

令和 7 年度研究事業実施方針

【AMED 研究】

厚生科学審議会
科学技術部会

令和 6 年 7 月 18 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）	・ ・ ・ ・ ・	15
創薬支援推進事業（PJ1）	・ ・ ・ ・ ・	20
医療機器開発推進研究事業（PJ2）	・ ・ ・ ・ ・	28
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（PJ2）	・ ・ ・ ・ ・	33
再生医療等実用化研究事業（PJ3）	・ ・ ・ ・ ・	38
ゲノム創薬基盤推進研究事業（PJ4）	・ ・ ・ ・ ・	42
革新的がん医療実用化研究事業（PJ1、2、3、4、5）	・ ・ ・ ・ ・	46
認知症研究開発事業（PJ1、4、5）	・ ・ ・ ・ ・	54
障害者対策総合研究開発事業（精神障害分野）（PJ4）	・ ・ ・ ・ ・	61
障害者対策総合研究開発事業（身体・知的・感覚器）（PJ4）	・ ・ ・ ・ ・	67
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）	・ ・ ・ ・ ・	70
難治性疾患実用化研究事業（PJ1、2、3、4、5）	・ ・ ・ ・ ・	82
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）	・ ・ ・ ・ ・	89
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）	・ ・ ・	96
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）	・ ・ ・	101
女性の健康の包括的支援実用化研究事業（PJ4、5）	・ ・ ・ ・ ・	107
腎疾患実用化研究事業（PJ1、5）	・ ・ ・ ・ ・	113
免疫アレルギー疾患実用化研究事業（PJ1、4、5）	・ ・ ・ ・ ・	116
移植医療技術開発研究事業（PJ4）	・ ・ ・ ・ ・	123
慢性の痛み解明研究事業（PJ5）	・ ・ ・ ・ ・	127
エイズ対策実用化研究事業（PJ5）	・ ・ ・ ・ ・	130
肝炎等克服実用化研究事業（PJ1、4、5）	・ ・ ・ ・ ・	137
長寿科学開発研究事業（PJ5）	・ ・ ・ ・ ・	144
「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）	・ ・ ・ ・ ・	149
医工連携・人工知能実装研究事業（PJ4）	・ ・ ・ ・ ・	154
メディカルアーツ研究事業（PJ4）	・ ・ ・ ・ ・	160

【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（PJ）名	医薬品PJ
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4年度	令和5年度	令和6年度
	2,124,345	2,124,345	2,488,345

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、産学連携により取り組むべき社会的医療ニーズの解決に必要な基盤を整備し、創薬研究を支援する。

② 創薬技術開発研究

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、先端技術や多様な学問領域特有の技術を取り入れた医薬品デザイン技術開発、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や中分子研究等を支援する。

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

オンデマンドな送達技術・薬物動態の応用展開に関する研究や、創薬ターゲットの同定に係る研究等、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)

(※) 医療分野研究開発推進計画 (令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更) を元に記載。

(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】創薬技術活用 GAPFREE による筋萎縮性側索硬化症(ALS)に対する薬効評価技術確立について (平成31年度～令和4年度)

【概要】企業との共同研究により、ALS 患者の協力の下、ALS 患者由来 iPS 細胞から運動神経細胞へ分化・誘導させ、ALS 評価パネル構築を進めた。また、ALS 患者の臨床・遺伝情報が集積する JaCALS (Japanese Consortium for ALS research : <https://www.jacals.jp/>) のデータ解析結果から、病気の進行パターンが4グループに分類できることが明らかにされているため、各グループに相応するパネルが完成し、新薬候補物質の薬効を評価する基本技術を確立した。

【成果の活用】特定の患者グループに特化して有効性を示す新規 ALS 治療薬を創出する薬効評価技術が確立され、進行性の難治性神経変性疾患への新薬創出に貢献することが期待される。

【課題名】Staple 核酸を利用した新規核酸医薬機序開拓 (令和3～5年度)

【概要】標的 mRNA 中に RGq 構造の形成を誘起し、タンパク質翻訳反応を制御する Staple 核酸技術の有用性を明らかにし、ターゲットの mRNA 配列により、種々の疾患に応用可能な核酸医薬のプラットフォームを構築し、製薬企業と共同研究を開始した。

【成果の活用】疾患発症特有の mRNA 異常をピンポイントで標的化することが可能で、オフターゲット効果も極めて少ない Staple 核酸技術が確立され、遺伝子異常により発症する種々疾患の日本発核酸医薬の開発に貢献することが期待される。

2 令和7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】アカデミア・企業が想定している幅広い医療ニーズに対する柔軟な対応が可能な GAPFREE による創薬研究をさらに機動的かつ効果的に進める必要があり、常設化した GAPFREE への企業参画を促し、アカデミア・企業連携による創薬研究を活性化することで、企業による医薬品開発の開始が加速できるよう、産学官の強みを活かした創薬研究をさらに推進する必要がある。

【成果の活用】GAPFREE において、産学連携により取り組むべき社会的医療ニーズの解決に必要な基盤を整備し、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や他事業との連携を推進し、代替動物モデル開発、ヒトでの有効性予測が可能な前臨床評価技術の開発等の革新的創薬技術の創出、新たなシーズ開発に

つながる活性評価技術、医薬品創出技術や臨床情報・エビデンスに基づく創薬ターゲットの創出、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。

【課題名】産学官共同型の認知症克服に資する創薬技術研究プロジェクト

【概要】日本発の認知症新薬が米国で正式承認されるなど、我が国の創薬開発は先行し、脳科学研究等の基礎研究成果も出始めている。国際競争が激化する中、我が国の基礎研究シーズを創薬に繋げる総合力を強化・拡充していくことが重要である。このため、創薬加速化・脳科学応用・将来技術からなる3段階の「認知症・脳神経疾患 研究開発イニシアチブ」を創設され、当該疾患領域における国際共同治験、基礎・臨床の双方向性の産学共同研究開発、将来に向けた新規技術の研究をさらに支援する必要がある。

【成果の活用】認知症を対象とする治療薬等の研究開発の加速化とともに、ネクストステージの医療技術として競争力を獲得するための疾患機序解明・創薬標的選定、革新的な標的治療薬開発、新規バイオマーカーの発掘と実用化、治療に係る先進的な技術・研究基盤構築等の推進を目指す。

(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

継続研究課題の拡充に重点を置くため、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。

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2024 改訂版】（令和6年6月21日閣議決定）

v. 投資の促進

5. 健康・医療

(1) 成長の加速化

⑤創薬力の強化

製薬産業を我が国の基幹産業と位置付け、創薬力の強化を図る。

(略) iv) アカデミアやスタートアップの絶え間ないシーズ創出・育成

等に取り組む。(略)

【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（PJ）名	医薬品PJ、シーズ開発・研究基盤PJ
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・生活衛生局感染症対策部感染症対策課

当初予算額（千円）	令和4年度	令和5年度	令和6年度
	3,470,156	3,470,156	3,800,156

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

(※) 医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更）を元に記載。

(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】再発・難治性悪性神経膠腫に対する治療用放射性薬剤 ^{64}Cu -ATSM の有効性を検証する研究開発（令和5～8年度）

【概要】放射性薬剤 ^{64}Cu -ATSM が、膠芽腫など低酸素化脳腫瘍に高集積し、腫瘍に対し治療効果を発揮することを第Ⅰ相試験で確認し、人に対する投与量を決定し（令和5年度）、有効性を検証するランダム化医師主導治験の準備を開始した。

【成果の活用】国内で開発された ^{64}Cu -ATSM の承認により、難治癌である膠芽腫に対する新たな治療薬の開発に貢献することが期待される。

【課題名】「肺非結核性抗酸菌症に対する GM-CSF 吸入療法」の開発に向けた特定臨床研究（令和3～5年度）

【概要】GM-CSF（顆粒球マクロファージコロニー刺激因子）吸入療法を用いた難治性の肺非結核性抗酸菌（NTM）症に対する前期第Ⅱ相特定臨床研究（GNP 試験）の結果を受け、試験薬「サルグラモスチム」の開発・販売企業との合意のもと、多剤併用化学療法が奏功した肺 NTM 症患者に対するメンテナンス治療として、GM-CSF 吸入を用いた前期第Ⅱ相医師主導治験（GUARD 試験）を計画した。

【成果の活用】肺 NTM 症に対して抗菌薬治療を補完する新たな治療戦略としての GM-CSF 吸入療法の薬事承認が期待される。

＜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

- 2020 年度入学 合計 18 名、2020 年（2021 年 3 月）度修了 合計 17 名
 - 2021 年度入学 合計 11 名、2021 年（2022 年 3 月）度修了 合計 19 名
 - 2022 年度入学 合計 14 名、2022 年（2023 年 3 月）度修了 合計 12 名
 - 2023 年度入学 合計 11 名、2023 年（2024 年 3 月）度修了 合計 14 名
- （これまで、約 7 割がアカデミアに就職、約 1 割が企業に就職、約 1 割が PMDA に就職・博士課程に進学）

【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 3～5 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、これまで「国立国際医療研究センター」では 22 課題（企業治験 5 課題、研究者主導試験 17 課題）、国立がん研究センターでは 49 課題（企業治験 43 課題、研究者主導試験 6 課題）の国際共同試験を実施。

【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 7 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＞

【研究領域名】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／ドラッグロスの指摘されており、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／ドラッグロスの解消に寄与する。

【研究領域名】認知症を対象とした臨床研究・治験等の推進

【概要】政府の方針として、「認知症等の発症・進行抑制、治療法の開発～認知症・脳神経疾患研究開発イニシアティブ～」(令和 5 年 8 月 25 日開催 健康・医療戦略推進会議)が示され、認知症治療薬の薬事承認を目指した治験等を推進する必要がある。

【成果の活用】認知症治療薬の研究開発の加速が期待される。

＜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り、国境を越えた分散型臨床試験の体制整備、感染症緊急事態に対応した体制整備を行う必要がある。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課題をさらに推進する必要がある。

【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（医薬品規制調和国際会議における医薬品の臨床試験の実施に関する基準）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

＜医薬品プロジェクト＞

【研究領域名】ドラッグラグ／ドラッグロスの解消に向けた医師主導治験の推進

【概要】ドラッグラグ／ドラッグロスを解消すべく、企業による開発が進まない医薬品についてはアカデミア主導での開発を進める必要があり、関係学会の協力の下で実施される医師主導治験の実施を支援する。

【成果の活用】欧米で承認されている医療ニーズの高い新薬のドラッグラグ／ドラッグロスの解消に寄与する。

＜シーズ開発・研究基盤プロジェクト＞

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。

【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

① 認知症等の脳神経疾患の発症・進行抑制・治療法の開発

（略）世界初のアルツハイマー病の治療薬を開発した強みを活かし、認知症に対して、抜本的な発症・進行抑制・回復に向けた治療薬の開発を目指す。（略）

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2024 年改訂版】（令和6年6月21日閣議決定）

5. 健康

（１）成長

⑤ 創薬力の強化

製薬産業を我が国の基幹産業と位置付け、創薬力の強化を図る。

創薬は基礎から実用化に至るまでの幅広い研究開発能力とともに、社会制度や規制等の総合力が求められる。創薬エコシステムを構成する人材、関連産業、臨床機能などすべての充実と発展に向け、国際的な視点を踏まえながら、「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議」の中間取りまとめに沿って、

- i) 多様なプレーヤーと連携し、出口志向の研究開発をリードできる人材の育成
- ii) 国際水準の臨床試験実施体制の整備
- iii) 新規モダリティ医薬品の国内製造体制の整備
- iv) アカデミアやスタートアップの絶え間ないシーズ創出・育成

等に取り組む。

6. 官民連携による科学技術・イノベーションの推進

(4) 再生・細胞医療・遺伝子治療等

認知症等の脳神経疾患の発症・進行抑制・治療法の開発を進めるとともに、(略) また、ライフ・コースに着目した健康医療の研究開発を推進する。(略)

【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。

【経済財政運営と改革の基本方針 2024】（令和6年6月21日閣議決定）

第3章 中長期的に持続可能な経済社会の実現～「経済・財政新生計画」～

3. 主要分野ごとの基本方針と重要課題

（1）全世代型社会保障の構築

（創薬力の強化等ヘルスケアの推進）

創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるため、構想会議中間取りまとめを踏まえ、（略）大学病院等の研究開発力の向上に向けた環境整備やAMEDの研究開発支援を通じて研究基盤を強化することで創薬力の抜本的強化を図る。（略）

【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 2024】（令和 6 年 6 月 4 日閣議決定）

別添 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中核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。これまで、82 名の修了者を輩出しており、修了者の7割以上がアカデミアに就職した。	（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）や卒後教育を実施し、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・治験を支援し、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（PJ）名	医薬品PJ
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4年度	令和5年度	令和6年度
	1,091,091	1,077,530	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】中分子ペプチド医薬品の品質及び安全性評価に関する研究（令和3～5年度）

【概要】化学合成されるペプチド医薬品の品質評価・管理における基本的な原則や、規

格及び試験を設定する上での推奨事項をまとめた「化学合成ペプチド医薬品の品質評価に関するガイドライン」、及び、非天然型ペプチド医薬品の非臨床安全性評価における基本的な原則や、非臨床安全性試験を立案する上での推奨事項をまとめた「非天然型構造を有する化学合成ペプチド医薬品の非臨床安全性評価に関するガイドライン」の案を作成して規制当局に提出した。

【成果の活用】世界に先駆けてガイドラインを発出することにより我が国における中分子ペプチド医薬品の開発・承認審査の促進・効率化に貢献する。

【課題名】次世代バイオロジクスの品質安全性評価に関するレギュラトリーサイエンス研究（令和3～5年度）

【概要】バイオ医薬品の免疫原性に影響するリスク要因（ハザード）と考えられる事項について整理するとともに、臨床試験での抗薬物抗体評価を中心とした免疫原性評価において考慮すべき事項、品質管理や製造販売後の適正使用において考慮すべき事項をまとめた「バイオ医薬品の免疫原性評価に関するガイドライン案」を作成して規制当局に提出した。

【成果の活用】既に整備されている米欧に加え、日本でも「バイオ医薬品の安全性に関わる免疫原性評価に関するガイドライン」が整備されることにより、開発推進に必要なガイドラインの国際的な調和に関する議論の活性化につなげることが期待される。

2 令和7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】移植医療への応用を想定した動物由来臓器の品質・有効性・安全性評価法に関する研究開発

【概要】異種移植の臨床試験開始に向けた指針作りが国際的に本格化しているが、遺伝子改変動物由来の臓器を患者への適用を目的として製造・販売する際は、その品質・安全性の確保に関して、様々な検討すべき課題が存在する。そのため、国際的な規制調和を前提とするレギュラトリーサイエンスのもとで開発・標準化することが、必要かつ極めて重要である。特に遺伝子改変ブタの最終製品としての臓器の安全性担保に関する検討（ウイルス等の感染因子の混入防止、及び、臓器の免疫原性評価）が課題である。したがって、動物由来臓器を用いた移植医療の質の向上のため、安全性担保に必要な事項を整理する必要がある。

【成果の活用】異種移植に遺伝子改変ブタを用いる際の品質・安全性の担保に関するガイドラインの作成、遺伝子改変ブタの生産・管理体制や安全かつ高品質な移植実施体制の標準化を図ること等により、遺伝子改変動物由来の異種移植に係る医療の質の向上に寄与する。

（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

＜新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究＞

【課題名】エクソソーム製剤の臨床試験開始に向けた品質安全性確保のための規制要件に関する研究

【概要】近年、新規モダリティとして、細胞から放出されるエクソソーム（細胞外小胞の中でも直径100nm前後で細胞間情報伝達機能を有するもの）が注目され、国内外で

医薬品としての開発が進んでいる。薬事承認を受けた医薬品としてエクソソーム製剤が実用化され、既存のモダリティにない有効性を示す治療薬として活用されるには、品質安全性確保のための評価法の開発と規制要件の確立が緊縛の課題である。本研究開発課題では、エクソソーム製剤の有効性・安全性に関する *in vitro* 及び *in vivo* 評価系の開発、細胞基材及び製品の不均一性プロファイルの解析法開発と品質管理手法の提案、並びにエクソソーム製剤の臨床試験開始にむけた品質安全性確保のためのガイダンス案の作成を実施する。

【成果の活用】治験開始までに実施すべきエクソソーム製剤の品質及び安全性に関する評価の内容が明らかとなることによって、エクソソーム製剤の開発の効率化と被験者の安全性が確保され、品質安全性の確保されたエクソソーム製剤の迅速な開発につながる事が期待される。

<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】新規 *in vitro* 評価系を用いた医薬品等の安全性・薬物動態試験等の国際調和に資する研究

【概要】3Rs (replacement, reduction, refinement) の原則のもと、医薬品開発における動物実験の削減に関する取り組みが進む中、生体模倣システム (MPS) やオルガノイド等のヒトへの外挿性の高い新規 *in vitro* 評価系の開発・利活用への期待が高まっている。再現性やユーザビリティの高い MPS 等の新規 *in vitro* 評価法の開発及び利活用において国際的な遅れをとらないためにも、我が国発の具体的な評価モデルの確立・提案と国際調和にむけた体制作りが必要である。本研究開発課題では、MPS 等の新規 *in vitro* 評価系のモデル開発、及び、国際的な動向を踏まえた医薬品開発における利活用に関する議論を進め、将来的な ICH (医薬品規制調和国際会議) ガイドラインへの反映を見据えた OECD テストガイドライン等の提案を行う。

【成果の活用】国際的な整合性のとれた新規 *in vitro* 評価系を用いたデータ利活用により動物実験の削減に貢献するほか、非臨床試験のヒト外挿性向上による医薬品候補化合物の上市率向上を通じて安全かつ迅速に国民への新規医薬品の提供が可能となる。

<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】モダリティ特有の要因に着目した機械学習利用プログラム医療機器の性能変化に関する研究

【概要】近年、機械学習 (ML) に基づいた AI を利用した医療機器プログラム (SaMD) として画像診断支援だけでなく行動変容などを目的とした製品の開発が進んでいる。そのため、市販後学習プロセスとその特性に応じた性能評価プロセスとを連動させる必要があり、これまでにシンチグラフィに適用可能な SaMD モデルにおいて性能評価プロセスの妥当性について検証されているが、その成果の一般化に向けて他のモダリティを利用した診断支援 SaMD において同様の研究を行う必要がある。また、行動変容を目的とした ML 利用 SaMD の適切な規制の構築に向けて、診断支援を目的とした ML 利用 SaMD との共通した留意点を新たに洗い出す必要が生じている。本研究では、ML 利用 SaMD の迅速な上市化に必要な規制環境を整備するため、種々のモダリティを対象とした ML 利用 SaMD の市販後学習及び性能評価手法の実態を調査するとともに、実証実験を通じて市販後学習プロセスにおけるモダリティ毎の問題点の整理と解決策の提示を行い、関連する国際標準への反映を目指す。さらに、行動変容系 SaMD における留意点との共通性についての検討も試みる。

【成果の活用】市販後学習後の ML 利用 SaMD の性能評価プロセス及び品質管理方法等の確立により、ML 利用 SaMD の社会実装促進や性能向上促進、ML 利用 SaMD に係る各種国際規格作成の足掛かりとする。

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 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（PJ）名	医薬品PJ
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4年度	令和5年度	令和6年度
	3,455,677	3,455,677	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。

「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）において、スタートアップへの研究開発支援の強化が示されているが、第11回医薬品開発協議会（令和6年3月14日）資料2「医薬品の研究開発における論点及び今後の方向性」において、アカデミアと企業のギャップを埋める仕組みとして、創薬ブースターによる伴走支援の拡充や新規モダリティに関する早期マッチングと、医薬品の研究開発に関する環境整備として希少疾病領域の開発等の推進（プレオーファン支援補助制度の充実）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の活用及び創薬シーズの実用化検証を行う場の提供等により、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疾患領域に応じて支援し、製薬企業（ベンチャー・スタートアップ含む）における実用化研究やAMED 他事業への橋渡しにより、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 Scope】

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、非臨床試験や知財管理等に関する支援等の基盤整備を創薬コーディネーターによる伴走支援で推進し、創薬シーズの早期実用化を図る。

② 創薬支援効率化事業

産官学が連携して、効率的なデータ収集と予測精度の向上による創薬ターゲット予測基盤及びシーズ探索 AI 創薬基盤の構築並びに新規モダリティを対象とした新たなマッチングの場の提供を進める。さらにスタートアップを含む企業ニーズに基づくシーズ評価（精度管理された薬効試験等の実施含む）を行うことで、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】(※)

- ① 創薬企業出身の創薬コーディネーターによる伴走支援と創薬支援ネットワークの技術協力、AI を活用した新たな創薬基盤の整備等により、大学等の創薬シーズの開発を促進し、企業における実用化研究や AMED 他事業への橋渡しにつなげる。
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）
- ② 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製薬企業（ベンチャー・スタートアップを含む）における医薬品としての実用化と、希少疾病用医薬品を含む革新的医薬品創出の効率を向上が期待される。

(※) 医療分野研究開発推進計画（令和 2 年 3 月 27 日決定、令和 3 年 4 月 6 日一部変更）を元に記載。

(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】新規抗不整脈薬の探索（令和 5 年度終了）

【概要】企業とのマッチングイベント（D-BIO Digital）において面談後、秘密保持契約締結の希望があった企業と導出交渉を行い、導出した。

【成果の活用】当該企業において、今後も本課題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。

（令和 5 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 1 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、令和 4 年度より開始した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た文部科学省の所管事業である橋渡し研究プログラムとの連携において、令和 4 年度は 10 拠点から 34 件のシーズ提案を受け 12 件の支援を開始、令和 5 年度は 11 拠点から 29 件のシーズ提案を受け 8 件の支援を開始。

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 6 年度まで）、産学連携スクリーニングコンソーシアム事業（DISC）（令和 7 年度まで）

【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 17 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。また、DISC においては、令和 2 年度から令和 5 年度までの期間において、コンソーシアム会員企業 21 社から提供された約 30 万化合物からなるライブラリーと、AMED が市販化合物より選定し購入した低分子と中分子からなる約 9 万の購入化合物ライブラリーを用いたスクリーニングを 6 課題実施し、うち 3 課題で 4 社への企業導出につながった。

【成果の活用】アカデミアにおいて、DAIIA で構築中の創薬 AI プラットフォームを用いて、創薬ターゲット数種類に対する創薬研究における応用を開始した。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。また、スクリーニングによって得られた DISC ヒット化合物を導入した会員企業において、実用化に向けて研究が継続される。

(令和 3 年度)

- ・「産学連携による次世代創薬 AI 開発事業 (DAIIA)」において、製薬企業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 (DAIIA)」において、これまでに参画企業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。

(令和 5 年度)

- ・「産学連携による次世代創薬 AI 開発事業 (DAIIA)」において、製薬企業が安心してデータ提供を行えるよう、各社の情報セキュリティポリシー、データの提供方法及びネットワーク環境等に応じた連合学習運用環境の整備とセキュリティ強化を行い、当該取組みにより、10 社を越える製薬企業の秘匿性の高いデータを広く集約することができ、高精度な AI 創薬モデルの構築が可能となった。

③ 希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業

【課題名】抗 FGF2 アプタマー (RBM-007) を用いた軟骨無形成症治療薬の開発 (令和 5 年度終了)

【概要】希少疾病である軟骨無形成症患者を対象に治験薬を投与したときの有効性及び安全性を観察試験で得られたデータと比較検討するため、観察試験、前期第Ⅱ相試験及び長期投与試験が実施された。

【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)

平成 27 年度～29 年度に本事業で実用化に向けた支援をしたアセノイラミン酸 (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」) が、令和 2 年度に希少疾病用医薬品として指定された。

(令和5年度)

平成27年度～29年度に支援した課題名「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」の医薬品(アセノベル徐放錠500mg)が、「縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチーにおける筋力低下の進行抑制」を効能・効果とする新有効成分含有医薬品として、令和6年2月29日に開催された薬事・食品衛生審議会 医薬品第一部会にて、製造販売承認の可否が審議され、承認を可と判断された。

なお、これまでに実用化に向けた支援を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ている。

2 令和7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

① 創薬総合支援事業(創薬ブースター)

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、モダリティや疾患領域に応じて、企業導出に適したステージまで伴走支援が可能となるよう、創薬ブースターの支援ステージを再編する。これにより、企業固有技術の適用が必要となる新モダリティ分野のシーズや企業等のニーズの高いがん関連を対象とする疾患領域シーズについては、より早期の企業導出を目指す。一方で、特に、難病等の事業性に課題のある疾患を対象として、他事業又は企業へ橋渡しが容易となる完成度の高い薬剤を取得できるステージまで支援する。このために、文部科学省の事業である橋渡し研究プログラム等のAMED内他事業との連携をさらに促進し、創薬コーディネーターによる伴走支援の充実を行う(拡充・新規課題の採択)。

【課題名】 転座型がん遺伝子の新規核酸医薬品の探索

【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、核酸製剤で転座型がん遺伝子を阻害することにより、腫瘍細胞の増殖を抑制し、腫瘍のみを死滅させる薬剤の創出を目指している。創薬ブースターの支援において、研究者がスクリーニングにより取得した核酸を用いて *in vitro* 及び *in vivo* 評価試験を実施し、薬効等の十分なデータを取得する必要がある。

【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

製薬企業21社が会員となり実用化への橋渡しの仕組みを持つ産学協働スクリーニングコンソーシアムの令和7年度での活動終了に向けた対応を行う。

【課題名】 産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)

【概要】 産学協働スクリーニングコンソーシアムの会員企業である製薬企業21社から提供された約30万化合物からなるライブラリーと、AMEDが市販化合物より選定し購入した低分子と中分子からなる約9万の購入化合物ライブラリーを用いて、創薬ブースター支援テーマのスクリーニングを実施し、得られたヒット化合物について会員企業が導入評価を行うことで実用化につなげる。令和7年度は活動最終年度となるため、令和7

年度初旬までにスクリーニングを実施した課題について、企業が導入評価を行う。また、AMED が構築した購入化合物ライブラリーを創薬ブースターで継続活用できるよう、適切な化合物保管先を選定し移管する。

