

国立研究開発法人日本医療研究開発機構

中長期目標（第3期）

令和7年2月

内閣府

文部科学省

厚生労働省

経済産業省

## 目次

|                                   |    |
|-----------------------------------|----|
| I. 政策体系における法人の位置付け及び果たすべき役割       | 2  |
| II. 中長期目標の期間                      | 7  |
| III. 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項 | 7  |
| (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  |
| (2) 疾患領域に関連した研究開発                 | 16 |
| (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  | 18 |
| IV. 業務運営の効率化に関する事項                | 26 |
| V. 財務内容の改善に関する事項                  | 28 |
| VI. その他業務運営に関する重要事項               | 28 |

※III. (1) ～ (3) の各項目を一定の事業等のまとまりとする。

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

## **I. 政策体系における法人の位置付け及び果たすべき役割**

### **<法人の設立経緯>**

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

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

### **<法人の使命>**

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

### **<法人の現状と課題>**

AMED においては、医療分野の研究開発関連予算（国が定めた戦略に基づくトップダウンの研究を行うために、研究者や研究機関に配分される研究費等）を集約し、基礎から実用化まで切れ目ない研究開発支援を実施してきている。第 1 期中長期目標期間（平成 27 年度～令和元年度）では、関係省の関連する研究開発事業を統合的に連携させ、疾患別に一つのプロジェクトとして一元的に管理する 9 つの統合プロジェクトを立ち上げ、統合プロジェクトごとにプログラムディレクター（PD）等を配置し、基礎から実用化までの一貫した研究開発管理を行った。第 2 期中長期目標期間（令和 2 年度～令和 6 年度）においては、第 1 期中長期目標期間中にあった統合プロジェクトについて、疾患を限定しないモダリティ（技術・手法）等の統合プロジェクトに集約・再編し、新たな医療技術等の様々な疾患への効果的な展開や「予防／診断／治療／予後・QOL（生活の質）」といった開発目的を明確にした研究開発を推進した。それとともに、疾患領域に関連した研究開発は、モダリティ等の統合プロジェクトを横断する形で、統合プロジェクト間の連携を常時十分に確保し、特定の疾患ごとに疾患領域コーディネーター（DC）を配置して、柔軟にマネジメントでき

る体制を構築してきた。第2期中長期目標期間中には、AMEDが支援した課題から40件の薬事承認が得られ、シーズの企業への導出件数は434件に上るなど、研究成果が社会価値へとつながりつつある。基礎から応用までの各フェーズも着実に進展し、当該期間中に、非臨床PoCの取得357件、査読付き論文6千本以上の成果が得られている。一般的に医薬品等の研究開発には10年を超える長期間を要するものも多く、第2期中長期目標の下での取組はまだ道半ばではあるが、研究成果の疾患横断的な展開、研究者の実用化への意識の変化が見られるなど、一定の効果は得られている。

一方で、令和6年5月には、我が国の創薬力について、医薬品を中心に、ドラッグ・ラグ<sup>1</sup>／ドラッグ・ロス<sup>2</sup>問題、我が国の医薬品等の産業の国際競争力の低下が課題と指摘された<sup>3</sup>。医療分野の研究開発の観点からは、多様なプレーヤーと連携し、出口志向の研究開発をリードできる人材、国際水準の臨床試験の実施、アカデミア・スタートアップの絶え間ないシーズ創出・育成などが指摘され、またAMEDにおける研究開発支援の観点からは、関係府省庁に紐づく施策・事業の間の壁について指摘がなされた。さらに、第2期中長期目標期間中に発生した新型コロナウイルス感染症の世界的な流行を契機に、将来の感染症有事に備えた政府一体となったワクチン・治療薬・診断薬開発の必要性が浮き彫りになった。くわえて、「経済財政運営と改革の基本方針 2024～賃上げと投資がけん引する成長型経済の実現～」(令和6年6月21日閣議決定)においては、予防・重症化予防・健康づくりに関する大規模実証研究事業の活用などにより、保健事業やヘルスケアサービスの創出を推進し、得られたエビデンスの社会実装に向けたAMEDの機能強化を行うこと、AMEDの研究開発支援を通じて研究基盤を強化することで創薬力の抜本的強化を図ることが課題として明記されている。

#### <政策を取り巻く環境の変化>

ひるがえって、世界では、売上げ上位の新薬の中心が、低分子医薬品からバイオ医薬品、再生・細胞医療・遺伝子治療といった新規モダリティに変化する新たな潮流が出現してきており、我が国も対応を迫られている。

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

また、第2期中長期目標期間中には、新型コロナウイルス感染症が世界的に流行した。パンデミックが国家安全保障上の課題と強く認識されるようになり、国に対して感染症危機への平常時からの備えが従前に増して求められるようになった。対応に際しては、ワクチン

---

<sup>1</sup> 海外で使用されている医薬品が、日本で承認されて使用可能になるまで時間を要すること。

<sup>2</sup> 医薬品が日本で開発・上市されないこと。

<sup>3</sup> 「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間とりまとめ」(令和6年5月)

等研究開発体制の整備にくわえて、新型コロナウイルス感染症流行時に医療従事者の感染で医療体制の維持が困難に陥った経験に鑑み、医療現場の負荷を低減するシステムの重要性にも留意する必要がある。

さらに、科学技術が加速度的に発達し、人々の生活に及ぼす影響が増大するに伴い、社会との対話や協働の重要性がより一層高まっている。医療分野の研究開発においても同じ状況にあり、早期の段階からの倫理的・法的・社会的課題（ELSI）への対応や研究への患者・市民参画（PPI）をはじめとした「社会共創」の取組がますます重要になっている。

