

## 医療分野研究開発推進計画(第2期)(案)

## 目次

1. はじめに .....	2
1.1 医療分野研究開発推進計画の位置づけ .....	2
1.2 現状認識 .....	2
1.3 第1期の計画の成果と課題 .....	2
2. 医療分野研究開発等施策についての基本的な方針 .....	3
3. 集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策 .....	3
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 .....	3
(1) 5つの統合プロジェクト .....	3
① 医薬品プロジェクト .....	4
② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト .....	5
③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト .....	5
④ ゲノム・データ基盤プロジェクト .....	6
⑤ 研究開発基礎基盤プロジェクト .....	6
(2) ムーンショット型の研究開発(P) .....	7
(3) 疾患領域に関連した研究開発 .....	7
3.2 AMED の果たすべき役割 .....	7
3.3 研究開発の環境の整備 .....	9
3.4 研究開発の公正かつ適正な実施の確保 .....	10
3.5 研究開発成果の実用化のための審査体制の整備等 .....	11
4. 医療分野研究開発等施策を集中的かつ計画的に推進するために必要な事項 .....	11
4.1 医療分野の研究開発に関する KPI .....	11
4.2 フォローアップ .....	11

## 1. はじめに

### 1.1 医療分野研究開発推進計画の位置づけ

今回定める「医療分野研究開発推進計画」(以下「本計画」という。)は、政府が講ずべき医療分野の研究開発並びにその環境の整備及び成果の普及に関する施策(以下「医療分野研究開発等施策」という。)の集中的かつ計画的な推進を図るため、内閣総理大臣を本部長とする健康・医療戦略推進本部が、健康・医療戦略推進法第 18 条に基づき、健康・医療戦略(2020 年●月●日閣議決定)に即して策定する計画である。また、同法第 19 条に基づき、国立研究開発法人日本医療研究開発機構(以下「AMED」という。)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する計画である。

第 1 期の計画は、2019 年度までを対象期間として、健康・医療戦略推進本部において 2014 年 7 月に決定し、2017 年 2 月に一部変更を行った。

第 2 期に当たる本計画は、2040 年頃までを視野に入れ、2020 年度から 2024 年度までの 5 年間を対象とし、2025 年度までに全体の見直しを行うこととする。なお、フォローアップの結果等を踏まえ、必要に応じて見直しを行う。

### 1.2 現状認識

我が国の疾病構造を見ると、感染症や遺伝性疾患等の単一標的型の疾患のみならず、いわゆる生活習慣病や老化に伴う疾患といった多因子疾患が国民に大きな影響を与えるようになっている。

平均寿命が伸びている中で、健康寿命をさらに伸ばしていくためには、こうした疾患への対応が課題となる中、診断・治療に加えて予防の重要性が増すと同時に、罹患しても日常生活に出来るだけ制限を受けずに生活していく、すなわち、病気と共生していくための取組を車の両輪として講じていくことが望まれている。

また、総人口が減少する中で高齢化率は今後も上昇が見込まれ、2040 年には現役世代 1.5 人で 65 歳以上の者 1 人を支えることになると予想される。こうした状況下においても、国民に十分な医療や介護を提供していくためには、医療介護分野の担い手不足への対応や生産性向上のための取組も求められている。

他方で、世界的に医療分野や生命科学分野で研究開発が加速しているとともに、第 4 次産業革命の直中にあり、AI、ロボット、ビッグデータなどのデジタル技術とデータの利活用が、産業構造や経済社会システム全体に大きな影響を及ぼしつつある。今後、こうした分野でのイノベーションが加速し、疾患メカニズムの解明、新たな診断・治療方法の開発、AI やビッグデータ等の利活用による創薬等の研究開発、個人の状態に合わせた個別化医療・精密医療等が進展していくことが期待されている。

### 1.3 第 1 期の計画の成果と課題

2015 年 4 月に AMED を設立し、従来、厚生労働省、文部科学省、経済産業省が各省それぞれに運用していた医療分野の研究開発予算を一元化して 9 つの統合プロジェクトを編成するとともに、プログラムディレクター(PD)等の配置による研究マネジメント体制を整備するなど、基礎から実用化まで一貫した研究開発を推進する体制を構築した。これにより、第 1 期の KPI の達成状況に見られるように、アカデミアのシーズが実用化に至るなど優れた研究開発成果が多数創出された。

