

第 2 期医療分野研究開発推進計画の 実行状況について（令和 6 年度版）

目次

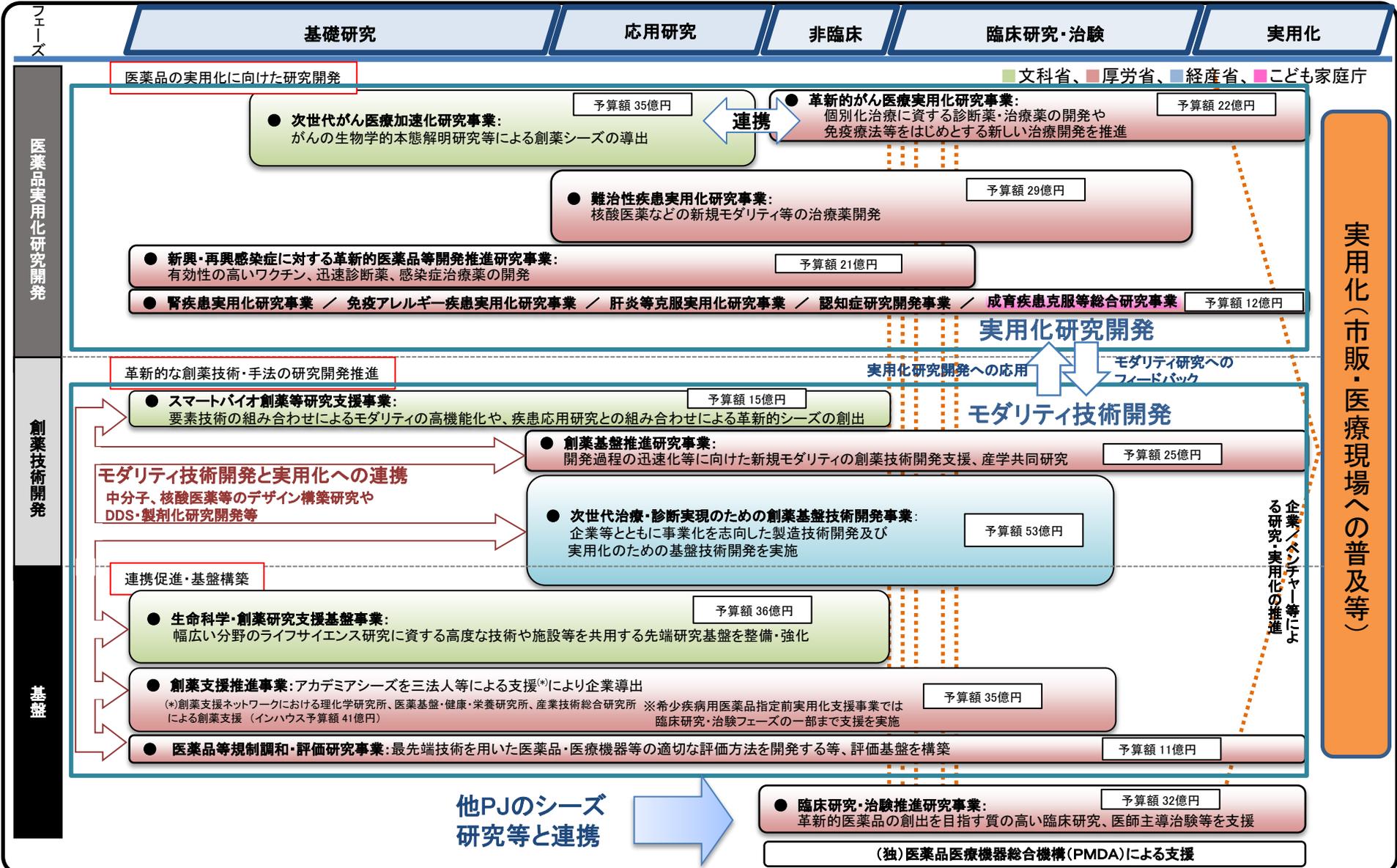
1. 医薬品プロジェクト	P. 2
2. 医療機器・ヘルスケアプロジェクト	P. 7
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	P. 11
4. ゲノム・データ基盤プロジェクト	P. 16
5. 疾患基礎研究プロジェクト	P. 21
6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト	P. 25
7. その他	P. 29

1. 医薬品プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
令和6年度予算 325億円

インハウス研究機関経費
令和6年度予算 41億円

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。また、モダリティに関する基盤的な研究開発を行い、新薬創出を目指す。さらに、創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。



PS・PO等による実用化に向けた進捗管理や支援基盤を積極的に活用した伴走支援により研究開発を推進することで、各種モダリティの医薬品シーズや創薬等の効率化に資する先進手法の多数の企業導出や、アンメットニーズに対する医薬品の薬事承認を達成する等、2024年度末までに目標の多くを達成しており、概ね順調に進捗していると評価できる。第3期においても、新たなモダリティや技術等への対応を更に強化し創薬研究を推進するとともに、研究成果を活用した臨床試験や治験への移行を加速させ、医薬品の実用化を推進する必要がある。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<アウトプット>				
・非臨床POCの取得件数 25件	214件 (46/33/42/47/46)	A	がんや感染症等の多様な疾患を対象として、低分子化合物、抗体医薬、核酸医薬、ワクチン等、様々なモダリティの医薬品シーズの研究開発を進め、疾患モデル動物等を用いた評価系にて効果が確認される等の成果を上げており、2024年度末までの目標を達成した。	
・創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出件数 10件	8件* (3/2/2/1/0)	B	3独法(理研・医薬健康研・産総研)による支援や産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)等の産学連携の枠組みによるシーズ開発の推進、創薬コーディネーターによる伴走支援を通じて、アカデミアが発見した新規メカニズムを基にしたシーズ化合物等の企業導出について、研究支援中における導出は、10件の目標にはわずかに届かなかった。	
・臨床POCの取得件数 5件	37件 (8/11/8/4/6)	A	がんや感染症等の疾患を対象とする治療薬や診断薬について、PMDAへの早期相談を促し、戦略相談の指摘事項等を踏まえた進捗管理を行う等、質の高い臨床試験の支援を通じて、探索的臨床試験において、有効性や安全性に係る良好な結果が得られ、検証的臨床試験に進む課題が見られる等の成果を上げており、2024年度末までの目標を達成した。	
・新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%	83.0% (80.8/81.1/81.0/ 85.9/86.4)	A	創薬基盤推進研究事業において、新たなモダリティ開発に係る課題を採択する等、新モダリティ・先進手法に関する課題の採択を推進した結果、その割合は目標の75%を超えており、順調に進捗していると評価できる。	

* 加えて、支援終了後に、7件の企業への導出と、3件のスタートアップ設立に繋がっていることを確認

※ 「最新の数値」は計画開始から令和6年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4/R5/R6)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

PS・PO等による実用化に向けた進捗管理や支援基盤を積極的に活用した伴走支援により研究開発を推進することで、各種モダリティの医薬品シーズや創薬等の効率化に資する先進手法の多数の企業導出や、アンメットニーズに対する医薬品の薬事承認を達成する等、2024年度末までに目標の多くを達成しており、概ね順調に進捗していると評価できる。第3期においても、新たなモダリティや技術等への対応を更に強化し創薬研究を推進するとともに、研究成果を活用した臨床試験や治験への移行を加速させ、医薬品の実用化を推進する必要がある。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<アウトカム>				
<ul style="list-style-type: none"> シーズの企業への導出件数 60件 	200件 (40/47/48/39/26)	A	PSPOによる実用化に向けた進捗管理や各種技術支援機能の効果的な活用を推進した結果、低分子化合物、抗体医薬をはじめとする各種モダリティの多数のシーズで企業導出が認められており、2024年度末までの目標を達成した。	
<ul style="list-style-type: none"> 薬事承認件数(新薬、適応拡大) 10件 	42件* (9/14/4/7/8)	A	がんや難治性疾患等のアンメットニーズに対する治療薬開発等の継続的な支援の結果、医師主導治験の成果が薬事承認に結びついた事例が認められ、2024年度末までの目標を達成した。	* 追跡調査の結果、R2が3件、R3が1件、R5が2件、増加
<ul style="list-style-type: none"> 創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 120件 	279件 (95/69/38/37/40)	A	先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業(2023年度まで)や次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業等において、PSPOによる実用化に向けた進捗管理や各種支援機能の活用を推進した結果、多数の企業導出が認められており、2024年度末までの目標を達成した。	
<ul style="list-style-type: none"> 研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況 	51件 (13/9/6/8/15)	A	臨床試験に繋がる非臨床安全性試験の支援等を通じて、2024年度の15件を含む51件が臨床試験・治験に移行しており、臨床POC取得、薬事承認につながる成果であることから、順調に進捗していると評価できる。	

※ 「最新の数値」は計画開始から令和6年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4/R5/R6)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

(1) 関係府省の主な取組

創薬基盤推進研究事業、次世代がん医療加速化研究事業、次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業等において、創薬基盤技術を確立するための研究開発を推進した。また、難治性疾患実用化研究事業等において実施した医師主導治験の成果に基づき、医療ニーズの高い難治性疾患を対象とした治療薬の薬事承認を取得した。また、各種モダリティの医薬品シーズ開発を推進し、多数の企業導出を達成した。創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム (BINDS) の技術支援基盤のさらなる拡充を図り、積極的な支援基盤の活用により、医薬品の実用化を推進した。

(2) 顕著な研究開発成果事例

① 新たなモダリティの創出や、各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法、製造技術等の研究開発

- 創薬基盤推進研究事業において、胃がん患者の微量の内視鏡生検検体から、患者毎のリン酸化シグナルの特性を明らかにする技術により、未治療患者が上皮間葉転換 (EMT) タイプ等3つに分類でき、治療の経過によりEMTタイプの割合が増えることを見出し、更に、このEMTタイプの治療法として、受容体型チロシンキナーゼAXL阻害剤とパクリタキセルの併用治療が抗腫瘍効果を有することを確認した。この研究に基づき、難治性の胃がんに対し、効果の高い新たな治療法を提供することが期待される。(図1)
- 次世代がん医療加速化研究事業において、免疫チェックポイント阻害剤 (ICI) が奏効しない患者 (約8割) に見られる腫瘍浸潤リンパ球 (TIL) の機能低下するメカニズム解明に取り組み、がん細胞が有する異常な遺伝子を持つミトコンドリアがTILに伝播することがICI奏効の低下に大きく関わっていることを世界に先駆けて解明した。今後、ICIの新たな治療法開発への発展が期待される。(図2)
- 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業において、健常者の腸内常在細菌の中から、大腸菌等の抑制に重要な役割を果たしている18種類の菌を同定した。この「腸内細菌カクテル」が、多剤耐性菌の重症感染症 (難治性の肺炎など) を引き起こすことが知られているクレブシエラよりも、エネルギー源の一つであるグルコン酸を多く消費することで、クレブシエラの増殖を抑える効果をもつ。この結果は、今後、AMR対策や、大腸菌等によって悪化した炎症性腸疾患の治療としても期待される。(図3)

図1：胃がんEMTタイプに対する治療法開発



図2：変異ミトコンドリアによるがん免疫療法への影響 (メラノーマ/肺がん)

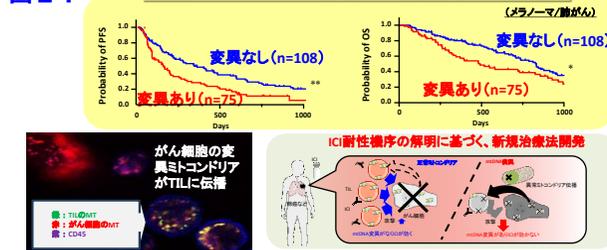
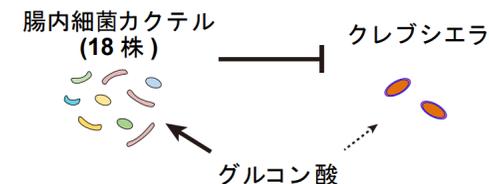


図3：



②モダリティ技術を活用した医薬品の実用化研究開発の推進

- 難治性疾患等の医療ニーズの高い疾患を対象とした医薬品の研究開発を推進した結果、5件の薬事承認に至った。
(臨床研究・治験推進研究事業、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、難治性疾患実用化研究事業：下記承認薬剤)
- また、様々な疾患領域において、標的ごとに適切なモダリティ技術を活用してシーズ研究開発を支援した結果、26件のシーズの企業への導出を達成した。(表1)

AMED支援課題関連の2024年度薬事承認事例

- エドキサバン (低分子)**
世界に先駆けて、肺高血圧と右心不全を呈する希少疾患である慢性血栓塞栓性肺高血圧症患者における血栓・塞栓形成の抑制の効能で適応拡大。
- モノエタノールアミノレイン酸塩 (低分子)**
全身の各所の静脈が海綿状や袋状に拡張し、溜まった血液が瘤のように隆起する先天性の希少疾患である静脈奇形の硬化療法として薬事承認。血管の溜まる箇所を潰す硬化療法に用いる薬剤の世界で初めての薬事承認。
- テコビリマト (低分子)**
痘そう、エムボックス、牛痘、痘そうワクチン接種後のワクチニアウイルスの増殖による合併症に対する治療薬として薬事承認。エムボックス重症患者の治療法の1つになると期待される。
- メチルコバラミン (中分子)**
発症1年以内のALS患者を対象とした医師主導治験により、高用量メコバラミン群がプラセボ群に比べて、ALS機能評価スケール改訂版合計点数の変化量で優越性を示すことを確認し、薬事承認を取得した。
- ファビピラビル (低分子)**
重症熱性血小板減少症候群 (SFTS) ウイルス感染症に対する効能追加。治療薬候補の1つになる。

表1 モダリティ別・疾患領域別シーズ開発課題数 (導出件数)

課題数 (導出件数)	新生物 (腫瘍)	感染症	神経系疾患	消化器系疾患	呼吸器系疾患	循環器系疾患	その他
低分子化合物	78(2)	49	23(4)	3	5	8	29(3)
抗体医薬	45(6)	5	6(1)	1	1	4	11(1)
ワクチン	4	19(1)					1
核酸医薬	32	4	12			2	15
ペプチド医薬	8	4	2				4(1)
細胞再生治療	7(1)	3	2	1(1)			1
その他	89(2)	55(3)	6	6		7	15

*合計：課題数567 (導出件数26)

シーズの企業導出を達成したものは、
 ・「基礎的」「応用」「非臨床試験・前臨床試験」「臨床試験」「治験」のうち「基礎的」に分類されるものが多く3割を占める。
 ・導出元の研究代表者はアカデミアが多く、導出先は大企業(約4割)とベンチャー企業(約4割)が多い。

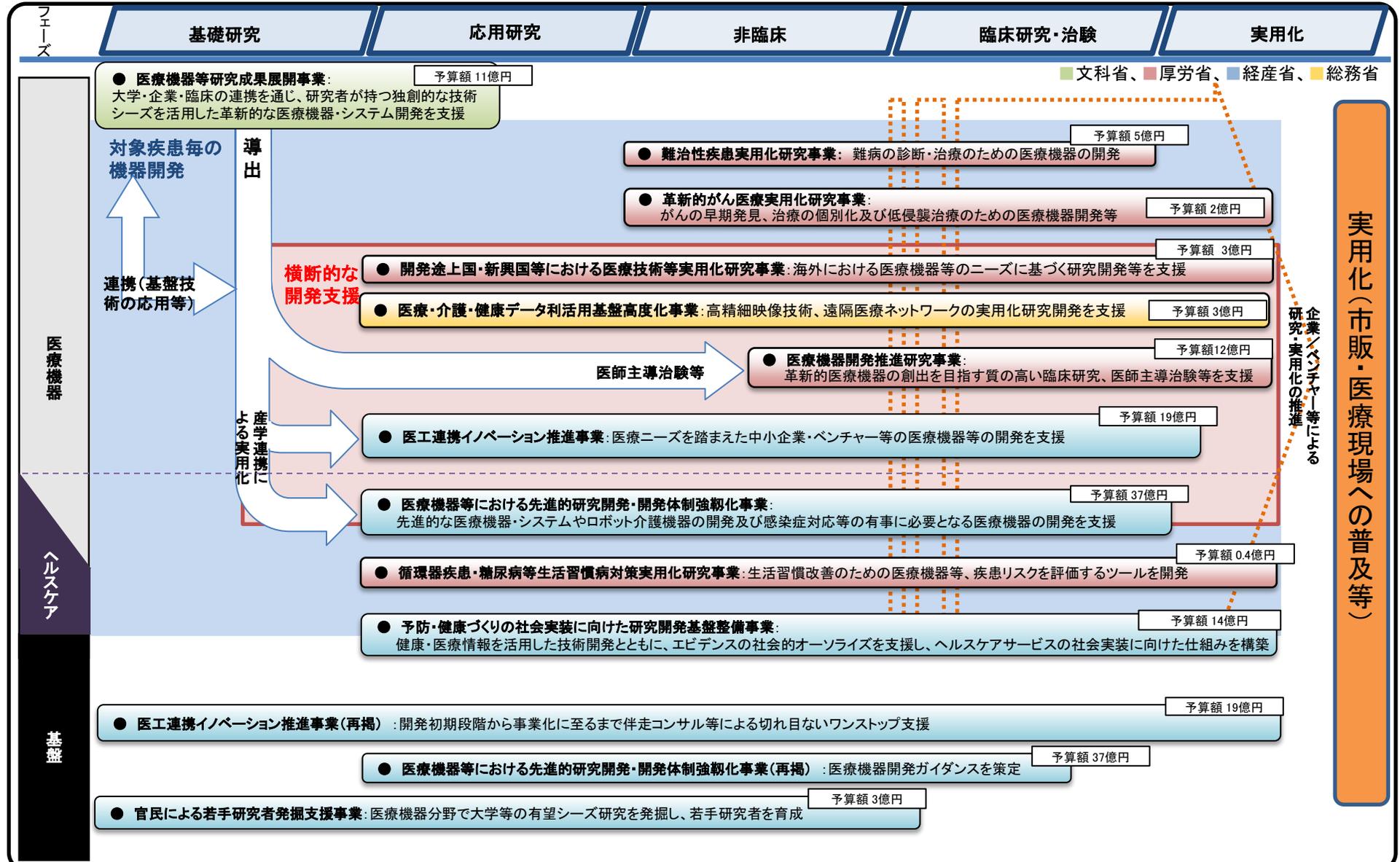
③創薬デザイン技術、化合物ライブラリー、解析機器の共用等、創薬研究開発に必要な支援基盤の構築

