

令和 9 年度医療分野の研究開発関連予算等の資源配分方針

令和 8 年 6 月 26 日

健康・医療戦略推進本部決定

1. 位置付け

医療分野の研究開発関連予算等の資源配分方針（以下「本方針」という。）は、健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画（以下「推進計画」という。）に掲げられる施策を着実に推進するために、健康・医療戦略推進法（平成 26 年法律第 48 号）第 21 条の規定に従い、健康・医療戦略推進本部（以下「推進本部」という。）が毎年度、決定する方針である。

また、本方針は、令和 9 年度予算における医療分野の研究開発関連予算（国が定めた戦略に基づくトップダウンの研究を行うために、研究者や研究機関に配分される研究費等）の要求に当たっての留意点及び重点化すべき研究領域等について示すものである。

2. 健康・医療戦略推進本部による総合的な予算要求配分調整

医療分野の研究開発に当たり、推進本部は、健康・医療戦略に基づき、総合的な予算要求配分調整を行う。具体的には、推進本部は、毎年度の概算要求に合わせて、医療分野の研究開発及びその環境の整備に関する予算の配分の方針を作成し、関係府省に提示し、関係府省は本方針に基づいて、内閣府との間で推進計画の着実な実施や関係府省間での連携・役割分担の観点から必要な調整を行った上で、内閣府と共同して医療分野の研究開発関連予算の概算要求を行う。

（1）全ての要求を内閣府へ提出

各省は、概算要求基準決定後速やかに、医療分野の研究開発関連予算についての全ての要求を、内閣府へ提出する。

当該予算の要求に当たって、各省は、内閣府の了解を得るものとする。

（2）内閣府による各省ヒアリング

各省は、内閣府へ医療分野の研究開発関連予算に係る要求を提出後速やかに、内

閣府に対して要求内容について説明する。

(3) 内閣府と共同して概算要求

(2) の説明も踏まえ、内閣府は、所要の調整を行い、必要に応じ、要求内容の見直し等を各省に指示する。各省は当該指示を受け、要求内容の見直し等の対応を行うとともに、その対応状況を内閣府に報告し、その了解を得ることにより、内閣府と共同して概算要求を行う。

(4) 推進本部における取りまとめ

各省が内閣府の了解を得た後、推進本部において、医療分野の研究開発関連予算の要求を取りまとめ、財政当局へ提出する。

(5) 内閣府による予算折衝

内閣府において、各省と共同して、財政当局との予算折衝に当たるものとする。

3. 調整費の活用

調整費は、予算配分を関係府省の枠にとらわれず、機動的かつ効率的に行うことを目的とするものであり、関係府省に計上した「国立研究開発法人日本医療研究開発機構」(以下「AMED」という。)への集約対象となる予算に対して、AMED の PD (プログラム・ディレクター) 等による研究マネジメントの下で把握する研究現場の状況・ニーズを踏まえ、研究開発の進捗等に応じて、推進本部の決定により追加的に配分する。

4. 予算要求に当たっての留意点

推進計画は、AMED が、研究機関の能力を活用して行う医療分野の研究開発及びその環境の整備並びに研究機関における医療分野の研究開発及びその環境の整備の助成において中核的な役割を担うよう作成されており、これに基づき医療分野の研究開発関連予算を AMED に集約することにより、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を一体的に行うこととしている。

関係府省は、こうした趣旨を踏まえ、令和 9 年度においても引き続き一体的に事業を推進する観点から予算要求を行うこととし、統一的な交付要綱の下、一体的な運用、成果の最大化を目指すこととする。

