

# 日本医療研究開発機構（AMED） 第3期の取組状況について

---

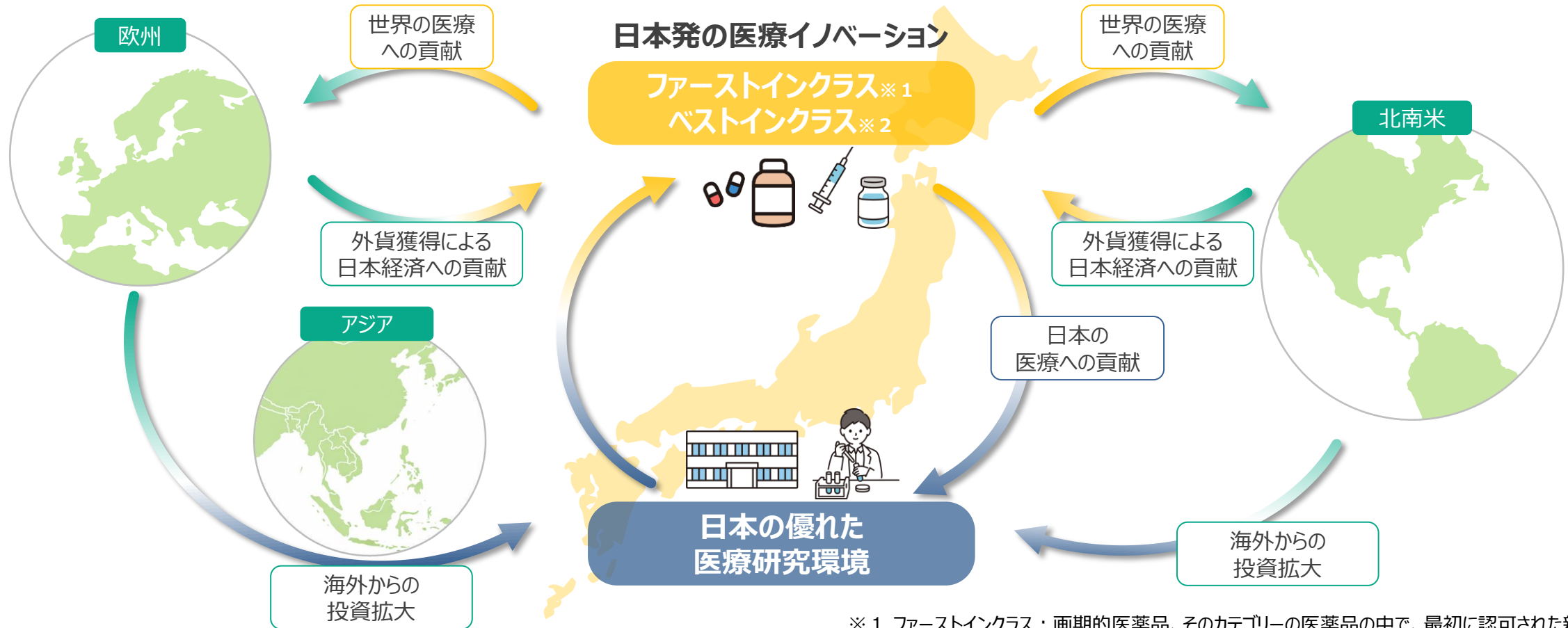
令和8年7月10日

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：画期的医薬品、そのカテゴリーの医薬品の中で、最初に認可された新薬  
※2 ベストインクラス：同クラスの薬剤が複数ある中で、効果や安全性など臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品

