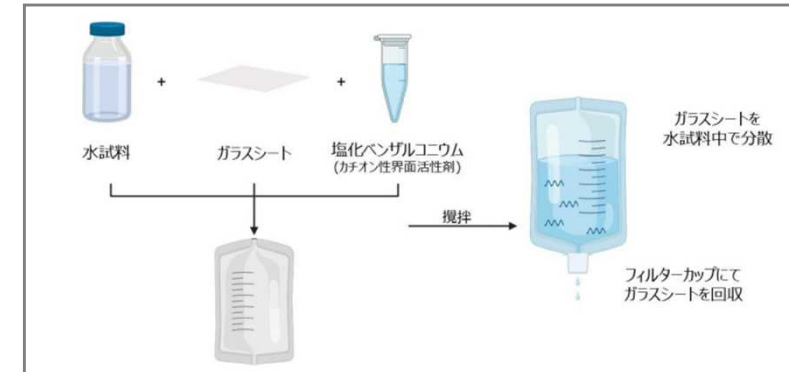
I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト

(3) 先進国やグローバルサウス等重要な国々との国際共同研究を継続・強化

① 国際共同研究による成果の創出と社会実装の取組

・SATREPSにおいては、ピロリ菌感染症の迅速検査法として、日本とブータンで連携して検査キットを開発するとともに**現地での製造体制を構築**した。ブータン国内の医療情勢を大きく改善することが期待される。また、ケニアとの共同研究で進めている住血吸虫症の制圧・排除へ向けた研究開発では、環境水中のDNAを**高速・簡便・電源不要で濃縮できる新手法を開発**し、**製品販売を開始**した。感染症の感染伝播モニタリングの強力なツールとなる。



図：環境水中のDNA新濃縮法の概要図

② 事業中間評価の実施

・令和7年4月、ASPIRE事業が開始3年目を迎えるにあたり事業中間評価を実施するため、AMEDにおいてASPIRE事業中間評価委員会を開催した。8月に内閣府先端国際共同研究領域・国・地域検討会議による審議を経て、中間評価報告書が策定され、**総合評価はS(大変優れている)とされた**。日本と欧米等科学技術先進国・地域のトップ研究者同士を結び付ける事業が適切に設計され、その計画が着実に実施されていると評価された。国際頭脳循環の促進については、ネットワークの構築に資する相手国とのワークショップやセミナー等の開催数、次世代トップ研究者の育成に資する若手研究者の海外派遣数などが研究開始約1年の時点で目標を大きく上回っている。さらにはいずれの指標についても各研究室における本事業以外も含めた数値が本事業開始後に大きく増加しており本事業以外に波及効果が認められる、と高く評価された。本事業では今後も顕著な成果が期待され、その好循環を広く根付かせるためには事業の継続が肝要であるとされた。**その後、令和7年度補正予算措置により研究領域・国・地域の見直しを行い、戦略分野への貢献を考慮するなど事業設計を見直して実施することとなった。**

③ 国際頭脳循環に資する研究者の交流活動の推進

・令和7年度には、ASPIRE事業を通じて、令和5年度の同事業開始以降、累計125件のワークショップ、シンポジウム、セミナー等を開催し、累計156人(うち79人は若手)の研究者を海外に派遣し、累計87人(うち37人は若手)の研究者を海外から受け入れ、基金シートの令和7年度までの目標である10件(ワークショップ、シンポジウム、セミナー等)、10人(派遣)、5人(受入)を**大幅に上回った**。論文数(Top1%論文)は3本であり、AMEDで実施している事業の成果全体(86本)の約3.5%にあたる割合であった。また、令和8年2月には、第2回ASPIRE合同シンポジウム(健康・医療分野)を日本で開催した。AMEDのASPIREが支援する全21課題の研究者、PD、PS、PO及び政府関係者が一堂に会し、研究者による研究内容や頭脳循環の取組の紹介、PD、PS及びPOによるパネルディスカッション、若手研究者によるポスターセッションを行った。これにより、**研究者間の連携の強化とともに、若手研究者の育成につなげた。**

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト

【評価指標】(MS)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	1	ムーンショット目標達成及び研究開発構想の実現に向けた活動の進捗状況(PDの任命、PMの公募、戦略推進会議への報告など)	- 新たにサブPDを任命し、推進体制を強化した。 - 戦略推進会議への報告(10/6 第17回「目標7における外部評価結果及び今後の研究開発の方向性について」、3/13 第18回「目標7における5年目評価結果及び付帯事項の進捗報告」) - がんAD2名の入れ替えを実施した。	
	2	社会実装に重要な分野横断的な支援の取組状況	社会実装の早期達成に向け、評価に基づきポートフォリオの見直しを実施した。	
	3	ムーンショット目標達成及び研究開発構想実現に向けた研究成果の創出及び成果展開(見直しを含む)	- 認知症ワークショップを開催し、目標2との連携、目標内連携、及び領域内連携を実施し、ムーンショット目標の達成に寄与した。 - ムーンショット目標達成に向け、企業との共同によるMA-5の第Ⅱ相臨床試験の開始、抗PD-1抗体療法の改善を目的とした腸内細菌のアジュバント作成のための企業導出が行われた。	

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト

【モニタリング指標】(MS)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	4	ポートフォリオ(プロジェクトの構成(組み合わせ)、資源配分等のマネジメント計画)の構築、見直し実績	- ポートフォリオを最適化し、1プロジェクトを終了の上、研究開発分担者を他の3つのプロジェクトに統合した。 - 令和7年度中に、上記を除き、10件の研究開発分担者の追加・変更、資源配分の変更等のポートフォリオの見直しを行った。	
	5	戦略推進会議への報告実績	- 令和7年10月6日 第17回戦略推進会議 目標7における外部評価結果及び今後の研究開発の方向性について報告 - 令和8年3月13日 第18回戦略推進会議 目標7における5年目評価結果及び付帯事項の進捗報告	
	6	社会実装に重要な分野横断的な研究支援の実績	- 企業導出 4件(令和7年10月時点) - 社会実装に向け、相談会の実施(1件)、情報提供(1件)(令和8年2月時点) - 目標2との数理関連WSを、PJ単位で開催(2件)(令和8年2月時点)	
	7	国が定める運用・評価指針に基づく評価等により、優れた進捗が認められるプロジェクト数	10プロジェクトで優れた進捗が認められた。	
	8	国際連携及び産業界との連携・橋渡し(スピンアウトを含む。)の件数	- 国際共同研究 161件(令和7年7月時点) - 企業との共同研究 136社(令和7年7月時点) - スピンアウト 2件	

