

第3期医療分野研究開発推進計画の 実行状況について（令和7年度版）

目次

①	アウトカム指標とアウトプット指標	P. 2
②	8つの統合プロジェクト	P. 8
	1. 医薬品プロジェクト	P. 9
	2. 医療機器・ヘルスケアプロジェクト	P. 14
	3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	P. 19
	4. 感染症プロジェクト	P. 24
	5. データ利活用・ライフコースプロジェクト	P. 29
	6. シーズ開発・基礎研究プロジェクト	P. 33
	7. 橋渡し・臨床加速化プロジェクト	P. 39
	8. イノベーション・エコシステムプロジェクト	P. 43
③	その他	P. 48
(参考)	モニタリング指標	P. 87

① アウトカム指標とアウトプット指標

医療分野研究開発推進計画上の記載

本計画の実施に係る全ての関係者は、以下の戦略目標を共有し、期間中にアウトカム指標が継続して上昇するように行動する。

戦略目標

- 国の支援による研究開発成果をもとにした医薬品・医療機器等が、国内はもとよりグローバルにその価値が認められる（FDAやEMAの承認を受ける等）
- これまで治療法がない疾患に対する治療法が開発される（アンメットメディカルニーズに応える）
- 国の支援による研究開発成果をもとに優れたスタートアップが創出される（AMEDが支援した研究開発成果をもとにしたスタートアップ/AMEDの支援を受けたスタートアップについて、企業価値が10億ドルを超える）
- 医療水準の向上を目指す研究開発の成果の創出とその成果が絶え間なく企業導出される

アウトカム指標

研究開発成果を産業界等に受け渡した結果や医療としての社会実装を観測するための定量情報

	令和7年度 末の数値	主要な成果と分析	備考 出典・留意事項等
薬事承認	31件	国内にて承認された治療法のない疾病に対する初めての治療薬提供、世界初のiPS細胞由来再生医療等製品の条件及び期限付き製造販売承認、橋渡し拠点と連携して支援した体外診断用医薬品の薬事承認、などの事例が認められた。	
ガイドライン等	136件	主要疾患となるがんをはじめ、予防政策にも影響する生活習慣病など、診療ガイドライン71件の策定や改定に貢献した。海外では、ラオス政府作成のマラリア対策や、トルコ政府によるクリミア・コンゴ出血熱症例管理ガイドライン反映、などの事例が認められた。	
製品上市数	19件	一般医療機器13件、ソフトウェア6件の販売開始につながる研究開発支援を推進した。産学官連携支援を通じて研究成果の実用化を加速し、医療現場への円滑な導入を実現した。	

① アウトカム指標とアウトプット指標

アウトプット指標 <全体目標>

本計画が対象とする令和7年度～令和11年度の5年間に達成すべき目標値の1/5を各年度の目標値とする。

令和7年度末の達成目標	令和7年度末の数値	進捗	進捗の詳細（含む成果と要因分析） ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 出典・留意事項等
1) 権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数（シーズの企業導出件数）130件／年 （令和7～11年度累計650件）	158件	A	権利譲渡7件、実施許諾36件、共同研究開発115件の契約を締結した。特に導出時の開発フェーズでは、非臨床試験開始前が最多の94件であり、研究初期から企業と連携を進められた点は大きな成果である。また、がん、生活習慣病、精神疾患、感染症等の様々な疾患領域から研究技術や開発候補品が導出されており、幅広く社会実装を推進した。	
2) 治験に至った件数 60件／年 （令和7～11年度累計300件）	111件	A	ミトコンドリア病および難聴について第Ⅱ相医師主導治験の開始、CPP吸着カラムについての臨床研究の成果に基づき大動脈弁狭窄の進行抑制について第Ⅱ相企業治験の実施、切除不能な進行・胃癌患者に新規アンチセンス核酸医薬品を投与する第Ⅰ相医師主導治験の開始、世界初の革新的ナノコーティングステントを開発し重度動脈硬化症に伴う膝下血管病変について治験を実施、などの事例が認められた。	
3) 優れたシーズの発展・継続支援件数 120件／年 （令和7～11年度累計600件）	166件	A	事業間で連携して課題を受け渡すとともに、同一事業内における課題のステージアップや新たな公募を行い、シーズの発展・継続支援を充分に行うことができた。	
4) 論文数（Top1%論文）120件／年 （令和7～11年累計600件）	86件	B	全論文（5,585件）のうち10.73%がTop10%論文、1.54%がTop1%論文であり、被引用数の高い論文は例年と大きく変わらない割合で創出していた。一方で、過去10年における全論文数は令和2年をピークに減少しており、世界的にも同様の減少傾向が見られている。よって、目標未達の要因の一つとして全論文数の減少が関係すると考えられる。引き続き我が国の研究力強化に向けた取組を進めるとともに、絶え間ないシーズの創出に向けて現状を分析し課題を明確化する。	AMEDが支援する研究課題の令和6年発行の論文を集計対象とする

【進捗】 A：順調に進捗している B：進捗が不十分

① アウトカム指標とアウトプット指標

アウトプット指標 <特設目標>

医療分野の研究開発等を効果的に加速するため、令和10年度中に達成する目標値とする。

令和10年度末までの達成目標	令和7年度末の数値	進捗	進捗の詳細（含む成果と要因分析） ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 出典、留意事項等
5) 小児用医薬品の開発計画の策定件数：令和6～10年度累積で50件（厚）	51件* (22件/29件)	A	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。	令和7年度の数値は速報値
6) 希少疾病用医薬品の承認件数：令和6～10年度累積で150件（厚）	75件* (30件/45件)	A	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。	令和7年度の数値は速報値
7) 創薬ベンチャー採択件数：70社（AMED） ※目標の趣旨を踏まえ、採択件数を評価対象としている	採択件数：43件 (採択企業数：40社)	A	令和7年度は13件（13社）を採択した。令和8年度以降も4回/年の公募を継続して実施する予定であり、目標に向けて進捗は順調である。	創薬ベンチャーエコシステム強化事業の開始時からの採択総数を示す
8) 新たに整備する施設における国内FIH試験実施件数：10件（厚）	0件	A	「新規モダリティ対応ヒト初回投与試験体制整備等事業」において、国立がん研究センター（NCC）、国立成育医療研究センター（NCCHD）、国立健康危機管理研究機構（JIHS）のFIH試験実施体制整備を行い、新規モダリティを含む最新の医薬品の迅速な開発に向けた試験体制の整備を図っている。	当初の予定どおり、令和7年度はNCCHD及びJIHSにおいて施設整備を実施し、令和8年度以降、整備した施設を用いて実際の試験を行う予定、令和7年度末の実施件数は0件であるものの、進捗は予定どおり順調

* 令和6年度から令和7年度末までの累積値を示す。（ ）は各年度（R6/R7）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 アウトカム指標とアウトプット指標

アウトプット指標 <特設目標>

医療分野の研究開発等を効果的に加速するため、令和10年度中に達成する目標値とする。

令和10年度末までの達成目標	令和7年度末の数値	進捗	進捗の詳細（含む成果と要因分析） ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 出典、留意事項等
9) FIH試験実施に関する研修プログラム受講者の勤務施設数：20施設 (厚)	16施設	A	「臨床研究総合促進事業」において、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に対する養成研修を行い、FIH試験実施に関する研修を整備している。	すでに目標値の8割を達していることから、進捗は順調。
10) 橋渡し研究支援機関による支援数：過去3年度平均以上の支援シーズ数 (文)	1,443件	A	橋渡し研究支援機関全12機関において、厳正な審査に基づきシーズを選定し、伴走支援を実施している。支援シーズ数は順調に増加し、令和7年度末の目標を達成した。	過去3年度平均（R3～R5年度平均：1,365件）
11) 臨床研究中核病院における治験数：360件/年 (厚)	379件	A	「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。	
12) 臨床研究従事者に対する研修プログラム修了者数（修了証発行数）：1100人/年 (厚)	1,228人	A	「臨床研究総合促進事業」において、臨床研究中核病院を主体として、他施設の臨床研究従事者（医師・歯科医師）、CRC、治験・倫理審査委員会委員、DM、モニター、監査担当者に対して臨床現場における実習を含めた養成研修を行っている。令和7年度からは、治験・倫理審査委員会事務局や、治験調整事務局などの事務系スタッフを対象とした研修を新規で実施している。	
13) 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：15試験 (厚)	73件	A	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。	

【進捗】 A：順調に進捗している B：進捗が不十分

① アウトカム指標とアウトプット指標

アウトプット指標 <特設目標>

医療分野の研究開発等を効果的に加速するため、令和10年度中に達成する目標値とする。

令和10年度末までの達成目標	令和7年度末の数値	進捗	進捗の詳細（含む成果と要因分析） ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 出典、留意事項等
14) jRCTのアクセス数：120万件/年（厚）	-	-	「臨床研究データベース大規模改修事業」において、臨床研究等に関する情報へアクセスしやすいユーザーフレンドリーなシステム構築に向けた改修を継続している。	R6の数値：145.7万件（参考値） ※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。
15) デュアルユース設備を有する拠点数：16拠点（経）	16拠点	A	令和10年度の整備完了に向け、順次設計・着工中である。	
16) バイオ製造人材研修の累積受講者数：令和6～10年度累積で750名（厚）	271人* (125人/146人)	A	製薬企業の社員等に対して、バイオ医薬品の製造技術、開発ノウハウ等に関する基礎的な研修プログラムを実施した。また、製薬企業等の実生産設備を利用した研修を実施した。	
17) 理化学研究所において最先端の研究開発の融合による革新的な創薬シーズを年平均3件以上創出（文）	平均3件 (4件/2件)	A	理化学研究所の有するがん特異的代謝に関する知見と、放射性核種の製造・標識技術を融合し、革新的ながん治療薬候補の放射性医薬品シーズを創出した。また発生学研究と多階層解析における理研の強みを融合し、アルツハイマー病治療薬候補の核酸医薬品シーズを創出した。	令和6年度から令和7年度末までの年平均を令和7年度の数値として示す
18) 薬学部・薬系大学院修了者のうち、創薬関連の仕事・研究等につく者を1,225名/年より増加（文）	1,404名	A	令和7年6月に、創薬に貢献する医療人材養成の強化につながる学士・修士課程から博士課程までの一貫した教育プログラムの構築、6年制薬学部における薬学教育モデル・コア・カリキュラムの次期改訂に向けた調査研究を開始した。	薬学教育協議会「薬系大学卒業生・大学院修了者の就職動向調査の集計報告」 令和7年3月卒業生・修了者に関する調査

* 令和6年度から令和7年度末までの累積値を示す。（ ）は各年度（R6/R7）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 アウトカム指標とアウトプット指標

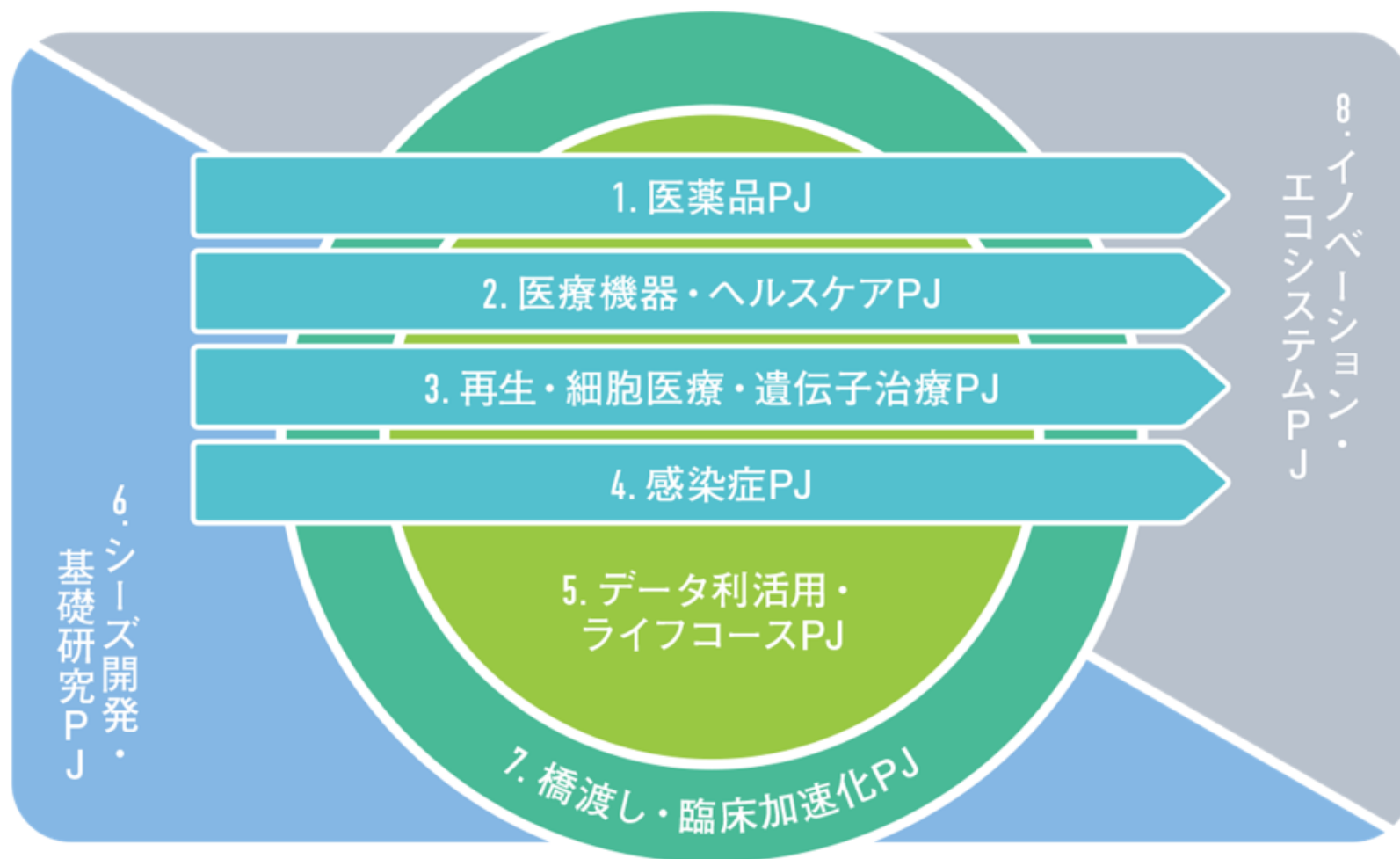
アウトプット指標 <特設目標>

医療分野の研究開発等を効果的に加速するため、令和10年度中に達成する目標値とする。

令和10年度末までの達成目標	令和7年度末の数値	進捗	進捗の詳細（含む成果と要因分析） ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 出典、留意事項等
19) 大学病院の医師等の職務活動時間に占める研究時間の割合及びTop10%論文の増加 (文)	Top10%論文数 1,113編(臨床 医学・R3~R5 平均)	A	大学病院の研究開発力の向上に向け、各大学病院に対するヒアリング等を通じて自院の役割や機能の基本的な方針の明確化を促しつつ、各大学病院の教育・研究・診療等の現状・課題、将来計画を確認・分析した。また、医学系研究プログラムについて、令和6年度に予算を措置、令和7年度にAMEDにて事業課題を採択し、順調に事業を実施している。	※一部指標については計画策定後に取組を開始した事業も含まれるため、適切な集計方法を検討中。
20) AMED支援シーズの企業導出件数及び事業間の連続的支援数：3年平均で250件/年 (AMED)	324件	A	企業導出件数は158件であり、研究シーズの実用化に向けて順調に進捗している。また、事業間で連携して課題を受け渡すとともに、同一事業内における課題のステージアップや新たな公募を行い、シーズの発展・継続支援を充分に行うことができた。	
21) AMRを含む重点感染症に対する医薬品の承認件数：令和6~10年度累積で5件 (厚)	2件* (2件/0件)	A	重症熱性血小板減少症候群（SFTS）患者に対する国内第Ⅲ相試験を支援し、令和6年6月24日にアビガン錠200mg（ファビピラビル）のSFTS適応追加について承認取得した。天然痘、mpox、牛痘を含むオルソポックスウイルスの治療のための抗ウイルス薬として国内第Ⅰ相試験と薬事承認申請を支援し、日本で初めて令和6年12月27日にテポックスカプセル 200mg（テコビリマト）承認取得した。	

* 令和6年度から令和7年度末までの累積値を示す。（ ）は各年度（R6/R7）の単年実績。【進捗】 A：順調に進捗している B：進捗が不十分

② 8つの統合プロジェクト



<疾患領域に関連した研究開発>

上記の統合PJを横断し、以下の領域を設定。

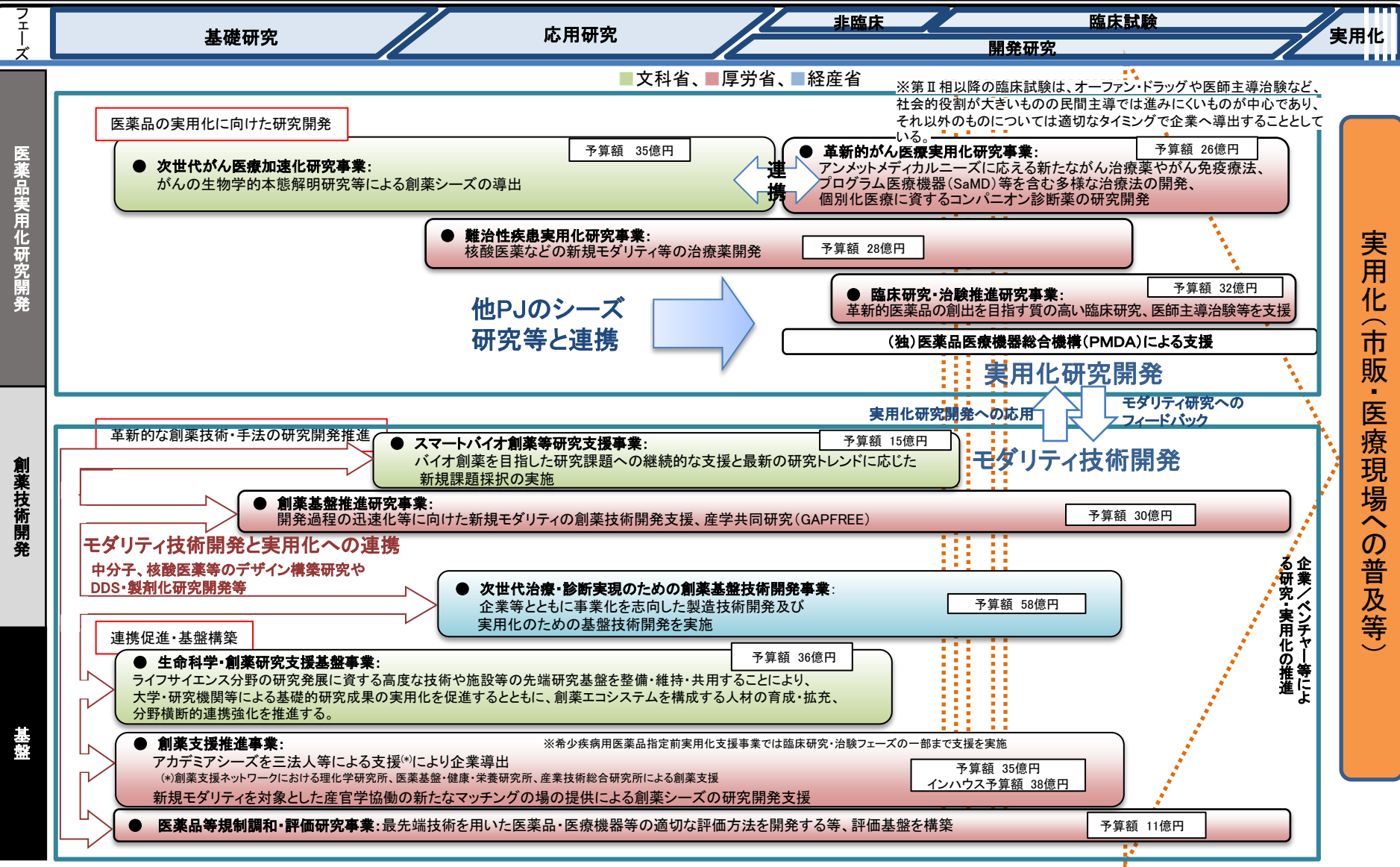
- がん
- 難病・希少疾患
- ライフコース

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7年度予算額 306億円

インハウス研究機関経費
令和7年度予算額 38億円

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。



1. 医薬品プロジェクト

国民に最新の医薬品を速やかに届けるため、PSP0等による実用化に向けた進捗管理や、創薬研究開発に必要な高度解析機器・技術支援基盤の整備と積極的な活用による伴走支援の強化により、創薬標的の探索から臨床研究・治験に至るまでの幅広い研究開発を推進することで、革新的医薬品の創出に繋がる疾患／作用メカニズムに関する論文成果の創出や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、難治性／希少疾患等のアンメットニーズに対する医薬品の薬事承認を達成した。また、省庁間／事業間連携による絶え間ない研究開発支援体制を構築することで優れた創薬シーズ開発を継続的に支援する等、目標を達成しており、順調に進捗していると評価できる。

(1) 関係府省の主な取組

創薬基盤推進研究事業や次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業等において、創薬基盤技術を確立するための研究開発を支援した。また、難治性疾患実用化研究事業やスマートバイオ創薬等研究支援事業等において、難治性／希少疾患等の医療ニーズの高い疾患を対象とした医薬品や各種モダリティの医薬品シーズ開発に係る研究開発支援を推進するとともに、臨床研究・治験推進研究事業において、革新的医薬品の創出を目指す質の高い臨床研究、医師主導治験等を支援し、承認等へ着実に繋げた。さらに、生命科学・創薬研究支援基盤事業（BINDS）における先端技術支援基盤のさらなる拡充や創薬支援推進事業における伴走支援機能の強化を図った。

(2) 顕著な研究開発成果事例

【社会的意義のある医薬品の承認取得等】

- ▶ 世界初を含む、アンメットニーズに対する新効能・新用量・新投与経路医薬品の承認、希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）への指定
 - エンハーツ：HER2陽性の進行・再発の固形癌（標準的な治療が困難な場合に限る）を効能・効果とする新効能医薬品として薬事承認【臨床研究・治験推進研究事業】
 - イラリス：世界初のシュニツラー症候群を効能・効果とする新効能・新用量医薬品として薬事承認【難治性疾患実用化研究事業】
 - カルボプラチン：腹腔内投与による卵巣癌を効能・効果とする新投与経路医薬品として薬事承認【臨床研究・治験推進研究事業】
 - セルセプト：難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合）を効能・効果とする新効能・新用量医薬品として薬事承認【臨床研究・治験推進研究事業】
 - 抗FGF2アプタマー：軟骨無形成症に対するオーファンドラッグ指定【希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業】
 - ATP加水分解酵素阻害剤：網膜中心動脈閉塞症に対するオーファンドラッグ指定【希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業】

【将来的に創薬化が高く見込まれる成果創出、仕組み構築】

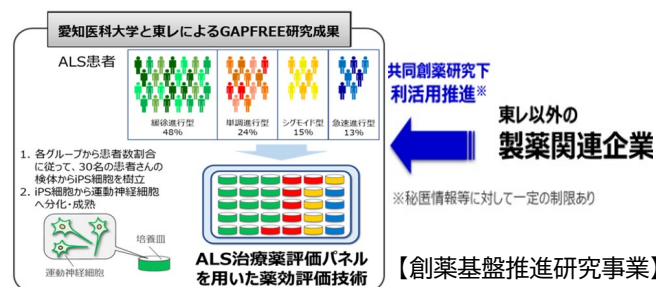
- 革新的な高機能バイオ医薬品等の創出を推進し、筋ジストロフィーの病態形成に密接に関わっているマイクロRNA(miRNA; miR-33)を見だし、開発中のアンチmiRNA核酸により、病態を改善できることを明らかにした。【スマートバイオ創薬等研究支援事業】
- 腸内マイクロバイーム制御による次世代創薬技術の開発を推進し、免疫チェックポイント阻害薬の治療効果を高める新たな腸内細菌としてルミノコッカス科に属するYB328株を同定し、その培養と作用メカニズムを解明した。
【次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業】



【スマートバイオ創薬等研究支援事業】

【革新的医薬品の創出に繋がる成果・社会実装に繋がる技術基盤やプラットフォームの構築】

- 産学官の共同研究を推進するGAPFREEプロジェクトにより、筋萎縮性側索硬化症(ALS)の様々な病態に対応した患者iPS細胞由来運動神経細胞の培養技術と薬効評価技術を確立し、製薬企業が活用可能なオープンイノベーションの枠組みを構築した。
【創薬基盤推進研究事業】
- AMEDが代表機関となり、新規モダリティ分野において産学官が共同検証できる、ニューモダリティコンソーシアムを創設し、創薬支援を効率化するための体制を構築した。
【創薬支援推進事業】



共同創薬研究下
利活用推進※
東以外の
製薬関連企業

※秘匿情報等に対して一定の制限あり

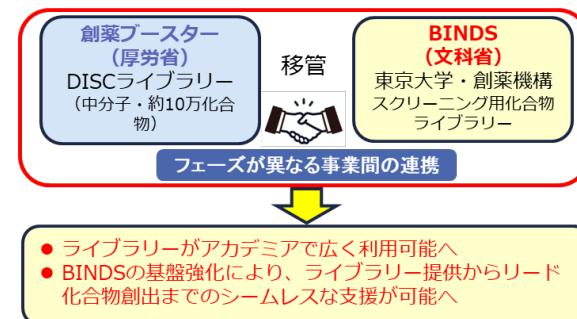
【創薬基盤推進研究事業】

【公的機関における基準への反映】

- 治療用放射線医薬品の非臨床試験と臨床試験デザインに関するガイドライン【医薬品等規制調和・評価研究事業】
- 新規モダリティ医薬品等の開発のための生物由来原料基準の更新に関するガイドライン【医薬品等規制調和・評価研究事業】

【省庁間／事業間連携による絶え間ない新たな研究開発支援体制の構築】

- 創薬支援推進事業で設立した産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)で構築したAMED中分子ライブラリー(約10万化合物)を生命科学・創薬研究支援基盤事業(BINDS)に移管し、日本のアカデミア研究者がライブラリー提供からリード化合物創出まで一貫した支援を受けることが出来る体制を構築した。
【創薬支援推進事業/生命科学・創薬研究支援基盤事業】



