

令和6年度医療分野研究開発推進計画のフォローアップ結果（概要）

- 第2期医療分野研究開発推進計画（令和2～6年度）において、計画の実行状況をフォローアップすることとされていることを踏まえ、第2期推進計画5年度目である令和6年度について、実行状況のフォローアップ結果について報告を行うもの。
- 令和7年5月14日に開催された第43回健康・医療戦略推進専門調査会において、以下の内容が報告された。

令和6年度 医療分野研究開発推進計画の主な成果

- シーズの企業への導出件数累計200件（目標60件）や薬事承認件数（新薬、適応拡大）累計42件（目標10件）など、多数の企業導出や薬事承認取得を達成するなど順調に進捗。【① 医薬品プロジェクト】
- 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の研究開発進展により、クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数で10件、研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況は80件達成など、医療機器等の開発・実用化は着実に進展。【② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト】
- 視覚再生遺伝子治療薬の第Ⅰ/Ⅱ相治験の開始（1例目投与完了）や、非ウイルス遺伝子改変CAR-T細胞療法の豪州での治験準備進展など、社会実装に向けて支援課題が着実に成果を創出。【③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト】
- シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数累計74件（目標25件）や臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数累計25件（目標15件）など、引き続きゲノム医療の発展に繋がる成果を順調に創出。【④ ゲノム・データ基盤プロジェクト】
- 脳神経科学統合プログラムの整備や全身性自己免疫疾患の発症機構の解明、世界最大規模の腎臓がんの全ゲノム解析の実施（国際共同研究）による日本人の7割に未知の発がん要因の発見など、着実に成果を創出。【⑤ 疾患基礎研究プロジェクト】
- 研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数累計1,860件（目標550件）、シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数累計494件（目標125件）や医薬品等の薬事承認申請の件数累計47件（目標30件）など順調に進捗。【⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト】

など

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

① 医薬品プロジェクト

- 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)

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）

慢性血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）

先天性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。

○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、薬事承認を取得。

○ファビラビル（低分子）

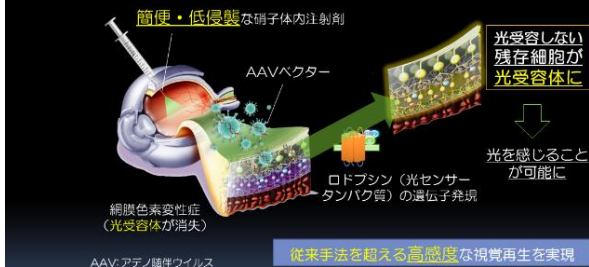
重症熱性血小板減少症候群（SFTS）ウイルス感染症に対する効能追加。

視覚再生遺伝子治療薬による重症網膜色素変性症の

PI/II治験を開始 ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

- 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。

視覚再生遺伝子治療薬開発プロジェクト



【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】

★網膜色素変性症をはじめとする遺伝性網膜疾患に対する視覚再生遺伝子治療薬の開発
★本研究ではそのための非臨床POC取得及び治験準備を実施

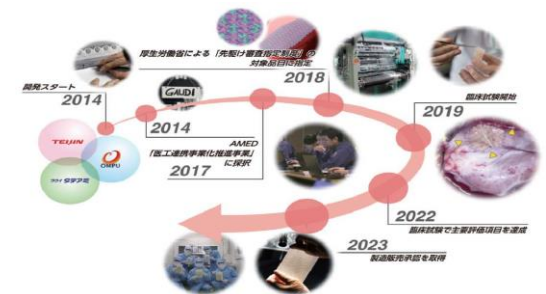
小児の心臓再手術リスクを減らすための心・血管修復パッチ

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

- 治療で用いるパッチ上の医療材料では、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。
- 上記課題解決のため、本研究では、再手術リスクの低減が期待できる、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。

- 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。

- 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。

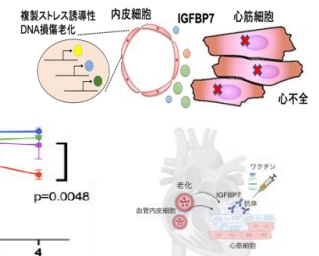
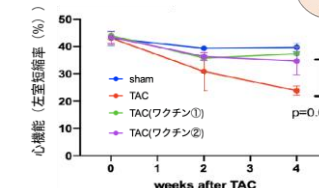
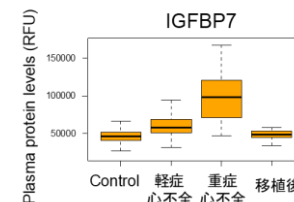