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト

【評価指標】(ASPIRE)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	9	頭脳循環を推進する体制整備の進捗状況	- 事業中間評価の実施 - 研究領域・国・地域の見直し検討 - 事業運営に係る会議の開催 - 課題管理に係るPOPI面談の実施	
	10	国が設定する領域における国際共同研究の推進状況	- 国際共著論文の発表、Top1%論文 - 二カ国間共同公募の研究テーマの設定 - 第4回公募(日・フランス)採択 - 第5回公募(日・オーストラリア)採択 - 第6回公募(日・カナダ)採択 - 第7回公募(日・スイス)採択 - 事業・研究紹介の動画及びパンフレット制作	
	11	海外研究者・機関との頭脳循環の状況	- ワークショップ、シンポジウム、セミナー等開催 - 研究者の派遣 - 研究者の受入 - 相手国との連名による学会等発表 - 合同シンポジウム開催 等による国際頭脳循環の推進	

【モニタリング指標】(ASPIRE)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	12	運営委員会の実施状況	25回	
	13	国際共同研究の実施件数	21件	
	14	応募件数及び採択件数	応募22件、採択4件	
	15	研究者の海外渡航人数(うち若手研究者の人数)・ 受入人数(うち若手研究者の人数)	渡航 67人(うち若手40人) 受入 37人(うち若手23人)	

■ 拠点マネジメントを介した研究課題の実用化支援

- 橋渡し・臨床加速化プロジェクトでは拠点（橋渡し研究支援機関、臨床研究中核病院及び医療系SU支援拠点等）を介して個別研究課題の実用化支援を行っている。拠点間連携による課題解決や拠点のマネジメント向上等を図るため、PDPSP0会議（年3回）、拠点全体会議（年2回）、拠点調査会議（令和7年度は11拠点）を実施した。
 - こうした拠点間連携促進の取組により、橋渡し研究支援機関である慶應義塾と藤田学園、臨床研究中核病院である国立がん研究センター東病院が連携してフェロトシス誘導性抗がん剤の開発を基礎研究段階から治験まで進めるなど好事例が生まれている。
- (1) 橋渡し研究支援機関による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
- ①【薬事承認】感染性ぶどう膜炎病原体検出キット
 - ②【薬事承認申請】「医療用キトサンゲル」で慢性副鼻腔炎の術後治療の痛みを解消
 - ③【医師主導治験の開始】腹膜播種を有する進行胃癌に対する新たな挑戦
 - ④【医師主導治験の開始】国内初 膝下血管病変向け薬剤溶出型ステントシステム
- (2) 臨床研究中核病院や先端的な医療や臨床試験を実施する大学病院等における臨床試験実施体制等の整備
- ① 治験・臨床試験におけるAI利活用の推進に係る取組
 - ② 生物統計家の着実な育成とAI創薬等の次世代の創薬技術に対応するため大学院博士課程教育の追加
 - ③ アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築やネットワークを活用した国際共同試験の実施
- (3) 大学発医療系スタートアップ支援プログラムの実施
- ① 医療系SU 支援拠点を中心とする大学発医療系スタートアップを支援する体制の整備
 - ② 大学発医療系スタートアップの育成や海外の研究機関と連携した人材育成プログラムの実施
- (4) 医学系研究支援プログラムの実施
- ① 大学病院・医学部における、医学系研究力を強化する体制整備の進捗

I. (1) 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橋渡し・臨床加速化プロジェクト

(1) 橋渡し研究支援機関による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

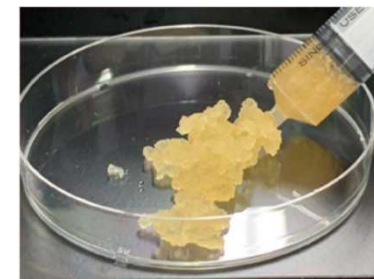
①【薬事承認】感染性ぶどう膜炎病原体検出キット ～核酸抽出不要の多項目迅速PCR検査キット～

(東北大学拠点シーズF) 大分大学と株式会社島津製作所のグループが感染性ぶどう膜炎診断キットを開発し、令和7年10月に製造販売承認取得した。AMEDと橋渡し拠点(東北大学)が連携して産学協同のシーズFとして支援し、大分大学で医師主導臨床性能試験を実施、薬事承認に至った。

②【薬事承認申請】「医療用キトサンゲル」で慢性副鼻腔炎の術後治療の痛みを解消

～狭小空間内の創傷治癒を目的とした新しい概念の被覆材～

(京都大学拠点preF) 鹿児島大学のグループは患部注入可能なキトサンゲルによる創傷被覆材を開発し、開発代表者のベンチャー企業より令和8年1月に薬事承認申請した。

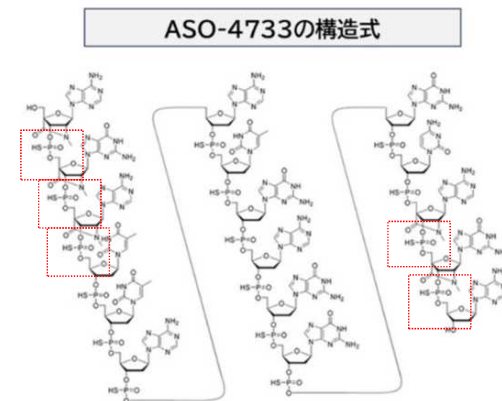


注射器で注入可能なキトサンゲル微粒子

③【医師主導治験の開始】腹膜播種を有する進行胃癌に対する新たな挑戦

～SYT13を標的としたアンチセンス核酸医薬品ASO-4733の第I相医師主導治験を開始～

(名古屋大学拠点シーズC) 名古屋大学のグループは、腹膜播種を有する切除不能な進行・胃癌患者に対して、新規アンチセンス核酸医薬品「ASO-4733」を腹腔内に投与する第I相医師主導治験を令和7年6月に開始した。本シーズは、基礎研究成果をもとに「創薬ブースター」の支援で検証を実施後、名古屋大学拠点で「橋渡し研究プログラム」preBから育成を行った。治験薬は医薬基盤・健康・栄養研究所及び大阪大学との連携により創製され、「次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業」との事業間連携で治験開始に至った。