なお、全ての事業を通じて、以下の点に留意することとする。

- ・基礎研究段階を主な対象とする事業では、研究者が自由な発想で最大限に創造力を発揮できる研究環境の重要性に配慮して取り組むとともに、基礎研究・応用研究から臨床研究の各段階において特に有望なシーズをいち早く企業へ導出することを目指して実用化フローを強化する。
- ・成果の円滑な企業導出に向けて、早期から技術開発動向、疾患別の社会要請等も考慮しつつ、実現可能性、実用化インパクト、企業導出に必要なデータセットや知財の整備など出口戦略を明らかにして、魅力的なシーズの育成に取り組む。
- ・優れたシーズの実用化を加速するため、各補助等事業の間の連携を確保するための仕組みである「ペアリング」「マッチング」の実施に取り組み、その中において AMED より制度設計の変更が望まれる事業とその内容について具体の提案があったときは、関係府省庁において適切に対応する。
- ・疾患領域に関連した研究開発においては、統合プロジェクト、事業、研究課題間の連携が常時十分に確保されるように運用する。
- ・全 8 統合プロジェクトに共通して、基礎から実用化までの一貫した研究開発の加速、新規モダリティの創出・育成、研究 DX、オープンサイエンスの推進、国際展開、性差を考慮した研究開発の推進、経済安全保障に配慮した研究開発等に取り組む。

5. 重点化すべき研究領域

健康・医療戦略及び推進計画等に基づき、令和 9 年度に重点化すべき研究領域は、以下のとおり。

(1) 8 つの統合プロジェクト

① 医薬品プロジェクト

国民に革新的な医薬品を速やかに届けるため、創薬標的の探索から臨床研究・治験に至るまで、幅広い研究開発を行う。また、アカデミアやスタートアップに対する絶え間ないシーズ開発支援により、革新的な新薬の創出を目指す。さらに、創薬研究開発に必要な高度解析機器・技術支援基盤及び大規模生産を見据えた製造技術基盤の構築や創薬エコシステムを構成する人材の育成・拡充など、研究開発力の向上に向けた環境整備に取り組み、持続可能な創薬力の強化を目指す。

令和 9 年度においては、臨床研究・治験の推進として、小児や希少疾患等、医療ニ

一歩が高いものの企業の開発が進まない分野において、病態メカニズム理解に基づく革新的な医薬品や治療法の研究開発支援に取り組み、AMED 独自の取組とも連携しながら、シーズ探索から非臨床試験さらには治験への円滑なステップアップを実現し、実用化を目指す。

アカデミアと企業のギャップを埋める仕組みとして、産学官共同創薬研究プロジェクト（GAPFREE）の取組において、アカデミア・企業連携による創薬研究を活性化することで、企業による医薬品開発の開始が加速できるよう、産学官の強みを活かした創薬研究を推進する。

新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制として、研究早期からの企業連携・導出と事業化支援等を通じて、創薬に必要な要素技術の組み合わせによるモダリティの高機能化や、疾患応用研究との融合によるシーズ開発等を促進し、アカデミア発のバイオ医薬品の臨床ステージアップを推進する。また、がんの特性等に着眼したがんの研究及び免疫学を含む異分野領域との融合を含む革新的な基礎研究への重点支援を行い、画期的なアカデミアシーズの創生・育成を行う。さらに、難治性がんの予防・診断・治療のパラダイムを変革する成果創出を目指し、フラッグシップとなる研究を推進する。くわえて、創薬ターゲット予測とシーズ探索を行う AI を産学官連携により新たに構築するとともに、DAIIA で構築済みの AI を融合させ、初期フェーズの創薬研究に活用できる AI プラットフォームを構築する等、創薬プロセス全体における AI 活用を推進する。バイオ医薬品の効率的かつ安定的な製造に向け、AI・デジタル技術を活用した基盤技術及びそれを用いた医薬品の開発を推進する。

新規モダリティ等に対応するレギュラトリーサイエンス研究として、ナノ DDS や NAMs¹をはじめとする革新的な医薬品開発に係る技術の評価法を確立し、そのガイドラインを作成することにより、新規モダリティ医薬品を実用化するための規制要件を明確化することで、効率的な医薬品開発と早期の社会実装に貢献する。

医薬品の研究開発に関する環境整備として、創薬等のライフサイエンス研究に資する先端研究基盤の整備、共用設備・機器の充実及び解析の効率化を強化し、研究データの集約・統合により AI 活用を前提としたデータ駆動型研究環境を構

¹ New Approach Methodologies：化学物質等の有害性及びリスクの評価に当たって、動物実験の利用を避けて、試験管内の試験や化学分析、コンピューターシミュレーションモデルなどの革新的な科学技術を活用した手法や、これらを組み合わせることで、それらの評価の予測可能性を高める考え方

