

令和7年度研究事業実施方針（案）の概要 【AMED研究】

研究事業名	AMED 6プロジェクト					
	PJ1	PJ2	PJ3	PJ4	PJ5	PJ6
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	●					
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		●				
再生医療等実用化研究事業			●			
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）				●		
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	●	●	●	●	●	
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）						●
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	●			●	●	
移植医療技術開発研究事業				●		
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	●			●	●	
長寿科学開発研究事業					●	
「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				●		

事業概要(背景・目的)

- 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。
- 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、医薬品創出に係る基盤技術の研究を推進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	2,488,345
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	2,488,345

令和7年度概算要求のポイント

- 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ことを目的に、常設化したGAPFREEに企業参画を促し、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推進する。
- これまでに構築してきたDDS(薬物送達-薬物動態)評価基盤技術プラットフォームの普及と改善を進め、アカデミアや企業が保有するシーズ開発を加速させる。
- 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するとともに、代替動物モデル開発、ヒトでの有効性予測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等を支援する。

これまでの成果概要等

- 創薬技術活用GAPFREEでは、ALS患者の協力の下、ALS患者由来iPS細胞からALS評価パネル構築を進め、進行性の難治性神経変性疾患への新薬創出に貢献できる薬効評価技術を構築した。
- 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。

【医薬品】

<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(令和2～5年度) 58%
<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(令和2～5年度) 22件 (R2: 8, R3: 3, R4: 8, R5: 3)

具体的な研究内容等

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

- ・ 産学官共同Mission-oriented(MO)型rTRプロジェクト
- ・ 産学官共同創薬技術活用プロジェクト
- ・ 産学官共同Mission-oriented (MO) 型創薬技術研究プロジェクト
- ・ 認知症克服プロジェクト
- ・ 薬用植物国産化・利活用促進プロジェクト

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

③ 医薬品の開発過程の迅速化・効率化等の創薬基盤技術の開発

創薬の基盤となる技術開発等に係る研究等を支援

- ・ 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
- ・ 創薬ターゲットの同定に係る研究 等

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研究開発を支援

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

期待されるアウトプット、アウトカム

(※)アウトプット、アウトカムについては、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

○期待されるアウトプット

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

- ・新モダリティ・先進手法に関する採択課題割合 40%

○期待されるアウトカム

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

- ・創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 6件

事業概要(背景・目的)

- 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。
- 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・治験を推進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	3,213,813
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	586,343
計	3,800,156

令和7年度概算要求のポイント

【医薬品プロジェクト】

- 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を推進する。
- 医薬品の小児適応に係る研究開発は、ニーズは高いが採算性が低く、企業による開発が進みにくい。医療安全の観点からも、小児での有効性・安全性が確立していない医薬品についてエビデンス構築が求められていることから、小児を対象とした臨床研究・医師主導治験・企業治験を促進する。
- 喫緊の課題である認知症の克服に向けて、革新的な認知症治療薬の開発に取り組むべく、臨床研究・医師主導治験・企業治験等を推進する。
- デジタルデバイス、オンライン診療等の新しい技術や訪問診療等を活用することで、被験者の安全性やデータの信頼性を担保しつつ、被験者や関係者の負担を軽減し得る新しい手法(Decentralized Clinical Trial等)を活用した患者中心の臨床研究・医師主導治験を推進する。

【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
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
令和2年度第1次補正予算にて開始した「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、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など更なる拠点の整備を推進するとともに、臨床研究中核病院を中心とした国内における臨床研究支援人材育成強化に取り組むことにより、日本主導のアジア地域における国際共同臨床研究・治験の実施体制の強化を図る。

これまでの成果概要等

医薬品プロジェクト

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

<アウトプット>

・非臨床POCの取得件数(令和2～5年度) 1件【0】

※【 】は、令和5年度のための件数

・臨床POCの取得件数(令和2～5年度) 9件【1】

➢再発・難治性悪性神経腫瘍に対する治療用放射性薬剤⁶⁴Cu-ATSMの有効性を検証する研究開発 他

<アウトカム>

・シーズの企業への導出件数(令和2～5年度) 13件【4】

➢「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 他

・薬事承認件数(新薬、適応拡大)(令和2～5年度) 12件【2】

➢トラスツズマブ注:HER2陽性の根治切除不能な進行・再発の唾液腺癌の効能で薬事承認取得(令和3年11月25日承認)

➢ラパリムス錠、ラパリムス顆粒:難治性脈管腫瘍及び難治性脈管奇形の効能追加、同効能に対する剤形追加で薬事承認取得(令和6年1月18日承認)

・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行件数(令和2～5年度) 9件【2】

➢膵がん早期発見・精密治療方針決定を実現する新規放射性抗体医薬を用いた超音波内視鏡ガイド投与による革新的PET画像診断の第I相医師主導治験 他

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(旧:生物統計家育成支援事業)

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、製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基として、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年度修了 合計20名(約8割がアカデミアに就職)

- 2020年度入学 合計18名、2020年度修了 合計17名(約8割がアカデミアに就職)

- 2021年度入学 合計11名、2021年度修了 合計19名(約8割がアカデミアに就職)

- 2022年度入学 合計14名、2022年度修了 合計12名(約8割がアカデミアに就職)

- 2023年度入学 合計11名、2023年度修了 合計14名(約8割がアカデミアに就職)

○ 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事業を採択し、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。

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うる質の高い臨床研究・医師主導治験等を支援する。

＜支援に係る主なコンセプト＞

臨床研究・治験の推進

①患者ニーズの高いもの

疾患の希少性、不採算性等を総合的に考慮し、公益性の高い特定臨床研究・医師主導治験を支援

- 臨床研究・医師主導治験のプロトコール作成
- 特定臨床研究の実施
- 医師主導治験（新有効成分、新効能、新用量医薬品）の実施
- 小児を対象とした特定臨床研究・医師主導治験・企業治験の実施
- 認知症を対象とした特定臨床研究・医師主導治験・企業治験等の実施
- 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実施

②疾患登録システム（患者レジストリ）等の活用

疾患登録システムを、薬事承認申請に利用可能な比較対照群等に利活用する、特定臨床研究・医師主導治験の実施を支援

③ Decentralized Clinical Trial（DCT）等の新しい手法の活用

デジタルデバイス、オンライン診療等の新しい技術や訪問診療等を活用し、被験者の安全性やデータの信頼性を担保しつつ、被験者や関係者の負担を軽減し得る臨床試験（Decentralized Clinical Trial；分散型臨床試験）等の新しい手法を活用した特定臨床研究・医師主導治験のプロトコール作成、実施を支援

当面優先して議論する課題 令和2年度まとめ（令和3年3月29日医薬品開発協議会）抜粋

Ⅱ．本協議会で指摘された課題や現状認識 2．新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制

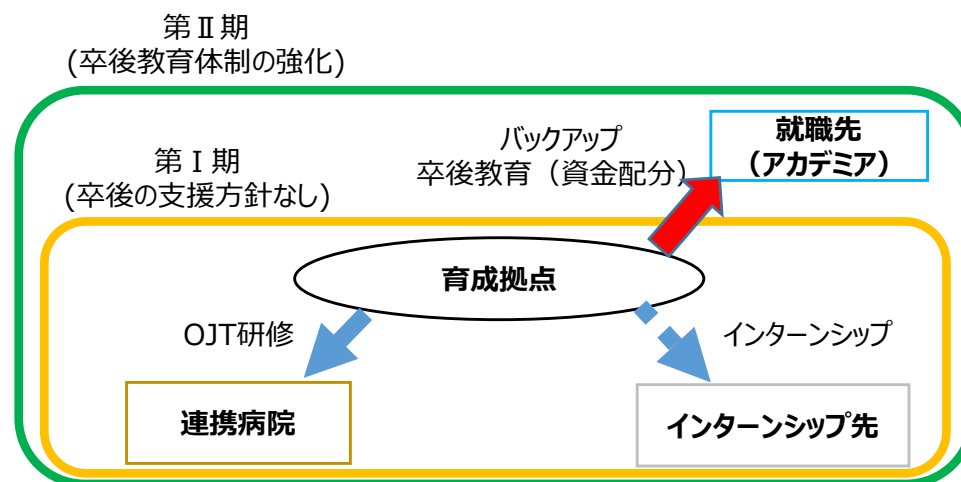
創薬基盤の技術として、（略）リアルワールドデータ（RWD）の活用、（略）Virtual Clinical Trial、AI創薬など、世界的にも非常に競合の激しい新規の技術や開発手法が登場している。これらの新たなテクノロジーや開発手法を活用するためには、従来の化学系・生物系の研究者や企業のみではなく情報工学などを含めた学際的な研究チームや新規モダリティに対応可能な製造体制等の検討が必要となってくる。

Ⅳ．今後の検討について 2．新たなテクノロジーや開発手法を活用した研究の推進体制

RWDについては、CINによるレジストリの構築や利用に向けた基盤整備、MID-NETの安全対策への活用などが進んでいるが、引き続きデータ基盤の構築及びデジタルヘルステクノロジーを活用していく手法の開発や課題について検討を進めると共に、市販後調査等を含め企業資金（利用料等）を活用したデータ利活用の体制を作ることが必要である。

生物統計家育成推進事業

- 製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基として、産学官が一体となった環境整備事業
- 生物統計に係る修士号を付与できる大学院から、東京大学と京都大学を育成拠点として選定
- 座学に加えて病院のOJTカリキュラムの追加を必須とし、また就職先候補も兼ねインターンシップ機関とも連携
- 令和3年度以降(第Ⅱ期)から取り組んでいる課題
 - ① 卒後教育体制の強化および定員の適正化
(2022年入学から定員を各拠点10名→5名以上へ)
 - ② 社会人入試(Uターン人材の確保)



大学院(座学)	東京大学大学院	京都大学大学院
分担機関 (実地研修)	東京大学医学部附属病院 国立がん研究センター	京都大学医学部附属病院 国立循環器病研究センター
インターンシップ機関	東京医科歯科大学、岡山大学病院、九州大学病院、新潟大学病院、 北海道大学、順天堂大学、国立国際医療研究センター	北海道大学病院、大阪大学病院
学位の種類・分野	修士(学際情報学)	社会健康医学修士(専門職)
学生数	2018年度入学 11名 2019年度入学 8名 2020年度入学 9名 2021年度入学 7名 2022年度入学 11名 2023年度入学 6名	2018年度入学 11名 2019年度入学 11名 2020年度入学 9名 2021年度入学 4名 2022年度入学 3名 2023年度入学 5名
修了生の進路	2019年度 修了人数:10名、アカデミア就職者:8名 2020年度 修了人数: 8名、アカデミア就職者:8名 2021年度 修了人数: 9名、アカデミア就職者:8名 2022年度 修了人数: 7名、アカデミア就職者:5名 2023年度 修了人数:11名、アカデミア就職者:9名	2019年度 修了人数:10名、アカデミア就職者:7名 2020年度 修了人数: 9名、アカデミア就職者:5名 2021年度 修了人数:10名、アカデミア就職者:7名 2022年度 修了人数: 5名、アカデミア就職者:5名 2023年度 修了人数: 3名、アカデミア就職者:2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

- アジア諸国における国際的な技術水準を確保する治験実施拠点整備の必要性については、「アジア医薬品・医療機器規制調和グランドデザイン」(令和元年6月20日健康・医療戦略推進本部決定)及び同実行戦略(令和2年7月14日同本部決定)においても言及されてきたところであるが、今般のCOVID-19拡大に伴い、迅速かつ質の高い、グローバルな臨床研究・治験体制構築の必要性が改めて明らかとなった。
- これを受け、日本主導の国際共同治験を実施し、治療薬等の開発・供給の加速を目指すため、アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築を進めているところ(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(臨床研究・治験推進研究事業))。
- 特に「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)において、日本発の国際共同治験が迅速に実施可能となるよう、アジア地域における臨床研究・治験ネットワークを充実させることとされている。
- 一方、ワクチン開発については、試験対象者が健康成人であることや、治療薬に比べて必要症例数が格段に多い(数千例から数万例規模)といった特殊性がある。
- こうしたことから、これまで感染症治療薬の領域で構築した基盤等を活用・発展させる必要があり、ワクチンに特化した研修の実施等により、円滑なワクチン開発に寄与する基盤へと充実を図る。

アジア地域の臨床研究・治験体制整備の推進



日本主導の国際共同治験の強化



治療薬等の開発・供給の加速



期待されるアウトプット、アウトカム

(※)アウトプット、アウトカムについては、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

○ 期待されるアウトプット

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

【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

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

【医薬品プロジェクト】

・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

事業概要(背景・目的)

最先端技術を用いた革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品等について、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**（レギュトリーサイエンス）を推進する。本事業においては、企業やアカデミアにおける開発の道標となるとともに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）における医薬品等に係る治験相談、承認審査、安全性情報収集等に活用することを目的として、革新的医薬品等の品質・有効性・安全性に係る各種試験系・評価系の開発・標準化や、データ収集システム等の環境整備に関する研究等を実施している。また、開発された試験系・評価系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も実施している。

当事業の研究成果を活用し、評価指針の整備及び国際的な規制調和を推進することにより、革新的な医薬品等の開発の効率化や国際展開に寄与することが期待される。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	1,077,530
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	1,077,530

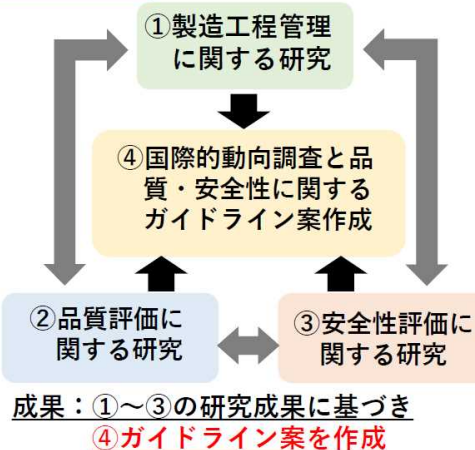
令和7年度概算要求のポイント

- 最先端技術を用いた革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品等の品質、有効性、安全性の評価手法の開発に関する研究を推進しつつ、令和7年度は以下の点を重点項目とする。
- 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

医薬品等規制調和・評価研究事業 これまでの成果概要等

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）

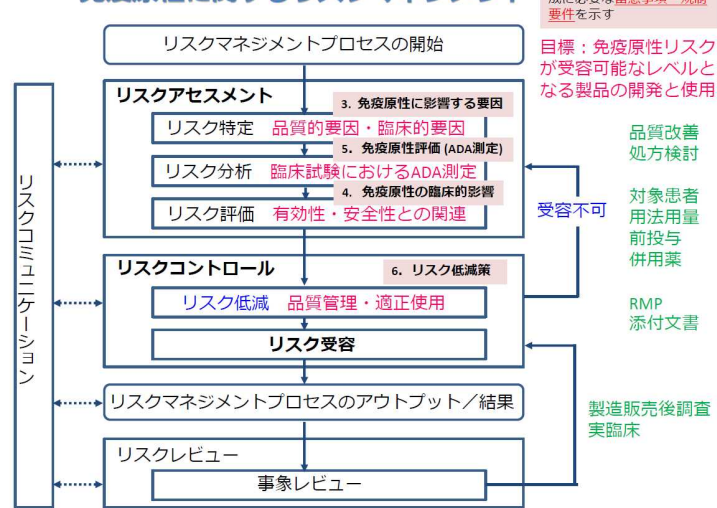
戦略と成果



- 細胞外を標的としたペプチドの品質並びに非臨床安全性評価に関するウェット研究を行い、製造法特有の不純物の同定、環状ペプチド特有の構造解析手法の構築、非天然型アミノ酸が毒性を有する事例の発見等の成果を挙げ、留意点文書に記載すべき事項を抽出・整理した。
- 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案」、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、各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。（品質評価に関するガイドライン：令和5年12～1月パブリックコメント、非臨床安全性評価に関するガイドライン：令和5年10～12月パブリックコメント）

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トリーサイエンス研究（令和3～5年度）

免疫原性に関するリスクマネジメント



- 免疫原性評価法の標準化のための国際連携として、独自に作製した抗薬物抗体パネルを提供し、WHO/NIBSCが策定する抗薬物抗体国際標準品の策定に協力した。
- 免疫複合体とアイソタイプに着目した抗薬物抗体の評価、抗薬物抗体評価法（免疫原性評価法）の標準化に資するウェット研究を実施した。
- 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述べると共に、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。（令和6年2～3月パブリックコメント）

【KPI】○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標 ・新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%
令和4～5年度実績 ・新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 86% (50/58)

具体的な研究内容等

課題・背景

- 「医療分野研究開発推進計画（第2期）」では、「医療現場のニーズに応える医薬品の実用化」のため、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行うことが求められている。具体的には、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、製造技術等の開発を行う、とされている。
- ガイドラインの国際協調を図ることは、グローバルな医薬品承認のタイムラグを最小化する上で極めて重要である。また、日本が主導して評価法を開発し、国際動向をリードする必要がある。
- 高品質な医薬品等の安定供給のため、各種先進技術の医薬品等製造・管理技術の開発が期待されている。

令和7年度研究の概要

新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究

エクソソーム製剤の安全性に関するin vitro及びin vivo評価系の開発、細胞基材及び製品の品質特性の評価法と管理手法の確立、並びにエクソソーム製剤のヒト初回臨床試験の安全性確保のためのガイダンス案の作成を行う。

医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究

生体模倣システム（MPS）やオルガノイド等の新規in vitro評価系の開発や、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。

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

ML利用医療機器プログラム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共に、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を整理し、解決策を提示する。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。

研究の成果・活用

- エクソソーム製剤の品質管理戦略に関して、具体的な評価法、及びその評価法の性能についての情報を提示することで、当該製品の開発と承認審査の迅速化に貢献する。
- 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の利活用による動物実験の削減への貢献や、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等が期待される。
- 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、その社会実装促進や性能向上促進に繋がる。

最先端技術を用いた革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品等の実用化を促進

期待されるアウトプット、アウトカム

【アウトプット】

新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合を75%にすることで、革新的な物も含めて医薬品等の品質・有効性・安全性に係る各種試験系・評価系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。

【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が明確化することによる開発の効率化・予見性の向上並びに国際的な規制調和の推進によるわが国発の医薬品等の国際展開への寄与が期待される。

（※）アウトプット、アウトカムについては、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。

創薬支援推進事業

令和6年度予算額 3,455,677千円

事業概要(背景・目的)

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医薬品として実用化につなげるため、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、スタートアップ支援にもつなげる産官学が集い創薬シーズの実用化検証を行う場の提供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。また、創薬基盤技術等の開発や希少疾病用医薬品等の開発支援を行う等、研究開発期間短縮と革新的医薬品の創出確率向上を図る。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	3,455,677
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	0

令和7年度概算要求のポイント

- 第11回医薬品開発協議会(令和6年3月14日)の「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」の議論も踏まえ、以下の取組を推進する。
- 創薬支援ネットワークを中心とした創薬支援を引き続き推進する。また、モダリティの多様化(特に、抗体、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)のほか、従来のアカデミアからの企業へのシーズ導出だけではなく、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)、企業導出後の創薬コーディネーターによる支援拡大、支援中における企業からの人材・技術等の提供により産学官連携の取り組みを含めた対応を強化する。(拡充・新規課題の採択)
 - 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、産学連携による次世代創薬AI開発事業(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。(拡充・新規)
 - 引き続き、国が主体的に支援すべき領域である希少疾病領域の医薬品の開発を支援する。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、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う(拡充・採択課題数の増)
 - 引き続き、創薬総合支援事業(創薬ブースター)において、医師主導治験への橋渡しを含む更なる医薬品の実用化に向けて、文部科学省の事業である橋渡し研究プログラム等のAMED内他事業と連携し、創薬シーズの収集を強化すると共に、モダリティや疾患領域に応じ、企業導出に適したステージまで創薬コーディネーターによる伴走支援を充実させる。(拡充・採択課題数の増)

これまでの成果概要等

【医薬品】＜アウトカム＞

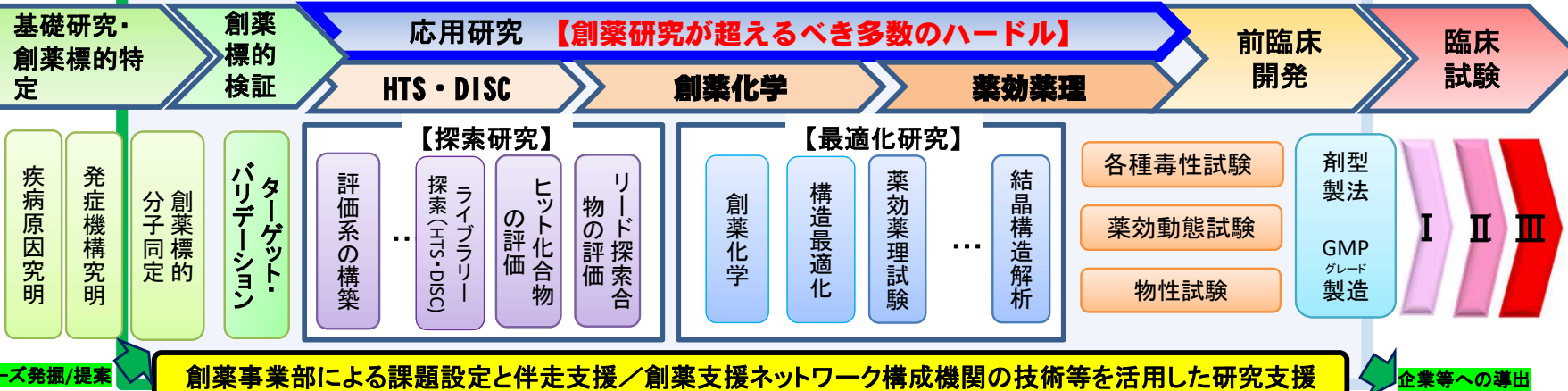
- ・シーズの企業への導出件数(令和2年度～令和5年度)8件
- ・希少疾病用医薬品指定件数(令和2年度～令和5年度)2件
- ・DAIIAにおいて、製薬企業17社の提供データや秘匿性の高いデータの連合学習を進め、統合AIプラットフォームを構築

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

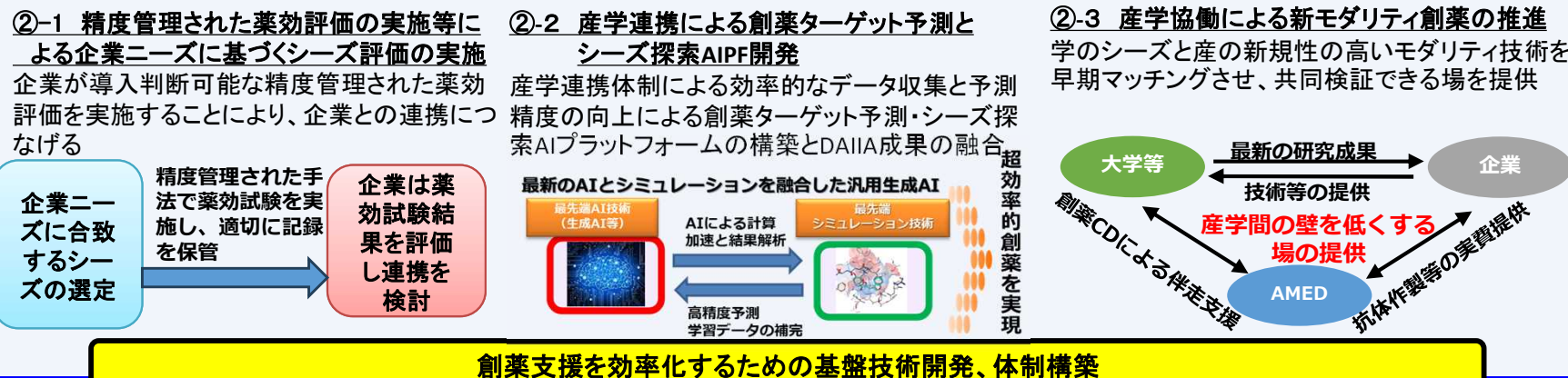
○企業への導出(ライセンスアウト) (令和6年3月末時点) ※DISC(産学協働スクリーニングコンソーシアム)による導出 ※※2社への導出

課題番号	課題名	研究者	導出時期	種類
DNW-15002	硫酸抱合型尿毒症物質の産生阻害による腎障害治療薬の探索	齋藤 秀之(熊本大学)	2020年4月	低分子化合物※
DNW-19012	脂質代謝経路を標的としたがん免疫療法の探索	大多 茂樹(慶應義塾大学)	2020年9月	低分子化合物
DNW-18005	新規のNrf2活性化メカニズムに着目した扁平上皮がん治療薬の探索	鈴木 裕之(筑波大学)	2020年10月	低分子化合物※
DNW-17015	GM1-ガングリオシドーシス脳病態に有効な新規低分子シャペロン治療薬の探索	檜垣 克美(鳥取大学)	2021年6月	低分子化合物
DNW-17018	癌代謝制御ハブ分子の新規阻害剤の探索	中山 敬一(九州大学)	2022年3月、6月※※	低分子化合物※
DNW-19023	細胞内コレステロールに作用する新規ニーマン・ピック病C型治療薬の探索	田村 篤志(東京医科歯科大学)	2022年9月	高分子プロドラッグ
DNW-21012	新規抗不整脈薬の探索	呉林なごみ(順天堂大学)	2023年12月	低分子化合物

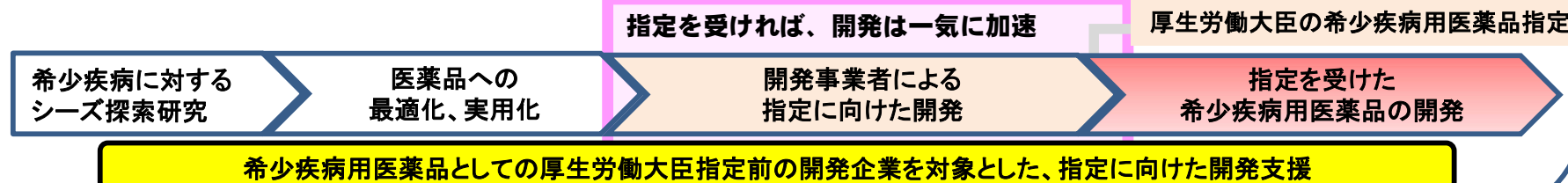
① 創薬総合支援



② 創薬支援効率化



③ オープン指定前支援



期待されるアウトプット、アウトカム

期待されるアウトプット: 製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。希少疾病用医薬品指定申請に必要な試験の完遂が期待される。

期待されるアウトカム: 製薬企業(ベンチャー・スタートアップ含む)において、大学や公的研究機関等の研究者が保有する創薬シーズの医薬品としての実用化と、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。

医療機器開発推進研究事業

令和6年度予算額

1,201,818千円

事業概要(背景・目的)

○ 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。

○ 予後改善につながる診断の一層の早期化、医療従事者の業務の効率化・負担軽減に資する医療機器等の重点分野※や小児領域のアンメットメディカルニーズに対応した医療機器について、基礎研究の成果を薬事承認につなげ、日本発の革新的な医療機器の創出を図るため、産学官連携による革新的医療機器の開発を推進するとともに、疾患登録システム等を活用した革新的医療機器の開発等を支援する。

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

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	1,201,818千円
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	1,201,818千円

令和7年度概算要求のポイント

○近年、米国を中心として、スタートアップが研究開発した製品を、大企業が社会実装を行う流れに移行しつつある。また、PMDAが承認した新医療機器の起源をみると、米国系企業の製品ではスタートアップがイノベーションの創出に貢献しているが、日本では米国と比較してその数は少なく、スタートアップによる貢献が限定的であると想定される※。そのため、スタートアップによる治験を支援する。