### <第3期中長期目標期間における取組等>

これら AMED の使命や現状と課題等を踏まえ、第3期中長期目標期間においては、以下を取組の基本方針とする。

- ・ AMED は、健康・医療戦略推進本部の下、医療分野の研究開発において中核的な役割を果たす機関として、推進計画に基づき、産学官の中心となり、大学、研究開発法人その他の研究機関等と連携し、基礎から実用化まで切れ目ない研究開発支援を引き続き実施していく。
- ・ 第2期推進計画の下で新たな医療技術等を様々な疾患に効果的に展開する取組が進展していることから、統合プロジェクトについて、現行の枠組みをベースにしつつ、社会の要請や情勢の変化を踏まえて再編する。具体的には、現行の医薬品プロジェクト、医療機器・ヘルスケアプロジェクト、再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトを維持しつつ、感染症有事に備えた対応、臨床試験段階の研究開発活動の強化、スタートアップが仲介するエコシステム形成の促進及び全ての源泉となる革新的なシーズ創出に向けた取組の強化等の観点で、8つの統合プロジェクト（①医薬品、②医療機器・ヘルスケア、③再生・細胞医療・遺伝子治療、④感染症、⑤データ利活用・ライフコース、⑥シーズ開発・基礎研究、⑦橋渡し・臨床加速化、⑧イノベーション・エコシステム）に発展させた上で、基礎から実用化まで一貫した研究開発支援を行う。
- ・ 統合プロジェクトとは異なる観点で、疾患領域に関連した研究開発については、多様な疾患への対応や感染症等への機動的な対応が必要であることから、第2期中長期目標と同様に疾患領域別のマネジメントを導入し、統合プロジェクトを横断する形で、特定の疾患ごとに柔軟なマネジメントを行う。
- ・ AMED による支援を中核とした産学官連携による基礎から実用化まで一貫した研究開発の推進について、絶え間なく創薬シーズが創出されるよう、基礎研究を継続的・安定的に支援するとともに、実装には戦略的な知財保護が重要との認識を浸透させ、出口志向性を強化して成果の実用化を加速する。また、全統合プロジェクトに共通して、伴走支援の強化、DX の推進、国際展開に取り組む。さらに、基礎研究・応用研究から臨床研究の各段階においてシーズを企業に導出することを含めた社会への還元の視点を持つように努め、関係府省庁の事業間をつなぐ支援の仕組みを整備することとし、所要の体制強化を行う。
- ・ アカデミアにおける医学研究の中核的機関である大学病院・医学部（医学系の研究科

を含む。)において、研究時間の確保や研究者の多様性・流動性の向上を推進し、研究開発力を強化する。また、創造性に富んだ研究、その実用化、異分野・融合研究への挑戦等を高いレベルで推進する人材力を強化し、イノベーションの種を創出する基礎研究を充実させ、バイオバンク・データベースなどの研究基盤の整備を進めるなどにより、総合的に研究推進体制の確立に取り組む。

- ・ 感染症有事に備えた対応として、統合プロジェクトに新たに感染症プロジェクトを立ち上げ、内閣感染症危機管理統括庁の取組と整合を取りつつ、先進的研究開発戦略センター（SCARDA）等の AMED による研究開発の推進と国立健康危機管理研究機構の活動との連携も見据え、有事の際に必要な研究開発等に迅速に着手できるよう準備を進める。SCARDA をはじめとする「ワクチン開発・生産体制強化戦略」（令和3年6月1日閣議決定。以下「ワクチン戦略」という。）に基づく感染症有事に備えた取組も含め、ワクチン、診断薬、治療薬の開発体制の整備に取り組む。
- ・ 引き続き、他の資金配分機関、インハウス研究機関や民間企業など、関連する研究を実施している研究機関や産業界等との連携・分担を図りつつ、研究開発を推進する。

AMED は、健康・医療戦略推進本部が策定する推進計画において中核的な役割を担うこととされている。令和7年2月に決定された第3期推進計画に以下の戦略目標とアウトカム指標が盛り込まれたことを踏まえ、AMED は、戦略目標を関係者と共有し、期間中にアウトカム指標が継続して上昇するように行動する。

### 【戦略目標】

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

### 【アウトカム指標】

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

- ・ 薬事承認
- ・ ガイドライン等
- ・ 製品上市数

このような AMED に期待されている役割が十分発揮され、世界最高水準の医療の提供、ひ

いては、健康長寿社会の形成に資することを期待しているものである。

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

※政策体系図、法人の使命等と目標との関係はそれぞれ別紙1、2のとおり。

## II. 中長期目標の期間

AMED の中長期目標の期間は、令和 7 年 4 月から令和 12 年 3 月までの 5 年間とする。

## III. 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項

### (1) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

第 1 期、第 2 期中長期目標の成果を踏まえ、本中長期目標においても、第 3 期推進計画に基づき、統合プロジェクトにより一元的な管理を行う。

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

統合プロジェクト全体を通じ、第 3 期推進計画に定める以下のアウトプット指標の達成を目指すこととする。各統合プロジェクトの評価指標及びモニタリング指標の詳細は評価軸に記載のとおり。

#### <アウトプット指標>

本中長期目標が対象とする令和 7 年度～令和 11 年度の 5 年間に達成すべき目標値の 1/5 を各年度の目標値とする。

- 権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数（シーズの企業導出件数）  
130 件／年（令和 7 年度～令和 11 年度累計 650 件）
- 治験に至った件数※ 60 件／年（令和 7 年度～令和 11 年度累計 300 件）  
※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。
- 優れたシーズの発展・継続支援件数※ 120 件／年（令和 7 年度～令和 11 年度累計 600 件）  
※AMED 内の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。
- 論文数（Top1%論文） 120 件／年（令和 7 年～令和 11 年累計 600 件）

### ① 医薬品プロジェクト

国民に最新の医薬品を速やかに届けるため、創薬標的の探索から臨床研究・治験に至るまで、幅広い研究開発を行う。また、アカデミアやスタートアップに対する絶え間ないシーズ開発支援により、革新的な新薬の創出を目指す。さらに、創薬研究開発に必要な高度解析機器・技術支援基盤及び大規模生産を見据えた製造技術基盤の構築や創薬エコシステムを構成する人材の育成・拡充など、研究開発力の向上に向けた環境整備に取り組み、持続可能な創薬力の強化を目指す。



特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

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

## ② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

AI・IoT技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化のための医療機器・システム、医療現場のニーズが大きい医療機器や、予防・高齢者のQOL向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。また、グローバル市場獲得を目指すためには、臨床研究によるエビデンス確立及び競争力強化推進の観点が必要であること、治験に依らないヘルスケア機器等においては、普及を見据えてエビデンス構築の観点が必要であることにも留意するほか、スタートアップや医療分野以外の研究者や企業も含め適切に研究開発を行うことができるよう、必要な支援に取り組み、「国民が受ける医療の質の向上のための医療機器の研究開発及び普及の促進に関する基本計画（第2期）」（令和4年5月31日閣議決定）で定める重点5分野（健康無関心層の疾病等予防、診断の一層の早期化、個別化医療に向けた診断と治療の一体化、高齢者等の身体機能の補完・向上、医療従事者の業務効率化に資する医療機器の研究開発）を踏まえながら、革新的な医療機器やプログラム医療機器（SaMD）等に重点を置いて、出口志向で海外市場への展開も視野に入れた医療機器の創出を進める。