築する。また、国際競争力のあるシーズ開発の加速を目指し、ペアリング・マッチングをはじめとした事業間連携や、レジストリ構築による新規の創薬標的やバイオマーカー候補等の探索基盤整備を推進する。

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

AI・IoT 技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化のための医療機器・システム、医療現場のニーズが大きい医療機器や、予防・高齢者のQOL 向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。また、医療分野以外の研究者や企業も含め適切に研究開発を行うことができるよう、必要な支援に取り組む。

令和9年度においては、引き続き「医療ニーズに基づいた医療機器・ヘルスケアを開発するための研究開発の活性化」及び「革新的な医療機器・ヘルスケアが開発、上市、実用化されるための研究開発基盤・エコシステム形成などの環境の実現」に重点的に取り組む。

スタートアップ等が開発の具体化を行い、大企業等の販路、ノウハウを活用して米国をはじめとする世界市場に実装していくことができるエコシステムの構築を目指す。また、安定確保すべき医療機器を特定しつつ、サプライチェーンを含めて安定提供体制を確立する。AI・ICT 等を活用した介護テクノロジーやデジタル技術を用いた医療機器などの開発及び社会実装等を促進するとともに、そうした機器による医療・介護の省力化や質の均てん化が評価される仕組みの構築を目指す。また、デジタル技術を融合的に活用し、疾患の治療・診断・予防に直接的に効果を発揮するプログラム医療機器の実用化を目指す。「省力化投資推進促進プラン—医療—」において医療負担の軽減に資するものを含む医療機器等の開発・実装を推進することとしていることを踏まえて、医療従事者の業務の効率化・負担軽減に資する医療機器の開発を重点的に推進し、医療分野における省力化を促進する。アカデミア・企業・臨床との連携を通じて、アカデミア発の独創的な技術シーズによる革新的な医療機器・システム開発を支援するとともにステージゲート評価を実施することで支援効果の最大化を図る。また、研究開発の初期段階から実用化に必要なコンサルティングをきめ細かく実施する体制を促進・強化し、伴走支援に取り組み、AMED 他事業又は企業への導出を推進する。さらに、若手研究者及び女性研究者を含む新規参入者から異分野を含む幅広いシーズ探索を促進

する。

予防・健康づくり分野における国内外の研究を体系的に収集・評価して有効性等の根拠と推奨を示した医学会による指針の作成について、令和９年度も領域を追加し策定するとともに、これまでの指針策定の過程で明らかとなったエビデンス不足領域に対し、重点的に研究開発を推進する。また、当該指針を参考にした科学的根拠に加え、費用対効果等の経済的根拠を備えたサービスの開発と社会実装を後押しすることで、エビデンス創出と指針の更新によるエビデンスの整理・拡充、社会実装が相互に高まるエコシステムの形成を目指す。医療機器についてはオープンイノベーションコア拠点の機能拡充を図り、有望プロジェクトが速やかに事業展開につながるよう、ラピッドプロトタイピング環境の構築等を行う。また医療機器創出に携わる企業などの人材の育成・リスクリングを実施する人材育成拠点の強化に取り組む。

③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

新たな医療技術の臨床研究・治験の推進、これらの医療技術の製品化に向けた研究開発、治療に用いる細胞・ベクターの製造基盤強化、人材育成、新規市場開拓等を進め、有効な技術を実用化につなげる。また、再生・細胞医療と遺伝子治療の一体的な研究開発や臨床研究拠点の整備を進めるとともに、革新的な研究開発・基盤整備を進める。

令和９年度においては、引き続き、再生・細胞医療・遺伝子治療分野の基礎研究から実用化までの一貫した支援を推進する。特に、異分野連携を促進しつつ、引き続き将来的な実用化につながるシーズを育成するとともに、疾患特異的 iPS 細胞を用いた病態解明・創薬研究等を通じて、再生・細胞医療・遺伝子治療における基礎的・基盤的な研究開発を推進する。再生医療の社会実装の加速に向けた「次世代 iPS 細胞」の研究開発を強化する。また、再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化のための臨床研究、iPS 細胞やオルガノイド等を用いた創薬研究・非臨床試験での活用を目指した研究の支援を更に推進することも視野に、個別化遺伝子治療や異種移植等の新領域における研究開発を支援し、再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化を目指す。さらに、再生・細胞医療・遺伝子治療の臨床応用のための基盤整備を進めるとともに、新たに遺伝子治療の研究開発に対する伴走支援・製造に関する体制整備や、異種移植等の新領域に係る実用化のための体制構築を

