

現下で生じているドラッグ・ロスを解消するため、我が国で当該疾患の既存薬がない薬剤等の必要な医薬品等について、2026 年度までに開発に着手する。さらに、官民協議会における議論・検討内容も加えて、新たなドラッグ・ロスの発生を減少させる。

主要施策の進捗状況

- 小児用医薬品の開発計画の策定件数について、令和6年に成人用の医薬品の開発時に、任意で、小児用の開発計画を策定し、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）の確認を受けられる仕組みを導入している。また、令和7年に法改正を行い、医薬品の製造販売業者に対して、小児用医薬品開発の計画策定を努力義務化している。以上の取組みより、目標件数を達成している。
- 希少疾病用医薬品の指定件数について、令和6年に希少疾病用医薬品の指定の対象明確化・早期化を行っている。そのため、令和6年度より希少疾病用医薬品の指定が増加しており、それに伴い、希少疾病用医薬品の承認件数も増加する見込みである。
- 臨床研究中核病院数における治験数について、「医療技術実用化総合促進事業」において、国際共同試験のための体制整備や、医療系ベンチャー支援窓口の設置などを行い、臨床研究中核病院を中心として、国際水準の治験・臨床試験への対応能力の強化を行っている。
- Single IRBについて、「医薬品の臨床試験の実施に関する基準」について、single IRBの原則化を含めた改正の検討を進めている。
- 臨床研究中核病院における DCT を活用した治験の実施件数について、臨床研究中核病院が主体となり他施設の臨床研究従事者等の養成研修を行う「臨床研究総合促進事業」において、DCT実施に関する研修を強化するとともに、「医療技術実用化総合促進事業」において、DCTの模擬治験を行うなどの体制整備を行っている。

KPIの達成状況を図るアウトプット指標

- ドラッグ・ロスを生じている医薬品 86 品目のうち、我が国で必要なものについて、2026 年度までに開発に着手
2025年度：開発が必要、または既に対応済みの38品目※のうち16品目について開発着手（開発の必要性を調査中の品目は12品目）
※必要性は「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」で検討
- 小児用医薬品の開発計画の策定件数（累積 50 件）
2024-25年度累積：51件
- 希少疾病用医薬品の指定件数（累積 200 件）
2024-25年度累積：187件
- 整備した施設における国内 FIH 試験実施件数（2028 年度までに 10 件）
2025年度：0件
- FIH 試験実施のための研修プログラム受講者が勤務する施設数（2028 年度までに 20施設）
2025年度：12施設
- FIH 試験実施に向け、橋渡し研究支援機関が支援を行う研究シーズ数（2021～2023年度平均以上）
2025年度：1,443件（2021～2023年度平均：1,365件）
- 臨床研究中核病院数における治験数（2028 年度までに年間 360 件）
2025年度：379件
- Single IRB については、2025 年度中に実施状況に関する目標を定める。
2025年度：治験審査委員会について、諸外国の実施状況及び国内の実施体制を考慮して、「治験の一括審査の実施状況に関する数値目標」を設定。
- 臨床研究中核病院における DCT を活用した治験の実施件数（2028 年度までに年間15 試験）
2025年度：73試験
- 国民に向けた治験・臨床試験リテラシー向上のため、jRCT へのアクセス数（2028 年度までに年間 120 万件）
令和7年度より、従来の集計方法から変更する方針が示されたため、現在適切なアクセス数の集計方法を検討中。