【成果の活用】ヒット化合物が会員企業に導入された場合は、当該企業において実用化に向けた研究が継続される。また、AMED 購入化合物の移管により、コンソーシアム活動終了後もアカデミアにおいて購入化合物ライブラリーの活用が可能となる。

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。また、本邦におけるドラッグロスの課題は希少疾病用医薬品が多く、近年では希少疾病用医薬品等の指定に関する通知が改正（令和 6 年 1 月 16 日付 医薬薬審発 0116 第 1 号、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長、医薬機審発 0116 第 1 号、医療機器審査管理課長連名通知）され、非臨床試験結果等を踏まえたより早期の段階から指定の判断がなされること等、その指定基準がより明確となったことで、今後、早期の段階も含めて、希少疾病用医薬品の指定を目指す品目の開発がさらに拡充するものと考えられる。

このような希少疾病用医薬品の高まる社会的ニーズに対応するため、本事業において、企業の研究進捗に応じた機動的な公募の実施等に対応できる体制構築と、スタートアップ等に対するより長期間の支援を行い、希少疾病用医薬品の実用化を推進する（拡充・採択課題数の増）。

【課題名】再発・難治性悪性神経膠腫に対する放射性治療薬の開発（ ^{64}Cu -ATSM）

【概要】悪性神経膠腫は脳への浸潤性が高いため外科手術において腫瘍をすべて取り除くことは不可能であり、放射線治療・化学療法に対しても十分な治療効果が期待できないことから、新規の治療薬の開発が望まれている。そのため、悪性神経膠腫の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】再発・難治性悪性神経膠腫の治療薬の開発、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

① 創薬支援効率化事業

【課題名】新モダリティ（バイオ）コンソーシアム、精度管理データに基づく実用化支援

【概要】現在の創薬ブースターでの導出は低分子分野が中心であり、創薬環境の変化に伴うモダリティの多様化に対応できておらず、特に新モダリティはより早期の段階から具体的な創薬技術をもつ企業パートナーとの連携が不可欠である。また、導出先については製薬企業に加え、新たにスタートアップやベンチャーキャピタル等の創薬プレーヤーにも導出するための仕組みを新たに構築する必要がある。

このような状況を踏まえ、モダリティの多様化（特に、抗体、核酸、遺伝子治療、細胞治療等）に対応する新規モダリティを対象とした産官学協働の新たなマッチングの場の提供（スタートアップ支援含む）、製薬企業が把握する医療上の社会的ニーズに基づくシーズ評価（委託による精度管理された薬効試験等）を行う。

【成果の活用】特にバイオ医薬品において、アカデミアのシーズと企業の創薬技術の早期マッチング及び最適な組合せの実証を通じて、企業導出を促進する場を提供するこ

と、また企業等が出資・導入判断可能なシーズ評価を実施することで、より早期に製薬企業の関与を引き出し、より多くのシーズの企業導出へとつなげる。

【課題名】産学連携による創薬ターゲット予測・シーズ探索 AIPF 開発

【概要】低分子分野での創薬 AI プラットフォームは、現行事業（産学連携による次世代創薬 AI 開発（DAIIA））により構築が進んでいるが、モダリティが多様化している創薬環境に適合するため、他のモダリティ分野への拡張を行う。汎用生成 AI に基づく創薬ターゲット予測とシーズ探索を行う AI を産官学連携により新たに構築すると共に、DAIIA で構築済みの AI を融合させ、初期フェーズの創薬研究（標的特定～構造最適化）に活用できる AI プラットフォームを構築する。

【成果の活用】標的探索から標的検証、またそれに続く有望な新規化合物設計が一気通貫として可能となる統合創薬 AI プラットフォームの統合が可能となる。

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）

I. 資本主義のバージョンアップに向けて

3. 「市場も国家も」による課題解決と新たな市場・成長、国民の持続的な幸福実現
特に、資本主義の持続可能性と強靱性を高め、全ての人が成長の恩恵を受けられるようにするためには、人への投資・スタートアップ育成・先端技術開発といった、市場だけでは進みにくい分野に対して、重点的に官民が連携し、大規模に実行を進める必要がある。このことは、少子高齢化の中で今後労働力人口が不足する我が国においては、決定的に重要である。

【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

一医薬品開発での 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。

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2024 改訂版】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

v. 投資の促進

5. 健康・医療

（1）成長の加速化

⑤創薬力の強化

製薬産業を我が国の基幹産業と位置付け、創薬力の強化を図る。

（略）iv）アカデミアやスタートアップの絶え間ないシーズ創出・育成等に取り組む。

加えて、創薬プロセス全体を多数の A I で制御し統合する創薬 A I プラットフォームの構築を推進する。

【経済財政運営と改革の基本方針 2024】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

第 3 章 中長期的に持続可能な経済社会の実現～「経済・財政新生計画」～

3. 主要分野ごとの基本方針と重要課題

（創薬力の強化等ヘルスケアの推進）

（略）このほか、MEDISO198 の機能強化、CARISO（仮称）199 の整備など医療介護分野のヘルスケアスタートアップの振興・支援の強力な推進、2025 年度の事業実施組織の設立に向けた全ゲノム解析等に係る計画 200 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、創薬 A I プラットフォームの整備、医療機器を含むヘルスケア産業、i P S 細胞を活用した創薬や再生医療等の研究開発の推進及び同分野に係る産業振興拠点の整備や医療安全の更なる向上・病院等の事務効率化に資する医薬品・医療機器等の製品データベースの構築等を推進する。

【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

- ・（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（PJ）名	医療機器・ヘルスケアPJ
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4年度	令和5年度	令和6年度
	1,201,818	1,201,818	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】

医療従事者等の業務の効率化・負担軽減や疾病予防・重症化予防に資する医療機器、小児用の小型又は成長追従性の医療機器、高齢化等により衰えた身体機能の補完・向上に資する医療機器など、医療ニーズの高い医療機器の研究開発を促進する。

また、クラスⅢ・Ⅳの医療機器等の開発リスクが高く着手が難しいテーマに対する支援を通じて、革新的なアイデアや技術を用いた医療機器の研究開発を促進し、革新的な医療機器の実用化を図る。

さらに、レジストリを活用した医療機器の臨床研究・治験を支援することで、医療機器開発におけるリアルワールドデータ（RWD）の利活用を促進する。

【研究の範囲】

①医療負担の軽減に資する医療機器等の実用化を目指す臨床研究・治験等

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等の臨床研究・治験等を支援

②小児用医療機器等の実用化を目指す臨床研究・治験等

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等を開発し、企業への導出を目指す臨床研究・治験等を支援

③高齢者向け又は在宅医療分野の推進に資する医療機器等の実用化を目指す臨床研究・治験等

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等を開発し、企業への導出を目指す臨床研究・治験等を支援

④革新的医療機器等の実用化を目指す臨床研究・治験等

これまでに無かった新しい技術・原理・効能・用途などを有した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（臨床試験に代わる適切な検証的試験）・臨床研究・治験等を支援

⑤疾患登録システム（患者レジストリ）を活用した医療機器等の実用化を目指す研究

等

診断や治療を支援する AI を活用した医療機器や、適応拡大を意図した侵襲性の高い医療機器等の薬機法承認を目指す、RWD を活用した臨床研究等を支援

⑥ 医療ニーズの高い体外診断用医薬品の開発

革新的な治療法や診断法の開発の一層の早期化に資するため、医薬品、医療機器等の開発と並行又は単独での体外診断用医薬品の開発を支援

⑦ 開発初期段階からのマイルストーン型での支援プログラム（ヘルステック・チャレンジ）

革新性の高い医療機器の開発に対して、アカデミアシーズからスタートアップのグロースまで一気通貫で支援する仕組みを実現

開発早期からの段階的なサポートにより、開発リスクが高く着手が難しいテーマの開発を促進

【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）

（※）医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更）を元に記載。

（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】関節内変形治療骨折手術に対するカスタムメイド手術ガイド実用化のための医師主導治験（令和2年度～令和4年度）

【概要】既に承認を得ている「カスタムメイド骨切り用手術ガイド」の手関節内の変形治療骨折への適用を目指し、本品を用いた手術後の被験者の関節機能およびQOL改善を検証した。手術前に比べて手関節の可動域・握力等が有意に改善し、本品の有効性や安全性が確認された。

【成果の活用】連携企業より、PMDAへ本品の手関節の変形治療骨折への適用についての承認申請（クラスⅡ）、承認取得後の製造販売、保険適応取得が見込まれる。

【課題名】悪性胆管閉塞に対する超音波内視鏡下経胃的胆管ドレナージ術専用システムの有用性を検証する医師主導治験（令和2年度～令和4年度）

【概要】超音波内視鏡下経胃的胆管ドレナージ術の専用デバイスを研究開発したうえで、その安全性および有効性を検証する医師主導治験を実施し、安全性および有効性が確認された。

【成果の活用】本機器提供企業より、薬事承認申請予定である（クラスⅢ）。

2 令和7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

【研究領域】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・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。さらに、スタートアップによる治験を推進する。

【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

【研究領域】体外診断用医薬品の開発

【概要】医療機器開発を伴う体外診断用医薬品の研究開発の場合、医療機器がクラスⅠで届出されるときは治験・臨床研究を実施しないため、これまで本事業では支援できなかった。これを改善するために、医療機器開発を伴う体外診断用医薬品の研究開発は、医療機器がクラスⅠであっても体外診断用医薬品の臨床性能試験を伴う場合は支援を行う。さらに、体外診断用医薬品単体の支援事業についても、ここ数年で設置の要望があがっており、単体についての研究開発支援も行う。

【成果の活用】医療機器開発と体外診断用医薬品開発を並行して行うことにより、予後改善につながる診断の一層の早期化に資する革新的な医療機器開発を実現する。

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）

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。

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2024 年改訂版】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

V. 投資の推進

5. 健康・医療

（１）成長の加速化

① ヘルスケアスタートアップの育成

Ⅱ）一元的相談窓口の新設、伴走支援の強化

医療系スタートアップの支援の機能・体制の大幅拡充や医薬品・医療機器等の開発に向け段階的な目標（マイルストーン）の達成に応じた支援等を推進する。実効性強化に向け、事業実績の見える化等により、成功事例の分析を進める。

【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 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。

【経済財政運営と改革の基本方針 2024】(令和6年6月21日閣議決定)

第1章 成長型の新たな経済ステージへの移行

2. 豊かさと幸せを実感できる持続可能な経済社会に向けて

(ビジョン達成に向けた政策アプローチ)

- ① (略) 社会課題と新技術をマッチングする機会の拡大や、政府調達や規制改革による一体的な支援を通じ、スタートアップによる新技術の社会実装を加速する。

【統合イノベーション戦略 2022】(令和4年6月3日閣議決定)

(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。

【統合イノベーション戦略 2024】(令和6年6月4日閣議決定)

2. 3つの強化方策

(3) AI 分野の競争力強化と安全・安心の確保

① AI のイノベーションとAI によるイノベーションの加速

(AI 利活用の推進)

- ・ 医療・ロボットなどの重要分野におけるAI 導入を促進する。

3. 着実に推進する3つの基軸

(1) 先端科学技術の戦略的な推進

① 重要分野の戦略的な推進

(健康・医療)

- ・ 我が国の医療機器産業のグローバル市場獲得を目指し、海外展開において最も重要な米国市場獲得に向けた臨床試験等への支援やスタートアップと大手企業の連携強化によるイノベーション創出の推進、国際標準の戦略的な活用等に取り組む。

【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)

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（PJ）名	医療機器・ヘルスケアPJ
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4年度	令和5年度	令和6年度
	297,777	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可能性がある」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】

日本の医療機器メーカーが、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できるよう支援を実施する。そして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しつつ、医療の国際展開を図る。

また、開発した製品を普及させるために、大学や研究所などでの交流、相手国のガイドラインでの採用等のアカデミアレベルの普及活動や相手国規制当局との対話等の政府レベルの普及活動を推進する。日本の医療の国際展開に資するエビデンスを構築するための、

- ① 政府レベル・アカデミアレベルの交流
- ② 当事業の研究開発に携わった事業者の成功事例集の作成
- ③ 医療機器メーカーが途上国等に展開する際に必要な情報を取りまとめた資料の作成
- ④ 医療機器メーカーが継続的にデザインアプローチを活用するための支援体制の構築を推進する。

【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・医療機器の開発と、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。具体的には、デザインアプローチを活用して、アジア・アフリカ地域におけるニーズを把握しながら、医療機器の研究開発を推進する。

【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%への貢献

【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 件への貢献
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行への貢献

○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、モバイル型 SNS 連動胎児モニター活用による周産期死亡低減、結核の治療モニタリングによる結核患者数の低減等

(※) 医療分野研究開発推進計画（令和 2 年 3 月 27 日決定、令和 3 年 4 月 6 日一部変更）の「医療分野の研究開発に関する成果目標（KPI）」より抜粋。

(※) 医療分野研究開発推進計画（令和 2 年 3 月 27 日決定、令和 3 年 4 月 6 日一部変更）を元に記載

（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

【研究領域】

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の推進（令和 6 年度継続中）

【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 12 件実施した（うち 3 課題が令和 6 年度も継続中）。

【成果の活用】

令和 2 年度、令和 3 年度にベトナム、令和 5 年度にインドネシア、にてそれぞれ 1 製品ずつ現地認可を取得した。令和 6 年度に 4 製品、令和 7 年度に 1 製品の日本・相手国における薬事申請を予定している。

また、これまで支援してきた課題（継続中含む）の事例を取りまとめた事例集を作成している。今後国際展開を図る企業等へ展開する予定である。

2 令和7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】

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、急増する人口や堅調な経済成長などを背景に「最後のフロンティア」とも呼ばれるアフリカに世界が注目しており、我が国も令和元年6月に健康・医療戦略推進本部で「アフリカ健康構想基本方針」を打ち出し、同構想の推進に向けた様々な事業を実施している。その一環としてこれまでに、アフリカ6カ国（※）とヘルスケア・健康分野における協力覚書（MOC）を締結し、アフリカにおける我が国の医療の展開に資する環境の整備に取り組んできた。

一方、アフリカ市場の複雑性・不透明性から、アフリカを対象とした研究開発課題は未だ1件しか採択されておらず、引き続きアフリカにおける課題の採択数の増加に向けた取り組みを推進していく必要がある。また、令和7年度は、令和6年度から新たに導入したアフリカ対象研究開発課題「アフリカにおける医療技術等実用化研究」において社会状況調査及びネットワーク形成を踏まえたニーズ探索及びコンセプト設計を行う段階である。この段階において、アフリカのニーズに真に寄り添ったコンセプト設計を行うための基盤の構築も必要である。

こうした課題に対応するため、開発サポート機関の体制強化によるアフリカ向け医療機器開発に係る施策の拡充を図るため、増額を要求する。令和7年度に新たに検討する施策は以下の通りである。

- ・アフリカ覚書締結国等におけるネットワーク構築の促進（現地保健省庁・医療機関・アカデミア・企業・日本の関係機関等）及び将来的な共同開発研究の検討
- ・アフリカ研究開発課題における認証や調達も見据えた支援の検討
- ・現地での薬事承認に向けた規制当局との調整・交渉や薬事承認に向けた医学的エビデンス創出のための戦略構築等
- ・TICAD9（第9回アフリカ開発会議）に向けた本事業に関連する企画の立案・実行
- ・その他、令和6年度採択予定のアフリカ向け研究開発課題における経験、ノウハウを踏まえた機能強化、等

（※）アフリカ地域6カ国との覚書締結：

ケニア 2021年12月

ガーナ・ザンビア・ウガンダ・タンザニア・セネガル 2019年8月

【成果の活用】

アフリカでのネットワーク構築を推進し、関係機関と連携しながらアフリカのニーズに真に寄り添ったコンセプト設計を行い、製品開発力の強化へとつなげる。

(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

【研究領域】

「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」の出口戦略

【概要】

本事業では、製品開発までのフェーズを主なゴールとして位置付けているが、デザインアプローチを通じて把握した現地のニーズに基づき開発した医療機器等を現地に普及させ、医療水準の向上に繋げるためには、製品開発から上市の道筋も整えることが必要である。また、これまでの採択企業は中小企業が中心であったが、相手国に医療・保健分野におけるインパクトのある貢献をするには大企業の取り込みも重要である。

こういった課題に対応するため、以下の内容を含めた調査・研究を行う。

1. 事業展開まで見据え、他事業との連携を含め、総合的な支援方法についての検討
2. 大企業の参入促進に繋がるアプローチ及び支援スキームの検討

【成果の活用】

- ・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

【新しい資本主義の グランドデザイン及び実行計画】（令和6年6月21日閣議決定）

4. グローバルヘルス（国際保健）

- アジア諸国を始めとするインド太平洋地域における健康格差の是正や海外活力の取り込みを通じた我が国の医療・介護産業の成長の観点を踏まえ、グローバルヘルス（国際保健、ユニバーサルヘルスカバレッジ）に戦略的に取り組む。

【経済財政運営と改革の基本方針 2024】（令和6年6月21日 閣議決定）

第2章 社会課題への対応を通じた持続的な経済成長の実現

3. 投資の拡大及び革新技术の社会実装による社会課題への対応

（4） 科学技術の振興・イノベーションの促進

我が国の経済成長の原動力たる科学技術・イノベーション力を強化し、熾烈な国際競争を勝ち抜くため、官民が連携して大胆な投資を行うとともに、標準の戦略的活用を図るなど、研究開発成果の社会実装を加速する。このため、新たな産業の芽となるフュージョンエネルギーや量子経済社会を支える基盤的な技術・分野であるAI、バイオマテリアル、半導体、Beyond 5G（6G）、健康・医療等について、分野を跨いだ技術の融合による研究開発、産業化、人材育成を俯瞰的な視点で強力に推進するとともに、グローバルな視点での連携を強化し、市場創出等に向けた国際標準化などの国際的なルールメイキングの主導・参画や、G7を始めとした同志国やASEAN・インドを含むグローバル・サウスとの国際共同研究、人材交流等を推進する。

【統合イノベーション戦略 2024】（令和6年6月4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

- 新産業創出及び国際展開として、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などを行うとともに、ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ（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。

【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1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（PJ）名	再生・細胞医療・遺伝子治療 PJ
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
A M E D 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・生活衛生局難病対策課、健康・生活衛生局がん・疾病対策課

当初予算額（千円）	令和 4 年度	令和 5 年度	令和 6 年度
	2, 712, 244	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。また、令和 6 年 3 月 5 日に「再生医療等の安全性の確保等に関する法律及び臨床研究法の一部を改正する法律案」を閣議決定したところであるが、法案が成立した場合は in vivo 遺伝子治療も法の対象となり、これまでの細胞・細胞医療に加えて普及の促進を図っていくこととなる。

【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、in vivo 遺伝子治療等の安定的な供給に向けた取組等、実用化を見据えた基盤を整備する。実用化の道筋が明確な研究を支援し、再生医療等製品等の治験・先進医療に着実に繋げる。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】

- ・品質・安全性の確保のための研究
- ・治療方法探索のための研究
- ・実用化を見据えた製法開発に関する研究
- ・産学連携による研究
- ・臨床研究等の実施中に生じた課題解決のための研究
- ・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（再生医療等実用化研究事業（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

（※）医療分野研究開発推進計画（令和 2 年 3 月 27 日決定、令和 3 年 4 月 6 日一部変更）を元に記載。

（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】「重症高アンモニア血症を生じる先天性尿素サイクル異常症に対するヒト ES 細胞由来肝細胞 (HAES) 移植治療の医師主導治験」の完遂（令和 4 年度）

【概要】重症高アンモニア血症を生じる先天性代謝異常症（先天性尿素サイクル異常症）に対し、ES 細胞由来の肝細胞製剤を令和元年 10 月に 1 例目の移植を実施。予定症例数の治験をすべて完了し、有効性と安全性を確認できた。

【成果の活用】尿素サイクル異常症は肝臓内でアンモニアが分解できなくなる難病で、治療には生体肝移植が必要となる。生後 3 ヶ月から 5 ヶ月くらいまでは移植が受けられないため、肝臓移植までの橋渡し治療に活用する。

2 令和 7 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必要がある。

【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】アカデミア発の再生医療等製品を企業の協力を得て開発する研究

【概要】アカデミア発の再生医療等製品シーズ（細胞加工物、核酸等）を速やかに実用化に繋げていくため、アカデミアと企業が協力し、薬事承認・事業化を見据えた開発を進める研究を支援する。

【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、研究開発早期の段階で企業と連携することで、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 2024】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

第 3 章 中長期的に持続可能な経済社会の実現～「経済・財政新生計画」～

3. 主要分野ごとの基本方針と重要課題

（1）全世代型社会保障の構築

MEDISO の機能強化、CARISO（仮称）の整備など医療介護分野のヘルスケアスタートアップの振興・支援の強力な推進、2025 年度の事業実施組織の設立に向けた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、創薬 AI プラットフォームの整備、医療機器を含むヘルスケア産業、iPS 細胞を活用した創薬や再生医療等の研究開発の推進及び同分野に係る産業振興拠点の整備や医療安全の更なる向上・病院等の事務効率化に資する医薬品・医療機器等の製品データベースの構築等を推進する。

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

V. 投資の推進

6. 官民連携による科学技術・イノベーションの推進

（4）再生・細胞医療・遺伝子治療等

認知症等の脳神経疾患の発症・進行抑制・治療法の開発を進めるとともに、10 万ゲノム規模に向けて、がん・難病の全ゲノム解析等の事業実施組織を 2025 年度に設立し、その成果の患者への還元や、情報基盤の整備を通じ、ゲノム創薬を始めとする次世代創薬、iPS 細胞等の再生医療・創薬、細胞医療、遺伝子治療の取組を推進する。

【統合イノベーション戦略 2024】（令和 6 年 6 月 4 日閣議決定）

第 1 章

3. 着実に推進する 3 つの基軸

（1）先端科学技術の戦略的な推進

① 重要分野の戦略的な推進

バイオテクノロジー

具体的には、「バイオものづくり・バイオ由来製品」、「持続的一次生産システム」、「木材活用大型建築・スマート林業」、「バイオ医薬品・再生医療・細胞治療・遺伝子治療関連産業」、「生活習慣改善ヘルスケア、デジタルヘルス」の 5 つの市場において、合成生物学等の技術開発の加速化、市場環境・事業環境の整備、国際標準の戦略的活用等について、産学官金が連携して取組を推進する。また、バイオエコノミー拡大の源泉となる生命科学研究を支える人材育成、ライフコースに着目した研

究等の基礎生命科学の振興、データベース・バイオリソース・バイオバンク等の研究基盤の整備を推進するとともに、バイオコミュニティ機能の発揮に向けた取組の推進やバイオとデジタルの融合に向けたデータ連携・利活用などの基盤的・横断的な取組をスタートアップ等の関係施策と連携して推進する。

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

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（PJ）名	ゲノム・データ基盤PJ
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医療イノベーション推進室
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4年度	令和5年度	令和6年度
	319,812	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
- ・全ゲノム解析等実行計画に係る情報基盤を利活用し、創薬推進等に資する研究

【期待されるアウトプット】（※）

- ・非臨床 POC (Proof of Concept) 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）への論文掲載件数 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】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4年度終了）

【概要】ATP 量を指標とした簡便かつ網羅的な機能解析手法を開発し、ミトコンドリア病の一種である Leigh 症候群等の原因となる ECHS1 遺伝子バリエーション (DNA の塩基配列に生じる違い) について、多数の病的バリエーションを同定した。また、マルチオミクス

解析から、この遺伝子の発現異常を示す新たな症例の同定に成功した。

【成果の活用】臨床的意義不明なバリエーションを網羅的に解析することでミトコンドリア病の遺伝子診断の迅速化を実現した。また、本方法は他の遺伝子異常にも応用可能であり、今後の早期診断および早期治療を実現する手助けとなる。

【課題名】乳がん・大腸がん・膵がんに対する適切な薬剤投与を可能にする大規模データ基盤の構築（令和3年度終了）

【概要】様々ながんに関連するとされている27個の遺伝子に関して、健常人と胃がん患者で比較したところ、9遺伝子（BRCA2、ATM、BRCA1、MLH1、PALB2、APC、MSH6、MSH2、CDH1）の変異が胃がんのリスクの上昇に関わっていることを見いだした。また、これらの遺伝子の病的バリエーションが存在することでピロリ菌感染による胃がんのリスクがさらに高まることを発見した。

【成果の活用】これらの遺伝子群の病的バリエーション保持者に対して、ピロリ菌の除菌を推奨し、胃がんのリスクの低減の一助とする。

【課題名】高精度ハイスループットスクリーニングによる天然変性領域 VUS の体系的機能アトラスの構築（令和6年度継続中）

【概要】がん細胞は核膜に存在する分子輸送孔の近くにバイオ液滴を配置することで、がん遺伝子から読み取られた mRNA を効率的に細胞質へ運ぶ仕組みを解明した。このバイオ液滴の空間的配置制御が、がん遺伝子の発現と維持における重要な基盤機構であることを発見した。

【成果の活用】遺伝子の空間レイアウトを標的とする、新たな創薬開発やがん治療戦略につながる事が期待できる。

2 令和7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させるための情報の収集及び整理を行う。

【成果の活用】バイオバンクの高品質な管理・運営体制が構築されることで、データベースやバイオバンクに集積されているゲノム情報・臨床情報等がより一層活用されることで、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】遺伝性疾患の RNA 構造（スプライシングバリエーション及び非コード 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）を効率よく探索・同定するため、データベースをさらに充実させる。

【成果の活用】疾患 RNA データベースを構築することにより、RNA を標的とした RNA 異常を修正する核酸医薬や次世代低分子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】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、日本人に特有な VUS が新たに多く認められており、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。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。また、「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、課題の採択数の増加も図る。

【成果の活用】若手研究者を育成し、また育てら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

【課題名】全ゲノム解析等実行計画に係る情報基盤等を利活用し、創薬推進等に資する研究

【概要】全ゲノム解析等実行計画では、がん・難病に係る創薬推進等のため、臨床情報と全ゲノム解析の結果等の情報を連携させ、搭載する情報基盤を構築し、その利活用に係る環境を整備することとされている。当該実行計画に係る情報基盤等を利活用の促進につながる方策を取りまとめ、研究・創薬の推進につなげる。