# 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)



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



革新的な創薬シーズを創出できて  
いない



国際的に高い研究水準の臨床試  
験を実施できていない



AI・データの利活用環境が整備さ  
れていない

## 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）

グローバル市場獲得

日本発の医療  
イノベーション

## 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**

優れた医療研究環境

## 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**

## 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（個情法改正等）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**

※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

## 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)

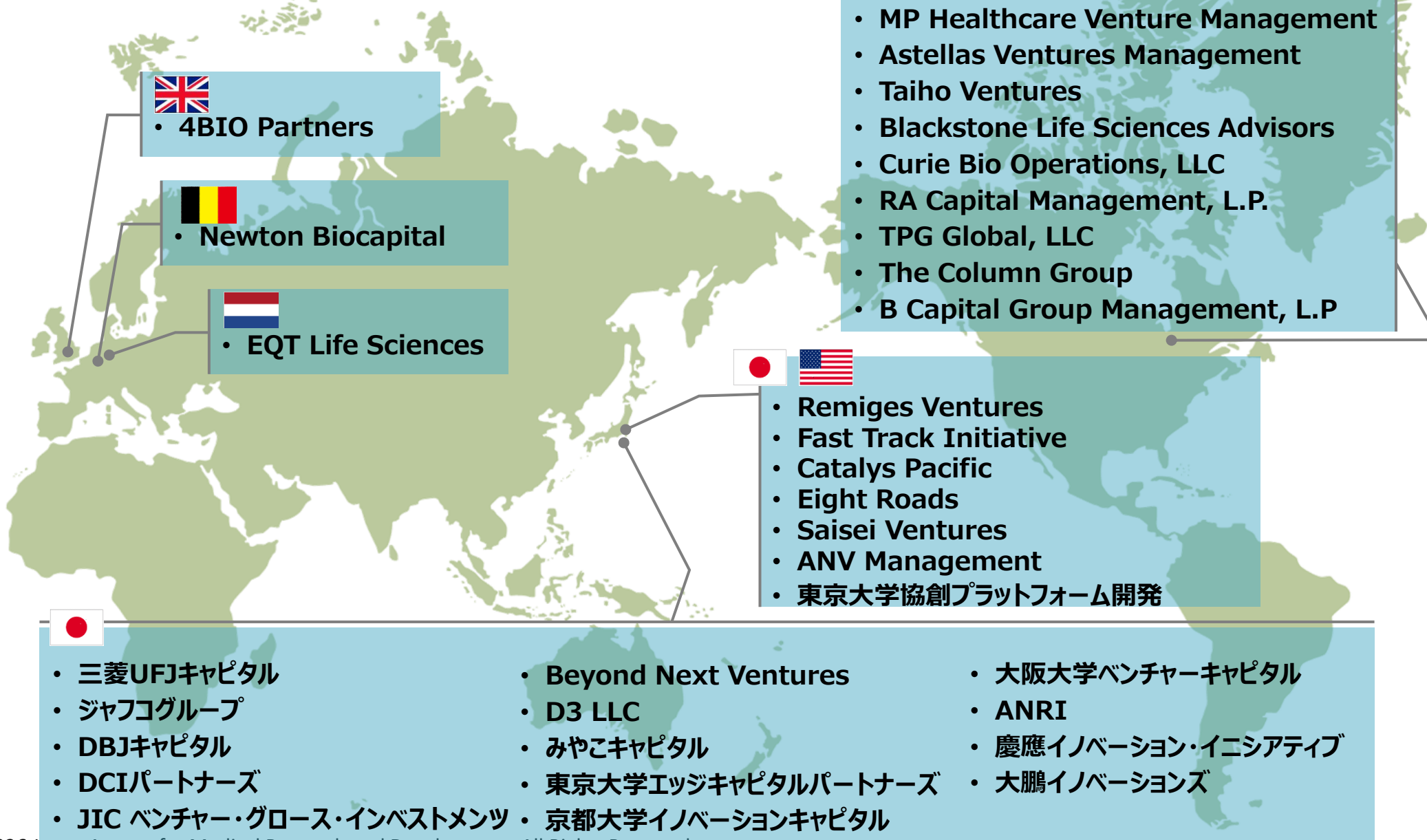
- ・大学の研究シーズや製薬企業からのカーブアウトから、次から次へと新たなベンチャーが立ち上がっていく環境を構築
- ・起業ノウハウを蓄積したCEO人材プールを国内に有する
- ・国内VCからの数十億円程度の調達一般的なになる
- ・非臨床POC取得前後まで大学との共同研究で実用化の道筋、知財戦略を策定 (サイエンス→ドラッグ開発)