アミド架橋型人工核酸を搭載し、
生体内安定性を実現

④【医師主導治験の開始】国内初 膝下血管病変向け薬剤溶出型ステントシステム

～下肢切断回避、患者QOL改善目指す医療機器の実用化へ～

(慶應義塾拠点シーズF) 東海大学のグループは、進行性で治療が難しい重度動脈硬化症に伴う膝下血管病変の治療改善と患者のQOL向上を目的に日本発・世界初の革新的ナノコーティングステントを開発した。連携企業のGlobal Vascular株式会社が「第8回日本医療研究開発大賞 スタートアップ賞」を受賞した。

I. (1) 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 橋渡し・臨床加速化プロジェクト

(2) 臨床研究中核病院や先端的な医療や臨床試験を実施する大学病院等における臨床試験実施体制等の整備

① 治験・臨床試験におけるAI利活用の推進に係る取り組み

医療技術実用化総合促進事業において、**治験・臨床試験でのAI利活用の推進に係る新たな取組**として、一部の臨床研究中核病院(6病院)で、IRB審査への活用、フィージビリティの調査や参加者リクルートへの活用、研究計画書・同意説明文書等の試験文書の作成支援、安全性情報の取扱いや統計解析への応用といった試験の様々な局面におけるAI技術の活用を**先行開始し、全臨床研究中核病院(16病院)への展開に向けた基礎的知見を得た**。今後、導入したノウハウを臨床研究中核病院内外に共有・展開し、AI利活用の普及につなげる。

② 生物統計家の着実な育成とAI創薬等の次世代の創薬技術に対応するための大学院博士課程教育の追加

臨床研究・治験推進研究事業「生物統計家育成推進事業」において、製薬企業からの寄付金とAMEDが拠出する研究費により2拠点による生物統計家の育成を支援し、令和8年3月には9人が課程を修了し、アカデミアに輩出された。**令和8年度からは、ゲノム創薬やAI創薬といった次世代の創薬技術に対応し、より広範な知識・能力の習得を可能とするため、新たに大学院博士課程教育の実施を追加することとし、実施機関として2拠点を採択した**。

③ アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築やネットワークを活用した国際共同試験の実施

臨床研究・治験推進研究事業「アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業」のうち、感染症分野(ARISE)では、薬剤耐性菌関連のESBL研究を推進するため、令和7年度**調整費(春)の措置により、JHSは現地調査に基づく包括的なプロジェクトマネジメント業務を実施した**。このことは、ARISE加盟のアジア5か国すべての機関との共同研究実施として、パンデミック等有事対応のための国際臨床試験実施の準備となり、平時から緊急時まで広くカバーする形の感染症対策として、グローバルヘルス全体に寄与すると期待される。**ARISE加盟5か国によるESBL研究は日本国内での患者登録が令和7年12月に開始され、令和8年3月末時点で5例が登録済みとなったほか、他の加盟国では3施設は倫理審査承認済、9施設は審査中となっている**。

また、非感染症分野(ATLAS)では、アジア圏でのがんに関する臨床試験グループの構築を進め、日本主導で多数の国際共同試験を実施し、アジア全体で医薬品・医療機器開発を推進している。令和7年度**調整費(秋)の措置により、新たな臓器別研究グループの設立を進めており、令和8年1月には小児がんグループが設立された**。また、次期治験の対象をプラットフォーム研究であるMASTER KEY Asia (MKA) に登録し**ゲノム解析を行い、すでに40例を超える患者登録が行われた**。この対象に対する試験は**令和9年の登録開始を予定**しており、上記の解析結果を加味しつつ参加国、参加施設を選定する。これにより、アジアに多いがん種で日本発の治療開発促進や開発の効率化につなげる。

I. (1) 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 橋渡し・臨床加速化プロジェクト

(3) 大学発医療系スタートアップ支援プログラムの実施

① 医療系SU支援拠点におけるシーズ発掘や支援体制の整備

- 医療系SU支援拠点4拠点は令和6年度に引き続き支援するシーズの公募を行い、**令和7年10月末までに4拠点で計46件(令和7年度採択30件)を採択して事業化支援を開始した。**
- スタートアップを介して医薬品・医療機器等の実用化を目指すシーズの更なる発掘や、VC、CVC、事業会社へ周知するため、**4拠点とAMEDが協力して国内外の商談会や学会、展示会においてブース出展やセミナーを開催して事業紹介を行った。**更に日本癌学会では応募数増加に繋がるよう、出展ブースにおいて個別相談会を開催し、実際に伴走支援を担当する各拠点の支援者がアカデミア研究者からの相談に答えた。
- SU支援拠点のシーズ募集が1回終わる度に、PS及びPOと各拠点の間でフォローアップミーティング(計7回開催)を行い、次回のシーズ募集に向けた改善点や4拠点に共通する課題点等を広くディスカッションするとともに、共通する課題点については、PS及びPOと4拠点、文科省、AMEDが参加する**連携推進会議(計4回開催)**において検討を行い、解決を図った。
- 拠点間で連携して、ビジネスの観点も含めスタートアップの立ち上げや事業計画作成等の支援が行えるプロジェクトマネージャーの育成に向けた取組を開始した。

Link-J Japan Night@Boston



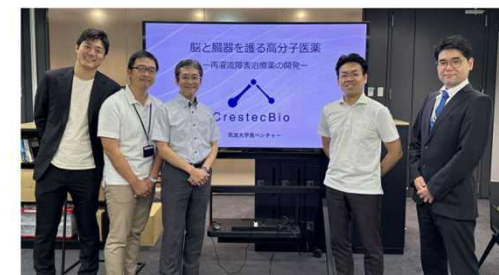
第84回日本癌学会学術総会



② 大学発医療系スタートアップの育成や海外の研究機関と連携した人材育成プログラムの実施

- **筑波大学拠点が採択し、支援するスタートアップ(シーズS2)において、令和7年12月にVCから資金調達を実施した。また、令和8年2月に支援するアカデミア研究者(シーズS1)が起業した。**
- 国立がん研究センター拠点が支援するシーズSについて、令和6年度にパートナーシップを締結した「**TMC Japan BioBridge/JACT Program**」による**米国研修を開始した。**また、慶應義塾拠点では、Stanford SPARKとの連携・協力による「**SPARK Keio**」プログラムを開始した。