【成果の活用】全ゲノム解析等実行計画に係る情報基盤等の利活用の促進により、研究・創薬等が推進され、国民へ質の高い医療を届け、将来的な「がん・難病等の克服」に資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 2024】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

MEDISO の機能強化、CARISO（仮称）の整備など医療介護分野のヘルスケアスタートアップの振興・支援の強力な推進、2025 年度の事業実施組織の設立に向けた全ゲノム解析等に係る計画²⁰⁰の推進を通じた情報基盤²⁰¹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、創薬 AI プラットフォームの整備、医療機器を含むヘルスケア産業、iPS 細胞を活用した創薬や再生医療等の研究開発の推進及び同分野に係る産業振興拠点の整備や医療安全の更なる向上・病院等の事務効率化に資する医薬品・医療機器等の製品データベースの構築等を推進する。

²⁰⁰ 「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）。

²⁰¹ 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。

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

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、本年度内を目的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。認知症等の脳神経疾患の発症・進行抑制・治療法の開発を進めるとともに、10 万ゲノム規模に向けて、がん・難病の全ゲノム解析等の事業実施組織を 2025 年度に設立し、その成果の患者への還元や、情報基盤の整備を通じ、ゲノム創薬を始めとする次世代創薬、iPS 細胞等の再生医療・創薬、細胞医療、遺伝子治療の取組を推進する。また、ライフ・コースに着目した健康医療の研究開発を推進する。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、バイオインフォマティクス、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。

【デフレ完全脱却のための総合経済対策】（令和 5 年 11 月 2 日閣議決定）

新規治療法や革新的新薬を促進するため、がんや難病患者の遺伝情報等（全ゲノムデータ）を搭載した質の高い情報基盤を構築し、その利活用を促す。

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

本研究事業では、全ゲノム解析等実行計画に係る情報基盤を利活用し、創薬推進等に資する研究を行う。

プロジェクト（PJ）名	医薬品PJ、医療機器・ヘルスケアPJ、再生・細胞医療・遺伝子治療PJ、ゲノム・データ基盤PJ、疾患基礎研究PJ
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・生活衛生局がん・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4年度	令和5年度	令和6年度
	8,771,960	9,227,703	8,870,860

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。令和5年12月に策定された「がん研究10か年戦略（第5次）」も踏まえ、内閣府・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（第5次）」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。

【研究のスコープ】

下記の項目を対象とする

- ・がんの予防法に関する研究
- ・診断技術の開発に関する研究
- ・新規薬剤・治療法の開発に関する研究
- ・標準治療の確立、ライフステージに応じたがん治療に関する研究
- ・先端的な科学技術の活用や異分野融合による研究

【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

(※) 医療分野研究開発推進計画 (令和 2 年 3 月 27 日決定、令和 3 年 4 月 6 日一部変更) を元に記載。

(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】 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)
(令和 4～6 年)

【概要】 研究開発課題「初発小児急性リンパ性白血病に対するブリナツモマブの適応拡大を目指した医師主導治験」において、現在再発又は難治性の B 細胞性急性リンパ性白血病に対し適応のあるブリナツモマブを適応拡大し、初発の急性リンパ性白血病患者に対しても保険適用とするための医師主導治験を開始しており、令和 6 年度末までに 50 例の患者登録を達成する。

【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が期待される。

【課題名】 動体追尾技術と複合回転技術の融合による革新的放射線治療技術の開発と臨床評価 (PJ④) (令和 3～5 年度)

【概要】

AMED 研究支援（革新がん）のもと、プランニングスタディで肺癌、膵癌における通常照射、固定 IMRT（Intensity Modulated Radiation Therapy：強度変調放射線治療）治療計画との比較が行われ、動的追尾 VMAT（Volumetric Modulated Arc Therapy：強度変調回転照射）の有用性が示唆されたこと（令和 2～4 年）、医学物理研究でファントム実験、4D-CBCT（4-dimensional cone beam CT：4 次元コーンビーム CT）の開発、feasibility study のプロトコール作成を行い、動体追尾 VMAT の課題克服を目指したこと（令和 3～5 年）をきっかけに、日立製作所により高精度 X 線治療装置：Oxray が開発され、国産装置では平成 23 年以來の薬機承認（令和 5 年 7 月）となった。

【成果の活用】国産の新装置で革新的放射線治療技術を開発し、臨床研究を経てその有用性を証明することで、ガイドライン収載、保険収載が期待される。

【課題名】シングルセルゲノミクスを用いた NOTCH 変異クローンの特性解明及び新規治療法と層別化アルゴリズムの開発（PJ⑤）（令和 3～5 年度）

【概要】ヒストンメチル化阻害剤バレメトスタットの治療を受けた成人 T 細胞白血病リンパ腫（ATL）患者の体内でどのような変化が起こるかを、高精度のマルチオミックス解析技術により詳細に検討した。バレメトスタットの投与により、多くのがん抑制遺伝子の発現は治療開始後から徐々に正常化し、再発・難治の ATL 細胞の増殖を長期間抑制することを初めて観測し、また長期治療後に発生しやすい薬剤耐性化のメカニズムも明らかにした。

【成果の活用】今後、同様の異常を持つ多くのがんに対する新しい治療法への応用が期待される。

2 令和 7 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。希少がん及び難治性がん、小児がん及び AYA（Adolescent and Young Adult：思春期および若年成人）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、がんの予防に資する技術開発、医薬品・医療機器の開発、新たな標準治療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等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が期待される。

【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】安全性及びコストの観点に配慮した遺伝子改変 CAR-T 細胞療法（非ウイルス性遺伝子導入システムの利用等）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が期待される。

【課題名】がん再発を標的とした治療、予防・早期発見に資する研究開発（PJ④）

【概要】薬剤耐性の獲得等によるがんの再発・再燃とそれに伴う治療抵抗性の難治性がんは、依然としてアンメットメディカルニーズであり、その予防法や治療法及び早期治療介入のために耐性獲得の早期診断法の開発は急務である。

患者由来がん検体のマルチオミックス解析やがん微小環境の解析、さらに患者由来がんモデルによる治療後残存がん細胞の細胞死回避機構、寛解から再発・再燃までのがんクローンの増減や遺伝子変異、エピゲノム異常、幹細胞性の獲得等の変化を経時的に追跡すると共に、実際のがん患者の病態と比較することで、がんの再発・再燃におけるがん細胞の薬剤耐性獲得機構、クローン進化の分子機序解明、リキッドバイオプシー等の低侵襲試料を用いた再発・再燃の徴候を早期発見可能なバイオマーカーの探索を推進する。さらに再発・再燃の原因となる変異獲得による脆弱性や、新たな薬剤抵抗性変異の克服を標的とした創薬、合成致死^{*}を誘導する薬剤の組み合わせ等を検討することでがん再発の予防・早期発見及びその治療法開発に資する研究を推進する。

【成果の活用】がん再発・再燃の分子機序を解明することにより、再発・再燃予防に資する治療標的の創出や合成致死に関わる知見を得ることが可能となり、それらを基にした再発・再燃がんの予防・治療法や早期に検出可能なバイオマーカー開発により、がんの再発・再燃を阻止もしくは早期治療介入することで、がん患者の予後並びに QOL の改善、最終的にはがんの完治を可能とすることが期待される。

※がん治療において、同じ様な機能を有する複数の分子が存在する場合、一方の分子の機能を阻害薬などで阻害しても、もう一方の分子がその機能を補償することで耐性を獲得することが多くある。そのため両分子を同時に阻害することで耐性獲得を防ぎ、がん細胞を致死に導くような治療戦略を合成致死と呼ぶ。

【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。また、高齢者を対象とした臨床試験では、必要な症例数を確保する過程において症例集積に難渋することがある。未だにエビデンスに乏しい本領域においては、他の臨床試験データを用いたサブセット解析等の結果も有用であ

るため、他の臨床試験データを利活用する研究も合わせて推進していく。

【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】がん・難病全ゲノム解析等実行プログラムの推進（PJ④）

【概要】「全ゲノム解析等実行計画 2022」を踏まえ、がんにおける全ゲノム解析等の患者還元のさらなる拡大や、戦略的なデータの蓄積による全ゲノム解析等の結果や臨床情報の利活用による研究・創薬の推進に資する研究開発を実施する。

【成果の活用】がんにおける全ゲノム解析等の臨床的有用性に基づいた医療実装の検討や、質の高いゲノムデータと臨床情報を蓄積した基盤整備による創薬の推進、新たな個別化医療等の実現につながる。

（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】大規模臨床データベースの利活用による rTR（リバーストランスレーショナルリサーチ）研究の成果に基づく医師主導治験（PJ①）

【概要】ゲノム・マルチオミックス等先端的解析データを基にした大規模臨床・ゲノム/マルチオミックスデータベース（あるいはレジストリ）の構築、AI 等の異分野技術の利活用による新規の創薬標的・バイオマーカー探索、薬事申請時の外部対照群設定等を行う等、rTR の成果に基づいた新たな医師主導治験を実施する。

【成果の活用】上記研究開発の成果に基づく新たな創薬・バイオマーカー開発と臨床開発治験の効率化が期待できる。

【課題名】ドラッグラグ・ドラッグロスの改善につながる新たながん治療の非臨床試験、医師主導治験（PJ①、PJ③）

【概要】ドラッグラグ・ドラッグロスの改善に向けて、異分野融合、国際共同研究等の成果に基づくシーズ（アカデミア及び国内創薬ベンチャー企業等）の有効かつ安全性の高い新たながん治療に対する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が期待される。

【課題名】難治性小児がんを対象とする新たながん治療の非臨床試験、医師主導治験（PJ①、PJ③）

【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、国際共同研究等も含めて、難治性小児がんに対する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が期待される。

【課題名】発がんリスクのリアルタイム評価に関わる開発研究（PJ④）

【概要】正常細胞が比較的長い時間をかけて、ゲノムの体細胞変異などを獲得してがんに至ることが明らかになった。遺伝的背景、慢性炎症、喫煙など多様な要因と相互作用

して正常組織が発がんに至る状態を、様々な指標で定量的かつリアルタイムに評価する手法を確立する。

【成果の活用】発がんリスクの定量的評価は、生活習慣・慢性炎症などに介入することを含め、次世代の Precision Prevention 法を産出する基盤情報となる。

【課題名】AI を用いた診断・治療支援ツールの実用化に向けた研究開発 (PJ②、PJ④)

【概要】AI による診断・治療支援のツールを開発する。過去データ (医用画像データ) から AI モデルを確立して診断・治療支援ツールとなるプログラム医療機器 (SaMD) を開発し、実用化を目指す。「追加的な侵襲・介入を伴わない既存の医用画像データ等を用いた診断用医療機器の性能評価試験の取扱いについて」(令和 3 年 9 月 29 日付薬生機審発 0929 第 1 号) 等に基づき、治験を実施せずに医療機器の性能評価を行うことで、プログラム医療機器 (SaMD) の開発と医療機器製造販売業者への導出を加速化する。

【成果の活用】上記研究開発の成果に基づく新たな診断・治療技術ならびにその支援ツールのスピード感のある薬機承認・保険収載を目指し、個別化医療を推進する。

【課題名】検査として実施するゲノム解析や、診断、薬効予測等に関する AI 解析等で得られた結果を実臨床で利用するために必要な研究 (PJ④)

【概要】全ゲノム解析やマルチオミクス解析で基礎研究として検出される結果を利用した投薬が期待されるが、実際の投薬のためには確認検査として保険承認、精度管理されている必要がある。同様に AI 解析で得られた結果を実際の臨床現場で利用するための研究が必要である。具体的には、確認検査法の確立、精度管理、結果を利用する範囲の研究等を早急に開始する必要がある。

【成果の活用】基礎研究で得られた結果をより早く臨床導入するための、成果の実用化加速研究分野として期待される。また、基礎研究として示す必要がある目標が明確化され、研究の効率化につながる。

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 2024 改訂版】(令和 6 年 6 月 21 日閣議決定)

【38 頁 V-6. - (4)】

再生・細胞医療・遺伝子治療等認知症等の脳神経疾患の発症・進行抑制・治療法の開発を進めるとともに、10 万ゲノム規模に向けて、がん・難病の全ゲノム解析等の事業実施組織を 2025 年度に設立し、その成果の患者への還元や、情報基盤の整備を通じ、ゲノム創薬を始めとする次世代創薬、iPS 細胞等の再生医療・創薬、細胞医療、遺伝子治療の取組を推進する。また、ライフ・コースに着目した健康医療の研究開発を推進する。

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、バイオインフォマティクス、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2024】（令和6年6月21日閣議決定）

【42頁 第3章－3.】

1. 全世代型社会保障の構築

（医療・介護サービスの提供体制等）

このほか、がん対策、循環器病対策、難聴対策¹⁸⁶、難病対策、移植医療対策¹⁸⁷、慢性腎臓病対策、アレルギー対策¹⁸⁸、依存症対策¹⁸⁹、栄養対策、睡眠対策、COPD対策等の推進や、予防接種法¹⁹⁰に基づくワクチン接種を始めとした肺炎等の感染症対策の推進を図るとともに、更年期障害や骨粗しょう症等に対する女性の健康支援の総合対策の推進を図る。

（創薬力の強化等ヘルスケアの推進）

このほか、MEDISO¹⁹⁸の機能強化、CARISO（仮称）¹⁹⁹の整備など医療介護分野のヘルスケアスタートアップの振興・支援の強力な推進、2025年度の事業実施組織の設立に向けた全ゲノム解析等に係る計画²⁰⁰の推進を通じた情報基盤の整備²⁰¹や患者への還元等の解析結果の利活用に係る体制整備、創薬AIプラットフォームの整備²⁰²、医療機器を含むヘルスケア産業、iPS細胞を活用した創薬や再生医療等の研究開発の推進及び同分野に係る産業振興拠点の整備や医療安全の更なる向上・病院等の事務効率化に資する医薬品・医療機器等の製品データベースの構築等を推進する。

¹⁸⁶ 高齢者自身が聞こえづらい状況であることに早期に気付くきっかけ作りや聴覚補助機器の体験促進を含む。

¹⁸⁷ 臓器提供数の増加を踏まえた移植のための医療提供体制の構築を含む。 ¹⁸⁸ アレルギー疾患（アトピー性皮膚炎等を含む。）医療の均てん化の促進等を含む。

¹⁸⁹ 調査研究の推進等を含む。 ¹⁹⁰ 昭和23年法律第68号。 ¹⁹⁸ 医療系ベンチャー・トータルサポート事業（MEDical Innovation Support Office）

¹⁹⁹ 介護分野におけるMEDISOと同様の相談窓口（CARE Innovation Support Office） ²⁰⁰ 「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）

²⁰¹ 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

²⁰² 複数の創薬AI（リガンド（がん細胞を認識する抗体等）の情報を含む。）を開発し、それらを統合するプラットフォーム。

【統合イノベーション戦略2024】（令和6年6月21日閣議決定）

【11頁 3.（1）-① 重要分野の戦略的な推進（健康・医療）】

- ・高齢者を始めあらゆる年代が健康な社会（幸齢社会）を実現するため、ライフコースに着目した研究開発を総合的に推進する。具体的には、認知症等の脳神経疾患の早期予防・治療に向けた研究、次世代iPS細胞等による革新的な融合研究やiPS創薬研究、バイオバンク間の連携による個別化医療・予防医療の実現、オルガノイド等を駆使した研究開発等を推進し、ライフコースのメカニズム解明を進めるとともに、「がん研究10か年戦略（第5次）」に基づく社会実装を意識したがん研究の推進、健康・医療・介護に関する情報やライフログデータ等のPHRを有機的に連結できる環境の整備やオンライン診療・遠隔医療等の普及を推進する。

【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)

【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（がん政策研究事業）

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（第5次）」で掲げられた具体的研究事項のうち、以下の項目について、介入評価研究も含めた調査研究等を中心に推進する。

（3）「がんとの共生」に資する研究

（3-1）誰もがアクセス可能な相談支援・情報提供

（3-2）充実したサバイバーシップの実現

（5）がんの予防、がんの診断・治療の開発、がんとの共生を促進するための分野横断的な研究

（5-5）政策的な課題の把握と解決 AMEDが実施する革新的がん医療実用化研究事業は、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（PJ）名	医薬品PJ、ゲノム・データ基盤PJ、疾患基礎研究PJ
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	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 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4年度	令和5年度	令和6年度
	1,118,502	1,104,596	1,304,596

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】

2019年度にとりまとめられた認知症施策推進大綱（認知症大綱）においては「共生」「予防」を車の両輪として施策を推進し、認知症の発症や進行の仕組の解明や予防法・診断法・治療法等の研究開発を強化し、研究基盤の構築を進めてきた。2023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、共生社会の実現に資する研究等の推進およびその成果を国民が享受できる環境整備が基本理念の一つとして掲げられている。本研究事業では、引き続き認知症の本態解明、予防、診断及び治療などの基礎研究及び臨床研究等を進めるとともに、発症前の先制治療の可能性について追求しながら大規模遺伝子解析や国際協働も目的とした高品質なコホートを全国に展開して、臨床研究の推進に寄与する支援体制を強化し、根本的治療薬や効果的な症状改善法や有効な予防法の開発に繋げる。さらに、令和6年度からは新たに創薬研究も開始し、幅広く網羅的に研究を推進しつつ、認知症の人が研究に参加しやすい仕組みを構築する。

【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 Scope】

- ・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・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・レジストリー研究
- ・新たな認知症治療薬の開発に向けて、非臨床 POC の取得を目指す創薬研究

【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、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

＜医薬品PJ＞（令和6年度～令和10年度）

- ・非臨床POCの取得件数：1件以上

【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得られるとともに、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。

＜疾患基礎研究PJ＞（令和2年度～令和6年度）

- ・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件以上
- ＜医薬品PJ＞（令和6年度～令和10年度）
- ・シーズの企業への導出件数：1件以上

（※）医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更）を元に記載。

（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】「認知症プレクリニカル期（※1）・プロドローマル期（※2）を対象とするトライアルレディコホート（J-TRC）構築研究」（令和元年度～5年度終了）

【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。研究参加を推進し、令和6年3月11日までに、ウェブスタディに総計14,106名、オンサイト研究に累計681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。

【課題名】「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年度～令和7年度継続中）、「大規模前向きコホートデータを基盤とした認知症のゲノム・脳画像研究」（令和3年度～令和7年度継続中）

【概要】

地域住民コホートでのバイオマーカーの検証は、実臨床におけるバイオマーカー実用化に向けての必要なステップであり、令和4年度調整費の措置により、過去10年間における認知機能や脳画像も含めた追跡情報を備えた地域住民を対象にした前向きコホート被験者の保存血漿サンプルを用いて、認知症、特にアルツハイマー病(AD)の多項目バイオマーカー(ATN)を網羅的に測定し、リアルワールドにおけるバイオマーカーの変動と環境要因、ゲノム情報、認知機能、脳萎縮等との関連を縦断的に解析した。

【成果の活用】

認知症を発症するハイリスクなポピュレーションを同定できる可能性があり、認知症の発症予測と治療効果の指標として、リアルワールドで使用可能な多項目血液バイオマーカーの検証と確立につながる。

【課題名】「反応性アストログリオシスを定量化する新規画像バイオマーカーの研究開発」（令和3年度～5年度）

【概要】アルツハイマー病(AD)の進行に伴う反応性アストロサイトの形成とその進行パターンを調べ、また各神経変性疾患に特徴的なPET画像所見を特定し、その早期診断や層別化における臨床的有用性を確認する。また、「MAO-B濃度の上昇」という所見に反映される反応性アストロサイトの状態と、アミロイドβ、タウ、脳機能障害との関連性を調べることを目指す。

【成果の活用】¹⁸F-SMBT-1を用いた「MAO-B PET」によって、AD疾患群および非AD疾患群にわたる多様な神経変性疾患の早期診断、鑑別診断、進行予測などが可能になると期待される。

(※1) プレクリニカル期：画像診断やバイオマーカーにより、脳にアミロイドβ蓄積などADの病理学的変化の存在が推定されるが、認知機能は正常である時期。

(※2) プロドローマル期：ADの病理学的変化があり、客観的にも物忘れなどの認知機能低下症状を認めるが、日常生活機能は保たれ、まだ認知症に至っていない時期

2 令和7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】「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年度～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年度～7年度）、「血液バイオマーカーと神経画像検査によるBPSDの生物学的基盤の解明、および認知症者の層別化に基づいたBPSDケア・介入手法の開発研究」（令和3年度～7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、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、連携体制の強化が必要である。

【成果の活用】認知症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加速することが期待される。

【課題名】「アルツハイマー病疾患修飾薬臨床レジストリの構築と解析」（令和5年度～令和10年度）

【概要】

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我が国を代表

するレジストリとして、将来的に汎用性の高い追跡システムを構築する。リアルワールドにおける投与者の長期予後情報の追跡により、バイオマーカー（BM）の推移や臨床症状の変化、これらを総合して得られる疾患修飾薬等の作用機序の解明と BM の再定義、新たなリスク因子やアンチリスク因子の抽出、またその影響、適切な投与期間の検討など多数の新知見を得ることが可能となる。

【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、BM データ等の蓄積は、治療効果が治療前の所見から予測できるかどうかや、それぞれのデータが治療効果を反映しているかどうかの検証、治療の適応対象や投与期間の決定などに役立てることができ、さらに、リアルワールドにおける AD の進行度や地域的分布等、社会的影響を把握することで、医療行政にも役立つことが期待される。今後新治療薬に平行して新たな検査の登場が見込まれる。

【課題名】「アルツハイマー病における認知症診療に資する液性バイオマーカー開発研究」（令和 6 年度～8 年度）、「アルツハイマー病以外の認知症疾患における認知症診療に資する液性バイオマーカー開発研究」（令和 6 年度～8 一年度）

【概要】認知症における疾患修飾薬の開発が進む中、アルツハイマー病においては簡便かつ正確に薬剤の効果判定ができるバイオマーカーが求められる。アルツハイマー病における治療効果測定が可能な、客観的で簡便である液性バイオマーカーの開発を目指す。アルツハイマー病以外の認知症疾患においては、病態解明や診断における知見が十分ではなく、さらなる研究開発が求められる。アルツハイマー病以外の認知症疾患における客観的で簡便である液性バイオマーカーの開発を目指し、早期診断、疾患層別化に資するバイオマーカー開発を行う。

【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。

【課題名】「アルツハイマー病を対象とした新規治療薬の研究」（令和 6 年度～令和 10 年度）、「アルツハイマー病以外の認知症疾患を対象とした新規治療薬の研究」（令和 6 年度～令和 10 年度）

【概要】認知症の治療薬開発の国際競争が激化する中、我が国の基礎研究の成果を新規治療薬の実用化に繋げるために、創薬研究を加速することが重要となっている。本課題では、認知症疾患の治療薬シーズの探索・最適化を行うとともに、モデル動物等を用いた薬効評価・毒性評価を行い、非臨床 POC を取得することを目指しているが、新規モダリティを対象とした研究開発の場合、研究開発対象物の製造技術の面で課題があり、PS・PO や課題評価委員等からも指摘を受けている。そこで、製造能力の強化（他の研究機関との共同研究、外注等）を含め、重点的に研究開発を推進することで、早期の実用化に繋げる。

【成果の活用】研究開発を加速することで、非臨床 POC の取得及び企業への導出を早期に達成することが可能になる。

（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

① **【共通テーマ】** アミロイド関連画像異常（ARIA : Amyloid-related imaging abnormalities）からアルツハイマー病の病態解明を進めるための研究

①-1 **【課題名】** アルツハイマー病におけるアミロイド関連画像異常（ARIA）のリスク

ファクターに関する臨床的研究 (4PJ)

【概要】アミロイド関連画像異常はアミロイド β が関与して起こるMRIの異常所見で、抗A β モノクローナル抗体の投与を受けたアルツハイマー病患者において頻度が増加するが、その発生機序には不明な点が多い。本研究ではARIA自然発生群のレジストリを構築するとともに、抗A β 抗体薬投与者レジストリや他の既存コホートの生体試料や臨床情報も活用し、ARIAの病態、リスク因子、抗A β 抗体薬の影響などについて解明を進める。

①-2【課題名】ヒト試料を活用したアルツハイマー病におけるアミロイド関連画像異常 (ARIA) 発生メカニズムの解明研究 (5PJ)

【概要】アミロイド関連画像異常 (ARIA) には血管原性浮腫 (ARIA-E) と出血 (ARIA-H) とがあり、両者の関連が示唆されている。またARIA発生の背景には脳アミロイド血管症 (CAA) があるとされる。しかしARIA発生のメカニズム、CAAの病態とARIA発生との関連など、十分に解明されていない点が多い。そこで本研究では課題①-1と連携・協力しながら、ARIAの予防法・治療法の開発基盤となる分子レベルの知見を得ると共に、それをARIA発生予測が可能なバイオマーカーの開発に繋げる。

【成果の活用】アルツハイマー病に対する抗A β 抗体薬の投与に当たっては、ARIAを早期に発見し、適切に管理することが求められる。そのため、ハイリスク群を同定することで副作用のコントロールを強化し、抗A β 抗体薬をより効率的に使用することができる。

②【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】アルツハイマー病においてA β や(p-)tau、NfL等のバイオマーカー開発が進められているが、脳脊髄液A β ・(p-)tau以外は保険償還に至っていない。また、他の変性性認知症疾患においては、病変特異的なバイオマーカーの開発研究が特に不十分な現状がある。認知症疾患において、特定の病態を反映するというエビデンスを既に有するシーズを用い、鑑別診断や疾患の進行評価に資するバイオマーカー開発を行う。

【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

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2024 改訂版】(令和6年6月21日閣議決定)

V. 投資の推進

6. 官民連携による科学技術・イノベーションの推進

(4) 再生・細胞医療・遺伝子治療等

認知症等の脳神経疾患の発症・進行抑制・治療法の開発を進めるとともに、10万ゲノム規模に向けて、がん・難病の全ゲノム解析等の事業実施組織を2025年度に設立し、その成果の患者への還元や、情報基盤の整備を通じ、ゲノム創薬を始めとする次