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

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

### ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

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

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

- ・ 再生医療技術の研究段階から臨床実装への一層の推進
- ・ 萌芽的なシーズの発掘・育成等につながる研究開発の推進
- ・ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究の推進
- ・ 臨床用ウイルスベクター製造基盤を整備し、既存技術に基づいたベクター製造開発の推進
- ・ 再生・細胞医療・遺伝子治療の臨床研究の裾野を広げるため、大学病院等による臨

床研究支援や医療機関間連携体制の強化と推進

- ・ オルガノイド（ミニ臓器含む。）、異種移植等を含め、革新的な治療手法となり得る新規技術の研究開発の推進
- ・ 「希少性」、「原因不明」、「効果的な治療方法未確立」、「生活面への長期にわたる支障」を満たす希少難治性疾患の克服を目指した画期的な診断・治療・予防法の開発の推進
- ・ 再生医療等製品について、国内における製造体制の整備を推進
- ・ 「がん研究10か年戦略（第5次）」を踏まえ、非ウイルス性遺伝子改変CAR-T細胞療法等の次世代医療提供の促進を見据えた非臨床試験及び医師主導治験の加速
- ・ 再生医療技術を応用し、様々な細胞から臓器を模擬し、医薬品の安全性等を評価するための創薬支援ツールの開発
- ・ 高品質かつ安価な遺伝子治療薬を製造するために必要な国産の治療用ベクターや遺伝子改変細胞の製造技術の開発や製造関連人材の育成
- ・ 企業等が目指す再生・細胞医療・遺伝子治療の製品開発におけるCDMOと連携した製造プロセス開発や評価手法の開発
- ・ 次世代iPS細胞の自動製造技術に関する研究開発、及び再生医療、遺伝子治療の製造プロセス開発・製造に汎用可能な自動化プラットフォームの開発

#### ④ 感染症プロジェクト

新興・再興を含む幅広い感染症の研究を推進するとともに、エイズや肝炎についての新たな知見を獲得し、予防法・治療法等の開発を促進する。重点感染症のワクチン・診断薬・治療薬については、平時に市場の需要がなく、感染症の発生時期や規模等についての予測もできないことを踏まえ、他の疾患領域とは異なる観点からの研究開発支援が必要である。

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

さらに、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律（平成20年法律第63号）第27条の2第1項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、ワクチン・新規モダリティ研究開発事業及びワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成事業を推進する。具体的には、ワクチン戦略に基づき、緊急時の迅速な開発を念頭に、平時からワクチンの研究開発体制を構築し、産学官連携による研究開発を促進するSCARDAの取組と感染症対策領域における取組との密接かつ一体的な運用を推進する。SCARDAにおいては、世界トップレベル研究開発拠点の形成による、出口を見据えた研究開発や、重点感染症等に対するワクチン開発を通じ、国産ワクチンの開発に資する研究開発を基礎研究から実用化までシームレスに推進する。また、

感染症有事の際に研究開発等に迅速に着手できるよう、平時から国内外の関係機関との連携体制の構築と有事に備えたシミュレーション・訓練を行う。いずれの事業も、適時目標達成の見通し等を評価し、研究開発等の継続・拡充・中止などを決定する。

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

- ・ 海外研究拠点の整備及び、当該拠点の活動で得た検体・情報等を活用した研究や多分野融合研究等への支援を通じた幅広い感染症を対象とした基礎研究と人材育成等を推進
- ・ BSL4施設を中核とした感染症研究拠点に対する研究開発及び研究開発環境の整備に関する支援や、感染症流行地の研究拠点におけるリスク分析・評価に資する疫学研究、病原体研究による創薬標的の探索等、予防・診断・治療に資する基礎的研究、将来のアウトブレイクに備えた臨床・疫学等のデータの蓄積・利活用
- ・ 薬剤耐性（AMR）を含め、ワンヘルス・アプローチに基づく対策に資する研究、重点感染症に対する危機対応医薬品等（MCM）に関する研究、感染症臨床研究ネットワークを活用した研究をはじめ、感染症対策の総合的な強化を目指した、感染症に関する広範囲な病原体の生物学的なリスク評価に資する基礎研究や基盤技術の開発、及び診断法・治療法・予防法の開発等の実用化研究の推進
- ・ HIV感染症の新規ワクチン・治療薬開発、新規治療戦略を踏まえたHIV感染の機構解明、HIV関連病態の解明と治療法開発、肝炎のウイルスによる病原性発現の解析、発がん機構の解明や治療・予防法に関する研究の支援、B型肝炎ウイルス感染の治療法の確立
- ・ 新興・再興感染症の発症機序等に関する研究
- ・ 感染症有事におけるワクチン開発を目的とした世界トップレベル研究者の継続的な雇用及び世界的なワクチン研究開発拠点の確立等の体制の構築
- ・ 重点感染症に関するワクチンの応用研究・改良研究や第Ⅱ相までの臨床試験のための研究開発の推進
- ・ 異分野からのシーズの取り込みも含めた、ワクチン開発に資する新規モダリティの研究開発の推進

## ⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト

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

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

- ・ データの利活用を介した病態の解明、実用可能な予防法・診断法・治療法の新規開発に向けた研究及び臨床試験等の推進

- ・ 生殖・妊娠期から老年期までのライフコース視点や性差に基づく健康課題対策に資する研究開発
- ・ ゲノムデータ基盤の整備・発展・利活用の促進（バイオバンク等におけるゲノム情報を含むマルチオミックスデータの収集・整備を含む。）
- ・ 「がん・難病全ゲノム解析等実行プログラム」に基づく、がん・難病に係る創薬推進
- ・ 多層的なデータを活用したがん治療等における臨床上の課題解決につながる研究の推進
- ・ 病態解明を含めたゲノム医療、個別化医療の実現に向けた出口を見据えた研究開発
- ・ ゲノムデータや臨床情報といった種々の情報を組み合わせた、異業種・異分野の研究者の知を融合する統合的な研究開発
- ・ データマネジメント（研究開発によって生み出されたデータの質を担保しつつ、適切な扱いがなされるための取組）の推進
- ・ バイオバンク等に蓄積されているゲノム配列等の情報や、現在の技術では個人を特定することができない新たな多層オミックス解析等のデータ等に加え、AMED 研究から生み出された社会的要請が高い臨床研究データ等を順次連携可能とし、一体的に活用できるプラットフォームの構築を推進
- ・ 認知症の基礎研究、地域社会におけるコホート研究、治療薬投与者追跡レジストリ研究を通じたゲノム・バイオマーカー研究、認知症のステージに対応した研究、臨床研究プラットフォーム（基盤）研究等を推進し、前臨床期（プレクリニカル期）から発症後進行に至るライフコース全体を通じた、認知症疾患の早期発見、予防・病態解明・創薬・新規診断・治療の社会実装等に包括的に取り組む研究開発
- ・ 希少疾患のレジストリや、医療分野の研究開発に資するための匿名加工医療情報及び仮名加工医療情報に関する法律（平成 29 年法律第 28 号。以下「次世代医療基盤法」という。）に基づく医療データベースを活用したリアルワールドエビデンスの創出や診療に直結するエビデンス創出を目指す研究開発
- ・ 生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法の確立
- ・ 外科医の優れた手術手技等の無形の医療技術のデータ化・定量化を通じた人材育成プログラムの構築や手術支援システム等の革新的な医療機器等の開発に資する基盤の整備
- ・ 医工連携及び産業界との連携による、AI 技術を活用したエビデンス創出や医療機器プログラム等の研究開発を推進
- ・ 遠隔医療・オンライン診療の効果的かつ質の高い臨床応用の手法の開発と適正で幅広い社会実装に向けて、具体的な活用場面を想定したエビデンスを蓄積するための研究を推進
- ・ 休薬・減薬を含む効果的・効率的な治療に関する研究の推進
- ・ 移植免疫学的特性の解析、国内外のデータの検証に基づく新規治療法や革新的な

## ⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト

アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制を構築し、新規モダリティの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究を推進するとともに、先進国や政策上重要な国々等との国際共同研究を強化する。また、基礎と臨床、アカデミアと産業界の連携を強化して、神経疾患・精神疾患の画期的な診断・治療・創薬等シーズ開発に向けた基礎研究を推進する。その上で、異分野融合、他事業連携を促進し、上記①～⑤のプロジェクトに将来的につながり得るような、モダリティの多様化に対応する革新的シーズを創出・育成する。

科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第27条の2第1項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、ムーンショット型研究開発制度の下で、ムーンショット型研究開発制度に係る戦略推進会議等を通じて、総合科学技術・イノベーション会議で定める目標とも十分に連携しつつ、ビジョナリー会議の助言等を踏まえて健康・医療戦略推進本部が決定する目標の実現のため、我が国発の破壊的イノベーションの創出を目指し、従来技術の延長にない、より大胆な発想に基づく挑戦的な研究開発（ムーンショット）を、AMEDの業務内容や目的に照らし内閣府、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省（以下「所管府省」という。）と連携して推進する。研究開発の推進においては、その途中段階において適時目標達成の見通しを評価し、研究開発及び実用化開発の継続・拡充・中止などを決定する。

また、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第27条の2第1項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、国が設定する領域及び高い科学技術水準を有する諸外国を対象として、国際的に優れた研究成果創出に向けた国際共同研究を戦略的・機動的に推進する。国際共同研究の推進を通じて、日本人研究者の国際科学トップサークルへの参入を促進するとともに、我が国と対象国の優秀な若手研究者の交流や関係構築の強化を図り、国際頭脳循環の活性化及び次世代の優秀な研究者の育成に貢献する。

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

- ・ 社会に貢献する脳科学を目指し、ヒトの高次脳機能の解明のための研究開発・基盤整備を行うとともに、ヒト脳の数理モデルや病態モデルの開発、デジタル空間上での再現等に向けた研究に取り組むことにより、臨床等での社会実装の実現を目指した神経疾患・精神疾患の診断・治療・創薬につながる基礎研究を推進
- ・ 国が定めた目標の下、新たな研究開発領域において、革新的な医薬品や医療機器、医療技術等につながる画期的シーズの創出・育成に向けた先端的研究開発を推進し、有望な成果について研究を加速・深化するとともに、異分野との連携や出口を意識した研究を牽引できるような優秀な若手研究者を育成
- ・ 100歳まで健康不安のない未来社会を展望し、実現に向けてムーンショット型の研究開発を推進

- ・ 国際頭脳循環の推進、世界最先端の研究活動への参画。くわえて、人材交流による国際的な研究プレゼンスの維持・向上
- ・ 研究成果の国際展開を目指した、地球規模課題の解決に資する我が国と開発途上国間の国際共同研究の推進、我が国の先端的な科学技術を活用した二国間・多国間の科学技術協力等による科学技術外交への貢献
- ・ 低・中所得国の健康・医療問題改善に向け、我が国発の医療機器・医療技術・医療システム等の海外展開推進のための実装・臨床研究を推進
- ・ 1965年の日米両首脳合意に基づく日米医学協力計画を基軸とした汎太平洋地域にまん延する疾病等に関する研究活動、若手・女性研究者育成及び国際連携の推進

## ⑦ 橋渡し・臨床加速化プロジェクト

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

また、医療への実用化を加速するため、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第27条の2第1項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、大学発医療系スタートアップ支援プログラムを推進し、医療系スタートアップ伴走支援等の取組を強化する。同事業においては、医薬品等の実用化支援についてノウハウと実績のある橋渡し研究支援機関を活用し、大学発医療系スタートアップの起業に係る専門的見地からの伴走支援等（医学研究上の革新性と事業としての将来性の両面を見据えたシーズ審査や、事業計画の立案等に係る伴走支援を含む。）を行うための体制を整備するとともに、非臨床研究等に必要な費用の支援、医療ニーズを捉えて起業を目指す若手人材の発掘・育成を実施する。また、スタートアップへの支援の推進においては、適時目標達成の見通しを評価し、スタートアップへの支援の継続・拡充・中止などを決定する。

さらに、医学系研究は、国民の健康寿命の延伸に直接的に貢献するとともに、創薬力の向上等を通じ我が国の産業競争力にも直結する重要な研究領域である一方、医学系研究の相対的な国際競争力の低下が危惧されていることから、医学系研究力の強化を図る必要がある。

このため、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第27条の2第1項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、医学系研究支援プログラムを推進する。同プログラムにおいては、研究者の研究活動と、機関としての研究環境改善に係る取組を一体的に支援することとし、具体的には、大学病院・医学部を置く大学の中から、医学系研究者の研究時間の確保、基礎生命科学や他分野を含めた多様な人材からなる研究チーム形成、国立研究開発法人、産業界や海外等との頭脳循環の推進等を行いつつ、政府が定める「国家戦略上重要な研究課題」に取り組む大学を公募・採択し、支援する。また、研究開発の推進においては、その途中段階に

