

第3回 創薬・先端医療 ワーキンググループ	資料 3-2
令和8年3月16日	

日本成長戦略／創薬・先端医療における AMED第3期の取組の方向性について

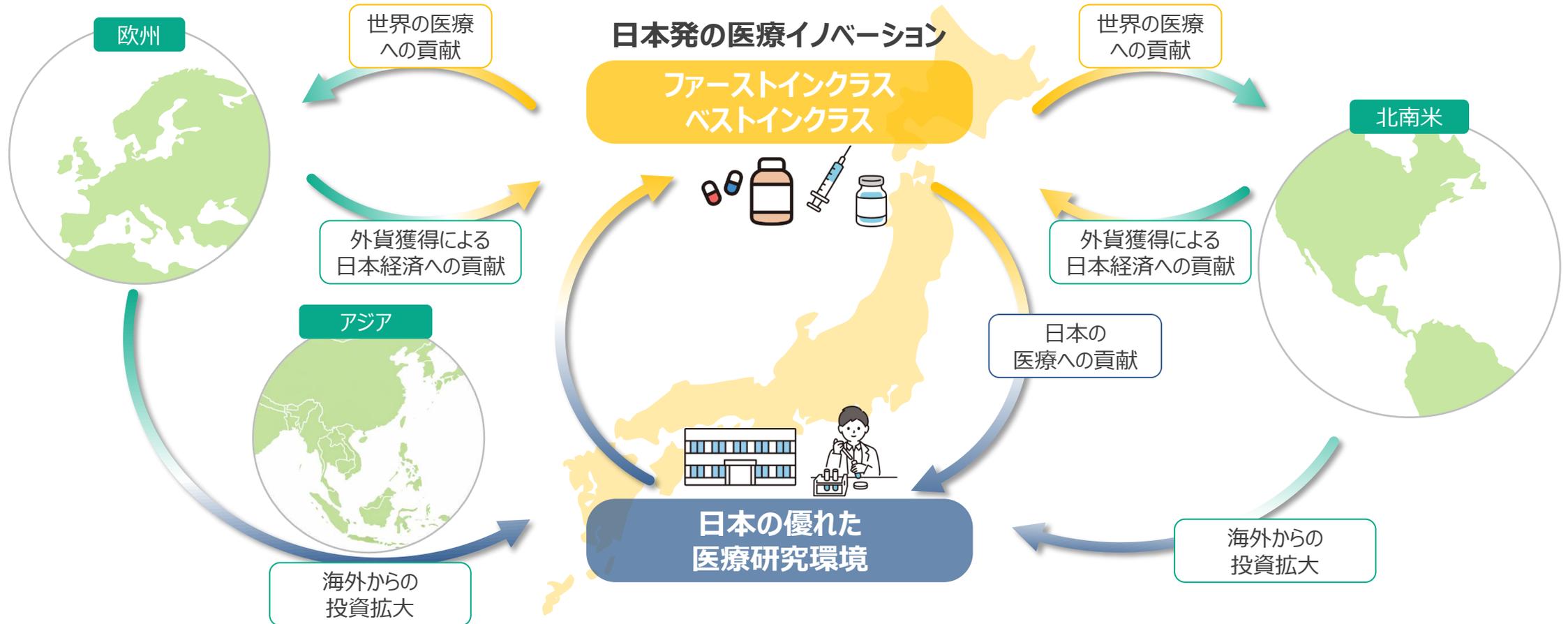
令和8年3月16日

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 日本発の医療イノベーションの促進

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)