世代創薬、iPS 細胞等の再生医療・創薬、細胞医療、遺伝子治療の取組を推進する。
また、ライフ・コースに着目した健康医療の研究開発を推進する。

【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

1. 人への投資と分配

（4）子供・現役世代・高齢者まで幅広い世代の活躍を応援

（認知症の総合的な施策の強化）

- ・ 認知症の共生と予防の実現に向けて、「認知症施策推進大綱」（令和元年6月18日認知症施策推進関係閣僚会議決定）に基づき、日本認知症官民協議会とも連携して認知症に関する施策を進める。官民連携での予防の評価指標・手法の確立と認知症当事者が主体的に関与し製品開発を行う仕組みの運用を2022年度までに行う。また、認知症の予防法や治療法の確立に向けて、2025年度までに認知症のステージ別コホート研究の体制を構築すること等により、認知症研究を強化する。

【経済財政運営と改革の基本方針2024】（令和6年6月21日閣議決定）

第2章 社会課題への対応を通じた持続的な経済成長の実現 ～賃上げの定着と戦略的な投資による所得と生産性の向上

6. 幸せを実感できる包摂社会の実現

（1）共生・共助・女性活躍社会づくり

（共生）

家族のつながりや地縁も希薄化する中、制度・分野の枠や「支える側」、「支えられる側」という従来の関係を越え、一人一人が生きがいや役割を持つ包摂的な社会を実現することが重要である。このため、高齢者等終身サポート事業者ガイドラインの普及を図るとともに、情報登録プラットフォームを始めとして必要な支援の在り方を検討するなど独居高齢者等に対する政府横断的な対応を引き続き推進する。また、認知症の方が尊厳と希望を持って暮らすことができる共生社会の実現に向けて、認知症施策推進基本計画を策定し、認知症施策を推進する。

【統合イノベーション戦略2024】（令和6年6月4日 閣議決定）

3. 着実に推進する3つの基軸

（1）先端科学技術の戦略的な推進

① 重要分野の戦略的な推進

（健康・医療）

高齢者を始めあらゆる年代が健康な社会（幸齢社会）を実現するため、ライフコースに着目した研究開発を総合的に推進する。具体的には、認知症等の脳神経疾患の早期予防・治療に向けた研究、次世代iPS細胞等による革新的な融合研究やiPS創薬研究、バイオバンク間の連携による個別化医療・予防医療の実現、オルガノイド等を駆使した研究開発等を推進し、ライフコースのメカニズム解明を進めるとともに、「がん研究10か年戦略（第5次）」に基づく社会実装を意識したがん研究の推進、健康・医療・介護に関する情報やライフログデータ等のPHRを有機的に連結できる環境の整備やオンライン診療・遠隔医療等の普及を推進する。

【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

(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」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・活用させるためのベースをつくるものである。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、およびどのように重症化防止や支援に用いるかなどを行おうとしている。

プロジェクト（PJ）名	ゲノム・データ基盤PJ
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4年度	令和5年度	令和6年度
	388,180	383,354	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な患者を対象とするため、薬剤開発の成功率が低く、製薬企業の多くが精神疾患治療薬の開発から撤退している。したがって、精神疾患の病因の解明や根本的治療法の開発とこれら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（Disability-adjusted life years）

【事業目標】

①精神障害分野の研究促進におけるデータ利活用に関する研究、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。

【研究の範囲】

① 精神障害分野の研究促進におけるデータ利活用に関する研究

精神疾患レジストリを用いた研究創出、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によって薬機法申請に資するデータ整備を推進することで、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、精神疾患の病態解明、客観的診断法開発に加え、薬事承認を目的とした、医薬品・医療機器に関する研究開発を推進する。

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。

③ 心の健康づくり等に資する研究開発の推進

社会生活環境の変化等に伴う国民の精神的ストレスの増大に鑑み、全ライフコース

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・支援を図るための研究開発並びに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・支援等に関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）の評価法の確立、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促進におけるデータ利活用に関する研究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解明、診断法、適切な治療法の確立が促進される。
- ② 他の統合プロジェクトや企業等へのシーズの導出件数 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】対面診療に比したオンライン診療の非劣性試験：COVID-19 によって最も影響を受け得る精神疾患に対するマスタープロトコル試験による検証（令和 4 年度終了）

【概要】国内初の非劣性試験（※）（国内 19 機関）により、複数の精神疾患（うつ病、不安症、強迫症）に対するオンライン診療が、対面診療と同等の治療効果であることが証明された。（※）非劣性試験：治療効果においてオンライン診療が対面診療に劣らないことを検証する試験

【成果の活用】普及が必ずしも進んでいないオンライン診療の有効性を科学的に立証したことによって、今後のオンライン診療の普及に向けた議論の参考になることが期待される。

【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 5 年度終了）

【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）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た。さらに令和

5年度には、企業の治験データを取り込んで統合解析することで、薬事申請データとして活用することを目的として、レジストリデータの中央一括品質管理システムを含む薬機法申請に資するデータ基盤システムを開発した。令和2年度よりエントリーが開始され、令和5年には収集データが2200例を突破した。

【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になった。これによって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5年度終了）

【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、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)、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が期待される。

2 令和7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】精神疾患レジストリの縦断データを活用した新規治療法開発と薬事承認の実現

【概要】精神疾患レジストリにおいて、薬機法申請に資するデータ基盤システムを活用し、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ことで、新規治療法の開発並びに医薬品・医療機器の薬事承認獲得を目指す。同時に、収集データを増大させ、年間1500例のペースで症例登録を促進する。

【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医薬品・医療機器開発促進に貢献する。

【課題名】Polygenicモデルと薬物動態学に基づく精神疾患治療予測法開発

【概要】うつ病患者と統合失調症患者を対象にポリジェニックリスクスコア解析（発症や予後予測に関連する複数の遺伝要因）と薬物動態解析（薬物血中濃度・薬物代謝活性型遺伝要因）を実施し、個人が持つ個々の遺伝的副作用予測リスクを算出し、治療からのドロップアウト率を予測することで、臨床応用できる高精度な新規の薬物副作用リスクスコアを開発する。

【成果の活用】抗うつ薬・抗精神病薬に対する各種副作用の減少に加え、薬物療法からのドロップアウト率の低下や寛解率の向上を実現することで、精神科医療におけるブ

レシジョン・メディシン（遺伝情報等に基づく精密医療）を発展させる。

【課題名】 ドラッグ・リポジショニングによる新規気分安定薬の開発

【概要】 既に広く用いられ安全性が確認されている降圧薬アムロジピンの光学異性体の、ドラッグ・リポジショニングによる気分安定薬としての臨床応用を目指して、前臨床および臨床 POC を得る。

【成果の活用】 ミトコンドリアを介して細胞内 Ca^{2+} 濃度を低下させる気分安定薬を開発するという独創的な試みであり、R-アムロジピンが気分安定薬として効果を持つことが実証されれば、副作用の極めて少ない気分安定薬が実現し、気分障害患者の生活の質の向上にも繋がる。

（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】 精神疾患における薬物療法又は医療機器の社会実装に関する研究開発

【概要】 新規薬物療法の研究開発に加え、既存薬物のドラッグ・リポジショニング研究やプレシジョン・メディシンに資する薬物療法の最適化研究を推進する。さらに、医療機器（SaMD や医療機器プログラムも含む）の社会実装に資する研究も推進する。

【成果の活用】 精神疾患に関する薬物療法や医療機器の社会実装を促進する。

【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】 現時点である程度臨床で活用できる指標を用いて、プレシジョン・メディシン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】 精神疾患（物質関連及び嗜癖性疾患、高次脳機能障害等を含む）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、または、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し、検証研究へと進展させる。

【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】 精神疾患（物質関連及び嗜癖性疾患、高次脳機能障害等を含む）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、または、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

【経済財政運営と改革の基本方針 2024】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

第 2 章 社会課題への対応を通じた持続的な経済成長の実現

6. 幸せを実感できる包摂社会の実現

一人一人が生きがいや役割を持つ包摂的な社会を実現する。特に第 5 次障害者基本計画に基づく障害者の就労や地域生活の支援の推進、自殺総合対策大綱に基づく施策、ひきこもり支援を着実に推進する。

第 3 章 中長期的に持続可能な経済社会の実現

3. 主要分野ごとの基本方針と重要課題

（医療・介護サービスの提供体制等）

医療 D X の政府を挙げての強力な推進、デジタル技術や I C T ・オンライン診療の活用に加え、依存症対策の推進を図る。

（創薬力の強化等ヘルスケアの推進）

創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるため、臨床試験体制の整備を進めるなど、創薬力の抜本的強化を図る。特に医療機関や企業の研究者による医療データの利活用を推進するほか、障害者雇用の促進や、多様な障害特性に応じた職場定着支援を着実に推進する。

【健康・医療戦略（第 2 期）】（令和 2 年 3 月 27 日閣議決定）

○ 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。さらに、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（PJ）名	ゲノム・データ基盤PJ
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4年度	令和5年度	令和6年度
	179,428	177,197	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。生来または疾病を発症して障害児・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・者に、より質の高い支援をしていくため、障害特性を踏まえた各種ガイドライン等作成に資するエビデンス創出や、補装具等支援機器の開発につなげることを目標とする。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等の研究開発を更に推進するとともに、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法、社会参加支援並びに早期介入、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ことで、障害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 Scope】

- ・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技術（または方法）・機器の開発研究を推進する。
- ・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住居支援に関するデータ集積・技術システム開発研究を推進する。
- ・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・技術システム開発研究を推進し、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 5件

【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目指す。
- ②障害児・者とその家族が直面する機能や活動性の向上、参加の促進などの課題克服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 1 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 1 件

(※) 医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更）を元に記載。

（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】疑似運動刺激を利用して重度肢体不自由児に生じる二次障害を最小化するリハビリテーションのシステム構築と機器開発（令和5年度終了）

【概要】ラットを用いた実験とヒト成人を対象とした臨床試験にて、適度な振動により頭部（脳）に伝わる適度な物理的衝撃が高血圧改善をもたらすメカニズムを発見した。

【成果の活用】重度肢体不自由児の二次障害に対するリハビリテーションへの応用が期待される。

【課題名】ロービジョンの患者を対象とした読書困難に関する実態調査と、多様な読書評価を可能にするアプリの開発（令和2年度に終了）

【概要】ロービジョン支援に重要な視力検査 MNREAD（意味のある文章を読んで読みやすい文字の大きさや読書速度を測定）の日本語版を開発し、iPad アプリをリリースした。

【成果の活用】視力検査 MNREAD の日本語版を開発し、ロービジョンケア推進を通じて障害者施策に寄与した。

2 令和7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

【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。そこで身体障害者の生活・健康維持に必要な代替支援手段の選定を効率化するアセスメントシステムを開発する。

【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、移動手段の確保なども一体化した支援システムの開発を行う。

【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

【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。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行う。

【成果の活用】これらを開発・検証することにより、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】障害児・者の社会復帰/社会参加に資するシステム、支援プログラム、医療・福祉機器等の実用化に関する研究開発

【概要】障害児・者の医療から福祉・社会参加までの連続したケアに資するリハビリテーションに関するシステム、支援プログラム、医療・福祉機器等を構築・開発し、効果検証を行う。

【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。

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 2024】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

第 2 章 社会課題への対応を通じた持続的な経済成長の実現

6. 幸せを実感できる包摂社会の実現

一人一人が生きがいや役割を持つ包摂的な社会を実現する。特に第 5 次障害者基本計画に基づく障害者の就労や地域生活の支援を推進する。

【健康・医療戦略（第 2 期）】（令和 2 年 3 月 27 日閣議決定）

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、「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（PJ）名	医薬品PJ
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・生活衛生局感染症対策部感染症対策課
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	健康・生活衛生局感染症対策部予防接種課

当初予算額（千円）	令和4年度	令和5年度	令和6年度
	2,087,931	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、公衆衛生上の危機管理の観点から、感染症危機対応医薬品を国内で利用できるようにすることが必要な感染症（重点感染症）、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」、「新型インフルエンザ対策行動計画」、「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」（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）等に加え、厚生科学審議会感染症部会に設置された危機対応医薬品等に関する小委員会で審議される内容等を踏まえ、研究開発を行う。

【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

中・長期的なMCMの研究開発の考え方にに基づき、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、ノロウイルス等の我が国の公衆衛生対策上重要な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

(※) 医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更）を元に記載。

(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】次世代COVID-19低分子経口治療薬の研究開発（令和4～5年度）

【概要】COVID-19感染症に対する新規3CLプロテアーゼ阻害薬として、非臨床試験において高い抗ウイルス効果が認められ、かつ安全性に懸念は認められない新たな経口治療薬を開発した。

【成果の活用】上記の試験成績等をもって、第1相臨床試験を開始した。

【課題名】薬剤耐性糸状菌真菌症の制御に向けた検査薬・治療薬の研究開発（令和4年度終了）

【概要】アスペルギルス症の迅速診断法の開発へ向けて、菌体成分及び宿主因子を標的とした抗体の作製に成功した。現在検出系の改良を継続しており、臨床検体を用いた精度評価の準備を進めている。

【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】結核菌の潜伏感染機構を模倣した革新的抗結核ファージ製剤の開発（令和4年度終了）

【概要】結核ファージ改良法を独自に開発し、細胞内寄生細菌を高効率に殺菌可能なフ

ファージカプシドの開発に成功した。世界に先駆けて、マウス結核モデルを用いた結核ファージの治療効果を評価可能な評価系を構築した。さらに、蛍光タンパク遺伝子搭載ファージの構築や組織透明化技術を用いた CUBIC-Infection 系を構築した。CRISPR/Cas9 (clustered regularly interspaced short palindromic repeats/CRISPR-associated protein 9) を用いた高効率なファージ相同組換え法を構築し、カプシド遺伝子の簡便な作製法を開発した。

【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。

2 令和7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】診療体制の確保、臨床研究の推進に資する研究

【概要】新型コロナウイルス感染症の経験を踏まえ、今後新たに発生する新興・再興感染症に対し、迅速な診療体制の確保、臨床研究を実施する体制構築を行う必要がある。そのため、厚生労働省において実施される感染症臨床研究ネットワークを活用して、感染症指定医療機関等から成る感染症臨床研究ネットワークを用いた新興・再興感染症の病態や臨床像の解明、検査方法や治療薬等の研究開発を推進する。治療薬に関してはドラッグラグ・ロスの解消に資する国内未承認薬の研究開発についても推進する必要があるため増額を要求する。

【成果の活用】新興・再興感染症発生時における迅速な診療体制の確保、必要な臨床研究を迅速に開始できる体制の構築に繋がることが期待される。

【課題名】総合的な公衆衛生対策に関する研究

【概要】下水処理場で採取される下水検体等を活用した病原体のサーベイランスについては、臨床検体に頼ることなく、新型コロナウイルス感染症等の感染症の流行状況の規模やトレンドを知ることができる手法となり得ることが指摘されている。また、海外から流入する病原体については、空港の下水を用いた分析も行われつつある。今後流行する可能性のある感染症による公衆衛生上の危機に対抗するために、平時から、入国地点での監視体制を含めた非患者検体を用いたサーベイランス手法の開発と収集した検体からの病原体の分離手法やその利活用について調査研究を推進することは重要である。上記のサーベイランス手法の開発や病原体の分離・利活用を含めた体制構築等の公衆衛生対策に資する課題の採択数を増加するため増額を要求する。

【成果の活用】様々な病原体に対するサーベイランス手法の開発、空港等の関係機関との連携体制の構築に繋がることが期待される。

【課題名】アジア各国をはじめとした国際ネットワーク構築に資する研究

【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。

（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】 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。危機対応医薬品等に関する小委員会の審議内容等を踏まえ、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必要がある。このため、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。

【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）対策アクションプラン」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を用いたスクリーニングからの治療薬候補化合物の創出等、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を期待される。

【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、潜在性結核を主な発生母体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の取得を行い、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図る。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

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2024 改訂版】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

IX. 経済社会の多極化

1. 地方創生とデジタル田園都市国家構想の実現

（3）デジタル田園都市国家構想の前提としての安心の確保

④ 持続可能な地域経済社会の実現

関係者が連携してその解決に向けて取り組むワンヘルス・アプローチに基づき、人獣共通感染症対策を推進する。

【成長戦略実行計画】（令和 3 年 6 月 18 日閣議決定）

第 13 章 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）

- ・また、感染症有事を見据えたデュアルユースが可能なワクチン製造拠点等の整備を支援する。さらに、疫学データの収集等を行う国外調査先や国外研究拠点の設置地域の拡大等を行う。
- ・国立研究開発法人国立国際医療研究センターとその関連医療機関との連携により、2024 年度末までを目途に、感染症危機管理医薬品等の臨床研究体制を構築する。また、国際共同での大規模臨床試験の実施費用を支援する。

- ・2022 年度に実施した調査結果を踏まえ、今後のパンデミックに備えて感染症専門人材の計画的な育成プログラムを検討し、2023 年度中に結論を得て、所要の措置を講ずる。
- ・「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 2024】（令和5年6月21日閣議決定）

第2章 社会課題への対応を通じた持続的な経済成長の実現

～賃上げの定着と戦略的な投資による所得と生産性の向上～

3. 投資の拡大及び革新技术の社会実装による社会課題への対応

（1）DX

（医療・介護・こども DX）

また、次の感染症危機に備え、予防接種事務のデジタル化による効率化を図るとともに、ワクチン副反応疑い報告の電子報告を促し、予防接種データベースを整備する等、更なるデジタル化を進める。

6. 幸せを実感できる包摂社会の実現

（2）安全・安心で心豊かな国民生活の実現

（安全・安心）

新型コロナウイルス感染症のり患後症状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。平時からの情報収集・分析、ワクチン・診断薬・治療薬の研究開発、人材育成、下水サーベイランスを含め、全面改定後の「新型インフルエンザ等対策政府行動計画」に基づき、次なる感染症危機への対応に万全を期すとともに、2025年4月に、国立健康危機管理研究機構を創設し、質の高い科学的知見を迅速に提供する。狂犬病予防法関連手続のオンライン化等の人獣共通感染症対策を推進する。

第3章 中長期的に持続可能な経済社会の実現～「経済・財政新生計画」～

3. 主要分野ごとの基本方針と重点課題

（1）全世代型社会保障の構築

（医療・介護サービスの提供体制等）

予防接種法に基づくワクチン接種を始めとした肺炎等の感染症対策の推進を図るとともに、

（創薬力の強化等ヘルスケアの推進）

また、新規抗菌薬開発に対する市場インセンティブや、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などにより産学官が連携して薬剤耐性菌の治療薬を確実に確保するとともに、抗菌薬研究開発支援に関する国際連携を推進する。

【統合イノベーション戦略 2024】（令和6年6月4日閣議決定）

3. 着実に推進する3つの基軸

(1) 先端科学技術の戦略的な推進

① 重要分野の戦略的な推進

(健康・医療)

- ・健康・医療研究の成果を中長期的に創出し続けるためには、基礎研究の再興が必須である。若手研究者が研究に専念できる環境を整備するとともに、研究支援人材の確保や若手研究者向けの競争的研究費の充実等に取り組む。
- ・感染症有事に備えるため、ワクチン研究開発の戦略的な推進及びシミュレーションを実施する。また、感染症の科学的知見の創出や危機対応医薬品等の研究開発・実用化を実行できる環境を確立するとともに、その中核となる国立健康危機管理研究機構の2025年4月の設立に向けた体制整備を一層加速させる。

別添 Society 5.0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

(3) レジリエントで安全・安心な社会の構築

【科学技術・イノベーション政策において目指す主要な数値目標】 (主要指標)

- ・生物学的脅威に対する対応力強化：2021年度より感染症にかかる情報集約・分析・提供のためのシステムを強化し、随時情報集約を実施。2022年度より、研究者の分析に基づくリスクコミュニケーションのための情報を提供

④ 新たな生物学的な脅威への対応

今後の取組方針

- ・今後もEOCにおいて大規模イベント及び健康危機発生時における感染症に係る情報集約・分析・情報提供等を継続的に実施。引き続き、感染症危機管理情報について、厚生労働省、内閣感染症危機管理統括庁、国立国際医療研究センターとの情報共有を着実に実施。
- ・2025年4月の国立健康危機管理研究機構の創設に向け、引き続き所要の対応を実施。
- ・我が国の感染症危機管理能力の抜本的強化のため、新機構の中核的機能となる感染症危機管理の専門人材の育成、感染症臨床研究ネットワークの構築、感染症に関するインテリジェンス機能の強化等については、それぞれ、2024年度に事業を実施予定。また、2024年度に設置された感染症インテリジェンスハブにおいて、戦略的な感染症情報の収集・リスク評価の運用体制を構築しており、今後の国内の感染症対策に生かしていく。
- ・上市後の買い上げ等を含む製薬関係企業等を対象としたプル型研究開発支援等と公衆衛生対策のための医薬品確保の在り方について検討を進める。

4. 官民連携による分野別戦略の推進

(6) 健康・医療

(戦略的に取り組むべき応用分野)

今後の取組方針

<ワクチン開発等の感染症対策>

- ・有事の際に速やかに感染症インテリジェンスに資する情報収集・分析結果が効率的に集約されるよう、平時から国内外の関係機関等との人的・組織的な関係性を築き連携体制の強化を図り、幅広い感染症に対する基礎的研究と人材確保を実施。
- ・新型コロナウイルス感染症のワクチンについては、引き続き、変異株ウイルスに対応する国産ワクチンが早期に実用化されるよう、必要な支援を実施する。

【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）

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。

【健康・医療戦略のフォローアップ】（令和5年6月26日）

(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」に基づき、必要な対策を推進している。同プランを 2023 年 4 月 7 日に改定し、また、新たに盛り込んだ「新たな抗微生物薬に対する市場インセンティブの仕組みの導入」、「農場ごとの動物用抗菌剤使用量を把握するための体制確立」、「環境中の水、土壌中における薬剤耐性菌の存在状況及び健康影響等に関する情報収集」等の施策を計画的に進める。

(新型コロナウイルス感染症対策の推進)

- ・ 2021 年 11月に新型コロナウイルス感染症対策本部で決定し、2023 年 2月に変更した「新型コロナウイルス感染症対策の基本的対処方針」に基づき、国内外の連携を図りつつ、必要な対策を推進した。また、緊急時の薬事承認の在り方等 について、2021 年 6 月に閣議決定した「経済財政運営と改革の基本方針 2021」等も踏まえ、2021 年 11 月より厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会において 感染症等に対する我が

国の危機管理強化に向けた緊急時の薬事承認の在り方について議論し、緊急時の薬事承認制度の方向性をとりまとめた。

- ・ 2023年度は、2023年5月8日に新型コロナウイルス感染症が5類感染症に位置づけられたことに伴い、「新型コロナウイルス感染症対策の基本的対処方針」を廃止した。今後は国民が自主的に感染対策に取り組むとともに、国はこれまで講じてきた各種の政策・措置について、見直しを行う。また、緊急時の薬事承認の在り方等については、「緊急時の薬事承認制度の在り方等に関するとりまとめ」を踏まえ、緊急承認制度の創設を内容とする医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律が2022年5月に成立し、施行され、同年11月には1件の医薬品が緊急承認された。

【健康・医療戦略】（令和2年3月27日健康・医療戦略推進本部決定）

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

(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15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

○ AMEDによる研究開発の推進統合プロジェクト、疾患領域等の基礎から実用化までの研究開発を効果的・効率的に推進する上で、AMEDは以下の役割を果たす。

- ・ 患者や医療現場、研究者、産業界等からのニーズを把握しつつ、AMED Management System (AMS)の活用、トランスレーショナル・リサーチ (TR) ・ rTRによる基礎と実用化の橋渡し、研究開発成果の有効活用や他領域への展開のためのデータシェアの促進等、事業間の連携及び研究開発のマネジメントを適切に行うとともに、事業間連携を推進する。
- ・ 研究開発成果の実用化に向け、戦略的な知的財産管理を行うとともに、PMDAや官民の支援機関等とも連携して、インキュベーション機能や産学官連携のマッチング機能を果たす。
- ・ 基金や政府出資を活用して中長期の研究開発を推進する。
- ・ 学会、産業界、他の政府機関等の外部の知見も活用し、国内外の技術開発動向の把握など、シンクタンク機能を果たす。
- ・ 研究開発の推進に当たっては、海外の関係機関や専門人材とのネットワーキングを活用するなど、適切な国際連携を図る。

4.3. 健康長寿社会の形成に資するその他の重要な取組

(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。

【健康・医療戦略のフォローアップ】（令和 5 年 6 月 26 日）

（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」に基づき、必要な対策を推進している。同プランを 2023 年 4 月 7 日に改定し、また、新たに盛り込んだ「新たな抗微生物薬に対する市場インセンティブの仕組みの導入」、「農場ごとの動物用抗菌剤使用量を把握するための体制確立」、「環境中の水、土壌中における薬剤耐性菌の存在状況及び健康影響等に関する情報収集」等の施策を計画的に進める。

（新型コロナウイルス感染症対策の推進）

- ・ 2021 年 11 月に新型コロナウイルス感染症対策本部で決定し、2023 年 2 月に変更した「新型コロナウイルス感染症対策の基本的対処方針」に基づき、国内外の連携を図りつつ、必要な対策を推進した。また、緊急時の薬事承認の在り方等について、2021 年 6 月に閣議決定した「経済財政運営と改革の基本方針 2021」等も踏まえ、2021 年 11 月より厚生科学審議会医薬品医療機器制度部会において感染症等に対する我が国の危機管理強化に向けた緊急時の薬事承認の在り方について議論し、緊急時の薬事承認制度の方向性をとりまとめた。
- ・ 2023 年度は、2023 年 5 月 8 日に新型コロナウイルス感染症が 5 類感染症に位置づけられたことに伴い、「新型コロナウイルス感染症対策の基本的対処方針」を廃止した。今後は国民が自主的に感染対策に取り組むとともに、国はこれまで講じてきた各種の政策・措置について、見直しを行う。また、緊急時の薬事承認の在り方等については、「緊急時の薬事承認制度の在り方等に関するとりまとめ」を踏まえ、緊急承認制度の創設を内容とする医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律が 2022 年 5 月に成立し、施行され、同年 11 月には 1 件の医薬品が緊急承認された。