において適時目標達成の見通しを評価し、研究開発の継続・拡充・中止などを決定する。  
くわえて、臨床研究中核病院の特色化と高度化を図る。  
特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。

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

## ⑧ イノベーション・エコシステムプロジェクト

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

政府出資を活用し、革新的な医薬品・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進する。当該事業を進めるに当たっては、実用化が困難な革新的医薬品・医療機器等の実用化開発の不確実性を踏まえ、研究開発に係る事業計画・事業目標を含む事業採択のための審査、事業の進捗状況の確認や進捗過程における課題の相談、事業終了時の事業目標等の達成状況等の評価など、政府出資を活用して研究開発等を支援するために必要な実施体制を構築する。また、その進捗状況については、所管府省に適宜報告するとともに、所管府省から改善を求められた場合には、これに適切に対応する。

科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第27条の2第1項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、基金と企業原資の研究費を組み合わせ、医療上の必要性が高く特に緊要となった医薬品・医療機器等の研究開発を、スタートアップの参画を促しつつ、産学官共同により推進する。また、創薬ベンチャーエコシステム強化事業を推進し、同事業においては、認定VCの目利き力を活かして、ワクチン戦略を踏まえた感染症ワクチン・治療薬開発及び感染症以外の疾患に対する医薬品等の開発に資する革新的なモダリティの実用化開発を行う創薬ベンチャーに対して支援を行う。研究開発及び実用化開発の推進においては、その途中段階において適時目標達成の見通しを評価し、研究開発及び実用化開発の継続・拡充・中止などを決定する。

特に、以下のようなテーマに重点的に取り組む。



- ・ 産学官が参画するオープンイノベーションにより、単独のアカデミアや企業では取り組みにくい領域における社会実装に向けた基盤的な研究開発の推進
- ・ 非臨床段階から臨床試験段階までの開発段階にある創薬ベンチャーが実施する実用化開発の支援
- ・ 他のプロジェクトとの連携を含む実用化の推進（実用化に向けた開発支援の在り方の検討を含む。）

## （２）疾患領域に関連した研究開発

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

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

特に以下のようなテーマに重点的に取り組む。

### （がん）

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

- ・ 新たなリスク要因の同定やリスク層別化に基づく1次予防の推進、高リスク層の同定や新たな早期発見手法の活用による2次予防の推進など「がんの予防」に関する研究開発
- ・ 個別化医療を更に推進する診断技術の開発、新たな医療技術やそれらを活用した新規薬剤・治療法の開発など「がんの診断・治療」に関する研究開発
- ・ 希少がん、難治性がん、小児がん及びAYA世代（Adolescent&Young Adult（思春期・若年成人））のがん、高齢者のがんなど、ライフステージやがんの特性に着目したがんの研究開発
- ・ がんの本態解明やシース探索・育成等の基礎的研究開発の推進、バイオバンク・データベースの整備と利活用の促進など、がんの予防、がんの診断・治療の開発等を促進するための分野横断的な研究開発

### （難病）

難病、希少疾患等の国が開発を推進すべき疾患に対する研究開発の取組を継続し、発展させることが重要である。難病の病態解明や治療法の開発研究は、その疾患数が多い一方で疾患ごとの患者数が少ないという特性の中で行う必要があり、企業が開発に着手

しにくいという制約への対応も求められる。難病の中でも極めて患者数が少ない超希少疾患では、国際共同研究や国内外のスタートアップ企業との国際連携による実用化研究を進める必要がある。

- ・ 個別の難病に関する画期的な診断・治療・予防法の開発には、それぞれの病態解明や診療のガイドラインに直結するエビデンス創出が求められるため、ゲノム情報や臨床情報等の蓄積と共有に取り組む。
- ・ 再生・細胞医療、遺伝子治療、核酸医薬などの新規モダリティ等を含む治療法の研究開発を推進する。

### (ライフコース)

以下の疾患に着目した研究開発推進のマネジメントを行う。

- ・ 認知症研究については、病態解明、創薬研究、臨床研究の三段構えで取り組む。病態解明の観点から、ヒトを対象とする基礎研究を支援するとともに、アルツハイマー病 (AD) 及び非AD認知症において、客観的で簡便な早期診断法・治療効果測定法に資するバイオマーカーの探索・開発・検証を推進する。創薬標的から創薬シーズの創出とモデル動物等を用いた薬効評価・毒性評価を行い、その非臨床PoC取得を目指す。AD新薬である抗アミロイドβ抗体薬の効率的かつ最適化使用に向けたアミロイド関連画像異常 (ARIA) の発生メカニズムの解明研究、地域コホートやレジストリ臨床情報等の利活用を通して、発症リスク因子やARIAリスク因子を同定する研究、認知症診療に資するバイオマーカーの開発と病態層別化等の臨床研究の推進を通して認知症治療体制の支援を包括的に推進する。
- ・ 神経疾患・精神疾患等の課題の克服やイノベーションの創出に向けて、実験動物、多種・多次元・多階層データ等を活用し、脳の高次機能のダイナミクス解明や神経疾患・精神疾患に関する病態メカニズムの解明を進め、画期的な診断・治療等のシーズ開発につなげていくための研究を推進する。
- ・ 精神疾患の客観的診断法・障害 (disability) 評価法や精神疾患の適正な治療法の確立及び発症予防に資する研究開発を推進するとともに、薬事承認を目指した、医薬品・医療機器の研究開発を推進する。
- ・ 慢性疼痛の機序解明及び、QOLの向上に資する治療法や、画期的な治療法開発に向けた慢性疼痛の定量的評価の確立に資する研究開発を推進する。
- ・ 成育、小児・周産期、女性を中心に、将来世代への影響も考慮した負担の少ない不妊治療、胎児治療並びに周産期合併症に対する治療を含む周産期及び小児の医薬品等の開発、こども及び妊産婦のメンタルヘルスの改善に向けた研究開発を推進する。また、性差や女性ホルモン等の影響による健康課題への対策等に資する研究、医療データを活用した女性特有の疾病等の予防及び治療に資するエビデンス創出と新たな介入方法の開発に取り組む。
- ・ 循環器疾患・糖尿病等の生活習慣病や、免疫アレルギー疾患等の様々な疾患を対象に、生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法の確立、循環器病の