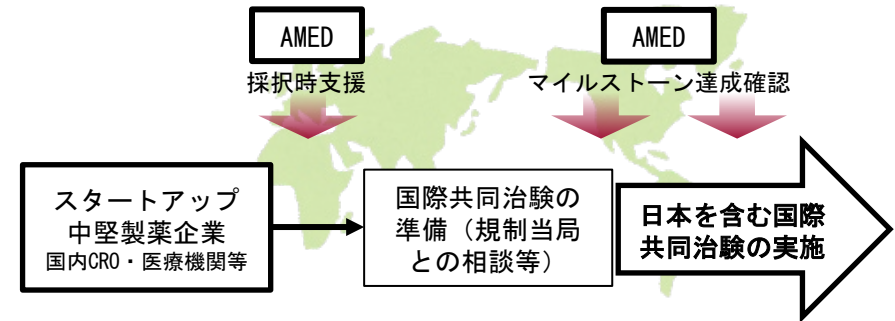
難病・希少疾病治療グローバル研究開発支援 (革新的医療技術研究開発推進事業(産学官共同型)) (内閣府日本医療研究開発機構担当室) 令和7年度補正予算額 120億円

事業概要・目的

- ドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスは喫緊の課題であり、特に難病・希少疾病に対する治療法が多い。難病・希少疾病に対する医薬品等は、採算性の観点から、製薬企業及び投資家の投資対象とならず、スタートアップを含めた研究開発企業が研究開発資金を確保できない。
- 難病・希少疾病に対する研究開発は、社会的意義が高い一方で、国内の患者のみを対象としていては、患者数及び採算性から研究開発が困難である。そこで、海外の患者も潜在的な対象として捉えることで、事業予見性を高め、革新的治療の実用化を加速するため、日本主導の国際共同治験を支援する。
- 国際共同治験の実施を通して、日本の臨床開発能力(治験施設・CRO等)向上・臨床開発関連人材の交流による国際水準の治験・臨床試験実施体制の整備に寄与する。

事業イメージ・具体例

- スタートアップ企業等による申請者と共同申請者(国内CRO・医療機関・患者会等)が開発している医薬品等について日本を含む国際共同治験を支援する。
- 具体的には、日本を含む国際共同治験に必要な経費の一部をマイルストーン型で補助する。



資金の流れ



期待される効果

- 国内外における難病・希少疾病を含む医療上必要性の高い医薬品等の国際的な研究開発により、世界の患者に革新的治療を届ける。また、海外データの取得により、事業性の確保、国際連携、国内外から投資の増加、国内企業の成長、臨床開発能力の向上により創薬エコシステム構築の実現にも寄与する。

令和8年度当初予算案 99百万円 (1.2億円) ※ () 内は前年度当初予算額

1 事業の目的

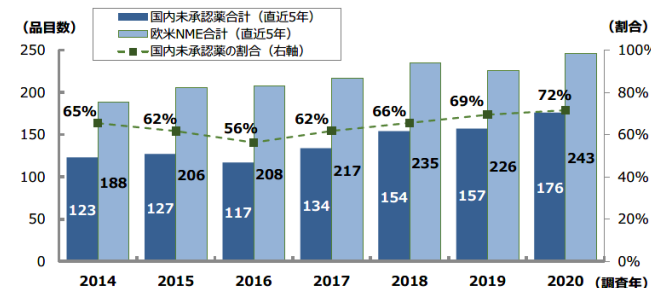
- 近年、希少疾病用・小児用等の医薬品を中心に、欧米では承認されている医薬品が日本で開発されない、**ドラッグ・ロスの拡大**が指摘されている。
- 我が国にとって医療上必要な医薬品の導入を促進するため、厚労省の検討会(※)において**薬事規制の大幅な見直し**を進めるとともに、その実行のため、**令和6年度より「PMDA小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」を設置**し、以下の対応を進めている。

- ① 希少疾病用医薬品指定の早期化・拡大
- ② 小児用薬の開発計画の策定を企業に促しPMDAが確認する仕組みの対応の促進
- ③ 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」における評価の加速化
- ④ PMDA相談手数料の企業等への補助

(※) 創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会(令和6年4月報告書とりまとめ)

- 令和8年度は、①見直しに伴う**希少疾病用医薬品の指定増加等に対応するための審査体制の確保**を行うとともに、②**未承認薬等検討会議において学会等の要望を待たずに国が主導的に評価・開発要請を行うスキーム**に迅速に対応する。