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



イノベーションの源泉となる基礎研究の
厚みの確保と成果展開



② 創薬・先端医療に向けた優れた医療研究環境の整備

国内の高度なFIH試験の推進

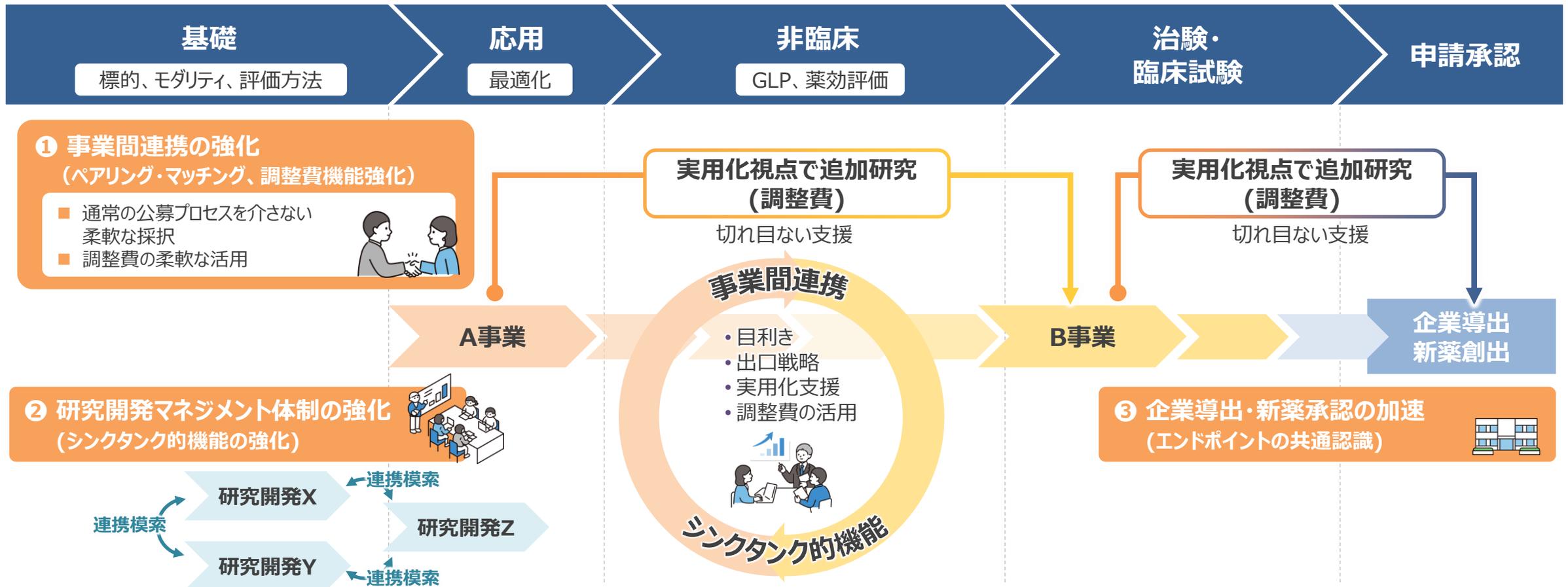


医療研究DXの推進



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）

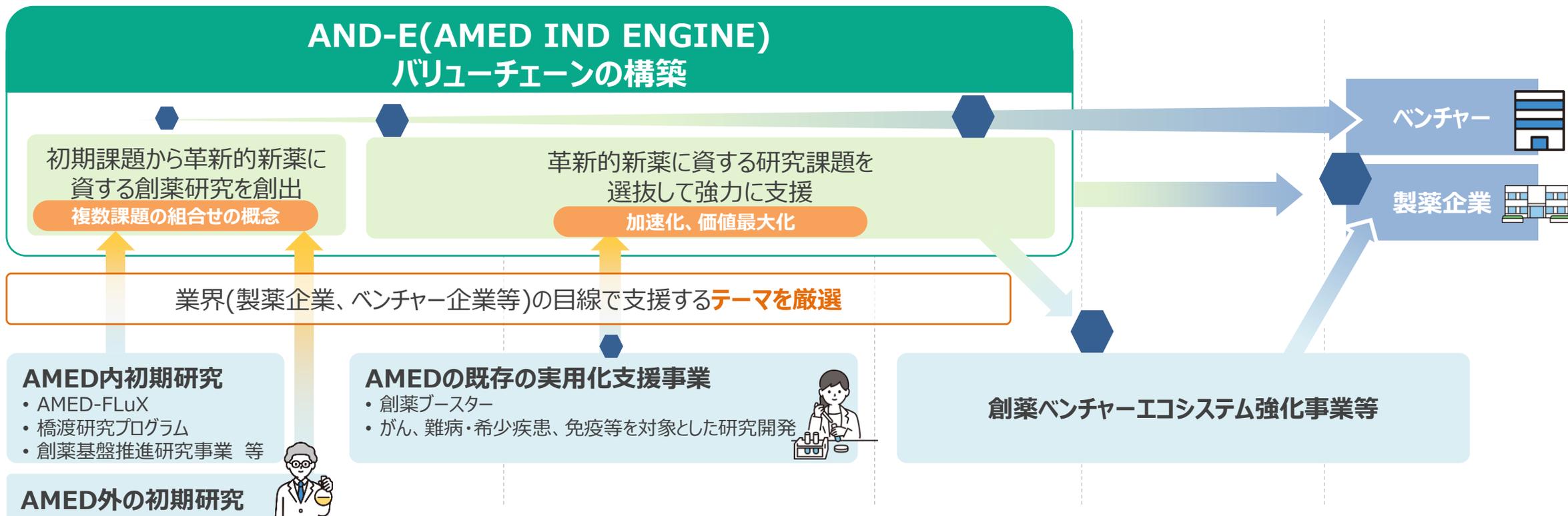
1. 各省縦割りとは指摘される **事業間をつなぐための新たな仕組み（ペアリング・マッチング）の導入**
2. 文科省、厚労省、経産省等からの **約60事業2,700課題を全体最適化するシンクタンクの機能の強化**
3. 企業導出等の **成果へ無駄なくつなぐための目標明確化**に取り組んでいるところ



