

令和9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)	...	53
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	...	55
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	...	57
創薬支援推進事業	...	15	腎疾患実用化研究事業	...	59
自律型AI創薬実証事業	...	17	免疫アレルギー疾患実用化研究事業	...	61
医療機器開発推進研究事業	...	19	移植医療技術開発研究事業	...	63
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	...	21	慢性の痛み解明研究事業	...	66
再生医療等実用化研究事業	...	23	エイズ対策実用化研究事業	...	68
ゲノム創薬基盤利活用推進研究事業	...	27	肝炎等克服実用化研究事業	...	71
革新的がん医療実用化研究事業	...	30	長寿科学開発研究事業	...	75
認知症研究開発事業	...	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	...	77
障害者対策総合研究開発事業(精神障害分野)	...	39	医工連携・人工知能実装研究事業	...	79
障害者対策総合研究開発事業 (身体・知的・感覚器)	...	41	メディカルアーツ研究事業	...	81
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	...	43	医療等情報連携基盤整備・利活用推進事業	...	83
難治性疾患実用化研究事業	...	45			
地球規模保健課題解決推進のための研究事業 (国際課分)	...	51			

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
- ・自律型AI創薬実証事業
- ・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

- ・ゲノム創薬基盤利活用推進研究事業
- ・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 規制調和・評価研究事業
- ・医療等情報連携基盤整備・利活用推進事業

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	●							
自律型 A I 創薬実証事業	●							
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			●					
ゲノム創薬基盤利活用推進研究事業					●			
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(国際課)						●		
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					●			
医療等情報連携基盤整備・利活用推進事業					●			

事業概要(背景・目的)

- わが国の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が必要である。そのためには、医薬品創出に資する基盤技術研究の確立、医薬品の開発過程の迅速化・効率化が求められる。
- 本研究事業は、革新的な医薬品の創出を目的に、わが国の基礎研究の成果を薬事承認につなげるとともに、創薬の基盤技術を確立するための研究を推進する。

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9年度の研究事業のポイント

- GAPFREEの枠組みを活かした産学官共同創薬研究をさらに機動的かつ効果的に進める。企業による革新的医薬品の開発が柔軟に対応でき、かつ加速できるよう、令和5年度から常設化したGAPFREE/pを継続して実施し、社会的医療ニーズの解決に必要な基盤技術整備、オープンイノベーション促進、アンメットメディカルニーズ改善に資する医薬品開発の推進する。
- DDS(薬物送達-薬物動態)評価基盤技術プラットフォームをオンデマンドな活用に向けて改善し、医工連携による新技術の組入れ・創出を行い、アカデミアや企業が保有するシーズ開発を加速する。
- 既存技術の高度化・汎用化や先端技術の活用、多様な学問領域や他事業との連携により、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、医薬品創出技術や医療情報に基づく創薬ターゲットの創出等を支援する。加えて、先端技術の一つである量子技術の応用・展開可能性を踏まえた支援を実施する。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。

これまでの研究事業の成果概要

(※)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。

- 腫瘍血管を標的とするLNPと自然免疫を活性化するLNPとの併用療法で、腫瘍血管を選択的に破壊する新たながん治療法を開発した。その治療効果は、既存の血管破壊剤や血管新生阻害剤と比較して強く、また、分子標的薬や免疫チェックポイント阻害剤と異なり薬物耐性を回避できる可能性を見出した。
- 筋萎縮性側索硬化症(ALS)の様々な病態に対応した患者iPS細胞由来運動神経細胞の培養技術をベースとして様々な薬効評価技術を確立した。また本技術を製薬関連企業が活用可能なオープンイノベーションの枠組みを構築した。

【医薬品】

・創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数(令和7～11年度) 9件 (R7:9)

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、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(量子技術も含む)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を支援

- ・ 各種モダリティへオンデマンドに対応する送達技術・薬物動態の応用展開
- ・ 疾患の発症や進展に関するメカニズムに着目した創薬ターゲットの同定 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の妥当性・有効性の検証に資する基盤技術・システム構築、医薬品開発へ展開可能な新たな評価系技術の開発、医薬品レベルでの製造・品質管理に係る基盤技術等の研究を支援

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

創薬基盤技術の開発、産学連携による医薬品開発の促進および薬用植物に関する研究により、医薬品の開発過程を迅速化・効率化する基盤技術を開発する。

具体的なAMED全体目標として、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、優れたシーズの発展・継続支援件数120件/年、論文数(Top1%論文)120件/年を目指す。

○期待されるアウトカム

新たな創薬に結びつく基盤技術研究に関する研究を実施し、製薬企業における医薬品等の開発につながるような成果を創出する。

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た質の高い臨床研究・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9年度の研究事業のポイント

- 【医薬品プロジェクト】
- 第3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。また、優れた研究課題の実用化を加速する目的で構築された事業間連携(ペアリング・マッチング)を推進するため、先行事業で見いだされた創薬シーズの臨床開発を受け入れる体制を拡充する必要がある。
 - 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・治験を推進する。
 - 医薬品の臨床開発コストの増大や開発期間の長期化という課題を解決するために、疾患登録システム(患者レジストリ)や Decentralized Clinical Trial(分散化臨床試験)、臨床研究・治験の質の向上や効率化に資する AI の活用等、新しい手法を用いた臨床研究・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】
- 生物統計家育成発展事業
製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基とし、AI等のデジタル技術を駆使したより広範な知識・能力の習得を目指したプログラムの発展、さらなるキャリアアップのための博士課程の新設に向け体制整備を行う。製薬企業からの社会人学生の受け入れなど、製薬企業との人材交流・ネットワークづくりを進展させ、産官学の流動性を高める。
 - アジア地域における治験・臨床試験ネットワークの構築事業
アジア地域におけるネットワークの継続性を確保するとともに、ソフト面(国内外の人材育成)及びハード面(現地拠点)の整備を継続して行い、安定的に治験・臨床試験が実施可能な基盤の維持、日本主導の国際共同治験・臨床試験の実施体制の強化を図る。

これまでの研究事業の成果概要

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7年2月18日一部変更)を元に記載

<アウトプット>

- 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)(令和7年度末) 6件
- 2) 治験に至った件数(令和7年度末) 8件
 - ・尿路上皮がんに対する合成レチノイドAM80と免疫チェックポイント阻害剤ニボルマブ及びゲムシタビン、シスプラチンによる併用療法の有効性及び安全性を検討する第Ⅱ相医師主導治験 他
- 3) 優れたシーズの発展・継続支援件数(令和7年度末) 1件
- 4) 論文数(Top1%論文)(令和7年度末) 1件

<アウトカム>

薬事承認件数(新薬、適応拡大)(令和7年度末) 5件

- ・ミコフェノール酸モフェチル(適応拡大):難治性の頻回再発型/ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対するリツキシマブ投与後の寛解維持療法として承認を取得(令和7年9月19日承認) 医療上の必要性が高い未承認薬・適応外薬検討会議の報告書に基づき中外製薬が公知申請
- ・カルボプラチン(新投与経路):婦人科癌臨床試験コンソーシアム(GOTIC)および婦人科悪性腫瘍研究機構(JGOG)が主導し、Gynecologic Cancer Intergroup(GCIG)国際共同試験として実施された「iPocc試験」の成果に基づき、カルボプラチン腹腔内投与が卵巣がんの一次化学療法として承認を取得(令和7年12月22日承認) 他