## 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

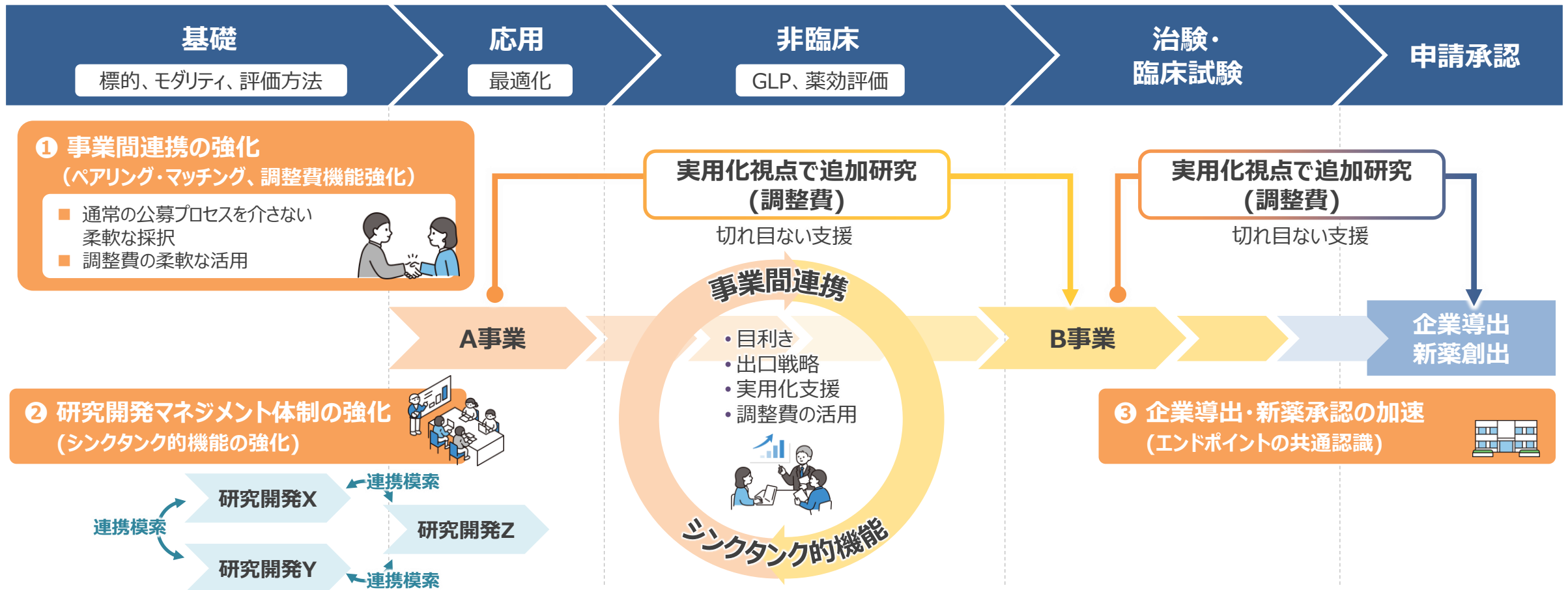


# 国内外からのリスクマネー供給の加速 (補助金を通じた海外VC投資の誘引)



# 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）

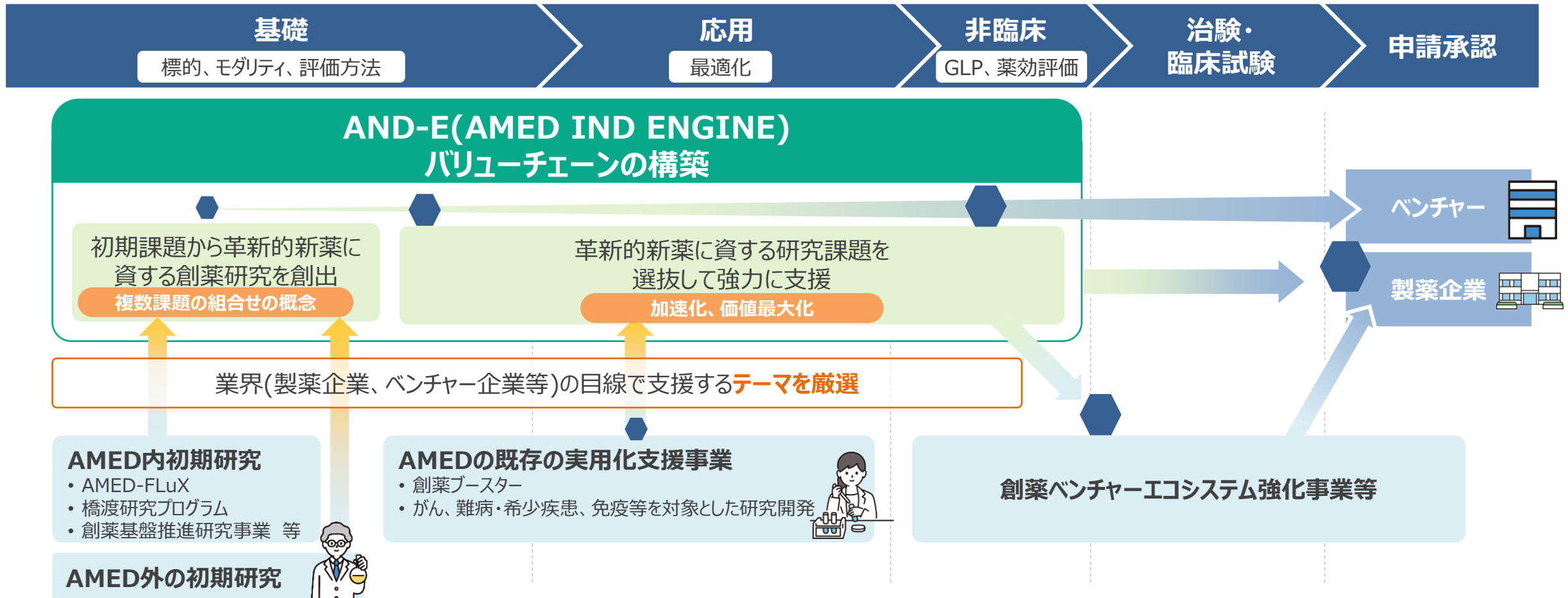
1. 各省縦割りとは指摘される事業間をつなぐための新たな仕組み（ペアリング・マッチング）の導入
2. 文科省、厚労省、経産省等からの約60事業2,700課題を全体最適化するシンクタンクの機能の強化
3. 企業導出等の成果へ無駄なくつなぐための目標明確化に取り組んでいるところ



# AMED研究の創薬実用化への強化 “AND-E (AMED IND ENGINE)”スタート



- AMED研究からの**革新的新薬の創製に向けて新たなチームを設置**
- AMEDと製薬協の連携のもと”AND-E”の取組を通じて、**日本発の「ファーストインクラス製品、ベストインクラス製品」創製に貢献**し、いち早く患者さんに届ける



- **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**

= データ統合を実現する、出口規制を前提とした、医療情報を利活用／管理する枠組み（案） =



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

単年度予算

VS

複数年度予算



- ・ 毎年契約終了
- ・ 再契約で停滞

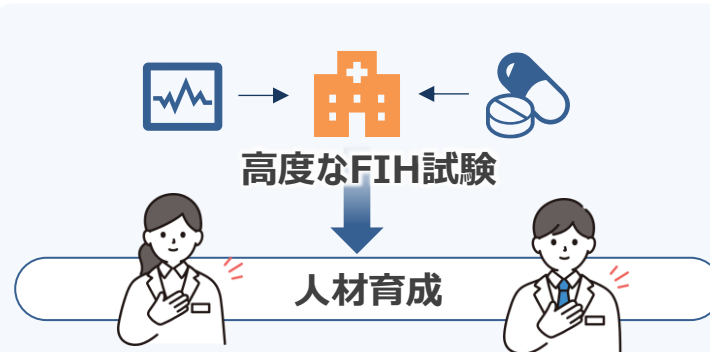


- ・ 長期的に計画推進
- ・ 着実に成果

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



# 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的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. 優れたシーズの創出・実用化の加速

### ◆ 出口志向の研究開発マネジメント

- ・アカデミア医薬品等シーズ開発推進会議(AMED-FLuX)、TPP策定支援における研究開発方針の提案、調査・分析機能の整備を進めるとともに、“AND-E(AMED IND ENGINE)”の取組を開始し、AMED研究からの革新的新薬の創製に向けて新たなチームを設置

### ◆ 事業間連携の強化

- ・統合プロジェクト連携会議を開催。ペアリング・マッチングの先行的な取組、機能強化された調整費を活用して事業間をつないだ連続的支援等を推進

### ◆ シーズの育成

- ・合理的・効果的なフォローアップ調査の実施・分析、AMSを活用した分析結果を統合PJ横断的なマネジメント等に活用

## 2. 統合プロジェクトの運営、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

### ◆ 関連する研究開発事業の統合的な連携の推進

- ・各疾患領域に経験豊富なDCを配置し、DCがマネジメントする領域運営会議を新たに設置。各DCは統合プロジェクト連携会議に参加し、プロジェクト横断的な連携強化を進めた。

## 3. 事務の合理化

### ◆ 契約管理・経理に関する検査方法の見直し

- ・執行状況や内容の把握／調整などもする進捗把握や中間検査を中心とする運用に移行を予定
- ・新たに「事務手続きに係る提案箱」をA-POST内に設置し、研究機関等から、事務手続きに関する意見や提案を聴取