- 生命科学・創薬研究支援基盤事業では、創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム (BINDS) におけるこれまでの技術支援基盤に加え、クライオ電子顕微鏡トモグラフィー解析法等、研究支援基盤の高度化を図るとともに、多因子疾患の病態解明に資する空間オミックス解析等の技術支援基盤を拡充した。
- 核酸医薬、中分子医薬、改変抗体等、医薬品のモダリティの多様化や各種技術の高度化に対応したライフサイエンス研究支援基盤の積極的な活用により、今年度2,426課題 (令和7年2月現在) の伴走支援を実施した。

2. 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
令和6年度予算 108億円

AI・IoT技術、計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化や、予防・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。



医療機器・システム等の研究開発支援や開発ガイダンスの策定、医療機器開発支援ネットワークに加え、AMEDが実装した実用化プログラム等による開発支援体制の整備を通じ、医療機器の開発・実用化は着実に進捗した。

令和6年度末までの達成目標	最新の 数値	進 捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<アウトプット>				
・非臨床POCの取得件数 25件	103件 (24/17/4/32/26)	A	産学連携や医工連携を通じて、大学等の研究成果を実用化へ結びつける取組を積極的に進めた結果、着実に成果が創出されたことにより、目標の早期達成につながった。	
・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題の割合 25%	39% (26/48/43/49/48)	A	複数の事業において高い比率でクラスⅢ・Ⅳの医療機器の開発を計画する課題を採択した結果、プロジェクト全体で毎年目標値25%を超える採択と、最終的な目標達成を実現することができた。	
・ヘルスケア関連機器等の実証完了件数 35件	31件 (10/5/3/9/4)	B	毎年着実に必要な件数の採択を進めてきているが、実証完了年度にばらつきがあるため、目標の達成に至らなかった。(なお、第2期終了時点で実証中のものが6件あり、引き続き、実証中の課題を支援し、完了に導くことで成果の創出に取り組む。)	
<アウトカム>				
・シーズの他事業や企業等への導出件数 15件	75件 (6/4/13/27/25)	A	産学連携や医工連携を通じて、大学等の研究成果を実用化へ結びつける取組を積極的に進めた結果、着実に成果が創出されたことにより、目標の達成につながった。	
・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数 20件	10件 (0/2*/3/3/2)	B	令和6年度は医療機器開発推進研究事業においてクラスⅢ医療機器2件の薬事承認があったが、目標の達成に至らなかった。これは各事業でのクラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題の割合は39%(第2期中)であったが、これらの薬事申請までに時間を要することが未達要因と考える。今後はこれら採択課題の成果がクラスⅢ・Ⅳ医療機器として承認されることを目指して、切れ目のない支援を行う。	* 追跡調査の結果、R3が1件増加
・ヘルスケア関連機器等の上市等の件数 10件	10件 (1/4/1/1/3)	A	令和6年度は3件の上市があり、目標を達成した。令和6年度に実施したヘルスケア領域の実用化に向けた伴走支援の試行に基づき、さらに上市の加速に取り組む。	
・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	80件 (23/21/15/11/10)	A	臨床試験や治験への移行を対象フェーズとしている事業において、多数の課題の移行が順調に進捗した。	

※ 「最新の数値」は計画開始から令和6年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4/R5/R6)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

(1) 関係府省の主な取組

- 医療機器等における先進的研究開発・開発体制強化事業において、医療のあり方の大きな転換を実現し新たな市場を切り拓く、最先端の科学技術を駆使した医療機器・システムや、将来の医療機器につながる要素技術及び感染症・各種災害等の対応に必要な医療機器等の研究開発を支援。また、医療機器の実用化を促進するための開発ガイダンスの策定等を支援。
- 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において、ヘルスケアサービスのエビデンス構築から整理、社会実装に至るまでの研究開発および基盤整備の支援。
- 医療機器開発推進研究事業において、より安全な医療技術を提供するために、治験・臨床研究へ効果的に橋渡しすることで正確な診断・高度な治療を可能とする実用化の見込みが高い革新的な医療機器の開発を重点的に支援。
- 医療機器等研究成果展開事業において、アカデミア、企業及び臨床医の連携を通じて、研究者が持つ独創的な技術シーズを活用した、革新的な予防、診断、治療を可能とする医療機器・システム開発の実用化へ向けて支援

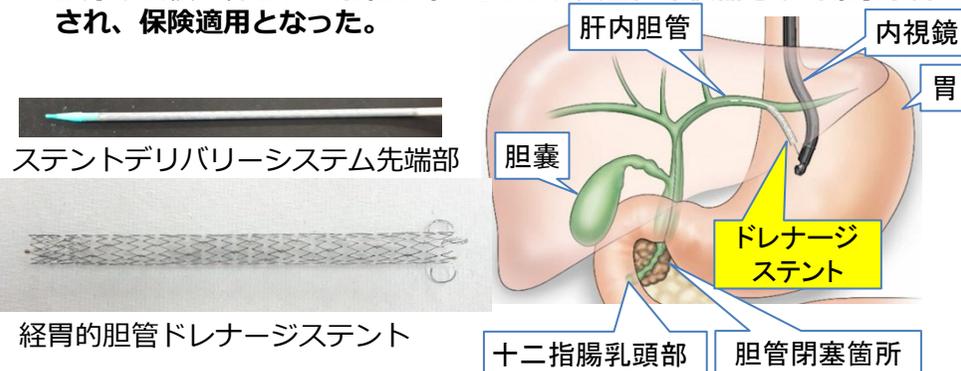
(2) 研究開発成果事例

悪性胆管閉塞に対する超音波内視鏡下経胃的胆管ドレナージ術専用システムの有用性を検証する医師主導治験

(医療機器開発推進研究事業)

和歌山県立医科大学、順天堂大学、大阪医科薬科大学、近畿大学、国立がん研究センター、静岡がんセンター

- 悪性胆管閉塞症患者に対して、閉塞性黄疸症の治療として経乳頭的内視鏡的ドレナージ術が従来実施されてきたが、胆管を閉塞する悪性腫瘍の進行に伴い十二指腸乳頭部の到達が困難な症例がある。
- そのような症例に対して**超音波内視鏡下で胃から肝内胆道を穿刺し、経胃的に肝内胆管にドレナージ**を実施する際に使用する新規専用ステントについて安全性及び有効性を検証する医師主導試験を実施した。
- 良好な成績が得られ、**令和6年9月にクラスⅢ医療機器として薬事承認され、保険適用となった。**

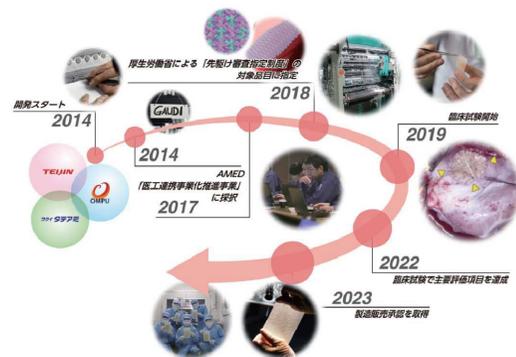


小児の心臓再手術リスクを減らすための心・血管修復パッチ「シンフォリウム®」

(医工連携イノベーション推進事業)

大阪医科薬科大学、帝人株式会社、福井経編興業株式会社

- 先天性心疾患の手術治療では、パッチ状の医療材料が使用され、その多くは新生児や幼児の時期に行われる。既存の材料では、異物反応による劣化、身体成長によるサイズ不適合などによって狭窄等に至る事があり、その際の再手術によるパッチ交換が課題となっていた。
- 既存材料の課題解決のため、本研究では、再手術リスクの低減が期待できる、吸収性の糸と非吸収性の糸を用いた特殊な構造のニットに吸収性架橋ゼラチン膜を複合化した**心・血管修復パッチ「シンフォリウム®」の開発**に取り組んだ。
- 平成30年に先駆的医薬品等指定制度に指定され、平成31年から開始した治験が令和4年に完了。
- 令和5年1月に帝人メディカルテクノロジー株式会社が製造販売承認を申請し、令和5年7月に**クラスⅣ医療機器**として製造販売承認を取得。さらに令和6年3月に保険適用を受け、**令和6年6月に販売を開始した。**



(2) 研究開発成果事例

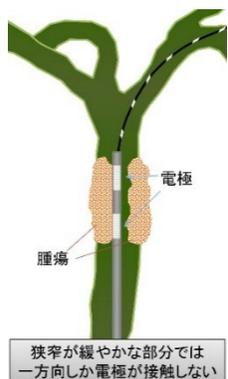
内視鏡的胆管内バルーンアブレーション治療に関する研究開発 (医療機器等研究成果展開事業)

愛知医科大学、日本ライフライン(株)、福井大学

- ・ 予後不良な胆管癌の治療成績改善を目的に、世界初の内視鏡的胆管内バルーンアブレーション(焼灼)治療を開発した。
- ・ 本治療法ではまず内視鏡的にバルーンカテーテルを胆管癌病巣まで進め、バルーンを液体で膨らませて調整することで様々な幅と長さの狭窄部に対応する。そしてバルーン内の液体を厳格な温度コントロールのもとに通電加熱し、胆管内から腫瘍組織を焼灼して癌細胞を凝固壊死させる。
- ・ 既存の治療法に比べてより低侵襲に胆管癌治療を行うことができる画期的な治療法となる。
- ・ 本研究開発は、令和5年度においてクラスⅢ相当として採択され、動物実験にて焼灼条件設定を確立し、要求仕様を満たすプロトタイプ機を完成させた。また治験プロトコル相談を完了し、治験の目処が立ったため前倒しで本事業を完了し、次の段階を支援する事業を目指すこととなった。



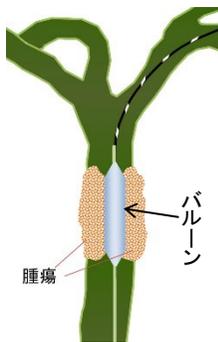
従来のアブレーションカテーテル



狭窄が緩やかな部分では一方しか電極が接触しない



バルーンアブレーションカテーテル



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)

予防・健康づくりに関する指針等の策定

<https://healthcare-service.amed.go.jp/>



- ・ ヘルスケアサービス・製品の非薬物的介入の有用性を、医学会が大規模かつ統一的な方法により検証し、国内で初となる指針を策定した。
- ・ 公的医療保険外のヘルスケアサービス・製品(以下ヘルスケアサービス等)の有用性エビデンスを評価・整理して提示することは、ヘルスケアサービス等の事業者と利用者(健康経営企業、自治体)双方のエビデンスに基づく意思決定を促進し、ヘルスケア産業の健全な育成に繋がる。
- ・ そこで、ヘルスケアサービス等のうち非薬物的介入(例 DXを活用した運動促進や栄養管理、認知トレーニング等)の有用性をシステムティックレビューにより検証し、介入の推奨度を5段階で評価した。
- ・ 介入の選定・評価は、7疾患領域の一次予防を対象とし、30以上の関連医学会が参画して、領域ごとの指針を策定した。
- ・ 有用性エビデンスが十分でない介入は推奨を保留し、今後のエビデンス構築が重要となる内容を学会より提案した。

健康課題	中心学会
糖尿病	日本糖尿病学会
高血圧症	日本高血圧学会
慢性腎臓病	日本腎臓学会
認知症	日本認知症学会
サルコペニア・フレイル	日本サルコペニア・フレイル学会
メンタルヘルス	日本産業衛生学会
働く女性の健康	日本産業衛生学会

推奨度(5段階)
1. 行うことを強く推奨
2. 行うことを提案
3. 行わないことを提案
4. 行わないことを強く推奨
5. エビデンス不十分のため推奨・提案を保留

デジタル技術を活用した血圧管理に関する指針(日本高血圧学会)

Healthcare Question (HCQ*)	推奨度
1 カフ血圧計を用いた家庭での血圧自己測定(家庭血圧測定)の介入は、成人の血圧低下に効果があるか?	強く推奨
2 さまざまなウェアラブルデバイスによる介入は、成人の血圧に有益な効果をもたらすか?	推奨・提案を保留
3 尿中ナトリウム/カリウム比または食事/尿中ナトリウム濃度測定デバイスを用いた介入は、成人において血圧を低下させるか?	提案
4 血圧管理を目的としたスマートフォンアプリによる介入は、成人において血圧を低下させるか?	提案
5 デジタル技術を活用した遠隔医療・保健指導は、成人の血圧に有益な効果をもたらすか?	提案
6 AIを使用した診療支援・保健指導支援は、成人において血圧を低下させるか?	推奨・提案を保留

* 健康に関する課題を解決していくうえで検討されるべき疑問点

①再生・細胞医療と遺伝子治療の「融合」を推進し、各事業の再生・細胞医療とin vivo遺伝子治療が融合したサブプログラムの設計、必要な基盤構築や研究開発を推進、②基礎研究の成果の「実用化」への推進のため、AMEDと連携して課題支援体制強化施策の実施、③戦略的な国産技術の研究開発の推進と社会への発信などに取り組み、④多くのシーズが臨床での有効性を実証する段階に移行し、すべてのKPI目標を大きく超過達成した。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<アウトプット>				
・非臨床POCの取得件数 25件 [うち遺伝子治療 5件]	123件 (14/11/54/26/18) [67件 (13/10/17/17/10)]	A	R6年度は、再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム/再生医療実現拠点ネットワークプログラム12件(うち遺伝子治療4件)、再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業1件(うち遺伝子治療1件)、難治性疾患実用化研究事業5件(うち遺伝子治療5件)となった。	
・研究成果の科学誌(インパクト ファクター5以上)への論文掲 載件数 400件*	661件 (107/137/206/114 */97)	A	再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム/再生医療実現拠点ネットワークプログラムを中心に、再生医療等実用化研究事業、難治性疾患実用化研究事業、再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業等からR6年度は97件の論文が発表された。 <small>過去の論文リストに重複が判明したため、令和2～5年度の法人評価時より令和5年度が1件減少している。</small>	※クラリベイト InCites Benchmarking より集計
・治験に移行した研究課題数 20件 [うち遺伝子治療 2件]	39件(11/7/9/8/4) [19件(6/3/6/1/3)]	A	基礎から実用化へのシームレスな支援により、治験に移行する課題が堅調に推移しておりR6年度も新たに4件(うち遺伝子治療3件)が治験に移行した。	
・研究成果の科学誌(インパクト ファクター5未満等の他の科学 誌)への論文掲載状況	692件 (200/126/123/12 5/118)	A	「研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数」の記載と同様に、インパクトファクターが高い科学誌のみならず、多くの論文が掲載されたため、十分な進捗がみられると評価できる。	※クラリベイト InCites Benchmarking より集計
・臨床研究に移行した研究課題 数[うち遺伝子治療の研究課 題数]	17件(4/4/4/3/2) [1件(0/1/0/0/0)]	A	既に臨床研究、治験による知見が蓄積されている領域では臨床研究を経ずに治験開始を目指す課題が多いが、新たな技術領域での臨床研究への移行も順調に進捗しており、R6年度は計2件が移行したことから、十分な進捗がみられると評価できる。うち、遺伝子治療は、薬事承認されたプラットフォームを使用した研究が多く、治験が優先されているため、臨床研究に移行した研究課題数が少なくなっている。	

※「最新の数値」は計画開始から令和6年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4/R5/R6)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

①再生・細胞医療と遺伝子治療の「融合」を推進し、各事業の再生・細胞医療とin vivo遺伝子治療が融合したサブプログラムの設計、必要な基盤構築や研究開発を推進、②基礎研究の成果の「実用化」への推進のため、AMEDと連携して課題支援体制強化施策の実施、③戦略的な国産技術の研究開発の推進と社会への発信などに取り組み、④多くのシーズが臨床での有効性を実証する段階に移行し、すべてのKPI目標を大きく超過達成した。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<アウトカム>				
・シーズの他事業への導出件数 30件	80件 (9/5/28/21/17)	A	R6年度は17件と引き続き多くの件数のシーズが他事業へ導出された。	
・企業へ導出される段階に至った研究課題数 10件 [うち遺伝子治療 2件] [うち企業へ導出された件数 2件]	63件 (9/3/26/12/13) [17件 (5/2/2/1/7)] [35件 (6/1/14/7/7)]	A	R6年度は、再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム/再生医療実現拠点ネットワークプログラム1件(うち遺伝子治療1件、うち企業に導出されたもの1件)、再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業10件(うち遺伝子治療4件、うち企業に導出されたもの5件)、難治性疾患実用化研究2件(うち遺伝子治療2件、うち企業に導出されたもの1件)が企業へ導出される段階となった。	
・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 2件以上 <small>* 追跡調査の結果、令和2～5年度の法人評価時より令和3年度が1件増加している。</small>	6件 (1/3*/1/1/0)	A	R6年度は、再生医療実現拠点ネットワークプログラムにおける「視機能再生のための複合組織形成技術開発および臨床応用推進拠点」が先進医療Bとして審議中である。	*先進医療区分B 2件、医療機器区分1件を含む
・関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況	—	A	R6年度は、産業化事業課題でのUSPIにおけるExpert Panelへの就任(ベクターに関する局方改定)等10件に参画等、十分な進捗がみられると評価できる。	
・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	56件 (15/11/13/11/6)	A	R6年度は、治験移行4件、臨床研究移行2件に加え、海外治験開始2件があり十分な進捗がみられると評価できる	
・遺伝子治療の製造に関する要素技術の研究開発の進展状況	181件 (48/38/47/29/19)	A	R6年度は、再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム/再生医療実現拠点ネットワークプログラム3件、再生医療等実用化基盤整備事業1件のアカデミア向け製造受託体制を構築、再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業13件、難治性疾患実用化研究事業2件があり十分な進捗がみられると評価できる。	

※ 「最新の数値」は計画開始から令和6年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4/R5/R6)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

(1) 関係府省の主な取組

- ・AMEDにおいて、文部科学省の当該分野における「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム」の成果を、厚生労働省「再生医療等実用化研究事業」「難治性疾患実用化研究事業」「革新的がん医療実用化研究事業」に橋渡しするとともに、経済産業省「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業」による産業基盤の構築の推進など、実用化に向け基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行っている。
- ・厚生労働省におけるPMDA再生医療等製品インタープレターによる規制支援体制、経済産業省、厚生労働省における製造人材育成を強化した。
- ・文部科学省において、経済産業省との連携により次世代iPS細胞の自動製造技術の研究開発を加速するとともに、萌芽的シーズの発掘・育成に繋がる挑戦的な研究開発を推進した。

