

### 第3回創薬・先端医療ワーキンググループ 議事録

■日時：令和8年3月16日(月) 13時30分～14時30分

■場所：中央合同庁舎第4号館12階全省庁共用 1214特別会議室（ハイブリット開催）

■出席者：

#### 共同議長代理

若山 慎司 内閣府大臣政務官

#### 構成員

（有識者）

五十嵐 啓朗 ファイザー株式会社代表取締役社長

熊ノ郷 淳 国立大学法人大阪大学総長

平野 未来 株式会社シナモン代表取締役社長CEO

藤本 利夫 アイパークインスティテュート株式会社代表取締役社長

本田 麻由美 読売新聞東京本社編集局編集委員

牧 兼充 早稲田大学大学院経営管理研究科准教授

宮柱 明日香 武田薬品工業株式会社ジャパンファーマビジネスユニットプレジデント

吉川 真由 ARCH Venture Partners ベンチャーパートナー

志鷹 義嗣 株式会社 RealizeEdge Partners 代表取締役社長

山本 武 富士フイルム株式会社執行役員ライフサイエンス戦略本部副本部長  
バイオサイエンス&エンジニアリング研究所

（政府関係者）

小林 茂樹 文部科学副大臣

仁木 博文 厚生労働副大臣

#### 代理出席

三浦 明 デジタル庁統括官

井上 博雄 経済産業省 商務・サービス審議官

#### オブザーバー

藤原 康弘 独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長

中釜 斉 国立研究開発法人日本医療研究開発機構理事長

#### 参考人

森田 朗 一般社団法人次世代基盤政策研究所代表理事・東京大学名誉教授

#### 事務局

仙波 秀志 内閣府健康・医療戦略推進事務局次長

■議事：

1. 開会
2. 議事

(1) 構成員からのヒアリング（日本における研究開発の推進関係等）

(2) その他

### 3. 閉会

#### <資料>

資料1：文部科学省 提出資料

資料2：厚生労働省 提出資料

資料3-1：平野構成員 提出資料

資料3-2：中釜オブザーバー 提出資料

資料3-3：熊ノ郷構成員 提出資料

資料3-4：藤原オブザーバー 提出資料

資料3-5：森田参考人 提出資料

参考資料1：第2回医薬品開発協議会資料

参考資料2：藤本構成員 提出資料

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 定刻となりましたので、ただいまより第3回創薬・先端医療ワーキンググループを開会いたします。事務局として議事進行を務めます、内閣府健康・医療戦略推進事務局次長の仙波です。どうぞよろしくお願いいたします。

本会議はオンライン併用での開催となっております。また、本会議はYouTubeによるライブ配信により公開しておりますので、よろしくお願いいたします。メディアの方は、恐れ入りますが、撮影はここまでとさせていただきます。

本日、共同議長の小野田科学技術政策担当大臣および松本デジタル大臣は、公務のためご欠席です。松本デジタル大臣からご挨拶を預かっておりますので、デジタル庁三浦統括官より代読させていただきます。

○デジタル庁国民向けサービスグループ 三浦統括官 代読申し上げます。

創薬・先端医療ワーキンググループの共同議長を務めています、デジタル大臣の松本尚です。

今回の成長戦略の議論では、大胆な政策パッケージによって民間投資を引き出すことで、企業による自律的・継続的な成長を実現することとしています。このワーキンググループの成果が、製薬関連産業のゲームチェンジのきっかけとなるよう、近い将来に大きな国益を生み出すように、ぜひ一緒に明るく前向きに、創薬・先端医療分野の未来を切り拓く議論を進めてまいりましょう。

本日は、基礎研究から実用化、治験実施体制、人材の流動性や育成などの課題についての意見交換をお願いしたいと思います。危機管理投資を行うことで日本の創薬の底力を引き出し、強く豊かな日本をつくるために、忌憚のないご意見をよろしくお願いいたします。

以上でございます。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございます。それでは早速、議事を進めます。今回は構成員・参考人によるヒアリングを行います。

まずは、我が国における研究開発の推進関係や創薬等に関する人材育成について、厚生労働省および文部科学省より取組をご紹介します。その後、「AIの活用」「基礎研究の重要性」「治験体制整備」「データ利活用」等について、平野構成員、中釜オブザーバー、熊ノ郷構成員、藤原オブザーバー、森田参考人にご発表いただきます。

まず、文部科学省小林副大臣よりご説明をお願いいたします。

○文部科学省 小林副大臣 文部科学省副大臣の小林でございます。よろしくお願いいたします。資料はこちらでございます。文部科学省の資料をご覧ください。

2ページ目にお示ししております4つの柱を中心に説明いたします。

まず①でございます。研究開発については、創薬シーズを継続的に創出するため、日本の強みを生かした基礎研究力を強化し、実用化につなげていくことが重要と考えております。我が国においては、免疫分野におけるノーベル賞受賞や iPS 細胞の実用化など、世界を牽引する研究成果が創出されております。こうした強みをさらに強化し、次世代の iPS 細胞や感染症危機対応医薬品等の創薬力強化に向けて、重要な研究開発に取り組んでまいります。

続いて②③でございます。AI 活用に向けた研究基盤の構築や、医学系研究者の研究時間の確保、大学病院の研究機能の向上と持続可能な運営のため、財政も含めた経営基盤の強化など、研究環境の整備に係る取組を進めてまいります。