○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する。

※ 国民が受ける医療の質の向上のための医療機器の研究開発及び普及の促進に関する基本計画
(令和4年5月31日改定)

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

・「カスタムメイド骨切り用手術ガイド」の手関節の変形治癒骨折への適応を取得する承認申請、保険適応取得を目指し、医師主導治験を実施し、目標とする精度が得られた(2023年3月)。今後、連携企業に導出後、製造販売承認申請が期待される。

・超音波内視鏡を用いて胃と肝内胆管との間にステントを留置し、胆管ドレナージ術を行う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良好な成績を得られた(2022年4月)。今後、薬事申請を行う。

【医療機器・ヘルスケア】

＜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(令和2～5年度) 50%

＜アウトカム＞

・クラスⅢ・Ⅳの医療機器の薬事承認件数(令和2～5年度) 2件

・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況(令和2～5年度) 24件

具体的な研究内容等

○ 医療負担の軽減に資する医療機器等の臨床研究・治験等

疾病の早期診断、治療計画を生成するプログラム、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や治験を支援する。

○ 小児用医療機器等の実用化を目指す臨床研究・治験等

小児領域においては、高いニーズがあるものの開発が進捗しない分野、小児用の小型又は成長追従性の医療機器等、小児領域のアンメットメディカルニーズに対応する医療機器を開発し、企業への導出または薬機法承認を目指す臨床研究・治験等を支援する。

○ 高齢者向け医療機器等の実用化を目指す臨床研究・治験等

在宅において適切に病態管理ができる診断・治療機器のような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、企業への導出または薬機法承認を目指す臨床研究・治験等を支援する。

○ 革新的医療機器等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・治験等を支援する。

○ 医療ニーズの高い体外診断用医薬品の開発

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、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する。

期待されるアウトプット、アウトカム

○ 期待されるアウトプット

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

・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%

○ 期待されるアウトカム

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

・クラスⅢ・Ⅳの医療機器の薬事承認件数 4件

事業概要(背景・目的)

開発途上国・新興国は、先進国とは異なる公衆衛生上の課題を抱えており、医療機器に対するニーズも異なるため、先進国向けに開発した機器が、途上国等で必要とする性能、価格に一致せず思うように売れない等、日本の医療機器メーカーにとって課題となっている。

日本の医療機器メーカーが臨床現場にて、バイオデザイン等のデザイン手法を用い現地ニーズを把握し、途上国向け製品の研究開発及び事業展開の実施方法を開発する。

また、本研究事業成果を通じて相手国の日本に対する信頼を高め「アジア・アフリカ健康構想」等で掲げるUHC(ユニバーサルヘルズバレッジ)と健康長寿社会の実現に貢献する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	297,777
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	0

令和7年度概算要求のポイント

(新規) 令和7年度は、本事業の出口戦略を検討する。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、製品開発から上市までの道筋を整えることも必要である。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組みも重要である。こうし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。

- 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
- 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

(継続) アフリカを対象とした研究開発課題において製品開発力を強化するための開発サポート機関によるネットワーク構築及び共同開発研究の検討等の施策の拡充。

これまでの成果概要等

(※) アウトプット、アウトカムについては、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。

令和5年度までに12課題を実施		【医療機器・ヘルスケア】
① 現地認可(薬事)取得済	3課題	＜アウトプット＞
② 現地・国内薬事申請済	0課題	・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題の割合(令和2～5年度)0%
③ 現地・国内薬事準備中	5課題	＜アウトカム＞
④ 臨床研究・治験中	3課題	・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数
⑤ 開発中・その他	2課題	(令和2～5年度)0件
⑥ 特許出願済/準備中	16件	

【その他】

本事業は現地ニーズに基づき研究開発を進める為、クラスⅢ・Ⅳ医療機器に特定した公募は行っておらず、現時点で該当クラスの採択実績はない。一方、統合PJ全体への貢献という観点からは、以下の重点テーマに合致する研究を実施している。

- 検査・診断の簡易化(5件)
- 精度向上・常時計測等の早期化に関する技術(2件)
- 診断・治療の高度化や一体化のための、デジタル化・データ利活用や複数機器・システムの統合化等に関する技術(5件)

具体的な研究内容等

インドネシア向け新生児蘇生モニタの開発

- ・ 2022年度日本薬事取得
- ・ 2022年度インドネシア現地認可取得済

Breath Cue



プレスキュー NRM-1300

PPVアシスト機能

- 心肺蘇生時に適切に空気を送り込むバッグ換気手技の教育を十分に受けることができない途上国・新興国においては新生児死亡率の高さが課題であった。
- 当該研究課題において、バイオデザイン手法等を用いて現地ニーズを徹底的に追求し、簡易かつ直感的に正確なバッグ換気ができるデバイスを開発した。
- 2023年度にインドネシアでの販売開始を予定、今後現地における新生児死亡率改善への貢献が期待される。

【主な特徴】

- ✓ バッグ換気手技の教育を十分に受けていない医療従事者に対して、陽圧換気アシスト機能（点滅するLEDで視覚的に適切な陽圧換気をサポート）により、簡易かつ直感的に正確なバッグ換気手技の実施を支援。
- ✓ 小型・軽量・乾電池での駆動により、電源事情が不安定といった生活インフラが未整備な途上国地域においても使用可能な機器を実現。

期待されるアウトプット、アウトカム

【医療機器・ヘルスケア】

＜アウトプット＞

- ・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

＜アウトカム＞

- ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数 20件への貢献

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

事業概要(背景・目的)

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。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	2,712,244
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	0

令和7年度概算要求のポイント

- 再生医療等(再生・細胞・遺伝子治療(in vivo遺伝子治療を含む))の新規モダリティ等(技術・手法)の実用化に向けて、画期的で革新的な臨床研究・医師主導治験、製法開発や、臨床研究・医師主導治験のうち実用化までの道筋が明確な研究、アカデミアと企業が協力して製造販売承認を目指す研究、再生医療等の品質及び安全性を担保する評価基準策定に向けた研究、また臨床研究等の実施中に生じた課題解決のための研究等を支援する。これにより、再生医療等製品等の治験・先進医療実施へ着実に繋げる。日本国内だけでなく海外展開可能な再生医療等技術の確立を目指す研究を特に重視する。
- 令和7年度においても、画期的で革新的な技術等を用いた臨床研究・医師主導治験、又は実用化の道筋が明確で実現可能性が高く期待される製法開発のための研究や臨床研究・医師主導治験を支援する。産学連携による研究においては、アカデミアがシーズ研究を行い、研究結果をもとに製造販売承認に向けて企業とも協力し、臨床開発の早期から明確な出口戦略が検討された品質・非臨床データの取得のための研究や医師主導治験等を支援し、再生医療等製品等の治験や先進医療の着実な実施に繋げる。
- 若手・女性研究者を含めた人材育成については特に努めることとする。再生・細胞医療・遺伝子治療の融合研究及び異分野連携による研究の推進を行う。

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

令和2年度から令和5年度までの研究において、パーキンソン病に対するiPS細胞由来分化細胞を用いた医師主導治験など、88件の臨床研究や医師主導治験が実施された。引き続き、臨床研究又は治験に移行する研究課題を支援することで再生医療等の実用化を推進する。

【再生・細胞医療・遺伝子治療(令和2年度から令和5年度まで)】

- ＜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)への論文掲載件数 117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 139件
 - ・治験に移行した研究課題数 15件
 - ・臨床研究に移行した研究課題数 11件
- ＜アウトカム＞
 - ・企業へ導出される段階に至った研究課題数 1件
 - ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況 26件
 - ・薬事承認件数 3件

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

- 再生医療等（再生・細胞・遺伝子治療（in vivo遺伝子治療を含む））の新規モデル等（技術・手法）の実用化に向けて、画期的で革新的な臨床研究・医師主導治験、製法開発や、臨床研究・医師主導治験のうち実用化までの道筋が明確な研究、アカデミアと企業が協力して製造販売承認を目指す研究、再生医療等の品質及び安全性を担保する評価基準策定に向けた研究、また臨床研究等の実施中に生じた課題解決のための研究等を支援する。これにより、再生医療等製品等の治験・先進医療実施へ着実に繋げる。日本国内だけでなく海外展開可能な再生医療等技術の確立を目指す研究を特に重視する。
- 令和7年度においても、画期的で革新的な技術等を用いた臨床研究・医師主導治験、又は実用化の道筋が明確で実現可能性が高く期待される製法開発のための研究や臨床研究・医師主導治験を支援する。産学連携による研究においては、アカデミアがシーズ研究を行い、研究結果をもとに製造販売承認に向けて企業とも協力し、臨床開発の早期から明確な出口戦略が検討された品質・非臨床データの取得のための研究や医師主導治験等を支援し、再生医療等製品等の治験や先進医療の着実な実施に繋げる。
- 若手・女性研究者を含めた人材育成については特に努めることとする。再生・細胞医療・遺伝子治療の融合研究及び異分野連携による研究の推進を行う。

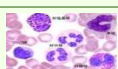
1) 再生・細胞医療、遺伝子治療の実用化に向けた研究の支援

ア. 品質・安全性の確保のための研究

製品の品質・安全性を確保するため、評価方法の開発や安全性上の問題点を解決する研究を支援。



造腫瘍性



免疫拒絶



オフターゲット変異

イ. 治療方法探索のための研究

再生医療等の新規モデル等を用いた画期的で革新的な、又は実用化の道筋が明確な再生医療等の臨床研究・医師主導治験を支援。



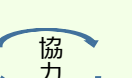
ウ. 実用化を見据えた製法開発に関する研究

再生医療等製品の早期実用化を実現するため、初期臨床試験から薬事承認・商用生産に至る製造・品質管理の一貫性を担保するための研究を支援。



エ. 産学連携による研究

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、アカデミアがシーズ研究を行い、研究結果をもとに製造販売承認に向けて企業と協力する研究開発を支援。



2) 創薬応用に向けた研究の支援

カ. 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

医薬品開発の成功確率向上、迅速化、コスト削減のため、多能性幹細胞（iPS/ES細胞）や体性幹細胞等の分化誘導系、又はオルガノイド等、を用いて実用化に繋げていくための創薬研究を支援。さらにAI・データサイエンスとの連携も推進する。



オ. 臨床研究等の実施中に生じた課題解決のための研究

臨床研究や治験を実施する中で生じた課題を解決するために新たに実施する臨床研究や臨床情報データ収集等を行うことで有効性の確立・新たな治療法等の開発につなげる研究を支援。



3) 基盤的支援

研究成果をイ、エの個別事業にフィードバック

キ. 再生医療等技術の効率化のための研究

再生医療の効率化につながる技術の開発・向上や研究プロセスの刷新を図るための研究を支援。



ク. 再生医療等技術の国際展開のための研究

国内で開発中の再生医療等製品を早期に国際展開することを目的として、国際共同治験の準備等を進める研究、国際標準化を目指す品質・安全性評価方法の開発、国際展開に必要な製造・品質管理および輸送方法を開発する研究を支援。



これまでの成果概要等

令和5年度において、パーキンソン病に対するiPS細胞由来分化細胞および半月板損傷に対する自家滑膜間葉系幹細胞を用いた医師主導治験の各研究成果をもとにした企業による開発が国内外で進むなど、実用化への進展が見られた。引き続き、臨床研究又は治験に移行する研究課題を支援することで、再生医療等の実用化を推進する。

- ①臨床研究・治験に移行した研究開発（令和5年度末）7件、②承認申請・承認等に至った研究開発（令和5年度末）1件、
③特許申請・登録等に至った研究開発（令和4年度末）4件【R5は現時点で未集計】、④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施（令和5年度末）5件

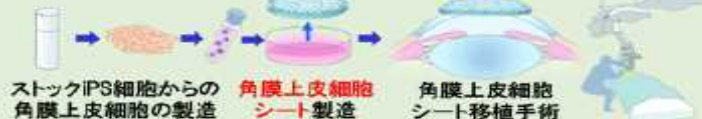
これまでの成果概要等

角膜上皮幹細胞疲弊症※に対する他家iPS細胞を用いた臨床研究

（大阪大学・西田 幸二 教授）

※外傷や炎症等が原因で、角膜上皮の幹細胞が傷つき、新しい角膜上皮を供給できず視力低下をきたす角膜疾患の総称

- 重症の角膜上皮幹細胞疲弊症に対して、他家由来iPS細胞から角膜上皮細胞シートを作製し、移植する臨床研究。
- 4例の患者に移植するFirst in Human臨床研究を完了。
- いずれの症例においても重篤な有害事象は認めず、有効性を示す所見が得られた。



パーキンソン病※に対する他家iPS細胞を用いた医師主導治験

（京都大学・高橋 淳 教授）

※脳のドーパミン神経細胞が減少することにより、手足のふるえやこわばり、運動障害などが生じる疾患

- パーキンソン病に対して、他家由来iPS細胞からドーパミン神経前駆細胞を作製し、移植する医師主導治験。
- 全7例の患者への移植を完了し、術後24か月の経過観察中。
- 住友ファーマが米国での治験を計画中。

ヒトiPS細胞由来
ドーパミン神経前駆細胞



定位脳手術：細い注射針を用いて細胞を注入



半月板損傷※に対する自家滑膜間葉系幹細胞を用いた医師主導治験

（東京医科歯科大学・関矢 一郎 教授）

※関節のクッションの役割を担う半月板が、加齢やスポーツ等で断裂することで痛みや歩行困難になる疾患

- 半月板損傷に対して、自家滑膜由来間葉系幹細胞を移植する医師主導治験。
- 令和元年に治験を完了。主要評価項目の有意な改善を認めた。
- 令和5年2月から富士フィルム株式会社が臨床第Ⅲ相試験を開始。



骨・軟部肉腫及び婦人科悪性腫瘍に対するHER2 CAR-T細胞を用いた医師主導治験

（信州大学・中沢 洋三 教授）

- HER2※陽性の再発・進行骨・軟部肉腫と婦人科悪性腫瘍に対して、がん患者の血液からHER2を標的とするCAR-T細胞を作製し、患者の体内に戻す遺伝子治療法の医師主導治験。

※HER2は細胞の増殖、分化、生存、代謝などに関わる受容体型チロシンキナーゼの1つ。がん細胞に高頻度に発現する。

- 令和4年4月にPMDAに治験計画届を提出し、治験を開始。

信州大学におけるHER2 CAR-T細胞の製造と品質試験



これまでの成果概要等

亜急性期脊髄損傷※に対するiPS細胞由来神経前駆細胞を用いた臨床研究

(慶應義塾大学・中村 雅也 教授)

※外傷や血行障害などで、脳と身体をつなぐ神経の束が損傷し、麻痺を生じる疾患。亜急性期は損傷後2～4週



➢ 亜急性期脊髄損傷に対して、他家由来iPS細胞から神経前駆細胞を作製し、移植する臨床研究。

➢ 令和5年までに4例の患者に移植を実施、患者登録を完了。経過観察を継続中。

➢ 第1症例目の患者は、術後1年間の経過観察を完了。重篤な有害事象なし。



特発性大腿骨頭壊死症に対する自家濃縮骨髓液移植法の先進医療

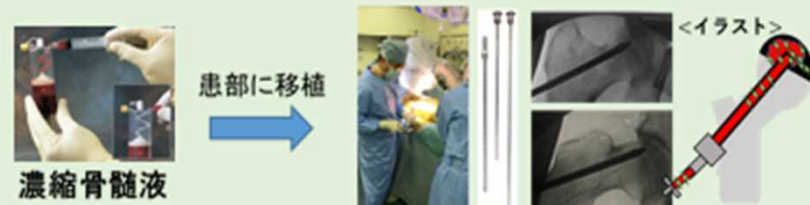
(順天堂大学・本間 康弘 教授)



➢ 特発性大腿骨頭壊死症に対して、患者から採取した骨髓液を濃縮し、患部に移植する臨床研究。

➢ 令和4年12月に厚生労働省より先進医療Bの承認を得て、臨床研究を開始。

➢ これまでに、7例の患者に移植を実施。(目標症例数:34例)



虚血性心筋症に対するiPS細胞由来心筋細胞シートを用いた医師主導治験

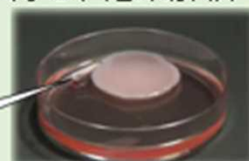
(大阪大学・澤 芳樹 教授)



➢ 重症の虚血性心筋症に対して、他家由来iPS細胞から心筋細胞シートを作製し、移植する医師主導治験。

➢ 3例の患者からなるコホートAで安全性を確認し、令和3年8月に多施設で実施するコホートBに移行。令和5年3月までに大阪大学、順天堂大学、九州大学、東京女子医科大学で合計8例の移植を完了。術後26および52週間の観察評価を終了し、結果解析中。

心筋細胞シート



重症高アンモニア血症を生じる先天性代謝異常症※に対するヒトES細胞製剤に関する臨床研究

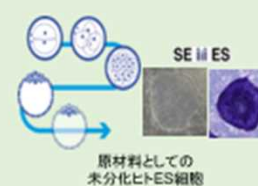
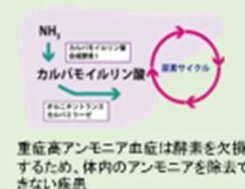
(国立成育医療研究センター・梅澤 明弘 研究所長)

※体内の尿素を代謝する酵素の遺伝的な欠損により生じる疾患



➢ 重症高アンモニア血症を生じる先天性代謝異常症に対し、ES細胞由来肝細胞(HAES)を移植することで、根治療法である生体肝移植までの「橋渡し治療」を行う医師主導治験。

➢ 令和元年10月に1例目の移植を実施(ヒトES細胞由来の肝細胞のヒトへの移植は世界初)。移植により患者の血中アンモニア濃度の上昇を抑えることができ、生体肝移植への橋渡しに成功。令和3年12月までに5症例の移植を実施。その後、全対象患者の生体肝移植までの治験を完了、安全性および有効性を確認した。



期待されるアウトプット、アウトカム

○ 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、文部科学省事業での推進により、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、再生医療等製品の薬事承認数増加を目指すとともに、iPS細胞等を用いた病態解明等を目指す。

【令和2年度～令和6年度までのKPI】

治験に移行した研究課題数：14件

研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載数（再生医療
実用化研究事業（厚）、再生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、産と学の更なる連携により、アカデミア発のシーズから速やかに企業治験（再生医療等製品の開発）につなが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

ゲノム創薬基盤推進研究事業

令和6年度予算額	319,812千円
----------	-----------

事業概要(背景・目的)

- 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。
- 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。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	319,812
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	319,812

令和7年度概算要求のポイント

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・臨床情報等を活用し、ファーマコゲノミクス研究やVUS(臨床的意義が不明な変異)の機能解析を行うことで、遺伝子変異・多型と疾患との関連等を明らかにし、ゲノム医療・個別化医療を推進する。

また、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している。そのため、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。

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

- 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)の変異において、胃がんのリスク上昇に関わっていることがわかった。(令和5年3月)。
- 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について、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、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。(令和5年4月)

<アウトプット>

- ・非臨床POCの取得件数 (令和2～5年度) 4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 (令和2～5年度) 27件
- ・新たな疾患発症メカニズム解明件数 (令和2～5年度) 8件
- ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 (令和2～5年度) 19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 (令和2～5年度) 56件

<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 (令和2～5年度) 3件
- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 (令和2～5年度) 2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 (令和2～5年度) 6件

具体的な研究内容等

A. 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。そのため、国内の各バイオバンクの利活用を妨げている要因を特定し、それを取り除くための具体的な方策を提案する。また、生体試料の適切な取り扱い方法について検討する。

B. 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

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・同定するためのデータベースを構築する。

C. 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

1) ファーマコゲノミクスにより効果的・効率的薬剤投与を実現する基盤研究

ゲノム検査で得られるデータとその他の客観的な臨床データを解析することで得られる新たな知見を用いて、効果的・効率的で安全な薬剤投与を実現する基盤技術に関する研究を行う。

2) 遺伝性疾患のゲノム解析で得られたVUS (Variant of Uncertain Significance : 臨床的意義が不明なバリエーション)への機能的アノテーションに資する基盤

研究遺伝性疾患において、疾患との関連性が明らかでない遺伝子変異の機能を、高精度かつ効率よく解析する手法の開発に関する研究を行う。

D. 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

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している。そのため、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を行う。

期待されるアウトプット、アウトカム

○ 期待されるアウトプット

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

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

○ 期待されるアウトカム

＜令和2年度～令和6年度までのKPI＞

- ・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

スケジュール



全ゲノム解析等実行計画

事業実施準備室

事業実施組織

事業概要(背景・目的)

本研究事業では、内閣府・文部科学省・経済産業省と連携し、「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、基礎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て、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。

令和7年度概算要求のポイント

「第4期がん対策推進基本計画」及び「がん研究10か年戦略(第5次)」に基づき、希少がん及び難治性がん、小児がん及びAYA世代のがん、高齢者のがん等に関する研究や治療法の開発、がん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・合併症等に対する予防とケア(支持療法やリハビリテーション等)などの患者のQOL向上に資する研究等を重点的に支援する。

より良いがん医療の推進のため、特に、発がんリスクのリアルタイム評価に関わる開発研究、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、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、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、がん研究を加速させる新規技術・異分野融合技術の開発、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、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実証するために必要な研究を推進する。

がん研究における先端技術の活用・実装を実現し、「がん研究10か年戦略(第5次)」に掲げられた戦略目標を着実に達成するため、異分野融合・若手人材育成のための取り組みを実施する。

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

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、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等を実現してきた。(令和6年3月時点)

①医薬品プロジェクト

【アウトプット】

・非臨床POCの取得件数 実績 12件

・臨床POCの取得件数 5件

【アウトカム】

・シーズの企業への導出件数 11件

・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行 5件

・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 5件

②医療機器プロジェクト

【アウトプット】

・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する課題採択 2件

【アウトカム】

・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認 1件

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

【アウトプット】

・治験に移行した研究課題数 10件

(うち、遺伝子治療 4件)

【アウトカム】

・企業へ導出される段階に至った研究課題数 5件

(うち遺伝子治療の件数 1件)

・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行 7件

・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 2件

④ゲノム・データ基盤プロジェクト

・臨床POCの取得件数 17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) 2137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 1891件

⑤疾患基礎研究プロジェクト

【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 2件

具体的な研究内容等

プロジェクト①(医薬品)

難治性神経芽腫に対するIL2、CSF併用ch14.18 免疫療法の国内臨床開発(H28～R2)
大阪市立総合医療センター 原 純一

研究内容 代表的な小児がんである神経芽腫に対して、抗GD2抗体ジヌツキシマブの「大量化学療法後の神経芽腫」の治療薬として医師主導治験を実施した。本結果に基づき、薬事申請を行い、令和3年6月薬事承認を受けた。同時に、併用薬であるフィルグラスチム、テセロイキンの神経芽腫に対するジヌツキシマブの併用薬としての適応拡大の承認申請が行われ、令和3年6月薬事承認を受けた。

難治性リンパ腫に対するMALT1阻害剤の開発(H30～R2)
国立大学法人京都大学 小川誠司

研究内容 リンパ球系血液細胞のシグナル伝達に關与するMALT1に対する選択的な阻害剤の研究開発を行った。具体的には、①MALT1臨床開発候補化合物の創生、及び当該化合物を用いての治験薬申請に必要な非臨床試験、②MALT1阻害剤を適応すべき難治性リンパ腫種の特定、及び患者層別化バイオマーカーの同定・検出系の確立を行った。本結果を基に国内企業への導出が完了した。

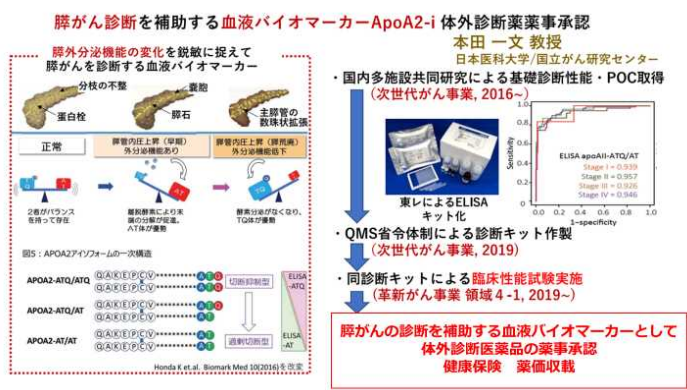
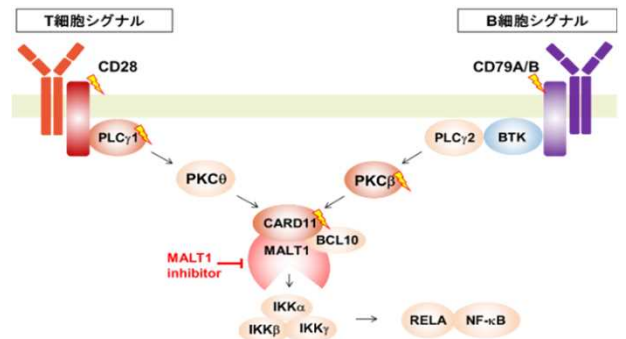
膵外分泌機能を評価する血液バイオマーカーを用いた膵がんリスク疾患・早期膵がんの診断法の臨床開発(R3～R5)
日本医科大学 本田 一文

研究内容 ①膵がん前がん病変であるIPMNの診断、②早期膵がんの発見の契機を増やし膵がんの予後改善に貢献するべく、膵がんリスク疾患の診断 を目的とした、血液バイオマーカーの体外診断医薬品(アポA2アイソフォーム)が臨床開発された。令和5年6月8日に薬機承認取得の後、令和6年1月26日の中医協総会の審議にて保険収載(薬価決定)され、令和6年2月22日に国内販売開始となった。

期待されるアウトプット、アウトカム

①医薬品プロジェクト【期待されるアウトプット、アウトカム】令和5年度末迄の達成状況(括弧内は令和6年度までの達成目標)

- 【アウトプット】
- ・非臨床POCの取得件数 12件(5件以上)
 - ・臨床POCの取得件数 5件(1件)
- 【アウトカム】
- ・シーズの企業への導出件数 11件(3件以上)
 - ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行 5件(-)
 - ・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 5件



具体的な研究内容等

プロジェクト②(医療機器)

初発IDH野生型低悪性度神経膠腫に対するNovoTTF-100Aシステムの多施設共同第II相試験(医師主導治験)(R4～R6)
岡山大学 田中將太

研究内容

予後不良として知られるIDH野生型LrGGの治療法の探索を目的として、新規医療機器(NovoTTF-100Aシステム)のLrGGへの適応拡大を図る臨床試験を実施する。
研究代表者・研究分担者が所属する岡山大学・東京大学・国立がん研究センター中央病院・京都大学を含めた10施設で、初発IDH野生型LrGG患者50人を対象としたNovoTTF-100Aシステムの有効性と安全性を検証する医師主導治験を開始した。

オプチューン®
(NovoTTF-100Aシステム)