## 1. 事業間連携の取組の強化

- 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



- 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

## 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（再掲）



## 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）」



### 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
  - 事務手続きに係る提案箱導入

## 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
- 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

## 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）
- 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、マルチオミクス解析等）による医療研究DXの推進

# Progress of AMED Third-Term Initiatives

---

**July 10, 2026**

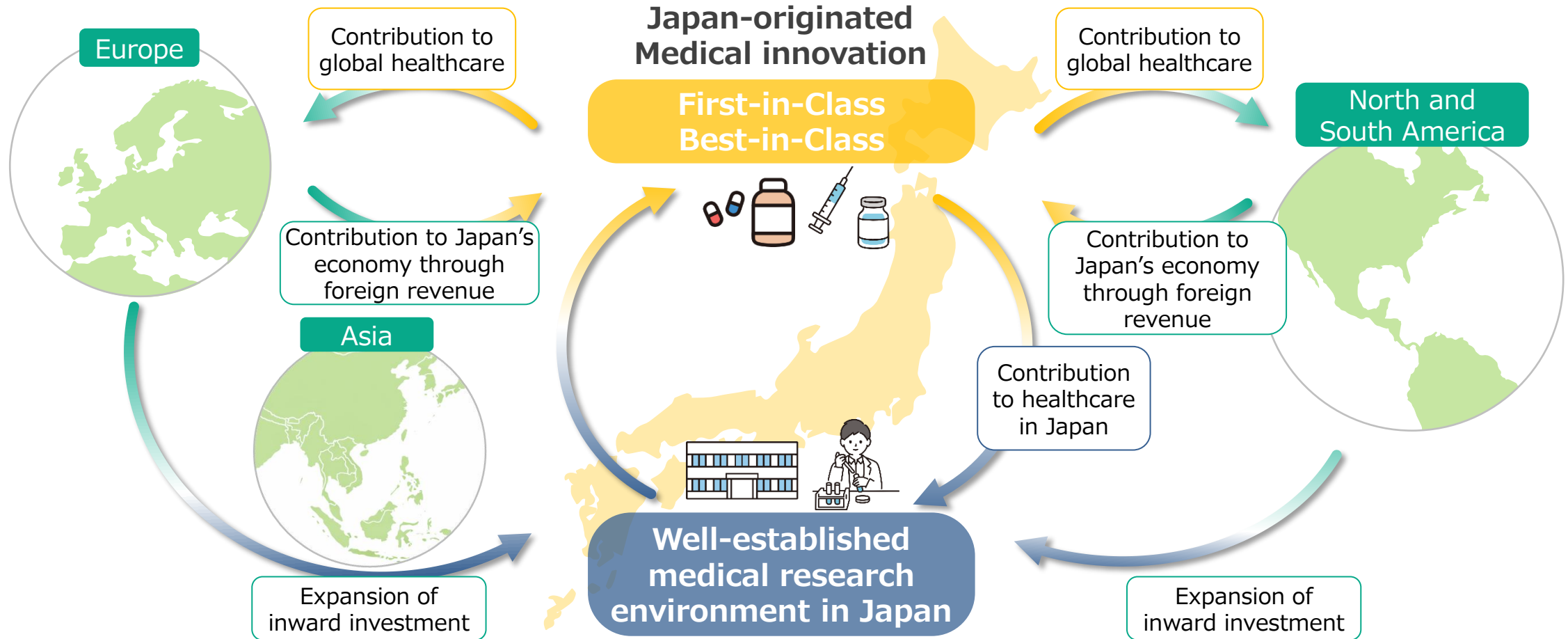
**President**

**Japan Agency for Medical Research and Development (AMED)**

**NAKAGAMA Hitoshi**

# Cross Perspective between Japan and the Global Community

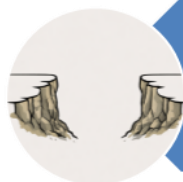
- Promote Japan-originated medical innovation based on global trends, contributing to global healthcare and Japan's economy through foreign revenue
- Enhance Japan's medical research environment based on domestic conditions, contributing to healthcare in Japan and expanding international investment



# Key Issues in Japan's Drug Discovery R&D (equals to AMED's challenge)



Not engaged in global development (funding, networks, technology, experience)



Gap between academic research outcomes and industry needs



Lack of innovative drug seeds



Limited capacity for internationally competitive clinical trials



Underdeveloped environment for AI and data utilization

## 1. Global Ecosystem Building

Progress: Growth in VC investment in biotech startups  
Plan: Attraction of Overseas VC, Creation of success cases and reinvestment, Deepening connections with global ecosystem

Global expansion

Japan-oriented medical innovations

## 2. Acceleration of Practical Application

Progress: Inter-program collaboration in cancer field  
AND-E (collaboration with JPMA) initiative  
Plan : Full rollout of projects screening  
Revision of selection and evaluation criteria to bridge program gaps  
Mechanisms to leverage outcomes from other programs

Well-established medical R&D environment

## 3. Development of a Global Competitive Environment for R&D

Plan: Develop domestic hubs for advanced FIH trials  
Support CRO/CDMO utilization in development