増加する国内未承認薬



	2016年	2020年
国内未承認薬合計	117品目	176品目
国内未承認薬の割合	56%	72%

2 事業の概要・スキーム



小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター

- ① 希少疾病用医薬品
指定・指定見直しの相談・審査
- ② 小児用医薬品
開発計画の確認・進捗管理
- ③ 未承認薬検討会議
評価の加速(調査、評価書作成等)

PMDA相談手数料の補助

対象：上記①・②に関して企業が支払う相談手数料。未承認薬等検討会議での開発公募品や医師主導治験による開発品。

3 実施主体等

実施主体：PMDA

費用内訳：

- ・ 相談手数料の補助(企業、アカデミア等)
- ・ 体制確保の人的費：補助率50/100等

希少疾病用医薬品等開発支援事業

大臣官房厚生科学課（内線3823）

令和8年度当初予算案 7.1億円（7.2億円）※（）内は前年度当初予算額

※令和7年度補正予算額 3.5億円

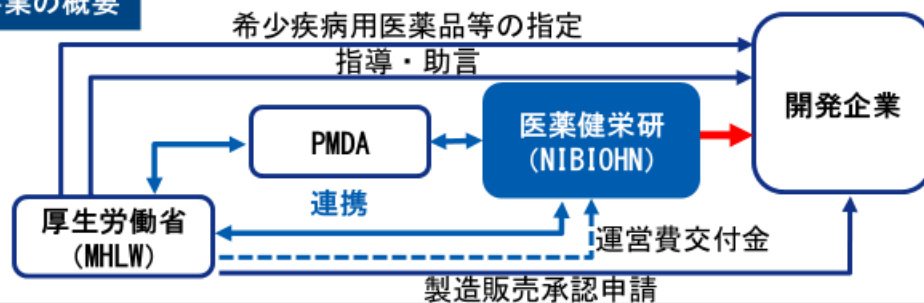
1 事業の目的

難治性の希少疾病の治療を目的とする医薬品、医療機器及び再生医療等製品は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少なく利潤が上がりにくい。そのため、製薬企業が開発に取り組みにくく、開発がなかなか進まない。このため、平成5年に希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の研究開発促進制度、加えて平成25年には希少疾病用再生医療等製品の同制度も創設され、本事業において、厚生労働大臣による希少疾病医薬品の指定を受けた品目の開発する企業に対し、製造販売承認申請に必要な試験研究費の直接経費に対し助成金を交付等する。

令和5年度の「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」での議論を踏まえ、オーファンの指定要件が緩和され、開発する企業からの助成金申請数増加が見込まれるため拡充要求を行うものであり、医療上の必要性の高い希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器、希少疾病用再生医療等製品が一日も早く医療現場に提供されることを目的とする。

2 事業の概要・スキーム

事業の概要



助成金交付対象

助成対象：大臣指定を受けた次の品目

- ・希少疾病用医薬品
- ・希少疾病用医療機器
- ・希少疾病用再生医療等製品



対象期間：原則最大3年間

（大臣指定を受けた日以降から製造販売承認申請まで）

助成金額：助成対象費用の1/2を限度として予算の範囲内で配分

開発スキームにおける事業対象期間



3 実施主体等

実施主体



国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所

助成金

開発企業

事業内容

- (1) 希少疾病用医薬品等への試験研究助成金の交付
- (2) 助成金交付に係る指導・助言
- (3) 税額控除に係る特別試験研究費の認定
- (4) 製造販売承認後、売上高に応じた納付金の徴収

施策名：新規モダリティ対応ヒト初回投与試験体制整備等事業

① 施策の目的

日本の創薬力向上のためには、国際レベルの治験・臨床試験が実施できる体制強化を行う必要があり、創薬シーズから第1相臨床試験に入る段階であるヒト初回投与（FIH：First In Human）試験の重点支援が重要である。新たに、革新的なモダリティに対応可能な国際的に競争力のあるFIH試験実施体制の国内整備を進めることで、海外発シーズも含む革新的新薬候補の国内での研究開発を促進する。

