

令和 3 年度 医療分野の研究開発関連予算等の資源配分方針 (案)

令和 2 年 7 月 日
健康・医療戦略推進本部決定

1. 位置付け

医療分野の研究開発関連予算等の資源配分方針（以下「資源配分方針」という。）は、健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画（以下「推進計画」という。）に掲げられる施策を着実に推進するために、健康・医療戦略推進法（平成 26 年法律第 48 号）第 21 条の規定に従い、健康・医療戦略推進本部（以下「推進本部」という。）が毎年度、決定する方針である。

また、本方針は、令和 3 年度予算における医療分野の研究開発関連予算（国が定めた戦略に基づくトップダウンの研究を行うために、研究者や研究機関に配分される研究費等）の要求に当たっての留意点及び重点化すべき研究領域等について示すものである。

2. 健康・医療戦略推進本部による総合的な予算要求配分調整

医療分野の研究開発に当たり、推進本部は、健康・医療戦略に基づき、総合的な予算要求配分調整を行う。具体的には、推進本部は、毎年度の概算要求に合わせて、医療分野の研究開発及びその環境の整備に関する予算の配分の方針を作成し、関係府省に提示し、関係府省は本方針に基づいて内閣官房との間で推進計画の着実な実施の観点から必要な調整を行った上で、内閣官房と共同して医療分野の研究開発関連予算の概算要求を行う。

3. 調整費の活用

調整費は、予算配分を関係府省の枠にとらわれず、機動的かつ効率的に行うことを目的とするものであり、関係府省に計上した「国立研究開発法人日本医療研究開発機構」（以下「AMED」という。）への集約対象となる予算に対して、AMED の PD（プログラム・ディレクター）等による研究マネジメントの下で把握する研究現場の状況・ニーズを踏まえ、研究開発の進捗等に応じて、推進本部の決定により追加的に配分する。

また、新型コロナウイルス感染症に係る状況変化等により、可及的速やかに研究開発等に着手する必要性が生じた場合には、推進本部の決定により機動的に配分を行う。

4. 予算要求に当たっての留意点

推進計画は、AMED が、研究機関の能力を活用して行う医療分野の研究開発及びその環境の整備並びに研究機関における医療分野の研究開発及びその環境の整備の助成において中核的な役割を担うよう作成されており、これに基づき医療分野の研究開発関連予算を AMED に集約することにより、関係府省それぞれが実施してきた医療分野の研究開発について、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を一体的に行うこととしている。

関係府省は、こうした趣旨を踏まえ、令和3年度においても引き続き一体的に事業を推進する観点から予算要求を行うこととし、統一的な交付要綱の下、一体的な運用、成果の最大化を目指すこととする。また、現下の新型コロナウイルス感染症による医療現場や研究現場を含む社会への影響を考慮するものとする。

なお、全てのプロジェクトを通じて、以下の点に留意することとする。

- ・関係府省や機関が持つエビデンス（研究者等への調査、論文調査、海外動向等）を分析した上で、重点化する領域等を抽出する。
- ・疾患を限定しないモダリティ等の統合プロジェクトに集約することにより、AI などデジタル技術の活用を図りつつ、新たな医療技術等を様々な疾患に効果的に展開する。
- ・疾患領域に関連した研究開発は、モダリティ等の統合プロジェクトの中で推進するが、プロジェクト間の連携を常時十分に確保し、特定の疾患ごとに柔軟にマネジメントできるようにする。
- ・開発目的（予防／診断／治療／予後・QOL）にも着目した、健康長寿社会の形成に向けた健康寿命延伸という目標のために最適なアプローチを選択する。

5. 重点化すべき研究領域

令和2年度補正予算や調整費等による新型コロナウイルス感染症対策に係る取組を着実に推進し、新型コロナウイルス感染症に関する治療薬・ワクチン・診断法の開発、感染症対策に資する多様なアプローチからの基盤的研究開発、機器・システム開発や研究基盤の整備を加速する。

