

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4年度版）

目次

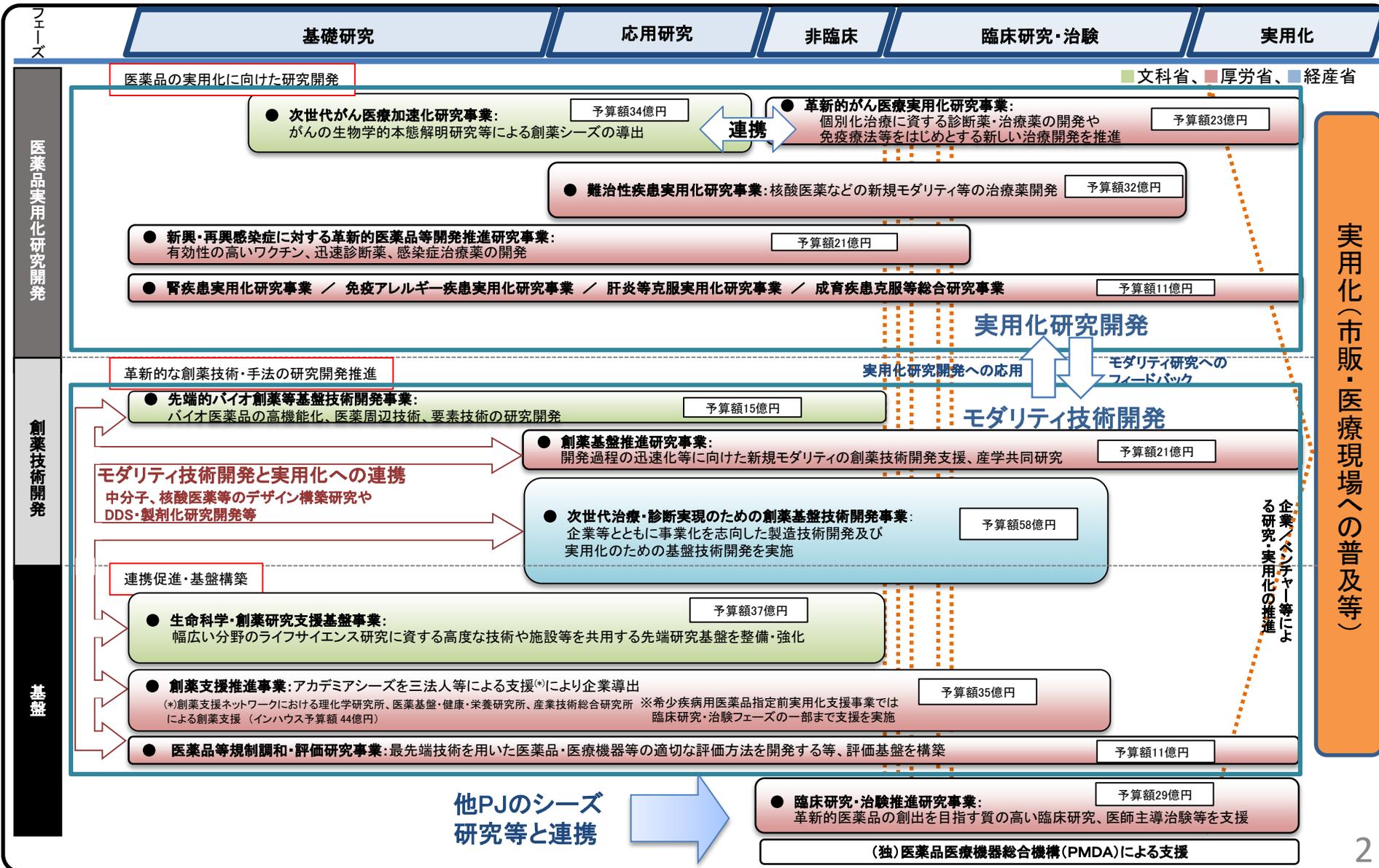
1. 医薬品プロジェクト	P. 2
2. 医療機器・ヘルスケアプロジェクト	P. 7
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	P. 11
4. ゲノム・データ基盤プロジェクト	P. 16
5. 疾患基礎研究プロジェクト	P. 20
6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト	P. 24
7. その他	P. 28

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4年度予算額326億円

インハウス研究機関経費
令和4年度予算額44億円

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。



PSPO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したことで、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、現時点で目標の多くを達成できており、2024年度末までに全項目の達成は可能であると考えることから、順調に進捗していると評価できる。創薬を加速する観点から、新たなモダリティや技術等への対応を強化する必要があるため、新たなモダリティを活用した高機能バイオ・中分子等に係る革新的な創薬研究を推進するとともに、分散型臨床試験(DCT)等の新しい手法を活用した臨床試験の効率化を推進する。

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>				
<ul style="list-style-type: none"> 非臨床POCの取得件数 25件 	128件 (45/36/47)	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、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、既に2024年度末までの目標を達成している。	
<ul style="list-style-type: none"> 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 	7件 (3/2/2)	A	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の企業導出を達成しており、2022年度末時点の実績から勘案すると2024年度末の目標達成は可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。	
<ul style="list-style-type: none"> 臨床POCの取得件数 5件 	31件 (11/12/8)	A	がんや感染症等の疾患を対象とする治療薬やバイオマーカーについて、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、既に2024年度末までの目標を達成している。	
<ul style="list-style-type: none"> 新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75% 	81.0% (80.8/81.1/81.0)	A	生命科学・創薬研究支援基盤事業において、様々な医薬品モダリティに対応した技術支援を実施するための基盤構築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75%を超えており、順調に進捗していると評価できる。	

PSPO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したことで、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、現時点で目標の多くを達成できており、2024年度末までに全項目の達成は可能であると考えことから、順調に進捗していると評価できる。創薬を加速する観点から、新たなモダリティや技術等への対応を強化する必要があるため、新たなモダリティを活用した高機能バイオ・中分子等に係る革新的な創薬研究を推進するとともに、分散型臨床試験(DCT)等の新しい手法を活用した臨床試験の効率化を推進する。

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 	135件 (40/47/48)	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、既に2024年度末までの目標を達成している。	
<ul style="list-style-type: none"> 薬事承認件数(新薬、適応拡大) 10件 	23件 (5/15/3)	A	希少疾患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、既に2024年度末までの目標を達成している。	
<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 	202件 (95/69/38)	A	先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業(次年度が最終年度)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、既に2024年度末までの目標を達成している。	
<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 	29件 (14/8/7)	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、2022年度の7件を含む29件が臨床試験・治験に移行しており、臨床POC取得、薬事承認に繋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。	

(1) 関係府省の主な取組

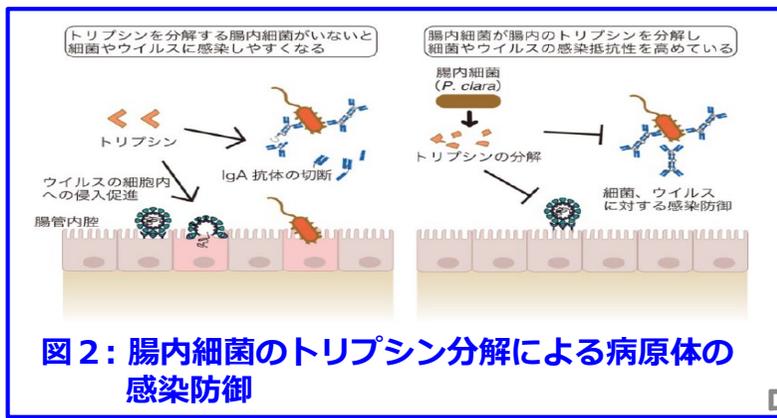
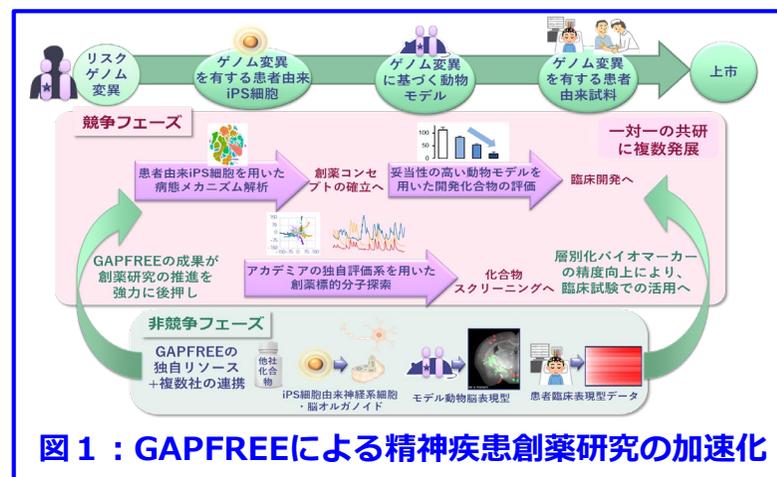
創薬基盤推進研究事業や次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業等において、創薬基盤技術を確立するための研究開発を推進した。また、難治性疾患実用化研究事業や成育疾患克服等総合研究事業等において実施した医師主導治験の成果に基づき、希少疾患や難治性疾患等の医療ニーズの高い疾患を対象とした治療薬の薬事承認を取得した。また、各種モダリティの医薬品シーズ開発を推進し、多数の企業導出を達成した。創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム（BINDS）の技術支援基盤のさらなる拡充を図り、積極的な支援基盤の活用により、医薬品の実用化を推進した。

(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

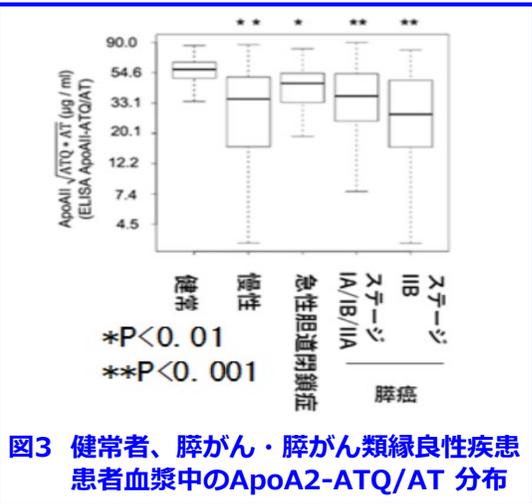
創薬基盤推進研究事業では、リバーストランスレショナルリサーチを活用した産学官共同研究開発プロジェクト（GAPFREE）において、日本人の精神障害患者の臨床情報や疾患発症に強く関わるゲノム変異情報等を用いて、病態メカニズムの解析、新たな評価系（精神障害患者由来iPS細胞を用いたスクリーニング系や精神障害モデル動物）の確立、当該評価系を用いた解析手法の確立等、精神疾患を対象とした創薬研究の基盤技術を構築し、企業との共同研究を開始した。（図1）

次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業（腸内マイクロバイオーーム制御による次世代創薬技術の開発）において、腸管内のトリプシンの分解が細菌やウイルス等の病原体の感染防御に寄与していることを明らかにするとともに、トリプシンを分解する腸内細菌を同定した。この腸内細菌は、細菌やウイルスによる腸管感染症や腸管内の免疫異常が要因となる腸炎等を対象とした予防薬・治療薬の創薬シーズとなり得る。（図2）



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

- 次世代がん医療加速化研究事業及び革新的がん医療実用化研究事業において、膵がん患者や膵がんのリスクが高い疾患の患者でAPOA2アイソフォーム（ApoA2-ATQ/AT）濃度が低下するという発見を基に、企業との共同研究により、血液中のAPOA2アイソフォーム濃度を測定する酵素免疫測定法（ELISA）キットを作製し、難治がんである膵がんの早期発見、早期治療に繋がる体外診断用医薬品として製造販売承認申請に至った。（図3）
- 新型コロナウイルス感染症のワクチンや希少疾患、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、3件の薬事承認に至った。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、50件のシーズの企業への導出（創薬ブースターを含む）を達成した。（下表参照）（創薬支援推進事業、難治性疾患実用化研究事業、成育疾患克服等総合研究事業）