病態解明や革新的な予防、診断、治療、リハビリテーション等に関する研究開発、各個人に最適な糖尿病の重症化予防方法及び重症化後の予後改善やQOL向上を推進する。

- ・ 高齢者が老いや高齢者特有の疾患等を抱えつつも、その人らしい生活を送るために、適切な医療・介護による支援を目指して、介護を要する状態とならないような予防策や、重度化を防止する方法等の研究開発、医療・介護人材の確保が更に難しくなることが予想される中、効率的かつ質が担保された医療・介護の提供するための研究開発(介護手法の開発、バイオマーカー開発、メカニズム解明等)を推進する。

### **(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**

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

本中長期目標では、基礎研究・応用研究から臨床研究の各段階において特に有望なシーズをいち早く企業へ導出することを目指して実用化フローを強化する。

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

#### **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)**

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

- ・ 実用化までのプロセスを熟知している人材を登用することなどを軸に、研究開発段階から出口戦略の立案を支援し、円滑な企業導出を目指した効果的なプロジェクトを管理する体制整備を進める。
- ・ 基礎段階のシーズ探索に数年を要し、高い確率で失敗する医薬品等の研究開発の特性を前提に、資金配分機関であるAMEDの目利き能力を向上するため、調査・分

析機能を整備する。

- ・ 事業化に向けたマイルストーン設定や、社会実装を見据え必要な関連研究・技術の探索、研究者・技術者、医療関係者や企業等の仲立ち等の出口戦略の立案を行う。
- ・ AMEDは、上記の取組などで得られる、企業導出に必要なデータセットや知財の特徴、研究開発戦略の在り方など暗黙知を含めたノウハウについて、関係者が共有し、AMEDが支援する研究開発課題に適用していく方策を検討し、実施する。
- ・ これまでのAMEDを通じた研究開発支援の事例について、成功事例のみならず失敗事例も含めて分析等を進め、これに基づき関係府省庁の補助等事業の効果向上を目指した改善を検討する。また、直ちに実施可能なグッド・プラクティスは、関係府省庁とも認識を共有しながら、AMED内での横展開や伴走支援を通じて適用する。

### (事業間連携の強化)

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

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

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

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

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

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

#### (シーズの育成)

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

## ② 全8統合プロジェクトに共通する取組

研究開発の実施においては、上記①～⑧の全統合プロジェクトに共通して、以下に取り組む。

### (基礎から実用化までの一貫した研究開発の加速)

#### ○ PD、PS、PO体制の整備

世界の最新の情勢を把握した現役世代研究者を含むPD、プログラムスーパーバイザー (PS)、プログラムオフィサー (PO) 等が、研究の実施、研究動向の把握、シーズの探査・育成研究の強化や優れた基礎研究成果を臨床研究及び臨床試験、産業化へつなげる一貫したマネジメント (研究の進捗管理・助言、規制対応等)、適切な研

究実施のための監視・管理機能など、研究開発の開始、推進、監視・管理、さらには、方針の転換に至るまで一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメント機能を果たす。

- ・ PDは上記のAMED機能強化のための活動と深く連携し、PSは要請に応じて協力する。
- ・ AMEDは、最新の情報や方針をP0に提供したり、研究開発活動のトレンドに合わせてP0の交替を行ったりするなどして、伴走支援者の能力がより発揮される環境を整える。
- ・ 人選においては、COIに留意しつつ現役世代研究者の参画も積極的に推し進め、最新情報によるプロジェクトマネジメントを促すルールの下で行う。

### ○ 伴走支援機能の強化

近年、医療分野の研究開発は、水平分業型の創薬モデルが世界の主流になり、アカデミアに対して、開発フェーズの進んだ完成度の高い医療シーズの創出も期待される。また、研究開発の早い段階から海外市場への展開を考慮した取組も求められている。創薬や事業化の経験がないアカデミアが良質なシーズを開発するため、AMEDのPD、PS、P0の活動を活かしつつ伴走支援を強化する。

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

## ○ 成果の移転の促進

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

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

## (新規モダリティの創出・育成)

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

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

## (研究 DX、オープンサイエンスの推進)

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

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

#### (国際展開)

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

#### (その他の取組事項)

- ・ 実務生物統計家の必要性に鑑み、育成や確保に資する研究開発活動を奨励する。
- ・ 成果の社会実装段階で、体格や身体の構造と機能の違いなど性差による不適切な影響が及ぶおそれが生じないように、ジェンダード・イノベーションの概念を取り入れ、計画段階から研究開発のプロセスに性差分析を組み込む等の対応を行う。
- ・ 政府が令和8年度から順次導入する予定の、経済安全保障上の重要技術に関する技術流出防止策に対応し、経済安全保障に配慮し研究開発を推進する。
- ・ 研究開発の計画変更が必要な場合の実施可能な範囲と手順を研究実施者及び事務担当者に周知するなどにより、判断の透明性を確保しつつ、柔軟で効率的な研究開発の実施を推進する。
- ・ 研究者が研究開発活動に専念できるよう、研究管理事務の合理化、事務支援者の活用をはじめ、研究時間の確保の取組を推進する。

### ③ 研究開発の環境の整備

#### (研究人材力の強化)



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

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

#### (人材流動の促進)

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

#### (バイオバンク、データベース)

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

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

#### (基礎研究の推進)

創薬・医療機器開発の源泉となる基礎研究を充実しイノベーションの種を絶え間なく創出していくことを目指し、基礎研究段階を主な対象とする事業では、研究者が自由な発想で最大限に創造力を発揮できる研究環境の重要性に配慮して取り組む。特に、基礎と臨床の連携を進めつつ、トランスレーショナルリサーチ等を通じ、基礎研究の成果をイノベーションや社会実装・社会貢献へつなげるとともに、臨床の観点を取り入れることにより基礎研究を活性化することも重要である。その際、基礎研究の継続的・安定的支援を行うとともに、基礎研究から実用化への連続的な支援について成果目標を定めて管理する。

#### **(次世代医療基盤法に基づく研究開発の推進)**

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

#### **④ 研究開発成果の普及**

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

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

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

#### **(研究開発の公正かつ適正な実施の確保)**

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

- 基礎研究及び臨床研究における研究不正防止の取組を推進するため、AMEDは、専門の部署を置き、自らが配分する研究費により実施される研究開発に対して、公正かつ適正な実施の確保を図る。
- 研究倫理に関連する法令・指針等の遵守を促す。

### (研究開発における「社会共創」の取組推進)

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ELSIへの対応を行う。
- ・ 医療分野の研究開発におけるダイバーシティ推進やPPIなど「社会共創」の取組を充実・普及させる。

