

令和8年度研究事業実施方針（案）の概要 【AMED研究】

目次

創薬基盤推進研究事業	...	4	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)	...	55
臨床研究・治験推進研究事業	...	6	循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化 研究事業	...	57
医薬品等規制調和・評価研究事業	...	12	女性の健康の包括的支援実用化研究事業	...	59
創薬支援推進事業	...	15	腎疾患実用化研究事業	...	62
医療機器開発推進研究事業	...	17	免疫アレルギー疾患実用化研究事業	...	64
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	...	19	移植医療技術開発研究事業	...	69
再生医療等実用化研究事業	...	21	慢性の痛み解明研究事業	...	72
ゲノム創薬基盤推進研究事業	...	25	エイズ対策実用化研究事業	...	74
革新的がん医療実用化研究事業	...	27	肝炎等克服実用化研究事業	...	77
認知症研究開発事業	...	34	長寿科学開発研究事業	...	81
障害者対策総合研究開発事業(精神障害分野)	...	37	「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠 収集研究事業	...	83
障害者対策総合研究開発事業 (身体・知的・感覚器)	...	39	医工連携・人工知能実装研究事業	...	85
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	...	41	メディカルアーツ研究事業	...	87
難治性疾患実用化研究事業	...	43	医療等情報連携基盤整備・利活用推進事業	...	89
地球規模保健課題解決推進のための研究事業 (国際課分)	...	53			

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
- ・難治性疾患実用化研究事業

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

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：感染症プロジェクト

- ・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
- ・エイズ対策実用化研究事業
- ・肝炎等克服実用化研究事業

PJ5：データ利活用・ライフコースプロジェクト

- ・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
- ・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
- ・長寿科学開発研究事業
- ・「統合医療」にかかる医療の質の向上・科学的拠収集研究事業
- ・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

PJ6：シーズ開発・研究基盤プロジェクト

- ・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）

PJ7：橋渡し・臨床加速化

- ・臨床研究・治験推進研究事業

研究事業名	1PJ	2PJ	3PJ	4PJ	5PJ	6PJ	7PJ	8PJ
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	●		●		●			
地球規模保険課題解決推進のための研究事業(国際)						●		
地球規模保険課題解決推進のための研究事業(厚生科学課)						●		
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」にかかる医療の質の向上・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の実現に向けて、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区分	予算額(千円)
医薬品	2,973,107
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
感染症	0
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	2,973,107

令和8年度概算要求のポイント

- 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とする。企業による革新的医薬品の開発が加速できるよう、令和5年度から開始した常設化GAPFREE/pを継続して実施し、企業参画を促してアカデミア・企業連携による創薬研究を活性化する。
- 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、医工連携を促すことで新たな技術を組み入れ、アカデミアや企業が保有するシーズ開発を加速させる体制を強化する。
- 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、多様な学問領域や他事業との連携を推進し、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。また、医薬品原料となる薬用植物の栽培・産地化および品質向上検討等に関する研究を支援する。

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。

- DDS評価基盤技術プラットフォームを活かしたシーズ開発研究では、標的化LNP(脂質ナノ粒子)技術について、令和4年度に「先端バイオ創薬等基盤技術開発事業」と連携、令和5年から2年間で本事業内の課題間連携で更なる検討を加えた結果、mRNAの送達性・集積性が向上し、強い抗腫瘍効果を発揮することを見出した。
 - 胃がん患者の微量内視鏡生検検体から、患者毎のリン酸化シグナルの特性を明らかにし、3つのタイプに分類できること、難治性の胃がんの増悪に従って増える上皮間葉転換(EMT)タイプに効果的な治療法の提供が期待できる知見を見出した。
- 【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2~6年度) 56%
 - <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2~6年度) 28件 (R2:8, R3:3, R4:8, R5:3, R6:6)

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
- ・ 同Mission-oriented (MO) 型創薬技術研究プロジェクト(常設化:GAPFREE/p)
- ・ 産学官共同創薬技術研究プロジェクト【若手育成枠】
- ・ 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、製造過程の効率化によるコスト低減、安全性予測の向上を目的とする。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有する低分子医薬品等の開発、中分子医薬品の開発に関する研究等を支援

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、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等を支援

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、産地化、品質向上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

○期待されるアウトプット

＜令和7年度～令和11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7年度～令和11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 5件／年

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区分	予算額(千円)
医薬品	3,217,109
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
感染症	0
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	586,945
イノベーション・エコシステム	0
計	3,804,054

令和8年度概算要求のポイント

【医薬品プロジェクト】

- 第三期の健康・医療戦略(令和7年2月18日閣議決定)において実用化の推進がキーワードとなっているなか、最も医薬品開発の出口に近い臨床開発段階にある有望な課題を支援するため、本事業では多くの新規課題を採択することが必要である。
- 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べく、アカデミア主導の臨床研究・医師主導治験の支援を促進している一方、現状の公募では採択数が限られており、有望な研究課題も不採択にせざるを得ない状況にあるため、採択課題数の増加は必須である。(拡充)
- 革新的医薬品の開発は成功確率が低い一方で、開発コストは年々増加しているため、特に希少疾病や小児領域等で患者ニーズや社会的ニーズは高いものの企業による開発が進みにくい領域において、引き続き臨床研究・治験等を推進する。
- 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。
- 疾患登録システム(患者レジストリ)等を、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。

【橋渡し・臨床加速化プロジェクト】

- 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、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の育成を行う。令和8年度からは、臨床研究・治験DX推進も支える生物統計家育成のプラットフォームとするべく、社会人入学も受け入れた、AI等のデジタル技術を駆使したより広範な知識・能力の習得を可能とする博士課程コースを新設し、実施体制のさらなる強化を図る。
- 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、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、更なる拠点の整備を推進し、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2～6年度) 3件【2】

・臨床POCの取得件数(令和2～6年度) 13件【4】

➤筋萎縮性側索硬化症(ALS)患者を対象としたボスチニブ第2相試験他

<アウトカム>

・シーズの企業への導出件数(令和2～6年度) 15件【2】

➤オルダミン:切除困難な静脈奇形患者の硬化療法に用いる薬剤の効果と安全性を証明し、薬事承認取得(令和6年12月27日承認)他

・薬事承認件数(新薬、適応拡大)(令和2～6年度) 14件【2】

➤エドキサバン:慢性血栓塞栓性肺高血圧症に対する新規経口抗凝固薬エドキサバンの有効性と安全性を示し薬事承認取得(令和7年2月20日承認) 他

・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行件数(令和2～6年度) 13件【4】

➤球脊髄性筋萎縮症に対するメキシレチン塩酸塩の有効性及び安全性を検討する医師主導治験 他

橋渡し・臨床加速化プロジェクト

○ 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」それぞれを核とする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

- 2020年度入学 合計18名、2020年度修了 合計17名

- 2021年度入学 合計11名、2021年度修了 合計19名

- 2022年度入学 合計14名、2022年度修了 合計12名

- 2023年度入学 合計11名、2023年度修了 合計14名

- 2024年度入学 合計14名、2024年度修了 合計10名

これまで、約8割がアカデミアに就職、
約1割が企業に就職、約1割がPMDAに就職・博士課程に進学

○ 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」、非感染症分野から「国立がん研究センター中央病院」及び「京都大学」の合計3施設を採択し、海外の研究機関との臨床研究・治験の連携体制の構築を進めた。令和3年度以降は、「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」を採択し、構築した連携体制を活用しながら、「国立国際医療研究センター」では21課題(企業治験5課題、研究者主導試験16課題)、「国立がん研究センター」では52課題(企業治験46課題、研究者主導試験6課題)の国際共同試験を実施した。

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
- 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
- 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
- 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 新しい手法を活用するもの

- 疾患登録システム（患者レジストリ）等を、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
- 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た特定臨床研究・医師主導治験（Decentralized Clinical Trial；分散型臨床試験）のプロトコールの作成、実施

創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議 中間とりまとめ（令和6年5月22日）抜粋

（戦略目標）

○ 第一に、希少疾病など患者が少なく治療薬のまだない分野に光を当てるなど、治療法を求める全ての患者の期待に応えて最新の医薬品を速やかに届けることを目指すべきである。ドラッグ・ラグ/ドラッグ・ロスが生じている多くの品目は、小児用医薬品や採算性が乏しい希少疾病用医薬品となっている。こうした医薬品も含め、国民に最新の医薬品が迅速に届くための施策を進める。

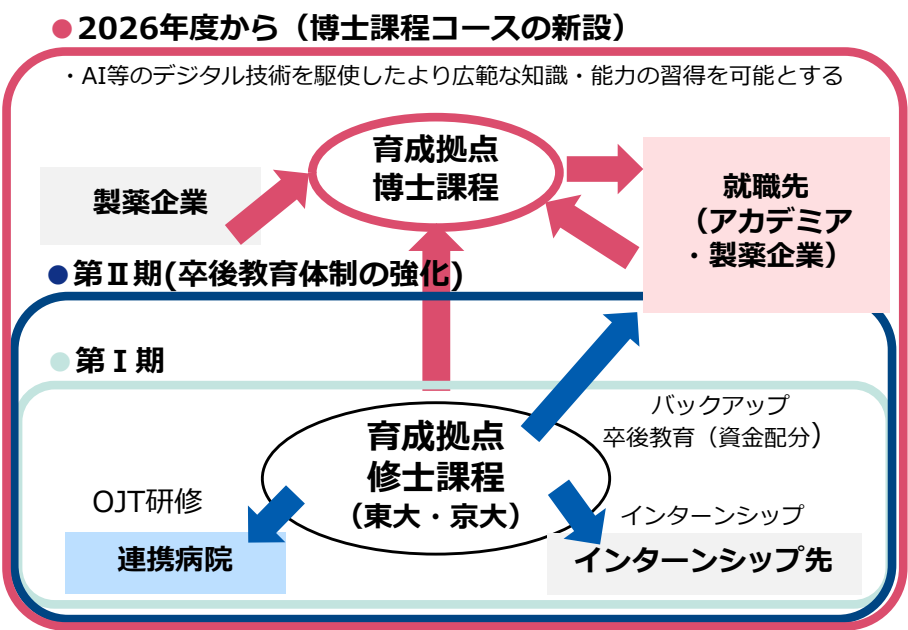
当面優先して議論する課題 令和2年度まとめ（令和3年3月29日医薬品開発協議会）抜粋

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争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、産学官が一体となり生物統計家の育成を行う
- 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
- 第Ⅰ期・・・2016年～2020年 第Ⅱ期・・・2021年～2025年
- 2026年度からは、治験・臨床試験のDXの推進も支える生物統計家を育成するプラットフォームとなるべく、
 - ①AI等のデジタル技術を駆使したより広範な知識・能力の習得を可能とする博士課程コースの新設
 - ②社会人の受け入れ



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	東京科学大学、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）
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 2024年度 修了人数： 5名、アカデミア就職者：4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：5名 2022年度 修了人数： 5名、アカデミア就職者：4名 2023年度 修了人数： 3名、アカデミア就職者：2名 2024年度 修了人数： 5名、アカデミア就職者：4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）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になった。
- ・ また、「創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための構想会議中間とりまとめ」において、国際共同治験・臨床試験を推進するため、アジアを中心とした治験・臨床試験ネットワークの強化を行うとされている。
- ・ これらを受け、日本主導の国際共同治験の強化へつなげ、治療薬等の開発・供給の加速を目指すため、アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築を継続する。具体的には、ソフト面（現地教育研修）及びハード面（現地拠点構築）の整備を継続し、安定的に臨床研究・治験が実施可能な基盤の維持・実施体制の拡大を行う。
- ・ さらに、国際水準の治験・臨床試験実施体制の整備のため、これまでに整備した基盤の継続性の確保、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、更なる拠点の整備を推進し、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。

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

医薬品プロジェクト

○ アウトプット

- ・基礎研究の成果を薬事承認につなげて革新的な医薬品を創出すべく、企業導出や薬事承認等の出口を見据えた医師主導治験等の実施
- ・特に企業における開発が進みづらい等の理由により、ドラッグラグ・ロスが生じている領域におけるアカデミア等による臨床開発の推進

○ アウトカム

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

橋渡し・臨床加速化プロジェクト

○ アウトプット

- ・生物統計家育成推進事業 育成学生数 10～20名
- ・臨床研究・治験実施件数 2件

○ アウトカム

- ・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、半数以上の修了生がアカデミアに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	1,063,811
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	1,063,811

令和8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8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

セラノスティクス対応放射性医薬品の試験要件についての評価研究（令和5～7年度継続中）

治療用放射性医薬品の非臨床試験と臨床試験デザインに関するガイドライン（案）

目次
1. 緒言
1.1 背景
1.2 目的
1.3 一般原則
1.4 適用範囲
2. 非臨床評価試験及び項目
2.1 薬効薬理
2.2 安全性薬理
2.3 薬物動態
2.4 薬量評価
2.5 毒性
2.5.1 一般毒性評価
2.5.2 遺伝毒性、生殖発生毒性及びがん原性評価
2.5.3 免疫毒性評価
2.5.4 光安全性評価
2.5.5 局所刺激性評価
2.5.6 代謝物の評価
2.5.7 不純物の評価
2.5.8 放射線感応毒性評価
2.6 第1相臨床試験の実施までに必要な非臨床安全性評価
2.7 製造販売承認申請までに必要な毒性評価
3. 臨床試験デザイン
3.1 ヒトに初めて投与する際の初回投与量
3.1.1 放射線投与量
3.1.2 質量投与量
3.2 臨床試験での増量計画と最高投与量
3.3 医薬品の併用
4. 他の考慮すべき事項
4.1 過剰
4.2 授乳
用語解説
引用文献

- 放射性医薬品の放射能、ペプチド・タンパク質部分、その他一般事項に関する品質評価手法に関する検討、放射能標準物質に関する研究を実施するとともに、放射性医薬品の製造販売承認申請書モデルの作成を進めた。
- 新規の治療用放射性医薬品の製造販売承認申請及び臨床試験開始に必要な非臨床試験、並びに臨床試験を実施する場合に考慮すべき基本的事項を提供することを目的とした「治療用放射性医薬品の非臨床試験と臨床試験デザインに関するガイドライン（案）」を取りまとめて規制当局に提出した。
（令和6年8～10月パブリックコメント）

エクソソーム製剤の品質管理戦略構築に関する研究（令和4～6年度）

- 微粒子である細胞外小胞（EV）を有効成分とするという既存バイオ医薬品との最も大きな違いに着目して粒子特性を中心とした評価法開発を行い、液体クロマトグラフィーと紫外可視分光検出器および多角度光散乱検出器を組み合わせた分離分析法、フローナノアナライザー等を用いた単一粒子レベルでの特性解析法の構築の他、抗炎症作用及び軟骨細胞走化作用に関するin vitro評価法の構築と高感度化を行い、主として天然型EV製剤の開発過程で必須となる特性解析に利用可能な複数の評価系を構築した。
- EVを有効成分とする製剤の品質管理戦略構築の各要素について規制上の推奨事項を整理し、品質確保に資するガイドラインの作成を進めた。

【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5～6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 96%（49/51）

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3期）」では、国民に最新の医薬品を速やかに届けるため、創薬標的の探索から臨床研究・治験に至るまで、幅広い研究開発を行うことが求められている。また、新規モダリティの創出・育成のため、各種モダリティに対する評価系の開発、レギュラトリーサイエンス研究を推進する、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8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

放射性医薬品、生体材料利用医療機器、アデノ随伴ウイルスベクターを用いた遺伝子治療製品など新たなモダリティを活用した医薬品・医療機器・再生医療等製品について、従来の製品とは異なる特性を考慮した品質・安全性の評価手法の開発やガイドライン等の作成を実施する。

・医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究

生殖・妊娠期から老年期までのそれぞれの段階に特有の課題を考慮するが求められていることを踏まえ、リアルワールドデータ等を活用した周産期の薬物治療と児への影響評価にかかわる基盤整備や安全性評価研究、小児向けの治験における患者負担の軽減に資する微量採血手法の実施に関する検討とガイドライン等の整備を実施する。

研究の成果・活用

- ・新規モダリティに特有の考慮すべき事項を明確し、これらに関連する評価手法が確立されることにより、品質・安全性の確保された新規モダリティの迅速かつ効率的な開発と審査に貢献することが期待される。
- ・妊婦および児の安全性評価研究の強化により、周産期医療における新規医薬品開発の促進と市販後の医薬品リスク低減に寄与する。
- ・小児治験の効率的な実施により、喫緊の課題となっている小児用医薬品のドラッグラグ・ロスの解消への貢献が期待される。

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】

新規モダリティを活用した医薬品等の品質・有効性・安全性に係る各種評価系の開発や、先進手法を用いた評価技術の標準化等を行う。それにより、これらの技術の薬事規制における活用や、各種評価に携わる人材の育成、システム等の環境整備等に資するエビデンスを得る。

【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7年2月18日一部変更）を元に記載。

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が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AI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区分	予算額(千円)
医薬品	3,459,222
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
感染症	0
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	3,459,222

令和8年度概算要求のポイント

- 「健康・医療戦略」(令和7年2月18日閣議決定)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in vivo薬効試験等の実施含む)や、創薬コーディネーターによる支援拡大(他事業への連携や企業導出後)、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の構築を継続すると共に、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し、実際の創薬シーズにおいて活用する。(拡充)
 - 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

(※)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。

＜アウトカム＞

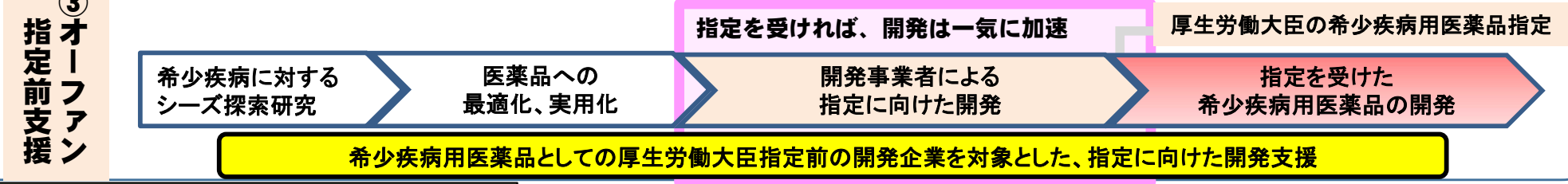
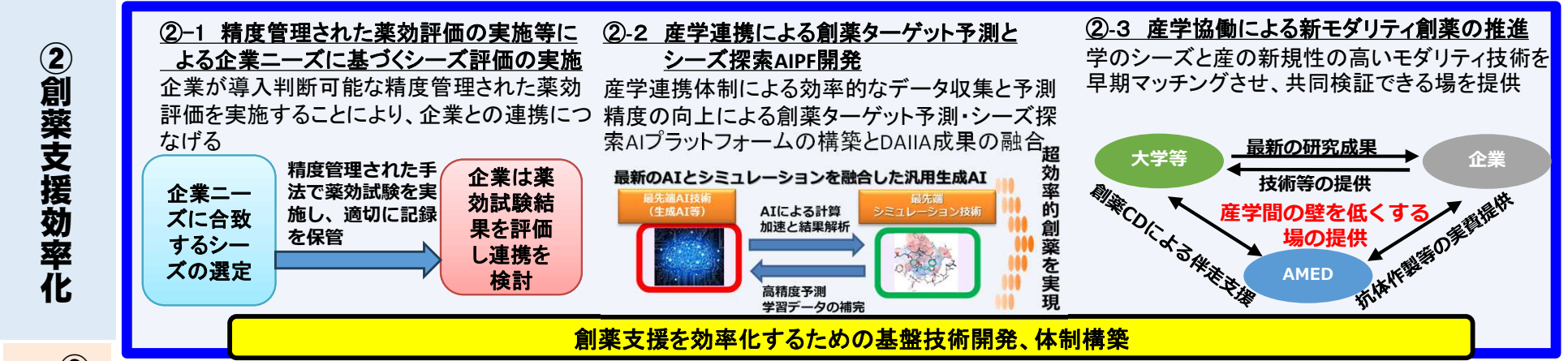
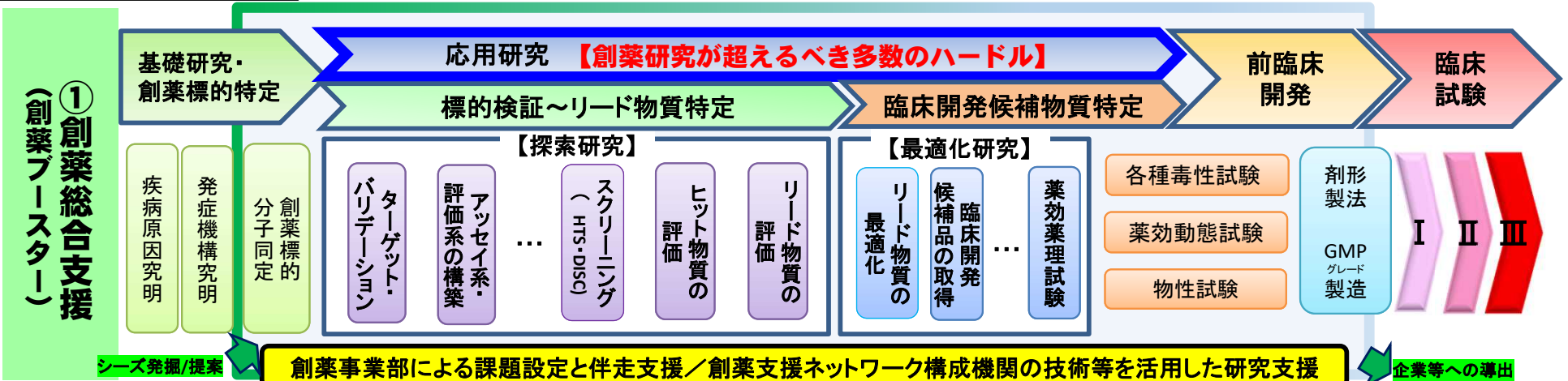
・シーズの企業への導出件数8件に加え、スタートアップ3社の設立に支援シーズが貢献(令和2～6年度)
・希少疾病用医薬品指定件数1件、薬事承認件数1件(令和2～6年度)
・DAIIAにおいて、製薬企業17社の高秘匿性データの連合学習により、化合物設計が可能な創薬AIプラットフォームを構築し、既に産学において活用を開始。