AMED支援課題関連の2022年度薬事承認された主な薬剤

- 承認薬剤：組換えコロナウイルス（SARS-CoV-2）ワクチン**
（ヌバキソビッド筋注）
組換えタンパクを用いた、Matrix-M™アジュバントを含有する新型コロナウイルス感染症ワクチン
- 承認薬剤：リツキシマブ**（リツキサン®点滴静注100mg、同500mg）
国内有病率5.3人/10万人の指定難病である視神経脊髄炎スペクトラム障害の患者に対して、医師主導第II/III相臨床試験にて有効性が証明された再発予防を効能・効果とする新効能・新用量医薬品（希少疾病用医薬品）
- 承認薬剤：バルガンシクロビル塩酸塩**（バリキサドライシロップ 5000mg）
国内において年間1,700人程度が発症する希少疾病である症候性先天性サイトメガロウイルス感染症の患者に対して、医師主導治験の成績に基づき世界で初めて治療薬として承認され、効能追加された新効能・新用量医薬品（希少疾病用医薬品）

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	循環器系疾患
低分子化合物	153(6)	77(2)	36(1)	16(1)
抗体医薬	66(3)	26(1)	9(1)	4
ワクチン	9(1)	48(1)	0	1
核酸医薬	20	4	9	5

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」「治験・臨床試験」「市販後」「その他」のうち、「基礎的」「応用」に分類される課題が約6割程度を占める。
 ・導出元の研究代表者は全てアカデミアであり、導出先は大企業が多いが、ベンチャー企業も1/3程度を占める。

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

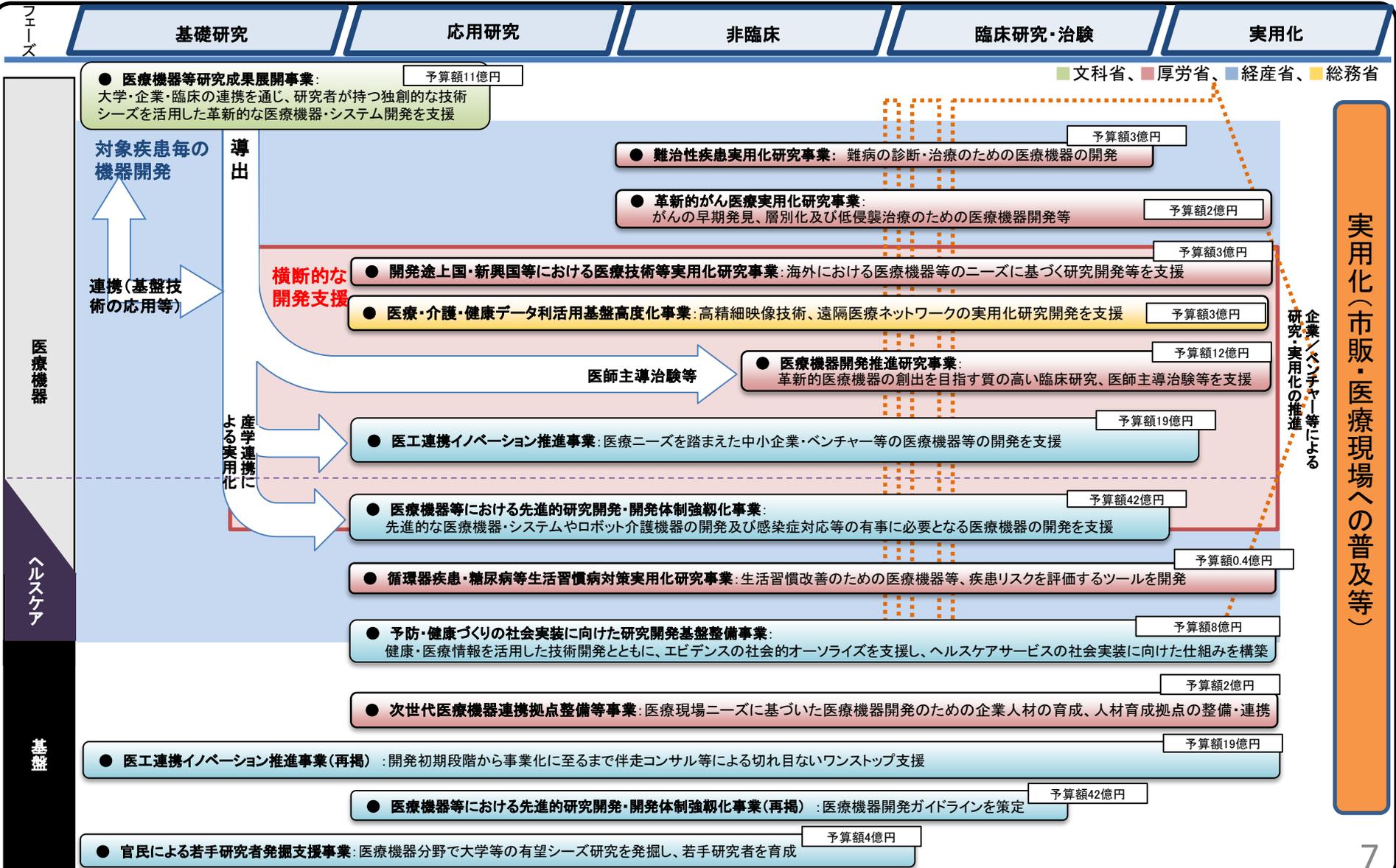
- 生命科学・創薬研究支援基盤事業では、創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム（BINDS）におけるこれまでの技術支援基盤に加え、クライオ電子顕微鏡等の測定・解析の自動化・遠隔化等、研究支援基盤の高度化を図るとともに、新しいモダリティに対応した薬物動態・安全性評価、オミックス解析等の技術支援基盤を拡充した。

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、R4年度1430件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4年度予算額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ドラインの策定、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ている。

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	41件 (23/16/2)	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ており、既に2024年度末の目標を達成している。	
・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%	31% (23/48/41)	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ており、例年、目標値に近い23%以上の割合で採択できていることから、KPI達成に向け順調に進捗している。	
・ヘルスケア関連機器等の実証完了件数 35件	18件 (10/5/3)	B	毎年着実に必要な件数の採択を進めてきているが、実証完了年度にバラツキがあるため、足下では21件(年平均7件)を下回っている状況。引き続き、実証完了見込みの課題(計17件)を支援し、完了に導くことで着実な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	14件 (6/3/5)	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ており、これにより着実に成果が創出されており、2024年度末の目標達成に向けて順調に進捗している。	
・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数 20件	5件 (2/1/2)	B	医療機器の開発途上の案件が多い状況であるが、医工連携イノベーション推進事業や医療機器開発推進研究事業において計2件の薬事承認があった。引き続き、52件以上のクラスⅢ・Ⅳ医療機器の支援を進めており、薬事承認に向けた助言を行うなど、KPIの達成に向け、引き続き取組を進める。	
・ヘルスケア関連機器等の上市等の件数 10件	6件 (1/4/1)	A	2023年度には7件の課題を推進中であり、また終了した課題の追跡調査を通じて今後、計5件の上市が見込まれていることから、2024年度末の目標達成に向けて順調に進捗していると評価できる。	
・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	59件 (23/21/15)	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、例年通りに多数の課題の移行が確認できていることから、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4年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4)の単年実績。進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

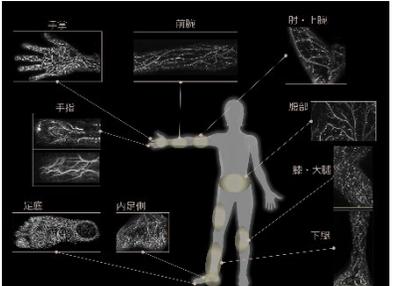
(1) 関係府省の主な取組

- 先進的研究開発・開発体制強靱化事業では世界最高水準の技術を用いた医療の提供と経済成長への寄与に貢献するため、先進的な医療機器・システム等を開発し、国内外への展開・普及を実施。
- 医工連携イノベーション推進事業では、我が国の中小企業が有する高度なものづくり技術を活用した医療機器等の開発支援を実施。
- 医療機器等研究成果展開事業においては、実用化を見据えて医療機器の研究開発を進めることができるアカデミア人材の育成を支援すべく、アカデミアの有望なシーズを有する若手研究者等を発掘・育成し、実践教育等を行う「チャレンジタイプ」の公募を実施。
- 開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業においては、日本とは異なる公衆衛生上の課題を抱えている開発途上国・新興国において現地ニーズ発掘から課題を特定、それに基づく医療機器等の研究開発、開発後の事業展開に至るまでの総合的な支援を実施し、日本企業の海外展開を推進。

(2) 研究開発成果事例

課題名：診断・治療適用のための光超音波3Dイメージングによる革新的画像診断装置の開発
 (医療機器等における先進的研究開発・開発体制強靱化事業)
 代表者：株式会社Luxonus

【概要】
 血管像を高解像度に3D可視化できる、日本初の光音響原理に基づく「光超音波イメージング装置LME-01」を開発し、医療機器製造販売承認(クラスII)を取得した。無被ばくかつ造影剤なしでは画像化が難しかった微細な血管を可視化することが可能な装置であり、承認取得により、患者に対し、より負担の少ない診断・治療方法を提供することが可能になった。



(図1) 撮像した血管画



(図2) 光超音波イメージング装置の試作機

課題名：IoTを活用した肥満妊産婦の重症化予防のための行動変容に関する研究
 (医療機器等における先進的研究開発・開発体制強靱化事業)
 代表者：国立成育医療研究センター

【概要】
 肥満女性の妊娠転帰と将来の疾病の重症化を予防する目的で、IoTデバイスやモバイルアプリケーション等で取得した日常生活の健康データを参考情報に、自動アドバイス機能等を使って行動変容を促すアプリケーションを開発し、妊娠中から産後の肥満女性に対する介入効果を実証した。産後の減量に対する有効性は確認できたものの、アプリの利用率が低下する事など新たな課題も明らかになってきており、当該機能の実用化(機能追加)に向けて、引き続き研究者が開発を進めている。

コロママプラス 妊産婦コース



(図1) 介入群に対するモバイルアプリケーションでの自動アドバイスと肥満に関連するコラムの提供

(2) 研究開発成果事例

課題名：前眼部疾患AI診断支援システムに関する研究開発
(医療機器等研究成果展開事業 開発実践タイプ)

代表者：筑波大学医学医療系 上野 勇太 講師

【概要】

- 角膜炎は世界の失明原因の第4位※1であり、その中で主因である感染性角膜炎（世界で年間200万人が罹患※2）は、急速進行性であるため、迅速かつ的確な診断と治療が不可欠である。そのため、感染性か否かの正診率を向上させることが世界的に求められている。

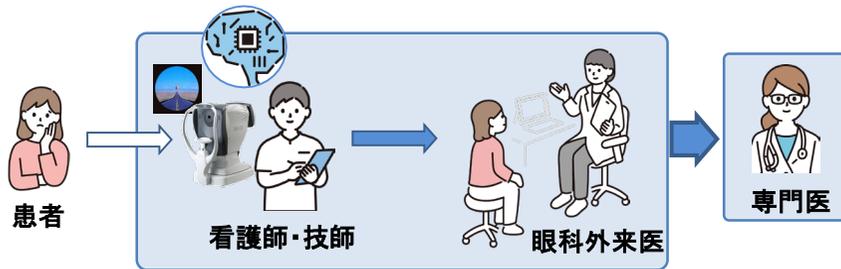
【研究開発成果】

- 前眼部カラー写真に対して、正常及び角膜・前眼部疾患の病変特徴の9項目について分類名及び角膜領域の注釈をつけて教師データを作り、深層学習の手法にて、AI自動分類ソフトを試作した。
- その結果、テストデータ（N=500）に対して、AIと眼科医の正答率を比較したところ、9項目すべてにおいて試作ソフトの成績が上回った。
- このことから、感染性の病変のみならず幅広い前眼部疾患の診断補助装置に今回採用しているアルゴリズムが診断に適していると想定され、診断装置としての実用化に向けた道筋が付いた。

【今後の展望】

- この技術を、既存の眼科診断装置へ追加インストール可能な診断支援プログラムとして作り上げ、他事業や企業等へ導出し、早期の実用化することにより、角膜炎が迅速に治療される診断フローの実現を目指す。

AIを活用した前眼部病変の診療フロー



※1：WHO「World report on vision」(2019)
 ※2：L.Ung, et al. 「The persistent dilemma of microbial keratitis: Global burden, diagnosis, and antimicrobial resistance」Survey of Ophthalmology (2019) ; 64(3): 255-271.

