

# 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5年度版）

# 目次

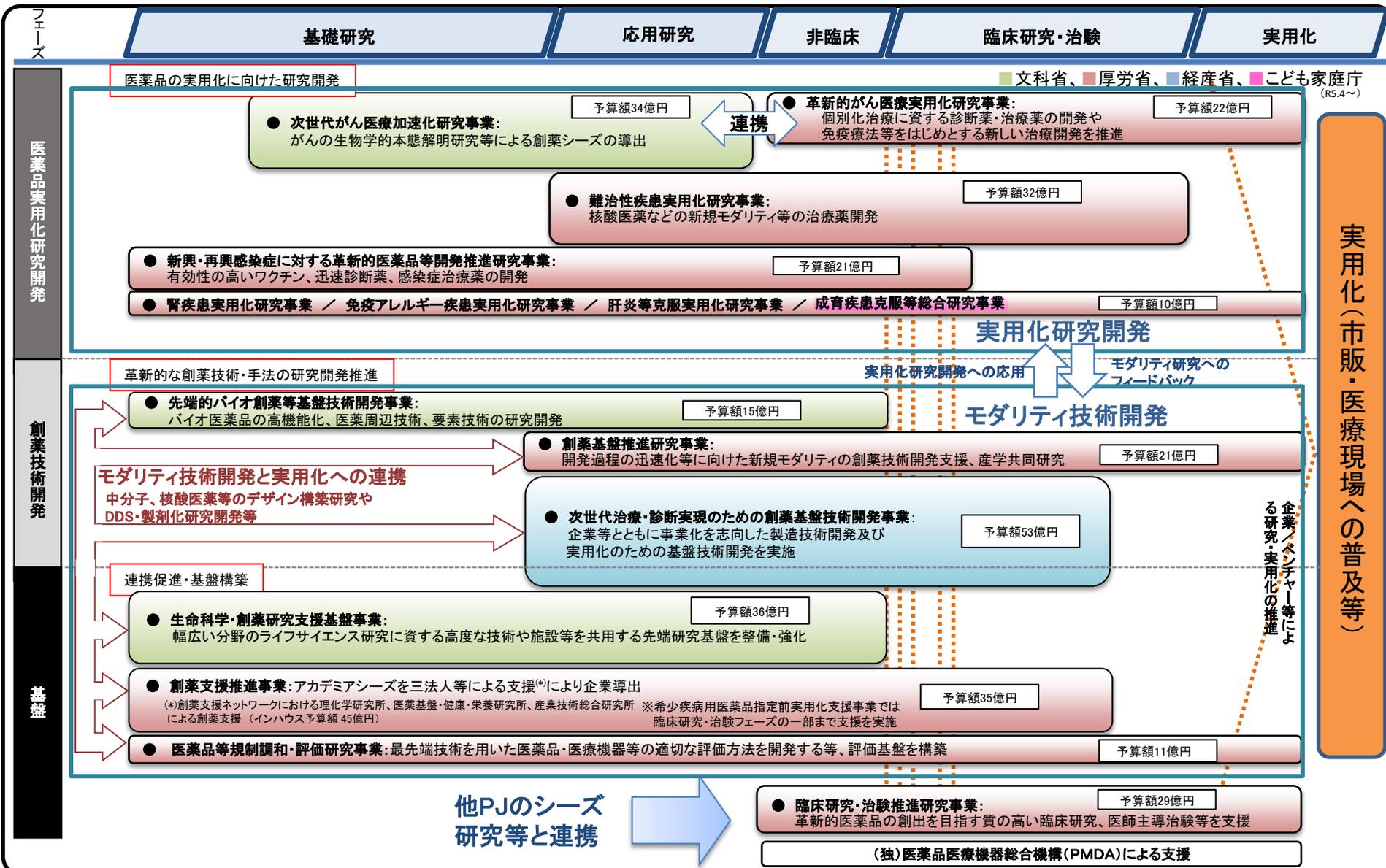
|                        |       |
|------------------------|-------|
| 1. 医薬品プロジェクト           | P. 2  |
| 2. 医療機器・ヘルスケアプロジェクト    | P. 7  |
| 3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト | P. 11 |
| 4. ゲノム・データ基盤プロジェクト     | P. 16 |
| 5. 疾患基礎研究プロジェクト        | P. 21 |
| 6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト    | P. 25 |
| 7. その他                 | P. 29 |

# 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5年度予算額318億円

インハウス研究機関経費  
令和5年度予算額45億円

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。また、モダリティに関する基盤的な研究開発を行い、新薬創出を目指す。さらに、創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。



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することで、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。今年度が第2期の最終年度となるため、新たなモダリティや技術等への対応をさらに強化し創薬研究を推進するとともに、研究成果を活用した臨床試験や治験への移行を加速させ、医薬品の実用化を推進する必要がある。

| 2024年度末までの達成目標                         | 最新の<br>数値                          | 進捗 | 進捗の詳細(含む成果と要因分析)<br>※達成に向けた過程等を総合的に勘案   | 備考<br>(出典、留意事項等) |
|--|------------------------------------|----|---|------------------|
| <b>&lt;アウトプット&gt;</b>                  |                                    |    |   |                  |
| ・非臨床POCの取得件数<br>25件                    | 168件<br>(46/33/42/47)              | 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、核酸医薬、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。   |                  |
| ・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<br>10件 | 8件<br>(3/2/2/1)                    | 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、創薬コーディネーターによる伴走支援を通じて、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等の企業導出を達成している。2024年度末の目標達成に向けて、2024年4月1日現在で9件の導出活動を実施中であることから、順調に進捗していると評価できる。 |                  |
| ・臨床POCの取得件数<br>5件                      | 31件<br>(8/11/8/4)                  | A  | がんや感染症等の疾患を対象とする治療薬や診断薬について、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。                                  |                  |
| ・新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合<br>75%         | 82.2%<br>(80.8/81.1/81.0/<br>85.9) | A  | 創薬基盤推進研究事業において、新たなモダリティ開発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。  |                  |

※ 「最新の数値」は計画開始から令和5年度末までの通算の数値、( )は各年度(R2/R3/R4/R5)の単年実績。進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

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することで、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。今年度が第2期の最終年度となるため、新たなモダリティや技術等への対応をさらに強化し創薬研究を推進するとともに、研究成果を活用した臨床試験や治験への移行を加速させ、医薬品の実用化を推進する必要がある。

| 2024年度末までの達成目標                  | 最新の<br>数値             | 進捗 | 進捗の詳細(含む成果と要因分析)<br>※達成に向けた過程等を総合的に勘案   | 備考<br>(出典、留意事項等) |
|---------------------------------|-----------------------|----|---|------------------|
| <b>&lt;アウトカム&gt;</b>            |                       |    |   |                  |
| ・シーズの企業への導出件数<br>60件            | 174件<br>(40/47/48/39) | 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、抗体医薬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。                          |                  |
| ・薬事承認件数(新薬、適応拡大)<br>10件         | 28件<br>(6/13/4/5)     | A  | がん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。   |                  |
| ・創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数<br>120件 | 239件<br>(95/69/38/37) | A  | 先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業(2023年度が最終年度)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、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。 |                  |
| ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況         | 36件<br>(13/9/6/8)     | 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、2023年度の8件を含む36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。                                      |                  |

※ 「最新の数値」は計画開始から令和5年度末までの通算の数値、( )は各年度(R2/R3/R4/R5)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

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等において実施した医師主導治験の成果に基づき、医療ニーズの高い難治性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

- 先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業において、がん細胞を特異的に攻撃する抗体医薬（CasMab）の開発を推進し、ヒト上皮細胞増殖因子受容体（HER2）を標的とする抗HER2-CasMabを作製し、国内製薬企業と実施許諾契約を締結した。2024年1月には米国にて抗HER2-CasMabの遺伝子を導入した多重遺伝子編集キメラ抗原受容体（CAR）T細胞製品候補の第I相臨床試験において、患者登録を開始した。この研究成果から、既存治療法に比べて副作用の少ないがん治療法の開発が期待される。（図1）
- 創薬基盤推進研究事業の産学官共同研究開発プロジェクト（GAPFREE）では、筋萎縮性側索硬化症（ALS）に対する新薬創出を目指した企業との共同研究において、ALSに対する新薬候補物質の薬効を評価する基本技術を確認した。この成果により、新薬候補物質がどの病態パターンの患者に対して有効性を示すかの評価・予測が可能になり、特定の患者グループに対して有効性を示す新規ALS治療薬の創出につながる事が期待される（図2）
- 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業（RNA標的創薬技術開発）において、炎症反応や免疫細胞の活性化を抑制するRNA分解酵素レグネース-1と、機能未知であったファミリー分子レグネース-3が、造血幹細胞における分化方向性の調節機構として機能していることを明らかにした。骨髄疾患や慢性炎症で認められる造血異常の背景にあるメカニズムと関連する可能性があり、この成果を活用した新薬開発への応用が期待される。（図3）

図1: HER2-CasMabは正常細胞には全く反応しないが、トラスツズマブは正常細胞に高い反応性を示す

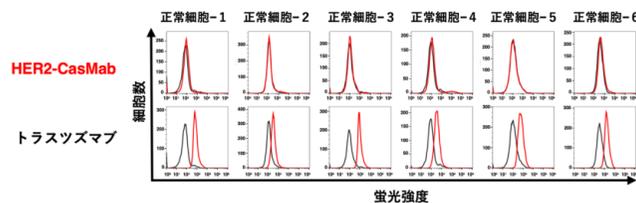
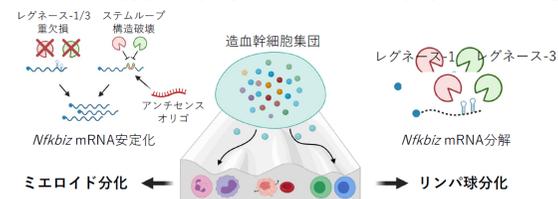


図2: ALS評価パネルの概要および活用イメージ



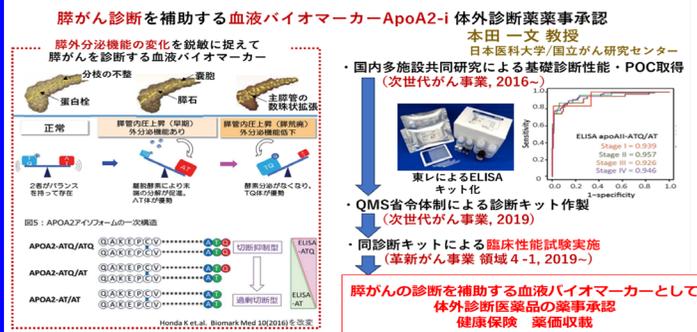
図3: レグネース-1/3によるNfkbiz mRNA分解を介した造血幹細胞集団における分化方向性の制御機構



## 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、膵がんの診断を補助する血液バイオマーカー（ApoA2-i）として体外診断医薬品として薬事承認され、保険適用に至った。（図4）
- 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、4件の薬事承認に至った。（臨床研究・治験推進研究事業、難治性疾患実用化研究事業、創薬支援推進事業・希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業：下記承認薬剤）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、40件のシーズの企業への導出を達成した。（表1参照）

図4 体外診断医薬品として薬事承認された膵がん診断を補助する血液バイオマーカーApoA2-i



AMED支援課題関連の2023年度薬事承認事例

- シナジス（抗体）**  
重症化リスクの高い疾患を有する乳幼児に対するRSウイルス感染による重篤な下気道疾患の発症を抑制する新効能医薬品
- ラバリムス（低分子）**  
難治性脈管腫瘍及び難治性脈管奇形を効能・効果とする新効能・新用量・剤形追加に係る医薬品
- サルグマリ（ペプチド）**  
自己免疫性肺胞蛋白症を効能・効果とする新有効成分含有医薬品
- アセノベル（低分子）**  
縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーにおける筋力低下の進行抑制を効能・効果とする新有効成分含有医薬品

表1 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<br>(導出件数) | 新生物<br>(腫瘍) | 感染症   | 神経系<br>疾患 | 呼吸器系<br>疾患 | 循環器系<br>疾患 |
|---------------|-------------|-------|-----------|------------|------------|
| 低分子化合物        | 86(3)       | 74(2) | 21        | 5(1)       | 9(2)       |
| 抗体医薬          | 54(6)       | 18(1) | 4(1)      | 2          | 3          |
| ワクチン          | 5(1)        | 42(1) | 0         | 0          | 1          |
| 核酸医薬          | 26(2)       | 8     | 7         | 1          | 6          |
| ペプチド医薬        | 11(1)       | 9     | 2         | 0          | 1          |

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」に分類される課題は約2/3を占める。  
 ・導出元の研究代表者はアカデミアが多く、導出先は大企業よりもベンチャー企業が多い（約4割）。