○企業への導出(ライセンスアウト) (令和7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

具体的な研究内容等



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

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

事業概要(背景・目的)

- 「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日閣議決定、以下「医療機器基本計画」という。)では、輸入超過の状態にある治療用医療機器の安定供給のため、日本企業が供給可能な機器のラインナップを強化する必要があるとされた。
- 本事業では、医療ニーズの高い医療機器等(※)の研究開発を促進する。
 - ※ 健康無関心層の疾病予防・重症化予防や医療従事者の業務の効率化・負担軽減に資する医療機器
 - 小児用の小型又は成長追従性の医療機器
 - 高齢化等により衰えた身体機能の補完・向上に資する医療機器 など
- また、クラスⅢ・Ⅳの医療機器等の開発リスクが高く着手が難しいテーマに対する支援を行う。それを通じて、革新的なアイデアや技術を用いた医療機器の研究開発を促進し、革新的な医療機器の実用化を図る。

PJ区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	1,186,517
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
感染症	0
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	1,186,517

令和8年度概算要求のポイント

- 「医療機器基本計画」において、「医療従事者の業務の効率化・負担軽減に資する医療機器」について、特に注力する分野として掲げられている。疾病の早期診断、治療計画の生成や患者負担の大幅な軽減、高い治療効果等により医療負担の軽減に資する医療機器の開発を目指す課題の採択数を増加する必要がある。
- 「健康・医療戦略」(令和7年2月18日閣議決定)ではAI等のデジタル技術を融合的に活用した医療機器の開発を推進することを掲げている。画像診断支援AIや治療用アプリ等のプログラム医療機器の開発を目指す課題の採択数を増加する必要がある。
- 革新的な医療機器の研究開発については、初期フェーズにおいて、多数のプロジェクトへの分散的な支援を行い、開発早期からの段階的なサポートにより、開発リスクが高く着手が難しいテーマの開発を促進する必要がある。そのため新たなマイルストーン型の開発支援を実施する。

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

- 夜間の体動データを解析し、呼吸安定性に関する指標を提示する体動情報解析プログラムを開発した。また、多施設共同医師主導治験により、体動情報の遠隔モニタリングシステムの安全性・有効性の検証を行った。それにより、心不全増悪を早期に検知し、治療の強化により再入院を回避できることを示し、令和6年8月に薬事承認された(クラスⅡ)。
- 消化管壁(胃)と胆管間に吻合部を形成し、ドレナージのために使用する、胃壁側末端にフック状のアンカーを持つ自己拡張型の経消化管胆道ドレナージステントおよびデリバリーシステムを開発した。医師主導治験を実施し、その有効性および安全性を確認し、令和6年9月に薬事承認された(クラスⅢ)。
- 【医療機器・ヘルスケアPJ】
 - ＜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2～6年度) 53%
 - ＜アウトカム＞
 - ・クラスⅢ・Ⅳの医療機器の薬事承認件数(令和2～6年度) 4件
 - ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況(令和2～6年度) 28件

具体的な研究内容等

既存研究課題

①医療負担の軽減に資する医療機器の実用化を目指す臨床研究・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の臨床研究・治験等を支援

②革新的医療機器の実用化を目指す臨床研究・治験等

これまでに無かった新しい技術・原理・効能・用途などを有した革新的な医療機器を開発し、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

③小児用医療機器の実用化を目指す臨床研究・治験等

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

④高齢者向けまたは在宅医療分野の推進に資する医療機器の実用化を目指す臨床研究・治験等

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

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

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

0929通知等に基づき、治験を実施せずに医療機器の評価を行う研究を含む。

⑥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

新規研究課題

⑦マイルストーン型開発支援プログラム（ヘルスデック・チャレンジ）

医療機器開発の初期フェーズにおいて、アカデミアやスタートアップの持つ革新的なアイデアや技術の概念実証や実現可能性調査を実施

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】

治験に至った件数（令和7年度～令和11年度）

- ・医師主導治験の治験計画届の届出数 8件
- ・企業治験の治験計画届の届出数 2件
- ・臨床性能試験の数 10件

優れたシーズの発展・継続支援件数（令和7年度～令和11年度）

- ・過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 5件

その他（令和7年度～令和11年度）

- ・PMDA対面助言実施件数 25件

【期待されるアウトカム】

薬事承認

- ・医療機器の承認・認証
- ・体外診断用医薬品の承認・認証

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(ユニバーサルヘルスカバレッジ)と健康長寿社会の実現に貢献する。

PJ区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	298,082
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
感染症	0
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	298,082

令和8年度概算要求のポイント

- (新規)①令和8年度は、開発途上国・新興国における医療機器開発支援モデルの構築
- バイオデザイン等のデザインアプローチを活用した製品開発を推進するため、これまでに整理された開発手法と仕組み等を備える環境の整備と開発支援モデルの構築を通じて、開発途上国・新興国等における医療機器の開発支援の強化等を図る。5年間をかけて開発支援モデルを構築し、現地での実用化までを一貫してサポートする体制を整備する。
- ②中東地域との関係構築
- 優先して研究開発を推進しようとするアフリカ諸国への導入にあたって、ゲートウェイとしての機能も見込める中東地域を含める。中東地域は、地理的・経済的にアフリカとの連携が強く、調達・物流・人材育成等の観点でアフリカ諸国とのハブ機能を果たし得ることから、対象国としてネットワーク構築の観点で戦略的意義が高い。
- (継続)アフリカを対象とした研究開発課題において、非電動式陰圧創傷治療システムの開発を通じて、電力供給が不安定な地域での治療法の実証を行い、また、眼科医療機器の開発では、遠隔医療の活用を視野に入れた製品開発を推進する。令和7年度公募で採択された場合、複数の事業者による「アフリカにおける医療技術等実用化研究」を開始予定。アフリカ市場の複雑性に対応するため、以下の取り組みを推進する。
- －アフリカ覚書締結国等でのネットワーク構築(現地保健省、医療機関、アカデミア、企業、日本の関係機関等)
 - －認証や調達を見据えた支援の検討等

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。

「安全なバッグ換気のためのモニタ」など、バイオデザイン等のデザインアプローチを活用した製品開発を推進する課題を16件実施し(うち5課題が令和7年度も継続中)、また、デザインアプローチを活用し製品開発を支援する課題を1件実施した。

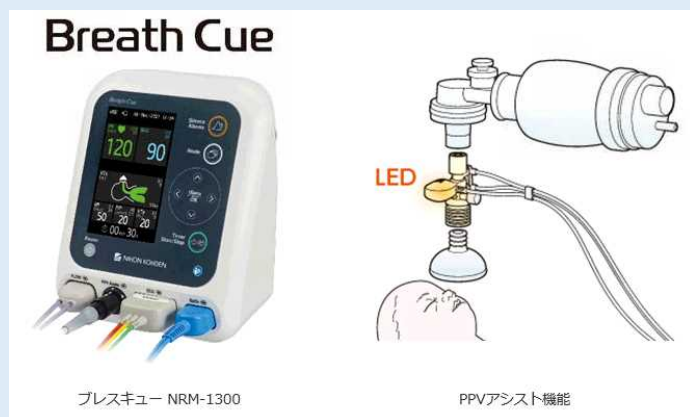
- 【医療機器・ヘルスケア】
- ＜アウトプット＞
 - ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題の割合(令和3～6年度) 6%
 - ＜アウトカム＞
 - ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数(令和3～6年度) 0件

- 記載例
- 【医薬品(第2期計画での名称)】
- ＜アウトプット＞
 - ・非臨床POCの取得件数(令和3～6年度) 2件
 - ・臨床POCの取得件数(令和3～6年度) 1件
 - ＜アウトカム＞
 - ・シーズの企業への導出件数(令和3～6年度) 2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



- 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、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

＜期待されるアウトプット＞

○医療機器の開発に関する指標

- ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題の割合 25%への貢献

＜期待されるアウトカム＞

○医療機器の開発に関する指標

- ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数 20件への貢献
- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行への貢献

○製品導入による定性的効果

安全かつ低コストでの呼吸管理の手法の導入、腎疾患スクリーニング効率向上、マラリア原虫感染者発見効率向上によるマラリアの効率的な治療、新生児蘇生成功率の向上、骨関節機能障害低減によるQOL改善、感染症予防接種率向上、予防可能な失明と視力障害の低減、X線装置を用いたAI診断による肺感染症診断率向上、医療現場における新型コロナウイルス変異株の簡易検出による診断効率向上、モバイル型SNS連動胎児モニター活用による周産期死亡低減、結核の治療モニタリングによる結核患者数の低減等

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	3,240,624
感染症	0
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	3,240,624

令和8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6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、97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6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 128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 153件
 - ・治験に移行した研究課題数 17件
 - ・臨床研究に移行した研究課題数 13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8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。



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

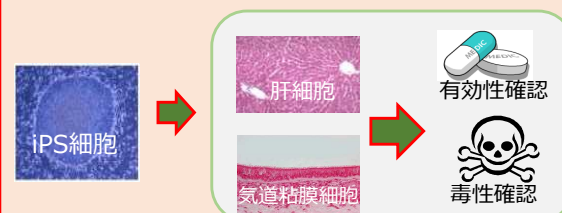
アカデミア発の再生医療等製品シーズ（細胞加工物、核酸等）を速やかに実用化に繋げていくため、アカデミアがシーズ研究を行い、研究結果をもとに製造販売承認に向けて企業と協力する研究開発を支援。



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6年度において、拡張型心筋症に対する他家iPS細胞由来心筋細胞シートを用いた医師主導治験や、子宮頸がんに対する他家iPS細胞由来HPV抗原特異的細胞傷害性T細胞を用いた医師主導治験が開始されるなど、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6年度末) 4件、②承認申請・承認等に至った研究開発(令和6年度末) 0件、
③特許申請・登録等に至った研究開発(令和5年度末) 3件【R6は未集計です】、④基礎から実用化までの切れ目のない支援の実施(令和6年度末) 4件

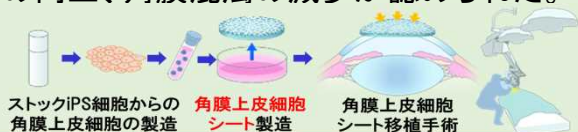
角膜上皮幹細胞疲弊症※に対する 他家iPS細胞を用いた臨床研究

(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。
- 重篤な有害事象は認めず、全例で角膜上皮幹細胞疲弊症の病期の改善、矯正視力の向上、角膜混濁の減少が認められた。



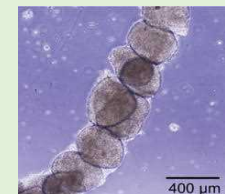
パーキンソン病※に対する他家iPS細胞 を用いた医師主導治験

(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例の患者に移植を実施、令和6年7月に治験を完了。
住友ファーマ社が国内承認申請準備中。
- 米国において、令和5年11月に医師主導治験(カリフォルニア大学)、令和6年3月に企業治験(住友ファーマ社)を開始。



ヒトiPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞

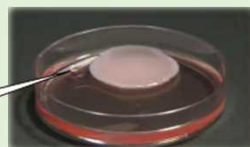
虚血性心筋症に対する他家iPS細胞由来 心筋細胞シートを用いた医師主導治験

(大阪大学・澤 芳樹 名誉教授)



- 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。
- 令和5年3月、全8例の患者への移植を完了。クオリプス社が国内承認申請に向けて準備中。
- 令和6年5月、適応拡大として、拡張型心筋症に対する医師主導治験を開始。(研究代表:大阪大学・宮川 繁 教授)

心筋細胞シート

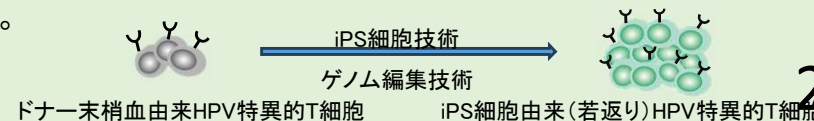


子宮頸がんに対する他家iPS細胞由来HPV 抗原特異的細胞傷害性T細胞を用いた医師 主導治験

(順天堂大学・安藤 美樹 教授)



- ヒトパピローマウイルス(HPV)抗原を認識する細胞傷害性T細胞を持つドナーから末梢血を採取し、一度iPS細胞にして再び細胞傷害性T細胞に誘導することで細胞を若返らせ、抗腫瘍効果を高め、更に、ゲノム編集技術によりHLAクラス I を改変し、免疫拒絶反応の回避を目指す次世代型iPS細胞製品。
- 令和7年1月から、HPV16型陽性の子宮頸がん患者を対象に、医師主導治験を開始。



これまでの成果概要等

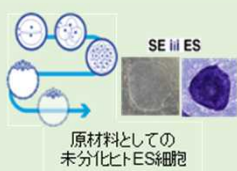
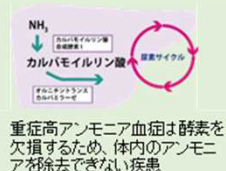
重症高アンモニア血症を生じる先天性代謝異常症※ に対するヒトES細胞製剤に関する臨床研究

(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細胞由来肝細胞を移植することで、根本治療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)。令和3年12月までに全5症例の移植を行い治験を完了、安全性および有効性を確認した。

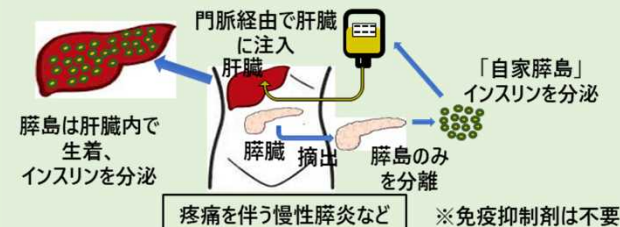


慢性膵炎等に対する膵全摘術に伴う自家膵島移植の先進医療制度下における多施設共同臨床試験

(国立国際医療研究センター・霜田 雅之 プロジェクト長)



- 膵全摘術が適応となる慢性膵炎および膵動静脈奇形の患者に対し、摘出した膵臓から膵島を分離、肝臓内に移植することで、インスリン依存性糖尿病の発症を防ぐ先進医療の多施設共同臨床試験。
- 令和4年7月に先進医療Bとして承認・告示され、同年11月に1症例目の移植を実施した。現在、継続実施中。



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)

※膝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)



- 再発又は進行性の骨・軟部肉腫と婦人科悪性腫瘍に対し、HER2※を標的とするCAR-T細胞を投与する医師主導治験。
- ※HER2はがん細胞に高頻度に発現する受容体型チロシンキナーゼ。
- 独自に開発した非ウイルス遺伝子改変技術(piggyBac法)によるCAR-T細胞製品であり、低コスト化が期待される。
- 令和4年4月に治験を開始。現在、継続実施中。

信州大学におけるHER2 CAR-T細胞の製造と品質試験



アフェーシス (信州大学病院 輸血部)

製造 (信州大学病院 CPC)

品質試験 (信州大学CARS QCラボ)

ゲノム創薬基盤利活用推進研究事業 (旧・ゲノム創薬基盤推進研究事業)

令和7年度予算額 320,140千円

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。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。
- 全ゲノム解析等実行計画に係る情報基盤等の利活用及び創薬推進等に向けた基盤整備に資する研究を行う。
- 旧・ゲノム創薬基盤推進研究事業より改組を行う。

PJ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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	320,140
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	320,140

令和8年度概算要求のポイント

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て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。
また、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。

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。

- 東北メディカル・メガバンク計画コホート参加者等の遺伝子情報に基づいて、薬物代謝酵素バリエーションの機能解析を行った。その結果を用い、最適な薬剤や投与量を選択するための基礎データを提供するjMorp PGx(Japanese Multi Omics Reference Panel Pharmacogenomics)(今後、jPGxDBに名称変更予定)を構築した。(令和7年2月)。
- アンチセンス核酸(ASO)やsiRNAに代表される核酸医薬の開発を念頭に、ヒト及び非ヒト霊長類(カニクイザル、マーモセット等)のゲノム及びRNAの情報を整理・編纂したデータベース(D3G, Database for Drug Development based on Genome & RNA sequences)を構築した。(令和7年2月)。
- ゼブラフィッシュを用い、VUSのうち、BRCA2の13バリエーションに対し、腫瘍発生リスク評価を行った。その結果3つのVUS(I332F、I332M、D352N)に病原性があることを同定した。(令和7年2月)。
- ＜アウトプット＞
 - ・非臨床POCの取得件数 (令和2～6年度) 5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2～6年度) 38件
 - ・新たな疾患発症メカニズム解明件数 (令和2～6年度) 10件
 - ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 (令和2～6年度) 22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2～6年度) 68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2～6年度) 4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2～6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2～6年度) 8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)

「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)」を踏まえ、内閣府・文部科学省・経済産業省と連携し、がん研究を着実に前進させるため、本研究事業では、非臨床領域の後半から臨床領域を中心に予防・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8年度概算要求のポイント

①「第4期がん対策推進基本計画」における3本の柱「がん予防」、「がん医療」、「がんとの共生」を支える基盤となるがん研究と共に、②遺伝子治療・細胞治療による難治性がんを対象とした医師主導治験、③AI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、④リバーストランスレーショナルリサーチの観点から課題解決に繋がる挑戦的研究を引き続き推進する。

また、新たに、⑤異なる事業間をまたいで連続的に研究開発を支援する仕組み(ペアリング・マッチング)に基づく革新的創薬シーズ実用化研究を推進すると共に、⑥国際競争力の高いシーズ開発のための先端解析技術に基づいた大規模臨床・マルチオミックスデータレジストリ構築および新規治療薬モデリティー技術を用いた非臨床試験から医師主導治験を推進する。⑦難治性がんの克服を目指す治療法開発研究については、フラッグシップとなるようなプロジェクトを実施する。⑧予防については、大規模な複合データ解析による新たながん疫学の開発研究を推進する。⑨個別化医療の進展に伴う治療選択の複雑化を見据え、個別化医療の推進に資する研究体制の構築を進める。

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7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 18件

・臨床POCの取得件数 6件

【アウトカム】

・シーズの企業への導出件数 14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) 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 3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 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)

・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 21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) 1,128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 1,049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 7件

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

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

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

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

(※)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

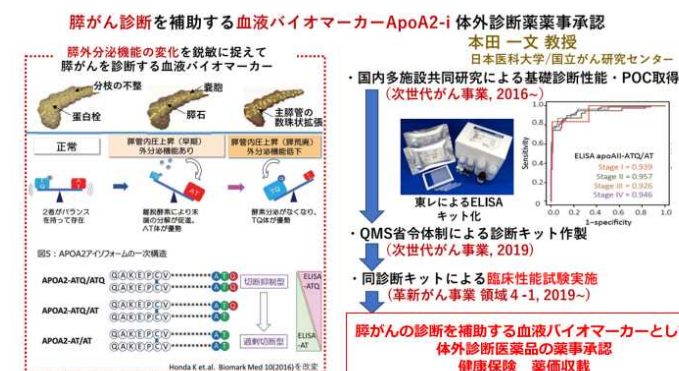
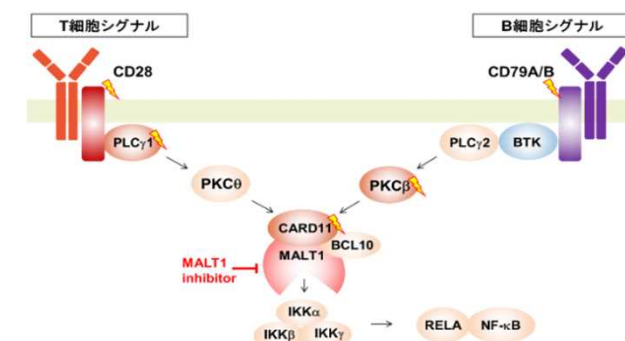
①医薬品プロジェクト【期待されるアウトプット、アウトカム】令和6年度末迄の達成状況（括弧内は令和6年度までの達成目標）

【アウトプット】

- ・非臨床POCの取得件数 18件(5件以上)
- ・臨床POCの取得件数 6件(1件)

【アウトカム】

- ・シーズの企業への導出件数 14件(3件以上)
- ・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) 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)



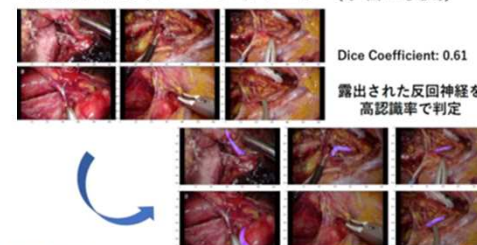
ノボキアウェブサイト: https://www.optune.jp/for_patients/optune/

AIを用いた食道がん手術における術中反回神経認識支援システムの研究開発 (R5～R7)
国立がん研究センター 東病院 藤田武郎

研究内容

プログラム医療機器(SaMD)として開発中である人工知能(AI)臓器認識支援システムは、ピクセルレベルの画像認識手法であるSemantic segmentationを用いて執刀医に対し詳細な解剖構造の情報支援を行うことで、誤認や確認不足を生じやすく、時には経験を積んだ外科医でないと認識が困難な反回神経をリアルタイムで検出・強調表示し、その同定支援・注意喚起を行うことにより執刀医の認識を支援するツールである。
薬事承認に向け、PMDA相談も進行中である。