課題名：安全なバッグ換気のためのモニター（開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業）

代表者：日本光電工業株式会社

【概要】

- インドネシアにおいては新生児死亡率の高さが課題となっており、その一因として、心肺蘇生時に適切に空気を送り込むバッグ換気手技の教育を十分に受ける事ができていない事が挙げられる。
- 現地医療課題解決に資する医療機器等の開発を支援する事でインドネシアにおける新生児死亡率改善を目指す。

【研究開発成果】

- デザインアプローチ手法を用いて特定したインドネシアにおける現地医療ニーズを踏まえた「新生児蘇生モニター」を開発した。
- 新生児心肺蘇生時に行うバッグ換気手技の教育を十分に受けていないインドネシアの医療従事者の方でも、視覚的に適切な換気を行う事が可能なアシスト機能を有していること、また電池駆動式で電源インフラが不整備な環境においても使用可能なことが特徴である。

【今後の展望】

- 本製品について令和4年度にインドネシア現地認可を取得済、令和5年度より現地販売開始を予定している。（日本でも販売開始）
- 今後、インドネシア国内外における新生児死亡率改善への貢献が期待される。

Breath Cue



プレスキュー NRM-1300

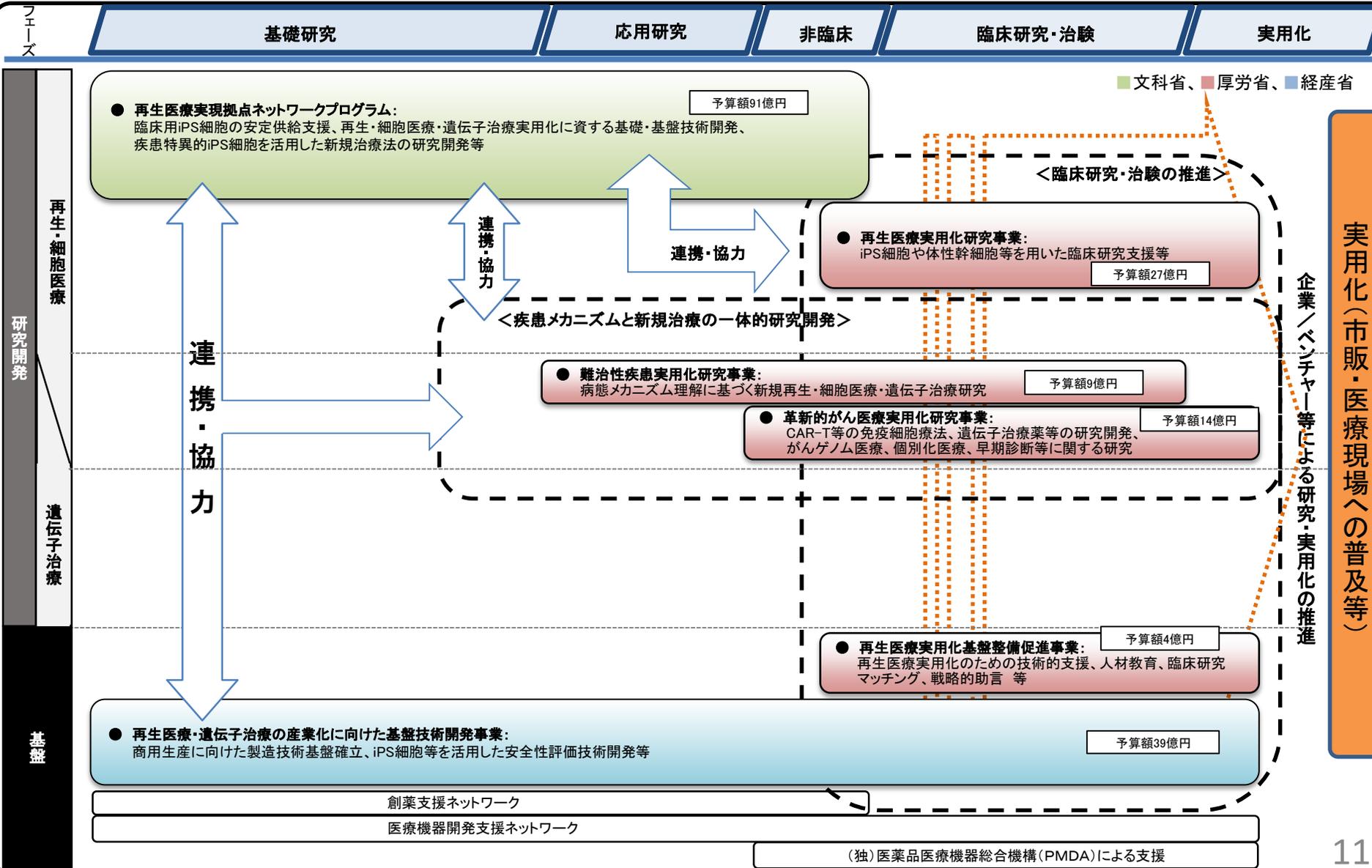


PPVアシスト機能

3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
令和4年度予算額183億円

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。



再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会、文部科学省再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会での議論等を踏まえ、再生・細胞医療・遺伝子治療分野を融合し、人材育成、知的財産権確保、生産支援体制の強化を目指した事業設計、創薬支援技術、遺伝子治療の研究開発の加速等を推進した。第1期の成果が顕在化する時期と重なることもあって、2022年度末の実績で2024年度末までの目標を達成し、順調に進捗していると評価できる。再生・細胞医療・遺伝子治療のさらなる実用化に向けて、異分野融合による独創的な治療技術研究や、製造基盤技術開発等の革新的な研究開発や研究成果の実用化に向けた相談体制強化、生産工程の改善支援等に取り組む必要がある。

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 [うち遺伝子治療 5件]	79件(14/11/54) [40件 (13/10/17)]	A	再生医療実現拠点ネットワークプログラム34件、再生医療実用化研究事業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9件(うち遺伝子治療7件)、難治性疾患実用化研究事業10件(うち遺伝子治療10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	450件 (107/137/206)	A	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等から206件という多くの論文が発表された。	※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]	27件(11/7/9) [15件(6/3/6)]	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増えておりR4年度も新たに9件(うち遺伝子治療6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	449件 (200/126/123)	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論文のみならず、多くの論文が掲載された。	※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]	12件(4/4/4) [1件(0/1/0)]	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いる。遺伝子治療については、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。	

※「最新の数値」は計画開始から令和4年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 12

再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会、文部科学省再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会での議論等を踏まえ、再生・細胞医療・遺伝子治療分野を融合し、人材育成、知的財産権確保、生産支援体制の強化を目指した事業設計、創薬支援技術、遺伝子治療の研究開発の加速等を推進した。第1期の成果が顕在化する時期と重なることもあって、2022年度末の実績で2024年度末までの目標を達成し、順調に進捗していると評価できる。再生・細胞医療・遺伝子治療のさらなる実用化に向けて、異分野融合による独創的な治療技術研究や、製造基盤技術開発等の革新的な研究開発や研究成果の実用化に向けた相談体制強化、生産工程の改善支援等に取り組む必要がある。

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>				
・シーズの他事業への導出件数 30件	42件 (9/5/28)	A	R4年度は28件と従来以上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]	38件(9/3/26) [9件(5/2/2)] [21件(6/1/14)]	A	再生医療実現拠点ネットワークプログラム14件(うち企業に導出されたもの12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11件(うち遺伝子治療1件、うち企業に導出されたもの2件)、革新的がん医療実用化研究事業1件(うち遺伝子治療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	4件* (1/2/1)	A	再生医療実用化研究事業における「特発性大腿骨頭壊死症に対する自家濃縮骨髄液移植法の臨床研究」が先進医療Bとして認可された。	* 先進医療B 2件、医療機器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	11件 (2/2/7)	A	7件(ISO/TC198WG9、ISO/TC276 WG4、The Standards Initiativeステアリングコミッティ等)	
・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況(臨床研究含む)	39件 (15/11/13)	A	治験移行9件、臨床研究移行4件。なお、治験第2相へ移行2件、治験第3相へ移行1件、臨床研究でFIH1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	133件 (48/38/47)	A	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でベクター作製、大量製造、精製、製品評価等の44件、再生医療実用化研究事業1件、再生医療実現拠点ネットワークプログラムで2件の製造関連要素技術開発が進展。	

※「最新の数値」は計画開始から令和4年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4)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「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」における成果を、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。
- ・文部科学省の「再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会」において、令和5年度以降の再生・細胞医療・遺伝子治療研究の推進に向けた報告書「再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方について」を取りまとめた(令和4年5月)。

(2) 顕著な研究開発成果事例

・iPS細胞から作成した角膜上皮を移植する世界初の臨床研究が完了

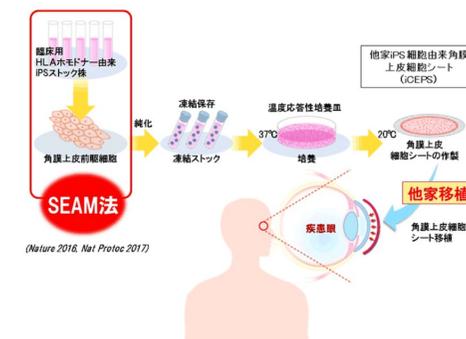
大阪大学(西田幸二教授ほか)で、ヒトiPS細胞から角膜上皮を作製し、4例の角膜疾患患者に移植して再生させる臨床研究の経過観察を完了した。いずれの症例においても拒絶反応や腫瘍形成といった重篤な副作用は認められず、安全性や有効性を示す結果が得られた。

【再生医療等実現拠点ネットワークプログラム／再生医療等実用化研究事業】

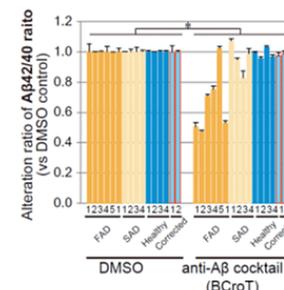
・家族性アルツハイマー病患者を対象とした医師主導治験の実施

京都大学iPS細胞研究所(井上治久教授ほか)で、患者由来のiPS細胞を用いて薬剤スクリーニング系を確立し、パーキンソン病の治療薬であるブロモクリプチンに、アルツハイマー病の進行を抑制する作用があることを見出し、家族性アルツハイマー病患者に対して医師主導治験を行い、安全性が確認され、薬剤の有効性を示唆する結果が得られた。

【再生医療等実現拠点ネットワークプログラム／再生医療等実用化研究事業】



iPS細胞由来角膜上皮細胞シートの臨床研究



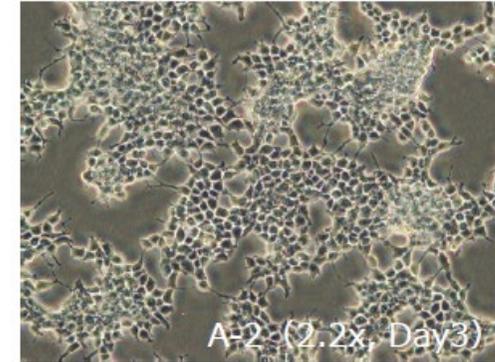
ブロモクリプチン・クロモリン・ピラマートは患者由来大脳神経細胞のAβ42産生を低下

(2) 顕著な研究開発成果事例

・遺伝子治療に用いるウイルスベクターの製造に必要なコア技術の開発

近年、非病原性のアデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターを用いた遺伝子治療の研究開発が広く見られるが、AAVを効率的かつ安定的に生産する技術は世界的にも未だ確立されておらず、産官学が結集し、AAVの製造に必要なコア技術の開発を進めている。

コア技術の1例として、株式会社ちとせ研究所、成育医療研究センター分室等が中心となり運営する次世代バイオ医薬品製造技術研究組合の川崎集中研究所において、国産のウイルスベクター産生細胞株であるA-2細胞株を開発し、予備実験において既存の海外産の細胞株を遙かに上回る生産効率を有することを示した。