他方で、統合プロジェクトについては、下記のような課題が挙げられる。

- ・ 統合プロジェクトを構成する各省庁の予算について、継続的かつ統一的なエビデンスに基づいた戦略的かつ効果的な配分を行っているとは言えない。
- ・ 個々の予算や研究課題について、予防／診断／治療／予後・QOL(生活の質)といった開発目的が必ずしも明確になっていない。
- ・ データの基盤構築・利活用、ゲノム・遺伝子医療、中・高分子医薬やドラッグ・デリバリー・システム(DDS)等本来、疾患横断的に活用しうるモダリティ等(技術・手法)の開発が、疾患別の統合プロジェクトで特定の疾患に分断されている。
- ・ 研究開発の推進の視点が、モダリティ等の選択や特定疾患への展開にとどまり、結果として診断・治療研究に偏っている。

第2期の本計画においては、こうした第1期の成果と課題も踏まえて統合プロジェクトの見直しを行った。

## 2. 医療分野研究開発等施策についての基本的な方針

### ○ 基礎から実用化までの一貫した研究開発

- ・ 引き続き、AMED を核とした産学官連携による基礎から実用化まで一貫した研究開発の推進と成果の実用化を図る。

### ○ モダリティ等を軸とした統合プロジェクトの推進

- ・ 関係省庁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、新たな医療技術等を様々な疾患に効果的に展開する。
- ・ 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。

### ○ 最先端の研究開発を支える環境の整備

- ・ 産業界も含めた研究開発促進のため、臨床研究拠点病院等の研究基盤、インベーション・エコシステム、データ基盤、人材育成、研究開発成果実用化のための審査体制の整備等の環境整備を推進する。
- ・ 特に、研究開発に資するデータの連携基盤を構築するとともに、利活用しやすくなるような環境を整備する。

## 3. 集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策

### 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) 5つの統合プロジェクト

本計画では、1.3 で述べたような第1期の成果と課題も踏まえ、統合プロジェクトをモダリティ等別のプロジェクトとする。

統合プロジェクトとして重点化する領域等については、下記のような方法でエビデンスを分析した。

- ・ 医療関係の主な学会や産業団体等にアンケート調査を行い、2040年頃を視野に入れて、我が国の健康寿命の延伸に貢献するとともに、我が国に強みがある(他国と比較して科学的知見が高い、技術的に優れている等)領域を分析。

- ・ 近年の論文分布調査から、我が国に強みがある領域を分析。
- ・ JST 研究開発戦略センターの俯瞰報告書から、国内外の研究動向を分析。  
こうしたエビデンスを踏まえ、今後取り組むべきモダリティとして、医薬品、医療機器・ヘルスケア、再生・細胞医療・遺伝子治療、ゲノム・データ基盤の4つの領域が挙げられる。さらに、研究を支える基盤的な事業を行っていくことが必要である。  
以上を踏まえ、本計画では、統合プロジェクトを以下①～⑤のとおり定める。

- ① 医薬品プロジェクト
- ② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト
- ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
- ④ ゲノム・データ基盤プロジェクト
- ⑤ 研究開発基礎基盤プロジェクト

各統合プロジェクトにおいては、「予防／診断／治療／予後・QOL」といった開発目的を明確にした技術アプローチを行う。これにより、ライフステージを俯瞰した健康寿命延伸を意識した取組とする。

また、アカデミアによる医療への出口を見据えたシーズ研究を行うとともに、こうしたシーズも活かしつつ産学連携による実用化研究・臨床研究を行うほか、臨床上の課題を基礎研究にフィードバックするリバース・トランスレーショナル・リサーチ(rTR)を行う。さらに、研究開発に対する相談・助言等の伴走支援を行うことで、基礎から実用化までの一貫した研究開発や循環型の研究開発の推進と成果の実用化を図る。

さらに、各統合プロジェクトの中における個々の事業・研究課題の間の連携はもちろんのこと、各統合プロジェクト間の連携も十分に確保する。特に、④ゲノム・データ基盤プロジェクト、⑤研究開発基礎基盤プロジェクトについては、他の研究の基盤となる性格のプロジェクトであることから、情報の共有や研究成果の他の研究への展開を図る。

加えて、科学研究費助成事業、インハウス研究機関、民間企業の研究開発とも連携しつつ、AMED を中核とした研究開発を推進するとともに、融合領域については他の資源配分機関とも適切に連携・分担を図る。

## ① 医薬品プロジェクト

(文科省、◎厚労省、経産省)

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。

特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。

- ・ 疾患メカニズムに関するタンパク質間相互作用等に着目した創薬標的の探索
- ・ 化合物の構造解析技術や計算科学を活用した創薬デザイン
- ・ 抗体医薬の高機能化・低分子量化や、核酸・中分子医薬のデザイン・合成・評