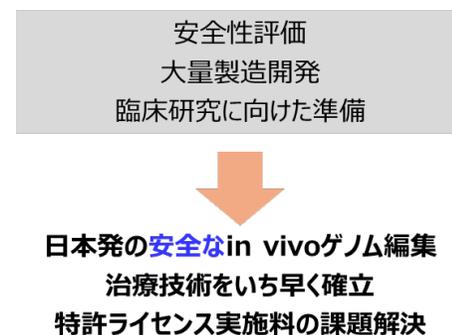
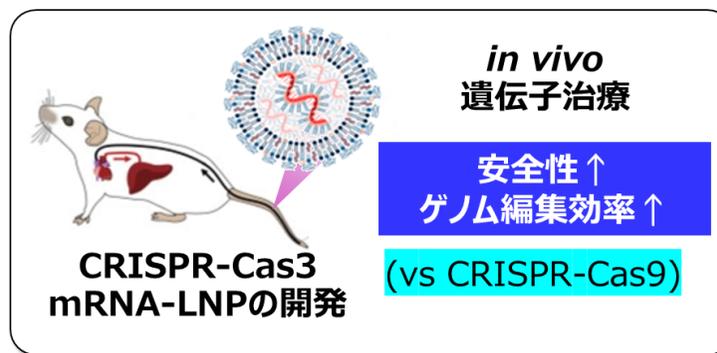
(2) 顕著な研究開発成果事例

・CRISPR-Cas3システムによるin vivo遺伝子治療技術を構築

- 東京大学医科学研究所(真下知士教授ほか)は、国産遺伝子編集技術であるCRISPR-CAS3システムにおける動物実験において、オフターゲット変異の観点で極めて安全性の高いデータを得た。

参照: 学会発表

<https://square.umin.ac.jp/jsqct2024/program.html>



【再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム】

図 国産ゲノム編集ツールを用いた治療基盤の開発

(2) 顕著な研究開発成果事例

・視覚再生遺伝子治療薬「RV-001」による重症網膜色素変性症のPI/II治験を開始し、1例目の投与を完了

➤慶應義塾大学医学部眼科学教室と名古屋工業大学の共同研究に基づき株式会社レストアビジョンによって開発された視覚再生治療製剤「RV-001」の企業治験において、1例目の患者への投与が2025年2月6日、慶應義塾大学病院にて実施された。

参照: プレスリリース

<https://www.keio.ac.jp/ja//press-releases/files/2025/2/13/250213-1.pdf>

【難治性疾患実用化研究事業】

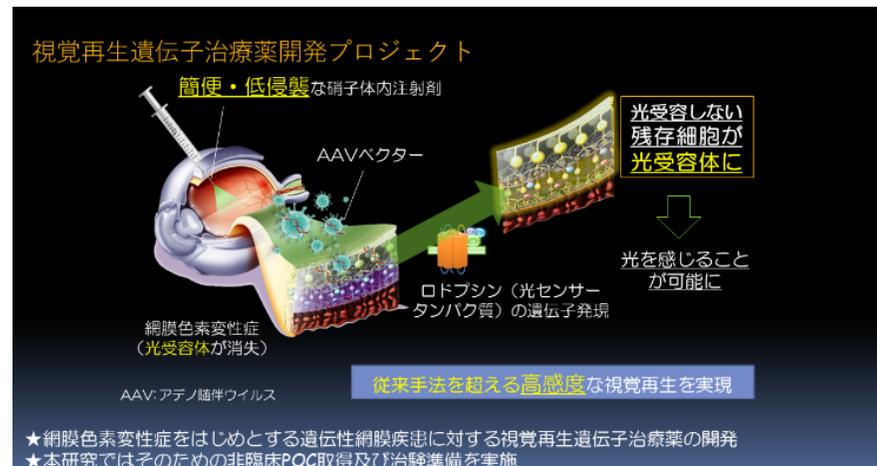


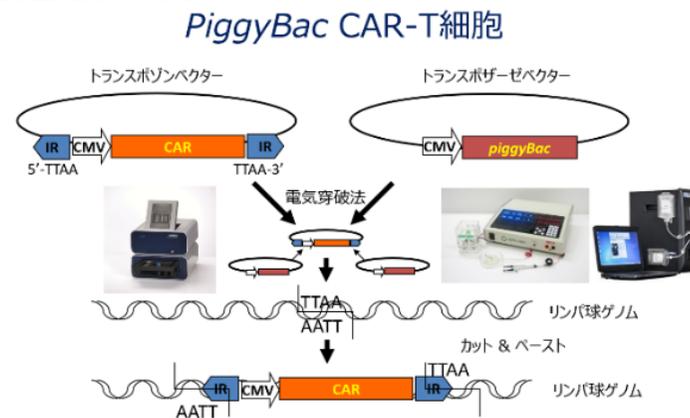
図 視覚再生遺伝子治療

・日本独自のウイルスを使用しない遺伝子改変T細胞療法の豪州治験準備中

➤信州大学(中沢洋三教授ほか)は、CD116陽性急性骨髄性白血病および若年性骨髄単球性白血病を対象とする非ウイルス遺伝子改変GMR CAR-T細胞(R03)、HER2陽性の再発・進行骨・軟部肉腫と婦人科悪性腫瘍を対象とする非ウイルス遺伝子改変HER2 CAR-T細胞(R04)、EPHB4受容体発現のユーイング肉腫又は固形がんを対象とした非ウイルス遺伝子改変CAR-T細胞療法(高持続性、低コスト)が、令和5年度に医師主導治験を開始し、令和6年度に豪州での治験の準備を進めた。

【再生医療等実用化基盤整備促進事業

／再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業】



Electronic & Bio-fuel CARs

図 非ウイルス遺伝子改変技術によるCAR-T細胞の作製 (信州大学HPより)

4. ゲノム・データ基盤プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
令和6年度予算 166億円

インハウス研究機関経費
令和6年度予算 18億円

ゲノム・データ基盤の整備・利活用を促進し、ライフステージを俯瞰した疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進することで、病態解明を含めたゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。

■ 文科省、厚労省、経産省、■ 文科省、■ 厚労省、■ 総務省、■ こども家庭庁

ゲノム・医療データを活用した研究

主にゲノムデータを活用した研究

- **ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(B-cure)**
(ゲノム医療実現推進プラットフォーム、次世代医療基盤を支えるゲノム・オミックス解析):
バイオバンク横断検索システム構築や研究プラットフォームを活用したゲノム解析等による基盤研究開発、戦略的ゲノム・オミックス解析による基盤データの整備
予算額 43億円の内数
- **革新的がん医療実用化研究事業:**
がんに係る情報の集積と活用による創薬、個別化医療、早期診断等に向けた治療法や医療機器開発、研究
予算額 43億円
- **難治性疾患実用化研究事業:**
難病の発症や疫学、診断方法に資するゲノム・臨床データ等を集積、共有化し、エビデンスを創出
予算額 33億円
- **認知症研究開発事業:**
認知症に関するコホート研究、ゲノム等情報の集積と活用
予算額 9億円

がん・難病全ゲノム解析等実行プログラム(事業間連携)

主に医療データを活用した研究

- **医療高度化に資するPHRデータ流通基盤構築事業**
医工連携・人工知能実装研究事業 / 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業 / 肝炎等克服実用化研究事業 / 免疫アレルギー疾患実用化研究事業 / 移植医療技術開発研究事業 / 障害者対策総合研究開発事業(精神障害分野、身体・知的・感覚器障害分野) / 女性の健康の包括的支援実用化研究事業 / 「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業 / メディカルアーツ研究事業
予算額 27億円

研究の推進
研究基盤の利活用促進

ユーザービリティのフィードバック
解析データの登録

データ統合利活用プラットフォームの整備

- **健康・医療研究開発データ統合利活用プラットフォーム事業:**
ゲノム情報をはじめAMED事業で収集されるデータの利活用基盤の構築
予算額 8億円
※上記に加えて、一部AMED運営費交付金にて措置

AMEDが支援する研究開発で得られるその他のデータ

バイオバンクの整備と利活用の促進

- **ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(B-cure)(東北メディカル・メガバンク):**
健康人ゲノムコホートを構築するとともにゲノム研究基盤を構築
予算額 43億円の内数
- **ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(B-cure)(ゲノム研究バイオバンク):**
我が国のゲノム研究基盤となる全国規模かつ多様な疾患を対象とした
予算額 43億円の内数
双方向性バイオバンクの構築
- **ナショナルセンターバイオバンクネットワーク(NCBN):**
臨床試料と電子カルテから抽出した精度の高い臨床情報を収集・整備
インハウス研究機関経費 予算額 11億円

- **ゲノム創薬基盤推進研究事業:** 全ゲノム情報等を活用した新規創薬ターゲットの探索等のための情報基盤整備
予算額 3億円

- **ゲノム診断支援システム整備・運営事業/NCIにおける治験・臨床研究推進事業:** 各国立高度専門医療研究センターでゲノム情報を診断に活用するための基盤整備及び治験等の推進
インハウス研究機関経費 予算額 7億円

他のプロジェクトの研究へ展開・連携

1. 医薬品PJ
2. 医療機器・ヘルスケアPJ
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療PJ

ゲノム・医療データ研究開発

基盤

新たな医療技術研究の実装化を加速させ、5年間におけるKPI目標を大きく達成できた。総合的に見て、本プロジェクトは順調に進捗したと評価できる。研究で創出されたデータや研究体制は、次なる研究開発への利活用、展開が期待される。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<アウトプット>				
・非臨床POCの取得件数 5件	12件 (1/1/3/2/5)	A	初年度より継続的に「ゲノム創薬基盤推進研究事業」「メディカルアーツ研究事業」から、R6年度は新たに「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業」からの取得があった	
・臨床POCの取得件数 10件	23件 (3/0/9/9/2)	A	「革新的がん医療実用化研究事業」「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業」より、医師主導治験による診療ないし治療ガイドラインへの掲載に伴う取得があった	
・研究成果の科学誌(インパクト ファクター5以上)への論文掲載 件数 900件	1868件 (217/415/467 /353/416)	A	ゲノム・データ基盤プロジェクト内の全事業の研究開発成果として、論文掲載はR5年度に若干の減少に至ったが、継続性のある研究成果が創出された	クラリベイト InCites Benchmarking より集計
・新たな疾患発症メカニズム解明 件数 10件	69件 (18/8/8/17/18)	A	「肝炎等克服実用化研究事業」「ゲノム創薬基盤推進研究事業」「ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(ゲノム医療実現推進プラットフォーム)」「女性の健康の包括的支援実用化研究事業」「循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業」の各事業より、達成目標値を超える成果が創出された。なお、R6年度は、バイオバンク基盤の利活用から「ゲノム研究を創薬等出口に繋げる研究開発プログラム」を促進したことが成果増加に貢献した	
・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関 連遺伝子の同定数 25件	202件 (70/36/25/19/ 52)	A	主に「難治性疾患実用化事業」「ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(ゲノム医療実現推進プラットフォーム)」より順調に成果が創出され、同定に至る解析過程の難易度が高い未診断疾患や精神・神経疾患、肝炎、免疫アレルギー疾患などを対象とする中でも一定の成果が創出された。さらに、データ基盤の利活用を促進し「ゲノム研究を創薬等出口に繋げる研究開発プログラム」の過程で関連遺伝子が見いだされたことを注視したい	

※ 「最新の数値」は計画開始から令和6年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4/R5/R6)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

新たな医療技術研究の実装化を加速させ、5年間におけるKPI目標を大きく達成できた。総合的に見て、本プロジェクトは順調に進捗したと評価できる。研究で創出されたデータや研究体制は、次なる研究開発への利活用、展開が期待される。

2024年度末までの達成目標	最新の数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
----------------	-------	----	---------------------------------------	------------------

<アウトプット>(続き)

<ul style="list-style-type: none"> データ基盤構築の状況(連携、解析体制を含む) 	-	A	「障害者対策総合研究開発事業」では、精神疾患レジストリ(マイレジストリ)の「薬機法申請に資するデータ基盤システム」を活用し、薬事承認のプロセスに貢献。「循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研事業」では、RNF213 p.R4810Kバリエーションの大規模循環器病レジストリを構築、「ゲノム創薬基盤推進研究事業」では、疾患標的遺伝子に係る全ゲノム解析やゲノム多型データベースの利活用促進の体制を整備した	
<ul style="list-style-type: none"> アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績 	464件 (50/62/91/125/136)	A	「ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(ゲノム医療実現推進プラットフォーム、ゲノム研究バイオバンク、東北メディカル・メガバンク計画)」及び「ゲノム創薬基盤推進研究事業」より、継続的なデータ基盤の利活用が行われた	
<ul style="list-style-type: none"> 研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況 	2918件 (662/570/497/495/694)	A	ゲノム・データ基盤プロジェクト内の全事業の研究開発成果として、R4年度と同数程度の論文掲載に至っており、研究成果が継続的に創出された	クラリベイト InCites Benchmarking より集計

<アウトカム>

<ul style="list-style-type: none"> シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 25件 	74件 (24/9/10/8/23)	A	「メディカルアーツ研究事業」:9件(医療技術関連企業との共同開発や他事業連携)、「ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(ゲノム医療実現推進プラットフォーム)」:10件(バイオ医薬品関連企業との共同研究や他事業連携)の導出となり、累計8事業からの多種多様な導出が、成果目標値の達成につながった。なお、主な企業導出は共同研究契約やライセンスアウトとなっている	
<ul style="list-style-type: none"> 臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 15件 	25件 (4/8/5/5/3)	A	「肝炎等克服実用化研究事業」から、順調に成果が創出された	
<ul style="list-style-type: none"> 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 5件 	10件 (2/3/0/3/2)	A	「ゲノム創薬基盤推進研究事業」から順調に成果が創出された	

※ 「最新の数値」は計画開始から令和6年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4/R5/R6)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

(1) 関係府省の主な取組

ゲノム医療協議会と健康・医療データ利活用基盤協議会の合同開催における議論も踏まえ、全ゲノム解析の実施や日本人のゲノムデータの戦略的整備を進めるとともに、それらのゲノム・データ基盤構築のため、関係各省において以下の取組を推進した。

- 文部科学省においては、バイオバンクの利活用を促進するため、我が国の強みを生かした大規模ゲノムデータ基盤の構築や、バイオバンク自らが社会実装のモデルとなる研究を実施するとともに、多因子疾患の発症リスク予測・個別化予防等を実現する研究開発等を推進した。
- 厚生労働省においては、革新的がん医療実用化研究事業と難治性疾患実用化研究事業の事業間連携の取組である「がん・難病全ゲノム解析等実行プログラム」により大規模データの構築と全ゲノム解析等の臨床的有用性に関する研究を推進した。また、認知症研究開発事業におけるデータベースの構築・充実やその利活用を通じた病態の解明、診断法の開発等を進めた。こども家庭庁においては、成育疾患実用化研究事業において、新たな診断法の開発等を進めた。
- 文部科学省、厚生労働省、経済産業省においては、「AMEDデータ利活用プラットフォーム (CANNDs)」の正式なサービス提供を開始するとともに、年間を通して安定なシステム運用の達成に貢献した。更に、CANNDs上のデータを研究に利活用する可否を判断するためのデータ利用審査会を設置し、AMEDが自身でその審査を行うなどの体制構築を進め、ゲノムデータの利活用を進める取組を推進した。

(2) 顕著な研究開発成果事例

① 脊髄髄膜瘤胎児手術の先進医療認定により新たな胎児治療の実用化へ進展

脊髄髄膜瘤の現行の治療法では、神経学的後遺症に対する生涯に渡る医療ケアを必要とする。難治性疾患実用化研究事業である「脊髄髄膜瘤胎児手術の先進医療による実用化促進」において、胎児手術の有効性・安全性を本邦で初めて示し、R7年2月に先進医療の認定を受けた。難病患者のライフコースを変え得る新たな治療法の実用化に資するエビデンスを創出することで、難病医療の発展に寄与した。今後、多症例での安全性・有効性を踏まえ関連学会から保険適応への申請を行う方針であり、この手術により、本邦胎児脊髄髄膜瘤の中絶率の減少、児の神経予後の改善、医療費の削減が期待される。(図1)

② 3つの臨床試験の結果が肺癌診療ガイドラインに掲載

革新的がん医療実用化研究事業である「非浸潤または小型非小細胞肺癌に対する標準的機能温存術の確立に関する研究」により、日本臨床腫瘍研究グループ (JCOG) で実施された3つの臨床試験の結果が、臨床病期IA 1-2期非小細胞肺癌で外科切除可能な患者に対する適切な術式として、肺癌診療ガイドライン2024年版に掲載された。また、充実成分最大径/腫瘍最大径比の数値によって、推奨する手術手法を確立した。(図2)

図1：脊髄髄膜瘤胎児手術の先進医療への展開

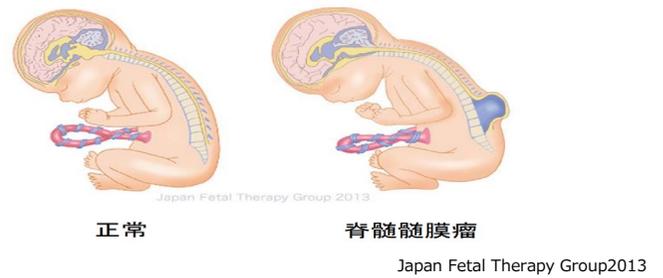
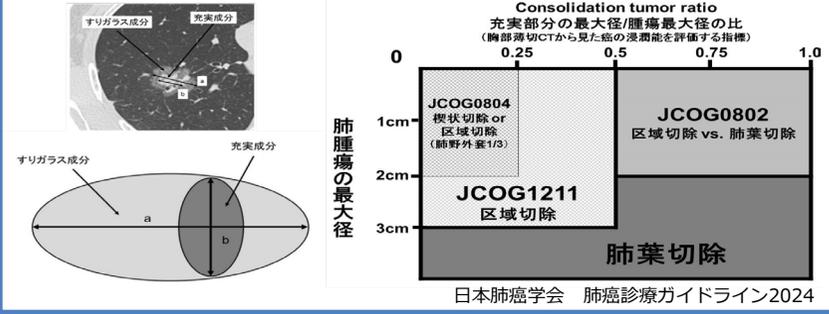