その上で、健康・医療戦略及び推進計画に基づき、令和3年度に重点化すべき研究領域については、以下のとおり。

(1) 6つの統合プロジェクト

①医薬品プロジェクト

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。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法や製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

令和3年度においては、特に、公衆衛生、採算性等の観点から公益性の高い研究や、我が国の創薬産業基盤を強化するため、その環境整備に資する研究を推進する。

例えば、これまで産学官共同創薬研究プロジェクトの下、参画企業も一定の研究費を拠出して、臨床データへのアクセス等、産学連携による創薬標的探索・バイオマーカー探索等のための基盤を整備してきたが、その枠組みを活用しつつ、r T Rによる創薬研究を進める等、医薬品としての開発目標を具体的に定めること等により、公益性の観点も踏まえつつ、より効率的に支援する。

また、これまでに国内企業及びアカデミアが一体となって構築してきた国産の抗体製造プラットフォームをさらに発展させ、より実用性の高い製造技術として確立させるとともに、次世代抗体の製造技術についての技術開発を進めることで、次世代抗体医薬品を含めた国産の抗体製造技術の幅広い実用化を目指す。

②医療機器・ヘルスケアプロジェクト

AI・IoT技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化のための医療機器・システム、医療現場のニーズが大きい医療機器や、予防・高齢者のQOL向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。また、医療分野以外の研究者や企業も含め適切に研究開発を行うことができるよう、必要な支援に取り組む。

令和3年度においては、特に、将来の医療・福祉分野のニーズを踏まえたAI・ロボット等の技術を活用した革新的な医療機器・ヘルスケアに関する機器等の開発を強化する。また、疾患領域に関連した研究開発については、各疾患の特性に応じて、早期診断・予防、低侵襲治療等のための医療機器やシステムの開発を行う。加えて、

新型コロナウイルス感染症等の緊急事態に備え国内における研究開発を強化するとともに、若手研究者への支援等を含めた人材育成や、学会との連携、ベンチャー支援等を強化し、新規参入の促進及び医療機器・ヘルスケア機器等の開発の加速化を推進する。

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床・臨床研究や製造基盤技術の開発、疾患特異的 iPS 細胞等を活用した難病等の病態解明・創薬研究及び必要な基盤構築を行う。また、遺伝子治療について、遺伝子導入技術や遺伝子編集技術に関する研究開発を行う。さらに、これらの分野融合的な研究開発を推進する。

令和3年度においては、特に iPS 細胞や体性幹細胞等を用いた再生・細胞医療、遺伝子治療の実用化を目指し、次世代の再生医療、創薬等の実現に資する挑戦的な研究開発及び基盤技術の研究開発、難病の病態メカニズム理解に基づく再生・細胞医療及び遺伝子治療の研究開発、製造技術の基盤技術開発及び整備、原料細胞供給のための技術開発及び実証、臨床研究・治験等の支援を推進する。また、遺伝子治療については、がん免疫（細胞）療法、ウイルス療法、ゲノム編集技術等を用いた治療等の前臨床研究や医師主導治験等を行う。

④ゲノム・データ基盤プロジェクト

健常人及び疾患のバイオバンク・コホート等の情報に加え、臨床研究等を行う際のコホート・レジストリ、臨床情報等を統合し、研究開発を推進するために必要なデータ基盤を構築する。また、一人ひとりの治療精度を格段に向上させ、治療のない患者に新たな治療を提供するといったがんや難病等の医療の発展や、個別化医療の推進など、がんや難病等患者のより良い医療の推進のため全ゲノム解析等実行計画を実施する。特にがんの全ゲノム解析は、臨床実装を見据え、がんの再発分野等の課題を明確に設定した上で推進する。また、細胞のがん化過程をシームレスに追跡できるよう健常人コホートからがん患者の発生を追跡できる研究について検討する。

その際、詳細で正確な臨床情報等が得られる検体を重点的に解析するとともに、個人情報等に配慮しつつ研究開発や創薬等に活用できるデータシェアリングを進め、特に、AMED で行う研究開発については、研究成果として得られたデータを共