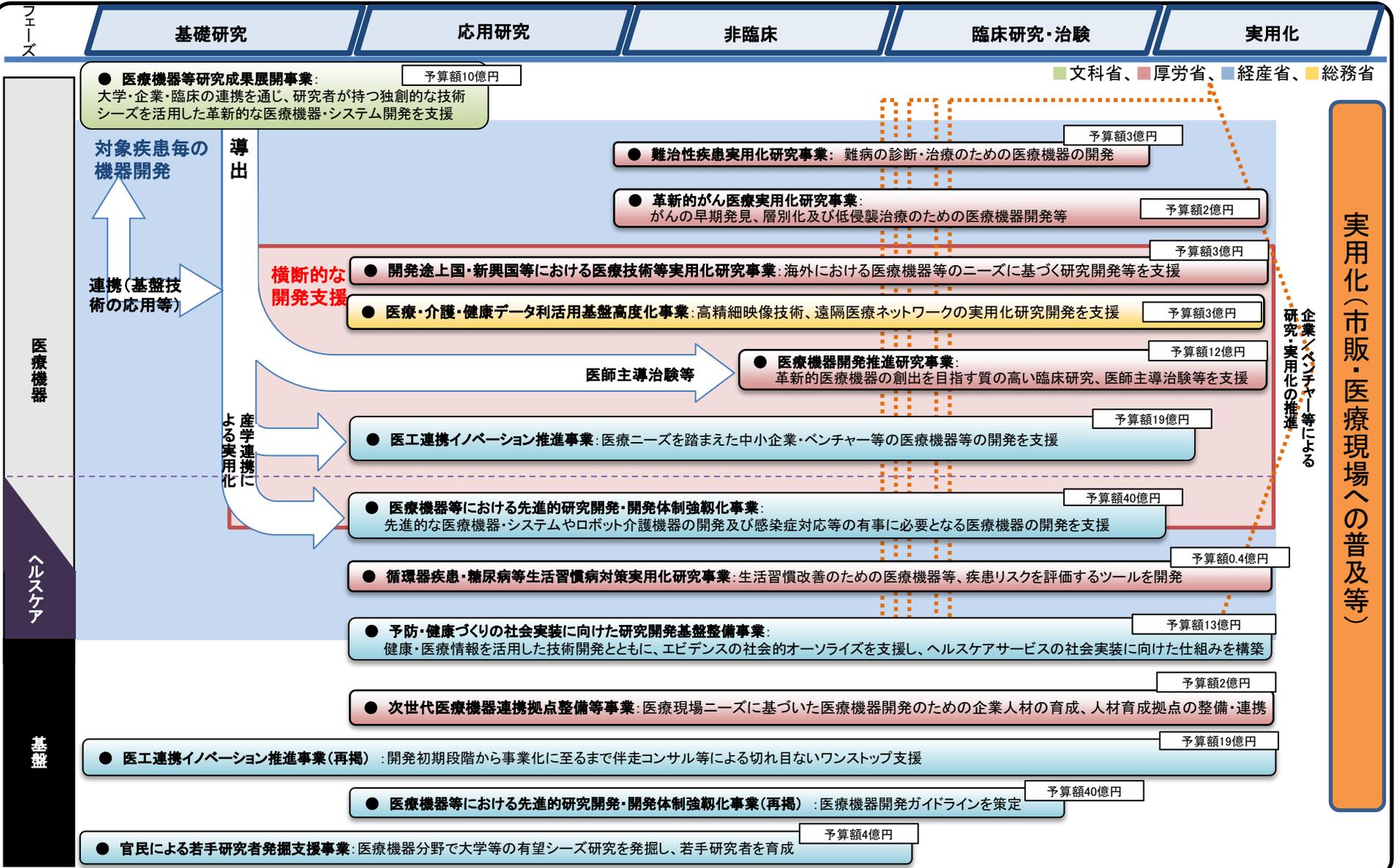
## ③創薬デザイン技術、化合物ライブラリー、解析機器の共用等、創薬研究開発に必要な支援基盤の構築

- 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トモグラフィ解析法等、研究支援基盤の高度化を図るとともに、多因子疾患の病態解明に資する空間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、今年度2160課題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5年度予算額111億円

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<br>数値            | 進捗 | 進捗の詳細(含む成果と要因分析)<br>※達成に向けた過程等を総合的に勘案  | 備考<br>(出典、留意事項等) |
|-----------------------------------|----------------------|----|--|------------------|
| <b>&lt;アウトプット&gt;</b>             |                      |    |  |                  |
| ・非臨床POCの取得件数<br>25件               | 77件<br>(24/17/4/32)  | 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<br>25% | 37%<br>(26/48/43/49) | 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、近年、目標値25%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<br>35件         | 27件<br>(10/5/3/9)    | 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28件(年平均7件)を下回っている状況。引き続き、実証中の課題や採択予定の課題(計11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。       |                  |
| <b>&lt;アウトカム&gt;</b>              |                      |    |  |                  |
| ・シーズの他事業や企業等への導出件数<br>15件         | 50件<br>(6/4/13/27)   | 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、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<br>20件         | 7件<br>(0/1/3/3)      | 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において計3件の薬事承認があった。引き続き、65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<br>10件         | 7件<br>(1/4/1/1)      | B  | 足下では8件(年平均2件)を下回っている状況であるが、2024年度には2件の課題が終了見込であり、また終了した課題において2024年度末頃までに、計4件の上市が見込まれていることから、目標達成に向けて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           | 70件<br>(23/21/15/11) | 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5年度末までの通算の数値、( )は各年度(R2/R3/R4/R5)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において、医療のあり方の大きな転換を実現し新たな市場を切り拓く、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 技術及び感染症・各種災害等の対応に必要な医療機器等の研究開発を支援。また、介護現場の課題を解決するロボット介護機器の開発を支援。
- 医工連携イノベーション推進事業において、高度なものづくり技術を有する中小企業・ベンチャー等の医療機器分野への新規参入や、医療機関・製販企業等との連携・共同事業の促進による、医療現場のニーズに応える医療機器の開発及び実用化を支援。
- 開発途上国・新興国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。
- 医療機器等研究成果展開事業においては、アカデミア、企業及び臨床医の連携を通じて、研究者が持つ独創的な技術シーズを活用した、「新しい」予防、計測、診断、治療を可能とする革新的な医療機器・システム開発の実用化へ向けて支援。

## (2) 研究開発成果事例

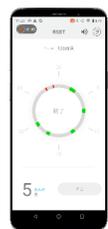
**課題名：AIによる嚥下自動解析に基づく誤嚥予防プログラムの開発**  
 (医工連携イノベーション推進事業)  
**代表機関：PLIMES株式会社**

### 【概要】

- 医療現場において客観的なデータ化や実態の把握が難しい嚥下機能評価や診断に関して、在宅において誰でも嚥下機能評価を行い誤嚥を予防する医療機器の作成、及び家庭で利用できるAIを活用した定量的嚥下機能テスト・食事モニタリングプログラムを実現する。

### 【研究開発成果】

- 当該事業の支援を経て、小さな嚥下音や咳、ムセ等を聴くため、高感度集音機能を有するセンサ部を頸部に接触させ生体音を聴取するウェアラブル型の電子聴診器「GOKURI頸部装着型電子聴診器」を開発。令和5年8月に医療機器製造販売認証(クラスII)を取得。



**課題名：空気圧人工筋肉Pneumuscleを搭載した腰部補助スーツに関する研究**  
 (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)  
**代表機関：株式会社コガネイ**

### 【概要】

- 介護現場を支える介護者人口が減少している中、介護者の負担軽減は大きな課題であり、特に介護者の身体的負担が大きいとされる腰部負担の軽減は効率的な介護の実現に向けて重要なポイント。
- この腰部負担軽減のため軽量かつ装着が簡単なアシストスーツを開発。

### 【研究開発成果】

- R3年度～R4年度に支援を行った本課題において、競合商品と比較検証しながら試作機の改良を重ねた結果、軽量で装着が簡単な、中腰姿勢・前傾姿勢の腰部負担を低減するアシストスーツ「Assist Lumbar (アシストランバー)」の製品化を実現。令和5年8月に販売開始。



**Assist Lumbar**  
 アシストランバー  
 中腰姿勢・前傾姿勢の腰部負担を低減するアシストスーツ



# ①R5年度に顕著な成果を上げた課題の成果概要

## (2) 研究開発成果事例

**新眼科医療機器スマートアイカメラを用いた、開発途上国・新興国等における、予防可能な失明と視力障害の根絶方法の開発（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）**  
代表機関：株式会社OUI

### 【概要】

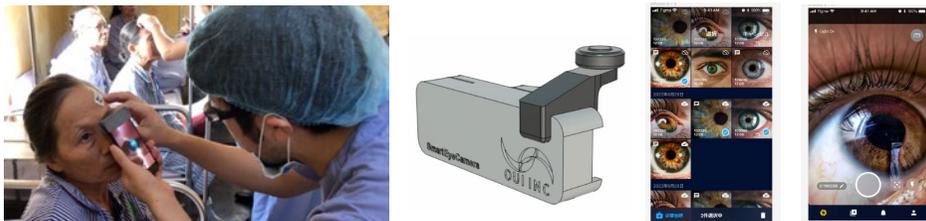
- バイオデザインアプローチに基づき、Smart Eye Camera(SEC)を活用した新しい眼科診療モデルをベトナムで開発し、実用化にまでつなげることによって、これまで眼科医療にアクセスできないまま白内障やトラコーマ等の眼科疾患によって失明・視覚障害に陥っている貧困層の患者を炙り出し、彼らを適切な治療につなげる事で、「ユニバーサル・ヘルス・カバレッジの促進・普及」「NTDをはじめとした感染症対策」に寄与するものである。

### 【研究開発成果】

- ベトナムの17の医療機関を対象に実施したニーズ探索の結果、コミットする12のニーズステートメント（NS）を抽出し、それに基づいたコンセプト開発を行い、開発する医療機器の試作品を製作。
- 試作品のユーザビリティテストのフィードバックを踏まえ、ハードウェア・ソフトウェアともにデザイン・機能を改良。ベトナムでの医療機器登録も完了し、製造面・事業面での体制整備も行った。2023年度よりベトナムでの販売開始。

### 【今後の展望】

- 販売を行いながらユーザーからのフィードバックを継続して収集。現地眼科医と連携して、成果品のユースケースを積み重ね、包摂的な眼科医療を実現するモデルを継続して構築していく。



**高齢心不全患者におけるフレイル自動診断を支援する新医療機器プログラ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：北海道大学医学研究院 永井 利幸 准教授

### 【概要】

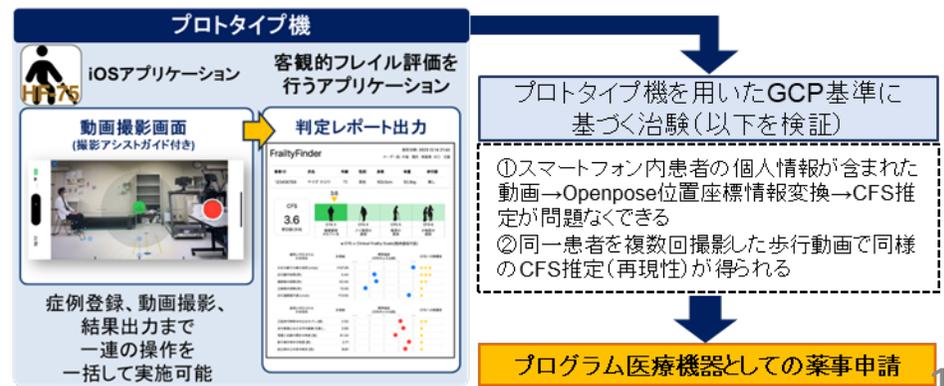
- 本研究開発課題では、高齢心不全患者を対象として客観的なフレイル評価を汎用性が高い機器で自動支援するフレイル判定プログラムを開発することを目指す。従来、主観的な指標を中心に評価され、検者間格差が大きかったフレイル指標を、人工知能を用いて客観的に判定する。

### 【研究開発成果】

- 被験者の起立歩行様式の三次元位置情報を取得するシステムを開発し、高齢慢性心不全患者の起立歩行様式データを700症例収集した。
- 10名の日本循環器学会循環器専門医で構成されるチームが判定した臨床フレイルスケールを教師ラベルとして、動作解析データを人工知能解析（機械学習）し、検者の主観に依存しない客観的なフレイル判定プログラムを開発し、その研究成果が国際一流誌に採択され、プログラム医療機器としての認定を得るため、治験準備段階にある。