- ライブラリーがアカデミアで広く利用可能へ
- BINDSの基盤強化により、ライブラリー提供からリード化合物創出までのシームレスな支援が可能へ

1. 医薬品プロジェクト

(3) 参考

		アウトプット指標	モニタリング指標		備考欄（特筆すべき事項等）
1	権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数 (シーズの企業導出件数)	53件	<ul style="list-style-type: none"> 導出形態別の件数 権利譲渡契約件数 2件 実施許諾契約（オプション契約は除く）件数 11件 共同研究開発契約件数 40件 導出先別の件数 ベンチャー企業への導出件数（国内企業） 12件 ベンチャー企業への導出件数（外資系企業） 5件 ベンチャー以外の企業への導出件数（国内企業） 32件 ベンチャー以外の企業への導出件数（外資系企業） 4件 導出時の開発フェーズ（開発ステージ）別の件数 非臨床試験開始以前に導出した件数 32件 非臨床試験開始後かつ治験開始前までに導出した件数 16件 治験開始後に導出した件数 3件 疾患領域別の導出件数 がん：20件 生活習慣病：1件 精神・神経疾患：8件 老年医学・認知症：1件 難病：9件 成育：1件 感染症：3件 その他：10件 導出内容別の件数 技術導出件数 37件 開発候補品の導出件数 13件 		PSP0等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、各種モダリティの多数のシーズや技術について企業導出が認められた。
2	治験に至った件数	37件	<ul style="list-style-type: none"> 医師主導治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数） 29件（0件） 企業治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数） 7件（2件） 臨床性能試験の数 1件 		臨床試験に繋がる非臨床安全性試験の支援等を通じて、多数の臨床試験・治験に移行しており、順調に進捗した。
3	優れたシーズの発展・継続支援件数	46.5件	<ul style="list-style-type: none"> ペアリングによる他事業への受け渡し件数 21件 マッチングによる他事業への受け渡し件数 0件 過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 25.5件 		PSP0等による実用化を意識した進捗管理により、多数のシーズの発展・継続支援を順調に進捗した。

(3) 参考

		アウトプット指標	モニタリング指標	備考欄（特筆すべき事項等）	
4	薬事承認・認証	—	<ul style="list-style-type: none"> 品目の性格別の承認件数 新規の承認件数 適応拡大の承認件数 海外承認・認証件数 その他 医療における利用形態別の件数 医薬品の承認件数（モダリティ別の内訳） 医療機器の承認・認証件数（治療用／診断用の内訳） 体外診断用医薬品の承認・認証件数 再生医療等製品の承認件数 	<ul style="list-style-type: none"> 2件 6件 0件 0件 5件（低分子医薬品2件／高分子医薬品－抗体3件） 1件（0件／1件） 2件 0件 	<ul style="list-style-type: none"> 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、薬事承認に結びついた事例が多数認められた。 日本人のシュニツラー症候群患者に対するカナキヌマブ（商品名：イラリス®）の有効性と安全性を検討する医師主導治験を実施し、その結果として得られた有効性と安全性に関する成果に基づき、2026年2月19日にシュニツラー症候群への効能追加の承認を取得した。今回の効能追加により、これまで国内では承認された治療法が存在しなかったシュニツラー症候群に対し、初めて治療薬の提供が可能となった。
5	医療等に実装された件数 （薬事承認・認証を除く）	—	<ul style="list-style-type: none"> ガイドライン等の策定又は改定件数 ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数 	<ul style="list-style-type: none"> 38件 0件 	
6	論文数	Top1%論文数 40件	<ul style="list-style-type: none"> Top10%論文数 全論文数 	<ul style="list-style-type: none"> 283件 2,944件 	
7	研究環境における 人的ダイバーシティ	—	<ul style="list-style-type: none"> 研究者の男女（その他）比率 	<ul style="list-style-type: none"> 男：89.0% 女：11.0% 	

個々の統合プロジェクトで定めるモニタリング指標		備考欄（特筆すべき事項等）
非臨床PoC取得件数	70件	がんや難治性疾患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、今後の発展・継続的な支援により実用化に結びつき得る多数の成果が認められた。

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7年度予算額 83億円

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。



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に対する支援に加え、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支援を行ったことで、医療機器等の開発・実用化は着実に進捗した。

(1) 関係府省の主な取組

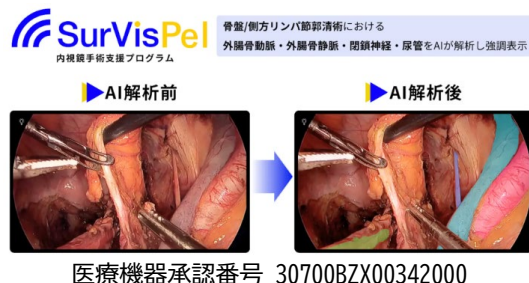
- 次世代型医療機器開発等促進事業において、我が国の医療機器産業の国際競争力強化・安定供給の実現に向けた革新的な医療機器等の開発及び開発ガイダンス策定のほか、介護現場の課題解決に資する介護テクノロジーの社会実装に向けたエビデンス構築・基盤整備及び海外展開を支援。
- 予防・健康づくりの社会実装に向けた研究開発基盤整備事業において、ヘルスケアサービスのエビデンス構築から整理、社会実装に至るまでの研究開発および基盤整備の支援。
- 医療機器開発推進研究事業において、より安全な医療技術を提供するために、治験・臨床研究へ効果的に橋渡しすることで正確な診断・高度な治療を可能とする実用化の見込みが高い革新的な医療機器の開発を重点的に支援。
- 医療機器等研究成果展開事業において、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、革新的な予防、診断、治療を可能とする医療機器・システム開発の実用化へ向けて支援。

(2) 顕著な研究開発成果事例

骨盤内腫瘍の内視鏡外科手術における 術中リアルタイムAIナビゲーションの開発・事業化 (医工連携グローバル展開事業)

株式会社Jmees

- 骨盤内には血管・神経などの重要な解剖構造が密集していることに加え、視認性が限られることから、内視鏡下での骨盤/側方リンパ節郭清術は高い難易度を伴い、術中の臓器損傷リスクが臨床課題として指摘されていた。
- この臨床課題を背景に、株式会社Jmeesと国立がん研究センター東病院が連携し、術者の経験に依存してきた術中の解剖構造の認識を支援するための手術用画像認識支援プログラムを開発した。
- 臨床的有用性評価試験において、医師単独での認識感度と本プログラムを併用した場合の医師の認識感度を比較した結果、本プログラムを併用した場合の方が有意に向上したことが確認され、令和7年12月にクラスIIのプログラム医療機器として薬事承認された。



失明予防に向けた医療用眼計測治療レンズに関する研究開発 (医療機器等研究成果展開事業)

早稲田大学、ロート製薬、山口大学

- 眼圧に異常が起き、高い眼圧が続くと緑内障を発症、これを放置すると失明につながる。緑内障には自覚症状が無いことが多く、医療機関で眼圧測定を行い、気づいた時には進行していることが多いため、経時的に眼圧測定が可能な技術が求められている。
- 本研究開発では、目に装着するタイプの情報端末「スマートコンタクトレンズ (SCL)」に着目、微細な信号を増幅する技術開発を行い、市販のソフトレンズに植え込み可能な超小型電子部品を開発した。
- 動物試験の結果により、高い感度で眼圧測定が可能なこと、高い精度で感圧変化を追跡できることがわかった。
- 研究チームは商品化に向けた技術開発を引き続き行っており、令和10年度に臨床試験を始める予定である。

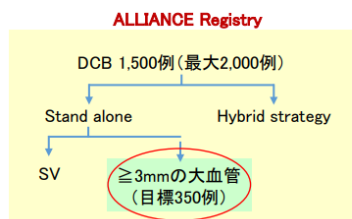


(2) 顕著な研究開発成果事例

実臨床におけるdrug coated balloonの有効性検証 (医療機器開発推進研究事業)

東邦大学、帝京大学

- 本邦の実臨床下での冠動脈疾患に対する経皮的冠動脈インターベンション (PCI) 治療における薬剤塗布型バルーン (DCB) の安全性及び有効性を確認することを目的に、リアルワールドデータを収集し、日本心血管インターベンション治療学会と連携した医師主導の国内レジストリを構築し、このエビデンスを用いた研究開発を実施した。
- 対照血管径が3.0mm以上の新規冠動脈病変への適応拡大を目的として、本研究に登録された症例 (57施設・1794例) のうち、バルーン径3.0mm以上のDCBを使用した症例成績を用いて令和8年2月に一部変更承認を得た。
- これまで、海外の市販後レジストリや企業主導の国際共同レジストリを活用した承認事例はあったが、本件は本邦レジストリ結果のみを用いた評価をもって薬事承認を取得した初の事例 (2026年2月19日付け) である。
- 以下に記す工夫を行ったことにより、迅速に症例登録ができ、AMED事業の研究開発期間中に薬事承認申請及び承認取得に繋がった。
 - 学会の協力：日本心血管インターベンション治療学会と協力し、適正使用のためのステートメント発出
 - 患者・医療機関インセンティブ：保険償還可能な状態にしてALLIANCE Registryへの登録を誘引
 - 同意文書の統一：研究計画段階からレジストリのプロトコルやデータの信頼性に関してPMDAとの対面助言を実施し、患者同意文書を全機関で統一。2次利用を含めた患者同意を全例で取得。(監査証跡が取れるようなEDC構築、手順書作成の指示あり)



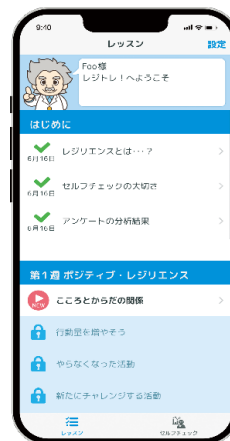
- ALLIANCE Registryは、本邦の実臨床下での冠動脈疾患に対するPCI治療におけるDCBの安全性及び有効性を確認することを目的に実施されている学会主導の国内レジストリ。
 - 対照血管径が3.0mm以上の新規冠動脈病変に対する本品の適応拡大を目的として、本研究に登録された症例のうち、バルーン径3.0mm以上の本品を使用した症例成績を用いて現在一変申請中。
- 一変申請により「**但し書き**」の解除を目指す

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 令和7年度 第2回 審査・安全業務委員会
資料2-1「令和7年度のこれまでの事業実績及び今後の取組について」より一部抜粋・改変

こころの健康の保持増進のための超個別化AIプロジェクト：完全要因ランダム化試験からliving RCTプラットフォームに至る開発研究 (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 (認知症等対策官民イノベーション実証基盤整備事業 (心の健康)))

京都大学、東京大学、統計数理研究所、名古屋市立大学、ライフツービッツ株式会社、株式会社JMDC、株式会社Godot

- うつ病をはじめとするコモンメンタルディスオーダーによる健康損失は増加しており、治療に加えて予防の重要性が高まる中、認知行動療法 (CBT) に基づくデジタル介入が注目されている。
- 本研究では、5つの認知行動スキル (行動活性化、認知再構成、問題解決、アサーション、睡眠行動療法) を学べるスマートフォンアプリ「レジトレ! Version 2.1」を開発し、その介入効果を大規模無作為割り付け比較試験 (RCT) により検証した。
- その結果、すべてのスキルで介入効果が1年後まで持続することが確認され (2025年4月 *Nature Medicine* 掲載)、さらに個人特性に応じたスキルの個別最適化により、介入効果が35%向上することが示された (2025年8月 *npj Digital Medicine* 掲載)。
- 今後、個別最適化介入を実現するプラットフォームを構築し、社会実装を進める。



◀トップ画面

自身の情報を入力することにより、個別化された認知行動的介入が行われる。



▶介入画面

行動活性化、認知再構成、問題解決、アサーション、睡眠の5つのスキルとその組み合わせが介入として割り当てられる。

2. 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

(◎経、総、文、厚)

(3) 参考

アウトプット指標		モニタリング指標		備考欄（特筆すべき事項等）	
1	権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数 (シーズの企業導出件数)	33件	<ul style="list-style-type: none"> 導出形態別の件数 権利譲渡契約件数 実施許諾契約（オプション契約は除く）件数 共同研究開発契約件数 	1件 9件 23件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出先別の件数 ベンチャー企業への導出件数（国内企業） ベンチャー企業への導出件数（外資系企業） ベンチャー以外の企業への導出件数（国内企業） ベンチャー以外の企業への導出件数（外資系企業） 	10件 1件 22件 0件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出時の開発フェーズ（開発ステージ）別の件数 非臨床試験開始以前に導出した件数 非臨床試験開始後かつ治験開始前までに導出した件数 治験開始後に導出した件数 	16件 11件 0件	
			<ul style="list-style-type: none"> 疾患領域別の導出件数 	がん：5件 生活習慣病：8件 精神・神経疾患：1件 老年医学・認知症：1件 難病：1件 成育：4件 感染症：3件 その他：10件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出内容別の件数 技術導出件数 開発候補品の導出件数 	30件 8件	
2	治験に至った件数	19件	<ul style="list-style-type: none"> 医師主導治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数） 企業治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数） 臨床性能試験の数 	12件（0件） 6件（1件） 1件	
3	優れたシーズの発展・継続支援件数	15.5件	<ul style="list-style-type: none"> ベアリングによる他事業への受け渡し件数 マッチングによる他事業への受け渡し件数 過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 	0件 0件 15.5件	
4	薬事承認・認証	—	<ul style="list-style-type: none"> 品目の性格別の承認件数 新規の承認件数 適応拡大の承認件数 海外承認・認証件数 その他 	7件 2件 2件 1件	
			<ul style="list-style-type: none"> 医療における利用形態別の件数 医薬品の承認件数（モダリティ別の内訳） 医療機器の承認・認証件数（治療用／診断用の内訳） 体外診断用医薬品の承認・認証件数 再生医療等製品の承認件数 	0件 12件（9件／3件） 0件 0件	

(3) 参考

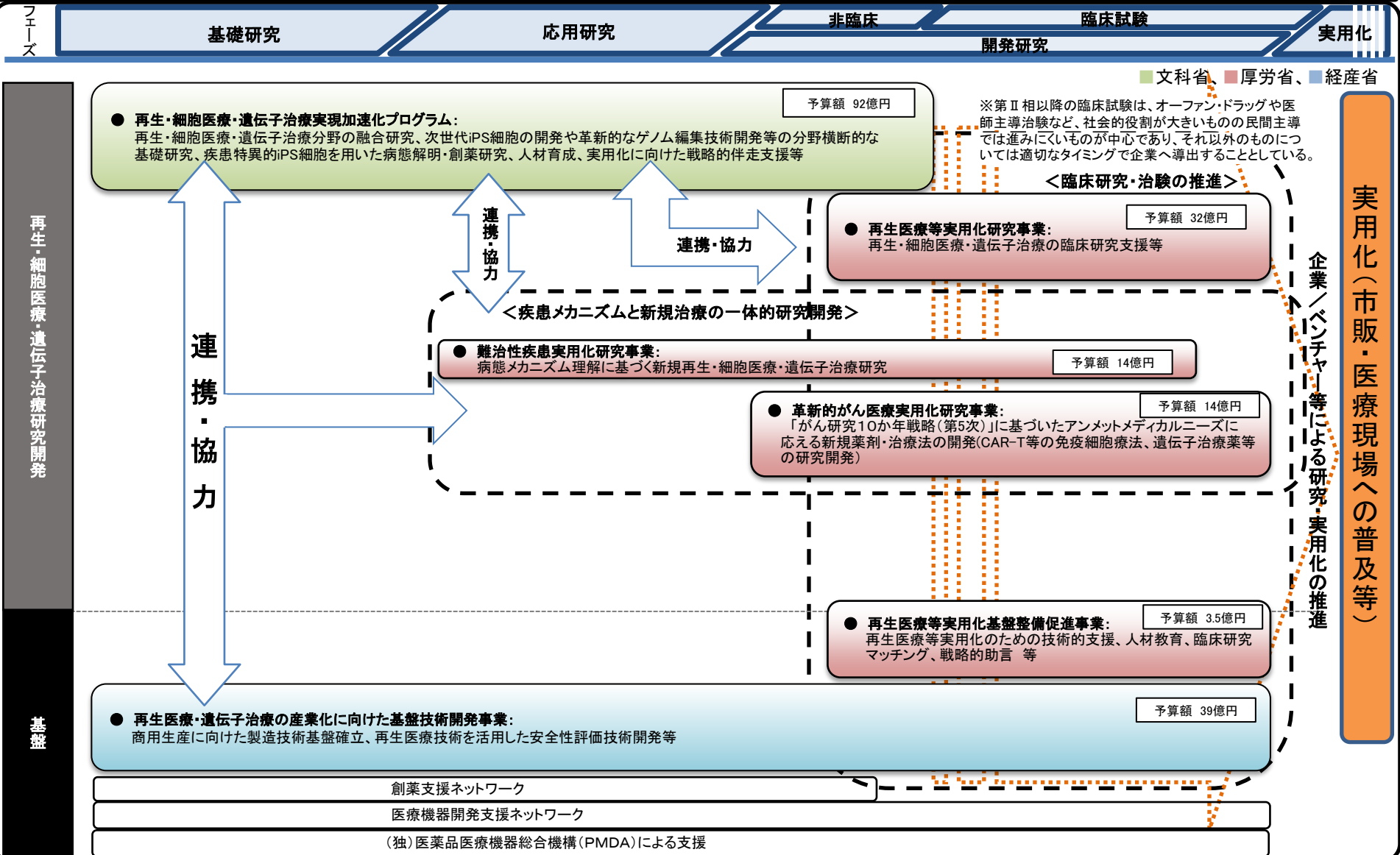
	アウトプット指標	モニタリング指標		備考欄（特筆すべき事項等）
5	医療等に実装された件数 （薬事承認・認証を除く）	—	<ul style="list-style-type: none"> ガイドライン等の策定又は改定件数 ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数 	12件 11件
6	論文数	Top1%論文数 2件	<ul style="list-style-type: none"> Top10%論文数 全論文数 	20件 264件
7	研究環境における 人的ダイバーシティ	—	<ul style="list-style-type: none"> 研究者の男女（その他）比率 	男：89.7% 女：10.3%

個々の統合プロジェクトで定めるモニタリング指標	備考欄（特筆すべき事項等）
PMDA対面助言実施件数	20件

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7年度予算額 194億円

我が国に強みがある再生医療をはじめとする再生・細胞医療・遺伝子治療分野から、新たな医療技術になりうる革新的なシーズの発掘・育成、将来的な実用化を見据えた基礎的・基盤的な研究開発の強化、新たな医療技術の臨床研究・臨床試験の推進、これらの医療技術の製品化に向けた研究開発、細胞・ベクターの製造基盤強化(国産のウイルスベクター産生細胞樹立及び産業化を含む)、我が国発の基盤技術開発及びCDMOへのノウハウ蓄積、若手研究者を含む人材育成、新規市場開拓を目指した取組等を進め、有効な技術を実用化につなげる。そのため、再生・細胞医療と遺伝子治療を一体的に取り組む融合研究の推進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



3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

iPS細胞由来の再生医療等製品(2品目)が条件及び期限付きでの製造販売承認を取得し、虚血性心筋症及びパーキンソン病を対象にiPS細胞による再生医療は実用化段階へと大きく前進した。基礎研究成果を社会実装へと結実させた世界初の画期的ブレイクスルーであり、当該分野における国際的先導性と最高水準の達成を示すものである。国産AAVベクター産生細胞(HAT細胞)の樹立により、海外依存から脱却した高効率かつ安定的な製造基盤を確立した。このHAT細胞の樹立はコスト競争力と供給安定性の観点から再生・細胞医療・遺伝子治療の産業化に直結する重要な成果であった。QbDに基づくヒト細胞加工製品製造の考え方の公開や、研究から製造への円滑な移行を支援するチェックリスト整備により、国際的にも通用する品質管理・開発基盤を構築し、事業化への明確な道筋を提示した。AMEDによる伴走型マネジメントの下、産学官連携及び事業間連携を戦略的に推進し、有望シーズの次段階展開やスタートアップ支援への接続を実現するなど全体として顕著な成果の創出や取組みが認められる。

(1) 関係府省の主な取組

- AMEDにおいて、文部科学省の「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム」の成果を、厚生労働省の「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、厚生労働省の「再生医療等実用化基盤整備促進事業」による臨床研究基盤の整備、経済産業省の「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及び他プロジェクトを含めた事業間連携を推進している。
- 厚生労働省におけるPMDA再生医療等製品インタープレターによる規制支援、文部科学省、経済産業省、厚生労働省における製造人材育成を推進した。

(2) 顕著な研究開発成果事例

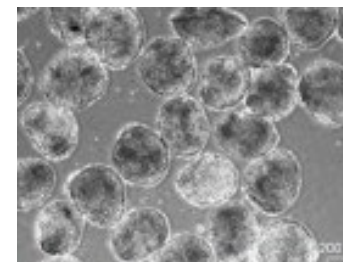
① iPS細胞由来再生医療等製品の世界初の実用化

令和8年3月6日、虚血性心筋症及びパーキンソン病を対象とした2品目のiPS細胞由来の再生医療等製品が、条件及び期限付きでの製造販売承認を取得した。この製造販売承認によって、iPS細胞由来の再生医療等製品が世界で初めて実用化されることになった。日本発の基礎研究成果が社会実装に至った画期的事例である。

- 【再生医療実現拠点ネットワークプログラム(文)】
- 【再生医療実用化研究事業(厚)】
- 【再生医療等実用化基盤整備促進事業(厚)】
- 【再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業(経)】



iPS細胞由来心筋シート



iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞

3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

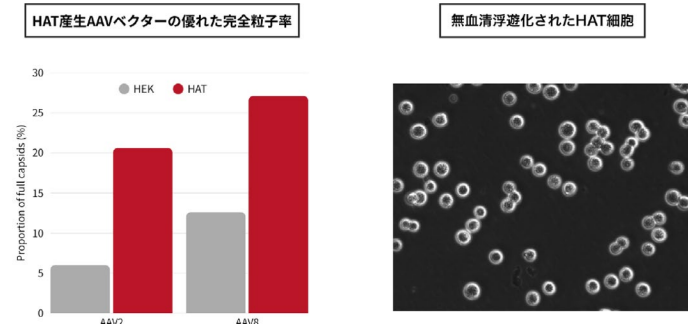
(2) 顕著な研究開発成果事例

② 国産AAVベクター産生細胞（HAT細胞）の樹立

次世代バイオ医薬品製造技術研究組合グループ（くちとせ研究所）平井研究員、〈成育医療研究センター〉中村室長、〈大阪大〉大政教授ら：MAB組合）は、安定した増殖性とAAVベクターの良好な生産性をもつ細胞株を樹立し、令和7年12月、Molecular Therapy Methods & Clinical Developmentに掲載。コスト競争力と供給安定性の観点から再生・細胞医療・遺伝子治療の産業化における製造基盤の強化に繋がる成果として期待される。

<https://www.cell.com/molecular-therapy-family/advances/fulltext/S2329-0501%2825%2900189-5>

【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(経)】

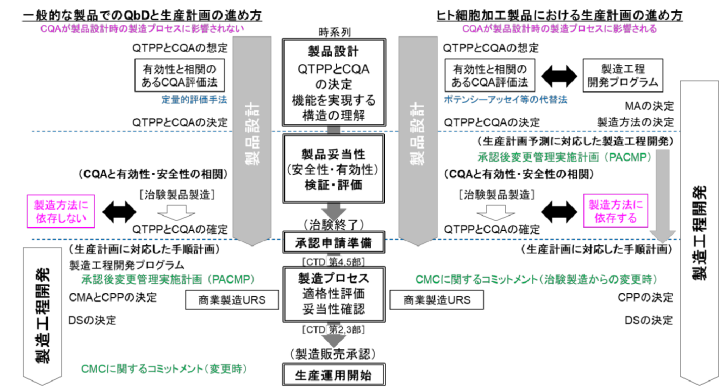


③ QbDに基づくヒト細胞加工製品製造の考え方の公開

「QbDに基づく再生医療等製品製造の基盤開発事業」において議論された、ヒト細胞加工製品の製品開発（製造工程開発）の「指南書」を令和7年4月に、エビデンスとなる研究成果「Appendix」を令和7年5月に公開。従来の医薬品製造とは全く異なる細胞加工製品開発に対し、QbD概念に基づくヒト細胞加工製品製造の実践的指針となることが期待される。

https://www-bio.eng.osaka-u.ac.jp/ps/kotozukuri_outreach.html

【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(経)】

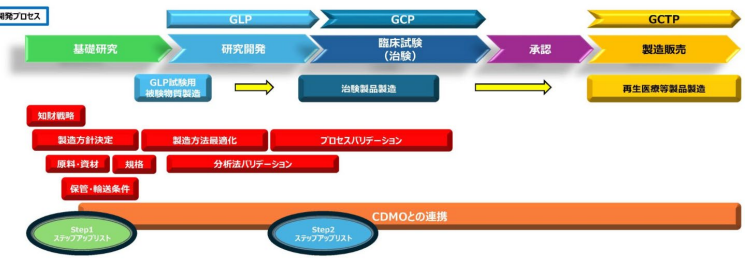


④ 製造移行を見据えたチェックリストの整備

再生医療等製品の研究開発において、製品化に向けた製造に関する課題を早期に明確にするためのチェックリストを、再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題とFIRMによる「製造タスクフォース」が協働で作成し、令和7年11月に公開。これにより、アカデミア発シーズの事業化成功の確率向上と企業導出の加速が期待される。

<https://www.saisei-support.site/outcome/155>

【再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム(文)】



3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

(3) 参考

		アウトプット指標	モニタリング指標		備考欄（特筆すべき事項等）
1	権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数 (シーズの企業導出件数)	12件	<ul style="list-style-type: none"> 導出形態別の件数 権利譲渡契約件数 実施許諾契約（オプション契約は除く）件数 共同研究開発契約件数 	0件 4件 8件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出先別の件数 ベンチャー企業への導出件数（国内企業） ベンチャー企業への導出件数（外資系企業） ベンチャー以外の企業への導出件数（国内企業） ベンチャー以外の企業への導出件数（外資系企業） 	4件 0件 8件 0件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出時の開発フェーズ（開発ステージ）別の件数 非臨床試験開始以前に導出した件数 非臨床試験開始後かつ治験開始前までに導出した件数 治験開始後に導出した件数 	11件 0件 0件	
			<ul style="list-style-type: none"> 疾患領域別の導出件数 	がん：3件 生活習慣病：4件 難病：1件 その他：4件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出内容別の件数 技術導出件数 開発候補品の導出件数 	9件 1件	
2	治験に至った件数	16件	<ul style="list-style-type: none"> 医師主導治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数） 企業治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数） 臨床性能試験の数 	13件（0件） 3件（1件） 0件	
3	優れたシーズの発展・継続支援件数	22.5件	<ul style="list-style-type: none"> ベアリングによる他事業への受け渡し件数 マッチングによる他事業への受け渡し件数 過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 	0件 0件 22.5件	
4	薬事承認・認証	—	<ul style="list-style-type: none"> 品目の性格別の承認件数 新規の承認件数 適応拡大の承認件数 海外承認・認証件数 その他 	0件 0件 0件 4件	iPS細胞由来の再生医療等製品2品目が、条件及び期限付きで製造販売承認された。
			<ul style="list-style-type: none"> 医療における利用形態別の件数 医薬品の承認件数（モダリティ別の内訳） 医療機器の承認・認証件数（治療用／診断用の内訳） 体外診断用医薬品の承認・認証件数 再生医療等製品の承認件数 	0件 0件 0件 4件	