ESOSCANのトレーニングデータ(学習に使用)



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

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6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 3件(-)

【アウトカム】

・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認 1件(-)

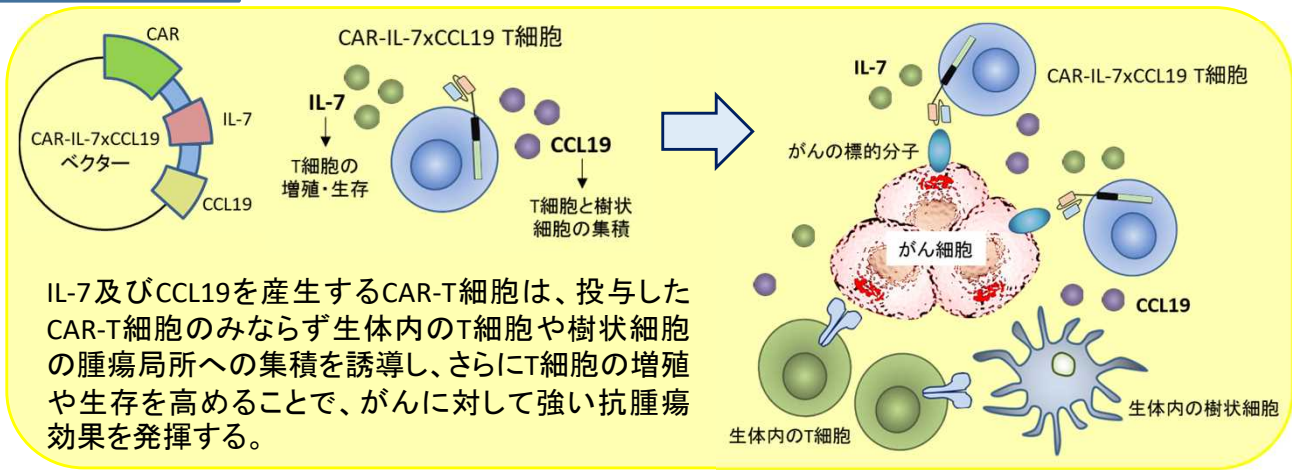
具体的な研究内容等

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

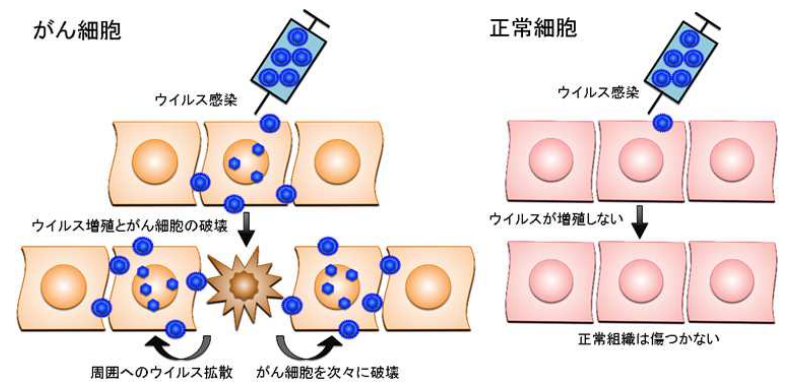
研究代表者らは、固形がんに対するCAR-T細胞療法の標的分子として、CAR発現効率及び腫瘍増殖抑制作用の高い分子を見出した。また、当該分子を認識するCARに加え、IL-7及びCCL19を組み込んだCARを発現するCAR-T細胞を開発し、非臨床試験及びGMP製造体制の構築を行った。本結果をもとに国内企業へ導出され、以後の臨床開発は企業のもとで行う予定である。



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

(※)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

- 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6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 1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】

動体追尾技術と複合回転技術の融合による革新的放射線治療技術の開発と臨床評価 (R6～継続中)
国立大学法人京都大学 溝脇尚志

研究内容

本研究課題では、令和5年7月に薬事承認、販売開始されたOXRAY(株式会社日立ハイテク)によるジンバル照射ユニットを併用したDSA照射法の有用性と実行可能性・安全性を検証するため、広範な標的を対象に適用拡大すべく照射技術、ジンバル併用型DSA照射法の有用性を検討し、臨床試験に展開する。さらに、先行して開始する動体追尾VMAT臨床試験にジンバル併用型DSA照射法を導入し、OXRAYでしか実現できない新たな照射法(動体追尾DSA-VMAT)を実装する。将来的には、本照射技術の有用性を示すことで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を目指す。

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～R5)
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6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 21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) 1,128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 1,049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

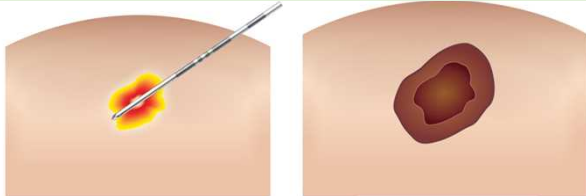
病的バリエーションとピロリ菌感染情報を組み合わせて算出した胃がんのオッズ比

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

(※)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

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。

非浸潤または小型非小細胞肺癌に対する機能温存手術の確立に関する研究(H27～R6)
国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院 渡辺俊一

研究内容
日本臨床腫瘍研究グループ(JCOG)で実施された3つの臨床試験の結果により、臨床病期1A1-2期非小細胞肺癌に対する縮小手術の有効性が示され、充実成分最大径/腫瘍最大径比の数値によって、異なる手術手法が推奨されることが明らかとなった。これまで、I期肺癌に対する手術は、肺葉切除が標準治療であったが、縮小手術の実施により患者負担が軽減し、Quality of Life(QOL)の向上に繋がる。これらの成果は、肺癌診療ガイドライン2024年版(外科治療CQ3.)に掲載された。

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、R7年度中旬に小児白血病・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—

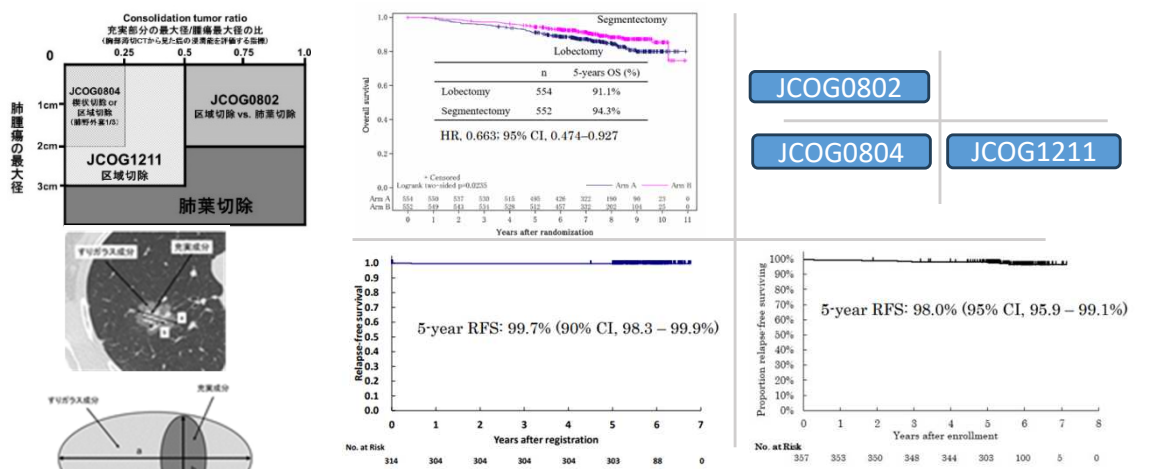
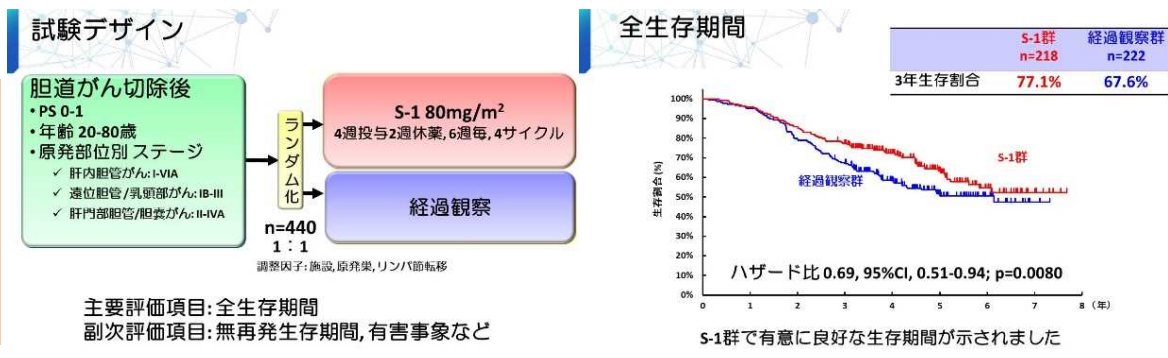
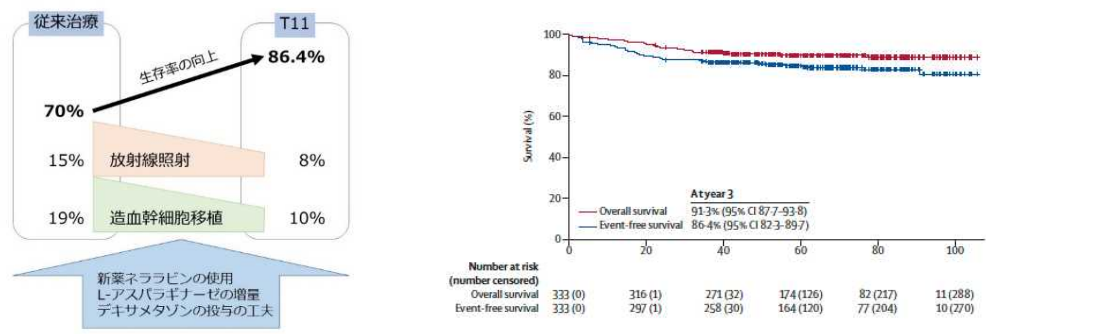


図: 縮小手術(肺楔状切除・肺区域切除)の有効性が示された



具体的な研究内容等

プロジェクト⑤(疾患基礎研究)

国際共同研究に資する大規模日本人がんゲノム・オミックス・臨床データ統合解析とゲノム
予防・医療推進(R5～R7) 国立研究開発法人国立がん研究センター 柴田 龍弘

研究内容

英国サンガー研究所並びにWHO国際がん研究機関(International Agency for Research on Cancer, IARC)との国際共同研究に参画し、発症頻度の異なる日本を含む世界11か国の腎細胞がん(淡明細胞型腎細胞がん)962症例の全ゲノム解析から発がん要因の解析を行った。その結果、日本人の腎細胞がんの7割に他国にはほとんど見られない、未知の発がん要因が存在することが明らかとなった。

今後さらに研究を進め、本研究で明らかになった未知の発がん要因を解明することにより、日本における腎細胞がんに対する新たな予防法の開発が期待される。本成果は2025年1月に「Nature」誌に掲載された。

※国立がん研究センタープレスリリースから引用改変:
https://www.ncc.go.jp/jp/information/pr_release/2024/0514/index.html

腫瘍微小環境のミトコンドリア異常に基づく新規バイオマーカー及び治療開発(R4～R6)
国立大学法人岡山大学 富樫 庸介

研究内容

がん細胞の周りにいる免疫細胞にもがん細胞と同じmtDNA変異があることを発見し、それががん細胞からミトコンドリアが免疫細胞に移ってきた結果であることを、世界で初めて明らかにした。この異常なミトコンドリアが原因で免疫細胞の働きが悪くなり、そのためにがん免疫療法が効きにくくなることも証明した。

がん細胞が生き残るための新しい仕組みを解明したもので、今後は新しい治療法の開発や、がん免疫療法が効くかどうかを見分けるマーカーとしての応用が期待される。本成果は2025年1月に「Nature」誌に掲載された。

※岡山大学プレスリリースから引用改変:
https://www.okayama-u.ac.jp/tp/release/release_id1338.html

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

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6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)

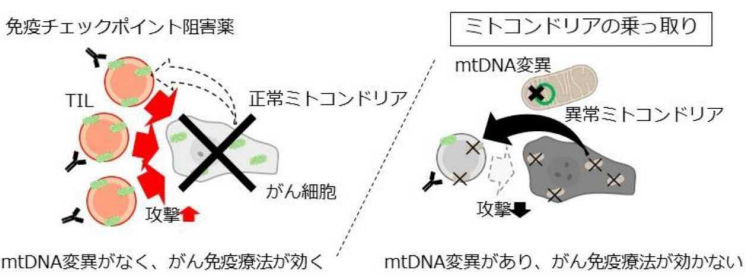
【アウトカム】

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出 7件(-)

国際共同研究により世界最大規模の腎臓がんの全ゲノム解析を実施
日本人の7割に未知の発がん要因を発見

各国との変異シグネチャーの比較
SBS4は喫煙が原因、SBS12は原因不明、SBS22a/22bはアリストロキア酸が原因、SBS40a/b/cは原因不明

がん細胞が自らの異常なミトコンドリアを周囲の免疫細胞に
伝播させ、がん免疫療法に耐性を獲得



事業概要(背景・目的)

2024年1月に施行された「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、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、2024年12月に策定された認知症施策推進基本計画においては、アルツハイマー病に加えて、レビー小体型認知症や前頭側頭型認知症、脳小血管病や高齢者タウオパチー等病態未解明である認知症の病態解明・診断法・治療法・介護方法の開発につながる研究を推進することが示されている。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。

PJ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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	1,229,825
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	1,229,825

令和8年度概算要求のポイント

応用研究分野においては、新たな認知症治療法の開発に向けて、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8年度は3年度目に当たり、これらの研究を継続するとともに令和8年度には追加公募を実施する予定。

臨床研究分野においては、令和5年度より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)。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」を開始した(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「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」を推進した。令和8年度には、遺伝性認知症コホートデータを活用した病態解明研究(新規)、住民コホートデータを活用した認知症の病態解明研究(新規)、アルツハイマー病の疾患修飾薬に関連するゲノム研究(新規)、プレクリニカル期/MCI期の層別化研究(新規)を推進する。

基礎研究分野においては、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」開進した。(継続)認知症診療に資するバイオマーカー開発研究については継続的に推進していく(継続・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。

<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治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治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。

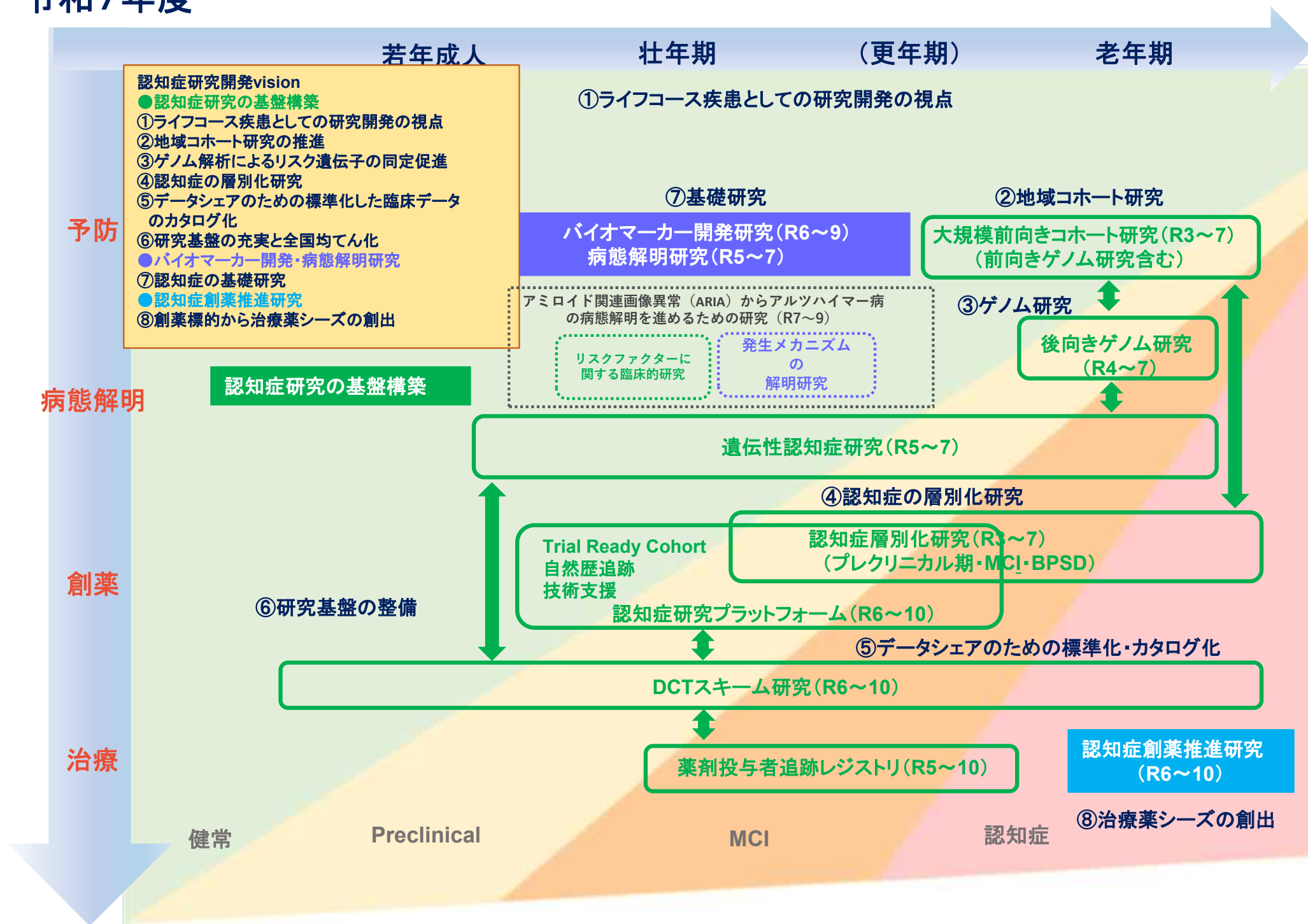
<ゲノム・データ基盤PJ>アウトプット(令和2年度～令和6年度)

- ・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

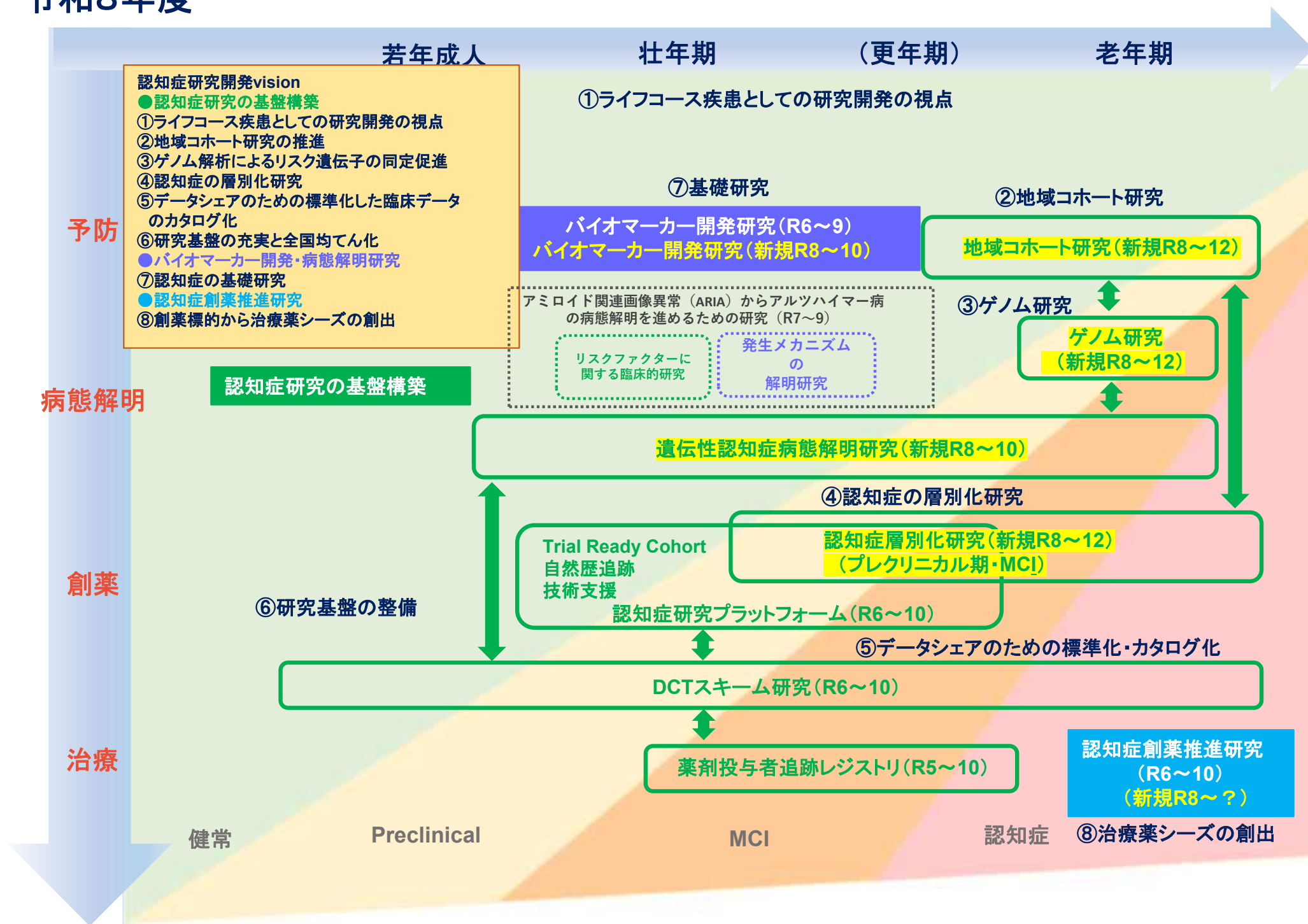
<疾患基礎研究PJ>アウトカム(令和2年度～令和6年度)