CrestecBio社、1.5億円の資金調達を実施
開発品目「CTB211」



2025.12.9 CrestecBio株式会社のプレスリリースに基づき作成

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

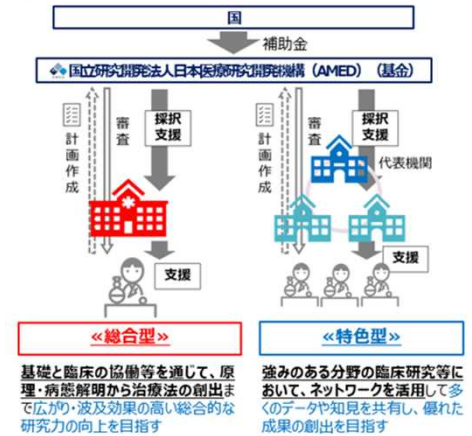
⑦橋渡し・臨床加速化プロジェクト

(4) 医学系研究支援プログラムの実施

① 大学病院・医学部における、医学系研究力を強化する体制整備の進捗

- 本事業を実施する研究機関について令和7年3月25日から6月13日まで募集を行い、総合型へ19課題、特色型へ17課題・55機関の応募があった。本事業の課題評価委員会において書面審査とヒアリング審査を通じて選考を行い、**総合型6課題・6機関、特色型6課題・20機関を選定し、令和7年10月から事業を開始した。**8月26日には文科省とAMEDから採択についてプレスリリースを行った。
- 令和7年10～12月にかけて、**全12課題においてPS及びPOの出席のもと、キックオフミーティングを実施し、**本事業の目的や求められる成果を再確認するとともに、進捗管理において注意すべき点などを明確にした。
- 7課題については本事業の**実施概要を紹介するシンポジウムを開催した。**外部公開シンポジウムの開催については他の採択課題にも情報共有を行った。

【事業スキーム】



●キックオフシンポジウムの開催（外部向けチラシ）



* 名古屋大学、筑波大学は関係者による非公開シンポジウムを実施

【総合型6課題】

総合型	事業課題名	キックオフミーティング
金沢大学	22世紀の未来型健康社会に向けたヘルスサイエンス・イノベーション	11月27日
京都大学	京都大学研究力向上計画	12月2日
東京科学大学	最先端科学技術を活用した医学系研究力強化計画	12月4日
東京大学	東京大学医学部附属病院研究競争力向上計画	12月10日
藤田医科大学	がん・神経・感染症における横断的研究推進による研究力向上計画	11月12日, 11月27日
北海道大学	ひと・AI/DX・しくみの三位一体的整備による次世代AI活用・データ駆動・情報循環型医学研究の戦略的推進	11月26日

【特色型6課題】

特色型	事業課題名	キックオフミーティング
信州大学	セキュアな広域地域横断的データ連携によるデータ駆動型医学系研究創生プログラム	12月12日
筑波大学	関東三大学医学研究次世代育成プロジェクト	10月22日
長崎大学	免疫ダイナミクス解析コホート・AIを駆使して難治性疾患に挑むPhysician Scientist育成と研究力向上計画	10月16日

特色型	事業課題名	キックオフミーティング
名古屋大学	豊かな人生を育む多世代共生・健康社会を目指す医学研究者育成プログラム	12月11日
岡山大学/順天堂大学		
広島大学	広島・神戸・熊本医療革新・研究共同推進イニシアティブ（HK ² -MIRAI）	12月27日
山梨大学	先端脳科学研究と量子医学の融合による精神神経疾患・診断治療薬創出と若手医学研究者活躍プラットフォームの構築	12月20日
富山大学/浜松医科大学/福井大学		

I. (1) 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橋渡し・臨床加速化プロジェクト

【評価指標】(医療系SU支援)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	1	大学発医療系スタートアップを支援する体制整備の進捗状況(拠点毎の体制整備に関する目標の達成状況等)	各拠点において、起業前後のシーズを国際展開まで視野に入れて支援するプログラムを開始した。	
	2	採択されたスタートアップへの民間からの投資の状況(民間からの投資を得た支援課題の割合等)	民間からの投資を得た支援課題1件	
	3	採択案件の実用化に向けた進捗状況(非臨床PoCの取得件数、他事業等への導出件数等)	非臨床PoC取得1件、他事業への導出0件	
【モニタリング指標】(医療系SU支援)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	4	起業を目指す若手人材の応募件数及び採択件数	シーズS0 令和7年度応募件数43件・採択件数13件	
	5	起業を目指す研究者の応募件数及び採択件数	シーズS1 令和7年度応募件数95件・採択件数13件	
	6	起業直後のスタートアップの応募件数及び採択件数	シーズS2 令和7年度応募件数41件・採択件数4件	
	7	採択された研究者が起業した件数	1件	
	8	PMDAへのレギュラトリーサイエンス(RS)戦略相談を行った研究開発課題数	0件	

I. (1) 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橋渡し・臨床加速化プロジェクト

【評価指標】(医学系研究支援プログラム)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	9	医学系研究力の強化に係る取組を実施するための体制整備の進捗状況	令和6年度中に取組を実施する大学の公募を開始し、令和7年8月に12課題・計26機関を採択、10月に事業を開始した	
	10	研究者の多様性・流動性の高いチーム形成の達成状況	各採択課題において、多様性の高いチーム形成がなされている	
	11	研究者が研究に専念できる環境の整備状況	採択された大学等において、研究環境整備を開始した	
	12	研究活動の成果達成状況	採択された大学等において、研究を開始した	
【モニタリング指標】(医学系研究支援プログラム)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	13	機関の応募状況及び採択状況	応募件数 総合型19課題、特色型17課題・55機関 採択件数 総合型6課題、特色型6課題・20機関	
	14	研究者への支援状況	採択された大学等において、研究環境整備を開始した	
	15	研究成果の創出状況	採択された大学等において、研究を開始した	
	16	研究開始当初に設定した研究マイルストーンの達成状況	採択された大学等において、研究を開始した	