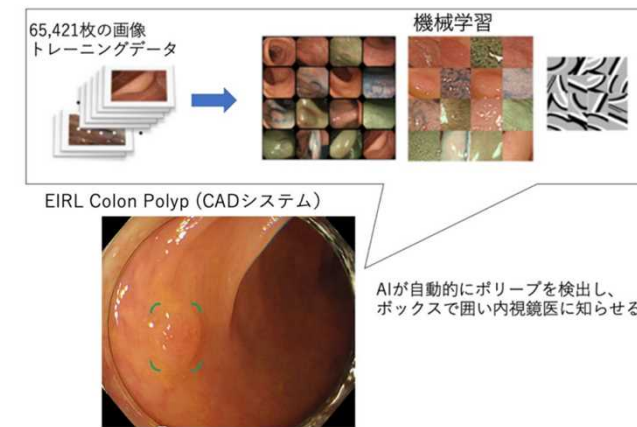


ノボキアウェブサイト: https://www.optune.jp/for_patients/optune/

深層学習アルゴリズムを活用した大腸内視鏡用診断支援プログラムの実用化研究(R2～R4)
慈恵大学 炭山和毅

研究内容

大腸内視鏡の画像情報(動画)からAIを用いて、大腸ポリープ候補の『検出』を支援するソフトウェアを開発し、深層学習を活用したプログラム医療機器として実用化を目指した研究である。「病変検出」プログラムとして、令和4年4月に承認申請。11月に薬事承認を取得した。(令和5年8月、モダリティベンダー追加の承認を取得した)
「病変鑑別機能」の薬事承認についても行っており、PMDA相談も含め進行中である。



期待されるアウトプット、アウトカム

- ②医療機器プロジェクト【期待されるアウトプット、アウトカム】令和5年度末迄の達成状況(括弧内は令和6年度までの達成目標)
- 【アウトプット】
- ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する課題採択 2件(-)
- 【アウトカム】
- ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認 1件(-)

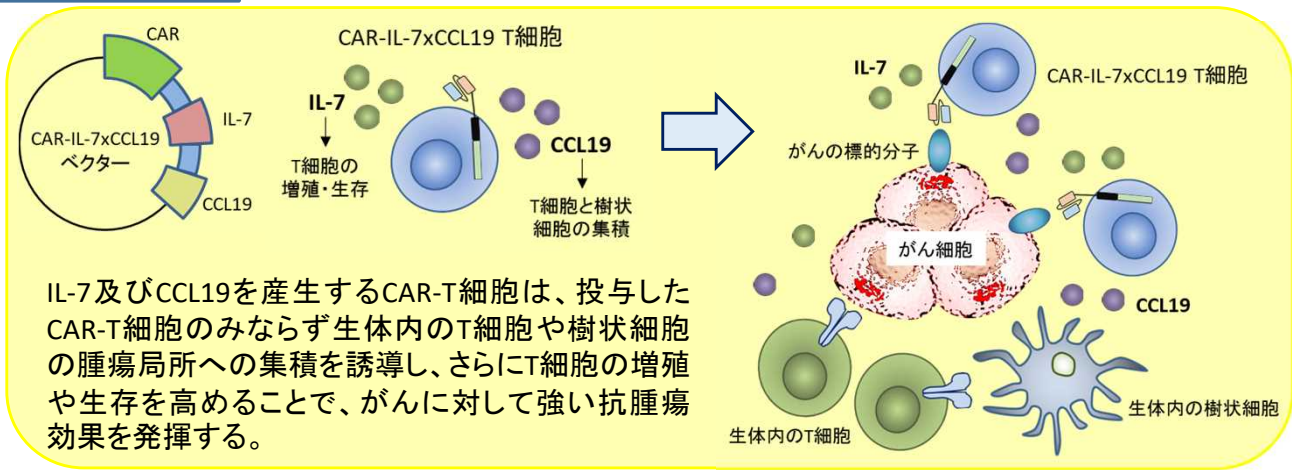
具体的な研究内容等

プロジェクト③(再生・細胞医療・遺伝子治療)

固形がんに対するIL-7/CCL19産生型CAR-T細胞療法の研究開発(R1～R3)
国立大学法人山口大学 玉田耕治

研究内容

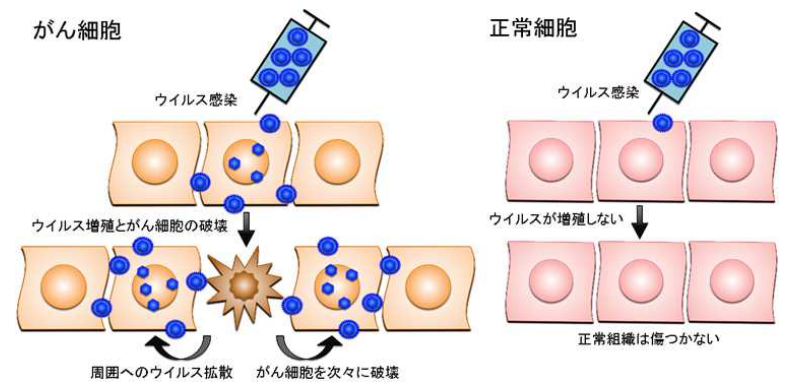
研究代表者らは、固形がんに対するCAR-T細胞療法の標的分子として、CAR発現効率及び腫瘍増殖抑制作用の高い分子を見出した。また、当該分子を認識するCARに加え、IL-7及びCCL19を組み込んだCARを発現するCAR-T細胞を開発し、非臨床試験及びGMP製造体制の構築を行った。本結果をもとに国内企業へ導出され、以後の臨床開発は企業のもとで行う予定である。



革新的抗がんウイルス療法の実用化臨床研究(H27～R2)
国立大学法人東京大学 藤堂具紀

研究内容

第三世代のがん治療用ヘルペスウイルス G47Δを用いて、悪性脳腫瘍の一種である膠芽腫の医師主導治験を実施し、1年生存率84.2%と高い有効性を示した(標準治療の1年生存率は14%)。本結果をもとに国内導出先企業とともに、令和2年12月に製造販売承認申請を行い、令和3年6月に製造販売承認された。



期待されるアウトプット、アウトカム

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト【期待されるアウトプット、アウトカム】令和5年度末迄の達成状況(括弧内は令和6年度までの達成目標)

【アウトプット】

- ・治験に移行した研究課題数 10件 (うち、遺伝子治療 4件)(5件 (うち、遺伝子治療 1件))

【アウトカム】

- ・企業へ導出される段階に至った研究課題数 5件 (うち遺伝子治療の件数 1件)(2件 (うち遺伝子治療の件数 1件))
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行 7件(-)
- ・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 2件(1件以上)

具体的な研究内容等

プロジェクト④(ゲノム・データ基盤)

がんリスクに対する環境要因・遺伝要因の公衆衛生学的インパクトを評価する大規模分子疫学研究(R2～R4)
愛知県がんセンター 松尾 恵太郎

研究内容

日本の11,000人以上の胃がん患者群と44,000人以上の非がん対照群を用いた世界最大規模の症例対照研究を行い、胃がんのリスクに関連する遺伝子の存在とその特徴を示し、それらの遺伝子の病的バリエーションがヘリコバクター・ピロリ(ピロリ菌)感染による胃がんのリスクを増強させていることを明らかにした。また、相同組換え修復機能に関わる遺伝子群の病的バリエーション保持者は、非保持者と比較して、ピロリ菌除菌により胃がんのリスクをより一層低減させることができる可能性が示された。本研究成果は、診断の精度向上、原因遺伝子を標的とした治療法開発、より適切な胃がんの予防対策など、胃がんのゲノム医療に貢献すると期待できる。【ゲノム創薬基盤推進事業との共同研究】

動体追尾強度変調回転放射線治療技術の開発と実行可能性臨床試験(R3～継続中)
国立大学法人京都大学 溝脇尚志

研究内容

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治療計画との比較が行われ、動的追尾VMATの有用性が示唆されたこと(R2～4年、領域6b)、医学物理研究でファントム実験、4D-CBCTの開発、feasibility studyのプロトコル作成を行い、動体追尾VMATの課題克服を目指したこと(R3～5年、領域4)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H23年以降の薬機承認(R5年7月)となった。動体追尾VMATが可能のため、国内外への急速な装置の普及ならびに今後の多施設共同研究への展開が期待される。

標準的乳がんラジオ波熱焼灼療法開発に係る多施設共同試験 (H27～継続中)
国立病院機構東京医療センター 木下貴之

研究内容

早期乳癌へのラジオ波熱焼灼療法の有効性の検証と標準化に向けた多施設共同研究RAFAELO試験(NCCH1409試験)
本試験は腫瘍の大きさが 1.5 cm以下の単発、触診及び画像診断による 腋窩リンパ節転移及び遠隔転移を認めない限局性早期乳がんの患者さんを対象にCool-tip RFAシステム Eシリーズを用いたRFAの有効性・安全性を評価する第Ⅲ相医師主導特定臨床研究である。RAFAELO試験の短期的有効性および安全性の結果が評価され、R5年7月7日に早期乳癌へのRFAの適応拡大およびR5年12月1日に早期乳癌へのRFAの保険収載が承認された。先進医療制度下で行われた特定臨床研究の成果を活用した医療機器の薬事承認の取得は本邦初である。

期待されるアウトプット、アウトカム

- ④ゲノム・データ基盤プロジェクト【期待されるアウトプット、アウトカム】令和5年度末迄の達成状況(括弧内は令和6年度までの達成目標)
【アウトプット】
- ・臨床POCの取得件数 17件(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) 2,137件(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 1891件(-)

遺伝要因がピロリ菌感染の胃がんリスクを高めることを解明
ーピロリ菌除菌によりその高まったリスクを低減できる可能性ー

	病的バリエーション 非保持	病的バリエーション 保持
ピロリ菌 陰性	1.00 : 基準	1.68 (0.59 – 4.83)
ピロリ菌 陽性	5.76 (4.88 – 6.80)	22.45 (12.09 – 41.70)

(内は 95%信頼区間)

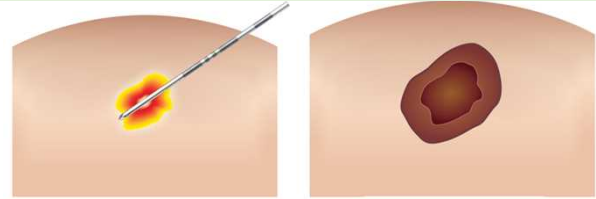
病的バリエーションとピロリ菌感染情報を組み合わせて算出した胃がんのオッズ比

プレスリリース: https://www.riken.jp/press/2023/20230330_1/index.html
Yoshiaki Usui, N Engl J Med 2023; 388:1181–1190



プレスリリース: <https://www.hitachi.co.jp/New/cnews/month/2023/07/0719.pdf>

早期乳がんに対するラジオ波熱焼灼療法による切らない治療が
薬事承認・保険適用を取得



焼灼中イメージ
焼灼後イメージ
プレスリリース: https://www.ncc.go.jp/jp/information/pr_release/2023/1215/index.html

具体的な研究内容等

プロジェクト④(ゲノム・データ基盤)

胆道がんに対する治療法の確立に関する研究(H27～R3)
国立研究開発法人国立がん研究センター 小西 大

研究内容
根治切除後胆道癌に対する術後補助療法は、いまだエビデンスをもって有効とされる治療法が確立していない。術後補助療法としてのS-1療法の第III相試験(JCOG1202)は、根治切除例を対象として、術後S-1療法の手術単独療法に対する優位性の検証を行うことを目的として実施した。結果から、S-1補助療法が胆道がん根治手術後の標準治療となる。日本だけでなく海外のガイドラインでも標準治療に書き換えられ、胆道がん患者さんにさらに有効な治療が提供されることが期待される。

乳がん患者の再発に対する恐怖をスマートフォンアプリを用いて軽減することに世界で初めて成功(H29～R2)
名古屋市立大学 明智龍男

研究内容
患者が、スマートフォンで遠隔的に臨床研究に参加できる分散型臨床試験の基盤を患者市民参画で開発し、認知行動療法のアプリを用いて、世界で初めて、乳がん患者の再発に対する恐怖感を軽減することに成功した。本成果により、医療機関に来院することなく、自分のスマートフォンからアプリを使って場所や時間を選ぶことなく苦痛を和らげる医療を受けることが可能となり、「精神心理的苦痛の緩和が不十分」という現状の問題解決への加速と、患者個々の特性に対応したスマートフォン精神療法のPrecision Medicineの実現が期待される。

小児急性リンパ性白血病に対する標準的治療法の確立(R2～R4)
国立大学法人北海道大学 真部淳

研究内容
小児と24歳までのAYA世代のT細胞性急性リンパ性白血病(T-ALL)患者を対象に小児型治療の臨床試験(ALL-T11)がH23年より開始され、国内の小児科と血液内科125施設が参加し全国的な治療の均てん化を果たした。R3年に追跡終了、R4年にデータ解析を行い、きわめて良好な結果が得られた。さらに、頭蓋放射線照射や同種造血細胞移植治療を受ける患者の割合も減少した。
この成果はR5年米国血液学会ASHで報告、Lancet Haematology に掲載され、R6年末に小児白血病・リンパ腫診療ガイドライン改訂に掲載予定である。

S-1補助療法が胆道がん根治手術後の標準治療となることを証明—The Lancetに論文発表—

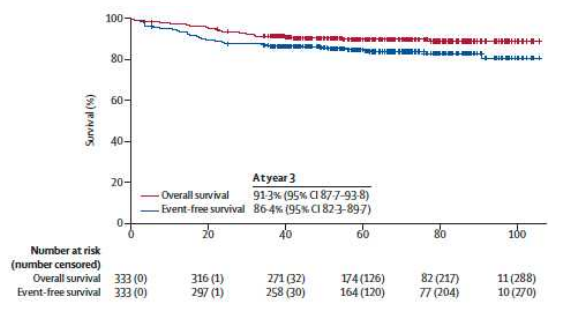
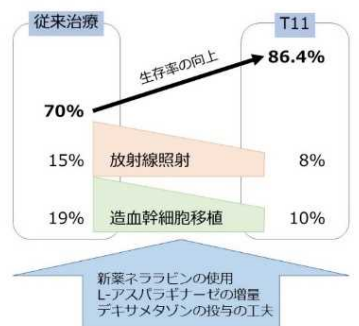
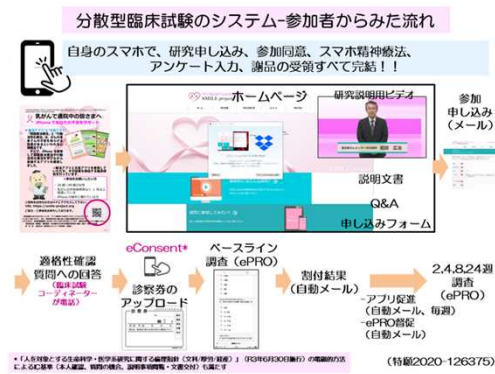
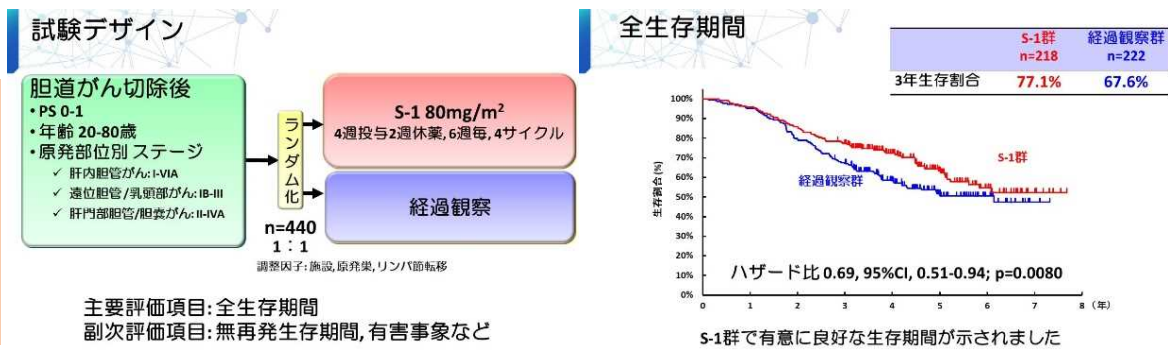


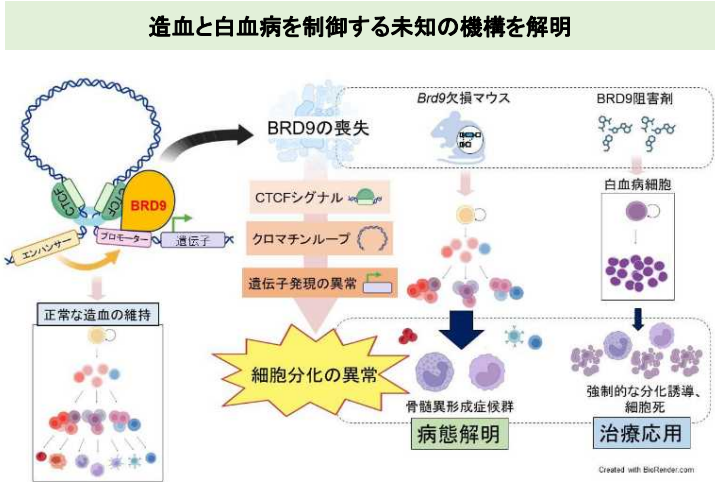
図: 結果のポイント
ALL-T11臨床試験では、3年の無イベント生存率が向上し、頭蓋放射線照射と造血幹細胞移植を受ける患者の割合を半減できた。
プレスリリース: https://www.huhp.hokudai.ac.jp/wp-content/uploads/2023/05/release_20230510.pdf

具体的な研究内容等

プロジェクト⑤(疾患基礎研究)

BRD9スプライシング異常との合成致死性を利用した新規治療戦略の開発(R3～R5)
公益財団法人神戸医療産業都市推進機構 井上 大地

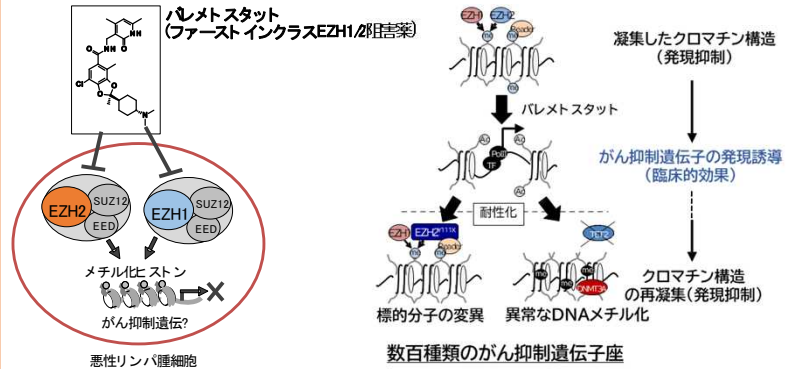
研究内容 骨髄異形成症候群(MDS)などで認められるスプライシング異常を介したBRD9の機能喪失が疾患病態に直接寄与することをこれまでの開発項目において詳細に明らかとしてきた。本研究課題において、BRD9喪失によるクロマチン3次元構造の変化に起因するMyeloid-lineage skewingやDNA損傷修復異常などの特異的経路を背景としていることを明らかにした。また、BRD9阻害による急性骨髄性白血病(AML)のMyeloid分化誘導作用を利用した治療応用も同時に進めており、AML細胞においてもBRD9欠損により分化が誘導され、AML発症が抑制されることも明らかにした。本研究成果は、BRD9が造血における役割を明らかにすると共に、BRD9を標的とした新たな白血病治療法に繋がるのが期待される。本成果は、2023年12月にLeukemia誌に掲載された。
※神戸医療産業都市推進機構プレスリリースから引用改変：
https://www.fbri-kobe.org/upload/view.php?news_id=1250&type=main



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(R3～R5)
国立大学法人東京大学 山岸 誠

研究内容 ヒストンメチル化阻害剤バレッ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。バレッ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。本研究成果は、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。本成果は2023年2月にNature誌に掲載された。
※東京大学プレスリリースから引用改変：
<https://www.k.utokyo.ac.jp/information/category/press/8152.html>

ヒストンメチル化酵素阻害剤のヒト成体内での作用機序、耐性機構を解明



期待されるアウトプット、アウトカム

⑤疾患基礎研究プロジェクト【期待されるアウトプット、アウトカム】令和5年度末迄の達成状況(括弧内は令和6年度までの達成目標)
【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 2件(-)

事業概要(背景・目的)

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、R6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。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	200,000
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	910,143
疾患基礎研究	194,453
シーズ開発・研究基盤	0
計	1,304,596

令和7年度概算要求のポイント

PJ1においては、新たな認知症治療薬の開発に向けて、令和6年度より、「アルツハイマー病を対象とした新規治療薬の研究」及び「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」を開始している。令和7年度は2年度目に当たり、これらの研究を継続する。

PJ4としては、令和3年度より「環境と遺伝的・生物学的要因及びその相互作用が認知症に与える影響の解明に資するコホート研究」(継続)、「プレクリニカル期」・「軽度認知障害期」・「発症後(BPSD等ケア)」と、認知症発症の各ステージに焦点を当てた研究を推進している(継続)。また、令和4年度より認知症発症者を対象とするゲノム解析研究の充実のため後向きコホート研究(継続)、令和5年度より遺伝性認知症を対象としたコホート構築研究、2次公募としてアルツハイマー病の疾患修飾薬投与者追跡レジストリの構築研究を開始した(継続)。そして、令和6年度より「認知症研究プラットフォーム構築研究」「DCTの概念を活用した分散型検査体制構築研究」(継続)を開始する。令和7年度にはアミロイド関連画像異常からアルツハイマー病の病態解明を進めるための研究として「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」を推進し、抗Aβ抗体薬をより効率的に使用することで抗Aβ抗体の普及に寄与する。

PJ5としては、ヒトおよびヒト由来生体試料を対象とする病態解明研究は重要であることから、ターゲット分子の異なるかたちでのシナプス機能障害(脱落)と神経細胞死を引き起こすメカニズムを明らかにするための研究開発を推進する(継続)。また、令和6年度より、ADおよび非AD認知症において、客観的で簡便であるバイオマーカーの開発を目指し、早期診断法・治療効果測定法に資するバイオマーカー探索を行い、開発・検証を行う(継続)。令和7年度には、アミロイド関連画像異常からアルツハイマー病の病態解明を進めるための研究として「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」(新規)を推進し、抗Aβ抗体薬をより効率的に使用することで抗Aβ抗体の普及に寄与する。また引き続き認知症診療に資するバイオマーカー開発研究を推進する(新規)。

※アミロイド関連画像異常(ARIA: Amyloid-related imaging abnormalities)

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

- <ゲノム・データ基盤PJ>

○認知症疾患コホートを活用したゲノム統合解析による認知症層別化と脳内病態メカニズムの解明研究において、全ゲノム配列解析から日本人特異的に見られるアルツハイマー病発症に関わるHLAハプロタイプを発見、また多因子リスクスコア構築により日本人アルツハイマー病の遺伝的リスクの解明に寄与した。○「健康長寿社会の実現を目指した大規模認知症コホート研究」では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。○「認知症前臨床期を対象とした薬剤試験に即刻対応できるコホートを構築する研究」では、アルツハイマー型認知症前認知症期を主対象とする試験対応コホート構築のためウェブスタディ(オンラインでの検査)の令和6年3月11日時点で登録者数は14,106名、オンサイトスタディ(来院しての詳細な検査)は累計681名を登録した。
- <疾患基礎基盤研究PJ>

○「アルツハイマー病早期発見に資する新規血液診断マーカーの確立と診断法開発に関する研究」(令和2～4年度)、「反応性アストログリオー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)、「非病変蛋白脳画像と液性バイオマーカーを取り入れた早期認知症の層別化研究」(令和3年度～5年度)により、認知症診断や層別化に資するバイオマーカーの開発を推進した。

○「ヒト由来データ・試料を活用した認知症疾患の病態メカニズム解明に向けた研究」(令和4年度～)、「臨床サンプル・データを用いた認知症性疾患の病態解明を目的とする研究」(令和5年度～)により、認知症性疾患の病態解明につながる研究開発を推進した。
- <ゲノム・データ基盤PJ>アウトプット(令和2年度～令和6年度)

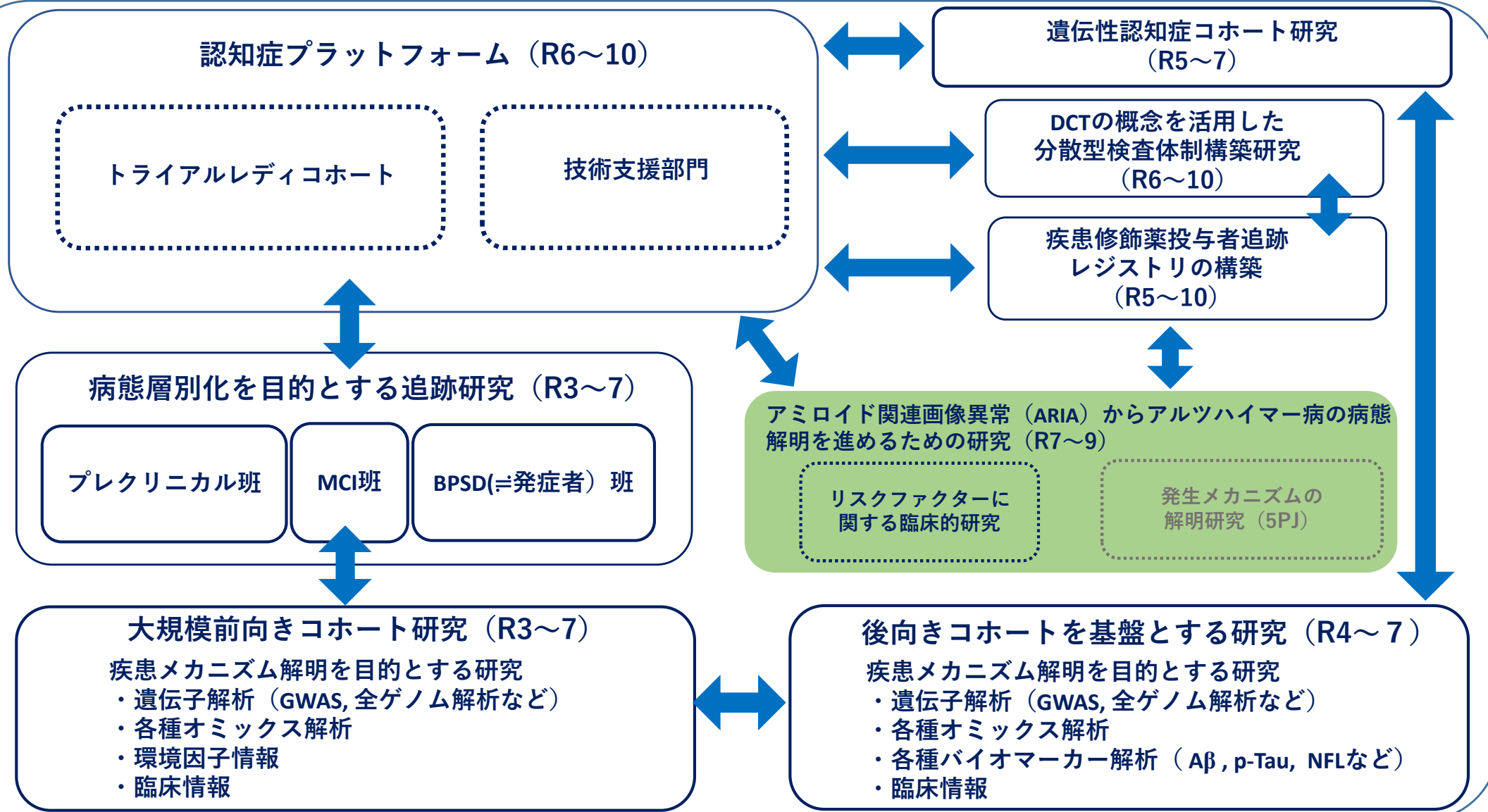
 - ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 60件
 - ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況(管理指標)
 - ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 1件