### 【今後の展望】

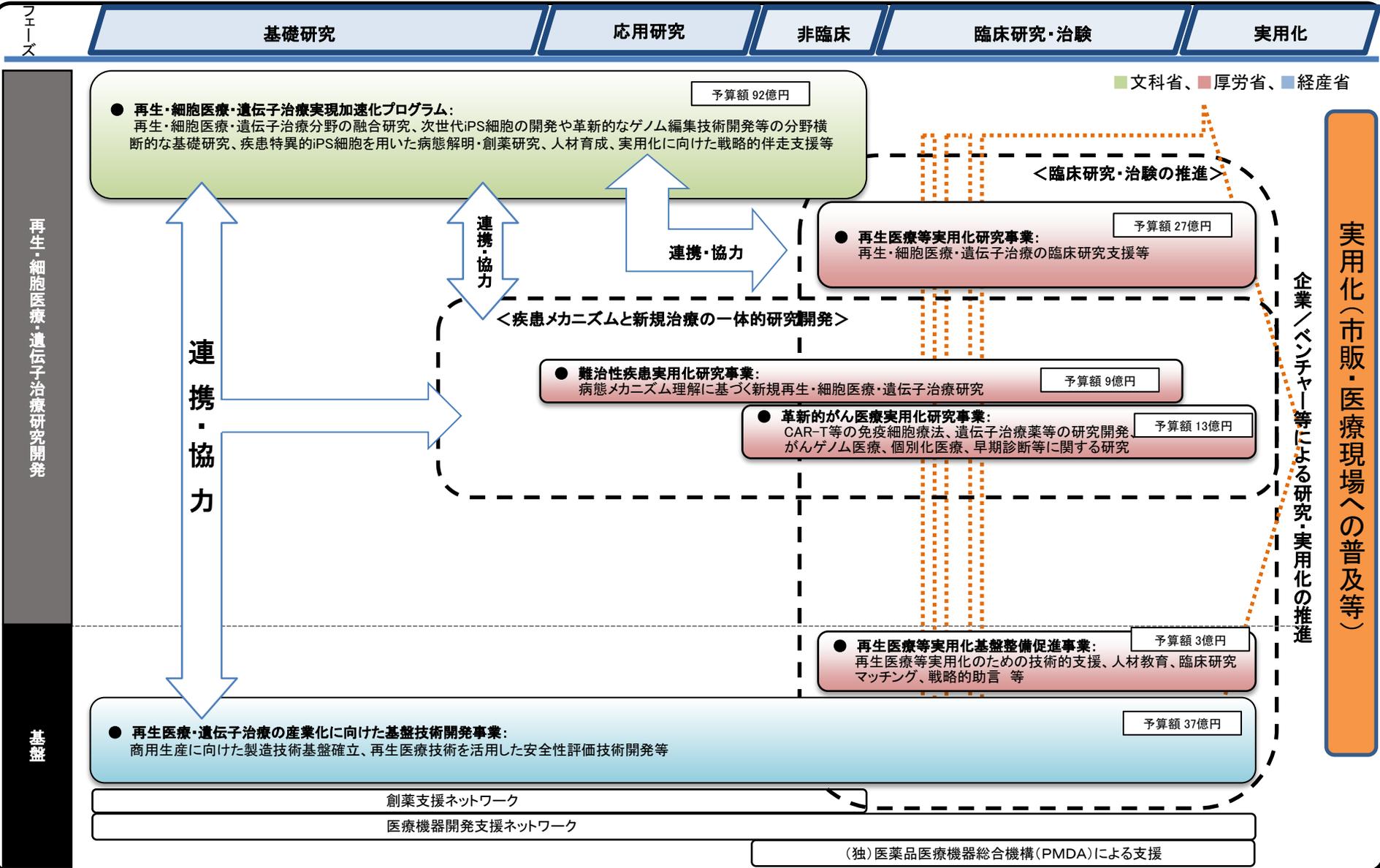
- 治験後に薬事申請・上市を行い、これにより精密・簡易なフレイル判定の普及、ひいては心不全患者の予後改善に寄与する。



# 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5年度予算額181億円

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、再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会の議論等を踏まえ、関連府省と連携して、再生・細胞医療及び遺伝子治療の基盤体制と事業の設計を深耕し、各事業においてシーズ技術の社会実装を加速化させるための事業化、知財、規制、製造を支援する体制を構築し、推進した。令和5年度においても多くのシーズが臨床での有効性を実証する段階に移行するなど、すべてのKPI目標を大きく超過達成した。令和6年度は、再生・細胞医療・遺伝子治療のさらなる実用化に向けて、製造工程に関する研究開発の推進や、製造技術開発・基盤整備等の取り組みを強化する。

| 2024年度末までの達成目標1                          | 最新の<br>数値                                       | 進捗 | 進捗の詳細(含む成果と要因分析)<br>※達成に向けた過程等を総合的に勘案   | 備考<br>(出典、留意事項等)                           |
|--|---|----|---|--|
| <b>&lt;アウトプット&gt;</b>                    |   |    |   |  |
| ・非臨床POCの取得件数<br>25件<br>[うち遺伝子治療 5件]      | 105件<br>(14/11/54/26)<br>[57件<br>(13/10/17/17)] | A  | 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム/再生医療実現拠点ネットワークプログラム8件(うち遺伝子治療3件)、再生医療等実用化研究事業1件(うち遺伝子治療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6件(うち遺伝子治療4件)、難治性疾患実用化研究事業11件(うち遺伝子治療9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<br>400件 | 565件<br>(107/137/206/15)                        | A  | 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム/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等からR5年度は115件という多くの論文が発表された。   | ※クラリベイト<br>InCites<br>Benchmarking<br>より集計 |
| ・治験に移行した研究課題数<br>20件<br>[うち遺伝子治療 2件]     | 35件(11/7/9/8)<br>[16件<br>(6/3/6/1)]             | 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数が堅調に推移しておりR5年度も新たに8件(うち遺伝子治療1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  | 564件<br>(200/126/123/25)                        | 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ため、十分な進捗がみられると評価できる。   | ※クラリベイト<br>InCites<br>Benchmarking<br>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]           | 15件(4/4/4/3)<br>[1件(0/1/0/0)]                   | 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おり、R5年度は計3件が移行したことから、十分な進捗がみられると評価できる。うち、遺伝子治療は、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ため、臨床研究に移行した研究課題数が少なくなっている。 |  |

※ 「最新の数値」は計画開始から令和5年度末までの通算の数値、( )は各年度(R2/R3/R4/R5)の単年実績、進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会、再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会の議論等を踏まえ、関連府省と連携して、再生・細胞医療及び遺伝子治療の基盤体制と事業の設計を深耕し、各事業においてシーズ技術の社会実装を加速化させるための事業化、知財、規制、製造を支援する体制を構築し、推進した。令和5年度においても多くのシーズが臨床での有効性を実証する段階に移行するなど、すべてのKPI目標を大きく超過達成した。令和6年度は、再生・細胞医療・遺伝子治療のさらなる実用化に向けて、製造工程に関する研究開発の推進や、製造技術開発・基盤整備等の取り組みを強化する。

| 2024年度末までの達成目標*  | 最新の<br>数値   | 進捗 | 進捗の詳細(含む成果と要因分析)<br>※達成に向けた過程等を総合的に勘案   | 備考<br>(出典、留意<br>事項等)    |
|--|---|----|---|-------------------------|
| <b>&lt;アウトカム&gt;</b>   |   |    |   |                         |
| ・シーズの他事業への導出件数<br>30件  | 63件<br>(9/5/28/21)                                      | A  | R5年度は21件と達成目標に対して単年度あたりの目標数を上回る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<br>10件<br>[うち遺伝子治療 2件]<br>[うち企業へ導出された件数 2件] | 50件(9/3/26/12)<br>[10件(5/2/2/1)]<br>[28件<br>(6/1/14/7)] | A  | 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム/再生医療実現拠点ネットワークプログラム9件(うち企業に導出されたもの4件)、再生医療等実用化研究事業1件(うち企業に導出されたもの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2件(うち遺伝子治療1件、うち企業に導出されたもの2件)が企業へ導出される段階となった。遺伝子治療に関しては、開発してきた技術の導出が収束し、次期開発を構築する段階となった。 |                         |
| ・薬事承認件数(新薬、適応拡大)<br>2件以上   | 5件*<br>(1/2/1/1)  | 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。   | *先進医療区分B 2件、医療機器区分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   | —   | A  | 7件(ISO/TC 276 WG3および4、ISO/TC 48、ICH Q5A(R2)専門家作業部会(EWG)、ISSCRヒト幹細胞の研究利用に関する基準策定等)への参画があったところ、十分な進捗がみられると評価できる。  |                         |
| ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況  | 50件<br>(15/11/13/11)                                    | A  | 治験移行8件、臨床研究移行3件に加え、海外治験開始1件、臨床研究でのiPS由来細胞の生着性確認1件があったところ十分な進捗がみられると評価できる。   |                         |
| ・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                                      | 162件<br>(48/38/47/29)                                   | A  | 日本発AAV産生宿主細胞のシングルクローン株樹立等に繋がる製造関連要素技術開発が進展(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29件)があったところ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5年度末までの通算の数値、( )は各年度(R2/R3/R4/R5)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、文部科学省の当該分野における事業の成果を、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。
- ・文部科学省において「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム」を令和5年度に立ち上げ、再生・細胞医療・遺伝子治療の融合研究の推進等を開始した。

## (2) 顕著な研究開発成果事例

### ・iPS細胞を用いた多発性嚢胞腎<sup>※1</sup>の治療薬候補の発見

- 京都大学iPS細胞研究所(長船健二教授ほか)で、iPS細胞から腎集合管オルガノイドを作製し、多発性嚢胞腎の病態モデルを作製した。また、このモデルを活用して、嚢胞形成を強力に抑制する薬剤の候補を同定した。
- 京都大学発ベンチャーであるリジェネフロ社において、この研究成果をもとにした多発性嚢胞腎の患者に対する治験を2023年12月より開始した。

参照: 2023年12月1日プレスリリース

<https://www.cira.kyoto-u.ac.jp/j/pressrelease/news/231201-010000.html>

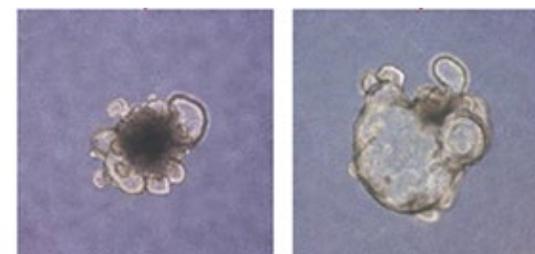
【再生医療実現拠点ネットワークプログラム<sup>※2</sup>／再生医療等実用化研究事業】

※1 腎臓に水が溜まった袋(嚢胞)が多数形成され、腎臓の機能が低下する難病

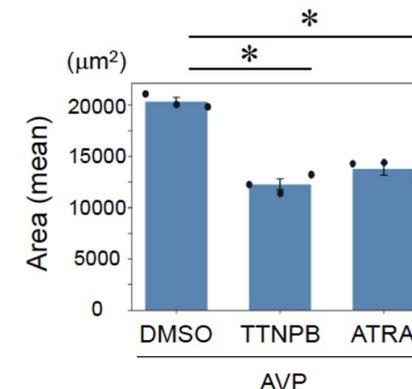
※2 文科省事業としてH25～R4に実施

培養7週目

培養10週目



多発性嚢胞腎の腎集合管オルガノイド



薬剤候補として同定したTTNPBやATRAで嚢胞のサイズが縮小

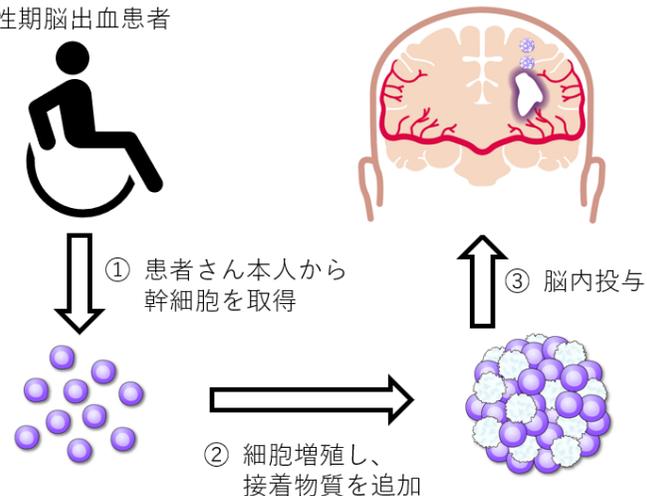
## (2) 顕著な研究開発成果事例

### 慢性期脳出血患者を対象とした自家骨髄幹細胞・足場材の脳内移植法（医師主導治験）の開始

- ▶北海道大学病院脳神経外科（藤村幹教授ほか）が慢性期脳出血患者に対する骨髄由来間葉系幹細胞（MSC）を体外で培養し、足場材と混ぜ合わせた製品（HUFF-01）を開発した。
- ▶2023年12月より開発した製品（HUFF-01）の脳内投与による再生治療の安全性及び有効性の評価のため医師主導治験を開始した。