### (情報発信)

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

## IV. 業務運営の効率化に関する事項

### (1) 組織・人員体制の整備

AMED に求められる機能（優れたシーズの創出・実用化の加速、全8統合プロジェクトに共通する取組、研究開発の環境の整備、研究開発成果の普及）を果たすため、適切な組織・人員体制を整備する。また、関連する政策や医療分野の研究開発動向の変化、業務の進捗状況に応じ機動性・効率性が確保できるような柔軟な組織・人員体制を整備する。

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

特に有望なシーズを見出し、必要な伴走支援を行い、実用化を加速化するため、ペアリング・マッチング実施体制を整備する。その際、主務省とも協力の上、民間企業や業界団体から優秀な人材を出向者として受け入れ、外部の知見の活用と人材育成に取り組むとともに、ノウハウの蓄積に向けたナレッジマネジメントを進める。同時に、切れ目ない支援やシーズの企業導出の促進のための取組を理事長の責任と裁量の下で適切に行えるよう、

外部人材も活用して創薬等の研究開発の視点に特化した企画立案・調整等を行う総括戦略機能を整備し、上記のペアリング・マッチングの実施者と連携して事業間連携・企業導出の加速化を推進する。その際、公的組織としての魅力、業務を通じて得られる経験・能力、キャリアパスなどの効果的な発信を行い、優秀な人材の確保・育成につなげる。民間との人材交流をはじめ、限られた有為な人材を官民で循環的に育成していく。

## **(2) 事業の改善や新たな価値実現を果たすデジタルトランスフォーメーションの推進**

「情報システムの整備及び管理の基本的な方針」（令和3年12月24日デジタル大臣決定）にのっとり、情報システムの適切な整備及び管理を行うとともに、PMO（ポートフォリオ・マネジメント・オフィス）の設置等の体制整備を行う。また、第2期中長期目標期間中に導入した「AMED 研究開発課題管理支援ツール（A-POST）」について、全ての事業で活用できるようにシステムの改善を行うとともに、電子契約など更なる合理化・効率化を図る。A-POST や審査手続の合理化のために導入したオンライン評価システムについて、利用者たる研究者や審査員、実際に運用する AMED 職員等からのフィードバックを得て、利便性向上（操作性、機能性等の改善を含む。）やシステム間の連携強化等によるデータの利活用及び管理の効率化に継続して取り組む。さらに、幅広い ICT 需要に対応できる AMED 内情報ネットワークの充実を図る。情報システム及び重要情報への不正アクセスに対する十分な強度を確保するとともに、震災等の災害時への対策を確実に行うことにより、業務の安全性及び信頼性を確保し、オフィス勤務とテレワークが混在する多様な働き方を支え、業務の効率化を図る。

## **(3) その他業務改善・効率化の取組に関する事項**

### **① PDCA サイクルの徹底**

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

EBPM に資する観点から、まずはシーズ開発・基礎研究プロジェクトにおいて研究開発費に対する論文数（Top1%論文）を算出し、得られた数値の特徴を踏まえつつ活用する。

### **② 適切な調達の実施**

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

### **③ 外部能力の活用**

費用対効果、専門性等の観点から、AMED 自ら実施すべき業務、外部の専門機関の活用

が適当と考えられる業務を精査し、外部の専門機関の活用が適当と考えられる業務については、外部委託を活用する。

#### ④ 業務の効率化

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

なお、新規に追加されるものや拡充される分は、翌年度から同様の効率化を図る。

また、総人件費については、政府の方針に従い、必要な措置を講ずる。

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

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

研究開発資金に対する説明責任に留意しつつ、事務手続が研究者等にとって過度な負担とならないよう、事務手続の簡素化・合理化を進める。改善した事務手続については、研究者等からのフィードバックを得て、更なる改善に反映する。

### **V. 財務内容の改善に関する事項**

#### **(1) 運営費交付金の適切な執行に向けた取組**

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

#### **(2) 保有資産の処分等**

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

### **VI. その他業務運営に関する重要事項**

#### **(1) 内部統制に係る体制の整備**

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

## **(2) コンプライアンスの推進**

AMED が医療分野の研究開発等の中核的な役割を果たしていくためには、独立行政法人制度や国の制度等の法令等様々なルールを遵守し適切に行動していく必要がある。このため、コンプライアンス体制について、必要な規程を整備するとともに、定期的な取組状況の点検や職員の意識浸透状況の検証を行い、適宜必要な見直しを行う。

## **(3) 情報公開の推進等**

AMED の適正な業務運営及び国民からの信頼を確保するため、適切かつ積極的に情報の公開を行うとともに、個人情報適切な保護を図る取組を推進する。具体的には、独立行政法人等の保有する情報の公開に関する法律（平成 13 年法律第 140 号）及び個人情報の保護に関する法律（平成 15 年法律第 57 号）に基づき、適切に対応するとともに、職員への周知徹底を行う。

## **(4) 情報セキュリティ対策の推進**

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

## **(5) 職員の意欲向上と能力開発等**

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

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

また、女性の活躍を促進するための取組を推進する。

## **(6) 温室効果ガスの排出の削減**

温室効果ガス削減のための取組を実施する。

## **(7) 研究セキュリティ・インテグリティの確保**

「国立研究開発法人の機能強化に向けた取組について」（令和 6 年 3 月 29 日関係府省申合せ）における研究セキュリティ・インテグリティの確保のための今後の取組の方向性に沿った対応を実施するものとする。重要経済安保情報の保護及び活用に関する法律（令和 6 年法律第 27 号）についても政府の方針に沿った必要な対応を実施する。

用語集は別添のとおり。

## 別添：用語集

- AMR : Antimicrobial Resistance の略  
抗菌剤（抗生物質及び合成抗菌剤）をはじめとする抗微生物剤への薬剤耐性のこと
- CDMO : Contract Development and Manufacturing Organization の略  
医薬品受託開発製造企業
- COI : Conflict of Interest の略  
利益相反
- DCT : Decentralized Clinical Trial の略  
電子署名等による同意（e-concent）、オンライン診療、訪問診療・看護、ウェアラブルデバイス等からの患者情報の転送、試験薬の自宅配送など、IoT 技術の駆使により、患者（や医師、看護師までも）が、医療機関に来院せずとも実施できる臨床試験の方法
- DDS : Drug Delivery System の略  
薬物送達システム
- ELSI : Ethical, Legal and Social Issues の略  
倫理的・法的・社会的課題。
- EMA : European Medicines Agency の略  
欧州医薬品庁
- FDA : Food and Drug Administration の略  
米国食品医薬品庁
- FIH 試験 : First in Human 試験の略  
第 I 相臨床試験の中でも、人に対する投与が初めてとなる試験のこと
- MCM : Medical Countermeasures の略  
公衆衛生危機管理において、救命、流行の抑制、社会活動の維持等、危機への医療的な対抗手段となる重要性の高い医薬品や医療機器等
- PoC : Proof of Concept の略  
研究開発の段階にある新たな概念が実証されること。非臨床 PoC は、疾患モデル動物等で有効性や安全性を確認し治療法のコンセプトを実証すること。