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

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（先進的研究開発戦略センター）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（PJ）名	医薬品 PJ、医療機器・ヘルスケア PJ、再生・細胞医療・遺伝子治療 PJ、ゲノム・データ基盤 PJ、疾患基礎研究
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・生活衛生局難病対策課
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 4 年度	令和 5 年度	令和 6 年度
	7,932,810	8,888,553	8,544,568

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 6 年 4 月以降指定難病が 341 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、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つつ、令和 4 年 9 月に公表された全ゲノム解析等実行計画 2022 を着実に実施することで、難病の早期診断、難病の本態解明、効果的な治療・診断方法の開発促進を進める必要がある。

【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 Scope】

「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）を経て臨床試験（治験）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基盤の利活用を通じた患者還元を推進する研究」等で得られた知見をふまえ、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て診療ガイドライン等の作成・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、未診断疾患の患者還元を推進する研究等を実施する。

「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独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、創薬シーズ開発に繋がる病態解明研究を若手研究者に実施させることで、長期間の実施が予想される実用化につながる基礎研究を推進するとともに研究人材の育成を行う。

【期待されるアウトプット】（※）

令和7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7年度までに、

- ①医薬品プロジェクト
 - ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況 ※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臨床試験・治験への移行状況 ※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

（※）医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更）を元に記載。

（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】難治性腎障害の重症化要因の解析と治療法最適化を実現するためのリアルワールドデータ/ICT 技術を活用したエビデンス創出（令和3～5年度）

【概要】日本腎臓学会の全面的な協力の下オールジャパン体制で構築した、電子カルテの医療情報を自動的に抽出する精緻な疾患レジストリのリアルワールドデータを、人工知能（AI）の機械学習・深層学習を用いて解析し、非侵襲的な重症度・予後予測モデルを新たに見出した。本研究成果は国際誌である NEPHROLOGY に掲載された。

【成果の活用】疾患レジストリの頑健性が証明されたことで、今後の創薬研究への応用

加速が期待される。慢性腎臓病患者の生命・腎予後改善、国民の健康維持への貢献が期待される。AMED 難治性疾患実用化研究事業にとって、今後の疾患レジストリ活用研究を考える上で重要なロールモデルになる。

【課題名】高ずり応力を伴う循環器疾患に随伴する消化管血管異形成の形成・消退の実態解明（令和 3～5 年度）

【概要】大動脈弁狭窄症ではしばしば消化管出血を合併するが、その原因の 1 つに消化管血管異形成の出現が挙げられているが、実態は不明だった。貧血を伴う重症大動脈弁狭窄症の患者 50 名に内視鏡検査を行ったところ、大動脈弁狭窄症の治療により消化管粘膜病変が改善し、両者が密接に関連していることが判明した。本研究成果は医学領域のトップ国際誌である New England Journal of Medicine（参考：2022 年インパクトファクター158.5）に掲載された。

【成果の活用】今後の医療開発において、臓器連関を考慮した研究が非常に重要であることが証明された。ICT 技術を用いるなどで、疾患レジストリ研究において新たな臓器連関の検証を加える。

【課題名】シロリムス（顆粒剤・錠剤）による難治性の脈管腫瘍・脈管奇形に対する分子標的治療法を開発する研究（令和 3～4 年度）

【概要】難治性脈管腫瘍・脈管奇形（指定難病）に対する医師主導治験を受けて、シロリムスの適応拡大および剤形追加（顆粒剤）を令和 5 年度に世界で初めて取得した。

【成果の活用】患者の治癒率と QOL の向上、および医療費削減が予想される。世界中の患者に日本発祥の薬剤が寄与することが期待される。病態機序から本薬の有効性が期待される他の難病（自己炎症性疾患、免疫不全、限局性皮質異形成、進行性骨化性線維異形成症など）の治療法開発、安全な投与法の確立への応用が期待される。（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を上回る成果を得た。

【課題名】遠位型ミオパチーにおける承認申請に向けたアセノイラミン酸の長期投与試験（平成 30～令和 2 年度）

【概要】遠位型ミオパチー（指定難病）の一つである GNE ミオパチーにおいて、医師主導治験および企業による有効性確認試験を行い、アセノイラミン酸の長期投与により上肢筋力悪化が抑制されることが示された。

【成果の活用】結果を踏まえ令和 5 年度に世界で初めて薬事承認を得た。試験の患者リクルートには疾患レジストリ（Remudy）が活用された。患者の治癒率と QOL の向上、および医療費削減が予想される。世界中の患者に日本発祥の薬剤が寄与することが期待される。難病の実用化研究における疾患レジストリの有用性が示された。（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を上回る成果を得た。

2 令和 7 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】領域別の希少難治性疾患の診療に直結するエビデンス創出研究

【概要】診療方針の決定に直結するエビデンスを創出することがエビデンス創出研究の主たる内容であるが、研究班が疾患毎や地域毎である場合があり、研究の効率化が課題であった。そのため、本公募枠は全国規模の研究体制構築を推進することを通じた多施設共同研究の推進を目的に、令和 6 年度に試行的に新設した。また、「脳神経疾患

克服に向けた研究推進の提言 2022」等においても、個別化医療の実現に向けた研究を促進するためには多施設共同研究が極めて重要、と掲げられていることから、学会連携を推進し、当該課題の採択数を拡充する必要がある。

【成果の活用】採択数拡充により多施設共同研究体制の整備が加速され、効率的かつ網羅的なデータ・サンプルの解析が可能となり、エビデンスの質・数が向上することが期待される。

【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では毎年薬事承認を得ているが、現在は既承認薬を用い難病での承認を取得したドラッグリポジショニングが多い。一方、既存医薬品と特徴が異なり難病での有用性が期待できる再生医療等製品では、国内承認 20 品目と増加しつつあるが海外発のシーズも少なくない。その中で再生医療等製品では日本は iPS 細胞論文数が世界 2 位、First in human の多くが日本で実施されるなど、世界でも本領域の基礎研究から臨床研究にいたる過程での能力は上位にある（第 10 回再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会 令和 6 年 4 月）。

今後、日本発かつ新規の創薬研究力を強化する上で、再生医療等製品のシーズ拡充とそのための研究環境の充実が望まれる。

【成果の活用】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。

（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】若手研究者による希少難治性疾患の病態解明による創薬標的の探索（病態解明・若手・Research 0）および若手研究者による希少難治性疾患の病態メカニズムに基づいた創薬標的の検証（病態解明・若手・Research 1）

【概要】病態解明枠は採択率が 10%以下と低く、創薬研究にステップアップする割合も 10%以下と、希少難治性疾患の実用化研究における律速となっている。そのため患者に成果を届けるためには、基礎研究者の数および質の向上が重要である。特に、令和 4 年度から開始した病態解明・若手枠では採択数、研究期間、研究費のいずれも病態解明枠（年齢制限なし）に比べ少なく、若手研究者の支援強化は喫緊の課題である。また医薬品開発は承認まで長期に及ぶことから、若手研究者が実用化を目指した研究開発に取り組むための支援は重要である。令和 6 年度からは公募枠を新設し、実用化研究の推進をより進めるために創薬標的の探索（病態解明・Research 0）と病態メカニズムに基づいた創薬標的の検証（病態解明・Research 1）を行う。若手研究者に対しても実用化への支援強化のために、病態解明・若手・Research 0 および病態解明・若手・Research 1 を新設し、十分な採択数、研究費を確保することで実用化研究のボトムアップを図る。

【成果の活用】若手研究者ならではの革新的、独創性に富んだ研究を増加させ、病態解明研究の盤石な体制を構築するとともに、ステップアップする課題を増加させることで、実用化研究の支援を強化する。若手研究者の実用化をより意識した研究開発を推進する。

【課題名】希少難治性疾患のリアルワールドデータ利活用研究（仮題）

【概要】近年、信頼性を確保したリアルワールドデータ（RWD）は産官からも注目されているが、入力者側の負担が増しており、RWD 運営には簡便化・効率化が求められる。RWD の拡充には簡便かつ多施設で使用可能な、目的に応じた評価指標が必要であり、RWD を用いた評価指標確立は喫緊の課題である。本公募では既存疾患レジストリやデータベースなどの RWD を活用する際の課題を抽出し、その具体的な解決法を検討する。RWD から診療方針の決定に直結する評価指標およびリアルワールドエビデンスを創出する。

【成果の活用】難病 RWD 利活用研究の課題解決や新しい評価指標確立の Proof of Concept が得られることで、難病 RWD による創薬研究の推進が加速する。

【課題名】希少難治性疾患における栄養管理のエビデンス創出研究（仮題）

【概要】AMED 難治性疾患実用化研究事業では希少難治性疾患の治療開発として医薬品開発研究を推進しているが、希少難治性疾患は長期の療養を要する疾患が多数あり栄養管理は重要な課題である。本公募では、本邦ではまだ実用化されていない栄養管理法や、栄養管理の有効性や有用性が不明確な疾患に対し、診療方針の決定に直結するエビデンスを創出し、今後の医療実装に寄与する。さらに、疾患特性・経管栄養や人工呼吸器使用の有無・年齢・病期等に応じた栄養管理の評価指標を確立する。

【成果の活用】本邦未承認の栄養管理における実用化に資するエビデンスの獲得や栄養管理が患者の QOL や予後改善への寄与が明らかとなること、病態に応じた栄養管理の評価指標が確立することで、難病患者の医療の最適化に寄与する。

【課題名】DCT（decentralized clinical trial）を活用した治験課題（仮題）

【概要】患者が実施医療機関へ来院しなくても臨床試験に参加できる DCT が近年注目されており、運動機能障害や専門的医療機関へのアクセスのため通院が困難な場合が多い難病患者において DCT の実現は大きな意義を有する。従来の治験課題に電子的患者報告アウトカム（ePRO）等を評価項目として加え、希少難治性疾患の臨床評価に活用できる DCT の形態を検討する。

【成果の活用】DCT の実例を着実に積み重ねることで、遠隔でも評価可能な臨床評価指標の開発が促進される。

【課題名】DX（digital transformation）による効率的な創薬標的・シーズ探索研究（仮題）

【概要】発症メカニズム解明を創薬に繋げるために、デジタル技術を用いた創薬標的・シーズ探索研究の支援を行う。具体的には、AI・ICT 技術等を活用したスクリーニング系の構築（適切なモダリティ選定と供給方法、薬効・安全性を考慮したメカニズムの妥当性確認、競合品に比した優位性等）し、ヒット化合物の薬効評価、構造最適化、探索的薬効評価を行う。

【成果の活用】医薬品開発のシーズを効率的に探索し、実用化研究の加速が得られる。シーズ探索方法の確立により、多数の疾患に応用できる可能性がある。

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 2024 改訂版】（令和 6 年 6 月 21 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

(4) 再生・細胞医療・遺伝子治療等

認知症等の脳神経疾患の発症・進行抑制・治療法の開発を進めるとともに、10 万ゲノム規模に向けて、がん・難病の全ゲノム解析等の事業実施組織を 2025 年度に設立し、その成果の患者への還元や、情報基盤の整備を通じ、ゲノム創薬を始めとする次世代創薬、iPS 細胞等の再生医療・創薬、細胞医療、遺伝子治療の取組を推進する。また、ライフ・コースに着目した健康医療の研究開発を推進する。

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、バイオインフォマティクス、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）

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。
- ・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 2024】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

第 3 章 中長期的に持続可能な経済社会の実現～「経済・財政新生計画」～

3. 主要分野ごとの基本方針と重要課題

（創薬力の強化等ヘルスケアの推進）

創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるため、構想会議中間取りまとめ 193 を踏まえ、革新的医薬品候補の F I H 試験 194 を実施できる国際競争力ある臨床試験体制の整備、臨床研究中核病院の承認要件の見直し、治験薬・バイオ医薬品の製造体制の整備や人材の育成や確保など有望なシーズを速やかに実用化する国際水準の研究開発環境の実現に取り組む。医療機関や企業の研究者による医療データの利活用を推進するため、個人識別性のないゲノムデータに関する個人情報保護法上の解釈の明確化等を図る。

【統合イノベーション戦略 2024】（令和 6 年 6 月 4 日閣議決定）

3. 着実に推進する 3 つの基軸

(1) 先端科学技術の戦略的な推進

① 重要分野の戦略的な推進

健康・医療

「全ゲノム解析等実行計画 2022」を着実に推進するとともに、2023 年 6 月に公布・施行された、「良質かつ適切なゲノム医療を国民が安心して受けられるようにするための施策の総合的かつ計画的な推進に関する法律（令和 5 年法律第 57 号）」（ゲノム

医療推進法)に基づく基本計画 の策定に取り組む。

【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）（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は多い。創薬総合支援事業（創薬ブースター）、臨床研究・治験推進研究事業、革新がん医療実用化研究事業、循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業、成育疾患克服等総合研究事業、認知症研究開発事業などとの連携を推進している。

プロジェクト（PJ）名	シーズ開発・研究基盤PJ
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
AMED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4年度	令和5年度	令和6年度
	92,904	91,749	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年及び令和5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。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。
5. 海外での実装フェーズで活躍する若手の育成・確保に寄与する。

【研究の Scope】

- 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を目指すための実証研究
- 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】（※）

①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6年度末までに1件

（※）医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更）を元に記載。

（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】PCR検査法は、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、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、検査法の特徴を活かし、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た。低・中所得国におけるCTGの利用が体系的に行われていないことを文献レビューで明らかにした。さらにカンボジア国立母子保健センターにおいて、医療従事者に対するガイドライン策定と研修の実施および継続教育の環境整備をパッケージとして提示することにより、CTGの適切な利用促進と、分娩期に異常が発生した場合の適切な医療サービスが提供される道筋を明らかにした。

【成果の活用】本研究で作成されたガイドラインに基づいた医療機関へのCTG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分娩管理に研究成果は活用された。

〈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。

2 令和7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】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の改善が期待される。

【課題名】タイ国での結核終息に向けた日本型接触者健診と個別化医療導入に関する研究開発（令和5～8年度）

【概要】インターフェロンγ遊離試験（IGRA）を活用した日本型結核接触者健診とオーダーメイド結核治療の社会実装に伴い、発端となる結核患者のコホート研究を実施する。タイ国においては、イソニアジド（INH）の代謝遅延型が日本より頻度が高く社会実装上の問題と考えられるので、特に薬物動態関連遺伝子である NAT 2 遺伝子検査の臨床実装の必要性和意義について薬理遺伝学的研究にて明らかにする。IGRA を活用した結核接触者健診を実施し、オーダーメイド結核治療として INH に伴う肝障害遺伝子の検査を行うことにより、効率的に結核発症を減少させることを示す。本研究成果を、国の疾病対策局の結核担当部署が実施する結核対策に組み込むことを目指す。

【成果の活用】タイ人集団では、日本人に比べてイソニアジドの代謝の遅い NAT2 遺伝子型の頻度が高いため、NAT2 検査の実施により、治療薬の選択や用量変更等に基づく結核治療レジメンを確立し、より適切で安全な個別化医療を、日本版直接服薬確認療法（DOTS）戦略の中で実現できる上、結核治療に要する医療費の削減による医薬経済学的な効果も期待できる。

【課題名】Healthy school environments supporting healthy and informed choices of food and beverage（GACD 国際協調研究公募、令和5～8年度）

【概要】経済発展と急激な都市化に伴う社会健康格差の拡大が懸念されるフィリピン都市域において、地域住民の健康づくりの展開に着目した児童の健康的な食生活の支援環境整備を目指す。小学児童及び養育者並びに教育関係者を対象に、学校内で実施する栄養食育授業と地域内の食料品アクセス地理情報を統合した食品選択を支援する地域連携健康推進プログラムを実施し、児童の栄養状態、食品選択・摂取におけるプログラムの有効性を検証する。児童及び養育者の食と栄養に関する知識と食品摂取状況の乖離を明らかにし、健康的な食品選択、食生活を支援する環境整備の促進・阻害要因を提示することにより、ライフステージを通じた非感染性疾患予防につながる食習慣獲得への効果的な実装手法を提案する。

【成果の活用】社会的健康格差が拡大するフィリピン都市域において、プログラムにより格差を是正する波及効果が期待される。

（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（一部若手枠とする）

【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とともに、若手枠については特に、海外で活躍する若手研究者が育成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

【新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画 2024 改訂版】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）抜粋

V. 投資の推進

6. 官民連携による科学技術・イノベーションの推進

（８）国際頭脳循環の確立

日本の優秀な研究者に海外先端研究の経験機会を提供しつつ、海外研究機関からの研究者を呼び込むことを通じて、優れた研究が世界中から日本に集う国際的な頭脳循環を確立する。

【経済財政運営と改革の基本方針 2024】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

第 2 章 社会課題への対応に応じた持続的な経済成長の実現 ～賃上げの定着と戦略的な投資による所得と生産性の向上～

3. 投資の拡大及び革新技术の社会実装による社会課題への対応

（４）科学技術の振興・イノベーションの促進

「我が国の経済成長の原動力たる科学技術・イノベーション力を強化し、熾烈な国際競争を勝ち抜くため、官民が連携して大胆な投資を行うとともに、標準の戦略的活用を図るなど、研究開発成果の社会実装を加速する。このため、新たな産業の芽となるフュージョンエネルギーや量子、経済社会を支える基盤的な技術・分野である AI、バイオ、マテリアル、半導体、Beyond 5G（6G）、健康・医療等について、分野を跨いだ技術の融合による研究開発、産業化、人材育成を俯瞰的な視点で強力に推進するとともに、グローバルな視点での連携を強化し、市場創出等に向けた国際標準化などの国際的なルールメイキングの主導・参画や、G7 を始めとした同志国や ASEAN・インドを含むグローバル・サウスとの国際共同研究、人材交流等を推進する。

・・・国立研究開発法人については、国家戦略に基づく研究開発の中核を担う存在として、その機能強化を進め、特に研究成果の早期の社会実装や国家的重要課題への機動的な対応に向けた人材の確保・育成や研究セキュリティ・インテグリ

ティの一層の強化を図る。」

【統合イノベーション戦略 2024】（令和 6 年 6 月 4 日閣議決定）

2. 3つの強化方策

(2) グローバルな視点での連携強化

③ グローバルな視点でのリソースの積極活用、戦略的な協働

・このような中、我が国の研究力を一層強化し、卓越した研究成果を生み出し、一つ、法の支配に基づく「自由で開かれたインド太平洋（F O I P）」の実現などの外交方針を踏まえて科学技術外交を推進していくためには、G 7を含む同盟国・同志国やA S E A N・インドを含むグローバル・サウスなどとの連携等を通じて国内外のリソースを積極的に活用し、戦略的な協働を進めるとともに、研究者等が海外研さんに専念できる環境づくりを行うほか、自由な発想に基づく国際連携を推進し、国際頭脳循環を促進していくことが必要である。

第 6 期科学技術・イノベーション基本計画（令和 3 年 3 月 26 日閣議決定）

第 2 章 2. (1)

⑤ 国際共同研究・国際頭脳循環の推進

○米国、EU等の高い科学技術水準の先進国との間で、国際共同研究を行うとともに、インド、ケニア等の新興国及び途上国とのSDGsを軸とした科学技術協力を進め、中長期的な視野を含めて、科学技術の発展、人材育成、地球規模課題解決等に貢献する。

【グローバルサウス諸国との新たな連携強化に向けた方針】（令和 6 年 6 月 11 日 グローバルサウス諸国との連携強化推進会議決定）

6 具体的な方策

① グローバルサウス諸国が求める産業・雇用の創出、技術移転、人材育成を進めるため、産官学が連携し、企業の事業投資につながる日本の産業協力の象徴となるようなフラッグシップ・プロジェクトを組成し、双方の国々が裨益する仕組みを構築していくこと。その際、AI、GX、気候変動適応（防災等）、エネルギー、DX、重要鉱物、保健、交通、物流、半導体や次世代自動車といった未来を担う産業など、日本が強みを有する分野等について、民間企業では背負いきれないリスクに対応するため、研究開発や商用化に向けた実証支援を着実に進めるとともに、施設・設備の実装まで含め支援強化すること。

【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「三大感染症等に関連する保健システム強化について我が国から行う国際機関への戦略的・効果的な関与に資する研究」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、当研究事業は、低・中所得国において、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、及び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。また、「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、「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」において医療機器の新規開発を推進することも期待できる。

- SATREPS (サトレップス Science and Technology Research Partnership for

Sustainable Development) (AMED：感染症分野) は、開発途上国のニーズを基に、地球規模課題を対象とした将来的な社会実装の構想を有する国際共同研究を、政府開発援助 (ODA) と連携して推進するもので、科学技術水準の向上につながる新たな知見や技術の獲得とこれらを通じたイノベーションの創出を目的としている。具体的には、研究で得られた新たな知見や技術の、将来的な製品化及び市場への普及、行政サービスへの反映による社会や経済に便益等の、研究成果の社会還元に向けた国際共同研究を推進している。SATREPS で得られた知見や技術の実装化を本事業で応用することにより、SATREPS で国際共同研究が実施された国に加えて、他国での実装研究も行うことができ、さらには若手研究者の活躍が期待できる。

プロジェクト（PJ）名	シーズ開発・研究基盤PJ
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4年度	令和5年度	令和6年度
	94,330	93,157	166,157

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 Scope】

- 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6年度に、日米共同研究における水痘帯状疱疹ウイルスおよび単純ヘルペスウイルスによる急性網膜壊死における眼内炎症細胞プロファイル、ならびに急性網膜壊死発症および重症化のバイオマーカーと危険因子の特定、水鳥による腸炎ビブリオ薬剤耐性（AMR）遺伝子伝播の可能な経路予測やそのAMRプロファイル・病原性決定因子の特定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

(※) 医療分野研究開発推進計画（令和 2 年 3 月 27 日決定、令和 3 年 4 月 6 日一部変更）を元に記載。

(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 6 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。具体的な活動として、海外研究者を招聘した米国カウンターパートとの、日米合同コレラ及び細菌性腸管感染症専門部会会議（令和 5 年 12 月）および日米合同寄生虫専門部会会議（令和 6 年 3 月）を実施した。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 6 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。その他、ブニヤウイルスに対する広域スペクトル活性を有するキャップ依存性エンドヌクレアーゼ阻害剤を製薬企業と協働し同定する成果を上げた。

【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、本プログラムを経た2名の女性研究者が日米医学協力計画の専門部会長に就任するなど、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月開催：韓国

「アジアにまん延するウイルス疾患」

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5年度

- ・学会誌・雑誌等における論文発表：215件
- ・学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表：248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

2 令和7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】米国・アジア諸国との連携の枠組みを強化する取組を推進する。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

ウイルス感染症分野と薬剤耐性菌（AMR）関連分野等について、重点を置いて行う。

【成果の活用】第26回 EID にて、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、若手・女性研究者の育成を強化する。

【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】60周年記念式典の結果を踏まえた更なる日米医学協力計画の推進

【概要】2025年3月に我が国で開催予定の60周年記念式典で得られた成果を踏まえつつ、更なる日米医学の発展を目指して、積極的な情報発信、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。

【課題名】日米医学協力計画の次世代を担う若手研究者育成のためのメンタリング強化

【概要】第24回 EID 国際会議での米国との日米医学 Joint committee 会議での協議により合意した、次世代を担う若手研究者育成のためのメンタリング強化を実践するため、若手研究者に日米医学協力計画の日米双方の中堅以上の研究者からメンタリングを受ける機会を支援する。令和7年度は令和6年度に各専門部会で実施した若手育成のためのパイロットプランをベースに支援プログラムを確立し実施する。

【成果の活用】日米医学協力計画を担う新世代主要研究者の育成および国際性の高い新世代研究者間コミュニティの醸成が期待される。

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 2024】（令和6年6月21日閣議決定）

第2章 社会課題への対応を通じた持続的な経済成長の実現

～賃上げの定着と戦略的な投資による所得と生産性の向上～

3. 投資の拡大及び革新技术の社会実装による社会課題への対応

(4) 科学技術の振興・イノベーションの促進

(略) G7を始めとした同志国やASEAN・インドを含むグローバル・サウスとの国際共同研究、人材交流等を推進する。

【統合イノベーション戦略 2024】(令和6年6月4日閣議決定)

別添 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（PJ）名	医療機器・ヘルスケアPJ、ゲノム・データ基盤PJ、疾患基礎研究PJ
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・生活衛生局健康課
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・生活衛生局がん・疾病対策課

当初予算額（千円）	令和4年度	令和5年度	令和6年度
	761,320	751,855	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5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、不適切な生活習慣等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2年10月に循環器病対策推進基本計画が策定され、これに基づいて研究を推進する。

【事業目標】

生活習慣病対策においては、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、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 P J : 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 7 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 7 年度単年で 0~1 件 (5 年間で 3 件以上)。

疾患基礎研究 P J : 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 7 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。

(※) 医療分野研究開発推進計画 (令和 2 年 3 月 27 日決定、令和 3 年 4 月 6 日一部変更) を元に記載。

(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 P J〉

【課題名】心血管疾患に対する、運動支援プログラムに関する研究開発 (令和 6 年度終了)

【概要】身体活動に対する動機付けのあるフィードバックを提供する医療機器プログラムの開発 (運動支援プログラム) プロトタイプが完成した。PMDA 相談、各研究期間の IRB を経て、2023 年 10 月よりランダム化比較試験 (RCT) を開始した。

【成果の活用】心血管疾患に対する運動支援プログラムによって、個人的な目標設定を行いながら行動の自己モニタリングを実施し、かつユーザーに有効な動機付けのあるフィードバックし、運動耐容能を増加させ、QOL 改善、心不全入院抑制へつなげる。

〈疾患基礎研究 P J〉

【課題名】代謝産物センサー分子を標的にした糖尿病・肥満関連疾患の包括的な治療体系の構築 (令和 6 年度終了)

【概要】肥満によって膵 β 細胞に生じる酸化ストレスによって CtBP2 タンパク質が破壊され、膵 β 細胞の機能が維持できなくなり、インスリン分泌低下や糖尿病発症につながることを明らかにした。