## 4. Development of a Data Utilization Environment

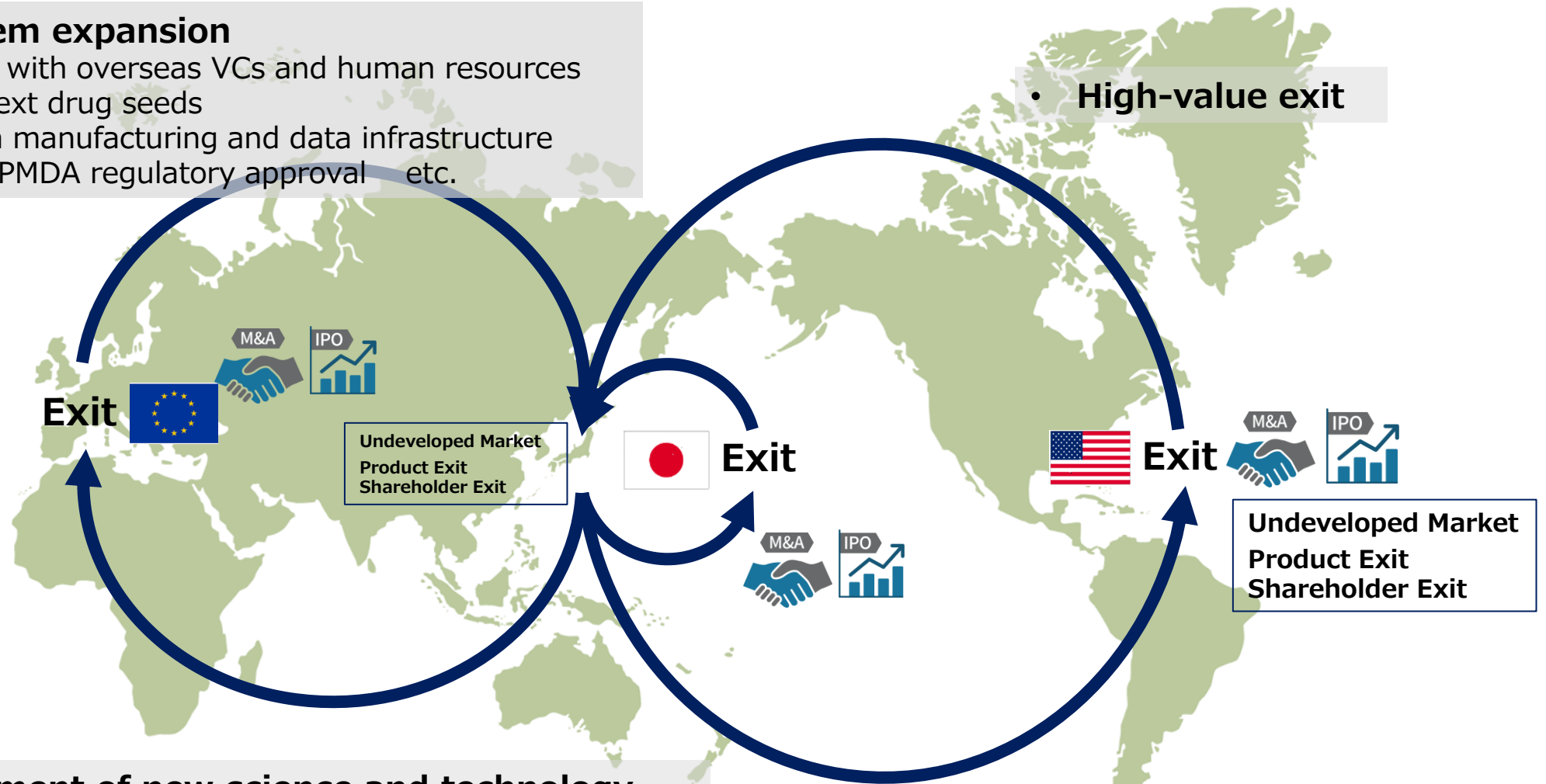
Progress: Launch of a Medical R&D DX Team, Incorporation into the public-private investment roadmap, etc.  
Plan: Infrastructure development for advanced analytics and AI-driven R&D, Promotion of cross-institutional data integration

# Global Drug Discovery Ecosystem

- **Ecosystem expansion**

- ✓ Network with overseas VCs and human resources
- ✓ Invest next drug seeds
- ✓ Establish manufacturing and data infrastructure
- ✓ Smooth PMDA regulatory approval etc.

- **High-value exit**



- **Development of new science and technology**
- **Creation of high-potential startups**

- **Early entry into the U.S. ecosystem**

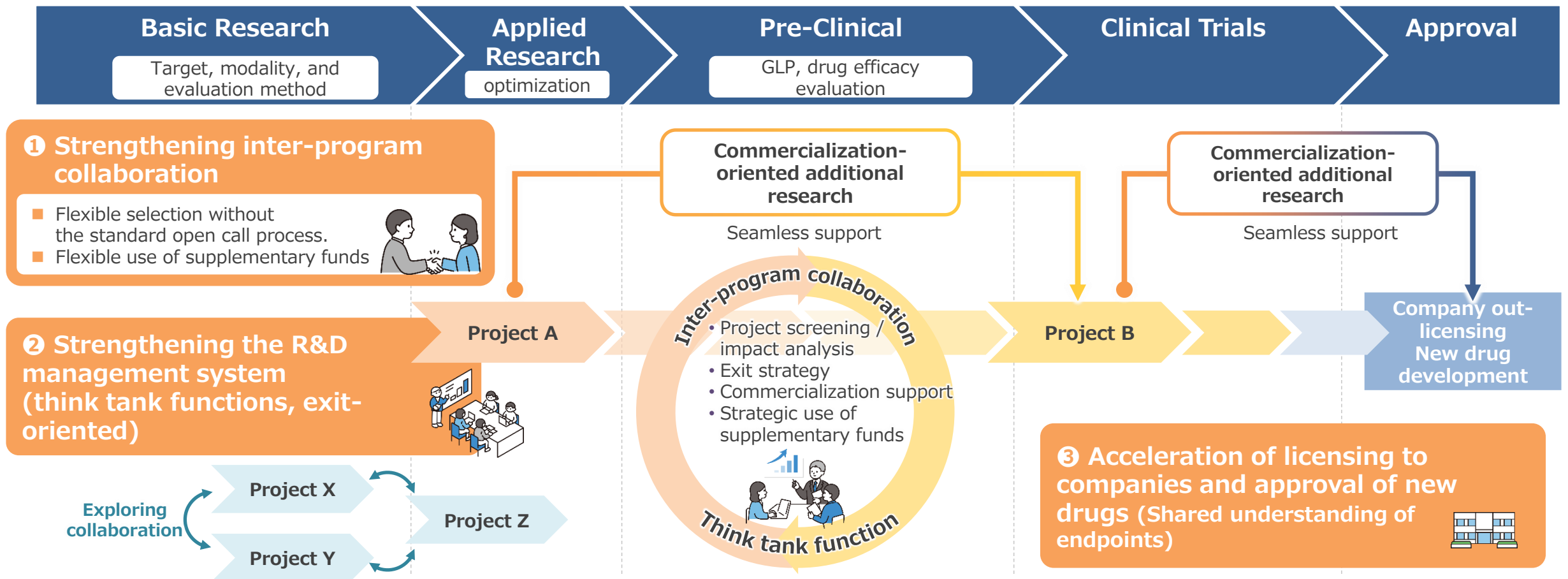
# Registered Venture Capitals (34)