【再生医療等実用化研究事業】

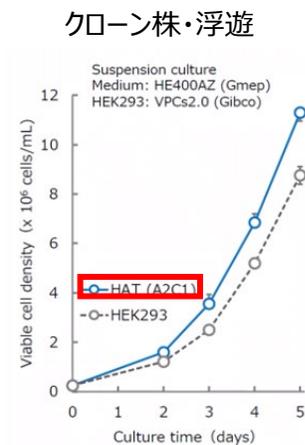
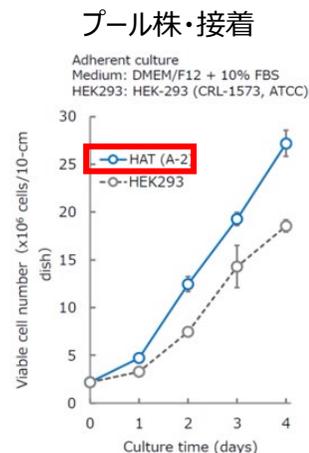
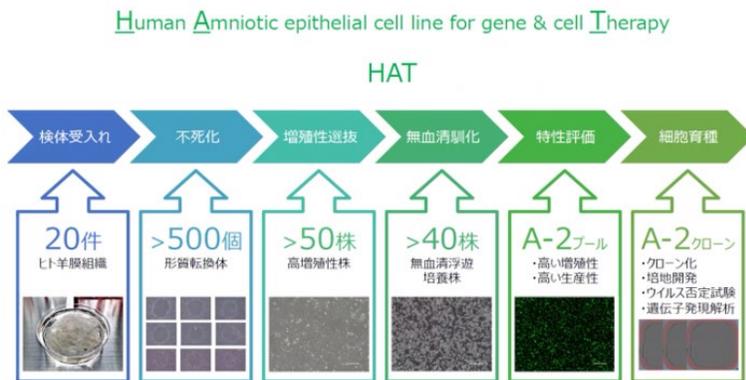
慢性期脳出血患者



### ウイルスベクター製造のための国産細胞候補株（HAT細胞株）の樹立

- ▶国立成育医療研究センターとちとせ研究所の協力の下、次世代バイオ医薬品製造技術研究組合（MAB組合）の川崎集中研において、国産の新規ウイルスベクター生産用細胞候補株を樹立し、2023年7月にシングルクローン株（HAT細胞株パネル4株）を分離した。
- ▶同年8月には既存の海外製細胞株（HEK293）と同等以上の細胞増殖能とAAVウイルスベクター産生能を確認した。現在、引き続きライブラリの構築等に向けて取り組んでいる。

【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】



# 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5年度予算額173億円

インハウス研究機関経費  
令和5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、■ 子ども家庭庁 (R5.4~)

## 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  
43億円の内数
- **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、がん・難病全ゲノム解析等実行プログラム 予算額44億円
- **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39億円
- **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

- **医療高度化に資するPHRデータ流通基盤構築事業**  
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、身体・知的・感覚器障害分野) / 女性の健康の包括的支援実用化研究事業 / 「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  
**成育疾患克服等総合研究事業** 予算額27億円

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

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):**  
健康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  
43億円の内数
- **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):**  
我が国のゲノム研究基盤となる全国規模かつ多様な疾患を対象とした  
双方向性バイオバンクの構築 予算額  
43億円の内数
- **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・運営事業/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

ゲノム・医療データ研究開発

基盤

実臨床において、データベースの構築・充実やその利活用を通じた病態の解明、標準的治療法の開発、オンライン診療の治療効果検証、リアルワールドデータ解析による予後予測因子の検出、薬事承認に至る医療機器の開発等の研究開発を進め、新たな医療技術研究の実装化が加速しており、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。研究で創出されたデータや研究体制は、次なる研究開発への利活用、展開が期待される。

| 2024年度末までの達成目標                                   | 最新の<br>数値                      | 進<br>捗 | 進捗の詳細(含む成果と要因分析)<br>※達成に向けた過程等を総合的に勘案  | 備考<br>(出典、留意事項等)                          |
|--|--------------------------------|--------|--|---|
| ＜アウトプット＞   |                                |        |  |   |
| ・非臨床POCの取得件数<br>5件                               | 7件<br>(1/1/3/2)                | A      | 初年度より継続的に「ゲノム創薬基盤推進研究事業」から、R5年度は新たに「障害者対策総合研究開発事業」からの取得があった  |   |
| ・臨床POCの取得件数<br>10件                               | 21件<br>(3/0/9/9)               | A      | 「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診療ないし治療ガイドラインへの掲載に伴う取得があった   |   |
| ・研究成果の科学誌(インパクト<br>ファクター5以上)への論文掲載<br>件数<br>900件 | 1452件<br>(217/415/<br>467/353) | 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、R4年度より論文掲載は若干の減少に至ったが、継続性のある研究成果が創出された  | クラリベイト<br>InCites<br>Benchmarking<br>より集計 |
| ・新たな疾患発症メカニズム解明<br>件数<br>10件                     | 51件<br>(18/8/8/1<br>7)         | 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」「循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業」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、R5年度は、バイオバンク基盤の充実による利活用が、マルチオミックス解析など多角的研究の促進に貢献したため増加した |   |
| ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関<br>連遺伝子の同定数<br>25件               | 150件<br>(70/36/25<br>/19)      | A      | 主に、「難治性疾患実用化事業」「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おり、同定に至る解析過程の難易度が高い未診断疾患や精神・神経疾患などを対象とする中で、一定の成果を創出している。なお、R4年度以降、ゲノムベースの未診断疾患を専門とする研究領域がない中で、特定の診断につながる原因遺伝子の同定に至っている点は大いに注視される  |   |

※ 「最新の数値」は計画開始から令和5年度末までの通算の数値、( )は各年度(R2/R3/R4/R5)の単年実績、進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

実臨床において、データベースの構築・充実やその利活用を通じた病態の解明、標準的治療法の開発、オンライン診療の治療効果検証、リアルワールドデータ解析による予後予測因子の検出、薬事承認に至る医療機器の開発等の研究開発を進め、新たな医療技術研究の実装化が加速しており、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。研究で創出されたデータや研究体制は、次なる研究開発への利活用、展開が期待される。

| 2024年度末までの達成目標                          | 最新の<br>数値                  | 進<br>捗 | 進捗の詳細(含む成果と要因分析)<br>※達成に向けた過程等を総合的に勘案   | 備考<br>(出典、留意事項等)                          |
|---|----------------------------|--------|---|---|
| <b>&lt;アウトプット&gt;(続き)</b>               |                            |        |   |   |
| ・データ基盤構築の状況(連携、解析体制を含む)                 | -                          | A      | 「障害者対策総合研究開発事業」では、レジストリデータの中央一括品質管理システム開発などを実施。「難治性疾患実用化研究事業」では64課題中59課題において、難病プラットフォームのデータ基盤の構築が進み、「ゲノム創薬基盤推進研究事業」では、疾患標的遺伝子に係る全ゲノム解析や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。 |   |
| ・アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績                 | 328件<br>(50/62/91/125)     | 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)」および「ゲノム創薬基盤推進研究事業」より、継続的なデータ基盤の利活用が行われている。   |   |
| ・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 | 2224件<br>(662/570/497/495) | 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、R4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<br>InCites<br>Benchmarking<br>より集計 |
| <b>&lt;アウトカム&gt;</b>                    |                            |        |   |   |
| ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数<br>25件        | 51件<br>(24/9/10/8)         | A      | 「ゲノム創薬基盤推進研究事業(1件:D3Gの企業導出)」 「B-cure(ゲノム医療実現推進プラットフォーム)(7件:バイオ医薬品関連企業との共同研究や他事業連携)」の導出となり、これまでに累計4事業からの多種多様な導出が、成果目標値の達成につながっている。なお、主な企業導出は共同研究契約やライセンスアウトとなっている。 |   |
| ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数<br>15件          | 22件<br>(4/8/5/5)           | A      | 「肝炎等克服実用化研究事業」「認知症研究開発事業」「循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業」「育成疾患克服等総合研究事業」「移植医療技術開発研究事業」から、順調に成果が創出されている。   |   |
| ・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<br>5件  | 8件<br>(2/3/0/3)            | A      | 「ゲノム創薬基盤推進研究事業」「革新的がん医療実用化研究事業」から順調に成果が創出されており、すでに目標値を達成。   |   |

※ 「最新の数値」は計画開始から令和5年度末までの通算の数値、( )は各年度(R2/R3/R4/R5)の単年実績、進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分

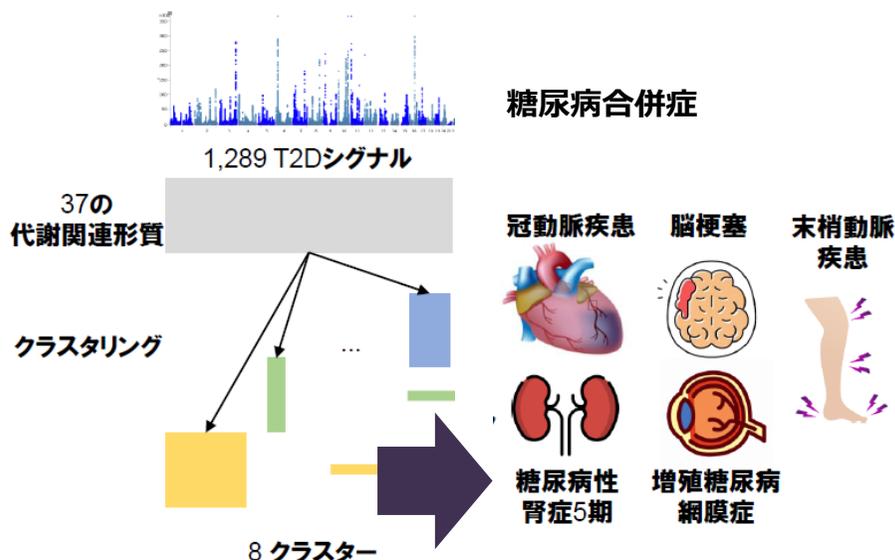
## (1) 関係府省の主な取組

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は、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・データ基盤の高度化に貢献した。
- 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、がん・難病全ゲノム解析等実行プログラムの本格実施により研究開発を加速し、個別化医療の推進に貢献した。また、認知症研究開発事業におけるデータベースの構築・充実やその利活用を通じた病態の解明、診断法の開発等を進めた。

## (2) 顕著な研究開発成果等

**糖尿病合併症を防ぐための分子メカニズムを同定。2型糖尿病の重症例を減らす層別化医療の実現へ**  
**～中間形質の活用により、多数の弱い遺伝因子が病態へ与える影響を検出する手法を開発～**



- 2型糖尿病を対象に国際共同研究で250万人の世界最大の多民族GWASを主導。得られた1,289の疾患関連バリエーションを、代謝形質に基づき分類した上で重症化への影響を解析する方法を開発。重症化の要因となる代謝形質とバリエーションの同定に成功した。
- 糖尿病重症化の鍵となる代謝形質は肥満度と脂肪蓄積度であった。この代謝形質はアジア系集団の2型糖尿病に特徴的である。肥満度に基づく層別化により2型糖尿病リスクスコアの顕著な精度向上にも成功。

Nature. 2024年2月  
 Nat Genet. 掲載予定

ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(B-cure) 先端ゲノム研究開発 (GRIFIN) : 「糖尿病の遺伝・環境因子の包括的解析から日本発次世代型精密医療を実現するプロジェクト」



# 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5年度予算額149億円

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(149.1億円)

がん・難病  
(16.5億円)

- 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  
(9.9億円)

- 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  
(65.5億円)

- 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  
(57.2億円)

- 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

これまでの延長線上にないシーズを育み、循環型研究を支える基盤を構築するために、異分野連携や双方向トランスレーショナルリサーチの枠組み構築に取り組んだ。全ての達成目標において、2023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であることから、順調に進捗していると評価できる。

| 2024年度末までの達成目標   | 最新の<br>数値                   | 進<br>捗 | 進捗の詳細(含む成果と要因分析)<br>※達成に向けた過程等を総合的に勘案   | 備考<br>(出典、留意事項等) |
|--|-----------------------------|--------|---|------------------|
| <b>&lt;アウトプット&gt;</b>  |                             |        |   |                  |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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<br/>400件</li> </ul> | 2,506件<br>(349/666/841/650) | 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。 |                  |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul>   | 2,759件<br>(783/745/594/637) | 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が多数報告され、順調に進捗していると評価できる。   |                  |
| <b>&lt;アウトカム&gt;</b>   |                             |        |   |                  |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数<br/>10件</li> </ul>         | 26件<br>(3/3/4/16)           | 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5年度末までの通算の数値、( )は各年度(R2/R3/R4/R5)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