橋渡し・臨床加速化プロジェクト

○ 生物統計家育成発展事業(旧:生物統計家育成支援事業、生物統計家育成推進事業)

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8年度からはAI等のデジタル技術を駆使したより広範な知識・能力の習得を目指したプログラムの発展、さらなるキャリアアップのための博士課程の新設を行い、生物統計家育成の更なる推進を図っている。

- 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13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治験・臨床試験ネットワークの構築事業

アジア地域におけるネットワークの継続性を確保するとともに、ソフト面(国内外の人材育成)及びハード面(現地拠点)の整備を継続して行い、安定的に治験・臨床試験が実施可能な基盤の維持、日本主導の国際共同治験・臨床試験の実施体制の強化を図る。令和3年度以降は、「国立健康危機管理研究機構(旧: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、「国立健康危機管理研究機構」では7課題(企業治験1課題、研究者主導試験6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＞

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・治験の推進

①患者ニーズの高いもの

- 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・治験の実施
- 小児を対象とした特定臨床研究・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）の実施
- AIを臨床研究・治験の質の向上や効率化（症例データ入力、治験関連文書作成、患者リクルート、異常値などのデータ抽出等）に活用した特定臨床研究・医師主導治験の実施

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じ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。

経済財政運営と改革の基本方針2025（令和7年6月13日閣議決定）抜粋

第3章 中長期的に持続可能な経済社会の実現

2. 主要分野ごとの重要課題と取組方針

（1）全世代型社会保障の構築

（創薬力の強化とイノベーションの推進）

（略）バイオ医薬品を含む医薬品の製造体制の整備や人材育成・確保により、国際水準の研究開発環境を実現し、ドラッグラグ/ロスの解消やプログラム医療機器への対応を進めるほか、PMDAの海外拠点を活用し、薬事相談・規制調和を推進する。（略）

新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画2025年改訂版（令和7年6月13日閣議決定）抜粋

5. 先端科学技術分野の取組強化とフロンティアの開拓

（6）健康・医療

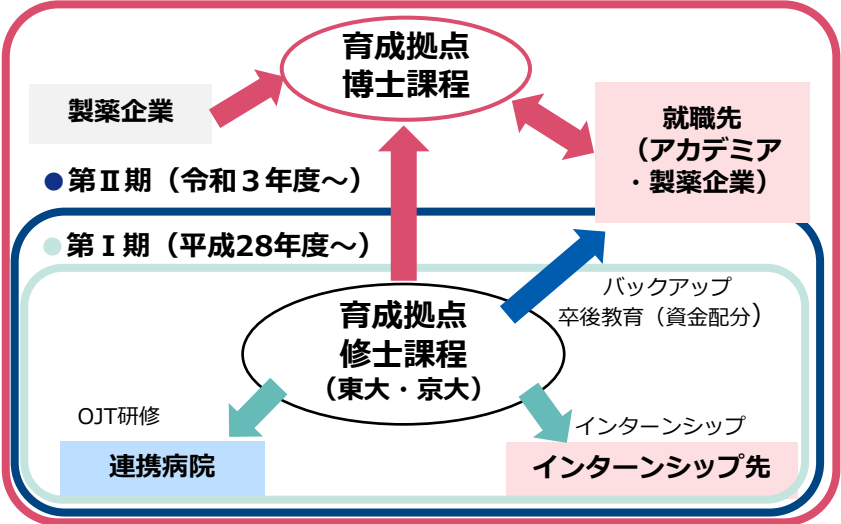
①バイオ医薬品、再生・細胞医療、遺伝子治療等の研究開発促進

グローバルな研究開発の潮流を踏まえ、我が国発のシーズを絶え間なく創出し、速やかに実用化する国際水準の研究開発環境の実現に取り組む。

生物統計家育成発展事業

- 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っている。
- 第1期では、実務家としての生物統計家に必須の理論や実践能力を習得することを目的として、座学及び実際の医療現場でのOJT、インターンシップを含めた大学院教育プログラムの開発を行った。
- 第2期では、修士課程修了後の就職先と連携した卒後教育を導入し、バックアップ体制の強化を行った。
- 昨今の治験・臨床試験デザインの多様化、複雑化に対応していくため、より高い倫理性、科学的客観性をもつ質の高い生物統計家を育成する必要がある。そのため第3期からは、AI等のデジタル技術を駆使したより広範な知識・能力の習得を目指したプログラムの発展、さらなるキャリアアップのための博士課程の新設を行う。
- また、製薬企業からの社会人学生の受け入れなど、製薬企業との人材交流・ネットワークづくりを進展させ、産官学の流動性を高める。

● 第Ⅲ期（令和8年度～）



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、国立健康危機管理研究機構	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	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：8名、アカデミア就職者：8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：9名、アカデミア就職者：8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：7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：11名、アカデミア就職者：9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	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治験・臨床試験ネットワークの構築事業

- ・ COVID-19拡大に伴い、迅速かつ質の高い、グローバルな治験・臨床試験体制構築の必要性が明らかになった。「ワクチン開発・生産体制強化戦略（令和3年6月1日閣議決定）」においても、海外の環境整備としてアジア地域の臨床研究・治験ネットワークを充実させることが求められており、アジア諸国で最先端の医薬品・医療機器等への早期アクセスを可能とするため、治験実施の拠点整備や人材育成が必要となっている。
- ・ 本事業では、日本主導の国際共同治験・臨床試験実施体制を強化し、感染症治療薬をはじめとした医薬品・医療機器等の開発・供給の加速を目指すため、日本とアジア諸国が連携し、治験・臨床試験のネットワークの継続的な構築を推進する。
- ・ アジア地域におけるネットワークの継続性を確保するとともに、ソフト面（国内外の人材育成）及びハード面（現地拠点）の整備を継続して行い、安定的に治験・臨床試験が実施可能な基盤の維持、日本主導の国際共同治験・臨床試験の実施体制の強化を図る。
- ・ 本事業で構築したネットワークを活用した国際共同治験・臨床試験を実施し、日本を含むアジア地域における医薬品・医療機器等のアクセスの向上の実現に貢献する。



日本主導の国際共同治験・臨床試験
 の実施体制の強化を通じ、医薬品・
 医療機器等のアクセス向上

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臨床研究・治験等を実施する。
- ・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を推進する。
- ・具体的なAMED全体目標として、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、治験に至った件数60件、優れたシーズの発展・継続支援件数120件を目指す。

○ 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

- ・生物統計家育成発展事業
修士課程修了生数 10～20名
- ・アジア地域における治験・臨床試験ネットワークの構築事業
3カ国以上で実施される国際共同治験・臨床試験の新規立ち上げ年3件以上