図2：3つの臨床試験の結果が肺癌診療ガイドラインに掲載



(2) 顕著な研究開発成果事例

③ 心筋梗塞の新たな治療ターゲットを発見—心筋梗塞の後に生じる時間的・空間的な遺伝子発現の変化を網羅的に解析—

ゲノム医療実現バイオバンク活用プログラム（先端ゲノム研究開発）事業である「マルチオミクス連関による循環器疾患における次世代型精密医療の実現」において、シングルセル解析及び空間的遺伝子発現解析よりIGFBP7が心筋細胞・老化血管内皮細胞から分泌されて心筋のミトコンドリア代謝を抑制することを解明した。プロテオーム解析で重症心不全患者に特徴的な血中IGFBP7を同定することによりヒト臨床検体で心筋梗塞微小環境におけるIGFBP7発現を確認した。また、IGFBP7ワクチン治療で心筋ミトコンドリアを回復して心不全を治療できることを確認し、実用化に向けて株式会社ファンベップと連携を進めている（特許取得済）。心不全患者に対する重症化バイオマーカーとしての血中IGFBP7の有効性について、心不全診療ガイドライン2025年改訂版へ反映された。本成果及び治療抵抗性の重症心不全を遺伝的に発症するLMNA遺伝子変異の発見により（Tobita, Komuro et al. Sci Rep. 2018; Yamada, Komuro et al. Science Adv. 2023; Ito, Komuro et al. Circulation. 2024）、心不全の診療に遺伝学的検査の項目が初めて追加されることとなった。（図3）

④ 母子感染（トキソプラズマ感染）のリスク評価と先天性感染の新たな診断・予防法の開発の臨床実用化

成育疾患克服等総合研究事業である「母子感染のリスク評価と先天性感染の新たな診断・予防法の研究開発」により、妊婦血液中のトキソプラズマIgG抗体アビディティを検査する体外診断用医薬品「Toxo-IgG Avidity・アボット」が、2024年10月に厚生労働省から製造販売承認を取得した。本検査薬は現行の抗トキソプラズマ抗体検査で妊娠初期に感染が疑われた場合に追加検査として使用でき、アビディティ検査結果が高値であった場合はトキソプラズマ原虫に感染後4ヶ月以上経過したことを強く示すため、医師と相談の上で妊婦は分娩までの長期間に渡って投与される発症抑制薬（抗菌薬）の中止を検討することができる。（図4）

図3：心筋梗塞の新たな治療ターゲットを発見

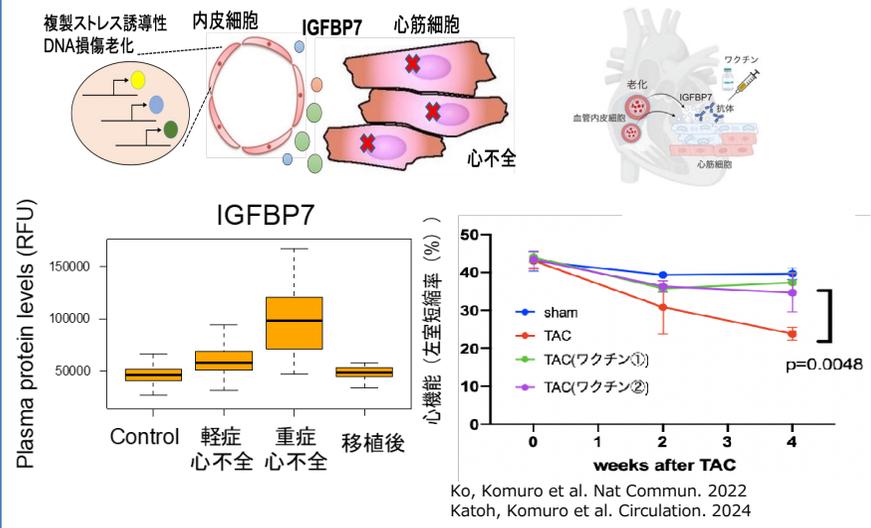
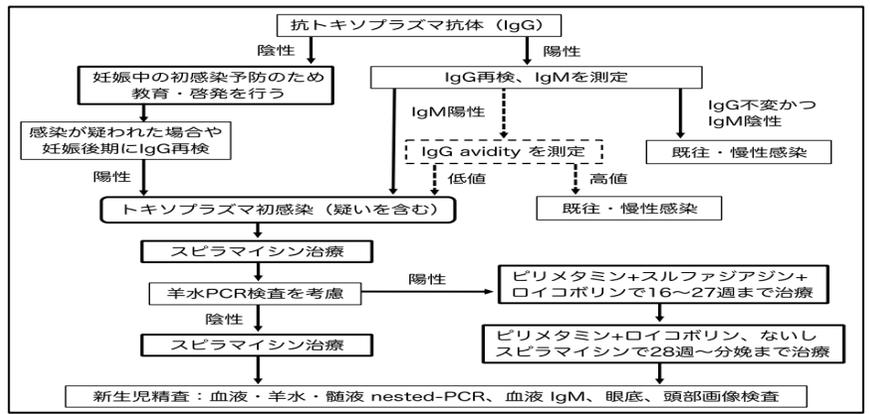


図4：母子感染（トキソプラズマ感染）のリスク評価と先天性感染の新たな診断・予防法の開発の臨床実用化



「サイトメガロウイルス、トキソプラズマ等の母子感染の予防と診療に関する研究班ホームページ (http://cmvtoxou.umin.jp) より転載
最終アクセス日：2025年4月17日」

5. 疾患基礎研究プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
令和6年度予算 150億円

医療分野の研究開発への応用を目指し、脳機能、免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

■ 文科省、■ 厚労省、■ 経産省

疾患メカニズムの解明、
生命現象の機能解明等を目的とする研究(149.9億円)

がん・難病
(15.5億円)

- 革新的がん医療実用化研究事業
- 難治性疾患実用化研究事業

生活習慣病・
成育
(9.9億円)

- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業
- 腎疾患実用化研究事業
- 免疫アレルギー疾患実用化研究事業
- 女性の健康の包括的支援実用化研究事業

老年医学・
認知症
精神・
神経疾患
(69.2億円)

- 脳神経科学統合プログラム
- 認知症研究開発事業
- 長寿科学研究開発事業
- 慢性の痛み解明研究事業

感染症
(55.3億)

- 新興・再興感染症研究基盤創生事業
- 肝炎等克服実用化研究事業
- エイズ対策実用化研究事業

導出

企業(製薬、医療機器、ベンチャー等)

他PJの臨床
研究等と連携

循環型の研究
支援体制を構築

rTR*の実施

1. 医薬品PJ
2. 医療機器・ヘルスケアPJ
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療PJ
4. ゲノム・データ基盤PJ

臨床研究中核病院
による医師主導治
験等の支援

橋渡し研究支援拠点

臨床研究中核病院

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

創薬支援ネットワーク

医療機器開発支援ネットワーク

(※rTR:リバース・トランスレーショナル・リサーチ)

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

PJ内横断的な枠組として、AMED-LINKを開催し、これまでの延長線上にないシーズを生み出すための機会を創出した。また、第5次がん研究10か年戦略に沿った体制の実現、AIを活用し、デジタル脳開発を軸に据えた大型プロジェクトの始動、世界11カ国に及ぶ感染症モニタリング体制整備によるデータ利用・ネットワーク構築を進めるなど、研究開発成果の導出等のすべての評価指標を大幅に上回る成果を挙げた。

2024年度末までの達成目標	最新の数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<アウトプット>				
<ul style="list-style-type: none"> 研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 400件 	3,001件 (349/666/841/649*/496)	A	脳機能、免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を推進し、画期的な研究成果を生命科学系の「Nature」「Cell」等や、医学系の「New England Journal of Medicine」等に論文発表しており、2024年度末の目標を達成していることから十分な進捗がみられると評価できる。	* 過去の論文リストに重複が判明したため、R5が1件減少
<ul style="list-style-type: none"> 研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況 	3,663件 (783/745/594/637/904)	A	統合PJ内、統合PJを超えた異なる疾患・事業間連携の更なる発展による成果創出と研究基盤の強化、国際的に高い価値を有する研究の導出などの成果が多数報告され、順調に進捗していると評価できる。	
<アウトカム>				
<ul style="list-style-type: none"> シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 10件 	43件 (3/3/4/16/17)	A	双方向トランスレーショナルリサーチの推進等により、他のプロジェクトや企業等への導出の成果創出が認められる。数多くの論文掲載など、顕著な成果創出に伴い、他の統合プロジェクト等への導出も順調に増加しており、2024年度末の目標達成に向けて十分な進捗がみられると評価できる。	

※ 「最新の数値」は計画開始から令和6年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4/R5/R6)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 22

(1) 関係府省の主な取組

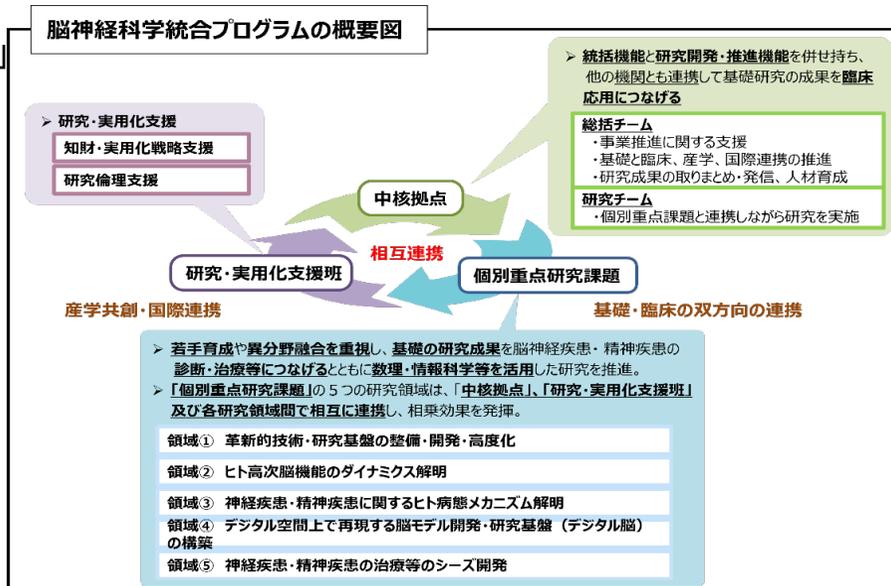
- ・脳神経科学統合プログラムにおいて、数理モデルの研究基盤(デジタル脳)をはじめとした新たな研究基盤の整備を行い、脳神経疾患・精神疾患の診断・治療・創薬等シーズの研究開発を加速する新事業体制を確立した。
- ・免疫アレルギー疾患実用化研究事業において、全身性自己免疫疾患の発症機構を解明した。
- ・新興・再興感染症研究基盤創生事業において、海外拠点横断会合の開催や、海外研究拠点の持つ感染症関連情報を収集する体制の構築に加え、各国拠点間の共通ポータルサイトを構築し、コミュニケーションツールとなるように情報基盤機能を強化した。さらに、海外研究拠点における受入れ体制の整備・現地派遣調査への協力体制を整備した。
- ・革新的がん医療実用化研究事業において、国際共同研究により世界最大規模の腎臓がんの全ゲノム解析を実施し、日本人の7割に未知の発がん要因を発見した。

(2) 顕著な研究開発成果事例

・脳神経科学統合プログラムの整備等

これまで、令和3年度より推進してきた「脳とこころの研究推進プログラム」事業を改組して、新たに病態メカニズム解明やシーズ開発など実用化を視野に入れた「脳神経科学統合プログラム」を立ち上げ、令和5年度には中核拠点を採択して新事業体制を整備した。

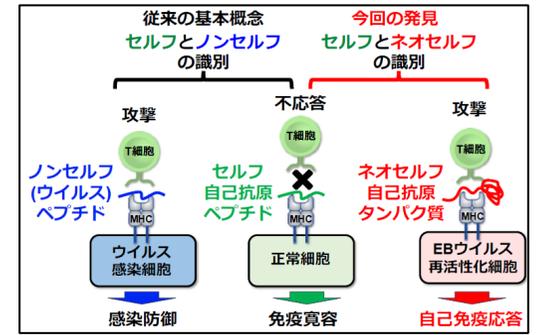
令和6年度は、実験手法のWet及びDryの融合、基礎と臨床の相互連携のさらなる強化を目指して、チーム型とソロ型、若手育成枠、認知症枠等のメニューを設定した個別重点研究課題97件と、アカデミアと産業界の連携を促進する研究・実用化支援課題2件の新規公募を実施し、採択した。これにより、数理モデルの研究基盤(デジタル脳)の整備や、脳神経疾患・精神疾患の診断・治療・創薬等シーズの研究開発を加速する新事業体制を確立した。



(2) 顕著な研究開発成果事例

・全身性自己免疫疾患の発症機構を解明

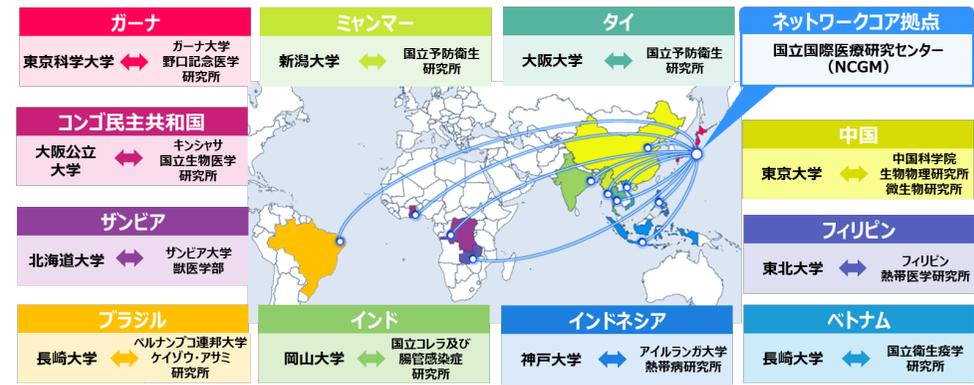
難病を多く含む全身性の自己免疫性疾患について、適時の調整費による支援を行いつつ、長年にわたり未解明であった発症機序を解明。免疫の司令塔であるT細胞が異常な自己抗原であるネオセルフを非自己(ノンセルフ)として認識し、自己の組織を攻撃する仕組みが解明されたことにより、根治的治療の開発が期待される(Cell 2024 Sep)。



・新興・再興感染症研究基盤創生事業の感染症モニタリング体制の整備

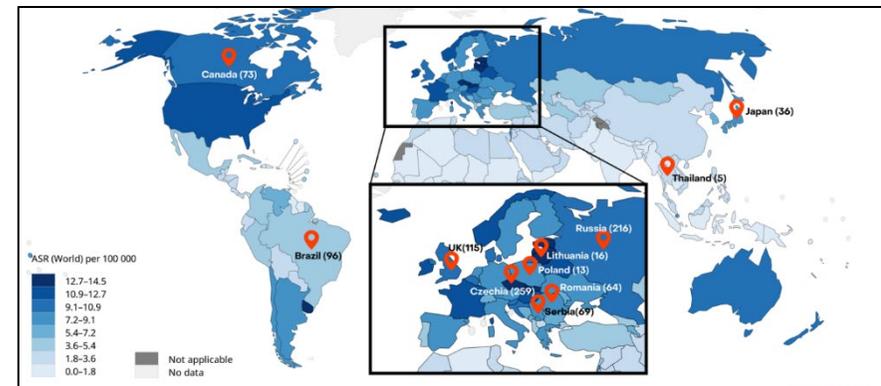
これまで、次のパンデミック対応を視野に入れた予見性を重視し、本邦の感染症対応能力の向上を図るためネットワークコア拠点(国立国際医療研究センター)と、新たな海外研究拠点(ブラジル)を設置、感染症流行地においてアジア・アフリカ・南米の11カ国に海外研究拠点を整備した。

令和6年度は、海外拠点横断会合の開催や、海外研究拠点の持つ感染症関連情報を収集する体制の構築に加え、各国拠点間の共通ポータルサイトを構築し、コミュニケーションツールとなるように情報基盤機能を強化した。さらに、海外研究拠点における受入れ体制の整備・現地派遣調査への協力体制を整備した。



・国際共同研究により世界最大規模の腎臓がんの全ゲノム解析を実施し、日本人の7割に未知の発がん要因を発見

国際共同研究により、世界最大規模の世界11カ国の腎臓がんに関する全ゲノム解析を実施して、日本人に特徴的な未知の遺伝子異常(変異シグネチャー)を見いだした。今後この遺伝子異常を引き起こす原因やそのメカニズムを明らかにすることで、日本における新たな腎臓がんの予防や治療法開発が期待される(Nature 2024 May)。



右図: 参加した国々と収集したサンプル数、各地域における淡明細胞型腎臓がんの発症頻度(年齢調整後の10万人当たりの発症数)

6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
令和6年度予算 236億円

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や、国際共同研究を実施する。また、橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院において、シーズの発掘・移転や質の高い臨床研究・治験の実施のための体制や仕組みを整備するとともに、リバース・トランスレーショナル・リサーチや実証研究基盤の構築を推進する。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

■ 文科省、■ 厚労省、■ 経産省

アカデミアシーズの創出(110.1億円)

アカデミア連携によるシーズの創出・育成研究

● 革新的先端研究開発支援事業

導出

他PJの研究へ
展開・連携

企業(製薬、医療機器、ベンチャー等)

1. 医薬品PJ
2. 医療機器・ヘルスケアPJ
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療PJ
4. ゲノム・データ基盤PJ

革新的医療技術創出拠点(文部科学省:橋渡し研究支援拠点、厚生労働省:臨床研究中核病院)

TR/ARO機能を活用したアカデミアシーズの研究開発の推進

● 橋渡し研究プログラム

・うち、大学発医療系スタートアップ支援プログラム(基金事業)

令和5年度補正予算額:152億円

臨床研究等の実施に係る体制の整備及び人材育成

連携・協力

- 臨床研究開発推進事業(医療技術実用化総合促進事業)
- 研究開発推進ネットワーク事業
- 臨床研究・治験推進研究事業

基盤

研究基盤の整備(90.4億円※)

文部科学省:アカデミアシーズの育成・実用化に向けた支援

厚生労働省:医師主導治験等の臨床研究の支援

経済産業省:実証研究基盤の構築

● 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

国際

国際事業(35.1億円)

- 医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業
- 地球規模保健課題解決推進のための研究事業
- ヒューマン・フロンティア・サイエンス・プログラム

● 先端国際共同研究推進プログラム(基金事業)