A-2細胞株

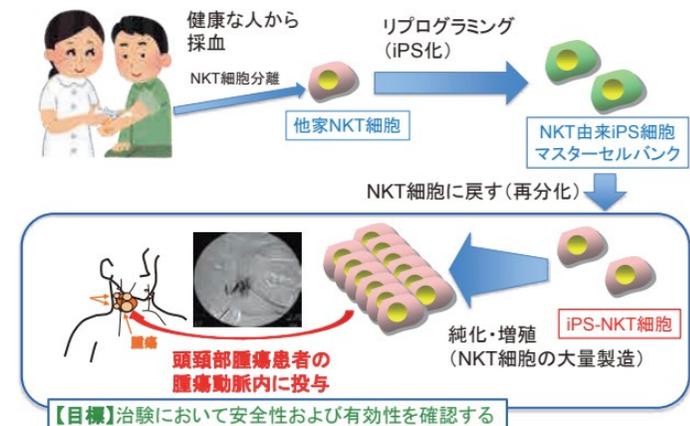
【再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業】

・iPS-NKT細胞の安全性確認のための治験の実施

iPS-NKT(ナチュラルキラーT)細胞を用いて、千葉大学において頭頸部がんを対象とした第I相医師主導治験を実施した。本治験では、患者のがん栄養動脈にiPS-NKT細胞を投与し、安全性を確認すると共に有効性についても検証している。開始時の投与量での安全性が確認できたため、更に投与量を増やし治験を継続している。引き続き、適切な投与量について検討を行うとともに、有効性について評価を行っていく。

【再生医療等実用化研究事業／再生医療実現拠点ネットワークプログラム】

iPS-NKT細胞動注療法の概要



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4年度予算額161億円

インハウス研究機関経費
令和4年度予算額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個別化予防・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

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 46億円の内数
- **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
予算額38億円
- **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、個別化予防等のエビデンスを創出
予算額29億円
- **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

主に医療データを活用した研究

- **医療・介護・健康データ利活用基盤高度化事業**
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、その他) / 女性の健康の包括的支援実用化研究事業 / 成育疾患克服等総合研究事業 / 「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)**:
健常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 46億円の内数
- **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)**:
バイオバンク・ジャパンの保有する試料・情報の利活用の促進
予算額 46億円の内数
- **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**: ゲノム情報を活用した新規創薬ターゲットの探索等のための基盤整備
予算額3億円
- **ゲノム診断支援システム整備事業/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

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、個別化医療の実現に向けて、全体として着実に成果が創出されており、令和4年度末の実績から勘案すると令和6年度末の目標達成は可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。ゲノム医療と個別化医療の実現というさらなる成果を目指し、ゲノム・オミックスデータや臨床情報の統合解析の促進、ゲノム創薬を含む次世代創薬研究、異業種・異分野間の連携や人材育成の体制構築に取り組むことが必要である。

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 5件	5件 (1/1/3)	A	初年度から継続的に「ゲノム創薬基盤推進研究事業」から、今年度(R4年度)は新たに「メディカルアーツ研究事業」からの取得があった。	
・臨床POCの取得件数 10件	12件 (3/0/9)	A	「ゲノム創薬基盤推進研究事業」と「革新的がん医療実用化研究事業」より、医師主導治験による取得があった。	
・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	1,099件 (217/415/467)	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、昨年度(R3年度)と同数程度の論文掲載に至っており、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	34件 (18/8/8)	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」「B-cure(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」「移植医療技術開発研究事業」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、達成目標を大幅に超えた根拠は、バイオバンクの基盤が充実し利活用が促進したことにより、研究成果(原著論文)が増加したため。	
・新たな疾患関連遺伝子・薬剤 関連遺伝子の同定数 25件	131件 (70/36/25)	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」「難治性疾患実用化事業」「循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業」「免疫アレルギー疾患実用化研究事業」「B-cure(ゲノム医療実現推進プラットフォーム)」より、すでに目標値をクリアしている。なお、達成目標を大幅に超えた根拠は、バイオバンクの基盤が充実し利活用が促進したことにより、研究成果(原著論文)が増加したため。	

※「最新の数値」は計画開始から令和4年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

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、個別化医療の実現に向けて、全体として着実に成果が創出されており、令和4年度末の実績から勘案すると令和6年度末の目標達成は可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。ゲノム医療と個別化医療の実現というさらなる成果を目指し、ゲノム・オミックスデータや臨床情報の統合解析の促進、ゲノム創薬を含む次世代創薬研究、異業種・異分野間の連携や人材育成の体制構築に取り組むことが必要である。

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> (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	「認知症対応型AI・IoTシステム研究推進事業」では、昨年度(R3年度)の認知症対応型 AI・IoT システム連携を活かし、介護施設の調査データのAI解析を実施。「革新的がん医療実用化研究事業」では、小児がんサバイバーのレジストリーデータ構築し、「ゲノム創薬基盤推進研究事業」では、疾患標的遺伝子の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 	203件 (50/62/91)	A	「B-cure(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)」より、継続的なデータ基盤の利活用が行われている。	
<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 	1,729件 (662/570/497)	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、R3年度と同数程度の論文掲載に至っており、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

<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 	43件 (24/9/10)	A	「革新的がん医療実用化研究事業(1件:大腸癌診断の支援ソフト)」 「B-cure(ゲノム医療実現推進プラットフォーム)(9件:米国 Pacific Biosciences 社との共同研究や他事業連携)」の導出となり、累計4事業からの多種多様な導出が、成果目標値を大幅に達成した根拠となる。	
<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 	17件 (4/8/5)	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」「成育疾患克服等総合研究事業」から、順調に成果が創出されている。	
<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 	5件 (2/3/0)	A	R4年度までに「ゲノム創薬基盤推進研究事業」から成果が創出されており、すでに目標値を達成。今年度はR5年に新規研究を実施すべく、体制を構築。	

※「最新の数値」は計画開始から令和4年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4)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

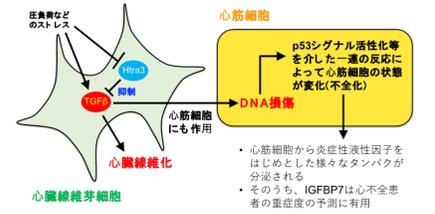
ゲノム医療協議会における議論も踏まえ、全ゲノム解析の実施や日本人のゲノムデータの戦略的整備を進めるとともに、それらのゲノム・データ基盤構築のため、関係各省において以下の取組を推進した。

- 文部科学省において、我が国のバイオバンクの維持・発展・連携、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、バイオバンク横断検索システムの充実などを通じて、大規模ゲノム・データ基盤の構築に貢献した。
- 厚生労働省においては、革新的がん医療実用化研究事業や難治性疾患実用化研究事業において、全ゲノム解析等実行計画に基づき、全ゲノム解析等を進め、がんや難病等の医療の発展や解析結果に基づく個別化医療の推進に貢献した。

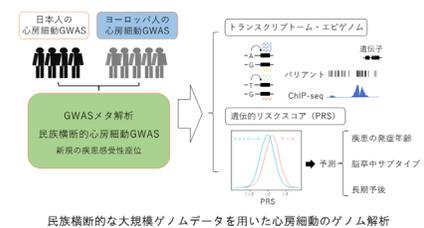
(2) 顕著な研究開発成果等

最先端の生化学測定・解析技術から、多様な心不全患者の病態の層別化に成功

• 心臓組織検体の空間的オミックス解析とシングルセル解析によって心不全の病態を解析する手法を開発し、多様な心不全患者の病態の層別化に成功した (*1)。さらにゲノム・エピゲノム統合解析とiPS由来心筋細胞を用いて心房細動の発症機序を再現することに成功した (*2)。これらの成果は、様々な先端解析技術の統合解析をいち早く臨床医学に取り入れて確立し、循環病学に新しい局面を切り拓くものであり、「シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出」3件に紐付く。



Nature Communications. 2022



民族横断的な大規模ゲノムデータを用いた心房細動のゲノム解析
Nature Genetics. 2023

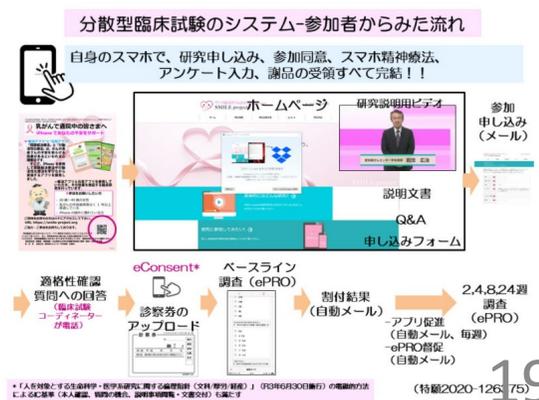
B-Cure (ゲノム医療実現推進プラットフォーム・先端ゲノム研究開発; GRIFIN) 「マルチオミックス連関による循環器疾患における次世代型精密医療の実現」

- ※1 Nature Communications.2022年6月
Nature Communications.2022年9月
Nature Cardiovascular Research.2022年11月
- ※2 Nature Genetics.2023年2月

乳がん患者の再発に対する恐怖をスマートフォンアプリを用いて軽減することに成功

患者が、スマートフォンで遠隔的に臨床研究に参加できる分散型臨床試験の基盤を患者市民参画で開発し、手術後に無病となった乳がんサバイバー集団 (20-49歳) において、認知行動療法のアプリを用いて乳がんの再発に対する恐怖感を軽減することに成功した。本成果により、医療機関に来院することなく、自分のスマートフォンからアプリを使って場所や時間を選ぶことなく苦痛を和らげる医療を受けることが可能となり、「精神心理的苦痛の緩和が不十分」という現状の問題解決への加速と、患者個々の特性に対応したスマートフォン精神療法における精密医療 (プレジジョン・メディスン) の実現が期待される。本成果は「シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出」に向けて、令和5年度以降に発展する見込みである。

革新的がん医療実用化研究事業
「乳がん患者の再発不安・恐怖に対するスマートフォン問題解決療法および行動活性化療法の有効性：無作為割付比較試験」



* 人を対象とする生命科学・医学研究に関する倫理指針 (文部科学省) (2016年3月30日施行) の倫理指針に基づき実施 (本人同意、説明の履行、説明書提供、文書交付) 7/26/23

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4年度予算額152億円

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(151.7億円)

がん・難病
(16.8億円)

- 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
(9.8億円)

- 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
(65.6億円)

- 脳とこころの研究推進プログラム
- 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
(59.5億円)

- 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

より大きな成果の一刻も早い創出、実用化を実現するため、戦略的な研究費の配分を行い、効果的な研究開発の推進や研究基盤整備、研究開発成果の導出を加速するため双方向トランスレーショナルリサーチを推進した。全ての達成目標において、2022年度末の実績から勘案すると2024年度末の目標達成は可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。今後はこれまでの基礎・基盤の成果を更に発展させるため、基礎研究と臨床研究の相互連携等により、脳神経疾患等の画期的な診断、治療・創薬シーズの開発に向けた研究を強化していく必要がある。

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>				
・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	1,856件 (349/666/841)	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。	クラリベイト InCites Benchmarkingより集計
・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	2,122件 (783/745/594)	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創出が認められ、順調に進捗していると評価できる。	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 10件	10件 (3/3/4)	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、導出に向けた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4年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4)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

- ・脳とこころの研究推進プログラムにおいて、マーモセット等のモデル動物の活用や国際連携等を通じた脳機能解明、様々なヒト精神・神経疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための研究開発、若手研究者を含めた脳科学分野の人材育成のための将来のイノベーション創出に向けた横断的かつ萌芽的な研究開発等を推進した。
- ・新興・再興感染症研究基盤創生事業において、海外研究拠点で得られる検体・情報等を活用した研究や多分野融合研究等を通じて、基礎的研究と人材層の確保を推進した。
- ・免疫アレルギー疾患における宿主因子と外的因子の関係に着目した病態解明研究を行うとともに、若手研究者の人材育成を推進した。

