

<背景>

○国民QOLの向上

- 健康寿命の延伸、平均寿命との差の縮小  
2010年/19年比較 男70.42/72.68歳(平均寿命差8.73年)  
女73.62/ 75.38歳( " 差12.06年)
- がんは1981年以降日本人の死因第1位(年間約40万人が死亡)
- 小児・難病・稀少疾患対策は医師主導治験が中心。
- 高齢化社会の進展に伴う認知症の増加、2025年には約700万人

○グローバル競争・グローバル課題への対応

- 革新的医薬品開発におけるスタートアップの役割が急拡大。メガファーマは、各国のスタートアップやCDMOを活用して、グローバルなオープンイノベーション・水平分業を展開。
- 世界市場においても、医療におけるアンメットニーズ(治療法がない、不十分)に対する需要は存在。また、グローバルヘルスに対する日本への期待は高い。

<現状>

○革新的医薬品のドラッグラグ/ドラッグロス問題の顕在化

- コロナ・パンデミックでは、ワクチンの調達確保が一時期困難に。また、希少疾病用治療薬や一般的な薬剤の確保も脆弱に。
- 欧米でスタートアップによる革新的医薬品開発が増加する中、資金力に制約があるスタートアップは日本市場を後回し傾向。海外の革新的医薬品の約2割が日本後回し、3割は日本未着手。

○研究開発能力の低下懸念

- 日本の論文シェアは2011-20年で世界4位から8位へ低下。日本起源の医薬品シェアも同期間で13.1%から9.8%へ低下。
- 基礎研究の成果を実用化に繋げる、前臨床のPOC(Proof Of Concept)、初めてヒトで行う試験(FIH: First In Human試験)へのプロセスが脆弱。また、臨床試験環境も、受入れ体制、手続き等の面で効率性が低く、また、国際共同治験の実績も低い。
- 日本のスタートアップ環境は、人材・資金・シーズ面で劣後。また、研究者の研究環境や処遇環境も大きな格差が存在。日本企業の研究開発(年間約 1.4兆円)も海外展開を拡大。

- <決定>
- 「がん対策推進基本計画(第4期)」(R5閣議決定)
  - 「健康日本21 基本指針(第3次)」(R6改正施行)
  - 「認知症施策推進基本計画」(R6閣議決定予定)
  - 「ワクチン開発・生産体制強化戦略」(R3閣議決定)
  - 「ゲノム医療推進法基本計画」(R6閣議決定予定)
  - 「医療機器基本計画(第2期)」(R4閣議決定)
  - 「グローバルヘルス戦略」(R4推進本部決定)

<競争状況>

- 革新的技術の実用化  
免疫チェックポイント阻害剤(オプジーボ)、iPS細胞の網膜・角膜・軟骨再生への応用、純国産のmRNA技術及びレプリコンmRNAの開発、世界初の抗アミロイドβ抗体薬(レケンビ)、抗体薬物複合剤(ADC)等
- バイオ製造体制の強化・バイオVCの拡大  
mRNA・ウイルスベクター・組換えタンパク等の生産施設・CDMO施設40か所が新設拡充。国内大手製薬メーカー3社が国内でCVCを本格展開。公的補助を行う認定バイオVCも23社に拡大。
- 応用・臨床研究拠点の拡充、データ拠点の整備  
橋渡し研究支援拠点11か所、臨床研究中核病院15か所、ワクチン開発拠点5か所等の整備。ゲノム解析、オミックス解析、疾患情報、コホート研究結果等のデータが蓄積され、三大バイオバンク・全ゲノム解析等実行計画・統合利用PF等の体制整備も進展。
- 薬事審査の迅速化・効率化  
有事に対応した「緊急承認制度」、特性に応じた「条件付き承認制度」の導入、国際共同治験における第1相日本人治験データの不要化等、安全性と両立させた効率化の進展。

<対応の方向性>

○出口を明確にした研究開発パスウェイの設定

疾患領域を①がん、②難病・希少疾患・成育、③生活習慣病、④認知症・精神・脳科学、⑤感染症の5分野、医療機器は、重点5分野(予防、診断、個別化、高齢者、医療従事者)に設定。各分野の特性と共通課題、企業ニーズに応じて、基礎研究から臨床研究、実用化研究へつながる研究開発フローを構築する。また、再生・細胞医療・遺伝子治療を含む新規モダリティの開発、動物試験の代替方法の整備を行う

○社会的課題の解決に資する研究開発の推進

難治性疾患、成育・小児に特有な疾患、感染症等、社会ニーズが高い一方で、市場性が小さく、事業リスクが高い分野について、プル型支援、オーファンドラッグ制度の充実、ワクチン・診断薬・治療薬の開発支援等により、医薬品・治療方法の開発を一気通貫で支援する。また、有事に備えた危機管理シミュレーションを実施する。

○臨床試験支援プラットフォームの構築

医師主導治験を含めた臨床試験を支援するとともに、治験に係るワンストップ窓口、中核的な拠点を活用した治験ネットワークを構築し、受託開発及び製造機関(CDMO)の充実を図る。また、治験に係る法規制、手続きの合理化やsingle IRB(単一の治験審査委員会)の推進、FIH(First In Human)試験実施施設の整備、PMDAと連携したレギュラトリーサイエンス研究の推進等を行う。

○イノベーションエコシステムの構築・イノベ人材力の強化

シード段階からの大学や研究機関発のスタートアップ創出を促進するとともに、創薬ベンチャーに対してアーリー段階から、ベンチャーキャピタルによるハンズオン支援、アクセラレーション支援を行う。AI・DX・RWDを活用した異分野融合による創薬支援システム、医療機器開発システムを整備する。  
国際共同研究、クロスアポイントメント、人材育成等の施策により優秀な研究者が国内外で流動、活躍する仕組みを作る。グローバルに評価されるような革新的な基礎研究、野心的なプロジェクトの支援を行う。

○グローバルヘルスへの貢献・ヘルスケア市場の拡大

アジア・アフリカ等を中心に日本の健康医療産業の国際展開を図るとともに、インパクト投資等の推進により国内外で健康医療分野への官民合わせた資金循環を拡大する。健康経営に基づく従業員への投資、PHR(個人健康情報管理)を活用したヘルスケア市場の拡大を図る。