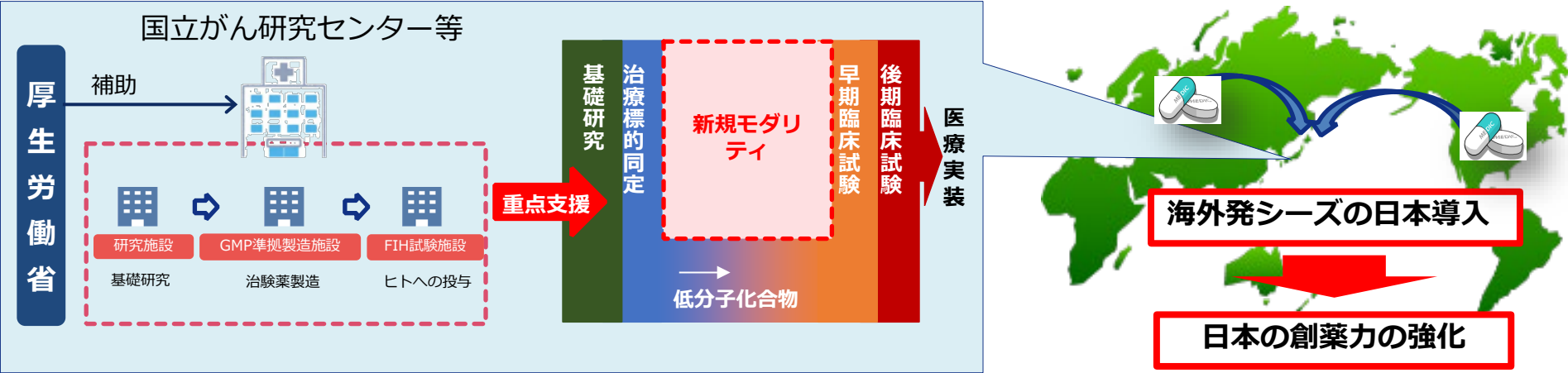
② 対策の柱との関係

Ⅰ			Ⅱ					Ⅲ	
1	2	3	1	2	3	4	5	1	2
			○						

③ 施策の概要

国立がん研究センター中央病院が実施主体となり、新たに、革新的なモダリティに対応可能な国際的に競争力のある①FIH試験体制、②GMP準拠治験薬製造機能、③研究施設を併設した創薬拠点の整備に向けた仕様設計を行い、国内のFIH試験の中核的な役割を担う体制の整備を進めるとともに、国立健康危機管理研究機構及び国立成育医療研究センターにおけるFIH試験体制を引き続き整備する。
令和7年度事業により検討した整備方針により、工事の追加が生じたこと、ヒト感染防御試験といった新たな治験手法の実施可能性について調査を行う必要があることが判明し、これらの工事及び調査を迅速に行う。また、整備した体制を活用し、FIH試験人材を育成する。

④ 施策のスキーム図、実施要件(対象、補助率等)等



◆補助先：1. 国立がん研究センター 2. 国立健康危機管理研究機構、国立成育医療研究センター

◆補助率：10/10

⑤ 成果イメージ(経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む)

令和10年度までに新たに整備する施設における国内FIH試験実施件数を10件とする。

医療技術実用化総合促進事業

1 事業の目的

- 医療法に位置づけられている臨床研究中核病院において、その臨床研究基盤及びネットワーク機能を活用した臨床研究中核病院間の連携、各臨床研究中核病院の特色を生かした機能強化を推進するとともに、臨床研究・治験実施に係るノウハウを臨床研究中核病院外に共有・展開することで、日本全体の臨床研究基盤を強化し、日本発の革新的医療シーズ等をいち早く実用化に繋げ国民へ還元する取組みを推進していくことを目的とする。

