

令和6年度研究事業実施方針（案）

【AMED研究】

厚生科学審議会
科学技術部会

令和5年7月13日

目次 AMED研究

創薬基盤推進研究事業 (PJ1)	3
臨床研究・治験推進研究事業 (PJ1、6)	7
医薬品等規制調和・評価研究事業 (PJ1)	14
創薬支援推進事業 (PJ1)	20
医療機器開発推進研究事業 (PJ2)	26
開発途上国・新興国における医療技術等実用化研究事業 (PJ2)	30
再生医療等実用化研究事業 (PJ3)	35
ゲノム創薬基盤推進研究事業 (PJ4)	39
革新的がん医療実用化研究事業 (PJ1、2、3、4、5)	44
認知症研究開発事業 (PJ4、5)	52
障害者対策総合研究開発事業 (精神障害分野) (PJ4)	57
障害者対策総合研究開発事業 (身体・知的・感覚器) (PJ4)	63
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 (PJ1)	67
難治性疾患実用化研究事業 (PJ1、2、3、4、5)	75
地球規模保健課題解決推進のための研究事業 うち国際課分 (PJ6)	82
地球規模保健課題解決推進のための研究事業 うち厚生科学課分 (PJ6)	88
循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業 (PJ2、4、5)	93
女性の健康の包括的支援実用化研究事業 (PJ4、5)	99
腎疾患実用化研究事業 (PJ1、5)	105
免疫アレルギー疾患実用化研究事業 (PJ1、4、5)	108
移植医療技術開発研究事業 (PJ4)	115
慢性の痛み解明研究事業 (PJ5)	119
エイズ対策実用化研究事業 (PJ5)	123
肝炎等克服実用化研究事業 (PJ1、4、5)	129
長寿科学開発研究事業 (PJ5)	136
「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業 (PJ4)	143
医工連携・人工知能実装研究事業 (PJ4)	148
メディカルアーツ研究事業 (PJ4)	154

【参考】プロジェクト別研究事業一覧

<AMED 研究 統合プロジェクト (PJ) >

PJ1 : 医薬品プロジェクト
PJ2 : 医療機器・ヘルスケアプロジェクト
PJ3 : 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
PJ4 : ゲノム・データ基盤プロジェクト
PJ5 : 疾患基礎研究プロジェクト
PJ6 : シーズ開発・研究基盤プロジェクト

プロジェクト名	医薬品プロジェクト
研究事業名	創薬基盤推進研究事業
主管部局・課室名	医政局研究開発政策課
AMED担当部・課名	創薬事業部 医薬品研究開発課
省内関係部局・課室名	無し

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
		2,182,724	2,124,345

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

わが国における健康長寿社会実現に向けて、世界最高水準の医療の提供に資する医薬品研究開発を進める必要がある。そのためには、医薬品創出に資する基盤技術研究を実施し、医薬品の開発過程の迅速化・効率化を推進することが求められる。

【事業目標】

革新的な医薬品を創出するため、日本で生み出された基礎研究の成果を薬事承認につなげるとともに、創薬の基盤技術を確立するための研究を推進する。

【研究の範囲】

① GAPFREE（産学官共同創薬研究プロジェクト）

Funding for Research to Expedite Effective drug discovery by Government, Academia and Private partnership

参画企業も一定の研究費を拠出し、産学連携による創薬標的探索・バイオマーカー探索等のための基盤を整備し、創薬研究を支援する。

② 創薬デザイン技術開発研究

医薬品の開発や製造過程の効率化によるコスト低減や安全性予測の向上を目的として、生物学的・計算科学的データ解析を利用したバイオ医薬品のデザイン技術開発、既存の抗体医薬品等に置き換わる作用をもつ低分子医薬品等の開発等に関する研究を支援する。

③ 医薬品の開発過程の迅速化・効率化等の創薬基盤技術の開発

創薬の基盤となる技術開発等に係る研究等を支援する。

④ 新たなモダリティの医薬品等の評価系技術及び製造・品質管理技術等に関する研究

核酸や特殊ペプチド等を含む中分子医薬品や、細胞治療薬等の新たなモダリティについて、その妥当性や有効性の検証系の構築が課題となっていることから、これらの新たな評価系技術開発及び医薬品レベルでの製造・品質管理に係る基盤技術等の実用化を目指す研究開発を支援する。

⑤ 薬用植物の新たな育種、栽培、生産技術等に関する研究

薬用植物の国内自給率の向上により漢方薬の安定供給を図るため、薬用植物の育種、栽培、生産技術等に関する研究を支援する。

【期待されるアウトプット】

新モダリティ・先進手法に関する採択課題割合 40% (令和2年度～令和6年度)

【期待されるアウトカム】

創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 6件 (令和2年度～令和6年度)

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 精神障害のゲノム変異を起点としたバイオリソースと臨床情報の活用による非競争的フェーズにおける産学連携創薬の基盤構築 (令和元～4年度)

【概要】 GAPFREE の取組において参画企業 (3社) の要望も取り入れた上で、精神障害患者から得たゲノム情報等と紐付いた iPS 細胞を使用した病態メカニズムの解明、スクリーニング系や動物モデルの開発を進め (非競合フェーズ)、精神疾患発症に強く関わるリスクゲノムバリエーションに基づいた創薬体制を構築した。この成果に基づき、参画企業と共同研究 (競合フェーズ) を開始した。(共同研究4件に移行)

【成果の活用】 病因が不明だった精神疾患について、日本人のゲノム情報に基づき病態メカニズムを明らかにし、偏見にも苦しむ患者や家族の要望にも応えつつ、従来の方法とは異なる新たな治療法の提供に貢献する。さらに、本成果は疾患層別化バイオマーカーやウェアブルデバイスなどの開発にもつながり、より精度の高い治療が実現可能となることが期待される。

【課題名】 ゲノム情報科学と機械学習に基づく高機能抗体のデザイン開発技術に関する研究 (平成30～令和4年度)

【概要】 ヒト腫瘍環境における網羅的免疫ゲノム解析結果を基に、計算科学的解析により高機能ヒト抗体へ改変し、様々なヒト腫瘍に対して抗腫瘍効果を呈する抗体薬物複合体(ADC)の開発を実現した。(特許1件出願済、企業導出1件)

【成果の活用】 企業導出したADCについて、臨床応用への展開が期待される。さらに、本技術を汎用性の高い計算科学アルゴリズムに高度化することで、一般的な任意のヒト抗体配列の高機能化や有用な抗体開発が可能なデザイン開発技術として更なる発展が期待でき、モダリティに関する基盤的な研究開発にも貢献する。

2 令和6年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題 (増額要求等する課題) の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 産学官共同 mission-oriented (MO) 型創薬技術研究プロジェクト

【概要】 GAPFREE の取組として、企業・アカデミアのニーズとそのタイミングに柔軟に対応するため、産学官として取り組むべき課題を提示し、双方のマッチングを実施するスキームを継続することで、革新的新薬の開発に向けタイムリーな創薬研究をさらに推進する必要がある。

【成果の活用】 GAPFREE において、産学連携による創薬標的探索・バイオマーカー探索等のための基盤を整備し、オープンイノベーションによる研究開発の推進を図る。

【課題領域】 新たなモダリティの医薬品等の評価系技術及び製造・品質管理技術等に関する研究

【概要】 医薬品開発の迅速化に向けた創薬基盤技術の底上げを図るため、多様な学問領域との異分野融合を推進し、ヒト外挿性を伴う新たな評価技術の開発、代替動物モデル開発、生物資源を活用したシーズライブラリの構築、医薬品製造技術の高度化等をさらに支援する必要がある。

【成果の活用】 核酸や特殊ペプチド等を含む中分子医薬品や、細胞治療薬等の新たなモダリティについて、その妥当性や有効性の検証系の構築が課題となっていることから、これらに対する新たな評価系技術の開発、及び医薬品レベルでの製造・品質管理に係る基盤技術等の実用化を目指す。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

該当なし。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2023 改訂版】（令和5年6月16日閣議決定）

6. 官民連携による科学技術・イノベーションの推進

(2) 健康・医療

②ゲノム創薬をはじめとする次世代創薬の推進

従来の低分子薬中心の開発から脱却し、高機能バイオ医薬品や低コストで疾病の原因に効果的に作用し経口摂取が可能な中分子等、世界規模でニーズの高い分野での創薬を強化する。

【経済財政運営と改革の基本方針 2022】（令和4年6月7日閣議決定）

第4章 中長期の経済財政運営 2. 持続可能な社会保障制度の構築

（社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進）

（略）経済安全保障や医薬品産業ビジョン 2021 等の観点も踏まえ、医薬品の品質・安定供給の確保とともに創薬力を強化し、様々な手段を講じて科学技術力の向上とイノベーションを実現する。

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

4. 具体的施策

4.1. 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の推進

(1) 研究開発の推進

○6つの統合プロジェクト

①医薬品プロジェクト

・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。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法、製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

文部科学省、経済産業省

本研究事業では、主にアカデミア等が実施する臨床研究を支援し、文部科学省研究事業では基礎研究を、経済産業省研究事業では企業支援を主に実施することにより、革新的な医薬品等の実用化に向けた切れ目のない支援を実施する。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、シーズ開発・研究基盤プロジェクト
研究事業名	臨床研究・治験推進研究事業
主管部局・課室名	医政局研究開発政策課
AMED 担当部・課名	創薬事業部 規制科学推進課、 シーズ開発・研究基盤事業部 拠点研究事業課
省内関係部局・課室名	健康局結核感染症課

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	3,586,068	3,470,156	3,470,156

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

有望な医薬品シーズがアカデミアや企業で見いだされても、その後の臨床研究や治験を効率的に実施しなければ、早期の薬事承認に繋がらない。基礎研究の段階から臨床研究へ移行できるシーズは、約1万分の1以下の割合にとどまっているという問題がある。

アカデミアやベンチャー発の革新的なシーズについてアカデミアの Academic Research Organization (ARO) 機能を活用した評価を推進するとともに、日本発のアジア地域の国際共同治験により、速やかに日本のみならずアジア各国に革新的な医薬品を上市する必要性が高まっている。

【事業目標】

日本で生み出された基礎研究の成果を薬事承認につなげ、革新的な医薬品を創出するため、科学性及び倫理性が十分に担保され得る質の高い臨床研究・医師主導治験等を推進する。

【研究のスコープ】

- ・特に希少疾病や小児領域等で患者ニーズや社会的ニーズは高いものの企業が参入しない領域において、臨床研究・医師主導治験を支援する。
- ・疾患登録システム（患者レジストリ）や Decentralized Clinical Trial (DCT:分散型臨床試験) を活用した効率的な臨床研究・治験を支援する。
- ・実務家としての生物統計家の育成を目的として、座学的教育を実施する大学院と実践的研修を実施する病院が一体となった人材育成体制を産学官一体で整備する。生物統計家育成拠点（東京大学大学院と京都大学大学院）が製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基とし、産学官が一体となって臨床研究・治験の質の向上に繋がる生物統計家育成のための環境整備を強化する。
- ・「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」において整備した基盤の継続性の確保及び更なる拠点の整備を推進し、日本主導の国際共同臨床研究・治験の強化を図る。

【期待されるアウトプット】

<医薬品プロジェクト>

臨床 POC の取得件数 10 件

<シーズ開発・研究基盤プロジェクト>

臨床研究・治験実施件数 2件

生物統計家育成推進事業 育成学生数 10～20名

【期待されるアウトカム】

<医薬品プロジェクト>

研究成果が企業への導出・早期承認につながることで、一日も早く革新的医薬品が患者に届くことに貢献する。

- ・シーズの企業への導出件数 10件
- ・薬事承認件数（新薬、適応拡大） 10件
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況 40件

<シーズ開発・研究基盤プロジェクト>

- ・生物統計家育成推進事業

質の高い生物統計家の育成を継続して行い、修了生の半数以上がアカデミアへ就職することにより、質の高い臨床研究・治験の実施へつなげる。

- ・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
- アジア諸国での医薬品・医療機器等の承認に繋がる事例 2件

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

<医薬品プロジェクト>

【課題名】 がん領域の Clinical Innovation Network 事業による超希少がんの臨床開発と基盤整備を行う総合研究（平成 28～令和 3 年度）

【概要】 希少がんに対する治療開発とその基盤整備、ならびにトランスレーショナルリサーチを実施するための研究チームを立ち上げ、明細胞肉腫等の極めて希少な悪性疾患に対して複数の医師主導治験を実施した。また、超希少がん患者のレジストリデータベースを構築した。

【成果の活用】 臨床 POC を取得したことから、今後の治療薬開発の進展が期待される。また、レジストリデータの利活用（承認申請等における利活用）も期待される。

【課題名】 神経線維腫症 II 型に対するベバシズマブの有効性及び安全性を検討する多施設共同二重盲検無作為化比較治験（令和元～3 年度）

【概要】 当該試験を実施し、組み入れ目標を達成した。2022 年 3 月 31 日現在（本事業の終了時）、中間解析の準備を開始した。

【成果の活用】 シーズを企業へ導出した（令和 4 年度）。導出先の企業において適応追加申請が期待される。

<シーズ開発・研究基盤プロジェクト>

【課題名】 生物統計家育成推進事業（旧：生物統計家育成支援事業）（平成 28 年度～）

【概要】 平成 28 年度に生物統計家育成拠点として、「東京大学大学院」と「京都大学大学院」を各々核とする 2 つの拠点を選定し、製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基に、産学官が一体となった環境整備事業を開始した。令和 3 年度以降は、卒後教育を加えた一貫した育成プログラムを実施することで、生物統計家育成の推進を図っている。

- 2018 年度入学 合計 22 名

- 2019年度入学 合計19名、2019年（2020年3月）度修了 合計20名（約8割がアカデミアに就職）
- 2020年度入学 合計18名、2020年（2021年3月）度修了 合計17名（約8割がアカデミアに就職）
- 2021年度入学 合計11名、2021年（2022年3月）度修了 合計19名（約8割がアカデミアに就職）
- 2022年度入学 合計14名、2022年（2023年3月）度修了 合計12名（約8割がアカデミアに就職）

【成果の活用】質の高い生物統計家の育成を継続して行うことにより、質の高い臨床研究・治験の実施へつなげることが期待される。

【課題名】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（令和2年度～）

【概要】令和2年度にアジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築のため、感染症分野から「国立国際医療研究センター」、そして、非感染症分野から「国立がん研究センター中央病院」および「京都大学」の合計3施設を採択し、グローバルな臨床研究・治験実施体制の構築を開始した（令和3、4年度は、「国立国際医療研究センター」及び「国立がん研究センター中央病院」を採択）。整備している基盤を活用し、「国立国際医療研究センター」では13課題、国立がん研究センターでは5課題の国際共同試験を実施中である。

【成果の活用】日本主導の国際共同治験の強化へつなげることで、治療薬等の開発・供給の加速が期待される。

2 令和6年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

<医薬品プロジェクト>

【課題名】小児を対象とした臨床研究・治験の推進

【概要】小児医薬品開発におけるドラッグラグが指摘されており、課題の採択数を増加する必要がある。

【成果の活用】小児医薬品開発におけるドラッグラグの解消に寄与する。

【課題名】DCTを活用した臨床研究・治験の推進

【概要】DCTに関わるガイダンスが発出予定であり、DCTを活用した臨床研究・治験をさらに推進する必要がある。

【成果の活用】DCTを活用した臨床研究・治験の推進が期待される。

<シーズ開発・研究基盤プロジェクト>

【課題名】

- ・アジアがん臨床試験ネットワーク構築に関する事業
- ・感染症緊急事態に対応するためのアジア諸国および本邦アカデミアとの国際AROアライアンスの機能強化、および関連機関との連携システム構築

【概要】「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ」等において、アジアにおける臨床開発体制の充実に向けた国内外の国際共同治験体制が掲げら

れており、これまでの取り組みによるネットワーク基盤を活用した試験が増加傾向にあることから、人材確保・育成をはじめとする基盤機能をさらに強化するなど継続的に基盤の充実を図る必要がある。そのため、引き続き、「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、上記2課題を実施予定。

【成果の活用】医薬品・医療機器開発を迅速かつ低コストに、ICH-GCP 準拠の臨床試験を実施する基盤を整備し、AMED 研究における他の統合プロジェクトでの活用を目指す。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

該当なし。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画】（令和4年6月7日閣議決定）

・「アジア健康構想」及び「アフリカ健康構想」の下、医療・ヘルスケアに関する製品・サービスの国際展開を進める。また、『「アジア医薬品・医療機器規制調和グランドデザイン」実行戦略』（令和2年7月14日健康・医療戦略推進本部決定）に基づき、アジアにおける医薬品・医療機器等の規制調和と臨床開発体制の充実に向けた国内外の国際共同治験体制を整備する。

【成長戦略実行計画】（令和3年6月18日閣議決定）

第13章 1. ワクチンの国内での開発・生産

「ワクチン開発・生産体制強化戦略」（令和3年6月1日閣議決定）に基づき、ワクチンを国内で開発・生産し、速やかな供給ができる研究開発・生産体制を構築するため、世界トップレベルの研究開発拠点の形成、戦略性を持った研究費のファンディング機能の強化、治験環境の整備・拡充、(略)等を進める。また、そのために必要な取組の財源を安定的に確保する。

2. 医薬品産業の成長戦略

ライフサイエンスは、デジタルやグリーンと並ぶ重要戦略分野であり、安全保障上も重要な分野である。革新的新薬を創出する製薬企業が成長できるイノベーション環境を整備するため、研究開発支援の強化、創薬ベンチャーの支援、国際共同治験の推進、(略)等を進める。

第13章 重要分野における取組

1. ワクチンの国内での開発・生産

「ワクチン開発・生産体制強化戦略」（令和3年6月1日閣議決定）に基づき、ワクチンを国内で開発・生産し、速やかな供給ができる研究開発・生産体制を構築するため、世界トップレベルの研究開発拠点の形成、戦略性を持った研究費のファンディング機能の強化、治験環境の整備・拡充、(略)等を進める。また、そのために必要な取組の財源を安定的に確保する。

2. 医薬品産業の成長戦略

ライフサイエンスは、デジタルやグリーンと並ぶ重要戦略分野であり、安全保障上も重要な分野である。革新的新薬を創出する製薬企業が成長できるイノベーション環境を整備するため、研究開発支援の強化、創薬ベンチャーの支援、国際共同治験の推進、(略)等を進める。

【成長戦略等のフォローアップ】(令和5年6月16日閣議決定)

3. 「科学技術・イノベーション」関連

(医療・医薬品・医療機器)

・「アジア健康構想」や「アフリカ健康構想」の下、日本の医薬品・医療機器等の国際展開を促すため、アジア・アフリカ諸国での産官学医のハブとなる組織の創設や関係構築等のための伴走支援を行う。また、日本とアジア諸国での革新的な医薬品・医療機器の開発等を促すため、2024年度に独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)の拠点を整備し、ASEAN地域での協力体制を強化する。さらに、臨床開発体制の充実のため、2023年度に国立研究開発法人国立がん研究センターの臨床研究・治験ネットワークにおいてASEAN地域の拠点の機能強化を行う。

【経済財政運営と改革の基本方針2021】(令和3年6月18日閣議決定)

第1章 4. (1) 感染症に対し強靱で安心できる経済社会の構築

(略)引き続き、効果的な治療法、国産治療薬の研究開発・実用化の支援及び国産ワクチンの研究開発体制・生産体制の強化を進めるとともに、新たな感染症に備え、国内のワクチン開発・生産体制の強化のため、「ワクチン開発・生産体制強化戦略」を着実に推進する。そのために必要な取組の財源を安定的に確保する。

【経済財政運営と改革の基本方針2023】(令和5年6月16日閣議決定)

第4章 中長期の経済財政運営

2. 持続可能な社会保障制度の構築

(略)創薬力強化に向けて、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品の開発強化、研究開発型のビジネスモデルへの転換促進等を行うため、保険収載時を始めとするイノベーションの適切な評価などの更なる薬価上の措置、全ゲノム解析等に係る計画の推進を通じた情報基盤の整備や患者への還元等の解析結果の利活用に係る体制整備、大学発を含むスタートアップへの伴走支援、臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化、国際共同治験に参加するための日本人データの要否の整理、小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消に向けた薬事上の措置と承認審査体制の強化等を推進する。これらにより、ドラッグラグ・ドラッグロスの問題に対応する。

【統合イノベーション戦略2022】(令和4年6月3日閣議決定)

第1章 総論 2. (3) 先端科学技術の戦略的な推進

健康・医療

「健康・医療戦略」及び「医療分野研究開発推進計画」に基づき、以下の取組を強力に推進する

・医療分野の研究開発の環境整備として、臨床研究中核病院における体制や仕組みの整備、生物統計家等の専門人材及びレギュラトリーサイエンスの専門家の育成・確保、研究開発におけるレギュラトリーサイエンスの普及・充実等を推進する。

【統合イノベーション戦略 2023】（令和 5 年 6 月 9 日閣議決定）

第 2 章 Society 5.0 の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

4. 官民連携による分野別戦略の推進

（戦略的に取り組むべき応用分野）

（6）健康・医療

基本計画における具体的な取組	実施状況・現状分析	今後の取組方針
（略） また、医療分野の研究開発の環境整備として、橋渡し研究支援拠点や臨床研究センター病院における体制や仕組みの整備、生物統計家などの専門人材及びレギュラトリーサイエンスの専門家の育成・確保、研究開発におけるレギュラトリーサイエンスの普及・充実等を推進する。	（略） ・生物統計家育成については、2016 年度からAMEDの「臨床研究・治験推進研究事業」において東京大学大学院及び京都大学大学院を育成拠点として採択。2018 年度から受講生を受け入れ、質の高い臨床研究に寄与するための人材育成に取り組んだ。現在の修了者数、在籍者数は一期生：21 名（2020 年 3 月修了）、二期生：18 名、三期生：18 名、四期生：11 名であり修了者の 7 割以上がアカデミアに就職した。	（略） ・生物統計家については引き続き、東京大学及び京都大学において修士課程の学生に対する専門教育（座学・実習・研究）や卒業教育を実施し、質の高い臨床研究に寄与するための人材育成に努める。【厚】

【健康・医療戦略（第 2 期）】（令和 2 年 3 月 27 日閣議決定、令和 3 年 4 月 9 日一部変更）

4.1（1）研究開発の推進

①医薬品プロジェクト

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。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法、製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

4.2.2 国際展開の促進

「アジア医薬品・医療機器規制調和グランドデザイン」（2019 年 6 月 20 日推進本部決定）に基づき、アジアにおける医薬品、医療機器等のアクセス向上に向け、厚生労働省・PMDA との海外当局との協力関係の強化、アジアにおける臨床研究・治験ネットワークを構築するための拠点整備及び人材の育成を行うこと等によりアジア各国との規制調和を推

進する。

4.4.1 データ利活用基盤の構築（データヘルス改革の推進）

臨床研究・治験をはじめとする医薬品等の開発を効率的に行うため、クリニカル・イノベーション・ネットワーク構想において、疾患登録システムの利活用等を進めるとともに、リアルワールドデータを活用した効率的な臨床研究・治験を推進するため、国内外の連携を想定しつつ、医薬品・医療機器の研究開発拠点である臨床研究中核病院における診療情報の品質管理・標準化及び連結を進める。さらに、ヘルスケアサービスや各種バイオバンクとの連携により、健康から医療まで切れ目のない情報の連結を図りつつ、リアルワールドデータを蓄積する。また、国内外の連携を図りつつ、リアルワールドデータからリアルワールドエビデンスを抽出する際の我が国としてのフレームワークを検討し、薬事承認申請のエビデンスとして活用するためのルールの整備を行い、効率的な臨床研究・治験を推進する。

4.4.2（1）先端的研究開発の推進のために必要な人材の育成・確保等

生物統計家などの専門人材及びレギュラトリーサイエンスの専門家の育成・確保等を推進するとともに、研究者等に対してレギュラトリーサイエンスや知的財産等の実用化に必要な教育を推進する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

文部科学省、経済産業省

本研究事業では、主にアカデミア等が実施する臨床研究を支援し、文部科学省研究事業では基礎研究を、経済産業省研究事業では企業支援を主に実施することにより、革新的な医薬品等の実用化に向けた切れ目のない支援を実施する。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト
研究事業名	医薬品等規制調和・評価研究事業
主管部局・課室名	医薬・生活衛生局総務課
AMED 担当部・課名	創薬事業部規制科学推進課
省内関係部局・課室名	医薬・生活衛生局医薬品審査管理課、医療機器審査管理課、監視指導・麻薬対策課、医薬安全対策課、血液対策課

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	1,121,075	1,091,091	1,077,530

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

企業及びアカデミアによる革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品等（以下、「医薬品等」）を安全かつ迅速に国民に提供するためには、製品の開発と併行して、医薬品等の品質、有効性及び安全性の評価手法の開発・標準化を行い規制に適用するとともに、市販後安全対策に有効な手法を早期から開発、導入することにより規制システムを充実させる必要がある。

【事業目標】

最先端技術を用いた医薬品等について、その適切な評価方法を開発し、実用化への道筋を明確化するなど、研究開発から承認審査、市販後安全対策に至るまでの規制等に関する、科学技術と社会的要請を調和させる研究（レギュラトリーサイエンス）を推進する。

【研究の範囲】

最先端技術を用いた革新的な医薬品等の品質、有効性、安全性の評価手法の開発に関する研究を推進する。

- 新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究
- 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究
- 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究

【期待されるアウトプット】

医薬品プロジェクトの KPI「新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%」を実現し、革新的な医薬品等の品質・有効性・安全性に係る各種評価系の開発や、先進手法を用いた評価技術の標準化等を通じて、これらの技術の薬事規制における活用や、各種評価に携わる人材の育成、システム等の環境整備等に資するエビデンスを得る。

【期待されるアウトカム】

革新的な医薬品等の承認審査における留意点を明確化することによって、開発の加速化・効率化及び予見性の向上、並びに国際的な規制調和の推進が可能となり、わが国発の医薬品等の国際展開への寄与が期待される。

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】人工知能等の先端技術を利用した医療機器プログラムの薬事規制のあり方に関する研究（令和元～3年度）

【概要】医療機器プログラム（SaMD）の社会実装時に想定される薬事上の課題に対する解決策案を作成し、変更計画確認手続制度を運用する上での留意点等について整理した。実証研究では、市販後学習による性能変化に影響を与える要因について検討し、得られた成果を「AI等を利用したSaMDに対する薬事規制のあり方に対する提言」としてまとめ、規制当局に提出した。

【成果の活用】我が国における人工知能等の最新技術を利用したSaMDを上市する上で、の問題点を解決し、産業活性化、並びに患者及び国民全体のQOL向上に貢献する。

【課題名】細胞加工製品の製造工程の変更に伴う同等性／同質性評価のあり方に関する研究（令和元～3年度）

【概要】従来の医薬品等の製造工程変更前後の同等性／同質性の考え方、及び再生医療に用いられる細胞加工製品における同等性／同質性評価の考え方に関して、国内外の規制当局・関連企業団体等の動向を文献及びインタビュー等によって調査し、細胞加工製品の品質・安全性・有効性に対して製造工程の変更が有害な影響を及ぼさないことを立証するためのデータや情報の収集方法に関するガイドライン案（ヒト細胞加工製品の製造工程の変更に伴う同等性／同質性評価に関する指針（案））を作成した。

【成果の活用】ガイドラインを示すことで、各種の細胞加工製品の品質・安全性・有効性を的確かつ合理的に確保すると同時に、製品ライフサイクルの円滑な回転及び持続可能性を確保し、再生医療の開発・実用化の加速及び社会への普及・実装の円滑化に貢献する。

【課題名】医薬品が自動車運転技能に与える影響の評価手法の開発（令和元～3年度）

【概要】医薬品が自動車運転に与える影響を評価するための、信頼性および妥当性を有し、健常者のみならず患者群に対しても実施可能な評価系を確立し、医薬品が自動車運転技能に与える影響を評価するためのガイドライン案を作成した。また、自動運転シミュレータを用いて、これまで海外でのみ実施可能であった自動車運転技能の評価を、日本国内においても実現できる可能性を提示した。

【成果の活用】「向精神薬が自動車の運転技能に及ぼす影響の評価方法に関するガイドライン」（薬生薬審発1227第3号、薬生安発1227第1号、令和4年12月27日）として発出した。

2 令和6年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】エクソソーム製剤の品質管理戦略構築に関する研究

【概要】令和4年4月の本課題の研究開始以降、国際細胞外小胞学会より、エクソソームを含む細胞外小胞の評価に関する基本的な考え方を示した提言「Minimal information for studies of extracellular vesicles 2022 (MISEV2022)」や、PMDAの科学委員会から「エクソソームを含む細胞外小胞（EV）を利用した治療用製剤に関

する報告書」等が発表され、国内外でエクソソーム製剤の規制の考え方が固まりつつある。しかし、これらの提言で示された評価項目の具体的な評価法は確立していないため、早急に検討する必要がある。また、MISEV2022には、当初の計画で想定していなかったクライオ電子顕微鏡による評価法等についても取り上げられており、追加検討の必要がある。

【成果の活用】国内外で固まりつつあるエクソソーム製剤の品質管理戦略に関して、具体的な評価法、およびその評価法の性能についての情報を提示することができる。また、国際的にも整合性のある評価法を提示することで、国内で開発が進んでいるエクソソーム製剤の海外展開にも貢献することができる。

（２）新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

＜新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究＞

【課題名】メッセンジャーRNA (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

【概要】新型コロナウイルス感染症の mRNA ワクチン開発の成功を契機に、mRNA を用いた医療モダリティの研究開発が活発化している。mRNA モダリティは従来の医薬品とは分子構造や製造方法が異なることから、品質管理に用いられる標準的な評価法は確立していない。本研究開発課題では、mRNA 関連標準物質を用いて各種評価法の分析能力、限界、精度、妥当性等を検証し、mRNA モダリティの品質評価及び管理に用いる評価法の特徴、具体的な評価手順、留意点等を明確化したガイダンスを作成する。

【成果の活用】 mRNA モダリティを開発する企業及び規制当局が mRNA の品質評価・管理に関するガイダンスを活用することで、当該分野の開発がより一層促進される。

【課題名】再生医療等製品の品質評価のための AI 画像解析技術を応用した試験法の基盤整備と国際調和のための研究

【概要】細胞加工製品は、複雑で動的な性質を持つ細胞で構成されるため、原料や製造工程等の管理状況により品質が変動する可能性があり、効率的に製品の品質を把握する技術が必要である。しかし、現在の遺伝子発現解析や培養を伴う生物学的試験などの破壊的・侵襲的な品質評価技術では、全数検査ではなくロットの一部だけを抜き取った検査になるため、試験系の性能次第では評価を見誤る可能性もある。近年、非侵襲的な細胞評価技術として、細胞培養の工程における細胞の画像に基づいて、細胞の特性を評価する技術が注目を集めており、画像解析に AI 技術を取り入れることにより、細胞加工製品の品質の客観的・定量的な記録、評価、予測が可能と考えられている。本研究開発課題では、細胞加工製品の品質評価を目的とした AI 画像解析技術開発を通じて、AI を活用したアッセイ系の性能と限界を明らかにする。

【成果の活用】 AI 画像解析技術の応用によって、細胞加工製品のための品質評価技術に正確性、迅速性、効率性の向上がもたらされることになり、より一層の製品の安全性・有効性の確保に加え、製品の安定供給、製造コストの低減化、開発促進も期待され、国民の健康と安全・安心の確保に貢献する。

＜医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究＞

【課題名】ヒト iPS 細胞技術と AI 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

【概要】抗がん剤による心毒性リスクはヒト iPS 細胞由来心筋細胞の慢性曝露により予測できることが期待され、米国 FDA や製薬企業など産官学が協働して国際検証試験を進めているが、客観的かつ迅速な心毒性評価システムの構築が急務である。また、機械学習・AI を活用したヒト iPS 心筋細胞評価モデルは、実験データの再現性や予測性向上に有用であるが、モデル間で差が認められ、標準化されていない。そこで、モデルの再現性や妥当性などに関して検証を行い、実験データとの統合を行うとともに、留意点としてまとめる。

【成果の活用】ヒト iPS 細胞由来心筋細胞と AI による統合的な評価法により、抗がん剤による心毒性を非臨床で予測でき、評価法の国際標準化、被験者の安全性確保、医薬品開発の促進が期待される。

<医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究>

【課題名】医療機器の市販後適正使用の速やかな推進と効率的な開発のための研究

【概要】循環器疾患に対する治療機器は人体へ与えるリスクが高く、また新治療機器について市販前に収集される臨床データは限られていることから、承認時に作成される適正使用指針により市販後の適正使用が図られている。適正使用指針は臨床実態を踏まえて適宜見直されるべきであるが、市販後臨床データの蓄積には時間を要することから、迅速な見直しを行う上で大きな障壁となっている。本研究課題では、市販後臨床データの蓄積に先駆けて、迅速に適正使用指針の見直しを可能にするために、新治療機器の適用病変の特徴を模した非臨床試験機器と評価法の確立を行う。また、非臨床試験の活用により、当該医療機器の医療ニーズを満たす適応範囲、使用方法、またその適切性を効率的に評価するとともに、より安全な使用方法や製品の改良も検討する。

【成果の活用】新治療機器の市販後適正使用を速やかに推進でき、非臨床試験を活用したリスクの早期発見・低減を図る改良機器・治療法の開発が促進される。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【成長戦略等のフォローアップ】（令和5年6月16日閣議決定）

II. 「GX・DX 等への投資」関連のフォローアップ

3. 「科学技術・イノベーション」関連

（医療・医薬品・医療機器）

- ・革新的なプログラム医療機器の優先的な承認審査の試行的実施や、二段階での承認スキームによる早期での市場投入の実現、スタートアップ企業の海外実証を含む研究開発に係る支援、PMDA での相談・審査体制の拡充に向けて、2023 年度中に、新たに実用化促進パッケージ戦略を策定する。

【経済財政運営と改革の基本方針 2023】（令和5年6月16日閣議決定）

第3章 我が国を取り巻く環境変化への対応

3. 国民生活の安全・安心

新型コロナウイルス感染症の感染症法上の位置付けが5類に変更されたことに伴い、医療体制、公費支援など様々な政策・措置の段階的な移行を進めるとともに、基本的な感染対策を推進しつつ、重層的な流行状況の把握体制を確保するなど、必要な対策等を講じていく。また、罹患後症状（いわゆる後遺症）やワクチンの副反応についての実態把握に資する調査・研究等を進める。

【統合イノベーション戦略2023】（令和5年6月9日閣議決定）

第2章 Society 5.0 の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

4. 官民連携による分野別戦略の推進

（戦略的に取り組むべき応用分野）（6）健康・医療

引き続き、国際的な規制調和を前提とした医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する研究の支援、審査ガイドラインの整備、審査員に対する専門的知識の向上等を通じて、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。

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

4. 具体的施策

4.1. 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の推進

(1) 研究開発の推進 ① 医薬品プロジェクト

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。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法、製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。

○レギュラトリーサイエンスの推進

・国際的な規制調和を前提とした医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する研究の支援、審査ガイドラインの整備、審査員に対する専門的知識（新たなモダリティとしてのデジタルセラピューティクス分野とデータ連携に必要な法、技術、倫理及びサイバーセキュリティの知見を含む）の向上等を通じて、研究開発におけるレギュラトリーサイエンスを普及・充実させる。

4.4. 研究開発及び新産業創出等を支える基盤的施策

4.4.1. データ利活用基盤の構築

（医療情報の利活用の推進）

また、厚生労働省、PMDAにおいては、医療機器規制の国際調和活動におけるサイバーセキュリティやSaMD 関連の議論・ガイダンス策定に関与して国際的な連携強化に努める。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

○厚生労働科学研究

医薬品・医療機器等レギュラトリーサイエンス政策研究事業では薬事行政における規制・取締等の見直しや制度設計、政策の立案・実行等に資する調査・研究を実施して

いる。一方、本 AMED 研究事業では、革新的医薬品等の開発に資する、各種試験系・評価系の開発やデータ収集システム等の環境整備に関する研究を実施している。

○AMED 内研究事業

「医薬品等規制調和・評価研究事業」と「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（再生医療技術を応用した高度な創薬支援ツール技術開発）」では連携して、医薬品等の安全性評価の動物代替法として開発が進んでいる MPS (Microphysiological system:生体模倣システム)に関する公募を行い、試験法の国際的な規格化・標準化や規制等への活用に向けた研究を実施している。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト
研究事業名	創薬支援推進事業
主管部局・課室名	医政局研究開発政策課
AMED 担当部・課名	創薬事業部創薬企画・評価課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
		3,550,642	3,455,677

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

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、大学や公的研究機関等の研究者が保有する優れた創薬シーズを、効率よく、医薬品としての実用化につなげる必要がある。

「当面優先して議論する課題 令和2年度まとめ」（令和3年3月29日医薬品開発協議会決定）において、医薬品の研究開発全般における課題の一つに「アカデミアと企業のギャップを埋める仕組み」が挙げられ、「創薬支援推進事業（創薬支援ネットワーク）の取組を継続するとともに、創薬ブースターの支援課題をより導出に近づけるための産学連携の取組を推進してはどうか。」と指摘されている。また、新規モダリティ、in silico、AI 創薬等の新たなテクノロジーを活用した研究や希少疾病領域の開発等の推進の必要性が指摘されている。

【事業目標】

創薬支援ネットワークにより、創薬標的検証段階から応用研究、前臨床段階までの研究開発を支援し、大学や公的研究機関等の研究者が保有する創薬シーズの早期実用化を図る。また、創薬基盤技術の開発や希少疾病用医薬品等の開発支援を行い、研究開発期間の短縮と革新的医薬品の創出確率の向上を図る。

【研究の範囲】

① 創薬総合支援事業

創薬支援ネットワークが行う技術支援（評価系の構築、ヒット・リード化合物の探索、リード化合物の最適化（合成展開・コンピュータ創薬）、バイオマーカー探索、非臨床試験、知財管理等に関する支援や基盤整備を推進し、創薬シーズの早期実用化を図る。

② 創薬支援効率化事業

産学官が連携して、HTS（ハイスループットスクリーニング）ライブラリー構築及び化合物最適化に関する AI 創薬基盤の構築を進め、創薬支援ネットワークの支援能力を向上させ、研究開発期間の短縮と革新的医薬品の創出確率の向上を図る。

③ 希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業

希少疾病用医薬品の指定を目指す企業による開発を支援し、研究開発期間の短縮と革

新的医薬品の創出確率の向上を図る。

【期待されるアウトプット】

①② 支援能力を向上させた創薬支援ネットワークにより、大学等の創薬シーズの開発を促進し、企業導出につなげる

創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出件数 10 件（令和 2 年度～ 6 年度）

③ 希少疾病用医薬品指定申請に必要な試験の完遂

【期待されるアウトカム】

- ・ 大学や公的研究機関等の研究者が保有する創薬シーズの医薬品としての実用化
- ・ 希少疾病用医薬品を含む革新的医薬品の創出効率向上

（2）これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

① 創薬総合支援事業

【課題名】 癌代謝制御ハブ分子の新規阻害剤の探索（平成 29～令和 4 年度）

【概要】 産学協働スクリーニングコンソーシアム（DISC）を利用して、コンソーシアム会員企業が保有する約 30 万の企業化合物をスクリーニングし、ヒット化合物を得た DISC 会員企業 2 社が導入した。

【成果の活用】 当該企業において、今後も本課題及びヒット化合物に関する実用化に向けた研究開発が継続される。

（令和 2 年度）

- ・ 創薬総合支援事業（創薬ブースター）で支援した創薬シーズ 3 件を導出した。

（令和 3 年度）

- ・ 創薬総合支援事業（創薬ブースター）で支援した創薬シーズ 2 件を導出した。

（令和 4 年度）

- ・ 創薬総合支援事業（創薬ブースター）で支援した創薬シーズ 2 件を導出した。
- ・ 創薬総合支援事業（創薬ブースター）において、創薬シーズ収集の強化と医師主導治験への橋渡しを含む更なる医薬品の実用化に向けて、新たに、文部科学省の所管事業である橋渡し研究プログラムと連携を開始した。

② 創薬支援効率化事業

【課題名】 産学連携による次世代創薬 AI 開発事業（DAIIA）（令和 2～6 年度）

【概要】 DAIIA において、統合創薬 AI プラットフォーム構築を目指し、研究機関と企業の連携体制を構築した。また、製薬企業 18 社からデータ提供等をうけ、それに基づく予測 AI の構築が進捗し、予測精度の向上を確認した。

【成果の活用】 アカデミアにおいて創薬ターゲット数種類に対する創薬応用を開始した。今後、製薬企業におけるテスト利用も開始する。事業終了までに創薬の現場で活用できる統合創薬 AI プラットフォームを構築し、日本のアカデミア及び製薬企業の創薬プロセスを飛躍的に効率化することを目指す。

(令和3年度)

・「産学連携による次世代創薬 AI 開発事業」において、製薬企業 18 社からデータ提供等をうけ統合創薬 AI プラットフォーム構築を目指し、研究機関と企業の連携体制を構築した。

・革新的医薬品の創出確率向上のため、「産学協働スクリーニングコンソーシアム事業 (DISC)」において令和2年度より中分子ライブラリー構築を開始し、令和3年度からは文部科学省 BINDS 事業と連携し、同事業における中分子ライブラリーの利活用が可能となった。

(令和4年度)

・「産学連携による次世代創薬 AI 開発事業」において、これまでに参画企業 18 社が保有する創薬研究データ (構造情報付き 100 万化合物以上、1500 万ポイント以上のデータ) の提供を受け、それに基づく予測 AI の構築が進捗し、予測精度の向上を確認した。

③ 希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業

【課題名】低流速型脈管奇形の治療薬の開発 (ART-001) (令和3～4年度)

【概要】難病指定されている低流速型脈管奇形患者を対象とした第 II 相試験において有効性及び安全性が確認され、第 III 相試験以降の開発に向けて準備を進めている。なお、第 II 相試験成績等を踏まえ、開発の主体が採択した研究機関から、その親会社に変更されたため、補助期間の最終年度 (令和5年) よりも早期に補助事業を終了することとなった。

【成果の活用】

希少疾病用医薬品指定及び製造販売承認の取得に向けて、臨床開発が継続される。

(令和2年度)

・事業で支援した課題1件が、希少疾病用医薬品として指定された (課題名「遠位型ミオパチーに対する N-アセチルノイラミン酸の開発」(平成27～29年度))。

また、これまでに支援した希少疾病領域の医薬品2件が希少疾病用医薬品に指定された。

2 令和6年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題 (増額要求等する課題) の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

・創薬支援ネットワークを中心とした創薬支援を引き続き推進する。また、モダリティの多様化 (特に、抗体、遺伝子治療、細胞治療等) 等を含めたシーズ開発段階について産学官連携の取り組みを含めた対応を強化する。

① 創薬総合支援事業

創薬総合支援事業 (創薬ブースター) において、医師主導治験への橋渡しを含む更なる医薬品の実用化に向けて、引き続き文部科学省の事業である橋渡し研究プログラムと連携し、創薬シーズの収集を強化する (拡充・採択課題数の増)。

【課題名】 p53 野生型難治性腫瘍に対する新規治療薬の探索

【概要】橋渡し研究プログラムとの連携により推薦された課題である。多発性骨髄腫の既存治療薬の奏効期間は満足できるものではなく、ほぼすべての患者がいずれの治療法も効果がない難治性多発性骨髄腫に移行するため、有効な治療薬が望まれている。

そのため、新規治療薬の開発に向けて、創薬ブースターで標的検証ステージの支援をさらに強化する必要がある。

【成果の活用】創薬ブースターにおける支援終了後は、橋渡し連携拠点において、企業への技術移転又は企業との共同研究を支援し、前臨床開発を加速させ、早期に臨床試験開始を目指す。