○ アウトカム

- ・生物統計家育成発展事業
複雑化・多様化した試験デザインにも対応できる高度な生物統計家の育成を継続し、国際水準の治験・臨床試験の実施へつなげる。
- ・アジア地域における治験・臨床試験ネットワークの構築事業
日本主導の国際共同治験・臨床試験実施体制を強化することで、感染症治療薬をはじめとした医薬品・医療機器等の開発・供給の加速を目指す。

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区分	予算額(千円)
医薬品	1,067,002
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	1,067,002

令和9年度の研究事業のポイント

- 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9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

これまでの研究事業の成果概要

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）

- セラノスティクスを含む放射性医薬品について、従来の医薬品ガイドラインでは明確でなかった非臨床試験および臨床試験の評価の考え方を整理し、研究開発から承認審査までの規制科学的課題を体系的に検討した。
- その成果として、治療用放射性医薬品の製造販売承認申請および臨床試験の実施に必要な非臨床試験および臨床試験デザインの基本的事項を整理し、「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」として取りまとめられ、令和7年8月1日付で厚生労働省より通知された。
- 本成果は、セラノスティクスを含む新規放射性医薬品の開発および審査の円滑化に資するものである。

医薬業審発 0801 第 1 号
令和 7 年 8 月 1 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

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について

今般、放射性医薬品評価推進事業（令和5～6年度）及び国立研究開発法人日本医療研究開発機構における令和7年度医薬品等規制調和・評価研究事業「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」（研究代表者：国立医薬品食品衛生研究所 斎藤嘉朗 所長）において、医薬品の承認申請の目的で実施される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ついて、ガイドライン策定のための検討を行いました。その結果を踏まえて、今般、別添のとおりガイドラインを取りまとめましたので、貴管下関係業者等に対し周知方御配慮願います。

なお、本ガイドラインは、現時点における科学的知見に基づく基本的考え方をまとめたものであり、学問上の進歩等を反映した合理的根拠に基づいたものであれば、必ずしもここに示した方法を固守するよう求めるものではないことを申し添えます。

また、本通知の写しについて、別記の団体等宛てに連絡するので、念のため申し添えます。

厚生労働行政への活用

- 放射性医薬品の非臨床試験及び臨床試験デザインに関する考え方を明確化することにより、放射性医薬品の開発および承認審査の円滑化に資する。
- セラノスティクスを含む新規放射性医薬品の評価の枠組みを整理することにより、我が国における放射性医薬品およびセラノスティクス医薬品の研究開発の推進に寄与する。

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、国際的な規制調和を前提とした医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する研究の支援、最新動向の把握や専門的知識の向上等を通じて、研究開発におけるレギュラトリーサイエンスを普及・充実させる、とされている。
- ・新規モダリティ等に対する評価系の開発等の研究推進と合わせて、規制当局が新規モダリティの国際的な開発動向を把握し、レギュラトリーサイエンス研究によりその特徴を踏まえたガイドラインを作成し、国際的な規制調和の場であるICHやICMRAに提案する等により、国際標準の作成をリードする。

令和9年度研究の概要

・新規モダリティを活用した医薬品・医療機器・再生医療等製品の品質・安全性評価にかかるレギュラトリーサイエンス研究

再生医療等製品（ヒト細胞加工製品を含む）やゲノム編集医薬品等の新規モダリティを活用した医薬品・再生医療等製品の開発が進展し、医療機器分野でも技術革新が進んでいる。さらに、革新的ナノDDS製剤技術やNAMs（New Approach Methodologies）も高度化しているが、これらに対応した品質・安全性評価手法や行政枠組みは未整備である。そこで、特性を踏まえた評価法を確立し、ガイドライン案を提示する。

・医薬品の品質及び安全性確保のための評価手法等に係る国内基盤整備と国際調和の推進に資する研究

ICHでは科学の進歩に応じてガイドラインの改定・策定が進められているが、議論を主導し得る国内の科学的基盤は十分ではない。そこで、産官学連携の下、各トピックに資する試験・調査研究を実施し、国際的議論を支えるエビデンスを創出する。

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。その結果、厚生労働省の施策・審査実務に活用され、社会実装と国際規制調和の推進に活用される。
- ・ICHガイドラインに反映されるとともに、厚生労働省の審査実務に活用され、日本の主導的役割と国際規制調和の推進に貢献する。

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通じて、これらの技術の薬事規制における活用や、各種評価に携わる人材の育成、システム等の環境整備等に資するエビデンスを得る。

【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、創薬ターゲット予測・シーズ探索AIプラットフォームの開発や希少疾病用医薬品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。

令和9年度の研究事業のポイント

- 「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て産官学協働の新たなマッチング及び創薬シーズの実用化検証の場の提供(スタートアップ支援含む)(ニューモダリティコンソーシアム)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、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進めるとともに、検証・評価技術の高度化や、AMED内の事業間連携拡大に伴う支援ニーズの増加に対応するため、支援体制を強化する。(拡充・新規課題の採択)
 - これまでに得られた製薬企業のニーズ等を踏まえ、シーズ評価(精度管理と再現性が確保されたデータの取得)を開始する。(拡充)
 - 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(DAIIA-X)を構築し、実際の創薬シーズにおいて活用する。
 - 引き続き、国が主体的に支援する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交付の実施等に対応できる体制構築と、実用化に近い臨床段階の課題の迅速かつ効果的な開発を促進する(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)