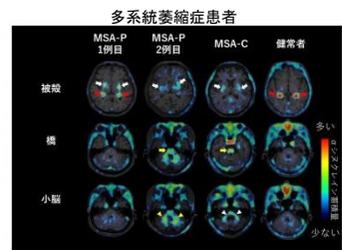
(2) 顕著な研究開発成果事例

・神経変性疾患の原因タンパク質病変のPET画像診断薬剤や診断評価技術の開発

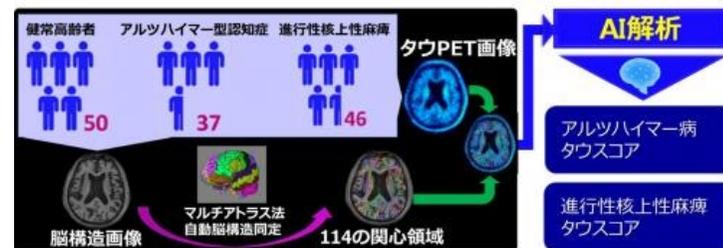
量子科学技術研究開発機構の樋口真人部長らは、パーキンソン病、レビー小体型認知症、多系統萎縮症などの患者において脳内に蓄積することが知られているαシヌクレインの病変を、ヒト生体脳で明瞭に画像化することに、製薬企業3社との連携により成功した。この成果はαシヌクレイン病変を標的とした根本的治療薬の開発に大きく寄与すると期待され、これらの疾患の患者を対象とした臨床研究が進行している。本研究はMovement Disorders誌に2022年8月に掲載された。

また、脳内に蓄積する異常タンパク質タウ病変のPET画像を人工知能(AI)で解析することにより、アルツハイマー病など多様な神経変性型の認知症に生じる特徴的な脳内の病態を自動的に認識し、認知症の診断と鑑別に役立つスコアを算出することに成功した。本研究はMovement Disorders誌に2022年8月に掲載された。

【脳とこころの研究推進プログラム(革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト、精神・神経疾患メカニズム解明プロジェクト)】



【上図】多系統萎縮症患者(左から3列)と健康高齢者(右1列)におけるαシヌクレイン蓄積画像の比較
【下図】脳内異常タンパク質の画像から認知症のタイプ判別に至るまでの手法概要



・ザンビアにおけるコウモリの保有病原体の網羅的解析及び行動解析による人獣共通感染症の伝播様式の解明

北海道大学の澤教授らは、これまでにザンビアに生息するコウモリが、ヒトに致死的な病原体であるマールブルグウイルス等の多様な病原体を保有することを解明した。これを踏まえ、コウモリが有する病原体の網羅的解析に動物行動学及び集団遺伝学を加えた分野融合的解析をアフリカ3か国に跨って実施した。その結果、首都ルサカ郊外の洞窟に生息するコウモリが、長距離の飛翔により都市部や隣国へと侵入することが明らかとなり、広域な病原体伝播に寄与している可能性が示唆された。病原体の自然界での存続様式や人間社会への侵入経路を明らかにすることで、人獣共通感染症の発生及び拡大を防ぐ先回り戦略に資することが期待される。



データロガーを装着し、コウモリを自然に返す。最長で約3ヶ月間、コウモリの位置情報を記録し、夜間の行動を追跡。

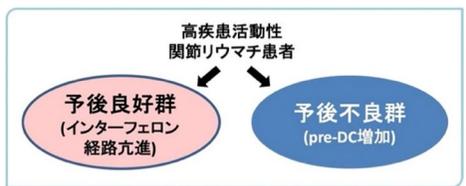
地図上に可視化したコウモリの飛翔経路。星印で示した洞窟を中心に一晩で100 km以上飛翔する個体も見られた。一部のコウモリは国境を超えて隣国ジンバブエへも侵入。

本成果については、論文投稿に向けて準備を進めている。

【新興・再興感染症研究基盤創生事業】

・関節リウマチの治療抵抗性に関わる免疫細胞を発見—関節リウマチの個別化医療実現へ期待—

東京大学の藤尾教授らは高疾患活動性の関節リウマチ患者において様々な免疫細胞の網羅的な遺伝子発現解析を行い、治療前の樹状細胞前駆細胞(pre-DC)の増加によって治療6ヶ月後の治療抵抗性を予測できることを明らかにした。本研究の成果は、関節リウマチの治療抵抗性病態の解明に繋がっていく可能性があり、将来的には樹状細胞を標的とした難治性関節リウマチの新規治療に結びつくことを期待できる。



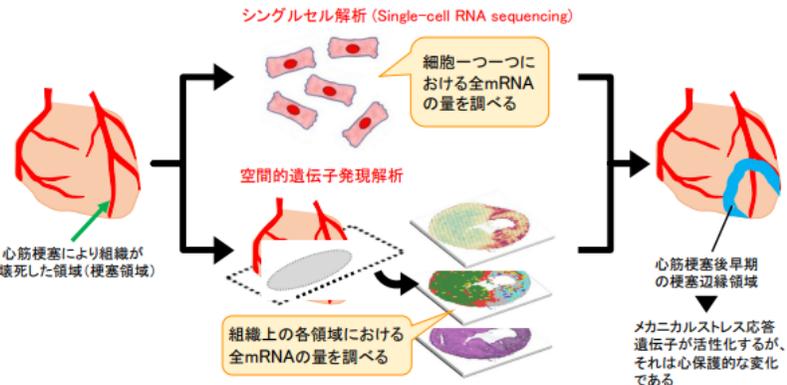
【pre-DCによる関節リウマチ患者の層別化】

本成果は、2023年3月に「Annals of the Rheumatic Diseases」に掲載された。

【免疫アレルギー疾患実用化研究事業】

・心筋梗塞の新たな治療ターゲットを発見

東京大学の候特任助教、野村特任助教らは、シングルセル解析と空間的遺伝子発現解析を活用し、心筋梗塞後心不全の病態解明を行った。心筋梗塞後の急性期に梗塞領域の周辺の心筋細胞で、メカノストレス応答遺伝子が活性化することを明らかにした。その代表的な遺伝子であるCsrp3を活性化・抑制することにより、慢性期の心不全がそれぞれ抑制・増悪したことから、心筋梗塞急性期のメカノストレス応答の活性化は心保護的に働くことを明らかにした。



本成果は、新規の創薬標的としてCsrp3を同定しただけでなく、本研究によって得られたシングルセル解析や空間遺伝子発現解析のデータは同分野の新たな研究開発に役立つことが期待できる。

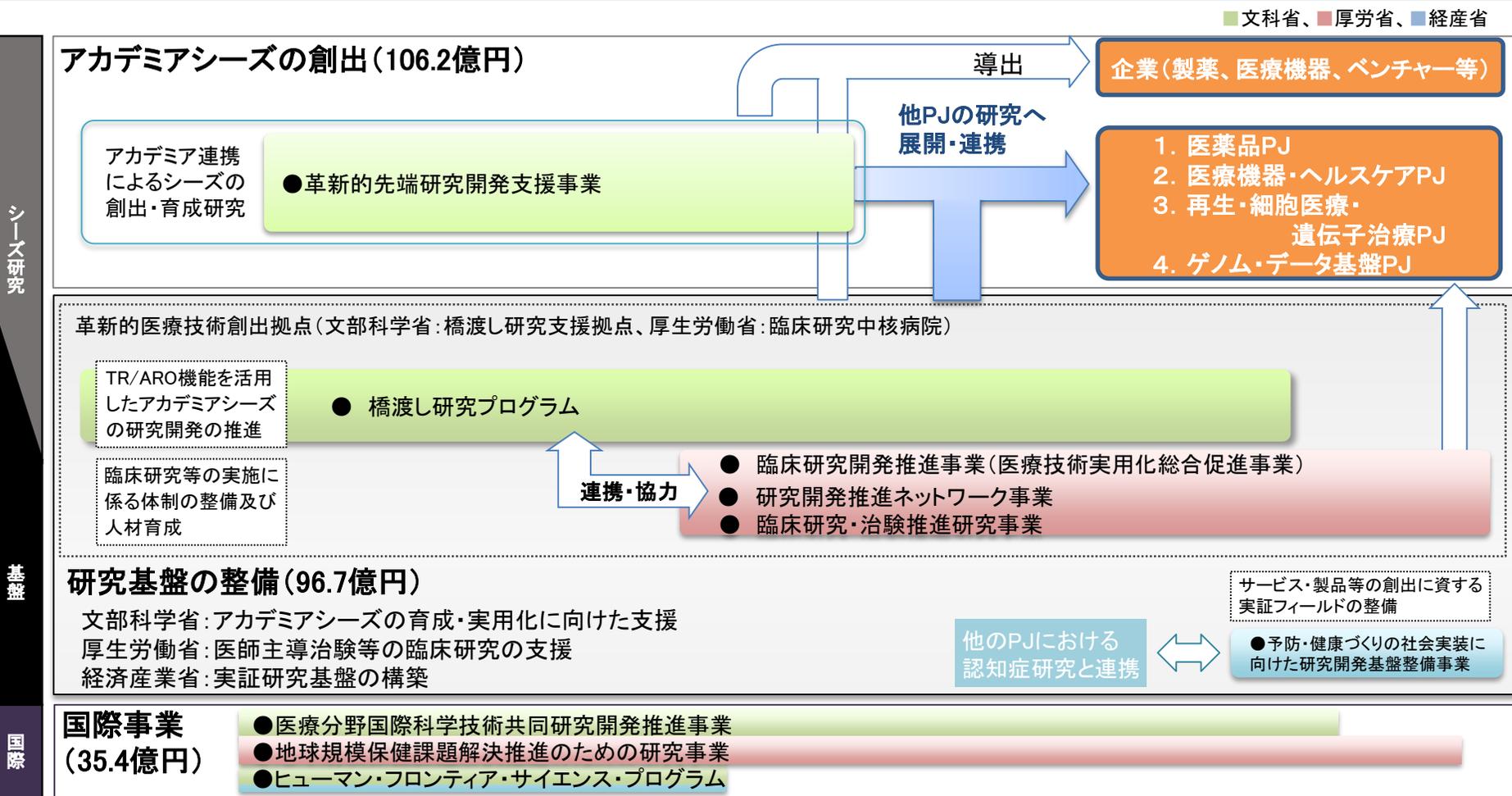
本成果は、2022年11月に「Nature Cardiovascular Research」に掲載された。

【循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業】

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4年度予算額238億円

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。



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

プロジェクト内外の事業間連携及び外部機関との連携により、共同研究を実施することでシーズ開発を強化して、企業連携・実用化に繋げ、更に国際展開を視野に置いてネットワークを活用した取組を実施することで、数多くの論文掲載や企業導出、薬事承認等の成果が創出されており、2022年度末の実績から勘案すると2024年度末の目標達成は可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。さらなるシーズの実用化や治験Dxの加速に向けては、拠点等における伴走支援を強化する必要がある。

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>				
<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 550件 	1,166件 (180/465/521)	A	革新的先端研究開発支援事業等の推進により画期的な研究成果を「Nature」「Immunity」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。	※クラリベイト InCites Benchmarking より集計
<ul style="list-style-type: none"> 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 	93件 (26/38/29)	B	2022年度の見込み(2022年7月時点)は36件であったが、IRB承認の遅れ等により2022年度末では年度目標に達しなかった。しかし、すでに現時点でIRB承認済みのものが6件あり、進捗はみられる。2024年度末の目標達成に向けて拠点等における伴走支援を強化する。	
<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 	723件 (183/328/212)	A	革新的先端研究開発支援事業等を推進し、新規領域「老化」等を含む5領域で公募・選考を進め、アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制の構築により基礎的研究の成果が多数報告され、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。	※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 125件 	288件 (80/98/110)	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。	
<ul style="list-style-type: none"> 医薬品等の薬事承認申請の件数 30件 	31件 (11/9/11)	A	橋渡し研究支援機関を活用した事業間連携等による共同研究の実施を行いシーズ開発を強化したことにより、2024年度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。	

※「最新の数値」は計画開始から令和4年度末までの通算の数値、()は各年度(R2/R3/R4)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