② 創薬支援効率化事業

産学連携による次世代創薬 AI 開発事業において、創薬 AI の実用化に向けて、引き続き富岳を用いた 3D シミュレーションによる予測手法の確立等を行う。さらに、秘匿データを外部に持ち出すことなく AI を学習させる方法 (Federated Learning) による大規模な製薬企業データの新規学習実施と統合創薬 AI プラットフォームの堅牢性向上・高機能化等を行う。

【課題名】産学連携による次世代創薬 AI 開発事業 (DAIIA)

【概要】DAIIA において、引き続き、研究機関と企業の密な連携体制の下、企業の秘匿データを外部に持ち出すことなく AI を学習させる方法 (Federated Learning) による提供を含め、製薬企業 18 社から大規模なデータ提供等をうけ、それに基づく予測 AI の構築、並びに令和 7 年度の実装に向けて情報セキュリティ向上を含む統合創薬 AI プラットフォームの堅牢性向上・高機能化等を行う。

【成果の活用】アカデミアのみならず製薬企業において創薬応用に向けたテスト利用を行う。事業終了までに創薬の現場で活用できる統合創薬 AI プラットフォームを構築し、日本のアカデミア及び製薬企業の創薬プロセスを飛躍的に効率化する。

③ 希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業

希少疾病は一疾患あたりの症例数が少なく、治療法が未確立の疾患に関する医薬品開発の必要性は高く、国が主体的に支援すべき領域である。希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業において、引き続き希少疾病領域の医薬品の開発を支援する (拡充・採択課題数の増)。

【課題名】新規作用機序を有する難治性 MRSA 感染症治療薬の開発 (ライソシン E)

【概要】「薬剤耐性 (AMR) 対策アクションプラン」等において、薬剤耐性微生物の研究開発の促進が掲げられている。また、基礎疾患のある患者の MRSA (メチシリン耐性黄色ブドウ球菌) 感染症は各種の抗菌薬に抵抗性を示し、治療が難渋し重症化する事例も多く、新たな治療薬が強く望まれている。そのため、既存の抗 MRSA 薬が無効又は効果不十分な MRSA による院内感染治療薬の臨床試験開始を目指して開発を加速させる必要がある。

【成果の活用】新たな MRSA 治療薬の開発、希少疾病用医薬品指定及び製造販売承認の取得に向けて、臨床開発が加速される。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】創薬総合支援事業 (創薬ブースター)

【概要】感染症、難病、希少疾患に対するアカデミア発シーズについては、事業性の観

点から企業単独での取り組みが難しいため、創薬ブースターでは支援後の導出先企業の発掘が大きな課題となっている。また、企業導出に至った場合においても、その後の研究結果に基づく開発費増で採算面より開発を中断する場合もみられる。このような状況を踏まえ、現在では創薬コーディネーターが支援を行っていない企業導出後も創薬コーディネーターがアカデミア・企業と共に研究計画の立案等に携わることや、他事業への橋渡しをサポートすること等の支援を手厚くする。また、企業からの人材・技術の提供により産学連携の取り組みを含めた対応を強化することにより、アカデミアと企業のいずれかだけでは製品化が難しい疾患における薬剤開発を推進する。

【成果の活用】令和6年度は、橋渡し研究支援機関における創薬シーズを創薬ブースターにより支援することにより、橋渡し研究プログラムへの再度の橋渡しによる医師主導治験の実施又は企業導出につなげる。

また、希少疾病用医薬品指定前の医薬品の開発を支援することにより、希少疾病領域の医薬品開発を加速させる。

II 参考

1 研究事業と各戦略（成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【フォローアップ】（令和4年6月7日閣議決定）

- I. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資
2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資
- (2) AI 実装

ー医薬品開発でのAIの利活用やAI開発のための保健医療・介護データの利活用の方策について検討し、2022年度中に取りまとめる。また、アジアをはじめとする海外の医療機関等と提携し、本邦で開発されたAI技術等の海外展開や国内外でのAI技術等の集積を行う。

【統合イノベーション戦略2023】（令和5年6月9日閣議決定）

第2章 Society 5.0の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

4. 官民連携による分野別戦略の推進
- (戦略的に取り組むべき応用分野)
- (6) 健康・医療

・(略)他の資金配分機関、インハウス研究機関、民間企業とも連携しつつ、AMEDによる支援を中核として、医療分野の基礎から実用化まで一貫した研究開発を一体的に推進する。【健康医療、AMED室、総、文、厚、経】

・基金や政府出資を活用して研究開発を推進する。【健康医療、AMED室、総、文、厚、経】

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

4. 具体的施策

- 4.1. 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の推進
- (1) 研究開発の推進
- ① 医薬品プロジェクト

・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。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法や製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

本事業は、AMED が実施する各省連携プロジェクトのうち、「医薬品プロジェクト」を構成する事業の1つであり、関係省庁は内閣府、経済産業省、文部科学省である。文部科学省「**生命科学・創薬研究支援基盤事業**」とともに創薬研究開発に必要な支援基盤の構築を実施するが、当該文部科学省事業は創薬等のライフサイエンス研究に資する高度な技術や、最先端機器・施設等の先端研究基盤を整備・強化するとともに、共用を促進することにより、大学等の研究を支援するものであり、創薬支援に特化した本事業に比べ、より基礎研究側に重点をおいている。

文部科学省「橋渡し研究プログラム」はアカデミア等の優れた基礎研究の成果を医師主導治験・実用化へ効率的に橋渡しするためにアカデミア等の研究を支援するものであるが、同プログラムと本事業との連携により、橋渡し研究支援拠点から推薦を受けた有望シーズに対して本事業が支援を行い再び同プログラムにつなげることで医師主導治験までの創薬支援の充実を図っている。

プロジェクト名	医療機器・ヘルスケアプロジェクト
研究事業名	医療機器開発推進研究事業
主管部局・課室名	医政局研究開発政策課
AMED担当部・課名	医療機器・ヘルスケア事業部 医療機器研究開発課
省内関係部局・課室名	無し

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
		1,234,845	1,201,818

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

わが国の医療機器の開発や製品化は、欧米に遅れを取ることが多く、先駆け審査指定制度等により開発を促進させる取組を実施している。今後、国際競争力・効率性の高い医療機器の開発を、重点分野を定めた上で総合的により一層促進するためには、産学官連携による医療機器開発や、開発リスクが高い分野への参入促進を図る必要がある。

【事業目標】

予後改善につながる診断の一層の早期化、医療従事者の業務の効率化・負担軽減に資する医療機器等の重点分野^{*}や小児領域のアンメットメディカルニーズに対応した医療機器について、基礎研究の成果を薬事承認につなげ、日本発の革新的な医療機器の創出を図る。

※ 「国民が受ける医療の質の向上のための医療機器の研究開発及び普及の促進に関する基本計画」の変更について（令和4年5月31日 閣議決定）

【研究の範囲】

①医療負担の軽減に資する医療機器等の臨床研究・医師主導治験

疾病の早期診断、適切な治療方法の選択、患者負担の大幅な低減、高い治療効果等により、医療費適正化や医療従事者等の負担軽減に資する医療機器・体外診断薬等の臨床研究・医師主導治験等を支援

②小児用医療機器の実用化を目指す臨床研究・医師主導治験

医療ニーズの高い、小児用の小型又は成長追従性の医療機器を開発し、企業への導出を目指す臨床研究・医師主導治験等を支援

③高齢者向け医療機器の実用化を目指す臨床研究・医師主導治験

在宅医療の推進に資する医療機器等、高齢者に特徴的な疾病に関する医療機器を開発し、企業への導出を目指す臨床研究・医師主導治験等を支援

④革新的医療機器の実用化を目指す非臨床研究（臨床試験に代わる適切な検証的試験）・臨床研究・医師主導治験

革新的な医療機器等を開発し、企業への導出を目指す非臨床研究・臨床研究・医師主導治験等を支援

【期待されるアウトプット】

クラスⅢ・Ⅳの医療機器の開発を目指す採択課題の割合 50%（令和2年度～令和6年度）

【期待されるアウトカム】

クラスⅢ・Ⅳの医療機器の薬事承認件数 4件（令和2年度～令和6年度）

（2）これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 コラーゲン半月板補填材を用いた新規半月板治療のヒト臨床研究から実用化研究（平成30～令和3年度）

【概要】 アテロコラーゲン半月板機能修復材を用いた半月板修復術の治療の実用化に向け、先進医療Bでヒト臨床研究を終了した。検証的治験プロトコルについてPMDAと合意した。

【成果の活用】 本研究開発で作成した検証的治験のプロトコルを用いて、薬事承認申請を行う導出先企業を選定した後に、企業治験を開始する予定である（クラスⅢ）。

【課題名】 結節性硬化症に伴う腎血管筋脂肪腫に対して医療費適正化を目指した凍結療法安全性と有効性の検討（令和元～3年度）

【概要】 結節性硬化症(TSC)に伴う腎血管筋脂肪腫(AML)の患者に対して、凍結療法の適用承認を得るための有効性、低侵襲性及び安全性に関するデータを収集するため、15例を対象として先進医療Bを適用した特定臨床研究を令和4年11月に完了した。

【成果の活用】 本研究開発で得られたデータを用いて、小径腎癌に対してのみ保険収載されている凍結療法について、TSC-AMLに対する適応拡大をPMDAへ申請予定である（クラスⅢ）。

2 令和6年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題領域】 革新的医療機器の実用化を目指す非臨床研究（臨床試験に代わる適切な検証的試験）・臨床研究・医師主導治験

【概要】 近年、AI等を活用したプログラム医療機器の開発が進展するとともに、臨床現場の既存の診療情報等のリアルワールドデータ（RWD）を活用した性能評価試験の取扱いの明確化も進められている。そのため、RWDを教師データとしたAIによるプログラム医療機器の開発や、プログラム医療機器を含めた各種の医療機器の有効性評価におけるRWDの活用を推進するなど、RWDを活用した医療機器開発を加速させる必要がある。

【成果の活用】 AI等を活用した医療機器等の開発を支援することで、疾病の早期診断、適切な治療方法の選択等により医療費適正化や医療従事者等の負担軽減に資する医療機器等の実用化を促すことができる。

（2）新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

該当なし。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画】（令和4年6月7日閣議決定）

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

（2）AI 実装

（略）AI 技術を基にした実践・試行錯誤の蓄積が重要であり、ディープラーニングを重要分野として位置付け、企業による具体的ニーズを念頭に置き、その実装・開発を推進する。この際、気候変動や防災関連等に加えて、物理・化学や機械等、日本が強みを有する分野とAIの融合を図り、競争力の高い製品やサービスを生み出していく。

【経済財政運営と改革の基本方針2022】（令和4年6月7日閣議決定）

第2章 新しい資本主義に向けた改革

1. 新しい資本主義に向けた重点投資分野

（2）科学技術・イノベーションへの投資

社会課題を経済成長のエンジンへと押し上げていくためには、科学技術・イノベーションの力が不可欠である。特に、量子、AI、バイオものづくり、再生・細胞医療・遺伝子治療等のバイオテクノロジー・医療分野は我が国の国益に直結する科学技術分野である。

【統合イノベーション戦略2022】（令和4年6月3日閣議決定）

（3）先端科学技術の戦略的な推進

① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

（戦略的に取り組むべき基盤技術）

AI 技術

「AI 戦略2019」のフォローアップを経て更新された「AI 戦略2021」に基づき、関係府省が連携し、教育改革、研究体制の再構築、社会実装、データ関連基盤整備、倫理等に関する各施策を着実に推進してきた。その成果の上に立ち、より良い社会経済や国民生活を早期に実現・実感できるよう、AIの社会実装の推進強化に加え、首都直下地震、南海トラフ地震等の大規模地震や富士山も含む大規模火山噴火、気候変動等の影響により激甚化・頻発化する大雨といった大規模災害等、差し迫った危機への対処に重きを置いた「AI 戦略2022」を2022年4月に策定した。

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

1. 総論

4. 具体的施策

4.1. 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の推進

（1）研究開発の推進

○6つの統合プロジェクト

②医療機器・ヘルスケアプロジェクト

・AI・IoT 技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度

化のための医療機器・システム、医療現場のニーズが大きい医療機器や、予防・高齢者の QOL 向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。また、医療分野以外の研究者や企業も含め適切に研究開発を行うことができるよう、必要な支援に取り組む。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

文部科学省、経済産業省

本研究事業では、主にアカデミア等が実施する臨床研究を支援し、文部科学省研究事業では基礎研究を、経済産業省研究事業では企業支援を主に実施することにより、革新的な医薬品等の実用化に向けた切れ目のない支援を実施する。

プロジェクト名	医療機器・ヘルスケアプロジェクト	
研究事業名	開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業	
主管部局・課室名	医政局総務課医療国際展開推進室	
AMED 担当部・課名	医療機器・ヘルスケア事業部 医療機器研究開発課	
省内関係部局・課室名	なし	

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	305,960	297,777	297,777

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

第2期健康・医療戦略（令和2年3月27日閣議決定）では、「各国の自律的な産業振興と裾野の広い健康・医療分野への貢献を目指した我が国産業の国際展開」が求められている。また、アジア・アフリカ等の開発途上国・新興国等（以下「途上国等」という。）については、「潜在的市場として諸外国が積極的なアプローチを行う中で、より戦略的な取組を行わなければ市場確保に遅れをとる」との課題が指摘されている。

途上国等においては、日本とは異なる医療・事業環境や公衆衛生上の課題を抱えており、医療関連産業の国際展開を図る上では、それらの課題を解決しつつ、相手国のニーズを十分に踏まえた医療技術・医療機器を開発することが求められる。日本の医療機器関連企業は自社シーズ・自社技術に基づいて製品開発を行うが、そのように開発された製品では現地でのニーズを満たすことができない場合が多い。

これらの企業が潜在市場として期待の高いアジア・アフリカ等の途上国に進出し、相手国への貢献と市場創出の成果目標を達成するためには、企業が日本と異なる医療・事業環境や公衆衛生上の課題を深く理解し、相手国でのニーズや価格水準に基づいた医療機器等を開発するとともに、その方法論を企業間で共有していく必要がある。

他方で日本の医療機器関連企業が相手国ニーズに応じた製品を開発し、上市を図る上で、デザインアプローチ実施能力の構築、現地ネットワークの拡大といった個々の企業努力では解決が困難な課題もあるため、持続的にこれらの企業支援を行うための体制構築も重要である。

【事業目標】

- 日本の医療機器関連企業が、途上国等の医療機関の臨床現場において、バイオデザイン等のデザインアプローチを活用し、相手国のニーズを十分に踏まえた製品開発が実施できるよう支援を実施する。そこで得られた知見を日本の医療機器産業界で共有し、相手国の公衆衛生上の課題を解決することで、「アジア・アフリカ健康構想」等で掲げている UHC（ユニバーサルヘルスカバレッジ）実現への貢献と医療の国際展開を図る。
- 開発した医療機器等の普及活動において日本の医療国際展開に資するエビデンスを構築すべく、①本研究事業の研究開発に携わった事業者の成功事例集の作成、

②医療機器関連企業が途上国等に展開する際に必要な情報をとりまとめた資料の作成、③医療機器関連企業が持続的にデザインアプローチを活用するための支援体制（開発サポート機能）の構築・社会実装、を推進する。

【研究のスコープ】

途上国等のニーズを十分に踏まえた医療技術・医療機器の開発の支援、及び日本の医療技術等の途上国等への展開に資するエビデンスの構築を推進する。

【期待されるアウトプット】

○医療機器の開発に関する指標

・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題の割合 25%

【期待されるアウトカム】

○医療機器の開発に関する指標

・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数 20 件

○製品導入による定性的効果

安全かつ低コストでの呼吸管理の手法の導入、腎疾患スクリーニング効率向上、マラリア原虫感染者発見効率向上によるマラリアの効率的な治療、新生児蘇生成功率の向上、骨関節機能障害低減による QOL 改善、感染症予防接種率向上、予防可能な失明と視力障害の低減、X 線装置を用いた AI 診断による肺感染症診断率向上、医療現場における新型コロナウイルス変異株の簡易検出による診断効率向上等

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【プログラム名】 開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究

【概要】 「安全なバッグ換気のためのモニタ」など、バイオデザイン等のデザインアプローチを活用した製品開発を推進する課題を 11 件実施した（うち 3 課題が令和 5 年度も継続中）。

「安全なバッグ換気のためのモニタ」の研究課題を通じて開発した製品が、令和 4 年度にインドネシアで現地認可を取得した。その他の課題も 2 製品がベトナムで認可を取得、5 製品が令和 5 年度までに日本・相手国における認可取得を予定している。

【成果の活用】 「安全なバッグ換気のためのモニタ」課題で開発した製品を通じてインドネシアにおける医療課題（新生児死亡率改善）の解決への貢献が期待される。また、これまで支援してきた課題（継続中含む）の事例をとりまとめた事例集を作成し、今後国際展開を図る企業等へ展開する予定である。

【プログラム名】 開発サポート研究

【課題名】 バイオデザインアプローチを用いた開発途上国・新興国の公衆衛生の課題解決に貢献する医療機器開発サポートシステム「グローバル・バイオデザイン」の確立（令和 5 年度も継続中）

【概要】 開発サポート機関が、開発途上国・新興国におけるデザインアプローチを用いた医療機器製品開発に関するサービスを持続可能な体制、ケイパビリティ・収益体制で確立した。開発サポート機関が、開発途上国・新興国等のニーズにあった医療機器開発のノウハウを伝える企業向けのワークショップを開催した。

【成果の活用】 アフリカ向け研究開発の支援体制構築への応用や、今後デザインアプローチを活用した持続可能な支援体制の構築といった開発サポート機能の社会実装が

期待される。

2 令和6年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【プログラム名】 開発サポート研究

【課題名】 バイオデザインアプローチを用いた開発途上国・新興国の公衆衛生の課題解決に貢献する医療機器開発サポートシステム「グローバル・バイオデザイン」の確立

【概要】 近年、アフリカとの協力強化における重要性が増している事を踏まえ、当該事業においても令和4年度よりアフリカ向け課題の支援を開始し、令和5年度にもアフリカ向け単年度実行可能性調査の実施を予定している。

令和6年度は、開発サポート機関によるアフリカ向け医療機器開発に係る支援機能強化を図るため、増額を要求する。令和6年度に強化を図る支援機能は以下の通りである。

- 薬事申請に係るコンサルティング能力
- アフリカ覚書締結国におけるネットワーク構築（現地保健省庁・医療機関等）
- その他、令和5年度採択予定のアフリカ向け単年度実行可能性調査における経験、ノウハウを踏まえた機能強化、等

(参考) 開発サポート機関による事業者に対する主な支援内容は以下の通り。

- デザインアプローチ等を用いたニーズ探索、コンセプト確立、試用機作製・評価等の実施
- 現地当局・政府・医療機関とのネットワークの確立・強化
- 現地での保険収載に向けた規制当局への交渉や保険収載に向けた医学的エビデンス構築のための戦略構築等

【成果の活用】

- アフリカを対象とした研究課題を推進することによって、アフリカ健康構想の基本方針における「アフリカ固有の課題を念頭に置いた持続可能なヘルスケアの構築」に貢献する。
- 毎年の研究課題成果を事業説明会や成果報告会で報告し本事業の周知を図るとともに、研究によって得られた成果および知見（例：国毎・分野毎に中核となる病院やキーパーソンの情報、我が国や先進国では見られなかった独特のニーズの例、展開先国の医療従事者の意見、その他途上国独自の課題等）を、医療機器関連の業界団体等を通して医療機器関連企業へ周知するべく、事例集等としてとりまとめて展開する。
- また、デザインアプローチを体得する企業向けのセミナーにおいてアフリカを対象とした事例も共有することで、アフリカも含めた途上国等における現地医療ニーズに沿った製品の研究開発能力の向上と、開発された製品の海外での事業展開のために活用する。
- 更に、実用化に向けて、当該研究を通じて開発した医療機器等について、他の国際展開支援施策（例：厚生労働省「医療技術等国際展開推進事業」や経済産業省「技

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【プログラム名】 アフリカにおける医療技術等実用化研究 (仮)

【概要】 近年、アフリカとの協力強化における重要性が増している状況下、令和4年度までの支援課題や令和5年度採択予定のアフリカ向け課題(アフリカ現地ニーズ探索～製品コンセプト策定を目的とした単年度の実行可能性調査)における経験・ノウハウ等を踏まえ、アフリカ向け医療機器等の実用化を目指し、アフリカを対象とした複数年研究課題を実施する。

【成果の活用】

- アフリカを対象とした研究課題を推進することによって、アフリカ健康構想基本方針における「アフリカ固有の課題を念頭に置いた持続可能なヘルスケアの構築」に貢献する。
- 更に、当該研究を通じて開発した医療機器等の実用化に向けて、他の国際展開支援施策(例:厚生労働省「医療技術等国際展開推進事業」や経済産業省「技術協力活用型・新興国市場開拓事業」等)の活用等、連携を図る。

II 参考

- 1 研究事業と各戦略(新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略)との関係

【成長戦略等のフォローアップ】(令和5年6月16日閣議決定)

3. 「科学技術・イノベーション」関連

(医療・医薬品・医療機器)

・「アジア健康構想」や「アフリカ健康構想」の下、日本の医薬品・医療機器等の国際展開を促すため、アジア・アフリカ諸国での産官学医のハブとなる組織の創設や関係構築等のための伴走支援を行う。

【フォローアップ】(令和4年6月7日閣議決定)

5. グローバルヘルス(国際保健)

・「アジア健康構想」及び「アフリカ健康構想」の下、医療・ヘルスケアに関する製品・サービスの国際展開を進める。

【統合イノベーション戦略2023】(令和5年6月9日閣議決定)

第2章 4. 官民連携による分野別戦略の推進 (6) 健康・医療

UHCの達成への貢献を視野に、アジア健康構想及びアフリカ健康構想の下、各国の自律的な産業振興と裾野の広い健康・医療分野への貢献を目指し、我が国の健康・医療関連産業の国際展開を推進。対象分野については、医療・介護のみならず、裾野の広いヘルスケアサービスを含む全体をパッケージとして展開。

【健康・医療戦略(第2期)】(令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更)

2.2 第I期の健康・医療戦略の成果と課題

(2) 健康長寿社会の形成に資する新産業創出及び国際展開の促進等に係る成果と課題

○ 国際展開に係る課題

高齢化が進むアジアや、急増する人口を背景に高い経済成長を遂げているアフリカは潜在的市場として大きな魅力があり、諸外国が積極的なアプローチを行う中、我が国がより戦略的な国際展開を行わなければ市場確保に後れを取る可能性がある。

3.2 健康長寿社会の形成に資する新産業創出及び国際展開の促進等に係る基本方針

○アジア・アフリカにおける健康・医療関連産業の国際展開の推進

UHCの達成への貢献を視野に、アジア健康構想及びアフリカ健康構想の下、各国の自律的な産業振興と裾野の広い健康・医療分野への貢献を目指し、我が国の健康・医療関連産業の国際展開を推進する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

- 医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日健康・医療戦略推進本部決定）における医療機器・ヘルスケアプロジェクト（PJ2）に基づいて実施される各研究事業の結果を活かし、開発途上国・新興国等での新たな公衆衛生上の課題に対応する医療機器等の開発・改良を支援し、日本医療機器関連企業の海外進出を後押しする。
- また、諸外国において、我が国の医療制度や技術・製品に理解を有する医療人材の育成や我が国企業に対するWHO事前認証制度の取得支援を行うとともに、WHO・UNICEF等の各国際機関の調達への参入支援などのAMED以外の厚生労働省国際展開関連事業とも連携を図っている。
- 他省庁（主に内閣官房健康医療戦略室・経済産業省等）とも、当該研究課題を通じた研究開発成果事例を共有、国際展開施策への活用を図る、或いは当該研究事業に適した案件を紹介いただく等の連携も図っている。

プロジェクト名	再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
研究事業名	再生医療等実用化研究事業
主管部局・課室名	医政局研究開発政策課
AMED 担当部・課名	再生・細胞医療・遺伝子治療事業部 再生医療研究開発課
省内関係部局・課室名	健康局難病対策課、健康局がん・疾病対策課

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	2,786,778	2,712,244	2,712,244

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

再生医療等は、これまでの治療では対応困難であった疾患に対する新たな治療法となり得るものであり、最新の再生医療を世界に先駆けて実用化することを目的として、倫理性及び科学性が十分に担保された臨床研究や医師主導治験等を支援する必要がある。

【事業目標】

再生医療等に関して、基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、高品質な臨床用 iPS 細胞、体性幹細胞等の安定的な供給に向けた取組等、必要な基盤を整備する。また、iPS 細胞等を用いた病態解明、創薬研究及び創薬支援ツール等の産業化に向けた汎用性のある製造技術の基盤の開発・整備により、新薬開発の効率性の向上を目指す。

【研究の範囲】

- ・安全性の確保のための研究
- ・治療方法探索のための研究
- ・多能性幹細胞の臨床応用に向けた細胞特性解析のための研究
- ・産学連携による研究
- ・臨床研究等における課題解決・新たな治療法の開発に係る研究
- ・多能性幹細胞・体性幹細胞等を利用した創薬応用のための研究
- ・再生医療等技術の効率化のための研究
- ・再生医療等技術の国際展開のための研究

【期待されるアウトプット】

「再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト」に基づき、文部科学省事業によって非臨床段階から臨床段階へ移行した課題について、切れ目なく支援を行い、臨床研究又は治験に移行する課題の拡大、iPS 細胞等を用いた病態解明等を目指す。

【令和2年度～令和6年度までの KPI】

治験に移行した研究課題数：14 件

研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載数（再生医療実用化研究事業（厚）、再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム（旧再生医療実現拠点ネットワークプログラム）（文）、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）合算：400 件）

【期待されるアウトカム】

国内で実用化された再生医療等技術の世界的な市場展開も視野に入れた研究支援を行うことで、国際的に発信すべき細胞の安全性評価方法、製造方法や品質管理方法等の確立が期待される。また、さらなる産学連携により、アカデミア発のシーズを速やかに企業治験（再生医療等製品の開発）につなげる研究の増加も期待される。

【令和2年度～令和6年度までのKPI】

企業へ導出される段階に至った研究課題数：5件

薬事承認件数（新薬、適応拡大）：1件

（2）これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】血小板減少症に対する自家 iPS 細胞由来の血小板輸血に関する臨床研究（平成30～令和3年度）

【概要】再生不良性貧血（※）に伴う血小板減少症に対して、自己由来 iPS 細胞から血小板を製造し、輸血を行った。令和2年1月に1例目の投与を終了し、令和4年9月に論文発表を行った。

（※）血液の細胞を作っている骨髄の機能が低下しているために、血小板を含む血液中の細胞数が減少する疾患

【成果の活用】適合する血小板ドナーが存在しない患者に対して、輸血可能かつ品質良好な自己の iPS 血小板を十分量製造することに成功し、かつ安全性を確認することができた。この成果により、将来輸血が必要となった場合に拒絶されない血小板を製造できることが期待される。

2 令和6年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】再生医療・細胞治療・ex vivo 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（医師主導治験・臨床研究）

【概要】経済財政運営と改革の基本方針 2022 において、「社会課題を経済成長のエンジンへと押し上げていくためには、科学技術・イノベーションの力が不可欠である。特に、（中略）再生・細胞医療・遺伝子治療等のバイオテクノロジー・医療分野は我が国の国益に直結する科学技術分野である」とされていることを踏まえ、アカデミアと企業との共同研究に対して支援を行い、再生医療等製品又は再生医療に用いる医療機器としての薬事承認申請を目指した医師主導治験・臨床研究をより一層推進することを目的とする。

【成果の活用】再生医療等製品又は再生・細胞医療・遺伝子治療に用いる医療機器としての薬事承認申請を目指した医師主導治験の実施を促進することで、より多くのアカデミア発のシーズが実用化されることが期待される。

（2）新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 In vivo 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（医師主導治験）

【概要】 研究開発の進んでいない in vivo 遺伝子治療の実用化に向け、企業の協力を得ながら品質・非臨床データの取得や臨床研究・医師主導治験及びその準備段階の研究を支援し、遺伝子治療製品・先進医療へ着実に繋げる。

【成果の活用】

再生医療等製品又は再生・細胞医療・遺伝子治療に用いる医療機器としての薬事承認申請を目指した医師主導治験の実施を促進することで、より多くのアカデミア発のシーズが実用化されることが期待される。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【経済財政運営と改革の基本方針 2022】（令和4年6月7日閣議決定）

第2章 新しい資本主義に向けた改革

1. 新しい資本主義に向けた重点投資分野

(2) 科学技術・イノベーションへの投資

社会課題を経済成長のエンジンへと押し上げていくためには、科学技術・イノベーションの力が不可欠である。特に、量子、AI、バイオものづくり、再生・細胞医療・遺伝子治療等のバイオテクノロジー・医療分野は我が国の国益に直結する科学技術分野である。このため、国が国家戦略を明示し、官民が連携して科学技術投資の抜本拡充を図り、科学技術立国を再興する。その上で、研究開発投資を増加する企業に対しては、インセンティブを付与していく。

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画】（令和4年6月7日閣議決定）

III. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

2. 科学技術・イノベーションへの重点的投資

(4) 再生・細胞医療・遺伝子治療等

①再生・細胞医療・遺伝子治療

再生・細胞医療・遺伝子治療については、新たな医療技術の臨床研究・治験の推進、これらの医療技術の製品化に向けた研究開発、治療に用いる細胞・ベクター（ウイルスなど細胞へ遺伝子を導入するための媒介）の製造基盤強化、人材育成等を進め、有効な技術を実用化につなげる。再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い、遺伝子治療におけるゲノム編集技術を再生・細胞医療に応用するなど一体的な研究開発や臨床研究拠点の整備を進める。

【統合イノベーション戦略 2023】（令和5年6月9日閣議決定）

第1章

2. 科学技術・イノベーション政策の3本の基軸

(3) 先端科学技術の戦略的な推進

① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

健康・医療

・再生・細胞医療・遺伝子治療分野において、異分野融合による独創的な治療技術

研究や製造基盤技術開発等の更なる革新的な研究開発を行う。産業化に向けた課題を克服するため、PMDAによる出張相談を開始するとともに、治験・上市済の製品・技術に関する有効性証明や対象拡大、生産工程改善を支援する。大阪・関西万博での国内外への情報発信を実施する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

再生医療の迅速な実現化に向けて、基礎から臨床試験、さらに実用化まで、それぞれの研究段階に応じて3省が適切かつ一貫した支援を実施している。

- ・ 再生医療の臨床研究及び治験の推進や再生医療等製品の安全性評価手法の開発等を行う。さらに、再生医療の実現化を支える基盤を構築する。（厚労省）
- ・ 安全な細胞の提供に向けた取組、幹細胞操作技術等のiPS細胞等の実用化に資する技術の開発・共有、再生医療の基礎研究・非臨床試験の推進等を実施する。（文科省）
- ・ iPS細胞等の大量培養・分化誘導技術の開発を推進するとともに、開発した技術の統合化を行い、再生医療関連の周辺産業基盤を構築する。また、iPS細胞等から分化誘導した各種臓器の細胞を応用し、医薬候補品の薬物動態や安全性の評価基盤技術を構築し、幹細胞の創薬応用の促進を図る。（経産省）

<事業名>

- 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム（文科省）
- 再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業（経産省）

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	ゲノム創薬基盤推進研究事業
主管部局・課室名	医政局研究開発政策課
AMED 担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部 ゲノム医療基盤研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	308,051	319,812	319,812

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

ゲノム解析技術等が著しく進展し、ゲノム情報を活用した医療への取組が急速に進みつつある。わが国でも、がんや難病の分野を中心に、ゲノム医療（個人のゲノム情報等に基づく、その人の体質や症状に適した医療）を推進しているが、今後もゲノム医療の実用化をより一層進める観点から、オールジャパン体制で取組を強化する必要がある。

【事業目標】

ゲノム医療の推進に係わる諸課題の解決、ゲノム医療の実用化の推進のための基盤的な研究を行う。

【研究の範囲】

- ・ゲノム創薬研究の推進に係る課題解決に関する研究
- ・ゲノム情報を活用した新規創薬ターゲットの探索等の基盤整備に関する研究
- ・網羅的生体情報を活用したゲノム診断・ゲノム治療に資する研究

【期待されるアウトプット】

- ・非臨床 POC の取得件数 3 件
- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター 5 以上）への論文掲載件数 60 件
- ・新たな疾患発症メカニズム解明件数 3 件
- ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 6 件
- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター 5 未満等の他の科学誌）への論文掲載状況 60 件

【期待されるアウトカム】

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 4 件
- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 3 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 3 件

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 バイオバンク利活用推進のための調査研究（令和2～4年度）

【概要】 生体試料の処理方法と品質との関係を調べることで、バイオバンクの現状の課題を抽出し解決策を記載した「バイオバンク利活用促進のための調査報告書」及び「バイオバンク利活用ハンドブック＜試料編＞」を作成した。

【成果の活用】 バイオバンクの利活用によって、アカデミア・産業界において再現可能

で多様な研究開発の実施に貢献できる。

【課題名】RNA 標的医薬創出に資する RNA 分子完全長構造に関するデータ基盤の構築(令和 2～4 年度)

【概要】核酸医薬品創製のためのゲノム DNA・RNA 総合データベース D3G (Database for Drug Development based on Genome and RNA) にアカゲザルを追加搭載したことで、これまでカニクイザルで行われてきた核酸医薬品の薬効試験及び安全性試験が、アカゲザル(カニクイザルと同等のヒトゲノム相同性を有し、かつ、カニクイザルに続き 2 番目の使用頻度である)まで拡充することができるようになった。

【成果の活用】カニクイザル供給不足による核酸医薬品創製に遅れを生じることなく、かつさらなる製品としての信頼性・精度向上が期待できる。

【課題名】日本人小児ミトコンドリア病の固有 VUS に対する網羅的な機能的アノテーション(令和 2～4 年度)

【概要】ミトコンドリア病関連ミトコンドリア遺伝子 VUS (臨床的意義が不明な変異)の機能的ハイスループットスクリーニングを行った結果、Pathogenic variant として新規のミトコンドリア病発症遺伝子 ndufv2 バリエントを発見した。

【成果の活用】遺伝子変異・多型と疾患との関連等を明らかにし、ゲノム医療・個別化医療の推進に寄与する。

2 令和 6 年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題(増額要求等する課題)の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】ゲノム創薬研究の推進に係る課題解決に関する研究

【概要】ゲノム創薬研究においては、研究者が各種バイオバンクの検体等を有効に利活用することが重要であることから、バイオバンク利活用を推進するため、バイオバンクの管理、運営体制をさらに充実する必要がある。具体的には、現在代表機関を除き 5 つのクリニカルバイオバンク施設を有する研究機関が管理・運営体制構築に向け参画しているが、次年度にはさらに 5 つのクリニカルバイオバンク研究機関を参画させ、オールジャパン体制の礎を構築する。

【成果の活用】バイオバンクに保管されている生体試料やデータベースに集積されているゲノム情報・臨床情報等の信頼性が高まり、利活用が促進されることで、個別化医療が一層推進されることを目指す。

【課題名】ゲノム情報を活用した新規創薬ターゲットの探索等の基盤整備に関する研究

【概要】RNA 構造(スプライシングバリエント及び非コード RNA を含む)に関するデータを解析し、高い有効性・安全性を有する医薬品シーズ(主に核酸医薬品)を効率的に探索・同定するため、データベースをさらに充実する必要がある。

【成果の活用】データベースは核酸医薬品のオフターゲット効果(構造変換、不純物、分解物等による副作用)の評価に利用されるばかりでなく、オンターゲット効果(創薬ターゲットの同定による主作用)の評価に活用することが可能であり、核酸医薬の創薬研究推進に寄与することが期待される。

【課題名】若手研究者による遺伝性疾患のゲノム解析で得られた VUS（臨床的意義が不明な変異）への機能的アノテーションに資する基盤研究

【概要】「統合イノベーション戦略 2022」等においても若手研究者の人材育成が掲げられていることから、課題の採択数を増加する必要がある。また、がん、難病を中心に日本人集団のゲノム配列解析が推進されている中、VUS は急増しており、この解決はゲノム解析結果を個人に返却する上で深刻な障壁となっている。他方、新しい VUS 機能解析技術が米国を中心に一気に普及し、欧米人集団を対象とした大規模データセットが整備されつつある。一方で、日本人の乳がん遺伝子バリエーションデータを海外データと連合解析（Federated Analysis）を行ったところ、日本人乳がん遺伝子バリエーション 16 個について新たに病気の原因とならない Benign variant であったことが明らかになっている。そのため、日本人遺伝子バリエーションと外国人遺伝子バリエーションのデータシェアリングは、VUS 解決に大変重要なものである。VUS の機能解析は現在、世界中が注目する領域となっており、VUS の機能解析に関する研究を継続して推進する必要がある。

【成果の活用】若手研究者を育成するとともに、育成された人材を通じて研究成果を社会へ還元することを推進する。また、VUS の機能解析研究により、遺伝子変異・多型と疾患との関連等を明らかにすることで、ゲノム医療の国民還元を加速するとともに、疾患の発症・重症化予防、早期診断、治療等に資するゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。

（2）新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

該当なし。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2023 改訂版】（令和 5 年 6 月 16 日閣議決定）

6.（2）健康・医療 ②ゲノム創薬をはじめとする次世代創薬の推進

従来の低分子薬中心の開発から脱却し、高機能バイオ医薬品や低コストで疾病の原因に効果的に作用し経口摂取が可能な中分子等、世界規模でニーズの高い分野での創薬を強化する。日本国内の枠組みに閉じて研究開発・供給基盤構築を行うことは、開発・供給のスピード感で我が国が後れを取るおそれがある。日本の企業・研究機関と、米国等の有志国のスタートアップ・ファウンダリとの連携を促進し、国際的な新薬開発・供給体制の構築を図る。

がん・難病の全ゲノム解析（DNA が持つ全ての遺伝情報の解析）について、引き続き、10 万ゲノム規模に向けて解析し、その結果の患者への還元と情報基盤の整備を着実に進めるとともに、事業実施組織について、2025 年度の発足に向け、本年度内を目途に法人形態を決定する。

この事業実施組織や、ゲノムのバイオバンクが中心となって、医学・薬学にとどまらず、バイオ、数理科学等の異分野まで含めた、関係する医療機関、研究機関、スタートアップ等の企業と連携し、全ゲノム解析やマルチオミックス解析（特定の症例に対し、

DNA 解析、RNA 解析、タンパク質解析等の複数の手法で統合的・網羅的に解析する方法)の結果や臨床情報等を利活用し、創薬の成功率の向上を図る。

【成長戦略等のフォローアップ】(令和5年6月16日閣議決定)

Ⅱ. 3. 「科学技術・イノベーション」関連(医療・医薬品・医療機器)

再生・細胞医療・遺伝子治療における、新たな医療技術の臨床研究・治験の推進やこれらの医療技術の製品化に向けた研究開発・製造基盤強化等の取組、遺伝子治療におけるゲノム編集技術の再生・細胞医療への応用やそれぞれの人の特性に合った薬効等を試験できるオルガノイド(試験管内で人工的に作られるミニ臓器)等の革新的な研究開発を引き続き進める。

【統合イノベーション戦略2023】(令和5年6月9日閣議決定)

第1章 2 (1) ① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

(重要分野の戦略的対応の強化) 健康・医療

難治性がん・希少がん、難病、脳神経疾患、自己免疫疾患等について、ゲノム創薬等の次世代創薬の推進により革新的医薬品を迅速に届ける。このため、ゲノムデータ基盤やバイオバンクにおいて、マルチオミックスの情報や臨床情報等を戦略的に収集、AI等の最新の解析手法を導入して利活用することにより、創薬プロセス等を格段に加速させる。新たなモダリティに関する技術開発と疾患に応じた最適化により、高機能バイオ・中分子等の次世代創薬を創出する。これらの推進にあたり、バイオバンク主導の産学リソースを糾合した新たな共同研究の開発推進体制等を構築するとともに、バイオ創薬研究の共用基盤、電子カルテデータ等の創薬への活用に向けた取組を進める。

【経済財政運営と改革の基本方針2023】(令和5年6月16日閣議決定)

第4章 2 持続可能な社会保障制度の構築

創薬力強化に向けて、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品の開発強化、研究開発型のビジネスモデルへの転換促進等を行うため、保険収載時を始めとするイノベーションの適切な評価などの更なる薬価上の措置、全ゲノム解析等に係る計画¹の推進を通じた情報基盤²の整備や患者への還元等の解析結果の利活用に係る体制整備、大学発を含むスタートアップへの伴走支援、臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化、国際共同治験に参加するための日本人データの要否の整理、小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消に向けた薬事上の措置と承認審査体制の強化等を推進する。これらにより、ドラッグラグ・ドラッグロスの問題に対応する。

¹ 「全ゲノム解析等実行計画2022」(令和4年9月30日厚生労働省)

² マルチオミックス(網羅的な生体分子についての情報)解析の結果と臨床情報を含む。

【健康・医療戦略(第2期)】(令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更)

4. 4.1. (1) 研究開発の推進

④ゲノム・データ基盤プロジェクト

・ 健常人及び疾患のバイオバンク・コホート等の情報に加え、臨床研究等を行う際のコホート・レジストリ、臨床情報等を統合し、研究開発を推進するために必要なデータ基盤を構築する。また、一人ひとりの治療精度を格段に向上させ、治療法のない患者に

新たな治療を提供するといったがんや難病等の医療の発展や、個別化医療の推進など、がんや難病等患者のより良い医療の推進のため全ゲノム解析等実行計画を実施する。特にがんの全ゲノム解析は、臨床実装を見据え、がんの再発分野等の課題を明確に設定した上で推進する。また、細胞のがん化過程をシームレスに追跡できるよう健常人コホートからがん患者の発生を追跡できる研究について検討する。

- ・ その際、詳細で正確な臨床情報等が得られる検体を重点的に解析するとともに、個人情報等に配慮しつつ研究開発や創薬等に活用できるデータシェアリングを進め、特に、AMEDで行う研究開発については、研究成果として得られたデータを共有する。

- ・ ゲノム・データ基盤の整備を推進するとともに、全ゲノム解析等実行計画等の実行により得られるデータの利活用を促進することで、ライフステージを俯瞰して遺伝子変異・多型と疾患の発症との関連等から疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進し、病態解明を含めたゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。

- ・ また、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行う。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

文部科学省、経済産業省

本研究事業では、主にアカデミア等が実施する臨床研究を支援し、文部科学省は基礎研究を、経済産業省は主に企業支援を実施することにより、革新的な医薬品等の実用化に向けた切れ目のない支援を実施する。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、医療機器・ヘルスケアプロジェクト、再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト、ゲノム・データ基盤プロジェクト、疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	革新的がん医療実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局がん・疾病対策課
AMED 担当部・課名	創薬事業部 医薬品研究開発課、医療機器・ヘルスケア事業部 医療機器研究開発課、再生・細胞医療・遺伝子治療事業部 遺伝子治療研究開発課、ゲノム・データ基盤事業部 医療技術研究開発課、ゲノム・データ基盤事業部 ゲノム医療基盤研究開発課、疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課
省内関係部局・課室名	

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	9,013,021	8,771,960	9,227,703

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

令和5年3月に閣議決定された「第4期がん対策推進基本計画」（以下「基本計画」という。）の全体目標として「誰一人取り残さないがん対策を推進し、全ての国民とがんの克服を目指す。」ことが掲げられ、「がん予防」、「がん医療」、「がんとの共生」を3本の柱として設定し、がん研究はその基盤として位置づけられた。「がん研究10か年戦略」の改定に向けた議論も踏まえ、文部科学省・経済産業省と連携し、がん研究を着実に前進させ、その成果を患者やその家族、医療従事者等に届けることによって、わが国のがん対策全体の一層の充実を図る必要がある。