3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

(3) 参考

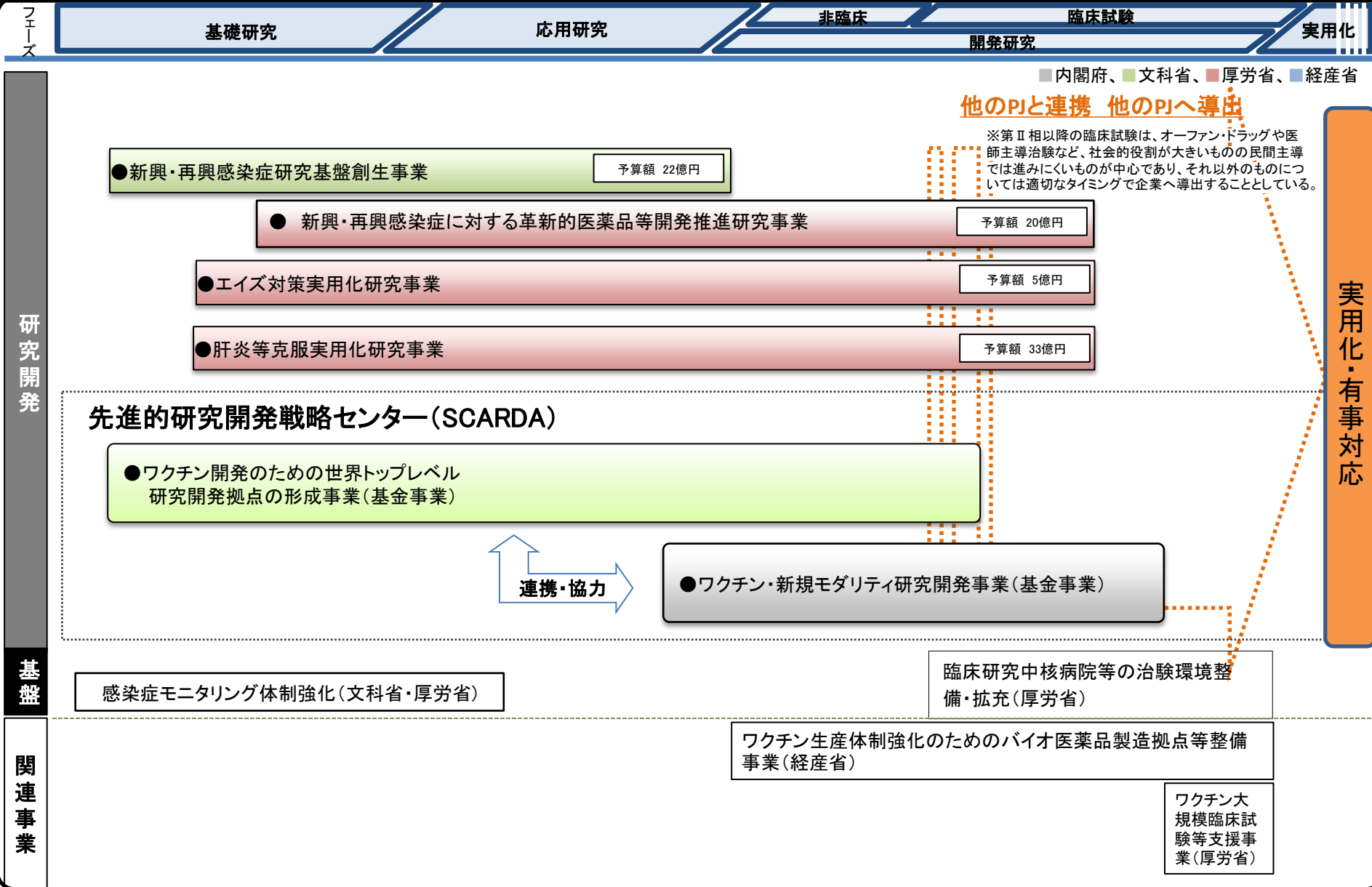
	アウトプット指標	モニタリング指標	備考欄（特筆すべき事項等）
5	医療等に実装された件数 （薬事承認・認証を除く）	—	<ul style="list-style-type: none"> ガイドライン等の策定又は改定件数 ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数 9件 1件
6	論文数	Top1%論文数 6件	<ul style="list-style-type: none"> Top10%論文数 全論文数 59件 417件
7	研究環境における 人的ダイバーシティ	—	<ul style="list-style-type: none"> 研究者の男女（その他）比率 男：94.1% 女：5.9%

個々の統合プロジェクトで定めるモニタリング指標	備考欄（特筆すべき事項等）
非臨床PoC取得件数	29件 <ul style="list-style-type: none"> 国産ゲノム編集技術CRISPR-Cas3によるトランスサイレチン遺伝子の特異的欠失に成功 2種類の免疫制御遺伝子を搭載発現した治療用ワクシニアウイルスを開発し、皮下担がんモデルマウスにおいて高い抗腫瘍効果を実証
再生医療等安全性確保法下での臨床研究件数	1件
RS 戦略相談の再生医療等製品の品質及び安全性に係る相談の対面助言件数	5件 <ul style="list-style-type: none"> 複数の事前面談及び臨床相談についても実施

4. 感染症プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
令和7年度予算額 81億円

新興・再興感染症の基礎的な研究を推進するとともに、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。また、「ワクチン開発・生産体制強化戦略」に基づき、緊急時の迅速な開発を念頭に平時からのワクチン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。



4. 感染症プロジェクト

第2期までに基礎研究から安定的、継続的に支援してきた複数の研究開発課題において、2025年度には、臨床試験を開始した課題が生じるとともに複数課題で非臨床PoCが得られている。また、2026年度には新たに臨床試験の開始が見込まれるものも出てくるなど、第3期中の薬事承認につながる事が期待される。また、企業導出に向けた支援の実施やスタートアップ企業の創出を目的とした新たな公募の実施など、出口志向性の強化の観点で、順調に進捗していると評価できる。

感染症有事において迅速なワクチンの開発・製造・実用化を行うための公募枠の新設、SCARDAと関係機関との継続的な情報共有の場の設置など、平時から感染症有事に備えた課題解決・体制整備として着実に進捗している。

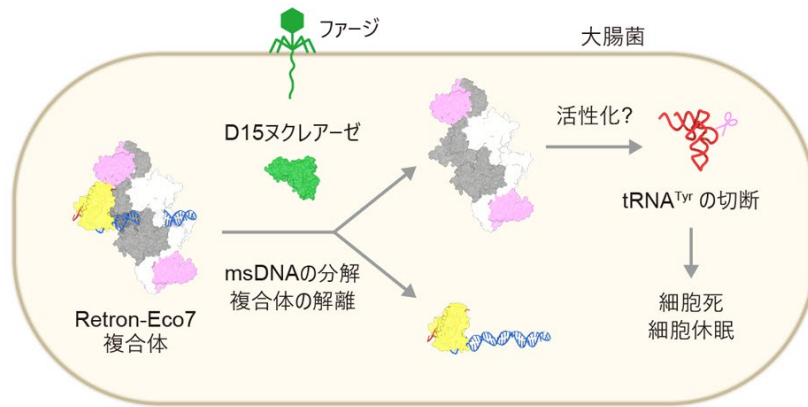
(1) 関係府省の主な取組

- 若手研究者や女性研究者の研究開発代表者としての応募の推進や、プロジェクト責任者への登用の促進等を図ることを目的とし、新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業、新興・再興感染症研究基盤創生事業、及び肝炎等克服実用化研究事業において、通常の公募枠と分けて「若手研究者」もしくは「女性研究者」のみが応募可能な枠を新たに設定した。
- 開発リスクが高く着手が難しいとされる感染症分野における開発を促進することを目的とした、新たなマイルストーン型の研究開発支援である「ヘルステック・チャレンジ」の公募を、他の領域に先駆けてスタートした。
- 新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業2課題に配分した調整費を活用し、企業導出に向けた研究開発を加速させた。
- 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の支援を受けた拠点においては、潜在的にパンデミックのリスクを有する高病原性H5N1鳥インフルエンザについて分離した株を用いたプレパンデミックワクチン製造への貢献、分離株の性状分析と備蓄ワクチン有効性の分析や、近年国内での感染リスクが高まっている重症熱性血小板減少症候群（SFTS）のワクチン開発に対する研究開発などを推進した。さらに、拠点長会議や合同シンポジウム・若手シンポジウムの開催等、拠点形成及び連携体制の構築・人材育成を強力に進めた。
- 現場の研究開発に通じたプロボストを中心とした機動的な体制により、新規課題を3件採択した。あわせて、既存課題への伴走支援により、非臨床PoC取得8件、第I相試験開始3件、第II相試験開始2件など、着実に研究開発支援を進めた。また、感染症有事対応に資する公募を開始するなど、課題解決に向けた新たな取組を進めた。
- 「ワクチン開発・生産体制強化戦略」を改定し、「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」を閣議決定した。これを踏まえ、MCM（Medical Countermeasures、感染症危機対応医薬品等）の開発及び供給を可能にする体制の構築を目指し、産学官連携による研究開発等を促進することとした。

(2) 顕著な研究開発成果事例

ファージが retron-Eco7 抗ファージ防御システムを回避するメカニズムを解明

多剤耐性菌による感染症は、新たな治療法の開発が急務である一方、多種にわたる細菌の多様な防御システムが導入ファージの感染を阻害し、治療効果を妨げる課題がある。本研究課題では細菌が持つ抗ファージ防御システムの分子メカニズムの解明に成功し、ファージ療法によりこれまで殺菌が困難だった細菌に対しても、有効に作用させることが可能となった (Nature Communications 2025)。そこで調整費措置により、非臨床安全性試験を早期に実施し、ファージ製剤の製造、供給体制の構築及び特定臨床研究を実施する体制の整備等を進めることで、患者毎に特定の細菌感染に最も効果的なファージを選択し治療を行う個別化ファージ療法について、日本で初めての実用化に向けた重点的な支援を行った。



【抗ファージ防御システムの分子メカニズム】

ファージが細菌（左図では大腸菌）に感染すると、D15ヌクレアーゼにより細菌中に存在するRetron-Eco7複合体のmsDNAを分解し、この複合体から毒性タンパク質が分離する。

この毒性タンパク質は、細菌中のtRNA^{Tyr}を切断し、細菌の細胞死等を誘導することで、細菌内でのファージの増殖を止める機能がある。その結果、細菌による抗ファージ防御が達成される。

(3) 参考

アウトプット指標		モニタリング指標		備考欄（特筆すべき事項等）	
1	権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数 (シーズの企業導出件数)	13件	<ul style="list-style-type: none"> 導出形態別の件数 権利譲渡契約件数 実施許諾契約（オプション契約は除く）件数 共同研究開発契約件数 	0件 1件 12件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出先別の件数 ベンチャー企業への導出件数（国内企業） ベンチャー企業への導出件数（外資系企業） ベンチャー以外の企業への導出件数（国内企業） ベンチャー以外の企業への導出件数（外資系企業） 	4件 0件 9件 0件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出時の開発フェーズ（開発ステージ）別の件数 非臨床試験開始以前に導出した件数 非臨床試験開始後かつ治験開始前までに導出した件数 治験開始後に導出した件数 	9件 1件 0件	
			<ul style="list-style-type: none"> 疾患領域別の導出件数 	がん：2件 感染症：11件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出内容別の件数 技術導出件数 開発候補品の導出件数 	8件 2件	
2	治験に至った件数	9件	<ul style="list-style-type: none"> 医師主導治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数） 企業治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数） 臨床性能試験の数 	2件（0件） 7件（3件） 0件	
3	優れたシーズの発展・継続支援件数	10.5件	<ul style="list-style-type: none"> ペアリングによる他事業への受け渡し件数 マッチングによる他事業への受け渡し件数 過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 	3件 0件 7.5件	
4	薬事承認・認証	—	<ul style="list-style-type: none"> 品目の性格別の承認件数 新規の承認件数 適応拡大の承認件数 海外承認・認証件数 その他 	1件 0件 0件 0件	
			<ul style="list-style-type: none"> 医療における利用形態別の件数 医薬品の承認件数（モダリティ別の内訳） 医療機器の承認・認証件数（治療用／診断用の内訳） 体外診断用医薬品の承認・認証件数 再生医療等製品の承認件数 	0件 0件 1件 0件	

(3) 参考

		アウトプット指標	モニタリング指標		備考欄 (特筆すべき事項等)
5	医療等に実装された件数 (薬事承認・認証を除く)	—	<ul style="list-style-type: none"> ガイドライン等の策定又は改定件数 ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数 	20件 2件	
6	論文数	Top1%論文数 46件	<ul style="list-style-type: none"> Top10%論文数 全論文数 	189件 1,834件	
7	研究環境における 人的ダイバーシティ	—	<ul style="list-style-type: none"> 研究者の男女 (その他) 比率 	男: 92.3% 女: 7.7%	

個々の統合プロジェクトで定めるモニタリング指標		備考欄 (特筆すべき事項等)
非臨床PoC取得件数	37件	

5. データ利活用・ライフコースプロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
令和7年度予算額 200億円

インハウス研究機関経費
令和7年度予算額 18億円

がん、難病、認知症等の疾患レジストリ、ゲノム・コホート研究の成果や検体情報のデジタル化の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。

■文科省、■厚労省、■経産省、■文科省、■厚労省、■総務省、■こども家庭庁

ゲノム・医療情報基盤を活用した研究

ゲノム情報を活用した研究

- **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による創薬、個別化医療、早期診断等に向けた治療法や医療機器開発、研究
予算額 50億円
- **難治性疾患実用化研究事業:**
難病のゲノム・臨床データ等の基盤整備・利活用の推進による自然歴の解明、新たな診断方法の実装等に向けたエビデンスを創出し、ゲノム医療、個別化医療の実現を推進
予算額 44億円

がん・難病全ゲノム解析等実行プログラム (事業間連携)

医療情報基盤を活用した研究

- **メディカルアーツ研究事業**
- **医工連携・人工知能実装研究事業**
- **「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業**
- **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(身体・知的・感覚器障害分野)**
予算額 10億円

研究の推進
研究基盤の利活用促進

ユーザビリティのフィードバック
解析データの登録

データ統合利活用プラットフォームの整備

- **健康・医療研究開発データ統合利活用プラットフォーム事業:**
ゲノム情報をはじめAMED事業で収集されるデータの利活用基盤の構築
予算額 7.9億円
※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):**
一般住民ゲノムコホート・バイオバンク構築し、ゲノム研究基盤を整備
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):**
多様な疾患の試料・情報を有する疾患バイオバンクを構築し、ゲノム研究基盤を整備
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

- **医療高度化に資するPHRデータ流通基盤構築事業(第2期)** 予算額 3億円
- **ゲノム創薬基盤推進研究事業:**全ゲノム情報等を活用した新規創薬ターゲットの探索等のための情報基盤の整備 予算額 3.2億円
- **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 7.3億円

- **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 / 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 / 女性の健康の包括支援実用化研究事業 / 障害者対策総合研究開発事業(精神障害分野) / 慢性的痛み解明研究事業 / 長寿科学研究開発事業 (成育疾患克服等総合研究事業)**
予算額 40億円

他のプロジェクトの研究へ展開・連携

1. 医薬品プロジェクト
 2. 医療機器・ヘルスケアプロジェクト
 3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
 4. 感染症プロジェクト
- 等

ゲノム医療情報基盤研究開発

データ利活用基盤

ライフコース

5. データ利活用・ライフコースプロジェクト

データ駆動型研究を通じて、新たな仮説・方向性創出やライフコースを俯瞰した研究から、疾患・健康状態の変化と、介入の意義を説明できる研究成果創出を推進した。また革新的なシーズの創出及び出口志向のマネジメントにも取り組み、令和7年度末の実績から勘案すると令和11年度末の目標達成は全項目において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。

(1) 関係府省の主な取組

- ・ 文部科学省では、バイオバンクの利活用を促進し、革新的な創薬等につなげるため、我が国の強みを生かした大規模ゲノムデータ基盤を構築するとともに、疾患及び一般住民のバイオバンクが協働し医療・創薬・ヘルスケアなどの社会実装を加速するための研究を実施した。
- ・ 厚生労働省では、革新的がん医療実用化研究事業と難治性疾患実用化研究事業の事業間連携の取組である「がん・難病全ゲノム解析等実行プログラム」において、大規模データの構築と全ゲノム解析等の臨床的有用性に関する研究を推進した。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。こども家庭庁では、成育疾患実用化研究事業において、新たな診断法の開発等を推進した。
- ・ 文部科学省と厚生労働省においては、既存のゲノム情報基盤を創薬等出口に繋げるべく、両省の事業を一体化し、複数年度にわたり年度当初から調整費を措置する取組を実施。令和8年度から後継事業において、データ駆動型研究を強力に進め、創薬等の出口への加速を推進する。
- ・ 文部科学省、厚生労働省、経済産業省においては、「AMEDデータ利活用プラットフォーム(CANNDs)」の連携データを拡充(オミックスデータ等)するとともに、認知症の脳画像を含む臨床情報へのデータ拡充に向けた大規模改修を開始し、利活用を進める取組を推進した。また、AMEDデータ利用申請管理システムを導入し、各種申請受付・審査の電子化による手続きの効率化及び利用者の利便性向上を図った。

(2) 顕著な研究開発成果事例

ゲノム基盤活用研究の推進

(ゲノム研究を創薬等出口に繋げる研究開発)

15課題を採択し、民間企業19社との協業を含む異業種・異分野連携の下、既存のゲノムデータ基盤を利活用し、12種類の医薬品、6種類の医療機器、7種類の研究支援システムについて、今後の開発に繋がる研究成果が得られた。

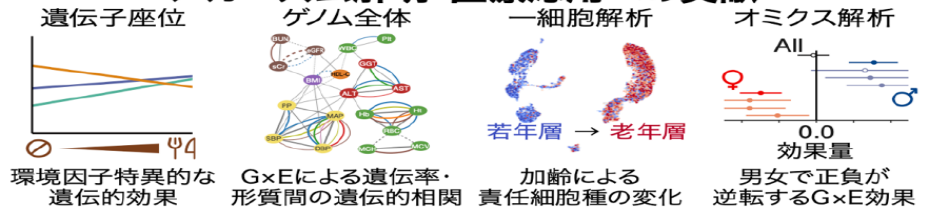
国際バイオバンク横断解析でゲノムと環境の相互作用を解明ー相互作用のメカニズム解明・個別化医療・創薬に貢献ー(ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム)

世界最大規模の約98万例を解析し、遺伝子と環境の相互作用(G×E)が人類に普遍的に存在することを示した(Natureに掲載)。脂質代謝遺伝子CETPの効果は性差に依存し、CETP阻害薬の効果は性差で逆転すること等を明らかにし、攻めの予防医療に向けた性差に由来するヘルスケアの推進に資するデータとして成果の活用が期待される。

医薬品		疾患	用途	技術	医療機器
疾患	モダリティ	循環器疾患	診断	ウェアラブルデバイス	
循環器疾患	新規化合物治療薬	心血管障害	診断	画像AI	
循環器疾患	遺伝子治療薬	がん全般	診断	リキッドバイオシー・AI	
循環器疾患	ワクチン	がん全般	予防	リキッドバイオシー・AI	
循環器疾患	核酸医薬	肝がん	診断	バイオマーカ	
精神疾患	新規化合物治療薬	血液がん	診断	画像AI	
精神疾患	既存薬適用拡大	疾患	用途	技術	
血液がん	コンパニオン診断薬	精神疾患	薬効検証	iPS	
リンパ腫	新規化合物治療薬	精神疾患	薬効検証	eQTL	
がん全般	ワクチン	精神疾患	創薬シーズ探索支援	全脳リン酸化マップ	
大腸がん	抗体医薬	がん全般	薬効検証	マウスPDXモデル	
		がん全般	病理診断支援	画像AI	
		がん全般	パネル研究支援	マルチオミックス	
		がん全般	がん免疫療法最適化	質量分析	

創薬研究支援システム

メカニズム解明・医療応用への貢献



5. データ利活用・ライフコースプロジェクト

(3) 参考		アウトプット指標	モニタリング指標	備考欄 (特筆すべき事項等)	
1	権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数 (シーズの企業導出件数)	20件	<ul style="list-style-type: none"> 導出形態別の件数 権利譲渡契約件数 実施許諾契約(オプション契約は除く)件数 共同研究開発契約件数 導出先別の件数 ベンチャー企業への導出件数(国内企業) ベンチャー企業への導出件数(外資系企業) ベンチャー以外の企業への導出件数(国内企業) ベンチャー以外の企業への導出件数(外資系企業) 導出時の開発フェーズ(開発ステージ)別の件数 非臨床試験開始以前に導出した件数 非臨床試験開始後かつ治験開始前までに導出した件数 治験開始後に導出した件数 疾患領域別の導出件数 導出内容別の件数 技術導出件数 開発候補品の導出件数 	0件 14件 19件 3件 1件 16件 0件 13件 6件 1件 がん:7件 生活習慣病:5件 精神・神経疾患:2件 難病:3件 成育:2件 その他:1件 12件 7件	
2	治験に至った件数	18件	<ul style="list-style-type: none"> 医師主導治験の治験計画届の届出数(うち国際共同治験数) 企業治験の治験計画届の届出数(うち国際共同治験数) 臨床性能試験の数 	16件(1件) 2件(2件) 0件	循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業において、慶應義塾と、産業医科大学、岐阜大学、株式会社グレースイメージングの共同研究グループは、外来の心不全患者に対する未来型運動支援・教育啓発プログラム(SaMD)の探索的医師主導治験(多施設共同ランダム化比較試験)を実施し、その有効性と安全性を確認した。本治験は、慶應義塾大学病院臨床研究推進センターの支援のもと、慶應義塾大学病院を含む3施設で実施された。
3	優れたシーズの発展・継続支援件数	25.5件	<ul style="list-style-type: none"> ペアリングによる他事業への受け渡し件数 マッチングによる他事業への受け渡し件数 過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 	0件 0件 25.5件	
4	業事承認・認証	—	<ul style="list-style-type: none"> 品目の性格別の承認件数 新規の承認件数 適応拡大の承認件数 海外承認・認証件数 その他 医療における利用形態別の件数 医薬品の承認件数(モダリティ別の内訳) 医療機器の承認・認証件数(治療用/診断用の内訳) 体外診断用医薬品の承認・認証件数 再生医療等製品の承認件数 	4件 0件 1件 0件 0件 0件 0件 2件(0件/2件) 3件 0件	

5. データ利活用・ライフコースプロジェクト

(3) 参考

		アウトプット指標	モニタリング指標	備考欄 (特筆すべき事項等)
5	医療等に実装された件数 (薬事承認・認証を除く)	—	<ul style="list-style-type: none"> ガイドライン等の策定又は改定件数 ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数 	51件 3件
6	論文数	Top1%論文数 51件	<ul style="list-style-type: none"> Top10%論文数 全論文数 	283件 2,297件
7	研究環境における 人的ダイバーシティ	—	<ul style="list-style-type: none"> 研究者の男女(その他)比率 	男:89.2% 女:10.8%

個々の統合プロジェクトで定めるモニタリング指標		備考欄 (特筆すべき事項等)
データ基盤構築の状況 (データの蓄積・統合・連携および解析・実装を行った課題数)	125件	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・先端ゲノム研究開発)において、約98万例を対象に、47の疾患・形質と12の環境因子の全組合せについて網羅的解析を実施し、遺伝子と環境の相互作用(G×E)が人類に普遍的に存在することを明らかにした。さらに、本研究で得られたデータセットをNBDCに公開した(https://humandbs.dbcls.jp/hum0197-v26-374)。本成果により、攻めの予防医療に向けた性差に基づくヘルスケア推進に資するデータを創出・公開し、疾患の分子メカニズムの解明および、ゲノムと環境因子の双方を考慮した精緻なゲノム個別化医療の実現に貢献した。
アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績 (分譲可能な試料数/情報数、共同研究または分譲実施数等)	142件	ゲノム創薬基盤推進研究事業において、核酸医薬品の安全性評価に最適な、正確性、網羅性、高速性を兼ね備えた類似配列検索をオフライン環境で実現するD3G(Database for Drug Development based on genome and RNA sequences)を構築し、市販の高速塩基配列検索ツールへの実装まで至った。本ツールは、これまでに国内で承認された7種の核酸医薬品のうち6種において、PMDA審査時のハイブリダイゼーションに起因するオフターゲット安全性評価に活用されていることから、今後同成果も日本発核酸医薬品の製品化および実用化の促進に貢献することが期待される。
新たな疾患発症メカニズム解明の件数	46件	難治性疾患実用化研究事業において、希少難治性疾患である指定難病ネフロン癆について、ヒトiPS細胞から作ったNPHP1欠損腎オルガノイドを用いて、病気の特徴である線維化を再現する疾患モデルを世界で初めて確立。線維化を引き起こす仕組みを解明し、Hippoシグナル阻害剤が線維化を抑える有望な治療薬候補となることを示し、治療法開発に繋がる重要な成果を得た。 また、同事業において、Ritscher-Schinzel症候群の発症メカニズムがSNX17/Commander/WASH膜タンパク質リサイクル経路の機能異常により発症する「recyclinopathy」であることを世界で初めて統合的に解明した。
新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数	35件	
臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数	18件	腎疾患実用化研究事業において、血液中を循環する小型細胞外小胞に含まれるマイクロRNAに注目し、慢性腎臓病(以下、「CKD」という。)および心血管合併症の長期的なリスクを高精度で予測する新技術を開発した。開発した予測モデルは、腎機能、尿蛋白など従来の指標を上回り、CKDの原因疾患の種類や心血管疾患の有無にかかわらず有効であった。本研究は、心血管・腎・代謝症候群の概念にも通じるものであり、腎臓病を軸とした臓器連関による全身疾患のメカニズム解明に貢献する重要な知見であるため、CKDと心血管疾患の病態解明・個別化医療への貢献が期待される。
疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の実用化件数	4件	免疫アレルギー疾患実用化研究事業において、関節リウマチ(rheumatoid arthritis; RA)患者アンメットニーズの克服に向け、全ゲノム・シングルセルシーケンスを主軸としたRAオミクス情報の構築と、層別化された病態に基づく個別化医療の実現を目的とし、国内外のRA患者コホートおよびバイオバンク機構の横断的連携によりRAオミクス・臨床情報データベースを構築し、多層的なオミクス解析を実施した。

6. シーズ開発・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7年度予算額 214億円

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。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床試験

実用化

開発研究

■ 内閣府、文科省、厚労省、経産省、■ 文科省、■ 厚労省、■ 経産省

アカデミアシーズの創出

シーズ研究

● 革新的先端研究開発支援事業
アカデミア連携によるシーズの創出・育成研究
予算額 110億円

● 脳神経科学統合プログラム
予算額 65億円

● ムーンショット型研究開発事業(基金事業)
予算額 3億円

他PJの研究と連携
他のPJや企業等へ導出

実用化(企業等)

国際事業(35億円)

国際

● 医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業
予算額 9億円

● 地球規模保健課題解決推進のための研究事業
予算額 2億円

● ヒューマン・フロンティア・サイエンス・プログラム
予算額 23億円

● 先端国際共同研究推進プログラム(基金事業)

創薬支援ネットワーク

医療機器開発支援ネットワーク

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

6. シーズ開発・基礎研究プロジェクト

画期的シーズ創出に向け、研究者ニーズを踏まえた基礎研究の深化、実用化を見据えたWトラックの取組と課題マネジメントの強化を進めるとともに、PJ・事業間連携、国際連携の推進、共通基盤の活用等を促進し、顕著な基礎研究成果を創出した。ムーンショット目標7の達成に向け、ポートフォリオの戦略的な改訂・見直しや、認知症ワークショップによる連携促進等に取り組み、実用化が期待できる研究成果を創出するとともに、大阪・関西万博でのイベント開催等、認知度向上等に努めた。また、SATREPSにおいて、住血吸虫症の制圧・排除へ向けて環境水中のDNAを高速・簡便・電源不要で濃縮できる新手法を開発、製品販売を開始し、国際共同研究による地球規模課題の解決に資する成果の実用化を実現した。さらに、ASPIREにおいて研究者の海外派遣等の取組により、国際頭脳循環及び研究ネットワーク構築を推進した。以上により、全体として顕著な成果の創出や取組みが認められる。