【成果の活用】CtBP2 が肥満で機能しなくなることが、メタボリックシンドローム、糖

尿病の発症や病態に重要な役割を果たしていることを示しており、肥満に共通する分子メカニズムとして新たな治療への応用が期待される。

〈医療機器・ヘルスケアPJ〉

【課題名】心血管疾患に対する、運動支援プログラムに関する研究開発（令和6年度終了）

【概要】身体活動に対する動機付けのあるフィードバックを提供する医療機器プログラム（運動支援プログラム）のプロトタイプが完成した。PMDA相談、各研究期間のIRBを経て、2023年10月よりRCTを開始した。

【成果の活用】心血管疾患に対する運動支援プログラムによって、個人的な目標設定を行いながら行動の自己モニタリングを実施し、かつユーザーに有効な動機付けのあるフィードバックし、運動耐容能を増加させ、QOL改善、心不全入院抑制へつなげる。

2 令和7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】日本人の食生活に特徴的な食事パターンと栄養素が健康アウトカムに及ぼす因果効果の推定：国内外ゲノムコホートを利用したメンデルランダム化研究（令和6年度継続中）

【概要】日本食パターンおよび特徴的な栄養素を国内外ゲノムコホートで分析、メンデルランダム化（遺伝子変異を自然のランダム化と見なすことで、観察研究の課題であった交絡の問題を解消する手法）による因果関係のエビデンスを創出する。

【成果の活用】日本人に特徴的な食事パターン・栄養素が心血管・腎リスクに与える因果効果のエビデンスに基づいて、デジタル栄養指導プログラムを実装する。

【課題名】保健医療データベース利用による行動変容に向けたフィードバック手法の開発（令和6年度継続中）

【概要】自治体保有の保健医療データベースを活用し、行動変容に効果的なフィードバックを開発する。エビデンスとナッジ理論に基づくフィードバック手法を開発し、RCTによりその有効性を明らかにする。

【成果の活用】：行動変容を促す上で効果的なフィードバック方法が明らかとなり、全国自治体への横展開につなげる。

【疾患基礎研究PJ】

【課題名】正常な腸内細菌叢により維持される免疫細胞の機能を用いた肥満の病態制御に関する研究開発（令和6年度継続中）※若手育成枠

【概要】肥満の病態において、正常な腸内細菌叢とその代謝物により維持される免疫細胞の機能を保存する方法を開発する。

【成果の活用】正常な状態で免疫細胞が果たす機能を病態でも維持する「肥満抵抗性免疫細胞の活用」により、肥満および肥満に伴う健康障害を抑制する新たな健康維持が可能になる。

- 【課題名】神経―腸管軸を介した不動化性筋量減少メカニズムの解析（令和6年度継続中）
- 【概要】神経―腸管間の臓器相関を介した筋量減少機構の解析を通じサルコペニアの病態解明し、腸管炎症抑制機序による治療薬を開発する。
- 【成果の活用】サルコペニア予防のための筋肉量減少予防薬の創薬に繋がるとともに、新たな腸内細菌への介入法の開発に発展する。

（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

〈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】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。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。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】ライフステージを俯瞰して生活習慣病の発症・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。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とつなげ、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6年6月21日閣議決定）

V. 5. ③ i) 生体・生活データを利用した予防・重症化予防・健康づくりの推進

国民の主体的な予防・重症化予防・健康づくり、データヘルスの推進のため、アプリやウェアラブル・デバイス等で把握する生体・生活データに基づき、食生活、運動、受診のアドバイス等を通じ生活習慣の改善や病気の予防・重症化予防を図る実証プロジェクトを実施する。その際、民間PHR（Personal Health Record）サービスが提供するライフログデータ（歩数や睡眠等）の標準化を進め、上記の実証プロジェクト等の生体・生活データと連携して医療機関が受診勧奨や受診時の効率的な検査・診療に活用できる環境を整備する。

【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3章 3. （1）全世代型社会保障の構築（抜粋）

（予防・重症化予防・健康づくりの推進）健康寿命を延伸し、生涯活躍社会を実現するため、減塩等の推進における民間企業との連携、望まない受動喫煙対策を推進するとともに、がん検診の受診率の向上にも資するよう、第3期データヘルス計画に基づき保険者と事業主の連携（コラボヘルス）の深化を図り、また、予防・重症化予防・健康づくりに関する大規模実証研究事業の活用などにより保健事業やヘルスケアサービスの創出を推進し、得られたエビデンスの社会実装に向けたAMEDの機能強化を行う。元気な高齢者の増加と要介護認定率の低下に向け、総合事業の充実により、地域の多様な主体による柔軟なサービス提供を通じた効果的な介護予防に向けた取組を推進するとともに、エビデンスに基づく科学的介護を推進し、医療と介護の間で適切なケアサイクルの確立を図る。また、ウェアラブルデバイスに記録されるライフログデータ（睡眠・歩数等）を含むPHRについて、医療や介護との連携も視野に活用を図るとともに、民間団体による健康づくりサービスの「質の見える化」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）

2.2.1 健康・医療をめぐる我が国の現状（抜粋）

我が国では、（中略）平均寿命は年々延びて男女ともに世界最高水準に達しており、高齢化率（65歳以上人口割合）は、（中略）2018年には28.1%に達するなどますます高齢化が進展している。健康寿命と平均寿命との差、すなわち疾病などの健康上の理由により日常生活に制限のある不健康期間は、2010年から2016年の間に男女ともに約0.3年が短縮されたものの、依然として10年近くの期間を占めており、更なる短縮に向けた取組が望まれる。（中略）診断・治療に加えて予防の重要性が増すと同時に、罹患しても日常生活に出来るだけ制限を受けずに生活していく、すなわち、疾病と共生していくための取組を車の両輪として講じていくことが望まれている。予防については、二次予防（疾病の早期発見、早期治療）、三次予防（疾病が発症した後、必要な治療を受け、機能の維持・回復を図るとともに再発・合併症を予防すること）に留まらず、一次予防（生活習慣を改善して健康を増進し、生活習慣病等を予防すること）も併せて取り組むべきであることが指摘されている

4. 具体的施策

4.1. (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. (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（PJ）名	ゲノム・データ基盤PJ、疾患基礎研究PJ
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・生活衛生局 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4年度	令和5年度	令和6年度
	149,695	147,834	147,834

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）第2部Ⅱ第7分野に記載のように、近年は、女性の就業等の増加、生涯出産数の減少による月経回数の増加、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を脅かす疾病構造が変化している。加えて、人生100年時代を見据え、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。

これらのことから、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、近年の女性の健康に関わる問題の変化に応じた支援が必要である。また、令和6年度においては、国立成育医療研究センターに女性の健康ナショナルセンターの機能構築が進められているところであり、

こうした社会的情勢を踏まえ、女性の身体的・精神的な健康及び女性医療に関する調査・研究を進め、女性の健康を脅かす社会的問題の解決を含めた包括的な健康支援施策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、人生の各段階に応じてその心身の状況が大きく変化する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、かつライフステージの軸で多面的に包括的にとらえ、エビデンスに基づいた健康増進「予防／診断／治療／予後・QOL」に資する研究開発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】（※）

本事業においては、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に向けて、エビデンスの創出から実用化に向けた研究を重点的に取り組んでいる。

<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】（※）

女性の健康や疾患についての問題を、心身における性差も加味し、かつライフステージの軸で多面的に捉えた研究開発とその実用化を推進することで、女性がより良い生涯を選択することを可能にする健康を享受できるような社会が創成される。

（※）医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更）を元に記載。

（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】MRIによる子宮筋腫のサブタイプおよび組織構成の非侵襲的な予測法に関する研究開発（令和6年度継続中）

【概要】MRI画像情報を元に、患者個々の筋腫について非侵襲的にサブタイプの診断・膠原線維量を推定する予測法の開発を行い、子宮筋腫検体から複数のMRIシーケンスの画像情報と各検体におけるサブタイプ・膠原線維量の情報と照合することで、予測に有効なMRIシーケンスを特定する。現在までに、子宮筋腫にはMED12遺伝子変異がある筋腫と無い筋腫の2つのサブタイプがあり、MED12遺伝子変異がある筋腫は膠原繊維が豊富な腫瘍であり、MED12遺伝子変異は子宮筋腫において膠原繊維の産生増加に関与する可能性が明らかとなった。

【成果の活用】本課題により作成された子宮筋腫サブタイプを判別する予測器は、治療方針、使用薬物の選択に有用であり、将来臨床応用が期待される。

【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＜令和元年度～令和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。その結果と文献的知見から、女性の頻出症状に対して、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年度～5年度＞

【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、雌マウスのみで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、雌雄差又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、リボソーム関連分子の変化とともに、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スクリーニング法の開発を行う。

2 令和7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】女性ホルモンの影響による更年期以降の疾病の予防・治療に資するライフコース研究

【概要】平均寿命の伸長に伴い、特に女性において障害と共に生存する障害生存期間が長くなっている。この女性における障害生存期間の短縮には、健康維持・増進や障害進展予防に関わる要因を、各ライフステージにおける生殖機能関連事象、既往疾患、生活保健習慣などから特定する必要がある。本課題では更年期以降の女性の健康に注目し、コホートデータから①早発閉経と後年の疾患発生との関連および世代間比較、②女性ホルモン剤、特にホルモン補充療法（HRT）の長期使用におけるリスクとベネフィット評価、③更年期以降に発生する疾患・症状のリスク因子の探索およびライフコースとしての予防管理法、④閉経後の卵胞刺激ホルモン（FSH）レベルの役割の探索の4課題を検討する。令和7年度はライフコースからみた更年期以降における女性ホルモンの影響がある疾患での適切な予防や管理に資するエビデンスの構築を充実させる。

【成果の活用】ライフコースも考慮したエビデンスに基づき、更年期の女性に必要なヘルスケアを提示できるようになることが期待される。

【課題名】子宮腺筋症における薬剤抵抗性の分子機構解明に基づく治療戦略構築

【概要】子宮腺筋症は子宮内膜類似組織が子宮筋層内に発生し、月経痛、月経過多などの月経随伴症状や不妊症・不育症・妊娠合併症をきたし、QOLを著しく損なう良性疾患であるが、未だ病因・病態が不明である。本課題ではまず、P（プロゲスチン）抵抗性の有無を判定する臨床的指標を検索し、P抵抗性を判断基準とした早期型と進行型の子宮腺筋症を区別する診断法を確立する。次に、進行型子宮腺筋症に対し、新たな標的分子の同定と新規治療薬候補の探索、効果検証を行う。令和7年度は黄体ホルモン抵抗性を有する子宮腺筋症オルガノイドを用いた治療薬候補を探索し、充実させる。

【成果の活用】子宮腺筋症が進展する分子機序を明らかにすることで、子宮腺筋症の既存の治療法の効果の最大化、新規診断薬と治療薬の開発、最終的には子宮腺筋症の個別化治療に繋がることが期待される。

【課題名】髄鞘機能に着目した認知症・鬱病における性差の分子生物学的研究

【概要】認知症・鬱病の罹患率は女性の方が高い。近年、分子メカニズムとして髄鞘形成細胞であるオリゴデンドロサイト（OL）の機能障害や細胞死による髄鞘の減少が注目されている。加えて男性と比べて女性では神経軸索径が小さく、鬱病モデルの解析や認知機能に重要である神経活動依存的な髄鞘形成の研究からも、小径軸索の髄鞘化がより影響を受け易いことが示されている。本課題では小径軸索髄鞘化・脱髄が解析可能な遺伝子改変マウスを作成し、組織形態学的・生物学的解析、行動解析を行い、その効果を検証する。令和7年度はシングルセルRNA-Seq解析を行い、雌雄間で異なる特徴的な細胞集団の遺伝子発現をプロファイリングする。

【成果の活用】活性化制御因子の同定、小径軸索髄鞘化・脱髄における性差の分子メカニズムを解明することにより、認知症・鬱病研究への応用が期待できる。

（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

【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】従来、女性の疾病については、女性の生物学的、身体的特徴ゆえに男性と異なった管理が必要であった。しかし、昨今の女性のめざましい社会進出に伴い、女性の社会的立場が変貌したため、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され、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。本課題では、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うえで、女性ホルモン等の影響による健康課題の特徴の解明や対策、健康増進に資する手法等の研究を推進する。

【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により、女性ホルモン等の影響による健康課題への対策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・器官に係る疾病の予防、診断及び治療に関する研究開発

【概要】子宮や卵巣などの女性特有の臓器・器官に関する疾患については、ライフステージ別にその発症リスクや重症度が異なり、生涯を通じた管理が必要不可欠である。近年の女性の就業率の上昇等により、晩産化・少産化に伴う月経回数の増加と女性特有の疾患の発症リスクにおける関連が明確化しており、ライフスタイルの変化に視点を置いた予防、治療法の開発を行う必要がある。本課題では、ゲノムデータやレジストリ等の医療データを活用し、子宮内膜症等の女性特有の臓器・器官に係る疾病の予防及び治療に資するエビデンスの創出と新たな介入方法を開発することを目的とする。

【成果の活用】女性特有の疾病等の予防及び治療に資するエビデンスの創出と新たな介入方法を開発することで女性の 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。その理由として、若年時は、研究への協力が得られにくいこと、アウトカム発生までの観察期間が長いこと、居住地や所属先の移動により追跡不能になりやすいこと等が挙げられる。本課題では、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。

【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、男性より女性で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る。特に女性の健康課題に関しては、これらの社会的な要因も加味した保健・医療・福祉の対策が必須である。本課題では、学会・診療科横断的研究やビックデータに基づき、男女共通の健康課題の発症・経過における性差の多角的な解明を推進する。

【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環境の両方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。

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）2024】（令和6年6月21日閣議決定）
抜粋

【第2章. 6】幸せを実感できる包摂社会の実現（女性活躍）

女性の経済的自立に向け、L字カーブの解消に資するよう、女性版骨太の方針2024に基づき、（中略）性差を踏まえた職域・地域における相談支援体制の充実、フェムテックの推進、女性の健康ナショナルセンター（仮称）における診療機能の充実及び研究の推進など生涯にわたる女性の健康への支援等に取り組む。

【統合イノベーション戦略2024】（令和6年6月4日閣議決定）抜粋

【別添. 4（6）】健康・医療

第2期医療分野研究開発推進計画に基づき、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・医療戦略】（令和2年3月27日閣議決定、令和3年4月9日一部変更）抜粋

【4. -4.1-（1）】研究開発の推進

○ 疾患領域に関連した研究開発

特に、2040年の人口動態を見据え、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野に係る研究開発を戦略的・体系的に推進する観点から、（中略）がん、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。

この他、関連する研究事業として、こども家庭科学研究費補助金で実施する成育疾患克服等次世代育成基盤研究事業と、こども家庭庁が所管する AMED 研究（成育疾患克服等総合研究事業）がある。前者は、妊産婦その他母性に関する保健医療、福祉、生活衛生等に関し、行政施策の科学的な推進の確保、技術水準の向上を目的としており、後者は、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。

プロジェクト（PJ）名	医薬品PJ、疾患基礎研究PJ
研究事業名	腎疾患実用化研究事業
主管部局・課室名	健康・生活衛生局がん・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4年度	令和5年度	令和6年度
	75,743	74,801	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】

「今後の腎疾患対策のあり方について」（平成20年3月 腎疾患対策検討会）に基づく10年間の対策（①普及啓発、②医療提供体制の整備、③診療水準の向上、④人材育成、⑤研究開発の推進）により、年齢調整後の新規透析導入患者数の減少を達成するなど、着実な成果を上げているが、平成29年末における慢性透析患者数は約33万人と未だ減少傾向には転じておらず、今後も生活習慣病の増加や高齢化の進行に伴い慢性腎臓病（CKD）患者の増加も予想されることから、腎疾患対策のさらなる推進が必要である。

そこで、平成30年7月に新たな腎疾患対策検討会報告書（以下、新報告書とする。）が取りまとめられた。「CKD重症化予防の徹底とともに、CKD患者のQOLの維持向上を図る」等を全体目標とし、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ている。

本事業では、新報告書に基づき、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】

①2028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、新報告書に基づく対策のKPI達成に寄与する。

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】慢性腎臓病に対するリアノジン受容体安定化薬併用療法の開発
(令和5年度終了課題)

【概要】リアノジン受容体安定化薬の慢性腎臓病(CKD)に対する有効性を検証し、臨床試験へ発展させた。

【成果の活用】動物モデルにおいて、リアノジン受容体安定化薬(ダントロレン)がCKDの進展を抑制したことを確認しており、ダントロレンが「慢性腎臓病の進展抑制剤、及び、蛋白尿及び／又は糸球体硬化の進展抑制剤」であることを特許として出願済である。さらに、特定臨床試験でCKD患者を対象とした薬物動態試験の症例予定数を終了しており、今後特定臨床試験を進め、ダントロレンのドラッグリポジショニングにより、末期腎不全の新規透析導入を回避し医療費の抑制に貢献する可能性が見込まれる。

2 令和7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】TRPC3/6を標的とした難治性かつ進行性腎疾患に対する新規治療薬開発

【概要】腎機能低下や末期腎不全への移行などを改善させる薬剤はこれまでRA系阻害薬とSGLT2阻害薬に限られている。いずれの薬剤も血行動態による糸球体過剰濾過は正と尿蛋白減少が腎保護効果の主体である一方、本課題では、ポドサイトおよび傷害尿細管を直接的に保護できるTRPC3/6 dual阻害薬L862を開発する。

【成果の活用】傷害された各腎構成細胞を特異的に標的とし、難治性腎疾患の進行を幅広く抑えることで新規透析導入を抑制する、全く新しい治療薬としてのL862の有効性を実証し、企業との連携へ道筋をつける。

【課題名】腎疾患に対する独創的な病態解明研究(3課題)

【概要】腎領域に対する治療は対症療法がほとんどであり、病態そのものにアプローチするような革新的治療法の開発が望まれている。そこで、本研究開発課題では現状を打破すべく、最終的には臨床応用されることを視野に入れつつも、他には無い斬新なアイデアを基にした腎疾患に対する独創的な病態解明研究を行う。

【成果の活用】病態解明に関する画期的な発見を示す論文等の発表及び治療法の開発に結びつくシーズに関する知財関連資料等の取得により、革新的治療法の開発につなげる。

(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】腎臓をターゲットにした画期的治療法の開発「シーズ最適化・非臨床POC確認」(1課題)

【概要】CKDのみならず、CKDの原因として重要な、AKI(acute kidney injury)の予防・治療にも活用可能なエビデンスを創出する。また、治療標的分子などを確立し、新規腎疾患治療技術の実用化につなげる。

【成果の活用】疾患基礎研究事業で発見したシーズの創薬化を目指し、非臨床POC(Proof-of Concept:新規治療法の有効性を動物実験などで証明する)を取得し臨床研究に繋げる。

【課題名】腎疾患に対する独創的な病態解明研究(1～2課題)

【概要】正常アルブミン尿期における腎病理所見を反映し、長期腎予後に関連するバイオマーカーの必要性から、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つなげることを目的とし、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を行う。

【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2024(令和6年6月21日閣議決定)】

3. 主要分野ごとの基本方針と重要課題

(1) 全世代型社会保障の構築

(医療・介護サービスの提供体制等)

このほか、がん対策、循環器病対策、難聴対策、難病対策、移植医療対策、慢性腎臓病対策、アレルギー対策、依存症対策、栄養対策、睡眠対策、COPD対策等の推進や、予防接種法に基づくワクチン接種を始めとした肺炎等の感染症対策の推進を図るとともに、更年期障害や骨粗しょう症等に対する女性の健康支援の総合対策の推進を図る。

○第2期健康・医療戦略

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 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 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厚生労働科学研究 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。

【循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業】

平成28年度に腎疾患実用化研究事業および循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業で「心腎連関による新規治療法開発」として合同公募を実施し、事前評価および進捗管理、事後評価を合同で行った。

プロジェクト（PJ）名	医薬品PJ、ゲノム・データ基盤PJ、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・生活衛生局 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4年度	令和5年度	令和6年度
	716,989	708,075	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 PJ＞

- ・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 PJ＞

- ・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 PJ＞

- ・（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 PJ＞

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 PJ＞

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プ

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 PJ>

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 PJ>

シーズの企業への導出 1 件以上

<ゲノム・データ基盤 PJ>

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 PJ>

シーズの他の統合 PJ や企業への導出件数 1 件以上

(※) 医療分野研究開発推進計画 (令和 2 年 3 月 27 日決定、令和 3 年 4 月 6 日一部変更) を元に記載。

(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 PJ>

【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 PJ>

【課題名】全ゲノム・一細胞シーケンス統合解析による関節リウマチの病態層別化と
個別化医療実装 (令和 5～7 年度)

【概要】11 の自己免疫疾患の患者を対象に免疫フェノタイプ分類を行い、自己免疫疾患
や免疫細胞が構成するネットワークを明らかにした。また患者層別化解析を行い、治
療反応性との関連、間質性肺疾患と免疫細胞の関わりを明らかにした。

【成果の活用】免疫フェノタイプ分類による患者層別化が可能となることにより、将来
的な個別化医療の社会実装への第一歩となることが期待される。

<疾患基礎研究 PJ>

【課題名】乳児期発症のアトピー性皮膚炎の予後を追跡しアレルギーマーチへの診療の
影響と危険因子を探索する前向きコホート研究 (令和 2～4 年度)

【概要】食物アレルギー発症率の高い乳児期早期発症のアトピー性皮膚炎患者において
早期の積極的治療により鶏卵アレルギー発症予防が可能となることを明らかにした。

【成果の活用】ハイリスク患者における食物アレルギー発症予防方法が解明されることにより、今後食物アレルギーの発症メカニズムの解明ならびに各重症度における食物アレルギー発症予防研究の促進が期待される。

2 令和7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PJ>

【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、重症・難治性・治療抵抗性のケースの場合、既存の治療薬では効果が十分といえず、QOLの長期的な低下や合併症の併存など多くの問題に直面する。本課題では、これらのことを踏まえ、革新的な治療薬の開発を行う。特に、シーズ同定や剤型・投与経路・投与量の設定等のため、増額が必要となる。

【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、免疫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PJ>

【課題名】疾患多様性理解と層別化に資する基盤的ゲノム・データ研究

【概要】ライフステージを俯瞰した疾患の発症、重症化予防、診断、治療などに資する研究開発を推進するため、ゲノム情報や各種データベースなど様々なリソースを活用する基盤構築に関して、増額が必要となる。

【成果の活用】標準化し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および疾患発症前・早期発症段階での適切な予防及び治療法選択の実現につなげる。

<疾患基礎研究PJ>

【課題名】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（若手研究者推進領域）

【概要】免疫アレルギー疾患は今もなお根本的な原因は十分解明できておらず、基盤となる基礎研究を推進することによる、根源的な本態解明が必要である。また本課題では「免疫アレルギー疾患研究10か年戦略」にも示される若手研究者でかつ国際的な人材育成を推進する。

【成果の活用】研究者が将来のキャリアにおいて日本のみならず世界で活躍する一助となるとともに、治療法等開発にむけたシーズの探索及び病因病態解明、疾患モデルの作成に寄与する。

(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PJ>

【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、重症・難治性・治療抵抗性のケースの場合、既存の

治療薬では、効果が十分といえず、QOL の長期的な低下や合併症の併存など多くの問題に直面する。これらのことから、革新的な治療薬の開発が求められ、シイズ同定や剤型・投与経路・投与量の設定等の検討を行うこと、ならびに革新的な治療薬の開発を行う。

【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革新的な治療薬の開発と実用化を通して、適切な新規治療法の選択による生活の質の維持向上が期待される。

<疾患基礎研究 PJ>

【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、及び免疫療法を含めた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。

<疾患基礎研究 PJ>

【課題名】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（若手研究者推進領域）

【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】シイズ探索や根源的な本態解明とともに、若手研究者への支援を行うことにより、国内のみならず国際的競争力をもつ若手研究者の育成を目指す。

<疾患基礎研究 PJ>

【課題名】免疫アレルギー疾患におけるアンメットメディカルニーズの解決に資する研究（病態解明/診療の質の向上に資する研究）

【概要】免疫アレルギー疾患は、難治性・治療抵抗性である点、薬剤アレルギーのような、急速な症状を呈し、致命的な経過をたどるにもかかわらず、診断法、治療法が確立されていない点などにアンメットメディカルニーズが存在する。本課題で、基礎研究や実態調査、観察研究、介入研究などを行い、病態解明、診断法や治療法を開発を行う。

【成果の活用】シイズの探索及び病因、病態の解明、疾患モデルの作成や臨床上の課題を取り込んだ研究開発を行うなかで、新規診断法の開発や診療ガイドライン等の作成や改訂に資する質の高いエビデンスの創出を目標とする。

<疾患基礎研究 PJ>

【課題名】アレルゲン免疫療法の開発に資する研究（病態解明/診療の質の向上に資する研究）

【概要】アレルギー疾患治療には、昨今様々な治療法があるが根治的な介入は少なく、治療薬中止により症状の再燃などを認め、患者の QOL を十分改善しているとはいえない

い。平成 29 年 7 月に策定された「アレルギー疾患対策の推進に関する基本的な指針」にもアレルゲン免疫療法をはじめとした根治療法の発展および新規開発を目指すと言われる。本研究では、病態解明ならびに効果判定モデルの作成、新規ならびに既存の免疫療法の確立改善などを目標とする。

【成果の活用】シーズの探索及び病因、病態の解明、疾患モデルの作成や臨床上の課題を取り込んだ研究開発を行うなかで、新規診断法の開発や診療ガイドライン等の作成や改訂に資する質の高いエビデンスの創出を目標とする。

<疾患基礎研究 PJ>

【課題名】 ライフステージにおける免疫アレルギー疾患診療の質向上に資する研究

【概要】 免疫アレルギー疾患は、小児期から成人期にかけて継続管理が必要になる場合や青年期・成人期に新規に発症する場合があるが、これらの疾患特性や治療法は異なる。また「基本指針」「免疫アレルギー疾患研究 10 カ年戦略」においても、各ライフステージに着目した研究が必要であるとされている。各ライフステージにおけるクリニカルクエスチョンを明らかとし解決法を提供することを目標とする。