【事業目標】

基礎・基盤領域の研究成果を確実に医療現場に届けるため、非臨床領域の後半から臨床領域を中心とした、予防・早期発見、診断・治療等、がん医療の実用化をめざした研究を「健康・医療戦略」及び「がん研究10か年戦略」に基づいて強力に推進し、健康長寿社会を実現するとともに、経済成長への寄与と世界への貢献を達成することをめざす。

【研究の範囲】

下記項目を対象とする。

- ・がんの本態解明に関する研究
- ・がんの予防法や早期発見手法に関する研究
- ・アンメットメディカルニーズに対応する新規薬剤開発に関する研究
- ・患者に優しい新規医療技術開発に関する研究
- ・新たな標準治療を創出するための研究
- ・ライフステージやがんの特性に着目した重点研究

【期待されるアウトプット】

本研究事業では、令和6年度までに以下を達成することを目標としている。

- 医薬品プロジェクト（PJ①）

- ・非臨床 POC の取得件数 5 件以上
- ・臨床 POC の取得件数 1 件

○医療機器プロジェクト (PJ②)

- ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する課題採択

○再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト (PJ③)

- ・治験に移行した研究課題数 5 件 (うち、遺伝子治療 1 件)

○ゲノム・データ基盤プロジェクト (PJ④)

- ・臨床 POC の取得件数 5 件
- ・研究成果の科学誌への論文掲載状況 (インパクトファクター 5 以上) 150 件
- ・研究成果の科学誌 (インパクトファクター 5 未満等の他の科学誌) への論文掲載

【期待されるアウトカム】

本研究事業では、令和 6 年度までに以下を達成するとしている。

○医薬品プロジェクト (PJ①)

- ・シーズの企業への導出件数 3 件以上
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行
- ・薬事承認件数 (新薬、適応拡大) 1 件以上

○医療機器プロジェクト (PJ②)

- ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認

○再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト (PJ③)

- ・企業へ導出される段階に至った研究課題数 2 件 (うち、遺伝子治療 1 件)
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行
- ・薬事承認件数 (新薬、適応拡大) 1 件以上

○疾患基礎研究プロジェクト (PJ⑤)

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 深層学習アルゴリズムを活用した大腸内視鏡用診断支援プログラムの実用化研究 (PJ②) (令和 2～4 年度)

【概要】 大腸内視鏡の画像情報 (動画) から AI を用いて、大腸ポリープ候補の『検出』を支援するソフトウェアを開発した。

【成果の活用】 深層学習を活用したプログラム医療機器 (医療機器クラス分類Ⅱ) として、令和 4 年 4 月に申請し、11 月に薬事承認を取得した。ポリープの見落としを減少させることで、将来の大腸癌発生リスク低減が期待される。

【課題名】 小児胎児性固形がんに対する標準的治療法開発 (PJ④) (令和 2～4 年度)

【概要】 全国多施設共同臨床試験 JPLT-2 試験に登録され治療された症例の治療開始前

の検体 163 例を用いて、統合的にゲノム・エピゲノム・プロファイリングを行った。その結果、肝芽腫には性質が異なるいくつかのサブグループが存在し、小児に多く見られる典型的な肝芽腫では、腸管上皮の幹細胞で重要な転写因子である ASCL2 の遺伝子発現が亢進していることが明らかとなった。さらに、肝芽腫症例の予後予測に有用である新しいメチル化マーカー DLX6-AS1 を見出した。

【成果の活用】小児肝がん（肝芽腫）の発がんに関わる重要な遺伝子を明らかにし、肝芽腫症例の診断や予後予測の重要な指標となることが期待される。

【課題名】血管免疫芽球性 T 細胞リンパ腫における微小環境ネットワークの標的治療開発（PJ⑤）（令和 2～4 年度）

【概要】血管免疫芽球性 T 細胞リンパ腫のがん細胞および微小環境細胞に特有なゲノム異常を同定し、がん細胞-微小環境細胞の相互作用による分子病態を解明することで、新たな治療標的を同定した。また、加齢に伴うクローン造血において造血幹細胞に特有の遺伝子変異が加わることで前がん細胞となり、ここから分化・発生した炎症細胞が、がん細胞を支持する微小環境細胞として働くことを明らかにした。

【成果の活用】難治がんである血管免疫芽球性 T 細胞リンパ腫に対する微小環境ネットワークを標的とした革新的な治療法開発に繋がる。

2 令和 6 年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】第 4 期がん対策推進基本計画の基盤となる研究推進（PJ①、PJ②、PJ③、PJ④、PJ⑤）

【概要】第 4 期がん対策推進基本計画における 3 本の柱「がん予防」、「がん医療」、「がんとの共生」を支える基盤となるがん研究を推進する。がんゲノム医療、希少がんおよび難治性がん、小児・AYA 世代のがん、高齢者のがん等に関する研究や治療法の開発、がん予防に資する技術開発、医薬品・医療機器の開発を行うとともに、がんの治療に伴う副作用・合併症・後遺症に対する予防とケア（支持療法やリハビリテーション等）といった患者の QOL 向上に資する研究等を重点的に支援する。

【成果の活用】がん研究の更なる促進により、がん予防に資する技術開発の推進や医薬品・医療機器等の開発によるがん医療の充実を図るとともに、がん患者やその家族等の療養生活に関する課題の解決を図る。

【課題名】個別化医療に資するコンパニオン診断薬の研究・開発及び新たながん治療薬の非臨床試験、医師主導治験（PJ①）

【概要】個別化医療の推進に向けて、遺伝子スクリーニング研究結果を基にしたコンパニオン診断薬の研究・開発を加速させるとともに、有効かつ安全性の高い新たながん治療薬の非臨床試験及び医師主導治験の支援を強化し、企業との連携強化による企業導出・薬事承認件数の更なる増加を図る。

【成果の活用】上記研究開発の成果に基づく薬事承認による医療への早期実用化。

【課題名】がんの診断・治療における新規医療機器開発と実用化の推進（PJ②）

【概要】最新技術を実装した医療機器の薬事承認および企業導出を見据えた臨床研究の支援を推進する。特に医療機器クラス分類のⅢ・Ⅳの実用化を目指し、医療機器の有効性や安全性が明らかとする臨床研究を重点的に推進する。

【成果の活用】がん医療のための低侵襲で効果的、効率的な新規医療機器の開発と実用化により、がんの早期発見・診断・治療を可能とし、医療費の削減も含め、結果的にがん患者の利益につなげる。

【課題名】支持療法の推進とがんと診断された時からの緩和ケアの実現 (PJ④)

【概要】第4期がん対策推進基本計画の3本柱のひとつ「がん医療」分野別目標の実現に向けて、質の高い支持療法・緩和ケアを提供できるエビデンスの創出を目指した臨床試験を引き続き推進する。特に、がん性疼痛やがん治療関連疼痛等、「痛み」に関する治療法開発を重点的に推進する。

【成果の活用】科学的根拠に基づく支持療法・緩和ケアががんと診断された時から適切に提供されることにより、患者とその家族の身体的・精神心理的苦痛等の軽減につながる。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】がん研究の未来を担う異分野融合・若手研究者の育成支援 (PJ①、PJ②、PJ③、PJ④、PJ⑤)

【概要】がん研究の推進にあたり、次世代を担う人材を積極的かつ実践的に育成すること、また、幅広い分野の柔軟な発想をもつ若手の人材をがん研究領域に取り込むことの必要性は、平成26年度～令和5年度までの「がん研究10か年戦略」においても指摘されていた。しかしがん研究領域のトップ論文に占めるわが国のシェアの低下・低迷が続いており、研究の質の低下が懸念される。また、がん研究領域における若手研究者数はここ5年で大きく減少しているため、国全体の研究力低下をきたすだけでなく、新たながんの治療法や診断法の開発につながるシーズの枯渇が危惧される。このような状況を打開し、将来にわたり持続的な事業展開を図るために、次世代を担う人材を育成するための取組を実施する。具体的には、幅広い分野から新たな切り口を創生する挑戦的で意欲的な提案を募集し、若手研究者が研究に専念できる機会を提供するとともに、専門技術や研究者間の連携等の機会を提供する。

【成果の活用】多様な分野の知見に基づき、柔軟な発想で新しい研究を展開することが可能な優れた若手研究人材の育成により、革新的な医療シーズを将来にわたり持続的に創出し、「がん研究10か年戦略」に掲げられた戦略目標を着実に達成する。

【課題名】難治性小児がん治療薬の開発・薬事承認を目指した医師主導治験 (PJ①)

【概要】難治性小児がんに対する未承認薬や適応外薬の開発は、成人と比較して著しく遅れており、成人を対象とした開発において小児も同時に開発することが望まれている状況を踏まえ、難治性小児がんに対しても有効な治療法の開発支援を強化する。

【成果の活用】上記研究開発の成果に基づく薬事承認による医療への早期実用化。

【課題名】遺伝子改変免疫細胞 (CAR-T) 及び、遺伝子治療・細胞治療による難治性がんを対象とした医師主導治験 (PJ③)

【概要】非ウイルス性遺伝子改変 CAR-T 細胞療法による非臨床試験及び医師主導治験の加速のため、製造設備への積極的な支援、及び導出に向けた製薬企業とのマッチング支援等を強化し、早期実用化を図る。

【成果の活用】上記研究開発の成果に基づく薬事承認による医療への早期実用化。

【課題名】術後サーベイランス（再発の有無の検査頻度）の最適化、高額な医療資源の再配分に資する研究開発の推進（PJ④）

【概要】がん治療の進歩に伴い画期的な新薬が登場し、予後延長が期待される一方、治療期間が長期化し、がんと共存しながら生活する人が増加し続けている。術後サーベイランスの最適化や、高額な薬剤による治療期間の最適化は、医療資源の適切な配分の観点から重要である。術後サーベイランスに関しては、我が国は世界に比較して手術の精度が高く、再発リスクが低いにもかかわらず、CT の設置台数が諸外国に比べて多く、過剰検査を実施している可能性が指摘されている。治療切除後の検査頻度を適正化し過剰検査を回避することは、医師の負担軽減にも繋がる。また、ICI（免疫チェックポイント阻害剤）等に限らず高額な医療資源を適切に配分するために、適切な患者選択や使用期間の設定によって、医療費削減を伴う治療法の開発を前提とした研究を推進することが求められる。

【成果の活用】いずれの研究開発課題においても、臨床研究の結果が得られた場合、その結果によって、診療ガイドラインへの記載が期待され、一般診療におけるエビデンスに基づいた治療方針の決定に繋がる。

【課題名】働く女性のがん予防と対策に関する研究（PJ④）

【概要】就労人口に占める女性の割合が半数に迫ろうとする現在、女性の就労形態や職場の環境は様々である。就労世代の 50 歳代前半までは男性に比べ女性のがんが多く、特に 20 歳代～30 歳代のがん患者の 80%は女性である。職域コホート研究により、女性の就労形態や職場環境とがんリスクへの相関・関連を分析する。

【成果の活用】働く女性のがんリスクの要因が明らかになることにより、女性に限らない、がん予防、ひいてはがん対策へ繋げる事が期待される。

【課題名】臨床画像データ・AI を活用した臨床研究の推進（PJ④）

【概要】がんの画像診断は、質的診断には欠かせず、治療方針の決定や予後の探索への活用など臨床現場での役割は大きい。とくに症例の少ない小児がん・AYA 世代のがん及び希少がんにおいては診断の質の確保が難しく、中央診断が重要な役割を果たす。一方、診断を担う医師や技術者は不足しており、その負担は大きい。そのため、臨床画像データを利用した AI 技術開発などを目的とした（二次利用を含む）画像データのレジストリの構築及び臨床試験を推進する。近い将来、医療分野全体において人手不足が懸念される日本にとって、現段階で策を講じることが急がれる。

【成果の活用】AI による画像診断が可能となれば、遠隔治療により患者や家族の負担が軽減され、医師や技術者の不足を補うだけでなく、一定基準の治療の均てん化が可能となる。また、特に小児固形種のがんでは、診断画像の長期にわたる保管により、過去の診断画像が粗い場合があるが、近年出現している技術により画像の解像度を上げることで、統合的な解析が可能となる。さらに遺伝子解析と組み合わせることにより、より精緻な個別化治療の実現も期待される。

【課題名】 高齢がん患者に対する「健康寿命」に着目した臨床試験の推進 (PJ④)

【概要】 高齢がん患者は、臓器機能の低下、他疾患の併存など個人差が大きく、個々の特性に応じた最適な治療法や生活の質 (Quality of Life : QOL) を維持向上させる支持療法の開発などの全人的な視点に立った医療の提供を目的とした臨床試験の推進が求められる。また、非高齢者と同様に生存期間の延長を目指すのではなく、がん治療中・治療後も高齢者が自立した日常生活を送ること、すなわち「健康寿命の延伸」を目指した臨床試験を推進する必要がある。

【成果の活用】 高齢がん患者の特性に配慮した治療法開発により、「健康寿命の延伸」のみならず、超高齢社会である我が国においては医療経済の観点からも大きなメリットが期待される。

【課題名】 発がん要因のゲノム作用機序に基づく予防あるいは超早期診断、又はがんの進化・進展におけるゲノム異常の本態理解に基づく先制医療の開発研究 (PJ⑤)

【概要】 これまでの対がん戦略によって診断法・治療薬開発が推進され、一定の成果が実臨床に還元されてきた。しかし、様々な外的あるいは内的要因がゲノムに及ぼす影響と発がんとの因果関係、又は薬物療法等に伴うがんクローン進化と治療抵抗性獲得・再発への繋がり等のがんゲノム異常の多様な変化は、理解・克服すべき課題として重要性を増している。

【成果の活用】 がんの発生・進展及び治療抵抗性獲得・再発の本態に基づいた予防・先制的介入に資する研究開発を推進する。

II 参考

1 研究事業と各戦略 (新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略) との関係

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2023 改訂版】 (令和 5 年 6 月 16 日閣議決定)

【32 頁 IV-6. - (2)】

②ゲノム創薬をはじめとする次世代創薬の推進

従来の低分子薬中心の開発から脱却し、高機能バイオ医薬品や低コストで疾病の原因に効果的に作用し経口摂取が可能な中分子等、世界規模でニーズの高い分野での創薬を強化する。日本国内の枠組みに閉じて研究開発・供給基盤構築を行うことは、開発・供給のスピード感で我が国が後れを取るおそれがある。日本の企業・研究機関と、米国等の有志国のスタートアップ・ファウンダリとの連携を促進し、国際的な新薬開発・供給体制の構築を図る。

がん・難病の全ゲノム解析 (DNA が持つ全ての遺伝情報の解析) について、引き続き、10 万ゲノム規模に向けて解析し、その結果の患者への還元と情報基盤の整備を着実に進めるとともに、事業実施組織について、2025 年度の発足に向け、本年度内を目途に法人形態を決定する。

この事業実施組織や、ゲノムのバイオバンクが中心となって、医学・薬学にとどまらず、バイオ、数理科学等の異分野まで含めた、関係する医療機関、研究機関、スタートアップ等の企業と連携し、全ゲノム解析やマルチオミクス解析 (特定の症例に対

し、DNA 解析、RNA 解析、タンパク質解析等の複数の手法で統合的・網羅的に解析する方法)の結果や臨床情報等を利活用し、創薬の成功率の向上を図る。

【成長戦略等のフォローアップ】(令和5年6月16日閣議決定)

【5頁 II-3.】

(医療・医薬品・医療機器)

再生・細胞医療・遺伝子治療における、新たな医療技術の臨床研究・治験の推進やこれらの医療技術の製品化に向けた研究開発・製造基盤強化等の取組、遺伝子治療におけるゲノム編集技術の再生・細胞医療への応用やそれぞれの人の特性に合った薬効等を試験できるオルガノイド(試験管内で人工的に作られるミニ臓器)等の革新的な研究開発を引き続き進める。

【経済財政運営と改革の基本方針2023】(令和5年6月16日閣議決定)

【38頁 第4章-2.】

(社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進)

創薬力強化に向けて、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品の開発強化、研究開発型のビジネスモデルへの転換促進等を行うため、保険収載時を始めとするイノベーションの適切な評価などの更なる薬価上の措置、全ゲノム解析等に係る計画の推進を通じた情報基盤の整備や患者への還元等の解析結果の利活用に係る体制整備、大学発を含むスタートアップへの伴走支援、臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化、国際共同治験に参加するための日本人データの要否の整理、小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消に向けた薬事上の措置と承認審査体制の強化等を推進する。

【統合イノベーション戦略2023】(令和5年6月9日閣議決定)

【158頁 第2章-4.- (6)健康・医療】

今後の取組方針

- 「全ゲノム解析等実行計画2022」(令和4年9月策定)を着実に推進し、国民へ質の高い医療を届けるため、がんや難病患者を対象とした全ゲノム解析及びマルチオミックス解析等を実施することで得られる全ゲノムデータ、マルチオミックスデータ、臨床情報等を搭載した質の高い情報基盤を構築し、民間企業やアカデミア等へその利活用を促すことにより、診断・創薬や新規治療法等の開発を目指す。また、解析結果等の速やかな日常診療への導入や、新たな個別化医療の実現についても更に推進する。さらに、こうした取組の運用を担う事業実施組織の設置に向けた検討を進める。

【健康・医療戦略(第2期)】(令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更)

【15頁 4.-4.1.-(1)】

(がん)

- がんの生物学的本態解明に迫る研究開発や、患者のがんゲノム情報等の臨床データに基づいた研究開発
- 個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発や免疫療法や遺伝子治療等をはじめとする新しい治療法の開発

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

・厚生労働科学研究（がん対策推進総合研究事業）

がん対策に関するさまざまな政策的課題を解決するため、「がん研究10か年戦略」で掲げられた8つの具体的研究事項のうち、以下の2項目について、介入評価研究も含めた調査研究等を中心に推進する。

（7）充実したサバイバーシップを実現する社会の構築をめざした研究領域

（8）がん対策の効果的な推進と評価に関する研究領域

AMEDが実施する革新的がん医療実用化研究事業は、革新的ながん治療薬の開発や小児がん、希少がん等の未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた研究等を目的としている。一方、厚生労働科学研究費で実施するがん政策研究事業は、こうした研究開発の成果を国民に還元するための、がんに関する相談支援、情報提供の方策に関する研究や、がん検診、がん医療提供体制の政策的な課題の抽出とその対応方針を決定するための研究等を実施し、研究成果を施策に反映することを目的としている。

・AMED内、他省庁研究事業

（文部科学省）

次世代がん医療加速化研究事業：

がんの生物学的な本態解明に迫る研究、がんゲノム情報など患者の臨床データに基づいた研究及びこれらの融合研究を推進することにより、がん医療の実用化に資する研究を推進している。

（経済産業省）

医療機器等における先進的研究開発・開発体制強靱化事業：

これまでにない画期的で新たな医療機器を社会実装し、健康寿命の延伸、医療従事者の負担の軽減、医療費削減などの社会的な問題を解決することを目的に、先進的な医療機器・システム等の開発を支援している。

（総務省）

医療・介護・健康データ利活用基盤高度化事業（高度遠隔医療ネットワーク実用化研究事業）：

手術支援ロボットや高精細映像データ利活用内視鏡システムの遠隔手術支援への臨床応用を実施し、「遠隔手術ガイドライン」の精緻化を行うことにより、これら医療機器の実用化を達成し、ひいては医療の質の向上及び医師の偏在等の課題解決に寄与することを目指す。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト、疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	認知症研究開発事業
主管部局・課室名	老健局総務課
AMED 担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部 医療技術研究開発課 疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課
省内関係部局・課室名	老健局認知症施策・地域介護推進課

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	1,058,097	1,118,502	1,104,596

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

令和元年6月にとりまとめられた認知症施策推進大綱では、認知症の発症を遅らせ、認知症になっても希望を持って日常生活を過ごせる社会をめざし、認知症の人や家族の視点を重視しながら「共生」と「予防」を両輪として施策を推進するとされ、そのうち5本目の柱である「研究開発・産業促進・国際展開」に沿って研究事業を進めてきている。

さらに、令和5年6月14日に成立した「共生社会の実現を推進するための認知症基本法」においては、基本的施策の一つとして研究等の推進等が掲げられている。具体的には、認知症の本態解明、予防、診断及び治療並びにリハビリテーション及び介護方法などの基礎研究及び臨床研究、成果の普及等、また、認知症の人が尊厳を保持しつつ希望を持って暮らすための社会参加の在り方、他の人々と支え合いながら共生できる社会環境の整備等の調査研究、成果の活用等が規定されている。

【事業目標】

認知症発症や進行の仕組みの解明、予防法、診断法、治療法、リハビリテーション、介護モデル等、様々な病態やステージの研究開発を進める。全国規模で把握した認知症の実態に基づいて、既存のコホートを活用しながら、認知症の人等の研究・治験への参加・登録の仕組の構築等を進める。これらの成果を、認知症の早期発見や診断法の確立、根本的治療薬や予防法の開発につなげる。

【研究の範囲】

- ・ 認知症の病態解明を目指した包括的研究
- ・ 予防法・診断法・治療法・介入法等の開発・検証及びその成果の普及を目指す研究
- ・ 課題解決に資する基礎的知見の収集・臨床研究の支援推進を目的とした全国的なコホート・レジストリ研究

【期待されるアウトプット】

認知症のバイオマーカーの開発・確立および認知症の予防・治療法開発に資するデータベースの構築と実用化、薬剤治験に即刻対応できるコホートの構築などを推進し、さらに昨今の動向として、疾患修飾薬の上市の可能性を見据えた体制構築も視野に入れた研究開発を進め、以下の成果を目指す。

<ゲノム・データ基盤PJ>（令和2年度～令和6年度）

- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数 60件
 - ・研究成果の科学誌（インパクトファクター5未満等の他の科学誌）への論文掲載状況（管理指標）
 - ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 1件
- <疾患基礎研究PJ>（令和2年度～令和6年度）
- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数 20件
 - ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件

【期待されるアウトカム】

認知症の予防法、診断法、治療法、リハビリテーションモデル、介護モデル等に関するエビデンスの提供を行うことにより、早期診断・重症度判定に有用なバイオマーカーが確立されるとともに、今まで困難を極めていた認知症疾患修飾薬の臨床治験の迅速化が期待される。

（2）これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

<ゲノム・データ基盤PJ>

【課題名】 認知症プレクリニカル期・プロドローマル期を対象とするトライアルレディコホート（J-TRC）構築研究（令和元～5年度：継続中）

【概要】 インターネットを介して参加可能な J-TRC ウェブスタディ（WS）に広く参加を募り、来院で PET 検査等を含む J-TRC オンサイト研究（OS）に招聘し、アミロイドリスク増大の疑われる参加者には希望に応じ治験を紹介する。令和5年2月までに、WSに総計12,961名、OSに累計523名を登録した。

【成果の活用】 このシステムにより、リクルートが難しいとされるアルツハイマー病のプレクリニカル期・プロドローマル期の方を効率よく登録することが可能となり、さらにオンサイト研究による絞り込みを行うことで、疾患修飾薬等の治験を効率よく進めることが可能となった。

<疾患基礎研究PJ>

【課題名】 アルツハイマー病早期発見に資する新規血液診断マーカーの確立と診断法開発に関する研究（令和2～4年度）

【概要】 アルツハイマー病（AD）、PET陽性の軽度認知障害（MCI）、剖検によるADの血清中において有意な低下が認められるフロリチンに着目し、脳内AD病態変化と相関して血中でフロリチンが変動する分子メカニズムを解明し、ADならびにMCI due to ADの診断を可能とする血中フロリチンのELISAキット開発を行い、簡便で安価な新しい血液診断法を確立した。

【成果の活用】 ADの診断補助薬として一般病院や診療所などで使用することができるため、非専門医から専門医または抗体療法のできる専門医療機関への紹介を迅速に行うための指標になること、また、ADとAβ沈着のないそれ以外の認知症の鑑別診断にも役立つことが期待される。

2 令和6年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

<ゲノム・データ基盤PJ>

【課題名】「画像・バイオマーカー縦断コホート研究によるプレクリニカルアルツハイマー病進行機序の解明」（令和3～7年度）、「多施設連携プラットフォーム(MABB)を基盤にした各種認知症性疾患に対する日本発の包括的な診断・層別化バイオマーカーシステムの確立」（令和3～7年度）、「疾患修飾薬の実用化を見据えた認知症性疾患の標準的診断方法の標準化と普及を目指す研究」（令和3～令和5年度）

【概要】代表的な認知症疾患であるアルツハイマー病（AD）患者の脳内には非AD性病態（病変）も混在することが多いため、新規薬剤の治験を行う上で大きな問題となっている。このため、認知症発症者・予備群の脳内に存在する病態（病変）の層別化、および層別化に必要な各種診断技術の標準化を目的として、ADの各ステージに焦点を当てた複数の研究班が互いに連携しながら研究を実施している。これらの研究班の成果は、今後新たに開発される認知症疾患修飾薬の治験に貢献すると同時に、各研究班から得られた自然歴の追跡データは今後の我が国における認知症研究の発展に資するものであることから、連携体制の強化のための増額が必要である。

【成果の活用】ADの各ステージにおけるバイオマーカーの推移を追跡することで、早期診断・重症度判定に寄与するバイオマーカーの特定や層別化の手法が確立され、認知症疾患修飾薬の臨床治験の迅速化が期待されるとともに、認知症研究における研究基盤の構築を進めることができる。

<疾患基礎研究PJ>

【課題名】「ヒト由来データ・試料を活用した認知症疾患の病態メカニズム解明に向けた研究」（令和4～6年度）、「臨床サンプル・データを用いた認知症性疾患の病態解明を目的とする研究」（令和5～7年度）

【概要】アルツハイマー病に代表される認知症疾患の病態メカニズムは不明であり、認知症の発症・進行を抑制する疾患修飾薬開発の大きな障害となっている。これらの研究では、これまでの研究により蓄積された各種データや研究成果に基づき、ヒトを対象とする疾患基礎研究を推進して認知症疾患の発症に直結する病態メカニズムを明らかにし、新たな疾患修飾薬の開発につなげることを目的とする。

【成果の活用】従来のA β やTauに関連した病態仮説を再構築し（または全く新しい仮説を構築し）、新たな疾患修飾薬の開発につながる創薬ターゲットの同定を目指す。

（2）新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

<ゲノム・データ基盤PJ>

【課題名】認知症研究プラットフォーム構築研究

【概要】認知症研究の基盤として、認知症のトライアルレディコホート等をはじめとする認知症レジストリ・コホートと標準化等を推進する技術支援部門を包含するプラットフォームを構築する。また、他の認知症研究班とも連携し、認知症関連データの利活用を促進する。さらに、Trial MatchやPPI等アウトリーチ活動の発信拠点としての役割も担い、国際的なネットワークを強化していく。

【成果の活用】将来的にはこのプラットフォームに認知症関連のデータが集約されることで、データの利活用が促進され、国際連携の強化とともに我が国の認知症研究のより一層の推進が期待できる。

【課題名】 DCT (Decentralized Clinical Trials) の概念を活用した臨床研究体制構築研究

【概要】 認知症の先端臨床研究では、検査の中央化や心理検査、画像撮像、試料採取法等の厳密な標準化が行われている。これらはデータの品質維持に有用であるが、高い検査能力を持つ大規模施設に限定され、アクセスの問題から被験者のリクルートに大きな制約となっている。そのため本研究の実施により認知症関連検査体制の全国均てん化とともに臨床研究の基盤を整備し、研究開発の加速を目指す。

【成果の活用】 本研究の実施により、認知症研究における品質管理されたデータを安全・かつ効率的に利活用するための仕組みが構築される。アミロイドβを対象としたアルツハイマー病の疾患修飾薬に加え、現在開発パイプラインにある、タウ、代謝系などの領域の新薬や非ADの治療薬の実用化に活用が可能となる。

【課題名】 アルツハイマー病の疾患修飾薬等の社会実装に伴う効果的な診断・治療方法の確立と普及を目指す研究

【概要】 アルツハイマー病の疾患修飾薬等の新規モダリティ薬剤の投与者を追跡することが可能なレジストリを構築する。また、レジストリ構築に際して収集するデータセットの選定を行い、実施する検査については標準化された手法を用いる。

【成果の活用】 投与者追跡レジストリで収集される臨床データ、画像データ、バイオマーカーデータの蓄積により、疾患修飾薬の治療効果が治療前の所見から予測できるかどうかや治療効果を反映しているかどうかの検証、治療の適用対象や投与期間の決定に役立てることができ、リアルワールドにおけるADの進行度や地域的分布等、社会的影響を把握し医療行政に役立つことが期待される。また、今後新規モダリティの創薬の進展に伴い、このレジストリやその構築の技術の活用が可能となるとともに、さらに非ADの治療薬開発推進に応用することが可能となる。

<疾患基礎研究PJ>

【課題名】 認知症診療に資するバイオマーカー開発研究

【概要】 疾患修飾薬の開発が進む中、早期診断によって適切な対象患者を選別することおよび正確に薬剤効果の判定ができるバイオマーカーが求められる。ADおよび非AD認知症において、客観的で簡便であるバイオマーカーの開発を目指し、早期診断法・治療効果測定法に資するバイオマーカー探索を行う。

【成果の活用】 認知症研究開発事業の目標の一つであり、社会実装が期待される「客観的で簡便であるバイオマーカーの開発」を目指した研究を推進する。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【経済財政運営と改革の基本方針2022】（令和4年6月7日閣議決定）

第2章 次なる時代をリードする新たな成長の源泉

～4つの原動力と基盤づくり～

5. 4つの原動力を支える基盤づくり

(4) セーフティネット強化、孤独・孤立対策等

(共助・共生社会づくり)

「認知症施策推進大綱」に基づく施策を実施するとともに、成年後見制度の利用を促進する。ヤングケアラーについて、早期発見・把握、相談支援など支援策の推進、社会的認知度の向上などに取り組む。性的指向、性自認に関する正しい理解を促進するとともに、社会全体が多様性を受け入れる環境づくりを進める。

【統合イノベーション戦略 2021】（令和3年6月18日閣議決定）

第1章 総論

3. これまでの取組の評価・課題と重点的に取り組むべき事項

（4）官民連携による分野別戦略の推進

（戦略的に取り組むべき応用分野）

⑤ 健康・医療

- ・ AMEDが支援した研究開発から得られたデータの利活用プラットフォームとして、産学の研究開発において品質管理されたデータを安全・安心かつ効率的に利活用するための仕組みについて検討し、早期の運用開始を目指す。

第2章 Society 5.0 の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

4. 官民連携による分野別戦略の推進

（戦略的に取り組むべき応用分野）

（5）健康・医療

- ・ 国民の健康寿命の延伸や世界最高水準の医療の提供のため、AMEDにおいて、AMEDが支援した研究開発から得られたデータの利活用プラットフォームとして、産学の研究開発において品質管理されたデータを安全・安心かつ効率的に利活用するための仕組みについて検討し、早期の運用開始を目指す。

【健康・医療戦略(第2期)】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

4. 具体的施策

4.1. 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の推進

(1) 研究開発の推進

○ 疾患領域に関連した研究開発（老年医学・認知症）

- ・ モデル生物を用いた老化制御メカニズム及び臓器連関による臓器・個体老化の基本メカニズム等の解明
- ・ 認知症に関する薬剤治験対応コホート構築やゲノム情報等の集積及びこれらを活用したバイオマーカー研究や病態解明等
- ・ 認知症に関する非薬物療法の確立及び官民連携による認知症予防・進行抑制の基盤整備

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

厚生労働省科学研究費「認知症政策研究事業」は政策策定に関係する研究を主に進めており、本研究事業をはじめ AMED の研究で得られた知見を実社会で適応・活用させるための基盤を構築する。例えば、AMED で見いだされた病態解明や発病予測などをどのように適正に活用するか、どのように重症化防止や支援に用いるか、などに関する研究を推進している。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	障害者対策総合研究事業（精神障害分野）
主管部局・課室名	社会・援護局障害保健福祉部／精神・障害保健課
AMED担当部・課名	ゲノム・データ基盤 医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	367,216	388,180	383,354

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

（1）研究事業の目的・目標

【背景】

精神疾患を有する総患者数は約 420 万人、精神病床の入院患者数が約 28 万人で、そのうち 1 年以上の長期入院患者は約 17 万人にのぼる。精神疾患の根本的な病因は未解明であり、また臨床的特徴や脳病態が不均一であるため、医薬品開発の成功率が低く、製薬企業の多くが開発から撤退している。したがって、精神疾患の病因や根本的治療法の開発とそれを促進するデータ利活用に関する研究が強く求められている。

そこで本事業では、精神疾患による DALYs（※）の改善を目指して新たな治療法の開発や最適化、社会実装を推進するとともに、レジストリを整備して、オール・ジャパン体制でのデータ利活用による病態解明研究を推進している。

（※）DALYs：疾患等により失われた健康状態での生存年数

【事業目標】

①精神障害分野の研究を促進するためのデータの利活用の推進、②客観的診断法の確立と治療の最適化、③心の健康づくり等に資する研究開発の推進、④依存症の治療回復に資する研究開発の推進を 4 本柱として、多様化するニーズ・課題に対応することを目指す。

【研究のスコープ】

① 精神障害分野の研究を促進するためのデータ利活用の推進

- ・精神疾患レジストリを用いた研究開発の創出、データ利活用を推進するための臨床データの加工手法と質の確保に関する研究開発、及び精神障害分野におけるトランスレーショナルリサーチ（橋渡し研究）に資する研究等を行う。特に、精神疾患レジストリを用いて薬機法申請に資するデータを整備することによって、データシェアリングによるレジストリデータと製薬企業の治験データ等との統合解析を実現し、精神疾患の病態の解明、客観的診断法の開発に加えて、薬事承認を目指した臨床研究を推進する。

② 客観的診断法の確立と治療の最適化

- ・「精神疾患の客観的診断法、症状や障害（disability）の評価法や治療法の確立と最適化」を行い、社会実装を可能とする研究を推進する。
- ・新型コロナウイルス感染後の精神症状に関連する臨床データを解析し、精神症状に関連する後遺症の最適な治療法の開発並びに病態解明を促進する。

③ 心の健康づくり等に資する研究開発の推進

・新型コロナウイルス感染症等の社会生活環境の変化に伴う国民の精神的ストレスの増大に鑑み、ライフコースの中でも特に思春期・若年成人世代を中心とした精神疾患・発達障害の予防、早期発見、早期治療・支援に資する研究開発並びに遠隔等の汎用性システムの社会実装を促進する。

④ 依存症の治療回復に資する研究開発の推進

・アルコール依存症、薬物依存症などの物質使用症やギャンブル行動症などを含む嗜癖行動症等の嗜癖性疾患において、病態解明、早期発見及び治療・支援等に資する研究を推進する。

【期待されるアウトプット】

- ① 精神疾患レジストリの活用を通じた、客観的診断・治療の最適化、予後向上等に資するエビデンスの創出、及び精神障害分野におけるトランスレーショナルリサーチの推進等による、精神保健医療福祉の向上に資する研究基盤の構築
- ② 精神疾患の客観的診断法及び障害（disability）評価法の確立、精神疾患の適正な治療法の確立
- ③ 精神疾患・発達障害の早期発見・早期支援等を図るための介入プログラムの開発等による精神疾患や発達障害の重症化予防
- ④ 物質使用症や嗜癖行動症等の嗜癖性疾患の発症危険因子・重症化予測因子・高リスク群の同定、新規治療法の開発
- ⑤ 臨床 POC の取得件数 1 件
- ⑥ 研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載 15 件

【期待されるアウトカム】

- ① 客観的診断方法の確立と治療の最適化、心の健康づくり等に資する研究開発、依存症の治療回復に資する研究開発、精神障害分野の研究を促進するためのデータ利活用に関する研究基盤の構築が推進されることによって、精神疾患の発症メカニズムの解明、適切な診断法・治療法の確立が促進される。
- ② シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1 件
- ③ 臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 3 件
- ④ 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 2 件

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】精神疾患レジストリの利活用による治療効果、転帰予測、新たな層別化に関する研究（令和3～5年度）

【概要】精神疾患レジストリは、患者情報を3層に分け、第1層（人口統計学的情報等基本的な臨床情報）、第2層（機能ドメインを反映する臨床評価を含む情報）、第3層（血液、髄液、脳神経画像、iPS細胞、ヒト脳組織等）の情報を収集するとともに、スマホ等を介したePRO（electronic patient-reported outcome）を活用して、不安、気分、睡眠、社会機能、主観的QOL、薬物等の情報を縦断的に収集している。令和2年度よりエントリーが開始され、令和4年には収集データが目標の1500例を達成した。

【成果の活用】精神疾患レジストリを利活用して、精神疾患の治療効果、転帰の予測因子を明らかにするとともに、既存の臨床カテゴリー（うつ病や統合失調症など）を超えて、縦断的な経過を含む生体情報、臨床情報を基に、新たな層別化集団を探索することが可能となる。またより均質な生物学的背景をもつ集団を対象とした病態研究、

臨床研究開発が促進される。

【課題名】 COVID-19 等による社会変動下に即した応急的遠隔対応型メンタルヘルスケアの基盤システム構築と実用化促進にむけた効果検証（令和2～4年度）

【概要】 COVID-19 を契機としたニューノーマル社会に対応した、一般市民が容易に利用可能な遠隔メンタルヘルスケアの基盤システムを構築し、AI 技術を駆使して、トリアージを可能とする重症度分析アルゴリズムを開発・実装し、その効果検証に基づいて実用化を促進した。

【成果の活用】 軽症例には治療者を介さない認知行動療法の技法を用いたところコンディショナー(AI チャットボット)を、中等症以上には、rapid PFA (Psychological First Aid) を用いた相談員によるケアを、遠隔医療システムを利用してそれぞれ実施し、メンタル不調の予防や早期介入、必要な方への適切な医療の提供を実施した。

【課題名】 血液メタボローム解析による精神疾患の層別化可能な客観的評価法の確立と治療最適化への応用（平成30～令和2年度）

【概要】 性格による層別化が、トリプトファン、セロトニン、キヌレニンなどのうつ病血液バイオマーカーの識別性能を向上させることを、ヒトとマウスのクロスバリデーション研究にて発見した。

【成果の活用】 性格とストレスとうつ病の生物学的関係を解明するための橋渡し研究を加速することによって、うつ病の客観的診断法の開発促進のみならず、うつ病患者の個別化医療の実現に貢献した。

2 令和6年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 多様なソースから収集するデータの蓄積と利活用のための個人情報非特定化手法の開発とデータ加工技術の確立並びにデータの質担保に関する研究開発

【概要】 精神疾患領域で扱う情報は特にプライバシー保護や倫理面への配慮を要するため、精神疾患の特殊性を踏まえたデータの非特定化手法の開発、ブロックチェーン技術を活用した電子カルテデータと統合データベースの連結、データ利活用場面で直面する ELSI（倫理的法的社会的課題）の検討等を行う必要がある。

【成果の活用】 精神疾患領域におけるデータシェアリングに不可欠な、技術的、倫理的検討により、大規模研究開発データの利活用推進プラットフォーム整備に貢献する。

【課題名】 医療情報を統合したうつ病の治療最適化に資するシステムの開発

【概要】 うつ病における治療反応性は予測が困難であることから、多層的な医療情報を統合して機械学習を行い、治療反応性に関する予測モデルを開発する必要がある。

【成果の活用】 一人一人のうつ病患者に最適な治療方針を判定するシステムを開発し、治療反応性予測ツールとして社会実装することによって、うつ病に対する最適な治療法の選択が可能となる。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政

策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】精神疾患レジストリにおけるデータシェアリングによる精神疾患の病態解明・治療法開発

【概要】精神疾患レジストリで縦断的に収集した情報を用いて、薬機法申請に資するデータシステムを開発する。そして、精神疾患に関する臨床データを、研究機関や製薬企業からクラウド上に匿名化してアップロード・集積し、データシェアリングによる統合解析を実現する。

【成果の活用】このシステムデータは、精神疾患の病態解明・治療法開発に資するのみならず、製薬・創薬にあたり PMDA への薬事承認に係る申請データとして用いることが可能となり、研究機関と製薬企業との産学連携による精神領域の製薬/創薬の促進に貢献する。

【課題名】精神医療における客観的診断法の確立と、治療の最適化に関する研究

【概要】現時点で臨床で活用できる指標を用いて、プレジジョンメディシン（遺伝情報等に基づく精密医療）に資する研究を行う。

【成果の活用】疾患異種性を克服しうる、個人の特性を踏まえた、治療法の最適化や治療効果予測を確立する。

【課題名】心の健康づくり等に資する研究開発の推進

【概要】精神療法やリハビリ等の心理社会的介入手法は多岐にわたり、一定の効果も検証されているが、どのようにこれらの手法を組み合わせることで、就労・就学、QOL 向上などの社会的転帰を改善するのか、十分な検証は行われていない。そこで、包括的な治療・介入プログラムを開発し、大規模な検証を行う。

【成果の活用】社会的転帰を改善するために、新たな心理社会的治療や、包括的な治療・介入プログラムを開発し、大規模な検証により社会実装する。

【課題名】精神疾患や発達障害における早期発見、新規治療・支援法等に関する研究プロトコル開発

【概要】物質関連及び嗜癖性疾患を含む精神疾患や発達障害の発症予防や早期発見、新規治療法に関する研究プロトコル、当事者やその家族に対する新たな心理社会的治療や介入方法、支援プログラム（復職支援を含む）等の研究プロトコル等を開発する。

【成果の活用】精神疾患・発達障害の発症予防、早期発見、早期治療・支援を図るための研究開発、また物質関連及び嗜癖性疾患の治療回復に資する研究開発に繋げる。

【課題名】精神疾患や発達障害における発症予防、早期発見、新規治療・支援法等に関する研究開発

【概要】物質関連及び嗜癖性疾患を含む精神疾患や発達障害の発症予防や早期発見、新規治療法に関する研究、当事者やその家族に対する新たな心理社会的治療や介入方法、支援プログラム（復職支援を含む）等の研究を行う。

【成果の活用】精神疾患や発達障害における発症予防、早期発見、新規治療・支援法等を開発する。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2023 改訂版】（令和5年6月16日閣議決定）

6. 官民連携による科学技術・イノベーションの推進

治験にも対応できる健常者・患者を継続的に追跡できる集団（コホート）の臨床情報や参加者から得られた血液等の検体、ゲノム等の情報の集積（バイオバンク）を最大限活用する。

【成長戦略等のフォローアップ】（令和5年6月16日閣議決定）

（遠隔医療）オンライン診療を受診することが可能な場所や条件に関する方針について2023年中に検討し、2025年度までエビデンス収集・構築の進め方に関する調査・研究を行う。

【経済財政運営と改革の基本方針 2023】（令和5年6月16日閣議決定）

第2章 新しい資本主義の加速

（共生・共助社会づくり）

人と人、人と社会がつながり、一人一人が生きがいや役割を持ち、助け合いながら暮らせる包摂的な共生社会づくりを推進する。障害者の地域生活の支援、就労支援、情報コミュニケーション等に対する支援の促進等を図る。

（孤独・孤立対策）

日常の様々な分野で緩やかなつながりを築ける多様な「居場所」づくりなど孤独・孤立の「予防」、社会的処方への活用、ひきこもり支援、自殺総合対策などの施策を着実に推進する。

第4章 中長期の経済財政運営

（社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進）

医療DXの推進に向けた取組について必要な支援を行いつつ政府を挙げて確実に実現する。電子カルテ情報の標準化等を進めるとともに、新しい医療技術の開発や創薬のための医療情報の二次利活用を進める。医療DXに関連するシステム開発・運用主体の体制整備、標準型電子カルテの整備を着実に実施する。