- ・橋渡し研究プログラムでは、企業への導出や実用化の可能性が高い研究課題を積極的に支援するためのシーズ枠を新設し、企業と連携している研究課題への支援を強化した。
- ・革新的先端研究開発支援事業において、文部科学省では、「ストレス」に係る研究開発目標を新たに設定した。基礎研究者と臨床研究者との連携により、ストレス応答に対する細胞～個体レベルの現象を理解するとともに、病態形成メカニズムの解明を目指した研究を推進していく。

(2) 顕著な研究開発成果事例

・大腸がん幹細胞が化学療法後に再発するメカニズムを解明

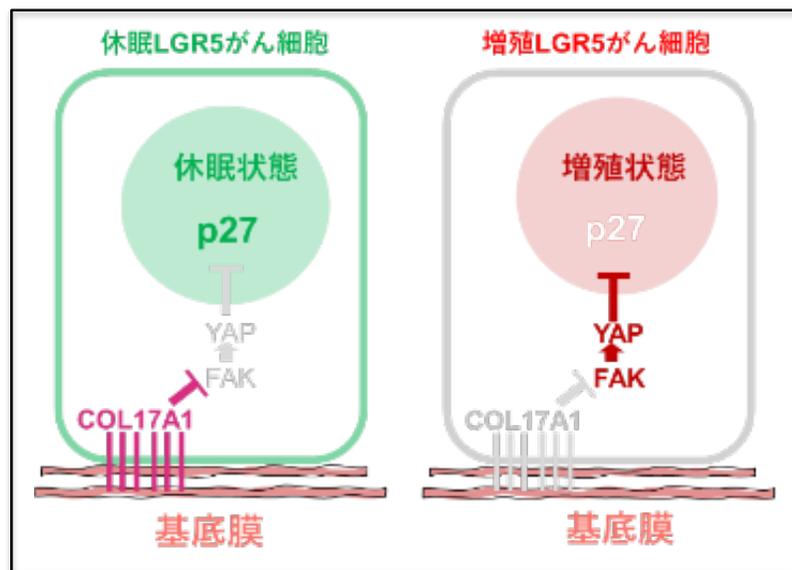
慶應義塾大学医学部の佐藤俊朗教授らのグループは、大腸がんの増殖を司るヒトの“がん幹細胞(*)”が化学療法後も死滅せず、再燃・再発につながるメカニズムを解明した。

- ・一部の“がん幹細胞”は休眠状態(増殖しない状態)にあり、化学療法を免れてクローン増殖することが判明
- ・“がん幹細胞”が基底膜との接着により休眠状態を維持しており、接着が弱まると、YAPシグナルが活性化し、増殖を再開することを解明
- ・YAPシグナルを薬剤により阻害することで、化学療法後のがん幹細胞の再増殖を抑え、がん再発を遅らせることを動物モデルで確認

本成果は、大腸がんの生命予後を決めているがんの再燃・再発に着目した新しい治療法の開発へとつながり、臨床への還元が期待される。

(*)がん幹細胞: がん組織においても、少数のがん幹細胞が存在し、がん組織の新陳代謝を担っていると考えられている。
特に、化学療法の後にはがん組織を再生(つまりがんの再燃や再発)する過程で、がん幹細胞は重要な役割を果たすと考えられている。

【革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST 適応・修復領域)】



がん幹細胞の休眠スイッチの概念図

Ohta et al., *Nature* (2022), 608, 784

(2) 顕著な研究開発成果事例

・体内管状組織形成具(バイオチューブメーカー)の薬事承認に向けた医師主導治験を開始

重症下肢虚血症※1の治療は、足静脈を用いた外科的なバイパス術が有効であるが、静脈瘤である、静脈が細い、すでに冠動脈や末梢動脈のバイパスに使用済みである等で自家静脈が使えない場合は治療が困難となる。

このため、本研究では、「生体内組織形成術」※2を下肢動脈のバイパス術への臨床応用を行い、世界初の小口径再生人工血管の体内形成具(バイオチューブメーカー)の早期承認をめざし、大分大学病院を中心に医師主導治験を令和4年12月に開始している。

令和2年度より橋渡し研究支援拠点(東北大学)がPMDA対応、開発戦略立案、探索的治験体制構築、治験資料作成等の支援を実施している。

※1 足潰瘍・壊疽等を呈し、血行再建ができなければ下肢の切断に至る病気

※2 患者体内で自家移植用組織体を作製できる培養作業や製造設備、施設が不要の新発想再生医療技術である「生体内組織形成術」は、既に透析用血管や小児の肺動脈用の治療用組織形成に臨床使用され、年単位の成績を有している。

【橋渡し研究プログラム】

・シャーガス病感染の高リスク地域を特定

シャーガス病は、WHO が指定する「顧みられない熱帯病」の一つであり、世界全域で 600～700 万人の感染者がいると推定される。媒介昆虫は夜間などヒトが寝ている間に吸血し、その場で病原体を含む糞をし、それがヒトの体内に入り感染をもたらす。初期には症状が無いことも多く、慢性化した後に重い心臓疾患等を発症すると、治療法が無く死に至る。

エルサルバドル保健省や地方自治体と協力し、エルサルバドル全域で 311 の家屋を調査した。調査の結果、媒介昆虫 *Triatoma dimidiata* (サンガメ、以下 *T. dimidiata*) の家屋侵入率は 34% で、病原体 *Trypanosoma cruzi* (以下 *T. cruzi*) の感染率は 10% であった。*T. dimidiata* はエルサルバドル全域に遍在していたが、*T. cruzi* の感染率は地域によって異なり、14 ある地域の中でも特に 5 つの地域で高い感染率が確認できた。

現地の限られた感染対策物資を効率的に配分するためには、媒介昆虫の侵入と寄生に関する客観的リスク評価が必要不可欠である。本研究結果により、特に感染の高かった地域を対象に、継続的・選択的な媒介昆虫対策が可能となり、自治体による効率的な媒介昆虫対策資源の割り当て等への活用が期待される。

【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力プログラム(SATREPS)】

治験デザイン

●目的

治療選択肢の無い重症下肢虚血患者に対し、治験機器による自家バイオチューブを用いて膝下動脈へのバイパス術を施行する安全性と有効性の評価

●治験実施期間

2022年10月～2025年3月

●対象

- 重症下肢虚血患者
- 血管内治療を行っても臨床症状の改善が得られず(臨床的不成功)
- 膝下の動脈へ末梢吻合するバイパス術を必要とする
- 至適な静脈が必要な長さ存在しない

●主要評価項目

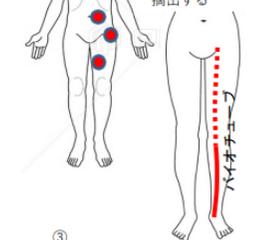
治験機器によるバイオチューブの形成能

●目標症例数

12例

① 被験者の体格及び希望ならびに医学的判断により、胸部、腹部、臀部または大腿部に2-4個埋植する

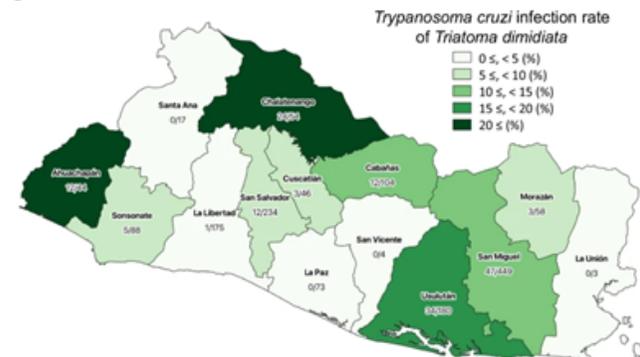
② 2ヶ月以降、術当日にバイオチューブを抽出する



③ 大腿動脈からを含め、膝下に末梢吻合部を有するバイパス術を行う

*Trypanosoma cruzi*の感染率

Fig. 1



Rodríguez et al., *Infectious Diseases of Poverty* (2022), 11:89

ムーンショット目標達成に向け新たに4名のPMを採択したほか、ワクチン開発・生産体制強化に関し世界トップレベル研究開発拠点形成事業、ワクチン・新規モダリティ研究開発事業、創薬ベンチャーエコシステム強化事業を開始した。また、革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）（AIMGAIN）においてスタートアップの参画を促す新しい取組を開始するとともに、国際頭脳循環を推進する先端国際共同研究推進プログラムを開始するための体制整備を実施した。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4年度を取組と成果

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。令和4年度には、特に「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画」において、再生・細胞医療・遺伝子治療等について我が国の国益に直結する科学技術分野として推進することとした。
- 科学研究費助成事業で生まれたシーズについては、AMED-CRESTで20課題、PRIMEで26課題を採択し研究成果を実用化にむけて展開を図った。また、橋渡し研究支援機関において、橋渡し研究プログラム以外の研究費により実施しているシーズ81件の中で科研費シーズが計34件あり、AMEDは基礎段階から一貫したシーズ研究開発を推進した。AMEDと科学技術振興機構（JST）において、共通の研究開発目標/戦略目標のもと新たに発足した老化領域においては、3つのプログラム（AMED-CREST、PRIME、さきがけ）でAMED/JST合同キックオフ会議を行い、課題間の情報交換を促進した。JSTとの連携領域として令和3年度に発足したマルチセンシング領域においては、令和4年度もAMED/JST合同領域会議を行うなど、課題間の情報交換や連携研究を引き続き促進した。
- 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、プロジェクトマネジメント、技術支援等、様々な支援を実施している。令和4年度は創薬ナビで20件の相談に対応し、また、73件の伴走支援を行った。（件数は2月末時点）
- 医療機器開発支援ネットワークにおいて、AMEDは産総研等と連携し、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4年度は65件の相談に対応し、うち60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議論を踏まえ、令和4年6月に資源配分方針を本部決定し、内閣府と関係省庁が共同して一元的な予算要求配分調整を実施した。

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、内閣府健康・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2020年度に連絡調整会議（インハウス研究開発関連）を設置した。
- これを踏まえ、2022年度においては、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、2021年度に整理した類型を用いて、インハウス研究機関間及びAMEDとの連携事例を検討するとともに、インハウス研究機関の研究施設・設備等の利活用のニーズ・課題、並びに、連携に資する研究基盤の整備計画についての検討を行い、インハウス研究機関間およびAMEDとの更なる連携強化に向けた取りまとめを行った。
- 具体的なインハウス研究機関の取組としては、例えば、理化学研究所においては、顕微鏡観察と1細胞分取を自動で繰り返すロボット「ALPS」を開発。AI解析と組み合わせ、画像データからマウス細胞の種類（白血病細胞、T細胞、造血前駆細胞）を識別することに成功し、細胞の種類等を単一細胞の画像等から非侵襲的に推定する基盤システムとして確立するなど、データ駆動型の研究手法や計測技術の自動化等による研究DXを推進し、ライフサイエンス分野の研究開発を戦略的に推進した。
- また、医薬基盤・健康・栄養研究所等において、世界最高水準の研究開発・医療を目指して新たなイノベーションを創出するために、新たなニーズに対応した研究開発や効果的な研究開発が期待される領域等について積極的に取り組んだ。
- 更に、産業技術総合研究所においては、新興ウイルス感染症への対応技術・基盤知見の蓄積として、抗ウイルスコート有用性迅速評価技術、ウイルス変異に対抗する抗体医薬品開発基盤技術などの開発に積極的に取り組んだ。
- 詳細については、参考資料5「医療分野研究開発推進に向けた関係機関の連携の取組状況について」を参照。

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。

- 令和4年度は、プログラムの強化・充足の観点（医療アクセス、新たなアプローチ）に係るPM及び日米共同声明に基づく日米がん研究に係るPMを新たに4名採択し、令和5年1月より研究開発を開始した。戦略推進会議を通じて研究開発の進捗を確認し、ムーンショット目標達成に向けた取組を推進した。
- 令和3年度に開催した技術交流会等の取組によって、令和4年度にPM間の連携が進んだ。阿部PMは、阿部PMが開発したMA-5を用いて、柳沢PM、中西PM、栗田PMそれぞれとの共同研究を開始した。中西PMと柳沢PMは、中西PMが開発した老化マウスを活用した共同研究を開始した。
- がんとELSIの専門家を新たにアドバイザーとして任命し、運営体制を強化した。
- 令和4年度の成果として、Natureをはじめとするトップジャーナルへ12報の論文が掲載された。また、製品開発に繋がる特許が複数出願された。
- 早期の社会実装を目指し、大学発スタートアップや企業との連携も行われた。