- Strengthening Program for Pharmaceutical Startup Ecosystem



# Strategic Support from Basic Research to Practical Application

1. Introduce a new mechanism to connect projects that have been criticized for being compartmentalized across ministries.
2. Strengthen the think tank function to optimize approximately 60 programs and 2,700 R&D projects from the Ministry of Education, Culture, Sports, Science and Technology, the Ministry of Health, Labour and Welfare, the Ministry of Economy, Trade and Industry, etc.
3. Work on clarifying goals to ensure seamless and efficient translation of outcomes, including industry out-licensing.

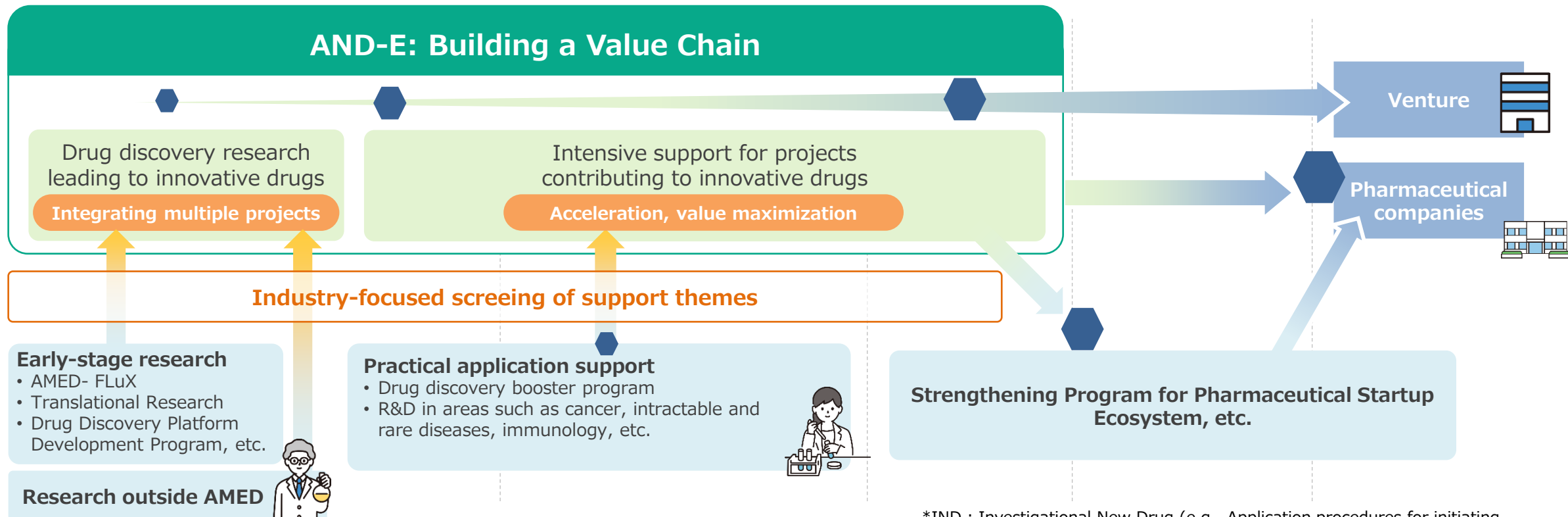
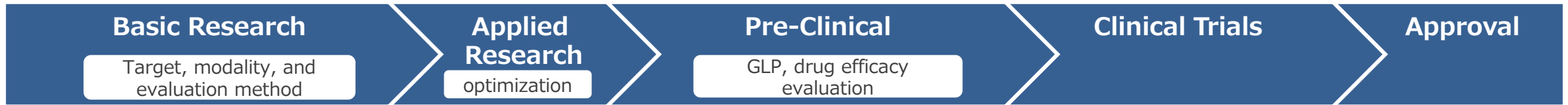


# "AND-E (AMED IND ENGINE)"

## - Strengthen drug discovery and practical application



- [Launch new initiative for innovative new drug creation](#)
- Through AND-E, in collaboration with JPMA, AMED promotes [Japan-originated first-/best-in-class products](#) and delivers them rapidly to patients.



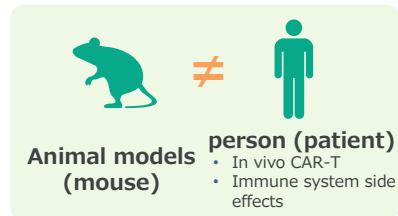
\*IND : Investigational New Drug (e.g., Application procedures for initiating clinical trials of new drugs)

# Promotion of Advanced First-in-Human Trials in Japan

- Drive advanced research and build global networks through collaboration with leading global researchers
- Establish an environment for Japan-led First-in-Human and Phase I international clinical trials
- Foster globally recognized investigators and promote high-quality R&D to address drug lag and loss

## A mechanism to overcome the limitations of nonclinical (animal model) validation and enable early proof-of-concept (POC) in humans

- **Shift in modalities**  
Increasing emergence of novel modalities, such as in vivo CAR-T, that are effective only in humans
- **Limitation of animal models**  
Human data required beyond animal models for approval