【成果の活用】 基本指針及び 10 か年戦略に基づいた免疫アレルギー疾患研究を推進することで、免疫アレルギー疾患患者の生活の維持向上に寄与する。

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

【成長戦略実行計画 2021（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

予防・重症化予防・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事業の結果を踏まえて、特定健診・特定保健指導の見直しなど、保険者や地方公共団体等の予防健康事業における活用につなげる。

【健康・医療戦略（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

【経済財政運営と改革の基本方針 2024】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

第 2 章 社会課題への対応を通じた持続的な経済成長の実現

～賃上げの定着と戦略的な投資による所得と生産性の向上～

6. 幸せを実感できる包摂社会の実現

(2) 安全・安心で心豊かな国民生活の実現

【「花粉症対策の全体像」（令和 5 年 5 月 30 日花粉症に関する関係閣僚会議決定。）

等に基づき、約 30 年後の花粉発生量の半減を目指し、スギ人工林伐採重点区域における伐採・植替えを含む発生源対策等（ワクチン・治療薬の研究開発、スギ花粉米の

実用化に向けた官民協働の取組の推進を含む。)に取り組む。】

第3章 中長期的に持続可能な経済社会の実現～「経済・財政新生計画」～

3. 主要分野毎の基本方針と重要課題

(1) 全世代型社会保障の構築

【このほか、がん対策、循環器病対策、難聴対策、難病対策、移植医療対策、慢性腎臓病対策、アレルギー対策（アレルギー疾患（アトピー性皮膚炎等を含む。）医療の均てん化の促進等を含む。）、依存症対策、栄養対策、睡眠対策、COPD 対策等の推進や、予防接種法に基づくワクチン接種を始めとした肺炎等の感染症対策の推進を図るとともに、更年期障害や骨粗しょう症等に対する女性の健康支援の総合対策の推進を図る。】

【統合イノベーション戦略 2024】（令和6年6月4日閣議決定）

3. 着実に推進する3つの基軸

(1) 先端科学技術の戦略的な推進

① 重要分野の戦略的な推進

【健康・医療研究の成果を中長期的に創出し続けるためには、基礎研究の再興が必須である。若手研究者が研究に専念できる環境を整備するとともに、研究支援人材の確保や若手研究者向けの競争的研究費の充実等に取り組む。】

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

(2) 新たな研究システムの構築（オープンサイエンスとデータ駆動型研究等の推進）

② 研究 DX を支えるインフラ整備と高付加価値な研究の加速

【・国民へ質の高い医療を届けるため、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。

・民間企業やアカデミア等へその本格的な利活用を促し、診断創薬や新規治療法等の開発を開始。

・解析結果等の速やかな日常診療への導入や、出口戦略に基づく新たな個別化医療の実現について更に推進。】

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（PJ）名	ゲノム・データ基盤PJ
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・生活衛生局難病対策課移植医療対策推進室
A M E D 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4年度	令和5年度	令和6年度
	105,879	104,563	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最適化及び開発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技術の開発の基盤となる。

〈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。

この結果、令和6年度末までに、インパクトファクター5以上の論文を25報以上、新たな疾患発症メカニズム解明を1件以上報告する。

【期待されるアウトカム】(※)

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。

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を1件以上開発する。

(※) 医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更）を元に記載。

(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 アンプ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4年度終了）

【概要】 移植腎慢性拒絶と薬剤性腎障害の IL-6 アンプ（過剰 NF κ B 活性化）誘導に関し分析、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 アンプの関与が判明し、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4年度終了）

【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 細胞の回復遅延が後の慢性 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7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】 臨床応用を目指したマージナルドナー及び心停止ドナーからの心臓移植に関する研究

【概要】 国内におけるドナー不足は深刻な問題であり、その解消に資するため、マージナルドナー（高齢者や基礎疾患を有するなど、標準的な条件から適応を拡大したドナー）や心停止ドナーからの心臓移植の課題の抽出を行う。加えて、摘出心灌流保存・評価装置の開発を行う。

【成果の活用】 マージナル・心停止ドナーからの心臓移植の実施のための指針が作成されることで国内の心臓移植数の増加が期待されるとともに、他臓器での心停止後ドナーからの移植にも活用が見込まれる。

〈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えつつある中、治療成績の向上のため、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。

【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が確立し、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 1】 新規臓器移植後管理戦略の開発に資する研究

【概要】 医療技術の進歩や創薬により臓器移植における生存率や臓器生着率の改善がみられている一方で、未だに急性・慢性拒絶反応や薬剤による臓器障害、服薬遵守（服薬コンプライアンス）等の免疫抑制剤に係る課題の解決には至っていない。本研究では、これまでの臓器移植医療とは異なる革新的な戦略に資する開発に寄与する研究を行う。

【成果の活用】 本研究により開発された成果が実用可能となることで、ドナー不足の解消や、臓器移植の成績向上とともに、移植後合併症等にかかる医療費の削減が期待される。

【課題名 2】 臓器移植におけるリレーショナルデータベース基盤の構築とその利用による開発に向けた研究

【概要】 ドナー・レシピエントや移植待機患者に関する臨床情報等の登録データと、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バイオデータを効果的かつ効率的に連携し、臓器移植におけるリレーショナルデータベース基盤の構築を実現するための具体的な設計立案を目指して、令和 6 年度には「臓器移植データベース基盤構築に向けたパイロット研究」を実施しているところであるが、本研究では、この研究の成果を元に、リレーショナルデータベース基盤を構築するとともに、本基盤を用いた創薬等を行う。

【成果の活用】 本研究により開発された悉皆的なデータベースが Real World Data として利用可能となることで、レシピエントの選択に係る基準等の変更に寄与するとともに、臓器移植に係る医薬品開発のコスト低減及びその効率性向上に寄与することが期待される。

〈造血幹細胞移植分野〉

【課題名】 造血幹細胞移植後の移植関連合併症や長期改善のための研究

【概要】 免疫抑制剤や移植方法の確立などの医療技術の進歩により、造血幹細胞移植後の生存率は大幅に改善しているものの、移植片対宿主病等の移植関連合併症や晩期合併症は未だに課題である。本課題では、これらの移植関連合併症の新規バイオマーカー等の確立等を行い、また、これまでの研究報告について多角的な検証を行う。

【成果の活用】 上記移植関連合併症の新規バイオマーカー等の確立のみならず、これまで報告のあるものについても多角的な検証を、国をあげて行うことで、学術的のみな

らず臨床的に有用な造血幹細胞移植後管理ができるようになる。

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 2024】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

・ 第 3 章 3.（全世代型社会保障の構築）。このほか、・・・移植医療対策 187・・・推進を図る。

187 臓器提供数の増加を踏まえた移植のための医療提供体制の構築を含む。

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

AMED の「移植医療技術開発研究事業」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（PJ）名	疾患基礎研究PJ
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・生活衛生局難病対策課
A M E D 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4年度	令和5年度	令和6年度
	64,280	63,480	63,480

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、痛みの客観的な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を開発を行う。
- 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】（※）

（令和2年度～令和6年度）

研究成果の科学誌への論文掲載（IF5以上） 2件以上
研究成果の科学誌（IF5未満等の他の科学誌） 5件以上
関連特許出願 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 1件
上記の事業成果の導出により、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できる社会の実現につなげる。

(※) 医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更）を元に記載。

（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】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（令和3～5年度終了）

【概要】髄液リポドミクス解析によって神経障害生成疼痛を呈する疾患を客観的に弁別できることを論文報告した。

Clin Chim Acta. 2023 Feb 15;541:117249. doi:10.1016/j.cca.2023.117249.

【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開発に繋げる。

【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（平成31年～令和4年度）

【概要】初期段階よりオキサリプラチン誘発性末梢神経障害を確認できるバイオマーカーを発見し特許申請した。

「オキサリプラチン誘発性末梢神経障害 バイオマーカー」（出願番号 2021-179438 出願日：令和3年11月2日）

【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す。

2 令和7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】新規痛み関連分子 Tmem45b に注目した画期的な慢性疼痛治療薬開発に向けた研究

【概要】「侵害受容性疼痛」としての特徴を持つ慢性疼痛に関して、物理的刺激の受容・調節および刺激受容後の神経伝達や細胞内シグナル伝達等の機序解明に向けた基礎的な研究を臨床病態と関連させて実施することにより、慢性疼痛の評価法・診断法や効果的な治療法の確立に向けたエビデンスを創出する。

【成果の活用】研究者が発見した痛み関連因子の特性評価を進め疼痛メカニズムを解明することを通じ、同因子を介する新規治療薬開発に繋げる。

【課題名】miRNA 網羅的解析により得られた神経障害性疼痛バイオマーカーの有用性に関する研究開発

【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、客観的・定量的な評価法の確立及び標準化が求められている。これを踏まえ、慢性疼痛の発症・維持・症状増悪に関わる機序を分析し、評価法の確立に結びつく開発シーズを同定し、同定したシーズの有効性を検証することを目指す。

【成果の活用】神経障害性疼痛の客観的評価法の確立を目指す。

（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】慢性の痛みの発症機序解明を重点的に推進するための学際的、領域横断的な研究

【概要】各領域分野で専門とする知識や技術を駆使し、学際的かつ領域横断的な連携を進めることで新たな視野をもって慢性疼痛の発症機序解明研究を推進することを目指す。医学、薬学、生物学、化学、社会学等、異なった領域分野のメンバーからなる研究体制を構築し、分野融合を図りながら未だ明らかにされていない慢性疼痛機序を解明する。各分野において専門とする知識や技術を持ち寄り、得られたデータを多角的に検証することを通じて、結果の信頼性・妥当性の向上に繋げ、慢性疼痛のメカニズム解明を図る。

【成果の活用】慢性疼痛の病態や機序における新たなエビデンスを発見し、新規診断法や治療法の開発に繋げる。

なお新規課題においては、若手研究者の支援を促す。

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

【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

AMED における「慢性の痛み解明研究事業」では、原因不明の慢性疼痛の病態解明による客観的指標を用いた評価法や、新たな治療法の開発に関する研究等を実施している。得られた成果を「慢性の痛み政策研究事業」に反映、ガイドライン等の作成や痛みセンターでの診療等に活用する。

プロジェクト（PJ）名	疾患基礎研究PJ
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・生活衛生局 感染症対策部感染症対策課 エイズ対策推進室
AMED 担当部・課名	疾患基礎研究事業部疾患基礎研究課
省内関係部局・課室名	なし

当初予算額（千円）	令和4年度	令和5年度	令和6年度
	545,122	538,344	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 2022 年末時点で約 3,900 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 884 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ではなく、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。

【研究のスコープ】

○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)

(※) 医療分野研究開発推進計画(令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更)を元に記載。

(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】中和抗体による HIV 感染症の治癒を目指した研究開発(令和6年度継続中)

【概要】中和抗体を用いた HIV 感染症治療法の開発が進められているが、HIV に対する中和抗体がどのように誘導されるか未だ明らかになっていない。HIV 中和抗体研究において作成した抗イディオタイプ抗体を用いた解析により、中和抗体産生 B 細胞に関する新たな知見を得た。

【成果の活用】本研究成果は、HIV に対する中和抗体の誘導機序解明による HIV 感染症の実態解明が進むだけでなく、HIV ワクチン並びに抗ウイルス薬開発の基盤情報となり、新たな治療薬等の開発にも貢献する成果になると期待される。

【課題名】革新的核酸解析技術による HIV 潜伏感染機序の解明と克服のための研究(令和6年度継続中)

【概要】HIV 感染症根治には潜伏感染細胞を排除することが必要であるが、HIV 感染者の体内から HIV 潜伏感染細胞を取り除くことは困難であり、HIV 潜伏感染メカニズム解明が求められる。そこで、HIV の活性化・潜伏化動態を可視化する技術として、タイムー蛍光タンパク導入組換え HIV (HIV-timer) を開発した。

【成果の活用】HIV-timer を用いることにより、今まで解明されていなかった HIV 潜伏感染メカニズムの詳細な理解が可能となり、治療標的となる新たな分子の特定に繋がる。これにより HIV 感染症の根治療法や診断法の創出が期待される。

【課題名】血友病合併 HIV/HCV 重複感染に起因する肝硬変に対する抗線維化治療薬の開発(令和6年度継続中)

【概要】本研究では、治療薬のない血友病合併 HIV/HCV 重複感染患者における肝硬変に対する抗線維化治療薬の開発を行う。治験対象薬の血友病合併 HIV/HCV 肝硬変患者に対する安全性を検討する Phase I 試験が終了し、有効性を確認する Phase II 試験へと進んだ。

【成果の活用】本剤により、非代償性肝硬変への進行を抑制でき、肝がんの発症を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、本剤により予後の改善が期待される。有効な治療薬がない血友病合併 HIV/HCV 肝硬変患者にとって本剤が新たな治療の選択肢の一つとして加わる可能性がある。

2 令和7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

【研究領域】HIV 感染症根治に向けた新規ワクチン・治療法等の開発に関する研究

【概要】HIV 感染症は未だ根治に至っていない。これは HIV 感染症が宿主・ウイルス間の複雑な相互連関から成立しているためであり、細胞レベルの研究では現在開発が進

んでいる新規ワクチン・治療法等の評価が不十分である。そこで宿主・ウイルス連関をトータルに評価できる動物モデルによる評価が必須となるが一部の実験動物では価格が高騰しているため、その実施が困難となっている。これらの治療法の確立には有効性、安全性の確認においては十分なデータを得る必要があり、動物を用いた候補物質の作用、もしくは効果の機序等に関する試験を推進する必要がある。本研究領域では、細胞レベルに留まらず、動物モデルを用いて新規ワクチン・治療法等の非臨床 POC 取得を目指す研究等を強力に推進し、HIV 感染症の新規治療法の創出を目的とする。

【成果の活用】長期の事業計画で予定されていた動物による新規医薬品候補の評価が、最近の動物実験費用の高騰により滞っている。増額により本来予定された成果の獲得に貢献する。

【研究領域】新たなアプローチによる医薬品シーズの探索に関する研究

【概要】これまでの HIV に対する増殖阻害剤の研究により、HIV 感染症は制御が可能な疾患となったが、根治には至っていない。30 年以上にわたる抗 HIV 薬開発の中で、免疫学的手法を含め様々なモダリティの薬剤開発が進められてきたがなお新薬の開発が続いている。これは既存のモダリティの枠内では HIV 感染症や合併症の解決が難しいことを示している。そこで新たな治療戦略や治療標的に関する研究に着目し、これらを強力に推進する。

【成果の活用】現在の ART に代わる新たな HIV 感染症の治療法及び根治療法の開発や現在の化学療法に組み合わせて使用可能な医薬品開発が加速され、合併症等の問題に苦しむ患者の治療法の選択肢が広がり、QOL の向上につながる。

(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】HIV 潜伏感染機構に基づいた潜伏感染細胞排除のための研究

【概要】抗 HIV 薬の進歩により、HIV 感染症は制御可能な慢性感染症になっているが、生涯にわたり薬剤の服用が必要であり、薬剤耐性の出現や合併症などの問題も依然として残っており、HIV 感染の治癒に至る具体的な方策は未だに見えていないのが現状である。この状況を打破するため、慢性潜伏感染細胞の誕生と長期間の維持に関する仕組みについて解明する研究を推進する必要がある。本研究では分子レベルでの HIV 発現制御機構の解明に向けて、従来の研究を上回る HIV 潜伏感染に関する新しい知見を創出し、潜伏感染の克服に向けた新たな治療法を見出すことを目的とする。

【成果の活用】HIV 潜伏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 治療法の確立につながる。

【課題名】長期間の ART における問題点を克服するための研究

【概要】現在の抗 HIV 化学療法 (ART) では、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になったが、生涯にわたり薬剤の服用を余儀なくされ、長期間の服薬継続による慢性的な副作用やその他の原因による、種々の合併症や老化の促進が見られるなど、新たな問題点が生じている。一方で、現在の ART に代わる HIV 感染症の治療法は実用化されておらず、当面は現在の ART を続けて行く必要がある。そこで、本研究においては、現在の ART 継続における種々の問題点の原因を明らかにするとともに、それらの解決策を見出すことを目的とする。

【成果の活用】本研究で得られた知見により、新しい治療法、治療薬が実用化すれば、

患者の QOL の改善と医療経済上の負担軽減につながる。

【研究領域】【若手育成枠】 HIV 感染症における新たな発想に基づく知見の創出

【概要】 HIV 感染症の克服を目指して、多角的な側面から多くの研究が進められているが、未だに根本的な解決方法は確立されていない。そこで本研究では、若手研究者による柔軟な発想に基づく独創性、新規性、発展性に富む HIV 感染症に関する基盤研究の推進を目的とする。加えて、ウイルス学や免疫学などの HIV 感染に直接関連した分野だけでなく、異分野の若手研究者による新たな HIV/AIDS 研究領域の開拓も目的とする。

【成果の活用】 感染機構、根治療法に関する新たな知見が得られることにより、新たな抗 HIV 療法の創出につながる。併せて若手研究者の活躍及び異分野からの参入を推進し、人的基盤の整備及び異分野間の連携の拡大につながる。

【課題名】 HIV 流行株の遺伝子変異動向調査に基づく HIV 感染対策に関する研究

【概要】 HIV 感染症の対策の 1 つとして、ART 実施下において国内で流行している HIV の薬剤耐性変異に関するデータの収集と解析を継続的に行い、それらを集積して行くことが重要である。本研究では国内における薬剤耐性変異の動向に加え、流行している HIV の伝播クラスター解析や、感染者の臨床指標に関する有用なデータの蓄積を目的とする。

【成果の活用】 本研究で得られた情報は感染対策に有用であるだけでなく、治療戦略、感染対策の変化などがどのように我が国の HIV 流行に影響を及ぼすか見極めるための重要な指針となり、治療法開発や HIV 流行抑制に貢献する。

【課題名】 HIV 感染者における合併症の診断・治療法に関する研究

【概要】 HIV 感染症に合併する日和見感染症の中でも、カポジ肉腫やリンパ腫などの悪性腫瘍の原因となるヘルペスウイルスや C 型肝炎ウイルス感染などが依然として大きな問題となっている。これら合併症の克服を目指すためには、これらの実態把握に加えて、病態解明と治療法開発が重要である。特に HIV に重複感染した C 型慢性肝炎例は HCV 単独感染例に比べ線維化の進行が速いため、有効な治療薬開発が希求されている。本研究では、これらの病態解明を含め、特に有効な治療法の開発を目的とする。

【成果の活用】 新たな治療法として治療の選択肢が広がり、患者の QOL を著しく損なう合併症の軽減につながる。特に HIV/HCV 重複感染における肝硬変に対し、肝臓の線維化の改善が実現すれば、予後の延長が期待できる。

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

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。

【IV-6 - (10)】

博士課程学生・若手研究者等への支援
若手研究者の研究環境を改善する。

【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）

【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。

【統合イノベーション戦略2024】（令和6年6月4日閣議決定）

【3-（1）-①-（重要分野の戦略的な推進）-（健康・医療）】

健康・医療研究の成果を中長期的に創出し続けるためには、基礎研究の再興が必須である。若手研究者が研究に専念できる環境を整備するとともに、研究支援人材の確保や若手研究者向けの競争的研究費の充実等に取り組む。

【別添-4-（戦略的に取り組むべき応用分野）-（6）健康・医療】

＜AMEDによる研究開発の推進＞

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。

【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

医療分野の研究開発への応用を目指し、脳機能、免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。

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。

【4-1-（1）-○疾患領域に関連した研究開発-（感染症）】

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

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（PJ）名	医薬品PJ、ゲノム・データ基盤PJ、疾患基礎研究PJ
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・生活衛生局がん・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4年度	令和5年度	令和6年度
	3,552,951	3,508,779	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法がないこと、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、肝線維化の機序を解明し治療に結びつける研究や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

(※) 医療分野研究開発推進計画（令和 2 年 3 月 27 日決定、令和 3 年 4 月 6 日一部変更）を元に記載。

(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 臨床研究・治験に移行した研究開発（令和 3～4 年度） 0 件
- ② 承認申請・承認等に至った研究開発（令和 3～4 年度） 0 件
- ③ 特許申請・登録等に至った研究開発 31 件
* 期間平成 31 年 4 月～令和 2 年 12 月
- ④ 基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施（令和 3～4 年度） 5 件

【課題名】 B型肝炎患者のドラッグフリーを目指した免疫治療法の開発（令和 5 年度終了）

【概要】 HBs 抗原の減少・消失を目的に、B型肝炎に対する国内未承認ワクチン NASVAC（HBs-S 抗原及び HBc 抗原のワクチン）及び遺伝子型 C、D のタンパク質を提示するハイブリッド型抗原である HBs-Lh 抗原を用いたワクチン開発が進められている。NASVAC に増粘剤（CVP：carboxyl vinyl polymer）を混和し CVP-NASVAC とすると治療効果が向上することが示されている。また、HBs-Lh 抗原は CVP-NASVAC で使用している HBs-S 抗原と比較して HBs 抗体の誘導能が高いこと、HBs-Lh 抗原で免疫されたマウスの血清は全ての遺伝子型の HBV を中和することを証明した。

【成果の活用】 これまでの検討で、HBs-Lh 抗原はより治療効果の高い治療ワクチン抗原となりうることから、同抗原+HBc 抗原+CVP による新しい経鼻治療ワクチン抗原を開発する。HBs-Lh 抗原に対し HBc 抗原は非 GMP 製造段階であるため、今後、GMP 製造用の製造技術を開発し、GMP グレードの HBc 抗原を作成し、臨床試験へ展開していく。

【課題名】 NS2 を標的とする新規 C型肝炎ウイルス阻害剤の開発（令和 5 年度終了）

【概要】 C型肝炎は直接作用型抗ウイルス薬（DAA）が登場して飲み薬で治せる時代になったが、最新の DAA においても治療不成功例また難治症例は存在する。これまでの DAA、

またインターフェロンとは異なる作用機序を持つ治療薬が実用化されれば治療法の選択肢が増え安定した医療の提供につながる。C型肝炎ウイルス（HCV）の非構造タンパク質 NS2 が宿主因子シグナルペプチダーゼ複合サブユニット 1（SPCS1）との結合を介してエンベロープ E2 と会合することが粒子のエンベロープ化に重要であることに基づき、NS2-SPCS1 のタンパク質間相互作用を阻害する化合物の中から新規スクリーニング法を抗 HCV 化合物 E667 を同定した。E667 をリード化合物として抗 HCV 活性が 20 倍高い化合物を合成した。

【成果の活用】現行治療における不成功例、難治例に対する治療効果が期待される。新規作用機序の C 型肝炎治療薬は肝がん、重度肝硬変の発症低下、医療費負担の軽減につながる。

【課題名】NASH 肝がんの治療開発を目指す炎症加齢を加味したリポド・ゲノミクス研究 2.0（令和 5 年度終了）

【概要】近年、脂肪性肝疾患、糖尿病患者からの肝がんは増加しており、大きな健康問題となっている。MASLD/MASH 肝がん（≒ NASH/NAFLD 肝がん）の病態を、脂肪肝における脂肪毒性を起点とした進行性肝疾患と規定し、診断・治療方法の開発を目標とした。その結果、病態進展に栄養代謝異常、遺伝要因、肝臓微小環境、腸内細菌等が関与することと新規診断・治療標的を同定し、MASH 肝がん特異的エピゲノムマーカー診断機器の企業連携を進めた。

【成果の活用】MASH 肝がんに対して新たな診断方法が確立し、医療現場への導出が可能になることで、効率的なリスク評価に基づく診療体系の構築が期待できる。治療標的候補に対するアプローチ法が確立されれば、肝硬変、肝がんへの移行者が減少することで、将来的には医療費の節減効果に繋がる。

政策等への活用又は実用化に向けた取り組み

「NASH 肝がんの治療開発を目指す炎症加齢を加味したリポド・ゲノミクス研究 2.0」（令和 3 年度～令和 5 年度）では、MASH 肝がん特異的エピゲノムマーカー診断機器の企業連携を進めるとともに、MASH からの肝発がんリスク診断基準について、知財の日本・米国・EU への移行手続きを行った。共同開発企業に加え、DNA メチル化診断キット等の商品化を予定する企業とも今後の方針について合意に至った。

2 令和 7 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

継続課題なし

（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】C型肝炎ウイルス排除後の長期経過と Post-SVR hepatopathy の病態解明

【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）が保険承認され、ほぼすべての C 型肝炎患者でウイルス排除（SVR）が可能な時代になった。一方、C型肝炎のウイルス排除により“感染症”としては治癒するも、“肝疾患”が進展し肝疾患イベントが発症する症例がある。インターフェロン治療に比して

DAA 治療で SVR が得られた患者では、高齢で肝線維化が進展しており、SVR 後の発癌率が著しく高く、ウイルス排除後「Post-SVR hepatopathy」の長期にわたる全身病態を解明し、対応策を立案することが喫緊の課題となっている。そこで、日本における DAA 治療 SVR 後の肝病態進展、他臓器癌および生命予後といったアウトカムの全貌、それらのアウトカムを評価するための代替指標の有用性および予測する因子について明らかにする。また、アウトカムの発生を予測する因子に関しては、ベースライン、ウイルス排除時およびウイルス排除後において汎用される臨床検査データと共に、新規のバイオマーカーを特に血中エクソソーム、糖鎖修飾に焦点をあてて基礎的かつ臨床的に解析する。

【成果の活用】非代償性肝硬変症に対する DAA 治療の治療効果・予後等について検討することにより、治療における医療費助成の適正化や、肝硬変患者の治療後の予後についての基盤となるデータを得ることができ、今後の患者動向予測や、肝炎対策の方向性について検討するための資料となる。

●代謝関連脂肪肝疾患に関する研究

【課題名】NAFLD/NASH および非ウイルス性肝がんの病態解明と治療法開発

【概要】近年 NASH など背景にした非ウイルス性肝がんが急増しているが、その発症機序は未だ不明な点が多い。先行研究において、NASH 肝がんの新規ドライバー遺伝子候補を多数同定し、候補分子の KO マウスを複数作成している。また、300 例を超える非ウイルス性肝がん検体を収集し、また予後や腫瘍内の免疫動態に基づいたがんの層別化並びに ICI 奏効例予測因子を同定している。これらの独自に開発した動物モデル並びに大規模臨床試料を用いて、オミクス解析により、NAFLD/NASH 並びに非ウイルス性肝がんの病態解明、バイオマーカー開発、治療標的探索を行う。