(1) 関係府省の主な取組

- 革新的先端研究開発支援事業において、文部科学省では、「核酸フロンティア」に係る研究開発目標を新たに設定した。核酸機能再定義、多階層統合解析、核酸テクノロジーの進化を柱に、革新的な核酸創薬等につながる基礎研究を推進し、我が国の健康寿命の延伸と国際競争力の強化を目指す。PJ・事業間連携により、実用化支援説明会を開催する等、課題マネジメントを強化し、基礎研究の深化と実用化推進に向け取り組んだ。
- 脳神経科学統合プログラムにおいて、ヒトの高次脳機能の解明や、ヒト脳の数理モデルや病態モデルの開発、デジタル空間上での再現等に向け、中核拠点を通じ、神経疾患・精神疾患の画期的な診断・治療・創薬等シーズ開発に向けた基礎研究を推進した。ウイルスベクターの提供体制の構築や、実用化を促進するための相談窓口や教育・研修体制を整備し、研究者の実用化意識等の向上を図るなど、社会に貢献する脳科学を目指し取組を推進した。
- ムーンショット型研究開発事業においては、運用・評価指針に基づく5年目の外部評価を実施し、1課題を終了とするなどポートフォリオの戦略的な改訂・見直しを行った。事業全体として計画を超えた進捗が確認されたことから、健康・医療戦略推進本部において目標の継続を決定した。
- 先端国際共同研究推進プログラム（ASPIRE）において、事業中間評価を実施した。総合評価はS（大変優れている）であり、今後も顕著な成果が期待され、その好循環を広く根付かせるためにはASPIREの継続が肝要であるとされた。令和7年度補正予算措置により、科学技術動向等を踏まえて領域名・領域設定の考え方を改定し、引き続き、国際頭脳循環及び研究ネットワーク構築の促進を図る。

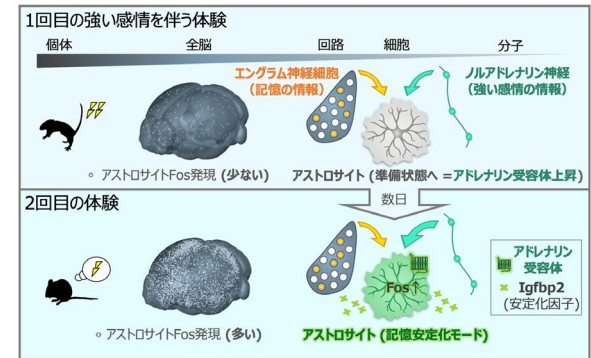
6. シーズ開発・基礎研究プロジェクト

(2) 顕著な研究開発成果事例

① 思い出を「選んで残す」メカニズムを解明

ー記憶の「安定化スイッチ」として働く意外な細胞ー

理化学研究所の長井淳チームディレクター、九州大学の増田隆博主幹教授らのグループは、神経細胞と密接に連携して情報処理に参与するグリア細胞の一種であるアストロサイトが、強い感情を伴う体験を、その後数日間にわたって分子レベルの「痕跡」として残し、2回目の体験時にそれを記憶として選び取り定着させる「安定化スイッチ」として働くことを初めて明らかにした。感情と記憶の結び付きは、うつや心的外傷後ストレス障害（PTSD）など多くの精神疾患と関係があることから、本研究成果は、「記憶を和らげる」あるいは「選んで残す」といった治療に応用できる可能性があり、医療や社会への波及効果も期待される。【革新的先端研究開発支援事業（文）】



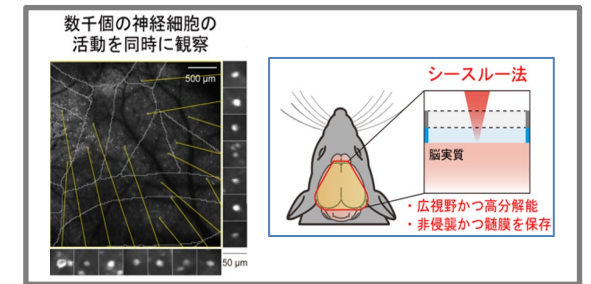
図：「安定化スイッチ」として機能するアストロサイト

② 生きているマウスの頭蓋骨を簡便かつ高度に透明化する新技術「シースルー法」を開発

新潟大学 田井中一貴教授らのグループでは、脳内のニューロンや神経ネットワークを非侵襲的にライブ観察可能にする新技術を開発し、本技術に調整費を充当して企業導出に向け研究開発を加速した。

従来法に比べ脳の炎症や物理的ダメージを大幅に抑え得るため、よりいっそう様々な行動や病態における脳内情報処理の理解が進むと期待される。

【脳神経科学統合プログラム（文）】



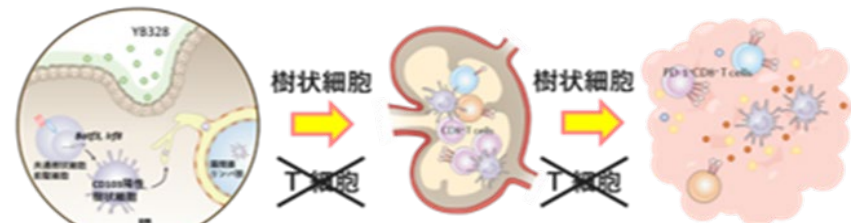
図：シースルー法による脳の観察画像

③ がん免疫薬に効果のある腸内細菌YB328株の同定

免疫チェックポイント阻害薬の治療効果を高める新たな腸内細菌の同定、培養及び作用メカニズムの解明に成功した。

本成果は、国立がんセンター発ベンチャーに導出し、社会実装を目指している。

【ムーンショット型研究開発事業（健）】



図：YB328作用機序

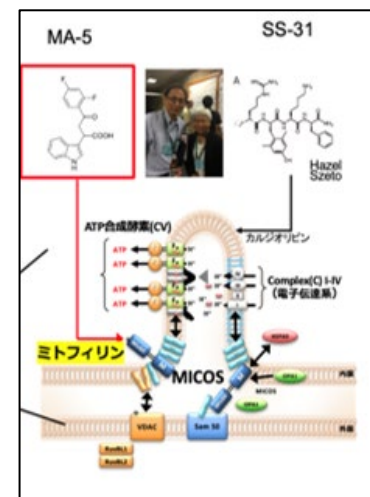
6. シーズ開発・基礎研究プロジェクト

(2) 顕著な研究開発成果事例

④ ミトコンドリア機能改善薬MA-5の第Ⅱ相臨床試験の開始

ミトコンドリア病及び難聴の治療薬の承認を目指し、臨床試験を行っている。第Ⅰ相臨床試験において安全性が確認されたことから、他のAMED事業（PJ1：臨床研究・治験推進事業）につなげ、難聴を伴うミトコンドリア病患者を対象とする第Ⅱ相臨床試験を、国内の4医療機関で令和7年12月から開始した。

【ムーンショット型研究開発事業（健）】

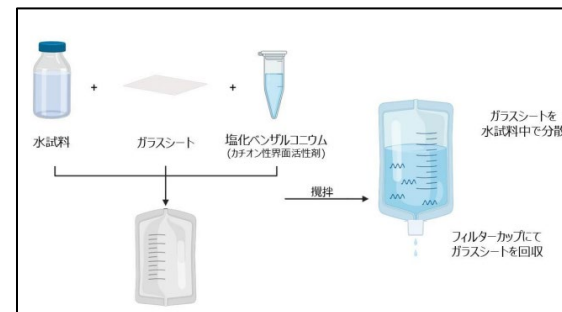


図：MA-5作用機序

⑤ 住血吸虫症の制圧・排除へ向けた新手法の開発及び製品販売の開始

ケニアとの共同研究で進めている住血吸虫症の制圧・排除へ向けた研究開発において、環境水中のDNAを高速・簡便・電源不要で濃縮できる新手法を開発し、製品販売を開始した。感染症の感染伝播モニタリングの強力なツールとして活用されることが期待される。

【地球規模課題対応国際科学技術協力プログラム（SATREPS）（文）】

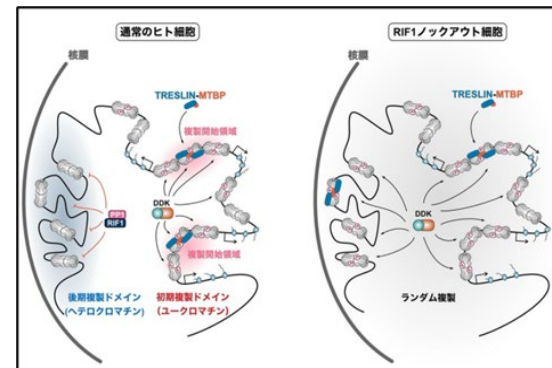


図：環境水中のDNA新濃縮法の概要図

⑥ ヒト細胞ゲノムのDNA複製開始位置とタイミングを決める仕組みを解明

ヒト細胞ゲノムの複製開始位置を高精度に検出する新技術を開発し、ヒト細胞は転写中の遺伝子を除けば、ゲノムのほぼどこからでも複製を開始できる柔軟な仕組みを持つことを初めて解明した。本成果により、DNA複製異常に関連するがんや老化、遺伝病の理解に新たな道を拓くとともに、将来のDNA複製の人工的制御技術の開発にもつながることが期待される。

【先端国際共同研究推進プログラム（ASPIRE）（文）】



図：複製タイミングが機能する仕組み

6. シーズ開発・基礎研究プロジェクト

(3) 参考

		アウトプット指標	モニタリング指標		備考欄（特筆すべき事項等）
1	権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数 (シーズの企業導出件数)	13件	<ul style="list-style-type: none"> 導出形態別の件数 権利譲渡契約件数 実施許諾契約（オプション契約は除く）件数 共同研究開発契約件数 導出先別の件数 ベンチャー企業への導出件数（国内企業） ベンチャー企業への導出件数（外資系企業） ベンチャー以外の企業への導出件数（国内企業） ベンチャー以外の企業への導出件数（外資系企業） 導出時の開発フェーズ（開発ステージ）別の件数 非臨床試験開始以前に導出した件数 非臨床試験開始後かつ治験開始前までに導出した件数 治験開始後に導出した件数 疾患領域別の導出件数 導出内容別の件数 技術導出件数 開発候補品の導出件数 	2件 5件 6件 3件 2件 7件 1件 8件 3件 0件 がん：1件 生活習慣病：1件 精神・神経疾患：4件 難病：2件 成育：2件 その他：3件 8件 3件	<ul style="list-style-type: none"> 免疫チェックポイント阻害薬の効果を高める腸内細菌YB328を見出し企業に導出（ムーンショット・西川先生） 神経変性疾患の原因となるミスフォールドタンパク質の分解に関わる酵素を同定、筋萎縮性側索硬化症（ALS）患者のiPS細胞由来運動ニューロンの異常が改善することを示した。老化関連疾患に対する新薬創出を目指すスタートアップと共同研究を開始。（革新先端・中西先生）
2	治験に至った件数	5件	<ul style="list-style-type: none"> 医師主導治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数） 企業治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数） 臨床性能試験の数 	3件（1件） 2件（0件） 0件	<ul style="list-style-type: none"> ミトコンドリア病に対する医師主導治験（Phase2）を開始。（ムーンショット・阿部先生） CPP吸着カラムの臨床研究を実施、企業治験につなげた。（革新先端・黒尾先生）
3	優れたシーズの発展・継続支援件数	17.5件	<ul style="list-style-type: none"> ペアリングによる他事業への受け渡し件数 マッチングによる他事業への受け渡し件数 過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 	0件 0件 17.5件	

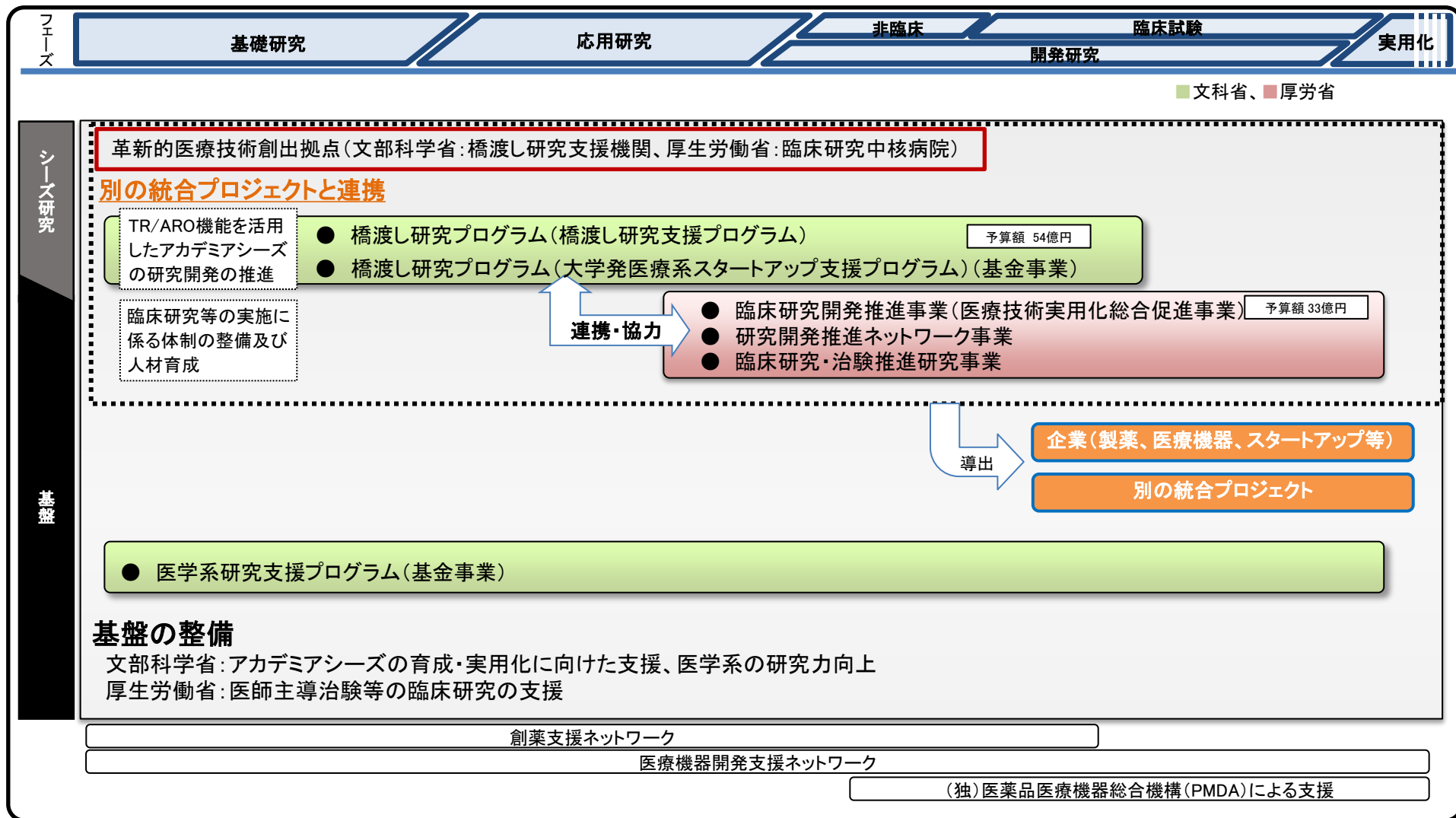
(3) 参考

		アウトプット指標	モニタリング指標		備考欄（特筆すべき事項等）
4	薬事承認・認証	—	<ul style="list-style-type: none"> 品目の性格別の承認件数 新規の承認件数 適応拡大の承認件数 海外承認・認証件数 その他 	0件 0件 3件 0件	
			<ul style="list-style-type: none"> 医療における利用形態別の件数 医薬品の承認件数（モダリティ別の内訳） 医療機器の承認・認証件数（治療用／診断用の内訳） 体外診断用医薬品の承認・認証件数 再生医療等製品の承認件数 	0件 2件（1件／1件） 1件 0件	
5	医療等に実装された件数 （薬事承認・認証を除く）	—	<ul style="list-style-type: none"> ガイドライン等の策定又は改定件数 ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数 	8件 0件	SATREPSにおけるクリミア・コンゴ出血熱対策、マラリア対策に関する研究成果がそれぞれトルコ政府、ラオス政府の政策方針に反映された。
6	論文数	Top1%論文数 40件	<ul style="list-style-type: none"> Top10%論文数 全論文数 	279件 1,945件	
7	研究環境における 人的ダイバーシティ	—	<ul style="list-style-type: none"> 研究者の男女（その他）比率 	男：86.6% 女：13.4%	

7. 橋渡し・臨床加速化プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費
令和7年度予算額 86億円

「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引き続き実施するとともに、医療への実用化を加速するため、医療系スタートアップ伴走支援等の取組を強化する。さらに、研究者の研究活動と大学病院・医学部としての研究環境改善に係る取組とを一体的に支援することにより、医学系研究の研究力を強化する新たな事業を創設する。



7. 橋渡し・臨床加速化プロジェクト

国際的な競争力獲得のための臨床試験等の研究開発、治験 DX、DCTの推進に取り組むとともに、FIH 試験実施に向けた支援を充実するため、橋渡し研究支援機関の活用・強化を図った。また、橋渡し研究支援機関を核とした異分野融合及び産学連携による研究開発の推進、アカデミア等の優れた研究シーズの発掘、臨床研究・実用化への効率的な橋渡し研究を推進した。さらに、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推進した。

(1) 関係府省の主な取組

- 「革新的医療技術創出拠点」の機能を活用し、文部科学省の橋渡し研究プログラムと厚生労働省の医療技術実用化総合促進事業の一体的な連携体制の整備を進め、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引き続き実施した。また、医療系スタートアップ伴走支援等の取組を強化した。
- 文部科学省において、令和6年度補正予算で基金を造成した医学系研究支援プログラムでは、AMEDにより採択課題を決定し、国家戦略上重要な研究課題に取り組む研究者の研究活動と、大学病院・医学部としての研究環境改善に係る取組の一体的な支援を開始した。

(2) 顕著な研究開発成果事例

【薬事承認申請】「医療用キトサンゲル」で慢性副鼻腔炎の術後治療の痛みを解消

～狭小空間内の創傷治癒を目的とした新しい概念の被覆材～

鹿児島大学のグループは患部注入可能なキトサンゲルによる創傷被覆材を開発し、開発代表者のベンチャー企業より令和8年1月に薬事承認申請した。

令和6年度より橋渡し研究支援機関（京都大学）がプロジェクト管理、PMDA相談、薬事対応の支援を実施している。

【橋渡し研究支援プログラム】

【資金調達】 CrestecBio社 1.5億円の資金調達を実施

医療系スタートアップ支援拠点（筑波大学）が採択し、支援するスタートアップ（シーズS2）において、令和7年12月にVCから資金調達を実施した。

【大学発医療系スタートアップ支援プログラム】



LINK-J HPのイベントレポート
(<https://www.link-j.org/report/post-7384.html>) (講演資料)より引用



2025.12.9 CrestecBio株式会社のプレスリリースに基づき作成

(3) 参考

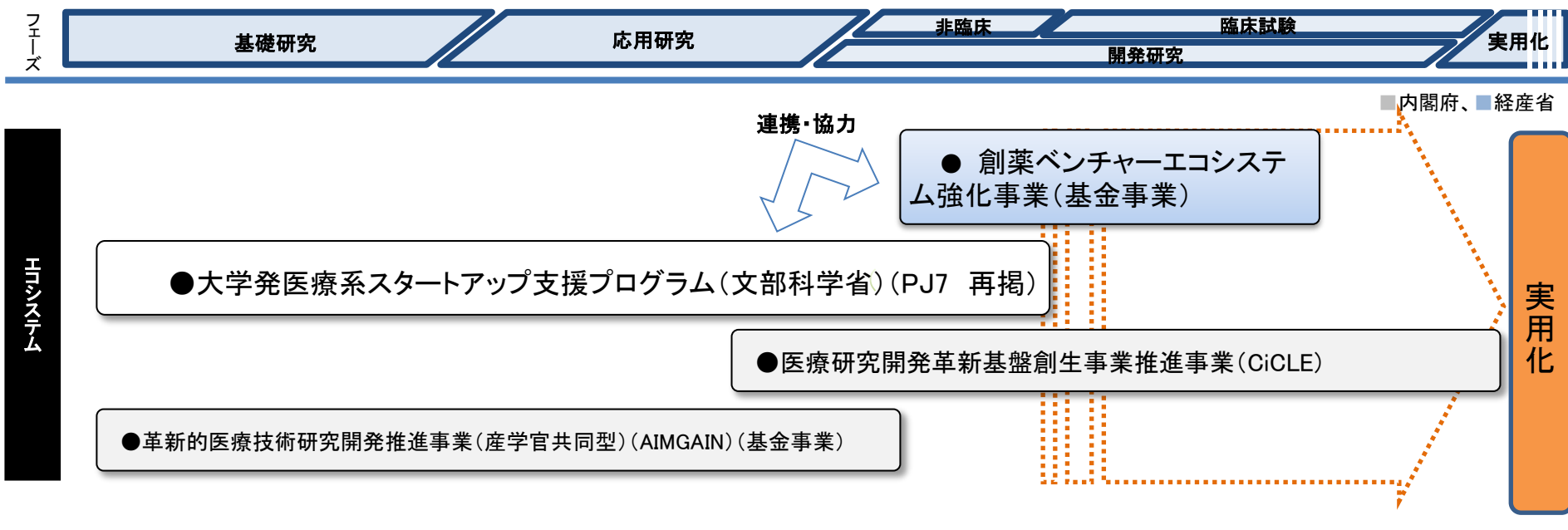
		アウトプット指標	モニタリング指標		備考欄（特筆すべき事項等）
1	権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数 (シーズの企業導出件数)	12件	<ul style="list-style-type: none"> 導出形態別の件数 権利譲渡契約件数 実施許諾契約（オプション契約は除く）件数 	2件 5件 5件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出先別の件数 ベンチャー企業への導出件数（国内企業） ベンチャー企業への導出件数（外資系企業） ベンチャー以外の企業への導出件数（国内企業） ベンチャー以外の企業への導出件数（外資系企業） 	3件 1件 8件 0件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出時の開発フェーズ（開発ステージ）別の件数 非臨床試験開始以前に導出した件数 非臨床試験開始後かつ治験開始前までに導出した件数 治験開始後に導出した件数 	3件 5件 3件	
			<ul style="list-style-type: none"> 疾患領域別の導出件数 	がん：2件 生活習慣病：2件 難病：5件 成育：1件 その他：2件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出内容別の件数 技術導出件数 開発候補品の導出件数 	6件 9件	
2	治験に至った件数	28件	<ul style="list-style-type: none"> 医師主導治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数） 企業治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数） 臨床性能試験の数 	24件（1件） 3件（1件） 1件	<ul style="list-style-type: none"> 名古屋大学のグループは、進行・胃癌患者に対して、新規アンチセンス核酸医薬品を腹腔内に投与する第I相医師主導治験を開始した。 東海大学のグループは、進行性で治療が難しい重度動脈硬化症に伴う膝下血管病変の改善と患者のQOL向上を目的に世界初の革新的ナノコーティングステントを開発し治験に至った。
3	優れたシーズの発展・継続支援件数	18件	<ul style="list-style-type: none"> ペアリングによる他事業への受け渡し件数 マッチングによる他事業への受け渡し件数 過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 	2件 0件 16件	

(3) 参考

		アウトプット指標	モニタリング指標	備考欄（特筆すべき事項等）	
4	薬事承認・認証	—	<ul style="list-style-type: none"> 品目の性格別の承認件数 新規の承認件数 適応拡大の承認件数 海外承認・認証件数 その他 	4件 1件 1件 0件	大分大学と株式会社島津製作所のグループが感染性ぶどう膜炎診断キットを開発し、令和7年10月に製造販売承認取得した。AMEDと橋渡し拠点（東北大学）が連携して産学協同のシーズFとして支援し、大分大学で医師主導臨床性能試験を実施、薬事承認に至った。
			<ul style="list-style-type: none"> 医療における利用形態別の件数 医薬品の承認件数（モダリティ別の内訳） 医療機器の承認・認証件数（治療用／診断用の内訳） 体外診断用医薬品の承認・認証件数 再生医療等製品の承認件数 	1件（低分子医薬品1件） 3件（3件／0件） 2件 0件	
5	医療等に実装された件数 （薬事承認・認証を除く）	—	<ul style="list-style-type: none"> ガイドライン等の策定又は改定件数 ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数 	2件 0件	
6	論文数	—	<ul style="list-style-type: none"> Top1%論文 Top10%論文数 全論文数 	0件 9件 135件	
7	研究環境における 人的ダイバーシティ	—	<ul style="list-style-type: none"> 研究者の男女（その他）比率 	男：93.2% 女：6.8%	

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段階から治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、ベンチャー企業・ベンチャーキャピタルの成長、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。



8. イノベーション・エコシステムプロジェクト

イノベーション・エコシステムプロジェクトでは、AMED内のアカデミア期から実用化まで一気通貫した仕組みを充実するため、レイトーフーズを含めて支援する事業や、ピッチイベントなどを実施した。

大学シーズや各PJ事業の成果が投資家の関心を引くためのノウハウ提供を強化するとともに、海外イベントでの事業普及活動を通して有力な海外VCを事業に引き込むなど、日本のエコシステムのボトムアップやグローバル展開を促進した。

(1) 関係府省の主な取組

- AIMGAIN内に新規タイプ（難病・希少疾病治療グローバル研究開発支援事業）（GRit）を設置するため、予算獲得や制度設計をした。
- AIMGAIN内の既存タイプでは、PJ8として実用化への蓋然性を念頭に、5次新規課題公募の実施と採択および中間評価を実施した。
- 創薬ベンチャーエコシステム強化事業では、財源となる基金の期限のため、応募課題の計画立案に十分な期間が確保できない事例が増えつつあった。そのため、事業期間中にPOC取得する開発フェーズを開始する計画の応募も認められるよう事業設計を改訂した。

(2) 顕著な研究開発成果事例

イノベーション・エコシステムプロジェクトでは、以下の4つの大方針に沿って事業を運営した。

- ① 出口となる産業化を意識したAMED内の事業間連携として、アカデミア期から実用化まで、一気通貫した支援を可能とする仕組みの強化を実施した。
 - 事業間で連携して課題をつなぐため、創薬ベンチャーエコシステム強化事業において令和6年度に引き続きアーリーフェーズを支援。
 - 他事業の終了課題など、レイトーフーズの実用化支援を強化するため、AIMGAIN内に**難病・希少疾病領域の国際共同治験を支援する新規事業タイプを設立し、公募を開始。**
 - CiCLE、創薬ベンチャーエコシステム強化事業における事業間連携（他事業の支援後に採択した課題・・・CiCLE 67課題中18課題、創薬ベンチャーエコシステム強化事業43課題中20課題）。
- ② 令和5年度以降、BioJapanの場でのAMEDシーズアクセラレーションピッチを開催（令和7年度は第3回を10月に実施）し、認定VC（当時30社）や製薬企業等の投資家とAMEDシーズのマッチングを通して、有望なAMEDシーズの企業化や事業化を促進した。
 - 創薬ベンチャーエコシステム強化事業において**登壇企業を4社採択・支援。**
- ③ AIMGAIN事業で目指す基盤技術の研究開発を初期段階から実用化目線で支援するために、採択時から医療分野におけるニーズ、社会実装に向けた体制・取組を重視した。さらに、研究開発の成果を目指すだけでなく、当該分野の規制緩和や標準化（AI創薬や医療研究DX）、AMED内の他PJとの連携・重複排除につながる成果を目指した。
 - AMEDで実施すべき戦略に照らして、AIMGAINで採択している**医療研究DXに係る課題やフィジカルAIに係る課題と連携して、内閣府の検討会で医療情報の利活用推進に関する提案を行うなど、規制緩和等の働きかけを実施。**