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

- 疾患領域のタグ付け情報も取り込まれたAMSデータを活用し、各疾患領域における課題数・研究費、研究の性格、承認上の分類、開発フェーズなどのデータをもとに分析を行った。この分析結果をDCやPDとの意見交換や事業担当者を集めた勉強会等に活用した。特に生活習慣病やヘルスケアの分析結果について、関連するDC,PD,事業担当者と議論を行い、「フレイル・サルコペニア等を防ぐ研究開発が必要」等の結論を得た。この結論を受け、疾患領域・統合プロジェクトを跨ぎ、長寿科学研究開発事業、循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業、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、健康・医療情報活用技術開発課題）の事業担当者の連携により、具体的な連携施策の立ち上げの検討を開始した。
- 個々の疾患領域については、疾患領域の特性に応じPSPO会議等を活用し、関連する事業の柔軟なマネジメントや事業推進を図った。
- 革新的がん医療実用化研究事業では、全ゲノム解析プラットフォームの高度化、創薬研究の基盤整備を推進した。具体的には、国内の第一線の研究者が共同してデータを創出する体制、最新の技術を適時に導入しノウハウを蓄積する体制を整えた。本体制のもと、がん種ごとの特性および治療選択にもつながる精緻で重層な世界レベルのマルチオミックス解析データを創出した。
- 再生医療実用化研究事業では、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HER2CAR-T細胞の医師主導治験を開始した。
- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、心房細動の日本人のゲノムワイド関連解析（GWAS）とヨーロッパ人のGWASのメタ解析により、新しい疾患感受性座位を同定した。また、GWASの結果から構築した遺伝的リスクスコアが心房細動の発症年齢や心原性脳梗塞の予測、さらに脳梗塞死を含む心血管死の予後予測にも有用であることを示した。
- 免疫アレルギー疾患実用化研究事業では、自己免疫疾患・アレルギー疾患の両方を含めたGWASにより、それぞれの疾患に関連した遺伝子リスクのみならず、両方の疾患に共通してリスクとなる遺伝子多型を4カ所同定した。

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)

<p>(精神・神経疾患)</p> <ul style="list-style-type: none"> 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 	<ul style="list-style-type: none"> 大脳皮質の階層的かつ並列的な情報処理を可能とするためには領野間の無数の結合が3次元の脳内で精密に混線なく配線されることが必要である。脳とこころの研究推進プログラムでは、大脳視覚野と視床核を含む領野間結合が形成される様子を世界で初めて網羅的に解析し、大脳の発達期に効率的に形成されるメカニズムを解明した。この成果により、先天性盲などの疾患に対する治療法の開発や、優れた人工知能を形成するための回路形成アルゴリズムへの応用が期待される。
<p>(老年医学・認知症)</p> <ul style="list-style-type: none"> 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 認知症に関する非薬物療法の確立及び官民連携による認知症予防・進行抑制の基盤整備 	<ul style="list-style-type: none"> 認知症研究開発事業では、大規模認知症コホート研究（九州大学）と層別化バイオマーカーシステム開発（量子科学技術研究開発機構）を連携させ、大規模認知症コホートで採取された血漿サンプルから認知症のバイオマーカーを探索するシステム体制の構築を行った。今後、認知症の早期発見と治療の効果判定に有効な多項目血液バイオマーカーの開発が期待される。
<p>(難病)</p> <ul style="list-style-type: none"> 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 	<ul style="list-style-type: none"> 難治性疾患実用化研究事業では、視神経脊髄炎スペクトラム障害の再発予防に対してリツキシマブが製造販売承認を取得した。先行研究が少ない超希少難病の臨床データ集積を目指した研究開発公募を開始した。
<p>(成育)</p> <ul style="list-style-type: none"> 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 	<ul style="list-style-type: none"> 成育疾患克服等総合研究事業では、妊婦のトキソプラズマ感染症の初感染時期を同定するAvidity検査法を確立するとともに、症候性先天性サイトメガロウイルス感染症に対する抗ウイルス療法の有効性の証明し、周産期感染症の新たな診断治療に資する成果を得た。また、本邦独自の喫煙と妊娠高血圧症候群におけるゲノム情報に基づいた関連解析を行い、日本人独自の疾患関連SNPを同定した。 成育2事業初の合同シンポジウムを開催。共通テーマのプレコンセプションケア研究について議論を行い、「小児期発症慢性疾患の方へのケア」では高いニーズにも関わらず支援が乏しいことが分かり、令和5年度の公募要領に反映し研究開発推進に結びつけた。
<p>(感染症)</p> <ul style="list-style-type: none"> 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 	<ul style="list-style-type: none"> 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・サポート機関を採択するとともに、ワクチン・新規モダリティ研究開発事業では、ワクチン開発の重点感染症8種類のうち5種類の研究開発に着手した。 国内承認済みの4種類の抗ウイルス薬に対し、新型コロナウイルス変異株への増殖抑制効果を明らかにした。 新興・再興感染症研究基盤創生事業では、Cas7-11複合体の標的RNAとの結合による活性化とタンパク質分解の分子機構を解明した。これにより、新型コロナウイルスを含むRNAウイルスのゲノムを特異的に切断する技術の開発に繋がることが期待される。

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。

- PDを中心に6つの統合プロジェクトをマネジメントする体制のもと、各統合プロジェクトの推進・発展を図った。
- 第2期の戦略機能の発揮に向け、また、第3期に資する提案に向け、AMSによる分析結果を参照しながら、統合プロジェクト運営のあり方や1期から2期での移行に伴う課題の洗い出しを行った。具体の例は以下のとおり。
 - ✓ 統合プロジェクト連携会議を3回開催、うち1回は疾患領域の観点から疾患DCも交えて、意見交換を行った。
 - ✓ 分析結果を活用して、生活習慣病領域において、今後、予防的に対応する重要性が一層高まるサルコペニア・フレイルについて、疾患領域・PJ・省庁の枠を超えて、情報交換を行い今後の連携に向けた体制作りを行った。

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。

- ヒヤリ・ハット事例から自らの研究活動への省察を促すためのオンラインセミナー、研究倫理教育担当者向けワークショップ、生物画像と統計解析に関するセミナー、研究データ管理の質向上を目的とした指導者を育成するためのワークショップ等を開催し、人材の育成に取り組んだ。
- 研究活動の国際化を踏まえ「研究公正におけるヒヤリ・ハット集」の英語版を作成した。また、日本語版については新たなヒヤリ・ハット事例を収載した第2版を作成した。さらに、RIOネットワークメールマガジンによる定期的な情報発信を継続した。
- 他の資金配分機関と、研究不正への対応に関する意見交換等を定期的に行った。
- 研究公正高度化モデル開発支援事業（第3期：6課題）の研究開発を開始した。
- 研究機関による適切な利益相反管理及び研究機関側・AMED双方の管理の効率化を両立させるため、利益相反管理状況の報告等の在り方を再検討した。
- 改正公益通報者保護法施行（6月）に伴い、公益通報処理及び公益通報者保護に関する規則を改正し、情報の取扱者を限定する従事者指定の仕組みを構築した。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和4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。

- モダリティ等を軸とした第2期の研究課題について、AMSを用いたより詳細な分析が可能となるように、研究開発タグの大幅な見直し、AMSの改修を実施した。令和5年度課題からの情報取り込みを実施する。
- AMEDが支援する研究開発で得られた個人情報を含むデータが、研究や疾病予防、医薬品・医療機器等の開発等の目的において適正に幅広く活用されるよう、3つの文書を整備した。
 - ✓「AMED説明文書用モデル文案」：新規にヒトの検体やデータ取得を開始する場合において、研究参加者から同意を得るために必要な共通事項を整理
 - ✓「AMED説明文書用モデル文案ユーザーズガイド」：AMED説明文書用モデル文案の各項目の解釈や具体的手続きの留意点を解説
 - ✓「AMEDデータ利活用プラットフォームにおけるデータ利用審査の基本的考え方」：研究参加者の個人情報等のデータの第三者提供ならびに利活用の適正化に向け、AMEDデータ利活用プラットフォームを介して利用される際のデータ利用審査・承認・監督の基本的考え方を整理

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（6名）や、主要地域に配置されているAMED知財リエゾン（18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4年度：パイ・ドール報告受付2,499件、相談対応234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4年度実績：64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4年度実績：34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キングを活用するなど、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。

- 令和4年度においては、英国MRCと研究テーマを「神経科学に基づく認知症研究分野」、豪州NHMRCと「認知症の予防・診断・治療法の開発研究」とした新規国際共同研究事業の公募を実施し、シンガポールA*STARと令和5年度からの国際共同研究公募テーマを取り纏め、海外研究機関とのネットワークを強化した。また、米国NIH/NIAIDとワークショップ開催の調整及び日米双方の研究課題情報の共有を進め、「日米競争力・強靱性（コア）パートナーシップ」に基づく連携を強化した。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和4年度の実績と成果

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創成事業（CiCLE）については、令和4年度に7課題を採択した。
- ・ ムーンショット型研究開発等については、プログラムの強化・充足の観点（医療アクセス、新たなアプローチ）に係るPM及び日米共同声明に基づく日米がん研究に係るPMを新たに4名採択し、令和5年1月より研究開発を開始した（再掲）。このほか、革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）（以下、「AIMGAIN」という。）については、産学のマッチング促進に向けたワークショップを開催し、本事業趣旨の周知、質の高い応募を促す取組を実施したうえで、令和4年8月より公募を開始し、令和5年2月より研究を開始した。また、令和4年度補正予算による基金を造成し、AIMGAINの二次公募を令和5年2月から開始するとともに、令和5年度予定のスタートアップ型公募に向けて、ウェブセミナーを開催（令和5年3月）するなど、事業の趣旨・目的等を周知しスタートアップの参画を促す取組を実施した。
- ・ 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1件、薬事承認申請2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も含め、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4年度に重点感染症に対する感染症ワクチンの開発6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5課題を採択した。ワクチン開発の重点感染症に選定された8種類の重点感染症のうち5種の研究開発に着手したことになる。また、より優れたワクチンの速やかな実用化に資する支援ユニット2課題を採択した。
- ・ 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事業については、令和4年度に、フラッグシップ拠点1件、シナジー効果が期待できる拠点4件を採択し、加えてこれらの拠点を支援するサポート機関6件を採択した。同年10月より同拠点を中心として、ワクチン開発・感染症の出口を見据えた拠点群の形成・研究開発を開始した。
- ・ 創業ベンチャーエコシステム強化事業については、評価委員等の実施体制の整備、投資サイドの多様性に対応可能なVC8社の採択と認定、主務官庁との緊密な連携による公募要領の作成及び創業ベンチャー2社の採択を行った。また、令和4年度補正予算により基金を3,000億円積み増し、感染症に限定されていた補助対象領域を資金調達が困難な創薬分野に拡充し、第2回VC公募及び第2回創業ベンチャー公募を開始した。
- ・ 先端国際共同研究推進プログラムについては、令和5年3月に基金を造成し、本プログラムの推進体制を整備した。

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和4年度の取組と成果
<p>3.3 研究開発の環境の整備 ○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"> A M E D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A R O（Academic Research Organization）機能の強化、臨床研究中核病院の基盤を活用して複数機関が連携等を行い、質の高い臨床研究や医師主導治験の実施、他施設への支援等を促進した。
<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"> 令和2年4月に、6 N Cの横断的研究推進組織として、「国立高度専門医療研究センター医療研究連携推進本部（JH）」を設置。令和4年度は、臨床研究力の向上に資するため、「データ集積のための基盤強化」、「共同研究の推進」、「知財・法務」、「広報」、「人材育成」の取組を実施。これらの取組は、独法評価において本組織の活動状況を評価しており、これも踏まえ、引き続き本組織の状況や効果、課題の検証を行いながら、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検討を進める。
<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、前事業で整備したクライオ電子顕微鏡とのシナジー効果を推進するための周辺機器、化合物ライブラリーのDX化推進のためのストレージ及び自動化化合物合成ロボットや新医薬品モダリティの研究開発推進のための計測分析機器などの創薬基盤に資する機器を措置した。 また、大学等における研究設備・機器の戦略的な整備・運用を推進するため、文部科学省において、令和4年3月に策定した「研究設備・機器の共用促進に向けたガイドライン」について、大学等への周知活動を進めた。
<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、周知活動を行っている。 2022年3月、診療情報提供書等のHL7 FHIR記述仕様を厚生労働省標準規格として採択した。