推進する。くわえて、アンメットメディカルニーズを有する腫瘍領域への治療開発を目指した遺伝子改変 CAR-T 細胞療法等、遺伝子導入細胞療法、ウイルス療法などの新たな再生医療等製品実用化に向けた非臨床試験及び医師主導治験の実施及び加速を図る。また、早期から製造企業等との連携を促進し確実な実用化を図る。希少難治性疾患領域において、病態メカニズム理解に基づく再生・細胞医療・遺伝子治療などの新規モダリティ等を含む治療法の研究開発を支援し、シーズ探索研究から非臨床試験、臨床試験・治験への円滑なステップアップを実現し、実用化を目指す。再生医療・遺伝子治療の産業化に向けて、遺伝子治療に用いる治療用ベクター及び遺伝子改変細胞の安定的かつ効率的な製造技術の開発、自動化装置開発等を含む製造プロセス開発、周辺部素材の製造基盤技術開発に加え、iPS 細胞等を活用した創薬支援ツールの開発基盤強化に向けた分析手法の確立等の支援を行う。

④ 感染症プロジェクト

新興・再興感染症の基礎研究を推進するとともに、感染症のワクチン・診断薬・治療薬の開発、病態メカニズムの解明を重点的に行い、感染症の科学的知見の創出を促進する。エイズや肝炎についての新たな知見を獲得し、予防法・治療法の開発を促進する。

令和9年度においては、国内では入手困難な病原体の研究を海外研究拠点で実施し、様々な病原体に対応可能な感染症研究を行う人材の裾野を広げる。さらに、拠点で得た検体・情報等を活用した研究や多分野融合研究等を通じ、感染症対策に資する基礎研究の拡充を図る。また、ワクチン・診断薬・治療薬をはじめとする感染症の医薬品等の開発、疫学調査や病態メカニズムの解明等の基盤研究を行い、国内外にまん延する感染症にかかる、救命・流行の抑制・社会活動の維持等の対策に必要な研究開発を推進する。くわえて、国立健康危機管理研究機構（以下「JIHS」という。）と連携し、研究開発基盤の強化及び科学的知見の創出を推進するとともに、それらを通じて感染症に対する危機管理能力の向上を目指す。

HIV と宿主との間の免疫学的な解析や感染機構の解明等を通して、HIV 感染症の予防・治療、新規ワクチン等の免疫療法や、薬剤耐性や副作用の問題の解決や根治治療に資する新たな作用機序をもつ抗 HIV 薬の創出、既存の抗 HIV 療法の効果を上げるシーズを探索する。また、HIV 感染合併症等の病態解明と治療法開発を

推進し、患者の QOL や予後の改善に資する研究を実施する。さらに、肝炎ウイルスの病原性発現の解析、ウイルス制御後を含む発がん予防に関する研究を推進する。革新的技術を用いた肝線維化及び発がん機構の解明並びに治療法に関する研究を支援する。B型肝炎ウイルス感染実験モデルや新規技術を用いた創薬ターゲットの探索・同定を行い、臨床試験等の社会への実用化に向けた治療法の確立を目指す。