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

R7年度
自己評価

a



「イノベーションエコシステムプロジェクト」について、以下の取組を重点的に実施した。

(1) イノベーションエコシステムプロジェクトとしての方針に沿った事業運営

(2) 医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)

- ① 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の構築
- ② AMEDの取組状況や事業の進捗状況について、所管府省への適宜報告および対応
- ③ 事業フェーズに応じた適切な研究開発マネジメント

(3) 革新的医療技術研究開発推進事業(産学官共同型)(AIMGAIN)

- ① 医薬品・医療機器等の産学官共同による研究開発の推進、成果創出
- ② 難病・希少疾患領域の医薬品・再生医療等製品の国際共同治験の支援

(4) 創薬ベンチャーエコシステム強化事業

- ① 創薬ベンチャーの実用化開発を推進する体制の整備、および、実用化開発の支援
- ② 創薬ベンチャーエコシステムの底上げ

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

(1) イノベーションエコシステムプロジェクトとしての方針に沿った事業運営

- ① PJ8では、出口となる産業化を意識したAMED内の事業間連携として、アカデミア期から実用化まで、AMED内で一貫通貫した支援を可能とする仕組みの強化を実施した。
 - ・ 事業間で連携して課題をつなぐため、創薬ベンチャーエコシステム強化事業において令和6年度に引き続きアーリーフェーズを支援。
 - ・ 他事業の終了課題など、レイターフェーズの実用化支援を強化するため、AIMGAIN内に難病・希少疾病領域の国際共同治験を支援する新規事業タイプを設立し、公募を開始した。
 - ・ CiCLE、創薬ベンチャーエコシステム強化事業における事業間連携（他事業の支援後に採択した課題・・・CiCLE 67課題中18課題、創薬ベンチャーエコシステム強化事業43課題中20課題）。
- ② 令和5年度より毎年、BioJapanの場でのAMEDシーズアクセラレーションピッチを開催（令和7年度は第3回を10月に実施）し、認定VC（当時30社）とAMEDシーズのマッチングを通して、他事業部等から有望なAMEDシーズを発掘するなど、国内外のVCや製薬企業などの投資家をつなぎ、起業や事業化を促進した。
 - ・ 創薬ベンチャーエコシステム強化事業において登壇企業をこれまでに4社採択・支援。
- ③ AIMGAIN事業で目指す基盤技術の研究開発を初期段階から実用化目線で支援するために、採択時から医療分野におけるニーズ、社会実装に向けた体制・取組を重視した。さらに、研究開発の成果を目指すだけでなく、当該分野の規制緩和や標準化（AI創薬や医療研究DX）、AMED内の他PJとの連携・重複排除につながる成果を目指した。
 - ・ AMEDで実施すべき戦略に照らして、AIMGAINで採択している医療研究DXに係る課題やフィジカルAIに係る課題と連携して、内閣府の検討会で医療情報の利活用推進に関する提案を行うなど、規制緩和等の働きかけを実施。

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

(1) イノベーションエコシステムプロジェクトとしての方針に沿った事業運営

- ④ 国内外VC等からの出資や製薬企業への導出を行うためには、実用化目線でのデータ信頼性の確立、初期段階での戦略的な知財取得が大前提。そのため、AMED内の事業間連携を進めていく観点から、データ信頼性・再現性に関する調整、知財等スターターキットを整備し、大学シーズや各PJ事業の実用化を支援した。
- ・ 知財・契約戦略に係るスタートアップガイドを作成。AMED記者説明会で公開(令和8年2月)し、各種報道やSNSにおける好評価につながるなど反響が広がっている。また、PJ7の事業やJST事業の採択課題に対して紹介等を実施し、普及に向けた活動を開始した。
 - ・ 海外イベントでの積極的な事業アピールを行い、海外VCの採択につなげるなど、海外連携を強化するため国内創薬ベンチャーエコシステムのグローバル化を推進した。
- ⑤ その他、採択課題の支援と成果の管理
- ・ CiCLEでは、令和7年度に32課題中12課題が終了し、着実に実用化が進んでいる。さらに、終了課題のうち3課題が目標達成の評価となり、MeijiSeikaファルマ株式会社およびメルフロンティア株式会社の2課題は令和8年度中の上市が期待される。
 - ・ 創薬ベンチャーエコシステム強化事業では、ジェイファーマ株式会社の研究開発課題(令和6年度採択)は、令和8年3月に東京証券取引所グロース市場へ上場し成功終了となった。

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

(2) 医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)

① 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の構築

- ・ <市場創出効果の調査> フェーズ3までの支援が計画され、令和7年度中も支援が継続している7課題を本事業の例として、令和7年度末時点の開発進捗状況に基づく事業化の可能性、また、事業化後に期待される製品の予想売上を評価したところ、**支援した成果に係る売上予想総額は2,200億円から3,700億円と試算された(*)**。令和7年度末時点では、採択課題67件中47件(約70%)が終了しているところ、**本事業の出資総額1480億円のうち、既回収額は1,031億円(約70%)である一方、目標未達に係る回収不能額は76億円(約5%)である。**

*外部シンクタンク調べ

- ・ <財務分析ツール> 当事業で令和6年度に開発した財務分析ツールにより、研究開発期間中および終了課題合計31社の分析を実施した。その結果、優良先8社、普通先11社、注意先12社という結果となった。現在はこの結果に基づき調査方針を定め、ヒアリング等を実施している。
- ・ <PS・PO意見交換会> PS・PO・課題評価委員の間でCiCLE課題管理上の成功事例やノウハウを共有する「意見交換会」を2回開催(令和7年10月、令和8年3月)した。CiCLEの事業特性を生かした目標達成の支援策について報告・議論を行った。
- ・ <技術動向調査> 最新の研究開発や技術動向に関連し、創薬の基盤となる3件の調査を実施した。調査の結果については各課題へのフィードバックにより課題を推進した。

② AMEDの取組状況や事業の進捗状況について、所管府省への適宜報告および対応

- ・ 内閣府と定期的に打合せを行い、取組状況や事業進捗を適宜所管府省へ報告するとともに、新規事業の立上げに際しては内閣府と詳細を逐次協議しながら方針を決定している。また、指摘事項があった場合には、その内容を踏まえて適切に対応している。