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和4年度の取組と成果
<p>3.3 研究開発の環境の整備 ○研究基盤の整備（つづき）</p>	
<ul style="list-style-type: none"> 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） 	<ul style="list-style-type: none"> 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）の研究開発事業の一環として、3大バイオバンクをはじめ、国内主要バイオバンクの保有する試料・情報を横断的に検索する「バイオバンク横断検索システム」を整備し、令和4年度は2つのバイオバンクが新規参画した。 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社が共同で取り組む、AMEDの産学共同臨床情報利活用創薬プロジェクト（GAPFREE。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（DB）を活用した産学官連携による創薬開発研究を含む。）が、官民研究開発投資拡大プログラム（PRISM）の事業「創薬ターゲット探索プラットフォームの構築」と連携を開始。
<ul style="list-style-type: none"> 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） 	<ul style="list-style-type: none"> 国立がん研究センターは、国際連携活動の一環として、2022年11月29日～12月2日に行われたIHCC International Cohorts Summitにオンライン参加。
<ul style="list-style-type: none"> 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を整備を行い、効率的な臨床研究・治験を推進する。（◎厚、経） 	<ul style="list-style-type: none"> レジストリデータを医薬品等の承認申請に利活用するためのガイドライン2件を令和3年3月に発出し、その内容について適宜周知を行った。 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4年度は医薬品に関する研究を13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4年度においては3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、ユースケースの実施や人材育成、標準コードの整備等により、品質管理・標準化に向けた体制整備を進めた。
<ul style="list-style-type: none"> 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。（◎国際感染症室、新型インフル室、文、◎厚） 	<ul style="list-style-type: none"> 「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本方針」（平成27年9月11日関係閣僚会議決定）や「長崎大学の高度安全実験施設（BSL4施設）整備に係る国の関与について」（平成28年11月17日関係閣僚会議決定）等を踏まえ、令和4年度においては、BSL4施設竣工に伴い、文部科学省にてBSL4施設の運営等に必要となる経費として約12億円を計上した。 また、文部科学省設置の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。 また、患者の臨床情報や検体等を国立感染症研究所と国立国際医療研究センター等にて収集、解析し、その検体やデータを治療法やワクチン等を開発する研究機関に提供する体制を整えるための事業を進めている。令和4年度は、データ・検体を提供いただける複数の医療機関との契約締結を拡大し、令和3年度から開始していたCOVID-19感染症に加え、サル痘についてもデータ・検体の組み入れを開始した。また、ヒト及び病原体ゲノム解析結果等の利活用希望者への提供に向けた体制の整備を引き続き行った。

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クス等、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**）
- AMEDの各研究開発課題において、若手研究者の多様なキャリアパスの確保に向けた支援への積極的な取組を推進した。また、海外での経験を有する人材の確保に向けて、Interstellar Initiativeにおいて、2022年度には、生体の複雑な機能解明のための基礎研究をテーマに国際公募を実施し、世界中から優秀な若手独立研究者（PI）を国内20名・海外40名採択、国際・学際的チーム20組を形成し、国内外の著名な研究者をメンターとする国際ワークショップや予備研究を通じて、新規シーズ創出（研究計画立案）を推進した。また、例えば、生物科学分野の革新的、学際的な基礎研究を支援する「ヒューマン・フロンティア・サイエンス・プログラム」において、引き続き、国際共同研究チームや若手研究者の国際研究に対する助成を推進している。これらの取組を通じて、引き続き優れた研究者を育成・確保する。
- 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**）
- 「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、採択を実施した。
- 令和4年度から開始した「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、採択を実施した。
- 令和4年度から開始した「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。
- 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**）
 - 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）
- 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を取り入れた。治験・倫理審査委員会委員研修の中で、委員長および委員長の候補者を対象とした委員長研修を令和4年度より開始した。
- 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**）
- 橋渡し研究プログラムシーズFで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、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して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。
- 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、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**）
- 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令和3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。

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和4年度の実績と成果

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"> 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いる。当事業では人材育成の推進を図ることを目的に、研究公募の際に目的に適う若手人材の登用を支援している。また「生体由来材料を用いた医療機器のレギュラトリーサイエンス」をテーマに公開シンポジウムを開催するなど、新しい技術の適正かつ早期実用化に向けたレギュラトリーサイエンス研究について広く周知・討論を行っている。 生物統計家については、「臨床研究・治験推進研究事業」にて生物統計家育成支援事業（現生物統計家育成推進事業）を開始し、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。第一期生：21名（令和2年3月修了）、二期生：19名（令和3年3月修了）、三期生：18名（令和4年3月修了）、四期生：12名（令和5年3月修了）、五期生：14名（令和4年4月入学）であり、第一、二、三、四期生の約8割がアカデミアに就職した。 |
| <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"> 再生医療実用化基盤整備促進事業の企業、アカデミア、学術団体等が参加する連合体（ナショナルコンソーシアム）の活動において、上級臨床培養士向けの実践的な教育コンテンツを確立し、研修会により人材育成等を図った。 |

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和4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"> 臨床研究法附則第2条第2項に基づき、厚生科学審議会臨床研究部会において検討を行い、臨床研究法や運用の見直しを実施した。令和4年6月3日に「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」を公表した。 |
| <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、模擬審査を実施させた上で、有識者による評価のフィードバックを行った。また、臨床研究中核病院の認定臨床研究審査委員会において、審査意見業務に係る内容について相互評価を実施した。 |
| <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るとともに、関係省庁による連絡会議を開催した。 |

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和4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)

○AMEDにおいて以下の取組を実施した。

- 再生医療実用化基盤整備促進事業、再生医療実現拠点ネットワークプログラムにおいて、再生医療研究とその成果の応用に関する倫理的課題の解決支援のため、実施機関へのELSIに関する研修・意見交換の場の設定、実施機関以外との意見交換(患者・市民参画等)、再生医療に対する関心や理解を深めるための患者や市民、中高生が対象のイベントを開催し、双方向の議論等を行った。さらにELSIについての調査研究を実施し論文投稿の準備に至っている。
- さらにELSIについての調査研究を実施し論文投稿の準備に至っている。
- 研究開発推進ネットワーク事業において、『医学系研究の成果をわかりやすく伝えるための手引き』(以下「手引き」という)の普及と改善の提案(埼玉県立大学)を実施し、令和3年度に作成された手引きを用いた研究者・広報担当者向けワークショップや大学院生向け講義の開催、手引きの改定、動画や一般向けリーフレット等の資料作成、医学系研究者・一般の方を対象とした公開シンポジウムを開催する等の取組を行った。
- 難治性疾患実用化研究事業において、専門家・患者・製薬企業へのインタビューを行い、疾患の希少性に基づくELSIを抽出し、国内外の学会で日本の希少難治性疾患を取り巻く状況や、潜在的な課題について情報発信を行うとともに、研究開発や支援に関する情報発信体制を整備した。さらに、患者・専門家による意見交換会を開催し、啓発活動や継続的な情報発信に関する患者・家族の意見を収集し、ウェブサイト改善につなげた。
- 脳とこころの研究推進プログラムにおいて、科学研究の倫理的・法的・社会的諸問題をテーマとした国際ワークショップ、市民・研究者参加型フォーラムを開催した。
- 革新的先端研究開発支援事業において、再生NWP 倫理支援課題勉強会、再生ELSI研究会を実施、ヒトES細胞倫理研修会等を実施した。

- 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については、「厚生科学審議会科学技術部会ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用のあり方に関する専門委員会」における議論の整理をもとに、引き続き法制化に向けた準備を進める。

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"> 「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） | <ul style="list-style-type: none"> 「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月から施行されている。 |
| <ul style="list-style-type: none"> 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） | <ul style="list-style-type: none"> 令和3年度にレギュラトリーサイエンス総合相談を141件実施した。また、革新的な医薬品等の迅速な実用化を図るため、医薬品等の承認申請にレジストリを利活用するための指導及び助言のための相談枠として、レジストリ活用相談、レジストリ信頼性調査相談等を平成31年4月に設置し、令和3年度までに、医薬品について、レジストリ活用相談を6件、レジストリ信頼性調査相談を4件実施した（※年度実績については、翌年度の夏頃実施されることから、フォローアップ対象年度の前年度の実績を記載している）。 国際的な規制調和については、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4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20回実施するなどした。 |
| <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"> in vivo遺伝子治療に対する法的枠組み等の検討すべきとされていた事項について、厚生科学審議会再生医療等評価部会において議論を行い、令和4年6月に「再生医療等安全性確保法施行5年後の見直しに係る検討のとりまとめ」を公表した。 |
| <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"> 医薬品等のカルタヘナ法に基づき行う申請等のオンライン提出の運用を開始する等の運用改善を行った。 |

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和4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"> 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"> 令和5年3月に「プログラムの医療機器該当性に関するガイドライン」を一部改正したほか、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。 工学的な評価基準の策定を目的に、「医療・健康分野における行動変容を促す医療機器プログラムに関する開発ガイドライン2023（手引き）」を公表 |
| <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"> 「医療機器プログラムの承認事項の一部変更の考え方について」（令和4年4月）をPMDA HPに公表。 『行動変容を伴う医療機器プログラムに関する評価指標』（令和4年6月9日付け薬生機審発0609第1号医療機器審査課長通知）発出。 「追加的な侵襲・介入を伴わない既存の医用画像データ等を用いた診断用医療機器の性能評価試験の取扱いに関する質疑応答集（Q&A）について」（令和4年12月8日医療機器審査管理課事務連絡）発出。 「呼吸装置治療支援プログラム」、「放射線治療計画プログラム」の認証基準を告示。「腹膜透析用治療計画プログラム」、「歯科インプラント用治療計画支援プログラム」、「眼科手術用治療計画プログラム」、「病変検出用内視鏡画像診断支援プログラム」、「医用画像の読影支援を目的としたコンピュータ診断支援プログラム」の審査ポイントを公表。 令和4年度「プログラム医療機器の特性を踏まえた薬事承認制度の運用改善事業」を実施。 令和5年3月に「プログラムの医療機器該当性に関するガイドライン」を一部改正したほか、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。 工学的な評価基準の策定を目的に、「医療・健康分野における行動変容を促す医療機器プログラムに関する開発ガイドライン2023（手引き）」を公表。 |
| <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"> リアルワールドデータを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については、レジストリデータを医薬品等の承認申請に利活用するためのガイドライン2件を令和3年3月に発出し、その内容について適宜周知を行った。 臨床研究中核病院における医療情報の品質管理・標準化については、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、MID-NETの経験を含む研修実施による人材育成等により、品質管理・標準化に向けた体制整備を行った。 |

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和4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 Oレギュラトリーサイエンスの推進

- 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）
- 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）
- 医薬品規制調和国際会議（ICH）の合意に基づき、臨床試験の一般指針、医薬品の元素不純物に関するガイドライン等を発出した。また、新たなモダリティとして実用化が期待される細胞外小胞（EV）を利用した治療用製剤について、PMDA科学委員会において、最新の技術動向を分析・検討し、その品質・安全性等の考慮事項を報告書にとりまとめた。
- IMDRF（国際医療機器規制当局フォーラム）等における成果をもとに、医療機器の審査プロセスの効率化等に関して国際的な規制調和のためのガイドライン作成に取り組んだ。また、IMDRFのAIやサイバーセキュリティWG等に参加し、医療機器の評価に関わる論点整理に取り組んだ。
- PMDAは、包括的連携協定を締結している国立高度医療機関や大学との人材交流、人材育成、共同研究等を行い、レギュラトリーサイエンス人材の育成に寄与した。国際的な動向も見つつ、「医薬品横断的なコンパニオン診断を目的とする体外診断用医薬品等の取扱いについて」等のガイダンス文案のとりまとめを行い、厚生労働省からの通知発出後、これらのガイダンスの内容について学会等に周知を行った。