- ・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

令和7年度



令和8年度



事業概要(背景・目的)

精神疾患を有する総患者数は約603万人である。また精神病床の入院患者数26.6万人のうち、1年以上の長期入院患者は15.2万人にのぼる。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資す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開発および最適化、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。

PJ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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	361,383
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	361,383

令和8年度概算要求のポイント

- ・**精神障害分野の研究促進に資するデータ利活用に関する研究**
精神疾患レジストリ(マイレジストリ)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、薬事申請に資するデータ整備を推進し、レジストリデータと企業の治験データ等を統合した解析を実現する。精神疾患の病態解明、客観的診断法の開発に加え、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。特に、令和8年度は**我が国初のレジストリ活用(試験の補完)**による**薬事承認**にむけて、うつ病に対する磁気けいれん療法(MST)の**医師主導治験**を推進する。MSTの既存治療法との比較評価に、マイレジストリを検証的治験の補完データとして利活用する。
- ・**客観的診断法の確立と治療の開発と最適化**
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開発・確立し、社会実装を可能とする研究を推進する。特に、令和8年度はミトコンドリア機能に着目したドラッグ・リポジショニングによる新規気分安定薬の開発を推進して、**前臨床および臨床POC**を得る。
- ・**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、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。令和8年度は**オンライン認知行動療法**の介入法確立とランダム化比較試験による有効性の検証を行い、地理的・時間的制約を克服する認知行動療法のモデル変革に資する実証データを提供する。

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。

- ・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)。
 - ・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事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)。さらに、うつ病に対する磁気けいれん療法(MST)の医師主導治験開始にあたってのPMDAとの医療機器プロトコル相談を実施した(令和7年4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)。
- 【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2～5年度)(IF5以上) 49件※、(IF5未満) 224件※
※クラリベイト Journal Citation Reportsより集計
- ・新たな疾患・薬剤関連遺伝子の同定(令和2～6年度) 1件 ・データ基盤構築状況(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) 1件

具体的な研究内容等

精神障害分野の研究促進に資するデータ利活用に関する研究

レジストリデータの利活用による精神疾患の治療効果、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、薬事申請に資するデータ整備を推進することで、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開発および最適化

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開発・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、特に思春期・若年成人世代を中心とした精神疾患・発達障害の早期発見、早期治療・支援を図るための研究開発を行う。

依存症の治療回復に資する研究開発

アルコール使用障害、薬物使用障害等の物質使用障害やギャンブル障害等を含む嗜癖性障害等の嗜癖関連の疾患において、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、アウトカム

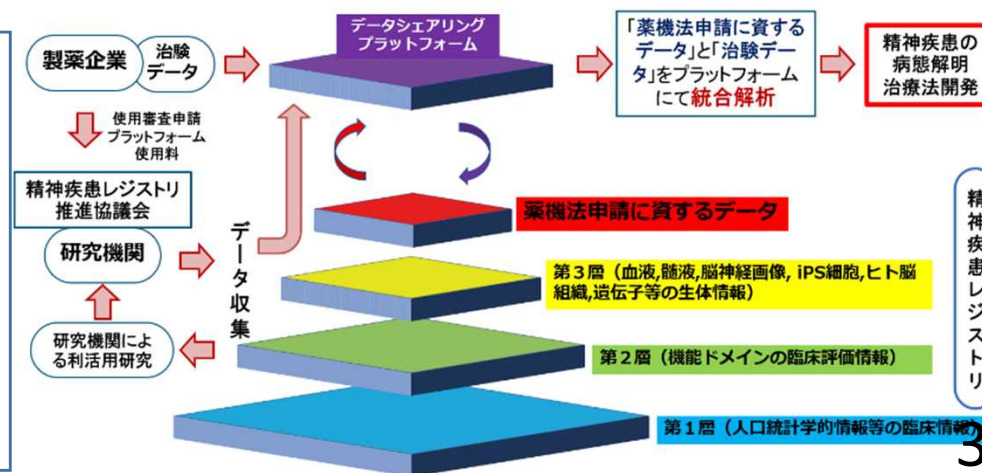
【期待されるアウトプット】

- ① 治験に至った件数 2件 ② 優れたシーズの発展・継続支援件数 2件
③ 臨床POCの取得件数 2件 ④ 非臨床POCの取得件数 2件 ⑤ 論文数（Top1%論文）20件

【期待されるアウトカム】

- 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、特に、精神疾患レジストリ（マイルジストリ）によって薬機法申請に資するデータ整備と利活用を推進することで、医薬品・医療機器に関する薬事承認件数 2件
② ガイドライン等への収載件数 2件 ③ 他の統合プロジェクトや企業等へのシーズの導出件数 2件
④ 臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 2件
⑤ 疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 2件

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医療法、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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	167,041
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	167,041

令和8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。

- ・災害時、緊急時に聴覚障害者が第三者を介さず、且つタイムラグなく情報入力、援助情報を共有する手段として、緊急通知音情報を振動に変換入力する機器を開発した。
 - ・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。
 - ・喉頭摘出者における音声変換技術を用いた自己音声の再獲得を目的とした発声補助機器を開発した。
 - ・当事者ニーズに基づいた聴覚情報処置障害診断と支援の手引きの開発した。
 - ・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。
- 【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）1件
 - ・臨床POCの取得件数（令和2～5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2～5年度）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2～5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2～5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2～5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医療は必ずしも同一ではない。そこで、リハビリテーション医療における層別化・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医療は必ずしも同一ではない。そこで、リハビリテーション医療における層別化・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、アウトカム

【期待されるアウトプット】

- ①治験に至った件数 1件
- ②優れたシーズの発展・継続支援件数 2件
- ③臨床POCの取得件数 1件
- ④論文数（Top1%論文） 5件

【期待されるアウトカム】

- ①ガイドライン等への収載件数 2件
- ②他の統合プロジェクトや企業等へのシーズの導出件数 2件
- ③臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 1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 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、ワクチン、診断薬、治療薬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診療体制、臨床研究の推進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
感染症	2,030,232
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	2,030,232

令和8年度概算要求のポイント

- ・分子構造を基盤としたエボラウイルス治療薬の開発研究【継続】
エボラウイルスやマールブルクウイルスなど、様々なフィロウイルスに広く有効な汎フィロウイルス薬の開発を目的とする。
- ・下水中病原体ゲノムの高感度解析技術を核とした感染症の越境流入監視体制の確立および国際連携基盤の構築【継続】
下水中ウイルスの高感度検出技術であるEPISENS法とCOPMAN法を改良し、熱帯感染症を含む新興・再興感染症や検疫感染症に対象を拡張する。
- ・インフルエンザに対するファビピラビル注射剤の有効性と安全性を探索するための第二相医師主導治験【継続】
入院を要するインフルエンザに対するファビピラビル注射剤の有効性と安全性を探索するための第Ⅱ相医師主導治験を実施する。
- ・節足動物媒介感染症の予防・治療・診断・感染制御に関する研究【新規】
改良したデング熱、ジカ熱、チクングニア熱の診断方法をアルボウイルスネットワークから全国の地衛研に拡大する。
- ・出血熱アレナウイルス感染症の予防法及び治療法開発のための分子基盤研究【新規】
ウイルス学、有機合成化学、構造生物学、生命情報科学の融合によって、出血熱アレナウイルス、特にラッサウイルスの研究開発に取り組む。
- ・侵襲性酵母感染症の診断・治療法の研究開発と薬剤耐性カンジダ症の疫学研究【新規】
- ・季節性インフルエンザウイルス流行株の構造・抗原性および遺伝子情報を利用した流行株の予測法の確立とワクチン株選定への活用【新規】
- ・アジア各国の感染症研究機関との高度な共同研究・連携体制に基づく先進的ネットワーク構築に関する研究【新規】
これまでの連携体制を基盤として、ネットワークの地域拡大・強化、より多様な感染症への対応、連携内容の高度化の発展を図り、アジアにおける多様な感染症流行の制御あるいは新たな感染症アウトブレイクへの対応を可能とする持続発展的かつ先進的なネットワーク体制構築を目指す。

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。

【感染症】	<アウトカム>	
<アウトプット>	・シーズの企業への導出件数(令和2～6年度)41件	
・非臨床POCの取得件数(令和2～6年度)60件	・薬事承認件数(新薬、適応拡大)(令和2～6年度)6件	
・臨床POCの取得件数(令和2～6年度)7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2～6年度)33件	41

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、ワクチン、診断薬、治療薬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(危機対応医薬品等の研究開発等)
2. 薬剤耐性(AMR)に対する新規治療法の研究開発
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・治療法の研究開発

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
- i CROWN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

- 予防接種の評価
- 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
- 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



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、ノロウイルス等の我が国に存在し、疾病負荷が高い感染症に対応する公衆衛生上必要性の高い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)

【期待されるアウトカム】

国内外の感染症に関する基礎研究及び基盤技術の開発から、診断法・治療法・予防法の実用化研究まで、感染症対策に資する研究開発を切れ目なく推進することで上記のような事業成果を導出することにより、感染症対策が総合的に強化され、感染症から国民の健康が守られることが期待される。

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。

令和8年度概算要求のポイント

- ①医薬品プロジェクト
- ・ゲノム解析などを起点に蓄積されつつある創薬シーズを効率的に選別し、遅滞なく次の創薬ステップに進むため、シーズ研究を推進
 - ・希少疾患治療法の臨床開発のためのDX、特にDCT（Decentralized Clinical Trial）の推進
 - ・新規モダリティ医薬品の治験準備段階の研究開発支援を強化し、ドラッグ・ロスの解消を推進
- ③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
- ・治験（臨床試験含む）およびその準備に関する研究を実行し、画期的な診断・治療・予防法の開発の推進を推進
- ⑤データ利活用・ライフコースプロジェクト
- ・AI技術を活用したエビデンス創出や医療機器プログラム等の研究開発を推進
 - ・ゲノム医療、個別化医療の実現に向けた出口を見据えた研究開発を推進
 - ・早期診断や患者層別化および分散型臨床試験の推進につながるバイオマーカー等の評価指標創出を目指す研究開発を推進
 - ・新たな作用機序を持つ創薬標的の創出を目的とする、革新性・独自性の高い基礎研究に根ざした実用化研究を推進

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 1 5 2 件（R 6 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 1 6 件（R 6 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 6 年度末） 累計 5 2 件
 - ・ 承認申請・承認等に至った研究開発（令和 6 年度末） 累計 1 6 件
 - ・ 特許申請・登録等に至った研究開発（令和 5 年度末） 累計 1 3 0 件

PJ区分	予算額(千円)
医薬品	2,824,811
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	1,405,168
感染症	0
データ利活用・ライフコース	4,364,589
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	8,594,568

アウトプット・アウトカム

＜アウトプット＞ 1)～4)については令和7年度末まで

1) 権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数（シーズの企業導出件数）130 件／年

2) 治験に至った件数※ 60 件／年

※AMED 支援による研究成果を活用して治験へ移行した課題、または AMED 支援により治験を実施した課題。

3) 優れたシーズの発展・継続支援件数※ 120件／年

※AMED 内の事業間の連続的支援数。同一事業内での課題の受け渡しも含む。

4) 論文数（Top1%論文）（120 件／年）

5) 小児用医薬品の開発計画の策定件数：令和6～10 年度累積で 50 件

6) 希少疾病用医薬品の承認件数：令和6～10 年度累積で 150 件

＜アウトカム＞ 2025 年度から 2029 年度末まで

1) 薬事承認

2) ガイドライン等

3) 製品上市数

モニタリング指標

1) シーズの企業導出数

- ・ 導出形態別の件数
 - 権利譲渡契約件数
 - 実施許諾契約（オプション契約は除く）件数
- ・ 共同研究開発契約件数導出先別の件数
 - ベンチャー企業への導出件数
 - ベンチャー以外の企業への導出件数
 - ※それぞれについて、国内企業と外資系企業を区別する
- ・ 導出時の開発フェーズ（開発ステージ）別の件数
 - 非臨床試験開始以前に導出した件数
 - 非臨床試験開始後かつ治験開始前までに導出した件数
 - 治験開始後に導出した件数
- ・ 疾患領域別の導出件数
- ・ 導出内容別の件数
 - 技術導出件数、開発候補品の導出件数

2) 治験に至った件数

※AMED 支援により治験を実施した課題、または AMED 支援による研究成果を活用して治験へ移行した課題。

- ・ 医師主導治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数）
- ・ 企業治験の治験計画届の届出数（うち国際共同治験数）
- ・ 臨床性能試験の数

3) 優れたシーズの発展・継続支援件数

※事業間の連続的支援数。同一事業内での課題の受け渡しも含む。

- ・ ペアリングによる他事業への受け渡し件数
- ・ マッチングによる他事業への受け渡し件数
- ・ 過去に AMED 支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数

モニタリング指標

4) 薬事承認・認証

- ・ 品目の性格別の承認件数
 - 新規の承認件数
 - 適応拡大の承認件数
 - 海外承認・認証件数
 - その他
- ・ 医療における利用形態別の件数
 - 医薬品の承認件数（モダリティ別の内訳）
 - 医療機器の承認・認証件数（治療用／診断用の内訳）
 - 体外診断用医薬品の承認・認証件数
 - 再生医療等製品の承認件数

5) 医療等に実装された件数（薬事承認・認証を除く）

- ・ ガイドライン等の策定又は改定件数
 - 診療ガイドライン、開発ガイドライン、省令、基準、日本薬局方、添付文書改訂、国又は学会の技術文書（通知）等
- ・ ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数

6) 論文数

- ・ Top1%論文数
- ・ Top10%論文数
- ・ 全論文数

7) 研究環境における人的ダイバーシティ

研究者の男女（その他）比率

モニタリング指標

【個々の統合プロジェクトで定めるモニタリング指標】

① 医薬品プロジェクト

- ・ 非臨床 PoC 取得件数

③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

- ・ 非臨床 PoC 取得件数
- ・ 再生医療等安全性確保法下での臨床研究件数
- ・ RS 戦略相談の再生医療等製品の品質及び安全性に係る相談の対面助言件数

⑤ データ利活用・ライフコースプロジェクト

- ・ データ基盤構築の状況（データの蓄積・統合・連携および解析・実装を行った課題数）
- ・ 新たな疾患発症メカニズム解明の件数
- ・ 新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数

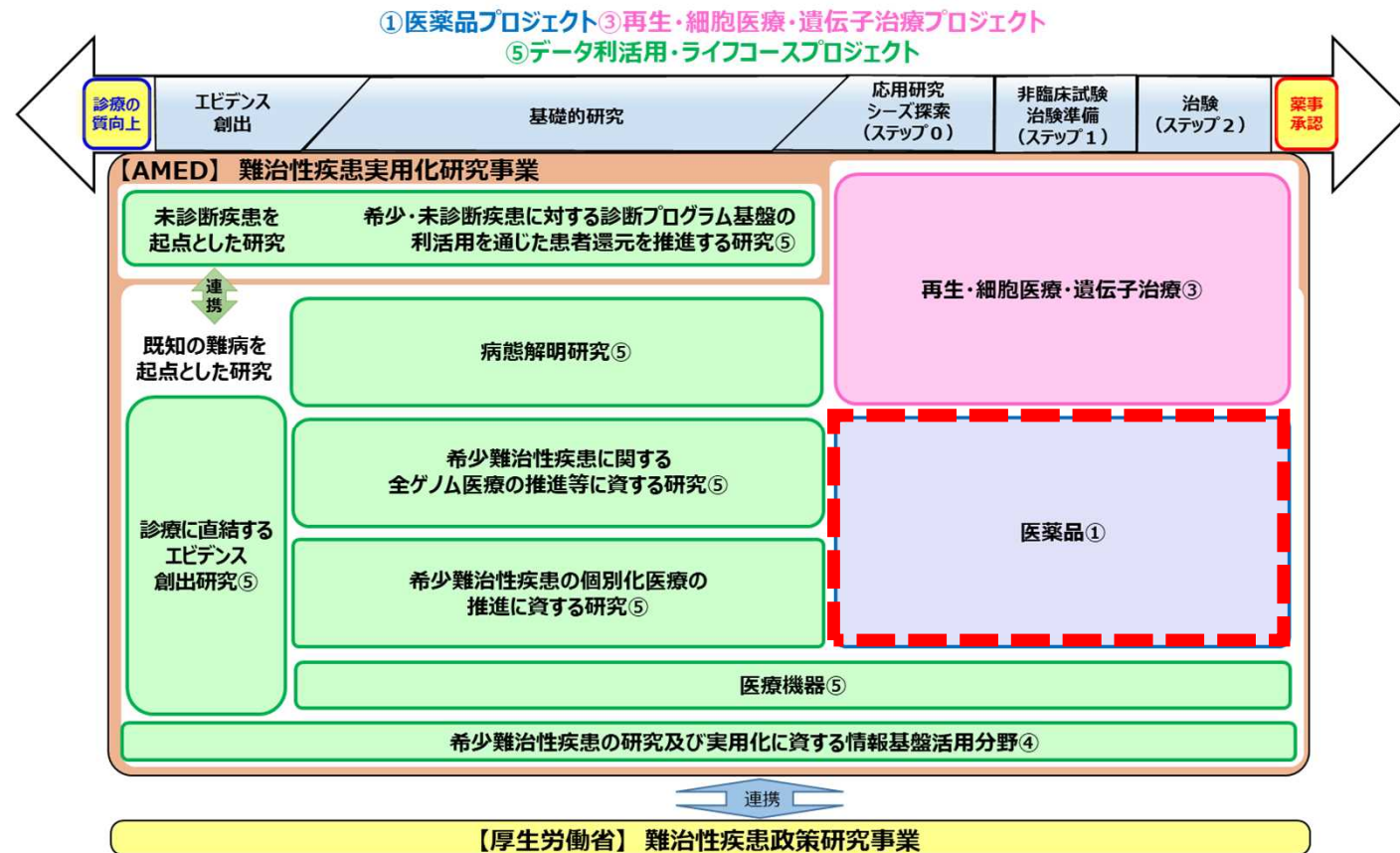
具体的な研究内容等(医薬品)

希少難治性疾患(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、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、厚生労働科学研究において行う
- ・実用化に向けた基礎的研究はAMEDの「データ利活用・ライフコースプロジェクト」において行う
- ・応用研究～治験はAMEDの「医薬品プロジェクト」において行う

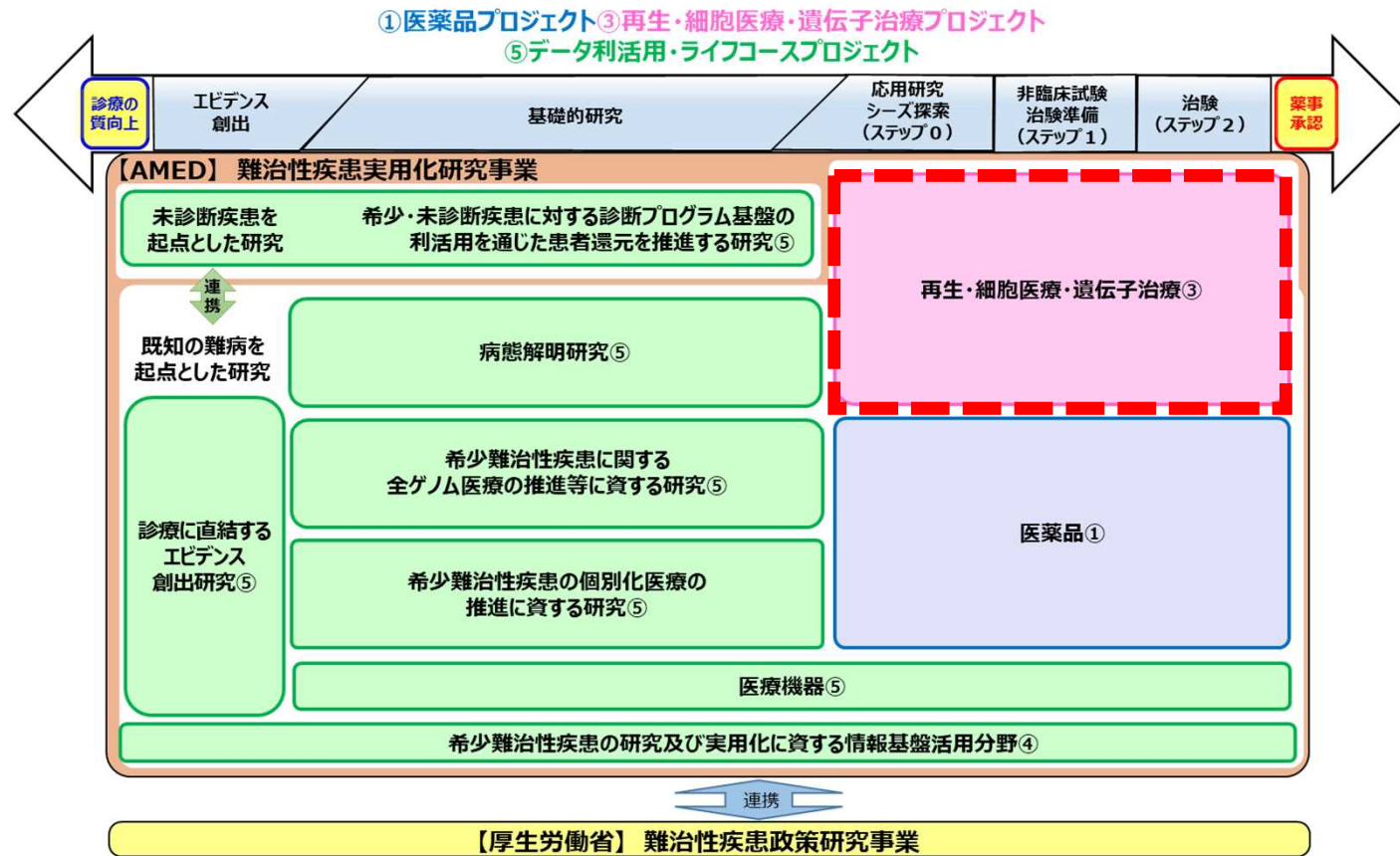


具体的な研究内容等(再生・細胞医療・遺伝子治療)