- 価など、新たなモダリティに関する基盤的な技術
- ・ 新規ドラッグ・デリバリー・システムや、新たなモダリティの活性・物性評価技術などの周辺技術
- ・ DNA ワクチン等の治療用ワクチン、アジュバント技術
- ・ バイオ医薬品の連続生産技術などの医薬品製造技術
- ・ 免疫チェックポイント阻害剤等の患者層別化に資する、免疫細胞解析とパスウェイ解析等との統合解析による新規バイオマーカー探索技術

## ② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

(総務省、文科省、厚労省、◎経産省)

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。

特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。

- ・ 計測、微細加工、生体親和性の高い素材等、医療分野への応用を目指した要素技術
- ・ 検査・診断の簡易化や、精度向上・常時計測等の早期化に関する技術
- ・ 診断・治療の高度化や一体化のための、デジタル化・データ利活用や複数機器・システムの統合化等に関する技術
- ・ 生活習慣病等の予防のための行動変容を促すデバイス・ソフトウェア
- ・ 高齢化により衰える機能の補完や QOL 向上のための機器

## ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

(◎文科省、厚労省、経産省)

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 細胞等を活用した病態解明・創薬研究、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。

特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。

- ・ 幹細胞の特性に応じた細胞株の樹立、培養、分化誘導等に関する基礎的な技術
- ・ 疾患特異的 iPS 細胞の適応拡大に資する研究開発、灌流培養を用いた臓器チップの開発、及び病態解明・創薬研究等への応用
- ・ 再生・細胞医療や創薬研究等に用いる細胞原料を含む生体材料や研究資源の品質管理・供給基盤構築
- ・ 細胞組織の三次元化等の臓器再生に関する技術
- ・ 遺伝子治療に関する安全で高生産かつ安価な国産ホスト細胞樹立及び標準的なウイルスベクターの構築

- ・ オフターゲットでの変異発現等の既存の技術課題への対応可能な遺伝子編集技術、及びそれらを応用した免疫細胞機能の強化や幹細胞を経ない分化誘導等の、再生・細胞医療と遺伝子治療の融合研究を進めるための基礎的な技術
- ・ 大量培養や精製、品質評価・管理手法等の製造関連技術

#### ④ ゲノム・データ基盤プロジェクト

(総務省、文科省、◎厚労省、経産省)

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。その際、すべてのゲノム・データ基盤において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。

こうしたゲノム・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することで、ゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。

また、データ基盤の活用による病態解明、構築したデータ基盤の活用によるAIの医療分野での実装や、医薬品・医療機器等の評価基盤構築に向けたデータ収集・活用等を推進する。また、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。

特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。

- ・ 全ゲノム解析を活用したがんの新規ドライバー遺伝子等の探索、さらにオミックス解析も活用した難病等の新規原因遺伝子等の発見等による病態の解明、
- ・ 早期診断や治療法の研究
- ・ 糖尿病、認知症等の多因子疾患に関する、ゲノム解析等を活用した予防・個別化医療の実装に向けた研究
- ・ ゲノム・データ基盤を用いたコホート研究(P)
- ・ コホート・レジストリ等の医療データを活用した医療実装に向けた新たな診断、治療法の開発

#### ⑤ 研究開発基礎基盤プロジェクト

(◎文科省、厚労省、経産省)

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のための基礎的な研究開発を行う。

さらに、様々な疾患を対象に、疾患メカニズムの解明、シーズ探索、新規モデルの創出に向けた基盤技術開発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つける。

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の一貫通貫・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有するシーズの継続的発掘、育成に取り組む。

## (2) ムーンショット型の研究開発(P)

(◎内閣府 AMED 室、文科省、厚労省、経産省)

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関係府省が連携して行う。

## (3) 疾患領域に関連した研究開発

(◎内閣官房健康・医療戦略室、総務省、文科省、厚労省、経産省)

3.1(1)で述べた5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。

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、研究開発の状況を適切に把握する。

具体的には、

- ・ 3.1(1)で述べた医療関係の主な学会や産業団体等へのアンケート調査から、我が国の健康寿命の延伸に貢献するとともに我が国に技術的強みがあると考えられる疾患領域
- ・ 疾病の負荷(死亡と障害の程度の双方を考慮した負荷)が高い疾患領域
- ・ 社会的な対応の必要性が高い疾患領域

の観点から、がん、生活習慣病(循環器、糖尿病等)、精神・神経疾患、老年医学・認知症、難病、成育、感染症(AMR 含む)を対象とし、これら疾患領域に関する研究課題については、AMED における研究開発実施段階において、予算規模や研究状況等を把握する。