- PPI : Patient and Public Involvement の略  
研究への患者・市民参画
- RRI : Responsible Research and Innovation の略  
責任ある研究・イノベーション
- SaMD : Software as a Medical Device の略  
プログラム医療機器
- ゲノム  
遺伝子 (gene) と染色体 (chromosome) から合成された言葉で、DNA の全ての遺伝情報のこと
- ゲノム医療  
ヒトの遺伝情報 (ゲノム情報) を利用して、個々の患者の薬剤に対する反応性や副作用を予測したり、患者ごとの罹患予想に基づいた予防等を行う医療
- 治験  
医薬品や医療機器等の製造販売承認申請に際して提出すべき資料のうち、臨床試験の試験成績に関する資料の収集を目的として実施する臨床試験
- バイオマーカー  
客観的に測定され、評価される特性値であり、正常な生物学的プロセス、病理学的プロセス、又は治療的処置に対する薬理学的反応の指標
- 臨床研究  
医療における疾病の予防方法、診断方法及び治療方法の改善、疾病原因及び病態の理解並びに患者の生活の質の向上を目的として実施される医学系研究であって、人を対象とするもの

# 日本医療研究開発機構に係る政策体系図

## 健康・医療戦略推進本部

- ①健康・医療戦略の案の作成及び実施の推進
- ②医療分野研究開発推進計画の作成及び実施の推進
- ③医療分野の研究開発等の資源配分方針
- ④独法の理事長・監事の任命及び中期目標の策定に当たっての主務大臣への意見 等

### 健康・医療戦略（閣議決定）

- ・ 政府が総合的かつ長期的に講ずべき(1)及び(2)に関する施策の大綱
- ・ その他、(1)及び(2)に関する施策を総合的かつ計画的に推進するために必要な事項

(1)医療分野の研究開発とその環境整備・成果の普及  
 (2)健康長寿社会形成に資する新たな産業活動の創出・活性化（海外展開等）とその環境整備

### ワクチン開発・生産体制強化戦略（閣議決定）

我が国において新型コロナウイルス感染症ワクチン開発を滞らせた要因を明らかにし、解決に向けて国を挙げて取り組むため、長期継続的に取り組む国家戦略

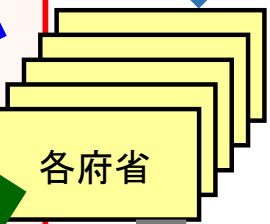
健康・医療戦略に即して、医療分野の研究開発等について具体的な計画を本部で決定

省庁横断的な総合調整

### 医療分野研究開発推進計画（本部決定）

医療分野の研究開発とその環境整備・成果の普及

- ・ 医療分野の研究開発等に関する施策についての基本的な方針
- ・ 医療分野の研究開発等について政府が集中的かつ計画的に講ずべき施策
- ※機構が医療分野の研究開発等の実施・助成において中核的な役割を担うよう作成



予算を始めとした総合調整

推進計画に基づき、機構の業務運営の基本方針（本部決定）を提示



推進計画を踏まえ  
 中長期目標を策定・指示  
 （内閣府・文科・厚労・経産）

推進計画及び毎年度の資源配分方針に基づき、独法への財源措置  
 （内閣府・文科・厚労・経産・総務）

（使命）

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

（現状・課題）

◆強み

- 医療分野の研究開発関連予算を、疾患を限定しないモダリティ等の統合プロジェクトに集約し、基礎から実用化まで切れ目ない研究開発支援を実施することにより、多数の研究成果を創出
- 疾患領域に関連した研究開発は、統合プロジェクトを横断する形で疾患ごとの柔軟なマネジメントを行い、研究成果の疾患横断的な展開や研究者の実用化への意識の変化などの効果

◆弱み・課題

- 多様なプレーヤーと連携し、出口志向の研究開発をリードできる人材の不足
- 関係府省庁に紐づく施策・事業の間の壁が存在

（環境変化）

- 世界の売上上位の新薬の中心が、低分子医薬品からバイオ医薬品、再生・細胞医療・遺伝子治療など新規モダリティに変化。
- 情報化・デジタル化により生み出された膨大なリアルワールドデータを活用したAI技術が社会変革を引き起こすと予期される。
- パンデミックが国家安全保障上の課題と強く認識されるようになり、国に対して感染症危機への平常時からの備えが従前に増して求められるようになった。
- 早期の段階からの倫理的・法的・社会的課題(ELSI)への対応や研究への患者・市民参画(PPI)をはじめとした「社会共創」の取組がますます重要になっている。

（中長期目標（第3期））

- 統合プロジェクトを、①医薬品、②医療機器・ヘルスケア、③再生・細胞医療・遺伝子治療、④感染症、⑤データ利活用・ライフコース、⑥シーズ開発・基礎研究、⑦橋渡し・臨床加速化、⑧イノベーション・エコシステムに再編するとともに、疾患領域に関連した研究開発については、統合プロジェクトを横断する形で、特定の疾患ごとに柔軟なマネジメントを行う。
- 基礎から実用化まで一貫した研究開発の推進について、絶え間なく創薬シーズを創出するとともに、出口志向性を強化して成果の実用化を加速。関係府省庁の事業間をつなぐ支援の仕組みを整備し、所要の体制強化を行う。
- 大学病院・医学部の研究開発力強化。イノベーションの種を創出する基礎研究の充実、バイオバンク・データベースなどの研究基盤の整備を進めるなどにより、総合的に研究推進体制を確立。
- 研究開発成果を産業界等に受け渡した結果や医療としての社会実装を、薬事承認、ガイドライン等、製品上市数をアウトカム指標として、その上昇を目標とする。シーズの企業導出、治験、優れたシーズの発展・継続支援、Top1%論文の数をアウトプット指標として設定。