そして④でございます。創薬人材の育成に向けては、医薬品開発を踏まえた教育カリキュラムを策定するとともに、重要技術領域の人材育成を支援するための施策を通じて、産業界や地域のニーズ等を踏まえた人材育成を支援しております。

以下、資料はございませんが、私も構成員であります日本成長戦略会議人材育成分科会において、産業構造の変化を踏まえた人材の戦略的な育成に関して検討を行っているところであり、将来見込まれる人材需要とのミスマッチが生じることのないよう取り組んでまいります。

本日も学長がいらっしゃっていますが、先日、大阪大学の世界トップレベル研究拠点であります「免疫学フロンティア研究センター（IFReC）」を訪問いたしました。同センターでは、製薬企業と連携しながら、基礎研究の深化と先端的研究成果の社会実装の両立が図られており、アカデミアが結節点となり、官民の投資によって我が国の新しい勝ち筋を創出するエコシステムが構築されておりました。

文部科学省としては、創薬力強化に向けて、アカデミアが研究開発および人材育成の両面で力強く貢献できるよう、環境整備にしっかりと取り組んでまいります。

私からは以上です。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございます。続きまして、厚生労働省仁木副大臣よりご説明をお願いいたします。

○厚生労働省 仁木副大臣 厚生労働副大臣の仁木博文でございます。私からは、厚生労働省における研究開発の推進、創薬人材の獲得・育成等に向けた取組についてご説明申し上げます。

厚生労働省の資料をご覧ください。3 ページ目です。現状認識といたしまして、iPS 細胞の樹立や CAR-T セルセラピーを創出するなど、高い基礎研究能力を有しております。一方で、新規治験届出数は近年減少傾向にあり、特に国際共同治験は他国から遅れており、再生医療や遺伝子治療等の先端領域も含め、研究成果を実用化につなげる体制とは十分に

言えない状況です。さらに、AI を活用した創薬への期待が高まっており、基盤整備の必要性が高まっております。

続いて4ページをご覧ください。こうした課題認識のもと、さまざまな取組を進めております。例えば、治験・臨床試験の体制強化として、国際共同治験の推進、Single IRB 化の推進、臨床中核拠点病院を中心とした関連機関の連携促進、治験・臨床試験に対する国民や患者の理解促進などに取り組んでおります。

続いて5ページです。再生医療および細胞医療・遺伝子治療等の先駆的分野においても、シーズを実用化につなげるため、臨床研究・医師主導治験への支援のほか、製法開発や創薬応用といった研究を支援しております。

15ページをご覧ください。これらの課題を踏まえ、厚生労働省としては、治験等実施体制の効率化や国際対応力の向上、人材確保、治験等に関する理解増進などを通じて、治験実施数を倍増させる覚悟で取り組みます。また、我が国の強みである再生医療・細胞医療・遺伝子治療等については、個別化医療や遺伝子治療も含め、研究開発支援や製造体制整備をさらに進めます。加えて、全ゲノム解析については、本年度発足する専門組織のもと、データ利活用等を推進してまいります。AI の解析基盤についても、AI 半導体ワーキンググループの議論を踏まえ、具体化を図ります。

続いて17ページです。現状認識として、日本の創薬エコシステムにおける主要な課題として、人材の流動性の低さが指摘されています。また、創薬人材に加え、品質確保のための人材など、さまざまな人材の確保が必要です。

これを踏まえた主な取組として、人材流動性を高めるため、製薬企業における兼業・副業の導入促進、臨床研究従事者に対する養成研修の実施、バイオ医薬品の製造人材の育成などに取り組んでおります。

22ページをご覧ください。今後の方向性としては、クロスアポイントメントや副業・兼業の推進による人材流動性の向上を図るとともに、創薬に関する中長期的に必要な人材スキルを調査し、我が国の創薬エコシステムの発展に必要な人材育成および確保の方策を検討してまいります。

厚生労働省といたしましては、本ワーキンググループの議論を踏まえながら、研究開発の推進および創薬人材の確保に向けた取組を進めてまいります。

以上です。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございます。続きまして、平野構成員よりご説明をお願いいたします。

○株式会社シナモン AI 平野構成員 まず、簡単に自己紹介をさせていただきます。シナモン AI という AI 会社を経営しております、平野と申します。

私自身は学生の頃から AI の研究をしておりまして、大学院時代から起業しているため、20 年ほど AI スタートアップに関わっております。また、政府の委員もいくつか務めており、本ワーキンググループとも関係のある日本成長戦略会議の委員も務めております。

また、3 人の子どもがおりますが、末っ子は先天性心疾患を患っており、0 歳の時には生死を何か月もさまよっていました。末っ子の命が助かったのは、ここにいらっしゃる皆様を含め、現代医学のおかげだと思っております。そうした経験から、医療の業界に貢献したいと考え、AI の専門家の立場からこのワーキンググループに参加させていただいております。

次のページはシナモン AI の紹介です。ナレッジに関する AI を開発しております。OCR で紙をデータ化し、RAG でデータをナレッジ化し、さらに AI エージェントによって複雑な処理を行うことを可能としております。

4 ページ目をご覧ください。第 1 回、第 2 回と参加し、理解した課題が以下のとおりです。今回、「AI for Science 基盤の構築」を提言しておりますが、赤字で示した部分が改善できるのではないかと考えております。