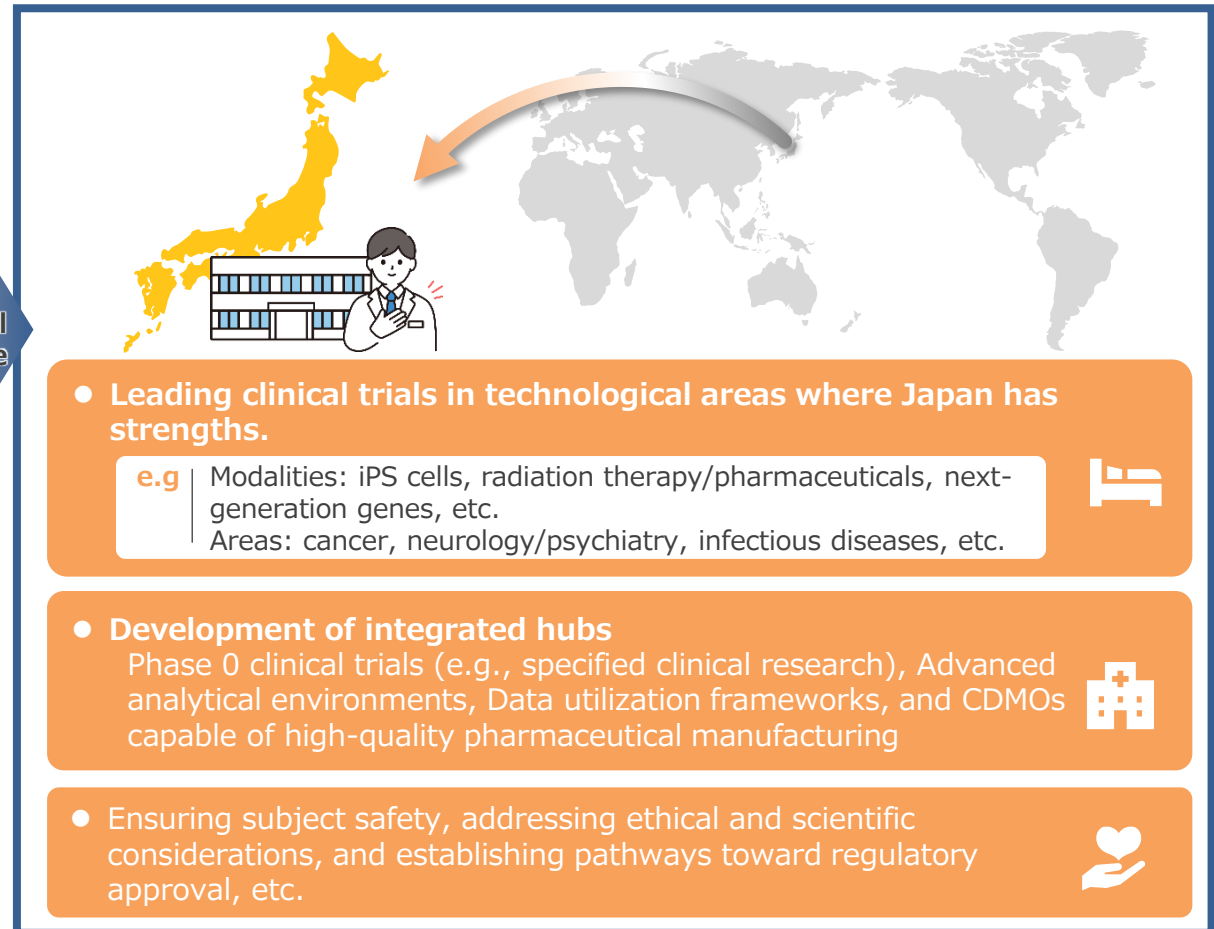
Global efforts to strengthen clinical trial infrastructure

▶ **Rising costs and slower development speed**

## Medical safety frameworks in early-stage development

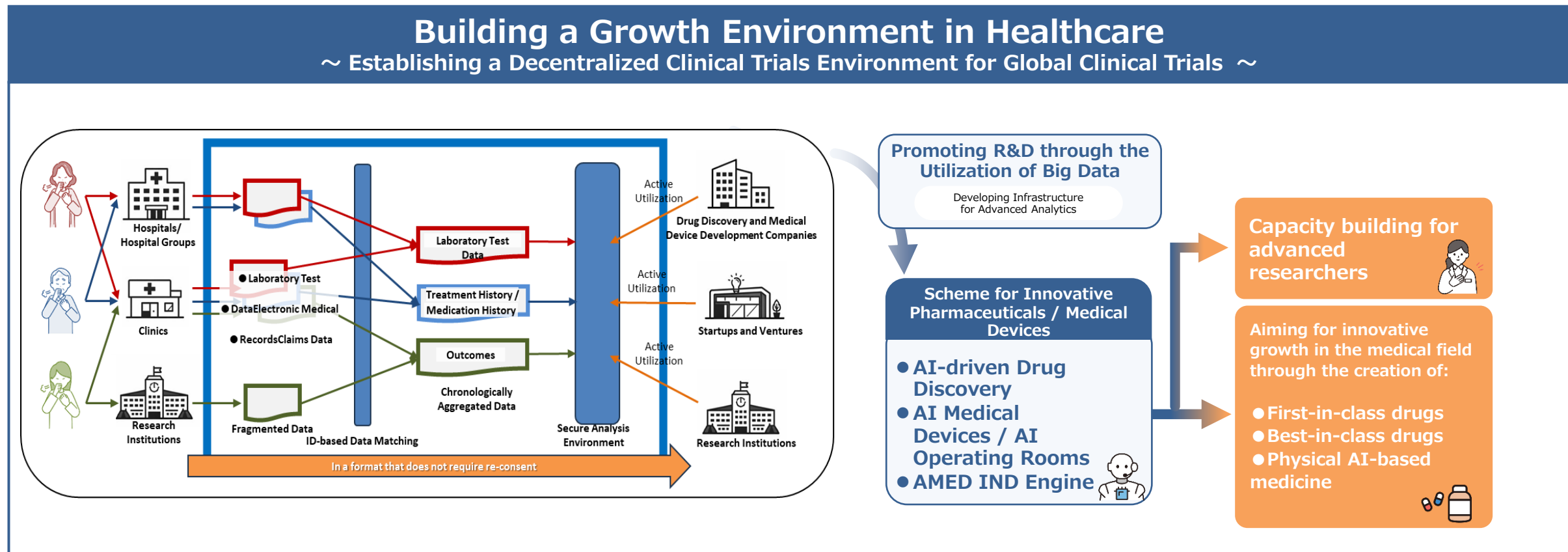
- **Need to address unpredictable risks and unknown toxicities in unapproved treatments**