令和4年度補正予算額:61億円

創薬支援ネットワーク

医療機器開発支援ネットワーク

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

※大学発医療系スタートアップ支援プログラムは除く

革新的シーズ創出のための国際連携や成果展開支援を強化し顕著な基礎研究成果を実現するとともに、拠点大学や臨床研究中核病院を中心とした実用化支援や臨床試験のマネジメント強化による成果が創出されており、2024年度末における達成目標の一部(医師主導治験届の提出件数)は達成できなかったが、その他の目標達成はしたことから、順調に進捗したと評価できる。国境を越えた治験の件数の増加とDCT体制整備の課題があり令和7年度においては、ATRASやARISEの企業連携促進と臨床中核病院以外のDCT実装の検討と展開に取り組む。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<アウトプット>				
・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 550件	1,860件 (180/465/ 521/401/2 93)	A	革新的先端研究開発支援事業等における共同研究の推進等により画期的な研究成果を「Nature」「Science」等に論文発表し、2024年度末の目標を大きく達成していることから十分な進捗がみられると評価できる。	※クラリベイト InCites Benchmarking より集計
・医師主導治験届の提出件数(体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数) 170件	155件 (26/38/29/ 34/28)	B	革新的医療技術創出拠点におけるシーズの育成及び質の高い臨床研究・治験の実施のための体制整備により、2021年度及び2023年度は年度目標(34件)を達成するなど、一定の進捗はみられる。スタートアップへの支援を含め、拠点等における伴走支援を引き続き強化する。	
・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	1,341件 (183/328/2 12/371/247)	A	アカデミアの組織・分野の枠を超えた連携やプロジェクト内外の連携の推進等により、基礎的研究の成果が多数報告されたことから、十分な進捗がみられると評価できる。	※クラリベイト InCites Benchmarking より集計
<アウトカム>				
・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 125件	494件 (80/98/110 /91/115)	A	事業間連携の取組により有望な研究成果が他の統合プロジェクトや企業に導出され、2024年度末の目標を大きく達成していることから十分な進捗がみられると評価できる。	
・医薬品等の薬事承認申請の件数 30件	47件 (11/9/11/1 2/4)	A	橋渡し研究支援機関とAMEDが連携した進捗管理や事業間連携等による共同研究を実施しシーズ開発を強化したことにより、2024年度末の目標を達成しており、十分な進捗が認められると評価できる。	

(1) 関係府省の主な取組

・文部科学省の橋渡し研究プログラムと厚生労働省の医療技術実用化総合促進事業の一体的な連携体制の整備を進め、実用化の可能性が高い研究課題への支援等を推進した。

・革新的先端研究開発支援事業において、文部科学省では、「元気につながる生命現象の解明と制御」に係る研究開発目標を新たに設定した。栄養と運動に関わるこれまでの研究を「元気」の観点から再整理し、コホート研究から分子・細胞生物学にわたる幅広い研究成果を統合することで、新たな研究潮流の形成と革新的な技術シーズの創出を目指す。

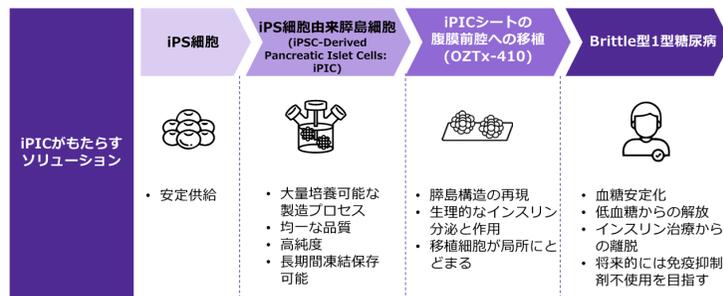
(2) 顕著な研究開発成果事例

・「iPS由来膵島細胞シート移植に関する医師主導治験」の開始

1型糖尿病を対象とする膵島移植は2020年に保険収載されたが、慢性的なドナー不足を解消するための新たな治療選択肢の開発が望まれていた。オリヅルセラピューティクス株式会社が、ヒトiPS細胞由来膵島細胞(iPIC)を均等に分散した薄層のシート状製品OZTx-410を開発し、その安全性を確認するため、膵島移植が適応となる1型糖尿病患者を対象とした医師主導治験を2025年1月より京都大学医学部附属病院で開始した。重症1型糖尿病患者の血糖値の正常化やクオリティ・オブ・ライフの向上を目指す。

2022年度より橋渡し研究支援機関(京都大学)がプロジェクト管理、PMDA相談、薬事対応、治験関連業務の支援を実施している。

【橋渡し研究プログラム】

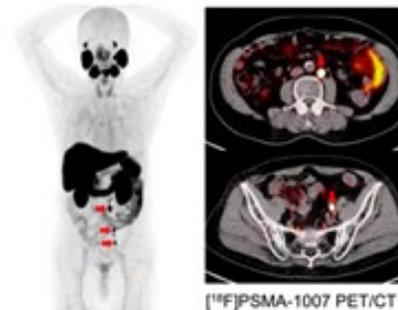


・「アスタチン標識薬を用いた革新的アルファ線治療」医師主導治験の開始

前立腺がんは、標準治療抵抗性で多発転移を伴う場合、非常に予後不良である。大阪大学の渡部直史講師らの研究チームは、大阪大学医学部附属病院において、標準治療の実施・継続が困難である去勢抵抗性前立腺がん患者を対象として、アスタチン標識薬([At-211]PSMA-5)を投与した後の忍容性、安全性、薬物動態及び有効性を確認するための新たな医師主導治験を2024年6月より開始した。アスタチンは加速器を用いた国内製造が可能であり、製造拠点を整備することで、多くの患者に外来治療として実施できることが見込まれる。

2022年度より橋渡し研究支援機関(大阪大学)が知財・開発戦略の相談、PMDA相談、臨床試験計画・準備・実施の支援を実施している。

【橋渡し研究プログラム】

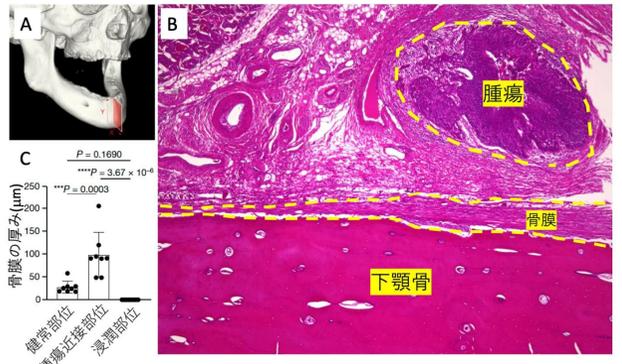


PSMAを標的とした臨床研究PET画像

・がんの進展を骨膜が止める-がんの進行を抑える新規治療の開発に道-

東京大学大学院医学系研究科の塚崎 雅之特任准教授、高柳 広教授らのグループは、がん細胞が骨に近づくと、骨を包む「骨膜」の細胞が反応し、防御壁をつくることで物理的にがんの骨への浸潤を抑えることを発見し、免疫系以外の細胞が持つ抗がん効果とその重要性を世界で初めて解明した。今後、がんの進行を抑える新たな治療・予防法の開発に貢献することが期待される。

【革新的先端研究開発支援事業(PRIME 早期ライフ領域)】

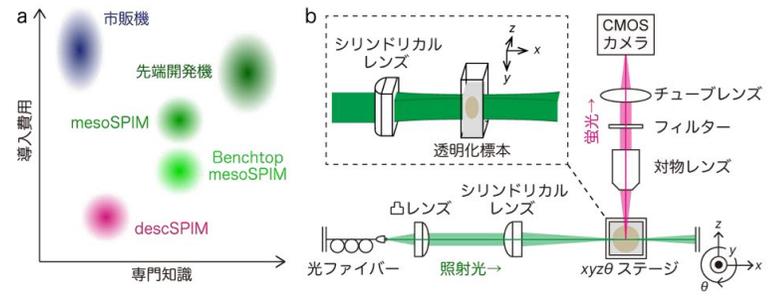


腫瘍が骨に近接した浸潤前組織では、骨膜の厚みが3~4倍に増加する

・透明化組織標本の簡易なデスクサイド3D観察へ-個人研究者によるDIY構築が可能な光シート顕微鏡の提案-

順天堂大学大学院医学研究科の洲崎 悦生主任教授らのグループは、光学に関する専門知識を必要としない低コストのDIY光シート顕微鏡システムdescSPIMを開発した。本システムにより透明化組織標本の細胞解像度での網羅的三次元イメージングを容易に実現することが可能となった。また、本機器を用いた課題間連携により、骨髄から骨皮質を貫き傷害部位へ延伸する新規血管の可視化に成功した。

【革新的先端研究開発支援事業(PRIME 適応・修復領域)】



(a) 専門知識vs導入費用プロットにおける位置付け (b) 基本的なSPIM光学系の概略

・エボラウイルス抗原迅速診断キットの流行国における国内使用許可を取得

北海道大学人獣共通感染症国際共同研究所長の高田礼人教授らのグループが、ザンビア及びコンゴ民主共和国におけるウイルス性人獣共通感染症に関する研究において、企業(デンカ株式会社)とエボラ出血熱の迅速診断キットを共同開発した。このキットがコンゴ民主共和国において、同国国立生物医学研究所が同国保健省に申請を行い、令和6年6月21日付で国内使用許可を取得した。コンゴ民主共和国内におけるエボラ出血熱患者の迅速診断を可能とするとともに、周辺アフリカ諸国への展開により、感染拡大防止につながる事が期待される。なお2021年3月には、エボラ出血熱の診断法として日本国内で初となる厚生労働省による国内製造販売承認を取得している。

【医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業 (地球規模課題対応国際科学技術協カプログラム SATREPS)】



ムーンショット型研究開発については、「認知症克服への挑戦」として新たに3課題を採択し、令和6年11月より研究を開始した。大学発医療系スタートアップ支援プログラムについては、医療系スタートアップ支援拠点の公募を行い、4課題を採択して令和6年10月から事業を開始した。創薬ベンチャーエコシステム強化事業については、創薬ベンチャー公募の回数増加や応募要件の弾力化、海外VCなど多様なVCの認定等により、創薬ベンチャーの採択数の増加（令和6年度は新たに19課題採択）に加え、採択課題への認定VC出資額の増加や、複数の認定VCからなるシンジケートによる創薬ベンチャーの資金調達の加速にもつながった。これら基金を活用した研究開発事業について、中長期的視点で成果を生み出すべく引き続き適切に推進する必要がある。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.1 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発

(1) 医療分野の研究開発の一体的推進（◎健医、総、文、厚、経）

他の資金配分機関、インハウス研究機関、民間企業とも連携しつつ、AMEDによる支援を中核として、医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進する。

具体的には、独立行政法人日本学術振興会（JSPS）では、科学研究費助成事業により研究者の自由な発想に基づく研究を推進する。

AMEDは、資金配分機関として、国が定めた戦略に基づき、科学研究費助成事業等で生まれたシーズも活用しつつ、医療分野の実用化のための研究開発を基礎段階から一貫して推進する。

また、他の資金配分機関として、例えば、国立研究開発法人科学技術振興機構（JST）ではライフサイエンス分野等の基礎的・基盤的な研究開発を推進し、国立研究開発法人新エネルギー・産業技術総合開発機構（NEDO）では工学分野等の産業技術の研究開発を推進しているところである。これらの機関の研究開発は、医療分野の研究開発につながり得るもの、あるいはそれを支えるものであることから、医療分野との融合領域等について、AMEDは他の資源配分機関とも適切に連携・分担を図る。

さらに、各インハウス研究機関においても医療分野の研究開発を行っているところであり、AMEDの研究開発支援とも適切に連携・分担を図りつつ、全体として戦略的・体系的な研究開発を推進していく。

特に、AMED及びインハウス研究機関が推進する医療分野の研究開発については、国の方針・戦略を踏まえて推進するものであることから、統合プロジェクト以外の予算も含め関連予算を戦略的・重点的に配分するため、推進本部において、有識者の意見も踏まえつつ、関係府省・機関に対して、一元的な予算要求配分調整を実施する。

また、医療分野の研究開発に関連する他の資金配分機関、インハウス研究機関及びAMEDの間で情報共有・連携を十分に確保できる仕組みを構築する。

- 健康・医療戦略推進本部のもと、統合プロジェクト関連の協議会やインハウス連絡調整会議等において産業界、アカデミア等の関係者が連携し研究開発を一体的に推進している。
- 革新的先端研究開発支援事業では、AMED-CREST 15課題、PRIME 30課題を採択し、医療シーズ創出に向けて研究開発課題を推進した。AMED-CREST、PRIME等の顕著な研究成果をFORCEやLEAP等の事業を活用し、企業への成果導出や実用化展開を図った。また、橋渡し研究支援機関において、科研費による基礎研究の成果を医療分野に応用するための支援を87件行った。科学技術振興機構（JST）と連携領域として発足した革新的先端研究開発支援事業の老化領域では、若手研究者の拡充を組入れた連携公募を実施し、合理的な評価体制を整備し、13課題を採択した。「マルチセンシング」領域と「老化」領域において、JSTとの合同領域会議等の開催、領域連携DXツールや解析支援等の共通基盤の活用促進等により、AMED-JSTの各プログラムの研究者の相互連携や交流を活性化し、30課題の共同研究につながった。
- AMEDは理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所及び産業技術総合研究所と連携して、創薬支援ネットワークを構築し、知財・研究戦略策定、プロジェクトマネージメント、技術支援等、様々な支援を実施している。令和6年度は創薬ナビで15件の相談に対応し、また、77件の伴走支援を行った。（件数は3月末時点）
- 医療機器開発支援ネットワークにおいて、企業・大学等に対して専門コンサルタントによる対面助言等を行い、切れ目のない支援を実施。AMEDを事務局として約80の地域支援機関等に「ワンストップ窓口」を設置し、令和6年度は66件の相談に対応し、うち19件の伴走コンサルを実施した。
- AMED及びインハウス研究機関における医療分野の研究開発について、専門調査会における審議を踏まえ、令和6年8月に資源配分方針を本部決定し、内閣府と関係府省が共同して予算要求の調整を行うなど、一元的な予算要求配分調整を実施した。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.1世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発 (2) インハウス研究開発 (◎健医、文、厚、経)

関係府省が所管するインハウス研究機関が行っている医療分野のインハウス研究開発については、推進本部の事務局、関係府省、インハウス研究機関及びAMEDの間で情報共有・連携を恒常的に確保できる仕組みを構築するとともに、推進本部の有識者会議やAMED等の有識者の意見を伺いつつ、インハウス研究機関との連携の下、研究開発の進捗状況の把握や資源配分の方向性の取りまとめなど、一元的な予算配分要求調整を推進本部において実施する。

この枠組みを用いて、医療分野のインハウス研究開発の今後の方向性について、各機関の特性を踏まえつつ、以下のような点をはじめとして検討し、2020年度中に取りまとめる。

- ・ 各インハウス研究機関が今後重点的に取り組む医療分野の研究開発のテーマ、研究課題の設定方法
- ・ 各インハウス研究機関における医療分野の研究開発の評価の在り方
- ・ AMEDとインハウス研究開発機関の連携や役割分担の在り方。例えば、
 - インハウス研究開発の成果のAMEDが支援する研究開発での活用
 - AMEDが支援する研究開発に資する基盤的な研究開発をインハウス研究機関で推進

- ・ 健康・医療戦略に基づき、健康・医療戦略推進事務局、関係省、インハウス研究機関及びAMEDの間で情報共有・連携を恒常的に確保する仕組みとして令和2年度に連絡調整会議（インハウス研究開発関連）を設置し、令和6年にも開催した。
- ・ 令和6年度までの第二期においては、インハウス研究機関間およびAMEDとの更なる連携強化により医療分野の研究開発を推進する観点から令和3年度に連携事例についての類型化を行ったことを踏まえて、具体的な事例について類型ごとの状況をとりまとめを行い、限られた研究開発予算を効率的に活用し効果的な研究開発を行うため共用に資する研究基盤や課題について整理した。
- ・ 意見交換において、共用に際しては、収集した試料・データのカタログ化等疾患横断的研究情報基盤の整備が重要であること、各種のデータベースを連結させるために、セキュリティが確保された大容量・高速通信環境の確保が必要であること、バイオバンクの試料の保管プロセスや付随する医療情報の標準化や手続き等の定型化が必要であること等の意見・課題が挙げられた。
- ・ 令和7年度からの中長期的な活動方針を検討し、関係府省は引き続きインハウス研究機関への着実な資源配分を行うとともに、医療分野のインハウス研究開発の研究開発活動と、AMEDが支援する研究開発活動の連携が促進されるよう、各機関の活動状況について、以下の項目を含めて情報を共有し、意見交換を行うことが合意され、第3期医療分野研究開発推進計画に記載した。
 - 各インハウス研究機関が重点的に取り組む医療分野の研究開発活動計画。
 - 各インハウス研究機関における主な共用・提供可能なリソース。
 - 各インハウス研究機関における主な活動実績・事例。特に優れた連携事例については、取組モデルとして各機関に共有し、水平展開を促す。

3.1世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発 (4) ムーンショット型の研究開発 (◎AMED室、科技、文、厚、経)

100歳まで健康不安なく人生を楽しめる社会の実現など目指すべき未来像を展望し、困難だが実現すれば大きなインパクトが期待される社会課題に対して、健康・医療分野においても貢献すべく、野心的な目標に基づくムーンショット型の研究開発を、戦略協議会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、関係府省が連携して行う。

- ・ 第4回公募「認知症克服への挑戦」において、従前からAMEDで実施している認知症関連事業と情報交換を行うことで、従来とは全く異なる挑戦的な研究開発を進めるプロジェクトマネージャー（PM）を公募し、3課題を採択、令和6年11月より研究を開始した。また、推進体制を強化するため、認知症の専門家をアドバイザーに追加委嘱するとともに、今回の新規採択にあわせてポートフォリオの改訂を行った。
- ・ プロジェクト毎に書面審査とヒアリング審査による自己評価（内部評価）を行った。評価結果については、戦略推進会議に報告するとともに、PMに迅速にフィードバックした。
- ・ 「慢性炎症」に関わる研究領域である「腸内細菌」「がん」「センサー・デバイス」の各研究領域において、お互いの研究領域への理解を深めることや共同研究の可能性を探り、目標内連携を強化することを主たる目的としたワークショップを開催した。本ワークショップでは、複数のPMと研究分担者による専門性の高い質疑応答や新たな研究手法の提案がされるなど、目標内連携の推進にもつながる有意義な会合となった。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.1世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発

(5) 疾患領域に関連した研究開発 (◎健医、総、文、厚、経)