次のページをご覧ください。まず、「AI for Science」とは何かという点です。昨年末に閣議決定された「AI 基本計画」において、「AI for Science」が重要テーマとして掲げられています。一般的に AI というイメージが強いと思いますが、ここでは科学的発見とイノベーションのエンジンとして位置付けられています。

右側に示しておりますとおり、一般的に科学技術は、調査・仮説・実験・文書化といったサイクルを回すことで進化していきます。この各フェーズを AI 化することで、科学技術進化のサイクルを高速化・自律化するというのが「AI for Science」です。

6 ページ目をご覧ください。弊社の事例を踏まえ、2 つのユースケースを紹介いたします。

まず、CMC や品質保証業務では、多大な人手と時間を要しているという課題があります。弊社の事例では製造業において、研究開発部門にこれまでの技術文書が数万ファイルに分散しており、ナレッジとして活用されていない状況がありました。何かしらの知識を探す際にも、従来は数時間を要していましたが、AI の活用により 5 分程度に短縮しています。これにより、これまで埋もれていた暗黙知を組織知に転換できたと考えております。

製薬業界においても、SOP、製造記録、技術文書などが膨大に存在するため、生産性向上につながると考えられます。

続いて 7 ページ目です。2 つ目のユースケースですが、さまざまなデータが分散・サイロ化しており、創薬に結びついていないという課題があります。弊社の過去の事例では、大手製薬企業において、薬事申請時の照会事項への対応を AI により高速化した実績があります。フォーマットがばらばらである点についても、ドキュメントを取り込む技術によって対応しています。

これにより、非構造データや臨床データの横断的な紐付けが可能となり、新薬の開発および承認プロセスの高速化が期待できると考えます。

8 ページ目です。「AI for Science」は、ナレッジ AI とシミュレーション AI に大別されると考えられます。AlphaFold のようなシミュレーション AI の方が一般には認知されているかもしれませんが、調査・仮説立て・文書化の領域はナレッジ AI に該当します。

ナレッジ AI は創薬力の強化やドラッグロスの解消に寄与し、シミュレーション AI は実験の高速化につながります。この両者を両輪として回していくことが重要であると考えます。

9 ページ目です。創薬力の再興、ドラッグロスの解消、健康医療安全保障を支える「AI for Science 基盤」として、以下の3点を提言いたします。

1 点目は、散在するデータや暗黙知を統合するナレッジ AI の構築です。

2 点目は、開発を高速化するシミュレーション AI への重点投資です。

3 点目は、「AI for Science」時代に適合した規制・承認プロセスのアップデートです。

以上です。ありがとうございました。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございました。続きまして、中釜オブザーバーよりご説明をお願いいたします。

○日本医療研究開発機構 中釜オブザーバー AMED の中釜でございます。資料 3-2 をご覧ください。

日本の健康・医療分野の研究開発においては、以下に述べる双方向性の視点が重要であると考えております。

一つは、ファーストインクラスおよびベストインクラスの創薬開発を目指すことです。その実現のためには、さまざまな動向を踏まえた日本発の医療研究環境の整備が求められます。

もう一つは、国内状況を踏まえた医療研究開発の整備です。これにより、日本のみならず世界の医療への貢献に加え、海外からの投資拡大による日本経済への貢献も期待されます。

次のページをご覧ください。この双方向性の視点を踏まえ、健康医療分野の成長戦略実現に向けた AMED 第 3 期の取組強化として、まず一点目に「日本発の医療イノベーション促進」について三つのポイントを重視します。

すなわち、事業間連携の強化、AMED 研究の創薬実用化への強化、そして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です。

また、二点目の「創薬・先端医療に向けた優れた医療研究環境の整備」については、国内における高度な FIH (First in Human) 試験の推進と、医療研究 DX の推進の二点に重点を置いて取り組んでおります。

次のページをご覧ください。日本発の医療イノベーション促進の第一のポイントである事業間連携については、基礎研究から実用化までの戦略的支援が求められております。事

業間をつなぐ新たな仕組みとして、ペアリング・マッチングの導入や、60 事業・約 2,700 課題を全体最適化するシンクタンクの機能の強化を進めています。

具体的には、ある事業から次の事業への展開、あるいは、企業導出や新薬創出の加速に向けた理事長裁量型経費による追加研究支援などを実施し、目標の明確化を図っております。

4 ページ目です。AMED 研究の創薬実用化への強化として、新たに「AND-E (AMED IND ENGINE)」を開始しました。これは、AMED 研究から革新的新薬の創出を目指す新たなチームであり、製薬協との連携のもと、日本発のファーストインクラスおよびベストインクラス製品の創出と、迅速な患者提供を目指すものです。AMED 内外の初期研究を対象に、創薬企業やベンチャーの視点から支援テーマを厳選し、AMED 内のバリューチェーン構築を意識した開発研究を加速するとともに、既存の実用化支援事業等を通じて企業への早期導出を図ります。

次のページをご覧ください。基礎研究については、研究者の自由な発想と社会的要請を踏まえた厚みの確保が重要です。多くの研究が実用化に至るまでには 10 年から数十年を要するため、安定的・複層的・継続的かつ戦略的な支援が必要です。