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

○ ゲノム・データ基盤プロジェクト

- ・レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行うことで障害がもたらす社会の負担を軽減する。

【医療分野研究開発推進計画】（令和2年3月27日健康・医療戦略推進本部決定）

○ ゲノム・データ基盤プロジェクト

- ・詳細で正確な臨床情報等が得られる検体を重点的に解析するとともに、個人情報等に配慮しつつ研究開発や創薬等に活用できるデータシェアリングを進め、特に、AMEDで

行う研究開発については、研究成果として得られたデータを共有する。

- ・レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行う。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

本事業で得られた新たな疾患概念、バイオマーカー等を含む客観的診断法、治療効果予測法を含む治療最適化の知見を、厚生労働科学研究における精神疾患等の新たな診療ガイドラインの策定に反映させる。

また、本事業で得られたバイオマーカー等の生物学的指標等の知見を文科省研究事業（脳科学研究戦略推進プログラム・革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト・戦略的国際脳科学研究推進プログラム）等に反映し、精神疾患の発症メカニズム解明等に寄与する。

また、本事業で得られた知見を元に、精神科診療における診断の標準化と診断精度の向上のため、AI等を用いた客観的で高精度な診断技術の開発をAMED関連事業と連携して実現する。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	障害者対策総合研究開発事業（身体・知的・感覚器障害分野）
主管部局・課室名	社会・援護局障害保健福祉部 企画課
AMED担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部 医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	老健局高齢者支援課認知症・虐待防止対策推進室

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	169,738	179,428	177,197

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

（1）研究事業の目的・目標

【背景】

わが国では障害者総合支援法に基づいて、難病も含めた障害児・者がその障害種別を問わず地域社会で共生できるための総合的な支援が推進されている。先天的・後天的にかかわらず障害児・者となっても、地域社会の一員として安心して生活できるようにすることが重要であり、その実現のための障害児・者への医療、ケア等に資する技術開発を推進する必要がある。

【事業目標】

障害児・者への支援の質の向上のため、障害特性を踏まえた各種ガイドライン等の作成に資するエビデンスの創出や、補装具等の支援機器の開発につなげる。また、障害者の地域社会での共生の実現や社会的障壁の除去につながる機能支援機器等の技術開発をさらに推進する。さらに、身体・知的・感覚器障害の原因となる疾患の病因・病態の解明、診断、治療法、リハビリテーション、社会参加支援、早期介入、進行抑制、重症化軽減等の先進的・実践的な研究・開発を推進し、普及可能な技術を確立する。以上によって、障害児・者に対する医療の向上、障害者の生活や就労実態の向上、障害者の地域社会での共生を進めることを目標とする。

【研究の範囲】

障害児・者とその家族への効果的なリハビリテーション・生活支援システムの開発、災害時における避難及び避難先での生活・健康維持に関する支援方法の開発、AI等の先進技術を用いたリハビリテーション法・機器の開発研究を推進し、さらに障害者家族の高齢化を見据え、独居やグループホーム等での自立生活を可能にする住居支援に関するデータの集積・技術システムの開発を推進する。また、障害特性に合わせて特技や経験を活かす仕事を障害者が主体的に選択し、能動的に社会参加することのできる就労マッチング支援手法に関するデータ集積・技術システムの開発を推進し、臨床知見に着眼した医療・支援の質の向上を実現する診断・治療の最適化・層別化研究も推進する。

【期待されるアウトプット】

- ①障害者の地域生活の向上及び障害者福祉サービスの改善に資するエビデンスを確立する（特許申請・登録3件以上・診療ガイドラインに資するエビデンス創出1件以上）
- ②臨床POCの取得件数 1件
- ③研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載 15件（②③は精神障害との合算）

【期待されるアウトカム】

- ①障害児・者の寿命延伸に伴う高齢化・重度化（疾病罹患率の上昇や身体・精神機能の低下）や二次障害への介入プログラムの確立や家族や支援者による持続可能な地域包括支援システムの確立をめざす。
- ②障害児・者とその家族が直面する機能障害と生活機能の向上を目指した新規介入方法等の開発を目指す。
- ③シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件
- ④臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 3件
- ⑤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 2件
(③④⑤は精神障害との合算)

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】リハビリテーションロボット機器の有用性と運用に関する研究（平成 31～3 年度）

【概要】国内で開発・運用されているリハビリテーションロボット機器について、作用機序、使用方法も含めて体系的に調査した上で、使用者・利用者へのアンケートを踏まえ、専門家集団により運用に関するレファレンスガイドを作成した。

【成果の活用】ロボット技術のリハビリテーション医療への活用についての現状を科学的・臨床的立場から整理し、運用についてのあり方を示した。

【課題名】細胞膜修復や不要蛋白クリアランス機構の破綻をきたす筋疾患におけるメカノセンシングの機序の解明とその評価系の確立および治療法開発（平成 30～2 年度）

【概要】AMPK 遺伝子発現抑制が筋細胞膜修復機能の低下に繋がることを発見した。

【成果の活用】AMPK 遺伝子発現抑制が筋細胞膜修復機能の低下に繋がることを発見し、ジスフェルリン異常症等の神経難病の新規治療法開発に寄与した。

2 令和 6 年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】災害時における身体及び知的障害児・者の避難及び避難先での生活・健康維持に関する支援方法の開発と実用化促進（令和 4～6 年度）

【概要】災害時に生活機能と健康状態の維持に多様な人的・物的支援が必要な身体障害者への支援計画の策定は喫緊の課題である。

【成果の活用】特に地域でのボトムアップ型の個別支援手法の確立と共に、行政データを活用したトップダウン型の支援プロセスの提案と実証を推進する。

【課題名】災害時における感覚器障害者の援助要請手段と効果的な支援提供を実現する双方向連携システムの開発と社会実装にむけた効果検証

【概要】障害者が生活場面において、容易に援助要請できる手段と、支援者が要請に応じて効果的な支援を提供できる、ICT 等を駆使した双方向性の情報連携システムとともに、移手段の確保なども一体化した支援システムの開発を早急に行う必要がある。

【成果の活用】特に独居生活や高齢家族との生活環境下にある障害者においても容易に利用可能な、汎用性のあるシステムを開発し、実用化を促進する。

【課題名】自立生活を可能にするような住居支援及び能動的に社会参加することの出来る就労マッチング支援手法の開発のための研究（令和5～7年度）

【概要】障害者家族の高齢化を見据え、独居やグループホーム等で実際に自立生活を可能にするような支援手法を開発する必要がある。また障害特性に合わせて特技や経験を活かす仕事を障害者が主体的に選択し、体調に合わせた働き方により能動的に社会参加することができる就労マッチング支援手法の開発も重要である。

【成果の活用】これらを開発・検証することにより、就労マッチング支援手法の実用化を促進する。

（2）新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】医療から福祉までの連続したケアに資するリハビリテーションまたはハビリテーションシステムの開発

【概要】障害児・者の社会復帰/社会参加に必要な支援プログラムには、障害からの機能回復により社会復帰を目指すリハビリテーションと、先天性疾患等において機能維持による社会参加を目指すハビリテーションがあり、これらのリハビリテーション（ハビリテーション）システムの研究開発を促進する。

【成果の活用】医療から福祉までの連続したケアの実現を促進する。

【課題名】臨床知見に着眼した感覚器障害の医療・支援の質的向上を実現する診断・治療の最適化・層別化研究、並びに病態生理・メカニズムに関する研究

【概要】リハビリテーションや治療における層別化・個別化を図り、個々に適切な医療を提供する。

【成果の活用】層別化や個別化を示す知見から、新たな病態生理を明らかにし、重症化・二次障害予防や進行抑制を促進する。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【経済財政運営と改革の基本方針 2023】（令和5年6月16日閣議決定）

第2章 新しい資本主義の加速

（共生・共助社会づくり）

人と人、人と社会がつながり、一人一人が生きがいや役割を持ち、助け合いながら暮らせる包摂的な共生社会づくりを推進する。障害者の地域生活の支援、就労支援、情報コミュニケーション等に対する支援の促進等を図る。

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

ゲノム・データ基盤プロジェクト

・また、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行うことで障害がもたらす社会の負担を軽減する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

「障害者対策総合研究開発事業」は、病因・病態の解明等の医療分野での研究や、障害者に対する生活支援や社会復帰、就労移行支援に係る技術開発に関する研究を実施する一方、厚生労働科学研究の「障害者政策総合研究事業」は障害者政策分野での活用を指向している。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト
研究事業名	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
主管部局・課室名	健康局結核感染症課
AMED 担当部・課名	創薬事業部創薬企画・評価課
省内関係部局・課室名	健康局予防接種担当参事官室

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	1,975,172	2,087,931	2,087,931

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

治療薬の発達や予防接種の普及によって、一時は制圧されたかに見えた感染症は、新興・再興感染症として今なお猛威をふるう可能性を有している。本研究事業では、新型コロナウイルス感染症をはじめ、インフルエンザ、結核、動物由来感染症、薬剤耐性菌、ヒトT細胞白血病ウイルス1型（HTLV-1）など、感染症対策上重要な病原体に対して、基盤的な研究から、診断薬、治療薬、ワクチンの開発等の実用化に向けた開発研究までを一貫して推進する。そのために、「予防接種に関する基本的な計画」、「特定感染症予防指針」、「ストップ結核ジャパンアクションプラン」、「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」（関係閣僚会議決定）及び「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」（同会議決定）、「新型コロナウイルス感染症対策の基本的対処方針」（同会議決定）等を踏まえ、開発研究を行う。

【事業目標】

感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症対策の総合的な強化を目指し、国内外の感染症に関する基礎研究及び基盤技術の開発から、診断法・治療法・予防法の開発等の実用化研究まで、感染症対策に資する研究開発を切れ目なく推進する。

【研究の範囲】

- ① 総合的な公衆衛生対策に資する研究
- ② 診療体制の確保、臨床研究の推進に資する研究
- ③ ワクチンの実用化及び予防接種の評価に資する研究
- ④ 危機対応医薬品等（MCM）に関する研究
- ⑤ 国際ネットワーク構築に資する研究

これらの項目を主軸にし、特に重要課題として以下を推進する。

- 今後の感染症危機に備えた重点感染症に関する総合的な対策に資する研究（危機対応医薬品の研究開発等）
- 薬剤耐性（AMR）に対する新規治療法の開発研究
- 国内での市中感染が認められる感染症に対する予防・診断・治療法の開発研究

【期待されるアウトプット】

- 得られた病原体（インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌）の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化
- 既存ワクチンの改良及び実用化、ノロウイルス等の様々な疾患に対応するワクチンに関する臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請
- ワクチンの実用化及び予防接種の評価、新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発
- WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成（結核については2050年までの達成目標）
- シーズ研究に関する指標
 - 非臨床 POC の取得件数 10 件
- 実用化に関する指標
 - 臨床 POC の取得件数 1 件
- 新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標
 - 創薬等の効率化に資する先進手法の開発推進

【期待されるアウトカム】

上記のような事業成果の導出（アウトプット）により、感染症対策を総合的に推進し、国民の健康を守る。

- 実用化に資する指標
 - シーズの企業への導出件数 1 件
 - 薬事承認件数（新薬、適応拡大） 1 件
 - 研究成果を活用した臨床試験・治験への移行
- 新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標
 - 創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 1 件

（2）これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】パンデミックに対する安全、効果的な 2 本側鎖 mRNA ナノワクチンの開発（令和 3～5 年度継続中）

【概要】非臨床にてインフルエンザ感染症に対する mRNA ナノワクチンの有効性が認められたため、臨床開発に着手した。

【成果の活用】企業と共同研究開発契約を締結し、共同開発を開始した。

【課題名】新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の後遺症として生じるうつ症状と疲労の予防および治療を目指した発生機構解明（令和 3 年度）

【概要】COVID-19 感染症モデルマウスにおいてドネペジルを投与したところ、脳内炎症の抑制とともに、倦怠感及び精神障害の軽減が認められた。

【成果の活用】上記の試験成績等をもって、ドネペジルの有効性等を検討することを目的とした治験が開始された（第 2 相臨床試験、jRCT2031220510）。また、ドネペジルの製造販売業者とライセンス契約を締結した。

【課題名】HTLV-1 関連疾患の発症リスク、進展メカニズムに関するオミックス統合解析と発症予防に資する基盤的研究（令和 2～4 年度）

【概要】ヒト T 細胞白血病ウイルス 1 型（HTLV-1）関連疾患データベースを構築し、ゲノム異常による成人 T 細胞白血病（ATL）のクローン進化メカニズムの発見等の成果

を得た(Yamagishi et al., Nat. Commun., 2021)。また、HTLV-1 関連脊髄症 (HAM) の発症に重要な新たな分子標的を同定し、それに対する阻害薬の非臨床 POC を取得し、特許出願を完了した (特願 2021-179767)。

【成果の活用】本研究で開発を進めてきた EZH1/2 阻害薬であるバレメトスタットの再発又は難治性 ATL 患者を対象とした治験が実施され、再発又は難治性 ATL に対する薬事承認の取得に繋がった (令和 4 年 9 月)。HAM に対するヒト化抗 RGMa 抗体 (MT-3921) について、企業と共同研究契約を締結し、非臨床 POC が取得され、企業治験 (第 1 相臨床試験、jRCT2031210616) が開始された。

2 令和 6 年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題 (増額要求等する課題) の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】新興・再興感染症の診療体制等の確保に資する研究

【概要】動物由来感染症は新興感染症の多くを占めることから、病原体の分布の解明、新規病原体の調査と診断法等の開発、新興・再興感染症発生時の迅速対応が可能な体制整備が重要な課題である。ヒトに重篤な症状を引き起こす可能性のある動物由来感染症病原体 (コリネバクテリウム・ウルセランス、既存の菌種とは異なるブルセラ属菌と *Brucella Suis biovar 5* 近縁菌、野兔病に近縁な *Francisella* 属菌、ダニ媒介性脳炎ウイルスあるいは近縁ウイルス等) の調査、診断・予防法、サーベイランス強化に資する研究を推進する。

明らかになった新規動物由来感染症の検査・診療体制の確保と共に、基盤となる新たな動物由来感染症へのサーベイランスを強化するために増額を要求する。

【成果の活用】ヒトに重篤な症状を引き起こす可能性のある動物由来感染症病原体の分類及び感染予防法の開発、並びに当該病原体による感染症発生時の診療体制の強化に繋がることが期待される。

【課題名】感染症に対する診断法、治療法の実用化に関する研究

【概要】近年海外において発生が相次いでいる等、今後流行が懸念される感染症等について、簡便で迅速な検査・診断法、治療・予防法の開発が必要である。エボラ出血熱等の一類感染症、重篤なニパウイルス感染症、重症熱性血小板減少症候群 (SFTS) 等、致死率が高く、社会・経済への影響が甚大な一類感染症等の病原体検出法の迅速化、ワクチン開発の推進、ウイルス性出血熱の新たな治療法開発、新たに分離された病原体による病原性の解析等の研究を推進する。

COVID-19 対応に象徴される様に、有事対応としての感染症対応は、十分とは言い難い。一類感染症対策の整備を加速・強化する必要があるために増額を要求する。

【成果の活用】致死率が高く、社会・経済への影響が甚大な感染症に対する新規のワクチン、治療薬等の開発が加速し、当該感染症対策の強化に繋がることが期待される。

【課題名】アジア各国の感染症研究機関との高度な共同研究・連携体制に基づく先進的ネットワーク構築に関する研究

【概要】本邦と地理的に近接し交流も多いアジア地域における感染症の実態把握・流行制御を推進することは、本邦の感染症対策の観点で極めて重要であることに加え、ア

アジアの感染症制御に先導的役割を担う本邦の国際貢献の観点からも重要である。アジアのネットワーク地域を拡大して、多種多様な感染症の動向把握・流行制御に貢献するとともに新たな感染症アウトブレイクへの対応を可能とする先進的ネットワーク体制構築を推進する。

【成果の活用】アジアのネットワーク対象地域において、各種感染症の診断・検査技術の強化に基づく動向把握が進むとともに、病原体分離や病原体のゲノム・病原性・薬剤耐性等の病原体解析が進展する。これらによって得られる情報の共有は、流行地域及び本邦の感染症対策に直結するとともに、診断検査薬、治療薬及びワクチンの開発基盤となることが期待される。

【課題名】 ヒト T 細胞白血病ウイルス 1 型 (HTLV-1) 感染症の診断体制の整備等の総合的な対策に資する研究

【概要】 国内のヒト T 細胞白血病ウイルス 1 型 (HTLV-1) 感染者数は 82 万人以上と推定されており、感染したヒト (キャリア) の一部では成人 T 細胞白血病 (ATL)、HTLV-1 関連脊髄症 (HAM/TSP) 等の 2 つの異なる重篤な疾病の発症が認められることが報告されている。国内での HTLV-1 感染の適切な診断体制の整備等の対策推進は急務であり、HTLV-1 感染の実態・動向把握、疾病の病態形成機序の解明、疾患リスク予知法の確立、病態形成制御法の開発に資する基盤的研究を推進する。

今までの研究支援による基礎的知見の集積等の成果から、発症予測法や予防法について、実用化を目指した開発を視野に入れて研究開発を行うために増額を要求する。

【成果の活用】 HTLV-1 感染者の QOL 維持において重要な ATL、HTLV-1 関連脊髄症 (HAM) の発症リスク判定法等を開発し、将来的な HTLV-1 感染者診療に利用可能なデータベースを構築する。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 今後の感染症危機に備えた重点感染症に関する総合的な対策に資する研究

【概要】 公衆衛生危機管理において、救命、流行の抑制、社会活動の維持等、危機への医療的な対抗手段となる重要性の高い医薬品や医療機器等を確保することが必要な感染症 (重点感染症) に対する治療薬等の開発を推進する。重点感染症に対する医薬品等については、平時では、罹患する患者が少ないためにその効果が十分評価できないこと、一方で、危機発生時には突発的に莫大な需要が発生する。そのため、重点感染症に対する医薬品等の研究開発及び確保については、民間主体の市場原理では対応できず、国による研究補助を要する。また、開発マイルストーンの評価や危機発生時の緊急時使用と迅速な評価の仕組み、迅速な製造及び調達・配布オペレーション等の確保における科学的なエビデンスの創出に対する支援を推進する。

【成果の活用】 治療薬の開発推進により、シーズの企業への導出、薬事承認の取得に繋がる可能性がある。また、危機発生時における医療体制の整備の一助となることが期待される。

【課題名】 薬剤耐性 (AMR) に対する新規治療法の開発研究

【概要】 多剤耐性菌の出現と増加への対応策として、平成 28 年 2 月に「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」、同年 4 月に「薬剤耐性 (AMR) 対策アク

シヨンプラン」が発出され、多剤耐性菌に対する研究体制の強化が打ち出されている。本研究課題では、薬剤耐性菌を含む変貌する病原体集団の時間的、空間的実態を把握し、ゲノムレベルで解析するとともに、得られたデータを共有、活用し、新しい手法による耐性菌早期検出法の開発、種々の特徴を有するライブラリーからのスクリーニング系の創出等、多領域を網羅した総合的見地からの治療法開発研究を推進する。またファージ療法をはじめとして、既存の抗菌薬とは異なる機序、あるいは異なる標的に対する新規治療薬、治療法の開発を推進する。

【成果の活用】治療法開発研究の開発推進により、AMR に対する国際的な研究体制、医療体制の強化に繋がることが期待される。

【課題名】国内での市中感染が認められる感染症に対する予防・診断・治療法の開発研究

【概要】いまだ定期接種化がなされていないおたふくかぜワクチン、妊婦への B 群連鎖球菌 (GBS) ワクチン接種、潜在性結核を主な発生源とする肺結核に対して予防効果が高い BCG ワクチンの開発及び疫学情報を取得し、国内市中感染が認められる感染症に対する予防対策に資する科学的な知見の創出を推進する。その他、長期にわたり使用されているワクチンについても、ワクチン接種後の生体反応や有効性・安全性のデータを取得し新たな知見を得ることにより、現状の課題を明確にする研究を推進する。また、感染症の治療薬の遅れを解消するために、感染症領域における治験実施体制構築の充実をはかる。また、感染症対策の基本となる予防における、個人用防護具 (PPE) や換気等の感染症管理・予防方法について、新たな測定方法、数理モデルによるシミュレーション等を応用した効果的な感染症管理・予防法確立についての科学的知見の創出を推進する。

【成果の活用】既存のワクチンと比較して有用性の高いワクチンの開発やより効率的な感染症管理・予防法の確立により、市中感染が認められる感染症に対する予防対策の強化が期待される。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【成長戦略実行計画】（令和 3 年 6 月 18 日閣議決定）

第 13 章 重要分野における取組

2. 医薬品産業の成長戦略

革新的新薬を創出する製薬企業が成長できるイノベーション環境を整備するため、研究開発支援の強化、創薬ベンチャーの支援、国際共同治験の推進、国内バイオ医薬品産業の強化、全ゲノム解析等実行計画及びこれに基づくロードマップの推進と産官学の関係者が幅広く分析・活用できる体制の構築、医療情報を利活用しやすい環境整備、薬価制度における新薬のイノベーションの評価や長期収載品等の評価の在り方の検討、感染症に対するデータバンクの整備、臨床研究法に基づく研究手続の合理化等に向けた法改正を含めた検討、製薬企業の集約化の支援等を進める。（中略）また、ワンヘルスアプローチ（人間及び動物の健康並びに環境に関する分野横断的な課題に対し、関係者が連携してその解決に向けて取り組むこと）による薬剤耐性 (AMR) 対策を

推進する。

【成長戦略等のフォローアップ】（令和5年6月16日閣議決定）

3. 「科学技術・イノベーション」関連

（医療・医薬品・医療機器）

- ・「国際的に脅威となる感染症対策の強化のための国際連携等に関する基本戦略」（令和5年4月7日国際的に脅威となる感染症対策の強化のための国際連携等関係閣僚会議決定）に基づき、人獣共通感染症も含めワンヘルス・アプローチによる感染症対策や調査研究等を行う。また、新規抗菌薬に対する市場インセンティブの仕組みを含め、薬剤耐性（AMR）対策を「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン（2023-2027）」に沿って進める。

【経済財政運営と改革の基本方針2023】（令和5年6月16日閣議決定）

第3章 我が国を取り巻く環境変化への対応

1. 国際環境変化への対応

（5）対外経済連携の促進、企業の海外ビジネス投資促進

（対外経済連携の促進）

ワンヘルス・アプローチを推進するとともに、薬剤耐性対策において、市場インセンティブによる治療薬の確保等の国内対策や国際連携・産学官連携による研究開発を推進する。

3. 国民生活の安全・安心

新型コロナウイルス感染症の感染症法 243 上の位置付けが5類に変更されたことに伴い、医療体制、公費支援など様々な政策・措置の段階的な移行を進めるとともに、基本的な感染対策を推進しつつ、重層的な流行状況の把握体制を確保するなど、必要な対策等を講じていく。また、罹患後症状（いわゆる後遺症）やワクチンの副反応についての実態把握に資する調査・研究等を進める。

【統合イノベーション戦略2023】（令和5年6月9日）

第1章 総論（国家的重要基盤を支え、社会課題を成長のエンジンに転換する科学技術・イノベーション）

2. 科学技術・イノベーション政策の3つの基軸

（1）先端科学技術の戦略的な推進

① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

（重要分野の戦略的対応の強化）

健康・医療

- ・次の感染症有事に備え、国による国内開発ワクチンの開発体制を強化し、有事に備えた買上、備蓄等方策の検討を行う。新興・再興感染症に対する治療薬等に関する研究開発を支援するとともに、感染症に関する治験・臨床研究ネットワークの構築を検討する。アジア・アフリカ等の感染症流行地における研究拠点ネットワークを強化し、新興・再興感染症の世界的なサーベイランス体制を強化する。

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

4. 具体的施策

4. 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の推進

(1) 研究開発の推進

○ 疾患領域に関連した研究開発

(感染症)

- ・ ゲノム情報を含む国内外の様々な病原体に関する情報共有や感染症に対する国際的なリスクアセスメントの推進、新型コロナウイルスなどの新型ウイルス等を含む感染症に対する診断薬・治療薬・ワクチン等の研究開発及び新興感染症流行に即刻対応出来る研究開発プラットフォームの開発
- ・ BSL4 施設を中核とした感染症研究拠点に対する研究支援や、感染症流行地の研究拠点における疫学研究及び創薬標的の探索等、予防・診断・治療に資する基礎的研究、将来のアウトブレイクに備えた臨床・疫学等のデータの蓄積・利活用

4. 3. 健康長寿社会の形成に資するその他の重要な取組

(AMR 対策の推進)

- ・ 国際的に脅威となる感染症対策関係閣僚会議（2015 年 9 月 11 日閣議口頭了解）において 2016 年 4 月 5 日に決定された「薬剤耐性 (AMR) 対策アクションプラン」及び 2020 年度に策定予定の次期アクションプランに基づき、必要な対策を推進する。

(新型コロナウイルス感染症対策の推進)

- ・ 新型コロナウイルス感染症への対策として、「新型コロナウイルス感染症対策の基本方針」（2020 年 2 月 25 日新型コロナウイルス感染症対策本部決定）など、政府が定める方針のもと、国内外の連携を図りつつ、必要な研究開発等の対策を速やかに推進する。その際、感染症の研究開発に対する多様なインセンティブや医療に係る規制の緊急時の適用の在り方等の課題も念頭において、必要な対策を検討する。

【医療分野研究開発推進計画】（令和 2 年 3 月 27 日健康・医療戦略推進本部決定、令和 3 年 4 月 6 日一部変更）

3. 集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策

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

(3) 6つの統合プロジェクト

① 医薬品プロジェクト

- ・ DNA ワクチン等の予防・治療用ワクチン、アジュバント技術

(5) 疾患領域に関連した研究開発

(感染症)

- ・ ゲノム情報を含む国内外の様々な病原体に関する情報共有や感染症に対する国際的なリスクアセスメントの推進、新型コロナウイルスなどの新型ウイルス等を含む感染症に対する診断薬・治療薬・ワクチン等の研究開発及び新興感染症流行に即刻対応出来る研究開発プラットフォームの構築
- ・ BSL4 施設を中核とした感染症研究拠点に対する研究支援や、感染症流行地の研究拠点における疫学研究及び創薬標的の探索等、予防・診断・治療に資する基礎的研究、将来のアウトブレイクに備えた臨床・疫学等のデータの蓄積・利活用

3. 3 研究開発の環境の整備

- ・ 国内の研究機関における感染症に係る基礎研究能力の向上及び病原体等の取扱いに

精通した人材の育成・確保等を図るため、BSL4 施設の整備等について、必要な支援を行うとともに国、大学及び自治体の地方衛生研究所等との連携を強化する。また、パンデミック対策のみならずバイオセキュリティ強化のため、米国 CDC 等も参考にしつつ我が国の危機管理対応能力の強化を図っていくとともに、緊急時の課題解決のための迅速な研究開発体制を整備する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

・厚生労働科学研究との関係

【新興・再興感染症及び予防接種政策推進研究事業】

感染症及び予防接種行政の課題として、海外からの進入が危惧される感染症及び国内で発生がみられる感染症についての対策や、予防接種施策等を推進すべく、行政施策の科学的根拠等を得るために必要な研究を行っている。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は、適宜本事業の研究成果も踏まえて、特に重要な医薬品等の開発に資する研究を行っている。尚、このうちワクチン開発については、感染症法に規定されている感染症のうち、国内での市中感染が認められている感染症を対象に、既に実用化されているワクチンの改良に資する基盤的な研究開発を行っている。

・AMED内 新興・再興感染症研究基盤創生事業との関係

【新興・再興感染症研究基盤創生事業 海外拠点研究領域】

様々な感染症の流行地により近い文部科学省の海外拠点研究領域の海外拠点と連携し、感染症に関する国内外での研究を推進している。

【新興・再興感染症研究基盤創生事業 多分野融合研究領域】

BSL4 施設を中核とした感染症研究拠点に対する研究支援や病原性の高い病原体等に関する創薬シーズの標的探索研究等を行う文部科学省の多分野融合研究領域と連携して、わが国における感染症研究機能の強化を図るとともに、感染症の革新的な医薬品の創出を図る。

【ワクチン開発・生産体制強化戦略関連事業】

SCARDA では、将来発生しうる新規感染症の大流行に備え、短期に大量にワクチンを製造する新規モダリティの育成や感染症ワクチンへの応用等の研究開発について、基礎研究から実用化まで産学官が連携して実施する。一方、本事業では SCARDA の対象とならないワクチンの研究開発を主な対象としている。

【橋渡し研究戦略的推進プログラム】

日本全体としてアカデミア等による革新的な基礎研究の成果を一貫して実用化に繋ぐ体制を構築し、自機関だけでなく他機関のシーズ発掘と育成を行っている当該プログラムと連携して、感染症に対する医薬品シーズの実用化を推進する。

【産学連携医療イノベーション創出プログラム・基本スキーム (ACT-M) / セットアップスキーム (ACT-MS) (医療分野研究成果展開事業)】

アカデミア発の感染症に対する医薬品及び医療機器シーズを産業界（企業等）に円滑かつ効果的に移転するために連携を推進する。

【AMED内感染症関連の3研究事業（エイズ、新興・再興、肝炎）の関係】

感染症関連の3研究事業（エイズ、新興・再興、肝炎）においては、AMED担当課と連携しながら重複無きように調整した上で、公募課題の選定を行っている。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、医療機器・ヘルスケアプロジェクト、再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト、ゲノム・データ基盤プロジェクト、疾患基盤研究プロジェクト
研究事業名	難治性疾患実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局難病対策課
AMED 担当部・課名	創薬事業部創薬企画・評価課（主務課）、医療機器・ヘルスケア事業部医療機器研究開発課、再生・細胞医療・遺伝子治療事業部遺伝子治療研究開発課、ゲノム・データ基盤事業部医療技術研究開発課、疾患基礎研究事業部疾患基礎研究課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	8,150,809	7,932,810	8,888,553

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

平成27年1月から「難病の患者に対する医療等に関する法律」（平成26年法律第50号）が施行され、令和3年11月現在定難病が338疾病まで拡大される等、難病対策について、難病患者データの収集を行い、治療研究を推進するという目的及び、医療費の経済的な負担が大きい患者を支援するという目的の両面からさらなる充実が図られている。

また、令和4年9月に公表された全ゲノム解析等実行計画2022を着実に実施するとともに、健康・医療戦略（令和2年3月閣議決定、令和3年4月一部変更）に明記されているように、厚生労働科学研究とAMED研究の相互連携の強化の方針を踏まえた研究を推進する必要がある。

【事業目標】

「希少性」、「原因不明」、「効果的な治療方法未確立」、「生活面への長期にわたる支障」の4要件を満たす希少難治性疾患（※）を対象として、病因・病態の解明、画期的な診断・治療・予防法の開発を推進することで、希少難治性疾患の克服を目指すものである。

（※）研究開発費の効率的活用の観点から、「がん」「生活習慣病」「精神疾患」等、他の事業において研究の対象となっている疾病等は本事業の対象としない。

【研究の範囲】

「医薬品」「医療機器」「再生・細胞医療、遺伝子治療」のモダリティにおいては、病態解明研究やエビデンス創出研究等から得られた知見をもとに有望なシーズを創出し、非臨床試験（薬理試験、薬物動態試験、毒性試験等）を経て治験（臨床試験）に移行する等、薬事承認等を得ることにより新たな治療法等の確立を目指す。特に、医療研究開発が進みにくい超希少性難治性疾患に関する研究を充実させる。また、「医療機器」及び「再生・細胞医療、遺伝子治療」の希少難治性疾患領域の医療現場のニーズに応じた早期フェーズを充実させる。

「ゲノム・データ基盤」のモダリティにおいては、「全ゲノム解析等実行計画に基づく難病領域全ゲノム解析の実践的研究」や「希少難治性疾患の個別化医療の推進等に資する研究分野」、そして「希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究」等で見いだされた知見をふまえ、革新的なゲノム診断・創薬等を含めた治療技術開発に資する研究支援を行う。「診療に直結するエビデンス創出研究」において、厚生労働科学研究と連携し診療ガイドライン等を作成・改訂に資する実用化を目指したエビデンスの創出、希少難治性疾患の全ゲノム等解析に関する研究、未診断疾患の診断プログラム開発等に関する研究等を実施する。また、「国民が受ける医療の質の向上のための医療機器の研究開発及び普及の促進に関する基本計画」（令和4年5月閣議決定）を踏まえ、ベンチャー企業等と研究機関との連携が可能な体制づくりに取り組む。

「疾患基礎研究」のモダリティにおいては、先端技術かつ希少難治性疾患における獨創性に富んだ解析技術を活用した研究を実施する。また、医療研究開発が進みにくい超希少難治性疾患に関する研究を充実させる。加えて、病態解明から治療シーズ発見に進む画期的な研究を充実させる。

【期待されるアウトプット】

令和6年度までに、

- ①医薬品プロジェクト
 - ・非臨床 POC の取得 2 件・臨床 POC の取得 3 件
- ②医療機器・ヘルスケアプロジェクト
 - ・医療機器のクラス III・IV の医療機器の開発を目指す課題採択率 25%
- ③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
 - ・非臨床 POC 取得 1 件（うち遺伝子治療 1 件）、治験移行数 1 件（うち遺伝子治療 1 件）
- ④ゲノム・データ基盤プロジェクト
 - ・研究成果の科学誌（インパクトファクター 5 以上）への論文掲載件数 175 件、科学誌（インパクトファクター 5 未満等の他の科学誌）への論文掲載状況 ※その他管理指標のため件数目標は設定せず
 - ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定 16 件

【期待されるアウトカム】

令和6年度までに、

- ① 医薬品プロジェクト
 - ・研究成果を活用した治験（臨床試験）への移行状況 ※その他管理指標のため件数目標は設定せず
- ②医療機器・ヘルスケアプロジェクト
 - ・医療機器のクラス III・IV の医療機器の薬事承認件数 1 件
- ③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
 - ・企業へ導出される段階に至った研究課題数 1 件（うち遺伝子治療 1 件）（うち企業へ導出された件数 1 件）
 - ・研究成果を活用した治験（臨床試験）への移行状況 ※その他管理指標のため件数目標は設定せず
- ⑤疾患基礎研究プロジェクト
 - ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 10 件

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 視神経脊髄炎の再発に対するリツキシマブの有用性を検証する第Ⅱ/Ⅲ相多施設共同プラセボ対照無作為化試験（平成 27～29 年度）

【概要】 72 週間の治験期間中にプラセボ群 19 名において 7 件の再発が認められたが、リツキシマブ群では一件も再発を認めなかった。主要評価項目である初回再発までの時間による生存分析では、有意差（Log rank テスト； $p = 0.0058$ ）が示された。本研究成果は臨床神経学のトップ国際誌の一つである The Lancet neurology に掲載された。

【成果の活用】 令和 4 年度に、指定難病である視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄炎を含む）の再発予防に対し、リツキシマブが薬事承認を受けた。希少難治性疾患でも治療薬の実用化に至ることを証明し、(1) に記載した医薬品プロジェクトの期待されるアウトカム（研究成果を活用した治験（臨床試験）への移行状況）を上回る成果を得た。

【課題名】 全身性強皮症に対する IDEC-C2B8（リツキシマブ）の医師主導による第 II 相二重盲検並行群間比較試験（平成 29～31 年度）

【概要】 過去に行われた臨床研究の結果から、主要評価項目である皮膚硬化に対するリツキシマブの有効性を予め統計学的に予測し、検証的治験として行われた。主要評価項目として設定された皮膚硬化の指標である修正ロドナンスキンスコアと、副次評価項目として設定された肺線維症の指標である%努力性肺活量において、リツキシマブによる有意な改善が認められた。本研究成果は臨床免疫学のトップ国際誌の一つである The Lancet Rheumatology に掲載された。

【成果の活用】 令和 3 年度に、指定難病である全身性強皮症の再発予防に対し、リツキシマブが薬事承認を受けた。全身性強皮症は既存の治療選択肢が乏しく、リツキシマブは疾患病態に即した機序を有していることから、全身性強皮症患者への貢献は大きい。(1) に記載した医薬品プロジェクトの期待されるアウトカム（研究成果を活用した治験（臨床試験）への移行状況）を上回る成果を得た。

【課題名】 未診断疾患イニシアチブ（Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases: IRUD）：希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究（平成 27 年度～）

【概要】 全国を網羅する希少・未診断疾患の診療・研究体制を確立し、令和 3 年度末時点で 2,677 の未診断家系において疾患を絞り込んだ。その特定率 44.4%は米国を含む諸外国の同様のプロジェクトを上回っている。合計 45 の新規原因遺伝子・新規疾患概念・新規表現型を同定した。なお、この成果は国際誌である Journal of Human Genetics に掲載され、日本の大型ゲノムプロジェクトの成功を国際的に示した。

【成果の活用】 日本の希少・未診断疾患の遺伝学的背景を初めて多数例で明らかにし、診療・研究そして教育に大きく貢献した。遺伝学的検査の保険診療実装に向けた基礎データを多数提供するなど、全ゲノム解析等実行計画 2022 を初めとするゲノム医療政策にこれからも大きく貢献すると考えられる。また、(1) に記載した以上の疾患関連遺伝子を見出している。

2 令和 6 年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び

期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験準備に関する研究課題

【概要】 難治性疾患実用化研究事業のシーズ探索研究の支援により治験準備に進む状況に達する研究班が増加し、再生・細胞医療・遺伝子治療に関する希少難治性疾患実用化研究のさらなる躍進が見込まれる。

【成果の活用】 治験（臨床試験）への移行を支援することで、企業導出件数の増加を図る。

【課題名】 医薬品のシーズ探索に関する研究課題

【概要】 難治性疾患実用化研究事業では、希少難治性疾患におけるドラッグリポジショニング（既存薬再開発）を推し進め、既に実用化をなし得ている。全ゲノム解析等実行計画 2022 に基づいたオミックス解析を含む網羅的ゲノム解析等の新規研究手法の進歩により、希少難治性疾患に対するドラッグリポジショニングの候補物（シーズ）はさらに増加することが期待される。蓄積されたシーズを選別し、遅滞なく次の創薬ステップに進めるために、シーズ研究予算の強化が必要となっている。

【成果の活用】 効率的な非臨床試験への移行を加速させることで、治験（臨床試験）への移行例増加が期待される。

（２）新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 未診断疾患に対する病態解明に資する開発に関する研究（仮題）

【概要】 これまでに AMED が支援してきた IRUD は、全国を網羅する希少・未診断疾患の診療・研究体制を確立し、前述した期待されるアウトプットを既に上回る多数の疾患関連遺伝子を同定し、遺伝学的検査の医療実装に向けた基礎データを多数提供している。また、IRUD は「新たな難病治療」、「更なる疾患特定率の向上」、「国際的な医療研究開発の推進」等の発展的な研究課題を IRUD beyond として進めている。

本研究では、IRUD 基盤事業による遺伝学的検査実装のための基礎データの提供にとどまらずその基盤のあり方を含めた医療実装や、IRUD beyond をさらに発展させることを目指す。

【成果の活用】 超希少疾病をはじめとした、難治性疾患の疾患概念や新たな診断方法の確立に大きく寄与することが期待される。また、未診断疾患において「全ゲノム解析等実行計画に基づく難病領域全ゲノム解析の実践的研究」を補完することで、「全ゲノム解析等実行計画に基づく難病領域全ゲノム解析の実践的研究」の研究を加速させることが可能となる。

【課題名】 希少難治性疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究（仮題）

【概要】 これまでに AMED が支援してきた難病プラットフォームでは希少難治性疾患の研究班を対象とし、悉皆性を有した患者レジストリ構築、データストレージ・データバックアップ、企業と研究班を対象とした企業マッチングについて支援を行っている。既に約半数の指定難病が難病プラットフォームに登録されており、各研究班の情報がホームページ上に公開され、企業が利活用する体制が整えられている。難病プラットフォームは情報基盤事業として成果を着実に挙げているが、本基盤を用いて薬事承認に至った事例はない。

これらの背景を踏まえ、本研究では、登録情報の更なる充実や他事業との連携に加え、本基盤を用いた実用化研究としての創薬等への成果導出をめざし、また、自立した運営体制の構築を検討する。

【成果の活用】 成果導出が、研究班の参加および企業の利活用について好循環を産み、希少難治性疾患領域の実用化研究が加速することが期待される。

【課題名】 創薬標的を医薬品の開発研究に繋げる研究（仮題）

【概要】 発症メカニズムを解明する中で見いだした創薬標的を確実に臨床に繋げるために、さらに検討の項目が必要な研究開発の支援を行う。具体的には、適切なモダリティの選定と供給方法、薬効・安全性を考慮したメカニズムの妥当性確認、競合との優位性、ドラッグリポジショニングを狙うのであれば企業の巻き込み等を検証し、医薬品 Step 0 のシーズ探索の計画を立案する。

【成果の活用】 シーズ探索研究に繋げるための、適切な医薬品モダリティを選択し、選択された医薬品モダリティを医薬品開発のシーズ探索に繋げることを目指す。

【課題名】 医療機器の治験に関する研究課題

【概要】 難治性疾患実用化研究事業では、これまで step 1 の医療機器開発を支援しており、令和 6 年度から治験（臨床試験）への移行実現可能性が高い研究結果が得られており、これらの成果を活用した治験（臨床試験）が効率的かつ効果的に行われることが見込まれる。

【成果の活用】 希少難治性疾患に係る医療機器について、着実な実用化を目指す。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2023 改訂版】（令和 5 年 6 月 16 日閣議決定）

IV. GX・DX 等への投資

6. 官民連携による科学技術・イノベーションへの推進

(2) 健康・医療

②ゲノム創薬をはじめとする次世代創薬の推進

従来の低分子薬中心の開発から脱却し、高機能バイオ医薬品や低コストで疾病の原因に効果的に作用し経口摂取が可能な中分子等、世界規模でニーズの高い分野での創薬を強化する。日本国内の枠組みに閉じて研究開発・供給基盤構築を行うことは、開発・供給のスピード感で我が国が後れを取るおそれがある。日本の企業・研究機関と、米国等の有志国のスタートアップ・ファウンダリとの連携を促進し、国際的な新薬開発・供給体制の構築を図る。がん・難病の全ゲノム解析（DNA が持つ全ての遺伝情報の解析）について、引き続き、10 万ゲノム規模に向けて解析し、その結果の患者への還元と情報基盤の整備を着実に進めるとともに、事業実施組織について、2025 年度の発足に向け、本年度内を目途に法人形態を決定する。この事業実施組織や、ゲノムのバイオバンクが中心となって、医学・薬学にとどまらず、バイオ、数理科学等の異分野まで含めた、関係する医療機関、研究機関、スタートアップ等の企業と連携

し、全ゲノム解析やマルチオミックス解析（特定の症例に対し、DNA 解析、RNA 解析、タンパク質解析等の複数の手法で統合的・網羅的に解析する方法）の結果や臨床情報等を活用し、創薬の成功率の向上を図る。

③再生医療

新しい技術の発展を踏まえ、再生医療を適切に普及・拡大させていく観点から、再生医療等安全性確保法等の改正を検討し、早期に国会に提出する。

【成長戦略等のフォローアップ】（令和5年6月16日閣議決定）

3. 「科学技術・イノベーション」関連

（医療・医薬品・医療機器）

再生・細胞医療・遺伝子治療における、新たな医療技術の臨床研究・治験の推進やこれらの医療技術の製品化に向けた研究開発・製造基盤強化等の取組、遺伝子治療におけるゲノム編集技術の再生・細胞医療への応用やそれぞれの人の特性に合った薬効等を試験できるオルガノイド（試験管内で人工的に作られるミニ臓器）等の革新的な研究開発を引き続き進める。