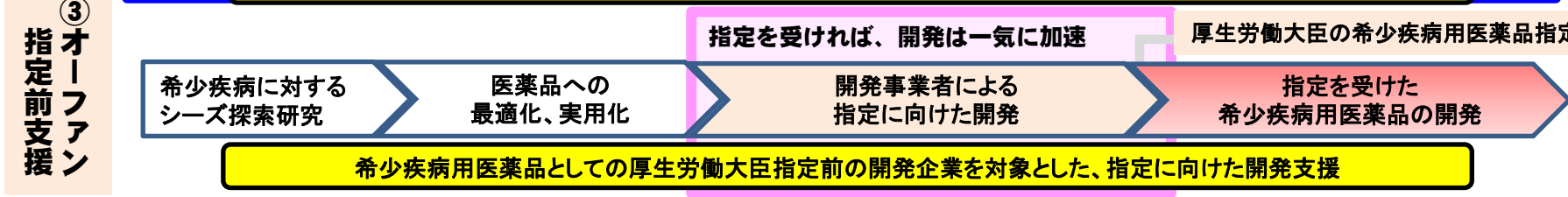
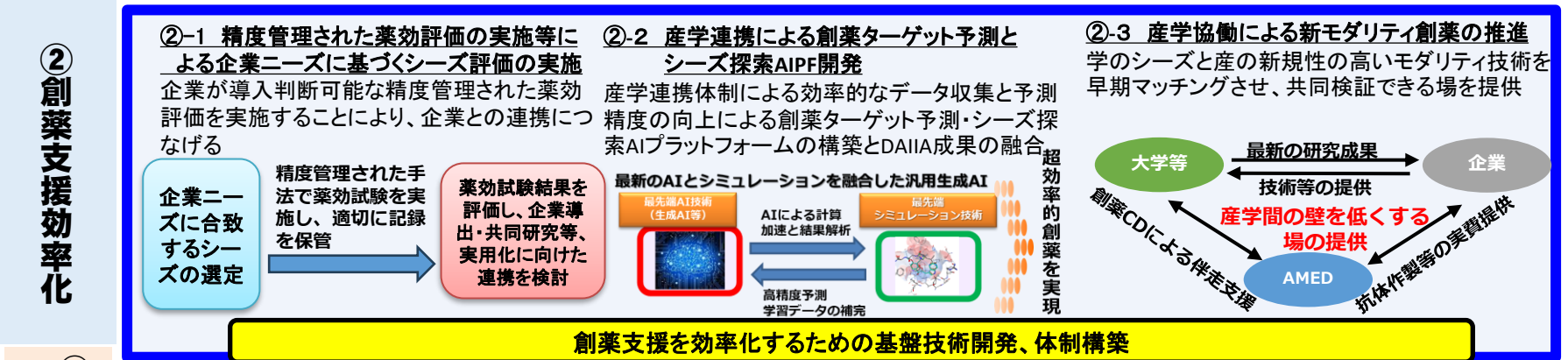
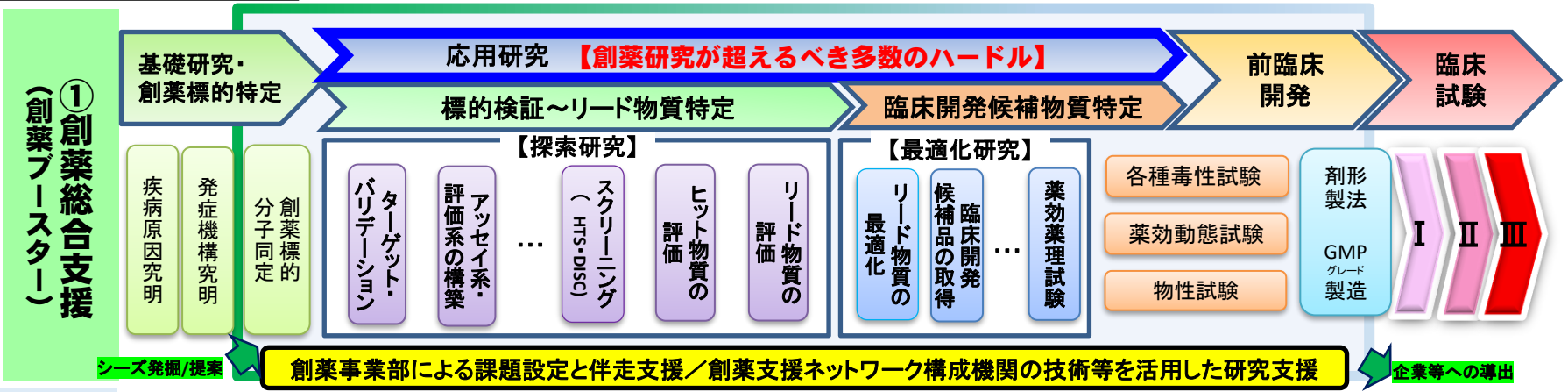
PJ区分	予算額(千円)
医薬品	3,469,600
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	0
感染症	0
データ利活用・ライフコース	0
シーズ開発・基礎研究	0
橋渡し・臨床加速化	0
イノベーション・エコシステム	0
計	3,469,600

これまでの研究事業の成果概要

(※)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。

- <成果>
- ・DAIIAにおいては、産学で活用可能な統合創薬AIプラットフォームを構築した。
 - ・また、産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)においては、本事業において構築した市販化合物ライブラリを生命科学・創薬研究支援基盤事業(BINDS)の拠点である東京大学創薬機構へ移管し、事業終了後もアカデミア創薬において活用が可能となった。
 - ・DAIIA-Xについては、アカデミア創薬支援への活用・効率化だけでなく、製薬企業での実際の創薬現場で使える AI システムを構築するため、14社の製薬企業等が参画する研究推進体制を構築した。
 - ・ニューモダリティコンソーシアムにおいては、医薬品の製造販売業許可をもつ5社に加え、スタートアップ等17社の計22社からなるコンソーシアムを立ち上げ、マッチング検討の対象として創薬ブースターで支援する創薬シーズ6件を紹介した。
 - ・シーズの企業等への導出件数10件に加え、スタートアップ4社の設立に支援シーズが貢献(令和2～7年度)
 - ・希少疾病用医薬品指定件数3件、薬事承認件数1件(令和2～7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。

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、新規モダリティを対象とした産官学共同によるマッチングの場を活用した検証試験の実施、精度管理されたin vivo薬効試験等の実施、これまで本事業で構築したAIの活用及び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他事業との連携・橋渡しを行う。また、希少疾病用医薬品指定申請の製造販売承認取得を目指す研究開発型企業等による開発を進めるため、その環境を整備し、迅速かつ効果的に希少疾病用医薬品としての実用化を可能にする。具体的なAMED全体目標として、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、優れたシーズの発展・継続支援件数120件/年、希少疾病用医薬品の承認件数150件(令和6～10年度累積)を目指す。

○期待されるアウトカム: 大学や公的研究機関等の研究者が保有する創薬シーズの製薬企業(ベンチャー・スタートアップを含む)における医薬品としての実用化と、希少疾病用医薬品を含む革新的医薬品創出の効率の向上が期待される。

事業概要(背景・目的)

我が国は基礎研究力が高く、医薬品産業の観点からも世界有数の新薬創出国の地位を維持している一方、近年、化合物探索や非臨床試験、治験薬製造といった創薬プロセスへのAI導入(AI)の動きが諸外国で加速しており、創薬を取り巻く環境は著しく変化している。「創薬」については、日本成長戦略の中でも戦略17分野の一つとして選定されたことを踏まえ、創薬AIを実証・実装するための国内の技術的基盤を構築するとともに、我が国の創薬環境の抜本的な強化を図り、創薬力の強化や国内外からの民間投資の呼び込みを目指す。

本事業では、これまでの創薬プロセスの延長線上にはない新たな創薬手法の確立を目指し、創薬プロセスにおける探索、非臨床試験及び治験薬製造といった知見に至るまでの過程を、デジタル(in silico)とフィジカル(ウェットを含めた実験・製造システム)の双方に加えて、ソフトウェア・ツール基盤として実験データ・メタデータの共通規格化、セキュリティが担保されたTRE(Trusted Research Environment)等を兼ね備えたAI創薬基盤自律創薬ラボを用いた革新的な創薬AIや創薬プロセス自動化技術の実証・社会実装を目指す。

PJ区分	予算額(千円)
医薬品	10,150,000
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	10,150,000