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**



イノベーションの源泉となる基礎研究の厚みの確保と成果展開



- 研究者の自由な発想と社会的な要請を踏まえた **基礎研究はイノベーションの源泉であり、その厚みの確保** が重要。
- また、以下の事例のとおり、 **革新的な基礎研究の成果がイノベーション・実用化に至るまでには、安定的・複層的・継続的支援** が必要。
- それを通じて、需要を作り、調達を通じて供給を拡げるエコシステムを創造。併せて **新モダリティ医薬品等の規制の整備、規制要件の早期明確化に向けたレギュラトリーサイエンス研究推進の拡充が必要**。



基礎研究から実用化

数十年にわたる地道な研究の道のり



国内の高度なFIH試験の推進



- 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拠点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



医療研究DXの推進



- 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DXと医療研究DXの定義

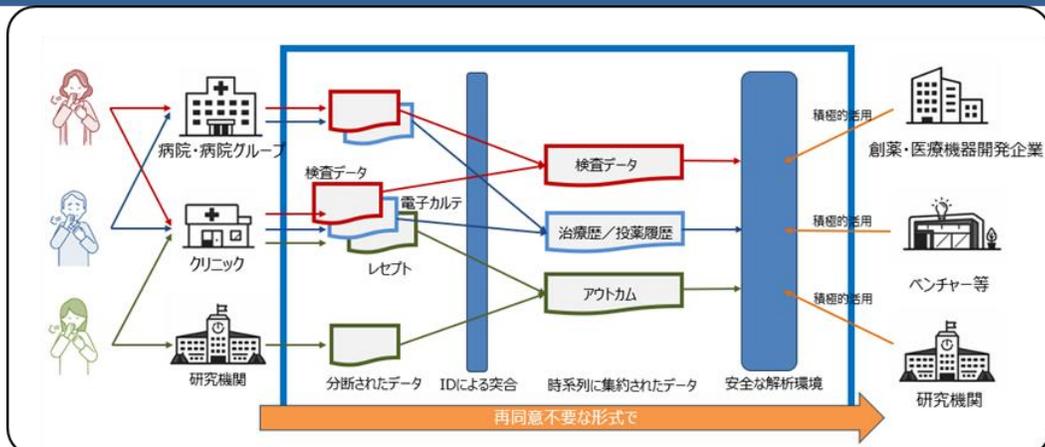
医療DX及び医療研究DXについては、「医療DX令和ビジョン2030」、「医療等情報の利活用の推進に関する検討会」、デジタル行財政改革会議における議論及びEHDS Regulation案等を踏まえ、以下のように整理される。

医療DX	診療・ケアの質と効率を同時に高めることを目的に患者中心の医療情報連携と、医療機関間のデータ共有・業務効率化を実現する取組み。
医療研究DX	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。



- 目的1** 特定患者を救うために
- 目的2** 特定疾病の治療法確立のために
- 目的3** 医療と社会保障の進化のために

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～



ビッグデータ利活用研究開発の推進
先端解析機能の環境整備

革新的医薬品／医療機器創出スキーム

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

高度研究人材の創出

医療分野での革新的な成長を目指し

- ファーストインクラス医薬品
- ベストインクラス医薬品
- フィジカルAI医療

の創出を介してAI活用を促進する

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、**複数年に跨る継続的かつ弾力的な予算措置**
- また、各府省の事業の間を繋げる**後継事業候補における枠の拡充**
- 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