【経済財政運営と改革の基本方針 2023】（令和5年6月16日閣議決定）

第4章 中長期の経済財政運営

2. 持続可能な社会保障制度の構築

（社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進）

また、難聴対策、難病対策、移植医療対策、慢性腎臓病対策、アレルギー疾患対策、メンタルヘルス対策、栄養対策等を着実に推進する。

創薬力強化に向けて、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品の開発強化、研究開発型のビジネスモデルへの転換促進等を行うため、保険収載時を始めとするイノベーションの適切な評価などの更なる薬価上の措置、全ゲノム解析等に係る計画の推進を通じた情報基盤の整備や患者への還元等の解析結果の利活用に係る体制整備、大学発を含むスタートアップへの伴走支援、臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化、国際共同治験に参加するための日本人データの要否の整理、小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消に向けた薬事上の措置と承認審査体制の強化等を推進する。

【統合イノベーション戦略 2023】（令和5年6月9日閣議決定）

第1章 2. 科学技術・イノベーション政策の3つの基軸

（1）先端科学技術の戦略的な推進

健康・医療

・難治性がん・希少がん、難病、脳神経疾患、自己免疫疾患等について、ゲノム創薬等の次世代創薬の推進により革新的医薬品を迅速に届ける。このため、ゲノムデータ基盤やバイオバンクにおいて、マルチオミックスの情報や臨床情報等を戦略的に収集、AI等の最新の解析手法を導入して活用することにより、創薬プロセス等を格段に加速させる。新たなモダリティに関する技術開発と疾患に応じた最適化により、高機能バイオ・中分子等の次世代創薬を創出する。これらの推進にあたり、バイオバンク主導の産学リソースを糾合した新たな共同研究の開発推進体制等を構築すると

ともに、バイオ創薬研究の共用基盤、電子カルテデータ等の創薬への活用に向けた取組を進める。

・「全ゲノム解析等実行計画 2022」（2022 年 9 月策定）を着実に推進し、質の高い医療を届けるため、がんや難病患者から得られる全ゲノムデータ等を搭載した質の高い情報基盤を構築し、民間企業やアカデミア等へその利活用を促すことにより、新規治療法等の開発を目指す。解析結果等の速やかな日常診療への導入や新たな個別化医療の実現も推進し、こうした取組の運用を担う事業実施組織の設置に向けた検討を進める。

【健康・医療戦略（第 2 期）】（令和 2 年 3 月 27 日閣議決定、令和 3 年 4 月 9 日一部変更）

（難病）

- ・ 様々な個別の難病に関する実用化を目指した病因・病態解明、画期的な診断・治療・予防法の開発に資するエビデンス創出のためのゲノムや臨床データ等の集積、共有化
- ・ 上記の取組による病態メカニズム理解に基づく再生・細胞医療、遺伝子治療、核酸医薬などの新規モダリティ等を含む治療法の研究開発

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED 内、他省庁研究事業）との関係

AMED「難治性疾患実用化研究事業」で行われる、より基礎的な研究および診断法・医薬品等の実用化研究は、厚生労働科学研究で行われる医療水準の向上・維持、医療の均てん化・標準化などを目的とした研究とは、難病研究を推し進めるうえで相補的な関係である。

「難治性疾患実用化研究事業」は非常に多くの種類の疾患をカバーし、またプロジェクト横断的な事業であるため、AMED 内の他事業との接点が多い。全ゲノム解析等実行計画 2022 に基づいた革新がん医療実用化研究事業との連携は既に開始している。今後も、小児希少難治性疾患における成育疾患克服等総合研究事業、認知機能低下をきたす難病における認知症研究開発事業などとの連携をすべく調整している。

プロジェクト名	シーズ開発・研究基盤プロジェクト
研究事業名	地球規模保健課題解決推進のための研究事業（国際課分）
主管部局・課室名	大臣官房国際課
A M E D 担当部・課名	国際戦略推進部 国際戦略推進課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	87,887	92,904	91,749

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

（1）研究事業の目的・目標

【背景】

持続可能な開発目標（SDGs）において、改めて保健医療分野のゴールが設定される中、新型コロナウイルスの感染拡大を受け、地球規模の保健医療課題の重要性は、国際社会において益々高まっている。

我が国は、国際保健関連の政府方針・戦略を近年相次いで策定するとともに、平成28年のG7、令和元年のG20では議長国を務め、より効果的・効率的に国際保健に貢献し、国際社会における存在感を維持・強化することを表明した。そして、令和5年に再びG7の議長国を務めている。

また、我が国は、医薬品、医療機器及び医療技術等の開発を実現し、国内のみならず諸外国の医療の向上への貢献を推進することも表明しており、海外の研究機関と国内の臨床研究実施機関との共同研究の実施及び連携を推進している。

【事業目標】

- ① 我が国の知見や技術を移転し、低・中所得国の保健医療分野 SDGs の実現に寄与する。
- ② 低・中所得国の健康・医療問題の改善に資する、我が国発の医療機器・医療技術・医療システム等の海外での活用に向けた実装・臨床研究を推進する。
- ③ 世界保健機関（WHO）等の国際機関等における規範設定や各国の保健医療施策策定に資する成果を創出し、我が国の保健医療外交戦略を推進する。
- ④ Global Alliance for Chronic Diseases (GACD) 等の研究開発資金配分機関（FA）の国際アライアンスを活用して国際共同研究を実施し、研究開発成果の価値向上を図る。

【研究の範囲】

- 対象国の臨床現場で導入・普及されていない医療機器・医療技術・医療システム等の有効性、安全性、効率性等を評価するための実装・臨床研究
- 開発した保健医療技術を対象国で普及するための研究、及びそれらを実装するための研究
- エビデンスが証明された医療技術等を、リソースの限られた国でも導入できるよう最適化するための実証研究
- 課題解決に資する基礎的知見を収集するための疫学研究

【期待されるアウトプット】

研究対象国における医師主導臨床試験届の提出件数（体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数）：令和4年度～6年度末までに3件

【期待されるアウトカム】

- ① 研究対象国における薬事承認申請件数：令和4年度～6年度末までに1件
- ② 関連するWHO等の国際機関や各国政府機関が発行するガイドライン策定への関与：令和4年度～6年度末までに1件

（2）これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 新型コロナウイルス感染症の血清学的診断法の臨床的有用性評価（令和2～3年度）

【概要】 病原体診断のための標準検査法として医療機関や検疫所の検査室で導入するためには、PCR検査法は迅速・簡便性、自動化、費用対効果の面で課題が残っていた。さらに検体採取部位や気道上皮中のウィルス量によっても結果・解釈が変動するリスクがあり、公衆衛生学的観点から、より実用性の高い代替診断法が必要とされていた。本研究では、頑強性の高い血清学的診断法の開発を目指し、日本、中米のエルサルバドル国、アフリカのコンゴ民主共和国による国際共同臨床試験を実施した。

【成果の活用】 我が国で臨床性能を確認した蛍光免疫測定法によるCOVID-19抗体価迅速測定機器は、複数の疫学調査研究、ワクチン有効性評価試験（国内3件、国外3件）での採用が決定し、低・中所得国の検査体制を強化に活用される。また、検査法の特性を活かし、分析対象を検査アクセスに格差を抱える各国リモートエリアにまで拡大できたことから、広域サンプリングを可能にし、新興感染症に対する免疫応答の地域・人種差によるアプローチ方法の確立に活用される。

【課題名】 カンボジアにおける分娩監視装置導入と、その死産・新生児死亡の減少効果に関する研究開発（令和2～5年度）

【概要】 低・中所得国で多く発生している新生児死亡と死産を減少させるために有効な手段である分娩監視装置（Cardiotocography：CTG）の導入の「過程」と「効果」の検証を目的とした臨床研究を実施している。低・中所得国におけるCTGの有用性を示し、医療従事者に対する研修とガイドライン、周辺環境の整備などをパッケージとして提示することにより、CTGの適切な利用促進、分娩期において異常が発生した場合の適切な医療サービスが改善する道筋を明らかにする。

【成果の活用】 本研究で作成された研究プロトコルに基づいた医療機関への本機器導入および医療従事者への研修実施により、現地医療従事者の適切な医療サービス提供に活用される。

〈定量的な研究成果〉

当事業における研究開発成果はこれまでに、ガーナ国境検疫における感染媒介動物と発熱者の分子疫学調査で得られた知見が、Ghana National Action Plan for Health Security 2019 - 2023に反映されるなど、計5件がWHO等の国際機関のガイドラインや対象国における保健政策に反映されている。令和2年度には、新たなアウトプット・アウトカムを設定し、「低・中所得国の健康・医療改善に向けた、医薬品・医療機器・医療技術等の海外での活用に向けた臨床研究」を開始した。

アウトプット：

・研究対象国における医師主導臨床試験届の提出件数（体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数）（令和2～4年度末）4件

アウトカム：

- ・①研究対象国における薬事承認申請件数（令和2～4年度末）0件
- ・②関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況（令和2年度～4年度末）0件

2 令和6年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】医療資源の限られた環境で有用かつ低価格で導入可能な、簡易保育器、携帯型 High-flow nasal cannula、胃管を含む早産児救命パッケージの開発（令和3～6年度）

【概要】早産児救命パッケージを用いて、研究対象国のシエラレオネとラオスで早産児死亡率の低下を示し、その効果を外挿性のあるエビデンスとして報告し、本製品の知財保護につとめるとともに、機材を WHO Compendium に導出することを目標としている。令和4年度の調整費措置により、臨床研究を前倒しするとともに、研究期間終了後に当初予定されていた対象医療機器の知財保護に向けた調査を実施し、本課題の最終目的である WHO 事前認証および WHO 推奨医療機器要覧掲載に向けた対象国および対象地域における知財獲得を進めている。令和6年度においては、WHO 事前承認取得および WHO 推奨医療機器要覧への掲載に向け、収集した臨床研究データの分析や知財調査の結果を受け、具体的な国連調達への対象機器登録に向け準備・調整を進める。

【成果の活用】知財申請により得られた承認等は、研究最終年度に目標としている WHO 事前認証および WHO 推奨医療機器要覧掲載に活用される。対象国であるシエラレオネ、ラオスは新生児死亡率が高く、安価で簡易に導入できる本機器により医療サービスの向上が見込まれ、本指標の改善が期待される。

【課題名】インドネシアでの、てんかん診療の質向上をめざしたデジタル脳波のワイドバンド成分の記録解析普及の実装研究（令和4～7年度）

【概要】本邦において蓄積したワイドバンド脳波の経験・知識・研究技術を活用し、インドネシアにおけるワイドバンド脳波解析方法の臨床的利用普及を進める。我が国ですでに確立、普及しているワイドバンド脳波解析方法を対象国で普及させることにより、適切な診療を受けられていない対象国の患者に裨益することができる。令和6年度は、令和5年度までに作成した研究プロトコルの実施段階として、ワイドバンド成分の脳波解析を利用した脳波判読方法の教育コースのマテリアル構築・実際のデータ記録の支援を行う。

【成果の活用】ワイドバンド脳波解析方法の臨床的利用普及により、対象国に200万人いるとされるてんかん患者の診療の質改善が期待される。

（2）新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】低・中所得国の健康・医療改善に資する、医療機器・医療技術・医療システ

ム等の海外での活用に向けた実装・臨床研究

【概要】感染症や慢性疾患など、国際的に公衆衛生上大きな課題となっている疾病の改善に向けて、既に先進国等で有効性が実証されているものの対象国で普及されていない予防・診断・治療にかかる医薬品・医療機器・医療技術等の、低・中所得国の患者に対する臨床研究や実装研究を行う。

【成果の活用】我が国や先進国の医薬品・医療機器・医療技術等が、低・中所得国の患者に対する医療サービスに活用され、低・中所得国の医療サービスの質や保健指標の改善に寄与することが期待される。

【課題名】低・中所得国における多疾患併存状態の統合管理：多疾患併存状態患者の管理とケアを最適化するための介入の統合に焦点を当てた実装研究の国際協調研究

【概要】Global Alliance for Chronic Diseases (GACD) と連携し、低・中所得国における慢性疾患の多疾患併存による負荷の改善のための患者管理やケアに関する実装研究を行う。

【成果の活用】低・中所得国における多疾患併存の慢性疾患患者への医療サービスの質改善に寄与することが期待される。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【経済財政運営と改革の基本方針 2023】（令和5年6月16日閣議決定）

第4章 中長期の経済財政運営

5. 経済社会の活力を支える教育・研究活動の推進

「研究の質や生産性の向上を目指し、国際性向上や人材の円滑な移動の促進、大型研究施設の官民共同の仕組み等による戦略的な整備・活用・高度化の推進、情報インフラの活用を含む研究DXの推進、大学病院の教育・研究・診療機能の質の担保を含む勤務する医師の働き方改革の推進等を図る。研究開発成果の社会実装と国際市場獲得のため、標準活用戦略を加速する。」

【統合イノベーション戦略 2023】（令和5年6月9日閣議決定）

第2章 Society5.0の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

1. 国民の安全と安心を確保する持続可能で強靱な社会への変革

(2) 地球規模課題の克服に向けた社会変革と非連続なイノベーションの推進

「…加えて、こうした我が国の取組について、積極的な国際発信を行い、日本のプレゼンス向上を図ることで、世界各国の研究機関の英知を結集し、国際共同研究の推進、サプライチェーン等の構築を目指すとともに、エネルギー・環境関連事業への投資の国内への取り込みや企業活動の積極的な見える化を促進する。」

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

4. 具体的施策

4.2.2. 国際展開の促進

○ アジア健康構想の推進

（具体的事業によるサービス提供）

- ・ 我が国の国際的な医療・介護の拠点の、アジアを中心とした海外への更なる進出を支援する。…、予防・健康維持や衛生設備等の…我が国の事業者の国際展開を推進する。

(基盤の整備)

- ・ 単なる医療機器や医薬品の…の供給にとどまらず、それらの研究開発、製造、流通、安全規制、適正使用等…を、我が国の企業が関わる形で推進する。

○ アフリカ健康構想の推進

(基盤の整備)

- ・ …生活習慣の改善や予防接種を通じた疾病予防、…巡回診療といった事業の展開等を通じ、…裾野の広いヘルスケアサービスの実現に必要な基盤の整備を、日本企業が関わる形で推進する。

(医薬品・医療機器等)

- ・ アフリカにおいて、喫緊の課題である感染症への対応も含め、必要な医薬品・医療機器等の整備を、日本企業が関わる形で推進する。

4.3. 健康長寿社会の形成に資するその他の重要な取組

(新型コロナウイルス感染症対策の推進)

- ・ 新型コロナウイルス感染症への対策として、「新型コロナウイルス感染症対策の基本方針」(2020年3月28日新型コロナウイルス感染症対策本部決定、5月25日変更)など、政府が定める方針のもと、国内外の連携を図りつつ、必要な研究開発等の対策を速やかに推進する。その際、感染症の研究開発に対する多様なインセンティブや医療に係る規制の緊急時の適用の在り方等の課題も念頭において、必要な対策を検討する。

2 他の研究事業(厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業)との関係

○「地球規模保健課題解決推進のための行政施策に関する研究事業」(厚生労働科学研究)では、厚生労働省の実施する政策の推進のための研究(例:保健関連のSDGsの達成及びそれに向けたモニタリングに関する研究)を行っている。一方、当研究事業は、低・中所得国を研究フィールドとして、我が国発の医療技術、医療サービス等の海外での活用に資する臨床研究や、生活習慣病予防技術を用いた介入研究を行うものである。

これら2つの研究事業には、政策研究の成果から将来の実装研究のシーズが発見され、また実装研究から製品の海外での活用における政策課題が抽出されるような連携が期待される。例えば実装研究である「低・中所得国の健康・医療改善に資する、医療機器・医療技術・医療システム海外での活用に向けた臨床研究」で特定された海外での活用にあたっての障壁が、政策研究である「保健分野における三大感染症等に関する国際機関への我が国からの戦略的・効果的な資金拠出と関与に資する研究」において我が国の国際機関への関与において解決策を研究すべき課題として還元され、その結果我が国発の製品が円滑に海外で活用されていくというような相乗効果も期待される。

○「開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業」(AMED)は、開発途上国・新興国等におけるニーズを踏まえた医療機器の新規開発を推進するものである。一方、当研究事業で推進する「低・中所得国の健康・医療改善に資する、医療機器・医療技術・医療システム等の海外での活用に向けた実装・臨床研究」は、我が国等で既に有効性が示された医薬品、医療機器、医療技術等の効果検証のために海外の患者を対象に臨床試験を行うものであり、GACDと連携した慢性疾患対策を目的とした実装研究を行

うものである。

「開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業」で新規開発された医療機器等のうち、臨床試験が更に必要な課題については、当事業で研究発展することが可能である。また、慢性疾患対策を目的に開発された医療機器の実装化を目的に、当事業において GACD と連携した実装研究を行うことも可能である。更に、当事業で行う疫学研究等から抽出された低・中所得国のニーズを踏まえて、医療機器の新規開発を推進することも期待できる。

プロジェクト名	シーズ開発・研究基盤プロジェクト
研究事業名	地球規模保健課題解決推進のための研究事業 (厚生科学課分：日米医学協力計画)
主管部局・課室名	大臣官房厚生科学課
AMED 担当部・課名	国際戦略推進部 国際事業課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	89,236	94,330	93,157

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

本研究事業は、昭和40年（1965年）の佐藤栄作総理大臣とリンドン・ジョンソン大統領の会談に基づき実施される日米医学協力計画に基づいて実施される事業である。日米医学協力計画は、アジア地域等にまん延している疾病等に関して、未知の分野が多く、研究の余地が残されていることに鑑み、これらの疾病に関する研究を日米両国において協同で行うことを目的としている。

【事業目標】

日米医学協力計画の下には、9つの専門部会（コレラ・細菌性腸管感染症、抗酸菌症、ウイルス性疾患、寄生虫疾患、栄養・代謝、がん、肝炎、エイズ、急性呼吸器感染症）と1つの部門（免疫）が設けられており、日米の関係機関（米国は、米国立衛生研究所（NIH）の米国立感染症・アレルギー研究所（NIAID）及び米国立がん研究所（NCI））、関係の研究者が協力して、アジア地域等にまん延している疾病等に関して「医療に関する研究開発」を発展させることを目標としている。

【研究のスコープ】

- ① 日米医学協力計画を基軸としたアジア地域等にまん延する疾病等に関する研究推進及び連携基盤強化
- ② 日米医学協力計画を基軸とした「若手・女性研究者育成共同研究プログラム」に関する研究

【期待されるアウトプット】

長期に渡り培った協力関係を基盤に、新興・再興感染症の世界的流行に即時に対応するためのタイムリーな情報共有や、国際共同研究を推進する。

若手・女性研究者育成共同研究プログラムにおいては、2年間の研究期間で将来的に顕著な成果が得られる可能性のある研究をAMEDにおける他の統合プロジェクトへの導出につなげる。具体的には、令和5年度に、日米共同研究における薬剤耐性サーベイランスシステムを利用した薬剤耐性菌のアウトブレイクを自動的に探知できるプログラムの開発・評価、コレラ菌の運動様式と病原性の関連等の成果が得られる予定である。

<具体的なKPI>

- ・学会誌・雑誌等における論文発表：150件

- ・学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表：200件
- ・日本国内における、学会等と連携した日米合同シンポジウム・ワークショップの開催：2件
- ・日本国外での、日米合同シンポジウム・ワークショップ等の開催：1件

【期待されるアウトカム】

アジアで蔓延する感染症等の新しい予防・診断・検査・治療法の開発やガイドライン策定等の成果は、国際的にも活用されることが期待でき、我が国のプレゼンスの向上にも寄与する。

若手・女性研究者育成共同研究プログラムでは、優れた人材の育成に加え日米の研究者間の将来にわたる協力関係の構築も期待され、国際的な感染症の発生時における迅速な対応等に大いに貢献する。

<具体的な KPI>

- ・シーズの他の統合プロジェクトへの導出件数：1件
- ・診療ガイドライン、省令、基準、日本薬局方、添付文書改訂、国の技術文書（通知）等への反映：2件
- ・日米医学の国際ネットワーク基盤を通じて、国際共同研究に発展した課題件数（国際共同研究グラントを獲得した件数）：1件

（2）これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】日米医学協力計画を基軸としたアジア地域等にまん延する疾病等に関する研究（令和5年度：継続中）

【概要】アジア地域等にまん延する新興・再興感染症、がんに対する研究組織の醸成及び国際的な情報共有を行った。具体的には、汎太平洋新興・再興感染症国際会議(EID)を、毎年度継続的に開催し、最新の研究成果（下記の若手・女性研究者共同公募を含む。）を発表・議論する場を提供するとともに、各分野の研究の現状及び今後の方向性について議論し、報告書をまとめ、公表している。具体的な成果として、エイズ専門部会で、新規選択的 CD8 陽性 T 細胞誘導 HIV ワクチンの粘膜感染防御効果を示した。また、令和3年4月の日米首脳会談における共同声明の別添文書「日米競争力・強靱性（コア）パートナーシップ」に明記された「AMED-NIH 日米連携強化」に基づいて開催されたワークショップ（令和4年12月）において、日米パネルメンバー間協議を実施し、「日米医学協力計画」の将来展望について議論し、実行すべき具体的なアクションを提案した。

【成果の活用】国際的な感染症等の発生時における迅速な対応等が可能となる協力関係が構築されるとともに、日米のみならずアジア地域の研究者との共同研究を通して、アジア地域における研究推進に貢献している。

【課題名】日米医学協力計画を基軸とした「若手・女性研究者育成共同研究プログラム」（令和5年度：継続中）

【概要】若手研究者育成をさらに発展させるべく、2016年度から米国 National Institute of Allergy and Infectious Diseases（NIAID）と共同で「若手・女性育成のための日米共同研究公募」を実施している。具体的な成果として、平成30年度の若手・女性研究者育成共同研究プログラムに採択された研究者が、デング熱やジカ熱などの蚊媒介性感染症の伝播様式及び免疫応答解明への貢献が認められ、令和2年

12月に第4回AMED理事長賞を受賞した。また、COVID-19に関する世界最大のホストゲノム研究であるCOVID-19 Host Genetics Initiativeにアジア最大の研究グループとして参加し、COVID-19重症化に関連する13の遺伝子多型の発見にも貢献した。**【成果の活用】**世界をリードする学術的な実績の積み上げや、強力な指導力を発揮することができる若手及び女性研究者が育成された。また若手・女性研究者共同公募採択者のEID会議での発表により、既存または新規の共同研究の発展に繋がった。

<EID会議開催実績>

第22回EID 令和2年2月開催：タイ

「アジアにまん延するウイルス性疾病の病因と防御免疫」

第23回EID 令和5年3月開催：フィリピン

「アジアにまん延する微生物及び寄生虫疾患及び関連するがん疾患」

第24回EID 令和6年3月頃開催：韓国（予定）

（ウイルス分野）

第25回EID 令和7年3月頃開催：日本（予定）

（全分野対象、日米医学協力計画60周年記念式典）

※令和3年度は新型コロナウイルス感染症の流行によりEID会議が実施できなかったため、令和4年3月9～11日に新型コロナウイルス感染症やAMRをテーマとしたVirtual Workshop（日米比の合同において開催）を開催した。

※令和5年5月16日に開催された日米科学技術研究開発協力協定に基づく第15回合同高級委員会において、本計画の取組並びに令和6年度に日本主催で実施を計画中の60周年記念式典について説明がなされた。

<定量的な研究成果>

○令和4年度

・学会誌・雑誌等における論文発表：319件

・学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表：411件

・診療ガイドライン、省令、基準、日本薬局方、添付文書改訂、国の技術文書（通知）等への反映：4件

○令和3年度

・学会誌・雑誌等における論文発表：306件

・学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表：411件

・診療ガイドライン、省令、基準、日本薬局方、添付文書改訂、国の技術文書（通知）等への反映：3件

2 令和6年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】日米医学協力計画を基軸としたアジア地域等にまん延する疾病等に関する研究活動の推進

【概要】9つの専門部会のうち、特に国際的な流行・パンデミックが想定され、迅速な対応が求められるウイルス感染症分野と薬剤耐性菌（AMR）関連分野について、米国・アジア諸国との連携の枠組みを強化する取組を優先的に推進する必要がある。

【成果の活用】第 25 回 EID にて、全ての分野における研究成果や米国・アジア諸国との連携に係る総合的な取組を発表・議論することで、国際的な感染症等の発生等、有事における迅速な対応等が可能となる協力関係を強化する。

【課題名】日米医学協力計画を基軸とした「若手・女性研究者育成共同研究プログラム」

【概要】「若手・女性研究者育成共同研究プログラムに関する研究課題」については、応募される研究計画は良質なものが多いこと、また、令和 3 年 4 月の日米首脳会談における共同声明の別添文書「日米競争力・強靱性（コア）パートナーシップ」に明記された「AMED-NIH 日米連携強化」に基づいて開催されたワークショップにおける議論で、本プログラムの更なる推進について合意がなされたことから、課題の採択数を増加する必要がある。

【成果の活用】「経済財政運営と改革の基本方針 2023」、「統合イノベーション戦略 2023」等においても掲げられている若者の世界での活躍を支援し、コロナ禍で停滞した国際頭脳循環の活性化に取り組む科学技術・イノベーションへの投資に資する若手・女性研究者の人材育成にさらに貢献する。将来的に採択者のその後の活躍に関して適宜フォローを行い、AMED 研究における他の統合プロジェクトへの導出を目指す。

（2）新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】日米医学の将来的なあり方に資する研究

【概要】「若手・女性研究者育成共同研究プログラムに関する研究課題」の課題数の増加やプログラムのリニューアルに関する検討、本プログラムのみならず、日米医学協力計画を基軸とした、AMED の他事業も含む、「AMED-NIH 日米連携強化」を日米医学協力計画の積極的な情報発信を通じて強力で推進、成立させるための方策の検討を行う。

【成果の活用】優れた若手・女性研究者人材の育成の加速、及び日米の研究者間の将来にわたる協力関係の構築が期待される。また、歴史ある本プログラムで培われた緊密な交流や協力関係を基盤に、新興・再興感染症の世界的流行等有事に即時に対応するためのタイムリーな情報共有や、国際共同研究を開始できる。

【課題名】日米医学協力計画 60 周年記念式典の日本開催

【概要】更なる日米医学の発展を目指し、60 周年記念式典として記念シンポジウム、特別講演、連携すべき重点研究領域の検討、体制の見直し、次世代を担う若手育成に向けたアクションプランの策定、日米医学協力計画を基軸としたアジア地域等にまん延する疾病等に関するワークショップや研究成果報告等を行う。

【成果の活用】日米医学協力計画においてこれまでに培った土台の拡大、さらなる日米連携強化が期待される。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【経済財政運営と改革の基本方針 2023】（令和 5 年 6 月 16 日閣議決定）

第 2 章 新しい資本主義の加速

2. 投資の拡大と経済社会改革の実行

(4) 官民連携を通じた科学技術・イノベーションの推進
(略) オープンサイエンスや、戦略的な国際共同研究等を通じた国際頭脳循環を加速する。

【統合イノベーション戦略 2023】(令和5年6月9日閣議決定)

第2章 Society 5.0 の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

2. 知のフロンティアを開拓し価値創造の源泉となる研究力の強化

(1) 多様で卓越した研究を生み出す環境の再構築

【あるべき姿とその実現に向けた方向性】

(略) 具体的には、優秀な若手研究者が、時代の要請に応じた「知」のグローバルリーダーとして誇りを持ち、研究に打ち込む時間を十分に確保しながら、自らの人生を賭けるに値する価値を見出し、独立した研究者となるための挑戦に踏み出せるキャリアシステムを再構築する。

(略) このため、多くの研究者が、海外の異なる研究文化・環境の下で研さん・経験を積めるようにし、研究者としてのキャリアのステップアップと、海外研究者との国際研究ネットワークの構築を図る。あわせて、世界中から意欲ある優秀な研究者を引き付ける魅力的な研究拠点を形成し、トップレベルの研究者をオンラインを含めて迎え入れる。これらのネットワークを活用した国際共同研究を推進することにより、互いに刺激し合い、これまでにない新たな発想が次々と生まれる環境を整備する。

【健康・医療戦略(第2期)】(令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更)

4. 具体的施策

4. 4. 研究開発及び新産業創出等を支える基盤的施策

4. 4. 2. 教育の振興、人材の育成・確保等

(1) 先端的研究開発の推進のために必要な人材の育成・確保等

○ 若手・女性研究者を含めた人材育成

・基礎から臨床研究及び治験の各フェーズ、様々なモダリティ等や疾患領域、さらにはそれらの横断領域等の研究の担い手となる優れた研究者を、若手や女性を含めて育成・確保する。

2 他の研究事業(厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業)との関係

日米医学協力計画の関連研究分野である免疫部門は、文部科学省より予算を受けてAMEDにおいて運用している。

プロジェクト名	医療機器・ヘルスケアプロジェクト、ゲノム・データ基盤プロジェクト、疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局健康課
AMED 担当部・課名	疾患基礎研究事業部疾患基礎研究課 ゲノム・データ基盤事業部医療技術研究開発課 医療機器・ヘルスケア事業部ヘルスケア研究開発課
省内関係部局・課室名	健康局がん・疾病対策課

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	720,204	761,320	751,855

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

がん、循環器病、糖尿病、COPD などの生活習慣病は世界の死亡者数の約 6 割を占めている。我が国においても生活習慣病は医療費の約 3 割、死亡者数の約 6 割を占めており、急速に進む高齢化、社会保障の維持のためにも、生活習慣病の発症予防や重症化予防について、早急な対策が求められている。

循環器病、糖尿病等のがん以外の代表的な生活習慣病は、様々なライフステージを含んだ長い経過の中で、不適切な生活習慣が引き金となり発症し、重症化していくことが特徴である。また、生活習慣病は、我が国の主要な死亡原因であるとともに、特に循環器病に関しては、介護が必要となる主な原因でもある。そのため、人生 100 年時代における、国民の健康寿命の延伸および生涯にわたった生活の質の維持・向上に向けて、包括的かつ計画的な対応が求められている。

生活習慣病の発症予防・重症化予防には、すべてのライフステージにおける栄養・食生活、身体活動・運動、休養・睡眠、飲酒、喫煙及び歯・口腔の健康といった個人の生活習慣の改善、健康づくりが重要である。それと同時に、健診・保健指導の利活用による 1 次、2 次予防の推進、生活習慣病の病態解明や治療法の確立、治療の質の向上等による生活習慣病患者の 2 次、3 次予防の推進によって、誰もがより長く元気に活躍できる社会の実現を目指す。

なお、循環器病については、令和元年 12 月に施行された「健康寿命の延伸等を図るための脳卒中、心臓病その他の循環器病に係る対策に関する基本法」に基づき、令和 5 年 3 月に閣議決定された第 2 期循環器病対策推進基本計画に則って研究をさらに推進していく必要がある。

【事業目標】

生活習慣病対策においては、①生活習慣病の発症を予防し、発症したとしても早期発見・早期治療を行うこと、②生活習慣病を適切に管理することで生活習慣病の重症化を予防することが重要であることを踏まえ、「健康増進・生活習慣病発症予防分野」と「生活習慣病管理分野」に整理し、生活習慣病対策の研究を推進する。

具体的には、生活習慣病等の予防のための行動変容を促すデバイス・ソフトウェアの

開発、個人に最適な糖尿病等の生活習慣病の重症化予防及び重症化後の予後改善・QOL向上等に資する研究開発、AI等を利用した生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法の確立、循環器病の病態解明や革新的な予防、診断、治療、リハビリテーション等に関する方法に資する研究開発を推進する。

【研究のスコープ】

「健康増進・生活習慣病発症予防分野」において

- ・ 栄養、運動、睡眠、たばこ、飲酒等健康づくりの基礎要素について、ライフステージを意識した新たな知見を収集するとともに、適切な介入方法を確立する。
- ・ 個人の状態に応じた効果的な健診・保健指導の手法を開発する。
- ・ AIやICT等を用いた次世代健康バロメーターの開発や、個々人に適した健康づくり支援法を開発する。
- ・ 生活習慣病の予防のための行動変容を促すデバイス・ソフトウェアを開発する。

「生活習慣病管理分野」において

- ・ 生活習慣病発症や重症化に関する病態の解明やバイオマーカーの探索を行い、新たな診断・治療方法を開発する。
- ・ 患者のライフステージや臨床経過に応じた、個人に最適な重症化予防法及び重症化後の予後改善法・QOL向上法を確立する。

【期待されるアウトプット】

ゲノム・データ基盤PJ：

研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数 令和5年度単年で4件以上（5年間で20件以上）

新たな疾患発症メカニズム解明の件数 令和5年度単年で0～1件（5年間で3件以上）

疾患基礎研究PJ：

研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数 令和5年度単年で4件以上（5年間で20件以上）

【期待されるアウトカム】

2040年までに健康寿命を男女ともに3年以上延伸し（2016年比）、75歳以上とすることで、誰もがより長く元気に活躍できる社会の実現を目指す。

（2）これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

<医療機器・ヘルスケアPJ>

【課題名】心血管疾患に対する、乳酸測定ウェアラブルデバイスを用いた運動強度の自己管理システムの開発（令和元～3年度）

【概要】嫌気性代謝で生じる乳酸に着目し、汗中の乳酸測定センサを開発し、心血管患者の個別の指適な運動強度を提供できるシステムを開発し、非臨床試験及び精度検証の臨床研究を実施した。

【成果の活用】特定の施設でしかできなかった心血管患者の運動療法における至適運動強度の決定を、あらゆる施設で可能にすることにより、多くの患者が簡易に適切な運動療法を実施できるようになることが期待される。

<ゲノム・データ基盤PJ>

【課題名】診療録直結型大規模糖尿病レジストリを用いた糖尿病合併症抑制のための治

療法に関するエビデンス創出のための研究（令和2～4年度）

【概要】糖尿病の大規模レジストリを用いて、本邦の2型糖尿病患者1万例の合併症発症率を明らかにし、腎症等が合併症の重要なリスク因子であることを明らかにした。

【成果の活用】大規模レジストリで、血糖・血圧・脂質等の管理状況ごとの合併症発症のエビデンスを創出し、最適な治療目標値を明らかにし、診療ガイドラインへ反映させることにより、健康寿命の延伸へとつながることが期待される。

<疾患基礎研究PJ>

【課題名】脳卒中における循環器病感受性遺伝子の役割解明とゲノム医療の探索（令和元～3年度）

【概要】もやもや病の疾患関連遺伝子多型をもつ患者由来のiPS細胞を用いて、遺伝子多型に関連した蛋白質を同定し、遺伝子治療を実現するための基盤的技術を構築した。

【成果の活用】東アジア特有の高血圧・脳梗塞リスク RNF213p. R4810K 多型を対象とした疾患メカニズムに基づくゲノム医療の実現へとつなげる。

2 令和6年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

<ゲノム・データ基盤PJ>

【課題名】心房細動・重篤合併症予防を実現する多層的・統合的エビデンス創出研究

【概要】大規模横断的研究と、詳細な縦断的研究を組み合わせ、心房細動の発症・重篤化に係わるリスク因子の層別化スコアを作成する。ゲノムデータだけでなく、患者データの解析を拡充することで、層別化スコアの精度向上が期待できる。

【成果の活用】患者固有の疾患リスクを明らかにすることにより、先制的な個別化医療の実現へとつなげる。

【課題名】高血圧発症予防に向けた先制保健介入モデルの開発

【概要】自治体の健康データを利用したコホートにより、高血圧の発症モデルを作成し予防に取り組む研究であるが、基盤システムを拡充しウェアラブルデバイスなどの入力を拡充することにより、最適なフィードバックが可能なアプリ開発につなげることができる。

【成果の活用】個別の行動・リスクに基づいた、最適なフィードバックアプリにより行動変容へとつなげ、高血圧および循環器病などの高血圧関連疾患を予防し健康寿命の延伸へとつなげることが期待できる。

<疾患基礎研究PJ>

【課題名】エピゲノム編集とシングルセル解析を統合したシーズ探索による心不全の新規治療法開発

【概要】心臓のDNA損傷を標的として、新規の治療法を開発しているが、新たに見つかった転写因子について、病態解明を拡充することにより、新規の治療シーズの同定が期待できる。

【成果の活用】DNA修復による心不全治療という新規の疾患治療概念の基盤技術を確立

することが期待できる。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

<ゲノム・データ基盤PJ>

【課題名】生活習慣病の予防・診療の質向上に資するエビデンス創出研究

【概要】①ゲノムデータやビッグデータ等を活用し、循環器病等の生活習慣病の予防法・診断法・早期介入法・リハビリテーションを含む治療法・重症化予防・予後・QOLの改善に資する新規エビデンスを創出する。②生活習慣病の発症・重症化に及ぼす影響に関するランダム化比較試験等による質の高い前向き研究を実施し、新規診断・治療エビデンスを検証する。③既存のコホートデータを利用して高血圧、糖尿病、脂質異常症以外の循環器病等の残存リスク因子の解明や、大規模データに基づくゲノム・オミックス解析やAIを活用して、循環器病等に対する革新的な診断法や治療法の開発を行う。

【成果の活用】診療ガイドラインの改定等の予防・診療の質向上に資するエビデンスを創出し、健康寿命の延伸を目指す。

【課題名】生活習慣病領域におけるデータの利活用のための研究

【概要】①ライフステージを俯瞰した生活習慣病の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進するため、ゲノム・データ基盤の整備・利活用の促進を進める。②バイオバンク等を利用し、詳細な診療情報に裏打ちされた生体試料などのビッグデータを収集・AI等を用いた解析を進める。

【成果の活用】生活習慣病領域におけるデータベースを作成し、利活用することで、医療分野の発展に資する研究開発及びその成果の実用化を促進する。

<疾患基礎研究PJ>

【課題名】生活習慣病の病態解明研究

【概要】生活習慣病の既存の危険因子以外の新たな危険因子の同定に繋がる分子機序等を解明し、病態解明を行う。

【成果の活用】未知の疾患メカニズムを解明することにより、新規の予防、診断、治療法の開発につなげる基盤を創出する。

【課題名】生活習慣病の予防・診断・治療のためのシーズ探索研究

【概要】生活習慣病の機序にもとづき、循環器病等（心血管疾患、心不全、脳卒中等）に対するバイオマーカーの探索や創薬標的の同定等、新規予防・診断・治療法の開発につながるシーズを探索し、その有用性を検証する。

【成果の活用】予防・診断・治療に活用できる新規シーズを探索し、トランスレーショナルリサーチへつなげ、基礎研究の実用化を促進する。

II 参考

- 1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画】（令和4年6月7日閣議決定）

Ⅲ. 新しい資本主義に向けた計画的な重点投資

1. 人への分配と投資

- (4) 子供・現役世代・高齢者まで幅広い世代の活躍を応援
(予防・重症化予防・健康づくりの推進)

- ・2024年度の次期国民健康づくり運動プランの開始に向けて、2023年度の地方公共団体の健康増進計画の策定・公表を支援する。

4. GX及びDXへの投資

(2) DXへの投資

(医療のDX)

- ・マイナポータル等を通じた個人の健診・検診情報の提供として、「データヘルス改革に関する工程表」に基づき、学校健診及び40歳未満の事業主健診情報の提供を2023年度までに進める。
- ・質の高いPHRサービスの創出のため、データの標準化やポータビリティ・セキュリティの確保に向けたガイドラインの策定等を行う事業者団体の2023年度早期での設立を支援する。

【成長戦略等のフォローアップ】（令和5年6月16日閣議決定）

I. 「人への投資・構造的賃上げと三位一体の労働市場改革の指針」

(予防・重症化予防・健康づくりの推進)

- ・予防・重症化予防・健康づくりの推進のために2024年度から始まる「第4期特定健康診査等実施計画」の円滑な実施に向けて、特定保健指導におけるアウトカム評価の導入、成果の見える化、ICT活用の推進等の見直しを行う。

【経済財政運営と改革の基本方針2023】（令和5年6月16日閣議決定）

第4章 中長期の経済財政運営

2. 持続可能な社会保障制度の構築

(社会保障分野における経済財政一体改革の強化・推進)

医療DX推進本部において策定した工程表に基づき、医療DXの推進に向けた取組について必要な支援を行いつつ政府を挙げて確実に実現する。レセプト・特定健診情報等に加え、介護保険、母子保健、予防接種、電子処方箋、電子カルテ等の医療介護全般にわたる情報を共有・交換できる「全国医療情報プラットフォーム」の創設及び電子カルテ情報の標準化等を進めるとともに、PHRとして本人が検査結果等を確認し、自らの健康づくりに活用できる仕組みを整備する。健康寿命を延伸し、高齢者の労働参加を拡大するためにも、健康づくり・予防・重症化予防を強化し、デジタル技術を活用したヘルスケアイノベーションの推進やデジタルヘルスを含めた医療分野のスタートアップへの伴走支援などの環境整備に取り組むとともに、第3期データヘルス計画を見据え、エビデンスに基づく保健事業を推進する。

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

4. 具体的施策

4.1. 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の推進

(1) 研究開発の推進

○疾患領域に関連した研究開発

(生活習慣病)

・個人に最適な糖尿病等の生活習慣病の重症化予防方法及び重症化後の予後改善、QOL向上等に資する研究開発。AI等を利用した生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法の確立・循環器病の病態解明や革新的な予防、診断、治療、リハビリテーション等に関する方法に資する研究開発

4.2. 健康長寿社会の形成に資する新産業創出及び国際展開の促進等

4.2.1. 新産業創出(1) 公的保険外のヘルスケア産業の促進等

○適正なサービス提供のための環境整備

データ等を活用した予防・健康づくりの健康増進効果等に関するエビデンスを確認・蓄積するための実証を行う。

・生活習慣病等との関連について最新の科学的な知見・データを収集し、健診項目等の在り方について議論を行う。また、特定健診については実施主体である保険者による議論も経て、健診項目等の継続した見直しを行う。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

本研究事業では健康づくり、健診・保健指導、生活習慣病対策等について、患者及び臨床医等のニーズを網羅的に把握し、臨床応用への実現可能性等から有望なシーズを絞り込み、研究開発を進めている。こうした研究の成果を国民に還元するため、厚生労働省が実施する「循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策総合研究事業」において、施策の見直しや制度設計、政策の立案・実行等につなげる研究を実施している。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト、疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	女性の健康の包括的支援実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局健康課
AMED担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部・医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
		141,611	149,695

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

「第5次男女共同参画基本計画」（令和2年12月25日閣議決定）に記載のように、女性の就業等の増加、生涯出産数の減少による月経回数増加、晩婚化等による初産年齢の上昇、平均寿命の伸長など様々な要因により女性の健康が脅かされている。加えて、人生100年時代を見据え、女性の更なる活躍や健康寿命の延伸のために、治療方法に関する周知啓発も含め、更年期前後からの健康支援が重要である。

したがって、国民のヘルスリテラシー（健康について最低限知っておくべき知識）を向上させるとともに、年代ごとの課題、健康を阻害する社会的要因、健康課題における性差の機序等への対応も含め、女性の健康に関わる問題の変化に応じた支援を推進するために、女性の身体的・精神的な健康及び女性医療に関する調査・研究の推進が求められている。

【事業目標】

女性の健康に関する課題解決を目標として、ライフステージの各段階に応じて心身の状況が大きく変化する女性の生涯を通じた健康や疾患について、心身における性差も加味して多面的かつ包括的にとらえ、エビデンスに基づいた健康増進に資する研究成果の創出とその実用化を推進する。