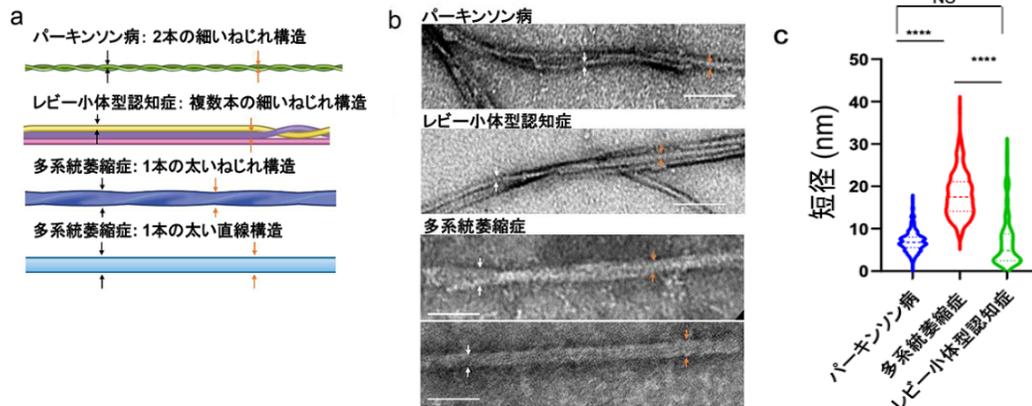
- ・脳とこころの研究推進プログラムにおいて、マーモセット等のモデル動物や国際連携等を活用した脳機能解明、精神・神経疾患メカニズム解明等の研究開発を推進した。
- ・新興・再興感染症研究基盤創生事業において、海外研究拠点を活用した研究や多分野融合研究等を通じて、基礎的研究と人材層の確保を推進した。令和5年度はブラジル研究拠点と海外研究拠点間の連携強化等を図るネットワークコア拠点を新たに整備した。
- ・免疫アレルギー疾患における宿主因子と外的因子の関係に着目した病態解明研究を行うとともに、引き続き、若手研究者が主体的に立案及び実施する研究課題の公募枠を設け、人材育成を推進した。

### (2) 顕著な研究開発成果事例

#### ・パーキンソン病や認知症の原因タンパク質が血液検査で検出可能に — $\alpha$ -シヌクレイノパチー病態解明への期待—

順天堂大学大学院医学研究科神経学の服部信孝教授（理化学研究所脳神経科学研究センター神経変性疾患連携研究チーム チームリーダー併任）、波田野琢先任准教授らは、パーキンソン病等の患者血清にごく微量に含まれる病的な構造をもつ凝集体「 $\alpha$ -シヌクレインシード」を、新規開発した「IP/RT-QuIC法」で増幅して検出することに成功した。更に、血清に存在する $\alpha$ -シヌクレインシードは疾患ごとに構造や性質が異なり、疾患の鑑別に有用であることを世界で初めて明らかにした。パーキンソン病等の $\alpha$ -シヌクレイノパチーの病態解明や新規治療法開発に結びつくことが期待される。

本成果はNature Medicine誌のオンライン版に2023年5月29日付で公開された。



図：各 $\alpha$ -シヌクレイノパチーにおける血清に含まれる $\alpha$ -シヌクレインシードを「IP/RT-QuIC法」にて増幅した凝集体の構造の違い  
 a: 凝集体の模式図  
 b: 凝集体の電子顕微鏡写真  
 c: 各凝集体の太さの比較

## (2) 顕著な研究開発成果事例

### ・アルボウイルス感染症国内流行阻止に資するベクター昆虫の総合的研究

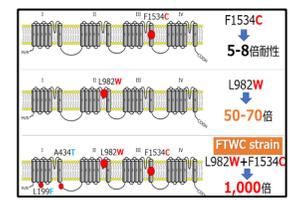
国立感染症研究所の葛西真治 部長らは、長崎大学が整備するベトナム研究拠点を活用し、ベトナム・国立衛生疫学研究所 (NIHE) 衛生昆虫部等の協力を得て、非常に強い殺虫剤耐性を獲得したネッタイシマカがベトナムやカンボジアの住宅地周辺に定着していることを見出した (2022年12月 Science Advances誌掲載)。この成果によって、近隣諸国においても強い危機感が共有され、2023年11月には研究フィールドを広げインドシナ半島広域における共同研究を実施することに合意した。

このような超耐性遺伝子媒介蚊は、日本でも定着する懸念があるため、本研究は我が国の蚊媒介感染症防疫の先回りの研究として期待される。

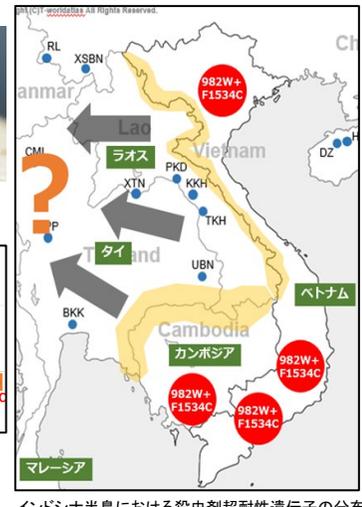
【新興・再興感染症研究基盤創生事業】



殺虫剤の超耐性が問題になっているネッタイシマカ



ピレスロイド系殺虫剤の作用点ナトリウムチャネル上に見つかったネッタイシマカの変異状況及び二重変異による超耐性の獲得状況



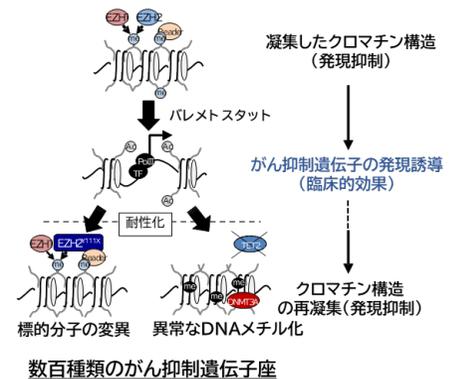
インドシナ半島における殺虫剤超耐性遺伝子の分布

### ・難治性血液がんに対する新しいエピゲノム治療の有効性と作用機序を解明

一次世代技術と臨床研究の融合により日本発創薬に成功一

東京大学の山岸准教授らは、ヒストンメチル化阻害剤バレットスタットの治療を受けた成人T細胞白血病リンパ腫(ATL)患者の体内でどのような変化が起こるかを、高精度のマルチオミクス解析技術により詳細に検討した。バレットスタットの投与により、多くのがん抑制遺伝子の発現は治療開始後から徐々に正常化し、再発・難治のATL細胞の増殖を長期間抑制することを初めて観測し、また長期治療後に発生しやすい薬剤耐性化のメカニズムも明らかにした。本研究成果は、今後、同様の異常を持つ多くのがんに対する新しい治療法への応用が期待される。本成果はNature誌に2023年2月21日付で掲載された。

【革新的がん医療実用化研究事業】



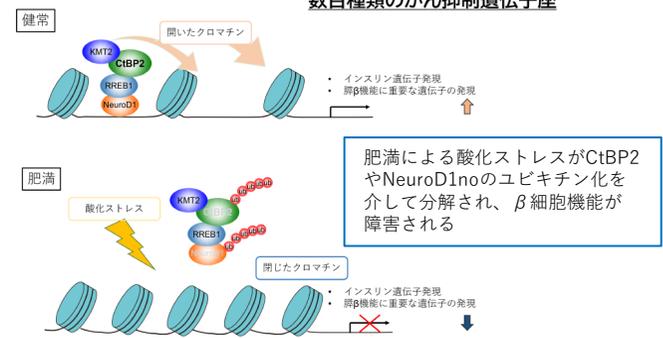
### ・肥満がインスリン分泌細胞の機能を低下させる仕組みを解明

筑波大学の関谷准教授らのグループは、肥満によって膵β細胞に生じる酸化ストレスによってCtBP2タンパク質が破壊され、膵β細胞の機能が維持できなくなり、インスリン分泌低下や糖尿病発症につながることを明らかにした。

本成果はCtBP2が肥満で機能しなくなることが、メタボリックシンドローム、糖尿病の発症や病態に重要な役割を果たしていることを示しており、肥満に共通する分子メカニズムとして新たな治療への応用が期待される。

本成果は、Cell Reports誌に2023年8月29日付で掲載された。

【革新的先端研究支援事業／循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業】



# 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5年度予算額235億円

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。



■ 文科省、■ 厚労省、■ 経産省

## アカデミアシーズの創出 (109.2億円)

アカデミア連携によるシーズの創出・育成研究

- 革新的先端研究開発支援事業

導出  
他PJの研究へ  
展開・連携

企業(製薬、医療機器、ベンチャー等)

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

革新的医療技術創出拠点(文部科学省:橋渡し研究支援拠点、厚生労働省:臨床研究中核病院)

TR/ARO機能を活用したアカデミアシーズの研究開発の推進

- 橋渡し研究プログラム

臨床研究等の実施に係る体制の整備及び人材育成

連携・協力

- 臨床研究開発推進事業(医療技術実用化総合促進事業)
- 研究開発推進ネットワーク事業
- 臨床研究・治験推進研究事業

## 研究基盤の整備 (91.3億円)

文部科学省:アカデミアシーズの育成・実用化に向けた支援  
厚生労働省:医師主導治験等の臨床研究の支援  
経済産業省:実証研究基盤の構築

他のPJにおける  
認知症研究と連携

サービス・製品等の創出に資する  
実証フィールドの整備

- 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

## 国際事業 (34.9億円)

- 医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業
- 地球規模保健課題解決推進のための研究事業
- ヒューマン・フロンティア・サイエンス・プログラム

- 先端国際共同研究推進プログラム(基金事業)

令和4年度補正予算額:61億円

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

フェーズ

シーズ研究

基盤

国際

プロジェクト内外の事業間連携及び外部機関との連携や共同研究の実施を通じて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、2023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。国際共同臨床試験を主導していけるようなグローバルヘルス人材の育成を推進するため、2024年度においては欧米等で先端的な臨床試験を実施する医療機関等への人材派遣に取り組む。

| 2024年度末までの達成目標  | 最新の<br>数値                       | 進捗 | 進捗の詳細(含む成果と要因分析)<br>※達成に向けた過程等を総合的に勘案   | 備考<br>(出典、留意事項等)                           |
|---|---------------------------------|----|---|--|
| <b>&lt;アウトプット&gt;</b>                                   |                                 |    |   |  |
| ・研究成果の科学誌(インパクト<br>ファクター5以上)への論文掲載<br>件数<br>550件        | 1,567件<br>(180/465/<br>521/401) | A  | 革新的先端研究開発支援事業等における共同研究の推進等により画期的な研究成果を「Nature」「Science」等に論文発表し、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。                                      | ※クラリベイト<br>InCites<br>Benchmarking<br>より集計 |
| ・医師主導治験届の提出件数(体<br>外診断用医薬品については臨床<br>性能試験の申請件数)<br>170件 | 127件<br>(26/38/29<br>/34)       | B  | 革新的医療技術創出拠点におけるシーズの育成及び質の高い臨床研究・治験の実施のための体制整備により、COVID-19感染拡大による遅れは認められるものの2023年度は年度目標(34件)を達成し、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引き続き強化する。 |  |
| ・研究成果の科学誌(インパクト<br>ファクター5未満等の他の科学<br>誌)への論文掲載状況         | 1,094件<br>(183/328/<br>212/371) | A  | アカデミアの組織・分野の枠を超えた連携やプロジェクト内外の連携の推進等により、基礎的研究の成果が多数報告されたことから、十分な進捗がみられると評価できる。   | ※クラリベイト<br>InCites<br>Benchmarking<br>より集計 |
| <b>&lt;アウトカム&gt;</b>                                    |                                 |    |   |  |
| ・シーズの他の統合プロジェクトや<br>企業等への導出件数<br>125件                   | 379件<br>(80/98/<br>110/91)      | 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。   |  |
| ・医薬品等の薬事承認申請の件数<br>30件                                  | 43件<br>(11/9/11/<br>12)         | A  | 橋渡し研究支援機関とAMEDが連携した進捗管理や事業間連携等による共同研究を実施しシーズ開発を強化したことにより、2024年度末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5年度末までの通算の数値、( )は各年度(R2/R3/R4/R5)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、引き続き、企業への導出や実用化の可能性が高い研究課題への支援を推進した。
- ・革新的先端研究開発支援事業において、文部科学省では、「個人差」に係る研究開発目標を新たに設定した。基礎研究、臨床研究、情報数理学研究や計測工学研究等の多様な異分野連携により、性差を含む個々人の中に起こる変化を生み出すメカニズムを明らかにし、個人に最適な医療の実現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

### ・がん化学療法時に多発する口腔粘膜炎に対する新規口腔粘膜保護材の開発

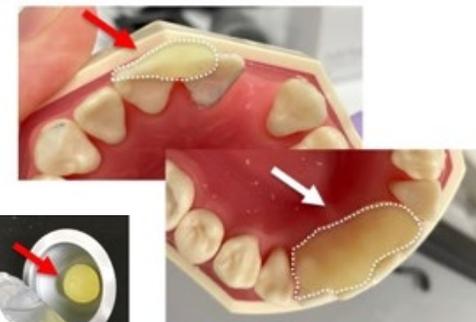
口腔粘膜炎はがん化学療法中に発症し、激しい痛みのため、食事や会話、歯磨きが困難となり、生活の質(QOL)を著しく低下させる。