感染症有事では、感染症危機対応医薬品等（以下「MCM」という。）による迅速かつ多層的な対応が重要である。令和8年3月に閣議決定された「感染症危機対応医薬品等（ワクチン、治療薬、診断薬等）開発・生産体制強化戦略」を踏まえ、健康医療安全保障として他国に依存することなく自立的に国民の健康を確保するために、緊急時の迅速な開発を念頭においた、平時からのワクチン・治療薬・診断薬等の開発及び供給を可能にする体制を構築し、産学官連携による研究開発を促進する。AMED 内に設置している先進的研究開発戦略センター（SCARDA）においては、JIHS と連携しつつ、MCM に関する基礎研究から実用化までの一貫した研究開発の支援を進める。また、感染症有事に迅速に対応するための MCM の研究開発拠点を構築する。これらの拠点において、感染症有事に備えた基礎研究から実用化まで一貫した研究開発を行い、感染症有事に対する準備を進める。感染症有事の際には感染症流行状況を踏まえた機動的な研究開発を行い、創出したシーズを実用化までつなげることで、我が国の健康医療安全保障を確保する。さらに、今後のパンデミックの脅威に備え、重点感染症に対して、感染症有事にいち早く、安全で有効な、国際的に貢献できる MCM を国内外に届けるため、平時より基金事業として長期安定的に研究開発を進める。

⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト

がん、難病、認知症等の疾患レジストリ、ゲノム・コホート研究で得られた成果や検体に関する情報をデジタル化した加工データ基盤の整備・利活用を促進し、ライフコースを俯瞰した疾患の発症・重症化予防、病態解明、診断、治療等に資する研究開発を推進することで、ゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。また、医療分野の研究開発等におけるデータ利活用を加速するようデータ基盤整備に取り組む。特に、AMED が支援した研究開発で得られたデータを共有する仕組みを整備し、運用する。

令和9年度においては、日本ゲノム医療推進機構と連携し、がん・難病に係る全ゲノムデータ及び臨床情報等の収集、情報基盤の構築並びにそのデータを用いた診断・治療・創薬等に資する利活用研究を推進する。また、ドラッグラグ・ドラッグロスの解決に向けた小児・AYA 世代がん分野における国際共同臨床試験、がん予防について大規模な複合データ解析による新たながん疫学の開発研究、AIを用いた診断・治療支援ツールの実用化に向けた研究開発、減薬・休薬等のより安全で効率的な治療につながる臨床試験を推進する。さらに、希少難治性疾患のアンメットメディカルニーズに対応するためのゲノム研究・診療に直結するゲノム解析・エビデンス創出・医療機器の開発・病態解明研究などを推進し、診断・治療・予防法の確立やゲノム医療・個別化医療の実現を目指す。くわえて、既存データを用いて作成するAIを活用したプログラム医療機器開発及び既存のAIを活用した新たなプログラム医療機器開発等を支援し、医療従事者の負担軽減につながるAI技術等を医工連携により開発し、開発されたAI技術等を実装するための基盤整備を進める。また、様々な疾患の診療において遠隔でも専門診療が可能なD to P等の診療体制についても、どこでも最先端・最適な医療を継続して提供できるよう支援する。外科的手技等の優れた無形の医療技術の技能習得に向けた医療現場のニーズを反映したシステムの開発を目指す。研究開発当初から企業との連携を積極的に行い、実用化に向けて医療機器・ヘルスケアプロジェクトへの橋渡しを推進する。創薬等の出口を見据え、ゲノム情報を含むオミックス情報、臨床情報等を用いたデータ駆動型研究を加速するとともに、それらの研究開発を支える情報基盤として、大規模解析等を促進するための基盤整備・機能強化を実施する。また、バイオバンクにおけるゲノム・オミックス情報や臨床情報等を活用した女性の健康や性差に関する研究開発を推進する。

データ利活用基盤については、引き続き、AMED事業から生み出される、品質管理された研究開発データについて、ユーザビリティやセキュリティに配慮しつつ、産業界も含めた第三者の横断的な利活用を推進する。また、引き続き三大バイオバンクを維持・発展・連携させるとともに、バイオバンクの更なる利活用促進により革新的な創薬等につなげるため、ゲノム等の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・整備するとともに、臨床情報等を充実させたコホート・バイオバンク連携を強化する。さらに、これまでに構築した基盤を活用し、複数の疾患領域における有効なPHR利活用のユースケース創出の検証を行う

とともに、民間 PHR サービス等を介し、データの閲覧や活用を行うにあたり、既存の交換規格の特色や PHR の標準化に係る国際動向を踏まえ、相互運用性を確保する仕組みを検討する。