【研究の範囲】

- ・ 女性特有の疾病に関する疫学・臨床・基礎研究
- ・ 男女共通課題のうち特に女性の健康に資する疫学・臨床・基礎研究

【期待されるアウトプット】

女性特有の疾患の生活習慣の改善等による予防法等の開発や性差に着目した健康増進に係る手法等の開発など、エビデンスの創出から実用化に資する研究成果が期待される。

<ゲノム・データ基盤PJ>

- ・ 研究成果の科学誌（IF5以上）への論文掲載件数 20件
- ・ 新たな疾患発症メカニズム解明の件数 1件
- ・ 研究成果の科学誌（IF5未満等の他の科学誌）への論文掲載状況（管理指標）

<疾患基礎研究PJ>

- ・ 研究成果の科学誌（IF5未満等の他の科学誌）への論文掲載状況（管理指標）

【期待されるアウトカム】

女性の健康や疾患の問題を、心身における性差も加味して、ライフステージを多面的に捉えた研究事業を推進することによって、女性がより良い生涯を選択するための健康を提供できるような社会が創成される。

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

〔女性特有の疾病に関する疫学・臨床・基礎研究〕

【課題名】子宮腺筋症のゲノムおよびトランスクリプトーム解析に基づく発症・進展機序の解明と分子を標的とした診断・治療への応用（令和元～3年度）

【概要】ゲノム・トランスクリプトーム解析、培養系及びマウスモデルによる解析により、子宮腺筋症間質は炎症性サイトカイン IL-6 産生が豊富で、その下流シグナル STAT3 の子宮腺筋症病変における活性化が子宮腺筋症病変の病態の形成・進行に寄与していることを明らかにした。また子宮腺筋症病変と正所性子宮内膜の上皮には KRAS 変異が高頻度に起こっており、子宮内膜症や経膈分娩等が KRAS 変異の頻度を高める因子であることを明らかにした。

【成果の活用】炎症性サイトカイン経路や遺伝子変異を標的にした子宮腺筋症の新規治療法の開発や、子宮腺筋症に合併する不妊症の診断法の開発に貢献する。

〔男女共通課題のうち特に女性の健康に資する疫学・臨床・基礎研究〕

【課題名】女性診療を支援する「AI 診断ナビゲーションシステム:WaiSE」の開発（令和元～3年度）

【概要】女性専門外来受診者（約 5,000 名）の医療記録を用いて、女性の自覚症状等と最終診断の関連解析を行った。その結果と過去の文献による知見を用いて、女性の頻出症状に関して、女性に特化した診断アルゴリズムを作成し、これを用いて女性の多彩な自覚症状を把握し、女性の健康管理、受診勧奨、医師の診療を支援する「AI 診断ナビゲーションシステム:WaiSE」を開発した。

【成果の活用】女性の受診行動、医師の適切な診断を促し、早期発見・治療に貢献するとともに、問診の効率・質の向上、オンライン診療、健診・人間ドック前の問診等への活用も期待される。

【課題名】女性特有の慢性疼痛緩和を目指した痛みの性差形成機構の解明（令和 3～5 年度：継続中）

【概要】坐骨神経傷害モデルマウスに男性ホルモン（テストステロン）を投与すると、雌マウスでのみ用量依存的にアロディニア（異痛症）が抑制され、また坐骨神経傷害後に生じる脊髄ミクログリアの活性化が抑制されることを明らかにした。さらに脊髄後角サンプルにおいて、雌雄差またはテストステロンの投与により発現変化が認められる遺伝子を網羅的に解析したところ、神経の機能調節に関与する分子の変化が認められ、新規の疼痛抑制因子の候補を複数見出した。

【成果の活用】アンドロゲンシグナルを介したミクログリア抑制機構の解明を行い、ミクログリア動態に基づく女性の痛みの評価系を樹立する。また痛みの性差の基盤を成すアンドロゲン依存性痛み関連分子を同定し、女性に有効な慢性疼痛治療薬の開発を行う。

2 令和6年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

〔女性特有の疾病に関する疫学・臨床・基礎研究〕

【課題名】子宮内膜ゲノム情報に基づいた子宮内膜症の病態解明と発症予測モデルの開発

【概要】子宮内膜と子宮内膜症・子宮腺筋症のゲノム共通性について検証し、腫瘍内の位置情報・ゲノム情報・トランスクリプトーム情報を統合して子宮内膜症及び子宮腺筋症におけるクローン性増殖の時期を推定し、さらに子宮内膜オルガノイドへ遺伝子変異を導入することで子宮内膜症・子宮腺筋症を再現し、子宮内膜症・子宮腺筋症の原因となる遺伝子変異を同定する。令和6年度は、予測モデルの精度をさらに高めるために、ゲノム解析・トランスクリプトーム解析を充実させる必要がある。

【成果の活用】本研究で創出したエビデンスに基づいて、子宮内膜症・子宮腺筋症の予測法と予防法の開発が期待される。

【課題名】プレコンセプション期の健康管理最適化実現のためのリアルワールドデータ等大規模データを活用したエビデンス創出

【概要】就労女性レジストリによる月経困難症等の罹患率と医療機関受診率の検討、携帯アプリで記録されたデータによる社会生活因子と月経・妊娠等の関連の検討、保険データによる妊娠前疾患及びそれに対する介入と不妊予後・周産期予後の関連を検討する。令和6年度は保険データベースと学会等が管理運営する既存データベースのリンケージを行い、プレコンセプション期女性の健康に資するエビデンスを今後も継続して創出するための研究基盤を構築する必要がある。

【成果の活用】プレコンセプション期における生活習慣の改善、医療機関の受診推奨、治療戦略の立案等に資するエビデンスの継続的な創出が期待される。

〔男女共通課題のうち特に女性の健康に資する疫学・臨床・基礎研究〕

【課題名】性差をみとめる運動器疾患の病態の解明とそれに基づく診断・治療・予防戦略の開発

【概要】複数のコホートのデータを用いて、骨粗鬆症・サルコペニア・フレイルの予防・診断・治療に関する性差について、新たなエビデンスを創出する。またこれまでに収集したコホートのデータをAIに機械学習させ、男女差を考慮した一次予防システムを開発する。令和6年度は、一次予防システムのfeasibilityを確認しながら、その実用化をさらに推進する必要がある。

【成果の活用】骨粗鬆症、サルコペニア、フレイルのリスクを評価することで、行動変容を促し、一次予防に繋げることが期待される。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

〔女性特有の疾病に関する疫学・臨床・基礎研究〕

【課題名】女性の多様なライフスタイルを踏まえた、女性ホルモン等の影響による健康課題の予防や健康増進に資する研究開発

【概要】昨今の女性のめざましい社会進出に伴い、新たに就労等によりもたらされる心

身の負荷が女性の生理・病理に様々な影響を及ぼしている。例えば、仕事に育児・介護等による負担が重なることにより月経痛・月経前症候群・更年期症状・メンタルヘルスの不調などが増強し、またそれにより仕事の負荷がさらに増すといった悪循環がみられる。本研究では、就労・育児・介護等、女性のライフスタイルに関する多様な因子も考慮した上で、女性ホルモン等の影響による健康課題の予防や健康増進に資する手法等を開発する。

【成果の活用】女性ホルモンを軸とした健康課題の特徴の解明・管理により、女性ホルモン等の影響による健康課題の予防や健康増進に資する手法の開発につなげることで女性の QOL 向上を目指す。

【課題名】女性特有の臓器・器官に関する疾病の予防や生活の質の向上に資するエビデンスの創出

【概要】晩産化・少産化等に伴う生涯月経回数の増加は、女性特有の臓器・器官に関する疾病の発症に影響することが指摘されており、女性のライフスタイルの変化等に視点を置いた予防法の開発を行う必要がある。本研究では、ゲノムデータやレジストリ等を活用し、子宮内膜症・子宮腺筋症・卵巣疾患等の女性特有の臓器・器官に関する疾患の予防や健康増進に資する新たな介入方法を開発する。

【成果の活用】女性特有の疾患等の予防や健康増進に資する手法の開発につなげることで女性の QOL 向上を目指す。

【課題名】若年女性に特有の疾病の予防・健康増進のための研究基盤の構築

【概要】若年時（思春期～性成熟期）の女性におけるやせ・肥満や月経異常等の健康課題、飲酒・喫煙・運動・食事・睡眠等の生活習慣は、後年の健康状態を通じて出産・育児等に影響を及ぼす。一方、若年女性の健康課題や生活習慣へ介入の有効性を高めるためのエビデンスは不足している。本研究では、若年女性に特有の疾病の予防・健康増進のための介入が、生涯を通じた QOL 向上に与える影響を評価するための研究基盤の構築を目的とする。

【成果の活用】若年時の健康管理に関する効果的な支援を行うことで、生涯にわたる女性の QOL 向上を目指す。

[男女共通課題のうち特に女性の健康に資する疫学・臨床・基礎研究]

【課題名】性差を考慮した健康課題の予防・健康増進に関する研究

【概要】若年期のやせ、中高年期の循環器系疾患・運動器系疾患・痛み・倦怠感・不定愁訴等、男女共通の健康課題のなかには、女性において特に問題となるものがある。これらの発症や経過の性差には、生物学的な要因（性ホルモンの分泌等）と社会的な要因（ライフイベントやそれが後年の人生に与える影響、医療資源へのアクセス可能性の違い等）の両面が影響すると考えられ、女性の健康課題を解決するためにはこれらの要因を踏まえた保健・医療・福祉の対策が必須である。本研究では、学際的研究やビッグデータに基づき、男女共通の健康課題の発症・経過における性差を多次元的に解明する。

【成果の活用】男女共通課題について、生物学的性差と社会的性差の両面を考慮した健康課題の予防健康増進に資する手法の開発の検討につなげることで女性の QOL 向上を目指す。

【課題名】性差による発症メカニズム等の差異に関する研究

【概要】本研究では、特に性ホルモンの分泌やその感受性等における生物学的な性差要因に着目し、男女の病態の差異を解明することで、予防・健康増進に繋がる新たなシーズを同定する。

【成果の活用】男女共通課題について、ホルモン等の生体内の環境に起因する生物学的性差を考慮した疾病の予防、健康増進に資する手法の開発の検討につなげることで女性のQOL向上を目指す。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

「経済財政運営と改革の基本方針（骨太方針）2023」（令和5年6月16日閣議決定）

【第2章. 4. 包摂社会の実現】女性活躍

「女性版骨太の方針2023」に基づき、L字カーブの解消に資するよう、女性活躍と経済成長の好循環の実現に向けて、（中略）、DV対策、性犯罪・性暴力対策、困難な問題を抱える女性への支援に関する法律の円滑な施行、事業主健診の充実、フェムテックの活用やナショナルセンター機能の構築を含めた女性の健康支援、WPS等により女性が尊厳と誇りを持って生きられる社会を実現する。

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

【4. -4.1-（1）】研究開発の推進

○ 疾患領域に関連した研究開発

2040年の人口動態を見据え、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野に係る研究開発を戦略的・体系的に推進する観点から、（中略）、成育、（中略）等については、具体的な疾患に関して統合プロジェクトにまたがる研究課題間の連携が常時十分に確保されるよう運用するとともに、統合プロジェクトとは別に、予算規模や研究開発の状況等を把握・検証し、対外的に明らかにするほか、関係府省において事業の検討等の参考にする。

（成育）

- ・ 周産期・小児期から生殖期に至るまでの心身の健康や疾患に関する予防・診断、早期介入、治療方法の研究開発
- ・ 月経関連疾患、更年期障害等の女性ホルモンに関連する疾患に関する研究開発や疾患性差・至適薬物療法など性差に関わる研究開発

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

「女性の健康の包括的支援実用化研究事業」では、女性特有の疾病に関する研究、男女共通課題のうち特に女性の健康に資する研究等を行っている。一方、厚生労働科学研究費補助金で実施する「女性の健康の包括的支援政策研究事業」は、こうした成果を国民に還元するため、女性の健康に関する社会環境の整備に関する研究等を実施し、研究

成果を施策に反映することを目的としている。

AMED が実施する「成育疾患克服等総合研究事業」は、受精・妊娠に始まり、胎児期、新生児期、乳児期、学童期、思春期までのライフステージに応じた健康課題克服、また、生殖補助医療・母胎疾患・分娩等に関する病態解明、診断・治療技術の開発、実用化にフォーカスをおいているが、「女性の健康の包括的支援実用化研究事業」は性成熟期、更年期または老年期までを含めた女性の健康課題に関する病態の解明と予防及び治療開発とその実用化を目的としている。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	腎疾患実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局がん・疾病対策課
AMED 担当部・課名	疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課 創薬事業部 医薬品研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	71,652	75,743	74,801

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

平成30年7月に腎疾患対策検討会報告書～腎疾患対策の更なる推進を目指して～が取りまとめられ、自覚症状に乏しい慢性腎臓病（CKD）を早期に発見・診断し、良質で適切な治療を早期から実施・継続することにより、CKD重症化予防を徹底するとともに、CKD患者（透析患者及び腎移植患者を含む）のQOLの維持向上を図ることを全体目標とし、地域におけるCKD診療体制の充実や2028年までに年間新規透析導入患者数を35,000人以下（平成28年比で約10%減少）とする等のKPI、さらに、個別対策を進捗管理するための評価指標等が設定された。

本事業では、上記の報告書に基づき、腎疾患の病態解明や診断法の開発、治療法開発、新規透析導入患者減少の早期実現等を目的とした研究を推進する。

【事業目標】

- ① 2028年までに年間新規透析導入患者数を35,000人以下（平成28年比で約10%減少）とする等の、上記の報告書に基づく対策のKPI達成に寄与する。
- ② 腎疾患対策に資する研究を実施し、研究成果の効果的な普及や国際展開を行う。

【研究の範囲】

- ・CKDの病態解明研究
- ・腎臓そのものをターゲットにした腎機能を改善する治療法の開発研究

【期待されるアウトプット】

- ・CKDで引き起こされる病因遺伝子の同定、病態機構の解明
- ・CKDの病態解明に基づく効果的な新規治療薬の開発

【期待されるアウトカム】

上記の様な事業成果の導出により、CKD重症化予防の徹底とともに、CKD患者のQOLの維持向上等の腎疾患対策のさらなる推進につながる。

具体的には2028年までに年間新規透析導入患者数を35,000人以下（平成28年比で約10%減少）とする。

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 アミノ酸キラリティを標的とした分子病態の解明（令和元～3年度）

【概要】 キラルアミノ酸の解析により、予後を反映するD-アミノ酸とその産生菌、トラ

ンスポーター同定を通じ、病態を解明することにより、新規バイオマーカー・治療法の開発を行った。

【成果の活用】D-アミノ酸が AKI の治療標的およびバイオマーカーとなる可能性があるため、腎臓病に対する新しい戦略となり得る。今後創薬に発展すれば、新規 CKD 治療薬の登場により、透析患者数減少、医療費削減に繋がる可能性が見込まれる。

2 令和6年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】ヒト腎臓病における3次リンパ組織の役割の解明と治療介入対象としての蓋然性の検討

【概要】腎臓にリンパ節に類似した構造物である「3次リンパ組織」が形成され、炎症性微小環境として働くことで腎障害の修復が妨げられることが分かっており、この3次リンパ組織の病態機構を解明し治療標的に結びつけることを目指す。令和6年度は3次リンパ組織を標的とした治療法が有効と思われるヒト腎臓病を同定するに当たり、さらに広範なヒト腎臓病における3次リンパ組織での解析をより一層推進する必要がある。

【成果の活用】Tリンパ細胞シグナル機構など3次リンパ組織における基礎的なデータを蓄積することで、免疫学的な治療アプローチの確立に寄与する。

【課題名】ポドサイト DNA 損傷に起因する病原性メモリーT細胞を標的にした治療法開発

【概要】腎ポドサイト DNA 損傷により腎臓において増加する NKG2D(+)CD8(+)T細胞の抑制が腎障害抑制効果を有するかについて、マウス腎症モデルを用いて明らかにする。更に、ナノ粒子技術を用いて、ポドサイトを標的とした NKG2D シグナル抑制治療法の開発を行う。令和6年度は分子設計を完成させたポドサイト NKG2D リガンドブロック (IgG 及び siRNA) の腎障害抑制効果を検討するに当たり、各種腎炎モデルでの治療効果の検証をより一層推進する必要がある。

【成果の活用】NKG2D シグナル抑制治療薬の実用化を通じ、CKD 治療に繋げる。

【課題名】急性腎障害に対するメガリン拮抗剤の開発

【概要】新規メガリン拮抗剤の探索を進め、溶血関連腎症・造影剤腎症に対する新規メガリン拮抗剤の非臨床 POC 取得を目指す。令和6年度は最適化したメガリン拮抗剤の効果を検討するに当たり、in vivo の病態モデルを作製し化合物の薬効評価をより一層推進する必要がある。

【成果の活用】溶血関連腎症・造影剤腎症の予防・治療薬への応用が期待される。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】腎疾患に対する独創的な病態解明研究

【概要】バイオマーカーのさらに詳細な解析等、腎機能障害の進行に伴う病態変化の解

明につながる研究を、原疾患を問わないCKDを対象とし、より高精度な診断法の開発等に展開する。

【成果の活用】新規透析導入患者減少の早期実現を目指すために腎疾患の病態解明を行い、創薬研究に繋げる。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【経済財政運営と改革の基本方針 2023】（令和5年6月16日閣議決定）

第4章 中長期の経済財政運営

2. 持続可能な社会保障制度の構築

（社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進）

また、難聴対策、難病対策、移植医療対策、慢性腎臓病対策、アレルギー疾患対策、メンタルヘルス対策、栄養対策等を着実に推進する。

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

4. 具体的施策

4.1. 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の推進

(1) 研究開発の推進

疾患領域に関連した研究開発

（生活習慣病）

・慢性腎臓病の診断薬や医薬品シーズの探索及び腎疾患の病態解明や診療エビデンスの創出に資する研究開発

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

【厚生労働科学研究】

厚生労働科学研究の「腎疾患政策研究事業」では診療体制の構築や普及啓発、人材育成等を実施し、AMED研究の「腎疾患実用化研究事業」においては病態解明、診断法や治療法の開発やデータベースを活用したエビデンス構築等を実施している。「腎疾患実用化研究事業」で得られたエビデンスや診断法、新規治療法等の成果を「腎疾患政策研究事業」に活用し、新規透析導入患者減少の全体KPI管理のために役立てる。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、ゲノム・データ基盤プロジェクト 疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	免疫アレルギー疾患実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局 がん・疾病対策課
AMED 担当部・課名	疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課、創薬事業部 医薬品研究開発課、ゲノム・データ基盤事業部 医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	678,267	716,989	708,075

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

本事業は、アレルギー疾患（アレルギー疾患：気管支ぜん息、アトピー性皮膚炎、アレルギー性鼻炎、アレルギー性結膜炎、花粉症、食物アレルギー、その他アレルゲンに起因する人体に有害な局所的または全身的反応に関わる疾患）、免疫疾患（関節リウマチや皮膚・粘膜臓器（腸管、気管、生殖器等）の異常に起因する疾患等）を対象とする。

現状では、免疫アレルギー疾患を有する患者は国民の半数以上に上り、増加傾向にある。しかし免疫アレルギー疾患の病態は十分に解明されておらず、また根治的な治療法も確立されていないため、患者の長期的な QOL 低下を招いている。

アレルギー疾患については、平成 26 年に「アレルギー疾患対策基本法」が成立し、平成 29 年に「アレルギー疾患対策の推進に関する基本的な指針」（以下、基本指針）が策定され、令和 4 年 3 月には一部改正された。基本指針の中で、研究については、アレルギー疾患の本態解明、革新的なアレルギー疾患の治療に関する方法の開発に資する研究を促進するとともに、成果が活用されるよう必要な施策を講じることとされている。また、免疫アレルギー疾患研究の総合的な推進を目指して、平成 31 年に発出された「免疫アレルギー疾患研究 10 か年戦略」（以下、10 か年戦略）では、①免疫アレルギー疾患の本態解明、②本領域研究の効果的な推進と評価に関する横断的な研究、③免疫アレルギー疾患に特徴的であるライフステージ等の特性に注目した研究戦略が策定され、10 年後を見据えた目標が設定されている。10 か年戦略では、産学官民の連携と患者の参画に基づいて、免疫アレルギー疾患に関して「発症予防・重症化予防による QOL 改善」と「防ぎ得る死の根絶」のために、「疾患活動性や生活満足度の見える化」や「病態の見える化に基づく層別化医療及び予防的・先制的医療の実現」を通じて、ライフステージに応じて、安心して生活できる社会を構築することを目指している。

【事業目標】

本事業は、厚生労働科学研究と連携しながら、10 か年戦略の中で特に戦略 1「本態解明」と戦略 3「疾患特性」において必要な研究開発を推進する。具体的には、免疫アレルギー疾患の病因・病態の解明等に関する研究や予防、診断及び治療法に関する質の高い基礎的研究に立脚した「成果やシーズ」を着実に実用化プロセスに移行して、創薬、医療技術、医療機器等の研究開発等を促進する。

【研究のスコープ】

＜医薬品プロジェクト＞

- ・重症/難治性/治療抵抗性免疫アレルギー疾患に対する治療薬の実用化に関する開発研究

新規薬事承認のための治験準備や遂行に巨額の資金が必要となり、また小児アレルギーを対象とする開発にリスクが伴うこと等、製薬会社の経営判断により免疫アレルギー疾患治療薬の開発が不足する可能性が指摘されている。新たな薬事承認を目指すリード物質の同定や非臨床又は臨床試験を支援し、予防、QOL 改善や予後向上に資する成果を導出する。

＜ゲノム・データ基盤プロジェクト＞

- ・疾患の多様性の理解と層別化に資する基盤的ゲノム・データ研究

免疫アレルギー疾患を層別化するための臨床情報・検体収集システム及び体制を整備し、検体・データ収集対象等を拡大して展開するとともに、時系列情報の添付、HLA 遺伝型を推定するインピュテーション情報付加や、疾患に関連する細胞や組織における発現解析やエピゲノム解析などゲノムデータ解析をさらに高度化する。また、患者の経時的情報や多数のフェノタイプ情報（ディープフェノタイピング）を付与した臨床情報を統合的に解析し、疾患の多様性の理解と層別化に基づく医薬品等の開発を促進する。

＜疾患基礎研究プロジェクト＞

- ・(若手研究者推進領域) 免疫アレルギー疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究・診療の質向上に資する研究

免疫アレルギー研究において優秀なシーズを世界に先駆けて創出していくために、重症・難治性・治療抵抗性の疾患の遺伝性要因の解明及び様々な外的因子との相互作用の解明などの基礎的な疾患研究を継続する。また、「10 か年戦略」にも示されている「国際的な人材の育成」に関して、若手研究者が代表者となる画期的な病態解明研究を推進し、彼らが将来のキャリアにおいて世界に飛躍するため、また実用化研究の端緒となる成果を創出するための支援を行う。

- ・ライフステージ等免疫アレルギー疾患の経時的特性解明を目指す研究

免疫アレルギー疾患の発症に周産期から発達期の年齢特異的免疫環境が大きく関係

する一方、高齢期には免疫学的老化過程が大きく関わる。この特性に沿った病態理解と予防・治療戦略の構築・最適化を推進する。

【期待されるアウトプット】

＜医薬品プロジェクト＞

免疫・アレルギー疾患の革新的な診断法・治療法となる医療技術（医薬品、医療機器等）の薬事承認に向けた、治験準備、医師主導治験、企業導出。もしくは、適応拡大が期待される既存薬に関する臨床試験（医師主導治験）の開始及び承認、企業への導出。

(非臨床 POC の取得件数 1 件以上)

＜ゲノム・データ基盤プロジェクト＞

免疫アレルギー疾患の特性に立脚してデザインされた、国際連携可能な標準化疾患データベースの整備、血液、皮膚、粘膜、尿、便等の検体収集・保管態勢の整備、層別

化された患者群ごとにエンドタイプを反映するバイオマーカーやディープフェノタイピングの統合的解析を実装化し、個別化治療プログラムにつながるシステムを確立する。これにより病態解明の成果や革新的予防法・診断法・治療法の開発に寄与するシーズ同定につなげる。

(研究成果の科学誌 (インパクトファクター 5 以上) への論文掲載件数 8 件以上
新たな疾患発症メカニズム解明件数 1 件以上)

<疾患基礎研究プロジェクト>

エビデンス創出を行う研究を重点的に取り組み、本事業の成果を利用して作成されたガイドライン等、もしくはガイドラインに引用された論文報告、革新的な病態機序の解明、医師主導治験へのステップアップ、企業導出につなげる。

(研究成果の科学誌への論文掲載 インパクトファクター 5 以上 100 件以上)

【期待されるアウトカム】

<医薬品プロジェクト>

シーズの企業への導出 1 件以上

<ゲノム・データ基盤プロジェクト>

臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 1 件以上

<疾患基礎研究プロジェクト>

シーズの他の統合PJや企業への導出件数 1 件以上

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

<医薬品プロジェクト>

【課題名】高機能性脂質代謝物を用いたアレルギー性皮膚炎制御法の開発 (令和元～3年度)

【概要】抗アレルギー、抗炎症活性を有する脂質代謝物を対象に、動物モデルを用いてアレルギー性皮膚炎に対する薬物・安全性評価や作用機序解明を行った。

【成果の活用】ポストバイオティクスの産生における腸内細菌と食事の関係を明らかにし、健康状態や病態と結びつけることで、個人ごとに最適な栄養指導や医療を提供する個別化/層別化栄養・医療の実現が期待される。

<ゲノム・データ基盤プロジェクト>

【課題名】免疫オミクス情報の横断的統合による関節リウマチのゲノム個別化医療の実現 (令和2～4年度)

【概要】関節リウマチにおける間質性肺炎リスク遺伝子領域を同定した。また、アジア人集団におけるマイクロ RNA 発現に影響を及ぼす遺伝的多型 (miRNA-eQTL) カタログを作成した。

【成果の活用】関節リウマチに合併する間質性肺炎の病態解明への寄与、並びに作成された miRNA-eQTL カタログを利用することで、アジア人集団における疾患感受性多型の背後に潜む分子メカニズムの解明が加速することが期待される。

<疾患基礎研究プロジェクト>

【課題名】自己免疫性疾患の臓器病変局所におけるシングルセル RNA シークエンスを用いたマルチオミクス解析による病態解明基盤の構築 (令和2～4年度)

【概要】日本人の免疫疾患患者および健常人の末梢血から分取した 28 種類の免疫細胞の遺伝子発現を定量化し、遺伝子多型が遺伝子発現に与える影響をカタログ化した

『ImmuNexUT』を作成した。

【成果の活用】『ImmuNexUT』は、アジア人のゲノム研究の発展や、欧米人のデータとの統合解析によるゲノム機能の詳細な解明に役立つことが期待される。

2 令和6年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

＜医薬品プロジェクト＞

【課題名】重症/難治性/治療抵抗性免疫アレルギー疾患に対する治療薬の実用化に関する開発研究

【概要】免疫アレルギー疾患では、長期間にわたり患者のQOLを大きく低下させる重症・難治性・治療抵抗性のケース、あるいはアナフィラキシーのように急速かつ重篤な症状をきたして致命的となるケースも珍しくない。そのため、これらのケースについて、シイズ同定や剤型・投与経路・投与量の設定等の検討を行い、既存治療の効果向上や既存治療に限らず効果的な新規治療を開発する。

【成果の活用】重症・難治性・治療抵抗性の免疫アレルギー疾患の治療薬の実用化を通して、基本指針に掲げられている、アレルギー疾患を有する者の生活の質の維持向上が期待される。

＜ゲノム・データ基盤プロジェクト＞

【課題名】将来の予防的・先制的医療の実用化を目指すゲノム・データ基盤研究

【概要】本疾患領域ではゲノム・データ研究に対する需要が強く、開発成果も強く期待されている。このためゲノム情報やエピゲノム情報取得等の検体解析、及びデータ解析結果に基づく病態解明とシイズ候補の探索準備を推進する。

【成果の活用】本研究の成果は10か年戦略により2030年までに、「標準化された免疫アレルギー疾患データベースの利活用に基づく層別化医療」、「疾患発症前・早期発症段階での適切な予防及び治療法選択」を実現する目的で利活用される。また、本研究で得られたシイズは企業等との連携を通じて実用化プロセスに移行し、医療応用を目指した次の開発へステップアップさせる。国内外の連携強化を通じ、本領域におけるわが国の国際競争力の向上につなげる。

＜疾患基礎研究プロジェクト＞

【課題名】食物アレルギーの解決に資する研究

【概要】食物アレルギーは患者の長期的なQOLの低下につながるだけでなく、アナフィラキシーにより致命的な転帰を取ることもあり、その解決が強く求められている。そのため、食物アレルギー患者情報、検体・アレルゲン解析、及び食物アレルギーの治療に関する臨床試験等を推進する。

【成果の活用】本研究の成果を利用して作成されたガイドライン等により食物アレルギーにおける「防ぎ得る死」の減少と、基本指針に掲げられている、アレルギー疾患を有する者のQOLの維持向上に寄与する。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

<医薬品プロジェクト>

【課題名】 アンメットメディカルニーズに応える革新的な薬剤開発に関する研究

【概要】 現在、食物アレルギーにおける最新のガイドラインにおいては「正しい診断に基づいた必要最小限の原因食物の除去」という管理が原則となっており、標準的な治療が存在しない等のアンメットメディカルニーズが存在する。また、アナフィラキシーを繰り返す重症食物アレルギーや抗炎症療法を常時必要とする重症アトピー性皮膚炎等の治療法を早急に開発する必要がある。そのため本研究では、アンメットメディカルニーズに応えられる根治療法、あるいは新規メカニズムによる革新的な治療法を導出することを目的とする。

【成果の活用】 根治療法の発展及び新規開発を推進することで、重症なアレルギー疾患の根治に資する治療薬の実用化が期待される。

<疾患基礎研究プロジェクト>

【課題名】 アレルゲン免疫療法の開発に資する研究

【概要】 基本指針において、「アレルゲン免疫療法（減感作療法）をはじめとする根治療法の発展及び新規開発を目指す」ことが求められている。一方で、我が国で標準的に行われているアレルゲン免疫療法は、アレルギー性鼻炎およびアトピー型喘息に対する皮下免疫療法と、ダニおよびスギ花粉によるアレルギー性鼻炎に対する舌下免疫療法のみであり、その他の抗原や疾患に対して製薬企業等による十分な開発が行われておらず、開発に向けた支援等を行う必要がある。

【成果の活用】 アレルゲン免疫療法の対象となるアレルゲンの種類を増やし、より多くのアレルギー疾患の根治を目指す。

【課題名】 移行期・成人期の特性に着目した免疫アレルギー疾患の診療の質向上に資する研究

【概要】 基本指針において、「小児期のみならず移行期・成人期のアレルギー診療についても実態調査を行うように努める」ことが求められており、また 10 か年戦略においても成人期発症の免疫アレルギー疾患研究を推進することが求められている。これらのライフステージに応じた疾患特性や治療に求められる注意点に何があるかを明らかにする。

【成果の活用】 ライフステージごとの特徴に起因するアンメットニーズを明らかにし、免疫アレルギー疾患患者の診療の質の向上を目指す。

【課題名】（若手研究者推進領域）免疫アレルギー疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究・診療の質向上に資する研究

【概要】 基礎研究、臨床研究の分野共に、免疫アレルギー疾患研究に従事する若手研究者が減少しているため、10 か年戦略にも示されている「国際的な人材の育成」を目標とし、若手研究者が代表者となる画期的な研究を推進する。

【成果の活用】 若手研究者への支援については、将来的に当該研究者のその後の活躍に関して適宜フォローを行い、他の統合プロジェクトへの導出を目指す。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【経済財政運営と改革の基本方針 2023】（令和5年6月16日閣議決定）

第3章「我が国を取り巻く環境変化への対応」 3. 国民生活の安全・安心

花粉症という社会問題の解決に向けて、「花粉症対策の全体像」に基づき、約30年後の花粉発生量の半減を目指した発生源対策、飛散対策、発症・曝露対策等に政府一体となって取り組む。

第4章「中長期の経済財政運営」 2. 持続可能な社会保障制度の構築

（社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進）

アレルギー疾患対策、（略）等を着実に推進する。

【新経済・財政再生計画 改革工程表 2022】（令和4年12月22日経済財政諮問会議）

KPI 第2階層

食物によるアナフィラキシーショック死亡者数ゼロ（2028年度まで）

【統合イノベーション戦略 2023】（令和5年6月9日閣議決定）

（1）先端科学技術の戦略的な推進

① 重要技術の国家戦略の推進と国家的重要課題への対応

（重要分野の戦略的対応の強化）健康・医療

難治性がん・希少がん、難病、脳神経疾患、自己免疫疾患等について、ゲノム創薬等の次世代創薬の推進により革新的医薬品を迅速に届ける。このため、ゲノムデータ基盤やバイオバンクにおいて、マルチオミックスの情報や臨床情報等を戦略的に収集、AI等の最新の解析手法を導入して利活用することにより、創薬プロセス等を格段に加速させる。

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

4. 具体的施策

4.1. 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の推進

(1) 研究開発の推進

○ 疾患領域に関連した研究開発

（生活習慣病）

・ 免疫アレルギー疾患の病態解明や予防、診断、治療法に資する研究開発

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

・ AMED が実施する「免疫アレルギー疾患実用化研究事業」は、革新的な免疫アレルギー疾患治療薬の開発やデータ基盤の構築、実用化に向けた病因・病態解明、適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた研究等を目的としている。一方、厚生労働科学研究費で実施する「免疫アレルギー疾患政策研究事業」は、こうした研究開発の成果を国民に還元するための免疫アレルギー疾患に関する情報提供の方策に関する研究や免疫ア

アレルギー疾患医療提供体制のあり方に関する研究等を実施し研究成果を施策に反映することを目的としている。

- 10 か年戦略は、内容的に政策的な部分もあるため、厚生労働研究事業と AMED 研究が互いに補完し合いながら、AMED 事業が特に医療開発研究を担当する形で全戦略を推進する。
- AMED 「循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業」との合同にて、COVID-19 感染による血栓症・血管炎の病態解明研究の公募を行い、令和 2 年度に合計 4 課題を採択、令和 4 年度まで研究を実施し、事業間・課題間連携を深めた。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	移植医療技術開発研究事業
主管部局・課室名	健康局難病対策課移植医療対策推進室
AMED担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部 医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	100,161	105,879	104,563

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

〈臓器・組織移植分野〉

脳死下での臓器提供数は年々増加しているが、移植希望者数と比較して十分ではなく、限られたドナーソースを有効に用いることでより多くの臓器提供につなげる必要がある。また、術後早期から長期にわたる移植関連合併症や移植片廃絶が未だ課題としてあげられる。

〈造血幹細胞移植分野〉

医療技術の進歩により造血幹細胞移植の予後が改善しているが、感染症、移植片対宿主病（GVHD）等の移植関連合併症や移植後再発の課題は依然として残っている。また、生存している患者についても、移植後合併症のためQOLが低下する等の問題がある。

【事業目標】

移植患者の治療成績向上に資する、原疾患や合併症に対する検査や治療の開発及び最適化のための研究を進める。

【研究の範囲】

- ・新たな移植片保存法、増幅法、デバイス等の技術開発
- ・国内外のレジストリデータの検証や移植後免疫学的特性の解析に基づく原疾患と合併症の病態解明、予防・治療法の開発
- ・新規技術による移植法の改良や移植後合併症、再発の予防・治療法の開発及び最適化

【期待されるアウトプット】

〈臓器・組織移植分野〉

臓器摘出-臓器移植が施行された患者や移植待機中の患者に関する医療情報と、各患者から採取・保存された試料を用いて集積された遺伝子情報等の関連を解析することによって、移植後免疫にかかる病態の解明や摘出臓器の機能障害の進展防止等の基盤となる。

〈造血幹細胞移植分野〉

骨髄・末梢血幹細胞・臍帯血それぞれについて、移植に係る医療情報を解析することによって、適切なドナー選択基準や移植後に生じる致死的合併症、移植後再発の予防法、治療法等を開発するための成果を得る。

〈具体的な KPI〉

令和6年度末までに、

- ・インパクトファクター5以上の論文：25件以上
- ・新たな疾患発症メカニズム解明：1件以上

【期待されるアウトカム】

臓器・組織移植分野、造血幹細胞移植分野の両分野において、ドナー選択法や新規移植法の開発、また、これらを踏まえた診療ガイドラインの策定及び普及等により、より適切な移植源からの臓器・組織移植、造血幹細胞移植を実施することが可能となり、移植医療の予後改善が期待される。また移植後合併症、移植後再発に対する早期バイオマーカーの創出や予防法・治療法を新規に開発・最適化することによって、依然として高率である合併症等により死に至る患者や QOL の低下に至る患者が減少することが期待される。

<具体的な KPI>

令和6年度末までに、

- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発：1件以上

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

〈臓器・組織移植分野〉

【課題名】 IL-6 アンブに基づいた移植腎慢性拒絶と薬剤性腎障害の早期バイオマーカーおよび治療標的の同定のための研究（令和2～4年度）

【概要】 移植腎慢性拒絶と薬剤性腎障害の IL-6 アンブ（過剰 NF κ B 活性化）誘導に関して分析するとともに、尿中エクソソームに着目し、慢性抗体関連拒絶や薬剤性腎障害の新規バイオマーカーとしての有用性を検証した。

【成果の活用】 タクロリムス毒性に関して IL-6 アンブの関与が判明し、ステロイドでの抑制効果が得られた。これにより、移植後の薬剤性腎障害発症抑制が期待できる。

〈造血幹細胞移植分野〉

【課題名】 マルチオミクス解析による移植後免疫再構築の解明と GVHD を予測する分子遺伝学的バイオマーカーの開発研究（令和2～4年度）

【概要】 移植患者の臨床検体スクリーニングから、移植後急性期におけるナイーブ B 細胞の回復遅延後の慢性 GVHD の発症と関連すること、移植後シクロホスファミドはこの B 細胞新生を促進することを示した。

【成果の活用】 GVHD の病態解明と新規予防法確立によって、特に末梢造血幹細胞移植の合併症の一つである慢性 GVHD に伴う移植後 QOL の低下を克服することが期待される。

2 令和6年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

〈臓器・組織移植分野〉

【課題名】 HLA エピトープ多型に基づく臓器移植のテーラーメイド医療開発に資する研究

【概要】 臓器移植(肝、肺、腎、脾)、造血幹細胞移植において、X、Y の免疫原性を実証するとともに HLA エピトープ解析に基づいた移植後免疫反応に関わる新規バイオマーカー開発」を目的とする。特に肝臓、肺の移植に関しては、拒絶反応は生命予後に

直結することから新規バイオマーカーの早期確立が喫緊の課題である。

【成果の活用】移植後免疫反応に関わる新規バイオマーカー等確立し、テーラーメイド医療を実施することで移植後予後改善に寄与する。

〈造血幹細胞移植分野〉

【課題名】遺伝子改変 T 細胞治療を中心とした細胞療法後の長期寛解を目指した幹細胞移植治療の最適化を目指す研究

【概要】造血器腫瘍に対する細胞治療の件数が増加する中、造血幹細胞移植との住み分けや効果的な移植のタイミングについて明らかにする必要がある。これは細胞治療と造血幹細胞移植の双方が高額な治療費を要し、患者にも大きな負担がかかる治療であることから、医療経済的、費用対効果の上から、優先的に検討すべき課題である。

【成果の活用】細胞治療の効果予測や造血幹細胞移植適応・タイミング決定のためのバイオマーカー等確立し、臨床に還元することで、治療成績が向上することが期待される。

（２）新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

〈臓器・組織移植分野〉

【課題名】臓器移植適応判断に資する研究

【概要】わが国の移植は臓器不足を背景にマージナルドナーの臓器を用いた移植が多くを占めている。しかし、マージナルドナーからの移植可否の判断は、移植施設の経験に基づいて行われており、移植後のレシピエントの予後も明らかではない。臓器移植に係るドナー・レシピエント双方のデータを一貫管理する体制整備や遺伝子情報も組み込んだビッグデータの解析を推進し、HLA エピトープ多型に基づくテーラーメイド医療の開発やドナー適応基準、レシピエント選択基準の見直しを行う。

【成果の活用】本研究の成果を元にドナー適応基準、レシピエント選択基準の見直しを行うことで、深刻な臓器不足や臓器移植希望登録者の待機期間の短縮への寄与が期待される。

〈造血幹細胞移植分野〉

【課題名】造血幹細胞移植に用いる最適な移植片の選択基準と移植法を確立するための研究

【概要】現在は r-SSO 法や NGS-SBT 法を用いてドナー・レシピエントの HLA 型のタイピングを行い、一定程度適合する造血幹細胞を用いた移植が行われている。更なる治療成績向上のために、より効率的な検査方法や移植成績向上につながるドナー選択基準の確立、適合度に応じた移植法の開発を行う。

【成果の活用】骨髄バンクドナーや臍帯血の選択基準として活用して、適合度に応じて免疫抑制薬や前処置が最適化される結果、移植成績の向上が期待される。

II 参考

- 1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【経済財政運営と改革の基本方針 2023】（令和 5 年 6 月 16 日閣議決定）

・ 第4章 2. (社会保障分野における経済・財政一体改革の強化・推進)。また、・・・移植医療対策²⁵⁷・・・等を着実に推進する。

²⁵⁷ 臓器取引と移植ツーリズムに関するイスタンブール宣言 2018年版において、「各国は臓器提供と臓器移植の自給自足の達成に努めるべきである」等とされたことを踏まえ、国内の移植医療を推進する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

本研究事業では、臓器・組織移植及び造血幹細胞移植について、提供者の意思を最大限尊重し、安全かつ長期的に良好な成績が期待できる新規移植療法の開発、最適な移植療法の確立、及び効率的な移植実施体制の実現を目指している。厚生労働科学研究の「移植医療基盤整備研究事業」は、AMEDで開発された技術・解明されたメカニズムに基づき、臓器・組織や造血幹細胞の提供にかかる基盤整備並びに普及啓発やガイドライン作成等を実施している。

プロジェクト名	疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	慢性の痛み解明研究事業
主管部局・課室名	健康局難病対策課
AMED 担当部・課名	疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
		60,809	64,280

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

厚生労働省の国民生活基礎調査によれば、多くの国民が慢性の痛みを抱えており、それが生活の質の低下を来す一因となっている。痛みは主観的な体験の表現であるために客観的な評価が難しく、併せて適切な慢性疼痛に対する治療法も十分に確立していない。「今後の慢性の痛み対策について（提言）」（平成22年9月、慢性の痛みに関する検討会）に基づき、慢性の難治性疼痛の病態や機序を解明するとともに、痛みの客観的評価法や新規疼痛治療法を開発し、各個人が抱える痛みの問題を解決することで、生活の質を向上させる必要がある。

【事業目標】

- ① 「今後の慢性の痛み対策について（提言）」に記載された3種類の慢性の痛み、すなわち、患者数の多い既知の疾患に伴う慢性の痛み、原因や病態が十分に解明されていない慢性の痛み、機能的要因により引き起こされる慢性の痛みについて、病態の解明等の基礎的な研究、評価法等の開発につなげる研究、及び客観的な評価法や効果的な治療法の開発を行う。
- ② 慢性の痛みについて分野・領域横断的な研究開発を行い、エビデンスの創出、構築を推進し、労働力の維持・向上、共助社会・共生社会づくり等の一端を担う研究開発を目指す。

【研究の範囲】

- ・慢性の痛みに対する客観的な評価法の開発
- ・慢性の痛みに対する効果的な治療法の開発
- ・慢性の痛みに対するエビデンス構築
- ・慢性の痛みに対するトランスレーショナルリサーチによる病態の解明

【期待されるアウトプット】

- ・慢性の痛みに対する客観的な指標を用いた診断法の開発
- ・慢性の痛みに対する新たな治療法の開発による疼痛の予防や軽減
- ・慢性の痛みに対する診療ガイドラインの作成や改訂につながるエビデンスの創出