<疾患基礎研究PJ>アウトカム(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

具体的な研究内容等(PJ4)

相互協力体制



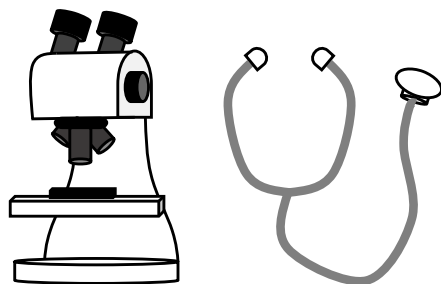
期待されるアウトプット、アウトカム

・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

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。

具体的な研究内容等(PJ5)



効果的な治療・介入手法の
開発に向けたヒトを対象と
する疾患基礎研究の推進

認知症の病態解明を目指した研究

臨床情報やバイオマーカーなどの各種解析データを利活用し、**ヒトおよびヒト由来生体試料を対象とする疾患基礎研究の推進**により、アルツハイマー病をはじめとする認知症性疾患の病態解明につなげる。

- ✓ 臨床サンプル・データを用いた認知症性疾患の病態解明を目的とする研究 (R5～R7)

認知症を科学的にとらえるための研究

早期診断法・治療効果測定法に資するバイオマーカー探索を行い、**客観的で簡便なバイオマーカーの開発**を目指す。

- ✓ 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 (R6～R8)
- ✓ 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 (R6～R8)

アミロイド関連画像異常 (ARIA) からアルツハイマー病の病態解明を進めるための研究 (R7～9)

リスクファクターに
関する臨床的研究
(4PJ)

発生メカニズムの
解明研究

認知症診療に資するバイオマーカーの開発研究
(R7～9)

期待されるアウトプット、アウトカム

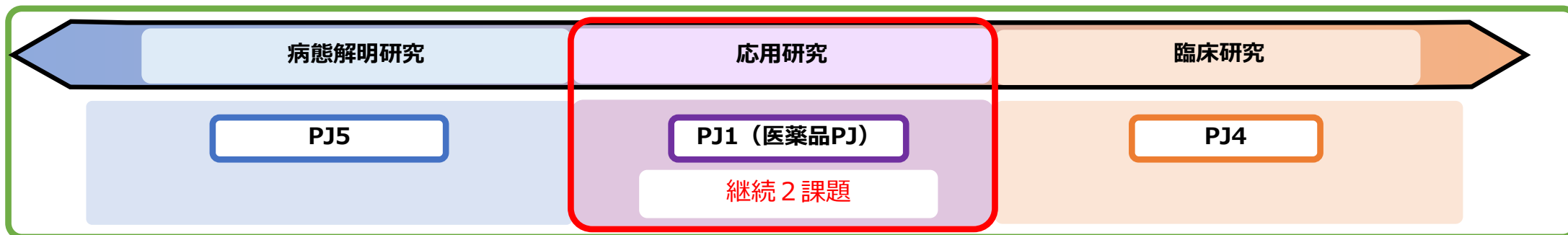
ヒトから得られた臨床情報をもとに、ヒトを対象とする疾患基礎研究を遂行することで、未だ不明な認知症疾患の発症機序解明と新規薬剤ターゲットの同定を目指す。また、客観的で簡便であるバイオマーカーの開発を目指す。

具体的な研究内容等(PJ1)

「認知症の発症・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日健康・医療推進戦略会議)が政府の方針として示され、創薬標的から創薬シーズの創出、創薬シーズから治験に直結する研究開発支援等を行うこととされた。



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の取得を目指す。対象疾患は、アルツハイマー病及びアルツハイマー病以外の認知症疾患とする。



アルツハイマー病

アミロイドβ
クリアランス

「光酸素化触媒によるアミロイドクリアランス技術開発」(R6～R10)

アルツハイマー病
以外の認知症疾患

レビー小体型認知症
前頭側頭型認知症 等

「非アルツハイマー型認知症の新規治療薬についての研究」
(プリオン様の構造変化や増幅を阻害するタンパク質性治療薬の研究) (R6～R10)

プリオン様活性阻害
(α-シヌクレイン、タウ等)

期待されるアウトプット、アウトカム

<医薬品PJ> 令和6年度～令和10年度

【アウトプット】非臨床POCの取得件数: 1件以上、【アウトカム】シーズの企業への導出件数: 1件以上

事業概要（背景・目的）

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。このような状況を鑑み、入院医療中心の精神医療から精神障害者の地域生活を支えるための精神医療への改革の実現に向け、精神疾患を発症して精神障害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だが、国民の理解の深化、精神科医療提供体制の機能強化、地域生活支援の強化が課題となっている。本研究事業では、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。

令和7年度概算要求のポイント

- ・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を推進するとともに、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を推進する。また、精神疾患レジストリに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・医療機器の研究開発を推進する。
- ・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・障害（disability）評価法及び精神疾患の適正な治療法を確立し、社会実装を可能とする研究を推進する。特に、薬物療法や医療機器の社会実装に資する研究開発及びポリジェニックリスクスコア等を活用したプレジジョン・メディシン（遺伝情報等に基づく精密医療）に資する研究開発を推進する。
- ・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。
- ・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。

これまでの成果概要等

（※）アウトプット、アウトカムについては、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。

- ・精神疾患レジストリにおいて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6年3月）。
 - ・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を証明した（令和5年12月）。
 - ・新型コロナウイルス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を開始した（令和3年4月）。
 - ・性格による層別化がトリプトファン、セロトニン、キヌレニンなどのうつ病血液バイオマーカーの識別性能を向上させることによって、うつ病の客観的診断法の開発の促進に寄与した（令和2年10月）。
- 【ゲノム・データ基盤】
- <アウトプット> ・研究成果の科学誌への論文掲載（令和2～4年度）（IF5以上）31件※、（IF5未満）192件※クラリベイト Journal Citation Reportsより集計
- <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（令和2～4年度）1件
 - ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数（令和2～4年度）0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（令和2～4年度）0件

具体的な研究内容等

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を推進し、新たな疾患概念の確立とともに、診断と治療の一体化を実現する。特に、レジストリに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企業の治験データ等との統合解析を実現し、薬事承認を目的とした医薬品・医療機器の研究開発を推進する。

※下図参照

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。

心の健康づくり等に資する研究開発

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。

依存症の治療回復に資する研究開発

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。

精神疾患における疾患異種性の克服、発症メカニズム解明、客観的診断法、適切な治療法の確立、発症予防や重症化軽減の促進

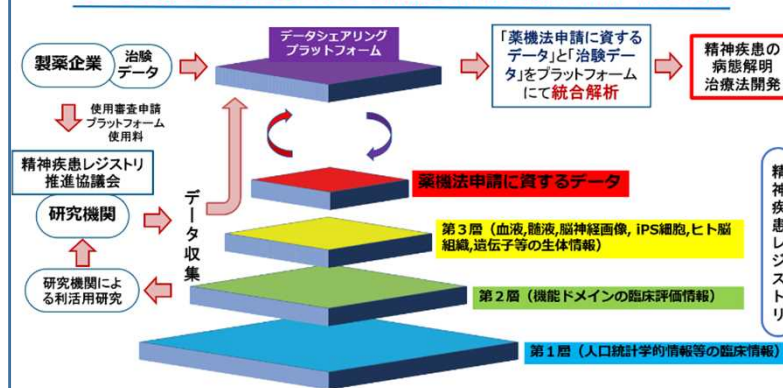
【期待されるアウトプット】

- ①精神疾患レジストリの活用を通じた、客観的診断・治療の最適化、予後向上等に資するエビデンスの創出、及び精神障害分野におけるトランスレーショナルリサーチの推進等による、精神保健医療福祉の向上に資する研究基盤の構築
- ②精神疾患の客観的診断法及び障害（disability）評価法の確立、精神疾患の適正な治療法の確立
- ③精神疾患・発達障害の早期発見・早期支援等を図るための介入プログラムの開発等による精神疾患や発達障害の重症化予防等
- ④物質使用障害や行動嗜癖等の嗜癖性障害の発症危険因子・重症化予測因子・高リスク群の同定、新規治療法の開発等
- 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用等研究の構築が推進されることで、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の促進。
- ②シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件
- ③臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 3件
- ④疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 2件

データシェアリングプラットフォームによる精神疾患の病態解明・治療法開発



事業概要(背景・目的)

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・感覚器障害等を招く疾患についての病因・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、重症化軽減等の障害児者への医療、ケア等に資する先進的・実践的な研究・開発を推進する。

PJ(モダリティ)区分	要求額
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	177,197千円
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	177,197千円

令和7年度概算要求のポイント

障害者の社会復帰/社会参加には、障害からの機能回復により社会復帰を目指すだけでなく、先天性疾患等において機能維持による社会参加を目指す支援が求められる。また、こうした社会復帰/社会参加支援は、入院中のみならず退院後生活の中でこそ切れ目なく実施される必要があり、こうした医療から福祉までの連続したケアに資するシステム、支援プログラム、医療・福祉機器等を構築・開発し、効果検証により、実用化を促進する。

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

- ・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。
 - ・次世代シーケンサー(NGS)を応用した新たな難聴の診断法により、多くの新規難聴遺伝子変異を解明し、NGSデータベースと臨床情報データベースを構築して臨床に還元するシステムを開発し、保険収載に貢献。
 - ・ロービジョンケア(LVC)を必要とする視覚障害者に適切にLVCが導入可能なように、スマートサイト(啓発パンフレット用い、医師による必要な患者のLVC導入を促進するプロジェクト)を立ち上げ、全国規模でのシステム連携を構築した。
 - ・運動想像中の脳活動を用いて、神経機能ネットワークの可塑的変化を誘導するNIRSニューロリハシステムの医療機器認証にむけて、脳卒中後歩行障害患者の機能回復促進効果を確認する検証的医師主導治験実施のためのプロトコル開発を行い、治験導出した。
 - ・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。
- 【ゲノム・データ基盤】
 - ＜アウトプット＞
 - ・臨床POCの取得件数（令和2～4年度）0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（令和2～4年度末）4件
 - ＜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（令和2～4年度）0件
 - ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数（令和2～4年度）0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（令和2～4年度）0件

具体的な研究内容等

身体・知的障害分野

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

障害児・者の社会復帰/社会参加には、障害からの機能回復により社会復帰を目指すだけでなく、先天性疾患等において機能維持による社会参加を目指す支援が求められる。また、こうした社会復帰/社会参加支援は、入院中のみならず退院後生活の中でこそ切れ目なく実施される必要があり、こうした医療から福祉までの連続したケアに資するシステム、支援プログラム、医療・福祉機器等を構築・開発し、効果検証により、実用化を促進する。

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

同じ障害の中でもその特徴や効果的なリハビリテーション治療は必ずしも同一ではない。そこで、リハビリテーション治療における層別化・個別化を図り、個々に適切な医療を提供する。また、層別化や個別化を示す知見から、新たな病態生理を明らかにする。

感覚器障害分野

感覚器障害者の社会復帰/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

感覚器障害者の社会復帰/社会参加には、障害からの機能回復により社会復帰を目指すだけでなく、先天性疾患等において機能維持による社会参加を目指す支援が求められる。また、こうした社会復帰/社会参加支援は、入院中のみならず退院後生活の中でこそ切れ目なく実施される必要があり、こうした医療から福祉までの連続したケアに資するシステム、支援プログラム、医療・福祉機器等を構築・開発し、効果検証により、実用化を促進する。

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

同じ障害の中でもその特徴や効果的なリハビリテーション治療は必ずしも同一ではない。そこで、リハビリテーション治療における層別化・個別化を図り、個々に適切な医療を提供する。また、層別化や個別化を示す知見から、新たな病態生理を明らかにする。

【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。また臨床知見に着眼した障害児・者の医療・支援の質的向上を実現する。（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重度化や二次障害への介入プログラムの開発等。さらに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開発。
- 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

事業概要(背景・目的)

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)をはじめとして、インフルエンザ、結核、動物由来感染症、薬剤耐性菌、ヒトT細胞白血病ウイルス1型(HTLV-1)等、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」、「薬剤耐性(AMR)対策アクションプラン」等を踏まえ、主に5項目(①感染症の総合的な公衆衛生対策に資する研究、②臨床研究の推進、診療体制の確保に資する研究、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感染症危機対応医薬品等(MCM)に関する研究、⑤国際ネットワーク構築に資する研究)を主軸に据え、開発研究を行う。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	2,087,931
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	0

令和7年度概算要求のポイント

これまで推進してきた5項目(事業概要に記載の下線部①～⑤)を主軸とした重要な研究課題に加え、新たに以下の研究を推進する。

1. 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
2. 薬剤耐性(AMR)に対する新規治療法の開発研究
3. 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

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

- ・COVID-19感染症に対する治療薬開発において、新規3CLプロテアーゼ阻害薬の非臨床試験を実施した後、第1相試験を開始した。
- ・アスペルギルス症の迅速診断法の開発において、非臨床POCを取得し、企業導出に至った。
- ・抗結核ファージ製剤の開発において、非臨床の評価系の構築、非臨床POCの取得を行い、企業導出に至った。

【医薬品PJ】

＜アウトプット＞

- ・非臨床POCの取得件数(令和2～5年度)52件
- ・臨床POCの取得件数(令和2～5年度)7件

＜アウトカム＞

- ・シーズの企業への導出件数(令和2～5年度)34件
- ・薬事承認件数(新薬、適応拡大)(令和2～5年度)5件
- ・創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数(令和2～5年度)22件

具体的な研究内容等

新たに推奨する研究について、これまで推進してきた5項目に資する研究を通して国内外の様々な感染症に関する疫学的調査及び基礎研究並びに基盤技術の開発等を実施し、診断薬、治療薬及びワクチン等の創薬研究開発を一体的に推進する。

新興・再興感染症に対して新たに推進する研究:

1. 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)
2. 薬剤耐性(AMR)に対する新規治療法の開発研究
3. 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

基盤研究
実用化

総合的な 公衆衛生対策 に資する研究

- 病原体流行予測など、感染症対策に資する数理モデルの開発
- 病原体ゲノムデータベースの構築及びその活用等
- サーベイランス体制の構築(病原体検出法の開発、下水サーベイランス等)

診療体制の確保、 臨床研究の推進 に資する研究

- 地域連携のためのデータ収集・解析・共有システムの構築
- REBIND、臨床研究ネットワーク等の活用

ワクチンの実用化 及び予防接種の 評価 に資する研究

- 既存ワクチンの改良及び実用化

危機対応医薬品 等(MCM) に関する研究

- AMRを含む重点感染症に対する診断・治療法の確立、医薬品の研究開発
- 重症呼吸器感染症の迅速診断法等の開発
- 新規抗菌薬など、新規治療薬の開発

国際ネットワーク 構築 に資する研究

- 国際的なラボラトリーネットワーク構築促進と共同研究体制の強化
- 国内への流入・発生に備えた感染症の実態把握・情報収集

総合的な感染症対策の強化



新興・再興感染症研究基盤創生事業と連携
海外研究機関との連携

期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】

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

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

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

事業概要(背景・目的)

当該研究事業は、「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」の四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。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	2,916,847
医療機器・ヘルスケア	466,696
再生・細胞医療・遺伝子治療	1,260,078
ゲノム・データ基盤	3,299,249
疾患基礎研究	601,698
シーズ開発・研究基盤	0
計	8,544,568

令和7年度概算要求のポイント

- ・ゲノム解析技術の進歩などで蓄積されつつある創薬シーズ（候補物）を効率的に選別し、遅滞なく次の創薬ステップ（非臨床試験、**治験（臨床試験含む）**）に進むため、シーズに係る研究を推進する。
- ・医療機器分野で**治験（臨床試験含む）**に関する**研究を実施**することで、希少難治性疾患に係る医療機器について実用化を目指す。
- ・再生・細胞医療・遺伝子治療分野で**治験（臨床試験含む）準備に関する研究を実行し、実用化**の推進を目指す。
- ・患者数が非常に限られた疾患を対象とした核酸医薬開発研究を加速し、本邦での患者投与の実現を推進する。
- ・**疾患レジストリを用い、これまでに創出されていないリアルワールドエビデンスをより多くの難病で創出する研究を実施する**。また、リアルワールドエビデンス創出におけるデータ収集プロセスやデータ利活用における課題を抽出・解決し、利活用研究を推進する。
- ・難病の栄養療法におけるエビデンス創出研究を実施する。
- ・**若手研究者による病態解明研究を支援することにより、創薬シーズ開発に繋がる基礎研究の裾野を広げ、持続的な創薬力の維持、発展を推進する。**
- ・DX（digital transformation）による効率的な創薬標的・シーズ探索研究を支援する。
- ・DCT（decentralized clinical trial）を取り入れた治験を支援し、遠隔でも評価可能な臨床評価指標等の開発を促進する。

これまでの成果概要等

- 未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見件数：累計 117 件（R4 年度末）
- 新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大件数：累計 16 件（R5 年度末）。
- その他治験実施中の課題が多数あり、今後更なる薬事承認（実用化）が期待される。

（参考）

- ・ 臨床研究・治験に移行した研究開発（令和5年度末） 累計 46 件
- ・ 承認申請・承認等に至った研究開発（令和5年度末） 累計 16 件
- ・ 特許申請・登録等に至った研究開発（令和4年度末） 累計 106 件

これまでの成果・概要等 続き

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

【医薬品プロジェクト】

＜アウトプット＞ 令和2～4年度

- ・非臨床POCの取得 19件 (目標 2件)
- ・臨床POCの取得 3件 (目標 3件)

【医療機器・ヘルスケアプロジェクト】

＜アウトプット＞ 令和2～4年度

- ・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 80% (目標25%)

＜アウトカム＞ 令和2～4年度

- ・医療機器のクラスIII・IVの医療機器の薬事承認件数 1件 (目標 1件)

【再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト】

＜アウトプット＞ 令和2～4年度

- ・非臨床POC取得 1件 (うち遺伝子治療1件) (目標 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) (目標1件 (うち遺伝子治療1件))

＜アウトカム＞ 令和2～4年度

- ・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、企業へ導出された件数1件)

【ゲノム・データ基盤プロジェクト】

＜アウトプット＞ 令和2～4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 317件 (目標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 117件 (目標16件)

【疾患基礎研究プロジェクト】

＜アウトカム＞ 令和2～4年度

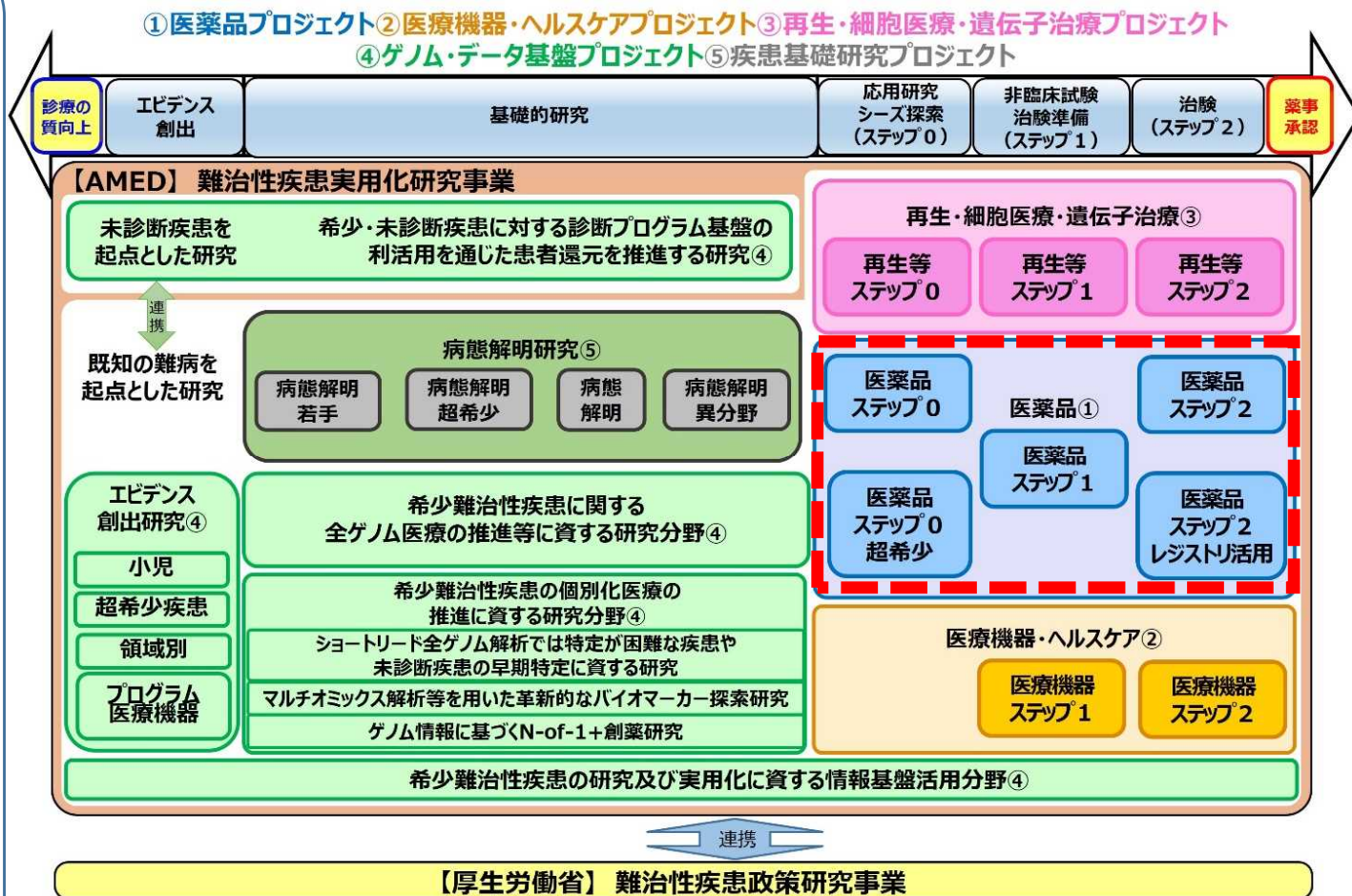
- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 4件 (目標10件)

具体的な研究内容等(医薬品)

難治性疾患(難病)において今後も企業導出を通じた薬事承認を推進するためには、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、ターゲットプロダクトプロファイルに基づき非臨床試験(薬理試験、薬物動態試験、毒性試験等)を経て治験(臨床試験等)への移行を推進する。しかし、全ての研究課題が薬事承認を取得できるわけではないため、研究開発プロセスの重要な段階で、PSPO会議等を行い進捗状況や次ステップへの移行に関する妥当性を評価(Go/No go判断)を個別に実施する。

※臨床試験前に必要となる研究に関する役割分担は、原則として以下の通り。

- ・疾病の本態解明等理論・知識の探求については、厚生労働科学研究
- ・実用化に向けた基礎的研究はAMEDの「疾患基礎研究プロジェクト」
- ・応用研究～治験はAMEDの「医薬品プロジェクト」において行う



期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】令和6年度までに非臨床POCの取得2件・臨床POCの取得3件

【期待されるアウトカム】令和6年度までに研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況

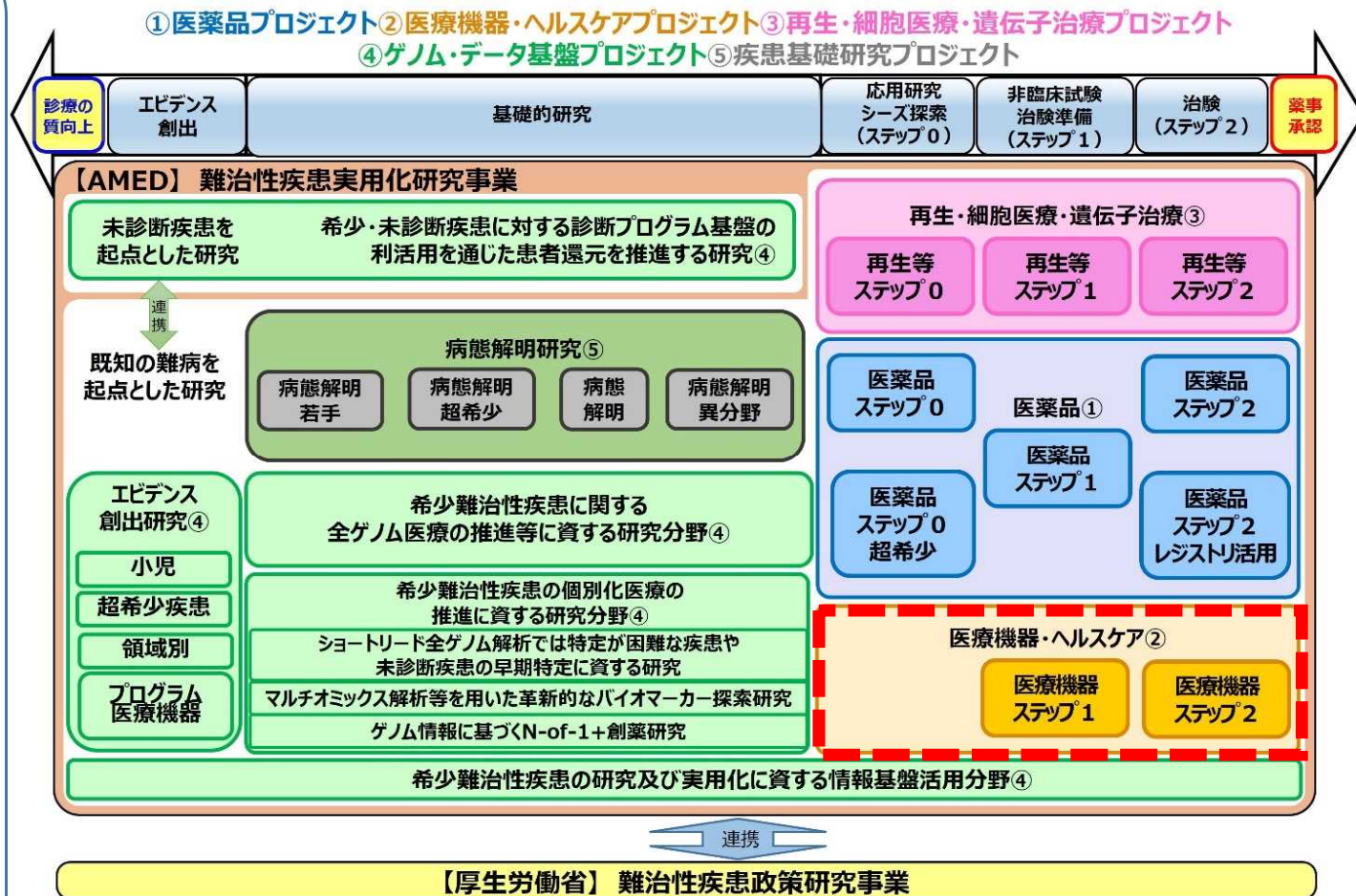
※その他管理指標のため件数目標は設定せず

具体的な研究内容等(医療機器)

希少難治性疾患に対する医療機器の開発研究を推進する。医療機器開発においては薬事承認に至るまでの開発プロセスは必ずしも一様ではなく、プロセスのどの段階においても設計の見直しが可能であり、「開発、検証、改良を繰り返しながら製品化を目指す」といった特性がある。

さらに、機器の種類、クラス(I～IV)の違い等によっても様々な開発パターンがあり、開発初期より出口戦略(薬事承認)を意識した研究の実施が重要となる。

しかし、全ての研究課題が薬事承認を取得できるわけではないため、研究開発プロセスの重要な段階で、技術的観点及び事業化の観点より、PSPO会議等を行い次ステップへの移行に関する妥当性を評価(Go/No go判断)を個別に実施する。