【成果の活用】NASH/非ウイルス性肝がんのがん免疫微小環境が明らかになることが期待され、臨床情報との統合解析により、発がん・進展に関わる新たな治療標的の発見にもつながる。免疫チェックポイント阻害剤が奏効する脂肪蓄積肝細胞癌の非侵襲的同定法の開発が期待できる。

●経口感染するウイルス性肝炎に関する研究

【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

【概要】経口感染によるウイルス性肝炎（A 型及び E 型）について、ウイルス学的検討や大規模かつ網羅的な臨床データを基盤として、感染防止、病態解明、遺伝的多様性に関する研究を実施し、グローバルな対策の推進にも寄与する新しい予防・診断・治療法の開発を目指す。人獣共通感染症側面もあり自然宿主であるブタ用ワクチンの開発も継続して進める。

【成果の活用】本邦における HEV の感染源であるブタから HEV 感染を排除することで公衆衛生上の施策としての貢献が可能であると共に、高リスク集団を対象とするヒト用ワクチンとしての応用も期待される。

（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

（い）B 型肝炎創薬実用化等研究事業

【課題名】B 型肝炎ウイルスの新規創薬シーズの探索に関する研究

【概要】B 型肝炎については、ウイルスを完全に排除する治療法がなく、新規治療薬の

開発が求められている。新規メカニズムに基づく抗ウイルス効果を示す化合物や薬剤耐性ウイルスに有効な化合物等の探索、B型肝炎の新規治療薬の候補となり得る新規化合物の探索、既存薬剤やその周辺化合物または新規骨格の探索による新薬開発を行う。

【成果の活用】新たなシーズの同定及び化合物の構造解析、治療薬の候補となる化合物の作用機序のさらなる解明を行い、実用化に向けたB型肝炎治療法の開発を支援する。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。

【課題名】B型肝炎ウイルス持続感染実験モデルを用いた病態解明及び新しい治療法の開発に資する研究

【概要】B型肝炎ウイルスの感染培養系や感染動物モデルはより効率的かつ再現性に優れた系が必要とされている。また、ウイルスのレセプターによる感染機構の一部が明らかとなり、創薬の候補となる化合物も見出されているが、感染・複製機構は未だ十分には解明されていないため、基盤研究の推進と、感染サイクルや免疫応答等に基づいた先進的な治療薬の開発を行う。B型肝炎ウイルスの感染メカニズムや病状の進展機構等の解明を行うことにより、新規治療薬の開発を目指す。

【成果の活用】B型肝炎ウイルスが感染し肝炎の発症が観察できる実験動物モデルの確立し、B型肝炎ウイルス感染時の宿主因子に係る新たな知見の創出、B型肝炎治療薬の新規ターゲットの同定が期待される。

(ii) 肝炎等克服緊急対策研究事業

【課題名】肝炎ウイルスの感染サイクルと病原性発現機構解明に関する研究

【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が課題である。また、B型肝炎については、がん治療の際や肝移植後等の再活性化が問題となっている。肝炎ウイルス培養系を用いた感染複製増殖過程の解明、病原性発現機構や薬剤感受性の解析、新規感染動物モデルの開発等を基盤的研究を通じて、革新的な医療技術の創出に資する知見の創出、新規治療法の開発を目指す。

【成果の活用】いまだにウイルスを排除できる根治薬がないB型肝炎の研究開発の継続や、C型肝炎ウイルス排除後の発がん等への対応をはかるため、ゲノミクスを踏まえたマルチオミックス、再生医療、免疫学系等の分野における新しい技術を病態毎の肝疾患研究へ活用する。病態解明による抗ウイルス薬候補の開発、非臨床的POCを確保し他の統合プロジェクトや企業等への導出をはかる。また、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】革新的技術を用いた抗線維化療法の開発に関する研究

【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く、特に、非代償性肝硬変の多くの症例で対症療法が主体となっており、根本治療は肝移植しか無いが、肝移植はドナー不足や患者負担などの問題がある。そこで、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技術を利用し、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】肝硬変の治療に係る医薬品の開発等に係る研究を促進し、肝硬変、肝不全に対する革新的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】 肝発がんの病態変化の解明と肝発がん予防に関する研究

【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で、Sustained Virological Response (SVR) 後の肝発がんの原因の解明が喫緊の課題となっている。また、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比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。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、再発に至る過程を再現できるモデル系の構築や新規動物実験モデルを用いた病態解明手法の開発、肝発がん・再発の予防/予知に資する新たな知見の創出や肝早期診断に資する検査法の開発が期待できる。

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 2024】（令和 6 年 6 月 4 日閣議決定）との関係

3. 着実に推進する 3 つの基軸

(1) 先端科学技術の戦略的な推進

① 重要分野の戦略的な推進

(健康・医療)

- ・ 我が国の創薬力の復権を目指し、(中略) F I H 試験（ヒト初回投与試験）を実施できる国際競争力のある体制、治験薬製造施設などの整備を進め、シーズを速やかに実用化する国際水準の研究開発環境の実現に取り組む。
- ・ 健康・医療研究の成果を中長期的に創出し続けるためには、基礎研究の再興が必須である。若手研究者が研究に専念できる環境を整備するとともに、研究支援人材の確保や若手研究者向けの競争的研究費の充実等に取り組む。
- ・ (前略) 感染症の科学的知見の創出や危機対応医薬品等の研究開発・実用化を実行できる環境を確立する (後略)。

●「健康・医療戦略」（令和 2 年 3 月 27 日閣議決定）との関係

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）との関係について】

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（PJ）名	疾患基礎研究PJ
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4年度	令和5年度	令和6年度
	153,297	151,391	151,391

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 Scope】

○ 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 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】(※)

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 2 件以上

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 10 件以上

特許申請・登録等に至った研究開発 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 1 件以上

高齢者の介護予防等に資するマニュアル開発 3 件以上

(※) 医療分野研究開発推進計画 (令和 2 年 3 月 27 日決定、令和 3 年 4 月 6 日一部変更) を元に記載。

(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 4 年度終了)

【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 4 年度終了)

【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4年度終了）

【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、再入院率が低下することを示した。

【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7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】 要介護高齢者のケアを最適化する因子を解明する研究開発

【概要】 幅広い介護度の高齢者を対象に、科学的介護情報システム（LIFE）の項目／行動分析センサーから得られた動画像／血液バイオマーカーを分析し、介護度の悪化や改善に関連する因子を解明する。

【成果の活用】 本研究で構築した要介護高齢者を対象とする前向きコホート研究からエビデンスに基づく意義付けを行うことで、科学的介護の推進をはかる。また、要介護状態の改善効果があるプログラムや医療機器等の開発推進に繋がる。

【課題名】 サルコペニア患者における栄養療法確立のための基盤構築研究

【概要】 サルコペニア改善において重要なエネルギー・たんぱく質の必要量、およびサルコペニア改善に資する栄養因子を解明し、栄養介入を実施することで、サルコペニア患者におけるテーラーメイドの栄養学的レジメンの確立を行う。

【成果の活用】 栄養学的介入レジメンを作成し、基礎データを得ることを目指す。

（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】 臨床応用を見据えたサルコペニアに関するバイオマーカー開発研究

【概要】 高齢期におけるサルコペニアの病態を反映するバイオマーカーの開発が進む中、理論的な裏付けがなされたバイオマーカーの臨床応用が求められる。本研究課題では、そのメカニズム解明による科学的根拠の裏付けを行う基礎研究に加えて、臨床応用に向けて臨床サンプルを用いたバイオマーカーの性能検証を行う。

【成果の活用】 臨床現場におけるサルコペニアのスクリーニングや介入指標としての活用が期待される。

【課題名】 災害時リハビリテーション支援のための生活機能トリアージシステムの開発とネットワーク構築

【概要】 災害時には福祉避難所の適応やベッドの導入など、避難者の健康と QOL を維持するためには、生活機能のトリアージが必要となる。本事業ではスマートフォンを用いてトリアージができるアプリを開発し、平時より避難所の生活機能をトリアージで

きるネットワークを構築する。

【成果の活用】システムを開発することにより、災害時において、生活機能の低下において支援や介入が必要な避難者を同定や、速やかな介入への活用が期待される。

【課題名】高齢者の treatable な意欲低下の診断フローの開発及び指針作成

【概要】高齢者の意欲低下は、本人の QOL を低下させるほか、リハビリテーションやケアの阻害の原因となる。意欲低下の原因はアパシーや抑うつ、内分泌疾患、薬剤の影響、社会的要因など多岐にわたる一方で、加齢が原因であるとして、治療等によって改善が図れる状態に対しても、十分な対応がされていないことがある。本研究においては、高齢者の意欲低下の原因、その診断方法、治療及びケア方法について整理を行い、指針の作成を目指す。

【成果の活用】指針の作成により、生活期の医療・介護領域における診療、ケアへの活用が期待される。

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）

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。具体的には、団塊の世代が全員 75 歳以上になる 2025 年までに地域包括ケアシステムを完成させることを目指し、医療・介護等における取組を進める。

介護サービス事業者の介護ロボット・ICT 機器の開発や導入を推進し、生産年齢人口が減少する中でも、介護現場の生産性向上や職場環境の改善を図る。介護離職の防止の観点から、高齢者それぞれのニーズに沿ったサービスを柔軟に組み合わせられるようにし、高齢者側の生活改善と介護者側の負担軽減の両立を図る必要がある。介護と仕事の両立の観点も含め、介護保険サービスの提供を阻害することのないように留意しつつ、介護保険外サービスの活用拡大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）

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。

【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）（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。

（公的保険サービスと公的保険外サービスの連携）

- ・ 新たな技術やサービスによる予防等への取組が、医療や介護の専門家による評価を経て適切に発展するよう、公的保険サービスと公的保険外サービスの双方が、その担い手及び提供者において連携する環境を早期に構築する。
(データヘルス改革の推進)
- ・ レセプト情報・特定健診等情報データベース（NDB）や介護保険総合データベース（介護 DB）の連結解析を 2020 年度から本格稼働し、行政、保険者、研究者、民間事業者など幅広い主体の利活用を可能とする。2019 年度以降、関係する他の公的データベースとの連結の必要性についても検討し、法的・技術的・倫理的課題が解決できたものから順次連結解析を実現する。

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

当事業は高齢化という社会問題に則して、主に高齢者の在宅医療・介護の分野において直面する課題に対し、老年医学的観点から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、本事業では高齢者の生活やケア提供者に即時活用可能な成果を創出し、社会実装を促すことを目指す。そして、AMED で開発された技術等の成果を各種ガイドラインに反映させるなどにより政策へも還元するとともに、政策研究で得られたニーズを開発シーズとし、開発研究により解決へと導く循環型の関係となっている。

プロジェクト（PJ）名	ゲノム・データ基盤PJ
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
A M E D 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	

	令和4年度	令和5年度	令和6年度
当初予算額（千円）	113,932	112,515	107,515

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予防・診断・治療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（IF 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

(※) 医療分野研究開発推進計画（令和 2 年 3 月 27 日決定、令和 3 年 4 月 6 日一部変更）を元に記載。

(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】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 4～6 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した。

【成果の活用】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】全身倦怠感のある Long COVID 患者に対する補中益気湯の有効性検証のランダム化研究のプロトコール作成（令和 5 年度）

【概要】Long COVID の全身倦怠感に対する有効性を証明した介入は未だ開発されていない。本研究では、補中益気湯の有効性を検証するエビデンスレベルの高い臨床研究プロトコールを作成するとともに、臨床研究における患者来院負担を軽減するため分散化臨床試験(DCT)体制の整備と、Long COVID の全身倦怠感を妥当性・信頼性をもって評価する指標 Fatigue Assessment Scale (FAS) の開発を行った。

【成果の活用】完成したプロトコールを活用した臨床研究を令和 6 年度から実施し、補中益気湯の有効性を検証する。当該臨床試験以外においても、整備した DCT 体制及び FAS を使用することができ、統合医療の新たな科学的知見の創出及び安全性・有効性等の科学的根拠の収集を促進する。

【課題名】経皮的耳介迷走神経刺激の簡便で客観的な評価手法の開発（令和 4 年度）

【概要】耳つぼの中でも特に迷走神経支配領域に焦点を当てた手法である経皮的耳介迷走神経刺激(taVNS)について、海外でも萌芽的な段階にあるが臨床応用が着実に進みつつある中で、簡便で客観的な評価法が無く臨床研究が進みにくいという統合医療に共通の課題があった。本研究では、taVNS の評価法として心拍変動及び MRI 撮像によ

る安静時脳機能結合の測定が有用であることを明らかにした。

【成果の活用】 taVNS において初めて簡便で客観的な評価法を開発し、特定臨床研究のプロトコール作成に至った。臨床的には心身症、パーキンソン病等さまざまな疾患への応用が考えられる。

2 令和7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】 胃の炎症を緩和する六君子湯の免疫学的作用メカニズムの解明

【概要】 六君子湯の作用に関して更なる科学的根拠を裏打ちするため、予備的知見により得られた結果に基づいて六君子湯の免疫学的役割と作用機序について細菌叢および代謝物解析と共に明らかにする。本研究では long COVID として見られる症状の一つ、胃食道逆流性食道炎の治療に用いられる六君子湯の科学的根拠を免疫学的観点から明らかにする事で、最終的に胃炎症を呈する患者の適切な選択に加え、より効率的かつ的確な処方ができるようになり「オーダーメイド様治療」を模した処方が可能にな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

【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ール作成研究

【概要】 統合医療(東洋医学)分野では、臨床研究の経験不足・人材不足等から研究者の相互育成・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、及びポリファーマシーに対する漢方薬の影響など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、プロトコール作成研究を優先的に推進し、研究デザイン構築の専門家が伴走して、プロトコー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。

【成果の活用】 本研究で得られたプロトコールを用いた臨床研究の推進が期待される。また、プロトコール作成支援を通じて当該分野の研究者へ臨床研究の知識と経験を醸成する。

【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基礎的研究

【概要】 統合医療(東洋医学)分野では、研究者の人材不足等から基礎研究による科学的知見の創出が難しいことなどが課題となっている。本研究では、より質の高い基礎的知見の充実に向けて、基礎的研究を推進し、新たなテーマの科学的根拠の収集と知見の創出を行う。また、この領域では若手研究者の育成も重視し、「若手育成枠」も設ける。

【成果の活用】 本研究で得られた基礎的研究の成果により、その実用化に向けた臨床研究の推進が期待される。また、人材開発により相互育成・醸成を促し、領域としてより質の高い基礎的研究を開発する。

【課題名】 他領域・各診療科での漢方等の活用による安全性・有効性等の評価や知見の集積に関する研究

【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。

【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、統合医療を取り巻く社会的基盤の充実が重要であり、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 を向上させる統合医療チームを構築し、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

【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。」

【経済財政運営と改革の基本方針 2024】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

- ・ 「新型コロナウイルス感染症のり患後症状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 2024】（令和 6 年 6 月 4 日閣議決定）

- ・ 「日本が世界に先駆けて少子・超高齢社会を迎える中、高齢者を始めあらゆる年代が健康な社会（幸齢社会）を実現していくため、ライフコースに着目した研究開発を総合的に推進する。」

【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）

- ・ 「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

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。

本事業では「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（PJ）名	ゲノム・データ基盤PJ
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4年度	令和5年度	令和6年度
	598,983	591,537	610,217

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（Doctor to Doctor：医師－医師間の遠隔医療）やD to P（Doctor to Patient：医師－患者間の遠隔医療）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、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

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 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。
- ・D to P について、臨床研究の成果を活用した、エビデンスに基づくオンライン診療の標準的な活用方法について、既存の診療ガイドラインに収載する。

【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 6 年度継続中）

【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 6 年度継続中）

【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・致命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 D to D システムの開発と実用化（令和6年度継続中）

【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7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

○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開発に係る研究課題（6課題）

【概要】いずれの研究課題も、医療機器の薬事承認取得を目標として、令和3～7年度の5か年研究として実施しており、令和7年度が最終年度である。

【成果の活用】医薬品医療機器総合機構への相談費用や、臨床研究（治験を含む。）の実施に向けたフォローを行い、薬事承認取得による医療現場導入を目指す。

【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

【概要】オンライン診療に係るエビデンスの蓄積に向けた研究を行うべく、令和6年度に公募及び研究開始し、初年度は調査研究を実施するが、令和7年度より実証のための臨床研究に取り組む必要がある。

【成果の活用】臨床研究の成果を活用した、エビデンスに基づくオンライン診療の標準的な活用方法について、既存の診療ガイドラインへ収載し、オンライン診療が情報通信機器と共に適正かつ幅広く普及することを目指す。

（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

継続研究課題に重点的に取り組む必要が高いため、新規研究課題は予定していない。

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 2024（令和6年6月21日閣議決定）】

V. 投資の推進

3. AI

（1）AIのイノベーションとAIによるイノベーションの加速

AIの研究開発力の強化とAIの利活用を一体的に官民が連携して進めていくとともに、計算資源等のインフラの高度化や人材の育成・確保に取り組む。AIの進化のためにはデータが不可欠であり、AI関連の政策をデータ戦略と連携して実施する。

②AI利活用の推進

「ChatGPT等の生成AIの業務利用に関する申合せ（第2版）」を更に前進させ、他機関のモデルともなるよう、政府によるAIの適切な調達・利用、得られた知見の共有を進める。また、各産業分野におけるAIの利活用を促進する。ユーザーや開発者が委縮することなくAI利活用・開発を進められるように、個人情報保護法、著作権法、各種業法など留意すべき制度の運用を明確化する。

【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）】

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 2024（令和6年6月21日閣議決定）】

第2章 社会課題への対応を通じた持続的な経済成長の実現

3. 投資の拡大及び革新技术の社会実装による社会課題への対応

（1）DX

（AI・半導体）

産業競争力の強化及び経済安全保障の観点から、AI・半導体分野での国内投資を継続的に拡大していく必要がある。このため、これらの分野に、必要な財源を確保しながら、複数年度にわたり、大規模かつ計画的に量産投資や研究開発支援等の重点的投資支援を行うこととする。その際、次世代半導体の量産等に向けた必要な法制上の措置を検討するとともに、必要な出融資の活用拡大等、支援手法の多様化の検討を進める。

第3章 中長期的に持続可能な経済社会の実現

3. 主要分野ごとの基本方針と重要課題

（1）全世代型社会保障の構築

（医療・介護サービスの提供体制等）

高齢者人口の更なる増加と人口減少に対応するため、限りある資源を有効に活用しながら、質の高い効率的な医療・介護サービスの提供体制を確保するとともに、医療・介護DXの政府を挙げての強力な推進、ロボット・デジタル技術やICT・オンライン診療の活用、タスクシフト／シェア、医療の機能分化と連携など地域の実情に応じ、多様な政策を連携させる必要がある。

【統合イノベーション戦略 2024（令和6年6月4日閣議決定）】

第1章

3. 着実に推進する3つの基軸

（1）先端科学技術の戦略的な推進

① 重要分野の戦略的な推進

（健康・医療）

高齢者を始めあらゆる年代が健康な社会（幸齢社会）を実現するため、ライフコースに着目した研究開発を総合的に推進する。具体的には、認知症等の脳神経疾患の早期予防・治療に向けた研究、次世代iPS細胞等による革新的な融合研究やiPS創薬研究、バイオバンク間の連携による個別化医療・予防医療の実現、オルガノイド等を駆使した研究開発等を推進し、ライフコースのメカニズム解明を進めるとともに、「がん研究10か年戦略（第5次）」に基づく社会実装を意識したがん研究の推進、健康・医療・介護に関する情報やライフログデータ等のPHRを有機的に連結できる環境の整備やオンライン診療・遠隔医療等の普及を推進する。

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。

【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

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（PJ）名	ゲノム・データ基盤PJ
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4年度	令和5年度	令和6年度
	48,663	48,663	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

（※）医療分野研究開発推進計画（令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更）を元に記載。

（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】腹腔鏡手術における手術鉗子動態の教育利用・鉗子位置情報を用いた手術支援に関する基礎研究（令和6年度継続中）

【概要】統合的腹腔鏡手術修練プログラムの構築を目指している。ブタ臓器を用いたウェットラボにおいて、トレーニング中の鉗子動態データを用いることで、熟練者の鉗子動態の特徴を言語化・見える化した。また鉗子動態データと機械学習を用いて、左右の鉗子の協調性、遠近感の把握能、組織把持、自動性、効率性や、技術的到達度を自動算出し、学習者が定量的・定性的な評価を、オンサイトで得られる腹腔鏡トレーニングモデルを確立し、教育効果を検証した。

【成果の活用】腹腔鏡トレーニングモデルは定量的フィードバックの教育効果に関して医学生を対象とした検証も行うことで有効性を確立し、関連学会と連携して外科医への教育利用を検討中である。鉗子動態データに関しても、仮想空間上の高い精度でリアルタイムの鉗子先端位置情報を提示する手術支援システムへの発展を目指す。

【課題名】無意識下の運動制御を基にした手術技術の均等化・標準化に関する研究開発（令和3～5年度）

【概要】マイクロサージェリーの手術手技におけるコツの「可視化」をはかり、データベース化することで今後の人材育成を容易にする。

そのために、熟練者・初心者それぞれにそれぞれトレーニング用の血管を縫合させ、その際の視線・姿勢などの各種データを収集するとともに顕微鏡画像・手術手技映像を収集した。解析を進めた結果、熟練者と初心者には実際に運動を行う側とは反対側の動きと視線に大きな違いがあることが判明した。また、関節鏡画像も同様に熟練者・初心者による各種データを収集し、AIによる自動解析が進められる目処が立った。

【成果の活用】手技の解析を通じ「訓練」としてふさわしい項目をデータベース化し、人材育成に役立てる。また、安全な手術施行を目指し、「ふさわしくない」手術手技に対しては警告が発せられるようなシステム開発につなげる。具体的には日本手外科学会・日本マイクロサージェリー学会と連携し、専門医の技術評価としての利用を検討している。

2 令和7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】外科医の減少、偏在が進む中で、外科医の手術技能の水準を維持・向上させるために、より優れた外科的手技を有形・保存化し、次世代への伝承や新たな医療技術の開発へ応用する。さらに、各診療科にまたがる横断的な外科領域の研究を推進し、サステナブルな外科教育に資するシステムの構築を目指す。

【成果の活用】高い専門性が求められる外科診療において、外科教育システムへの応用や新たな医療機器等の開発に資するアルゴリズムの作成が期待される。また、それらの成果物が、外科認定医試験や手術指導ガイドラインへの反映等の学会連携による社会実装やAMED「医療機器・ヘルスケアプロジェクト」の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

継続研究課題の拡充に重点を置くため、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 2024 年改訂版】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

Ⅲ. 三位一体の労働市場改革の早期実行

（2）労働移動の円滑化

④ 情報インフラ整備とデジタルスキル情報の蓄積・可視化

さらに、個人のデジタルスキル情報の蓄積・可視化を通じてデジタル技術についての継続的な学びを実現するとともに、スキル情報を広く労働市場で活用するための仕組みを検討する。

【経済財政運営と改革の基本方針 2024】（令和 6 年 6 月 21 日閣議決定）

第 2 章 社会課題への対応を通じた持続的な経済成長の実現

3. 投資の拡大及び革新技术の社会実装による社会課題への対応

（1）DX

（A I ・半導体）

A I に関する競争力強化と安全性確保を一体的に推進するため、「統合イノベーション戦略 2024」に基づき、官民連携の下、データ整備を含む研究開発力の強化や利活用の促進、計算資源の大規模化・複雑化に対応したインフラの高度化、個人のスキル情報の蓄積・可視化を通じた人材の育成・確保を進めるとともに、A I 事業者ガイドラインに基づく事業者の自発的な取組を基本としつつ、ガードレールとなる制度の在り方や安全性の検討、偽・誤情報の対策、知的財産権等への対応を進める。

【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） 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。

PJ1：医薬品プロジェクト

- ・創薬基盤推進研究事業
- ・臨床研究・治験推進研究事業
- ・医薬品等規制調和・評価研究事業
- ・創薬支援推進事業
- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・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
- ・難治性疾患実用化研究事業
- ・腎疾患実用化研究事業
- ・免疫アレルギー疾患実用化研究事業
- ・肝炎等克服実用化研究事業

PJ2：医療機器・ヘルスケアプロジェクト

- ・医療機器開発推進研究事業
- ・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
- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・難治性疾患実用化研究事業
- ・循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

PJ3：再生・細胞医療・遺伝子治療

プロジェクト

- ・再生医療等実用化研究事業
- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・難治性疾患実用化研究事業

PJ4：ゲノム・データ基盤プロジェクト

- ・ゲノム創薬基盤推進研究事業
- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・認知症研究開発事業
- ・障害者対策総合研究開発事業
(精神障害分野)
- ・障害者対策総合研究開発事業
(身体・知的・感覚器)
- ・難治性疾患実用化研究事業
- ・循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業
- ・女性の健康の包括的支援実用化研究事業
- ・免疫アレルギー疾患実用化研究事業
- ・移植医療技術開発研究事業
- ・肝炎等克服実用化研究事業
- ・「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業
- ・医工連携・人工知能実装研究事業
- ・メディカルアーツ研究事業

PJ5：疾患基礎研究プロジェクト

- ・革新的がん医療実用化研究事業
- ・認知症研究開発事業
- ・難治性疾患実用化研究事業
- ・循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業
- ・女性の健康の包括的支援実用化研究事業
- ・腎疾患実用化研究事業
- ・免疫アレルギー疾患実用化研究事業
- ・慢性の痛み解明研究事業
- ・エイズ対策実用化研究事業
- ・肝炎等克服実用化研究事業
- ・長寿科学研究開発事業

PJ6：シーズ開発・研究基盤プロジェクト

- ・臨床研究・治験推進研究事業
- ・地球規模保健課題解決推進のための研究事業（国際課分）
- ・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）