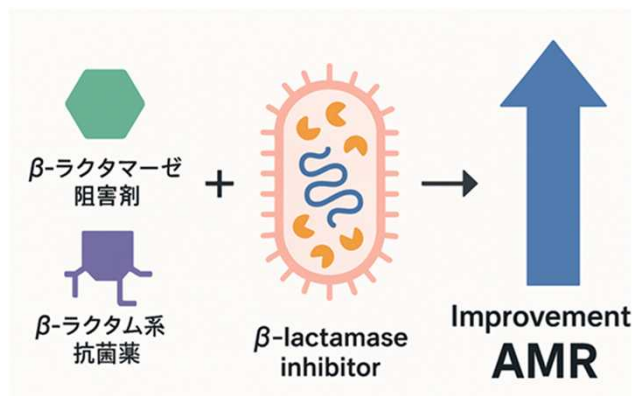
I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

(2) 医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)

③ 事業フェーズに応じた適切な研究開発マネジメント

- ・ <実用化啓発> 代表機関のニーズに基づき、外部の専門家による講演を通じて信頼性保証及び品質管理に関して理解を深める「研修交流会」を開催した(令和7年8月)。13機関が参加し、研究開発成果を社会実装に資するための知見を得た。
- ・ 令和7年度に終了した12課題のうち7課題が中止、2課題が未達、3課題が目標達成の評価となった。うち**以下2課題は、CiCLE成果にもとづく製造販売承認申請され、令和8年度中の上市が期待される。**
- ・ <課題成果1> MeijiSeikaファルマ株式会社(非臨床PK/PD理論を活用した新規β-ラクタマーゼ阻害剤(OP0595)の単味製剤の研究開発): **第3相臨床試験で有効性を確認した。耐性菌に対する新たな治療選択肢**であり、新薬創出につながる意義が大きい事例である。
- ・ <課題成果2> メルフロンティア株式会社(生体吸収性マグネシウム合金製骨固定ヘッドレスコンプレッションスクリューの製品化を目指した研究開発): 既存のチタン製スクリューや生体吸収性ポリ乳酸スクリューを補う新素材の医療機器を開発し、**品質試験や特定臨床研究等を実施した。外科領域における患者のQOL向上等**を含めた、有用な医療機器の創出が期待される。



新規β-ラクタマーゼ阻害剤単味製剤(MeijiSeikaファルマ株式会社)



生体吸収性マグネシウム合金製骨固定ヘッドレスコンプレッションスクリュー(メルフロニア株式会社)

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

(3) 革新的医療技術研究開発推進事業(産学官共同型)

① 医薬品・医療機器等の産学官共同による研究開発の推進、成果創出

- ・ <体制整備> 採択課題数の増加や課題の実用化に向けたハンズオン体制の強化のため、令和7年度中にPOを4名増員し、また、AMED事務局におけるプロジェクトコーディネーター(PC)の人数を2名増員した。本体制の下、PS・PO・評価委員に対して、公募や中間評価に向けて、実用化がより現実的である課題を採択・継続するため、**重点化する評価軸の目線合わせを実施**した。
- ・ 採択課題全13件についてAMED第三期の目標達成の観点に沿って中間評価などを実施した結果、採択課題3件が終了し、医療分野としての基盤技術として期待できる課題ラインナップとした。
- ・ <五次公募> 応募希望者に対してワークショップ、説明会、相談会など計3回を実施した。アカデミアタイプ・スタートアップタイプを公募し、応募数26件中**1件(スタートアップタイプ)**を採択した。
- ・ <中間評価> 採択課題4件の中間評価を実施し、医療分野における基盤技術構築に向けての研究開発の進捗状況、産学連携の取組の進展状況等を評価した。その結果、**4課題中2課題を継続、2課題を終了**とした。
- ・ <課題成果の拡大> AMEDで実施すべき戦略に照らして、リアルワールドデータプラットフォーム開発に係る研究開発課題(令和5年度採択)や、AIロボット手術室に係る研究開発課題(令和6年度採択)と連携して、**データ統合の重要性と規制緩和の必要性を示すため、内閣府の検討会で医療情報の利活用推進に関する提案を行うなど、規制緩和等を働きかけた。**

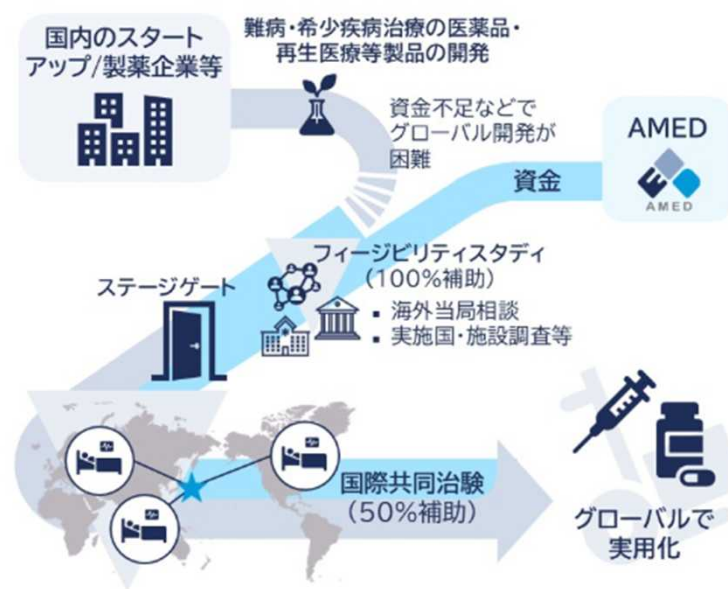
I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

(3) 革新的医療技術研究開発推進事業(産学官共同型)

② 難病・希少疾患領域の医薬品・再生医療等製品の国際共同治験の支援

- ・ <事業設計> 令和7年度補正予算の措置を受けて「**革新的医療技術研究開発推進事業(産学官共同型) グローバルタイプ - 難病・希少疾病治療グローバル研究開発支援事業**」を創設し、所管省である内閣府と協力して速やかに事業設計を開始した。関連するAMED内の他事業からの接続も積極的に検討し、プロジェクト間連携によりレイターフェーズの課題支援を目指す。
- ・ <評価委員体制> 難病・希少疾病治療を対象とする国際共同治験に必要な科学的妥当性、倫理性に加え、治験の実行性や事業性など多角的視点を備えた**9名の課題評価委員を選任**した。
- ・ <PS・PO体制> 採択したプロジェクトを適切に管理できるように、製薬企業などにおいて主導的立場で国際共同治験を実施した経験がある**PS1名を選任**した。事業推進に向けては、**PO3名中2名の選任を終え、残る1名のPOを検討中**である。
- ・ <文書整備> 課題採択後速やかに支援を開始できるよう、**組織規定を改訂し、公募要領や事務処理説明(追補版)を整備**した。
- ・ <公募実施> **令和8年3月30日に公募を開始した**。令和8年5月29日まで募集の予定である。