3.1(3)で述べた6つの統合プロジェクトの中で、疾患領域に関連した研究開発も行う。

その際、多様な疾患への対応が必要であること、感染症対策など機動的な対応が必要であることから、統合プロジェクトの中で行われる研究開発を特定の疾患ごとに柔軟にマネジメントできるように推進する。

特に、2040年の人口動態を見据え、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野については、戦略的・体系的な研究開発が推進されるよう、具体的な疾患に関するプロジェクト間の連携を常時十分に確保するとともに、研究開発の状況を適切に把握する。

(以下略)

(がん)

- がんの生物学的本態解明に迫る研究開発や、患者のがんゲノム情報等の臨床データに基づいた研究開発
- 個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発や免疫療法や遺伝子治療等をはじめとする新しい治療法の開発

(生活習慣病)

- 個人に最適な糖尿病等の生活習慣病の重症化予防方法及び重症化後の予後改善、QOL向上等に資する研究開発。AI等を利用した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方法に資する研究開発
- 慢性腎臓病の診断薬や医薬品シーズの探索及び腎疾患の病態解明や診療エビデンスの創出に資する研究開発
- 免疫アレルギー疾患の病態解明や予防、診断、治療法に資する研究開発

- 疾患コーディネーター（DC）の下で統合プロジェクト横断的な疾患領域マネジメントが機能し、研究成果の創出や事業間連携の事例を増やしてきた。
- がん領域では、がんDCPSPO会議を事業間連携を具体的に進める場として機能させ、新たながん研究10カ年戦略のもとでのAMEDがん研究における新たな取組の準備を進めた。
- 令和5年度行ったサルコペニア・ロコモ・フレイルシンポジウムをより具体的な事業設計や事業間連携等の新たな取り組みにつなげるため、生活習慣病領域、老年医学・認知症領域、成育領域の事業において、クローズドのワークショップを実施した。感染症領域では、具体的な事業間連携の創出を視野に入れた情報共有の場として、創業事業部、SCARDAを中心に「感染症横串の会」を立ち上げ定期的に開催し、主要感染症関連事業の情報収集・マッピングを通じ俯瞰的に事業を把握し、第3期の疾患領域のAMED内推進体制検討につなげた。

- 革新的がん医療実用化研究事業では、全ゲノム解析等実行計画2022に基づき前向きにがん患者を登録し、全ゲノム解析等の利用による患者還元に資する研究を推進した。新たに同意を取得し解析を行うがん疾患領域を拡大するなど、今後構築される全ゲノムデータベースのさらなる充実化を図った。蓄積された大規模データを用いたがん種横断的な解析を推進すると共に、ゲノム情報と合わせた病理画像解析のための病理AI基盤モデルの構築など、さらに高度な解析が可能な環境整備を進めた。
- 次世代がん医療加速化研究事業での支援成果が革新的がん医療実用化研究での支援につながり、非臨床POCを取得した切除不能進行・再発性大腸がんを対象としたタンキラーゼ阻害剤の医師主導治験第I相治験が開始される。また、新規核酸治療薬を用いた膠芽腫に対する臨床試験に関する研究での医師主導第I相試験が順調に進行中である。

- 肺高血圧症のリスクと考えられている東アジアに特有のRNF213 p.R4810Kバリエーションを保有する肺高血圧症未発症者の肺動脈圧が低下していることを明らかにした。
- 心不全の造血幹細胞が、交感神経の機能低下によるエピゲノム変化（ストレスの蓄積）を通じて心不全の再発や他の臓器に影響する機序を明らかにした。
- 多彩な腎毒性物質の「入り口」分子であるメガリンの立体構造とリガンド結合様式を解明し、腎臓の生理的な代謝メカニズムを解明した。
- ミスフォールド蛋白質・HLAクラスII複合体を標的にした自己免疫疾患の新たな診断法・治療法の開発において、持続感染ウイルスの再活性化によりT細胞が自己の組織を非自己と認識し攻撃するという新しい免疫制御機構を発見した。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度取組と成果

3.1世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発

(5) 疾患領域に関連した研究開発 (◎健医、総、文、厚、経) (つづき)

(精神・神経疾患)

- 可視化技術導入等による慢性疼痛の機序解明、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
- 精神・神経疾患の克服に向けて、国際連携を通じ治療・診断の標的となり得る分子などの探索及び霊長類の高次脳機能を担う脳の神経回路レベルでの動作原理等の解明
- 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並びに発症予防に資する研究開発

- 神経障害性疼痛の発症・慢性化メカニズムとして、ATPを神経末端の小胞内に貯蔵するヌクレオチドトランスポーターVNUTに注目し、そのVNUT遺伝子発現阻害が神経障害性疼痛に有効であることを示した。更に、VNUT阻害活性を有するEPA代謝物（HEPE、DiHETE、EpETE）が神経障害性疼痛に対して低用量で鎮痛効果を発揮することを明らかにした。
- パーキンソン病、レビー小体型認知症等を含むシヌクレイノパチーにおいて、 α シヌクレインの凝集機序が未解明であったところ、「グアニン四重鎖（G4）」の集積を足場として α シヌクレインが凝集することを明らかにし、さらに、G4の集積を抑制する薬剤がマウスモデルにおける α シヌクレインの凝集を抑制し、運動機能の低下を予防することを示した。
- 精神疾患レジストリ（マイレジストリ）の「薬機法申請に資するデータ基盤システム」を用いて、薬剤、医療機器、SaMDの薬事承認の実現を目指した研究開発を推進した。特に、うつ病に対する磁気けいれん療法（MST）のR7年度の医師主導治験開始にあたり初回治験計画届出の内容について、PMDAと医療機器プロトコル相談を実施した。

(老年医学・認知症)

- モデル生物を用いた老化制御メカニズム及び臓器連関による臓器・個体老化の基本メカニズム等の解明
- 認知症に関する薬剤治験対応コホート構築やゲノム情報等の集積及びこれらを活用したバイオマーカー研究や病態解明等

- 大脳に皺を持つ高等哺乳動物フェレットを用いて、アミロイド β など老廃物の排出に重要と考えられている脳脊髄液の流れ（グリンファティック系）を解析し、大脳の皺の脳溝（陥凹）部分で特に効率よく脳脊髄液が浸透すること、及び、これが溝部のアストロサイトに発現するアクアポリン-4によって媒介されていることを明らかにした。
- 量子科学技術研究開発機構はタウ蛋白病変の脳内沈着を血液で検出する新規計測法を開発し、本法で検出されるタウ蛋白が、PET検査で捉えたタウ病変を反映する世界初の血液バイオマーカー（mid-p-Tau181）であることを実証した。血液検査により脳内タウ病変を評価できる本法は、アルツハイマー病の診断や効果の予測に基づく治療対象者の選択、ひいては治療効果判定と幅広い活用が期待される。

(難病)

- 様々な個別の難病に関する実用化を目指した病因・病態解明、画期的な診断・治療・予防法の開発に資するエビデンス創出のためのゲノムや臨床データ等の集積、共有化
- 上記の取組による病態メカニズム理解に基づく再生・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

- 脊髄髄膜瘤は脊髄が先天的に外表に露出している指定難病である。現行の治療法では、神経学的後遺症に対する生涯に渡る医療ケアを必要とする。本研究では胎児手術の有効性・安全性を本邦で初めて示し、先進医療の認定を受けた。
- 筋萎縮性側索硬化症（ALS）に対する薬剤について、過去の企業治験では有効性を示せなかったが、AMEDの支援のもと発症早期の患者に限定した医師主導治験を行ったところ本薬剤の安全性・有効性が示され、薬事承認を取得した。

(成育)

- 周産期・小児期から生殖期に至るまでの心身の健康や疾患に関する予防・診断、早期介入、治療方法の研究開発
- 月経関連疾患、更年期障害等の女性ホルモンに関連する疾患に関する研究開発や疾患性差・至適薬物療法など性差にかかわる研究開発

- 成育疾患克服等総合研究事業の支援にて開発を行った妊婦血液中のトキソプラズマIgG抗体アビディティー（IgG avidity）を検査する体外診断用医薬品「Toxo-IgG Avidity・アポット」が、024年10月10日に厚生労働省から製造販売承認を取得した。本検査薬は現行の抗トキソプラズマ抗体検査で妊娠初期に感染が疑われた場合に追加検査として使用でき、アビディティー検査結果が高値であった場合は感染後4ヶ月以上の経過を強く示すため、医師と相談の上で妊婦は分娩までの長期間に渡って投与される発症抑制薬（抗菌薬）の中止を検討できる。先天性トキソプラズマ症の発症への不安を抱える母児を減らすことに大きく寄与すると期待される。
- 子宮筋腫のMRI画像から得られる情報をもとにし、AIの手法を用いることにより、非侵襲的に子宮筋腫のサブタイプ（MED12遺伝子変異の有無）を高精度に診断できる新たな診断システムを開発した。本研究の診断システムを用いて子宮筋腫のサブタイプを非侵襲的に診断することができるため、より適切な治療方針の決定に役立つことが期待される。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度取組と成果

3.1 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発

(5) 疾患領域に関連した研究開発 (◎健医、総、文、厚、経) (つづき)

(感染症)

- ゲノム情報を含む国内外の様々な病原体に関する情報共有や感染症に対する国際的なリスクアセスメントの推進、新型コロナウイルスなどの新型ウイルス等を含む感染症に対する診断薬・治療薬・ワクチン等の研究開発及び新興感染症流行に即刻対応出来る研究開発プラットフォームの構築
- BSL4施設4を中核とした感染症研究拠点に対する研究支援や、感染症流行地の研究拠点における疫学研究及び創薬標的の探索等、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
- 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では、フラッグシップ拠点・シナジー拠点・サポート機関において国産ワクチン開発に資する研究開発を推進するとともに、拠点形成及び機関間の連携体制の構築を進めた。ワクチン・新規モダリティ研究開発事業では、重点感染症に対する感染症ワクチンの開発1課題、新規モダリティを用いる感染症ワクチンの研究開発6課題を採択し、累計での採択件数は41件となった。
- 欧州でエムボックスに対して制限付き承認を受けた抗ウイルス薬のデコピリマットについて、エムボックスが国際的に懸念される公衆衛生上の緊急事態と宣言されたことを受け、国内第I相試験と薬事申請を支援した。エムボックス重症患者の治療法の1つになると期待される。
- なぜカニクイザルがB型肝炎ウイルス(HBV)に感染しないかという機構を、HBV宿主受容体NTCPのタンパク質構造の面から明らかにした。今後、HBVの感染動物モデル作出構築への応用が期待される。
- SARS-CoV-2とA型インフルエンザウイルス(IAV)のウイルス表面タンパク質に関する変異率および変異の特徴を比較解析し、SARS-CoV-2の遺伝子変異率がIAVの1/23.9と抗原変異が起きにくいなどの変異の特徴を明らかにした。今後、感染流行の制御に向けての進展が期待される。
- 新興・再興感染症研究基盤創生事業では、ワクチン開発や感染症対策に必要な情報を収集するためにモニタリング体制の拡充の一環として、サハラ砂漠以南のアフリカの広い地域(マラウイ、ジンバブエ、コンゴ民主共和国、ガーナなど)における感染症モニタリング体制の拡充を実施し、サハラ砂漠以南のアフリカにおいて人獣共通感染症の研究ネットワークを構築した。
- ファージの新規遺伝子欠損体を網羅的に合成する新規手法を用いて、細菌の逆転写酵素を阻害する因子の探索を行った。特定した因子の研究成果を、ファージを使って体内の耐性菌を殺菌する「ファージ療法」に応用することで、薬剤耐性菌の持つ逆転写酵素の阻害を受けない治療用ファージの構築が期待できる。
- 長崎大学のBSL4施設が特定一種病原体等所持施設として厚生労働大臣の指定を受けたことに伴い、今後、これまでに構築した国内の研究機関との連携基盤も活用した一類感染症の治療薬開発等の研究開発の加速が期待される。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.2 AMEDの果たすべき役割

○医療に関する研究開発のマネジメント（◎AMED室、文、厚、経）

- 世界の最新の情勢を把握したPD、PS、PO等が研究の実施、研究動向の把握・調査、シーズの探査・育成研究の強化（スクリーニングや最適化研究）や優れた基礎研究成果を臨床研究及び治験、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）及び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。
- 患者や医療現場、研究者、産業界等からのニーズを把握しつつ、AMED Management System (AMS)の活用、トランスレーショナル・リサーチ (TR) やrTRによる基礎と実用化の橋渡し、研究成果の有効活用や他領域への展開のためのデータシェアの促進等、事業間の連携及び研究開発のマネジメントを適切に行うとともに、事業間連携を推進する。
- 個別研究課題の選定においてピア・レビューを行うための評価委員会を設置し、評価の質及び公正性・透明性の一層の向上を図り、将来的な成果につながるシーズの育成や人材育成等の視点にも留意しつつ、成果が見込まれる研究課題を選定する。
- さらに、ピア・レビューの方法等について、国内外の知見の収集を行い、これまで各分野で異なっていた評価システムの共通化・最適化を進める。
- 学会、産業界、他の政府機関等の外部の知見も活用し、国内外の技術開発動向の把握など、シンクタンク機能を果たす。

- 機構における意思決定プロセスにおいて、研究開発課題の途中変更（加速、中断、中止、予算配分等）について、PS・POと課題評価委員会（評価委員）の責任の所在、役割を明確化することで、より適正な業務遂行につなげるべく、関係する規則を改正すると共に、採択課題の途中変更時における判断基準を明確化した。
- 令和6年11月にAMED・JST共催で「ジェンダード・イノベーション」情報・意見交換会を開催し、有識者らによる講演、政府関係者、国研からの代表者等により、それぞれの取組の共有と当該分野の理解増進を図った。さらに、第47回日本分子生物学会年会、第18回日本性差医学・医療学会学術集会、日本医学会連合研修会、および日本臨床試験学会第16回学術集会等において、講演、共催研修会や共催セッション、ブース出展等により、AMEDの取組について広く啓発活動を行った。さらに、SCARDAにおいては外部委託事業も有効に活用し、国内外のワクチンの開発状況や、ワクチン開発に繋がる技術、ウイルスに関する研究動向などを年間を通じて継続的に情報収集・分析した。また、結核ワクチン、LNP・5'-capping、mRNA医薬、mRNA修飾、AlphaFoldの出願動向等に関するレポートをまとめ、研究課題の採択や伴走支援に活用した。
- ピア・レビューの方法等について、これまでの蓄積を踏まえ、評価システムの共通化・最適化を推進した。

3.2 AMEDの果たすべき役割

○研究不正防止の取組の推進（◎AMED室、文、厚、経）

- 基礎研究及び臨床研究における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に対して、公正かつ適正な実施の確保を図る。他の関係機関と連携を図りながら、業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正への対応に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成等に努める。

- 平成29年11月に発行した研究倫理教育教材「適正な画像処理方法～雑誌の投稿規定の解説～」について、学術雑誌投稿規定の最新情報やAI生成画像に関する基準等を新たに盛り込んだ改訂版（第2版）を令和7年3月に作成した。
- 臨床研究における研究不正防止の取組として、臨床研究に携わる研究者等に特有の課題や作法等を踏まえた教材を作成すべく、日本臨床試験学会との連携により「ヒヤリハットと不適合事例に学ぶ臨床試験のクオリティマネジメント」を作成し、令和7年3月に公開した。本教材を普及すべく、当該学会学術大会においてワークショップを開催し、アンケート回答者32名全員から「業務に役立つ」との評価をいただく等、作成した教材の有益性が高く評価された。
- 文部科学省研究公正推進事業の取組として、研究公正シンポジウム「新たな研究不正行為への対応と科学の公正性の確保に向けて」（主催JST、共催JSPS、AMED、NEDO、BRAIN）を10月に開催した。また、上記5つの資金配分機関の研究公正担当者会議が定期開催され（令和6年度は3回）、研究不正防止や研究公正推進に関するナレッジシェアリングを図った。
- 研究公正・研究倫理の関係者等が参画するRIOネットワーク（約4,500名）の取組として、RIOメールマガジンを計29回発行し、関連分野の最新情報等を発信することでリテラシー向上に貢献した。また、研究倫理を語る会を令和7年3月に共催し、医療研究開発における研究倫理に関する対話の促進と、専門家のネットワーク強化に貢献した。

医療分野研究開発推進計画上の記載 令和6年度の取組と成果

3.2 AMEDの果たすべき役割
○研究データマネジメント (◎AMED室、文、厚、経)

- AMEDが推進する研究については、研究の進捗状況の把握、研究データの管理（データ入力、集計、解析）、研究成果や知的財産の管理等の研究マネジメントを効率的に実施する。
- AMEDが実施した研究開発から得られたデータが持続的に共有されるよう、研究データ基盤のクラウド化を推進する。また、研究開発から得られたデータの共有を図るべく、まずは「ゲノム・データ基盤プロジェクト」においてデータシェアリングを推進し、その実施状況を踏まえつつ他の統合プロジェクトにおいてもデータシェアリングの実施を検討する。
- AMED内にあるデータ（e-Rad、AMS、ARS）を用いて、公募・採択・評価情報の集計分析を実施した。業務改善に向けた課題を抽出した。また、機構内のニーズに基づき、AMEDデータブックの英語化や事業別特徴の繋がり分析等も実施した。さらに、AMED職員向けに、担当事業以外の事業の特徴等が理解できるようにAMS研究開発 タグを用いた試行的検索ツールを作成し機構内研修で紹介した。
- 「AMEDデータ利活用プラットフォーム」を構築し、三大バイオバンクのゲノムデータのメタデータ横断検索からデータの処理までワンストップで実行可能なサービス提供を開始した。また、AMEDが研究助成する、人の検体やデータを取得する研究に対して、「AMED説明文書用モデル文案」の利用を本格的に適用するとともに、AMED内でのデータ利用審査会の運用を開始した。

3.2 AMEDの果たすべき役割
○実用化に向けた支援 (◎AMED室、文、厚、経)

- 研究成果の実用化に向け、戦略的な知財管理を行うとともに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）や官民の支援機関等とも連携して、インキュベーション機能や産学官連携のマッチング機能を果たす。
- AMED内の知財コンサルタント（7名）や、主要地域に配置されているAMED知財リエゾン（12名）が連携して知財コンサルテーションを着実に実施（令和6年度：バイ・ドール報告受付3274件、相談対応189件）したほか、国内外のマッチングイベントへの出展支援（令和6年度実績：102課題）や、AMEDぷらっと（シーズ・ニーズマッチングシステム）の運営、知財・実用化調査（令和6年度実績：26件）等の取組を進めた。