令和9年度の研究事業のポイント

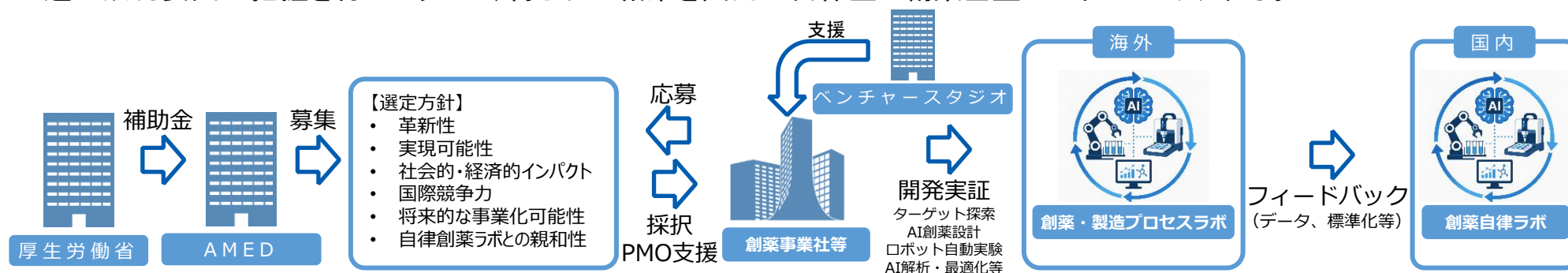
- AI創薬基盤・自律創薬ラボを活用した創薬プロセスの実証及び国内基盤整備に向けた知見収集
 - ・ デジタル(in silico)とフィジカル(ウェットを含めた実験・製造システム)の双方に加えて、ソフトウェア・ツール基盤として実験データ・メタデータの共通規格化、セキュリティが担保されたTRE(Trusted Research Environment)等を兼ね備えたAI創薬基盤自律創薬ラボを用いた革新的な創薬AIや創薬プロセス自動化技術の実証・社会実装を目指す。
 - ・ このため、採択事業者への「海外最先端の創薬AIベンチャースタジオ(AI創薬に必要な専門人材、技術、研究設備等を提供し、創薬スタートアップ等の研究開発を伴走支援する組織・仕組み)等を活用した創薬・製造プロセスラボでの開発の実施への支援を通じて、AI創薬におけるベストプラクティスの整理、国内での基盤整備に資する知見の収集を行う。
- 創薬プロセスの各工程を高度化・迅速化する共用のAI駆動型自律ラボを活用した新たな創薬シーズの開発及び実用化促進

これまでの研究事業の成果概要

令和9年度から新規に開始する研究事業であるため、現時点において特筆すべき研究成果はない。

具体的な研究内容等

- 創薬分野における革新的なAI技術及び研究開発モデルの実現を目指し、広く募集・採択することによりフラッグシッププロジェクトを選定する。
- 選定されたプロジェクトの実施事業者（創薬事業社等）へは、海外創薬AIベンチャースタジオ等を活用した支援を実施する。
- 実施事業者は、創薬ターゲット探索から候補化合物設計、実験、自動解析までの一連のプロセスを対象として、海外の創薬・製造プロセスラボへ自らシーズを持ち込み、AI創薬の実効性や有効な研究開発手法を立証する。
- 実証で得られた成果やノウハウ、AI創薬のベストプラクティスについて整理し、基盤整備に必要な要件を抽出、運用上の課題や成功要因の把握を行ったうえで、得られた結果を国内の自律型AI創薬基盤へフィードバックする。



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】

- 国内スタートアップ等による、創薬ターゲット探索から候補化合物設計、実験、自動解析までの一連のプロセスの高度自動化・自律化の実現。
- 国内での創薬AX基盤整備に資する知見 等

【期待されるアウトカム】

- 臨床試験までの創薬期間の大幅短縮、研究開発コストの低減及び革新的医薬品の創出

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(※)の承認取得を目的とした臨床研究・治験等の実施を支援する。
 - ※ 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の医療機器等のリスクが高く着手が困難な開発研究に対する支援を行う。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	1,190,077
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	1,190,077

令和9年度の研究事業のポイント

- 「省力化投資促進プラン —医療—」において医療負担の軽減に資するものを含む医療機器等の開発・実装を推進することとしていることを踏まえて、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。これにより、**医療従事者の診療業務の代替や補助により医療従事者の生産性を向上する医療機器を実用化し、少子高齢化の中でも医療の質を維持・向上する。**(拡充)
- 「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を増加する。これにより、新たな技術等により、**疾患の治療・診断・予防に直接的に効果を発揮するプログラム医療機器を実用化**する。また**医療従事者の業務の効率化・負担軽減や医療費適正化**も目指す。(拡充)

これまでの研究事業の成果概要

(※)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

○薬剤塗布型バルーン(drug coated balloon)の安全性及び有効性を確認することを目的に国内患者レジストリを構築し、当該レジストリのみを用いた評価をもって、適応を拡大する一部変更承認された(令和8年2月、クラスⅣ)。これは、国内レジストリのデータのみを用いて安全性及び有効性を評価し、医療機器適応拡大の承認を取得した初めての事例であり、今後の医療機器開発におけるリアルワールドデータの利活用の促進に大きく貢献することが期待される。

【アウトプット】(令和7年度末)

- 治験に至った件数
 - ・医師主導治験の治験計画届の届出数 5件
 - ・企業治験の治験計画届の届出数 0件
 - ・臨床性能試験の数 1件
- 優れたシーズの発展・継続支援件数
 - ・過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 3件
- その他
 - ・PMDA対面助言実施件数 6件

【アウトカム】(令和7年度末)

- 薬事承認
 - ・医療機器の承認・認証 2件
 - ・体外診断用医薬品の承認・認証 0件

具体的な研究内容等

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、医療費適正化や医師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の臨床研究・治験等を支援

③医療ニーズの高い医療機器の実用化を目指す臨床研究・治験等

以下の臨床研究・治験等を支援

③-1 小児用医療機器

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もの

③-2 高齢者向け・在宅医療分野の推進に資する医療機器

在宅医療の推進に資する医療機器等の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もの

③-3 女性の健康・疾病に関する医療機器

女性の健康・疾病に関する医療機器を開発し、企業への導出を目指すもの

④疾患登録システム（患者レジストリ）を活用して医療機器の実用化を目指す研究等

医療機器の薬事承認申請に資するレジストリの構築、様々な企業が活用できる持続的なレジストリ体制の構築、既存の患者レジストリの利活用を通じてアンメットメディカルニーズ等の解決に資する医療機器の実用化を目指す研究等を支援

⑤医療ニーズの高い体外診断用医薬品の開発

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

⑥マイルストーン型開発支援プログラム（ヘルステック・チャレンジ）

医療機器開発の初期フェーズにおける、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の実施を支援

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】

日本発の基礎研究の成果を医療機器・体外診断用医薬品として実用化するため、臨床研究・治験等のプロトコルの確立、及び臨床研究・治験等を実施する。また、医療機器の薬事承認申請に資するレジストリを構築する。

具体的なAMED全体目標として、以下を目指す。

- ・権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数 130件/年
- ・治験に至った件数 60件/年
- ・優れたシーズの発展・継続支援件数 120件/年