有する。

ゲノム・データ基盤の整備を推進するとともに、全ゲノム解析等実行計画等の実行により得られるデータの利活用を促進することで、ライフステージを俯瞰して遺伝子変異・多型と疾患の発症との関連等から疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進し、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。

また、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行う。

令和3年度においては、特に、がんや難病領域において全ゲノム解析等実行計画に基づいて、先行解析を進める。認知症においては、大規模認知症コホートによる認知症の病態把握や、層別化のためのバイオマーカーの研究を進めると共に、令和3年度中に前臨床期を対象とした、企業治験のための治験対応体制を構築する。またゲノム解析等により生活習慣病等多因子疾患の予防・早期診断・治療最適化の研究を進める。精神・神経疾患の早期発見・診断に向けた AI 技術の研究を進める。

⑤疾患基礎研究プロジェクト

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。

これらの研究開発成果を臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付けるとともに、臨床上の課題を取り込んだ研究開発を行うことにより、基礎から実用化まで一貫した循環型の研究を支える基盤を構築する。

令和3年度においては、特に、病態解明が研究開発の律速となっている疾患領域に注目し、領域ごとに開発目的（予防／診断／治療／予後・QOL）を検討した上で、疾患研究開発を行う。特に新型コロナウイルス感染症を含む感染症研究について、多様な分野の研究者の参画を促し、今後の感染症対策に資する研究を推進するとともに、脳科学研究の戦略的な推進のための横断的な研究プロジェクトを推進する。

⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクト

アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制を構築し、新規モダリティの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究を行うとともに、国際共同研究を実施し、臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付ける。

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（rTR）、実証研究基盤の構築を推進し、基礎研究から臨床研究まで一貫した循環型の研究支援体制や研究基盤を整備する。

特に、異分野・モダリティ融合的なシーズの研究開発や、上記①～④のプロジェクトに将来的に繋がりを生むシーズの継続的発掘、育成に取り組む。

令和3年度においては、革新的医療技術創出拠点の機能を活用した、基礎研究から臨床試験段階までの一貫した研究開発支援を行うシーズ研究費事業等を令和4年度からの新事業体制の開始に向けて先行的に実施するとともに、拠点内外の医療機関における人材開発や国際共同臨床研究・治験実施体制を強化する。また、画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究や、国際共同研究や国際連携の促進を引き続き実施する。

(2) 疾患領域に関連した研究開発

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。

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、特に難病については、その特性を踏まえ、実態把握等から実臨床につながる研究開発まで切れ目なくつなげる対応が必要である。

令和3年度においては、がん免疫（細胞）療法、ウイルス療法、ゲノム編集技術を用いた治療等の前臨床研究や医師主導治験、がんや難病領域における全ゲノム解析等実行計画に基づく先行解析、ゲノム解析等による生活習慣病等多因子疾患の予防・早期診断・治療最適化の研究、精神・神経疾患の早期発見・早期診断に向けたAI技術研究、大規模認知症コホートを用いた認知症の病態把握や層別化のためのバイオマーカー研究、認知症における前臨床期を対象とした企業治験のための治験対応体制の構築、難病の病態メカニズム理解に基づく再生・細胞医療及び遺伝子治療の研究開発、多様な分野の研究者の参画を促し今後の感染症対策に資する研究といった取組を推進する。

(3) インハウス研究開発

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、各機関の特性を踏まえつつ、AMEDの研究開発支援との適切な連携・分担の下、全体として戦略的・体系的な研究開発を推進していく。

6. PDCAの徹底

推進本部の下で、内閣官房は関係府省とともにPDCAサイクルを回していく。具体的には、推進計画に掲げた具体的施策（Plan）を関係府省の連携の下で実施し（Do）、定期的に進捗状況をフォローアップにより把握・検証し（Check）、その検証結果に基づき、必要に応じて施策の実施内容を見直すとともに予算への反映等の必要な措置を講じる（Action）。