▶ Need for dedicated PDCA systems, including organizational, financial, and ethical governance structures



# Promotion of Medical R&D Digital Transformation

- Develop data infrastructure to accelerate the use of whole genome data and image data in medical research and development
- Promote AI-driven research and development using accumulated data
- Drive innovation through first-in-class/best-in-class pharmaceuticals, AI-based medicine, and trained human resources



# Approach to Drug Discovery & Advanced Medical R&D for Japan's Growth Strategy and Competitiveness



A field-driven approach that sustains and activates academic basic research, accelerates its strategic translation into innovation, and builds a strong domestic ecosystem for drug discovery and advanced medicine - contributing to healthy longevity and economic growth in Japan

## ① Drive Japan-Originated Medical Innovation

## ② Strengthen the Medical Research Environment

1

### Strengthening sustained and flexible funding & program management

Single-year budget

VS

Multi-year budget



Annual contract renewals leading to delays and stagnation



Long-term, steady program implementation

2

### Advancing R&D based on infrastructure for First-in-Human (FIH) trials



Advanced FIH studies

Clinical Trial Workforce Development



3

### Strengthening advanced analytics & infrastructure and Driving AI-enabled medical R&D DX

Integrating individual medical data to establish an advanced analytics environment



While thoroughly pursuing a "hands-on approach," we will drive forward R&D and make improvements to the research environment and human resource development through the following initiatives, thereby invigorating and boosting our country's R&D activities in the health and medical fields, and contributing to the health and longevity of the society.

## 1. Strengthening Inter-Program Collaboration

Establish mechanisms to ensure seamless support across R&D programs. Utilize flexible supplemental funding with enhanced think-tank functions to support project evaluation, exit strategies, and coordination.

## 2. Promoting Academia-Industry Co-Creation from Early Stages

Encourage collaboration between academia and industry from the initial stages of R&D. Provide support from a business and industrial perspective to facilitate optimal industry transfer at each development phase from basic to clinical research. Advance system development and initiatives at each stage with the goal of creating innovative new drugs, while viewing each program and project from a value-chain perspective.

## 3. Enhancing Basic Research for Social Implementation

Provide continuous and stable support for basic research driven by both scientific curiosity and societal needs. Promote integration with advanced technologies to continuously generate seeds of innovation in pharmaceuticals and medical devices.

## 4. Advancing International Collaboration

Strengthen international research among top researchers and build long-term collaborative networks among next generation researchers, by promotion of international joint research and participation in global clinical trials that incorporate overseas needs. Build a drug discovery exosystem with a view to both domestic and global pharmaceutical markets.

## 5. Driving Digital Transformation (DX) in Medical R&D

Accelerate effective and efficient R&D using cutting-edge technologies such as AI, generative AI, and quantum computing. Develop robust data infrastructure and promote data management for future utilization.

## 1. Accelerate Innovation and Translation

### ◆ Outcome-oriented R&D management

Promote academia-driven drug discovery through AMED-FLuX, Provide policy direction in TPP formulation and strengthen analytical capabilities, Launch “AND-E (AMED IND ENGINE)” and establish a dedicated team to drive the creation of innovative drugs

### ◆ Strengthening inter-program collaboration

Hold Integrated Project Coordination Meetings, Promote pilot inter-program initiatives and continuous support using enhanced coordination funds

### ◆ Seed development

Conduct and analyze efficient follow-up surveys, Utilize AMED R&D Management System (AMS) insights for cross-cutting management across integrated projects

## 2. Coordinate Integrated Project Management and Cross-Cutting Initiatives

### ◆ Integrated collaboration across R&D programs

Appoint experienced Disease Coordinators (DC) in each disease area and promote DC-led domain management and meetings, strengthen inter-project coordination via integrated meetings

## 3. Stream Administrative Processes

### ◆ Administrative streamlining

Shift to progress-based monitoring and interim reviews  
Launch suggestion system in A-POST for administrative improvements

# Progress in Policy Implementation

## 1. Strengthening Inter-Program Collaboration

- Launch of flagship program on refractory cancer
- Support 7 projects with supplementary funds



- Multi-year, flexible budget allocation
- Expansion of funding in programs
- Talent development and infrastructure strengthening for economic security and management

## 2. Promoting Academia-Industry Co-Creation

- Launch of AND-E initiative
- Support 7 projects with supplementary funds



## 3. Enhancing Basic Research for Social Implementation

- Nobel Prize-winning research on regulatory T cells (Dr. Sakaguchi)
- Conditional and time-limited approval of regenerative therapies (ischemic cardiomyopathy, Parkinson's disease)
- Japan Medical Research and Development Award: Valemetostat – first-in-class therapy elucidating mechanisms of ATL and PTCL



## 4. Advancing International Collaboration

- ASPIRE rated "S" in mid-term evaluation, linking top researchers to drive global exchange

Develop infrastructure and human resources for advanced First-in-Human trials supporting global clinical studies

## 5. Driving Digital Transformation (DX) in Medical R&D

- Leverage G×E (gene-environment interaction; Nature) to advance sex-specific proactive healthcare



Promote medical R&D DX through enhanced analytics infrastructure and AI-based R&D (genomics, imaging, multi-omics)

Organizational management

- Strengthen strategic planning functions
- Reinforce field-oriented management
- Streamline contracts and administrative processes