また、新規モダリティ医薬品の開発においては、規制整備や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の推進と拡充が不可欠です。

次のページをご覧ください。医療研究環境の整備としては、国内における高度な FIH 試験の推進が重要です。モダリティの多様化により、ヒトでの早期 POC 取得が必要となる中、特定機能病院や臨床研究中核病院における重点的な取組と医療安全の確保が求められます。また、海外のトップクラスの研究者との共同研究により、研究の高度化やグローバル人脈の構築を進める必要があります。特に第 I 相国際共同治験を日本が主導する体制整備が重要です。そのため、我が国が強みを持つ技術領域での臨床試験の先導、Phase0 臨床試験や解析環境の整備、被験者の安全性確保、倫理・科学面の評価体制の充実が必要です。

次のページをご覧ください。医療研究 DX の推進については、全ゲノムデータや画像データ等の利活用を加速するためのデータ基盤整備が喫緊の課題です。

AI を活用した研究開発を推進するため、時系列診療情報に紐づく多様なデータの統合や、研究者・企業・ベンチャーが柔軟に参画できる水平分業型の研究体制の構築が必要です。

最後に 8 ページ目です。これまでの内容をまとめると、日本の成長戦略における創薬・先端医療の推進にあたっては、「現場中心主義」を徹底し、基礎研究の継続的支援と活性化、日本発イノベーションの促進、優れた研究環境の整備に取り組むことが重要です。

スライドに示した三点について、継続的に取り組んでまいります。

以上です。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございます。続きまして、熊ノ郷構成員にご説明をお願いいたします。

○国立大学法人大阪大学 熊ノ郷構成員 大阪大学の熊ノ郷です。私はアカデミアの立場から、情報教育の観点でお話いたします。キーワードは「科学の再興」「我が国の勝ち筋」「新技術立国」です。

まず 1 枚おめくりいただき、「勝ち筋となる分野」についてです。「新技術立国」を目指すにあたり、科学を再興するためには、運営費交付金などの基盤的経費や基礎研究への投資の拡大が必要です。また、民間の野心的なチャレンジを促す研究開発税制や、大学等の研究開発拠点における企業との連携を後押しする仕組みが求められます。

3 ページをご覧ください。現状、日本の強みとして、医薬品売上の 6 割以上を免疫調節薬が占めている状況があります。この中で必要な取組としては、科学とビジネスの近接化、AI 創薬への対応強化、そして免疫研究や iPS 細胞研究など、日本の強みを生かした基盤研究の充実と実用化への橋渡しが重要です。

5 ページをご覧ください。「縦糸の医学」と「横糸の医学」という概念があります。「縦糸の医学」は循環器、呼吸器、心臓、免疫といった疾患領域を指します。一方、「横糸の医学」は免疫調節薬であり、現在、世界の医薬品売上の 5 割から 6 割を、抗体薬をはじめとする免疫調節薬や生物製剤が占めている状況です。

今後、新興感染症の出現や、アルツハイマー病の疾患感受性遺伝子の約 7 割が免疫関連遺伝子であること、がん免疫療法の有効性向上による長期生存者の増加などが見込まれます。

6 ページをご覧ください。免疫について、B リンパ球と T リンパ球があります。B リンパ球は抗体を産生します。例えば、1987 年にノーベル生理学・医学賞を受賞した利根川進先生、また約 12~13 年前に抗体の仕組みを解明した本庶佑先生などの研究により、抗体の遺伝子構造が明らかになり、エンジニアリングが可能となって抗体医薬の開発につながりました。

さらに、抗体産生のメカニズム解明により、「臨床医学のノーベル賞」とも呼ばれるクラフォード賞を受賞された岸本忠三先生や平野俊夫先生の功績もあります。

10 ページをご覧ください。こうした背景から、大阪大学では中外製薬との包括連携が行われており、文部科学省の WPI による 10 年間の支援の後、さらに 10 年 100 億円規模の支援を受けています。大塚製薬とも同様の連携があります。

その背景には、アカデミアと産業界の近接化があります。我が国初の抗体医薬であるトシリズムマブは、累計で世界売上約 6 兆円に達しています。

続いて 11 ページです。T リンパ球に関しては、坂口志文先生が制御性 T 細胞の発見によりノーベル生理学・医学賞を受賞され、また T 細胞の調節機構をがん免疫療法に応用した功績により、本庶佑先生とジェームズ・P・アリソン博士がノーベル生理学・医学賞を受賞しています。

このように医学に縦糸と横糸があるように、創薬にも縦糸と横糸があります。創薬における縦糸は、IL-6、TNF、EGF、あるいは GLP-1 など、標的分子を定めることです。一方、横糸はモダリティであり、その標的分子をどのような製剤として実現するかという点です。

1980 年代から 1990 年代にかけて、日本の製薬業界は低分子医薬で世界を席卷しましたが、2000 年代以降の抗体医薬や生物製剤への対応が遅れたとされています。

さらに、CAR-T 細胞療法や制御性 T 細胞を用いた細胞療法が第 3 のモダリティとされ、COVID-19 において広く使用された mRNA ワクチンは核酸医薬として第 4 のモダリティに位置付けられます。