【1年度】 契約終了
【2年度】 契約終了
【3年度】 契約終了

- ・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



参考

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

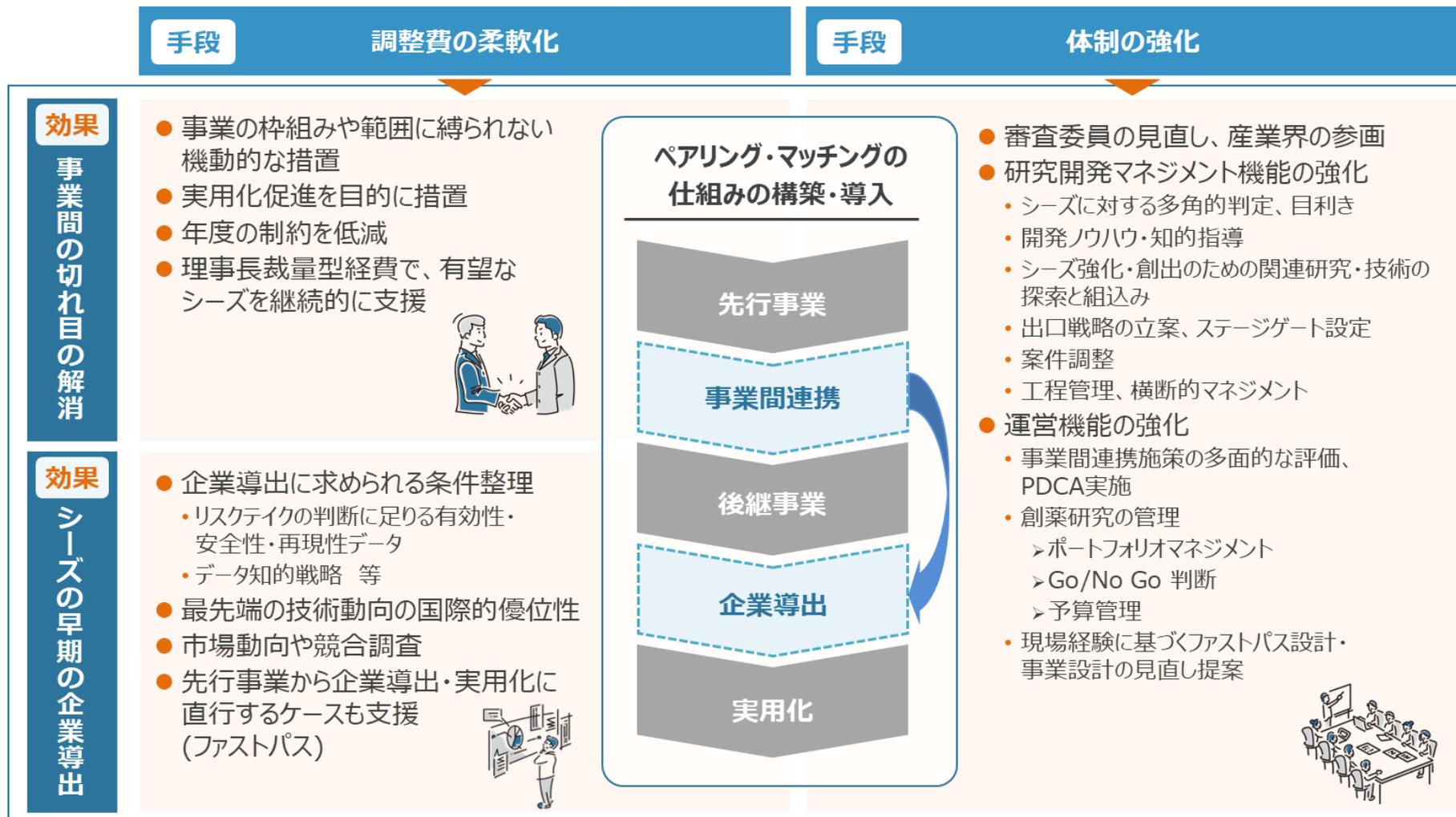
国際的に優れた研究成果の創出に向け、国際共同研究の戦略的・機動的な推進や海外ニーズを取り込んだ国際共同治験への参画により、日本人研究者の国際的なトップサークルへの参入を促進するとともに、次世代の優秀な研究者同士の交流や関係構築の強化をする。また、国内外の医薬品市場を見据えた創薬エコシステムを構築する。