期待されるアウトプット、アウトカム

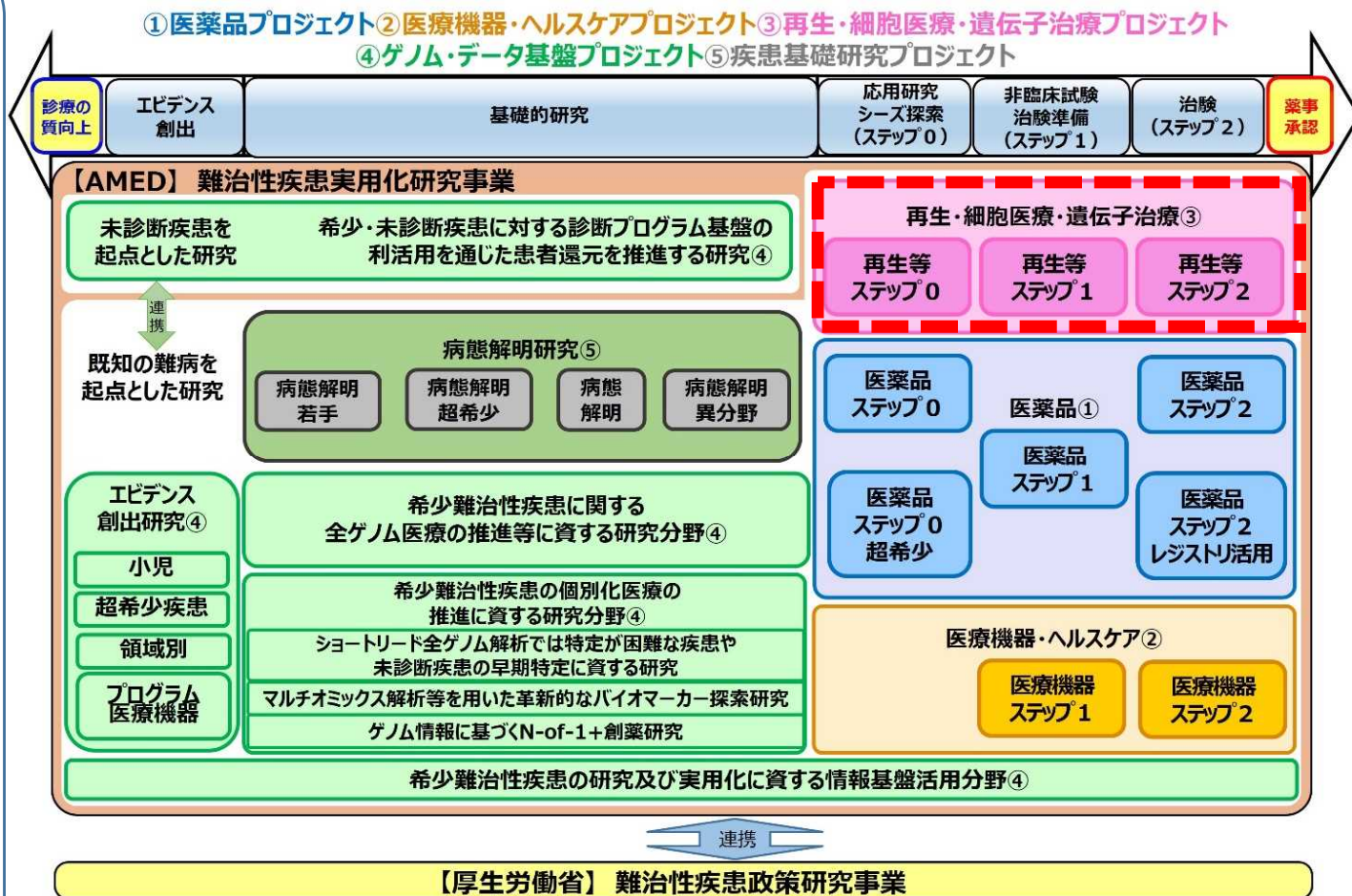
【期待されるアウトプット】令和6年度までに
医療機器のクラスIII・IVの医療機器の開発を目指す課題採択率25%
【期待されるアウトカム】令和6年度までに
医療機器のクラスIII・IVの医療機器の薬事承認件数1件

具体的な研究内容等(再生・細胞医療、遺伝子治療)

希少難治性疾患には遺伝性疾患が多く含まれ、原因遺伝子が解明されている単一遺伝子疾患に対しては遺伝子治療が根本治療になり得るため、世界的に遺伝子治療の研究が加速している。また、iPS細胞や骨髄由来幹細胞等を用いた再生医療等製品に関する治験も増加している。

引き続き有望なシーズを創出し、非臨床試験にて治験(臨床試験等)へ移行するためのデータを取得したうえで、治験(臨床試験等)により臨床POCを取得することで創出したシーズの企業導出を実現する。

なお、研究の推進にあたり、「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」と連携・協力・情報共有のうえ実施する。



期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】令和6年度までに

・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)

【期待されるアウトカム】令和6年度までに、

・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

宗廟的な明光内省寺(ツノムツ) — メモ

ゲノム解析を用いた研究として、未診断疾患の疾患特定を行い、新規病因性バリエーション候補の確定研究を行うことで、未診断疾患克服を推進する研究(IRUD)を行っている。全ゲノム解析等を推進する研究(國土班)において、難病の全ゲノムデータや臨床情報の統合情報基盤を構築し利活用研究を推進している。併せて、より高度なゲノム解析技術を用いた、個別化医療研究を推進している。臨床研究分野では、エビデンス創出研究において臨床ニーズに沿った精緻な公募枠を設定し研究を推進している。また、疾患レジストリ統合情報基盤の利活用を推進している。

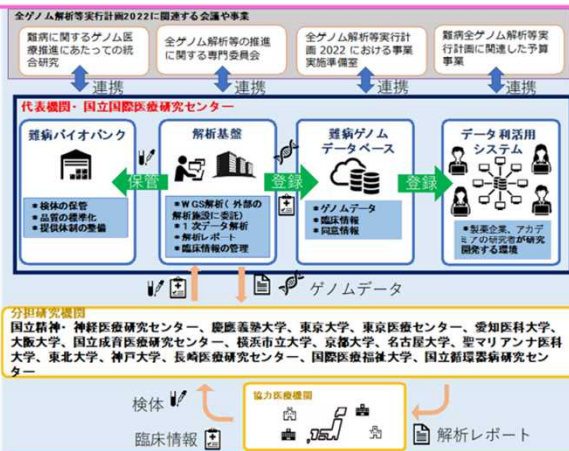
Implementation of the model

- 【期待されるアウトプット】令和6年度までに
- ・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

本研究班では、「全ゲノム解析等実行計画2022」が掲げる**創薬、研究成果の日常診療への導入、新たな個別化医療等実現に向けた実践的な研究**を行う。

患者の臨床情報とゲノム情報の統合解析を可能とする情報基盤を構築することで、難病の原因の同定や治療法・治療薬の開発を推進する。

- (1)第3者への情報提供を可能にするために書面による同意の取得などの利活用促進に向けた同意取得、
- (2)電子カルテシステムと連携するなど臨床情報の収集管理体制の強化、
- (3)ゲノム解析の精度管理などの解析体制の強化、
- (4)適切な同意情報の管理やアクセス管理などを備えたデータ利活用システムの開発



難病は診療に直結したエビデンスを創出しにくい。研究基盤が十分でない疾患領域をAMEDが重点的に支援することで、実用化研究を推進し、難病患者の医療に貢献する。

- ・ 疾患特性と研究開発目的に応じた評価指標を作成し、実用化研究に寄与する研究を推進する。

- ・ 疾患特性と研究開発目的に心

- ・小児の希少疾病は市場規模が小さく、実用化研究が遅れていることから研究を推進する。

- ・小児の希少疾病は市場規模が小さく、

- ・超希少疾患は研究基盤の脆弱性を課題として認めるが、本研究枠で支援することで、実用化を推進する。

- ・超希少疾患は研究基盤の脆弱

- ・領域統合的かつ合理的な研究開発を行い、迅速かつ多くのエビデンス創出を推進する。

- ・領域統合的かつ合理的な研究開発を行い、迅速に

- ・医療機器開発の萌芽となるプロトタイプ作製を推進する。

WILEY

2015年に発足したIRUD（未診断疾患イニシアチブ）は、網羅的ゲノム検査を用いたオールジャパンの希少・未診断疾患の診断連携・解析体制が構築されているが、依然として未診断に留まる症例・原因遺伝子未同定の疾患が存在し、それらの解決が急務である。

[illegible]

- ・解析結果の迅速な患者還元
- ・未同定病的遺伝子の全容解明
- ・遺伝子検査の診療実装

・還伝于使宣の診察

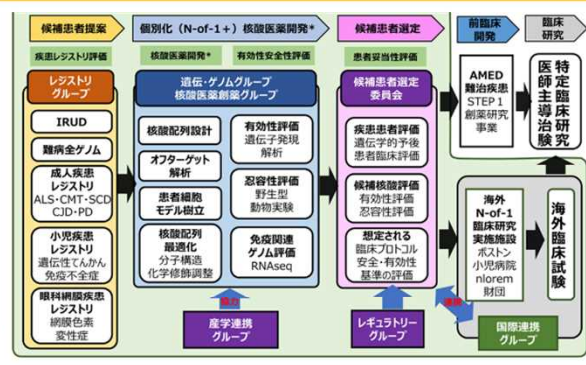
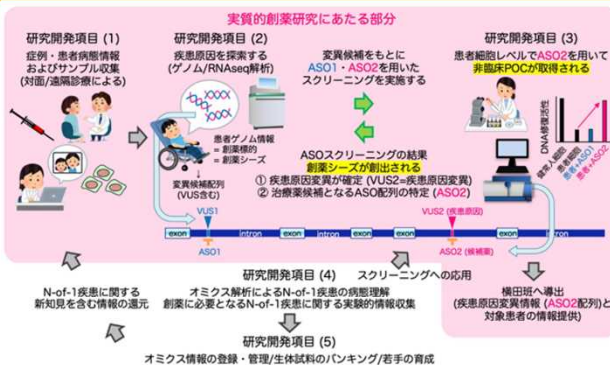
- ・病態解明、治療法開発推進

・病態解明、治療法開拓

- ・難病ゲノム基盤の構築
- ・ELSI/PPIの推進
- ・ゲノムリテラシーの向上

・ケノムリテラシーの向上

- ・国際連携の推進



近年、臨床治験の困難な予後の悪い超希少疾病に対して、米国で核酸医薬を用いた迅速な創薬と超個別化医療（N-of-1）が実現し急速に進展している。

一方日本ではレギュレーションの規制面での認定基準がなく、開発にかかる多額の費用負担の問題など、医療組織形成、法的整備、社会的な理解・協力がいまだ整っていない。

本公募枠では、核酸医薬研究に携わる2班が密接に連携し、核酸医薬医療の実現にむけた検討を行う。
ゲノム研究班である荻班がASOを作成、臨床医および産官学チームである横田班が特定臨床研究をそれぞれ目指し検証を行う。

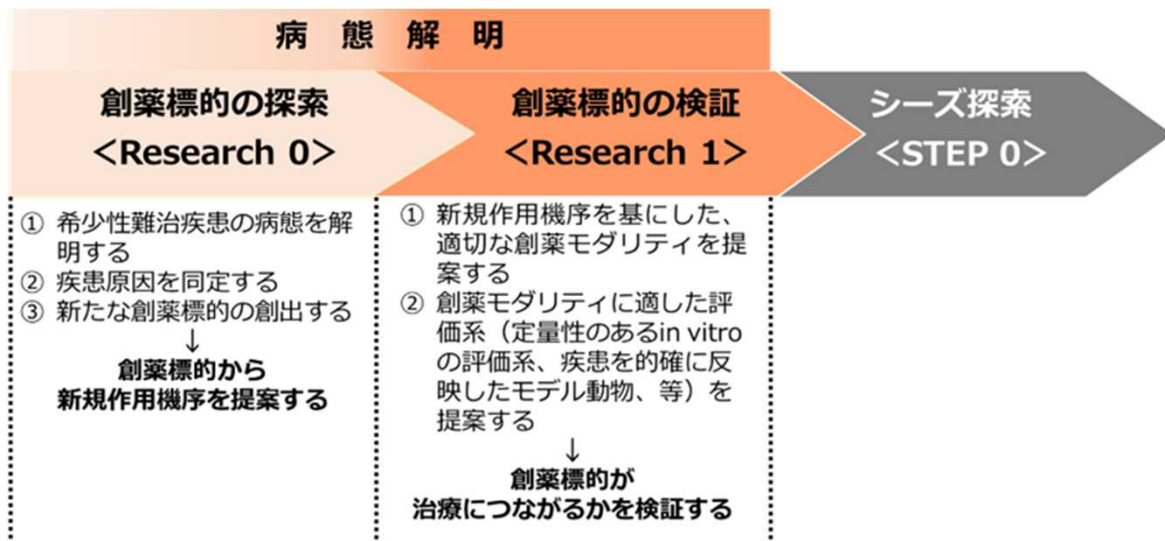
具体的な研究内容等(疾患基礎研究)

希少難治性疾患の克服を目指した病態解明研究を行う。目標である臨床応用を目指し、新たな治療・診断方法のシーズ開発を目的として新しい治療標的の企業導出・特許取得につながる革新的・独創的な研究を実施する。病態解明・若手では若手研究者の斬新なアイデアと手法で研究開発を推進する。病態解明・異分野では異分野の知見や技術を融合することで病態解明研究が飛躍的に進歩する研究を促進する。病態解明研究・超希少では企業が積極的に開発しない超希少疾患に対する診断や治療に繋がる病態解明研究支援を強化する。病態解明・Research 0/1では、病態を解明することで新規の創薬標的を見だし、その新規創薬標的を定量的に確認することで治療につながるかを検証する研究開発を実施する。

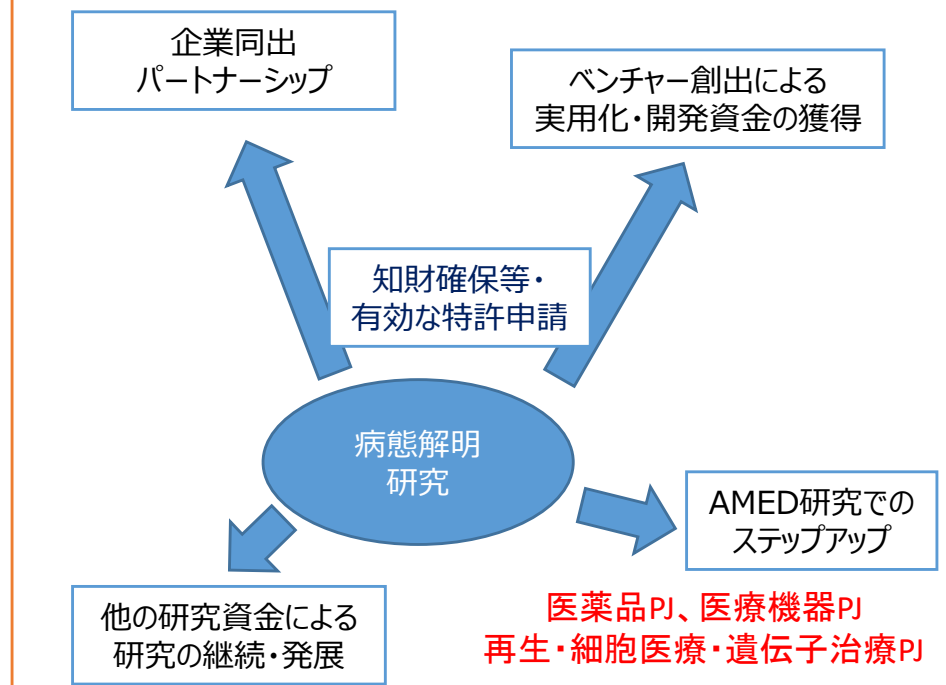
期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトカム】

令和6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件数10件



難治事業・病態解明研究のアウトカム



事業概要(背景・目的)

持続可能な開発目標(SDGs)において、改めて保健分野のゴールが設定される等、地球規模の保健課題の重要性は、国際社会において益々高まっている。また、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、令和5年度にG7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。本事業では、低・中所得国の健康・医療問題の解決に国際共同研究を通じて貢献し、我が国の保健医療外交戦略、及び我が国の保健医療の国際活用を推進する事を目的とする。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	91,749
計	91,749

令和7年度概算要求のポイント

1. 低・中所得国の健康・医療問題改善に資する、医薬品・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)
- 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、対象国の臨床現場で導入・普及されていない医薬品・医療機器・医療技術等の実装・臨床研究を令和6年度に引き続き行う。継続課題については、その有効性、安全性、リスク・ベネフィット等について測定するとともに、現地適応性、医療コスト、持続発展可能性等についても調査し、将来的な普及・実装化に向けた道筋を明らかにする。令和7年度から開始する、新規の課題については、若手研究者主導の課題も含めることで、海外で活躍する若手研究者の育成に貢献する。
2. Global Alliance for Chronic Diseases (GACD)と連携した低・中所得国における慢性疾患対策に資する実装研究
- 研究開発資金配分機関の国際アライアンスである、Global Alliance for Chronic Diseases (GACD)と連携し、国際共同研究を実施し、研究開発成果の価値向上を図る。令和5年度から開始している、「慢性疾患に及ぼす都市環境と行動変容に関する国際臨床共同研究」及び、令和6年度から開始する「多疾患併存状態患者の管理とケアを最適化するための実装研究に関する国際臨床共同研究」を継続し、政策や実践への研究成果の反映や国際機関のガイドライン策定を目指す。

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

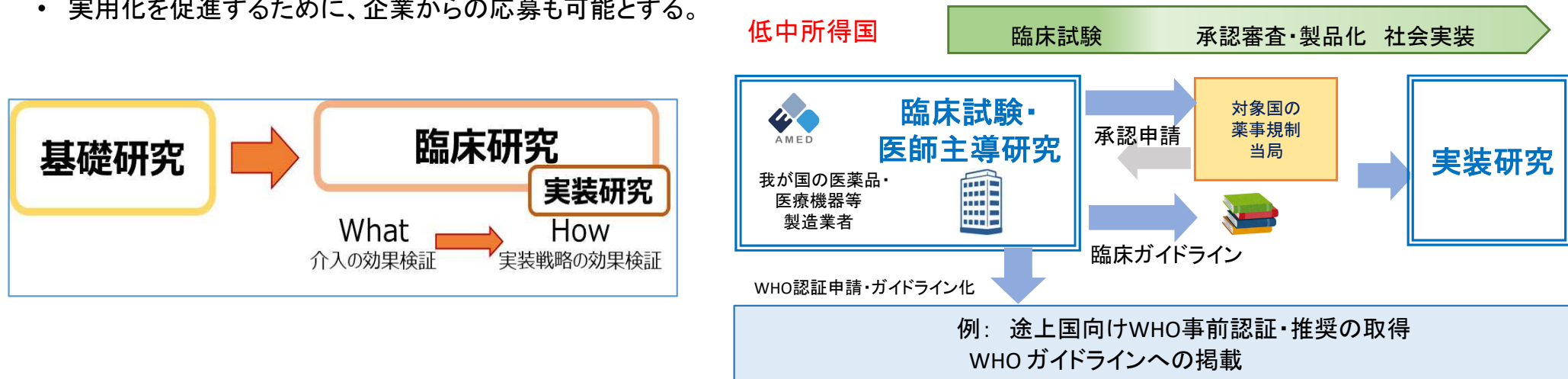
- 当事業における研究開発成果は、これまでにWHO等の国際機関のガイドラインや対象国における保健政策等に反映されている。
- <アウトプット>
- 研究対象国における医師主導臨床試験届の提出件数(体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数) (令和2年度～5年度末) 4件
- <アウトカム>
- ①研究対象国における薬事承認申請件数(令和2年度～5年度末) 0件
- ②WHO等の国際機関や各国政府機関が発行するガイドラインを含む、国際保健政策の策定及び実用への貢献(令和2年度～5年度末) 5件
- 2つのWHOの母子保健ガイドラインに、研究成果が反映された。
 - 研究成果である、WHOの保健医療人材(HRH) Profileに基づく日本版HRHプロファイルが、WPRO公式出版物として公開された。
 - 研究で開発した、WHO「心理的応急処置(PFA)フィールド・ガイド」を応用した教育ツールが、国連の成果物として公開された。
 - Ghana National Action Plan for Health Security 2019－2023に、研究成果が反映された。

具体的な研究内容等（1）

低・中所得国の健康・医療改善に資する、医薬品・医療機器・医療技術等の海外での活用に向けた実装・臨床研究（一部若手枠含む）

■ 以下の要素を満たす研究を推進する。

- 国際的に公衆衛生上大きな課題となっている疾病やその治療に資する低・中所得国における国際共同体制での実装・臨床試験の実施。
- 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・治療法を活用を目指す。
- 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社会実装の可能性や、有効性、安全性等を評価・検証する。
- 更に、医療コスト、持続発展可能性等についても調査し、将来的な実用化・事業化に向けた戦略を策定する。
- 実用化を促進するために、企業からの応募も可能とする。



■ 特に、令和7年度からは、**若手研究者の参画を支援**するとともに、**対象国としてアジア以外の国(特にアフリカ)での実装研究を推進**する。

- AMED内の、低・中所得国を対象とする他事業※で得られた知見や技術の実装化を本事業で応用することにより、他事業で国際共同研究が実施された国に加えて、他国への展開も視野に研究を行うとともに、若手研究者の活躍を後押しする。

※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やSATREPS (Science and Technology Research Partnership for Sustainable Development) を想定。

令和6年までの本事業における対象国

アジア：インドネシア、カンボジア、タイ、ブータン、フィリピン、ベトナム、ラオス、ネパール
南米：エルサルバドル
アフリカ：コンゴ民、シエラレオネ、タンザニア

SATREPS実施国例

アジア：インドネシア、タイ、トルコ、フィリピン、ブータン、ベトナム、マレーシア、モンゴル、ラオス、
南米：エルサルバドル、ブラジル
アフリカ：ガーナ、ガボン、コンゴ民、ザンビア、タンザニア

開発途上国・振興国等における医療技術等実用化研究事業(AMED)

実施国例

アジア：インド、インドネシア、タイ、ベトナム
アフリカ：タンザニア

具体的な研究内容等（2）

Global Alliance for Chronic Diseases（GACD）と連携した低・中所得国における慢性疾患対策に資する実装研究の国際協調研究公募

■ 生活習慣病の予防・診断・治療方法の国際共同臨床研究

□ GACDと連携した公募課題設定と国際協調公募

- 2017～2019年 メンタルヘルス（2課題採択）
- 2018～2022年 高血圧と糖尿病（2課題採択）
- 2021～2023年 がん（令和3年度 1課題採択）
- 2023～2026年 都市環境（令和5年度 1課題採択）
- 2024～2027年 多疾患併存（令和6年度公募、1課題採択予定）

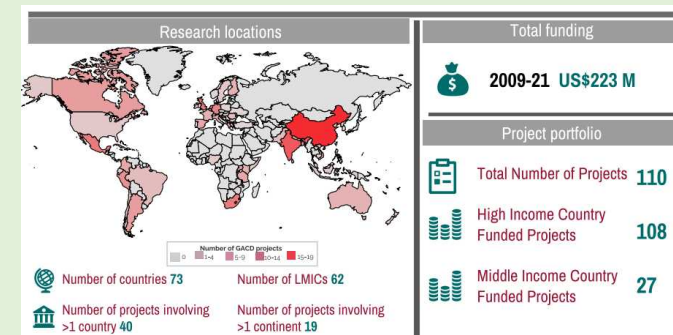
■ 国際アライアンスを活用した研究成果の最大化

- GACD研究者が参画する12の課題横断的ワーキンググループ活動を通じた、課題横断的な共同研究成果の導出。
 - － Multimorbidity研究への提言を2018年にLancetで発表。
- 同分野の研究課題間において、データシェア基盤を構築中。
- ファンディング機関間でのCo-Fundingや、世界銀行のNCDs予防事業資金を活用した研究スキームを有す。
- 2018年9月の国連ハイレベル会合では、第1期高血圧公募の研究成果を発表。

研究成果

ベトナムでiCBT（Internet based Cognitive Behavioral Therapy）プログラムを開発し、同国でRCTを実施した。うつ状態の新規発症は、対照群2.4%に比べ介入群では0.7%であり、約70%の相対リスク減少を示した。また、3ヶ月後のうつ状態の頻度は、対照群4.0%にくらべ介入群では2.0%と、約50%の相対リスク減少を示した。（東京大学 川上教授）

Global Alliance for Chronic Diseases



参照元：
“Evaluation
of the Global
Alliance for
Chronic
Diseases”,
July 2021

- 世界の公的医療研究開発資金の80%を扱う機関が加盟。
- 15加盟機関（AMED, NIH, EC, UKMRC, CIHR, NHMRC, HRC, SAMRC, CAMS, MINCYT, FAPSEP, ICMR, HSRI, CNPq, INNSZ）
- 世界66カ国で研究を実施。（総額230億円分の研究）

期待されるアウトプット、アウトカム

（※）アウトプット、アウトカムについては、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。

【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 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を含む、国際保健政策の策定及び実用への貢献：令和6年度末までに1件

本事業を通じ、他の統合PJや科学研究費助成事業等で生まれたシーズの海外展開に寄与しており、今後もシーズの国際的な導出を推進していく。

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：日米医学協力計画)

令和6年度予算額 166,157千円

事業概要(背景・目的)

日米医学協力計画は、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、アジア地域にまん延している疾病に関して、いまだ未知の分野が多々あり、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。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	166,157
計	166,157

令和7年度概算要求のポイント

- 薬剤耐性(AMR)や、COVID-19等の新興感染症への国際的対応がますます重要になっている中、日米医学協力計画を基軸とし、アジア地域等にまん延する疾病研究(新興・再興感染症、薬剤耐性、遺伝的要因と感染予防、栄養と感染等)を引き続き推進する。令和7年度には、第26回EID会議(汎太平洋新興・再興感染症 国際会議)を米国NIHと共同で、アジア(開催国は未定)で開催する。
- 日米医学協力計画においてこれまでに培った土台を活用し、日米の若手研究者・女性研究者の育成と、研究者間の将来にわたる関係構築を目的とした共同研究を推進する。これまでに多くの良質な課題が提出されていることから、引き続き、「第10回若手・女性育成のための日米共同研究公募」を行う。また、採択者のEID国際会議における成果発表を必須条件とする。更に、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、前述の公募とは別途、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与える

これまでの成果概要等

- アジア地域等にまん延する疾病(新興・再興感染症等)に対する研究組織の醸成及び国際的な情報共有。
- EID国際会議(汎太平洋新興・再興感染症国際会議)を継続的に開催し、最新の研究成果、及び研究分野を跨ぐ研究者の交流を推進。
- 国際的に活躍できる若手、及び、女性研究者の育成に貢献

<定量的な研究成果>

- ①交流実績(日本から海外への派遣者数:のべ70人、海外からの受入れ研究者数:のべ111人)
- ②学会誌・雑誌等における論文発表:215件
- ③学会・シンポジウム等における口頭・ポスター発表:248件
- ④研修プログラム、カリキュラム、シラバス、教材、e-learning等等への反映:10件
- ⑤「国民との科学・技術対話」に対する取り組み:10件
- ⑥日本国内外における日米合同シンポジウム・ワークショップ等の開催:6件
- ⑦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(グラント獲得数含む):5件