3.2 AMEDの果たすべき役割
○国際戦略の推進 (◎AMED室、文、厚、経)

- 研究開発の推進に当たっては、海外の主要なファンディング機関等の関係機関や専門人材とのネットワークを活用するなど、適切な国際連携を図る。
- 国際的な貢献も果たすため、グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応を行う。
- 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・発信等を行う。
- 理事長が国内外で開催される国際イベント等に出席する機会を積極的に活用して海外政府機関やFA幹部（米国NIH及びその傘下機関、英国保健省、英国MRC、韓国KHIDI等）とのバイ会談を実施するとともに、今後の協力連携について意見交換を実施することでAMEDトップ外交を推進した。また、科学技術合同委員会等の機会を通じて関係機関との連携維持・構築を図った。
- 戦略的国際共同研究プログラム（SICORP）の枠組みで、リトアニア共和国保健省や北欧NordForskとデータサイエンスに係る共同研究を実施した。
- ワシントンDC事務所及びロンドン・リエゾンは、イベントを日米/日英で共催する等の協働を通じて、連携強化を推進した。またロンドン・リエゾンは、日英科学技術協力協定締結30周年を記念したレセプションにおいてブース出展を行い、AMEDの活動と英国との連携協力の成果を紹介した。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.2 AMEDの果たすべき役割

○基金等を活用した産学連携等への支援（◎AMED室、文、厚、経）

- 基金や政府出資を活用して中長期の研究開発を推進する。

- 医療研究開発革新基盤革創成事業（CiCLE）については、令和6年度、事後評価を適時適切に実施し、達成2課題、未達2課題の評価結果を得た。さらに未達終了時に弁済を一部免除するリスク分担の機能は堅持しつつ、委託費回収の確実性を高めるため運用規定等の見直しを実施した。
- ムーンショット型研究開発等については、革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）として、四次公募ではワークショップ開催などの草の根活動およびアカデミアタイプの公募要領の要件緩和の結果、22件の申請があり、4件（アカデミアタイプ）と3件（スタートアップタイプ）を採択した。採択にあたり、スタートアップ企業に対する財務健全性確認スキームを積極的に取り入れ、効果的なリスクマネジメントを実施した。また、五次公募に向け、公募の予告、ワークショップ開催準備および産学連携拠点で説明会等の草の根活動を実施した。さらに支援の強化を目的として、産学連携に係る高い知見を有する者をプロジェクト・コーディネーター(PC)として、AMED内に3名増員して合計4名とし、AMED内に伴走支援を行う体制を構築した。
- ワクチン開発推進事業については、支援した課題のうち、薬事承認3件と実用化に向けた成果が認められた。また、変異株対応ワクチン開発や日本で独自に技術開発しているレプリコンワクチンの臨床第3相試験実施に必要な追加の非臨床試験や治験薬の規格・製造を支援するなど、将来を見据えた支援を実施した。
- ワクチン・新規モダリティ研究開発事業については、SCARDAの調査分析結果を踏まえて、シーズの目利き経験の豊富なプロボストを中心とした評価を行い、令和6年度に重点感染症に対する感染症ワクチンの開発1課題、新規モダリティを用いる感染症ワクチンの研究開発6課題を採択した。累計での採択件数は41件となった。
- 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については、フラッグシップ拠点1機関、シナジー拠点4機関、サポート機関6機関において国産ワクチン開発に資する研究開発を推進するとともに、拠点形成及び機関間の連携体制の構築を進めた。
- 創業ベンチャーエコシステム強化事業については、創業ベンチャー公募の回数増加（4回/年）や応募要件の弾力化を実施した。さらに、海外VCを含むVCを認定（令和6年度は新たに11社）し、創業ベンチャーの採択数の増加（令和6年度は新たに19課題）に加え、採択課題への認定VC出資額の増加や、複数の認定VCからなるシンジケートによる創業ベンチャーの資金調達の加速にもつながった。また、AMED内事業や関連府省間の連携により認定VCをコメンテーターとする「AMEDシーズアクセラレーションピッチ」を開催し本事業への応募課題の掘り起こしを図った。
- 大学発医療系スタートアップ支援プログラムについては、医療系スタートアップ支援拠点の公募を行い、4課題を採択して令和6年10月から事業を開始した。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度取組と成果

3.2 AMEDの果たすべき役割

○基金等を活用した産学連携等への支援（◎AMED室、文、厚、経）（つづき）

・ 基金や政府出資を活用して中長期の研究開発を推進する。

- ・ 医学系研究支援プログラムについては、令和7年3月に基金を造成し、国家戦略上重要な研究課題に取り組む研究者の研究活動と大学病院・医学部としての研究環境改善に係る取組を一体的に支援する公募を開始した。
- ・ 先端国際共同研究推進プログラムについては、設定された研究領域に基づきアライメント公募（既に研究資金を得ている相手国研究者との連携を計画する研究提案の公募）を1回、共同公募（AMEDと相手国の資金配分機関が共同で行う公募）を4回（英・仏・豪・カナダ）実施した。そのうち4回の公募（アライメント・英・仏・豪）には計85課題の応募があり、計12課題を採択した。その結果、採択課題の累計は18課題となった。いずれの公募においても、高い科学技術水準を有する欧米等先進国内のトップ研究者および研究機関を含む研究課題を採択し、国際科学トップサークルに参入すべく、日本と相手国間の若手研究者の派遣交流、関係機関合同のワークショップやセミナーの開催など、国際頭脳循環を含む国際共同研究を推進した。カナダとの共同公募ならびに令和7年1月に予告したスイスとの共同公募は、令和7年度に採択課題を決定する予定である。

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和6年度の取組と成果
<p>3.3 研究開発の環境の整備</p> <p>○研究基盤の整備</p>	
<ul style="list-style-type: none"> 医療法（昭和23年法律第205号）上に位置付けられた国際水準の臨床研究や医師主導治験の中心的役割を担う臨床研究中核病院の機能を強化するとともに、臨床研究中核病院による質の高い臨床研究や医師主導治験の実施、他施設への支援等を促進する。（◎厚） 	<ul style="list-style-type: none"> AMEDにおける「医療技術実用化総合促進事業」を通じ、臨床研究中核病院のARO（Academic Research Organization）機能の強化、臨床研究中核病院の基盤を活用して分散型臨床試験（Decentralized Clinical Trials：DCT）の実施体制整備、臨床研究の安全性向上のための診療情報の標準化や体制整備等を行い、質の高い臨床研究や医師主導治験の実施、他施設への支援を促進した。
<ul style="list-style-type: none"> アカデミアの優れた研究成果に基づくシーズを切れ目なく実用化するため、基礎研究段階から臨床試験段階まで一貫した研究開発支援を行う拠点となる橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院を整備するとともに、機械工学、情報工学等の関連分野及び拠点外の大学等との更なる連携強化やシーズ発掘・評価機能の向上を行う。（文、◎厚） 	<ul style="list-style-type: none"> 橋渡し研究支援機関や臨床研究中核病院の整備を推進するとともに、橋渡し研究支援機関における医歯薬系以外の先端技術・知識を利活用した研究開発支援や臨床研究中核病院におけるベンチャー支援相談窓口等を通じ、Medical Innovation Support Office（MEDISO）との連携も活用した医療系ベンチャー支援、各臨床研究中核病院での支援事例や課題の共有等の拠点間の連携強化を行うことで、自施設内外のシーズを実用化につなげる取組を推進した。
<ul style="list-style-type: none"> これまでの検討で整理された課題を踏まえ、我が国における臨床研究拠点としての国立高度専門医療研究センターの組織の在り方について早急に検討する。（健医、◎厚） 	<ul style="list-style-type: none"> 「国立高度専門医療研究センター医療研究連携推進本部」において、引き続きデータ集積のための基盤強化・拠点化、共同研究の推進、知財・法務や広報、人材育成などの取り組みを実施した。国立国際医療研究センターは、令和7年4月に国立健康危機管理研究機構として、特殊法人となるが、引き続き、国立高度専門医療研究センター医療研究連携推進本部の枠組みを維持することとなった。
<ul style="list-style-type: none"> 統合プロジェクトによって整備する研究基盤と、放射光施設、クライオ電子顕微鏡、スーパーコンピュータなどの既存の大規模先端研究基盤や先端的な計測分析機器等を備えた小規模施設との連携及び機器の共同利用等が可能となる体制を実現し、科学技術共通の基盤施設をより使いやすくし、医療分野の研究開発の更なる促進に活用する。（◎文、厚） 	<ul style="list-style-type: none"> 「生命科学・創薬研究支援基盤事業（BINDS）」において、これまでの技術支援基盤に加え、クライオ電子顕微鏡トモグラフィ解析法や空間オミックス解析等の各種技術の高度化に対応したライフサイエンス研究支援基盤の積極的な活用や増加する支援への効率的な対応を可能にする創薬等よろず相談窓口の開設により、令和6年度2,426課題（令和7年2月現在）の伴走支援を実施した。 大学等における研究設備・機器の戦略的な整備・運用に向けて、先端研究基盤共用促進事業を通して先事例の創出等を行い、共用化の取組を推進した。
<ul style="list-style-type: none"> 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、IT基盤を含む個人の同意取得（E-consent）や倫理審査の円滑化、国際連携対応を想定した取得データの標準化等データ連携のための取組を進める。また、様々なデータ基盤に関する情報を見える化し、体系的な取組となるよう関係者間で連携を図る。（総、文、◎厚、経） 	<ul style="list-style-type: none"> 令和3年6月に施行された「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」（令和3年文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第1号）においてインフォームド・コンセントの手続における電磁的方法と倫理審査における原則一括審査について規定している。また、当該内容を含めた説明資料スライドをホームページにて掲載し、令和6年度も引き続き周知活動を行った。 保健医療情報標準化会議の提言を受け、保健医療情報分野の標準規格（厚生労働省標準規格）について、透視情報標準HL7FHIR記述仕様の追加を行った。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.3 研究開発の環境の整備

○研究基盤の整備（つづき）

- 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、関係者が活用出来る体制を産学官が連携して整備する（◎文、◎厚、経）

- 東北メディカル・メガバンク計画では、10万人の全ゲノム解析のデータ取得を完了し、8万5千人分を用いた全ゲノムリファレンスパネルを公開した。あわせて、多様な情報の組み合わせの検索や研究シーズの探索等を容易にするTMMプレリサーチの運用を開始した。ゲノム研究バイオバンク（バイオバンク・ジャパン）も、ゲノム・オミックスデータと、データに付随する臨床情報をパッケージとして提供するBBJデータパッケージの提供を開始するなど、バイオバンクに蓄積された試料・情報の利活用が進む取組を行った。
- 2021年1月より国立国際医療研究センター(NCGM)を中心として企業7社と各ナショナルセンター、大学・試験研究機関等が共同でナショナルセンター・バイオバンクネットワーク(NCBN)を活用する、AMED産学官共同臨床情報利活用創薬プロジェクト(GAPFREE4)「ナショナルセンター・バイオバンクネットワークを基盤とする疾患別情報統合データベースを活用した産学官連携による創薬開発研究」が令和6年度で終了した。
- 2021年1月よりナショナルセンター・バイオバンクネットワーク(NCBN)と企業7社と大学・試験研究機関等が共同で、AMED産学共同臨床情報利活用創薬プロジェクト(GAPFREE4)「ナショナルセンター・バイオバンクネットワークを基盤とする疾患別情報統合データベースを活用した産学官連携による創薬開発研究」を実施し、参加企業のニーズに応える解析データを登録・利用する研究基盤を構築し、企業及びアカデミアの個別創薬研究へと繋げた。

- 我が国のこれまでのIHCCにおけるゲノムコホート研究での貢献を基礎に、ゲノムコホートの国際連携における我が国の連携統合窓口を創設する。また、ゲノム医療の実装段階への国際連携を視野に入れたIHCC、G2MCの活動に参加し、国際連携活動を強化する。（文、◎厚、経）

- 国際連携活動の一環として IHCC International Cohorts Summit・G2MCへの参加などを行っている。本年度は、PRECISE-IHCC Conference（※）が開催されるも時期が合わず参加できていないが、IHCCが定期的に行っているコホート情報の更新調査に参加し、これら活動を通じて国際連携を行っている。

（※）PRECISE-IHCC Conference：シンガポールにおける、国家プレジジョン・メディスンプログラムの一部を実施するための政府全体の取り組みを調整するために設立された中心的な組織である、Precision Health Research, Singapore (PRECISE)と、IHCCが合同で、2024年8月21～23日に行われた会議である。

<https://www.npm.sg/news-and-events/events/precise-ihcc-conference/>

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.3 研究開発の環境の整備

○研究基盤の整備（つづき）

- 臨床研究・治験をはじめとする医薬品等の開発を効率的に行うため、クリニカル・イノベーション・ネットワーク構想において、疾患登録システムの利活用等を進めるとともに、リアルワールドデータを活用した効率的な臨床研究・治験を推進するため、国内外の連携を想定しつつ、医薬品・医療機器の研究開発拠点である臨床研究中核病院における診療情報の品質管理・標準化、ならびに連結を進める。さらに、ヘルスケアサービスや各種バイオバンクとの連携により、健康から医療まで切れ目のない情報の連結を図りつつ、リアルワールドデータを蓄積する。また、国内外の連携を図りつつ、リアルワールドデータからリアルワールドエビデンスを抽出する際の我が国としてのフレームワークを検討し、薬事承認申請のエビデンスとして活用するためのルールの整備を行い、効率的な臨床研究・治験を推進する。（◎厚、経）

- 国内の研究機関における感染症に係る基礎研究能力の向上及び病原体等の取扱いに精通した人材の育成・確保等を図るため、BSL4施設の整備等について、必要な支援を行うとともに国、大学及び自治体の地方衛生研究所等との連携を強化する。また、パンデミック対策のみならずバイオセキュリティ強化のため、米国CDC等も参考にしつつ我が国の危機管理対応能力の強化を図っていくとともに、緊急時の課題解決のための迅速な研究開発体制を整備する。（◎内閣官房、文、◎厚）

- AMEDの「臨床研究・治験推進研究事業」及び「医療機器開発推進研究事業」において、レジストリを利活用した治験・臨床研究を支援した（令和6年度は医薬品に関する研究を6件、医療機器に関する研究を2件支援）。
- クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）中央支援事業において、全国のレジストリの一覧公開やレジストリの構築、運営、利活用等に係る相談業務を行った。
- CIN推進支援事業では、レジストリ保有者と企業とのマッチングや、レジストリの改修を支援・補助する取組を実施した。令和6年度においては2件のレジストリ改修を支援した。
- 臨床研究中核病院における診療情報の品質管理・標準化等については、診療情報を用いたデータ駆動型臨床研究を実施するため、6つのサブワーキンググループを設定し、リアルワールドデータを収集できる基盤整備と品質管理、標準コードの整備、ユースケースの実施、ルール整備、人材育成等を行い、体制整備を進めた。
- リアルワールドデータを薬事承認申請等に利用する場合の信頼性確保に向け、疾患レジストリ等の保有者（11機関）を選定し、データの信頼性確保の取組を集中的に支援

- 「国際的に脅威となる感染症対策の強化のための国際連携等に関する基本戦略」（令和5年4月7日関係閣僚会議決定）等を踏まえ、内閣感染症危機管理統括庁にて「感染症研究拠点の形成に関する検討委員会」を開催した。
- 文部科学省は長崎大学BSL4施設の運営等に必要となる経費を措置すると共に、「長崎大学高度安全実験施設に係る監理委員会」を開催し、当該BSL4施設の稼働や安定的な管理運営に向けて、安全確保の方策等の検討や地域における理解促進に向けた助言等を行った。厚生労働省において、長崎大学の施設が感染症法施行規則の基準等を満たすことを確認し、長崎大学BSL4施設は、令和7年1月24日に感染症法における特定一種病原体等所持施設として厚生労働大臣の指定を受けた。
- 新興・再興感染症データバンク(REBIND)事業で構築してきた臨床情報・検体等の収集および利活用に加え、令和6年度より感染症指定医療機関等がネットワークを構築し、感染症に関する科学的知見の創出や臨床研究を実施する体制を整備する実証事業を実施（14医療機関）。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.3 研究開発の環境の整備

○先端的研究開発の推進のために必要な人材の育成・確保

医療分野の先端的な研究開発推進に必要な人材については、国内での育成のみならず、高度外国人材を含めて海外での経験を有する人材の確保も図る。特に、多様な分野の経験を有するバイオインフォマティシャン等、国内での育成のみでは十分な確保が難しい人材については、海外での経験を有する人材の確保を図る。（総、◎文、厚、経）

基礎から臨床研究及び治験の各フェーズ、様々なモダリティ等や疾患領域、さらにはそれらの横断領域等の研究の担い手となる優れた研究者を、若手や女性を含めて育成・確保する。（◎文、厚、経）

- 感染症分野の研究者育成については、菅-バイデン日米首脳会談「日米競争力・強靱性（コア）パートナーシップ」に基づき、AMED支援課題の研究者の米国研究者との更なる連携強化、及び新たな連携に向けた関係構築のための米側研究者訪問支援を実施した。2022年度及び2023年度に計48名を米国側機関に派遣した結果、2024年度までに先端国際共同研究推進プログラム（ASPIRE）採択1件、共同研究のための追加資金獲得3件、若手研究者の留学2件、成立した共同研究相手との共著論文発表1件に至った。
- 基礎研究フェーズにおける研究者育成については、次世代を担う日本の若手研究者が世界各国の若手研究者とネットワークを構築し、国際的かつ学際的な視点から医療分野の研究開発における革新的新規シーズを創出するための研究計画立案を目指すことを目的として、2018年度からInterstellar Initiativeを実施した。また、2022年度からは、Interstellar Initiativeで採択されたことのある研究者を対象として研究構想の完成度を高めるための支援を目的としたInterstellar Initiative Beyondを実施した。
- 若手研究者の育成については、2022年度第2次補正予算により措置された先端国際共同研究推進プログラム（ASPIRE）において、2024年2月の6課題の研究開始直後から、双方からの研究者の渡航受入が開始し、国際頭脳循環の好スタートを切った。また、2024年度には、日本と海外の若手研究者が合宿にて参集する国際ミニワークショップの開催、日本に招致した相手国博士研究員と日本の若手研究者との研究交流、相手国に派遣した若手日本人研究者と現地の若手研究者との研究交流、若手研究者を対象とした相手国でのセミナーの開催等を実施することにより、国際頭脳循環に資する若手研究者の育成を推進した。
- 2021年度より開始した「脳とこころの研究推進プログラム（領域横断的かつ萌芽的脳研究プロジェクト）」において、「研究開発代表者の約3割以上を若手研究者」とする若手研究者枠を設けて公募し、2021年度は32課題中14課題、2022年度は5課題中3課題を若手研究者枠として採択した。また2024年度から同プログラムを改組した「脳神経科学統合プログラム」においても、引き続き若手育成枠を設け公募を実施し、2024年度には97課題中24課題を若手研究者枠として採択するなど若手研究者育成を進めており、2025年度以降も若手や女性を含めて、優れた研究者の育成・確保を推進する。
- 「次世代がん医療加速化研究事業」では若手研究者を対象とした公募である次世代PI育成枠を設けて採択を実施した。
- 「医療機器等研究成果展開事業」では若手研究者、女性研究者を対象とした公募であるチャレンジタイプを設け、採択を実施した。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.3 研究開発の環境の整備