【期待されるアウトカム】

上記の事業成果の導出により、慢性の痛み医療の均てん化、患者のQOLの向上に貢献する。また、慢性の痛みの評価指標の構築および治療の最適化を目指すことで、将来的な慢性の痛みを理由とする労働力の低下防止、障害や疾病の特性等に応じて最大限活躍

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】血中長鎖非コード RNA から予測する一次感覚神経の病態分子基盤に基づく神経障害性疼痛バイオマーカーの同定(令和元～3年度)

【概要】一次感覚神経培養細胞に対して様々な神経障害誘発刺激を行い、感覚神経の障害時に発現する長鎖非コード RNA を見出した。

【成果の活用】抗がん剤による末梢神経障害発症の早期予測、副作用リスク回避への活用を目指し、令和3年度に特許出願作業(特願 2021-179438 令和3年 11月2日)を完了した。今後、論文化を進めると共に企業導出を検討する。

2 令和6年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題(増額要求等する課題)の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】髄液リポドミクス解析による慢性の痛みの解明および医療への展開

【概要】髄液リポドミクス解析を基盤として神経障害性疼痛関連脂質を同定し、疼痛に関する臨床検査法の開発を行う。疼痛の原因として神経障害性によるものなのか、心因性などの別の要因なのかを鑑別する技術を開発して、的確な治療法選択に導くことで医療費削減に繋げることが可能となる。

【成果の活用】神経障害性疼痛をきたす疾患の客観的鑑別診断法の保険収載を通じ、実用化を目指す。

【課題名】慢性疼痛の客観的・定量的評価法の確立に向けたシーズ探索に関する研究

【概要】痛みは主観的な感覚であり診察所見と自覚症状が乖離することも多いため、適切な疼痛コントロールのために客観的・定量的な評価法の確立が急務である。

【成果の活用】客観的疼痛尺度ツールを臨床現場に応用し、適切な鎮痛薬投与量の調整が可能となることが期待される。

【課題名】侵害受容性疼痛としての特徴を持つ慢性疼痛における、物理的刺激に対する応答変容の機序解明に向けた研究

【概要】侵害受容器への刺激に起因する「侵害受容性疼痛」としての特徴を持つ慢性疼痛に関して、基礎研究の成果を臨床病態に応用して検討する必要がある。

【成果の活用】侵害受容性疼痛としての特徴を持つ慢性疼痛の機序を解明することで、評価法・診断法や効果的な治療法の確立に寄与する。

【課題名】慢性疼痛に影響する複合的要因の分析に基づく、効果的な治療法や介入法の確立に向けた研究

【概要】生育歴や社会的環境等の心理的・社会的要因等の複合的な要因を、先進の基礎・臨床・疫学研究で検証することによって、慢性疼痛の効果的な治療法や介入法の確立を目指す。

【成果の活用】当該要因による疼痛に対し効果的な治療法や介入法を実践し、疼痛の軽減を図ることを通じ、医療費削減に寄与することが期待される。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 痛みの慢性化の機序解明と予防法の開発に関する研究

【概要】 有効な治療法の開発は多数行われているが、予防法に着目した研究は少ないため、痛みの慢性化の機序を解明し、これに立脚した予防法開発を行う。

【成果の活用】 開発した予防法を実用化し、慢性的な疼痛を抱える患者数の減少及び医療費削減に繋げる。

【課題名】 慢性疼痛の客観的・定量的評価法の確立に向けたシーズ探索に関する研究

【概要】 慢性疼痛の発症・維持・症状増悪に関わる機序を分析し、臨床現場で活用できる客観的・定量的な疼痛評価指標の確立を目指す。

【成果の活用】 慢性疼痛尺度を客観的・定量的に示す評価ツールを医療現場で実用化し、薬効の客観的評価や薬物乱用の予防に繋げる。

【課題名】 心理的社会的要因による慢性疼痛に対する効果的な治療法の確立に関する研究

【概要】 疼痛の慢性化の要因の一つとして、生育歴や社会的環境等の心理的・社会的な因子の複合的影響が指摘されているが、詳細な病態の解明や治療法の確立には至っていない。心理的社会的要因による慢性疼痛に対する効果的な治療法を確立することを目標とする。

【成果の活用】 個々のライフステージを俯瞰した慢性疼痛に関する複合的要因を分析し、確立した治療法や介入法を現場に応用する。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【経済財政運営と改革の基本方針 2019】（令和元年6月21日閣議決定）

5. 重要課題への取組

(7) 暮らしの安全・安心

⑤ 共助・共生社会づくり

ガイドラインの作成や診療体制の充実などの慢性疼痛対策に取り組む。

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

4. 具体的施策

4.1. 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の推進

(1) 研究開発の推進

疾患領域に関連した研究開発

（精神・神経疾患）

・可視化技術導入等による慢性疼痛の機序解明、QOLの向上に資する治療法や、画期的な治療法開発に向けた慢性疼痛の定量的評価の確立に資する研究開発

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

○厚生労働科学研究

「慢性の痛み政策研究事業」では、診療体制の構築、普及啓発活動、疫学研究、診療ガイドライン等の作成・改訂、データベース構築への協力やAMED 研究を含めた関連研究との連携やとりまとめ等を行っている。

○AMED 内

他事業において慢性の痛みを対象とする公募の有無、当事業で対象とする慢性疼痛に関わる課題が採択された場合は情報共有し、研究成果の確度の向上にむけて協働している。

プロジェクト名	疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	エイズ対策実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局結核感染症課エイズ対策推進室
A MED 担当部・課名	疾患基礎研究事業部疾患基礎研究課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	515,682	545,122	538,344

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

世界での HIV 感染者は 2021 年末時点で約 3,840 万人と推定されており、日本では新規の HIV 感染者・エイズ患者が 1,057 件報告されている。治療薬の進歩により、HIV に感染してもその後のエイズ発症を抑制することが可能となってきたが、HIV 感染症自体は治癒することはなく、生涯にわたる薬剤服用が必要となる。また治療薬の進歩の一方で、薬剤耐性ウイルスの出現の可能性や、HIV 感染者の高齢化に伴う服薬アドヒアランスの確保などの問題もある。さらに、HIV 感染症罹患に伴い発生する合併症の制御も課題となっている。

【事業目標】

HIV 根治を目的とした医薬品開発、薬剤耐性 HIV に対応可能な新規治療戦略（ワクチン・治療薬、医薬品シーズ探索等）、それを支える基盤的研究（HIV 感染の機構解明、HIV 関連病態の解明と治療法開発、持続感染動物モデル開発等）を基礎から実用化まで一貫して推進する。併せて、HIV 感染症の基礎研究分野における若手研究者を育成し、HIV 感染症研究の人的基盤拡大を図る。

【研究の範囲】

○新規ワクチン・治療薬の開発に関する研究

HIV と宿主との相互作用を免疫学的観点から解析し、HIV 感染症の効果的な予防・治療法、感染拡大の抑制に効果の高いワクチン等免疫療法を開発する。また、薬剤耐性の問題を解決するため、新たな作用機序を持つ抗 HIV 薬等の創出を行う。

○HIV 感染の機構解明に関する研究

国内における HIV の流行を耐性変異の面から解析し、伝播性薬剤耐性変異の動向に加えて、国内流行 HIV の伝播クラスター解析に有用なデータや、感染者の臨床指標のデータの蓄積を行う。また、潜伏感染時のウイルスリザーバー（HIV 潜伏感染細胞）やウイルスの増殖・持続に関する基盤的研究の推進及び抗 HIV 薬の潜伏感染ウイルスへの有効性の評価を実施する。

○医薬品シーズ探索に関する研究

これまでに到達していない HIV 根治に向けた HIV 潜伏感染の機構解明に関する知見の創出と、それに付随する新たな治療標的シーズの探索を行う。

○新たな感染動物モデル開発に関する研究

HIV 感染症の根治を目指した治療法開発の基盤として、HIV 潜伏感染を部分的に再現できる小動物モデルの構築に資する研究を行う。

○HIV 関連病態解明と治療法開発に関する研究

HIV 関連病態としての血友病の根治を目指した次世代治療法・診断法の創出や ART (anti-retroviral therapy) の早期化と長期化に伴う日和見感染症への対処に関する研究を推進する。また、肝炎ウイルス合併症による肝硬変等の HIV 感染合併症の病態解明と治療法開発を推進する。

【期待されるアウトプット】

○新規ワクチン・治療薬の開発に関する研究

ワクチンの進展により HIV 感染抑制・複製制御に結びつく機能的抗体の誘導法の開発に繋げる。また、HIV の治癒に向けた新規免疫療法の基盤技術の開発に繋げる。

○HIV 感染の機構解明に関する研究

HIV 感染、複製、増殖機構を解明し、ウイルスの感染予防、治療につながる成果を獲得する。

○医薬品シーズ探索に関する研究

作用機序解明と物質改善を進め、より優れた抗 HIV 物質を創出する。また、創薬シーズ創出の情報・論理・技術基盤を強化し、新しい候補物質の同定に繋げる。

○新たな感染動物モデル開発に関する研究

リザーバーの形成機序の解明に寄与する知見の獲得、リザーバー排除法の検証モデルへの応用を通じて HIV 感染症の根治につながる治療法開発に供する感染動物モデルを構築する。

○HIV 関連病態解明と治療法開発に関する研究

HIV 関連病態の発症機序の解明、疫学的検討を行うとともに新たな予防法及び治療法を開発する。肝硬変等の HIV 感染合併症を標的とする治療薬を開発する。

(令和 7 年度までに研究成果のインパクトファクター 5 以上の科学誌への論文掲載 50 件)

【期待されるアウトカム】

○新規ワクチン・治療法開発では、予防 HIV ワクチンの実用化により、HIV 感染拡大抑制を介して、HIV 流行抑制に貢献する。

○HIV 根治を目的とした医薬品開発研究において、駆逐を可能とする治療法が実用化された場合、治療終了後は抗ウイルス薬の服用を中止することができ、QOL の向上とエイズ患者の一人あたりの医療費の大幅な削減に繋がる。

○遺伝子編集技術による血友病治療法の創出により、小児期からの製剤投与の必要がな

くなり、患者の QOL が改善され、国内の高額医療費の問題も解消できる。また、血友病合併 HIV/HCV 重複感染における肝硬変に対し、肝臓の線維化を改善させることにより肝予備能が改善できれば、非代償性肝硬変への進行を抑制でき肝がんの発症をも予防することが期待される。さらに非代償性肝硬変に進行している場合でも、本剤により蛋白質合成能などの肝機能を改善できれば、合併症を軽減することが可能となり、予後の延長が期待できる。

(令和 7 年度までにシーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出 1 件)

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 HIV 粘膜感染防御ワクチンに関する研究開発 (令和 3～5 年度)

【概要】 新規抗原を用いた CD8 陽性 T 細胞誘導 HIV ワクチンの経直腸粘膜感染防御効果を動物実験で明らかにした。また、多様性の高い表面蛋白抗原を用いない HIV ワクチンで、初めて抗体非依存性の粘膜感染防御効果を示した。

【成果の活用】 多様性の高い表面蛋白抗原を用いない設計は、各種ウイルスベクターなどを含むワクチンシーズにも応用が可能であり、新規抗原設計を導入した HIV ワクチンは、HIV の多様性に対して交差性の高い有効なワクチンとして期待される。

【課題名】 HIV 根治に向けた新規免疫細胞療法に関する研究 (令和 3～5 年度)

【概要】 HIV 特異的 TCR をヒト iPS 細胞に遺伝子導入した HIV-iPS-T (iPS 細胞由来 HIV 特異的 CD8+T 細胞) を作製し、親 CTL クローンよりも in vitro で長く生存し、HIV の複製を抑制できることを明らかにした。

【成果の活用】 HIV-iPS-T がウイルス複製に対して抑制的圧力を持続的に発揮する可能性を示したことにより、本研究で開発された新規免疫細胞療法が、HIV 根治のための新たな抗 HIV 治療法とすることが期待できる。

【課題名】 ヒト微生物叢を介した腸管免疫応答から紐解く HIV 感染者の非 AIDS 関連がんの発症機序 (令和 4～6 年度)

【概要】 日本人の腸内細菌叢 (Bacteriome) と腸内バクテリオファーージ (Virome) の解析を行い、ゲノム情報の同定結果から、HIV 感染症は他のどの因子 (食習慣、疾患、便形状、薬剤投与など) よりも Bacteriome と Virome の構成異常 (Dysbiosis) があることを明らかにした。さらに、様々な薬剤種類の中でも抗 HIV 薬の腸内環境への影響度は高く、Bacteriome の dysbiosis (構成異常) も認めるが、Virome の影響度がより高いことを解明した。

【成果の活用】 HIV 感染症、抗 HIV 薬の使用が腸内環境に影響することが示され、ホスト-ウイルスの関係に加え、腸内細菌・ウイルス叢の多様性といった外的因子も加味した HIV 感染者の治療戦略の構築が期待できる。

2 令和 6 年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題 (増額要求等する課題) の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 新規ワクチン・治療薬開発に関する研究

【概要】 抗 HIV 薬の進歩により、HIV に感染してもその後のエイズ発症を抑制すること

が可能となったが、HIV 感染症自体は根治することはなく、生涯にわたる薬剤服用が必要である。長期服用による薬剤耐性ウイルスの出現や副作用、長期の HIV 感染に伴う合併症などの課題が生じていることから、HIV 感染症の根治を目指したワクチン・治療薬の開発を推進する必要がある。

【成果の活用】根治に資する新規ワクチン・治療薬が実用化すれば、患者の QOL の向上や医療経済上の負担軽減につながる。

【課題名】 HIV 感染の機構解明に関する研究

【概要】 HIV 感染症根治には潜伏感染ウイルスを排除することが必須であることから、潜伏感染時のウイルスリザーバーやウイルスの増殖・持続に関する基盤的研究の推進及び抗 HIV 薬の潜伏感染ウイルスへの有効性を評価することが必要となる。また、腸内環境等の外的因子に対する AIDS・抗 HIV 治療が及ぼす影響や、それらが HIV 感染者に及ぼす影響を踏まえた HIV 感染症克服を目指す必要がある。

【成果の活用】 HIV 感染機構について最新の知見を得ることが可能となり、新たな抗 HIV 療法の確立につながる。

【課題名】 HIV 関連病態解明と治療法開発に関する研究

【概要】 HIV 感染症では、エイズで死亡することはほぼ無くなってきたが、C 型肝炎ウイルス感染症、悪性腫瘍、加齢に伴う HIV 感染者の合併症等が大きな問題である。特に、血友病合併 HIV 感染者はこれらの合併症に悩まされていることが多いため、重点的に研究を推進する必要がある。血友病合併 HIV 感染者における HCV 重複感染の C 型慢性肝炎例は、HCV 単独感染例と比較して肝線維化の進行が早く、詳細な病態解析、有用な治療法の開発は喫緊の課題であるため、実用化に向けて推進する必要がある。

【成果の活用】 本研究成果が実用化されれば、合併症を軽減することが可能となる。特に、有効な治療法がない血友病合併 HIV/HCV 肝硬変患者にとって新たな治療の選択肢となる可能性がある。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

令和 6 年度は以下の新規研究課題を推進する。また、これらの課題においては、若手研究者が研究代表者として研究を進められる機会を作り、HIV 感染症研究の人的基盤の拡大を推進する。

【課題名】 臨床試験開始に到達可能な新規治療ワクチンの開発研究

【概要】 HIV 根治療法が確立されていない現在、治療ワクチン等の開発が期待されていることから、HIV と宿主との相互作用を免疫学的観点から解析し、HIV 感染症の治療を目的とした、新規ワクチン及び免疫学的治療法の開発を目指す。特に、エイズ終結へ向けて、研究期間終了後には臨床試験の開始を目標とすることで、早期の実用化につなげる必要がある。

【成果の活用】 本研究の実用化が実現すれば、HIV 根治に資する成果となり、HIV 新規感染者の大幅な減少、医療経済負担の軽減が見込まれる。

【課題名】 HIV 感染の根治を目指す新たな医薬品の探索および開発に関する研究

【概要】抗 HIV 療法の進んだ現在においても、未だウイルスを完全に排除する根治療法は確立されておらず、QOL 向上、膨大な医療費への根本的対策としての HIV 感染症の根治は重要なテーマとなっている。その中で、HIV のリザーバーに対して HIV 潜伏感染細胞活性化剤 (LRA) を用いて潜伏感染を活性化させ治療する方法「Kick and Kill」や、リザーバーからのウイルスの活性化を永久的に阻止する方法「Block and Lock」が検討されている。早期の根治療法確立のためには、このような検討を引き続き推進するとともに、新たなアプローチによる新たな医薬品や方法も並行して探索する必要がある。

【成果の活用】本研究により HIV 潜伏感染細胞の影響を完全に排除する治療法の実用化がされた場合、治療終了後は抗ウイルス薬の服用を中止することができ、現在のエイズ治療と比べ医療経済上の負担軽減につながる。

【課題名】 HIV 感染に関連する各種疾患の病態解明と治療薬開発に関する研究

【概要】 QOL を著しく損なう HIV 感染に関連する各種疾患の病態解明を行うとともに、新たな治療薬を開発する。特に血友病の治療を目指した遺伝子治療等の開発を推進する。

【成果の活用】 患者の QOL 向上、医療経済負担の軽減につながる。また、血友病患者や保因者の適切な治療法を確立し、患者や家族のニーズに直結するガイドライン・解決法を提唱することで、HIV 関連病態としての血友病の包括的な支援となる。

【課題名】 HIV の新たな複製機構の同定および解明に関する研究

【概要】 HIV 感染症は治療法の高度化もあり、慢性ウイルス感染症として扱われるまでになっている。一方、HIV の感染複製増殖過程の理解が進む中、新たな疑問も発見されている。HIV 複製過程でおきている未知の機構に関する新たな知見を得ることは HIV 感染症の克服、持続感染の解消に向けた革新的アプローチにつながる可能性がある。

【成果の活用】 HIV 複製機構について最新の知見を得ることは、新たな抗 HIV 療法の確立に重要な情報となる。HIV の新たな複製機構を同定し解明することで、HIV の根治療法に繋がる新たな知見の創出に資する。

【課題名】 HIV タンパク質と宿主細胞タンパク質との相互作用の解明に関する研究

【概要】 近年、様々な方法でタンパク質間相互作用の解析が可能となってきた。タンパク質の機能を解明する上で、タンパク質の立体構造とそれに基づくタンパク質間相互作用は必要不可欠な情報である。ウイルスのタンパク質と宿主細胞のタンパク質それぞれの立体構造などを明らかにすることにより、HIV の複製において、未知のウイルスタンパク質と宿主細胞タンパク質との相互作用の解明が可能となり、新たな創薬ターゲットの発見につなげる。

【成果の活用】 新たな知見が得られれば、新たな抗 HIV 薬の創出につながる可能性がある。

II 参考

- 1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2023 改訂版】（令和5年6月16日閣議決定）

【IV-6-(2)-②】

ゲノム創薬をはじめとする次世代創薬の推進

【IV-6-(10)】 博士課程学生・若手研究者等への支援

【成長戦略等のフォローアップ】（令和5年6月16日閣議決定）

【II-3】

医療・医薬品・医療機器

【経済財政運営と改革の基本方針 2023】（令和5年6月16日閣議決定）

【第4章-5】

研究の質を高める仕組みの構築等

【統合イノベーション戦略 2023】（令和5年6月9日閣議決定）

【第1章-2-(1)-①-（重要分野の戦略的対応の強化）-健康・医療】

【第2章-4-（戦略的に取り組むべき応用分野）-（6）健康・医療】

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

【4-1-(1)-○6つの統合プロジェクト】 ⑤疾患基礎研究プロジェクト

【4-1-(1)-○疾患領域に関連した研究開発】

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

【厚生労働科学研究との関係】

エイズ行政の課題を解決する研究のうち、HIV感染症を対象とした診断法・治療法・予防法の開発に関わるものはAMED対象分の研究事業となるが、AMEDの成果として開発された医薬品等を診療ガイドラインに反映させる。

【他の研究事業との関係】

感染症関連の3研究事業(エイズ、新興・再興、肝炎)においては、AMED担当課と連携しながら重複のないように調整した上で、公募課題の選定を行っている。

プロジェクト名	医薬品プロジェクト、ゲノム・データ基盤プロジェクト、 疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	肝炎等克服実用化研究事業
主管部局・課室名	健康局がん・疾病対策課肝炎対策推進室
AMED 担当部・課名	疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課、創薬事業部 創薬企画・評価課、ゲノム・データ基盤事業部 ゲノム医療基盤研究開発課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	3,361,073	3,552,951	3,508,779

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

B型C型肝炎は国内最大級の感染症であり、適切な治療を行わないまま放置すると肝硬変、肝がんといった重篤な病態に進行する恐れがある。肝炎の克服に向けた対策を総合的に推進するため施行された肝炎対策基本法に基づき、肝炎対策基本指針が制定され、同指針に基づき、令和4年に肝炎研究推進戦略（肝炎研究10カ年戦略の見直し）が策定された。現状の課題として、B型肝炎ではウイルスを完全に排除する治療がないこと、C型肝炎ではインターフェロンフリー治療不成功時の薬剤耐性ウイルス出現症例や非代償性肝硬変に対するインターフェロンフリー治療によるウイルス排除率の改善やウイルス排除後の肝発がん等の病態が不明であること、肝硬変では線維化を改善させる根本的な治療がないこと、肝がんの5年生存率が低いこと、等が挙げられ、これらを改善するために臨床・基礎・疫学・行政研究それぞれにおいて達成すべき成果目標が定められている。

【事業目標】

肝炎研究推進戦略で定められた成果目標の達成を目指し、肝炎に関する基礎から臨床研究等を一貫して総合的に推進する。

(i) B型肝炎創薬実用化等研究事業

B型肝炎の画期的な新規治療薬の開発を目指した基礎研究や、治療薬としての実用化に向けた臨床研究等を一貫して推進することにより、B型肝炎患者の治療成績の向上につながるような成果の獲得を目指す。

(ii) 肝炎等克服緊急対策研究事業

肝炎の最新の治療法を含めた治療の標準化や難治例に対する治療法に関する研究、肝線維化の機序の解明と臨床応用に関する研究、再生医療など新たな技術を利用した肝硬変に対する根治治療に関する研究、発がん機構・発がん抑制やがん再発の抑制に関する研究等を推進する。また基礎研究として、ウイルス培養細胞系及び感染動物モデルを応用した病態の進行のメカニズムの解明に関する研究、肝炎ウイルス感染後の病態の解明に関する研究等を推進する。

【研究の範囲】

- ・ B 型肝炎の新規治療法の開発等に関する研究
- ・ ウイルス性肝炎の新規治療法の開発や長期予後改善等に関する研究
- ・ 肝硬変の病態解明及び線維化改善、肝再生等に関する研究
- ・ 代謝性肝疾患の病態解明等に関する研究
- ・ 肝発がんの予防等に関する研究

【期待されるアウトプット】

＜医薬品プロジェクト＞

非臨床 POC の取得件数 1 件

＜ゲノム・データ基盤プロジェクト＞

研究成果の科学誌への論文掲載状況 インパクトファクター 5 以上 3 件

新たな疾患発症メカニズム解明件数 1 件

新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 1 件

＜疾患基礎研究プロジェクト＞

研究成果の科学誌への論文掲載状況

インパクトファクター 5 以上：85 件

【期待されるアウトカム】

＜医薬品プロジェクト＞

薬事承認件数（新薬、適応拡大）1 件

＜ゲノム・データ基盤プロジェクト＞

臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 2 件

＜疾患基礎研究プロジェクト＞

シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 2 件

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

(i) B 型肝炎創薬実用化等研究事業

【課題名】 B 型肝炎ウイルスの感染複製増殖機構解明による創薬基盤形成に関する研究
(平成 29～令和 3 年度)

【概要】 B 型肝炎ウイルス (HBV) の感染受容体である胆汁酸輸送体 NTCP (sodium taurocholate cotransporting polypeptide) の立体構造をクライオ電子顕微鏡単粒子解析により解明した。立体構造情報をもとに NTCP のアミノ酸置換点変異体解析を行ったところ、HBV preS1 吸着能、HBV 感染媒介能、胆汁酸輸送機能は、いずれも同じ部位であることを細胞の HBV 感染および胆汁酸取込み実験で確認した。

【成果の活用】 立体構造情報をもとに細胞への HBV 感染や胆汁酸輸送に関わる部位が明らかになり、今後 HBV の感染機構の解明や、安全な治療薬の開発への貢献が期待される。

(ii) 肝炎等克服緊急対策研究事業

【課題名】 C 型肝炎ウイルス排除後の肝発癌などの肝病態進展機構および予測因子の解明 (令和 2～4 年度)

【概要】 C 型肝炎 DAA (Direct Acting Antivirals) 治療後に SVR (Sustained Viral Response) となった、平均観察期間 6 年の多数患者の検体 (2,500 例) を用い、SVR 後肝発がんの予後予測因子 (GDF15) を同定した。さらに、血清 GDF15 値、AFP 値、FIB-4 index の 3 つのファクターを組み合わせたスコアが、SVR 後の肝発がんの層別化に

有効であることを示した。

【成果の活用】C 型肝炎ウイルス排除後の肝発癌スクリーニングの必要性とその強弱について提言が可能となり、C 型肝炎治療ガイドラインや肝硬変治療ガイドラインへの反映が期待される。

【課題名】NASH(nonalcoholic steatohepatitis)及び非 B 非 C 型肝炎の病態解明と治療標的探索（令和 2～4 年度）

【概要】NAFLD (Nonalcoholic fatty liver disease) 患者の血清 (213 例)、肝組織 (98 例) を用い、NASH・肝線維化のバイオマーカーとなる THBS2/TSP2 を同定した。また、NASH を含む慢性肝疾患がそのリスク因子として知られる原発性肝がんの一種、肝内胆管癌のがん抑制遺伝子 Traf3 を同定し、TRAF3 が肝細胞から胆管細胞への分化誘導機構を担うことを明らかにした。さらに TRAF3 の下流で機能する NF- κ B inducing kinase (NIK) /Map3k14 を同定した。

【成果の活用】血清 TSP-2 値は、NAFLD 患者における NASH および進行した線維化を同定するための優れた非侵襲的バイオマーカーとなり得ることが期待される。また、NF- κ B inducing kinase (NIK) /Map3k14 阻害剤を治療薬候補として POC を取得した。

【課題名】経口感染によるウイルス性肝炎 (A 型及び E 型) の感染防止、病態解明、治療等に関する研究 (令和 2～4 年度)

【概要】A 型肝炎の治療薬スクリーニング系を確立し、ドラッグリポジショニングによる治療薬候補を見出した。HAV 新規抗原を開発し、免疫不全者での HAV ワクチン接種法を明らかにした。HEV に関しては、感染培養系を用いた HEV の増殖機構の解明と HEV ワクチン開発に適した HEV-LPs を同定し、その高い免疫原性を確認し、様々な特異性を持つモノクローナル抗体の作製に成功した。また、シカ、ブタの HEV を用いて HEV ゲノム変異の実態を明らかにした。

【成果の活用】新たに確立された A 型肝炎の治療薬スクリーニング系による抗 HAV 薬の探索が可能である事が実証され、この系を用いた治療薬候補探索、特に費用対効果に優れたドラッグリポジショニングによる A 型肝炎治療薬の探索が加速される。HEV ワクチン開発では、ブタにおける G3HEV-LPs の免疫原性及び感染防御効果が実証され、接種抗原量や接種スケジュールの最適化により E 型肝炎汚染農場等の清浄化が期待される。

【課題名】ウイルス性肝炎の薬剤耐性が及ぼす病態変化に関する研究 (令和 2～4 年度)

【概要】全国規模で C 型肝炎に対する DAA 治療不成功例の genotype 解析を行い、DAA 治療不成功例の薬剤耐性を中央測定し、その結果を各施設に迅速にフィードバックする体制を継続し、エビデンスに基づく再治療の推進において重要な役割を果たした。DAA 治療不成功例の実態、再治療の実態を解析し、特に薬剤耐性変異と DAA 再治療の成績との関連を詳細に解析することで、薬剤耐性に基づいて適切な治療薬選択をするための再治療指針を示した。

【成果の活用】薬剤耐性患者の再治療の指針を出し、日本肝臓学会 C 型肝炎治療ガイドラインの再治療の薬剤選択フローチャートに取り入れるなど、我が国の健康医療の発展に大きな貢献が期待される成果を得た。

2 令和6年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

i) B型肝炎創薬実用化等研究事業

【課題名】 B型肝炎に対する新規経口 TLR-7 アゴニスト (SA-5) を基盤とした治療法の開発と医師主導 FIH 試験の体制整備

【概要】 核酸アナログによって HBV 複製の制御は可能になったが、肝発がんリスクの完全除去は不可能である。B型肝炎患者において HBs 抗原陰性化 (Functional cure, FC) を達成し得る新規治療法のニーズは極めて高い。FC を達成した症例から免疫反応による HBV 感染肝細胞障害が持続的な HBs 抗原陰性化の必要条件である可能性が示唆されている。HBs 抗原陰性化に繋がる免疫反応の詳細を明らかにし、FC を達成する免疫作動薬の開発が急がれる。

【成果の活用】 TLR-7 アゴニストは有効性と安全性に優れているだけでなく、経口投与が可能であり、患者 QOL に与える影響が少ない。HBs 抗原陰性化率の向上が達成されれば、長期的には肝発がん率の低下に繋がり、肝炎対策の戦略目標である「B型肝炎の完全克服」に資する成果が期待できる。

(ii) 肝炎等克服緊急対策研究事業

●肝炎に関する基礎・臨床研究

【課題名】 次世代シーケンス技術を基盤とした C型肝炎ウイルス排除後における肝癌出現機序・病態変化の解明とバイオマーカーの開発

【概要】 C型肝炎に対する直接作用型抗ウイルス薬 (Direct Acting Antivirals, DAA) 治療では非常に高い HCV 排除率が期待できる一方で、治療後の超高度薬剤耐性の出現や HCV 排除後の線維化・発癌抑止の不確実性、非代償性肝硬変の肝予備能改善の限界、心血管病変等の肝外イベント出現などの課題は解決されていない。そこで、DAA 治療後のウイルス残存・耐性化を規定するウイルス因子の解析と臨床応用、DAA 治療後の発癌抑止、肝機能・線維化・門脈圧改善における治療前ウイルス因子の検討が必要である。

【成果の活用】 ウイルス因子の解析情報を統合的に患者診療に活用し、DAA 耐性化、治療後発癌、ウイルス排除後の肝線維化・肝機能改善などの予測・診断により個々の患者の特性を考慮した的確な肝疾患治療が可能になる。確実な予後・治療効果予測から現行 DAA 治療の効果的な運用による治癒率の向上、死亡率の低下、副作用の低減、医療資源の効果的利用が実現する。

●肝線維化・肝硬変に関する研究

【課題名】 革新的オルガノイド技術を用いた肝線維化・発がん機構の解明と肝星細胞活性化制御をめざした治療法の創成

【概要】 肝線維化が肝発がんリスクであること、これらに関連する宿主およびウイルスゲノム要因が明らかになってきている。その要因の一つである肝星細胞は炎症などにより活性化し肝線維化の中心的役割を担うが、肝星細胞の活性化や形質転換を制御する治療法はない。そこで、ヒト iPS 細胞を基軸とした遺伝子改変技術とオルガノイド創生技術を基盤として、肝線維化と発がんの本質を解明する疾患解析モデルを開発

し、これらの形質解析から病態を明らかにすることで、肝星細胞の活性化と形質転換を制御する抗線維化薬および発がんを阻止する新たな治療法の開発が期待される。

【成果の活用】線維化・発がんに関する科学的理解が進むとともに、肝星細胞制御をはじめとする細胞特異的な抗肝線維化・肝がん抑制療法開発への新たな道を拓くことが期待される。ヒトの多能性幹細胞を基軸とした革新的技術は、あらゆる分野に応用可能であり、ヒト iPS 細胞を用いた抗線維化療法の開発や新たな研究領域の創造にも貢献しうる。AMED 研究における他の統合プロジェクトへの導出を目指す。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

(i) B 型肝炎創薬実用化等研究事業

新規課題なし

(ii) 肝炎等克服緊急対策研究事業

【課題名】様々な状況における B 型肝炎ウイルス再活性化・再燃の病態解明に関する研究

【概要】B 型肝炎については、免疫抑制薬やがん治療の際の再活性化が問題となっている。B 型肝炎ウイルスの再活性化、再燃の機序を解明することは喫緊の課題であり、機序解明に向けた研究を行う。

【成果の活用】B 型肝炎ウイルス再活性化に関するリスク因子の同定/検査法の確立や再活性化等の病態に到る作用機序の解析を通して、現行のガイドラインより費用対効果の優れた対策法の確立に寄与する。

【課題名】新規作用機序による C 型肝炎ウイルス制御に関する研究

【概要】C 型肝炎については、インターフェロンフリー治療の登場により治療成績の改善がもたらされたが、治療が不成功になると、薬剤耐性変異が出現し、さらに治療困難になる。そのため、C 型肝炎ウイルス増殖機序の解析に基づいた既存の薬剤とは作用機序の異なる抗ウイルス薬候補の開発を行う。また、新規抗ウイルスターゲットの同定、新規スクリーニング系の確立、抗 HCV 作用を有する新規化合物の同定、既存薬剤の DAA 製剤耐性ウイルスへの効果の検証を通して C 型肝炎ウイルス増殖機序の新たな知見を獲得し、既存薬で治療抵抗性を示す症例に対する治療法の検証を行う。

【成果の活用】新規作用機序による抗ウイルス薬候補の開発、非臨床的 POC を確保、治療抵抗性を示す症例に対する対策法の確立とガイドラインの改訂に寄与する。

【課題名】新規技術を用いた肝再生及び肝機能の改善に関する研究

【概要】肝硬変や肝不全に対しては、肝移植以外に未だ有用な根治的治療法がないため、各種多能性細胞や遺伝子編集技術等の新たな技術を活用し、病態改善、肝機能の維持回復、肝線維化の抑制・軽減に繋がる治療法の開発を行う。

【成果の活用】肝硬変、肝不全に対する新規技術を活用した治療法の確立、再生医療技術等を応用した疾患モデルの確立、疾患モデルを用いた肝再生治療技術等を使用する革新的治療法の検証、肝不全患者の予後改善に資する新たな知見の獲得により肝線維化の予防法/治療法の開発及び肝発がん予防法の開発に寄与する。

【課題名】代謝関連肝がんの病態解明に関する研究

【概要】肥満や代謝異常に関連する NASH/NAFLD に合併する肝がんの増加がみられているが、これらは肝炎ウイルス性肝がんにくらべて炎症も軽微であり、発がんまでの病態進展に不明な点が多い。代謝関連肝がんに至る機序を解明し、再発の予防および治療法の開発や、対策の推進に関する最新の知見の創出を目指す。また、日本での NASH/NAFLD 及びその発がんの実態・病態の解明を行い、診断マーカーや発がん予防法・予防薬の開発に資する新たな知見を獲得する。

【成果の活用】非臨床的 POC の確保、最新の知見に基づいた代謝関連肝疾患への対応方針の提言や、肝発がんの予防指針等の作成に寄与する。

【課題名】肝発がんに至る機序の解明と発がん、再発予防および治療法に関する研究

【概要】DAA の普及により多くの C 型肝炎患者で HCV が排除できるようになってきた一方、SVR 後の肝発がんの原因の解明が課題となっている。また、慢性炎症等を背景とした肝発がん、再発に至る機序を解明し再発の予防および治療法の開発や、対策の推進に関する最新の知見の創出を目指す。

【成果の活用】肝発がんの機序の解明、肝がん発生高リスク因子の同定、微小環境における細胞間相互作用の解明等により、肝がん発症・再発に関与するバイオマーカーの同定、肝発がんを抑制する化合物の同定、肝発がん・再発リスクの減少に資する新たな知見の獲得に寄与する。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【統合イノベーション戦略 2023】（令和 5 年 6 月 9 日閣議決定）

第 2 章 Society5.0 の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

4. 官民連携による分野別戦略の推進（戦略的に取り組むべき応用分野）

（6）健康・医療

今後の取組方針

<医療分野の研究開発の推進>

2040 年までに、主要な疾患を予防・克服し、100 歳まで健康不安なく人生を楽しむためのサステナブルな医療・介護システムを実現するため、挑戦的な研究開発を推進。

【健康・医療戦略（第 2 期）】（令和 2 年 3 月 27 日閣議決定、令和 3 年 4 月 9 日一部変更）

4. 具体的施策

4.1. 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の推進

（1）研究開発の推進

①医薬品プロジェクト

・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。（中略）また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開

発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

④ゲノム・データ基盤プロジェクト

・ゲノム・データ基盤の整備を推進するとともに、(中略) 遺伝子変異・多型と疾患の発症との関連等から疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進し、病態解明を含めたゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。

⑤疾患基礎研究プロジェクト

・医療分野の研究開発への応用を目指し、(中略) 様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。
・これらの研究開発成果を臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付けるとともに、臨床上の課題を取り込んだ研究開発を行うことにより、基礎から実用化まで一貫した循環型の研究を支える基盤を構築する。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

【厚生労働科学研究（肝炎等克服政策研究事業）との関係】

肝炎総合対策についての課題を解決する研究のうち、肝炎総合対策の推進に資する疫学研究、行政研究については、厚生労働科学研究（肝炎等克服政策研究事業）で行っている。本研究事業は、それ以外の肝炎を対象とした基礎研究、臨床研究及び創薬研究等を行っている。

【AMED内感染症関連の3研究事業（エイズ、新興・再興、肝炎）の関係】

感染症関連の3研究事業（エイズ、新興・再興、肝炎）においては、AMED担当課と連携しながら重複の無いように調整した上で、公募課題の選定を行っている。

プロジェクト名	疾患基礎研究プロジェクト
研究事業名	長寿科学研究開発事業
主管部局・課室名	老健局総務課
AMED担当部・課名	疾患基礎研究事業部 疾患基礎研究課
省内関係部局・課室名	老健局老人保健課

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
		145,018	153,297

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

わが国は2040年を見据え、高齢者人口が増加する一方、生産年齢人口が減少する局面を迎えている。また、人口構造とともに世帯構成の変化も顕著であり、独居高齢者の増加など、急激な社会環境変化が生じている。その中で、老いや高齢者特有の機能低下、疾患等を抱えながら、その人らしく生活を送るため、適切な医療・介護が必要である。また今後、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、限られた人材・資源によって効率的かつ質が担保された医療・介護の提供が求められている。さらに、高齢者が自立して生活を送るためには介護予防の推進が重要であり、フレイルやサルコペニア（筋肉減少症）など、要介護の原因となる状態や疾患等に対して、国民が自ら予防に取り組める簡易な技術や、その他の予防・重度化防止の手法等の開発が求められている。

【事業目標】

1. 高齢者に特有の疾患・病態・徴候（例：フレイル、サルコペニア等、以下「疾患等」という。）に着目し、健康寿命延伸に寄与する予防手法を開発する。
2. 加齢に伴う身体機能の低下や日常的に高頻度に罹患する疾患等により介護を要する状態であっても、生活の質の維持、向上が図れるケアの手法や評価方法を開発する。
3. 質の高い医療・介護サービスが普遍的に提供できる社会基盤の整備に貢献する研究成果を創出する。
4. 高齢者の生活に直結する研究成果を産出し、研究成果の社会実装を推進する。

【研究の範囲】

- 加齢に伴う機能低下及び変化に着目した研究基盤の整備
要介護状態の発生および進行メカニズムを解明するため、罹患・治療歴、心身機能、介入情報および、血液・尿等の生化学的検査等の臨床データを収集し、前向きコホートの開発を推進する。産官学連携によるリアルワールドデータ及び臨床データを活用した研究を推進するための基盤を整備し、介護予防・要介護状態の維持改善に資するエビデンスを創出するとともに、産業への橋渡しを目指した成果の導出を図る。
- 介護予防・重度化防止のための手法の開発
フレイルのバイオマーカーを開発し、介入手法の確立に向け研究を推進する。サルコペニアへの対策として、栄養療法について研究し、急性の病態にある者や、多疾患併存（multi-morbidity）の者を含め、個々の病態に応じたテーラーメイドの栄養学的

レジメンの確立を目指す。リスク因子と要介護状態・重度化との関連を踏まえた中長期的な予防方策の開発、個別的に介護予防行動が取れるような具体的な方策の開発、産官学連携による ICT・IoT 技術を活用した基盤整備を行う。また、予防策を効果的に行うため、コミュニティなどの基盤の醸成につながる要因の解明や体制構築方法の提案など、包括的な介入手法を開発する。

○ 高齢者特有の疾患・病態・徴候に対する適切な医療・介護手法の開発

重度化防止、QOL 向上を目的としたフレイルやサルコペニアといった加齢に伴う状態との関連が証明されている徴候の原因解明と適切・効果的な介入方法を開発する。また、心不全や肺炎といった高齢者に多い疾患・病態を簡易に把握・測定する支援機器等、適切な医療・介護の提供方法を確立する。超音波機器によって骨格筋の量的、質的評価を行うアルゴリズムを開発する。新型コロナウイルス感染症の高齢患者死亡においても重視された、基礎疾患および多疾患併存に適切に対応し、本人の価値観や QOL、家族の介護負担等、重要なアウトカムを踏まえ、適切に対応できるよう既存のエビデンスをレビューする。患者報告アウトカム (Patient Reported Outcome; PRO) を含め、医療・介護で共有すべき適切なアウトカムについて、症例を用いた研究を行い、多様な医療・介護場面において効果の高い、最適なケア手法を開発する。

【期待されるアウトプット】

- 加齢に伴う変化および機能低下を解明するコホート研究基盤を構築する。
- フレイル・サルコペニア等の評価、診断、介入に関する知見を得る。
- 多疾患併存、ポリファーマシー（多剤併用）等を適切に評価し、介入を行う手法を開発する。
- 健康長寿を推進し、高齢者の QOL を高める研究の知見を国際誌に発表する。

—具体的な K P I—

研究成果の科学誌（インパクトファクター 5 以上）への論文掲載件数 2 件

【期待されるアウトカム】

- 加齢に伴う変化および機能低下を明らかにする。
- フレイル等、高齢者の適切な評価・介入を、継続的に行う社会体制を整備する。
- 健康長寿を推進し、高齢者の QOL を高める。
- 高齢者に対する在宅医療・介護の領域の生産性を高める。
- 科学的根拠が十分でない介護分野において、世界を牽引する知見を産出し、わが国のリーダーシップを発揮する。
- バイオマーカーや超音波診断法、ケアのノウハウ等、本事業で得た知的財産を活用した産業を創出・拡大する。

—具体的な K P I—

・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1 件

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】特性の異なる集団における幅広い生体マーカー探索と結果の相互検証によるサルコペニアの評価手法の開発と応用研究（令和 2～4 年度）

【概要】一般地域住民や糖尿病患者集団を対象とした複数のコホートから得られた生体試料（血液）の分析と臨床形質との関連解析から、筋量と筋質の両方を反映するマーカーを見出し、具体的には、血中クレアチニン・シスタチン C 比やレプチン、アディポネクチンと、骨格筋の量および質との関連等を明らかにした。

【成果の活用】従来、骨格筋の量および質の評価には CT 等の画像検査が必要であったが、血液検査で評価できる可能性が示唆され、サルコペニアの診断に寄与する。

【課題名】WEB カメラを用いた脈拍・呼吸・酸素飽和度の非接触型遠隔リアルタイムモニタリングシステムの開発（令和 2～4 年度）

【概要】RGB（赤緑青）ネットワークカメラのストリーミングビデオ信号から、4つのバイタル指標を同時かつリアルタイムで計測するアルゴリズムを開発し、リアルタイム数値表示のアプリケーションソフトウェアを作製した。照明環境補正アルゴリズム、生体指標計測性能を検証するプロトコル設計、対象の動作に合わせて関心領域（ROI）をトラッキングする技術を新規開発し、ヒトにおいて正しく動作することを確認した。