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」等と連携・協力・情報共有のうえ実施する。

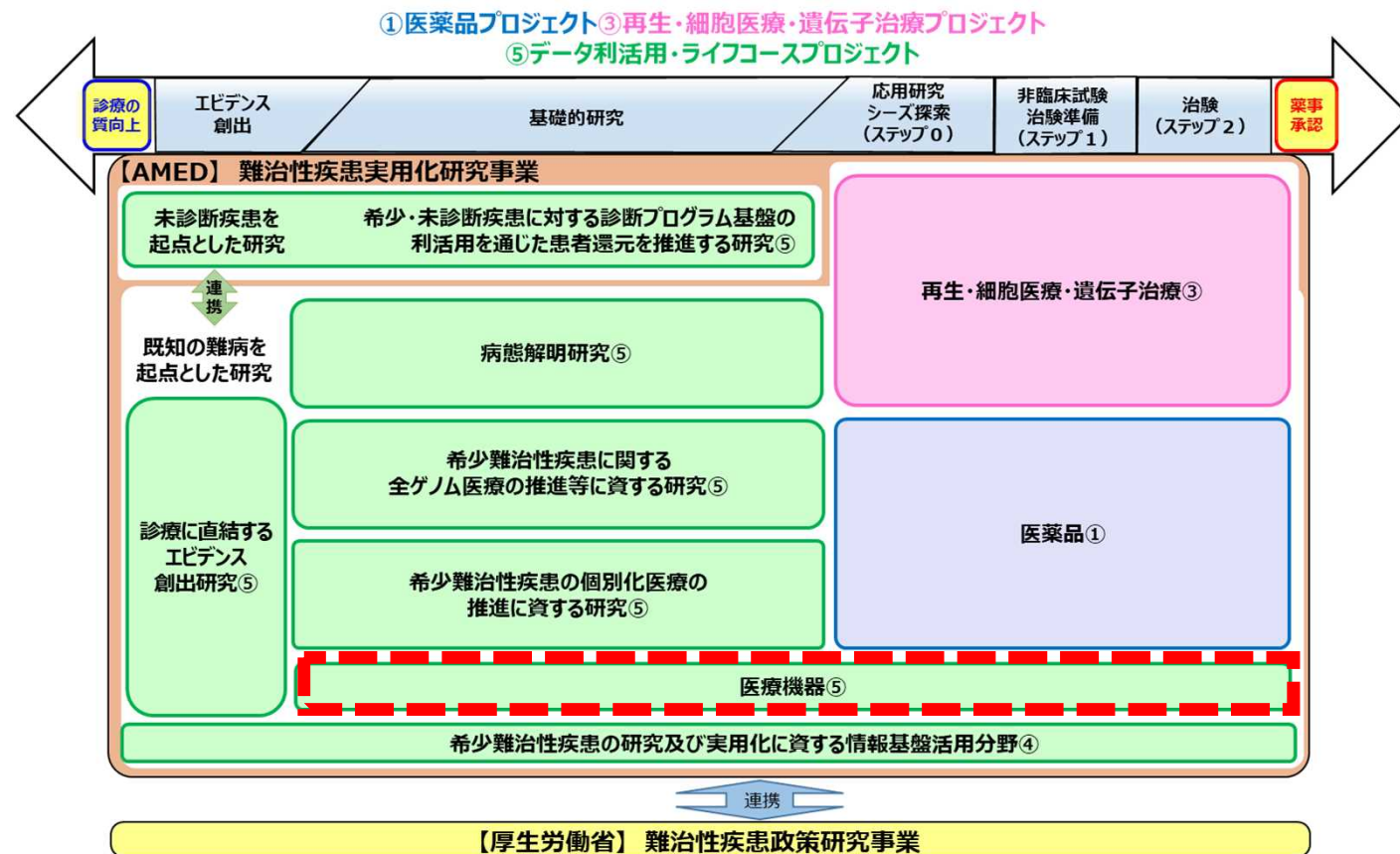


具体的な研究内容等(データ利活用・ライフコース(医療機器))

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。

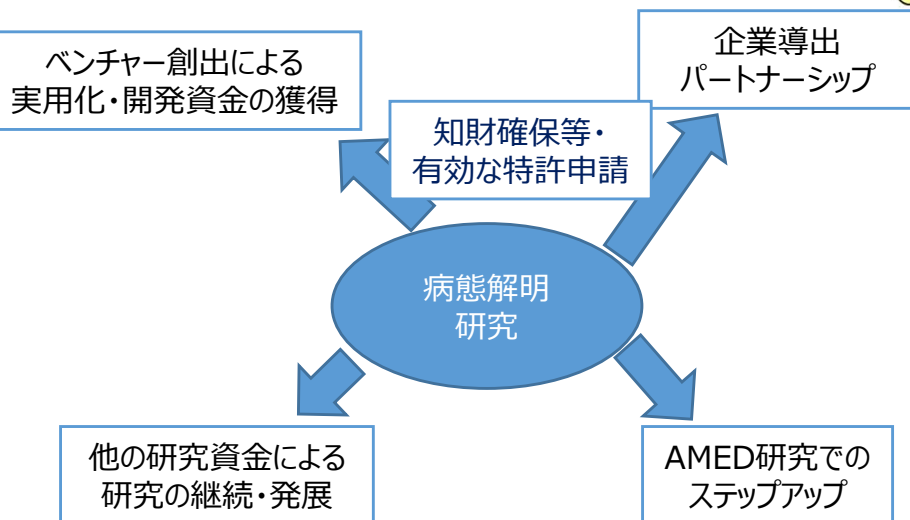
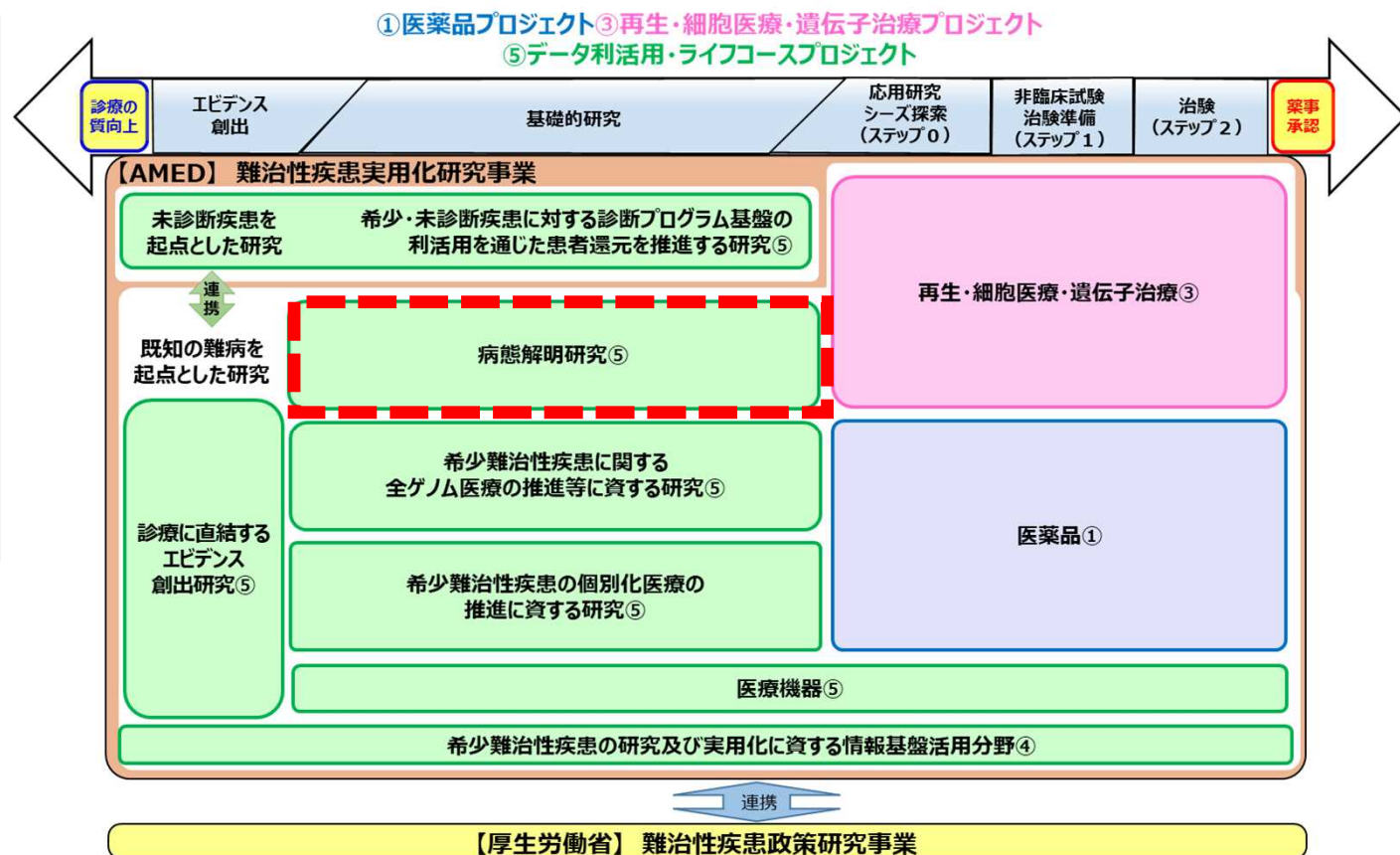
しかし、全ての研究課題が薬事承認を取得できるわけではないため、研究開発プロセスの重要な段階で、技術的観点及び事業化の観点より、PSPO会議等を行い次ステップへの移行に関する妥当性を評価(Go/No go判断)を個別に実施する。



具体的な研究内容等(データ利活用・ライフコース(病態解明))

先端技術を用いた革新的な研究や、独創性に富んだ解析技術等を活用した研究を通して、新規作用機序となる創薬標的を創出し、新たな医療提供を目指した実用化に繋がる研究を支援する。

若手研究者にも同様の研究を実施させることで、難病研究の基礎研究分野の研究を拡大・推進・活発化させ、希少難治性疾患におけるUnmet Medical Needsの低減を推進する。



具体的な研究内容等(データ利活用・ライフコース(ゲノム・診療エビデンス))

ゲノム解析を用いた研究として、全ゲノム解析等を推進する研究(国土班)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創薬を含めた利活用研究を推進している。

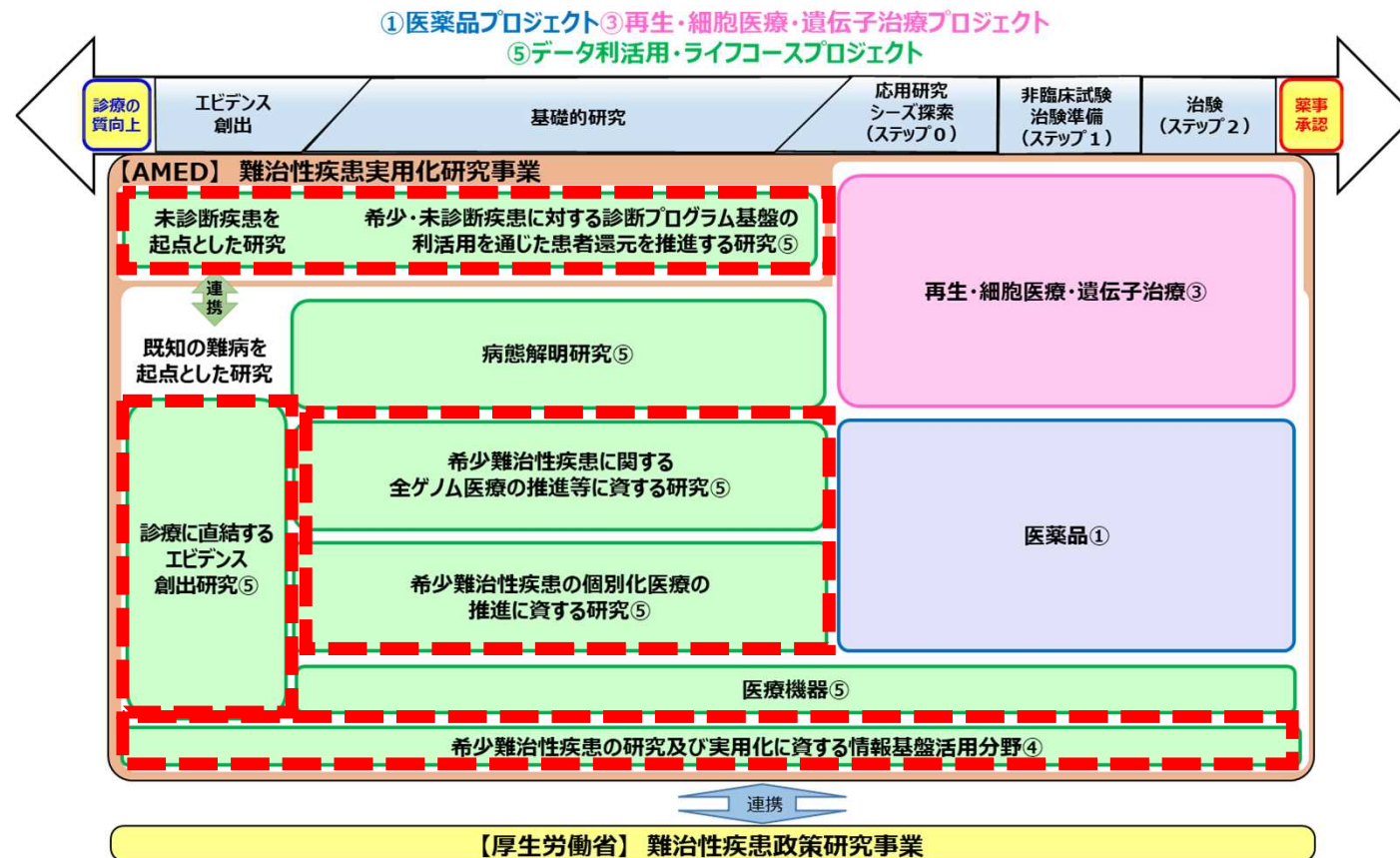
希少・未診断疾患の疾患特定を行い、新規病因性バリエーション候補の確定や病態解明研究を行う等で、未診断疾患の克服を推進する研究(IRUD)を行っている。

併せて、より高度なゲノム解析技術を用いた、病態解明を含めたゲノム医療・個別化医療の実現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公募枠を設定し、診療に直結するエビデンス創出を目指す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。

これらの希少難治性疾患の発症・重症化予防、病態解明、診断、治療等に資する研究開発を推進することで、ゲノム医療・個別化医療の実現を目指す。



事業概要(背景・目的)

グローバルヘルス(国際保健)は、人々の健康に直接関わるだけでなく、国家の平和と繁栄に影響を及ぼし、さらには、人類社会と地球との共存という観点からも、国際社会の最重要課題の一つである。我が国は、国際保健関連の政府方針・戦略を近年相次いで策定するとともに、令和5年のG7、令和元年のG20では議長国を務め、また、厚生労働行政の更なる推進のために国内戦略と国際戦略を連動させるべく、厚生労働省国際保健ビジョンを取りまとめた。同ビジョンでは、医薬品、医療機器及び医療技術等の開発を実現し、国内のみならず諸外国の医療の向上への貢献を推進することも表明しており、開発途上国・新興国等におけるニーズを踏まえた医療技術等の実用化のための研究事業の実施することも組み込まれている。我が国の保健・医療・福祉の豊富な知見・経験を海外にも共有、活用することで、世界の人々の生活や安全に貢献し、世界の安全、健康を日本の安全、健康に繋げ、海外への貢献、協働、交流により生まれる、知見、洞察を日本国民の生活、健康確保に活かす好循環を確立する。

PJ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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	86,491
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	86,491

令和8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
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・臨床研究を行い、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。また、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。若手研究者への支援となる取組みを続け、我が国の研究機関等に所属する若手研究者が海外で活躍できる人材に育成されることが期待できる。
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」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。

(※)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

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に反映されている。令和2年度より、低・中所得国における医療機器・医療技術等の国際共同臨床研究を実施、対象国での薬事承認申請や実用化につながる成果の導出を目指しているところ。令和3年度の採択課題では、本事業の対象地域のような医療資源の限られた地域で有用な簡易保育器(簡易保温器)が開発され、メーカーより販売開始となっている。



その他： 国際保健政策の策定・実用に貢献した研究開発 5件

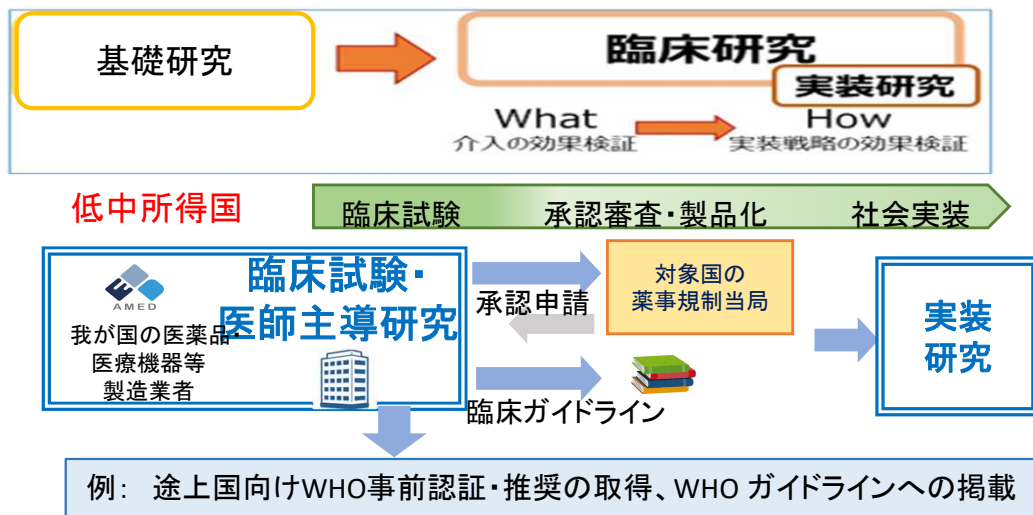
- 研究成果が、2つのWHOの母子保健ガイドラインへ反映された。
- WHOの保健医療人材(HRH) Profileに基づく日本版HRHプロファイルを作成し、WPRO公式出版物として公開された。
- WHO「心理的応急処置(PFA)フィールド・ガイド」を応用した教育ツールを開発し、国連の成果物として公開された。
- 研究成果が、Ghana National Action Plan for Health Security 2019－2023に反映された。

具体的な研究内容等

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

■ 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。



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

■ 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)

■ 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。
- 令和7年6月に「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」についてAnnual Scientific Meetingで発表(予定)
- 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。

- 令和7年度から開始した若手支援の取組み、および対象国としてアジア以外の国(特にアフリカ)での実装研究を継続して推進する。
- AMED内の、低・中所得国を対象とする他事業※1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(事業間連携強化)。

※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7年2月18日健康・医療推進本部決定「医療分野研究開発推進計画(3.3 AMEDの果たすべき役割(1)優れたシーズの創出・実用化の加速

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】

研究対象国における治療に至った件数(医師主導臨床試験届の提出件数、臨床性能試験の申請件数): **令和7年度末までに5件**

【期待されるアウトカム】

① 薬事承認・認証(海外承認認証件数): **令和7年度末までに1件**

② 医療等に実装された件数(ガイドライン等の策定又は改定件数): **令和7年度末までに1件**

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7年度予算額 111,788千円

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。

令和8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)に資する活動を引き続き推進する。令和7年度には、第27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、多くの良質な研究成果がEID国際会議において発表されていることから、引き続き「若手研究者育成のための日米共同研究公募」を行う。更に、毎年定期的に実施している米国との日米医学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とともに、女性研究者の育成、活躍の場拡大に資するネットワーキング機会提供を目的としたワークショップ等の開催を推進する

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。

- アジア地域等にまん延する疾病(新興・再興感染症等)に対する国際的な情報共有・活動、および研究組織の醸成に貢献
- 国際的な感染症等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が構築されるとともに、日米のみならずアジア地域の研究者との共同研究を通して、アジア地域における研究推進に貢献
- 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推進のほか、国際的に活躍できる若手、及び、女性研究者の育成に貢献

【シーズ開発・研究基盤】

＜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)への論文掲載件数(令和3～6年度) 140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3～6年度) 4件

PJ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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	111,788
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	111,788



第25回EID会議でのプレナリー講演、若手優秀ポスター賞発表の様子

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のための活動(専門部会間及び米国カウンターパートとの連携)

- ・ 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

◆ 専門部会全体としての包括的活動

- ・ 連携すべき重点研究領域の検討、若手・女性研究者のメンタリング・トレーニング

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

- ・ 若手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、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年間、研究費: 1チームで総額6万ドル (2年間合計)
- ・ 採択予定数: 新規採択課題数、継続課題数併せて12-15課題程度
- ・ 公募対象分野: 感染性疾患全般、感染症関連がん、栄養/代謝、免疫(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25回EID国際会議
パネル会議、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・女性研究者育成のためのメンタリング強化