肝炎・がん・免疫専門部会日米合同パネル会議の様子

具体的な研究内容等

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(各専門部会活動の推進)
2. 若手・女性育成のための日米共同研究公募

◆ 各専門部会による米国・アジアと連携した国際共同研究推進

- ・ エイズ: COVID-19の流行に伴うHIVへの影響等
- ・ 急性呼吸器感染症: ワクチン疫学、AMRの研究等
- ・ コレラ・細菌性腸管感染症: 腸炎ビブリオ、赤痢菌の研究等
- ・ 肝炎: アジアにおけるB型肝炎新規治療法の開発等
- ・ 寄生虫疾患: マラリアワクチン、住血吸虫症の診断法の開発等
- ・ 栄養・代謝: アジアの生活習慣病、栄養状態の評価法の開発等
- ・ 抗酸菌症: 罹患感染組織の構造解析、新規抗結核薬の開発等
- ・ がん: HPV関連がん、感染症関連がんの要因解明等
- ・ ウイルス性疾患: COVID-19、ウイルス性下痢症の研究等

(※免疫: 文科省予算で実施)

◆ U.S.-Japan Cooperative Medical Sciences Program Collaborative Awards, 2025

- ・ 若手や女性の研究者育成を目指す共同研究公募。日米医学協力計画の枠内で、日米及びアジア地域の研究者が協力し、アジア地域にまん延する感染症に関する研究を推進。
- ・ 日米、米亜、日米亜のチームが提案(AMEDは日本サブチームと契約)。
- ・ 日米サブチームの両方で、若手または女性研究者がサブチームの研究開発代表者となる
- ・ 研究期間: 2年度間、研究費: 1チームで総額6万ドル (2年度合計)
- ・ 採択予定数: 新規採択課題数、継続課題数併せて12課題程度
- ・ 公募対象分野: 感染性疾患全般、感染症関連がん(米側と調整中)

3. 第26回EID国際会議 (汎太平洋新興・再興感染症 国際会議・それに引き続く専門部会会議) 開催

◆ 第26回EID国際会議開催

- ・ 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の実施



第26回EID国際会議 Plenaryセッション・ポスターセッションの様子

4. 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

◆ 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した支援プログラムの実施

- ・ 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を見込み、若手研究者に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与える

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

期待されるアウトプット、アウトカム

(アウトプット)

- 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、国際共同研究を開始できる。
- 若手・女性研究者育成共同研究プログラムにおいては、将来的に著しい成果が得られる可能性のある研究については、AMED研究における他の統合プロジェクトへの導出につなげる等の成果を得ることができる。

(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を含む本プログラムの成果は、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もの。
- また、若手・女性研究者育成共同研究プログラムにおいては、上記に加え、日米の研究者間の将来にわたる関係構築も目的としており、国際的な感染症の疾病発生時における迅速な対応等が可能となる協力関係は大きな活用手段となる。

事業概要(背景・目的)

本研究事業では、健康日本21(第三次)や循環器病対策基本法等で掲げられている「健康寿命の延伸」を目標に、栄養・食生活、身体活動・運動、休養・睡眠、飲酒、喫煙及び歯・口腔の健康等の生活習慣や健診・保健指導、さらには、生活習慣病の病態解明や治療法の確立、生活習慣病患者の生活の質の維持・向上等、幅広いテーマを対象に、がん以外の生活習慣病の新たな対策に直結する研究開発を「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、推進している。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	38,000
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	376,855
疾患基礎研究	337,000
シーズ開発・研究基盤	0
計	0

令和7年度概算要求のポイント

栄養、運動、睡眠、たばこ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の収集、生活習慣病発症や重症化に関する病態解明やバイオマーカーの探索等の研究を進めるとともに、新たに、生活習慣病対策を担う保健・医療の現場におけるAIやICT等の新技術の導入等にかかる研究をすすめ、より効果的な生活習慣病対策をモダリティごとに開発する。

本年度は、医療分野研究開発推進計画(第2期)に従い、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を推進する。

これまでの成果概要等

- 【ゲノム・データ基盤PJ】
- ・血糖変動と心血管イベント発症の関連性を検討する前向き観察研究(令和3年度終了)
 - ・2型糖尿病患者の持続グルコース測定により評価した指標が小さい程、あるいは目標血糖値範囲の割合が高い程、頸動脈壁の組織性状の改善が大きいことを明らかにした。持続グルコース測定にて血糖パターンを評価することによって動脈硬化の変化を予測し、心血管イベントや細小血管障害や予後改善につながる。
- ＜アウトプット＞ IF5以上の論文掲載件数(令和3～5年度) 24件
- 【疾患基礎研究PJ】
- ・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
 - ・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。
 - ・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。
- ＜アウトプット＞ IF5以上の論文掲載件数(令和3～5年度) 92件・新たな疾患発症メカニズム解明の件数(令和3～5年度) 7件

健康寿命の延伸・医療の最適化

- ✓ ガイドライン/政策への反映
- ✓ 医薬品・医療器機開発やゲノム医療、再生医療等の事業への橋渡し

循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

分野1. 健康増進・生活習慣病発症予防分野

生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法を確立する分野

分野2. 生活習慣病管理分野

個人に最適な生活習慣病の重症化を予防する方法および重症化後の予後改善、QOL向上等に資する方法を確立する分野

不適切な食生活

運動不足

飲酒

ストレス

睡眠不足

喫煙

生活習慣病の発症

生活習慣病の重症化
QOLの低下

健康寿命の短縮

基礎研究から臨床研究、実用化までの一貫した研究開発を支援

他事業との連携・協力・情報共有

健康日本21（第三次）

循環器病対策基本法

（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）

具体的な研究内容等

分野1：健康増進・生活習慣病発症予防分野
生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法を確立する分野

分野2：生活習慣病管理分野
個人に最適な生活習慣病の重症化を予防する方法および重症化後の予後改善、QOL向上等に資する方法を確立する分野

予防

診断

治療

予後・QOL

IoT等の技術を利用し、生活習慣に関する情報を収集し、効果的に行動変容を促すことを目的とした医療機器等を開発を目指す。

医療機器
ヘルスケア

令和5年度公募 新規公募なし・継続1課題（R4～R6）

令和6年度 新規公募なし

令和7年度 1課題程度

生活習慣、ゲノム情報等のデータを集積・統合することにより生活習慣病の病態解明や発症・重症化予防に資するエビデンスを創出するための研究を推進する。

ゲノム・データ基盤

継続 4課題（R5～R7）※1

※1「食事・栄養と健康に関するエビデンス創出研究」
「生活習慣病領域における保健医療情報の利活用研究」

継続 5課題（R5～R7）※2

※2「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」
「生活習慣病領域における画像データの利活用研究」「ICTを用いた遠隔診療・遠隔モニタリングによる生活習慣病の診療の質向上に資するエビデンス創出研究」

令和6年度公募 8課題程度（R6～R8）

令和7年度公募 8課題程度（R7～R9）

病態生理学、生物学などの基礎研究や臨床研究からのリバース・トランスレーショナル研究を推進する。

疾患基礎研究

継続 2課題（R5～R7）※3

※3「生活習慣病によるサルコペニア発症・重症化の病態解明研究」
「生活習慣病領域における保健医療情報の利活用研究」

継続 5課題（R5～R7）※4

※4「生活習慣病の病態解明研究」
「異分野融合による生活習慣病のシーズ探索研究」

令和6年度公募 5課題程度（R6～R8）

令和7年度公募 6課題程度（R6～R8）

期待されるアウトプット

【ゲノム・データ基盤PJ】

研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数 令和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PJ】

研究成果の科学誌（インパクトファクター5以上）への論文掲載件数 令和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。

事業概要(背景・目的)

近年、女性の就業率の上昇、初産年齢の上昇、生涯出生数の減少、平均寿命の伸長等に伴い、女性の健康に関わる問題は大きく変化してきている。また、女性の心身の状態は思春期、妊娠・出産期、更年期、老年期といった、ライフステージごとに大きく変化するという特性がある。こうしたことを踏まえ、女性が生涯にわたり健康に生活できるよう、必要な情報提供を行い、ライフステージごとの課題に応じて包括的に支援していく必要がある。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、本事業では、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とらえ、エビデンスに基づく健康増進に資する研究事業とその実用化を推進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	126,504
疾患基礎研究	21,330
シーズ開発・研究基盤	0
計	147,834

令和7年度概算要求のポイント

女性がより良い生涯を送るために必要な健康を提供できる社会創成を視野に入れ、女性の健康や疾患についての問題解決に向けて、エビデンス創出等を実現させる。

1. 女性特有の疾病に関する研究について
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
就労・育児等、女性のライフスタイルに関する多様な因子も考慮し、女性ホルモン等の影響による健康課題の解決に資する研究を推進する。
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
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。
若年女性に特有の疾病の予防や健康増進のための研究基盤の構築
若年者を対象とした研究を実施するうえでの課題を踏まえ、若年女性に特有の疾病の予防や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。
2. 男女共通課題のうち特に女性の健康に資する研究について
性差を考慮した健康課題の予防や健康増進に関する研究
学際的研究やビックデータに基づき、男女共通の健康課題における性差の多次元的な解明を推進する。

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

【ゲノム・データ基盤PJ】
＜アウトプット＞
・研究成果の科学誌(IF5以上)への論文掲載件数 (令和2～5年度) 17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 (令和2～5年度) 66件※
・新たな疾患発症メカニズム解明の件数 (令和2～5年度) 2件

【疾患基礎研究PJ】
＜アウトプット＞
・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 (令和2～5年度) 42件※

具体的な研究内容等

女性がより良い生涯を選択するための健康を提供できるような社会創成を視野に入れ、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とらえた研究事業とその実用化を推進する。
ゲノム・データ基盤プロジェクトにおいては、レジストリ等の医療データを活用した新たな予防法の実用化に向けた研究を行う。

思春期

性成熟期

更年期

老年期

1. 女性特有の疾病に関する研究

1-1. 女性ホルモンが健康に及ぼす影響
(ライフコース追跡研究、更年期運動器疾患、就労女性の心身の健康問題等)

・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
・更年期障害におけるうつ・不安症状の治療法の開発

継続2課題

(R5～7:1課題)、(R6～8:1課題)

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
(就労・育児等の女性の多様なライフスタイルも考慮した研究)

新規1課題程度

1-2. 女性特有の臓器等に関する疾病
(子宮内膜症、子宮腺筋症、卵巣疾患等)

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

継続1課題

(R6～8:1課題)

女性特有の臓器・器官に関する疾病の予防、診断及び治療に関する研究開発

新規1課題程度

1-3. 妊娠等に影響する女性に特有の疾患予防に関する包括的ケア方法の確立
若年女性に特有の疾患予防
(月経不順、過度のやせ・肥満、朝食欠食や概日時計の乱れによる健康への影響等)

継続0課題

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
(若年者を対象とした研究を実施するうえでの課題への対応)

新規2課題程度

2. 男女共通課題のうち特に女性の健康に資する研究

2-1. 性差に関わる研究
(疾患性差、至適薬物療法、女性の心身の状況を考慮した診断ツールの開発)

性差を考慮した心不全の発症機序の解明および予防戦略の開発

継続1課題

(R5～7:1課題)

性差を考慮した健康課題の予防、健康増進に関する研究(学会・診療科横断的なデータを用いた性差の多次元的な解明)

新規2課題程度

・心血管ハイリスクの女性における性特異的心不全発症予防戦略の開発：周産期および出産情報を含む後ろ向きコホート解析とRCTサブ解析によるエビデンス創出
・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

継続2課題

(R6～8:2課題)

継続課題増額

ゲノム・データ基盤

疾患基盤

期待されるアウトプット、アウトカム

【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・データ基盤プロジェクト＞

- ・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)

＜疾患基礎研究プロジェクト＞

- ・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事業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ための健康を提供できるような社会が創成される。

事業概要(背景・目的)

生活習慣病の増加や高齢化等により、慢性腎臓病(CKD)患者は増加傾向にあり、約1300万人に達すると推定されている。「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、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、等の対策がすすめられてきているが、平成28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、今後も高齢化の進行に伴いCKD患者の増加も予想されることから、腎疾患対策の更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が取りまとめられ、2028年までに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等が設定された。当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、治療法開発など、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。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	21,818
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	52,983
シーズ開発・研究基盤	0
計	74,801

令和7年度概算要求のポイント

医薬品開発に向けた基礎的な研究を推進する。疾患基礎研究PJで見出されたリード化合物(特許取得)を、医薬品PJで開発候補物として最適化(非臨床POC取得)した後に、企業導出もしくは橋渡し研究支援拠点等の他事業への移行することを目指す。

【疾患基礎研究PJ】腎疾患の根治療法の開発を見据えた病態解明を進めるために、予算規模の拡充を図ることで既存のデータ基盤や最先端技術等を活用した独創的な病態解明研究を展開する。新規課題については以下の開発研究を推進する。
○腎疾患に対する独創的な病態解明研究。

【医薬品PJ】病態解明研究で得た知見をもとに、現状では存在しない腎機能を改善する画期的な治療法開発を展開する。新規課題については以下の開発研究を推進する。
○腎臓をターゲットにした画期的治療法の開発

これまでの成果概要等

【医薬品PJ】治療標的としてメガリン拮抗薬、メガリン抑制薬になりうる数種類の候補化合物を見出し、創薬研究を現在展開中。
【疾患基礎研究PJ】腎臓病患者のD-アミノ酸の解析を通じて、診断や治療マーカーとなり得ることを見込んでいる。

【医薬品PJ】
＜アウトプット＞非臨床POCの取得件数(令和5年度末)1件 ＜アウトカム＞シーズの企業への導出件数(令和5年度末)0件

【疾患基礎研究PJ】
＜アウトプット＞科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数(令和5年度末)5件 ＜アウトカム＞他の統合プロジェクトや企業等への導出件数(令和5年度末)1件

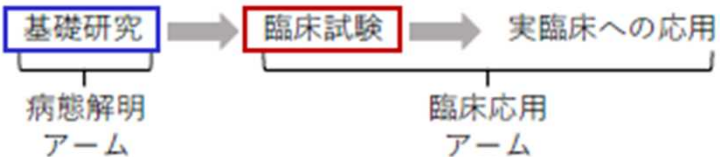
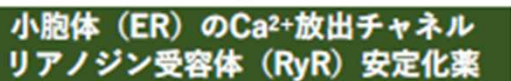
具体的な研究内容等

慢性腎臓病の病態解明と新規治療法開発

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(内海班 山口大学) R3~R5

動物モデルにおいてダントロレンの効果を確認した結果を踏まえ、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を目指す

慢性腎臓病（CKD）の新規治療法として ダントロレン併用療法の開発



**CKDの進展を抑制
末期腎不全の新規透析導入を回避**

研究開発のパイプライン

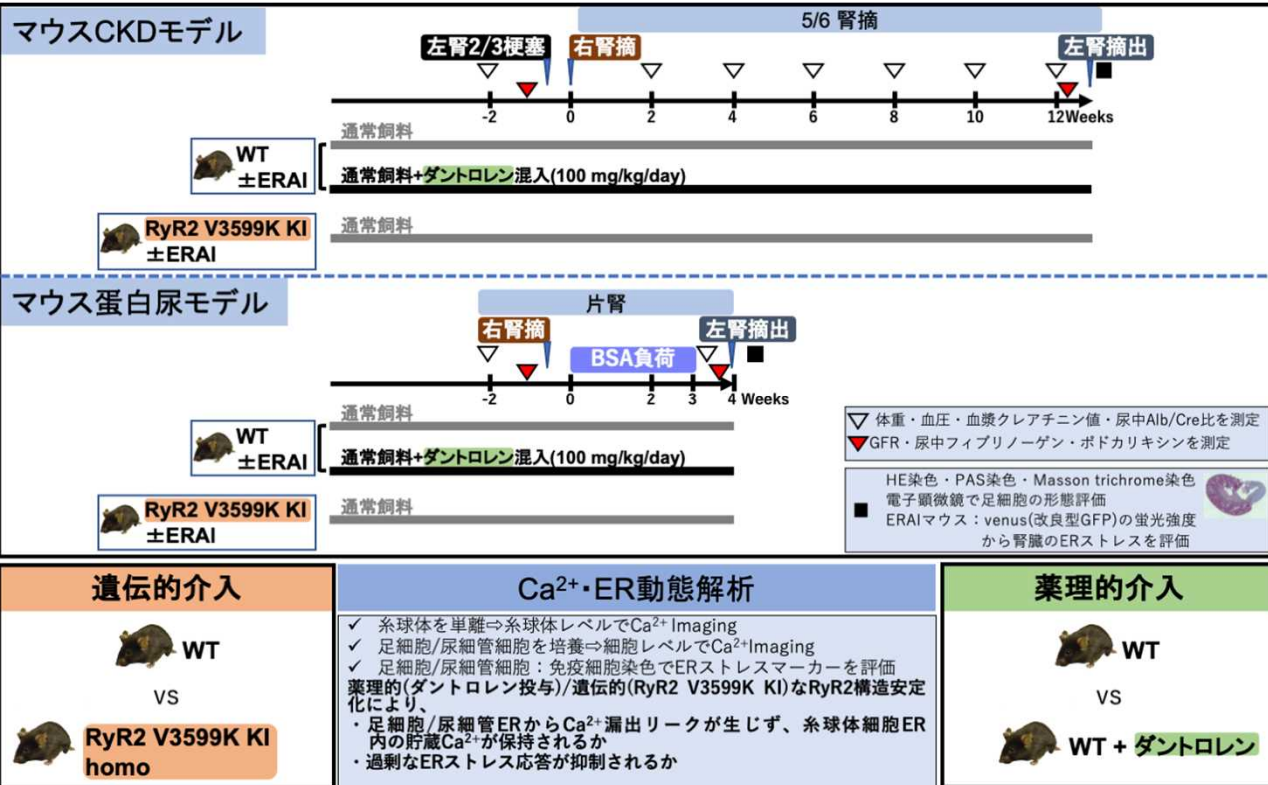
明解病態研究

シーズ探索

治驗準備

治験実施

薬事承認



期待されるアウトプット、アウトカム

【期待されるアウトプット】

- ・CKDを引き起こす病因遺伝子の同定、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】

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。

事業概要(背景・目的)

アレルギー疾患、もしくはなんらかの免疫疾患の罹患者は国民の半数以上に上る。このため、平成26年にアレルギー疾患対策基本法が成立し、基本法に基づき、平成29年に策定された「アレルギー疾患対策の推進に関する基本的な指針」によりアレルギー疾患の本態解明、革新的な治療法の開発に資する研究を推進している。平成31年に「免疫アレルギー疾患研究10か年戦略」が発出され、わが国として目指すべきビジョンと具体的な研究事項が明示された。

本事業で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、治療・予後QOL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乗せて、新規創薬、層別化に資するデータ・ゲノム基盤等の研究開発を促進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	55,000
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	74,500
疾患基礎研究	578,575
シーズ開発・研究基盤	0
計	708,075

令和7年度概算要求のポイント

- (増額) 【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
- ・重症・難治性・治療抵抗性の免疫アレルギー疾患の治療法のシーズ同定や剤型・投与経路・投与量の設定等に係わる費用を拡充
- 【ゲノム・データ基盤PJ】 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
- ・ゲノム情報等のリソースを活用し、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の費用を拡充
- 【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
- ・免疫アレルギー疾患の根源的な本態解明に取り組む、若手研究者でかつ国際的な人材育成を推進するための費用を拡充
- (新規) 【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
- ・重症・難治性・治療抵抗性の免疫アレルギー疾患の治療法のシーズ同定や剤型・投与経路・投与量の設定等に係わる研究を推進
- 【疾患基礎研究PJ】 食物アレルギーの解決に資する研究
- (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
 - ・10か年戦略に基づき、アレルゲン免疫療法、及び若手研究者による画期的な免疫アレルギー疾患研究を推進

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

- 【医薬品プロジェクト】
- ・新規アトピー性皮膚炎外用剤の製造販売承認(平成28年度終了課題、令和2年製造販売承認)
- <アウトプット> 非臨床POCの取得件数(令和2～4年度) 2件
- <アウトカム> シーズの企業への導出件数(令和2～4年度) 1件
- 【ゲノム・データ基盤プロジェクト】
- ・アジア人集団におけるマイクロRNA発現に影響を及ぼす遺伝的多型(miRNA-eQTL)カタログ作成(令和4年度終了課題)
- <アウトプット> 研究成果の科学誌(IF5以上)への論文掲載件数(令和2～4年度) 6件 ・新たな疾患発症メカニズム解明件数(令和2～4年度) 3件
- <アウトカム> 臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数(令和2～4年度) 0件
- 【疾患基礎研究プロジェクト】
- ・日本人の免疫疾患患者および健常人の末梢血から分取した28種類の免疫細胞の遺伝子発現を定量化し、遺伝子多型が遺伝子発現に与える影響をカタログ化した『ImmuNexUT』を作成(令和4年度終了課題)
- <アウトプット> 研究成果の科学誌への論文掲載 IF5以上(令和2～4年度) 33件
- <アウトカム> シーズの他の統合PJや企業への導出件数(令和2～4年度) 0件

具体的な研究内容等

医薬品PJ

継続 **1** 課題

新規 **1** 課題程度



免疫アレルギー疾患研究10か年戦略(H31年発出)

疾患活動性や生活満足度の見える化、病態の見える化に基づく層別化医療および予防的・先制的医療の実現

厚生労働科学研究と連携しながら、10か年戦略の目標を推進する形で医療開発研究を実施する。免疫アレルギー疾患の病因・病態の解明、予防、診断及び治療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乗せて、新規創薬、医療技術、医療機器等の研究開発等を促進する。

戦略1：本態解明

先制的医療等を目指す免疫アレルギーの本態解明に関する基盤研究：多様性と層別化、予防的・先制的医療、宿主因子と外的因子、臓器連関・異分野融合

戦略2：社会の構築

免疫アレルギー研究の効果的な推進と社会の構築に関する横断研究：患者・市民参画、アンメットニーズ、臨床研究基礎基盤、国際連携・人材育成

戦略3：疾患特性

ライフステージ等免疫アレルギー疾患の特性に注目した重点研究：母子関連・移行期、成人発症、重症・難治性・治療抵抗性、希少疾患

診療の質の向上に資するエビデンス創出

病態解明治療研究

医薬品・医療機器等開発 Step 0 / 1 / 2

ゲノム・データ基盤



継続2課題

新規1課題程度

疾患基礎研究



継続26課題程度

新規10課題程度

医薬品

継続1課題

新規1課題程度

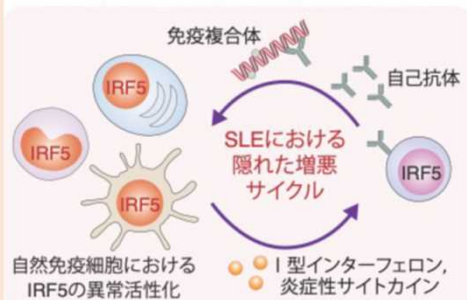
全身性エリテマトーデス

転写因子IRF5の阻害が全身性エリテマトーデスの新規治療法となる可能性を実験的に証明

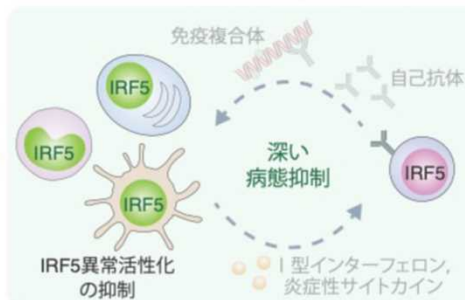
Nature communications 2021

横浜市立大学 田村智彦先生

現行治療法はIRF5異常活性化の抑制が不十分



IRF5阻害剤による新規治療法の効果

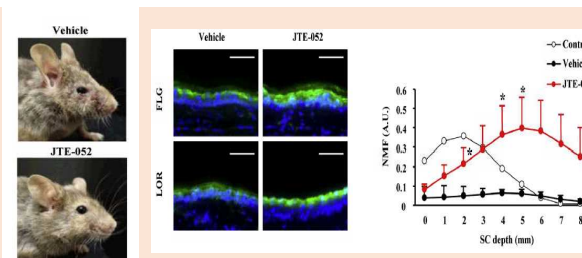


アトピー性皮膚炎

アトピー性皮膚炎に対する新規メカニズムによる外用薬のシーズを導出

Atopic dermatitis and skin disease

The Janus kinase inhibitor JTE-052 improves skin barrier function through suppressing signal transducer and activator of transcription 3 signaling



J Allergy Clin Immunol 2015

京都大学 花島健治先生

表皮を標的としたアトピー性皮膚炎の治療の最適化を目指す新規薬剤の開発(2014-2016年)

↓
デルゴシチニブ：コレクテム®

世界初の外用JAK阻害剤
2019年1月薬事申請
2020年1月製造販売承認

期待されるアウトプット、アウトカム

令和2年度～6年度

【アウトプット】・非臨床POCの取得件数：1件以上

【アウトカム】・シーズの企業への導出 1 件以上

具体的な研究内容等

ゲノム・データ基盤

継続 **2** 課題 新規 **1** 課題程度



免疫アレルギー疾患研究10か年戦略(H31年発出)

疾患活動性や生活満足度の見える化、病態の見える化に基づく層別化医療および予防的・先制的医療の実現

厚生労働科学研究と連携しながら、10か年戦略の目標を推進する形で医療開発研究を実施する。免疫アレルギー疾患の病因・病態の解明、予防、診断及び治療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乗せて、新規創薬、医療技術、医療機器等の研究開発等を促進する。

戦略1：本態解明

先制的医療等を目指す免疫アレルギーの本態解明に関する基盤研究：多様性と層別化、予防的・先制的医療、宿主因子と外的因子、臓器連関・異分野融合

戦略2：社会の構築

免疫アレルギー研究の効果的な推進と社会の構築に関する横断研究：患者・市民参画、アンメットニーズ、臨床研究基盤基盤、国際連携・人材育成

戦略3：疾患特性

ライフステージ等免疫アレルギー疾患の特性に注目した重点研究：母子関連・移行期、成人発症、重症・難治性・治療抵抗性、希少疾患

診療の質の向上に資するエビデンス創出

病態解明治療研究

医薬品・医療機器等開発 Step 0 / 1 / 2

ゲノム・データ基盤



継続2課題

新規1課題程度

疾患基礎研究



継続26課題程度

新規10課題程度

医薬品

継続1課題

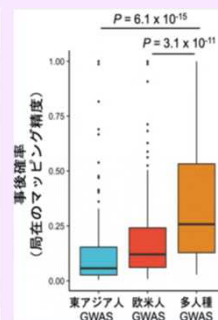
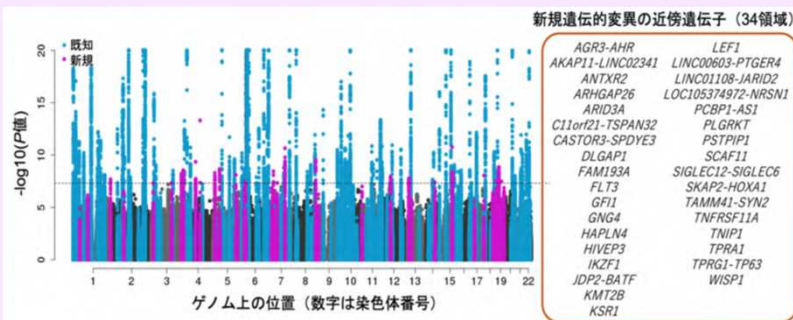
新規1課題程度