8. イノベーション・エコシステムプロジェクト

- ④ 国内外VC等からの出資や製薬企業への導出を行うためには、実用化目線でのデータ信頼性の確立、初期段階での戦略的な知財取得が大前提。そのため、AMED内の事業間連携を進めていく観点から、データ信頼性・再現性に関する調整、知財等スターターキットを整備し、大学シーズや各PJ事業の実用化を支援した。
- ・ **知財・契約戦略に係るスタートアップガイドを作成。AMED記者説明会で公開（令和8年2月）**し、各種報道やSNSにおける好評価につながるなど反響が広がっている。また、PJ7の事業やJST事業の採択課題に対して紹介等を実施し、普及に向けた活動を開始した。
 - ・ **海外イベントでの積極的な事業アピール**を行い、**海外VCの採択**につなげるなど、海外連携を強化するため国内創薬ベンチャーエコシステムのグローバル化を推進した。

その他、各事業の具体的な研究開発成果等は以下の通りである。

<医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）>

<課題成果1>

MeijiSeikaファルマ株式会社の非臨床PK/PD理論を活用した新規β-ラクタマーゼ阻害剤（OP0595）の単味製剤の研究開発では、**第3相臨床試験で有効性を確認**した。**耐性菌に対する新たな治療選択肢**であり、新薬創出につながる意義が大きい事例である。

<課題成果2>

メルフロンティア株式会社の生体吸収性マグネシウム合金製骨固定ヘッドレスコンプレッションスクリューの製品化を目指した研究開発では、既存のチタン製スクリューや生体吸収性ポリ乳酸スクリューを補う新素材の医療機器を開発し、**品質試験や特定臨床研究等を実施**した。**外科領域における患者のQOL向上等**を含めた、有用な医療機器の創出が期待される。

<革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）>

<事業設計>

令和7年度補正予算の措置を受けて**GRitを創設**し、AMEDと連携して速やかに事業設計を開始した。AMED内の関連事業からの接続も積極的に検討し、レイターフェーズの課題支援を目指す。

<創薬ベンチャーエコシステム強化事業>

<課題成果1>

ジェイファーマ株式会社の研究開発課題（令和6年度採択）は、**令和8年3月に東京証券取引所グロース市場へ上場**し、民間資金による運営を実施することから本事業の成功終了事例となった。今後も当該事業者の状況は把握する予定である。

<課題成果2>

レグセル株式会社（創業者が坂口志文博士で、令和7年ノーベル生理学医学賞の受賞対象をシーズとした）の研究開発課題（令和6年度採択）は**米国拠点を活用したグローバルを視野に入れた開発進捗・計画が評価**され、令和7年8月にステージ移行が決定し、治験準備完了に向けて着実に進捗している。

<課題成果3>

メタジェンセラピューティクス株式会社の研究開発課題（令和6年度採択）は、腸内環境由来の潰瘍性大腸炎等を患う世界の患者向けに開発中の治療薬の原料（健常人の便）の**献便ルームを山形県鶴岡市に開設（令和7年4月）**したところ、**多数のメディアに取り上げられ、腸内細菌ドナーからの献便数が1000便を超える**など、ベンチャーの活動が地域の活性化への貢献にもつながっている。

8. イノベーション・エコシステムプロジェクト

(3) 参考		アウトプット指標	モニタリング指標		備考欄 (特筆すべき事項等)
1	権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数 (シーズの企業導出件数)	2件	<ul style="list-style-type: none"> 導出形態別の件数 権利譲渡契約件数 実施許諾契約 (オプション契約は除く) 件数 共同研究開発契約件数 	0件 0件 2件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出先別の件数 ベンチャー企業への導出件数 (国内企業) ベンチャー企業への導出件数 (外資系企業) ベンチャー以外の企業への導出件数 (国内企業) ベンチャー以外の企業への導出件数 (外資系企業) 	1件 0件 1件 0件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出時の開発フェーズ (開発ステージ) 別の件数 非臨床試験開始以前に導出した件数 非臨床試験開始後かつ治験開始前までに導出した件数 治験開始後に導出した件数 	2件 0件 0件	
			<ul style="list-style-type: none"> 疾患領域別の導出件数 	難病: 1件 感染症: 1件	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出内容別の件数 技術導出件数 開発候補品の導出件数 	2件 0件	
2	治験に至った件数	15件	<ul style="list-style-type: none"> 医師主導治験の治験計画届の届出数 (うち国際共同治験数) 企業治験の治験計画届の届出数 (うち国際共同治験数) 臨床性能試験の数 	6件 (0件) 9件 (3件) 0件	
3	優れたシーズの発展・継続支援件数	9.5件	<ul style="list-style-type: none"> ベアリングによる他事業への受け渡し件数 マッチングによる他事業への受け渡し件数 過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 	9件 0件 0.5件	
4	薬事承認・認証	—	<ul style="list-style-type: none"> 品目の性格別の承認件数 新規の承認件数 適応拡大の承認件数 海外承認・認証件数 その他 	0件 0件 2件 0件	
			<ul style="list-style-type: none"> 医療における利用形態別の件数 医薬品の承認件数 (モダリティ別の内訳) 医療機器の承認・認証件数 (治療用/診断用の内訳) 体外診断用医薬品の承認・認証件数 再生医療等製品の承認件数 	0件 1件 (1件/0件) 1件 0件	
5	医療等に実装された件数 (薬事承認・認証を除く)	—	<ul style="list-style-type: none"> ガイドライン等の策定又は改定件数 ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数 	1件 1件	
6	論文数	—	<ul style="list-style-type: none"> Top1%論文数 Top10%論文数 全論文数 	0件 1件 11件	
7	研究環境における人的ダイバーシティ	—	<ul style="list-style-type: none"> 研究者の男女 (その他) 比率 	男: 93.6% 女: 6.4%	

(3) 参考

個々の統合プロジェクトで定めるモニタリング指標		備考欄（特筆すべき事項等）
採択課題におけるステージゲート・中間評価等の通過件数	24件	

③ その他

優れた研究シーズを実用化に向けて加速させるため、AMEDの各事業間を切れ目なく支援するための仕組み（ペアリング・マッチング）を新たに導入した。また革新的新薬の戦略的な創出に向けて、AMEDは日本製薬工業協会と連携協定を締結し、AND-E（AMED IND ENGINE）を立ち上げた。さらに、医療分野の研究開発を推進するための基盤整備、関連機関との連携強化や人材育成等、AMEDを中心に多岐に渡る取組を着実に実行しており、総じて順調に進捗していると評価する。

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、科技、総、文、厚、経、こ）

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>他の資金配分機関、各府省庁直轄で行う関連施策、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。</p> <p>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。</p> <p>各インハウス研究機関も医療分野の研究開発を行っており、AMEDの研究開発支援とも適切に連携を図りつつ、全体として戦略的・体系的な研究開発を推進していく。</p> <p>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、医療分野の研究開発の一体的推進を図るため、関連予算を戦略的・重点的に配分するよう、推進本部は、有識者の意見も踏まえつつ関係府省庁・機関に対して一元的な予算要求配分調整を実施する。</p> <p>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関係を構築する。</p>	<p>AMED及び他の資金配分機関、各府省庁直轄の施策、インハウス研究機関、民間企業と連携し、医療分野の研究開発を一体的に推進した。AMEDは、本推進計画に基づき医療分野における研究開発を基礎から実用化まで一貫して支援した。また、連絡調整会議（インハウス研究開発関連）を開催し、各インハウス研究機関、関係府省、AMEDが、研究開発に関する情報を共有し、更なる連携に向けて議論を深めた。さらに、本推進計画を着実に実行するため、健康・医療戦略推進本部を開催し、令和8年度予算における医療分野の研究開発に関連した予算要求配分の総合的な調整を行った。</p>

③ その他

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、文、厚、経)

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>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・連携を確保するとともに、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、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。関係府省は、インハウス研究機関への着実な資源配分を行うとともに、医療分野のインハウス研究開発の研究開発活動と、AMEDが支援する研究開発活動の連携が促進されるよう、各機関の活動状況について、以下の項目を含めて情報を共有し、意見交換を行う。</p> <ul style="list-style-type: none">各インハウス研究機関が重点的に取り組む医療分野の研究開発活動計画。各インハウス研究機関における主な共用・提供可能なリソース。各インハウス研究機関における主な活動実績・事例。特に優れた連携事例については、取組モデルとして各機関に共有し、水平展開を促す。 <p>また、AMED支援研究とインハウス研究の研究開発現場における連携協力を促進し、実用化に向けた産学官の連携や異分野融合を誘発するよう、各機関は共同での情報発信の充実、研究者同士の交流機会の増進に取り組む。</p>	<p>健康・医療戦略に基づき、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7年にも開催した。</p> <p>意見交換においては、令和7年度からの第3期健康・医療戦略を踏まえ、各インハウス研究機関における研究開発テーマを共有し、AMEDとの連携やインハウス研究機関相互の連携についての最近の取組状況を相互に把握するとともに、さらなる連携のための方策について議論を行った。</p> <p>具体的なインハウス研究機関の取組としては、例えば、</p> <ul style="list-style-type: none">量子科学技術研究開発機構においては、パーキンソン病やレビー小体型認知症でのαシヌクレイン沈着を捉えるPET薬剤等の研究開発を進めた。国立がん研究センターにおいては、厚生労働省の委託事業として全ゲノム解析等に係る事業実施組織を設置し、AMED研究班と患者への解析結果提供に関して連携した。国立成育医療研究センターにおいて、小児・周産期領域のデータ利活用拠点を形成し、全国医療情報DX基盤と接続するとともに、小児希少疾患における治験・国際共同治験を推進した。産業技術総合研究所においては、創薬支援ネットワークにおける医薬品候補化合物の生産性や機能予測を向上させる技術の開発等に取り組んだ。 <p>他のインハウス研究機関においても、新たなイノベーションを創出するために、新たなニーズに対応した研究開発や効果的な研究開発が期待される領域等について積極的に取り組んだ。</p>

③ その他

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) 疾患領域に関連した研究開発 (◎健、総、文、厚、経、こ)

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の実績と成果
<p>(前略)</p> <p>これら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。AMEDにおいては、統合プロジェクト横断的に対応できる体制の下で特定疾患ごとのマネジメントを行う。そのため、それぞれの疾患領域に豊富な知見を有するコーディネーターを配置し、領域ごとに管理する。また、AMEDは研究課題採択後に予算規模や進捗状況等を把握・検証し、その概要について対外的に明らかにするほか、関連する調査分析を行い、関係府省庁に提供し、施策や事業の検討等の参考に供する。</p> <p>(後略)</p> <p>【がん】</p> <p>「がん研究10か年戦略（第5次）」等を踏まえた以下の研究開発の推進に取り組む。</p> <ul style="list-style-type: none"> • 新たなリスク要因の同定やリスク層別化に基づく1次予防の推進、及び高リスク層の同定や新たな早期発見手法の活用による2次予防の推進など「がんの予防」に関する研究開発 • 個別化医療を更に推進する診断技術の開発、新たな医療技術やそれらを活用した新規薬剤・治療法の開発など「がんの診断・治療」に関する研究開発 • 希少がん、難治性がん、小児がん及びAYA世代（Adolescent & Young Adult（思春期・若年成人））のがん、高齢者のがんなど、ライフステージやがんの特性に着目したがんの研究開発 • がんの本態解明やシース探索・育成等の基礎的研究開発の推進、バイオバンク・データベースの整備と利活用の促進など、がんの予防、がんの診断・治療の開発等を促進するための分野横断的な研究開発 	<p>【全体】</p> <ul style="list-style-type: none"> • 疾患領域コーディネーター（DC）のマネジメントの下、領域運営会議を計13回開催（がん3回、難病・希少疾患6回、ライフコース4回）を行い、統合プロジェクト横断的に、ペアリング・マッチングの取組に係る検討や、調整費を活用した新規有効成分医薬品開発の加速、シナジー効果を生み出すための戦略立案の検討を行い、事業間連携・企業導出を促進した。 • AMED Data Bookの作成によるデータ集計に加え、3つの疾患領域を対象とした俯瞰調査、AMED事業担当者や有識者へのヒアリング等を通じて、重要研究開発領域の分析を行うなど、調査分析機能を強化した。 • 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事業のプログラムオフィサー（PO）によるWGにて「社会的要請の高いいくつかのがん種についてのフラッグシップとなるようなプロジェクト」を検討し、社会的要請の高い難治性がんの克服や、新規モダリティ開発加速等を目指すフラッグシップとなる研究支援の枠組みの構築に取り組んだ。 <p>【がん】</p> <ul style="list-style-type: none"> • 次世代がん医療加速化研究事業から革新的がん医療実用化研究事業に、切れ目なく連続的な支援をするため、事業設計を見直し、令和8年度の公募に向けた準備を整えた。 • 「がんの予防」に関する研究開発において、革新的がん医療実用化研究事業では、40代女性の乳がん検診において、超音波検査を併用することで乳がん発見数が増加し、進行乳がんの罹患率が低下する科学的根拠を示した。 • 「がんの診断・治療」に関する研究開発において、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事業では、「エンハンサー・ハイジャック」（別遺伝子の誤った活性化）により駆動される、極めて予後不良なT細胞性急性リンパ性白血病の新しい病型を特定した。 • ライフステージやがんの特性に着目したがんの研究開発において、小児・AYA世代がんのドラッグラグ・ロス改善に向けた日英共同シンポジウム「Japan-UK Symposium on Children and Young People's Cancer in Tokyo」を開催し、国際連携のあり方を議論した。

③ その他

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) 疾患領域に関連した研究開発 (◎健、総、文、厚、経、こ)

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>【難病】</p> <p>難病、希少疾患等の国が開発を推進すべき疾患に対する研究開発の取組を継続し、発展させることが重要である。難病の病態解明や治療法の開発研究は、その疾患数が多い一方で疾患ごとの患者数が少ないという特性の中で行う必要があり、企業が開発に着手しにくいという制約への対応も求められる。難病のなかでも極めて患者数が少ない超希少疾患では、国際共同研究や国内外のスタートアップ企業との国際連携による実用化研究を進める必要がある。</p> <ul style="list-style-type: none"> 個別の難病に関する画期的な診断・治療・予防法の開発には、それぞれの病態解明や診療のガイドラインに直結するエビデンス創出が求められるため、ゲノム情報や臨床情報等の蓄積と共有に取り組む。 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を推進する。 <p>【ライフコース】</p> <p>以下の疾患に着目した研究開発推進のマネジメントを行う。</p> <ul style="list-style-type: none"> 認知症研究については、病態解明、創薬研究、臨床研究の三段構えで取り組む。病態解明の観点から、ヒトを対象とする基礎研究を支援するとともに、アルツハイマー病（AD）および非AD認知症において、客観的で簡便な早期診断法・治療効果測定法に資するバイオマーカーの探索・開発・検証を推進する。創薬標的から創薬シーズの創出とモデル動物等を用いた薬効評価・毒性評価を行い、その非臨床PoC取得を目指す。AD新薬である抗アミロイドβ抗体薬の効率的かつ最適化使用に向けたアミロイド関連画像異常（ARIA）の発生メカニズムの解明研究、地域コホートやレジストリ臨床情報等の利活用を通して、発症リスク因子やARIAリスク因子を同定する研究、認知症診療に資するバイオマーカーの開発と病態層別化等の臨床研究の推進を通して認知症治療体制の支援を包括的に推進する。 	<p>【がん】（つづき）</p> <ul style="list-style-type: none"> 分野横断的な研究開発において、HTLV感染からアグレッシブATL発症に至るまでを網羅する臨床情報のデータベースを構築した。本データベースには、外部提供可能な横断的発症予測アルゴリズムが搭載されており、他のウイルス由来のがんや炎症性疾患への応用が可能である。また、企業の利活用を推進し、横断的研究の加速化と新規治療薬の早期実現を図っていく。 <p>【難病】</p> <ul style="list-style-type: none"> 難治性疾患実用化研究事業で支援を強化すべき有望シーズの適格基準等（例：優先的支援対象の適格基準、治験の準備状況等を確認するチェックリスト）を整備し、調整費による開発ステージアップを支援した。また、有望シーズを他事業へ受け渡す場合における課題点を抽出し、関係府省庁に共有し対応案の検討を開始した。 難治性疾患実用化研究事業では、慢性血栓塞栓性肺高血圧症（CTEPH）患者1,270例の全国レジストリを解析し、肺拡散能（DLco）が治療後の血行動態改善度および臨床予後を規定する重要な指標であることを明らかにした。同疾患の個別化治療戦略やフォローアップ最適化への貢献が期待される。 革新的先端研究開発支援事業、腎疾患実用化研究事業、難治性疾患実用化研究事業では、希少難治性疾患である指定難病ネフロン癆について、ヒトiPS細胞から作ったNPHP1欠損腎オルガノイドを用いて、病気の特徴である線維化を再現する疾患モデルを世界で初めて確立した。 革新的先端研究開発支援事業では、進行性骨化性線維異形成症（FOP）の骨化を駆動する新たな免疫細胞を特定し、新たな治療法への応用を示した。 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムでは、脂質ナノ粒子を用い、筋幹細胞に対するゲノム編集をin vivoで成功した。筋損傷を繰り返しても治療効果が持続することを明らかにした。 採算性の観点から民間企業の投資が行われず、研究開発が進みにくい難病・希少疾患領域についてレイターフェーズも含めた国際的な臨床試験・治験を支援するため、革新的医療技術研究開発推進事業（産学官共同型）グローバルタイプ（難病・希少疾病治療グローバル研究開発支援事業）の公募を開始した。

③ その他

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) 疾患領域に関連した研究開発 (◎健、総、文、厚、経、こ)

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度取組と成果
<p>【ライフコース】(つづき)</p> <ul style="list-style-type: none">• 神経疾患・精神疾患等の課題の克服やイノベーションの創出に向けて、実験動物、多種・多次元・多階層データ等を活用し、脳の高次機能のダイナミクス解明や神経疾患・精神疾患に関する病態メカニズムの解明を進め、画期的な診断・治療等のシーズ開発につなげていくための研究を推進する。• 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を推進するとともに、薬事承認を目指した、医薬品・医療機器の研究開発を推進する。• 慢性疼痛の機序解明及び、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を推進する。• 成育、小児・周産期、女性を中心に、将来世代への影響も考慮した負担の少ない不妊治療、胎児治療及び周産期合併症に対する治療を含む周産期及び小児の医薬品等の開発、こども及び妊産婦のメンタルヘルスの改善に向けた研究開発を推進する。また、性差や女性ホルモン等の影響による健康課題への対策等に資する研究、医療データを活用した女性特有の疾病等の予防及び治療に資するエビデンス創出と新たな介入方法の開発に取り組む。• 循環器疾患・糖尿病等の生活習慣病や、免疫アレルギー疾患等の様々な疾患を対象に、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研究開発、各個人に最適な糖尿病の重症化予防方法及び重症化後の予後改善、QOL向上を推進する。	<p>【ライフコース】</p> <ul style="list-style-type: none">• ライフコースで直面する健康課題を切り口として疾患を俯瞰的に捉えて、その中間状態に着目し、新規研究テーマの創出に向けた調査・分析を実施した。他事業の課題採択に繋がった事例/繋がらなかった事例について、今後の取組に資する事例として類型化、領域運営会議等を通じ、関係省庁、AMED関係者と共有した。ライフコースに関連する10事業のPSやAMED担当者との意見交換を行い、ライフコースアプローチの視点での新たな取組のフレームと領域のテーマ設定の検討に着手した。• 障害者対策総合研究開発事業では、日本国内のデータ解析により、認知症の約4割は適切な対策によって予防可能であることを科学的に示した。• 医療機器開発推進研究事業では、血液中の「ドレブリン」を測定することで認知機能を客観的に測り、アルツハイマー病の前段階 (MCI) を早期診断する技術を開発した。• 医療研究開発革新基盤創成事業では、反復的な外傷性脳損傷が、認知症で見られる凝集体タンパク質の広がり加速させる仕組みをマウスで解明した。• 脳神経科学統合プログラムでは、個人の行動と脳活動を再現する「デジタルツイン脳」を開発し、精神疾患の個別化治療のシミュレーションの実現を推進した。• 脳神経科学統合プログラムでは、患者死後脳の単一核RNA解析により、双極症の原因となる特定の脳部位 (視床室傍核) を特定することに成功した。• 難治性疾患実用化研究事業/脳神経科学統合プログラム等では、筋萎縮性側索硬化症 (ALS) の発症年齢に関連する新規遺伝子としてGPM6Aを同定、ALS患者の発症年齢の若年化と有意に関連することを明らかにした。• 革新的がん医療実用化研究事業と難治性疾患実用化研究事業では、ランゲルハンス細胞組織球症 (LCH) の小児に対して、中枢神経への移行性が高い薬剤を用いることで、続発する神経変性症の改善に成功した。

③ その他

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) 疾患領域に関連した研究開発 (◎健、総、文、厚、経、こ)

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度取組と成果
<p>【ライフコース】(つづき)</p> <ul style="list-style-type: none">高齢者が老いや高齢者特有の疾患等を抱えつつも、その人らしい生活を送るために、適切な医療・介護による支援を目指して、介護を要する状態とならないような予防策や、重度化を防止する方法等の研究開発、医療・介護人材の確保がさらに難しくなることが予想される中、効率的かつ質が担保された医療・介護の提供するための研究開発(介護手法の開発、バイオマーカー開発、メカニズム解明等)を推進する。	<p>【ライフコース】(つづき)</p> <ul style="list-style-type: none">ゲノム創薬基盤推進研究事業では、全国規模の連携体制を確立し、小児がん患者に対するゲノムプロファイリング検査が精密医療提供に極めて有用であることを実証した。臨床研究・治験推進研究事業では、希少疾患である小児腸管不全関連肝障害に対する未承認薬の医師主導治験を終了し、国内承認に向けて推進した。循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、機械学習モデルを用いた解析により、インスリン抵抗性のがんの発症リスクを高める因子であることを特定した。循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、患者の薬物代謝酵素を遺伝子解析することで、個々の患者に最適な薬剤選択を可能にする個別化医療の有用性を示した。ムーンショット型研究開発事業と循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、希少難病の心筋症や骨格筋障害を改善するミトコンドリア機能改善薬「MA-5」が、モデル動物において有効であることを示した。橋渡し研究プログラムでは、体内に備わる因子DEL-1が骨の若返りを促進することを発見し、骨粗鬆症や歯周病の根本治療の可能性を示した。ムーンショット型研究開発事業では、高齢肝硬変患者に多い「気づかれにくい睡眠障害」を、携帯型脳波計によって客観的に可視化することに成功し、老年期におけるQOL低下・認知機能低下の早期発見・介入につなげる可能性を示した。ムーンショット型研究開発事業では、フレイル患者の白血球にこれまで知られていなかった特異な仕組みがあることを発見し、新たな血液マーカーの可能性を見出した。

③ その他

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) 全8統合プロジェクトに共通する取組 (◎健、総、文、厚、経、こ)

① 基礎から実用化までの一貫した研究開発の加速

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>○ 伴走支援機能の強化</p> <p>近年、医療分野の研究開発は、水平分業型の創薬モデルが世界の主流になり、アカデミアに対して、開発フェーズの進んだ完成度の高い医療シーズの創出も期待される⁸。また、研究開発の早い段階から海外市場への展開を考慮した取組も求められている。創薬や事業化の経験がないアカデミアが良質なシーズを開発するため、AMEDのプログラムディレクター（PD）、プログラムスーパーバイザー（PS）、プログラムオフィサー（PO）の活動を活かしつつ伴走支援を強化する。</p> <ul style="list-style-type: none"> 医療分野の研究開発に特有の知財戦略や企業連携に関する専門人材を確保し、サポート体制の強化に取り組む。 企業ニーズも踏まえたオープン・クローズ戦略に基づき、特許取得及び周辺技術の権利化、周辺データの取得・整備をはじめ薬事承認申請を見据えた必要事項の特定と準備、上市時期と特許期間のバランスを考慮した出願タイミング、市場性の見通しや将来の国際展開（国際共同治験等）等、実用化に向けて必要となる様々な業務についての助言を行う。特に後述する「ペアリング」「マッチング」の対象案件など特に有望なシーズについては、能動的な支援を行う。 薬事承認の申請経験も持つような企業人材・投資家等のプロジェクトマネジメントへの活用を検討し、可能なものから実施する。 伴走支援体制は原則として統合プロジェクト単位で整備し、研究に関する助言や実用化に必要な業務の助言に加え、必要に応じて、関連する専門家及び施設の紹介や協力の調整を行う。また、AMEDは、伴走支援者に対する情報提供など、伴走支援者がより効果的に活動できるよう情報支援を行う。 実用化に向けた進捗状況を適切に評価・把握し、課題の継続の可否について、支援期間中も含め、各課題及び事業の目標に応じた、メリハリのあるGo/No Go判断を行う。ただし、挑戦的な研究に関しては、画一的なGo/No Go判断がかえって研究を阻害する可能性や、方向性を変更することで想定外の成果が得られる可能性があることに留意する。 <p>⁸ 一方で、「最近では、産業界が、より初期の研究を求める方向になっている」との見方も示されている。</p>	<ul style="list-style-type: none"> アカデミアが良質なシーズを開発できるようAMEDは伴走支援に取り組んだ。AMEDのプログラムディレクター（PD）や疾患領域コーディネーター（DC）、関係府省庁等が参加する統合プロジェクト連携会議を4回、領域運営会議を3つの疾患領域で計13回開催した。事業間連携、伴走支援のあり方、実用化の意識醸成に必要なマネジメントや環境整備等について情報を共有し、その見直しに向けて議論した。 優れた医療機器の創出に係る産業振興拠点強化事業では、医療機関において、臨床開発、薬事・保険戦略、知財戦略、製造、品質保証、販売など様々な能力を身につけた高度人材の育成に向けて取り組み、優れた医療機器等の創出に寄与する13拠点を整備した。このうち7拠点では、スタートアップ企業に対する伴走支援を行い、さらに7拠点のうち3拠点では、海外を含めた関係機関等とのネットワークの強化や臨床上の有用性を実証できる場の提供を行う体制を整備し、拠点機能を充実・強化した。 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムでは、実用化に向けた支援体制を構築し、研究早期における事業化戦略の作成支援、事業化戦略に基づいた主要な知的財産権の取得支援、実用化を見据えた企業連携の提案、主要特許取得のための実験の提案、進捗状況の定期的な把握と必要に応じた軌道修正の助言等を行った。また、再生医療等実用化研究事業では、臨床研究・医師主導治験のうち実用化までの道筋が明確な研究を支援し、2件の再生医療等製品の条件期限付き承認へ繋げた。 実用化に向けた進捗状況を評価・把握し、各課題の継続の可否についてGo/No Go判断を行った。特に、複数の事業において、支援期間中に一定の成果を創出した研究課題のみ継続する仕組み（ステージゲート評価）を設け、優れた研究課題をより効果的に支援した。また、アカデミア医薬品シーズ等開発推進会議（AMED-FLuX）において、企業視点におけるGo/No Go判断の導入に向けた検討を開始した。