岡山大学の大森一弘准教授らは、口腔粘膜炎の痛みを和らげる効果が期待される新たな口腔粘膜保護剤を開発した。従来の口腔粘膜炎表面の保護を目的としたものではなく、粘膜炎表面が触れる「歯」に充填することによって、接触痛の緩和を目指すものであり、2023年5月に製造販売承認を取得した。

2017年度より橋渡し研究支援拠点(岡山大学)がプロジェクト管理、PMDA対応、臨床試験実施体制構築、知財戦略等の支援を実施した。

【橋渡し研究プログラム】

開発品使用イメージ



商品名：ソフトプロテクターCPC  
(承認/認証番号：30500BZX00107000)



光重合型硬化機構を採用

## (2) 顕著な研究開発成果事例

### ・乳がん発生の進化の歴史を解明

#### —ゲノム解析による発がんメカニズムの探索—

京都大学大学院医学研究科の小川誠司教授らのグループは、思春期前後の早期に変異を獲得した細胞が、最終的に「がん」と診断されるまでのがんの発症経過の全体像を世界で初めて解明した。

正常な乳腺における遺伝子変異の蓄積が加齢だけでなく、エストロゲンの増減も影響を与えることを明らかにした。正常な乳腺上皮細胞に最初に変異が生じてから、乳がんの発症に至るまでのゲノム異常(ドライバー変異)について、遺伝学的・形態学的な過程を解明した。今後、乳がんの発症予防や早期発見、早期治療の開発に貢献すると期待される。

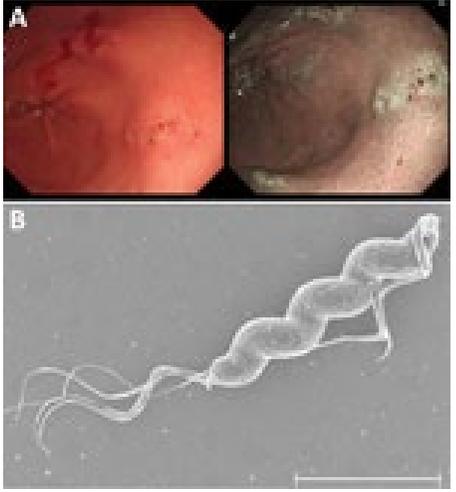
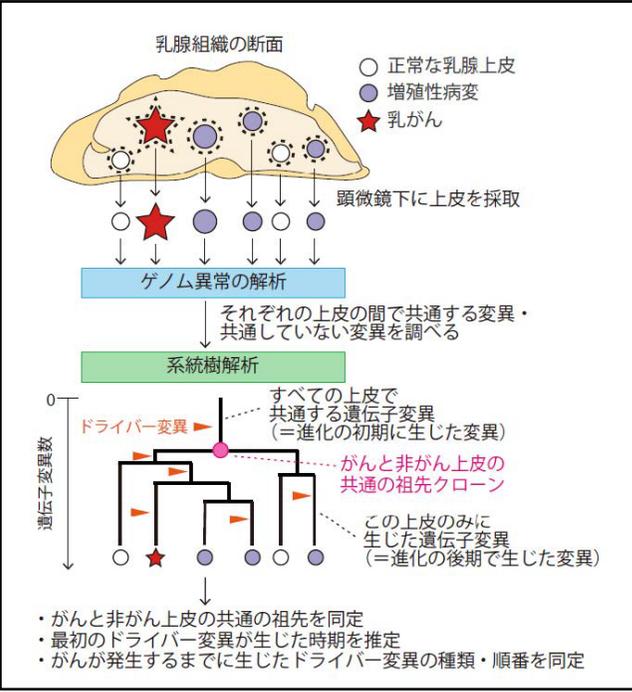
【革新的先端研究開発支援事業 (AMED-CREST 機能低下領域)】

### ・ピロリ菌関連胃発がんを制御する食習慣と胃内環境の特定に向けた国際臨床研究

日本とリトアニアの医療データやバイオリソース(胃組織、胃液などの胃内代謝物質)を活用し、両国の健常人と胃がん患者の比較を行うことで、胃がんの発がんリスクの特定を目指す研究課題において、健常人では通過して胃の中には存在しない口腔由来と考えられるピロリ菌以外のヘリコバクター属菌 (*Helicobacter ailurogastricus*) が、多発性胃潰瘍患者の胃粘膜に定着していることを発見し、世界で初めて分離培養に成功した。本成果はNIH/NIAID機関誌 *Emerging Infectious Diseases* に2023年4月号に掲載された。

また、口腔内常在菌であり、胃がん前駆細胞の発現を増強する酪酸の生成能が高いストレプトコッカス属菌が、胃がん患者の胃内から高率に検出されることを発見し、2023年5月6日に米国消化器病週間(DDW2023)で報告した。食物摂取内容や胃内環境に加え、口腔内環境に着目することで、新たなリスク因子としての可能性を示唆するものである。

【医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業 戦略的国際共同研究プログラム(SICORP)】



ヘリコバクター属菌に感染した胃潰瘍患者の内視鏡画像と、分離されたヘリコバクター属菌

ムーンショット型研究開発等については、革新的医療技術研究開発推進事業(産学官共同型)として、これまでのアカデミアタイプでの多対多かつ非競争領域の研究開発の支援に加え、スタートアップに対して研究支援をすることとし、2年目までは小規模の連携体制と少額の産学連携リソースでの研究開発を可能としたスタートアップの公募を実施した。さらに、共通基盤技術を創成し社会実装に繋げるといふ事業趣旨に鑑み、伴走支援を内製化し、採択した課題に対する企業・アカデミア協業の円滑な推進や社会実績に向け、プロジェクトコーディネーターが研究進捗管理及び知財・出口戦略等の策定等を支援した。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5年度の取組と成果

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。
- 革新的先端研究開発支援事業では、AMED-CREST 20課題、PRIME 30課題を採択し、医療シーズ創出に向けて研究開発課題を推進した。FORCEやLEAP等を活用することにより、AMED-CRESTやPRIME等の顕著な研究成果の企業への導出や実用化展開を図った。また、橋渡し研究支援機関において、科研費による基礎研究の成果を医療分野に応用するための支援を71件行った。科学技術振興機構(JST)戦略的創造研究推進事業との連携領域として発足した革新的先端研究開発支援事業のマルチセンシング領域と老化領域では、若手研究者の拡充を組入れた連携公募を実施し、合理的な評価体制を整備し、28課題を採択した。共通PSとPOの一体的領域運営の下、AMED/JST合同領域会議、連携推進ワークショップ等の開催や共通基盤体制の構築等を行い、包括的に異分野融合研究の促進や連携強化を図った。
- 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5年度は創薬ナビで22件の相談に対応し、また、77件の伴走支援を行った。(件数は3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5年度は57件の相談に対応し、うち39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審議を踏まえ、令和5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予算要求の調整を行うなど、一元的な予算要求配分調整を実施した。

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5年度の取組と成果

### 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 (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令和2年度に連絡調整会議（インハウス研究開発関連）を設置し、令和5年度も開催した。
- 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、令和3年度に連携事例についての類型化を行い、具体的連携事例について令和5年度分も類型ごとの状況を取りまとめ、限られた研究開発予算を効率的に活用し、効果的な研究開発を行う観点から、共用に資する研究基盤や共用における課題についても検討を行った。
- 具体的なインハウス研究機関の取組としては、国立高度専門医療研究センター（NC）は、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、資源・情報を集約し、それぞれの専門性を活かしつつ有機的・機能的に連携した取り組みを行っており、令和5年度は6 NC共同事業として、「6 NC共通教育プラットフォーム事業」および「JHコアララボ事業：空間的Pathogenomics解析」を立ち上げた。
- また、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所が連携しAMEDが実施する創薬支援ネットワークにおいて、医薬基盤・健康・栄養研究所は「転座型がん遺伝子の新規核酸医薬品の探索」に対し人工核酸スクリーニング等を実施し、産業技術総合研究所では現在継続中のテーマに対して生産菌の力価向上を支援した。

### 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 (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。

- PD（プログラムディレクター）を中心としたマネジメントにおいて、連携・共同研究を促す取組を積極的に行ったこと、各プログラムの進捗が良く順調に進捗しており適切に運営・実施されている点が評価され、令和5年度の外部評価において「大変優れている」との評価を得た。加えて、想定以上の進捗をみせたPJの5年目以降のKPIを再考し、ポートフォリオを改訂したことによりMS目標達成を近づけた。
- 目標間連携：異分野融合や新しい視点からの研究成果の創出に向け、目標2（JST）「疾患の超早期予測・予防」と、目標7「健康不安なく100歳まで」との技術交流会を初めて共同開催した。目標を横断した新たな複数の共同研究に繋がった。
- 国際連携：各分野における世界トップクラスの研究者を集め、共同研究に発展することを目指し、国際シンポジウム（Healthy longevity through the control of the chronic inflammation ~1st international symposium of Moonshot Goal 7~）を7/23に開催した。これを契機に相互交流が開始され、複数の新たな共同研究に繋がった。
- 「認知症・脳神経疾患研究開発イニシアティブ」の早期実現に向け「認知症克服への挑戦」として、従前からAMEDで実施している事業と情報交換を行い、連携を検討しながら、認知症に対する従来とは全く異なる挑戦的な研究開発を進めるPM（プロジェクトマネージャー）の公募を開始した。

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5年度の取組と成果

## 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

## (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

- 疾患コーディネーター（DC）の下で統合プロジェクト横断的な疾患領域マネジメントが機能し、研究成果の創出や事業間連携の事例を増やしてきた。がん領域では、DC及び疾患調査役の連携にてタスクフォースをAMED内に設立し、これまでの成果のとりまとめと次期がん研究10か年戦略への取組準備を進め、政府の「今後のがん研究のあり方に関する有識者会議」での議論等にも貢献した。生活習慣病領域および老年医学・認知症領域では、両DCの下で「サルコペニア・フレイルシンポジウム」を開催。機序解明を進める基礎研究の課題間連携の重要性が指摘され、調整費の活用の検討に至った。無関心層の行動変容に働きかける研究等に向けて、事業間連携の重要性や必要性が示された。感染症領域では、具体的な事業間連携の創出を視野に入れた情報共有の場として、創薬事業部、SCARDAを中心に「感染症横串の会」を立ち上げ定期的に開催し、主要感染症関連事業の情報収集・マッピングを通じ俯瞰的に事業を把握し、第3期の疾患領域のAMED内推進体制検討につなげた。

- 革新的がん医療実用化研究事業では、精緻な臨床情報を有するがん患者の全ゲノム解析を推進し、病理画像情報の追加を開始するなど、全ゲノム解析プラットフォームのさらなる充実化を図り、質の高い情報基盤を構築している。さらに、臨床試験とのタイアップや、蓄積されたデータを用いたがん種横断的な解析も可能とする体制構築など、診断・創薬等の患者還元に資する研究開発を促進した。
- 次世代がん医療加速化研究事業と革新的がん医療実用化研究では、膵がんの早期診断バイオマーカーの探索と診断薬としての実用化研究を進め、その成果が、膵がんの診断を補助する体外診断用医薬品薬の薬事承認につながり、保険収載された。

- 汗の乳酸を測定する新規バイオセンサの研究開発を通じて心血管疾患の治療および予防につながる新たな非侵襲的測定方法を検証・確立し、論文発表を行った。これにより予防・治療に加え、医療以外のスポーツパフォーマンス向上など多様なニーズへの応用が期待される。
- 冠攣縮性狭心症の8175例を対象とした症例対照研究を行い、東アジアで特有の新規関連遺伝子を同定し、論文発表を行った。これは、侵襲を伴う検査を必要とする冠攣縮性狭心症の診断において有用な検査となる可能性がある。
- 急性腎障害に対するメガリン拮抗剤の開発を進める中で、レニン-アンジオテンシン系の作用に関わるメガリンの腎臓内での機序を解明し論文発表を行った。
- 食物アレルギーの発症リスクが高い、乳児期早期発症のアトピー性皮膚炎の乳児に対する早期の積極的治療が食物アレルギーの発症を予防することを世界で初めて実証した。