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。

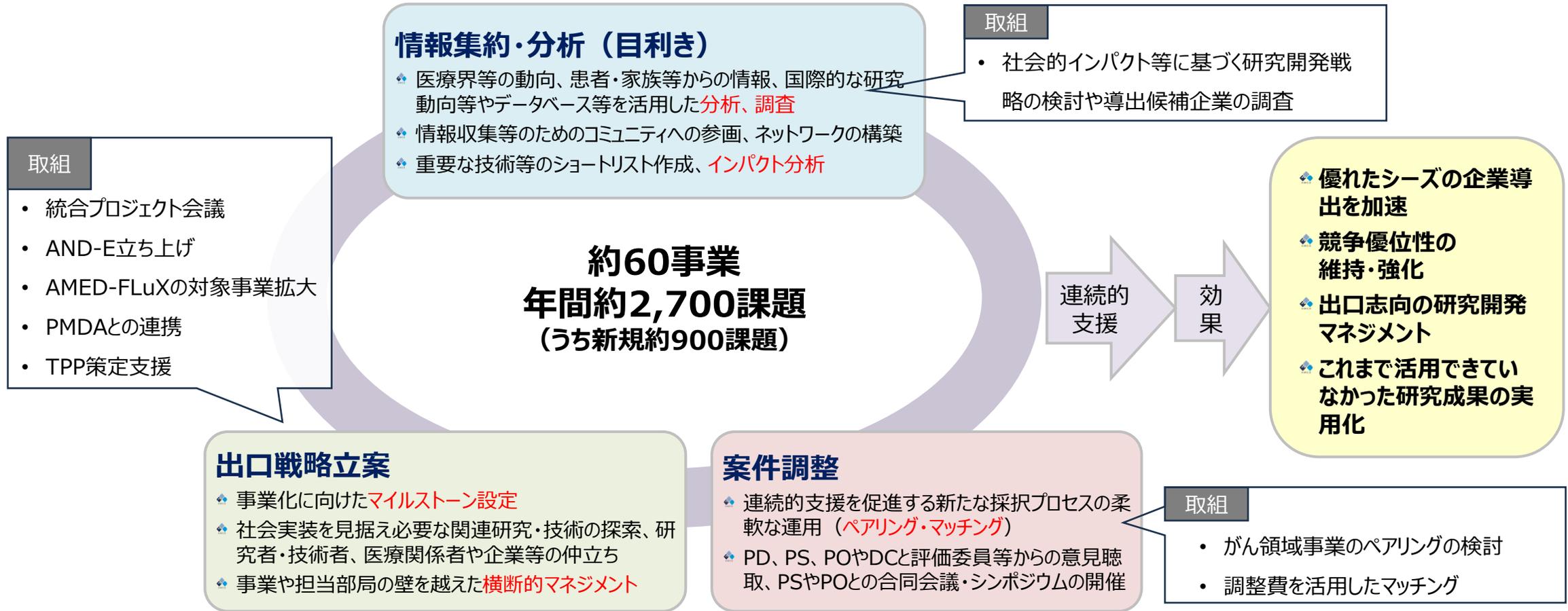
事業間連携の強化（ペアリング・マッチング）

- 第3期を迎えるに当たって、事業間連携及び企業導出に向けた連続的な支援を行うため、新たな仕組み（ペアリング・マッチング）の導入とともに、調整費の柔軟化（運営費交付金への移替え）及び体制の強化（担当役の設置、シンクタンクの機能や製薬協との連携）といった研究開発支援を見直し。これら具体化の取組を進めている



研究開発マネジメント体制の強化（シンクタンクの機能の強化）

- AMEDが支援する事業及び課題について、事業間連携及び企業導出を戦略的に進めるため、情報集約・分析（目利き）、出口戦略立案や案件調整を行うシンクタンクの機能の整備を進めている
- AMED内外の状況を俯瞰・整理しつつ、優れたシーズの導出、競争優位性の維持・強化、出口志向のマネジメント、活用できていない研究成果の実用化等を目指していく