革新的医療技術研究開発推進事業(産学官共同型) グローバルタイプ - 難病・希少疾病治療グローバル研究開発支援事業イメージ図

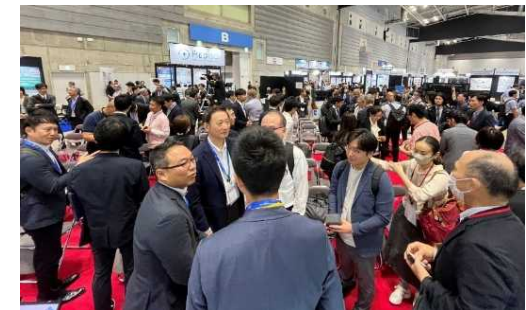
I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

(4) 創薬ベンチャーエコシステム強化事業

① 創薬ベンチャーの実用化開発を推進する体制の整備、および、実用化開発の支援

- ・ <体制整備> 令和7年度はPOを1名増員して課題数増加に対応できるハンズオン体制を強化した。機構においても専門知識を有する人員を確保し、本事業の効果的な推進に向けた課題管理体制を強化し、また、創薬ベンチャーの財務状況やコンプライアンスについて確認可能な調査の実施・分析を適時行い、事業のリスク管理を継続して実施した。
- ・ <ピッチイベント> 令和7年10月BioJapanでの第3回AMEDシーズアクセラレーションピッチにおいて機構内外からシーズを選出し、認定VC全社(当時30社)とのマッチングを支援した。これまでの登壇企業のうち、4社を創薬ベンチャーエコシステム強化事業で採択・支援している。
- ・ <創薬ベンチャー課題> 令和7年度は13課題を採択した。次ステージへの移行の是非を評価するステージゲート評価により令和7年度は14課題が次のステージに移行決定し、創薬ベンチャーの開発進捗状況に応じたGo/No go判断を適切に実施した。令和7年度末までに研究開発を開始した40課題のうち、10課題が第1相臨床試験を実施しており、着実な開発が進行している。
- ・ <ベンチャーキャピタル> これまでの採択社35社のうち、令和7年度に採択した5社はすべて海外発祥の社であり、世界のVCとの連携を強化した。認定VCは2事業年度ごとにソーシング活動やハンズオン実績等を評価し、認定の継続可否を判断している。令和7年度は19社を対象として評価を実施し、18社が認定継続となった。



第3回AMEDシーズアクセラレーションピッチの様子
(令和7年10月)

I. (1)基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

(4)創薬ベンチャーエコシステム強化事業

② 創薬ベンチャーエコシステムの底上げ

- ・ <導出支援>AMED内の事業間連携を進めていく観点から、令和6年度に公開したデータ信頼性・再現性に関する資料の展開に加え、令和7年度は**知財・契約戦略に係るスタートアップガイド**を作成、令和8年2月に公開し、AMED記者説明会、橋渡し・臨床加速化プロジェクト(PJ7)の各拠点での説明会、JST事業のD-Globalの研究者会議等で紹介を行った。AMED記者説明会については、7社で記事として取り上げられ、Xで3万件を超える閲覧があるなど、他の告知イベントにおいても大学等から多くの活用したいとの声があがるなど、大きな反響を得た。



項目	達成状況
① 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
② 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
③ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
④ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑤ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑥ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑦ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑧ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑨ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑩ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑪ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑫ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑬ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑭ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑮ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑯ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑰ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑱ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑲ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
⑳ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉑ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉒ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉓ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉔ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉕ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉖ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉗ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉘ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉙ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉚ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉛ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉜ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉝ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉞ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㉟ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊱ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊲ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊳ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊴ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊵ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊶ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊷ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊸ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊹ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊺ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊻ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊼ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊽ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊾ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20
㊿ 大学発創薬ベンチャーの設立	7/20

大学発創薬ベンチャースタートアップ・ガイド
(令和8年2月理事長記者説明)

- ・ <課題成果1>ジェイファーマ株式会社の研究開発課題(令和6年度採択)は、**令和8年3月に東京証券取引所グロース市場へ上場**し、民間資金による運営を実施することから本事業の成功終了事例となった。今後も当該社の状況は適時把握する予定である。
- ・ <課題成果2>レグセル株式会社(創業者が坂口志文博士で、令和7年ノーベル生理学医学賞の受賞対象をシーズとした)の研究開発課題(令和6年度採択)は**米国拠点を活用したグローバルを視野に入れた開発進捗・計画が評価**され、令和7年8月にステージ移行が決定し、治験準備完了に向けて着実に進捗している。
- ・ <課題成果3>メタジェンセラピューティクス株式会社の研究開発課題(令和6年度採択)は、腸内環境由来の潰瘍性大腸炎等を患う世界の患者向けに開発中の治療薬の原料(健常人の便)の**献便ルームを山形県鶴岡市に開設(令和7年4月)したところ、多数のメディアに取り上げられ、腸内細菌ドナーからの献便数が1000便を超える**など、ベンチャーの活動が地域の活性化への貢献にもつながっている。

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

【モニタリング指標】(CiCLE、AIMGAIN、V-eco)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト固有指標	1	採択課題におけるステージゲート審査・中間評価等の通過件数	<CiCLE> 17課題のうち8課題が中間評価を通過した。 <AIMGAIN> 4課題のうち、2課題が、中間評価を通過した。 <創薬ベンチャーエコシステム強化事業> 創薬ベンチャーでは、17課題のうち14課題がステージ移行となった。 認定VCでは、19社のうち18社が認定継続となった。	