【成果の活用】医療職が遠隔で随時、非侵襲・非接触で確認できるバイタルサイン観察機器の開発・実用化が期待される。

【課題名】AI/AR を活用した排泄ケア・褥瘡ケア・スキンケア・点滴ケア技術自己学習支援システムの開発（令和 3～4 年度）

【概要】人的介入を必要としない、AI（Artificial Intelligence）/AR（Augmented Reality）を利用した看護師の動作を支援するシステムを開発した。このシステムを用いて、排泄、褥瘡、点滴、スキンケアの技術教育プログラムを構築し、訪問看護師を対象として介入研究を実施した。その結果、開発した教育プログラムを受けた群は通常ケア群と比較し、在宅療養者の QOL が向上、再入院率が低下した。

【成果の活用】AI/AR を利用したシステムは、看護師等の効果的・効率的な教育に活用できる。

2 令和 6 年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】高齢者における要介護状態の発生・進行メカニズム解明を目的とする前向きコホート研究

【概要】75 歳以上の要介護者等を対象とする前向きコホート観察研究を行い、要介護状態の発生・進行、心身機能低下等の危険因子を同定する。危険因子が複合することが病状進行に与える影響を明らかにする。要介護状態の維持・改善に影響するリハビリテーションや介護ケア等の介入を同定する。高齢者に特有の疾患等に着目し、健康寿命延伸に寄与する予防手法を開発する。加齢に伴う身体機能の低下や日常的に高頻度で遭遇する疾患等により介護を要する状態であっても、生活の質の維持、向上するケアの手法や評価方法を開発する。

【成果の活用】本研究で得られた予防、評価、介入方法が実践臨床に活用され、健康長寿の推進に寄与することが期待される。

【課題名】高齢者に対する最適なりハビリテーションと栄養管理のための、超音波による簡易的骨格筋量評価アルゴリズムの開発

【概要】超音波機器によって骨格筋の量的、質的評価を行うアルゴリズムを開発する。

【成果の活用】持ち運び可能な超音波機器による骨格筋の量的、質的評価法が確立することによって、サルコペニアの診断が外来診療、介護現場等で従来よりも容易に行うことができ、適切な診断、対応を進めることができる。

【課題名】高齢者のフレイルに対する評価指標と新規介入手法の確立に資するバイオマーカー開発

【概要】65歳以上の高齢者を研究対象として、臨床情報、臨床検査データ、生活習慣状況、ゲノム情報、血液内代謝産物等のデータを収集し、フレイルの指標となるバイオマーカーを同定する。さらに、電気刺激による筋肉トレーニングの効果について、バイオマーカーを用いて評価する。

【成果の活用】フレイルのバイオマーカーを確立することができれば、現在のインタビューや質問紙ベースで行われているフレイル評価よりも客観的な評価が可能となり、また、介入効果が測定できるようになることでフレイルの研究が飛躍的に進むことが期待される。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】高齢者の生活機能および障害累積型フレイルティ等の評価し活用する手法開発

【概要】近年、診療情報提供書等の標準規格が定められたところであるが、医療と介護等で共有できる生活機能に関する情報の標準化はまだ十分になされていない。また、高齢者においては傷病や生活機能障害等を総合して評価する障害累積型フレイルティ (Frailty) の概念があり、海外で入院時の初期評価に用いる等の取組が広がっているものの、わが国ではまだ普及していない。本課題では、わが国の現状に合わせ、高齢者の傷病や生活機能障害等を総合的に評価し、共有する手法を開発する。開発においては、高齢者総合評価 (CGA; comprehensive geriatric assessment) を含め、国内で用いられている種々の評価・記録方法と、ICD (国際疾病分類) -11、および ICF (国際生活機能分類) 等の標準規格との対応について研究するとともに、医療および介護の場において、後向き研究および前向き研究を実施し、障害累積型フレイルティの定量的な評価手法を確立し、外来診療サマリーや入院時評価、診療情報の提供、介護のサマリー等において、多職種で共有し活用される手法を開発する。

【成果の活用】外来診療サマリーや入院時評価、診療情報の提供、介護のサマリー等において、医療職および介護職が、生活機能および障害累積型フレイルティ等の評価、共有し、活用するための手引き等を作成する。また、生活機能および障害累積型フレイルティ等はリスク因子である他、種々の介入のアウトカムとしても想定され、本課題の成果を活用した研究が後に多く続くことが期待される。

【課題名】サルコペニアを改善させるテーラーメイドの栄養療法に関する研究

【概要】サルコペニアへの対策として、エネルギーやタンパク質等を十分に摂取することが重要であるが、それぞれの病態に合わせ、主要栄養素に加えてビタミンやミネラル、オメガ3系脂肪酸等の抗酸化物質、HMB (β -ヒドロキシ- β -メチル酪酸)、プロバイオティクス・プレバイオティクス等の食品も合わせた介入効果の科学的根拠はまだ十分ではない。本課題では、急性疾患後など二次的サルコペニアや、多疾患が併存する者を含め、サルコペニアを伴う高齢者を対象として介入試験を行い、個々の病態に

応じたテーラーメイドの栄養学的レジメン確立を目指す。

【成果の活用】急性期疾患や多疾患が併存するサルコペニア者に対する先進的で、効果的な栄養療法を確立し、個々の症例に対応できる手引き等を作成する。

【課題名】多疾患併存 (multi-morbidity) を考慮した体系的な高齢者のケア手法に関する研究

【概要】新型コロナウイルス感染症においては、高齢者死亡の多くが基礎疾患や合併疾患に起因することが知られたところであるが、多疾患併存やポリファーマシーのことが多い高齢者においては、主疾患だけでなく、網羅的なプロブレムリスト (問題志向型診療録; problem-oriented medical record にて用いられる傷病名等) に基づいたケアが重要である。現在、1つの病態に対する診療ガイドライン等は多く作成されているものの、多疾患併存に対するケアの体系化はまだ十分になされていない。本研究においては、広く医療、介護の場において、高齢者を対象として研究し、多疾患併存の現状を把握し、単独の病態に対する標準的なケアと、多疾患併存に対するケアの相違について分析・考察する。特に、医療の場において、得られた病態評価から、多疾患併存を考慮し、最適のケアを例示する手法を研究する。介護の場においては、ADL (Activities of daily living; 日常生活動作) や生命予後など狭義の医学的アウトカムのみならず、PRO (Patient Reported Outcome; 患者報告アウトカム) を含めたアウトカムとの関連について分析を行う。それらの成果を合わせ、多疾患併存やポリファーマシー等に対し、プロブレムリストや高齢者の状態等から、推奨されるケアの方法等が示される仕組みを開発するとともに、介護負担や必要な医療・介護資源等を考慮した上で、医療職が少ない介護の現場でも利用できるケアの手引き等を作成する。

【成果の活用】高齢者の医療、介護の現場で多くみられる多疾患併存例へのケアに役立つ手引き等を作成する。多疾患併存に対する手引き等は世界的にもまだほとんど見られていない新規性の高い成果であり、多疾患併存が多い高齢者の医療・介護現場で有用となることが期待される。

なお新規課題においては、若手研究者の登用を積極的に促す。

II 参考

1 研究事業と各戦略 (新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略) との関係

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2023 改訂版】 (令和5年6月16日閣議決定)

「平均寿命が延伸する中、身体寿命と健康寿命とのバランスを取ることが重要である。高齢者自らの意思に沿って、医療・介護・予防・住まい・生活支援が包括的に確保される体制 (地域包括ケアシステム) を実現し、高齢者が可能な限り住み慣れた地域で、暮らしを続けられる環境を整備する」等とあり、本研究では要介護等の危険因子を同定、Frailty や多疾患併存を考慮した介護ニーズの予測等を行い、地域社会への展開を推進する。

【フォローアップ】 (令和4年6月7日閣議決定)

「データベース (LIFE) を用いた本格的な分析を行い、分析結果を介護報酬改定やベス

トプラクティスの策定等に活用する」「介護現場での見守りセンサー等の活用による効果実証等から得られるデータの蓄積・分析により、介護の生産性向上に資するテクノロジーの一層の普及のための方策について検討」等の方針に従い、政策の基礎資料となる知見を求める。そして「アウトカム指標の強化や自立支援・重度化防止・介護費用の適正化に関する取組につながる指標の見直しを行う」「ヘルスケアサービスの社会実装に向けて、2022年度に疾患領域の学会等によるアプリケーションやウェアラブル端末を活用した行動変容などの介入手法に関するエビデンスや評価の在り方に係る指針策定等を支援」「予防健康事業等での保険者や地方公共団体等による適切な予防・重症化予防・健康づくりや医療費適正化のための取組の支援策の見直しを検討」「一定の品質が確保されたヘルスケアサービスの提供に向けて、遠隔健康医療相談等に関する業界団体の自主的なガイドラインの2022年度での整備等を支援」等とあるように社会実装を進めるとともに、「医療・ヘルスケアに関する製品・サービスの国際展開」等とある通り、医療・介護において、世界をリードする知見集積、英語論文発表を求める。

【成長戦略実行計画】（令和3年6月18日閣議決定）

「感染症等の社会経済のリアルタイムデータを迅速に収集し、分析能力を向上させ、きめ細やかな政策立案につなげる」「データ流通を促進するルールの具体化やデータ取引の仕組みの整備など、包括的なデータ戦略を推進する」「医療、教育、防災等の準公共分野等において、データ標準の策定やデータ連携基盤の整備等を支援するプログラムの創設を検討する」等とあり、医療・介護におけるリアルデータの収集とマネジメントに関する研究を進める。

【経済財政運営と改革の基本方針2023】（令和5年6月16日閣議決定）

「医療・介護サービスの提供体制については、今後の高齢者人口の更なる増加と人口減少に対応し、限りある資源を有効に活用しながら質の高い医療介護サービスを必要に応じて受けることのできる体制を確保する観点から、医療の機能分化と連携の更なる推進、医療・介護人材の確保・育成、働き方改革、医療・介護ニーズの変化やデジタル技術の著しい進展に対応した改革を早期に進める必要がある」「レセプト・特定健診情報等に加え、介護保険、母子保健、予防接種、電子処方箋、電子カルテ等の医療介護全般にわたる情報を共有・交換できる「全国医療情報プラットフォーム」の創設及び電子カルテ情報の標準化等を進めるとともに、PHRとして本人が検査結果等を確認し、自らの健康づくりに活用できる仕組みを整備する」等とあり、リハビリテーション等を用いた高齢者の介護予防・重度化防止を推進し、介護サービスの基盤整備、介護の負担軽減等を進める。

【統合イノベーション戦略2023】（令和5年6月9日閣議決定）

「2040年までに、主要な疾患を予防・克服し、100歳まで健康不安なく人生を楽しむためのサステナブルな医療・介護システムを実現するための挑戦的な研究開発を推進」、
「疾患メカニズムの解明や新たな診断・治療方法の開発、AIやビッグデータ等の利活用による創薬等の研究開発、個人の状態に合わせた個別化医療・精密医療等が進展」等とあるように、挑戦的な研究開発を進める。そして「公的保険外のヘルスケア産業の促進等のための健康経営の推進、地域・職域連携の推進、個人の健康づくりへの取組促進」
「健康・医療データ利活用基盤協議会にてPMDAのデータ利活用プラットフォームを用

いたデータ連携、同意の在り方を整理」「公的保険外のヘルスケア産業の促進等のための健康経営の推進、地域・職域連携の推進、個人の健康づくりへの取組促進等について検討・推進」「公的保険外のヘルスケア産業の促進等のため、健康経営の推進、地域・職域連携の推進、個人の健康づくりへの取組促進等を実施。また、適正なヘルスケアサービス提供のための環境整備として、ヘルスケアサービスの品質評価の取組、医療DXの推進、公的保険サービスと公的保険外サービスの連携等に取り組む」等とある通り、新産業創出および社会実装を進め、さらに「我が国の健康・医療関連産業の国際展開を推進」等とある通り、積極的な国際展開を進める。

【健康・医療戦略(第2期)】(令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更)

「公的保険外のヘルスケア産業の活性化や公的保険サービスとの連携強化により、「予防・進行抑制・共生型の健康・医療システム(多因子型の疾患への対応を念頭に、医療の現場と日常生活の場が、医療・介護の専門家、産業界、行政の相互の協働を得て、境目無く結び付き、個人の行動変容の促進やQOLの向上に資するシステム)」の構築を目指す。

2 他の研究事業(厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業)との関係

当事業は高齢化という社会問題に則して、主に高齢者の医療・介護の分野において直面する課題に対し、ヒト(生体試料を含む)を対象とした研究に取り組み、解決に導く技術及び手法等の開発を目的としている。厚生労働科学研究が、行政における課題を解決するための研究を推進するのに対し、本事業は、より大きな研究班を想定し、バイオマーカーや診断機器に関する研究など、基礎的な知見を求めるとともに、横断研究・縦断研究が実施される研究基盤を構築し、高齢者の医療やケアに活用可能な豊富な成果を求める。更に、ガイドライン等への反映や、新規治療やケア、サービスに活用されるなど、研究成果が迅速に社会に還元されることを目指す。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト		
研究事業名	「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業		
主管部局・課室名	医政局総務課		
AMED 担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部 医療技術研究開発課		
省内関係部局・課室名	なし		

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
		107,779	113,932

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

「統合医療」については、科学的根拠が十分でないものが含まれているとの指摘もあることから、これまで厚生労働科学研究費等において、実態の把握と新たな知見の創出のための研究が進められてきた。このような中、平成24年3月から設置された『「統合医療」のあり方に関する検討会』が平成25年2月にとりまとめた「これまでの議論の整理」において、「近代西洋医学を前提として、これに相補・代替療法や伝統医学などを組み合わせてさらにQOLを向上させる医療であり、医師主導で行うものであって、場合により多職種が協働して行うもの」と定義されている。

「統合医療は、その療法が多種多様であるがゆえに、患者・国民や医療界において未だ共通認識が確立していない状況にあるため、安全性・有効性等に関する科学的知見の集積を図り、必要な情報を広く発信し、患者・国民及び医療従事者が各種療法を適切に選択できるようにすることなどが求められている。

【事業目標】

国民の健康保持や治療・予防法の選択肢、及び医療従事者が選択しうる治療法等の範囲を拡大するとともに医療の質の向上を図ることを目的として、統合医療における漢方、鍼灸及び各種療法に関する研究を推進することによって、安全性・有効性等の観点から科学的根拠に基づく新たな質の高い臨床研究への展開に資する知見を創出し、その成果を患者・国民及び医療従事者などに還元することを目標とする。

【研究の範囲】

- ・ 科学的根拠の収集
漢方、鍼灸および各種療法に関する安全性・有効性等の科学的根拠を収集する。
- ・ 新たな科学的知見の創出
漢方、鍼灸および各種療法に関する新たな科学的知見を創出し、バイオマーカー等の開発などを推進する。また、質の高いエビデンスの構築に結びつくPOCの取得を目指した研究を支援する。
- ・ 用語や規格等の標準化
用語・規格等の標準化を進め、科学的知見の創出に向けた基盤整備を推進する。
- ・ 利用実態等の把握

国民および医療従事者の各種療法の利用実態などを把握し、漢方、鍼灸および各種療法の実用化を推進するための基礎資料を得る。

【期待されるアウトプット】

<KPI>

- ・非臨床 POC の取得件数 3 件
- ・臨床 POC の取得件数 2 件
- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター 5 未満等の他の科学誌）への論文掲載状況（管理目標）

【期待されるアウトカム】

質の高い臨床研究論文^{*}の発表や診療ガイドライン等への収載、情報サイトにおける科学的根拠資料（学術論文やガイドライン、提言等）の公表、利活用可能なデータの公開・展開、既存のデータベースの活用やシステム連携による基盤整備、または「統合医療特有の理論体系の整備」など基盤整備に資する提案。

※質の高い臨床研究論文とは、査読のある学術雑誌に掲載され、かつ米国立医学図書館が提供する医学・生物学分野の学術文献データベースに掲載される学術論文を指す。

<KPI>

- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 5 件

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】リンパ管奇形に対する越婢加朮湯の効果を評価する治験のプロトコール作成（令和 2 年度）

【概要】本研究は、リンパ管奇形(LM)に対する越婢加朮湯の有効性、優位性を示す臨床研究のプロトコール作成を目的とし、有効性と用量依存性・安全性を評価する概念実証(POC)研究の計画、PMDA のレギュラトリーサイエンス (RS) 戦略相談・対面助言などを行った。

【成果の活用】完成したプロトコールを活用した臨床研究が令和 3 年度に当事業で新たに採択された（「リンパ管奇形に対する越婢加朮湯の効果を評価する臨床研究」（令和 3～5 年度））。同研究課題において、LM 患者に対する越婢加朮湯投与の有効性、安全性、優位性についてのエビデンスを確立することが期待される。

【課題名】慢性腎臓病患者に対する酒粕を用いた食事療法による血中の尿毒症物質の減少効果を明らかにするためのプロトコール作成研究（令和 3 年度）

【概要】酒粕は電解質異常などの問題を生じる可能性が低く、慢性腎臓病(CKD)患者へのプロ・プレバイオティクスとして好ましい特長を有している。本研究では、CKD 患者に対して酒粕を用いた食事療法による血中の尿毒症物質の減少効果を検証する介入研究のプロトコール作成を行った。

【成果の活用】完成したプロトコールを活用した臨床研究が令和 4 年度に当事業で新たに採択された（「慢性腎臓病患者に対する酒粕を用いた食事療法による血中の尿毒症物質の減少効果を明らかにする臨床研究：パイロットランダム化比較試験」（令和 4 年～6 年度））。同研究課題において、酒粕摂取による腸内の代謝産物の変化による腎保護効果に加え、酒粕に含まれる D-セリンの摂取による腎保護効果を仮説とした、新しい機序の CKD 食事療法の開発が期待される。

【課題名】軽度アルツハイマー型認知症を対象とする八味地黄丸の認知機能に対する有効性と安全性を確認する探索的オープン標準治療対照無作為化割付多施設共同試験（令和元～3年度）

【概要】多施設でDiagnostic and Statistical Manual of Mental Disorders (DSM)-Vによってアルツハイマー型認知症(Alzheimer's disease:AD)と診断され、50歳以上85歳未満、Mini Mental State Examination(MMSE \geq 21)の軽度AD患者で、その標準的治療であるドネペジル、ガランタミン、リバスチグミンのいずれかを3ヶ月前から用量を固定して内服している患者を対象被験者として、八味地黄丸の認知機能に対する有効性と安全性を確認した。重篤な服用などは認められず、脱落例もなく令和3年度に試験を終了し、臨床試験プロトコル論文がアクセプトされた。

【成果の活用】今後、さらに精緻な検証や分析を踏まえて、軽度アルツハイマー型認知症を対象とする八味地黄丸の認知機能に対する有効性と安全性を確立することが期待される。

2 令和6年度に推進する研究課題

(1) 継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【公募課題名】

- ・漢方や鍼灸等の各種療法に関する科学的な根拠の収集と知見の創出のためのプロトコル作成研究（増枠）
- ・漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するための基礎的研究

【概要】当該統合医療(東洋医学)分野の研究者については、臨床研究の経験不足・研究者の人材不足等から相互育成・醸成が難しいことなどが課題となっている。本研究では、より質の高い臨床研究の推進、及び新たなテーマの科学的根拠の収集と知見の創出などに向けて、プロトコル作成研究（または基礎的研究）の増枠や公募設計等によってプロトコル作成研究から臨床研究へと継続して支援する機会を増やす。また、引き続き、基礎的研究における若手育成枠等による支援を行う。

【成果の活用】本研究で得られたプロトコル作成や基礎的研究の成果により、臨床研究の推進が期待される。

【公募課題名】漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するための臨床研究

【概要】これまで漢方、鍼灸および各種療法では、主に対面による治療介入が行われてきたが、社会・医療の情勢やニーズ等の変化に対応し、これまでに蓄積されていないオンライン形式等の非接触の介入に関してエビデンスを構築する必要がある。

本研究では、引き続き、患者の試験参加の負担軽減や利便性の向上のため、Decentralized Clinical Trial（分散化臨床試験）の手法を取り入れたプロトコル研究や臨床研究などを推進し、科学的根拠の収集と知見の創出を効率的に行うとともに、効果的に研究開発を推進する研究方法を検討する必要がある。

【成果の活用】非接触介入によるエビデンスの構築により、患者や医療従事者の負担軽減など、効果的・効率的な研究の推進が期待される。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政

策等への活用又は実用化に向けた取組

【公募課題名】漢方を中心とした統合医療の臨床における領域横断的な使用実態等の把握と体系整理・臨床研究の推進に向けた研究

【概要】統合医療のうち、特に漢方については、漢方専門科に限らず、内科(総合診療科等)、婦人科、泌尿器科等の幅広い診療科で広く処方されているが、領域を横断した使用実態の全体・詳細及び処方にあたって診断・対象となった病態や症状等の体系整理はされていない。また、東洋医学特有の理論体系が活用されておらず、これまでの研究等でも十分に客観化されていないのが現状である。本研究では、漢方の処方実態など統合医療の臨床における領域横断的な使用実態や体系整理に向けた研究の推進、さらに東洋医学特有の理論体系である「証」を活用した臨床研究を推進する。

【成果の活用】領域を横断した使用実態の把握や東洋医学特有の理論体系の整理により、漢方専門科に限らず、幅広い診療科で適正な診断や理論体系に沿った臨床応用が期待できる。

【公募課題名】医療の質及び患者のQOLの向上に向けた多職種協働や人材育成による統合医療の推進に関する研究

【概要】統合医療の推進にあたっては、多職種協働によるチーム医療・タスクシェア、及び統合医療や研究開発を担う人材育成が重要となる。本研究では、漢方や鍼灸等の統合医療に関して、適正かつ体系的な情報把握や実践的かつ十分な学びの機会が得られることによって、漢方等を処方する医師や統合医療を受ける患者を取り巻く医療関係職種が十分な知識・理解のもとに対応・支援できるよう、データ基盤の整備・構築、漢方等の専門医ではない医師による適正かつ安全な処方・使用のためのアルゴリズム作成やガイドラインへの収載、さらには実践的な教育プログラムの開発などに向けた研究を推進する。

【成果の活用】統合医療に関わる医療関係の各職種が、十分な知識・理解のもとに患者のQOLを向上させる対応・支援が可能となることが期待される。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2023 改訂版】（令和5年6月16日閣議決定）

・「医療・介護に係る情報を共有・交換できる全国医療情報プラットフォームの創設、診療報酬改定DX、電子カルテ情報の標準化等の取組を行政と関係業界が一丸となって進める。」

→国際的に標準化されたコード等を用いること等により、電子カルテ等情報の標準化や活用等の同項と連携することへつなげられるよう検討している。

【成長戦略等のフォローアップ】（令和5年6月16日閣議決定）

・「漢方について、生薬の国内生産を支援するとともに、国内産業の競争力強化に資する国際標準化を着実に進める。」

→『統合医療』の国際標準化などの基盤整備に関する研究にて実施している。

【経済財政運営と改革の基本方針 2023】（令和5年6月16日閣議決定）

- ・「罹患後症状（いわゆる後遺症）やワクチンの副反応についての実態把握に資する調査・研究等を進める。」
→「漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するための臨床研究」にて推進していく。
- ・「「全国医療情報プラットフォーム」の創設及び電子カルテ情報の標準化等を進めるとともに、PHRとして本人が検査結果等を確認し、自らの健康づくりに活用できる仕組みを整備する。」
→「『統合医療』の国際標準化などの基盤整備に関する研究」にて検討している。

【統合イノベーション戦略 2023】（令和5年6月9日閣議決定）

- ・「我が国の研究力向上のためには、若手を中心とした優秀な研究者を確保し、腰を据えて研究に打ち込める環境が重要である。
→「漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するための基礎的研究」を若手育成枠としている。さらに、次代の統合医療領域の研究開発の人材の育成・確保と、新たな発想による研究開発の活性化のため、臨床研究課題等においても「若手育成枠」を設定する必要がある。

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

- ・「基礎から臨床研究及び治験の各フェーズ、様々なモダリティ等や疾患領域、さらにはそれらの横断領域等の研究の担い手となる優れた研究者を、若手や女性を含めて育成・確保する。」
→「漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するための基礎的研究」を若手育成枠としている。また、プロトコル作成研究から臨床研究まで、継続した研究開発の公募設計・支援体制を設けている。

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

厚生労働省では『「統合医療」に係る情報発信等推進事業』が運営する「統合医療」情報発信サイト（eJIM）において、国民に対して統合医療に関するエビデンス（科学的根拠）を提供している。当事業では、具体的には、eJIMへの採択された研究開発課題に関する情報掲載と、AMED研究開発課題データベース（AMED find）との連携等を行っている。

また、今後は他分野・領域との連携によって、統合医療分野の更なる実態把握・体系整理・発展等に向けて、AMED内の他事業・研究開発課題間での情報共有や連携強化の方法も検討する必要がある。

当事業では「統合医療」の基礎・臨床研究、基盤整備等に関する研究を推進しているが、効果的かつ持続可能な科学的根拠の収集と知見の創出の体制強化に向けては、経済産業省等で行われる産業・企業を支援する研究や人材育成制度等と連携を図ることなどにより、切れ目のない支援を実施する。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	医工連携・人工知能実装研究事業
主管部局・課室名	大臣官房厚生科学課
AMED 担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部 健康・医療データ研究開発課
省内関係部局・課室名	老健局認知症施策推進室、社会・援護局障害保健福祉部精神・障害保健課、医政局医事課、医政局総務課

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
	566,634	598,983	591,537

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

AIの活用が期待される健康・医療分野において、膨大なデータを収集・解析し、個々に最適な健康管理・診療・ケアを実現するためには、アカデミアのみならず、産業界等と連携したシステム開発が必要である。AI戦略2019（令和元年6月11日統合イノベーション戦略推進会議決定）において、厚生労働省が取り組むべき施策の一つに「AIを活用した病気の早期発見・診断技術の開発」が挙げられている。

特に客観的な評価指標が確立していない精神・神経疾患においては、早期段階から介入することで予後の改善が期待できることが指摘されており、「保健医療分野 AI 開発加速コンソーシアム 議論の整理と今後の方向性」（令和元年6月28日）においても、AI開発を進めるべき重点6領域の一つとして「介護・認知症」が選定された。そのため精神疾患及び神経・筋疾患の早期診断を目的とした AI 技術の開発を支援し、医療現場への導入を早急に進める必要がある。

また、「AI戦略2022」（令和4年4月22日統合イノベーション戦略推進会議決定）ではAIの活用が期待される分野として「医療アクセスの改善や個別化医療のためのテレメディシンやAI診断支援、教育へのアクセス拡大と個別支援」が挙げられ、どこでも安心して最先端・最適な医療を受けられる環境を整備することが掲げられている。具体的には「革新的な医療機器の創出を目指す質の高い臨床研究、医師主導治験等を実施」や「AIを活用した医療機器の開発・研究における患者データ利用の環境整備」の実施に取り組むべきとされており、今後の高齢化率の上昇等によってD to DやD to P等のニーズの増加が見込まれる一方で、専門診療に対応可能な医療従事者が不足しており、医療従事者の負担の軽減等のためにもオンラインやAI等を用いたD to DやD to P等の遠隔医療体制の構築が不可欠である。また、昨今の新型コロナウイルス感染症によって遠隔医療の重要性が再認識されたところであり、様々な疾患の診療においても専門診療が可能なD to DやD to P等の診療体制を構築するために、また適切な診療提供と医療従事者の負担軽減に繋げるために、医工連携によるAI技術開発、および開発されたAI技術を実装するための基盤整備が求められる。

【事業目標】

精神疾患及び神経・筋疾患において、個人の検査データ（画像・血液・脳波等）とデジタルフェノタイピングデータ（発話・表情・動作・重心・位置情報等）を組み合わせた解析を行い、身体所見等と合わせて診断に用いることで、早期診断が可能となる AI 技術を活用した医療機器プログラム等の研究開発を支援する。

また、様々な疾患の診療において遠隔でも専門診療が可能な D to D や D to P 等の診療体制を構築するため、適切な診療提供および医療従事者の負担軽減に繋げる AI 技術を医工連携により開発し、開発された AI 技術を実装するための基盤整備を進め、どの病院でも安心して最先端・最適な医療を継続して提供できるように研究を推進する。

【研究のスコープ】

- ・精神疾患及び神経・筋疾患の早期診断を可能にする AI 技術を活用した医療機器プログラム等の開発
- ・遠隔による専門診療を可能にする AI 技術を活用した D to D や D to P 等の診療体制の構築

【期待されるアウトプット】

- ・AI 技術を活用して精神疾患及び神経・筋疾患の発症や進行の仕組みを明らかにし、症状が明らかになる前の早期段階から、早期診断につながるエビデンスを創出する。
- ・様々な疾患の診療において、遠隔においても専門診療が可能な D to D や D to P 等の診療体制構築を可能とする AI 技術を活用した基盤整備を行う。

【期待されるアウトカム】

- ・精神疾患及び神経・筋疾患の早期診断を可能にする医療機器プログラムを開発することによって、早期から適切な医療・介護支援・療養等の介入を実現し、予後の改善や生活の質の維持を図る。
- ・様々な疾患の診療において、遠隔でも専門診療が可能な D to D や D to P 等の診療体制を実現する AI 技術を活用した基盤を実装し、どの病院でも安心して最先端・最適な医療を継続して提供し、医療の質を確保した上で医療従事者の負担を軽減する。

（2）これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】リストバンド型ウェアラブルデバイスデータを用いてうつ病スクリーニングおよび重症度評価を可能とするソフトウェア医療機器の開発（令和3～7年度）

【概要】リストバンド型ウェアラブルデバイスを3～7日程度装着することで、うつ病のスクリーニングや重症度の評価を可能にするプログラム医療機器を開発している。令和5年3月にプログラム医療機器に係る優先的な審査等の対象に指定された。

【成果の活用】うつ病の診断や重症度評価に利用可能なバイオマーカーは存在せず、客観性の乏しさや評価者間の不一致が課題となっている。リストバンド型ウェアラブルデバイスによる客観的かつ定量的な指標に基づき、うつ病を早期に発見することにより、早期治療に結びつける。

【課題名】心拍変動解析によるてんかん発作予知 AI システムの研究開発（令和3～7年度）

【概要】ウェアラブル心電計等で得た心電図を解析し、てんかん発作が起きる前にその兆候を検出し、患者や医師等にアラームを発するプログラム医療機器を開発している。令和5年3月にプログラム医療機器に係る優先的な審査等の対象に指定された。

【成果の活用】てんかん発作を事前に予知することにより、早期介入・事故減少・致死

的転帰の回避につながり、社会参加を支える安全・安心を提供するとともに、本人・家族の記憶のみでは漏れが生じうる発作記録を補い、投薬等の治療の最適化に活用する。

【課題名】日本全地域で心不全診療連携を最適化する AI 実装 DtoD システムの開発と実用化（令和4～8年度）

【概要】医師から医師への遠隔コンサルテーションシステムに、AIによる心不全診断・心不全診療支援の機能を搭載した IT プラットフォームの構築を行っている。また、AIによる診療支援システムの開発にも取り組んでいる。

【成果の活用】近年、日本は心不全患者が激増する「心不全パンデミック」のさなかにあり、専門医にかかる負荷が大きくなる一方で、心不全診療には膨大な知識・経験が必要であり、非専門医が日常診療の中で習得するには大きな負荷がかかる。心不全診療連携における専門医、非専門医および非専門医療機関の業務負荷を減らし、心不全パンデミックにおいても、最適な心不全診療を全国に提供できるようにする。

2 令和6年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】AI 技術を活用した統合失調症の早期診断医療機器プログラムの開発（令和3～7年度）

【概要】血液、画像、認知機能などの検査データと、視線や発語などデジタルフェノタイプデータの AI 解析を行って、統合失調症の早期診断の医療機器とそのプログラムを企業と連携して開発している。

【成果の活用】統合失調症患者は病識に乏しく、特に早期は治療導入が困難であることが大きな問題の一つであるが、医療現場における患者に見える数値化した検査は、非常に有効な患者教育ツールとなり、患者が納得して治療を受け入れ、円滑な治療導入につながる。また、統合失調症患者の改善により入院患者数の減少が期待される。

【課題名】患者のライブ映像を含むマルチモーダルな医療データを用いた AI 技術により、重症患者の身体観察所見及び重症度評価を自動化する AI 見守り機能を搭載した D-to-D の遠隔 ICU テレメディシンサービスの実装研究（令和4～8年度）

【概要】本研究開発では、遠隔 ICU サービス内で最も需要の高い「資源管理」と「疼痛・精神管理」の支援に資する AI 見守り機能を有する遠隔 ICU システムを開発・実装する。

【成果の活用】AI へのタスクシフト・タスクシェアにより現場医療だけでなく、遠隔 ICU スタッフの負担軽減が可能となる。

上記を含めて本事業全体で、精神疾患及び神経・筋疾患における早期診断に資する医療機器プログラム等の研究課題を6課題、令和4年度より遠隔医療関連の研究事業を2課題実施しているところであるが、薬事承認取得に向け、令和6年度より順次臨床試験を開始する必要がある。

(2) 新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】 オンライン診療 (D to P) の診療機器の効果的な臨床応用の手法の開発 (令和6～7年度)

【概要】 オンライン診療で活用する医療機器等の普及を進めるため、効果的かつ質の高い臨床応用の手法の開発に向けて、具体的な活用場面を想定しつつ、エビデンスの蓄積に向けた研究を行う。

【成果の活用】 研究成果を診療ガイドラインに位置づけること等により、質の高いD to Pの診療の実施につながり、オンライン診療の普及につながる。

II 参考

1 研究事業と各戦略 (新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略) との関係

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2023 改訂版】 (令和5年6月16日閣議決定)

IV. GX・DX等への投資

4. AI

(2) AIの利用の促進

AI利用を加速するため、医療や介護・行政・教育・金融・製造等のデータ連携基盤の構築、DFFT構想の具体化、人材育成、スタートアップの事業環境整備を進める。

政府機関での生成AIの活用は、機密情報漏洩等のリスクがある一方で、業務効率化や行政サービス向上に有効な可能性もあり、生成AIの扱いは重要な論点である。このため、政府機関において、試験的な利用等を開始し、知見を集積し、共有する。

教育現場でも、AIの利用により教育効果が上がり、教員の負担が軽減できる可能性がある反面、生成AIが宿題に使われる、AIによる生成物か否かの判別が困難といった喫緊の課題もあることから、教育現場における生成AIの利用に関するガイドラインを本年夏までに策定する。

生成AIの普及を見据え、AIの基礎知識など、AIリテラシー教育も充実させる。

【成長戦略等のフォローアップ】 (令和5年6月16日閣議決定)

III. 経済社会の多極集中化

1. デジタル田園都市国家構想の推進

(1) デジタル田園都市国家の実現に向けた基盤整備

(遠隔医療)

- ・オンライン診療を受診することが可能な場所や条件に関する方針について2023年度中に検討し、2024年度末までに当該方針を踏まえ、郵便局等の身近な場所でのオンライン診療の実証を行う。また、2025年度までエビデンス収集・構築の進め方に関する調査・研究を行う。

【経済財政運営と改革の基本方針2023】 (令和5年6月16日閣議決定)

第2章 新しい資本主義の加速

2. 投資の拡大と経済社会改革の実行

(2) グリーントランスフォーメーション (GX)、デジタルトランスフォーメーション (DX) 等の加速

(デジタルトランスフォーメーション (DX)、AI への対応)

デジタル社会の実現において不可欠なデータ基盤強化を図るため、デジタル庁が関係府省庁と連携し、データの取扱いルールを含めたアーキテクチャを設計した上で、健康・医療・介護、教育、インフラ、防災、モビリティ分野等におけるデータ連携基盤の構築を進める。

AI 戦略会議における「AI に関する暫定的な論点整理」も踏まえ、「広島 AI プロセス」を始めとする国際的な議論をリードする。生成 AI の開発・提供・利用を促進するためにも、言わばガードレールとして、AI の多様なリスクへの適切な対応を進めるとともに、AI の最適な利用や、計算資源・データの整備・拡充など AI 開発力の強化を図る。また、DFFT を具体化する国際枠組みを立ち上げ、関連プロジェクトを進める。

(4) 官民連携を通じた 科学技術・イノベーションの推進

科学技術・イノベーションへの投資を通じ、社会課題を経済成長のエンジンへと転換し、持続的な成長を実現する。このため、AI、量子技術、健康・医療、フュージョンエネルギー、バイオものづくり分野において、官民連携による科学技術投資の抜本拡充を図り、科学技術立国を再興する。(中略) 社会課題や情勢変化への機動的な対応・早期の社会実装に向け、公的研究機関や資金配分機関を中核とした新たな連携の構築を図る。

【統合イノベーション戦略 2023】(令和 5 年 6 月 9 日閣議決定)

第 2 章 Society 5.0 の実現に向けた科学技術・イノベーション政策

4. 官民連携による分野別戦略の推進

(1) AI 技術

人工知能 (AI) の利活用が広く社会の中で進展してきており、米国、中国をはじめとした諸外国では AI に関する国家戦略を策定し、世界をリードすべくしのぎを削っている。こうした中、AI が社会に多大なる便益をもたらす一方で、その影響力が大きいことを踏まえ、適切な開発と社会実装を推進していくことが必要である。

このため、第 6 期基本計画期間中は、「AI 戦略 2019」に掲げた教育改革、研究体制の再構築、社会実装、データ関連基盤整備、倫理等に関する具体目標を実現すべく、関係府省庁等での各取組を進めていく。また、深層学習の原理解明による次世代の機械学習アルゴリズム、同時通訳等の高度な自然言語処理、医療やものづくり分野等への適用に重要な信頼性の高い AI 等の諸外国に伍する先端的な研究開発や人材・研究環境・データの確保・強化など、戦略の進捗状況や AI の社会実装の進展等を踏まえた不断の見直しを行い、国民一人ひとりが AI の具体的な便益を実感できるよう、戦略を推進していく。

(社会実装の推進)

-PRISM 事業も活用しつつ、患者のゲノムデータや診療情報等から AI が創薬ターゲット探索を行う「創薬ターゲット探索プラットフォーム」を構築

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）

4.2. 健康長寿社会の形成に資する新産業創出及び国際展開の促進等

4.2.1. 新産業創出

(1) 公的保険外のヘルスケア産業の促進等

○ 適正なサービス提供のための環境整備

（イノベーションの社会実装）」

- ・ ICT、AI、ロボットなどの新たな技術の医療・介護現場への導入やヘルスケアサービスへの実装を図る。（総、文、◎厚、経）

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

厚生労働科学研究「臨床研究等 ICT 基盤構築・人工知能実装研究事業」は AI や ICT 技術を活用した医療の質の向上、均てん化やデータ利活用の環境整備等の政策的課題に対応している。一方で、AMED 研究はデータを利活用し新規の製品・サービスの開発・社会実装を目指すものである。

プロジェクト名	ゲノム・データ基盤プロジェクト
研究事業名	メディカルアーツ研究事業
主管部局・課室名	医政局研究開発政策課
AMED 担当部・課名	ゲノム・データ基盤事業部医療技術研究開発課
省内関係部局・課室名	無し

当初予算額（千円）	令和3年度	令和4年度	令和5年度
		50,000	48,663

I 実施方針の骨子

1 研究事業の概要

(1) 研究事業の目的・目標

【背景】

革新的な医薬品・医療機器を医療現場へ効果的に導入するためには、従来の医薬品・医療機器の開発に加え、医療者の経験や知識に頼りがちであった、外科的手技や術中管理、医師が患者の状況を判断して行う診察などといった無形の医療技術をデータ化し、それを用いて新たな医療技術を開発する必要がある。

特に、本邦における深刻な問題である外科医不足の解決に向けた、効率的かつ効果的な若手外科医の教育・技術向上・働き方改革の推進において、外科医の優れた手術手技等のデータ化や創出されたデータを他外科領域へ横展開するための基盤整備は重要である。

【事業目標】

医療の改革・新技術の創出につながる医療技術に関する知見の獲得、医療技術のノウハウのデータ化と定量的評価にかかる研究開発の推進、及びその成果の社会実装により、医療に関する総合的な技術力の向上や優れた無形の医療技術の次世代への伝承を図り、外科医の周術期負担増加等の超高齢社会の課題克服、健康寿命の延伸を目指す。

【研究の範囲】

より効果的な（あるいは新たな）手術方法等の開発。

外科領域において、医療者の知識や経験に基づいて実施されている手術手技や術中管理等の技術を定量化し、統計的手法等を用いた評価及び検証を行うとともに体系化することにより、手術等の最適なアルゴリズムやエビデンスに基づいた革新的な技術を構築する。

【期待されるアウトプット】

- ・インパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載を3本以上
- ・非臨床POCの取得件数1件以上

【期待されるアウトカム】

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 2件以上

(2) これまでの研究成果の概要、及び政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】内視鏡外科手術におけるAI自動技術評価システムの開発（令和2～4年度）

【概要】日本内視鏡外科学会との連携により1,650例の技術認定医試験の手術動画、技術評価点数結果に基づくAI自動評価システム構築を行った。本評価システムは、日

本内視鏡外科学会技術認定審査における高得点群、低得点群、当該術式の経験症例数5例以下の術者群の3コホート比較においていずれも有意差を認め、評価システムとして有用であることが実証された。

【成果の活用】学会推奨教育ツールとしての活用を目指している。

【課題名】手術動画解析 AI を用いた「熟練の技」の教育と手術支援システムの開発（令和2～4年度）

【概要】ウェブベースの白内障手術動画レポジトリの構築を行い、得られた動画から手技動作の評価システムと共に、AI による白内障手術失敗リスク値をリアルタイムに算出する評価システムを開発した。研修医と指導医に対して開発した評価システムを検証したところ、危険指標、核処理の過程、いずれにおいても指導医の方が有意に良好という結果を得た。

【成果の活用】本評価システムは、日本眼科 AI 学会等と連携し、手術指導ガイドラインに反映予定である。

2 令和6年度に推進する研究課題

（1）継続研究課題のうち優先的に推進する研究課題（増額要求等する課題）の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

【課題名】外科領域における、医療者の経験や知識に基づく、優れた無形の医療技術のデータ化及び分析を通じた効果的な外科的手技等の開発に向けた研究

【概要】優れた外科的手技の次世代への伝承、新たな医療技術の開発のために、外科医の支援を主軸としつつ、各診療科にまたがる横断的な外科領域の研究を推進する必要がある。

【成果の活用】専門性が求められる外科診療において、医療機器等の開発に資するアルゴリズムの作成や効果的な（あるいは新たな）手術技術の構築が期待される。また、それら成果物が「医療機器・ヘルスケアプロジェクト」の所管する研究事業等へ移行されることも期待される。

（2）新規研究課題として優先的に推進する研究課題の概要、及び期待される研究成果の政策等への活用又は実用化に向けた取組

該当なし。

II 参考

1 研究事業と各戦略（新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画・フォローアップ、成長戦略、骨太方針、統合イノベーション戦略、健康・医療戦略）との関係

【健康・医療戦略（第2期）】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）4.1. 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の推進

(1) 研究開発の推進

○6つの統合プロジェクト

④ゲノム・データ基盤プロジェクト

「また、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、

無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行う。」

2 他の研究事業（厚生労働科学研究、AMED内、他省庁研究事業）との関係

成果物である「最適なアルゴリズム」が、新たな医療機器や医療技術の開発に繋がることから、厚生労働科学研究（診療ガイドライン、マニュアル等の開発など）および医療機器・ヘルスケアプロジェクト等への移行が考えられる。