③ その他

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) 全8統合プロジェクトに共通する取組 (◎健、総、文、厚、経、こ)

① 基礎から実用化までの一貫した研究開発の加速 (つづき)

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>○ 成果の移転の促進</p> <p>研究開発の成果を実用化によって社会的価値へと発展させるためには、産業界への受け渡しが必要である。ライセンス、共同研究、研究者自らの起業など、様々な形態により企業導出をより早期に実現するよう、伴走支援を充実する。その際、導出後のシーズが着実に実用化・事業化されるよう、導出先の選定にあたってはwin-winとなるパートナーシップを目指すとともに、導出後の継続的なコミュニケーションやフォローアップを考慮する。</p> <ul style="list-style-type: none"> 成果の実用化において、戦略的な特許出願と獲得は非常に重要な役割を持つ。研究開発成果は、基本的に知財で保護されることによって社会実装されることを研究開発の実施者が十分認識し、知財を戦略的かつ効果的に獲得する必要がある。このため、AMEDは専門の相談体制を整備し、研究者等を支援する。 研究開発活動のオープンイノベーションモデルへの転換を促進する。 成果移転を促進する観点から、特にイノベーション・エコシステムプロジェクトのスタートアップ強化と他のプロジェクトの連携を推進する。 研究開発のより早期の段階から、アカデミア、ベンチャー、ベンチャーキャピタル、製薬企業等の連携を促進する機会を創出し、オープンイノベーションを促進する。企業導出のために有効であった研究開発活動を特定し、AMED支援課題への横展開や、各府省庁の補助等事業の見直し検討につなげる。 	<ul style="list-style-type: none"> 研究成果の実用化を促進するため、AMEDは事業部門ごとに専門性を有する担当者を配置し、知財の戦略的かつ効果的な獲得に向けて、分野ごとの実情を踏まえた支援を行った。 「UNITT（一般社団法人大学技術移転協議会）アニュアル・カンファレンス」において、産学連携担当者を対象に、TPPを基軸とした製品戦略策定の重要性を解説するセッションを実施した。臨床的意義の明確化、競合優位性の提示、TPPと知財戦略の整合性等、実務上の要点を体系的に紹介し、全17セッションの中で第2位の評価を獲得した。 研究成果を実用化・事業化する上で必要な知識とスキルを提供するため、「医療分野の研究開発成果に係る実用化に向けた研修セミナー」を開催した。従来は研究者・産学連携担当者を対象としていたが、令和7年度はセミナーの構成を再設計し、スタートアップ企業の関係者も対象に広げて実施した（延べ218名）。また従来は「視点理解はできたが自課題への適用が難しい」という課題があったため、TPP策定演習を研修内に取り入れ、実際の事例を基にTPPの構成要素を整理する実践的な学習機会の提供に繋がった。 オープンイノベーションにおいてスタートアップの重要性は増している。そこで、スタートアップの課題意識を広く共有するため、スタートアップ支援機関連携協定（Plus）に参画する複数機関がコラボレーションし、「BioJapan2025」のAMEDブースにて、スタートアップ向けの啓発イベントを実施した。 イノベーション・エコシステムプロジェクトのスタートアップ強化と他のプロジェクトの連携を進めた。他のプロジェクトからイノベーション・エコシステムプロジェクトに1件の課題を接続した。 アカデミア、ベンチャー、ベンチャーキャピタル、製薬企業等の連携を促進するため、国内外の商談会への出展支援を行った。企業の興味を惹くプレゼンテーションの仕方から、商談会後の助言まで行った。各大学の体制に応じた支援ができるようハンズオン支援体制も構築している。 企業導出に有効であった研究開発活動を特定し、AMED支援課題への横展開や、各府省庁の補助等事業の検討につなげるため、実用化支援を実施した研究開発課題を対象に追跡調査を実施した。

③ その他

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) 全8統合プロジェクトに共通する取組 (◎健、総、文、厚、経、こ)

② 新規モダリティの創出・育成

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度取組と成果
<p>従来モダリティの研究を深化させるとともに新規モダリティの創出、育成、導入及び利活用に取り組む。</p> <ul style="list-style-type: none">我が国発の新規モダリティの創出・育成と国際競争力の強化、国際標準化、及び普及展開などへの発展も見据えて研究開発を推進する。各種モダリティ等に対する DDS、評価系の開発、レギュラトリーサイエンス研究を推進する。	<ul style="list-style-type: none">新規モダリティの創出・育成と国際競争力の強化、国際標準化、普及展開などを見据えた研究開発の推進状況としては、ニューモダリティコンソーシアムにて、アカデミア単独では実現困難な新規モダリティ技術を活用した次世代医薬品開発の実用化を促進した。具体的には、創薬ブースターの支援課題を対象に、会員企業（22社）との連携を実施し、大学等の創薬シーズ6件を会員企業に紹介した。うち2件について令和8年度より会員企業のもつ競争優位性のある技術を用いた検証試験を開始すべく必要な準備を終えた。各種モダリティ等に対する DDS、評価系の開発状況及びレギュラトリーサイエンス研究の推進状況としては、医薬品等規制調和・評価研究事業において、レギュラトリーサイエンス研究を推進し、治療用放射線医薬品の非臨床/臨床試験デザインや、新規モダリティ医薬品等の開発のための生物由来原料基準の更新に係る研究を支援し、ガイドラインの策定等に繋げた。また、再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトの再生医療等実用化研究事業において、オルガノイド等を用いた評価系を開発する3件の研究を支援した。

③ その他

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) 全8統合プロジェクトに共通する取組 (◎健、総、文、厚、経、こ)

③ 研究DX、オープンサイエンスの推進

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>研究開発の手法として、生成AIをはじめとしたAI活用や量子技術の活用、これらの技術を用いた研究開発の加速（新たな創薬ターゲットの創出、画期的な医療診断システムの構築、データを統合的に利用する技術等）を推進する。また、生成AI活用を含めてデータ利用を研究開発の基礎的要件とする研究活動の増加を念頭に、我が国の研究者が、世界に遅れることなくデータを利活用できるよう、あらゆる研究開発の局面で研究DXを追求する。そのための基盤になるデータ整備、データマネジメントを推進する。</p> <ul style="list-style-type: none">レギュラトリーサイエンスにおいて、医療DX（AIの利用含む）の進歩を前提とした薬事規制分野のDX化を推進する。学術論文等の即時オープンアクセス、機関リポジトリ等の情報基盤への学術論文及び根拠データ掲載を進め、オープンアクセスの実施を推進する。適切なオープン・クローズ戦略の下、各資金配分機関のデータマネジメントプランの対象になる研究開発で得られたデータについて、できるだけ速やかに公開へ移行できるよう適切な管理を進める。次世代医療基盤法に基づくデータ利活用基盤の整備や社会実装に向けた取組、各統合プロジェクトでの利活用を促す。各統合プロジェクトにおける研究DXの取組について、統合プロジェクトを横断して情報やコア技術を共有する機会を設けることで、AMED事業全体として研究DXを推進する。	<ul style="list-style-type: none">研究データマネジメントの取組状況として、令和7年5月にリリースしたAMED DataCatでは、令和2年～6年に終了したAMED研究課題のデータマネジメントプラン（DMP）を、令和8年2月時点で1,775件掲載している。なお、令和7年度は598件掲載した。また、AMEDにおける研究開発データの取扱いに関する基本的な事項を定めた研究データ利活用に係るガイドライン Ver. 2.2版への改訂、DMP様式20251207版への改訂を行い、公的資金を用いた研究開発により生み出されるデータの利活用の促進に寄与した。次世代医療基盤法の認定作成事業者におけるリモートアクセスにより利用者がデータ解析できるビジティング環境の構築や、必要なデータを提供する医療機関との新規連携等を進めるとともに、改正次世代医療基盤法の施行を受けて、令和7年度に4件の認定仮名加工医療情報利用事業者の認定を行うなど、次世代医療基盤法に基づくデータ利活用基盤の整備や社会実装の取組、各統合プロジェクト等での利活用を促進した。研究DXの取組状況として、AMED医療研究DXタスクフォースを令和7年11月に設置、月1回程度タスクフォースを実施した。

③ その他

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) 全8統合プロジェクトに共通する取組 (◎健、総、文、厚、経、こ)

④ 国際展開

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度を取組と成果
<ul style="list-style-type: none">国際的な規制調和、海外との共同臨床試験・臨床試験ネットワーク拡大・グローバル人材の育成、海外への情報発信を推進する。各事業と、シーズ開発・基礎研究プロジェクトで取り組む国際研究開発各事業との連携を推進する。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・調整や情報収集を行う。	<ul style="list-style-type: none">海外との共同臨床試験・臨床試験ネットワーク拡大・グローバル人材の育成に向けた取組として、アジア地域における研究グループの設立、国際共同試験を主導する人材を育成するための海外派遣等を実施した。またヘルステック領域においてAMED支援機関が中心となってグローバルスタートアップ人材の育成を実施した。各分野における国際シンポジウムを開催し、研究成果等の情報を海外に積極的に発信した。特に、小児・AYA (adolescent and young adult) 世代のがんに関するシンポジウムは日英共同でハイブリッド開催し、ドラッグラグ・ロス解消に向けた研究環境や成果の共有と、日英共同公募に向けた協議も行った。AMEDにおける各事業と、シーズ開発・基礎研究プロジェクトで取り組む国際研究開発各事業との連携を進めた。特に、第9回アフリカ開発会議 (TICAD9) のサイドイベントを開催し、これまでにAMEDが支援した日本とアフリカ諸国との国際共同研究における成果や取組等を紹介した。国際的な共同研究の推進・調整や情報収集に取り組むため、トップ外交及び海外事務所を含めたAMEDネットワークを駆使した国際連携を推進した。また日米がん連携を中心として、米国国立がん研究所 (NCI) 等の米国機関と連携した。その他、30カ国149機関と計161件の国際共同研究を実施した。

③ その他

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) 全8統合プロジェクトに共通する取組 (◎健、総、文、厚、経、こ)

⑤ その他の取組事項

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<ul style="list-style-type: none"> ・ 実務生物統計家の必要性に鑑み、育成や確保に資する研究開発活動を奨励する。 ・ 成果の社会実装段階で、体格や身体の構造と機能の違いなど性差による不適切な影響が及ぶ恐れが生じないよう、ジェンダード・イノベーションの概念を取り入れ、計画段階から研究開発のプロセスに性差分析を組み込む等の対応を行う。 ・ 医療用等ラジオアイソトープ製造・利用推進アクションプラン（2022年5月31日原子力委員会決定）の取組が医療の観点から経済安全保障の確保に寄与する目的で実施されていることを踏まえ、研究開発における国産ラジオアイソトープの利用を促進する。 ・ 政府が令和8年度から順次導入する予定の、経済安全保障上の重要技術に関する技術流出防止策に対応し、経済安全保障に配慮し研究開発を推進する。 ・ 研究開発の計画変更が必要な場合の実施可能な範囲と手順を研究実施者及び事務担当者に周知するなどにより、判断の透明性を確保しつつ、柔軟で効率的な研究開発の実施を推進する。 ・ 研究者が研究開発活動に専念できるよう、研究管理事務の合理化、事務支援者の活用をはじめ、研究時間の確保の取組を推進する。 	<ul style="list-style-type: none"> ・ 実務生物統計家の育成や確保の状況として、生物統計家育成推進事業では、AMEDの研究費と製薬企業からの寄付金により2拠点（東京大学、京都大学）を支援している。令和8年3月には9人が課程を修了し、アカデミアに輩出された。 ・ AMEDにおいて研究開発提案書の公募要領を改訂し、全ての研究開発提案書について「性差（生物学的性 [SEX]）」を考慮する必要性の有無およびその理由」の記載を必須とした。また、シンポジウムや研修会を開催し、研究の実施に当たって性差を考慮することの重要性について、周知・啓発を行った。 ・ 医療用ラジオアイソトープ (RI) について、原子力委員会による関係機関へのヒアリングを通じ、国内外の動向や課題の把握がなされた。取組の一層の強化と今後の政策的対応について審議することを目的に、同委員会において新たな専門部会の立ち上げに向けた具体的な準備が進められた。また理化学研究所と国立がん研究センターの連携・強化に関する覚書が更改された。これらにより、放射性医薬品の開発の加速が期待される。 ・ 経済安全保障上の重要技術に関する技術流出防止策に関する取組として、令和7年12月に策定した「研究セキュリティの確保に関する取組のための手順書」に対応すべくAMEDにて調整を進めている。 ・ 柔軟で効率的な研究開発の推進に向けて、調整費における柔軟な予算執行等を可能とするため、補助金・運営費交付金のいずれの財源においても適用可能なよう例規を改正し、一定条件下における研究開発計画の延長又は追加を可能とした。 ・ 研究者の研究時間を確保すべく、委託事業と補助事業で分かれていた事務処理を各々の特有部分と共通化可能な部分に整理し、研究機関での事務処理の煩雑さや事務負担を軽減した。 ・ 事務手続きの改善に向けて、新たに「事務手続きに係る提案箱」をAMED研究開発課題管理支援ツール (A-POST) 内に設置した。これを用いて、AMEDは自身が支援する研究機関等から、課題の実施に伴う事務手続きに関する意見や提案を聴取した。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(1) 研究基盤の整備

① 臨床研究中核病院等拠点

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>臨床研究中核病院の特色化と機能強化を推進するとともに、臨床研究中核病院による質の高い臨床研究や医師主導臨床試験の実施、他施設への支援等を促進する。また、治験DXの実装を進めるためDCTに関する研修の強化等を推進する。(厚)</p>	<ul style="list-style-type: none"> AMED「医療技術実用化総合促進事業」において、臨床研究中核病院における国際共同研究に関わる人材の育成やノウハウの共有、医療系ベンチャー支援部門の設置、FMVに基づくタスクベース型の治験費用算定方法の導入等を進めている。 治験DXの実装を進めるため、治験・臨床試験の効率化を目的として生成AIの利活用推進や、「臨床研究総合促進事業」において、CRC等を対象にDCTに関する研修の実施を行っている。
<p>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機関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)</p>	<ul style="list-style-type: none"> 橋渡し研究支援機関や臨床研究中核病院の整備を推進するとともに、橋渡し研究支援機関における医歯薬系以外の先端技術・知識を利活用した研究開発支援や臨床研究中核病院におけるベンチャー支援相談窓口等を通じ、Medical Innovation Support Office (MEDISO) との連携も活用した医療系ベンチャー支援、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。
<p>次世代医療基盤法をはじめとした医療情報の二次利用の枠組みについて、臨床研究中核病院や国立高度専門医療研究センター等が率先して参画することを促す仕組みを講じる。(◎厚、健)</p>	<ul style="list-style-type: none"> AMED「医療技術実用化総合促進事業」において、臨床研究中核病院全体で標準化・品質管理された診療情報を集積し、二次利用を図る「臨中ネット」を整備している。

② 国際水準の治験・臨床試験実施体制の整備

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>新たに、GMP (Good Manufacturing Practice) 準拠の治験薬製造施設・研究施設を併設する、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試験実施施設の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。(厚)</p>	<ul style="list-style-type: none"> 「新規モダリティ対応ヒト初回投与試験体制整備等事業」において、国立がん研究センター、国立成育医療研究センター、国立健康危機管理研究機構のFIH試験実施体制整備を行い、新規モダリティを含む最新の医薬品の迅速な開発に向けた試験体制の整備を図っている。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(1) 研究基盤の整備

② 国際水準の治験・臨床試験実施体制の整備（つづき）

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度を取組と成果
<p>国内に開発拠点を有さない海外スタートアップや企業による国内での治験・臨床試験の実施を支援し、誘致するワンストップサービス窓口の設置を行う。また、英語で治験・臨床試験の契約・調整、治験・臨床試験全体のマネジメントを行う人材（メディカルスタッフや事務系職員も含む）の育成・配置を支援する。（厚）</p>	<ul style="list-style-type: none"> 「国際共同治験ワンストップ相談窓口事業」において、国立がん研究センターを実施主体として、日本に開発拠点を有さない海外バイオテック企業を主な対象に、当該企業が開発する医薬品を日本の患者に迅速に届けるため、日本における治験や承認申請に向けた開発などについて積極的に支援を行うワンストップ相談窓口「ENSEMBLEx（アンサンブル・クロス・ジェー）」を設置した。また、「臨床研究総合促進事業」において、国際水準の臨床試験実施体制の整備のため、英語での契約や試験マネジメントができる人材を育成している。
<p>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を拡充し、海外の規制当局や企業等との交渉力を高める等により、国内で国際共同治験・臨床試験を主導できる人材の育成を強化する。（厚）</p>	<ul style="list-style-type: none"> AMED「医療技術実用化総合促進事業」において、国際共同臨床試験実施国・機関との強い関係を築き、交渉力を高め、試験を主導していけるような人材の育成推進のため、臨床研究中核病院等から欧米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を行っている。
<p>治験における薬事規制の国際調和を図るため、ICH E6ガイドライン⁹の国内導入を進める。その上で、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）及び臨床研究法（平成29年法律第16号）の両法制度について、可能な限り整合性を確保するため、規制調和の観点から見直しの検討を行う。（厚）</p> <p>⁹ 医薬品規制調和国際会議（ICH）は、各国又は地域の医薬品規制当局と製薬業界の代表者が協働して医薬品規制に関するガイドラインを作成することを目的とした国際会議。ICH E6は医薬品の臨床試験の実施に関する基準のガイドライン（ICH-GCP）。</p>	<ul style="list-style-type: none"> 「治験エコシステム導入推進事業」において、治験にかかる手続きの簡素化・合理化を進めるとともに、治験エコシステムの導入の加速化、ICH-E6(R3)の国内実装に向けたGCP省令等の改正の検討を進めている。 令和7年度厚生労働科学特別研究事業「日本における臨床試験に係る制度の検討のための研究（研究代表者：楠岡英雄）」において、GCP renovationに代表される海外の潮流及び規制調和の観点を踏まえた日本の臨床試験の規制の課題の抽出、対応が必要な事項の整理を行った。
<p>国内における治験・臨床試験の質を向上し、国際共同治験・臨床試験をさらに呼び込み、実施件数の増加にも対応するため、プロジェクトマネージャー、スタディマネージャー、治験コーディネーター（CRC）、生物統計家、データマネージャー、臨床検査技師、倫理審査・治験事務局担当者等や治験・臨床試験業務に従事する医師、看護師（リサーチナース）、薬剤師等の人材育成を強化する。また、これらの研究支援人材について、能力や役割に応じた適切な処遇やキャリアパスの構築を行う。（厚）</p>	<ul style="list-style-type: none"> 「臨床研究総合促進事業」において、臨床研究中核病院を主体として、他施設の臨床研究従事者（医師・歯科医師）、CRC、治験・倫理審査委員会委員、DM、モニター、監査担当者に対して臨床現場における実習を含めた養成研修を行っている。令和7年度からは、治験・倫理審査委員会事務局や、治験調整事務局などの事務系スタッフを対象とした研修を新規で設置した。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(1) 研究基盤の整備

② 国際水準の治験・臨床試験実施体制の整備（つづき）

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>国際共同治験・臨床試験を推進するため、アジアを中心とした治験・臨床試験ネットワークの強化を行うとともに、国内での FIH 試験を含む治験・臨床試験のネットワークを強化するべく、臨床研究中核病院、国立高度専門医療研究センター、独立行政法人国立病院機構等の間での知見の共有、人材交流、共同治験・臨床試験の実施等の連携強化を図る。（厚）</p>	<ul style="list-style-type: none">• AMED「アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業」において、日本主導の国際共同治験を強化し治療薬等の開発・供給の加速を目指すため、感染症領域は国立健康危機管理研究機構、非感染症領域は国立がん研究センターを通じ、アジア地域の拠点整備や人材育成、各国の医療機関・大学とのMOU締結等、臨床研究・治験ネットワークの構築を行っている。• 国立高度専門医療研究センターの持つネットワークを利活用した研究に臨床研究中核病院が積極的に参画するよう、臨床研究中核病院の承認要件見直しの議論を厚生科学審議会臨床研究部会において行っている。
<p>ヒトチャレンジ試験¹⁰は、海外の一部で実施されているものの、倫理的にも安全性の観点からも課題が指摘されていることを踏まえ、国際的な動向を調査・分析することにより、我が国における導入の必要性について慎重に検討する。（厚）</p> <p>¹⁰ いわゆる「ヒトチャレンジ試験」とは、ウイルスなどの病原体を意図的に研究参加者に感染させて、その後の病気の発症や病状の経過を見ていく研究方法。ワクチン等の有効性評価に用いられる場合もある（参考：WHO TRS No.1004）</p>	<ul style="list-style-type: none">• 諸外国におけるヒトチャレンジ試験に関する規制枠組み・倫理審査プロセス・薬事における試験の位置づけ等について情報収集・整理を行った。
<p>感染症領域における治験・臨床試験については、ワクチン等の健常者や流行時の感染者を対象とすることなどの特殊性をふまえ、アジアの感染症流行地域とのネットワークを強化し、国際共同治験・臨床試験推進体制構築を進める。（厚）</p>	<ul style="list-style-type: none">• AMED「アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業」において、日本主導の国際共同治験を強化し治療薬等の開発・供給の加速を目指すため、国立健康危機管理研究機構を通じ、アジア地域の拠点整備や人材育成、各国の医療機関・大学とのMOU締結等、臨床研究・治験ネットワークの構築を行っている。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(1) 研究基盤の整備

③ 施設・設備

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>研究開発のインフラである研究開発基盤の整備を、統合プロジェクトによって推進する。研究開発活動の質やスピードは基盤施設・設備の有無やその技術水準、利便性に影響されるため、最先端の設備整備に努めるとともに用途や応用方法を開拓し、共用により、より多くの研究者が利用できる体制を整備する。特に、活動規模が小さく最先端設備や大型設備を使った研究開発が困難になりやすいと指摘される若手の研究者やベンチャー企業等が創造性を存分に発揮できるよう、共用の推進によりアクセスを確保する。</p>	<ul style="list-style-type: none">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んだ。生命科学・創薬研究支援基盤事業では、最先端大型放射光施設 NanoTerasuにおいて、タンパク質構造解析エンドステーション (MX-ES) の整備を行った。令和7年11月より本MX-ESの運用を開始し、完全自動測定と東北大学スーパーコンピュータA0BAとのシームレスなデータ統合連携により、膨大な数のサンプルの立体構造を原子レベルで迅速に決定することが可能となった。この技術を生命科学・創薬研究支援基盤事業 (BINDS) の支援に加え、国内研究における構造解析支援のより一層の充実化に繋げた。創薬総合支援事業 (創薬ブースター) で設立された産学協働スクリーニングコンソーシアム (DISC) で構築されたAMED中分子ライブラリー (約10万化合物) を生命科学・創薬研究支援基盤事業 (BINDS) に移管・整備することで、これまで創薬ブースター課題に利用が限定されていたDISCライブラリーを、BINDSを通してアカデミアで広く利用できる環境を整備した。これにより、BINDSにおいてライブラリー提供からリード化合物創出まで一貫してシームレスな支援が可能となった。創薬ブースターと基盤事業であるBINDSの連携により、事業間をつないで連続的に支援可能な仕組みづくりを進め、日本全体の創薬力向上に資する研究支援基盤の整備に繋げた。
<p>重粒子線施設、RI医薬製造用原子炉・加速器施設、放射光施設等の大型研究基盤施設の共同利用・共同研究を促進し、医療応用に向けた研究開発を加速する。また、大型施設に研究目的や専門分野が異なる多様な研究者が集まることに着目し、異分野連携の場としての活用を図る。加えて、共用システムの成果を発展させ、研究機関全体の研究基盤として戦略的に導入・更新・共用する仕組みを強化する「コアファシリティ化」の取組を支援する。(文)</p>	<ul style="list-style-type: none">QSTの重粒子線施設では、保険診療と臨床研究を実施するとともに、2025年度下半期には国内外から53グループの研究利用があり、医療分野を中心に、大型施設を活用した異分野間連携がはかられた。また、QSTのRI医薬製造用加速器施設では、大型施設を活かして福島国際研究教育機構 (F-REI) との協業を深めるためのサテライトラボを設置した。令和7年度までの先端研究基盤共用促進事業にて、研究設備・機器のコアファシリティ化やプラットフォーム形成を着実に推進した。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(1) 研究基盤の整備

③ 施設・設備（つづき）

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
世界的に魅力ある研究開発基盤の整備を図り、海外の研究コミュニティとの連携を促進する視点も重要である。（健、文）	<ul style="list-style-type: none">一例として、TICAD9のサイドイベントにてAMED支援の日本とアフリカ諸国との国際共同研究の成果等を紹介し、AMEDが支援する国際共同研究の取組み及び今後の日本の感染症対策や医療技術のアフリカ諸国をはじめとする国際展開への関心を高める機会を提供した。その他、30カ国149機関と計161件の国際共同研究を実施した。令和4年度第2次補正予算により措置された先端国際共同研究推進プログラム（ASPIRE）において、引き続き日本人研究者の海外派遣及び海外研究者の受け入れを推進するとともに、英国との共同公募では英国側FA（MRC、BBSRC）及び日本側FA（AMED、JST）が合同シンポジウムを共催し、研究者間の交流や連携を図ることで、国際頭脳循環を通じた海外の研究コミュニティとの連携を促進した。令和7年度補正予算の措置により、科学技術情勢及び政策動向を踏まえてASPIREにおける領域名と領域設定の考え方を改定し、新たな公募に向けた準備を進めた。
最先端機器を運用し、適用拡大等により研究の発展を促す専門人材の重要性に鑑み、分野全体として該当する人材を常に一定数雇用する体制になることにも留意して事業運用を行う。（健）	<ul style="list-style-type: none">研究の発展には最先端機器の運用が重要であり、一定数の専門人材を雇用可能な体制になっていることを留意し事業を運用した。
最新のAI活用も含めたデータ駆動型研究や、アンダー・ワン・ルーフで融合を実現できる環境の整備を推進する。（健、文、厚、経）	<ul style="list-style-type: none">低分子医薬創出のAI・シミュレーション技術として、「富岳」を活用し、創薬標的に対して数億～10億化合物を仮想ドッキングするデータベースの構築、低分子薬最適化のためのAI技術を創薬DXプラットフォームに実装した。
研究開発を推進する上で必要となる霊長類等の実験動物について、引き続き安定的な確保に努める。（厚）	<ul style="list-style-type: none">国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所において、国内で感染症の治療薬等の研究開発に係る非臨床試験を実施するため、常時1,500から2,000頭のカニクイザルを飼養し、約200頭のカニクイザルを生産した。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(1) 研究基盤の整備