○先端的研究開発の推進のために必要な人材の育成・確保（つづき）

- | | |
|--|--|
| <ul style="list-style-type: none"> 臨床研究及び治験の効率的・効果的な推進のため以下の人材を育成・確保する。また、この際、医学部における臨床研究分野の教育の充実、そのほか教育訓練やe-learningの更なる整備等、臨床研究及び治験関連業務に従事する者に対する臨床研究及び治験に係る教育の機会の確保・増大を図る。（文、◎厚） <ol style="list-style-type: none"> 臨床研究及び治験において主導的な役割を果たす専門的な医師等 臨床研究及び治験関連業務を支援又は当該業務に従事する人材（臨床研究コーディネーター（CRC）、データマネージャー、治験・倫理審査委員会委員等） | <ul style="list-style-type: none"> 臨床研究・治験従事者（医師等）、CRC、データマネージャー、モニター、監査を担当する者、倫理審査委員会・治験審査委員会委員等に対する人材育成については臨床研究中核病院が主催し、当該機関以外の者を対象とする研修を実施している。特に医師（研究者）を対象とした研修形態として、令和2年度よりOJTを取り入れ、また令和4年度より委員長研修、DCT研修を開始し、令和6年度も継続して取り組んだ。 |
| <ul style="list-style-type: none"> 基礎研究段階から臨床試験段階まで一貫して効率的にシーズ研究開発を行うため、大学等の現場において、研究者・企業等との協力の下で医薬品・医療機器等の開発戦略・計画の策定・管理や薬事・特許等の総合調整、及び開発のgo/no-go判断を行うスキルを有する人材の育成と確保を推進する。（◎文、経） | <ul style="list-style-type: none"> 「橋渡し研究プログラム」のシーズFではアカデミアと企業両方の実用化担当者を指定することを求めている。橋渡し研究支援機関のプロジェクトマネージャー等がアカデミア側の実用化担当者として、企業側の実用化担当者と協力して実用化に向けた計画策定の責任を担い、課題の計画策定・特許網構築への支援、事業化計画作成を行う仕組みを構築した。引き続き、当該仕組みを適切に運用し、実用化研究を推進するための人材の確保等を推進する。 「医療機器等研究成果展開事業」において、医療機器開発への強い意欲のある有望な若手研究者、女性研究者、臨床医等を発掘し、医工連携、医療機器開発プロセスの体得を目指したハンズオン支援を含む研究開発を実施した。 |
| <ul style="list-style-type: none"> 爆発的に増加している医療関係データや情報等を効果的に活用し、解析数の増大が見込まれるゲノム解析など今後のライフサイエンス分野の研究開発を進展させる上で必要不可欠なバイオインフォマティクス人材、医療分野におけるAIの研究開発・活用を進めるための医療従事者等の人材、データの連携のためサイバーセキュリティ人材の育成と確保を推進する。（◎文、厚） | <ul style="list-style-type: none"> バイオインフォマティクス人材の育成について、AMED支援課題に参加している学生を対象に、米国ローレンスリバモア国立研究所（LLNL）データサイエンス・サマーインスティテュート（DSSI）への参加を2020年度から各年度1名支援した2020～2022年度は、コロナ禍のためリモート参加であったが、2023年度から現地参加が実現した。期間中計5名が参加し、専門的知識の獲得、世界各国からの参加者とのネットワーク形成等、若手研究人材育成を推進した。 バイオインフォマティクス人材等の受け皿拡大のため、「脳とこころの研究推進プログラム（精神・神経疾患メカニズム解明プロジェクト）」において、チーム型研究体制にデータサイエンティストを組み入れることを2021年度の公募時に設定し、21課題中18課題においてデータサイエンティストと連携し、研究開発を推進した。また2024年度から同プログラムを改組した「脳神経科学統合プログラム」においても、数理モデルの研究基盤（デジタル脳）の構築などを通して数理科学・情報科学等の活用を重視しており、2025年度以降も必要な専門家の育成・確保等およびバイオインフォマティクス人材との連携を推進する。 |

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度取組と成果

3.3 研究開発の環境の整備

○先端的研究開発の推進のために必要な人材の育成・確保（つづき）

- | | |
|--|--|
| <ul style="list-style-type: none"> 生物統計家などの専門人材及びレギュラトリーサイエンスの専門家の育成・確保等を推進するとともに、研究者に対してレギュラトリーサイエンスや知財等の実用化に必要な教育を推進する。（文、◎厚、経） | <ul style="list-style-type: none"> 生物統計家については、「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、質の高い臨床研究に寄与するための人材育成に取り組んだ。これまで92名の修了者を輩出しており、修了者の8割がアカデミアに就職した。 レギュラトリーサイエンス推進のため「医薬品等規制調和・評価研究事業」において、医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する研究を支援しており、公募において若手育成枠を設けることでレギュラトリーサイエンスに関わる若手研究者の育成に取り組んだ。また、第10回AMEDレギュラトリーサイエンス公開シンポジウム（令和6年12月3日）を開催し、大学・研究機関関係者、企業関係者等に対して本事業におけるレギュラトリーサイエンスに関する取組と今後の展望等について紹介するとともに、ポスターセッションにおいてレギュラトリーサイエンス研究者間の交流を図った。 |
| <ul style="list-style-type: none"> 再生医療の基盤を整備することで、単独での臨床研究を実施できない研究機関や医療機関、ベンチャー企業等に対する技術的支援、人材交流等により、人材の育成・確保を推進する。また、再生医療の事業化に必要な細胞の品質管理、大量培養、運搬技術等の開発を担う人材の育成・確保を強化する。（文、◎厚、◎経） | <ul style="list-style-type: none"> 再生医療の臨床研究計画等に関する支援については、単独での臨床研究を実施できない研究機関等に対し令和6年12月時点で6件の支援を実施した（目標値は3年間で17件の支援）。また、人材の育成については、特定細胞加工物ならびに再生医療等製品を製造する機関で必要とされる人材の育成に資する教育プログラム等の構築や既存教育コンテンツの見直し、「再生医療等安全性確保法における細胞保管に関する考え方」に基づく細胞を保管する機関における運用に関する文書の作成等を行った。産学連携に関しては、AROとの関わりにおける座談会、産学連携テクノオークションを実施した。 |

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.4 研究開発の公正かつ適正な実施の確保

○研究の公正性・適正性の確保、法令等の遵守のための環境整備

- | | |
|---|--|
| <ul style="list-style-type: none"> 我が国の臨床研究に対する国民の信頼の更なる向上と研究の推進を図るため、臨床研究法（平成29年法律第16号）を適切に運用し、その施行状況等を踏まえ、通常の診療で用いられるが薬事承認外である医薬品等の用法・用量等を用いる研究の特定臨床研究の該当性等も含め、必要に応じて見直しを行う。なお、十分な科学的知見が得られていない医療行為に対する措置については、個別の医療技術や具体的な医療行為の性質に応じた検討を行う。（◎厚） | <ul style="list-style-type: none"> 令和4年6月3日に公表された「臨床研究法施行5年後の見直しに係る検討のとりまとめ」に従い臨床研究法や運用の見直しを行い、令和6年3月5日に「再生医療等の安全性の確保等に関する法律及び臨床研究法の一部を改正する法律案」を国会に提出、同年6月に可決・成立、6月14日に公布した。 |
| <ul style="list-style-type: none"> 臨床研究法に基づき認定された臨床研究審査委員会における審査能力のさらなる向上を図る。（文、◎厚） | <ul style="list-style-type: none"> 認定臨床研究審査委員会を対象に、有識者が実際の議事録及び審査資料一式を用いて審査内容の調査を行い、議事録を用いた第三者による評価の実現に向けた検討を行った。また、臨床研究中核病院の認定臨床研究審査委員会による、臨床研究中核病院ではない機関に設置された認定臨床研究審査委員会の審査意見業務に係る内容について評価を実施した。 |
| <ul style="list-style-type: none"> 多施設共同研究における倫理審査の適正かつ円滑な実施を図るため、中央倫理・治験審査委員会の設置・運用を推進する。（文、◎厚） | <ul style="list-style-type: none"> 中央倫理審査の運用においては、多施設共同研究における一括審査を円滑に行うことが不可欠であり、令和3年6月に施行された「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」（令和3年文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第1号）において、倫理審査においては原則一括審査を求めている。 |
| <ul style="list-style-type: none"> 基礎研究及び臨床研究における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。他の関係機関と連携を図りながら、業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正への対応に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成等に努める。（◎AMED室、文、厚、経） | <ul style="list-style-type: none"> AMEDにおいては研究公正・業務推進部にて、基礎研究および臨床研究における不正防止の確保を図っている。具体的な取組については「AMEDの果たすべき役割」中「研究不正防止の取組の推進」を参照。 |
| <ul style="list-style-type: none"> 動物実験等についての基本指針等に則り、適正な動物実験等の実施を確保する。（食品、警、総、文、厚、農、経、国、◎環） | <ul style="list-style-type: none"> 動物実験等については、「動物の愛護及び管理に関する法律」に基づく、「実験動物の飼養及び保管並びに苦痛の軽減に関する基準」及び関係省庁が策定する基本指針等に基づき、各省庁において適正な実施を図った。 |

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.4 研究開発の公正かつ適正な実施の確保

○倫理的・法的・社会的課題への対応

- 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、患者・国民の研究への参画の観点も加えながら、研究開発を推進するとともに、ELSI研究を推進する。(◎文、厚)

- ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(B-Cure)ゲノム医療実現推進プラットフォーム・社会共創推進領域では、ゲノム医療・研究に対する患者・市民参画(PPI)の取組推進を図るべく、患者・市民向けの研修及びPPIコーディネーター研修を実施するとともに、研究者向けのPPI支援教材の作成やゲノム医療・研究にかかるプレスリリースガイドを作成・公開した。また、患者・市民を交えたラウンドテーブルを開催し、ゲノム研究の進め方、遺伝的特徴・情報に基づく差別や、ゲノム研究のプレスリリースについて情報共有を行い、基盤的ELSI研究に取り組んだ。
- その他、脳神経科学統合プログラムや再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム、ムーンショット型研究開発等事業等においても、それぞれの疾患領域等におけるELSIへの対応や研究等を展開した。
- 研究開発推進ネットワーク事業において2022年度(令和4年度)に作成した、『医学系研究の成果をわかりやすく伝えるための手引き』について、AMEDの研究開発契約事務処理説明書(令和6年度)を通じて、プレスリリース等の情報発信時に利活用するよう求めた。また、AMED主催で全国5か所でワークショップを実施し、研究者や研究機関の広報担当者に対して、この手引きを活用しての情報発信スキル向上のための教育研究を展開した。

- ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用に関する規制の在り方について、法制化も含めて検討する。(科技、文、◎厚)

- 審議会等で、ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用に対して、基礎的な研究への利用も含めた統合的な法規制に向けて議論を行った。

3.5 研究開発成果の実用化のための審査体制の整備等

○薬事規制の適切な運用等

- 「先駆け審査指定制度」、「条件付き早期承認制度」の法制化等を含む医薬品、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等の一部を改正する法律(令和元年法律第63号、2019年11月27日成立、同年12月4日公布)の円滑な施行に向け、政省令の整備等に着実に取り組む。(◎厚)

- 「先駆け審査指定制度」、「条件付き早期承認制度」の法制化等については、関連する政省令の公布等を行い、令和2年9月に施行済み。

- 研究開発成果を効率的に薬事承認に繋がられるように、PMDAのレギュラトリーサイエンス戦略相談制度や優先的な治験相談制度等の必要な運用改善を行い、革新的な医薬品等の迅速な実用化を図る。また、PMDAの国際的な規制調和に向けた海外当局との協力関係を強化しつつ、海外の規制動向に関する情報を相談者にも可能な限り提供する体制を推進する。(◎厚)

- 令和5年度にレギュラトリーサイエンス総合相談を158件実施した。(令和6年度分は集計中)
- 国際的な規制調和について、PMDAのアジア医薬品・医療機器トレーニングセンターにおいて令和6年度にアジアをはじめとする各国の薬事規制当局の担当官に対して審査や安全対策等の研修を合計15回実施するなどした。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.5 研究開発成果の実用化のための審査体制の整備等

○薬事規制の適切な運用等 (つづき)

- | | |
|---|--|
| <ul style="list-style-type: none"> 再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成25年法律第85号）の施行状況等を踏まえ、in vivo遺伝子治療に対する法的枠組み、提供された再生医療等の科学的妥当性（有効性を含む）、認定再生医療等委員会の質の担保等について、見直しも含めて検討を行う。（◎厚） | <ul style="list-style-type: none"> 「再生医療等の安全性の確保等に関する法律及び臨床研究法の一部を改正する法律」が第213回国会において可決・成立された。今般の改正では、人の体内に直接遺伝子を投与したり、体内で遺伝子の改変を行う遺伝子治療（in vivo遺伝子治療）やその関連技術を法の対象とするとともに、認定再生医療等委員会に対する立入検査や欠格事由の規定を設けた。また、科学的妥当性（有効性を含む）が適切に評価されるよう、再生医療等提供計画等の様式の変更も行い、ガイドラインを発出した。 |
| <ul style="list-style-type: none"> 我が国の遺伝子治療の開発等の推進を図るため、遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（平成15年法律第97号）の運用等について、必要に応じて見直しを検討する。（財、文、◎厚、農、経、環） | <ul style="list-style-type: none"> アデノ随伴ウイルスベクター等のリスクの低いウイルスベクターを用いた遺伝子治療用製品に対する運用について規制改革実施計画（令和6年6月21日閣議決定）で挙げられたことを受け、産業界と議論し、諸外国における規制実態の調査を行うとともにアカデミアとの意見交換を行った。 |
| <ul style="list-style-type: none"> 健康関連の製品やサービス等について、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）や医師法（昭和23年法律第201号）等の規制の適用の有無の範囲を明確化するため、ガイドライン等の策定等を推進する。（◎厚、農、経） | <ul style="list-style-type: none"> 医療機器プログラムについて実施した該当性判断の相談事例のうち事業者より公表の了承を得られたものを公表し、薬機法の規制対象の範囲の明確化を行った。 |
| <ul style="list-style-type: none"> AI等の先端技術を利用した医療機器プログラム等については、審査時の評価の考え方を含めた薬事規制の在り方や薬事該当性の明確化の検討を引き続き推進する。（総、文、◎厚、経） | <ul style="list-style-type: none"> 「プログラム医療機器の特性を踏まえた適切かつ迅速な承認及び開発のためのガイダンス（第二版）の公表について」（2024年6月5日事務連絡）発出。 「特定臨床研究で得られた試験成績を医療機器及び再生医療等製の承認申請に利用する場合の留意点・考え方の例示について」（2024年6月5日事務連絡）発出。 「「プログラム医療機器の特性を踏まえた二段階承認に係る取扱い」に関する質疑応答集について」（2024年6月12日事務連絡）発出。 プログラム医療機器の薬事開発・承認申請に関する手引き（よくある質問集）（2024年10月第2版）公表。 令和6年度「プログラム医療機器の薬事承認におけるデータ信頼性等の検討事業」を実施。 医療機器プログラムについて実施した該当性判断の相談事例のうち事業者より公表の了承を得られたものを公表し、薬機法の規制対象の範囲の明確化を行った。 |
| <ul style="list-style-type: none"> デジタルヘルス機器等を用いて収集したものを含め、蓄積されたリアルワールドデータを、医薬品、医療機器等の臨床研究・治験や薬事承認申請のエビデンスとして活用するためのルールを整備する。（◎厚） | <ul style="list-style-type: none"> 医療情報の品質管理・標準化等を含むリアルワールドデータの利活用に関する臨床研究中核病院の体制整備を行った。 「治験及び製造販売後臨床試験における情報通信機器等により電磁的記録として収集された情報を用いた有効性及び安全性の評価に関する留意点について」（医薬薬審発0920第1号・医薬機審発0920第1号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長及び医療機器審査管理課長連名通知）を発出し、電磁的方法を用いた有効性及び安全性の評価に関する留意点をとりまとめ周知した。 |

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和6年度の取組と成果

3.5 研究開発成果の実用化のための審査体制の整備等

○レギュラトリーサイエンスの推進

- | | |
|---|---|
| <ul style="list-style-type: none"> 国際的な規制調和を前提とした医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する研究の支援、審査ガイドラインの整備、審査員に対する専門的知識（新たなモダリティとしてのデジタルセラピューティクス 分野とデータ連携に必要な法、技術、倫理及びサイバーセキュリティの知見を含む）の向上等を通じて、研究開発におけるレギュラトリーサイエンスを普及・充実させる。（◎厚） | <ul style="list-style-type: none"> 医薬品規制調和国際会議（ICH）の合意に基づき、薬物相互作用試験に関するガイドライン（ICH M12）等を発出した。 PMDA科学委員会における「標的特異性を有するin vivo遺伝子治療用製品のベクターに関する評価の考え方専門部会」において、新たなin vivo遺伝子治療について開発の留意点や評価における論点を検討し、2024年7月に報告書を取りまとめた。 |
| <ul style="list-style-type: none"> このうち、PMDAは、レギュラトリーサイエンスセンターにおいて、国内各種レジストリやそれに附帯するバイオバンクを有するアカデミア等との連携、臨床試験成績等のビッグデータを活用し、品目横断的な情報の統合等により、審査・相談の高度化や医薬品等の開発に資するガイドラインの策定等の取組を推進する。その際、国際的な規制調和の動向を適宜反映するよう努める。（◎厚） | <ul style="list-style-type: none"> PMDAの横断的に連携するプロジェクトチームにおける検討を踏まえ、2024年10月4日にレジストリデータを活用する際の留意点を通知した。また、2025年3月21日に小児用医薬品の開発促進に向けたPMDA相談の取組について通知した。 |