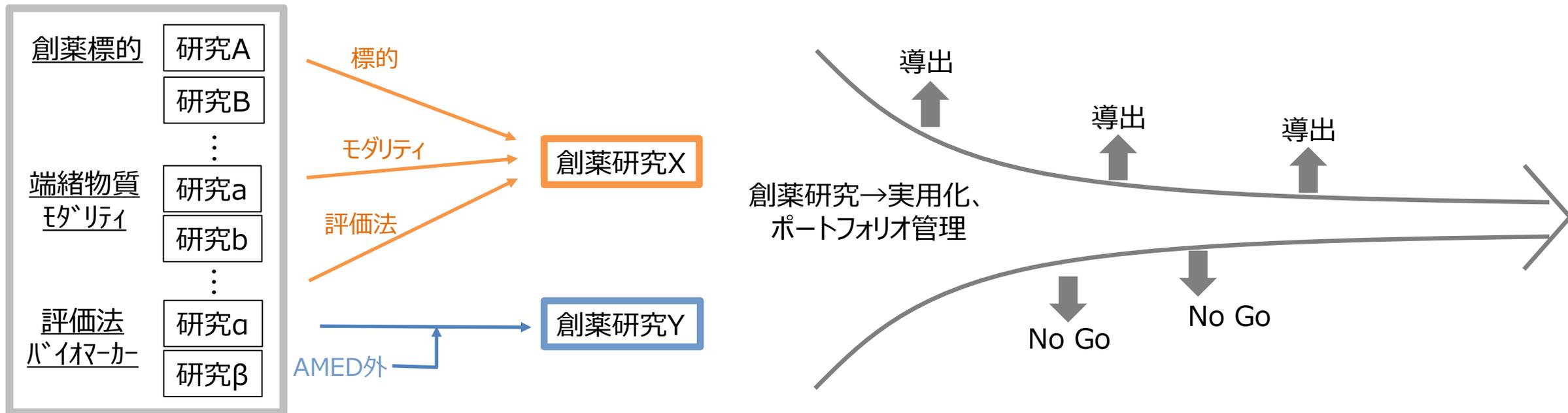
AND-Eの取組と既存事業の連携による実用化加速（イメージ）



申請承認



AMED基礎研究課題



<AND-E>

②各事業との連携によるAMED内のバリューチェーンの構築

①AMED課題から創薬研究創出

<AMED創薬ブースター事業等>
アカデミアシーズへの伴走支援

<創薬ベンチャーエコシステム強化事業等>
創薬ベンチャーの企業導出補助

<AMED-FLuX>
AMED課題へのコンサルティング



スタートアップの育成（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

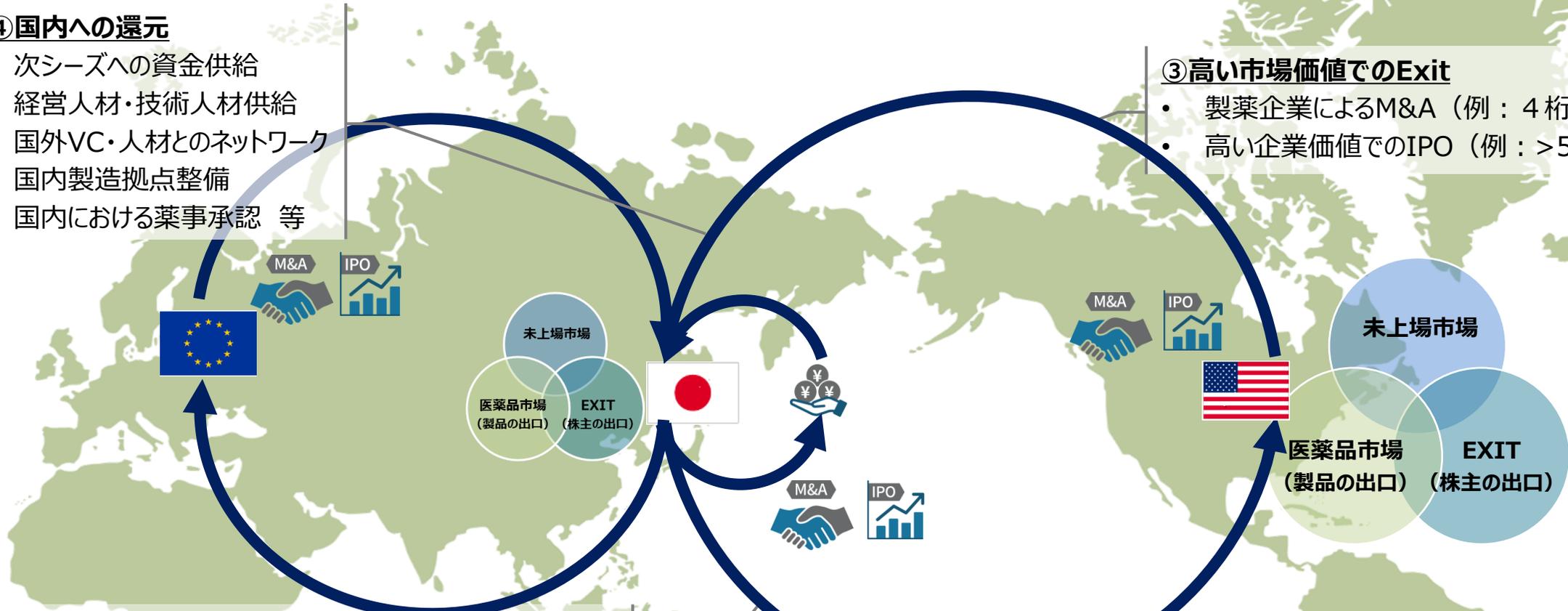
- ・ 製薬企業によるM&A（例：4桁億円規模）
- ・ 高い企業価値でのIPO（例：>500億円）

①ベンチャー起業（大学シーズ・製薬企業カーブアウト）

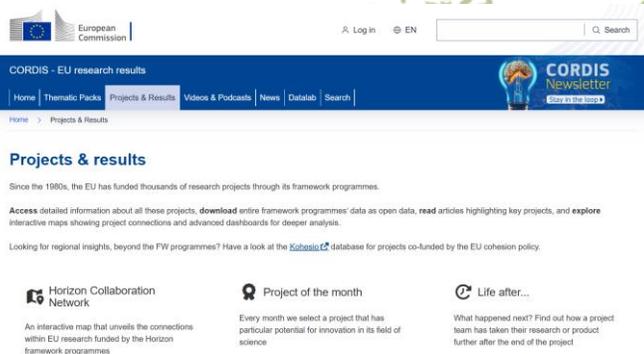
- ・ 大学の研究シーズや製薬企業からのカーブアウトから、次から次へと新たなベンチャーが立ち上がっていく環境を構築
- ・ 起業ノウハウを蓄積したCEO人材プールを国内に有する
- ・ 国内VCからの数十億円程度の調達が一般的になる
- ・ 非臨床POC取得前後まで大学との共同研究で実用化の道筋、知財戦略を策定（サイエンス→ドラッグ開発）

②早期の海外市場進出

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



日本発の医療シーズの見える化



CORDIS - EU research results

Home | Thematic Packs | Projects & Results | Videos & Podcasts | News | Datablab | Search

Home > Projects & Results

Projects & results

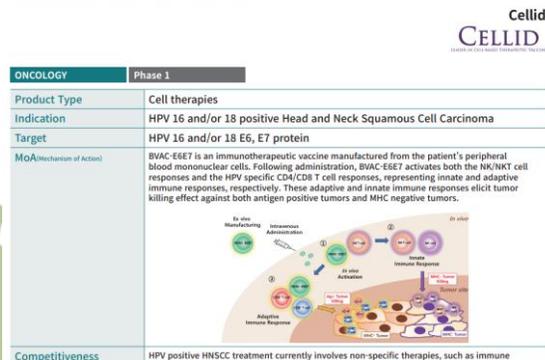
Since the 1980s, the EU has funded thousands of research projects through its framework programmes.