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

【評価指標】(CiCLE/ViCLE)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	2	採択のための審査に係る取組状況 (事業計画・事業目標の審査状況)	公募は行わなかった(CiCLE)	
	3	AMEDの取組・事業の進捗や課題の 相談に対する対応等の状況	- 課題の進捗状況に合わせ、適切に評価を行い研究開発等の推進を図った。中間・事後評価15件。 - 企業財務状況の定期的なモニタリングや現地経理調査を実施し、研究開発等の推進を財務・経理処理の面から支援した	
	4	終了時の評価に係る取組状況 (判断基準の策定状況を含む)	- 開発期間終了を待たずに、終了に係る評価を行うべく運用規定等の見直しを行った。 - 研究開発期間を満了した3課題について、速やかに事後評価を実施した。	
	5	上記の内容についての所管府省への 適時適切な報告	開発中止6件、未達2件については、事前に情報を共有した。また未達2件について打ち合わせ機会を持つ等、適時適切な報告を行った。	

【モニタリング指標】(CiCLE/ViCLE)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	6	応募件数及び採択件数	0件	
	7	事業に参画している延べ機関数	79件	代表機関30 分担機関49
	8	PMDAへのレギュラトリーサイエンス (RS)戦略相談を行った研究開発課題数	2件	
	9	委託金回収率(終了した事業の委託 金の回収額/終了した事業の委託 金支出額)	82.65%	
	10	評価指標の内容についての所管府 省への適時適切な報告	年度末に府省報告会を実施し情報交換を行っていたが、報告書を作成し関係省庁に提出することで報告を実施することとした。	

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

【評価指標】(AIMGAIN – 新規事業)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	11	基金と企業原資の研究費を組み合わせ実施する研究開発事業における研究開発の取組状況	革新的医療技術研究開発推進事業(産学官共同型)グローバルタイプ(難病・希少疾病治療グローバル研究開発支援事業)について、令和8年3月に公募を開始した。	
	12	基金と企業原資の研究費を組み合わせ実施する研究開発事業における研究開発の研究成果の創出	公募中のため実績なし(令和8年3月末)	事業実施前
	13	ステークホルダーとの連携を通じた国際共同治験に寄与する体制整備及び人材育成	公募中のため実績なし(令和8年3月末)	事業実施前
	14	国際共同治験を実施する事業における採択案件の実用化開発支援状況	公募中のため実績なし(令和8年3月末)	事業実施前

【モニタリング指標】(AIMGAIN – 新規事業)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	15	基金と企業原資の研究費を組み合わせ実施する研究開発事業における応募件数、採択件数	0件	事業実施前
	16	基金と企業原資の研究費を組み合わせ実施する研究開発事業における事業に参画している研究者延べ人数(アカデミア、スタートアップ及びスタートアップを除く民間の別を含む)	0件	事業実施前
	17	国際共同治験を実施する事業における応募件数、採択件数、ステージゲート通過件数及び国際共同治験開始に至った件数	0件	事業実施前
	18	国際共同治験を実施する事業における海外ステークホルダーとの会議や交流会等の開催数(KOL会議、患者会、アドバイザーリーボード、治験スタートアップ会議など。ただしCROや医療機関との業務上の会議は含めない)	0件	事業実施前
	19	日本を含めた規制当局との相談回数	0件	事業実施前

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

【評価指標】(AIMGAIN)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	11	基金と企業原資の研究費を組み合わせ実施する研究開発事業における研究開発の取組状況	五次公募に向けて本事業への応募を増やすための活動を強力に実施したうえで、令和7年7月より公募を開始し、1件を採択した。	
	12	基金と企業原資の研究費を組み合わせ実施する研究開発事業における研究開発の研究成果の創出	令和7年度は、二次、三次公募採択課題の中間評価を実施し、4課題中2課題が計画どおりに進捗し、さらに社会実装に向けて多くの医療機関、企業間の緊密な連携により研究開発を進めていることが評価され、3年目以降も継続となった。	
【モニタリング指標】(AIMGAIN)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	15	基金と企業原資の研究費を組み合わせ実施する研究開発事業における応募件数、採択件数	五次公募：応募件数26件、採択件数1件	
	16	基金と企業原資の研究費を組み合わせ実施する研究開発事業における事業に参画している研究者延べ人数(アカデミア、スタートアップ及びスタートアップを除く民間の別を含む)	アカデミア：507名、スタートアップ：49名、民間企業(スタートアップを除く)：322名	
	17	左記の評価軸に係る進捗、研究成果の取組状況	四次公募までの13課題のうち、10課題については、概ね順調に研究開発が進捗している。うち2課題については、中間評価にて今年度末で終了と評価された(採択時からの進展が十分ではない、採択時からの課題が解決されていないと評価)。うち1課題については、契約締結当初の研究開発計画に対し重大な変更事案が発生し本委託研究開発の継続が適切でないため中止となった。	
	20	日本を含めた規制当局との相談回数	該当なし	

I. (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト

【評価指標】(創薬VE)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	20	創薬ベンチャーの実用化開発を推進する体制整備の進捗状況	戦略検討や機動的な取組を行うための事務局体制強化を行い、公募要件見直し等の事業改善や成果導出活動等を実施した。	
	21	採択案件の実用化開発進捗状況	令和7年度は13課題を採択し、合計43課題を採択した。令和8年3月末時点で10課題が第1相臨床試験を実施している。	
	22	採択した創薬ベンチャーのステージゲート審査の通過件数	17課題のステージゲート評価を実施した。うち14課題が計画に沿った課題推進が認められ、ステージ移行の評価結果となった。一方、うち3課題は開発段階で問題が見つかったため課題廃止の申請が提出され、妥当との判断がなされた。	
	23	採択された創薬ベンチャーへの投資額(採択されていない創薬ベンチャーへの投資額との比較を含む)	<令和7年度> ・採択された創薬ベンチャーへの投資額 15,730百万円 ・採択されていない創薬ベンチャーへの投資額 47,486百万円	
	24	認定VCの投資規模の推移	・認定VC による創薬ベンチャーへの投資規模 令和7年度 159,519百万円	
	25	創薬ベンチャーへの総投資額の推移	・国内の創薬ベンチャーへの総投資額 令和7年度 63,216百万円	
【モニタリング指標】(創薬VE)			令和7年度の達成状況	補足
プロジェクト 固有指標	26	VC認定に係る応募件数及び認定件数	・応募件数 15件 ・認定件数 3件	
	27	創薬ベンチャーの応募件数及び採択件数	・応募件数 42件 ・採択件数 13件	
	28	PMDAへのレギュラトリーサイエンス(RS)戦略相談を行った研究開発課題数	・RS 戦略相談件数:11件	