【期待されるアウトカム】

本研究事業で得られた成果を企業に導出し、医療機器・体外診断用医薬品の薬事承認取得を目指す。

事業概要（背景・目的）

日本企業が国際展開を進める上で、相手国の医療におけるニーズや価格水準、運用環境に適合した医療技術・医療機器の開発は不可欠である。本事業は、途上国等の臨床現場で得られるニーズを十分に踏まえた医療機器開発の支援を目的とする。また、実用化研究過程で得られた知見を産業界で共有し、日本企業による医療機器の研究開発を推進することで、相手国の公衆衛生課題の解決にも資する体制を整備する。さらに、製品の普及に向け、大学等の研究機関との交流に加え、相手国規制当局との対話等の政府レベルでの普及活動も推進する。これらの取組を通じ、日本企業による持続的な国際展開を支援し、医療技術の社会実装へとつなげる。

PJ区分	予算額(千円)
医薬品	0
医療機器・ヘルスケア	298,976
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	298,976

令和9年度の研究事業のポイント

- ①開発途上国・新興国における医療機器開発支援モデルの強化
令和8年度に新規採択したサポート機関の活動を軌道に乗せ、支援体制を強化する。具体的には、デザインアプローチを活用した製品開発を推進するとともに、途上国等への進出プログラム整備、情報収集、開発事業者支援、現地のステークホルダーおよび国際機関との連携を強化し、実用化を見据えた医療機器開発支援体制の充実を図る。
- ②公衆衛生課題の解決に貢献する医療ニーズの発掘
国際機関が注目している医療課題や、開発途上国・新興国等が抱える公衆衛生課題について、年次調査活動およびファンディング機関との対話を通じて把握し、その解決に貢献する事業の採択を目指す。令和9年度は、アジア、アフリカ各1課題程度を採択し支援を行う。
アジア:依然大きな社会問題である公衆衛生上の課題に加え都市化、生活環境の改善に伴い新たに発生した諸課題に取り組む。
アフリカ:周産期医療、感染症、NCDなど多岐にわたる諸課題に取り組む
- ③事業化に向けた継続課題の支援
アフリカ対象3課題(非電動式陰圧創傷治療システムの開発、遠隔医療を視野に入れた眼科医療機器の開発、血液を介する感染症の簡易検査キットの開発)

これまでの成果概要等

(※)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。

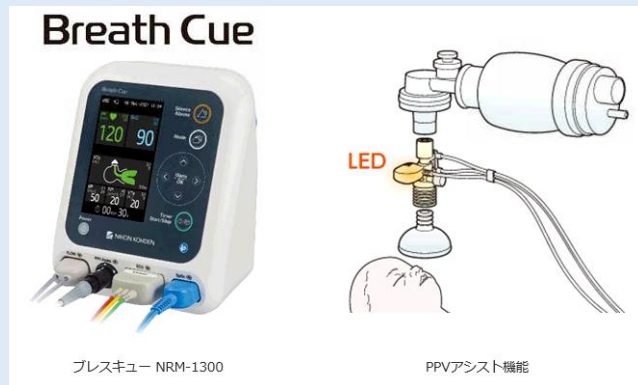
「安全なバッグ換気のためのモニタ」など17件の課題を採択、研究開発を推進する課題を実施し、令和7年度末時点、12課題が本事業を終了(令和7年度末に1課題が終了、令和8年度課題継続中)

- <アウトカム指標>
- ・薬事承認数 : 日本国内取得済5件/本事業終了事業者11件 [45%] 、 対象国取得済3件/本事業終了事業者12件 [25%]
 - ・製品上市数 : 2件/終了事業者12件 [17%]

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。

期待されるアウトカム

<期待されるアウトカム>

○医療機器の開発に関する指標

- ・ 研究開発終了後に薬事承認の取得および製品上市を実現し、途上国等における公衆衛生課題解決に資すること。

○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、これまで治療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、世界に先駆けた再生医療の実用化を目指して、倫理性及び科学性が十分に担保された臨床研究や医師主導治験等を支援する必要がある。また令和7年5月に「再生医療等の安全性の確保等に関する法律及び臨床研究法の一部を改正する法律」が施行され、in vivo遺伝子治療やその関連技術も法の対象となった。

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9年度の研究事業のポイント

- 再生・細胞・遺伝子治療(in vivo遺伝子治療を含む)の実用化に向けて、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。
- 令和9年度は、再生医療等の臨床研究のデザインや実施体制の開発、個別化遺伝子治療に関する研究、近年急速に開発が進む遺伝子改変動物を用いた移植技術の研究開発を支援する。産学連携では、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。
- 特に、若手・女性研究者を含めた人材育成に特に努める。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。

これまでの研究事業の成果概要

(※)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7年度は、グルコーストランスポーター1欠損症に対するAAVベクターの医師主導治験、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細胞の医師主導治験において、第1例目への投与(First in human)が達成された。また、末梢神経損傷に対する臍帯由来間葉系細胞を用いた三次元神経導管移植の医師主導治験、頭頸部放射線治療後の唾液腺萎縮に対する自家唾液腺細胞移植の臨床研究が開始されるなど、各研究の進展が見られた。

【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

＜その他＞ ・特許申請・登録等に至った研究開発14件

【全統合プロジェクト(令和7年度から)】

＜アウトプット＞

- ・論文数(Top1%論文) 6件
- ・治験に至った件数 16件
- ・優れたシーズの発展・継続支援件数 22.5件

＜アウトカム＞

- ・権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約件数(シーズの企業導出数) 12件
- ・薬事承認・認証 4件
- ・医療等実装された件数(薬事承認・認証を除く) 10件

具体的な研究内容等

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. 治療法確立のための臨床研究

実用化の道筋が明確な再生・細胞医療・遺伝子治療の臨床研究・医師主導治験を支援。



エ. 実用化を見据えた製法開発のための研究

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。



カ. 効率的な再生医療等臨床研究実施のための研究

再生・細胞医療・遺伝子治療の臨床研究の効率化につながる研究デザインの開発その他、効率的な臨床研究実施体制を開発する研究を支援



イ. 産学連携による臨床研究

アカデミア発の再生・細胞医療・遺伝子治療シーズ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。



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。



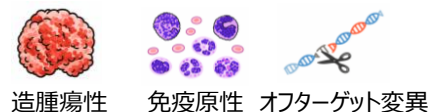
キ. 遺伝子改変動物を用いた移植技術に関する研究

国産技術による遺伝子改変ブタの臓器をヒトに移植する異種移植技術確立するため、非臨床試験や国内におけるFIH試験の実施に向けた研究、遺伝子改変の最適化、拒絶反応の制御、免疫寛容・免疫抑制技術の確立に向けた研究、移植技術の確立に向けた研究、輸送技術の確立に向けた研究を支援



ウ. 品質・安全性の確保のための研究

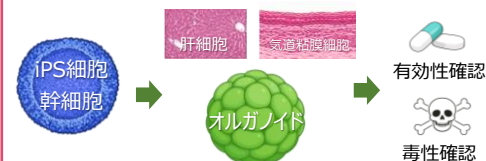
国内で開発中の再生医療等製品・技術の品質・安全性評価方法の開発、製造・品質管理および輸送方法を開発する研究及び国際標準化に資する研究を支援。



2) 創薬応用に向けた研究の支援

ク. iPS細胞・オルガノイド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、iPS細胞や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。