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"> <li>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</li> <li>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</li> <li>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</li> </ul>                      | <ul style="list-style-type: none"> <li>髄液リポドミクス解析技術を用い、神経障害性疼痛を呈する疾患を弁別できることを論文発表した。一方、脊柱管狭窄症の疼痛には神経障害性を含む複数の要因があるが、これまでは弁別が出来ていなかったため、手術により疼痛の軽減に結びつかない症例も多かった。今回開発した技術を応用することで、従前は予測が難しかった脊柱管狭窄症の術前検査システムの構築と実用化を目指し研究を推進した。</li> <li>パーキンソン病や認知症などαシヌクレイノパチー患者の血清からαシヌクレインシードを増幅することができるIP/RT-QuIC法を開発し、疾患ごとに血清中のαシヌクレインシードの構造や性質が異なることを発見した。また、患者脳の研究で、PIP3の蓄積がαシヌクレインシードの凝集、蓄積を引き起こしていることを明らかにした。</li> <li>精神疾患病ハイリスクの者、統合失調症を発症して早期の者では、聴覚ガンマオシレーションという脳波反応が、統合失調症を発症して早期の患者で低下していること、また、後者ではその低下が幻聴症状の強さと関連していることを明らかにした。</li> </ul>   |
| <p>(老年医学・認知症)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>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</li> <li>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</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>パーキンソン病がαシヌクレイン凝集体のもたらす小胞体ストレスを特徴とすることに着目し、小胞体ストレスと睡眠とを繋ぐ分子機構を見出し論文発表した。これにより神経変性疾患の原因解明・ヒト治療への応用が強く期待される。</li> <li>疾患修飾薬開発に寄与する薬剤治験対応コホート構築を推進し、WEB登録者が13,783名、オンサイト参加者が600名に達した(R5年9月末)。また、大規模認知症コホートとバイオマーカーの研究班の連携により、脳内Tauの量を反映するPET画像と血清を一体化したバイオマーカーの検証に着手した。</li> <li>認知症リスクがある高齢者を対象にランダム化比較試験を行い、大規模多因子介入プログラム（生活習慣病の管理、運動、栄養指導、認知トレーニング）による認知機能低下の抑制効果を検証した。</li> </ul>   |
| <p>(難病)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>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</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>日本腎臓学会と日本医療情報学会が構築した疾患レジストリのリアルワールドデータをAIを用いて解析し、IgA腎症（指定難病）に対し、非侵襲的な新たな重症化予測指標を見出した。</li> <li>AMEDの再生医療実現拠点ネットワークプログラムおよび精神・神経疾患メカニズム解明プロジェクトと連携し、iPS細胞を用いて筋萎縮性側索硬化症（ALS）の治療薬候補を同定し、医師主導治験で有効性・安全性を確認した。</li> </ul>   |
| <p>(成育)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>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</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>胎児に重篤な後遺症を残すサイトメガロウイルス(CMV)感染症等の母子感染のリスク評価と新たな診断・予防法の研究開発を継続的に支援し、濾紙を用いた採尿キット（CMV核酸検査）を開発した。また、先天性CMV感染症診療ガイドラインの発行や産婦人科診療ガイドライン産科編2023への掲載にも成果を導出でき、母子感染医療の体制向上に貢献した。</li> <li>月経過多や貧血、不妊症・流産の原因になる子宮筋腫において、組織染色等の多面的な解析によりMED12遺伝子変異が膠原繊維の産生増加に関与する可能性を示した。この結果は、筋腫の組織構成を踏まえた適切な治療方針の選択に寄与することが期待される。</li> </ul>   |
| <p>(感染症)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>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</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>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・サポート機関において国産ワクチン開発に資する研究開発を推進するとともに、拠点形成及び機関間の連携体制の構築を進めた。ワクチン・新規モダリティ研究開発事業では、重点感染症に対する感染症ワクチンの開発2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19課題を採択し、累計での採択件数は34件となった。</li> <li>新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）による感染症（COVID-19）に対する治療薬候補S-892216（3CLプロテアーゼ阻害薬）の国内第1相臨床試験を開始した。同一作用機序の既承認薬のより効果の高い治療薬の開発が期待される。</li> <li>B型肝炎ウイルス（HBV）の感染受容体である胆汁酸輸送体NTCPの立体構造解析結果から細胞へのHBV感染や胆汁酸輸送に関わる部位を明らかにした。今後HBV感染機構の解明やより安全な侵入阻害剤の治療薬開発への貢献が期待される。</li> <li>SARS-CoV-2とA型インフルエンザウイルス（IAV）のウイルス表面タンパク質に関する変異率および変異の特徴を比較解析し、SARS-CoV-2の変異子変異率がIAVの1/23.9と抗原変異が起きにくいなどの変異の特徴を明らかにした。今後、感染流行の制御に向けての進展が期待される。</li> <li>新興・再興感染症研究基盤創生事業では、ザンビア及び周辺6カ国（マラウイ、ナミビア、コンゴ民主共和国、ジンバブエ、タンザニア、ナイジェリア）の要請を受け、国際共同研究体制を立ち上げ、ウイルス性出血熱の検出系の開発、人獣共通感染症のヒトへの伝播リスクの先回り研究を推進している。今後、人獣共通感染症対策の最前線であるアフリカの研究ネットワーク拡充及びワクチン・治療薬等の基盤的な情報の蓄積が期待される。</li> </ul> |

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5年度の取組と成果

## 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・発展を図るため、統合プロジェクト連携推進会議を2回開催した。会議では第2期の振り返りや第3期に向けた課題の議論を行い、取りまとめた結果は、第36回健康・医療戦略推進専門調査会（令和5年11月15日開催）にて第3期医療分野研究開発推進計画のに向けた検討課題として理事長から提示した。
- JST-CRDSとの創薬モダリティ/基盤技術の開発動向に関する意見交換、外部講師を招いた勉強会や委託調査結果も踏まえて、「新たな創薬モダリティの研究開発」を第3期医療分野研究開発推進計画の検討課題の一つとして理事長から提示した。また、第2期において支援した研究開発の学術的成果を検証するため、NISTEPとの意見交換を踏まえて調査内容を取りまとめた。さらに、SCARDAにおいては外部委託事業も有効に活用し、国内外のワクチンの開発状況や、ワクチン開発に繋がる技術、ウイルスに関する研究動向などを年間を通じて継続的に情報収集・分析した。また、ユニバーサル型コロナワクチン開発状況、粘膜ワクチン開発状況、重点感染症に指定された蚊媒介の感染症に関するレポート等をまとめ、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やワクチン・新規モダリティ研究開発事業における課題採択や伴走支援に活用した。
- ピア・レビューの方法等について、これまでの蓄積を踏まえ、評価システムの共通化・最適化を推進した。

## 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。

- 文部科学省研究公正推進事業の一環である研究公正シンポジウム（テーマ：責任ある研究・イノベーションの展開に向けて）を、AMEDの主催により11月に開催した（共催：JST、JSPS、NEDO、BRAIN）。また、上記の5つの資金配分機関（FA）の研究公正担当者会議を定期的に開催し、研究不正防止や研究公正推進に関するナレッジシェアリングを実施した。
- AMEDが昨年度作成・公開した「研究公正に関するヒヤリ・ハット集」（日本語版第2版）について、研究活動の国際化を見据えて、英語版第2版を作成・公開した（日本語版第2版と同様に第1版から21事例2コラムを追加（計52事例8コラムを掲載））。
- 研究公正・研究倫理の関係者等が参画するRIO ネットワークにより、研究公正・研究倫理に関する情報をメールマガジンにより隔週配信し、研究公正・研究倫理リテラシーの向上と関係者のネットワーク強化に貢献した。
- 研究倫理を語る会と連携し、全国の研究倫理の専門家のネットワークとナレッジシェアリングの強化に貢献した。また、日本臨床試験学会と連携し、教育トラック「臨床試験に関するヒヤリ・ハット：研究不正防止に向けて」を作成し、臨床試験に従事する研究者・支援職等を対象にオンデマンド配信を行い、臨床研究における研究不正防止の推進に貢献した。

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5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。

- 令和5年度からAMED研究開発マネジメントシステム（AMS）に新しい研究開発タグの取り込みを開始し、事業運営に資する、より詳細な分析等を可能とした。
- 「AMEDデータ活用プラットフォーム」の一般利用受付を令和6年3月より開始した。「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」を、「AMED研究データ活用に係るガイドライン【ゲノム研究関連補足事項】」に集約し、「AMED研究開発データ活用カタログ 2.0版」を公開した。また、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の活用促進のため、関係府省や有識者と連携し、「AMED説明文書用モデル文案」を公開し、令和5年度より一部事業に適用した。

## 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（7名）や、主要地域に配置されているAMED知財リエゾン（12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5年度：パイ・ドール報告受付2756件、相談対応170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5年度実績：95課題）や、AMEDぶらっと（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5年度実績：19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、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。

- 理事長が国内外で開催される国際イベント等に出席する機会を積極的に活用して海外FA幹部（米国NIH及びその傘下機関、英国MRC、韓国KHIDI等）とのバイ会談を実施するとともに、今後の協力連携について意見交換を実施することでAMEDトップ外交を推進した。その結果、相手国政府機関等からは、特に先端国際共同研究推進プログラム（ASPIRE）のような協力を今後拡大していきたいという表明を得られた。また、科学技術合同委員会等の機会を通じて関係機関との連携維持・構築を図った。「日米競争力・強靱性（コア）パートナーシップ」に基づくNIHとの連携の一環として、感染症分野のAMED研究者31名を米国側研究機関へ派遣した。うちASPIRE採択1件、調整費の獲得3件、若手研究者の留学2件に至った。

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5年度の取組と成果

## 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革新創成事業（CiCLE）については、令和5年度、研究開発実施中の課題について、早期事業化を促進する狙いから、実用化に近い治験を実施している5課題に対して委託費（研究開発費）を増額した。
- ムーンショット型研究開発等については、革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）として、これまでのアカデミアタイプでの多対多かつ非競争領域の研究開発の支援に加え、スタートアップに対して研究支援をすることとし、2年目までは小規模の連携体制と少額の産学連携リソースでの研究開発を可能とした、スタートアップの公募を実施し、15件の応募から4件採択した。さらに、共通基盤技術を創成し社会実装に繋げるといふ事業趣旨に鑑み、伴走支援を内製化し、プロジェクトコーディネーターが、採択した課題に対する企業・アカデミア協業の円滑な推進や社会実績に向け、研究進捗管理及び知財・出口戦略等の策定等を支援した。
- 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、フラッグシップ拠点1機関、シナジー拠点4機関、サポート機関6機関において国産ワクチン開発に資する研究開発を推進するとともに、拠点形成及び機関間の連携体制の構築を進めた。
- 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開発や日本で独自に技術開発しているレプリコンワクチンの臨床第3相試験実施に必要な追加の非臨床試験や治験薬の規格・製造を支援するなど、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5年度に重点感染症に対する感染症ワクチンの開発2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19課題を採択した。累計での採択件数は34件となった。
- 創業ベンチャーエコシステム強化事業については、海外VCなど投資サイドの多様性を反映したVCを採択・認定（令和5年度は新たに15社）したことにより、創業ベンチャーの採択数の増加（令和5年度は新たに9課題）という結果だけでなく、採択課題への認定VC出資額の増加や、複数の認定VCからなるシンジケートによる創業ベンチャーの資金調達の加速にもつながった。創業ベンチャーエコシステム強化に向けた成果導出及び広報活動として、認定VCをコメンテーターとする「AMEDシーズアクセラレーションピッチ」を開催した。AMEDシーズの選定において、関連部署との協議及び連携を強化した。
- 大学発医療系スタートアップ支援プログラムについては、令和6年3月に基金を造成し、医療系スタートアップ支援拠点の公募を開始した。
- 先端国際共同研究推進プログラムについては、設定された研究領域に基づきアライメント公募（既に研究資金を得ている相手国研究者との連携を計画する研究提案の公募）2回と共同公募（AMEDと相手国の資金配分機関が共同で行う公募）1回を実施した。1回目のアライメント公募においては6課題を採択し、令和6年2月から研究を開始した。また、共同公募（日・英）を令和6年1月、2回目のアライメント公募を令和6年3月に開始した。

医療分野研究開発推進計画上の記載 令和5年度の取組と成果

3.3 研究開発の環境の整備

○研究基盤の整備

|   |   |
|---|---|
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>AMED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ARO（Academic Research Organization）機能の強化、臨床研究中核病院の基盤を活用して分散型臨床試験（Decentralized Clinical Trial：DCT）の実施体制整備等を行い、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。</li> </ul>   |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>           | <ul style="list-style-type: none"> <li>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、各臨床研究中核病院での支援事例や課題の共有等の拠点間の連携強化を行うことで、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。</li> </ul>                 |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>「国立高度専門医療研究センター医療研究連携推進本部」において、引き続きデータ集積のための基盤強化・拠点化、共同研究の推進、知財・法務や広報、人材育成などの取組を実施し、「国立高度専門医療研究センター医療研究連携推進本部」の状況や効果、課題を検証。</li> </ul>   |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>     | <ul style="list-style-type: none"> <li>「生命科学・創薬研究支援基盤事業（BINDS）」において、放射光施設における検出器、およびオミックス解析機器や、核酸医薬品動態等の分析機器などの、共同利用等により創薬基盤に資する先端的な機器を措置した。</li> <li>大学等における研究設備・機器の戦略的な整備・運用に向けて、「研究設備・機器の共用推進に向けたガイドライン」の活用状況等に関するフォローアップ調査や先端研究基盤共用促進事業の中間評価を実施し、現状把握や先行事例・課題の抽出等を通じて、共用化の取組を推進した。</li> </ul> |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>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、令和5年度も引き続き周知活動を行った。</li> <li>厚生労働省標準規格として採択している診療情報提供書等のHL7 FHIR記述仕様について、改訂を進めている。</li> </ul>    |