現在、核酸医薬は神経領域などで既に実用化されており、その制御技術が重要な課題となっています。

このような中、先月、日本で最も権威ある賞の一つである Japan Prize を、審良静雄先生が mRNA の産生システムの解明に関する功績により、Zhijian Chen 博士と共同受賞されました。なお、Chen 博士は 2 年前にラスカー賞も受賞されています。

また、免疫学に加え、iPS 細胞やオルガノイド研究も日本の強みです。現在では、iPS 細胞からミニ臓器・ミニ組織であるオルガノイドを作製し、そこに免疫細胞を組み合わせることで創薬に活用する「免疫オルガノイド」という新たな研究領域も進展しています。

しかしながら、こうした先端医療や創薬を実現するためのプラットフォームが脆弱であれば、十分な成果は期待できません。現在、先端医療を担う大学病院は疲弊しており、若手の臨床研究者の約 50%が週 5 時間未満しか研究時間を確保できず、約 20%は研究時間がゼロという深刻な状況にあります。

最後のスライドをご覧ください。創薬研究において重要な役割を担う大学医学部や大学病院の研究開発力向上のためには、補正予算に依存するだけでなく、持続的な経営を可能とする診療報酬の在り方とともに、教育研究機能を強化するための継続的な支援が必要です。

以上です。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございます。続きまして、藤原オブザーバーよりご説明をお願いいたします。

○独立行政法人医薬品医療機器総合機構 藤原オブザーバー 熊ノ郷構成員がおっしゃったように、アカデミア発の多くのシーズの開発が非常に重要であることに加え、私は臨床開発・治験・臨床試験の分野が極めて重要であると考えております。

1 枚おめくりいただき、2 ページ目です。これがほぼまとめになりますが、日本は臨床開発や治験・臨床試験の実施の場として、世界から選ばれる機会が非常に少なくなっており、そのために日本発の医薬品が生まれにくい状況になっていると思います。この状況を打破する必要があります。

そのためには、単に症例数が多い国を目指すのではなく、質の高い科学的に不可欠なデータを迅速に提供できる国であるという評価を確立することが重要です。鍵となるのは、「コスト・スピード」「人材」「制度」、そして「開発に対する考え方の変化」の4点です。

特に、アカデミア発の革新的技術、いわゆるノーベル賞級の技術を、企業の力を借りて製品化に結び付ける過程は「デスバレー」と呼ばれ、非常に困難です。この領域において、ファーストインプロダクトへと育てるノウハウを国内で醸成することが重要であると考えます。

3 ページをご覧ください。診療は、臨床試験や臨床開発によって得られたエビデンスに基づいて行われていることは、日本では必ずしも広く認識されていません。そのため、このスライドを用意しました。臨床医学分野における代表的な学術雑誌として、「New England Journal of Medicine」や「Lancet」などがあり、臨床家はこれらに掲載される学術論文で示されたエビデンスを、日常診療に反映させています。

次のページをご覧ください。臨床研究の中でも、とりわけ臨床試験の分野は日本が弱い領域です。

さらに次のページをご覧ください。新型コロナウイルス感染症の際を振り返ると、ワクチンや治療薬の多くは欧米で臨床試験が実施され、その結果をもとに日本で承認が行われました。日本発の医薬品はコロナ禍のピーク時には出ませんでした。

6 ページをご覧ください。米国のNIHは、臨床開発の中でも臨床試験に年間約9,000億円を投じています。これに対し、AMEDの総予算が約1,000億円台であることを踏まえると、臨床試験分野への投資規模に大きな内外差があることが分かります。

7 ページをご覧ください。EUにおいても、「ACT-EU」といった取り組みがコロナ禍以降に進められています。

8 ページ目です。WHOにおいても、2022年のWorld Health Assembly決議において、途上国を含め臨床試験体制の整備が重要であるとされています。しかし、日本では臨床試験の整備に対する十分な予算措置が講じられていない状況です。

9 ページ以降では、医薬品の起源について整理しています。アカデミア、ベンチャー企業、大企業など、どこからシーズが生まれて製品になっているのかを見る必要があります。

10 ページをご覧ください。コロナ禍以前は、ベンチャー企業が創薬シーズの担い手として注目されていました。

しかし11ページに示すとおり、Medpath.comに掲載され米国の業界誌「STAT News」でも掲載された昨年の報告では、2020年から2024年にFDAが承認した医薬品の約8割がアカデミア発に基づくものであるとされています。現在、世界的にアカデミア回帰の傾向が強まっているように思います。

12 ページをご覧ください。とはいえ、アカデミア発のシーズが製品化されることは容易ではありません。スタンフォード大学の「SPARK 事業」においてさえ、事業発足後 10 年間で FDA 承認に至ったのは 1 品目にとどまっています。

さらに 13 ページでは、アカデミア発創薬の課題について示しています。ハーバード・ビジネス・スクールによる 2025 年の分析では、アカデミアの研究者が主導するバイオベンチャーの多くが成功に至っていないことが報告されています。

14 ページ以降では、日本の現状と対応について整理しています。

15 ページをご覧ください。IQVIA による 2024 年のレポートでは、各国の臨床試験のポテンシャルが分析されています。

16 ページをご覧ください。日本は医療水準が高く、医療従事者も誠実であり、患者も一定数存在することから、臨床試験のポテンシャルは非常に高いと評価されています。しかし、そのポテンシャルを十分に活かしきれていないのが現状です。適切に活用すれば、現在の約 2 倍の数の治験が実施可能と分析されています。