◆ 若手育成のための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

◆ 女性研究者育成に向けたネットワーキング強化

- ・ 女性研究者活躍の場拡大に資するネットワーキング機会提供を目的としたワークショップ等の開催

期待されるアウトプット、アウトカム

(アウトプット)

- 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のための日米合同シンポジウム、会議等。
- 具体的には、優れたシーズの発展・継続支援(事業間の連続的支援)、論文、学会・シンポジウム等における成果発表、学会などと連携した日本国内外での日米合同会議、シンポジウム、ワークショップ等の開催

(アウトカム)

- 米国・アジア地域との緊密な情報交換、日米共同での若手・女性研究者の育成推進による、国際的に高いプレゼンスを示す優れた研究者への人材開発、および、研究者間の国際的な協力関係の構築は、世界規模での感染症の発生時における迅速な対応への大きな活用手段となる。
- 若手研究者育成共同研究プログラムにおける、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がる。

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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	708,764
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	708,764

令和8年度概算要求のポイント

- 個人に最適な循環器疾患・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に資する研究開発
- AIやICT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
- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣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
- ライフステージを意識した新たな知見を収集するとともに、適切な介入方法の研究開発

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】

- 東アジア特異的RNF213 p.R4810Kバリエーションの迅速判定に基づくリスク評価を進め、診断パネル開発のための多血管疾患の血管領域特異性を規定する要因を同定。
- 日本腎臓学会の大規模データベース慢性腎臓病患者包括的縦断データベース(Japan Chronic Kidney Disease Database: J-CKD-DB-Ex)Jを構築し、同データベースを新たに利活用することによって糖尿病関連の新たなエビデンスを創出。

<アウトプット> IF5以上の論文掲載件数(令和3～6年度) 44件

【疾患基礎研究PJ】

- 心臓血管内皮細胞が分泌するIGFBP7タンパクが心不全を増悪させることを発見し、ワクチンでIGFBP7を中和することにより心不全モデルを改善することに成功。
- 生理的な構造・機能を有するヒトiPS細胞由来3D血管を初めて開発し、国内および国際特許を出願。BIO 3Dプリンターを用いた分岐血管モデルのプロトタイプまで作製に成功。

<アウトプット> IF5以上の論文掲載件数(令和3～6年度) 292件・新たな疾患発症メカニズム解明の件数(令和3～6年度) 11件

具体的な研究内容等

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・医療器械開発やゲノム医療、再生医療等の事業への橋渡し

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

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



他事業との連携・協力・情報共有

循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

健康日本21(第三次)

循環器病対策基本法

期待されるアウトプット、アウトカム

<アウトプット>

- ・ 医療研究分野の論文数(Top1%論文数)
- ・ 優れたシーズの発展・継続支援件数(AMED内事業間継続支援件数)
- ・ 権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数(シーズの企業導出件数)
- ・ 医療等の分野のデータベースを活用した研究開発件数

<アウトカム>

- ・ 薬事承認
- ・ ガイドライン等

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総合センターが設立されたところであり、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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	139,361
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	139,361

令和8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・器官に関係する疾病の予防、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・器官に関係す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
性差が見られる健康課題の発症頻度、進行及び治療奏功性の解明に向けた研究を推進する。

(※)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

これまでの成果概要等

<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2～6年度) 22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2～6年度) 121件※
- 新たな疾患発症メカニズム解明の件数 (令和2～6年度) 4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	継続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)
	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 ・医療ビッグデータ統合解析に基づいた子宮内膜症の病態解明と発症予測モデルの開発 ・患者レジストリ・大規模データの解析に基づく子宮内膜症・子宮筋腫患者の層別化とプロダクションライフプラン個別化設計への応用	継続3課題 (R6～8:1課題、R7～9:2課題)	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)	・若年女性における月経関連の健康管理に資するツール開発	継続1課題 (R7～9:1課題)	新規1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)	・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 ・マクロファージの性差に着目した女性特異的な心血管疾患発症のメカニズムの解明 ・性差をみとめる運動器疾患の病態の解明とそれに基づく診断・治療・予防戦略の開発と社会実装の加速	継続4課題 (R6～8:2課題、R7～9:2課題)	新規1課題程度

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。

- ・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)

【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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	70,514
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	70,514

令和8年度概算要求のポイント

(増額)【医薬品研究】腎臓をターゲットにした画期的治療法の開発:開発候補物の創出を目的とした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推進する費用を拡充

【疾患基礎研究】腎疾患に対する独創的な病態解明研究: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、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 費用を拡充

＜継続研究課題名＞

- ・AMPKシグナルを基軸とした尿細管上皮細胞修復障害の解明と治療戦略
- ・グルコース応答性転写因子ChREBPをターゲットとした糖尿病性腎臓病の新規治療戦略の開発
- ・不良細胞外小胞を標的とした慢性腎臓病と腎性老化現象の病態解明

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

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

(※)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

【医薬品研究】メガリンを介する腎毒性物質の取り込みを選択的に阻害する薬剤(メガリン拮抗剤)の開発を進め、ヒット化合物を同定し、創薬研究を現在展開中。

【疾患基礎研究】3次リンパ組織を標的とした治療薬をヒト腎臓病に応用するための基盤データを獲得し、CKDの新たな治療法開発を進めている。

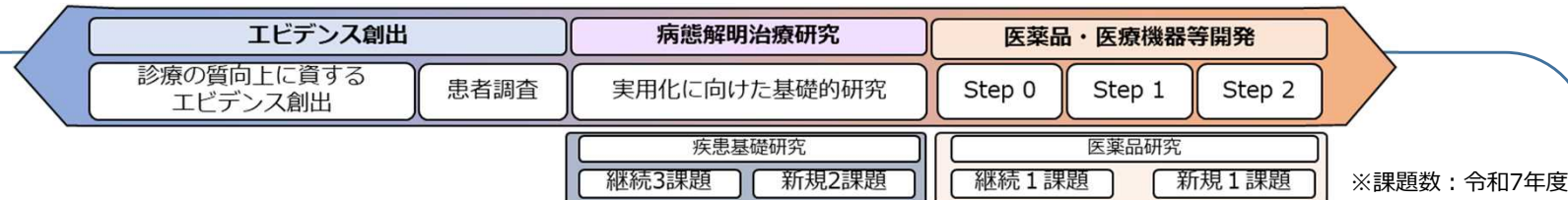
【医薬品PJ】

＜アウトプット＞非臨床POCの取得件数(令和3～6年度) 1件

【疾患基礎研究PJ】

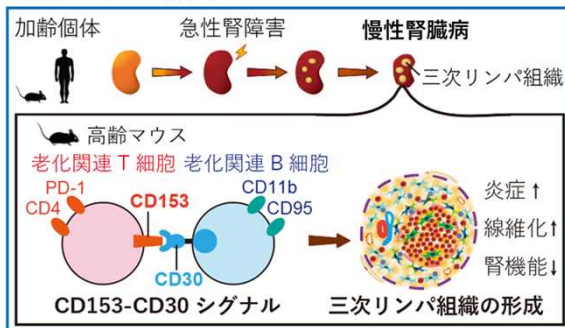
＜アウトプット＞科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数(令和3～6年度)5件 <アウトカム>他の統合プロジェクトや企業等への導出件数(令和3～6年度)1件

具体的な研究内容等



ヒト腎臓病における3次リンパ組織の役割の解明と治療介入対象としての蓋然性の検討
(柳田班 京都大学) R4~R6

基盤となる研究



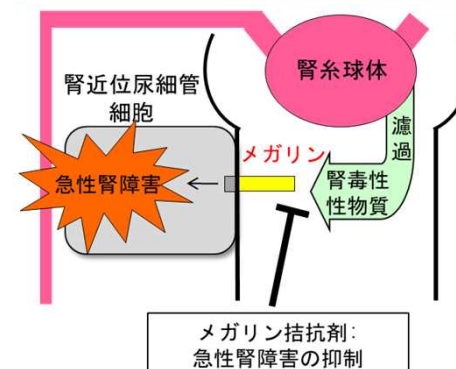
3次リンパ組織を標的とした治療薬をヒト腎臓病に応用するための基盤データを獲得し、CKDの新たな治療法開発を目指す

本研究開発の展望

- マウス
 - CD153発現細胞、CD153-CD30シグナルを標的とした治療介入の効果とヒトへの応用可能性の検証。
- ヒト
 - ヒト腎疾患、腎三次リンパ組織における老化関連リンパ球の性質の解析(網羅的遺伝子発現解析を含む)。
 - ヒト三次リンパ組織形成におけるCD153-CD30シグナルの役割の解明。
 - ヒト腎臓病での三次リンパ組織の臨床的意義の解明。

急性腎障害に対するメガリン拮抗剤の開発
(斎藤班 新潟大学) R4~R6

腎毒性物質の「入り口」分子メガリンをターゲットとした創薬研究



急性腎障害の発症を防ぐため、メガリンを介する腎毒性物質の取り込みを選択的に阻害する薬剤(メガリン拮抗剤)を開発することを目指す

- | | |
|----|--------------------------------|
| 成果 | 新規メガリン拮抗剤のスクリーニング・インシリコ解析 |
| 展望 | 化合物ライブラリーのスクリーニングと動物実験による効果の確認 |

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で引き起こされる病因遺伝子の同定、病態機構の解明
- CKDの病態解明に基づく効果的な新規治療薬の開発

【期待されるアウトカム】

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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	667,493
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	667,493

令和8年度概算要求のポイント

- (増額) 【医薬品研究】 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・データ基盤研究】 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】 (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) 【医薬品研究】 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】 臓器連関または異分野融合を取り入れた免疫アレルギー疾患の独創的な病態解明研究
- (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、アレルギー免疫療法、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。

- 【医薬品研究】
- ・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2～6年度) 2件
- <アウトカム> シーズの企業への導出件数(令和2～6年度) 2件
- 【ゲノム・データ基盤研究】
- ・過去最大規模の免疫フェノタイプ解析で自己免疫疾患の患者を層別化(令和7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2～6年度) 19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2～6年度) 0件
- 【疾患基礎研究】
- ・ウイルス感染後の全身性自己免疫疾患の発症機序の解明(令和6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2～5年度) 56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2～5年度) 0件
- ・新たな疾患発症メカニズム解明件数(令和2～6年度) 4件

具体的な研究内容等

ライフコース研究全体

継続 **26** 課題

新規 **12** 課題



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

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・データ基盤研究



継続2課題

新規1課題

疾患基礎研究



継続23課題

新規10課題

医薬品研究

継続1課題

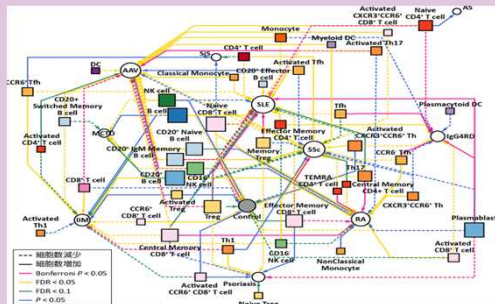
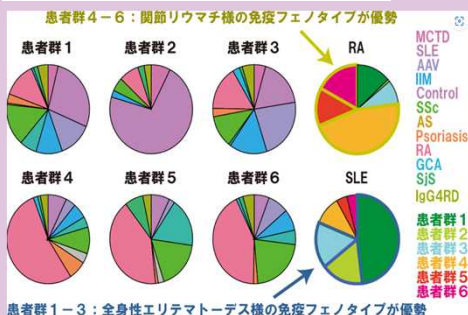
新規1課題

フェノタイプ解析による患者層別化

Annals of the Rheumatic Diseases 2023

東京大学
岡田随象先生

関節リウマチもしくは全身性エリテマトーデスの免疫フェノタイプに近い患者群2群に分類されること発見

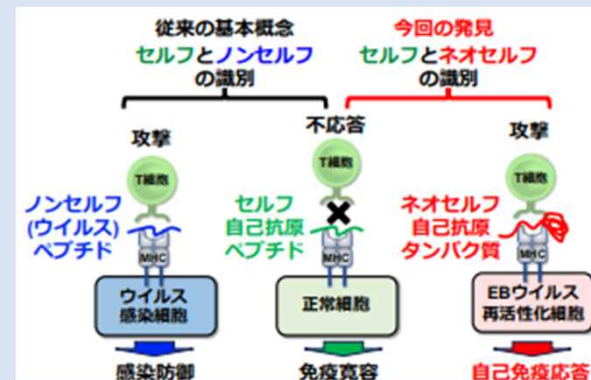


自己免疫疾患の解明

Cell
2024

大阪大学 荒瀬先生

全身性自己免疫疾患の発症機構を解明～T細胞によるセルフとネオセルフとの識別能が原因であることを発見～



期待されるアウトプット、アウトカム

令和2年度～7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 ・非臨床POCの取得件数：1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

具体的な研究内容等

ライフコース研究内訳：
医薬品

継続 **1** 課題

新規 **1** 課題



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

疾患基礎研究



継続23課題

新規10課題

医薬品

継続1課題

新規1課題

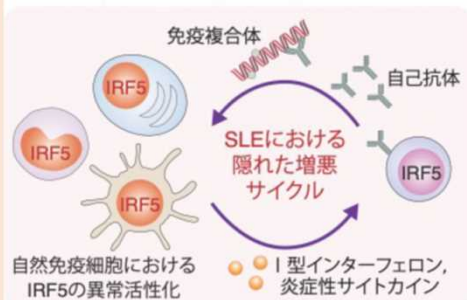
全身性エリテマトーデス

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

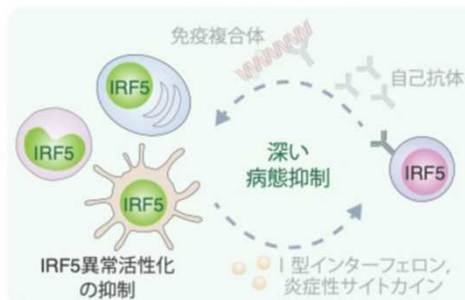
Nature communications 2021

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

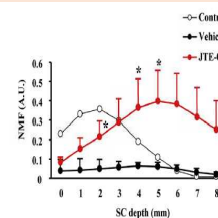
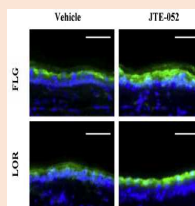


アトピー性皮膚炎

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

ライフコース研究内訳：
ゲノム・データ基盤

継続 **2** 課題

新規 **1** 課題



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

疾患基礎研究



継続23課題

新規10課題

医薬品

継続1課題

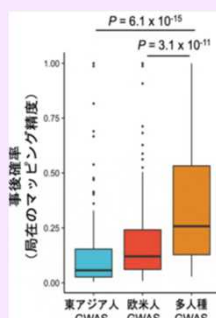
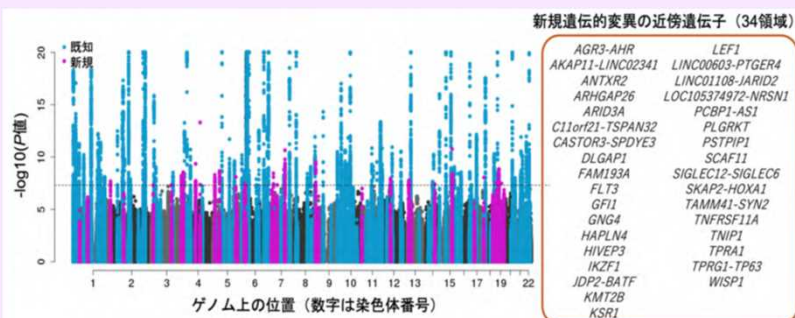
新規1課題

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—

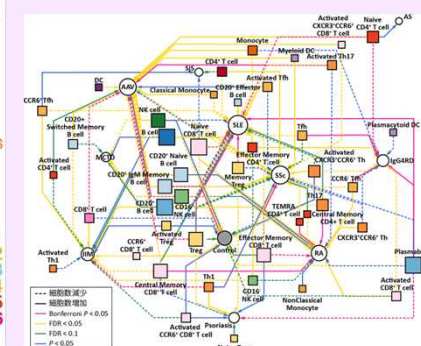
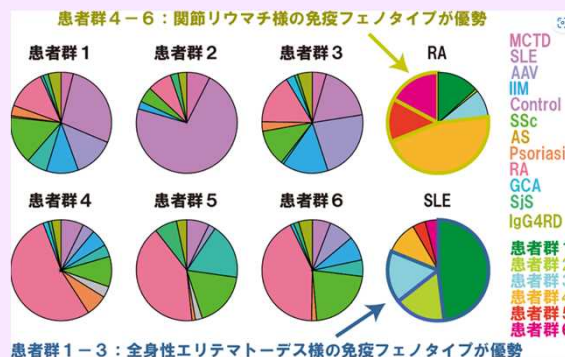


フェノタイプ解析による患者層別化

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

ライフコース研究内訳：
疾患基礎研究

継続 **23** 課題

新規 **10** 課題



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

疾患基礎研究



継続23課題

新規10課題

医薬品

継続1課題

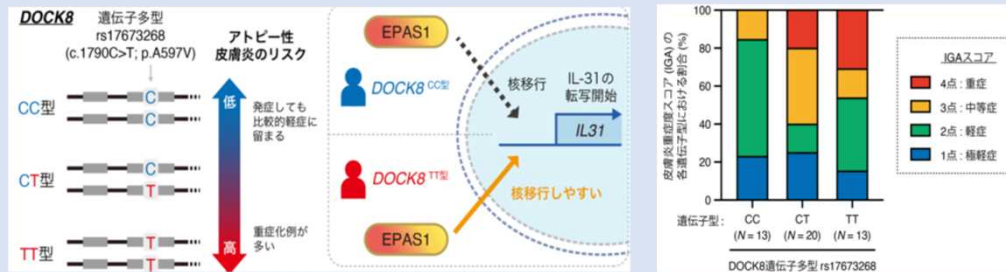
新規1課題

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

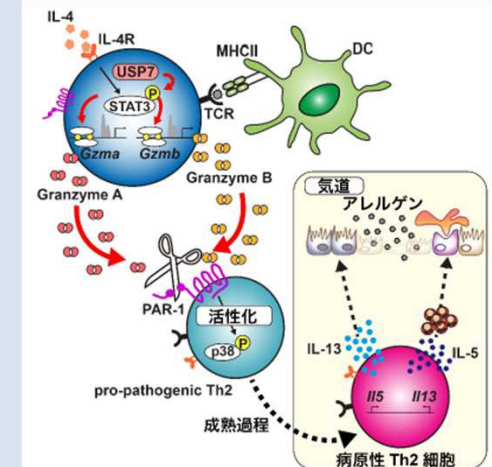


自己免疫疾患

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)

臓器・組織移植分野については、脳死下での臓器提供数は徐々に増加しているが、移植希望者数と比較して十分ではなく、本人や家族の臓器提供の意思を確実に汲み取る体制が求められている。また、移植実施施設の体制の構築や、限られたドナーソースを有効に活用することで、より多くの臓器提供につなげる必要がある。さらに、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については、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。

PJ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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	98,570
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	98,570

令和8年度概算要求のポイント

提供臓器・造血幹細胞の量と質の向上に資する取組、ドナーソースを広げる取組や、限られたドナーソース(提供される臓器、組織、造血幹細胞)を有効活用し移植治療成績を向上させるため、新規移植・臓器保存療法の開発、最適な移植療法の確立、効率的な移植医療実施体制の構築を3本柱として研究を行う。
ゲノム情報や臓器・造血幹細胞の提供・移植に係る臨床情報等に関するデータプラットフォームを構築することで、ドナー・レシピエントのあっせんの適正化、最適な移植医療技術の確立及び新規治療法等の開発につながる新規知見の収集に資する研究を行う。新規課題としては、下記課題に取り組む。
【臓器・組織移植分野】○移植医療の病院間連携に資するプラットフォーム開発に向けた研究
○提供臓器の量と質の向上に資するデータプラットフォーム構築と利活用に資する研究
【造血幹細胞移植分野】○造血幹細胞移植に用いる最適な移植片の選択基準と移植法を確立する研究

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。

〈臓器・組織移植分野〉【課題名】IL-6アンブに基づいた移植腎慢性拒絶と薬剤性腎障害の早期バイオマーカーおよび治療標的の同定のための研究(令和4年度終了)【概要】移植腎慢性拒絶と薬剤性腎障害のIL-6アンブ(過剰NFκB活性化)誘導に関し分析、尿中エクソソームに着目し、慢性抗体関連拒絶や薬剤性腎障害の新規バイオマーカーとしての有用性を検証した。【成果の活用】タクロリムス毒性に関してIL-6アンブの関与が判明し、ステロイドでの抑制効果が得られた。これにより、移植後の薬剤性腎障害発症抑制が期待できる。
〈造血幹細胞移植分野〉【課題名】マルチオミクス解析による移植後免疫再構築の解明とGVHDを予測する分子遺伝学的バイオマーカーの開発研究(令和4年度終了)【概要】移植患者の臨床検体スクリーニングから、移植後急性期におけるナイーブB細胞の回復遅延が後の慢性GVHDの発症と関連すること、移植後シクロホスファミドはこのB細胞新生を促進することを示した。