Access detailed information about all these projects, download entire framework programmes' data as open data, read articles highlighting key projects, and explore interactive maps showing project connections and advanced dashboards for deeper analysis.

Looking for regional insights, beyond the FW programmes? Have a look at the [Eurostat EC](#) database for projects co-funded by the EU cohesion policy.

Horizon Collaboration Network | Project of the month | Life after...

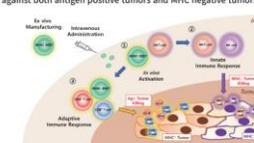
Clinical Phase 1 Development of BVAC-E6E7 for HPV16 and/or HPV18 Positive Unresectable Recurrent or Metastatic Head and Neck Squamous Cell Carcinoma



Cellid

ONCOLOGY Phase 1

Product Type	Cell therapies
Indication	HPV 16 and/or 18 positive Head and Neck Squamous Cell Carcinoma
Target	HPV 16 and/or 18 E6, E7 protein
MoA (Mechanism of Action)	BVAC-E6E7 is an immunotherapeutic vaccine manufactured from the patient's peripheral blood mononuclear cells. Following administration, BVAC-E6E7 activates both the NK/NKT cell responses and the HPV specific CD4/CD8 T cell responses, representing innate and adaptive immune responses, respectively. These adaptive and innate immune responses elicit tumor killing effect against both antigen positive tumors and MHC negative tumors.



Competitiveness HPV positive HNSCC treatment currently involves non-specific therapies, such as immune



Quick Search

Search RePORTER

Enter just about anything in the RePORTER Quick Search box above (title, PI names, project numbers, fiscal year, agency) or search the Advanced Search to precisely configure searches using separate search fields.

Advanced Search

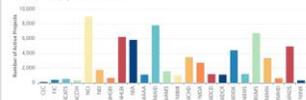
Welcome to the NIH RePORTER

Each award supported by RePORTER efforts to seek fundamental knowledge about the causes and behavior of living systems and/or the application of that knowledge to enhance health, lengthen life, and reduce illness and disability.

Active Funding by State



Active Projects by Institute/Center



Advanced Projects Search

Enter PubMed IDs (PMID) or PubMed Central IDs (PMC ID) to find publications



CORDIS
European Commission

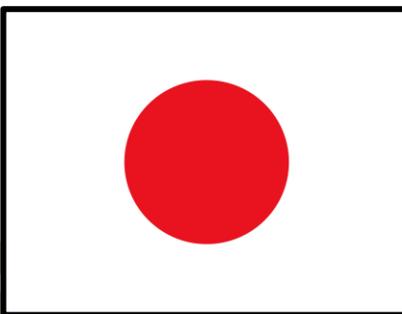


KDDF
(Korea Drug Development Fund)



NIH RePORTER

政府が提供・運営する研究基盤データベースは事業会社の探索起点



**ALL JAPANの医療シーズを
検索できるシステムの構築**

基礎研究と創薬研究開発の違い

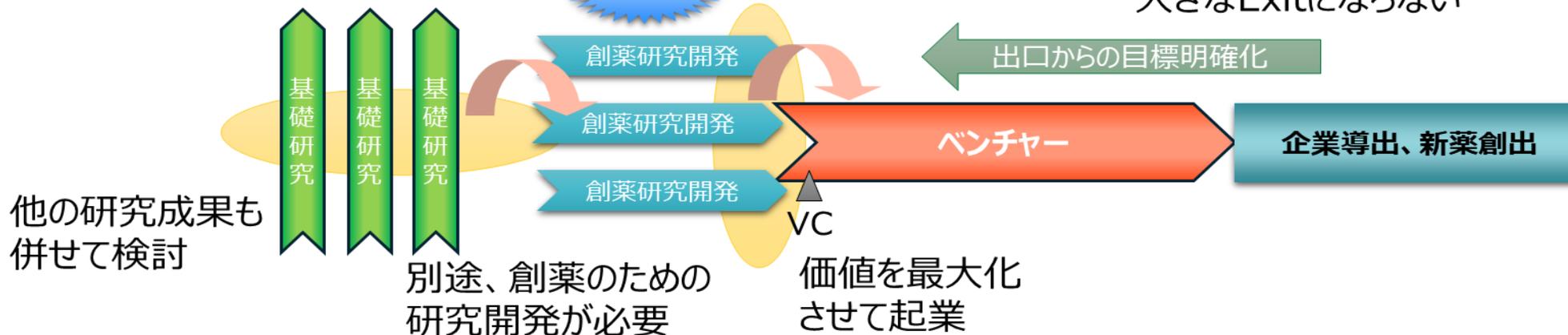
基礎研究の成果を上げればベンチャー企業へ導出できる？ POC取ればExitできる？