期待されるアウトプット、アウトカム

- 「再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト」に基づき、文部科学省事業によって非臨床段階から臨床段階へ移行した課題について切れ目なく支援を行い、臨床研究や治験に移行する課題の拡大、iPS細胞等を用いた病態解明、臨床研究のデザインや実施体制の開発、個別化遺伝子治療に関する研究、遺伝子改変動物を用いた移植技術の確立を目指す。
具体的な目標として、1) シーズの企業導出、2) 治験に至ること、3) 他事業へのシーズの導出(受け渡し)、4) Top10%論文掲載を目指す。
- 国内におけるアカデミア発の再生医療等シーズの実用化、国外の市場展開も視野に入れた研究支援によって、国際的に発信すべき細胞の安全性評価方法、製造方法や品質管理方法等の確立が期待される。また産学連携により、アカデミア発のシーズを速やかに企業治験(再生医療等製品の開発)につなげる研究の増加も期待される。
具体的な目標として、1) シーズの企業導出、2) 治験に至ることを目指す。

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)

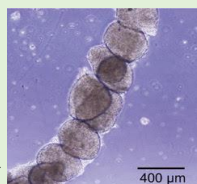
※脳のドパミン神経細胞が減少することにより、手足のふるえやこわばり、運動障害などが生じる疾患



➢ 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。住友ファーマ社が承認申請、令和8年3月に条件及び期限付承認を取得。

➢ 米国にて、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)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

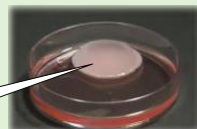
(大阪大学・澤 芳樹 名誉教授)



➢ 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。クオリップス社が承認申請、令和8年3月に条件及び期限付承認を取得。

➢ 令和6年5月から、適応拡大として、拡張型心筋症に対する医師主導治験を実施中。(研究代表:大阪大学・宮川 繁 教授)



心筋細胞シート

グルコーストランスポーター1欠損症※に対するGLUT1発現AAVベクターを用いた医師主導治験

(自治医科大学・小坂 仁 教授)

※脳のエネルギー源であるグルコースが脳内に取り込まれないことにより生じる疾患。乳児期早期に発症する。



➢ GLUT1欠損症に対して、GLUT1発現アデノ随伴ウイルスベクターを投与する遺伝子治療の医師主導治験。

➢ 令和7年3月に治験を開始し、同年7月に第1例目の投与を実施。



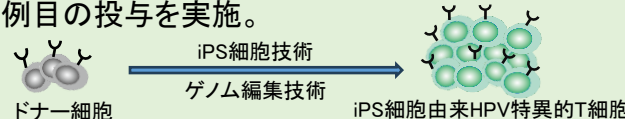
子宮頸がんに対する他家iPS細胞由来HPV抗原特異的細胞傷害性T細胞を用いた医師主導治験

(順天堂大学・安藤 美樹 教授)



➢ ヒトパピローマウイルス(HPV)抗原を認識するドナー由来の細胞傷害性T細胞をiPS細胞にし、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のiPS細胞製品。

➢ 令和7年1月、HPV陽性の子宮頸がん患者を対象にした医師主導治験を開始。同年11月に第1例目の投与を実施。



末梢神経損傷に対する同種臍帯由来間葉系細胞を用いた三次元神経導管移植治療の医師主導治験

(京都大学・池口 良輔 教授)



- 末梢神経損傷に対し、同種臍帯由来間葉系細胞を原材料としてバイオ3Dプリンタを用いて製造した三次元神経導管を移植する医師主導治験。
- 令和8年1月に治験を開始。



頭頸部がん放射線治療で引き起こされる唾液腺萎縮に対する自家唾液腺細胞移植を用いた臨床研究

(千葉大学・笠松 厚志 准教授)



- 頭頸部がん放射線治療による唾液腺萎縮及び口腔乾燥症に対し、放射線治療前に採取した唾液腺細胞を培養・増殖し、放射線治療後に移植する臨床研究。
- 令和7年11月に臨床研究を開始。

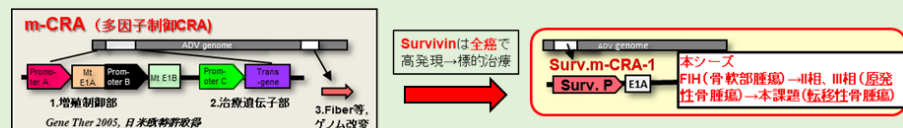


転移性骨腫瘍に対するサバイビン反応性多因子増殖制御型アデノウイルスを用いた第II相医師主導治験

(鹿児島大学・小戔 健一郎 教授)



- 悪性腫瘍細胞を選択的に傷害するサバイビン反応性多因子増殖制御型アデノウイルスの転移性骨腫瘍に対する第II相医師主導治験。
- 令和7年度末に治験計画届を提出、治験を開始。

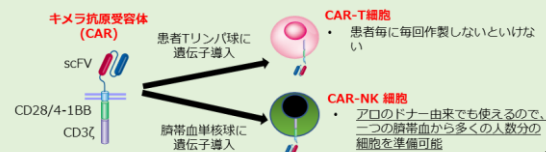


同種造血幹細胞移植後急性骨髄性白血病患者に対する臍帯血由来CAR-NK細胞療法の開発

(大阪大学・保仙 直毅 教授)



- 同種造血幹細胞移植後に再発した急性骨髄性白血病に対するHLA-DRB1タンパクの遺伝子多型を標的とした同種臍帯血由来CAR-NK細胞を開発、動物モデルで著明な抗白血病効果を確認。(Nature Cancer 6, 595-611, 2025)
- 医師主導治験の開始に向けて、非臨床安全性試験、製造・品質管理の研究等を実施中。



事業概要(背景・目的)

ゲノム解析技術等の顕著な進展により、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。わが国は、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)を推進しており、さらなる実用化の推進に向けて、オールジャパン体制で取組を強化する必要がある。

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	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9年度の研究事業のポイント

- ・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。
- ・全ゲノム解析等にて判明するバリエーションの臨床的意義等を解明し、公共ゲノム・遺伝子データベースを充実させる研究を行う。

これまでの研究事業の成果概要

(※)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。

- 日本人8,380人の全ゲノム解析データから見出された新規CYP2E1遺伝子多型22種を含む計25種のバリエーション酵素の機能解析の結果、一部のバリエーションが酵素活性を大きく低下させる一方、逆に活性を増強するバリエーションも存在することを明らかにした(令和7年12月)。
- 204人の小児がん患者を対象にゲノム検査を行い、ゲノムプロファイリング検査が小児がんに対する有用性、小児がん診療に実装するために必要な連携体制や人材育成方法を検討した結果、ゲノム検査が小児がんにおいても診断補助や予後予測・薬剤選択など、精密な治療選択に幅広く役立つことが明らかとなった。また、オールジャパンの小児がん研究団体であるJCCGの協力を得て、ゲノム医療を進めるための全国的な枠組みを確立した(令和8年1月)。
- ゲノム編集によりGATA2の各coding variantsとnon-coding variantを網羅的に導入し、トランスクリプトームに基づく機能アノテーション技術を確認し、病原性が不明なGATA2の149バリエーションに対して、92バリエーションを病的バリエーションとして同定した。(令和8年2月)。