具体的な研究内容等

移植医療技術開発研究事業におけるスコープと新規課題

【臓器】提供臓器の量と質の向上に資するデータベース構築と利活用に資する研究

新規開発

新たな移植片保存技術・
デバイスと臓器適応評価
法の開発

移植後の免疫学的特性等の解析

新規技術に基づく移植・治療法の開発に資する研究

シーズ探索に資する研究

最適な移植法

臓器移植適応判断に資する研究【臓器】

ゲノムデータ

最適な移植片の選択

国内外のレジストリーデータの解析

新規知見に基づく疾患の予後予測・治療法及び
合併症の予防・治療法の最適化

実施体制の効率化

【臓器】移植医療の病院間連携に資するプラットフォーム開発に向けた研究

移植成績の向上、長期生存率の向上

移植前

移植術

移植後

➤ 最適なドナー・
レシピエントの選択

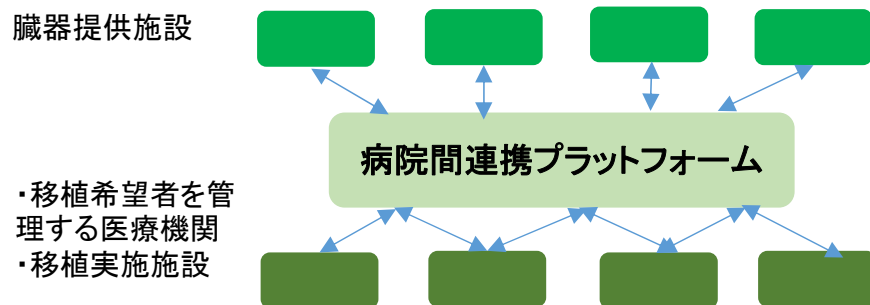
➤ 最適な移植術の選択

- 合併症に対する予防法や治療法の選択
- 長期生存の獲得と長期生存者におけるQOLの改善
- 移植後再発の予測と予防、早期介入

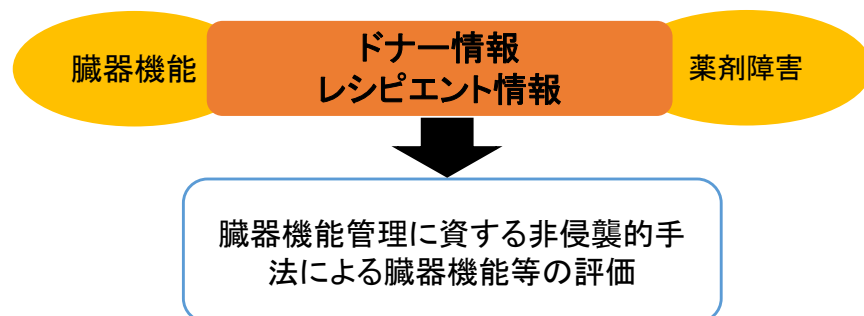
具体的な研究内容等

【臓器・組織移植分野】

- 移植医療の病院間連携に資するプラットフォーム開発に向けた研究

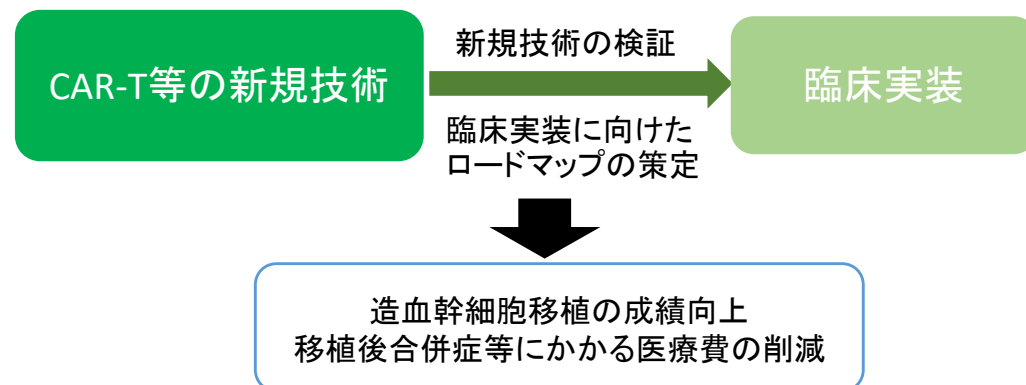


- 提供臓器の量と質の向上に資するデータプラットフォーム構築と利活用に資する研究



【造血幹細胞移植分野】

- 移植医療の病院間連携に資するプラットフォーム開発に向けた研究



期待されるアウトプット、アウトカム

○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等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、提供臓器数の増加、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性の合併症、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。

○アウトカム

ドナー選択法や新規移植法の開発、また、これらを踏まえた診療ガイドラインの策定及び普及等により、より多く、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8年度末までに、臨床的に実用可能なバイオマーカー等を1件以上開発する。

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。

令和8年度概算要求のポイント

- <新規>
- ・痛覚変調性疼痛に分類される特定の疾患において、基礎研究を行うことで病態を整理し、機序解明や治療法の開発につなげる。
 - ・神経障害性疼痛の動物モデル等を用いて発症維持メカニズムを解明し、神経障害性疼痛の有効な治療薬の開発につながる研究開発を行う。
- <継続>
- ・プリン作動性化学伝達の出力装置を標的とした神経障害性疼痛の発症・慢性化メカニズムの解明と予防基盤の確立により、神経障害性疼痛の効果的な予防法や治療法の開発につなげる。
 - ・先端的遺伝子改変技術を応用した線維筋痛症病態の多次元解析とバイオマーカーおよび新規治療法の探索により、線維筋痛症の客観的な評価方法の開発を行う。
 - ・心理社会的ストレスによる慢性疼痛増悪メカニズムの解明により、慢性疼痛の患者QOLの向上に寄与し、効果的な治療法の開発につなげる。
 - ・線維筋痛症の発症機序を含め、その病態を解明することで新たな治療薬開発へとつなげる。

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。

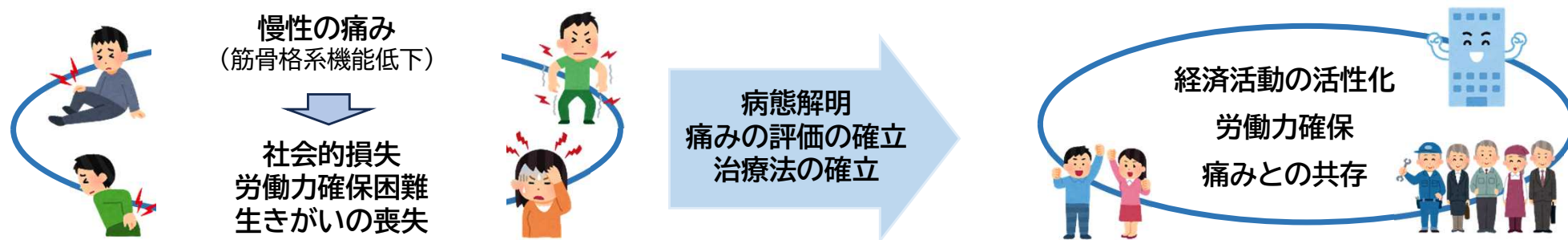
- 特許
- ・「オキサリプラチン誘発性末梢神経障害 バイオマーカー」(出願番号2021-179438 出願日:令和3年11月2日)
(血中長鎖非コードRNAから予測する一次感覚神経の病態分子基盤に基づく神経障害性疼痛バイオマーカーの同定
(日本医科大 坂井班 平成31年-令和4年度)
 - ・「治療抵抗性うつ病または緊急性を有するうつ病の症状を治療するための組成物」
(出願番号JP2021/043568 出願日:令和3年11月29日)
(「条件づけに由来する痛みの視覚化および画期的慢性疼痛治療薬に向けた研究開発
大阪大学 中村雪子 令和2年-4年度終了)
- 論文
- ・IF5未満/R2年度2本:、R3年度:5本、R4年度:6本、R5年度:5本

P J 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
感染症	0
データ活用・ライフコース	59,842
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	59,842

- 【疾患基礎研究PJ】
- <アウトプット>
- ・研究成果の科学誌への論文掲載(IF 5 以上)
(令和 2 ～ 6 年度) 0 件
 - ・研究成果の科学誌 (IF 5 未満等の他の科学誌)
(令和 2 ～ 6 年度) 1 8 件
 - ・関連特許出願
(令和 2 ～ 6 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 ～ 6 年度) 0 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なり、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。その結果、生きがいの喪失に加え、労働力確保の困難や社会的損失が生じ得る。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。
- 継続課題として、プリン作動性化学伝達の出力装置を標的とした神経障害性疼痛の発症・慢性化メカニズムの解明と予防基盤の確立、先端的分子遺伝子改変技術を応用した線維筋痛症病態の多次元解析とバイオマーカーおよび新規治療法の探索、心理社会的ストレスによる慢性疼痛増悪メカニズムの解明、痛みの評価のを実施する。
- R8年度に公募を行う新規課題として、痛覚変調性疼痛の病態解明や治療法につながる研究開発、神経障害性疼痛の発症維持メカニズム解明や有効な治療薬につながる研究開発、の実施を予定している。その結果、痛みとの共存が可能となり、労働力の確保や経済活動の活性化に繋がることが期待できる。



期待されるアウトプット、アウトカム

（令和7年度～令和11年度）

【期待されるアウトプット】

論文数（Top10%論文） 1件
全論文数 30本（※謝辞あり）
優れたシーズの発展・継続支援件数 1件

【期待されるアウトカム】

医療等実装された件数 1件

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、障害や疾病の特性等に応じて最大限活躍できる患者のQOLの向上に貢献する。

事業概要(背景・目的)

世界でのHIV感染者は2023年末時点で約3,990万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960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
感染症	507,490
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	507,490

令和8年度概算要求のポイント

本事業では、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8年度は、以下の研究を実施する。

- ・HIV潜伏感染を呈する新たな動物モデル、ヒト免疫反応を模式するHIV感染動物モデルを開発する研究
- ・経口による服薬困難症例に対する新たな非経口投与薬等の開発により、継続的な治療効果を得られる新たな治療薬/治療法の開発を目指す研究
- ・HIV潜伏感染機序解明により残存ウイルス排除法の探索を進め、治療中断に至る根治療法の創出を目指す研究
- ・臨床試験開始に到達可能な新規治療ワクチンの開発研究
- ・HIV感染者における合併症の診断・治療法に関する研究

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。

- ・どのようにHIVに対する中和抗体が「HIV寛解」を誘導するか未だ明らかになっていない中で、作製した中和抗体投与により「HIV寛解」誘導の可能性を示すことが出来た。HIV寛解に対する中和抗体の作用機序解明によるHIV感染症の実態解明が進むだけでなく、HIVワクチン開発にも貢献すると期待される。
 - ・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潜伏感染細胞形成のメカニズム解明が求められる。HIV感染動態を詳細に解析することが可能な新規感染システムを構築したことで、HIV感染症の治療薬開発の基盤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、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 試験を実施した。有効な治療薬がない血友病合併HIV/HCV肝硬変患者の治療において、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

具体的な研究内容等

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

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**

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**

○ **新たな感染動物モデル開発**

令和8年度の研究概要

- ・ 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
- ・ 薬剤耐性の問題、服薬アドヒアランスの確保等を解決するための新たな作用機序を持つ抗HIV薬の開発
- ・ 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～令和11年度までの成果目標(KPI))

統合PJ全体目標 優れたシーズの発展・継続支援件数 1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。

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ため、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た。同法による肝炎対策基本指針に基づき、肝炎研究推進戦略（肝炎研究10カ年戦略からの見直し）が策定され、臨床・基礎・疫学・行政研究のそれぞれにおいて達成すべき成果目標が定められている。肝炎研究推進戦略で定められた成果目標の達成を目指し、肝炎に関する基礎から臨床研究等を一貫して総合的に推進する。

PJ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
感染症	3,307,678
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	3,307,678

令和8年度概算要求のポイント

- 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。具体的には下記の通りである。
- 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、薬剤耐性機構解明や再治療に関する研究、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。
 - 代謝機能障害関連脂肪性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。
- 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。

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4～5年度） | 0件 |
| ② 承認申請・承認等に至った研究開発（令和4～5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4～5年度） | 7件 |

具体的な研究内容等

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する。肝炎ウイルスに対する既存の治療法や研究成果をブラッシュアップもしくは治療実績の向上を目指す。肝硬変や肝がん等の診断、予防、治療に係る研究を促進する。B型肝炎は既存治療、診断、予防や肝硬変の治療に係る研究を促進する。

R6年度までの研究成果

- 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。
- HBVが持続感染し、慢性B型肝炎による免疫動態を観察できるマウスモデルの作成に成功した。持続感染している状態における免疫細胞の疲弊状態を再現させることができ、新規Toll様受容体7作動薬SA-5が免疫賦活により、抗ウイルス効果を発揮することが示された。
- 脂肪肝では肝臓が硬いと肝がんが発生するが、肝臓があまり硬くなくても一定頻度で肝がんが発生する。血液中に分泌される成長因子の一つ、GDF15は、肝臓の硬さと独立した肝がん発生のリスク因子であることを明らかにした。

(HBV：B型肝炎ウイルス　HCV：C型肝炎ウイルス)

- 脂肪肝では線維化が進展していない状態においても肝がんを発症するケースが報告されている。人工知能（AI）が肝臓の微細な構造を認識することで、これまで注目されていなかった肝がん発症に関連する病理学的特徴が同定され、脂肪肝病理画像から発がんを予測するAIモデルを使用することで発がんの高リスク群を特定できることを示した。
- HCV感染は、1000以上の遺伝子の発現のリズムを変化させることによってトランスクリプトームを攪乱し、エピゲノムに影響を与え、代謝の変化、線維化、がんを媒介する重要な経路の活性化につながることをヒト肝細胞実験で示した。
- 肝がんの分類を精緻化するために臨床検体のバルクデータとシングルセルデータを統合解析した結果、高悪性度肝がんではp53/MYC異常が発症に関与し、T細胞浸潤が低下していることを示した。

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				
① B型肝炎 - HBV感染複製機構の解明 - HBVによる特異的免疫反応の解明 - ウイルス、宿主ゲノム解析の活用 - 核酸アナログ製剤長期投与による副作用、ウイルス耐性対策 - 薬剤耐性ウイルスによる肝炎悪化への対策 等	② C型肝炎 - 病態推移モデルの作製 - ウイルス排除後の病態解析 - 新規の治療ターゲットの探索 - C型肝炎ワクチンの開発 - インターフェロンフリー治療不成功後のウイルスの薬剤耐性 - ウイルス排除後の肝発がん、長期予後 等	③ 肝硬変 - 肝線維化機序の解明 - 線維化評価法の確立 - 線維化を改善させる根本的な治療薬・治療法の開発 - 肝硬変の合併症を含めた病態の把握 - QOL及び予後改善に資する治療法の開発 等	④ 肝がん - 肝発がん機序の解明 - ウイルス制御後の肝発がん機序の解明 - 肝発がんリスクの評価 - 肝発がん、再発機序の解明 - 再発予防による長期予後、QOLの改善 等	⑤ その他 - 代謝機能障害関連脂肪性肝疾患の実態、発症機序、病態解明や治療法の開発、肝発がん機序の解明 - A型肝炎の重症化機序の解明 - E型肝炎慢性化機序の解明 - 肝疾患における肝臓-他臓器連関の作用機序解明 等

新規研究内容						
肝炎ウイルスの生活環と病原性の機序解明に関する基礎的研究	肝炎からの肝発がん機序解明による、革新的な診断法と治療法の開発研究	革新的な肝炎免疫治療に関する研究	革新的技術を用いた抗線維化療法に関する研究	C型肝炎SVR後の肝線維化、肝発がんを含む病態変化の解明と病態進行予防に関する研究	C型肝炎関連疾患のDAA治療後のアウトカムに関する研究	肝疾患領域における新たな知見の創出や新規技術の開発に関する研究
肝炎医療の水準の向上に資する新たな知見の創出や新規技術の開発に関する研究						

令和8年度までに期待されるアウトプット、アウトカム

アウトプット	研究成果のインパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載 新たな疾患発症メカニズム解明件数 新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数	50件 1件 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 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 1件
					78

具体的な研究内容等

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。HBVに対する特異的かつ革新的な医薬品の創出を目指し、新規創薬標的の探索、*in vitro*（細胞）・*in vivo*（動物）での新規薬効評価法の開発、候補化合物の探索と最適化等に係る研究を促進する。（HBV：B型肝炎ウイルス）

- 課題： B型肝炎は (1) C型肝炎ウイルスは排除のための治療効果の高い薬剤が開発され、使用されている。
(2) 現在使用されている核酸アナログ製剤では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** 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

基盤技術の開発・充実



- 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等の新規技術の応用
- 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た複数の薬剤ターゲット候補及びシーズの同定

R7年度～R9年度の研究内容

1件の
企業導出
又は
臨床試験の開始

● 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

- ・ 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
- ・ 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

令和9年度までに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 1件

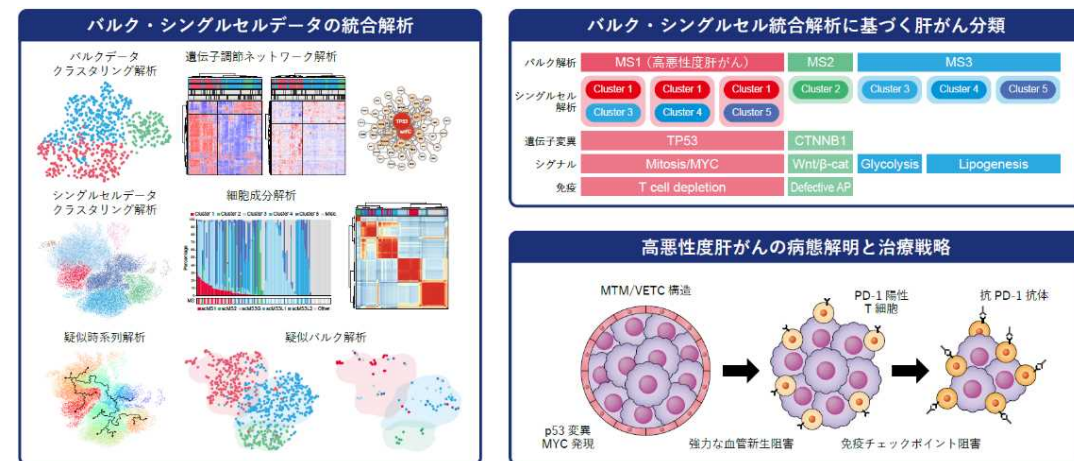
研究成果のインパクトファクター5以上の科学誌への論文掲載 35件

アウトカム

薬事承認件数（新薬、適応拡大） 1件

シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 1件

高悪性度肝がんの新たな治療戦略を提唱



肝がんのサブタイプ解析に基づいた治療戦略

【概要】

研究グループは、691症例のバルクデータと228,564細胞のシングルセルデータを統合解析し、肝がん細胞を5つのクラスター(1: 細胞分裂亢進、2: Wnt/ β -cateninシグナル活性化、3: 解糖系亢進、4・5: 脂肪合成亢進)に分類した。特に、高悪性度肝がんは、クラスター1(細胞分裂亢進)とクラスター3・4・5(代謝異常)の組み合わせで構成され、p53/MYC異常が発症に関与し、T細胞浸潤が低下していることを明らかにした。

【成果の活用】

肝がんの各サブタイプに特異的な治療法の開発を進めることで、肝がんの個別化治療の実現が期待される。

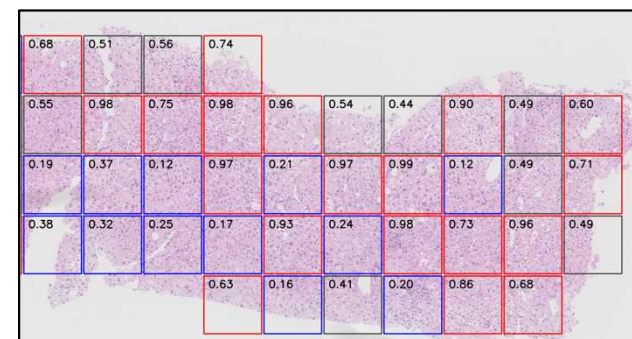
【論文名】

Integrative transcriptome profiling elucidates molecular and immunovascular characteristics of macrotrabecular hepatocellular carcinoma, Hepatology, 2025

【AMED課題名】

慢性肝炎に合併する免疫抵抗性肝がんサブタイプの病態解明と予防および治療開発

脂肪肝病理画像から発がんを予測するAIモデル



AIが脂肪肝病理画像から肝がんリスクを推定する
赤枠は発がん確率が高く、青枠は発がん確率が低い、平均して全体の確率を計算する)

【概要】

脂肪性肝疾患(SLD)は、肥満人口の増加に伴い、世界中で問題となっており、近年では人口の約3割が脂肪肝を有すると言われ、その中から肝がんの発症リスクの高い患者を特定することが重要な課題となっている。本研究では、脂肪肝肝生検標本のデジタル病理画像を深層学習し、肝がん発症リスクを予測する人工知能(AI)モデルを構築した。肝線維化は、肝がん発症リスクの最も重要な指標とされているが、SLDにおいては線維化が進展していない状態においても肝がんを発症するケースが頻繁に報告されている。本AIモデルは、非がん組織において、これまで注目されていなかった微細な病理所見を認識することにより、線維化が進行していない症例からの肝がん発症予測を可能とした。

【成果の活用】

脂肪肝から発症する肝がんの早期発見を可能とし、脂肪肝病理所見と肝がんリスク評価に新たな視点を提供することが期待される。

【論文名】

Deep Learning and Digital Pathology Powers Prediction of Hepatocellular Carcinoma Development in Steatotic Liver Disease, Hepatology, 2024

【AMED課題名】

代謝関連脂肪性肝疾患および肝がんの病態解明に関する研究

事業概要(背景・目的)