次のページをご覧ください。日本の治験はコストが高いと指摘されることが多いですが、実際には適切に実施すればコスト効率は実は高いと考えられます。私自身、医師主導の国際共同治験を実施した経験がありますが、結果的に日本国でかかった研究費がアジアの他の国に比べて特別に高いわけではありませんでした。

21 ページおよび 22 ページをご覧ください。まとめとして、日本を魅力ある臨床開発環境とするためにポイントを 4 つ申し上げます。

まず「コスト・スピード」です。症例集中型モデルへの転換が必要であり、「Site Network Organization」のような仕組みの導入が有効と考えます。また、過度な問い合わせなどの対応により治験コストが増大しているため、モニター 1 人当たりの担当施設数の見直し、効率化をすすめることが必要です。さらに、病院経営の観点から治験が負担と認識されている現状を改善して、利益となるような制度設計が求められます。

一方、治験立ち上げの迅速化には、事務体制の強化が不可欠です。治験事務局や病院の IT 基盤への投資が不十分であり、特に Single IRB 導入に際しては国費によるヘルプが必要です。

次に「人材」です。国際水準の臨床試験を実施できる人材が日本には不足しています。CRC や治験事務局人材のキャリアパスや処遇改善も重要な課題です。また、産官学による人材交流の促進や、医学・看護学分野における臨床開発教育の充実も必要です。薬学においてもデータサイエンス、治験、GMP/QMS 等の医薬品・医療機器開発に関する教育の充実が必要です。

三つ目の「制度」については、PMDA や厚生労働省の取組により、国際基準との整合性が確保されており、一定の評価を得ています。

最後に「開発のパラダイムシフト」です。実用化に至るノウハウの蓄積に加え、全ゲノム解析や全エクソーム解析とバイオインフォマティクスを活用した創薬の強化が必要です。現状では多くを米国技術に依存しており、我が国の体外診断薬分野の強化が不可欠です。

以上をもって説明を終わります。ありがとうございました。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございました。続きまして、「医療等情報の利活用の推進に関する検討会」の検討状況について、森田参考人よりご説明をお願いいたします。

○一般社団法人次世代基盤政策研究所 森田参考人 よろしくをお願いいたします。ただいまご紹介にあずかりましたとおり、「医療情報の利活用の推進に関する検討会」が昨年 9 月から設けられております。

先ほどのご説明にもありましたとおり、研究や AI 開発においては、質の高いデータが利用可能であることが極めて重要です。そのための国としての制度基盤の構築について検討を進めております。

本検討は、昨年 6 月の閣議決定である「骨太方針」、規制改革、さらにはデジタル行財政改革等の方針を踏まえ、EU で昨年 3 月に発効した「European Health Data Space (EHDS)」を参考にしつつ、日本にふさわしい制度のあり方を検討するものです。昨年中に専門家ヒアリングを実施し、本年 1 月に中間まとめを公表しております。

まず、EHDS についてご説明いたします。これは EU 加盟 27 か国、約 4 億 5,000 万人の医療情報を対象とし、標準化された電子カルテ (EHR) に記録することで、域内のどこでも医療情報を活用して質の高い医療を受けられる一次利用の仕組みと、そのデータを創薬、医療機器開発、医学研究、医療政策立案等に活用する二次利用の仕組みを併せ持つ制度です。

この EHDS は、パンデミックの経験を踏まえ、EU 全域で医療データを適切に管理・利活用する必要性から構築されたものであり、長期間の検討を経て制度化されました。

主な構成要素は 3 点あります。第一に、標準化された安全な環境で保存される電子カルテ (EHR)。第二に、患者の診療に用いる一次利用のための「MyHealth@EU」。第三に、研究開発等に用いる二次利用のための「HealthData@EU」です。

特に二次利用においては、EHR に加え、学会レジストリ、行政データ、製薬企業等の保有データなど、多様なデータを統合して活用できる仕組みが整備されています。

個人情報の取り扱いについては、厳格な制度設計がなされており、データ収集時の規制ではなく、利用時における利用者、利用目的、データ加工の在り方を適切に規制する「出口規制」を採用しています。また、ローデータのダウンロードを認めず、リモートアクセスによる利用とすることで、安全性と利便性を両立させています。

次に、検討会の中間まとめについてご説明いたします。基本理念については構成員間で概ね一致しており、今後は対象情報、収集方法、識別子の在り方などについて議論を深め、夏までに結論を得る予定です。

主な論点は三点です。第一に、データを効果的・効率的に活用できる仕組みの構築です。第二に、個人情報保護の観点から、従来の入口規制から出口規制への転換や、同意の在り方の見直しです。第三に、国民や患者に対する価値還元の明確化と、それに基づく信頼の確保です。

最後に、私見も含めて申し上げますと、大量かつ信頼性の高いデータを、低コストかつ迅速に利用できる環境の整備が極めて重要です。そのためには、データ基盤と制度基盤の双方を一体的に整備する必要があります。

さらに、研究開発で得られた成果を患者や国民に還元し、その結果得られたデータを再び研究開発に活かすという、一次利用と二次利用の循環的なフィードバックの仕組みを構築することが重要であると考えております。