実は

研究成果を積み重ねても
新薬候補品へ到達しない

エンドポイントを見て開発しなければ
大きなExitにならない



日本の再生・細胞医療・遺伝子治療をめぐる現状と成長に向けた展望



- ▶ 日本の再生・細胞医療・遺伝子治療は、関係府省や産学一体となった研究開発・実用化の取組を通じ、成果が結実しつつあるところ。
- ▶ 2006年の山中伸弥教授らによる人工多能性幹細胞(iPS細胞)の世界初樹立から20年、iPS細胞由来の再生医療等製品の製造販売が世界に先駆けて承認(2026年3月、条件・期限付承認)。アンメットメディカルニーズ等への治療に引き続き期待。
- ▶ 先行者としての日本の強みを維持・確立しつつ、国内外の新たな再生・細胞医療・遺伝子治療技術の台頭・進展に対応しながら、国際競争力を確保し、日本の成長に貢献していくためには、基礎・基盤的な研究開発(革新的シーズ創出)・人材育成、治験・医療提供基盤の整備、製造技術開発・供給基盤の整備(CRO/CDMO、サプライチェーン含む)といった取組を、連続的・総合的に強化していくことが不可欠。

【図出典】
 ① iPS細胞：©京大iPS研究所・山中伸弥教授
 ② 「まほろ」：©セラファ・バイオサイエンス株式会社
 ③ 心筋シート：©クオリス株式会社
 ④ ©住友ファーマ株式会社

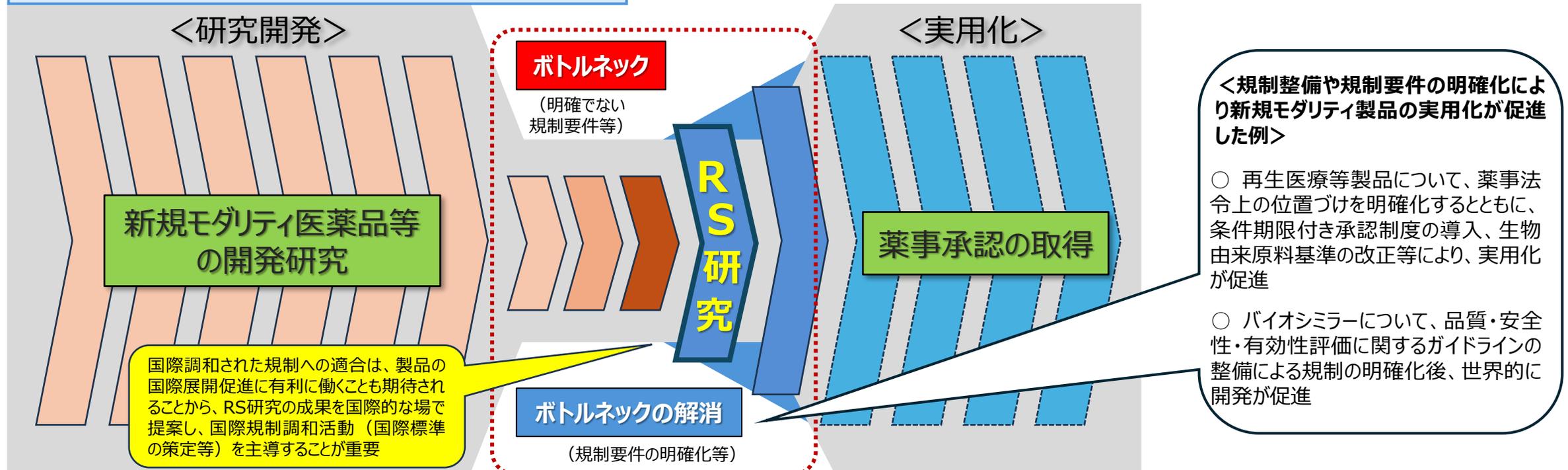


新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究推進の重要性

- 医薬品等の実用化には薬事規制への対応が不可欠。しかし、**新規モダリティを含む新医薬品等は承認実績が乏しいため、関連する薬事規制の考え方が十分に整理されていない**場合がある。
- 各モダリティの特性を踏まえた、規制の整備や、品質・有効性・安全性を予測・評価等するためのガイドラインの策定等による**規制要件の早期明確化により、必要な研究の方向性が明らかになり、実用化への加速が期待される。**

薬事規制の科学的根拠を構築する役割を担うのがレギュラトリーサイエンス（RS）研究

AMED各事業から創出される新規モダリティ等の研究開発の各段階において、RS研究事業により開発の道筋をつけることで、実用化促進を図る



※レギュラトリーサイエンス…科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づいた確かな予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学（第4期科学技術基本計画 4.（3）ライフィノベーション推進のためのシステム改革）