2 事業の概要・スキーム

(1) 国際共同臨床研究実施推進プログラム

海外対応可能な人材の育成・配置や、国際共同試験を実施する者に対する支援を行うとともに、国際共同試験の推進に資するノウハウの共有を行う。国際共同試験を担う人材育成を目的とした欧米等の先端的な臨床試験を実施する医療機関等への人材派遣等を継続する。
また、国内に拠点のない海外スタートアップ等向けの治験の相談・支援を行うワンストップ窓口と連携し、ネットワークを活用した施設の紹介・ニーズに応じた症例割り振り・実施の調整等、国内での治験実施の支援を行い、ドラッグ・ロスの解消に貢献する。

(2) 先進的臨床研究実施推進プログラム

リアルワールドデータの活用を推進を図るため、診療情報の標準化及び品質管理の体制整備を進める。
また、FMV (Fair market value)に基づくタスクベース型の治験費用算定や、RBA (Risk based approach)、QbD (Quality by Design) に加え、ICH-E6(R3)において具体化されるCTQ要因 (Critical to Quality Factors) の概念を実装した臨床試験の品質管理について、臨床研究中核病院において試行的な導入を行い、導入に当たって課題等のノウハウを集積し、臨床研究中核病院外に共有・展開することで、国内での普及推進につなげる。

(3) 医療系ベンチャー育成支援プログラム

医療系ベンチャー向けの窓口及び産学連携の中心となるような人材の配備等を行い、ベンチャー企業の開発を促進するとともに、各拠点で得られた知見の共有を行う。



国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED)



臨床研究中核病院 (16病院 ※令和7年12月時点)

3 実施主体等

◆補助先：国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED)

◆補助率：定額

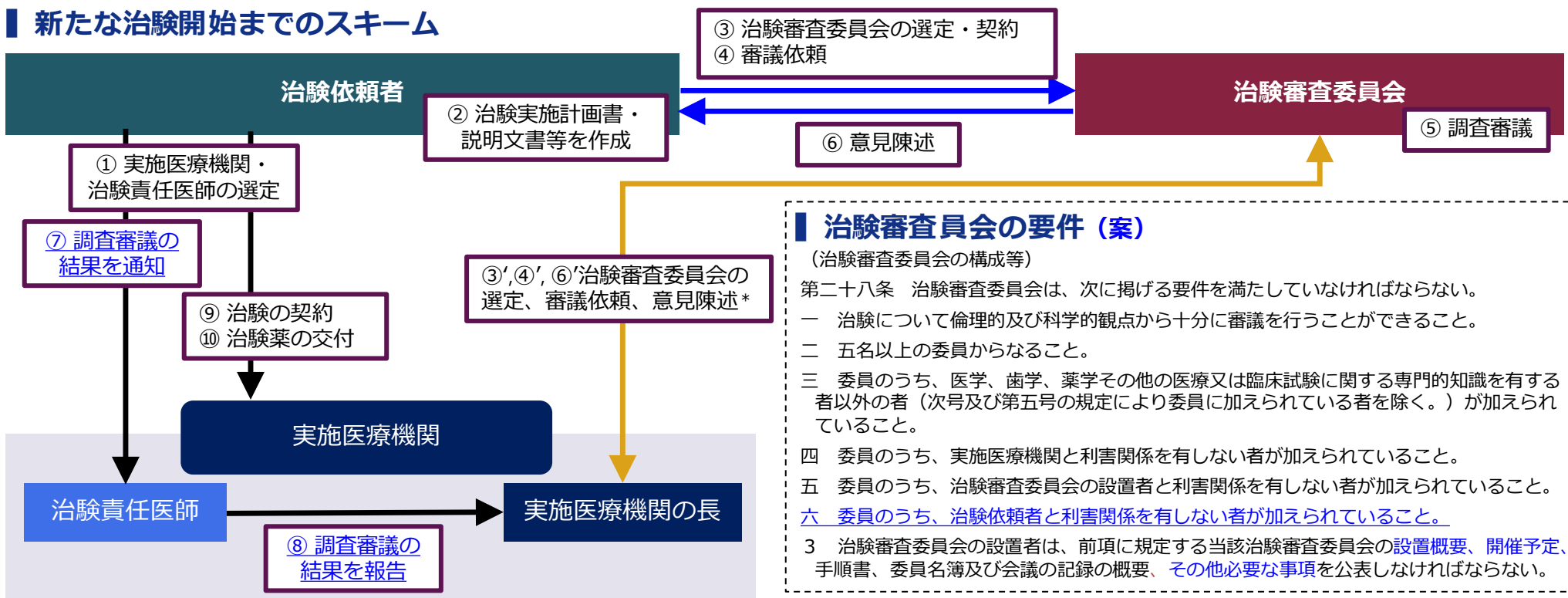
医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（GCP省令）の見直し