関節リウマチ

Nature Genetics 2022

大阪大学 岡田随象先生

国際ゲノム解析により関節リウマチの遺伝的背景を解明
—個人のゲノム情報を活用した発症予測の社会実装に貢献—

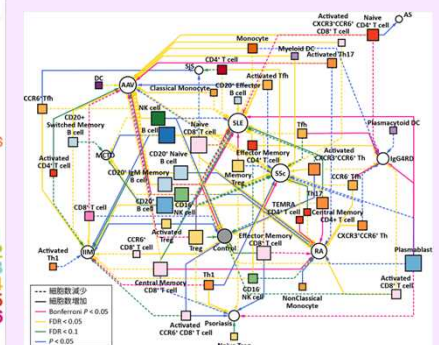
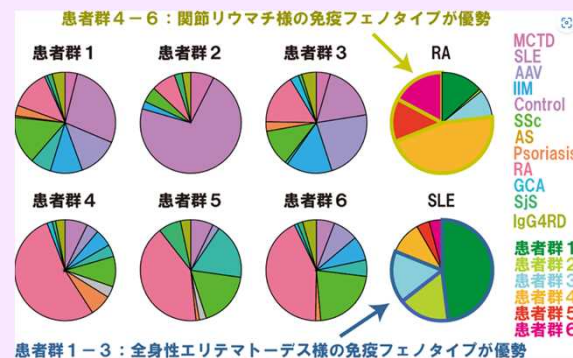


フェノタイプ解析による患者層別化

Annals of the Rheumatic Diseases 2023

大阪大学
岡田随象先生

自己免疫疾患の免疫フェノタイプ解析による治療反応
に係わる層別化に成功—将来の個別化医療実装に貢献—



期待されるアウトプット、アウトカム

令和2年度～6年度

【アウトプット】研究成果の科学誌（IF 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

【アウトカム】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

具体的な研究内容等

疾患基礎研究



免疫アレルギー疾患研究10か年戦略(H31年発出)

疾患活動性や生活満足度の見える化、病態の見える化に基づく層別化医療および予防的・先制的医療の実現

戦略1：本態解明

先制的医療等を目指す免疫アレルギーの本態解明に関する基盤研究：多様性と層別化、予防的・先制的医療、宿主因子と外的因子、臓器連関・異分野融合

戦略2：社会の構築

免疫アレルギー研究の効果的な推進と社会の構築に関する横断研究：患者・市民参画、アンメットニーズ、臨床研究基礎基盤、国際連携・人材育成

戦略3：疾患特性

ライフステージ等免疫アレルギー疾患の特性に注目した重点研究：母子関連・移行期、成人発症、重症・難治性・治療抵抗性、希少疾患

継続 **26** 課題

新規 **10** 課題程度

厚生労働科学研究と連携しながら、10か年戦略の目標を推進する形で医療開発研究を実施する。免疫アレルギー疾患の病因・病態の解明、予防、診断及び治療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乗せて、新規創薬、医療技術、医療機器等の研究開発等を促進する。

診療の質の向上に資するエビデンス創出

病態解明治療研究

医薬品・医療機器等開発 Step 0 / 1 / 2

ゲノム・データ基盤



継続2課題

新規1課題程度

疾患基礎研究



継続26課題程度

新規10課題程度

医薬品

継続1課題

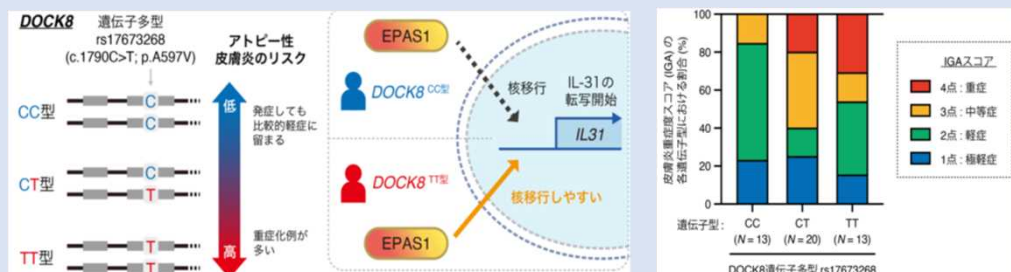
新規1課題程度

アトピー性皮膚炎

Allergy 2022

九州大学 福井 宣規先生

アトピー性皮膚炎の発症や重症化に関わる機能的な遺伝子多型を発見

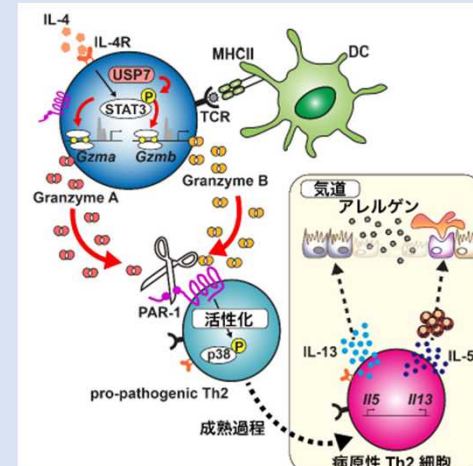


自己免疫疾患

Proc Natl Acad Sci USA
2023

千葉大学 平原先生

「病原性免疫記憶」細胞・分子
機構の解明—安心安全な次世代
粘膜ワクチン開発に貢献—



期待されるアウトプット、アウトカム

令和2年度～6年度

【アウトプット】研究成果の科学誌への論文掲載 IF 5 以上 100 件以上

【アウトカム】シーズの他の統合PJや企業への導出件数 1 件以上

事業概要(背景・目的)

【背景】臓器・組織移植分野では、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では、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。

【目的】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。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	104,563
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	0

令和7年度概算要求のポイント

〈臓器・組織移植分野〉

○【増額】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
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。

○【新規】新規臓器移植後管理戦略の開発に資する研究 【新規】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〈造血幹細胞移植分野〉

○【増額】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
造血器腫瘍に対する細胞治療の件数が増えつつある中、造血幹細胞移植との住み分けや効果的な移植のタイミングについて明らかにする必要がある。

○【新規】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

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

移植腎慢性拒絶と薬剤性腎障害のIL-6アンプ(過剰NFκB活性化)誘導に関して分析するとともに、尿中エクソソームに着目し、慢性抗体関連拒絶や薬剤性腎障害の新規バイオマーカーとしての有用性を検証した。これによえい、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。

造血幹細胞移植に関しては、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。GVHDの病態解明と新規予防法確立によって、特に末梢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。

【ゲノム・データ基盤】

＜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)(令和3～5年度) 39 件※
- 新たな疾患発症メカニズム解明件数(令和3～5年度)6 件

＜アウトカム＞

- 臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数(令和3～5年度)0 件 ※クラリベイト Journal Citation Reportsより集計

具体的な研究内容等

〈臓器・組織移植分野〉

- (1) 新規臓器移植後管理戦略の開発に資する研究
- (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

(1) 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資する開発に寄与する研究を行うことを目的とする。

(2) 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。

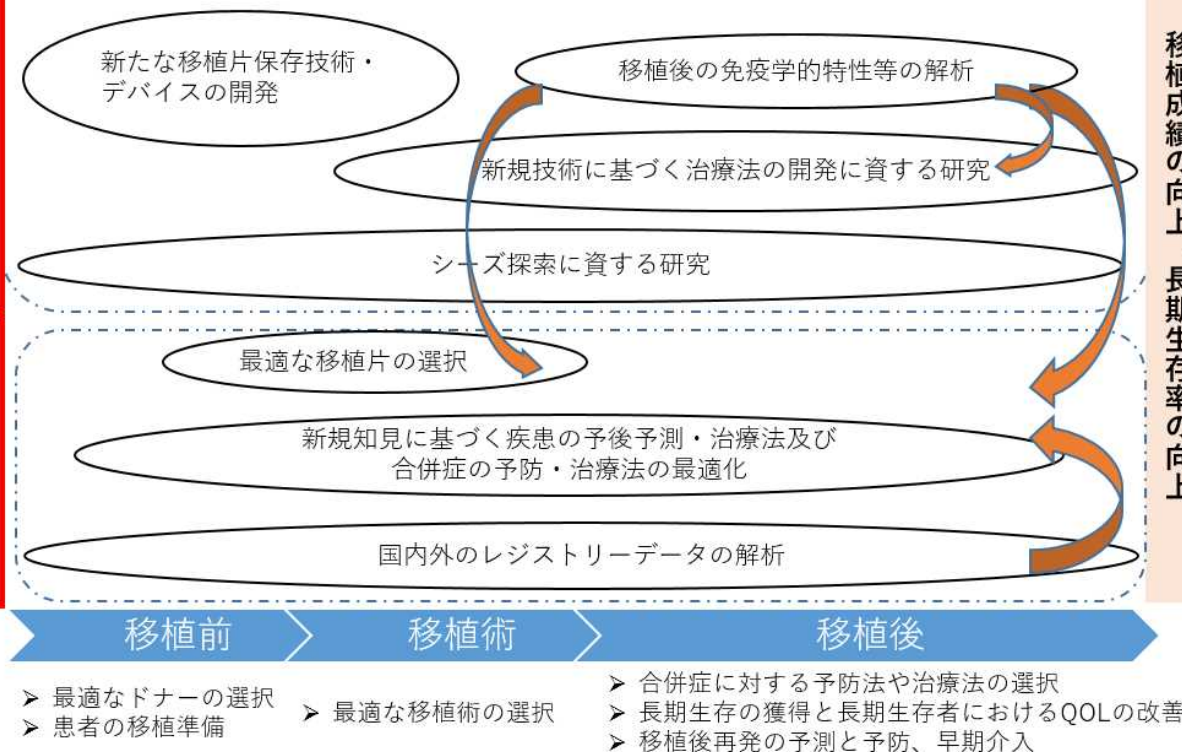
〈造血幹細胞移植分野〉

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

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。過去の研究内容も踏まえ国をあげての課題解決を目指す。

新規開発

技術の最適化
実施体制の効率化



期待されるアウトプット、アウトカム

○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。

→令和7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

臓器・組織移植分野、造血幹細胞移植分野の両分野において、ドナー選択法や新規移植法の開発、また、これらを踏まえた診療ガイドラインの策定及び普及等により、より適切な移植源からの臓器・組織移植、造血幹細胞移植を実施することが可能となり、移植医療の予後改善が期待される。また移植後合併症、移植後再発に対する早期バイオマーカーの創出や予防法・治療法を新規に開発・最適化することによって、依然として高率である合併症等により死に至る患者やQOLの低下に至る患者が減少することが期待される。

→令和7年度末までに、臨床的に実用可能なバイオマーカーや特許等を1件以上開発する。

事業概要(背景・目的)

多くの国民が抱える慢性の痛みがQOLの低下を来す一因となっているという背景から、「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)に基づき総合的な痛み対策を遂行している。提言に記載されているような既知の疾患に伴う慢性の痛みや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、病態解明や客観的な評価法や効果的な治療法開発によって、痛みを有する者のQOL向上と痛みによる社会的損失の軽減に繋げることを目的とする。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	63,480
シーズ開発・研究基盤	0
計	63,480

令和7年度概算要求のポイント

- ・学際的かつ領域横断的な連携を推進し、慢性の痛み発症機序解明の研究に新しい視野と展開を探求する。(新規)
- ・客観的・定量的な評価法の確立及び標準化をめざし、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。(継続)
- ・「侵害受容性疼痛」としての特徴を持つ慢性疼痛に関して、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。(継続)
- ・慢性化する痛みについて、先進の基礎・臨床・疫学研究で検証すること等により、慢性疼痛の効果的な治療法や介入法の確立を目指す。(継続)
- ・脳内報酬系などの快感や満足感といった情動反応が慢性疼痛にどのように関わるのかを明らかにすることによって、慢性疼痛のメカニズム解明や治療法開発に繋げる。(継続)

これまでの成果概要等

- 【疾患基礎研究プロジェクト】
- 論文
 - ・髄液リポ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.
(髄液リポ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(東大 蔵野班 令和4-6年度))
 - 特許
 - ・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)
(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(日本医科大 坂井班 平成31年-令和4年度))
 - ・「治療抵抗性うつ病または緊急性を有するうつ病の症状を治療するための組成物」(出願番号PCT/JP2021/43568 出願日:令和3年11月29日)
(条件づけに由来する痛みの視覚化および画期的慢性疼痛治療薬に向けた研究開発 阪大中村班令和2年-5年度終了)
- <アウトプット>
- ・研究成果の科学誌への論文掲載(IF5以上) 1件
 - ・研究成果の科学誌(IF5未満等の他の科学誌) 5件
 - ・関連特許出願 2件

具体的な研究内容等

・慢性の痛み解明研究事業では、「今後の慢性の痛み対策について（提言）」（平成22年9月）に基づき総合的な痛み対策を遂行している。

・痛みは慢性化するに従い、罹患部位の器質的異常や身体機能だけの問題ではなく、精神医学的要因、心理学的要因、社会的な要因が複雑に関与して、痛みを増悪させ、遷延させることになる。そのため、痛み診療においては、診療科の枠組みを超えた総合的かつ集学的な対応が求められる。



期待されるアウトプット、アウトカム

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

(令和2年度～令和6年度)

【期待されるアウトプット】

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(インパクトファクター5未満等の他の科学誌) 5件

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件等

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。

事業概要(背景・目的)

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。上記の課題に対応するべく、新たな治療法等の開発研究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実践的な環境下で育成し、HIV感染症研究の人的基盤拡大を図る。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	538,344
シーズ開発・研究基盤	0
計	538,344

令和7年度概算要求のポイント

エイズ対策実用化研究においては、HIV感染症の治癒を目指して根治療法等の開発に繋がる研究を推進する。具体的には、新規ワクチン・治療薬開発、HIV感染の機構解明、HIV関連疾患の病態解明と治療法開発、HIV根治に向けた新たな医薬品探索及び開発、HIVの新たな複製機構の同定および解明、HIVタンパク質と宿主細胞タンパク質の相互作用の解明を推進する。令和7年度は、以下の研究を実施する。

- ・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、感染拡大の抑制に効果の高い新規ワクチン等の免疫療法を開発する。
- ・HIVの感染機構や潜伏感染機序の解明、HIV感染病態進展の解明等を通して、HIV感染症の根治療法開発に資する新たな知見を創出する。
- ・長期のART療法による、薬剤耐性ウイルスの出現や薬による副作用の問題を解決するため、新たな作用機序を持つ抗HIV薬創出、既存の抗HIV療法の効果を上げるシーズの探索、抗HIV療法の新機軸となる抗HIV薬の開発等を実施する。
- ・若手研究者による独創性等に富む研究を推進し、HIV感染症克服に資する新たな知見の創出を行うとともに若手研究者の育成により人的基盤の拡充を行う。
- ・HIV/肝炎ウイルス重複感染患者における肝硬変や日和見感染症等のHIV感染合併症等の病態解明と治療法開発を推進し、患者のQOLの向上及び予後の改善に資する研究を実施する。

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

- ・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中で、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。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。
- ・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。HIVの活性化・潜伏化動態を可視化する技術として、タ イマー蛍光タンパク導入組換えHIV(HIV-timer)を開発したことで、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ることが期待される。
- ・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がまだ開発されていない中で、治験対象薬の安全性を検討する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。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。

【疾患基礎研究】

＜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)への論文掲載件数:128件
(令和2年度10件、令和3年度25件、令和4年度66件、令和5年度27件)

＜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

エイズ対策における課題

- HIV感染症の根本的治療薬がなく、抗HIV薬の生涯にわたる内服が避けられない
→ 新規ワクチン及びARTとは異なる新規治療法の開発や根治療法の開発を推進するとともに、薬剤耐性ウイルスへの対応が必要
- 抗HIV薬によるエイズ発症抑制、長期生存が可能となったことにより、HIV感染期間自体が長期化
→ 長期HIV感染による合併症への対応、HIV感染者高齢化に対する新たな対応が必要

令和7年度の研究概要

根治療法 の開発

○ 新規ワクチン・治療薬の開発

○ 医薬品シーズ探索

- ・ ワクチン等の新たな免疫療法の開発
- ・ HIV根治療法の確立を目指した研究
- ・ 薬剤耐性、薬による副作用等の問題を解決するための新たな作用機序を持つ抗HIV薬の開発

基盤的研究 の推進

○ 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

- ・ HIV潜伏感染機序の解明、感染機構の解明を推進
- ・ 薬剤耐性HIVの機構解明及び国内流入等の感染動向把握
- ・ 肝炎ウイルス合併症による肝硬変、血友病、日和見感染症等のHIV感染合併症の病態解明と治療法開発
- ・ 動物モデルの開発の継続

期待されるアウトプット、アウトカム

【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

シーズ探索と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。

○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。またHIV/HCV重複感染患者における肝硬変等の疾患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）

【アウトカム】

○新規ワクチン・治療法開発では、予防HIVワクチン実用化により、世界の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が不要となり、高額医療費の問題が解決するとともに、患者のQOLが改善する。また、肝臓の線維化を改善させることにより肝予備能の改善、非代償性肝硬変への進行の抑制、肝がんの発症予防が期待される。さらに非代償性肝硬変に進行している場合でも、蛋白質合成能などの肝機能を改善できれば、合併症の軽減、予後の延長が可能となる。

（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）

事業概要(背景・目的)

B型・C型肝炎ウイルスの感染者は、全国で約200～250万人と推定されており、国内最大級の感染症である。肝炎は放置すると肝がん等の重篤な病態に進行する恐れがあり、肝炎の克服に向けた対策を総合的に推進する目的で平成22年1月に肝炎対策基本法が施行され、同法に基づいて肝炎対策基本指針が制定され、同指針に基づき、これらを研究の側面から効果的に推進するため、肝炎研究推進戦略が策定され、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た。本研究事業では、これら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。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	758,439
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	91,083
疾患基礎研究	2,659,257
シーズ開発・研究基盤	0
計	3,508,779

令和7年度概算要求のポイント

B型肝炎創薬実用化等研究事業では、未だウイルスを完全に排除する根治治療法がないB型肝炎の画期的な新規治療薬の開発・実用化を目指して、抗B型肝炎ウイルス(HBV)効果を有するシーズや化合物の探索、創薬ターゲットの探索・同定、より効率的かつ再現性に優れたHBVの持続感染動物モデルの確立、新規技術を活用しHBVのcccDNA排除またはHBs抗原消失につながる治療法の開発を推進するとともにHBV感染症の治療法の開発に資する新たな知見の創出等に関する研究を推進する。

肝炎等克服緊急対策研究事業では、肝炎の予防、診断、治療に係る技術の向上及び必要な医薬品等の開発等の研究を推進する。具体的には下記のとおり。

- ・革新的技術を用いた抗線維化療法の開発や、肝再生及び肝機能の改善に資する治療法の開発を推進するとともに、長期経過と予後の把握や、肝線維化の非侵襲的な評価方法や予後予測の基盤研究等を進め、肝硬変の予後改善を図る。
- ・肝炎ウイルスの感染サイクル、病原性発現、肝発がん等への進展、再発に関する機序の解明と発がんや再発の予防法及び治療法等に関する研究を推進する。
- ・免疫学的手法を用いた新規肝炎治療法や予防法、肝発がん予防法の開発に資する研究を推進する。
- ・C型肝炎ウイルス(HCV)の感染複製増殖過程の機序解明や、新規作用機序によるウイルス制御に関する研究、非代償性肝硬変を含めたHCV排除後の病態解析と予後の解明や、薬剤耐性獲得例やC型肝炎治療後の病態変化、小児ウイルス性肝炎における病態評価法及び治療法の確立に向けた研究を推進する。
- ・代謝関連脂肪肝疾患の機序解明及び治療法や代謝関連肝がんの病態解明に関する研究やA型・E型肝炎ウイルス感染症の制御を目指した研究、肝疾患領域における新たな検査法や治療法等の新規知見の創出等に関する研究等を行う。
- ・B型肝炎の治療効果向上やHBs抗原消失率向上に資する研究、HBVの再活性化等の病態解明やリスクに関する研究、個別化医療を目指した研究を推進する。
- ・慢性炎症等を背景とした肝発がん、その高頻度で起こる肝がん特有の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。

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

これまでの成果概要等

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(平成31年4月～令和3年度)	63件
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

具体的な研究内容等

1. B型肝炎創薬実用化等研究事業

肝炎研究推進戦略に基づき実施する。肝炎に関する基礎、臨床及び疫学研究等を総合的に推進し、特にB型肝炎の治療に係る医薬品の開発等に係る研究を促進する。

課題： B型肝炎は、

(1) C型肝炎と比較してインターフェロン治療の成績が低い。

(2) 核酸アナログ製剤ではB型肝炎ウイルス(HBV)を完全に排除することは難しく、継続投与により薬剤耐性の出現や副作用のリスクがある。

目的： B型肝炎の画期的な新規治療薬の開発

感染・複製機構の解明、基盤技術の開発を含む創薬研究や、治療薬としての実用化に向けた臨床研究等を総合的に推進する。

開始時の状況： ●培養細胞等の実験基盤が確立されていない ●ウイルスの増殖機構が解明されていない ●肝硬変、肝がんへの病態の推移を再現するモデルがない
研究課題(H24～28)： ①化合物の探索 ②ウイルス因子の解析 ③宿主因子の解析 ④実験手段の開発 ⑤完全排除を目指した研究

R6年度までの成果のまとめ

- ウイルスが感染する培養細胞、動物モデル等の実験基盤の確立
- 新規治療法の開発に向けたゲノム編集に資する新規技術の開発
- 肝障害進展への自然免疫の関与の解析
- 新規治療薬の開発に向け複数の薬剤ターゲット候補及びシーズの同定

基盤技術の開発・充実

R7年度～R9年度の研究概要

- ・ ウイルス生態の解明に資する研究
- ・ ウイルスの感染・増殖に関わる宿主防御機構の解析に資する研究
- ・ 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
- ・ 新規治療薬シーズの探索に資する研究 **【疾患基礎】**
- ・ 新規技術を用いた根治を目指す治療法の開発に資する研究
- ・ 実用化に向けたB型肝炎治療法の開発に資する研究 **【医薬品】**

○基盤技術の更なる進展

・ ウイルスの感染複製機構の解析、宿主感染防御系の解析

・ 効率かつ再現性の優れた実験系への改良

○候補化合物をスクリーニングし、順次、候補化合物の評価・最適化

○前臨床試験の実施

1件の
企業導出
又は
臨床試験の開始

R9年度までに期待されるアウトプット、アウトカム

【医薬品】

＜アウトプット＞

・ 非臨床POCの取得件数 1件

＜アウトカム＞

・ 薬事承認件数(新薬、適応拡大) 1件

【疾患基礎】

＜アウトプット＞

・ 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 35件

＜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

具体的な研究内容等

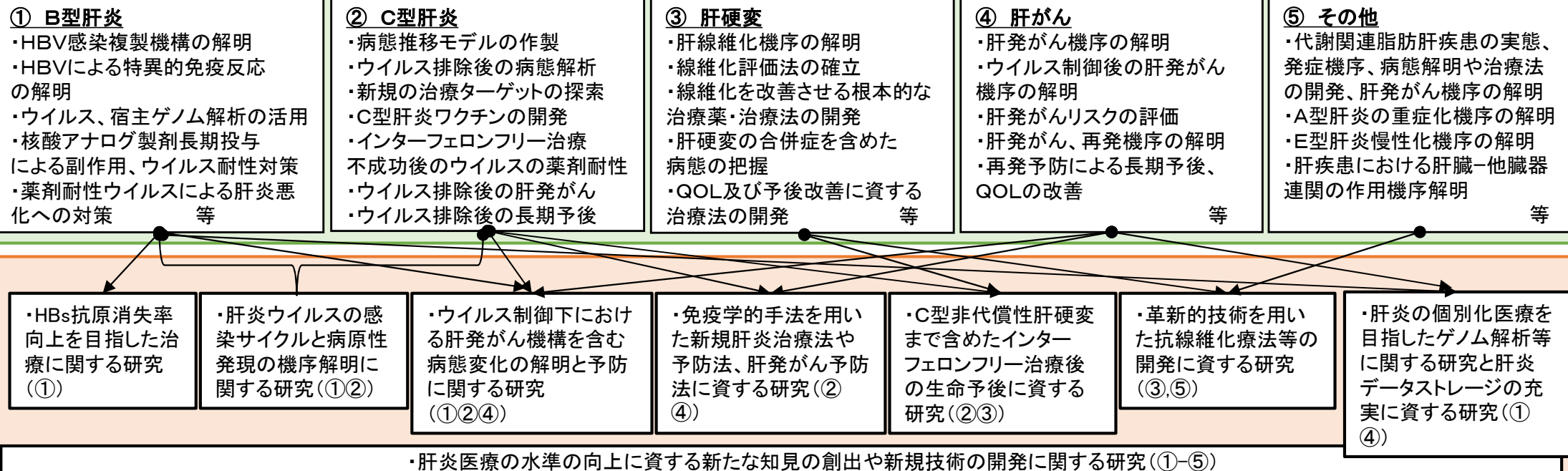
2. 肝炎等克服緊急対策研究事業

肝炎研究推進戦略に基づき実施する。肝炎に関する基礎、臨床及び疫学研究等を総合的に推進し、特にB型肝炎、肝硬変の治療に係る医薬品の開発等に係る研究を促進する。

R6年度までの研究成果

- ・B型肝炎ウイルス(HBV)感染患者のHBs抗原の減少・消失を目的とした新規ハイブリッド型抗原HBs-Lh抗原ワクチン開発が進められ、高いHBs抗体誘導能と誘導された抗体の中和活性が確認された。
- ・B型肝炎ウイルスの2つの遺伝子型CおよびDから構成されるハイブリッド型LHBsは強力な交差中和抗体を誘導し、Sに対してだけでなく、pre-S1やpre-S2に対しても強い中和活性を示した。
- ・C型肝炎ウイルス(HCV)感染患者のHCV排除後の肝発がんに寄与する新規膜貫通型タンパク遺伝子 SHERMER (Shear stress-induced transmembrane protein associated with ER stress signaling)の同定に成功した。
- ・C型非代償性肝硬変患者におけるDAA治療後、約2年の無肝移植生存率を明らかにした。DAA治療後の無肝移植生存率には、治療前ではなく治療後の肝予備能が関与していることを明らかにした。
- ・MASLD病態に関与するアミノ酸代謝異常の解明とフマル酸投与による病態改善効果の発見やiPS肝オルガノイドと非実質細胞で構成するMASLD病態再現系の構築、MASH肝がんリスク判別リビドミクスマーカーの同定、MASH肝がん特異的エピゲノムマーカー診断機器の開発が行われた。
- ・肝硬変患者の重篤なイベント(死亡または重篤な合併症)の発生率の減少には有酸素運動と組み合わせたレジスタンス運動が有効である事がランダム化比較試験のメタアナリシスから示唆された。
- ・抗A型肝炎ウイルス(HAV)薬スクリーニングに有用なHAVサブジェノミック・ルシフェラーゼレプリコン恒常的発現細胞(HuhT7-HAV/Luc)を作成し、マシニープのHAV増殖抑制効果を証明した。

目的： 肝炎の予防、診断、治療に係る技術の向上、肝炎医療に必要な医薬品・医療機器の開発



R6年度からの新規研究概要

R7年度までに期待されるアウトプット、アウトカム

【ゲノム・データ基盤】

<アウトプット>

- ・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 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

<アウトカム>

- ・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】

<アウトプット>

- ・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

<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

参考資料(R4年度以降発表の肝炎等克服実用化研究事業の成果)