我が国においては、2040 年頃まで、高齢者人口が増加する一方、生産年齢人口が減少する局面を迎えており、独居高齢者の増加など、社会に変化が生じていく。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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	142,714
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	142,714

令和8年度概算要求のポイント

令和8年度は、動画像解析を用いた高齢者の身体機能評価や行動分析等の技術や研究体制を生かした、要支援1、2、要介護1～5の高齢者における要介護状態の悪化メカニズムおよび介入効果解明を目的とする前向きコホート研究、サルコペニアの改善に資する栄養療法を確立するためのテーラーメイドの栄養療法に関する研究を継続して実施する。また新規課題として、介護施設での使用を想定したAI活用フレイルスクリーニングアルゴリズムの作成、サルコペニア・フレイルに関連する疾患、症状の統合的リスク評価と介入指針作成、急性期病院のフレイル・サルコペニア予防に関する他職種連携による介入プログラム構築を行う。

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。

人的介入を必要としない、AI(Artificial Intelligence)/AR(Augmented Reality)を利用した看護師の動作を支援するシステムを開発した。このシステムを用いて、排泄、褥瘡、点滴、スキンケアの技術教育プログラムを構築し、訪問看護師を対象として介入研究を実施した。その結果、開発した教育プログラムを受けた群は通常ケア群と比較し、在宅療養者のQOLが向上、再入院率が低下することを示した。

※AI/ARを活用した排泄ケア・褥瘡ケア・スキンケア・点滴ケア技術自己学習支援システムの開発(令和5年度終了)

- 【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2～6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 (令和2～6年度) 28件

・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)0件

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) 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. 科学的根拠が検証されたサルコペニアに関するバイオマーカー開発研究 (R7~R9)

要介護状態の発生及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、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、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3. 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4. 災害時リハビリテーション支援のための生活機能評価・トリアージシステムの開発に向けた研究 (R7~R8)

課題5. 急性期病院のフレイル・サルコペニア予防に関する他職種連携による介入プログラム構築 (R8~R10)

サルコペニアに対する栄養療法を研究し、急性の病態にある者や、多疾患併存の者を含め、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ートフォン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。高齢者が急性期病院に入院する際に、フレイル・サルコペニアが進行し、心身機能低下することによる介護予防および重度化防止のために、早期介入の必要性を判断するプログラムを構築する。

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. 高齢者の意欲低下の診断に資するフローチャートの開発及び指針作成 (R7~R9)

課題7. 介護施設での使用を想定したAI活用フレイル・スクリーニングアルゴリズムの作成 (R8~R10)

課題8. サルコペニア・フレイルに関連する疾患、症状の統合的リスク評価と介入指針作成 (R8~R10)

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の背景因子を分析し、スクリーニングや診断フローの開発を推進する。また急性期病院のフレイル・サルコペニア予防に関する多他職種連携による介入プログラム構築し、高齢者の心身機能の維持・回復に関するフレイル予防・回復につなげる。

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

【期待されるアウトプット】

論文数 (Top10%論文) 1件

全論文数 30本

優れたシーズの発展・継続支援件数 1件

【期待されるアウトカム】

医療等実装された件数 1件

高齢者に特有の疾患・病態・徴候に着目した介護予防手法や、介護を要する状態になっても、生活の質の維持向上が図れる評価手法やケア方法を開発することで、質の高い介護サービスを普遍的に提供できる社会基盤を整備する。

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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	101,353
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	101,353

令和8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、プロトコル作成研究を優先的に推進し、プロトコル作成研究から臨床研究へと継続して支援する機会を増やす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、ICT等を活用し、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

(※)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。

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2～6年度) 3件
- ・臨床POCの取得件数(令和2～6年度) 2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2～6年度)5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)

【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。



成果の掲載

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。

次代の研究開発の
人材の育成・確保

試験参加の負担軽減や利便性の向上による
効率的・効果的な研究開発の推進

電子カルテ等情報の標準化
や活用等の動向とも連携

効果的かつ持続可能な科学的な根拠
の収集と知見の創出の体制強化

健康保持や疾病治療・予防の選択肢の増加による、医療の質の向上

統合医療の発展や国内産業の競争力強化のための土壌形成

これまでの主な研究開発課題

1. 「統合医療」に関する科学的知見の創出に関する研究
 - ・漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するためのプロトコール作成研究
 - ・漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するための基礎研究(若手育成枠)
 - ・漢方、鍼灸および各種療法に関する科学的知見を創出するための臨床研究
2. 「統合医療」についての安全性・有効性等の評価手法に関する研究
 - ・「統合医療」に関する科学的知見の創出に向けた安全性・有効性等の評価手法に関する調査研究
3. 「統合医療」の実態把握、基盤整備に関する研究
 - ・「統合医療」の国際標準化などの基盤整備に関する研究

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(令和2～6年度)3件
- ・臨床POCの取得件数(令和2～6年度)2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2～6年度)5件

＜モニタリング＞

- ・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

事業概要(背景・目的)

健康・医療分野においては、アカデミア、産業界等の連携(医工連携)によるシステム開発が求められる。特に、膨大なデータの収集・解析、個々に最適な健康管理・診療・ケアの実現のためにはAIの活用が期待されている。「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の整備が掲げられている。今後の高齢化率の上昇への対応、医療従事者の負担の軽減等のためには、オンラインやAI等を用いたD to D(Doctor to Doctor: 医師－医師間の遠隔医療)やD to P(Doctor to Patient: 医師－患者間の遠隔医療)等の遠隔医療体制の構築が不可欠である。そのために、医工連携によるAI技術の開発と、AI技術を実装するための基盤整備が求められる。

本事業では、既存データを用いて作成するAIを活用したプログラム医療機器開発、既存のAIを活用した新たなプログラム医療機器開発等を支援する。また、医療従事者の負担軽減に繋げるAI技術を医工連携により開発し、開発されたAI技術を実装するための基盤整備を進める。また、様々な疾患の診療において遠隔でも専門診療が可能なD to DやD to P等の診療体制についても、どこでも最先端・最適な医療を継続して提供できるよう支援する。

PJ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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	690,290
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	0

令和8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った。令和8年度からは疾患領域を拡大しつつ、AI技術の開発や医療現場への導入をさらに推進するために、既存データ用いて作成するAIを活用したプログラム医療機器開発および既存のAIを活用した新たなプログラム医療機器開発を支援する。また、医療従事者の負担軽減に繋げるAI技術を医工連携により開発し、開発されたAI技術を実装するための基盤整備を進める。
- 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、令和7年度より実証に向けたフォローを行う必要がある。

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

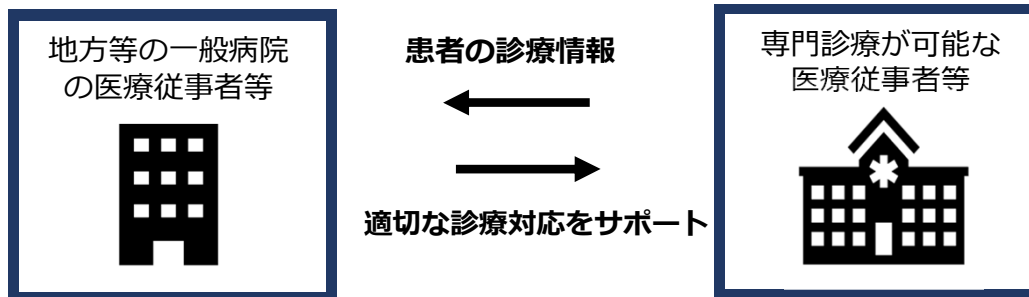
○令和3年度より精神疾患及び神経・筋疾患における早期診断に資する医療機器プログラム等の開発に係る研究を6課題実施しているところであるが、いずれの研究課題も、医療機器の薬事承認取得を目標としており、令和7年度が最終年度であった。

○令和8年度からは疾患領域を拡大しつつ、既存製品よりも優位で実用化の道筋が明確な、以下のものに対し、AI技術を活用した製品・サービスの技術開発を進める。

- ・AIを用いた診断、治療の改善により、患者の予後や生活の質の向上に資するもの
- ・医療従事者の負担軽減に資するもの

○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、どこでも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。

適切な診療提供および医療従事者の負担軽減に繋げ、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する



遠隔においても専門診療が可能なD to DやD to Pの診療体制構築のための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

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

○既存製品よりも優位な下記に関するAI技術を活用したプログラム医療機器等の製品・サービスの実用化

- ・AIを用いた診断、治療の改善により、患者の予後や生活の質の向上に資するもの
- ・医療従事者の負担軽減に資するもの

○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

○プログラム医療機器等により、適切な診断・治療による予後の改善や生活の質の向上を図る。

○新たなAIサービスにより医療従事者の負担を軽減し、労働生産性の向上、労働意欲の向上、離職率の低下、患者・利用者・利用者家族の満足度向上などを実現する。

○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)

○医療分野においては、医師不足が課題であり、医師の働き方改革や医師偏在対策等の施策が進められている。特に外科領域における医師の減少が喫緊の課題とされており、優先して対策を講じる必要がある。若手医師の教育においては指導者の負担の増大や、医師の経験や知識に基づく無形の医療技術を継承する難しさといった課題があり、医師不足の課題解決に向け、効率的かつ効果的な教育システムを開発する必要がある。

○外科領域における手術手技等の医療技術のデータ化・定量化、客観的な技能評価システムや教育プログラム等の研究開発を推進する。また、それらの社会実装により、優れた無形の医療技術を効率的かつ効果的に次世代へと伝承し、国民が受ける医療の質の向上を目指す。

PJ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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	48,713
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	48,713

令和8年度概算要求のポイント

○「経済財政運営と改革の基本方針2024」においても人手不足の解消に資するAIロボット等の研究開発を加速することとしていることから、外科領域における無形の医療技術の効率的かつ効果的な伝承に資する革新的なシステムの開発を目指す課題の採択数を増加する必要がある。

○「健康・医療戦略」ではAI等のデジタル技術を融合的に活用した医療機器の開発を推進することを掲げていることから、手術支援ロボット等の革新的な医療機器の開発に資するソフトウェアやプログラムの設計を目指す課題の採択数を増加する必要がある。

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

○腹腔鏡下S状結腸切除術のAI手術技能のAI手術技能評価システムのプロトタイプを、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に発展させ、臨床的アウトカムとの相関解析を行っている。最終的には、技術認定審査での活用や外科教育コンテンツとしての発展が期待される。

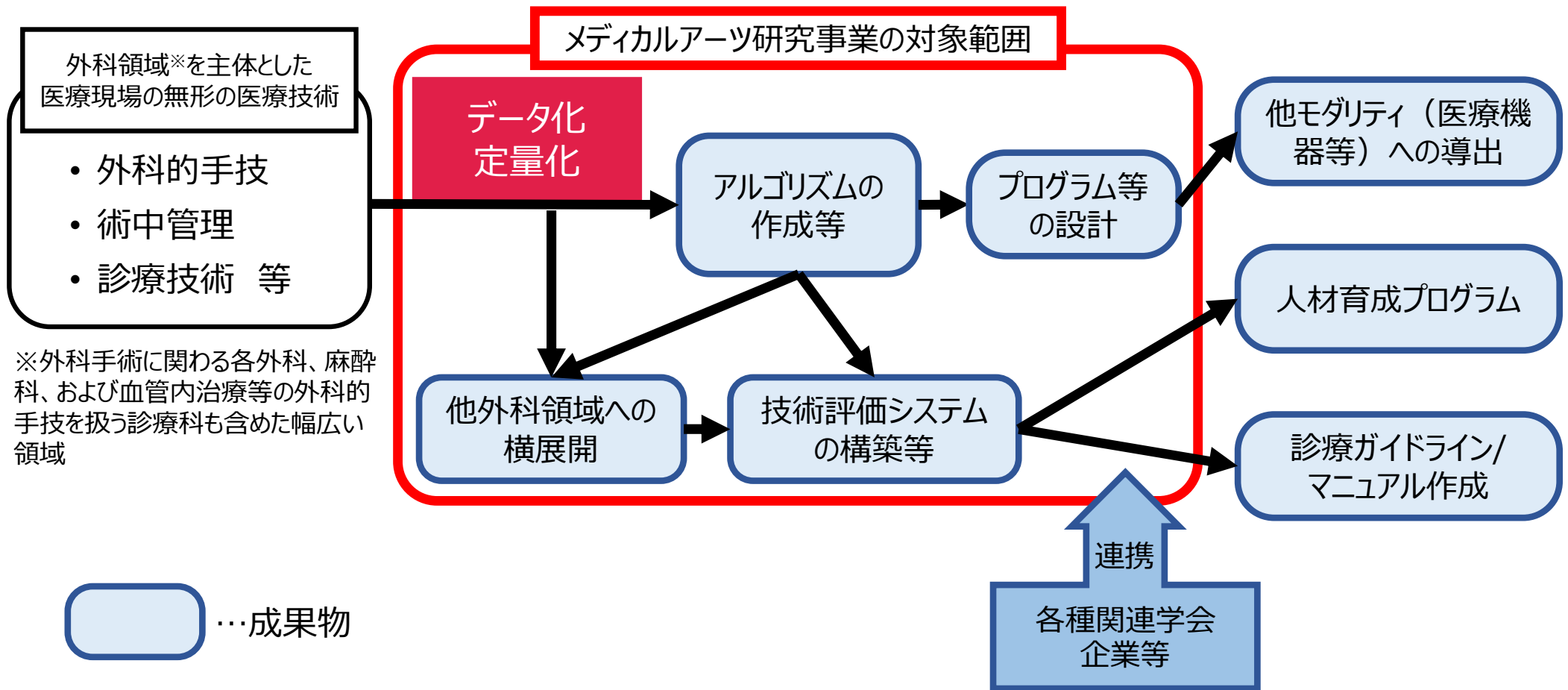
○小児外科領域で低侵襲な鏡視下手術の手術ナビゲーションを構築している。本ナビゲーションは小児鏡視下手術の定量的評価と手術手技の効率的な技術伝承を可能とし、小児患者への低侵襲手術の選択肢を増やし、合併症の軽減等も期待できる。また、若手外科医の教育での使用も予定している。

【ゲノム・データ基盤PJ】

＜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3～6年度) 0件
・非臨床POCの取得件数(令和3～6年度) 3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3～6年度) 3件

具体的な研究内容等



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】

優れたシーズの発展・継続支援件数（令和7～11年度）

- ・ 他事業への受け渡し件数 2件
- ・ 過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 2件
- 論文数（令和7～11年度）
- ・ 全論文数 5件

【期待されるアウトカム】

シーズの企業導出数（令和7～11年度）

- ・ 権利譲渡契約、共同研究開発契約件数 2件
- 医療等の実装された件数（令和7～11年度）
- ・ ガイドライン等の策定又は改定件数 1件
- ・ ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数 1件

事業概要(背景・目的)

【背景】
○ 医学・医療分野のイノベーションを進め、国民・患者にその成果を還元するためには、医療等情報の二次利用を適切に推進していくことが重要である。米国や欧州でも、良質なビッグデータを円滑に利活用できる環境整備が進められている。
○ 我が国では、「医療DXの推進に関する工程表」に基づいて医療等情報の二次利用に関する取組を進めている。また、「規制改革実施計画」(令和5年6月16日閣議決定)においても、制度・環境の整備及び情報連携基盤の構築等を進めることとされた。
○ 令和5年5月には改正次世代医療基盤法が成立し、仮名加工医療情報の作成・提供を可能とする仕組みが創設された。今般、厚生労働大臣等が保有する医療・介護関係の公的データベース(公的DB)や電子カルテ情報共有サービスで共有される電子カルテ情報の仮名化情報の利用・提供、及び他の仮名化情報等との連結解析を可能とすること等について、第217回国会に医療法等改正法案を提出した。
○ 政府は、令和7年度より、公的DBを一元的に解析できる情報連携基盤、電子カルテ情報DB(仮称)等の構築に向けた調査設計事業を行っている。各DBのユースケースの実証、拡張性の検討、データ利活用環境の開発等を併行して進める必要がある。

【目的】
○ 公的DB、次世代医療基盤法に基づく認定作成事業者が保有するDB(次世代DB)等を用いたユースケースの実証を行う。さらに、実証を通じて明らかとなった、データ利活用を加速するために基盤等において実現すべき機能・技術、モジュール開発等を行う。

PJ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
感染症	0
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	0

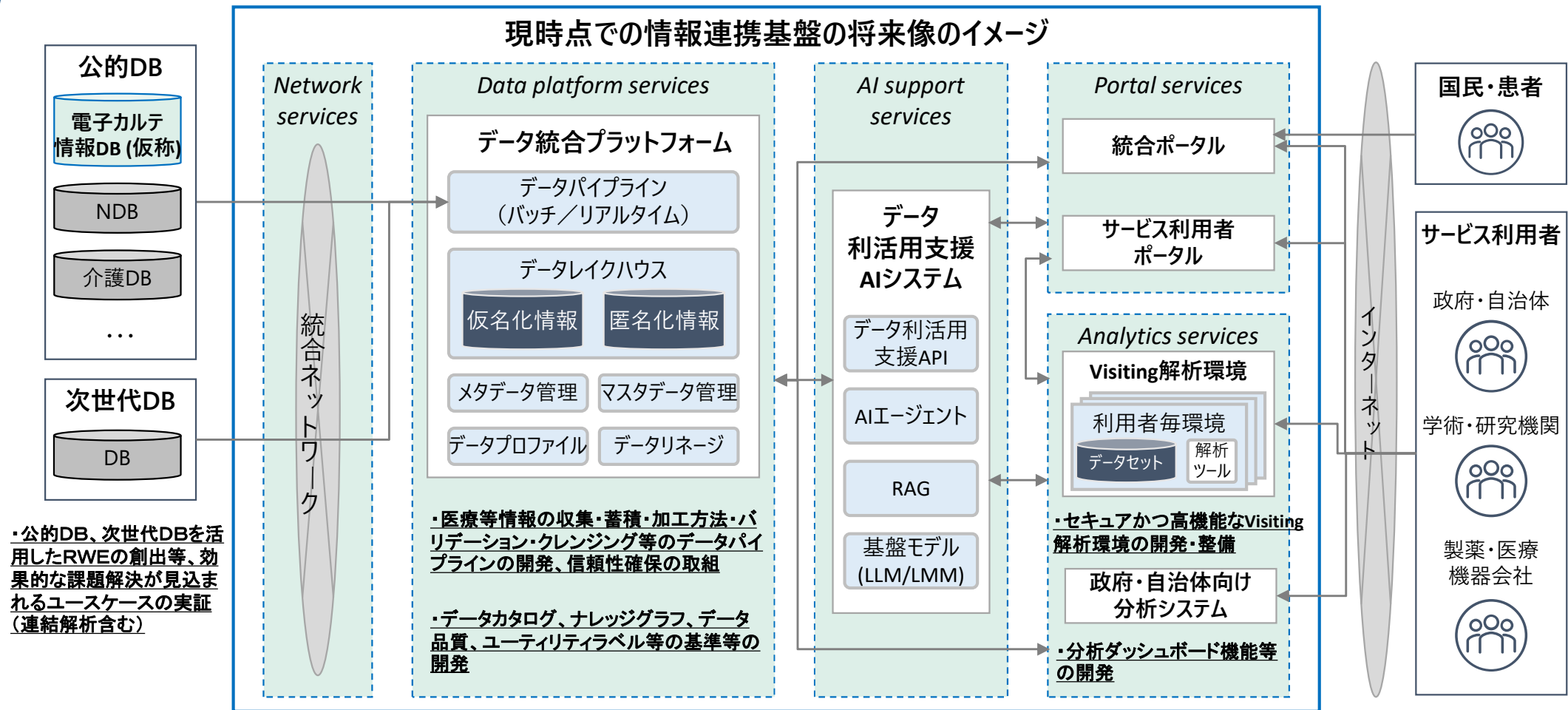
令和8年度概算要求のポイント

【課題名】公的DB、次世代DB等を活用したユースケースの実証
【概要】各DBに蓄積されたリアルワールドデータ(RWD)の解析(個人単位での連結を含む)により、疫学情報の把握、医薬品の市販後安全性調査の評価、臨床試験の効率性向上等、様々な成果が期待されている。RWD活用の様々なユースケースの実証を行い、データパイプライン、データ処理技術等の課題を明らかにし、その解決方法を提案・検証する。
【成果の活用】様々なユースケースに対応できるデータパイプライン、データ処理技術が情報連携基盤上に実装し、データ利用者のニーズに応える。また、情報連携基盤のデータの質・量の向上などにより、更なるRWDの活用、RWEの創出につながる。
【課題名】医療等情報の利活用を加速するために基盤等が備えるべき機能・技術、モジュール開発
【概要】データ利用者のニーズを踏まえ、①クラウド環境で解析を行うVisiting解析環境、②データをリアルタイムに可視化できるダッシュボード機能、③ナレッジグラフ、④データ品質・ユーティリティラベル等の基準を開発する。
【成果の活用】開発した成果物を情報連携基盤等を実装することで、データ利用者の研究等の計画策定、利用申請から解析環境・データセット準備、解析、利用終了までの一連のユーザージャーニーをニーズに合わせてサポートできる。結果として、様々なユースケースの実現に寄与し、医学・医療分野のイノベーションにつながる。

これまでの成果概要等

新規事業のためなし。

具体的な研究内容等



期待されるアウトプット、アウトカム

【モニタリング指標】

- データ基盤構築の状況(データの蓄積・統合・連携及び解析・実装を行った課題数)
- アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績
- 研究成果の科学誌への論文掲載件数

【アウトカム】

医療等情報の二次利用推進により、医薬品・医療機器等の有効性・安全性評価の充実、臨床像の解明や創薬開発の推進、感染症危機等への対応、医療等サービスの質の評価等につながることが期待される。