【シングルIRBの原則化】

現在、治験実施医療機関ごとに設けられている治験審査委員会（IRB）について、治験依頼者が直接IRBに審議を依頼できるようにし、多施設共同試験におけるシングルIRBの原則化を推進する。

- 現行のGCP省令では、実施医療機関の長により、治験を行うことの適否その他の治験に関する調査審議をIRBに行わせることが規定され、外部IRBを利用するために、実施医療機関の長と外部IRBとの契約が必要となっている。
- 治験の効率化を進める観点から、多施設共同試験においてシングルIRBの利用促進が求められているが、複数の実施医療機関との間で、調査審議を行わせるIRBについて調整する主体が存在せず、シングルIRBの利用が進んでいない。
- ICH-E6（R3）においてIRB審議依頼を治験依頼者が行う場合があることが明確化されたことや、欧米におけるシングルIRBの推進化等を踏まえ、治験関係文書の作成主体を治験依頼者に変更し、調査審議を行わせるIRBについて治験依頼者が調整を行い、治験依頼者がIRB審議を直接依頼することも可能とする*。

■ 新たな治験開始までのスキーム



■ 治験審査委員会の要件（案）

（治験審査委員会の構成等）

第二十八条 治験審査委員会は、次に掲げる要件を満たしていなければならない。

- 一 治験について倫理的及び科学的観点から十分に審議を行うことができること。
 - 二 五名以上の委員からなること。
 - 三 委員のうち、医学、歯学、薬学その他の医療又は臨床試験に関する専門的知識を有する者以外の者（次号及び第五号の規定により委員に加えられている者を除く。）が加えられていること。
 - 四 委員のうち、実施医療機関と利害関係を有しない者が加えられていること。
 - 五 委員のうち、治験審査委員会の設置者と利害関係を有しない者が加えられていること。
 - 六 委員のうち、治験依頼者と利害関係を有しない者が加えられていること。
- 3 治験審査委員会の設置者は、前項に規定する当該治験審査委員会の設置概要、開催予定、手順書、委員名簿及び会議の記録の概要、その他必要な事項を公表しなければならない。

* 現行の実施医療機関の長によるIRB審議依頼等（←→）については、実施医療機関と治験依頼者との協議のうえで引き続き可能。

施策名：医療技術実用化総合促進事業

① 施策の目的

医療法に位置づけられている臨床研究中核病院において、その臨床研究基盤及びネットワーク機能を活用した臨床研究中核病院間の連携、各臨床研究中核病院の特色を生かした機能強化を推進するとともに、臨床研究・治験実施に係るノウハウを臨床研究中核病院外に共有・展開することで、日本全体の臨床研究基盤を強化し、日本発の革新的医療シーズ等をいち早く実用化に繋げ国民へ還元する取組みを推進していくことを目的とする。