③ 施設・設備（つづき）

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
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。（文、厚）	• 「長崎大学高度安全実験施設に係る監理委員会」（事務局：文部科学省、第14回：2025（令和8）年2月開催）を1回、開催し、長崎大学が実施する安全性確保と住民の理解に向けた取組を第三者の立場から確認を行うとともに、「感染症研究拠点の形成に関する検討委員会」（事務局：内閣官房、第10回：2025（令和8）年3月）等に参加し、計画の進捗状況や安全確保方策に関する検討状況等を把握するとともに、その他関係事項について大学側と協議を行うなど、関係省庁間で必要な調整を行った。
スタートアップを外から支えるインキュベーション機能やアクセラレーター機能など各地の創薬クラスターで不足している要素を補うことで、更なる民間投資の呼び水とし、創薬クラスターの育成・発展を目指す。（厚）	• 「創薬クラスターキャンパス整備事業」により、各地の創薬クラスター内で不足している動物実験施設やインキュベーションラボの建設、スタートアップの成長に資する取組等に要する費用を支援した。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(2) 推進体制の整備

① 研究人材力の強化

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度取組と成果
<p>分野横断的な人材の育成、異分野人材の参入を促す。最先端の健康・医療研究分野での人材育成、異分野・融合研究が推進されるよう、数理科学、情報科学、統計学分野、人文・社会科学の専門家の呼び込みを図る。その際、異分野挑戦のリスクに報いる待遇面の改善も含めて支援方策を検討する。</p>	<ul style="list-style-type: none">令和7年に日米医学協力計画60周年を迎えたことを契機に、担い手となる次世代研究者の育成及び国際的研究者コミュニティの形成を目的に、研修及びグループワークを開催した。異なる研究分野を背景を持つ計50名の若手研究者によるグループ編成で、中堅・シニア研究者によるメンタリングのもと、模擬研究提案を共同作成する機会を提供した。参加者からグローバルなキャリア形成に関する貴重な知見が得られたと高評価を得た。再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトでは、倫理・社会共創を担う人材の育成に取り組んだ。また、情報科学や工学等の異分野と連携した研究の提案を推奨した。特に再生医療等製品の製造や品質分析で使用する装置の開発には、情報科学分野の人材が重要であり、実際に課題に参画した情報科学の専門家が研究を推進させた。橋渡し研究プログラムでは、医歯薬系以外の異分野領域から医療応用を目指す研究開発シーズを早期の段階から発掘し支援を強化するため、80件のシーズを採択した。
<p>我が国の研究者が世界最先端の研究活動へ参画できる機会を設けるなどにより国際競争力のある若手研究者の育成に取り組むと同時に、我が国の研究者が国際頭脳循環に参画することによる、医療研究分野での国際的なプレゼンスの維持・向上を図る。(◎健、文、厚、経)</p>	<ul style="list-style-type: none">国際競争力のある若手研究者を育成するため、ASPIRE事業にて40人の若手研究者を海外に派遣した。当該事業を通じ、117件の若手研究者による国際学会等での発表、22本の国際共著論文の発表等、我が国における医療研究分野での国際的なプレゼンスの維持・向上を図った。
<p>競争的研究費の枠組みにおいて、優秀な若手研究者の能力や創造性を引き出す仕組みを構築し、異分野・融合研究を担う若手研究者の育成に取り組む。また、時間的余裕の確保や経済的な基盤構築も含めた研究に専念できる環境整備に努める。(◎健、文、厚、経)</p>	<ul style="list-style-type: none">AMEDにおいて、若手研究者が研究開発代表者として応募する「若手育成枠」や、若手研究者の登用を支援する事業を設けることで、優れた若手研究者の積極的な育成に取り組んだ。また上述の通り、複数のAMEDプロジェクトにおいて、異分野融合型の研究を積極的に支援した。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(2) 推進体制の整備

② 人材流動の促進

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>企業・アカデミア連携による人材育成・強化及び産学官間での人材の流動性を高めることを通して人材配置の最適化が進むよう、セクターを越えた人材の登用・積極支援を進めるとともに、人材交流の機会を増加させ、人材流動を誘導する。同様に、異分野間での人材の流動を促進する。企業とアカデミア等の連携・人材流動を促進する観点では、流動に伴う待遇変化への対応について、引き続き検討する。(◎健、総、文、厚、経、こ)</p>	<ul style="list-style-type: none">令和7年度補正予算において、製薬企業における兼業・副業の導入の実態調査や課題整理を目的とした調査の実施に加え、調査結果や好事例の共有や企業・アカデミア・スタートアップ間のパネルディスカッション等のイベントを行う「創薬人材クロスアポイントメント推進事業」に必要な予算を計上した。AMEDにおいては、実用化の促進に向けてシーズの目利きや伴走支援を強化するため、外部の専門家人材の積極的な確保に努めた。

③ バイオリソース

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>バイオリソース¹¹は産学の研究開発に不可欠な基盤であり、安定的に提供できる体制の整備が重要である。最新の施設・設備を備え安定的に運営する中核拠点や、拠点を担う若手の育成に対する支援を行い、必要なバイオリソースを随時利用できる体制の国内整備を支援する。(◎文、厚)</p> <p>¹¹ 研究用材料としての動物・植物・微生物の系統・集団・組織・細胞・遺伝子材料等及びそれらの情報</p>	<ul style="list-style-type: none">ライフサイエンス分野の研究基盤として、国が戦略的に整備することが重要なバイオリソースについて「ナショナルバイオリソースプロジェクト」により33の中核拠点および情報センターに対して支援を行い、収集・保存・提供体制の整備を行った。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(2) 推進体制の整備

④ バイオバンク、データベース

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>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、国際的なデータ連携を想定したデータの標準化等の取組を進める。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。(◎健、文、厚、経)</p>	<ul style="list-style-type: none">ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラムにおける取組として、ゲノムデータ等の国際的なデータ共有を見据えた標準化等を行う国際アライアンスGA4GH (Global Alliance for Genomics and Health) について、関係者から現状の聞き取りを実施し、今後の参画や活用について検討を開始した。AMEDデータ利活用プラットフォーム (CANNDs) において、データを利活用する研究者や産業界の意見を踏まえ、データ利用計画の立案前に、一定の制約の下でデータ解析を行うことができるプレリサーチ機能を整備した。
<p>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)</p>	<ul style="list-style-type: none">AMEDゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム事業では国内の14のバイオバンクが有する生体試料やゲノム等解析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」において大規模言語モデルを用いた問合せ対応チャットシステムの開発を進めるなど更に充実化を図ったほか、利活用ハンドブックを作成・周知し、倫理審査等の手続きを支援することで、試料・情報等の利活用を促進した。東北メディカル・メガバンク計画では、10万人の全ゲノム解析のデータ取得を完了し、10万人分を用いた全ゲノムリファレンスパネルを公開した。ゲノム研究バイオバンク (バイオバンク・ジャパン) では、ゲノム・オミックスデータと、データに付随する臨床情報をパッケージとして提供するBBJデータパッケージを提供するなど、バイオバンクに蓄積された試料・情報を活用した研究を促進している。NCBNでは各バイオバンクでのデータ・試料の利活用を進めると共に、中央バイオバンク事務局として5NC+JIHSのバイオバンク間ならびに国内他バイオバンク間の利活用手続きのギャップと課題を整理し、実務者会議等の開催を通してその対応に取り組んだ。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(2) 推進体制の整備

⑤ 基礎研究の推進

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>創薬・医療機器開発の源泉となる基礎研究を充実しイノベーションの種を絶え間なく創出していくことを目指し、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。特に、基礎と臨床の連携を進めつつ、トランスレーショナルリサーチ等を通じ、基礎研究の成果をイノベーションや社会実装・社会貢献へつなげるとともに、臨床の観点を取り入れることにより基礎研究を活性化することも重要である。その際、基礎研究の継続的・安定的支援を行うとともに、基礎研究から実用化への連続的な支援について成果目標を定めて管理する。</p> <p>また、生殖、早期ライフステージから老化までのライフコースを通じた研究など、空間的・時間的な広がりを持つ研究や、臓器システム関連に着目した研究、ヒト脳の動作原理の解明等に資する研究等を推進する。</p>	<ul style="list-style-type: none">AMED第2期から引き続き基礎研究への継続的・安定的な支援を行い、イノベーションの種を絶え間なく創出するための取組を行った。日本において虚血性心筋症による重症心不全及びレボドパ含有製剤を含む既存の薬物療法で十分な効果が得られないパーキンソン病を対象とするiPS細胞由来の再生医療等製品2品目が、条件及び期限付承認され、iPS細胞による再生医療が実用化段階へと大きく前進した。平成18年に山中伸弥教授が世界で初めてiPS細胞を樹立して以来、AMEDを中心に基礎研究からその実用化まで連続的な支援を続けてきた。本成果は、実用化に向けて取り組み続けてきた研究の結実であり、日本発の基礎研究成果が社会実装に至った画期的事例である。令和7年にノーベル賞を受賞した坂口博士の「制御性T細胞」に関する基礎研究に関し、AMEDでは、革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST/LEAP）、次世代がん医療加速化研究事業（およびその前身となる2事業）、難治性疾患実用化研究事業などの複数課題の支援を行った。成育疾患克服等総合研究事業では、重症新生児に対する迅速なゲノム診断の医療実装に関する研究開発として、原因不明の重篤な症状がある新生児に対し、迅速かつ精緻なゲノム診断の全国NICUでの実用化に向け取り組んでいる。AMED支援によりゲノム解析拠点の拡充とともに、遺伝カウンセリング提供体制の全国化を進め、児の速やかな疾患同定と治療導入に繋げる研究を進めた。革新的がん医療実用化研究事業では、事業間連携を行いHTLV-1キャリア（新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業）と成人T細胞白血病・リンパ腫（ATL）患者データ（革新的がん医療実用化研究事業）を統合したデータベースを構築し、感染からATL発症までを一元管理することで早期のATL発症予測から予防・治療に繋がるライフコースアプローチの実現を目指す取組を実施した。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(2) 推進体制の整備

⑤ 基礎研究の推進

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度を取組と成果
(つづき)	<ul style="list-style-type: none">革新的がん医療実用化研究事業では、40歳代の女性を対象に、マンモグラフィ単独とマンモグラフィ+乳房超音波併用を比較したランダム化比較試験を約15年間の長期追跡した結果、超音波併用検診により乳がん発見数が増加し、進行乳がんの罹患率が低下する重要な科学的根拠を示した(Lancetに掲載)。革新的がん医療実用化研究事業では、日英共同シンポジウム『Japan-UK Symposium on Children and Young People's Cancer in Tokyo』を英国国立保健医療研究所(NIHR)と共催で、小児・AYA(adolescent and young adult)世代のがんに関するシンポジウムを開催し、ドラッグラッグ・ドラッグロスの解消に向けて、今後の国際連携のあり方を議論した。今後のプロジェクトや事業運営に活用するために、データ利活用・ライフコースシンポジウムを開催し、医療データ利活用の制度整備・施設間連携基盤の構築から、ライフコースデータ・バイオバンクを活用した疾患研究の高度化、さらに予防医療・個別化医療への応用に至るまでの最新動向について総合的に議論した。脳神経科学統合プログラムにおいて、数理研究者との連携促進により、スーパーコンピュータ「富岳」の計算能力を駆使し、多数の神経細胞とそのつながりからなる脳領域の形態・機能をデジタル空間上で再現した精緻なシミュレーションモデルの構築に成功した。脳神経科学研究で重要とされている神経活動の可視化や神経回路の操作など、種々の目的に最適化されたウイルスベクターの確保に向け提供体制(ウイルスベクターコア)を構築した。令和7年度は200件のウイルスベクターを作成し提供した。脳神経科学研究者向けの実用化を促進するため、相談窓口や教育・研修体制を新たに整備し、研究者の意識調査や個別支援ニーズの把握を行った。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(2) 推進体制の整備

⑤ 基礎研究の推進

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>医学、薬学、理学等に加え、AI・ロボティクス×創薬等の新規モダリティの分野横断的な研究を推進し、絶え間ない創薬シーズ・新モダリティの創出による創薬標的枯渇の解消と、創出された創薬シーズからの開発候補品創出の効率化・加速化を図る。また、創薬ターゲット予測とシーズ探索等の初期創薬研究に活用できるAI技術と複数AIの統合によるプラットフォーム化を推進する（再掲*）。（健、文、厚）</p> <p>*「医療分野研究開発推進計画」の(3)8つの統合プロジェクトの①医薬品プロジェクトの項に掲載（P8）</p>	<ul style="list-style-type: none">創薬支援推進事業において、産学連携AIプラットフォーム開発（DAIIA-X）では、アカデミア創薬支援だけでなく、製薬企業での実際の創薬現場で使える AI システムを構築するため、本事業への参加表明を頂いた8社の製薬企業等との産学連携によるプラットフォーム構築を開始した。前システムでは低分子に限定されていたが、このプラットフォーム構築により、中・高分子まで創薬候補の提案を可能となった。また、先行事業（DAIIA）で事業化したAIを用い、創薬ブースターの支援（2課題）により得られたヒット化合物を基に、化合物構造の最適化を進めた。理化学研究所において、「創薬シーズ開拓基盤ユニット」を設立し、標的探索用の実験自動化システムの構築を推進した。また患者由来iPS細胞を活用した研究の実施、独自の抗原を用いた迅速なヒト抗体の取得、がん患者由来細胞を識別する新たな糖鎖パターンの取得等、先端的な研究技術基盤の高度化を進め、創薬シーズから開発候補品創出の効率化を推進した。
<p>配偶子形成、受精から発生、出生後から成長期に特に注目して、親と子の間で世代をつないで継承される健康・疾患の実体、時空間プロセス、メカニズムを解明、さらにはこれらの操作に向けた技術基盤等を構築することにより、生殖寿命の延伸や生殖補助医療・小児医療の土台となる早期ライフステージの研究を推進する。（文）</p>	<ul style="list-style-type: none">令和7年度は、世代間の伝承機構、母体環境が子の健康に与える影響等、早期ライフステージに着目とした研究プロジェクトの具体化を進めるとともに、各研究センターにおいてフィージビリティスタディを開始し、老化したマウス卵子の染色体数異常を抑止する技術の開発等の成果を創出した。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(2) 推進体制の整備

⑤ 基礎研究の推進

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>さらに、重粒子線がん治療等、成果の世界展開が見込める研究の更なる推進とともに、光工学、電磁場、音波、放射線、量子技術等の多様な技術を駆使し、非侵襲の方法も含めて生物を総体として計測していく観点が重要である。また、量子技術やナノテクノロジー、バイオリソース利用等と分野や領域を越えた連携を推進することにより、既存枠にとられない発想や研究開発活動を促す。(文)</p>	<ul style="list-style-type: none">• QSTが進める次世代重粒子線装置「量子メス」の開発にあたり、鍵となる超伝導電磁石の製造に成功するとともに、レーザー加速によって、治療に必要なイオン数を達成する見通しを得た。• 生体ナノ量子センシング技術を駆使し、リキッドバイオプシにおける疾患バイオマーカーの非侵襲かつ超早期検出技術開発を推進し、既存技術の1,000倍高感度化を達成した。• 超偏極技術を分子設計技術と組み合わせ、各種酵素活性を分けて検出する分子プローブを設計し、がんモデルマウスにおいて、抗がん剤による治療効果を腫瘍サイズの変化として捉えるのに先立って判定する超偏極MRI技術開発に成功した。
<p>ポテンシャルのあるアカデミアシーズ等の実用化に向け、基礎研究の段階から創薬を見据えた官民連携の事業に対する支援等を行う。(厚)</p>	<ul style="list-style-type: none">• 「創薬エコシステム発展支援事業」により、我が国の優れた創薬シーズに対し、創薬の経験を有する研究開発支援者による研究開発支援、スタートアップ設立支援、外部投資家からの資金調達支援等を実施した。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(3) 制度及び運用の充実

① レギュラトリーサイエンス、国際規制調和の推進

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度 of 取組と成果
<p>独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）は、新規モダリティ等に対する各種規制要件や留意事項を早期の段階で示すとともに、アカデミア研究者やスタートアップ等の研究開発者に対し、開発の早期段階から相談・支援を行う。（厚）</p>	<ul style="list-style-type: none"> 新規モダリティ等の革新的シーズの実用化に向けて、想定される薬事規制要件や留意事項を提示しながら開発計画等に関し伴走支援するため、厚生労働省「創薬力強化のための早期薬事相談・支援事業」により、新規モダリティ医薬品等薬事開発支援プログラムを開始した。
<p>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、最新動向の把握や専門的知識の向上等を通じて、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。（健、厚）</p>	<ul style="list-style-type: none"> 医薬品等規制調和・評価研究事業において、レギュラトリーサイエンス研究を推進し、治療用放射線医薬品の非臨床/臨床試験デザインや、新規モダリティ医薬品等の開発のための生物由来原料基準の更新に係る研究を支援し、ガイドラインの策定等に繋げた。 エクソソームを含む細胞外小胞（EV）等の新規モダリティに関する品質・安全性評価基盤の整備に向け、EV製剤の品質安全性確保に関するレギュラトリーサイエンス研究を推進した。 国際的な規制調和の推進に向けて、ヒトiPS細胞技術とAI・機械学習を用いた統合的な抗がん剤心毒性評価法の開発と国際標準化、医薬品の品質及び安全性確保のための評価手法等に係る国内基盤整備と国際調和の推進に資する研究、生体模倣システム（MPS）を用いた新規in vitro評価法の国際的な規制調和の推進に関する研究等を支援した。これらの取組を通じて、先進的評価手法の標準化、国際的な評価の考え方の整理、国内基盤の整備が進展し、医薬品等の評価に関する国際調和の推進に資する成果が得られた。
<p>新規モダリティ等に対する評価系の開発等の研究推進と合わせて、規制当局が新規モダリティの国際的な開発動向を把握し、レギュラトリーサイエンス研究によりその特徴を踏まえたガイドラインを作成し、国際的な規制調和の場であるICHやICMRAに提案する等により、国際標準の作成をリードする。（厚）</p>	<ul style="list-style-type: none"> 新規モダリティ等に対する評価系の開発等に向けて、セラノスティクス対応放射性医薬品の試験要件についての評価研究、アデノ随伴ウイルスベクターを用いた遺伝子治療製品の安全性評価法に関する研究、mRNAを用いた医療モダリティの品質評価及び管理に関する研究、ペプチド薬物複合体の品質及び安全性評価に関する研究、エクソソームを含む細胞外小胞（EV）製剤の品質安全性確保のためのレギュラトリーサイエンス研究等を支援した。これらの取組を通じて、新規モダリティの特性を踏まえた品質・安全性評価法や試験要件に関する知見の集積が進み、今後の評価基盤整備やガイドライン整備に資する成果が得られた。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(3) 制度及び運用の充実

① レギュラトリーサイエンス、国際規制調和の推進

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度 of 取組と成果
<p>海外非臨床試験データ（特にGLP試験）を受け入れる際の生データ保存義務の合理化を検討する。（厚）</p>	<ul style="list-style-type: none"> 経済協力開発機構（OECD）MAD制度（GLPデータの相互受入制度）を踏まえ、OECD加盟国の法令に基づいて収集・保存されているGLP試験資料について「承認申請資料の根拠資料の保管に関する義務」の適用外とするよう、薬機法施行規則の改正案を検討し、関係業界の合意を得た。
<p>PMDAは、レギュラトリーサイエンスセンターと関係部門が連携し、リアルワールドデータの活用や、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の開発等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。（厚）</p>	<ul style="list-style-type: none"> PMDAでの部門横断的検討を踏まえ、「新しいアプローチ方法論（New Approach Methodologies: NAMs）」等に関するEarly Considerationを公表し、審査・相談の予見性向上及び医薬品開発の円滑化に資する情報発信を行った。
<p>PMDAは、新規モダリティの実用化推進のための相談・支援、各種英語対応や国際共同審査枠組みへの参加、国際的に開かれた薬事規制であることの発信等を行うこととし、そのための組織・人員体制を確立する。（厚）</p>	<ul style="list-style-type: none"> 厚生労働省「創薬力強化のための早期薬事相談・支援事業」、「医薬品国内開発伴走事業」等により、次の事項について対応するとともに、PMDAの体制の整備に努めた。 <ul style="list-style-type: none"> ➢ 新規モダリティ等の実用化を推進するため、新規モダリティ医薬品等薬事開発支援プログラムを開始 ➢ 各種の英語対応の準備等を進めるとともに、アウトリーチ活動を通じ、海外のベンチャー企業等への日本の薬事規制情報を発信 ➢ PMDAワシントンD.C.事務所において、海外企業に向けた薬事一般相談を実施
<p>新たなモダリティの研究開発やスタートアップ創出にも貢献できる人材を確保・育成するため、アカデミアにおけるグローバル人材の受け入れを進める。また、医学部・薬学部の教育の段階から、創薬に貢献するための医療人材の養成に向けて、大学の教育のプログラムの充実について検討する。（文）</p>	<ul style="list-style-type: none"> 「橋渡し・臨床加速化プロジェクト」の「大学発医療系スタートアップ支援プログラム」では、新規モダリティの研究開発やスタートアップ創出にも貢献できる人材育成に取り組んだほか、「医学系研究支援プログラム」においては、海外等との頭脳循環の推進等の研究環境の改善に係る取組を実施している。また、創薬研究に貢献する医療人材の養成に向けて、薬学養成課程と医学部等の他学部との連携も含めた教育プログラムの構築に係る調査研究を行った。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(3) 制度及び運用の充実

① レギュラトリーサイエンス、国際規制調和の推進（つづき）

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の実績と成果
医療の研究開発は、先端技術の先鋭化や提供、実用化への貢献など専門性や創造性を要する多様な要素がある。論文偏重の研究者評価から、多様な価値観の評価を取り入れ、実用化、非臨床試験・臨床試験に従事するインセンティブ設計を検討する。（◎健、文、厚、経）	• 出口志向の研究開発マネジメントの強化を掲げ、ペアリング・マッチングの推進や実用化に向けた連続的支援・企業導出を加速するための調整費の柔軟化に取り組み、実用化志向の研究開発に取り組む研究者が必要な資金にアクセスしやすくなる環境整備を行った。
多施設共同治験において、単一の治験審査委員会での審査（single IRB）を原則化し、そのための手続き上の課題解消を図る。（厚）	• single IRBの原則化に向けてGCP省令等の改正の検討を行っている。また、令和7年12月25日に「治験の一括審査の実施状況に関する数値目標」を設定し公表した。

② 次世代医療基盤法に基づく研究開発の推進

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の実績と成果
認定作成事業者の事業の運営状況に関する国や認定作成事業者からの情報提供を受けて、医療分野の研究開発の効果的・効率的な推進を図る観点から、医療分野の研究開発に従事する者に対して、研究の内容に応じて、匿名加工医療情報及び仮名加工医療情報の活用について適切に助言や情報提供を行うとともに、保健・医療・介護現場のICT化に資する研究を推進する。	• 次世代医療基盤法の認定作成事業者におけるリモートアクセスにより利用者がデータ解析できるビジティン環境の構築や、必要なデータを提供する医療機関との新規連携等を進めるとともに、改正次世代医療基盤法の施行を受けて、令和7年度に4件の認定仮名加工医療情報利用事業者の認定を行うなど、次世代医療基盤法に基づくデータ利活用基盤の整備や社会実装の取組、現場のICT化の研究を含め匿名加工医療情報及び仮名加工医療情報の利活用を促進した。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(3) 制度及び運用の充実

③ 研究開発と社会制度・規制

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度 of 取組と成果
<p>創薬をはじめ我が国の医療分野においてイノベーション創出のエコシステムが循環的に発展していくためには、内外からの投資が継続する必要がある。民間投資は経済合理性を踏まえて行われるものであり、医薬品や医療機器等、上市後のリターン面の予見可能性及びイノベーションへの評価が重要となる。</p>	<p>(前段について)</p> <ul style="list-style-type: none">○ 国内外からの投資を呼び込み、日本の創薬エコシステムを発展させるため、令和7年6月に「創薬力向上のための官民協議会」を開催した。○ 令和8年1月以降、日本成長戦略会議の下に設置された「創薬・先端医療WG」において、官民投資の促進を図るための方策について議論を行っている。 <p>(後段について)</p> <ul style="list-style-type: none">○ 令和8年度薬価制度改革に向けて議論し、以下の制度改革を行った。<ul style="list-style-type: none">・ 企業の予見可能性を高めてイノベーションを促進する観点から、市場拡大再算定の類似品への適用（いわゆる共連れ）を廃止するなどの見直し・ 国内の診療ガイドラインにおいて「標準的治療法になった」と評価できる場合について、薬価改定時の加算を新設・ 新薬収載時、成人及び小児の同時開発促進の観点から、市場性加算（I）と小児加算の併加算を可能とするよう見直し○ 令和8年度保険医療材料制度改革に向けて議論し、以下の制度改革を行った。<ul style="list-style-type: none">・ 使用成績を踏まえた再評価に係る申請（チャレンジ申請）におけるデータ収集及び提出方法の明確化・ 特定保険医療材料に係る補正加算の明確化・ 体外診断用医薬品の保険適用における評価基準の明確化・ 希少疾病等の検査に用いる医療機器及び体外診断用医薬品の評価の対象の拡充・ プログラム医療機器の診療報酬上の評価基準の明確化・ 小児用医療機器の保険償還価格算定の基準の見直し

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(3) 制度及び運用の充実

③ 研究開発と社会制度・規制

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
研究開発促進のために、小児疾患、希少疾病、感染症用の薬事・薬価制度の充実や、医療保険制度におけるイノベーションに対する適切な評価を推進する。	<p>(薬事制度について)</p> <ul style="list-style-type: none">○ 希少疾病や小児用医薬品、薬剤耐性を有する病原体に対する医薬品など、医療上必要性の高い医薬品等については優先的に審査を行い期間の短縮に努める等しているほか、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た。 <p>(医療保険制度について) 【再掲】</p> <ul style="list-style-type: none">○ 令和8年度薬価制度改革に向けて議論し、以下の制度改正を行った。<ul style="list-style-type: none">・ 企業の予見可能性を高めてイノベーションを促進する観点から、市場拡大再算定の類似品への適用（いわゆる共連れ）を廃止するなどの見直し・ 国内の診療ガイドラインにおいて「標準的治療法になった」と評価できる場合について、薬価改定時の加算を新設・ 新薬収載時、成人及び小児の同時開発促進の観点から、市場性加算（I）と小児加算の併加算を可能とするよう見直し
医療情報を研究開発活動により活用していくためには、研究当初の同意取得に加え、ダイナミックコンセントやICT/AI技術を用いた同意取得の在り方や、データ利活用促進に向けた入口規制の緩和に見合った出口規制の厳格化について検討が必要と指摘されている。	<ul style="list-style-type: none">・ 医療データの利活用を更に円滑化するための制度枠組みについて、令和7年9月から内閣府の「医療等情報の利活用の推進に関する検討会」において検討しており、令和8年1月に中間まとめを行い、引き続き本年夏目途の議論の整理に向けて検討を進めている。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(4) 研究開発の適正性の確保と成果¹²の普及