心筋梗塞の新たな治療ターゲットを発見—心筋梗塞の後に生じる時間的・空間的な遺伝子発現の変化を網羅的に解析—

④ゲノム・データ基盤プロジェクト

- 先端ゲノム研究開発事業において、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。
- 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、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。

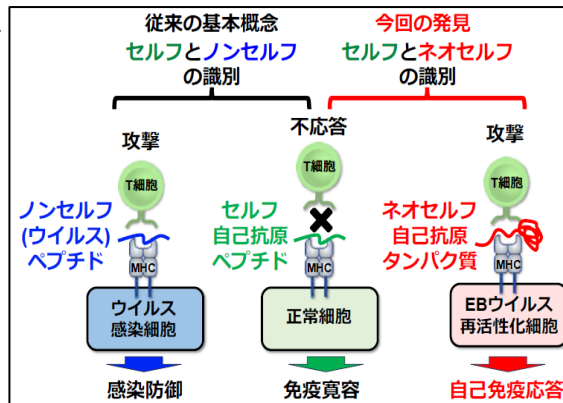
心筋梗塞の新たな治療ターゲットを発見



全身性自己免疫疾患の発症機構を解明

⑤ 疾患基礎研究プロジェクト

- 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）。

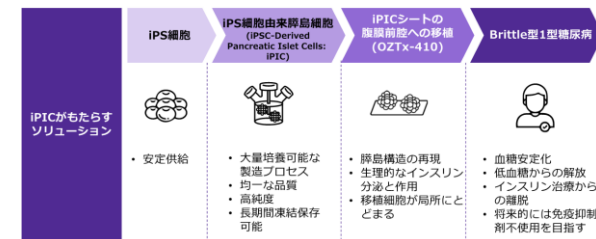


「iPS由来膵島細胞シート移植に関する医師主導治験」の開始

⑥ シーズ研究・研究基盤プロジェクト

- 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】



(参考) 第2期医療分野研究開発推進計画の達成目標の進捗状況

①医薬品プロジェクトの達成目標	最新の数値
<アウトプット>	
非臨床POCの取得件数 25件	214件
創業支援ネットワークの活動による有望創業シーズの企業導出件数 10件	8件
臨床POCの取得件数 5件	37件
新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%	83.0%
<アウトカム>	
シーズの企業への導出件数 60件	200件
薬事承認件数（新薬、適応拡大） 10件	42件
創業等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 120件	279件
研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	51件

④ゲノム・データ基盤プロジェクトの達成目標	最新の数値
<アウトプット>	
・ 非臨床POCの取得件数 5件	12件
・ 臨床POCの取得件数 10件	23件
・ 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	1,868件※
・ 新たな疾患発症メカニズム解明件数 10件	69件
・ 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
・ データ基盤構築の状況（連携、解析体制を含む）	-
・ アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績	464件
・ 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	2,918件※
<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 25件	74件
・ 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
・ 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医療機器・ヘルスケアプロジェクトの達成目標	最新の数値
<アウトプット>	
非臨床POCの取得件数 25件	103件
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%
ヘルスケア関連機器等の実証完了件数 35件	31件
<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
クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数 20件	10件
ヘルスケア関連機器等の上市等の件数 10件	10件
研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	80件

⑤疾患基礎研究プロジェクトの達成目標	最新の数値
<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 400件	3,001件
・ 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
<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 10件	43件

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトの達成目標	最新の数値
<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〔67件〕
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※
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〔19件〕
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※
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〔1件〕
<アウトカム>	
シーズの他事業への導出件数 30件	80件
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〔17件〕〔35件〕
薬事承認件数（新薬、適応拡大）2件以上	6件
関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況	-
研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	56件
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

⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクトの達成目標	最新の数値
<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※
・ 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
・ 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※
<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
・ 医薬品等の薬事承認申請の件数 30件	47件

注1：※の項目は、AMEDにおいてクラリベイトIncites Benchmarkingより集計。
 注2：「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。