② 対策の柱との関係

I			II					III	
1	2	3	1	2	3	4	5	1	2
			○						

③ 施策の概要

臨床研究・治験領域において、米国を筆頭に生成AIの利活用等DXが急激に進行しており、医療機関においても効率的な治験・臨床試験の実施に際して利活用の実例が現れた。我が国も国際的な潮流に遅れを取らないことが緊急の課題である。能力ある臨床研究中核病院に対して生成AIの利活用パイロット事業を始めとする治験・臨床試験DXの推進、国際ARO機能の強化、革新的医薬品等開発に取り組むベンチャーの臨床試験実施への取組を強化するため、本事業で実施中のプログラムに以下の項目を加える。

④ 施策のスキーム図、実施要件(対象、補助率等)等



(1) 国際共同臨床研究実施推進プログラム

- 臨床研究中核病院の臨床研究支援部門は、海外製薬企業やアカデミアとの対応可能な人材配置及び体制構築が必須となりつつある。そのため、1. 国際共同試験の企画・立案、2. 国際共同試験の調整事務局(海外との交渉・調整、資料翻訳、規制対応)、3. 自施設発シーズ等の国際展開・海外有望シーズ等の誘致 4. 国際教育等に対応できる体制を構築する。

(2) 先進的臨床研究実施推進プログラム

- 生成AIを用い、治験・臨床試験分野の効率化のためのパイロット研究を実施、診療録と治験データの統合・eWSの普及等といった治験・臨床試験DXの推進等の先進的な取組について、臨床研究中核病院において試行的な導入を行い、導入にむけてのノウハウを集積し、臨床研究中核病院外に共有・展開することで、国内での普及推進につなげる。

(3) 医療系ベンチャー育成支援プログラム

- 革新的な医薬品等の開発に取り組むスタートアップ等を臨床研究中核病院が支援する体制を強化し、新たにスタートアップ等によるFIH試験を含む臨床試験の実施促進を図る。

◆補助先: 国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) ◆補助率: 定額

⑤ 成果イメージ(経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む)

臨床研究中核病院において、治験・臨床試験の企画立案、審査プロセス等において、生成AIを始めとするDXに対応することを通じて、治験・臨床試験の効率化を促進するとともに、グローバル対応に向けた体制整備を行い、国際水準の治験・臨床試験の実施を推進する。

現状・課題

- **橋渡し研究支援機関（文部科学大臣認定）**を通じ、アカデミア等の優れた基礎研究の成果を臨床研究・実用化へ効率的に橋渡しできる体制を構築し、機関内外のシーズの積極的支援、臨床研究中核病院（厚生労働大臣承認）との緊密な連携、産学連携の強化等を通じて、革新的な医薬品・医療機器等の創出に貢献する。
- 令和8年度は、「経済財政運営と改革の基本方針2025」（令和7年6月閣議決定）、「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間とりまとめ」等に基づき、創薬エコシステムの発展や創薬力の基盤強化のために、**医師主導治験や企業導出に向けたアカデミア発の多種多様かつ有望なシーズ発掘・育成支援を引き続き実施**するとともに、**橋渡し研究支援機関の更なる活用・充実**および**臨床研究中核病院、医療系スタートアップ支援拠点との緊密な連携**により、臨床研究・実用化への橋渡しを加速する。