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>研究開発成果を社会的価値へと転換していく過程で、様々な活動主体へと協力を発展させていく普及活動が重要である。研究開発の公正かつ適正な実施による信頼性確保を前提条件とし、成果の産業展開や海外展開等の取組を、ネットワーク形成から個別協力まで様々なレベルで実施する。</p> <p>加えて、医療分野の研究開発のプロセスや成果が人々の生命や生活、社会に変化や影響を与える点に鑑み、医療分野の研究開発を社会との対話や協働を通じて進め、研究開発の成果が人々の安全・安心を確保し、理解・信頼を得ながら患者・家族に届けられるよう、「社会共創」の取組を強化する。</p> <p>研究開発の実施と、その成果の利用による医療の発展を持続的に推進していくため、医療を通して成果を社会に役立て、その対価を投資に回して研究開発を行うサイクルを形成していく必要がある。成果普及の一環で、こうしたサイクルが円滑に回るような呼びかけと仕組みの検討を進め、必要な提案等を行う。</p>	<ul style="list-style-type: none">医療分野の研究開発における公正性及び適正性を確保するため、研究倫理教育の履修の義務付け、ワークショップの開催、RIOネットワークを通じた情報発信等、AMEDを中心に様々な取組を行った。医療分野の研究開発を社会の理解や信頼を得つつ進めるため、責任ある研究・イノベーション（RRI）の考え方にに基づき、研究開発の早期から倫理的・法的・社会的課題（ELSI）に対応するための支援や調査を進めた。研究への患者・市民参画（PPI）など「社会共創」に関する取組を強化した。特に令和7年度は、AMED研究倫理・社会共創推進プログラムを新たに設立し、研究倫理や社会共創に関する研究を開始した。以下の項にて、具体的な取組を記す。

¹² 健康・医療戦略推進法第18条「政府が講ずべき医療分野の研究開発並びにその・・・成果の普及」に沿って、研究開発の中核的役割を担うAMEDが支援した研究開発の成果を対象とする。

① 研究開発の公正かつ適正な実施の確保 (◎健、総、文、厚、経、こ)

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<ul style="list-style-type: none">生命倫理への配慮及び個人情報の適切な管理を行うとともに、医療分野の研究開発の公正かつ適正な実施の確保に必要な施策を講ずる。基礎研究及び臨床研究における研究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。研究倫理に関連する法令・指針等の遵守を促すとともに、研究開発を円滑に実施できるよう、必要に応じ見直しを行う。	<ul style="list-style-type: none">医療分野の研究開発における公正かつ適正な実施を確保するため、AMED事業に参加する研究者等に対して研究倫理教育の履修を義務付けるとともに、研究公正・研究倫理に関する取組の普及・展開を図るため、教材の高度化と、セミナー・ワークショップを開催した。また、他の資金配分機関・学会等と連携した取組や、RIOネットワークを通じた情報発信を行い、研究公正等に係る知見の共有やネットワークの形成を促進した。「生命科学・医学系研究等における個人情報の取扱い等に関する合同会議」を実施し、人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針の見直しの方向性を検討した。その検討結果を踏まえ、指針の一部を改正することを予定している。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(4) 研究開発の適正性の確保と成果¹²の普及

② 研究開発における「社会共創」の取組推進 (◎健、総、文、厚、経、こ)

・ 医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度取組と成果
<ul style="list-style-type: none">基礎から実用化まであらゆるフェーズにある医療分野の研究開発が社会の理解や信頼を得つつ進められるよう、責任ある研究・イノベーション（RRI）の考え方にに基づき研究開発を推進・展開するために必要な施策を講ずる。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、研究開発の早期の段階から倫理的・法的・社会的課題（ELSI）への対応を行う。医療分野の研究開発におけるダイバーシティ推進や、研究への患者・市民参画（PPI）など「社会共創」の取組を充実・普及させる。	<ul style="list-style-type: none">ELSI/RRIへの対応として、再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムにおける再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題では、当該領域の研究開発課題に対する研究倫理支援を行いつつ、支援活動より生じた課題に対する調査研究を進めるとともに、市民公開講座等を通じて社会と広く議論を行った。また脳神経科学統合プログラム（研究・実用化支援）の研究倫理支援課題では、当該領域の研究開発課題に対する研究倫理支援を行いつつ、対応すべきELSI面のトピックを抽出し、支援活動につなげるための研究等を進めた。医療分野の研究開発におけるダイバーシティ推進やPPIなど「社会共創」への取組として、AMED研究倫理・社会共創推進プログラムを新たに設立し、国内の患者・市民参画に関するプラットフォーム構築に向けて、3課題の研究開発を開始した。患者・市民とのラウンドテーブルや研究者への取組支援、精神疾患領域における患者・当事者との共同創造に向けた取組等が進んでいる。また、再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムにおける再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題では、患者市民参画パネルを立ち上げ、研究者とのディスカッションや市民公開講座等の機会を得た。さらに令和7年度は、全事業公募のうち86%の研究開発提案書にPPI記載欄が設置された。

③ その他

3.2 研究開発の環境の整備及び成果の普及等

(4) 研究開発の適正性の確保と成果¹²の普及

③ 情報発信 (◎健、総、文、厚、経、こ)

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<ul style="list-style-type: none">AMEDを主体に各事業が協力して研究開発の成果に係る情報発信を実施する。また、各府省庁及びインハウス研究機関は、各々の主体が行う情報発信の際に、積極的に医療分野研究開発の成果等情報を発信する。情報発信は、製薬企業・医療機器企業・ベンチャーへの成果導出、海外関係機関等を通じた国際展開、異分野連携や共同研究による研究開発の進展、国民の治験・臨床試験への理解等の土壌形成に資することを目的に行う。また、国民への説明責任を果たし、さらには国民の共感と応援を得る観点、関係人材の獲得に向けた関心の喚起なども目的とする。発信情報の専門性が高いことに留意し、専門家から一般国民まで各ターゲット層の関心を考慮した情報を多様な媒体で発信する。また、情報発信の際には、アカデミア研究者が発明等により経済的な成功を収める例など、多様なキャリアやチャンスがあることを具体的に提示するなど、若手人材の獲得に資するよう配慮することも重要な観点である。さらに具体的に、国民向けの治験・臨床試験のリテラシー向上に役立つ情報発信の施策及び治験・臨床試験情報へのアクセス向上に向けた施策を検討し、国民の治験・臨床試験への理解を深め、更なる治験への参加の促進につなげていく。(厚)	<ul style="list-style-type: none">各府省庁及びインハウス研究機関は、各々の主体が行う情報発信の際に、医療分野における研究開発の成果等の情報を積極的に発信するよう取り組んだ。AMEDは最新の成果や取組を社会に広く伝えるべく、ホームページやSNS等の多様なツールを活用し、情報発信に取り組んだ。ホームページのトップページに訴求対象別のメニューを新設することで、専門家から一般国民まで各ターゲット層が自身の関心に適した情報にアクセスしやすくなるよう工夫した。また、ウェブマガジン「AMED Pickup」やYouTubeを通じて、公募情報や研究開発の成果、シンポジウムの様子等を発信した。さらに「BioJapan2025」へのAMEDブースの出展、5種類のメールマガジン（総合メルマガ・ニュースレター・公募情報・調達情報・RIOネットワーク）の配信、AMED紹介パンフレット（日・英）及び成果集も作成した。特に、簡易版のAMED紹介パンフレットは、研究者や企業関係者に加え、患者や市民からも好評を得た。メディアを通じた情報発信にも積極的に取り組み、令和7年度は理事長記者説明会を5回開催した。理事長就任会見や日本製薬工業協会との連携・協力の取組を示す共同記者説明会では、メディア関係者と活発な質疑応答を行った。治験・臨床試験における患者・市民参画（PPI）については、厚生科学審議会臨床研究部会でとりまとめた「治験・臨床試験の推進に関する今後の方向性について 2025年版とりまとめ（令和7年6月30日）」において、PPIの啓発や推進の重要性が指摘されており、AMEDで作成された研究者を対象とした「患者・市民参画（PPI）ガイドブック」の普及に努めた。

③ その他

3.3 AMEDの果たすべき役割 (◎健、総、文、厚、経、こ)

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度取組と成果
<p>AMEDは、医療分野の研究開発及びその環境の整備の中核的な役割を果たし、医療分野の研究開発に取り組む関係府省庁の事業を一元的に運営し、戦略的な資金配分を実現する。官民の役割分担に関して、AMEDは、成否のリスクが高い革新的な基礎研究や、難病・希少疾患のようにニーズはあるものの市場性が低い分野、感染症を筆頭に市場性が読みづらい分野など、民間企業が取り組まない分野を中心に研究開発支援を実施し、その成果を民間企業に受け渡し、民間企業が製品化及び製造の実装を担う。</p> <p>第3期では、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。</p> <p>特に、AMEDの裁量性を高め、革新的なシーズを創出し、早期の実用化を目指すために、各府省庁の補助及び委託事業（以下「補助等事業」という。）の間で支援の切れ目が生ずることなく連続的な支援ができる仕組みをAMED内に構築し運用する。（健）</p> <p>また、3.1(5)に示した複数の統合プロジェクトや個別事業で共通する取組については、各事業の特性に配慮しつつも全体的な取組として効率的・効果的に実施されるよう、AMEDが主体的な役割を果たす。実行においては当該事業所管府省庁と十分に認識を共有し、必要に応じて事業設計に係る改善内容を提案する。AMEDの提案を受けた関係府省庁は、事業の改善方策の可否を含めて検討する。環境整備等に関しては、個別事業で明示的に取り上げられている取組やインハウス研究機関その他関係機関でも独自の取組が行われているものも少なくないことから、適宜連携しながら取り組むことが重要である。個別事業を所管する府省庁は、これらの共通事項も含めて、適切に資源配分を行う。</p>	<ul style="list-style-type: none">AMEDは、医療分野の研究開発及びその環境の整備に向けて中核的な役割を果たすべく、関係府省庁の事業を一元的に運営し戦略的に研究開発を支援した。特に、官民の役割分担の観点から、革新的な基礎研究、難病・希少疾患領域の研究、感染症に関する研究等、民間企業では取り組まれにくい分野を中心に支援した。また、医療分野における優れたシーズの実用化を加速させるため、各事業の間で切れ目が生ずることなく連続的に支援する仕組み（ペアリング・マッチング）の導入や企業導出の促進を図った。特に、ペアリング・マッチングについては、一部の事業で先行的な取組を開始した。AMEDは、各種取組や支援の進捗状況及び取組過程で生じた課題等の情報を関係府省庁に共有し、それを踏まえAMEDと関係府省庁は共に改善方策を検討した。詳細を以下の項に示す。

③ その他

3.3 AMEDの果たすべき役割 (◎健、総、文、厚、経、こ)

(1) 優れたシーズの創出・実用化の加速

① 出口志向の研究開発マネジメント

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度を取組と成果
<p>医療分野の基礎的な研究開発から実用化のための一貫した研究開発で世界最高水準の医療の提供を実現していくために、国は、市場原理が働きにくい研究開発領域を支援する。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ことが重要である。</p> <ul style="list-style-type: none"> • 実用化までのプロセスを熟知している人材を登用することなどを軸に、研究開発段階から出口戦略の立案を支援し、円滑な企業導出を目指した効果的なプロジェクトを管理する体制整備を進める。 • 基礎段階のシーズ探索に数年を要し高い確率で失敗する医薬品等の研究開発の特性を前提に、資金配分機関であるAMEDの目利き能力を向上するため、調査・分析機能を整備する。 • 事業化に向けたマイルストーン設定や、社会実装を見据え必要な関連研究・技術の探索、研究者・技術者、医療関係者や企業等の仲立ち等の出口戦略の立案を行う。 • AMEDは、上記の取組などで得られる、企業導出に必要なデータセットや知財の特徴、研究開発計画戦略の在り方など暗黙知を含めたノウハウについて、関係者が共有し、AMEDが支援する研究開発課題に適用していく方策を検討し、実施する。 • これまでのAMEDを通じた研究開発支援の事例について、成功事例のみならず失敗事例も含めて分析等を進め、これに基づき各府省庁の補助等事業の効果向上を目指した改善を検討する。また、直ちに実施可能なグッド・プラクティスは、各事業所管府省庁とも認識を共有しながら、AMED内での横展開や伴走支援を通じて適用する。 	<ul style="list-style-type: none"> • 明確な出口戦略の下で円滑な企業導出を目指した魅力的なシーズを育成するため、知財・実用化を含めた一体的な支援体制を構築することにより、社会実装に向けた効果的な支援が可能となった。また、日本製薬工業協会（製薬協）への加盟会社以外からのアドバイザー参画や、PMDA新規モダリティ医薬品等薬事開発支援プログラム（新モダ相談）との連携も開始し、新規モダリティへの対応も強化した。 • AMEDは、製薬協と連携協定を締結し、企業の視点を取り入れ、革新的新薬の創出を戦略的に推進するため「AMED IND ENGINE (AND-E)」を立ち上げた。 • 計23課題をAMED-FLuXに附議、計14課題を実用化支援機能で支援し（うち重複支援は8課題）、TPP策定支援により計3課題が企業交渉着手、計3課題が新モダ相談申込に至った。研究者には、preミーティング及びpostミーティング、企業アドバイザーの書面コメントも提供した。また、今後の運用改善・機能強化に向けて、企業アドバイザーと「基礎研究課題の附議のあり方」や「効果的かつ効率的なアドバイス方策」等の意見交換を行った。次年度の運営方法の改善検討、AIを活用した業務効率化の検証などに着手した。 • 企業導出に必要なデータセットや知財の特徴、研究開発戦略の在り方など暗黙知を含めたノウハウの体系化に向けて、令和7年度にTPP策定支援を実施した課題についてノウハウを蓄積した。 • AMEDは、調査等に基づくマネジメントを実施すべく、事業間連携や企業導出に資するシンクタンクの機能に関する整備を行った。具体的には、AMED Management System (AMS)データの活用、有識者等へのヒアリングなどにより、俯瞰調査や、領域毎のアクションに繋がる深掘り調査（例：社会実装においてAMEDが担う役割）を実施し、AMED内に共有した。また、疾患領域を対象に、これまでの研究開発支援事例について、成功事例や改善が望まれる事例を整理し、統合プロジェクト連携会議等を通じて、AMED内で横展開するとともに関係府省庁にも共有した。

③ その他

3.3 AMEDの果たすべき役割 (◎健、総、文、厚、経、こ)

(1) 優れたシーズの創出・実用化の加速

② 事業間連携の強化

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の実績と成果
<p>(前略)</p> <ul style="list-style-type: none"> 医療業界等の動向情報、患者・家族等からの情報、国際的な研究動向等やデータベース等を活用した分析を行う。 基礎研究から応用研究、非臨床、臨床研究・臨床試験等の各補助等事業の間の連携を確保するための仕組みとして、AMEDは以下の「ペアリング」「マッチング」の仕組みを関係府省庁と共に検討して実施し、採択プロセスの柔軟な運用を導入する。 <p>(中略)</p> <ul style="list-style-type: none"> 各府省庁の補助等事業の切れ目を埋めるため、運営費交付金及び調整費の有効な活用も含め、様々な方策を検討し、実施する。制度設計の変更が望まれる事業とその内容が特定されたときは、AMEDが関係府省庁に具体案を提案し、当該府省庁が対応する。 AMEDへの事業間連携の機能の追加とそのための人員措置など、必要な体制整備を行う。 各府省庁の補助等事業の切れ目を埋めるための調整費の機能強化として、従来の調整費による追加配分では対応できなかった、公募時期や事業年度の壁を超える、切れ目のない柔軟な支援を行う。また、各府省庁の補助等事業には必ずしも含まれない共通基盤的なテーマや先端的・先取りテーマについてAMED発意・提案による複数年のプロジェクト創設など、AMEDの裁量と責任において柔軟かつ機動的な支援が可能となる調整費の活用の在り方について検討を行う。 上記の実施による知見を蓄積しつつ、所要の検討を経て、AMEDの支援事業全般を対象に、事業単位、統合プロジェクト単位、疾患単位でポートフォリオ管理を開始する。 ペアリング・マッチングを含む事業間連携の仕組みについて、これまでAMEDの支援を受けたことがない研究者や成果の導出先である企業を含め、広く広報や意見交換を行い、取組の周知や継続的な改善に努める。 	<h4>令和7年度の実績と成果</h4> <ul style="list-style-type: none"> 優れたシーズの実用化を加速するため、統合プロジェクト連携会議を、事業間連携を強化するプラットフォームと位置付け開催し、事業間連携・実用化を進める上での課題と解決策を検討した。 がん領域及び難病・希少疾患領域では、ペアリング・マッチングの仕組み作りを先行して行った。対象課題を選定する際のフローや基準を検討し、他事業での円滑な制度導入に向けたプロトタイプを整備した。がん領域では、次世代がん医療加速化研究事業を先行事業、革新的がん医療実用化研究事業を後継事業としてペアリングして、事業間のギャップを埋めるべく、ステージゲート要件設定や後継事業の制度設計を改善した。難病・希少疾患領域では、難治性疾患実用化研究事業での研究開発を軸に、有望シーズのマッチングに向けた取組を開始した。いずれの領域においても、AMEDは実施する過程で生じた課題や各種取組の進捗状況を関係府省庁に共有し、今後の方針を共に検討した。 全事業共通の令和8年度公募要領のペアリング・マッチングの制度導入の目的や記載要領を明記した。 運営費交付金に充当可能な調整費を活用して、事業間をつないだ連続的支援(7件)や企業導出支援(7件)のための施策に対し、計14件の研究課題に配分した。

③ その他

3.3 AMEDの果たすべき役割 (◎健、総、文、厚、経、こ)

(1) 優れたシーズの創出・実用化の加速

③ シーズの育成

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の実績と成果
<ul style="list-style-type: none"> プロジェクト横断的なステージゲートの考え方を導入する等により、Go/No Goを早期に判定し、創薬や医療機器創出という出口に向けて次の段階につながらない研究開発課題や取組内容の入替えを研究開発期間の途中でも実施する。その際、Go判断とならなかったものについても、方向性を変更することで想定外の成果が得られる可能性があることも考慮し、それまでの研究成果を活かせる道がないかを検討する。また、Go判断となったものについて、可能な場合は、支援事業の完了を待たず、他事業への移行や企業導出に向けた支援を行う。 AMED Management System (AMS) の整備、活用により支援活動及び成果をデータで把握し、分析する。また、支援課題の追跡調査の合理的・効果的な方策を検討し、実施する。 	<ul style="list-style-type: none"> 実用化に向けた進捗状況を評価・把握し、各課題の継続の可否についてGo/No Go判断を行った。特に、複数の事業において、支援期間中に一定の成果を創出した研究課題のみ継続する仕組み（ステージゲート評価）を設け、優れた研究課題をより効果的に支援した。また、AMED-FLuXにおいて、企業視点におけるGo/No Go判断の導入に向けた検討を開始した。（再掲） AMSから抽出・分析したデータを、領域運営会議やシーズ育成と実用化の加速に向けた支援体制の議論に活用した。また、疾患領域を構成する研究開発事業のPS・PO会議でも活用した。さらに、現在進めているAMEDのシンクタンクの機能構築に係る委託調査にもAMSの情報を活用している。その他にも、AMED Data Book、講演資料におけるファクトデータ、統合プロジェクト連携会議の資料等の作成時にAMSを積極的に活用し、支援活動及び成果を把握した。また、モニタリング指標等を把握するため、AMED全支援課題（進行中の課題を含む）を対象に追跡調査を実施した。

(2) 統合プロジェクトの運営

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の実績と成果
<p>第1期、第2期計画の経験を活かし、各府省庁の関連する研究開発事業を統合的に連携させ、一つのプロジェクトとして一元的に管理する。また、プロジェクト間連携、事業間連携に取り組む。同時に、疾患領域別のマネジメントとして疾患領域コーディネーター（DC）を配置して実施する。</p>	<ul style="list-style-type: none"> 各府省庁の関連する研究開発事業を統合的に連携するよう推進した。特に、AMEDの各事業間を切れ目なく支援するための仕組み（ペアリング・マッチング）を導入し、一部の事業において先行的な取組を開始した。 がん、難病、ライフコースの3つの視点で、プロジェクトを横断して連携協力を調整する体制を構築した。各疾患領域に経験豊富なDCを配置し、疾患領域別のマネジメントを実施した。DCがマネジメントする領域運営会議を新たに設置し、事業間連携に関する検討や、調整費を活用した新規有効成分医薬品開発の加速、シナジー効果を生み出すための戦略を検討した。また、各DCは統合プロジェクト連携会議に参加し、プロジェクト横断的な連携強化を進めた。

③ その他

3.3 AMEDの果たすべき役割 (◎健、総、文、厚、経、こ)

(3) PD、PS、P0体制の整備

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>(前略)</p> <ul style="list-style-type: none">PDは上記のAMED機能強化のための活動と深く連携し、PSは要請に応じて協力する。AMEDは、最新の情報や方針をP0に提供したり、研究開発活動のトレンドに合わせてP0の交替を行ったりするなどして、伴走支援者の能力がより発揮される環境を整える。人選においては、COIに留意しつつ現役世代研究者の参画も積極的に押し進め、最新情報によるプロジェクトマネジメントを促すルールの下で行う。	<ul style="list-style-type: none">PDやDC、関係府省庁等が参加する統合プロジェクト連携会議を4回、領域運営会議を3つの疾患領域で計13回開催した。事業間連携、伴走支援のあり方、実用化の意識醸成に必要なマネジメントや環境整備等について情報を共有し、見直しに向けて議論した(再掲)。PD、PS、P0の人選においては、知見のバランス及び多様性の確保の一環として、現役世代研究者の参画を推進した。その結果、論文発表又は学会発表活動を継続中の研究者がPD、PS、P0に含まれる事業は、62事業中59事業となった。

(4) 統合プロジェクトに共通する取組及び環境の整備の推進調整

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>医療分野の研究開発及びその環境の整備において関係事業を一元的に管理し運用するAMEDは、上記の3.1(5)に掲げる全8統合プロジェクトに共通する取組及び、3.2(2)に掲げる推進体制の整備を主体的に実施する。また、研究開発支援現場における課題や改善提案等を取りまとめて関係府省庁に報告する。</p>	<ul style="list-style-type: none">AMEDは、基礎から実用化までの一貫した研究開発の加速を目指し、全8統合プロジェクトに共通する様々な取組や支援を主体的に実施した。各取組の進捗状況や取組過程で生じた課題を関係府省庁に共有し、改善提案等に努めた。

③ その他

3.3 AMEDの果たすべき役割 (◎健、総、文、厚、経、こ)

(5) 事務の合理化

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和7年度の取組と成果
<p>関係府省庁の研究開発支援事業を一元的に実施するAMEDは、研究開発資金に対する説明責任に留意しつつ、事務手続きが研究者等にとって過度な負担とならないよう、事務手続きの簡素化・合理化を進める。</p>	<ul style="list-style-type: none">• 契約管理や経理に関する検査方法を見直した。従来は、毎年度の研究開発期間終了後を中心に実施してきたが、合理化を進めるため、執行状況や内容の把握／調整などもする進捗把握や中間検査を中心とする運用に移行する。特に全課題の9割以上（約3,000課題）を占める大学等については、「研究機関における公的研究費の管理・監査のガイドライン（実施基準）」（平成19年2月 文部科学大臣決定）による管理・監査体制整備や内部監査、コンプライアンス教育等の実施が確認できる場合、合理的かつ効率的な書面による方法にて検査を実施する。令和8年度から一部、令和9年度から全面的に実施する予定である。これにより、研究機関及びAMED職員の事務負担が軽減されるとともに、より効果的に研究開発実施期間中の執行状況を確認できる。主に研究開発機関の経理・契約担当者を対象にした事務処理説明会（ハイブリッド形式）にて、本件に関する説明も実施した。• 事務手続きの改善に向けて、新たに「事務手続きに係る提案箱」をA-POST内に設置した。これを用いて、AMEDは自身が支援する研究機関等から、課題の実施に伴う事務手続きに関する意見や提案を聴取した。（再掲）

(参考) モニタリング指標

		アウトプット指標 (再掲)	モニタリング指標	
1	権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数 (シーズの企業導出件数)	158件	<ul style="list-style-type: none"> 導出形態別の件数 権利譲渡契約件数 7件 実施許諾契約 (オプション契約は除く) 件数 36件 共同研究開発契約件数 115件 	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出先別の件数 ベンチャー企業への導出件数 (国内企業) 40件 ベンチャー企業への導出件数 (外資系企業) 10件 ベンチャー以外の企業への導出件数 (国内企業) 103件 ベンチャー以外の企業への導出件数 (外資系企業) 5件 	
			<ul style="list-style-type: none"> 導出時の開発フェーズ (開発ステージ) 別の件数 非臨床試験開始以前に導出した件数 94件 非臨床試験開始後かつ治験開始前までに導出した件数 42件 治験開始後に導出した件数 7件 	
			<ul style="list-style-type: none"> 疾患領域別の導出件数 	<ul style="list-style-type: none"> がん：40件 生活習慣病：21件 精神・神経疾患：15件 老年医学・認知症：2件 難病：22件 成育：10件 感染症：18件 その他：30件
			<ul style="list-style-type: none"> 導出内容別の件数 技術導出件数 112件 開発候補品の導出件数 43件 	
2	治験に至った件数	111件	<ul style="list-style-type: none"> 医師主導治験の治験計画届の届出数 (うち国際共同治験数) 77件 (3件) 企業治験の治験計画届の届出数 (うち国際共同治験数) 31件 (11件) 臨床性能試験の数 3件 	
3	優れたシーズの発展・継続支援件数	166件	<ul style="list-style-type: none"> ペアリングによる他事業への受け渡し件数 35件 マッチングによる他事業への受け渡し件数 0件 過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 131件 	
4	薬事承認・認証	-	<ul style="list-style-type: none"> 品目の性格別の承認件数 新規の承認件数 14件 適応拡大の承認件数 9件 海外承認・認証件数 5件 その他 3件 	
			<ul style="list-style-type: none"> 医療における利用形態別の件数 医薬品の承認件数 (モダリティ別の内訳) 医療機器の承認・認証件数 (治療用/診断用の内訳) 体外診断用医薬品の承認・認証件数 7件 再生医療等製品の承認件数 2件 	<ul style="list-style-type: none"> 6件 (低分子医薬品3件/高分子医薬品-抗体3件) 16件 (治療用10件/診断用6件)

(参考) モニタリング指標

		アウトプット指標 (再掲)	モニタリング指標		
5	医療等に実装された件数 (薬事承認・認証を除く)	—	<ul style="list-style-type: none"> ガイドライン等の策定又は改定件数 ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数 	136件 19件	
6	論文数	Top1%論文数 (PJ1~PJ6)	86件	<ul style="list-style-type: none"> Top1%論文数 (PJ1~PJ8) Top10%論文数 全論文数 	86件 599件 5,585件
7	研究環境における 人的ダイバーシティ	—	<ul style="list-style-type: none"> 研究者の男女 (その他) 比率 	男: 89.7% 女: 10.3%	

個々の統合プロジェクトで定めるモニタリング指標 (再掲)		
医薬品プロジェクト (PJ1)	非臨床PoC取得件数	70件
医療機器・ヘルスケアプロジェクト (PJ2)	PMDA対面助言実施件数	20件
再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト (PJ3)	非臨床PoC取得件数	29件
	再生医療等安全性確保法下での臨床研究件数	1件
	RS 戦略相談の再生医療等製品の品質及び安全性に係る相談の対面助言件数	5件
感染症プロジェクト (PJ4)	非臨床PoC取得件数	37件
データ利活用・ライフコースプロジェクト (PJ5)	データ基盤構築の状況 (データの蓄積・統合・連携および解析・実装を行った課題数)	125件
	アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績 (分譲可能な試料数/情報数、共同研究または分譲実施数等)	142件
	新たな疾患発症メカニズム解明の件数	46件
	新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数	35件
	臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数	18件
	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	4件
イノベーション・エコシステムプロジェクト (PJ8)	採択課題におけるステージゲート・中間評価等の通過件数	24件