ライフコースについては、特に、認知症、循環器疾患・糖尿病等の生活習慣病、女性の健康、免疫アレルギー疾患、成育疾患、腎疾患、慢性の痛み等において、生殖・妊娠期から老年期までのライフコース視点や性差に基づく健康課題対策に資する研究開発を実施する。例えば、認知症等の脳神経疾患の本態解明に資する研究開発や研究基盤の整備、認知症研究プラットフォームの構築等により、新たな診断・治療法等の認知症研究を推進する。また、生活習慣の管理、健康診断・保健指導、循環器疾患・糖尿病等生活習慣病の病態解明や治療法の確立、患者の生活の質の維持・向上などの幅広いテーマを対象に、基礎から実用化までの一貫した研究開発を推進する。人生の各段階に応じてその心身の状況が大きく変化する特性を持つ女性の健康について、性差・ライフステージの軸で多面的かつ包括的に捉え、エビデンスに基づいた健康増進に資する研究開発を進め、その実用化を推進する。免疫アレルギー疾患の病因・病態の解明等に関する研究や、予防、診断及び（根治的）治療法に関する質の高い研究に立脚した「成果やシーズ」を着実に実用化プロセスに乗せて、新規創薬、医療技術、医療機器等の研究開発等を促進し、患者の QOL の維持・向上を目指す。生殖・妊娠期、胎児期、新生児期、乳幼児期、学童・思春期、若年成人期等の各ライフステージの課題や、次世代を創出し育成する一連の「成育サイクル」の観点から、健康課題克服に向け、病態の解明と予防及び治療のための研究開発とその実用化を推進する。「腎疾患対策検討会報告書～腎疾患対策の更なる推進を目指して～」に基づき、腎疾患の病態解明や新たな診断法及び治療法の開発を通じた新規透析導入患者数減少の早期実現等を目的とした研究を推進する。慢性の痛みについて、病態解明や客観的な評価法や効果的な治療法開発により、痛みを有する者の QOL 向上と痛みによる社会的損失の軽減につなげることを目指す。また、統合医療の研究開発を推進し、その有効性・安全性に関する情報を広く国民に発信する。

⑥ シーズ開発・基礎研究プロジェクト

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を推進するとともに、先

進国や政策上重要な国々等との国際共同研究を強化する。

令和９年度においては、アカデミアシーズの創出・育成について、アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制の下、先端的研究開発を推進する。「第７期科学技術・イノベーション基本計画」に基づき、若手を中心とした挑戦的な研究への支援の拡大を図る。また、社会に貢献する脳科学を目指し、ヒトの高次脳機能の解明等を進めるとともに、数理モデルの研究基盤（デジタル脳）を整備し、基礎と臨床、アカデミアと産業界の連携の強化により、認知症等の脳神経疾患・精神疾患の画期的な診断・治療・創薬等シーズの研究開発を推進する。さらに、100歳まで健康不安のない未来社会を展望し、実現に向けてムーンショット型の研究開発を推進する。

我が国における最高水準の医療の提供や、地球規模課題の解決等に貢献するため、国際共同研究を推進する。特に、昨今の健康・医療分野の研究開発に関する国際情勢の変化を踏まえ、先進国等、政策上重要な国々との国際共同研究を強化し、国際頭脳循環や国際連携を一層促進する。また、令和７年度から開始した若手支援の取組及び対象国としてアジア以外の国（特にアフリカ）での実装研究を継続して推進する。さらに、低・中所得国を対象とする他事業で得られた知見や技術の実装化を応用することにより、他事業で国際共同研究が実施された国に加えて、他国への展開も視野に研究を行う。

⑦ 橋渡し・臨床加速化プロジェクト

「革新的医療技術創出拠点」の機能を活用して基礎研究から臨床試験段階までの一貫した橋渡し研究開発支援を行うシーズ研究費事業等を強化するとともに、臨床研究中核病院について、国際共同治験の能力を強化するよう国際水準の臨床試験実施体制の整備を進める。