以上でございます。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございます。それでは、これより15分程度、自由討議の時間といたします。時間が限られておりますので、ご発言は簡潔にお願いいたします。オンラインでご発言される場合は、挙手機能を使用し、事務局の指名をお待ちください。

それでは、藤本構成員、お願いいたします。

○アイパークインスティテュート株式会社 藤本構成員 ありがとうございます。アイパークの藤本でございます。

創薬に関するAIの利活用について、第1回のワーキンググループにおいて、政府と民間が共同してAI創薬プラットフォームを構築する提案をいたしました。その後、日本でAI創薬に取り組む複数のスタートアップに対してヒアリングを行い、その結果を参考資料として提出しております。

本日は、それを踏まえ、日本のAI創薬力を抜本的に強化するための提言を4点申し上げます。

第一に、高品質データ基盤の整備です。AI創薬においては、単にデータ量で競うのではなく、品質、再現性、トレーサビリティの高いデータを継続的に生み出す体制を競争力の中核とすべきです。そのため、共通の実験環境、プロトコル、フォーマット、メタデータ標準を備えた集中拠点の整備と、自動化実験ラボの導入により、「質で勝つ戦略」を明確にする必要があります。

第二に、大企業とスタートアップの連携を促進する初期支援です。現状では、実績がないため連携が進まず、連携がないため実績が生まれないという悪循環が存在します。これ

を打破するため、初期の実証や共同研究に対する公的支援を重点的に実施し、連携の好循環を創出する必要があります。

第三に、人材と案件が集積するエコシステムの形成です。人材、計算資源、企業ニーズが国内で分散している現状を踏まえ、拠点への集積を進め、実案件を通じた人材育成、研究者の AI リテラシー向上、海外人材の誘致を図る必要があります。

第四に、セキュアで利用しやすい計算インフラの整備と計算資源の確保です。機密性の高い創薬データを安全に扱いながら、スタートアップでも利用しやすい環境を整備することで、研究開発のスピードと参入の容易性を高めることが可能となります。

以上の 4 点は個別ではなく、一体的に推進することで効果を発揮します。AI 創薬基盤の整備を強力に推進する必要があると考えます。

以上です。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございます。続きまして、牧構成員、お願いいたします。

○早稲田大学大学院 牧構成員 ありがとうございます。さまざまな論点がある中で、成長戦略として考えた場合、平野構成員の「AI for Science」と森田参考人のデータに関する議論に着目しています。

創薬の高度化という観点だけでなく、研究科学全体のコスト削減という観点での活用可能性についても、より具体的に試算する必要があると考えます。

日本は従来、プロセスイノベーションに強みを持っており、ものづくり分野で成果を上げてきました。現在は研究開発プロセスにおいても、科学的マネジメントによる効率化が進んでおり、これらを組み合わせることが日本の勝ち筋となり得るのではないかと考えます。

特に、薬価の予見性が低いという課題がある中で、コスト削減によって収益性を改善するという視点も重要です。以上です。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございます。それでは、宮柱構成員、お願いいたします。

○武田薬品工業株式会社 宮柱構成員 ありがとうございます。宮柱でございます。

藤原オブザーバーのご指摘にありました「世界から選ばれる臨床開発の場」という点について、強く賛同いたします。課題については、並行して迅速に改革を進める必要があります。特に治験スピードに関しては、治験施設の分散がボトルネックとなっています。

DX を活用したバーチャルな集約を地域内で実施することで、医療従事者の負担軽減とリクルーティングの迅速化が期待されます。また、治験を医療機関の収益源とする仕組みも重要です。

さらに、日本が魅力ある市場となるためには、治験環境の改善だけでなく、制度全体を戦略的に設計する必要があります。企業はグローバル開発を前提としており、各国の制度、市場規模、開発環境を比較して投資判断を行っています。日本で早期に開発・上市する意思決定を促す市場環境の整備が不可欠です。

人材面については、AMED の AND-E において製薬企業からの出向者が関与する取組が進められていますが、人材の流動性を高めるためには、企業にとってのメリットが明確である制度設計が必要です。

また、人材だけでなく、製薬企業の創薬ノウハウをアカデミアへ移転する仕組みも重要です。企業が人材やシーズを提供する際の経済的合理性を踏まえた制度設計について、今後議論を深める必要があると考えます。

以上です。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございます。では、五十嵐構成員、お願いいたします。

○ファイザー株式会社 五十嵐構成員 外資系のグローバル製薬企業の観点から、3 点ほど「臨床開発環境 日本を魅力ある場にするために」ということで、手短かに申し上げます。

まず、議論があったとおり、臨床研究・医師主導試験を計画・実行・解釈できる人材の育成が極めて重要であると考えております。その観点で、グローバル製薬企業を含む民間企業が支援できる具体例としては、海外のトップティアの治験実施医療機関に日本の医師やリサーチナースを派遣し、ノウハウを習得いただくことや、ネットワークの強化を通じて日本の臨床試験環境を海外のトップ層の方々にも理解していただく支援が考えられます。

また教育の観点では、日本の医学教育は臨床中心であるため、社会実装に関する教育も充実させることで、医学界のトップ人材が臨床開発や研究に関心を持つようになるのではないかと考えます。さらに、臨床試験の国としての重要性を理解するためにも、義務教育等の適切な段階で研究開発に関する教育プログラムを実施し、リテラシーを向上させることも有効であると考えます。