B型肝炎ウイルスが感染受容体に結合するしくみを解明

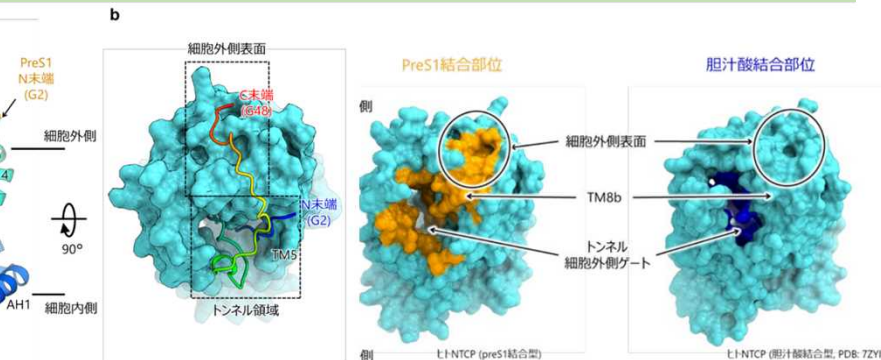


図1. ヒト NTCP-preS1 複合体のクライオ電子顕微鏡構造

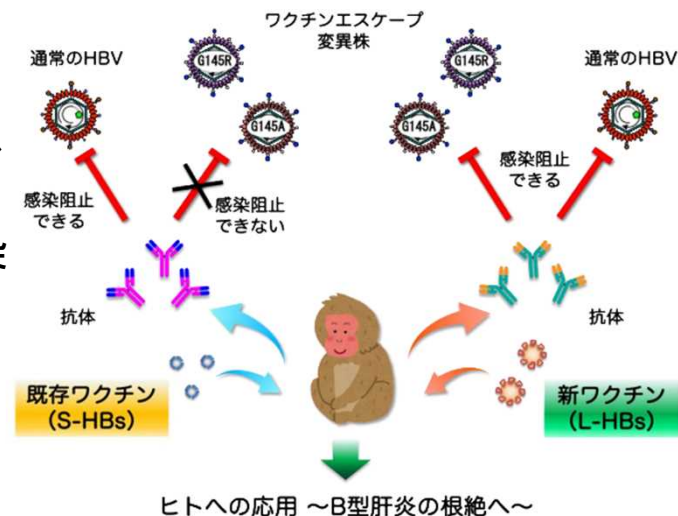
図2. preS1 結合阻害薬の標的候補部位

B型肝炎ウイルス(HBV)は肝細胞膜に存在する胆汁酸輸送体NTCPを受容体として利用し、肝細胞に感染するが、HBV表面抗原のpreS1が結合した NTCP の立体構造は不明であった。クライオ電子顕微鏡を用いた構造解析の結果、膜タンパク質である NTCP の細胞外側に preS1 ペプチド(オレンジ色)が結合する様子が可視化された(図1a)。また、preS1 の N 末端側は NTCP のトンネル領域と主要な結合を形成し、C 末端側は細胞外側表面を這うように結合していた(図1b)。NTCP に対する preS1 結合部位(図2左)と胆汁酸結合部位(図2右、PDB:7ZYI)の比較からNTCPの一部はpreS1 結合のみに関わる領域であることが示唆され、副作用の少ない抗 HBV 薬の標的候補として有望である。

Structural basis of hepatitis B virus receptor binding. Nature Structural & Molecular Biology. 2023

優れた B 型肝炎予防ワクチン開発に成功 —既存ワクチンの弱点克服へ—

B 型肝炎(HB)ワクチンは B 型肝炎の予防に有効であるが、現在のHB ワクチンはSmall-HBs(S-HBs)蛋白を抗原に用いた免疫に対するワクチンエスケープ変異株の出現頻度が増加している。また、現行の HB ワクチンに用いられている S-HBs 抗原には、HBV の感染レセプターである NTCPに結合する領域(preS1 領域)が含まれていない。そこで preS1 領域を含む L-HBs 抗原を組み込んだ中空ナノ粒子ワクチンの開発が行われた。L-HBsワクチンを動物に接種すると従来の S-HBs 抗原ワクチンと同等もしくはそれ以上の感染中和活性を持つ抗体が得られた。また、ワクチンエスケープ変異株に対しても通常の HBV 株と同様に強力な感染中和活性を持つ抗体が得られた。より優れた B 型肝炎の予防が期待できる。



ヒトへの応用 ～B型肝炎の根絶へ～

Neutralization of Hepatitis B Virus with Vaccine-Escape Mutations by Hepatitis B Vaccine with Large-HBs Antigen. Nature Communications. 2022

事業概要(背景・目的)

わが国は2040年を見据え、高齢者人口および独居高齢者が増加する一方、生産年齢人口が減少するなど、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。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。本事業では、健康寿命延伸に寄与する予防手法、生活の質の維持・向上を図ることができるケアの手法や評価方法を開発し、高齢者の生活に直結する成果や、質の高い医療・介護サービスを提供する社会基盤整備に貢献する成果を産出し、社会実装を推進する。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	0
疾患基礎研究	151,391
シーズ開発・研究基盤	0
計	151,391

令和7年度概算要求のポイント

- 健康医療戦略に基づき、健康長寿社会実現へ向け、フレイルへの対策を進め、介護予防・重度化防止を推進し、高齢者医療・介護分野の生産性向上を図る。ICT等が介護現場で活用されるよう、産官学連携による研究を進める。令和7年度は、前向きコホート研究、高齢者の生活機能および累積型フレイルティ等を継続的に評価できる汎用的な手法開発、サルコペニアに対する栄養学的介入研究を継続する。また、新たにサルコペニア・フレイルにおけるバイオマーカー開発研究、災害時のトリアージシステムの開発、意欲低下のスクリーニング等の開発研究、および介護施設等におけるケアを中心とした介入に関する研究を行う。新規課題においては、若手研究者および女性研究者の参加を促す。
- 高齢者を対象に各種老年性疾患の罹患・治療歴、心身機能、リハビリテーションや介護ケア等の介入情報および、血液・尿等のヒト生体試料を用いた生化学的検索等の臨床データを前向きに収集し、領域横断的に解析を行うことが可能な前向きコホートの開発を推進する。【継続】
 - 標準規格に準拠し、累積型フレイルティ等を継続的に評価できる汎用的な手法を開発する。【継続】
 - サルコペニアを改善させるテララーメイドの栄養療法に関する研究を推進する。【継続】
 - 基礎研究によるメカニズム解明も含めた、臨床応用を見据えたサルコペニア・フレイルに関するバイオマーカー開発研究を推進する。【新規】
 - 災害時リハビリテーション支援のためのスマホを用いた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を推進する。【新規】
 - 高齢者のTreatableな意欲低下のスクリーニングと診断フローの開発を推進する。【新規】

これまでの成果概要等

(※)アウトプット、アウトカムについては、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。

これまで、生体マーカーを用いたサルコペニアの評価手法の開発や、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、AI/ARを応用した排泄・褥瘡・点滴・スキンケアの技術を自己学習できるシステムの開発等を行ってきた。また、フレイルに対する評価指標と新規介入手法の確立に資するバイオマーカー開発や、超音波による簡易的骨格筋量評価アルゴリズムの開発を実施した。その他、「フレイル予防を軸とする住民主体活動推進マニュアル」や「呼吸不全のアドバンス・ケア・プランニングの支援ガイド」等の作成も行った。

【疾患基礎研究プロジェクト】

＜アウトプット＞

- ・研究成果の科学誌(IF5以上)への論文掲載件数 (令和2～5年度) 6件
- ・研究成果の科学誌(インパクトファクター5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況 28件

＜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 (令和2～5年度) 0件

(参考)

本事業で得られた成果に基づいた長寿科学に資するマニュアル等の作成 7件

具体的な研究内容等

A. 加齢に伴う機能低下及び変化に着目した研究基盤整備

- 課題1. 高齢者における要介護状態の発生・進行メカニズム解明を目的とする前向きコホート研究（R5～R9）
課題2. 高齢者の生活機能および累積型フレイル等を継続的に評価できる汎用的な手法開発（R6～R7）
課題3. 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（R7～R9）

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。また、高齢者の傷病や生活機能障害等を総合的に評価し、医療および介護現場において多職種で共有してフレイル対策を推進する手法を開発する。さらに、臨床応用を見据えたサルコペニア・フレイルに関するバイオマーカーの開発を推進する。

B. 介護予防・重度化防止のための手法開発

- 課題4. サルコペニアを改善させるテーラーメイドの栄養療法に関する研究（R6～R8）
課題5. 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（R7～R9）

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。災害時リハビリテーション支援のためのスマホを用いた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を推進する。

C. 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

- 課題6. 高齢者のTreatableな意欲低下の診断フローの開発及びガイドライン作成（R7～R9）

高齢者のリハビリテーションの阻害因子となる意欲低下について、その背景因子の分析からスクリーニングや診断フローの開発を推進する。

加齢に伴う機能低下および変化の評価系の開発及び解明
疾患領域である老年医学における新たなエビデンス構築

老年医学領域における
研究推進のための基盤整備

エビデンスに基づいた
産官学連携を促進
重症化防止／QOLの向上

高齢者医療・介護のための予
防・医療・介護手法の整備

体系的なケア手法の確立

健康寿命延伸
健康長寿社会への貢献
新産業創出への貢献

期待されるアウトプット、アウトカム

【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（令和2年～6年度）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（令和2年～6年度）10 件以上
特許申請・登録等に至った研究開発（令和2年～6年度）1 件以上

【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（令和2年～6年度）1 件以上
本事業で得られた成果に基づいた長寿科学に資するマニュアル等の作成（令和2年～6年度）3 件以上

事業概要(背景・目的)

「統合医療」については、多種多様であり、科学的根拠が乏し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。統合医療とは「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 (Quality of Life: 生活の質) 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」(平成24年3月『「統合医療」のあり方に関する検討会』)と定義されている。統合医療は、その療法は多種多様であるがゆえに、患者・国民や医療界において未だ共通認識が確立していない状況にあるため、安全性・有効性等に関する科学的知見の集積を図り、必要な情報を広く発信し、患者・国民及び医療者が各種療法を適切に選択できるようにすることなどが求められている。

本事業において、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・治療法等の範囲を拡大するとともに、医療の質の向上を図ることを目的として、統合医療における漢方、鍼灸及び各種療法に関する各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指す。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	107,515
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	107,515

令和7年度概算要求のポイント

- 統合医療(東洋医学)分野の研究者については、臨床研究の経験不足・研究者の人材不足等から相互育成・醸成が難しいことなどが課題となっている。より質の高い臨床研究の推進、及び新たなテーマの科学的根拠の収集と知見の創出などに向けて、プロトコール作成研究を優先的に推進し、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ための研究を推進する。
- 統合医療(東洋医学)分野の研究者については、研究者の人材不足等から基礎研究による確かな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。より質の高い基礎的研究の充実に向けて、若手研究者を中心に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、及び、若手研究者の育成を行うための研究を推進する。
- 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。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。
- 統合医療の推進にあたっては、多職種協働によるチーム医療・タスクシェア、及び統合医療や研究開発を担う人材育成が重要となる。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。

これまでの成果概要等

厚労省「統合医療」情報発信サイト(e-JIM)への科学的根拠資料の公表
「「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業(AMED)」
【研究開発成果報告書の公表】

年度	平成29	平成30	令和元	令和2	令和3	令和4	令和5
件数	15	15	11	13	14	12	14

- 【ゲノム・データ基盤】
- ＜アウトプット＞
- ・非臨床POCの取得件数(令和2～5年度) 2件
 - ・臨床POCの取得件数(令和2～5年度) 1件
- ＜アウトカム＞
- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数(令和2～5年度)2件

具体的な研究内容等

AMED 「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業(研究事業)

事業概要

国民及び医療従事者の健康保持や疾病治療・予防の選択肢を増やし、医療の質の向上をはか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各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、将来的に患者・国民及び医師などに還元することを目標とする。

※平成27年度よりAMEDにおいて研究事業として開始。

各種療法に関する
安全性・有効性等の
科学的根拠の収集

科学的根拠
の収集

新たな
科学的知見の創出

漢方、鍼灸等について
新たな科学的知見を
創出

成果の
掲載

用語・規格等の標準化
を進め、科学的知見
創出の基盤を整備

用語や規格等の
標準化

利用実態等の
把握

国民および
医療従事者の各種療法
の利用実態等を把握

厚生労働省

「統合医療」の情報発信事業(eJIM)(予算事業)

【概要】患者・国民及び医療者が「統合医療」に関する適切な情報を入手するためのウェブサイト構築し、安全性・有効性等の情報を発信。
※平成25年度より開始。

・専門家からなる文献調査 委員会を設置し、国内外の学術論文等を収集し、文献要旨の翻訳・エビデンスレベルの付与等を行う。

・文献調査委員会が整理・加工した情報をホームページ等を用いて、国民および医療従事者が利活用しやすい形で情報発信する。

具体例: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

- ・ 特定臨床研究を完遂し、刺激中の安静時脳機能結合が有意に低下することを観察
- ・ taVNSの簡便で客観的な評価法を開発
- ・ Long COVIDへの臨床応用を目指した臨床試験プロトコルへも応用
- ・ 臨床的に心身症、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



期待されるアウトプット、アウトカム

<アウトプット>

- ・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(IF5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況(管理目標)

<アウトカム>

質の高い臨床研究論文等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。

- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 5件

(※)アウトプット、アウトカムについては、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

事業概要(背景・目的)

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、厚労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。「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、AI開発を進めるべき領域を重点6領域の1つとして「介護・認知症」の領域が選定され、本事業では、特に客観的な評価指標が乏しい精神及び神経・筋疾患の早期診断を目的としたAI技術の開発を支援している。

「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 P等のニーズの増加が見込まれる一方で、専門診療に対応可能な医療従事者が不足しており、医療従事者の負担の軽減等のためにもオンラインやAI等を用いたD to 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 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。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	610,217
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	0

令和7年度概算要求のポイント

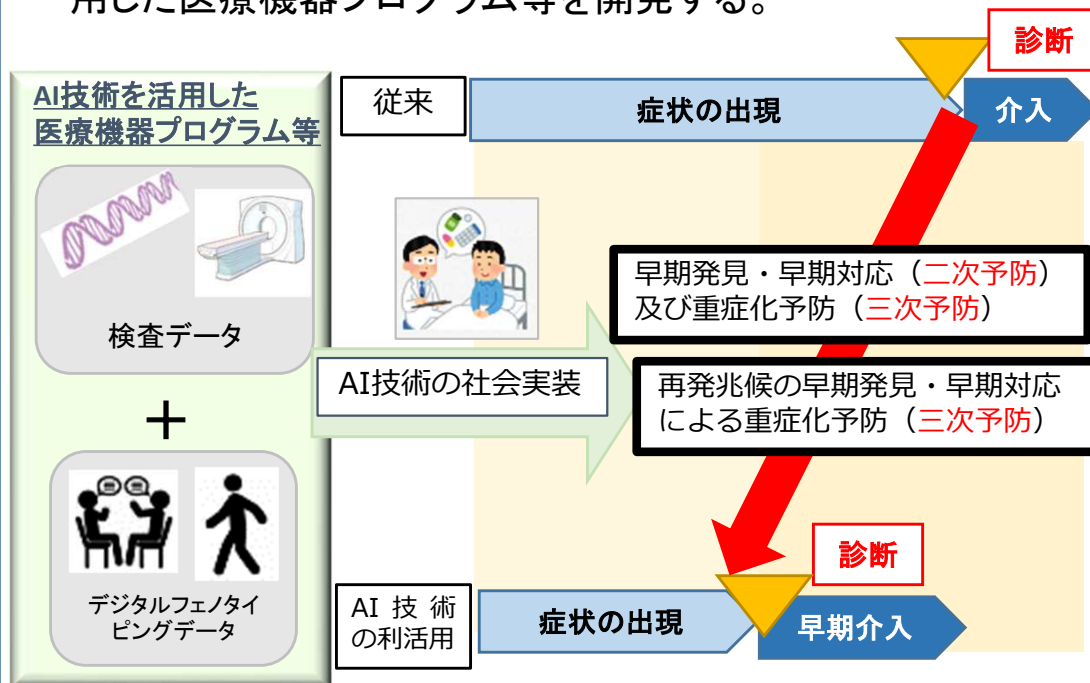
- 令和3年度より精神疾患及び神経・筋疾患における早期診断に資する医療機器プログラム等の開発に係る研究を6課題実施しているところであるが、いずれの研究課題も、医療機器の薬事承認取得を目標としており、令和7年度が最終年度であるため、薬事承認取得による医療現場導入を目指すべく、医薬品医療機器総合機構への相談費用や、臨床研究(治験を含む。)の実施に向けたフォローを行う必要がある。
- オンライン診療(D to P)の診療機器の効果的な臨床応用の手法の開発については、初年度にあたる令和6年度は調査研究を実施するが、令和7年度より実証のための臨床研究に取り組む必要がある。

これまでの成果概要等

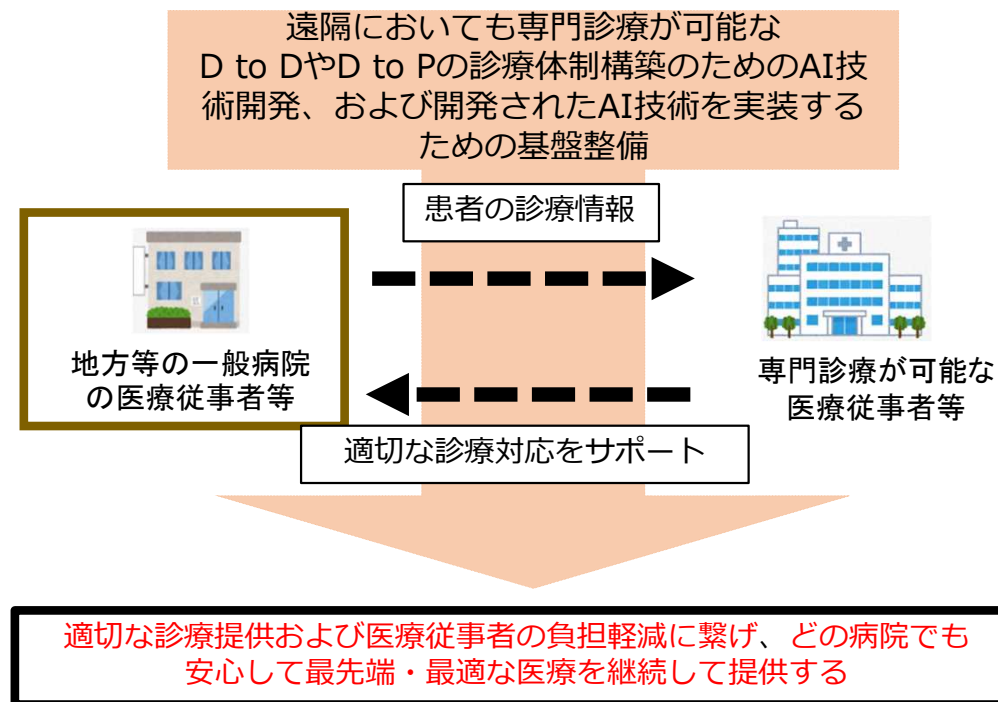
「リストバンド型ウェアラブルデバイスデータを用いてうつ病スクリーニングおよび重症度評価を可能とするソフトウェア医療機器の開発」及び「心拍変動解析によるてんかん発作予知AIシステムの研究開発」の2件について、令和5年3月にプログラム医療機器に係る優先的な審査等の対象に指定された。

具体的な研究内容等

- 個人の健康・医療分野における、検査データと、デジタルフェノタイピングデータ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、精神疾患及び神経・筋疾患の早期診断に資するエビデンスを創出し、AI 技術を活用した医療機器プログラム等を開発する。



- 医療従事者の負担軽減に資する、AI 技術を活用した D to D や D to P を対象としたテレメディシン・サービスの開発、評価、社会実装を推進し、疾患領域や診療科を問わず、どここの医療機関においても安心して最先端・最適な専門医療を継続して提供できるよう研究開発を進める。



期待されるアウトプット、アウトカム

<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。

事業概要(背景・目的)

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の無形の医療技術をデータ化し、それを用いた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。

PJ(モダリティ)区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
ゲノム・データ基盤	48,663
疾患基礎研究	0
シーズ開発・研究基盤	0
計	48,663

令和7年度概算要求のポイント

令和2年度の事業化以降、各外科領域において無形の医療技術のデータ化を推進し、外科的手技の評価システムの開発等を達成した。事業化後4年目からは外科的手技のデータを対象外の外科領域へ横展開するための基盤整備の支援を開始した。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、令和7年度はより優れた外科的手技を有形・保存化し、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。

これまでの成果概要等

各外科領域において優れた外科的手技のデータ化を完了し、手術技能評価システムや手術支援システムのプロトタイプを構築した。幅広い専門領域の外科医に適応可能な多領域・多術式横断的なシステムへ発展させ、臨床的アウトカムとの相関解析も行い、最終的には外科認定医試験への応用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を予定している。

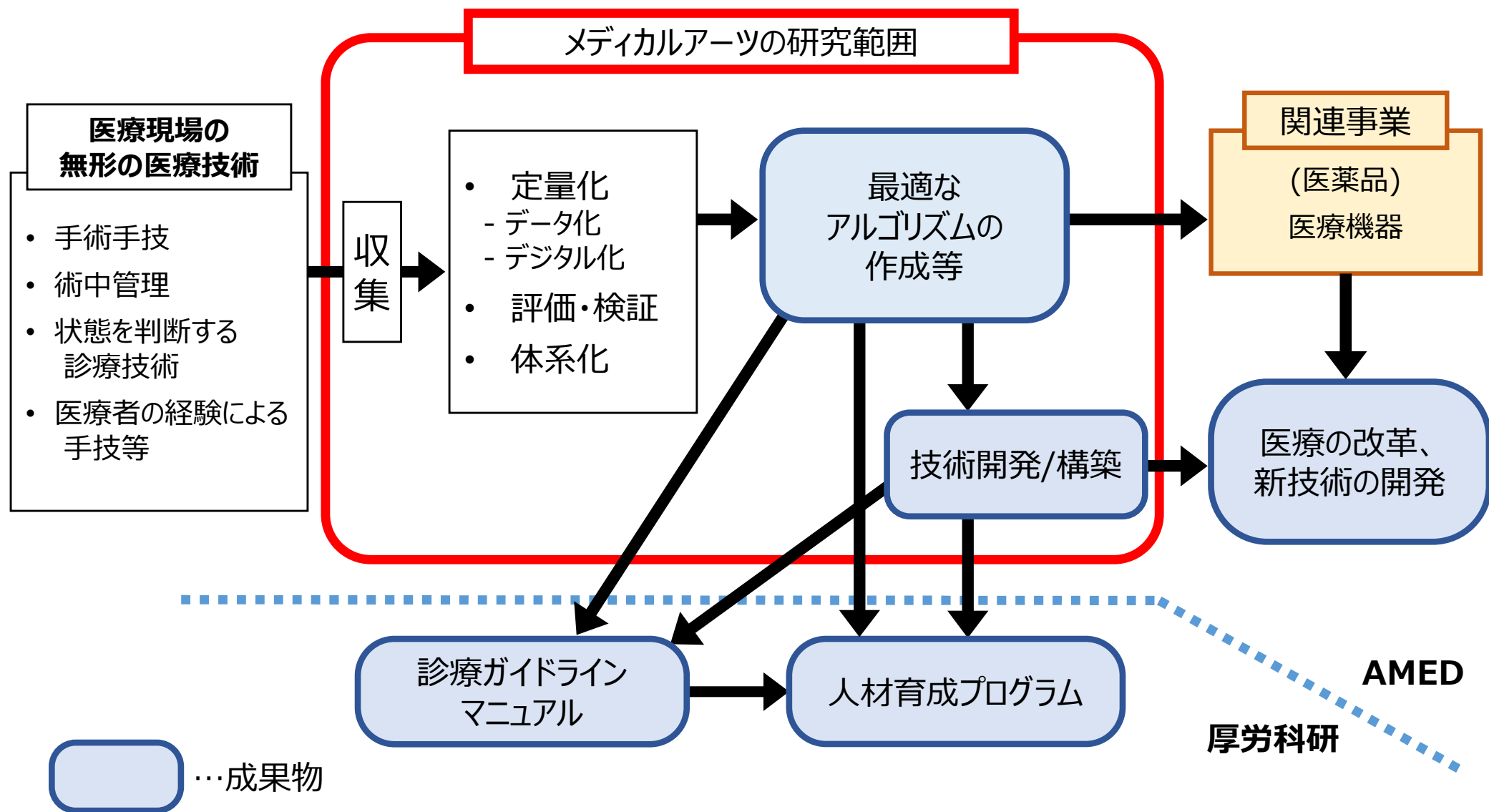
【ゲノム・データ基盤】

＜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（令和2～5年度）0件※
非臨床POCの取得件数（令和2～5年度）2件

＜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（令和2～5年度）0件

※クラリベイト Journal Citation Reportsより集計

具体的な研究内容等



具体的な研究内容等

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

- 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・見える化する。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、教育効果を検証する。

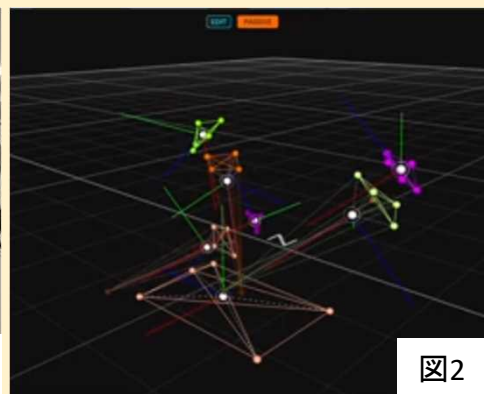


図1:トレーニング風景

図2:鉗子動態計測中のコンピューター画面

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

- 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・姿勢の動画を収集した。そのデータをもとに解析を進めている。関節鏡画像も同様に熟練者・初心者による手技を行い、各種データを収集している。初心者を対象にトレーニング前後での計2回分の手技を記録し、トレーニングによる影響についての解析もあわせて進めている。

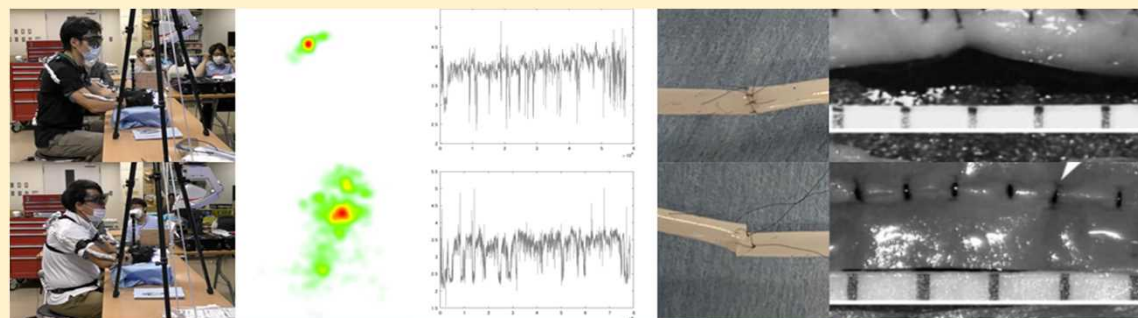


図:熟練者(上)と初心者(下)の視線解析・姿勢解析の比較
[姿勢／視野／縫合部外観／縫合部内部(縫合数)]

期待されるアウトプット、アウトカム

<令和2年度～令和6年度までのKPI>

- ◆ 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
- ◆ 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

(※)アウトプット、アウトカムについては、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

プロジェクト別研究事業一覧

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
- ・認知症研究開発事業
- ・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
- ・長寿科学開発研究事業

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)