令和９年度においては、文部科学大臣の認定機関（橋渡し研究支援機関）を核として、アカデミア等の優れた研究シーズの発掘、臨床研究・実用化への効果的な橋渡し研究を切れ目なく支援するとともに、免疫等の我が国の強みとなる重要技術の橋渡し機能を強化する。また、革新性が高く実用化までのリスクが高いアカデミア発シーズのスタートアップを介した研究開発を引き続き推進する。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厚生労働大臣が承認する臨床研究中核病院が支援する体制を構築し、スタートアップ等による FIIH 試験を含む

治験・臨床試験の実施促進を図る。さらに、臨床研究中核病院のうち新たに要件を定める国際拠点型臨床研究中核病院において、国際水準の治験・臨床試験実施体制整備を推進するとともに、AIによる治験・臨床試験の効率化などに取り組む。

先端的な医療や臨床試験を実施する大学病院等の研究開発力の向上に向けた環境整備を引き続き推進する。

日本主導の国際共同治験の推進へつなげ、治療薬等の開発・供給の加速を目指すため、アジア地域の拠点整備や人材育成等、これまでに構築されたアジア地域における治験・臨床試験ネットワークを拡げる取組を引き続き推進する。

⑧ イノベーション・エコシステムプロジェクト

創薬ベンチャーに対する非臨床試験段階から臨床試験段階までの研究開発及びベンチャーキャピタルによるハンズオン支援を強化するとともに、産学連携による研究成果の実用化を推進し、革新的新薬のグローバル開発、さらには我が国が世界の創薬エコシステムの一部として機能することを目指す。その際、他のプロジェクトの成果が着実に実用化につながるようプロジェクト横断的に出口戦略を見据えた連携を模索する。

具体的には、適切な能力でハンズオン支援を行う国内外のベンチャーキャピタルの認定を進めるとともに、認定ベンチャーキャピタルが出資する創薬ベンチャーへの非臨床・治験段階の開発支援を行う。認定ベンチャーキャピタル及び創薬ベンチャーの公募は引き続き実施する。また、ベンチャーキャピタルの視点や承認の成功・失敗体験等に基づいて他のプロジェクトの出口戦略を連携して調整することによって、より多くの優良なシーズが生み出され、円滑な創薬ベンチャーへの出資等につなげることを目指す。実用化の視点でのイノベーションの促進とグローバル開発を意識した創薬エコシステムの構築を通じて、我が国の創薬環境の抜本的な改善を図る。さらに、難病、希少疾患など採算性等の観点から研究開発が進みにくい領域において、レイターフェーズを含めたグローバルな臨床試験・治験支援をすることで、ドラッグラグ・ロスなどの社会課題の解決に寄与するとともに、国内 CRO の活用促進などにより世界直行型の研究開発を実現する創薬エコシステムの構築を図る。

(2) AMED の大学等と製薬企業との橋渡し等による実用化の推進

8つの統合プロジェクトによる取組に加え、AMED が日本製薬工業協会と令和7年10月1日に締結した連携協定に基づく「AMED IND ENGINE (AND-E)」の取組を通じ、大学等が有する有望な創薬シーズから日本発のファーストインクラス製品、ベストインクラス製品の創製につながる創薬研究を創出・支援し、大学等と製薬企業との橋渡し等による実用化の推進に取り組む。

(3) インハウス研究開発等

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、各機関の特性を踏まえ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。その際、インハウス研究機関自らが研究開発を行うものではないが、「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7年法律第37号）による「革新的医薬品等実用化支援基金」の造成及び同基金を活用した事業を着実に推進するとともに、統合プロジェクトにおける取組との連携やその成果の活用に取り組む。このために、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するとともに、研究開発予算を効率的に運用しつつ成果を最大化するために、施設間の連携に関する実態把握や成功事例の共有に努め、研究設備等の供用を促進する。

6. 施策の検証と予算への適切な反映

推進本部の下で、内閣府は、関係府省とともに、施策の検証と必要に応じた見直し、予算への反映等を行う。具体的には、推進計画に掲げた具体的施策を関係府省の連携の下で実施し、定期的なフォローアップにより進捗状況を適切に把握・検証し、その検証結果に基づき、必要に応じて施策の実施内容を見直すとともに予算への反映等の必要な措置を講じる。