## 3.2 AMED の果たすべき役割

基礎から実用化までの研究開発を効果的・効率的に推進する上で、AMED は以下の役割を果たす。

○医療に関する研究開発のマネジメント(◎内閣府 AMED 室、文科省、厚労省、経産省)

- ・ 世界の最新の情勢を把握した PD、PS、PO 等がこれを活用した研究の実施、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)やり

バース・トランスレーショナル・リサーチ (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。

#### ○研究不正防止の取組の推進(◎内閣府 AMED 室、文科省、厚労省、経産省)

- ・ 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。

#### ○臨床研究及び治験データマネジメント(◎内閣府 AMED 室、文科省、厚労省、経産省)

- ・ AMED が推進する研究については、臨床研究及び治験に係る計画書(プロトコール)の策定、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方策を検討し、できる限り早期にその実行に向けた取組を行う。

#### ○実用化に向けた支援(◎内閣府 AMED 室、文科省、厚労省、経産省)

- ・ 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、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。

#### ○国際戦略の推進(◎内閣府 AMED 室、文科省、厚労省、経産省)

- ・ 研究開発の推進にあたっては、海外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、主要な海外ファンディング機関との協力協定の下、共同研究の推進・調整や情報収集・発信等を行う。

#### ○基金等を活用した産学連携等への支援(P)(◎内閣府 AMED 室、文科省、厚



## 労省、経産省)

- ・ 基金等による中長期の研究開発を推進する。

### 3.3 研究開発の環境の整備

#### ○ 研究基盤の整備

- ・ 医療法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。(◎厚労省)
- ・ 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通貫した研究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、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。(◎文科省)
- ・ 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、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を取りつつ、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。(◎文科省、厚労省、経産省)
- ・ 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あり方について早急に検討する。(内閣官房健康・医療戦略室、◎厚労省)
- ・ 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、個人の同意取得や倫理審査の円滑化、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。(文科省、◎厚労省、経産省)
- ・ 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、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。(◎厚労省)
- ・ 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。(◎内閣官房国際感染症対策調整室、文科省、厚労省)

#### ○ 先端的研究開発の推進のために必要な人材の育成・確保

- ・ 基礎から臨床研究及び治験まで精通し、かつ、世界をリードする学術的な実績があり、強力な指導力を発揮できる、若手・女性研究者を含めた人材を育成する。(◎文科省、厚労省、経産省)
- ・ 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、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。(◎厚労省)

- i 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
- ii 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: Clinical Research Coordinator）、データマネージャー、治験・倫理審査委員会委員等）

- ・ 基礎研究段階から臨床試験段階まで一気通貫で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を推進する。

(◎文科省)

- ・ 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、今後のライフサイエンス分野の研究開発を発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の育成を図る。(◎文科省、厚労省)
- ・ 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。(文科省、◎厚労省、経産省)
- ・ 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しての技術的支援、人材交流等により、人材の育成を推進する。(◎厚労省)

### 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

- ・ 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、必要に応じて見直しを行う。(◎厚労省)
- ・ 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(◎厚労省)
- ・ 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。(◎厚労省)
- ・ 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とともに、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。(◎内閣府 AMED 室、文科省、厚労省、経産省)
- ・ 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。(総務省、文科省、厚労省、農水省、経産省、国交省、◎環境省、食品、警察庁)

#### ○ 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、研究を推進するとともに、ELSI 研究を推進する。(◎文科省、厚労省)

### 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

- ・ 「先駆け審査指定制度」、「条件付き早期承認制度」の法制化等を含む薬機法等改正法案の早期成立を期する。法案が成立した場合はその円滑な施行に向け、政省令の整備等に着実に取り組む。(◎厚労省)
- ・ 研究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。(◎厚労省)

#### ○ レギュラトリーサイエンスの推進

- ・ 医薬品等の品質、有効性、安全性に関する研究の支援、審査ガイドラインの整備、審査員の専門的知識の向上等を通じて、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。(◎厚労省)
- ・ 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、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開発に資するガイドラインの策定等の取り組みを推進する。(◎厚労省)

## 4. 医療分野研究開発等施策を集中的かつ計画的に推進するために必要な事項

### 4.1 医療分野の研究開発に関する KPI

#### (別途調整)

- 医薬品プロジェクト
- 医療機器・ヘルスケアプロジェクト
- 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
- ゲノム・データ基盤プロジェクト
- 研究開発基礎基盤プロジェクト

### 4.2 フォローアップ

健康・医療戦略推進本部の下で、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、本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(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)。