2 点目です。ファーストインクラス・ベストインクラスという言葉が出ておりますが、本来は有効な治療手段がなく、医療的アンメットニーズの高い医薬品の開発が日本で進むことにより、ドラッグラグ・ロスの解消や研究開発の活性化につながると理解しております。したがって、制度設計を検討するにあたっては、特定の限られた領域に制度対象が偏らないよう、アンメットニーズを満たす新薬開発が幅広く促進されるような定義について、早期に十分な議論を行うことが必要であると考えます。

3 点目です。アカデミアを含めた経済性の観点として、創薬エコシステムのステークホルダーに資金が適切に循環することが重要であると考えます。これまでの議論にもありましたとおり、日本市場は諸外国と比較して成長性や予見可能性が低く、中国などの台頭もある中で、早期臨床試験への日本の組み込みが減少する事例も見られます。したがって、日本の特許医薬品市場をグローバル市場並みに成長させるという目標を官民ロードマップに明記し、共同で取り組む必要があると考えます。財源については議論が必要ですが、特許医薬品の国内市場成長が直ちに社会保障費の増加につながるわけではないとの認識のもと、自己負担や特許品以外の領域の効率化、患者さんのアクセスを阻害しない形の民間保険の活用など、多角的な検討を進めるべきと考えます。以上です。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 では、本田構成員、お願いいたします。

○読売新聞東京本社編集局 本田構成員 ありがとうございます。本田でございます。患者家族の立場から、ラグ・ロスの解消および日本の創薬力向上について、成長戦略の観点で多角的な議論が行われていることに感謝申し上げます。

本日は、臨床試験・治験に関して患者の立場から最近の動きをご紹介いたします。治験情報が十分に患者に届いていない現状があると感じております。藤原先生の資料において、臨床試験実施のポテンシャルが高いと示されたことは心強い一方で、国民の理解は十分とは言えないのではないかと考えます。しかし、がんや難病の患者の間では、治験が治療の選択肢の一つとして認識されつつあるのも事実です。

そのため、治験情報をより広く提供し、リクルートを迅速化する取り組みを強化していただきたいと考えます。

また、治験を国や地域単位で推進することも重要と考えます。例えば、大阪の治験グループでは、病院、企業、大学、患者家族などの多様なステークホルダーが連携し、ネットワーク構築や勉強会を通じて、顔の見える関係を形成しています。このような取り組みは、治験の集約化や患者家族の理解促進にも寄与するものと考えます。こうしたソフト面の基盤強化についても支援をご検討いただきたいと思います。

最後に、ラグ・ロスの解消には海外の研究者やスタートアップに選ばれる環境整備が重要です。日本で First in Human や初期の臨床試験が高い質で実施できる体制を可視化し、海外からアクセスしやすい環境を整備することが必要であると考えます。以上です。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございます。では、吉川構成員、手短にお願いいたします。

○ARCH Venture Partners 吉川構成員 承知いたしました。手短に申し上げます。私は海外のベンチャーキャピタルに所属しており、日本のスタートアップが First in Human を国

内で実施するだけでなく、海外スタートアップが日本で実施できるよう取り組んでおります。

藤原オブザーバーのご指摘には全面的に同意いたしますが、現状ではオーストラリアや中国が強力な施策により、スタートアップにとって第一選択肢となっています。他国と同等の水準を達成するだけでは、日本が選ばれるのは難しい状況であり、よりダイナミックな施策が必要であると考えます。以上です。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 時間となりましたので、自由討議はここまでといたします。ありがとうございました。それでは最後に、若山内閣府大臣政務官より閉会のご挨拶をいただきます。

○内閣府 若山大臣政務官 着座にて失礼いたします。創薬・先端医療ワーキンググループ共同議長代理、科学技術政策担当の内閣府政務官の若山でございます。閉会にあたり、一言ご挨拶申し上げます。

本日は活発な意見交換をいただき、誠にありがとうございました。AI 創薬やデータ利活用、研究開発人材育成投資の在り方など、多岐にわたる貴重なご意見を頂戴いたしました。特に「ダイナミックに」というご指摘は、今後の取り組みにおいて重要な視点であると認識しております。

本日の議論を踏まえ、官民投資ロードマップ策定に向け、4点申し上げます。

1 点目は、日本の優れた基礎研究を実用化につなげるため、産学の連携を強化し研究開発を推進すること。

2 点目は、AI やデータ利活用に関する課題を整理しつつ、質の高い研究データが AI 活用を通じて次の創薬につながる好循環を生む仕組みを検討すること。

3 点目は、日本発の創薬に加え、海外からの開発も呼び込める、質とスピードを両立した魅力ある治験実施体制を整備すること。

4 点目は、創薬実用化を担う人材育成と、副業・兼業の活用による人材流動性の向上であります。

以上 4 点について、本日は限られた時間ではございましたが、引き続き皆様のご協力をお願い申し上げ、挨拶とさせていただきます。ありがとうございました。

○内閣府健康・医療戦略推進事務局 仙波次長 ありがとうございました。これをもちまして、第 3 回創薬・先端医療ワーキンググループを終了いたします。本日の議事録は事務局にて作成の上、公開いたします。次回開催につきましては、追って事務局よりご連絡いたします。ご協力ありがとうございました。