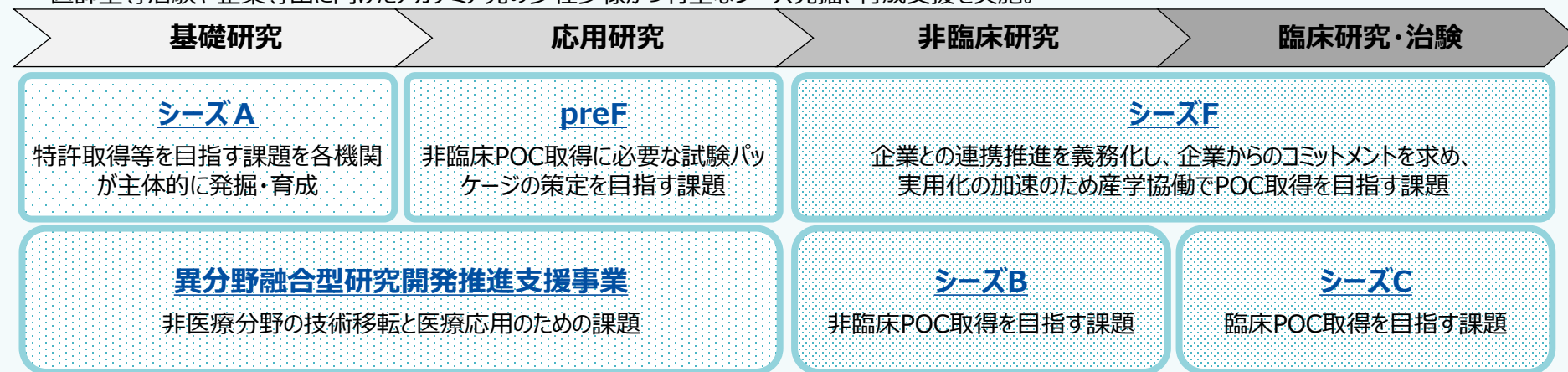
事業内容

事業実施期間

令和3年度～

橋渡し研究支援プログラム：54億円

医師主導治験や企業導出に向けたアカデミア発の多種多様かつ有望なシーズ発掘、育成支援を実施。



令和5年度補正予算において、以下について基金を措置

大学発医療系スタートアップ支援プログラム：152億円（5年間）

橋渡し研究支援機関から選抜した機関に対し、大学発医療系スタートアップの起業に必要な専門的な支援や関係業界との連携を行うための体制整備費を支援するとともに、起業前から、非臨床研究などに必要な資金を柔軟かつ機動的に支援。

橋渡し研究支援機関：

医薬品や医療機器等の実用化支援に関する体制や実績等について一定の要件を満たす機関を「橋渡し研究支援機関」として文部科学大臣が認定

【事業スキーム】



(担当：研究振興局ライフサイエンス課)

ユーザーインターフェースの改善

誰もが治験情報等へアクセスしやすいユーザーフレンドリーなシステムとするため、患者・国民の視点を主眼に置いたユーザーインターフェースへの改善を準備中

臨床研究を知る、探すことに
配慮したトップページ

見やすい、並べ替えやすい、
絞り込みやすい検索結果表示

患者ニーズの高い順に項目が
並んだ研究計画詳細表示

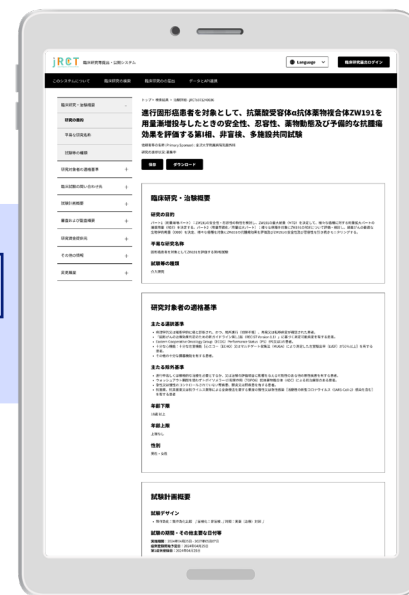


患者・国民



研究者

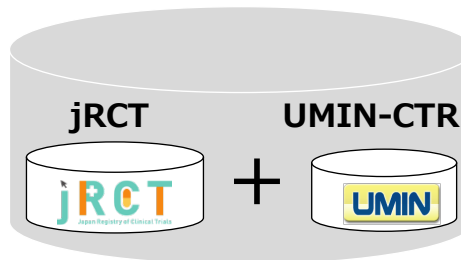
医療機関・製薬企業等



臨床研究データベース

我が国で行われる治験・臨床研究の
公開情報の集約化達成

全研究情報の閲覧・検索がひとつの
データベースで可能



データ
連携

COIデータベース
(構築中)

審査委員会
情報公開システム

臨床研究等の理解の向上、参加の促進