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5年度の取組と成果

## 3.3 研究開発の環境の整備

## ○研究基盤の整備（つづき）

- 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）
- 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）
- 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の整備を行い、効率的な臨床研究・治験を推進する。（◎厚、経）
- 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。（◎内閣官房、文、◎厚）
- 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5年度から一度の記入により複数のバイオバンクをまたいだ分譲利用申請が可能なシステムの運用を開始した。

バイオバンク活用の産官学連携モデルとして、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社と大学・試験研究機関等が共同で、AMED産学共同臨床情報利活用創薬プロジェクト（GAPFREE4）「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を活用した産官学連携による創薬開発研究」が継続中である。
- 国立がん研究センターは、国際連携活動の一環として IHCC International Cohorts Summit への参加などを行っている。本年度は開催がなかったためにサミットへ参加していないが、IHCCが定期的に開催しているEducational Webinarへ参加した。
- 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、レジストリを活用した治験・臨床研究を支援した（令和5年度は医薬品に関する研究を9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5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医療情報の品質管理・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。

レジストリ等のリアルワールドデータを薬事承認申請等に利用する場合の信頼性担保について、厚生労働省から発出した通知及びQAに基づく各レジストリ等保有機関の取組を支援するため、令和5年度よりRWD活用促進事業を開始し、公募で採択した機関に対する現地視察や合同研修等を実施して、薬事水準のデータの信頼性確保の方策等に関する知識の普及を図った（計17機関）。
- 「国際的に脅威となる感染症対策の強化のための国際連携等に関する基本戦略」（令和5年4月7日関係閣僚会議決定）等を踏まえ、内閣感染症危機管理統括庁にて「感染症研究拠点の形成に関する検討委員会」を開催した。また、文部科学省は長崎大学BSL4施設の運営等に必要となる経費を措置すると共に、「長崎大学高度安全実験施設に係る監理委員会」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た。

令和5年度は、次の感染症危機において初動期から感染症の科学的知見を創出し、治療薬等の速やかな研究開発支援を行うべく、令和6年度から感染症の診療を行う医療機関間による共同研究を実施できる体制を構築するため、厚生労働科学研究において、研究体制の整備に関する要件整理等を行った。

さらに、科学的知見の基盤・拠点となる国立健康危機管理研究機構の令和7年度以降の創設に向け、着実に準備を進めた。

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5年度の取組と成果

## 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

・ 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シャン等、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）

・ 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）

・ 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）

- 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）、データマネージャー、治験・倫理審査委員会委員等）

・ 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や、海外での経験を有する人材の確保に向けて、積極的な取組を推進した。具体的には、欧米等先進国を対象として、国主導で設定する先端分野での国際共同研究を戦略的に支援し、国際科学トップサークルへの日本人研究者の参入促進、若手研究者の交流・ネットワークの強化を図ることを目的とした「先端国際共同研究推進プログラム（ASPIRE）」を2022年度に創設し、2023年度にプログラムとして初の公募となるアライメント公募（既に研究資金を得ている相手国研究者との連携を計画する研究提案の公募）を実施し、6件採択した。2024年度はアライメント公募に加え、英国をはじめとする特定の国との共同公募（AMEDと相手国の資金配分機関が共同で行う公募）を予定している。また、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、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引き続き2024年度以降も推進する。

・ 「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て課題を採択しており、2024年度以降も引き続き支援を行う。「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム」においては、若手枠を設け、2023年度に課題採択を実施した。2024年度も引き続き若手研究者の支援を実施予定である。また、2024年度については「優れた医療機器の創出に係る産業振興拠点強化事業」において、医療機器産業等の人材を育成・リスキリングし、医療機器の創出を一貫して把握した高度人材の創出及び医療機器のスタートアップ企業の振興ができる拠点の整備を進める。

・ また、2022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育成枠を設けて採択を実施しており、引き続き、若手研究者の挑戦的な研究への参画を推進する。同じく、2022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。これらの取組を通して、2024年度以降も若手や女性を含めて、優れた研究者の育成・確保を推進する。

・ 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、また令和4年度より委員長研修、DCT研修を開始し、令和5年度も継続して取り組んだ。

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5年度の取組と成果

## 3.3 研究開発の環境の整備

## ○先端的な研究開発の推進のために必要な人材の育成・確保

- |  |  |
|--|--|
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>「橋渡し研究プログラム」シーズFでは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ている。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ている。引き続き2024年度以降も、当該仕組みを適切に運用し、実用化研究を推進するための人材の確保等を推進する。</li> <li>また、「医療機器等研究成果展開事業」において、医療機器開発への強い意欲のある有望な若手研究者、女性研究者、臨床医等を発掘し、医工連携、医療機器開発プロセスの体得を目指したハンズオン支援を含む研究開発を実施している。2024年度以降も、事業化・実用化コンサルティング支援も活用しつつ、革新的な医療機器・システムの実用化に向けた研究開発及び人材育成を推進する。</li> </ul> |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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進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）</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>2023年度は「保健医療分野におけるAI研究開発加速に向けた人材養成産学協働プロジェクト」において、医療データ等の利活用を推進する人材を育成するための取組を支援した。また、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2021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。2024年度以降も、こうした取組も踏まえながら、必要な専門家の育成・確保等およびバイオインフォマティクス人材との連携を推進する。</li> </ul>   |

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5年度の取組と成果

## 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"> <li>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）</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>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。これまで68名の修了者を輩出しており、修了者の7割以上がアカデミアに就職した。</li> <li>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「レギュラトリーサイエンスにおける動物試験代替法の発展～細胞培養技術の進化と展望～」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。</li> </ul>   |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>再生医療の臨床研究計画等に関する支援については、令和6年2月20日時点で通算18件（令和3年8件、令和4年5件、令和5年5件）の支援を実施した（当初の目標値は通算10件以上）。</li> <li>また、人材の育成については、細胞培養加工施設の管理に必要な事項についての指導研修会の実施や、細胞加工に関する教育コンテンツの見直し、「再生医療等安全性確保法における細胞保管に関する考え方」の改訂等を行った。産学連携に関しては、知財セミナー、知財・技術座談会、テクノオークションを実施した。再生医療の臨床研究計画等に関する支援については、令和6年2月20日時点で通算18件（令和3年8件、令和4年5件、令和5年5件）の支援を実施した（当初の目標値は通算10件以上）。また、人材の育成については、細胞培養加工施設の管理に必要な事項についての指導研修会の実施や、細胞加工に関する教育コンテンツの見直し、「再生医療等安全性確保法における細胞保管に関する考え方」の改訂等を行った。産学連携に関しては、知財セミナー4回（令和3年度2回、令和4年度1回、令和5年度1回）、知財・技術座談会2回（令和4年度1回、令和5年度1回）、テクノオークション3回（令和3年度1回、令和4年度1回、令和5年度1回）を実施した。</li> </ul> |

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5年度取組と成果

## 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"> <li>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）</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>令和4年6月3日に公表された「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」に従い臨床研究法や運用の見直しを行い、令和6年3月5日に「再生医療等の安全性の確保等に関する法律及び臨床研究法の一部を改正する法律案」を国会に提出した。</li> </ul>  |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>認定臨床研究審査委員会を対象に、有識者が実際の議事録を用いて審査内容の評価を行った。あわせて認定臨床研究審査委員会にて作成された議事録と議事要旨の内容を調査し、その結果を踏まえて議事録・議事概要のひな形を作成した。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。</li> </ul> |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> </ul>                     |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>                                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> </ul>  |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>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、関係省庁による会議を開催した。</li> </ul>   |

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5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)

○AMEDにおいて以下の取組を実施した。(代表的な取組と成果)

- ゲノム医療実現バイオバンク活用プログラム(B-Cure)ゲノム医療実現推進プラットフォーム・社会共創推進領域では、社会の理解を得つつ実用化を進めることが重要であるゲノム医療・研究に対する患者・市民参画(PPI)の取組推進を図るべく、患者・市民向けの研修及びPPIコーディネーター研修を試行するとともに、研究者向けのPPI支援教材案の作成やゲノム医療・研究にかかるプレスリリースガイドの作成に着手した。また、患者・市民を交えたラウンドテーブルを6件開催し、ゲノム研究の進め方、遺伝的特徴・情報に基づく差別や、ゲノム研究のプレスリリースについて情報共有を行い、基盤的ELSI研究に取り組んだ。
- 研究開発推進ネットワーク事業において作成した、『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)について、AMEDの研究開発契約事務処理説明書(令和6年度)にも記載し、プレスリリース等の情報発信時に活用するよう求めた。
- その他、脳とこころの研究推進プログラムやムーンショット型研究開発等事業等においても、それぞれの疾患領域等におけるELSIへの対応や研究等を展開した。

- 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の在り方について、法制化も含めて検討する。(科技、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

- 「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)

- 「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。

- 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)

- 令和4年度にレギュラトリーサイエンス総合相談を150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4年度までに、医薬品について、レジストリ活用相談を9件、レジストリ信頼性調査相談を8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5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。

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5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"> <li>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）</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>令和4年6月に公表した「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」を踏まえ、令和6年3月5日に「再生医療等の安全性の確保等に関する法律及び臨床研究法の一部を改正する法律案」を閣議決定した。</li> </ul>   |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>                       | <ul style="list-style-type: none"> <li>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）に基づく承認申請等の事務手続等に関する質疑応答集（Q&amp;A）について、各種申請手続きがオンラインで可能になったこと等に伴い、Q&amp;Aの改定を行った。</li> </ul>   |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>医療機器プログラムについて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。</li> </ul>  |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>関連通知「プログラム医療機器の特性を踏まえた適切かつ迅速な承認及び開発のためのガイダンスの公表について」（2023年5月29日医療機器審査管理課事務連絡）発出。</li> <li>「「プログラム医療機器の特性を踏まえた二段階承認に係る取扱いについて」（令和5年11月16日医薬機審発1116第2号医療機器審査課長通知）発出。</li> <li>「医療機器、人工知能関連技術を活用した医療機器、プログラム医療機器の変更計画の確認申請に関する質疑応答集（Q&amp;A）について」（令和5年12月22日医療機器審査管理課事務連絡）発出。</li> <li>「医療機器、人工知能関連技術を活用した医療機器、プログラム医療機器の変更計画の確認申請に関する質疑応答集（Q&amp;A）について」（令和5年12月22日医療機器審査管理課事務連絡）発出。</li> <li>令和5年度「プログラム医療機器の薬事承認におけるデータ信頼性等の検討事業」を実施。</li> <li>医療機器プログラムについて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。</li> </ul> |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>                                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>医療情報の品質管理・標準化等を含むリアルワールドデータの利活用に関する臨床研究中核病院の体制整備を行った。</li> <li>レジストリ等のリアルワールドデータを薬事承認申請等に利用する場合の信頼性担保について、厚生労働省から発出した通知及びQAに基づく各レジストリ等保有機関の取組を支援するため、令和5年度よりRWD活用促進事業を開始し、公募で採択した機関に対する現地視察や合同研修等を実施した（計17機関）。</li> </ul>  |

## 医療分野研究開発推進計画上の記載

## 令和5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

- |   |   |
|---|---|
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul>      | <ul style="list-style-type: none"> <li>医薬品規制調和国際会議（ICH）の合意に基づき、原薬及び製剤の連続生産（ICH Q13）、品質リスクマネジメントに関するガイドラインの改正（ICH Q9(R1))等を発出した。</li> <li>IMDRF（国際医療機器規制当局フォーラム）の総会・各種WG等に参加し、国際的に調和の取れた医療機器の評価に関わる論点整理に取り組んだ。</li> <li>PMDA科学委員会における「AIを活用したプログラム医療機器に関する専門部会」において、AIを活用したプログラム医療機器に関して、機械学習におけるバイアスや、市販後学習における評価データの再利用等に関する課題を検討し、令和5年8月に報告書をとりまとめた。</li> </ul> |
| <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>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。また、審査基準等の国際連携の推進やガイドライン等の作成を目的に、横断的に連携するプロジェクトチームを立ち上げて検討を行っており、例えば、国際共同治験を適切かつ円滑に進めるための留意事項等について検討し、「海外で臨床開発が先行した医薬品の国際共同治験開始前の日本人での第Ⅰ相試験の実施に関する基本的考え方について」（令和5年12月25日付医薬薬審発 1225 第2号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知）等の作成に協力するなどの活動を行った。</li> </ul>      |