<アウトプット>

- ・ 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)(令和7年度) 7件
- ・ 新たな疾患発症メカニズム解明件数 (令和7年度) 4件
- ・ 新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 (令和7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7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7年度) 3件

具体的な研究内容等

A. ゲノム創薬研究の推進に係る課題解決に関する研究

ゲノム創薬研究においては、研究者が各種バイオバンクの検体等を有効に利活用することが重要である。

そのため、国内の各バイオバンクの利活用を妨げている要因を特定し、それを取り除くための具体的な方策を提案する。その中で、特にバイオバンクの管理・運営の品質管理について向上させる。また、生体試料の品質管理の向上に向け、生体試料の処理方法と品質との関係を実際に生体試料を用いた研究で調べ、生体試料ごとのミニマム共通SOPを作成する。

B. ゲノム情報を活用した新規創薬ターゲットの探索等の基盤整備に関する研究

遺伝性疾患におけるRNA異常を特定し、高い有効性・安全性を有する医薬品シーズを効率よく探索・同定するための疾患RNAデータベースを構築する。

C. 網羅的生体情報を活用したゲノム診断・ゲノム治療に資する研究

1) ファーマコゲノミクスにより効果的・効率的薬剤投与を実現する基盤研究

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

2) 遺伝性疾患のゲノム解析で得られたVUSへの機能的アノテーションに資する基盤研究

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

(*) VUS: Variant of Uncertain Significance (臨床的意義が不明な変異)

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

全ゲノム解析等実行計画に基づいて集積されている検体や臨床情報と全ゲノム情報、マルチオミックスデータ、画像データ、その他のリアルワールドエビデンス等の情報、及び既存のバイオバンク等の情報基盤を利活用し、また、既存の情報基盤の利活用を推進するための技術開発を通じて、創薬等を見据えた出口戦略に基づき、わが国における個別化医療の実用化に向けた情報基盤の整備に資する研究を行う。

期待されるアウトプット、アウトカム

<アウトプット>

- ・ 新たな疾患発症メカニズム解明件数（令和7-11年度）12件
- ・ 新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数（令和7-11年度）10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7-11年度）10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7-11年度）11件

スケジュール



ゲノム情報基盤整備と
個別化医療の実現

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。

令和9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」の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、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、AIを用いた診断・治療支援ツールの実用化に向けた研究開発、リバーstrans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、がん予防については、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。また、引き続き、②難治性がん克服を目指す「AMEDがん研究フラッグシッププログラム」の推進、③国際競争力の高いシーズ等の開発研究加速のためのペアリング・マッチング等の事業間連携の推進、レジストリ構築等による基礎研究から非臨床試験・医師主導治験に繋ぐ研究を支援する。

令和9年度からは新たに、④「がん・難病ゲノム医療推進研究プログラム」によるがんゲノム医療の推進と次世代を見据えたデータの蓄積、⑤日英2国間連携による小児・AYA世代がん分野におけるドラッグラグ・ドラッグロスの解決に向けた国際共同臨床試験の推進、⑥ゲノム・マルチオミックス解析スクリーニング基盤に基づいた周術期個別化治療開発研究の推進、⑦減薬・休薬等のより安全で効率的な治療につながる臨床試験の推進に取り組む。

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7年2月18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8年3月時点)

～第2期

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

第3期～

①医薬品プロジェクト

・治験に至った件数 5件

- ・優れたシーズの発展・継続支援件数 2件

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

・治験に至った件数 5件

- ・優れたシーズの発展・継続支援件数 4件

⑤データ利活用・ライフコースプロジェクト

- ・シーズの企業導出数 8件
- ・治験に至った件数 9件
- ・優れたシーズの発展・継続支援件数 7件
- ・医療等に実装された件数 21件
- ・Top1%論文 18件

具体的な研究内容等

プロジェクト①(医薬品)

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

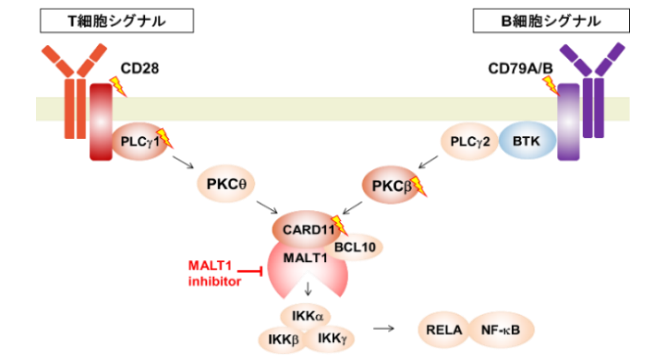
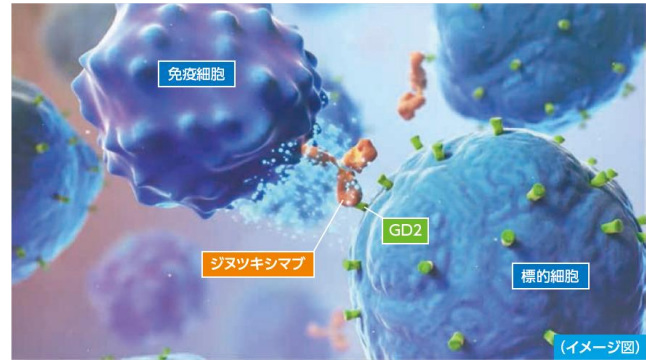
研究内容 代表的な小児がんである神経芽腫に対して、抗GD2抗体ジヌツキシマブの「大量化学療法後の神経芽腫」の治療薬として医師主導治験を実施した。本結果に基づき、薬事申請を行い、令和3年6月薬事承認を受けた。同時に、併用薬であるフィルグラスチム、テセロイキンの神経芽腫に対するジヌツキシマブの併用薬としての適応拡大の承認申請が行われ、令和3年6月薬事承認を受けた。

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

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

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

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



膵がん診断を補助する血液バイオマーカーApoA2-i 体外診断薬承認
本田 一文 教授
日本医科大学/国立がん研究センター

- ・国内多施設共同研究による基礎診断性能・POC取得 (次世代がん事業, 2016~)
- ・東しによるELISAキット化
- ・QMS省令体制による診断キット作製 (次世代がん事業, 2019)
- ・同診断キットによる臨床性能試験実施 (革新がん事業 領域4-1, 2019~)

膵がんの診断を補助する血液バイオマーカーとして 体外診断医薬品の薬事承認 健康保険 薬価収載

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~R9)
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)





TTフィールドジェネレーター(本体)
バッテリーとバッテリー充電器
電源アダプター
接続コネクタ
TTFフィールドジェネレーター(本体)
バッテリーとバッテリー充電器
電源アダプター
接続コネクタ
TTFフィールドジェネレーター(本体)
バッテリーとバッテリー充電器
電源アダプター
接続コネクタ
TTFフィールドジェネレーター(本体)
バッテリーとバッテリー充電器
電源アダプター
接続コネクタ

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

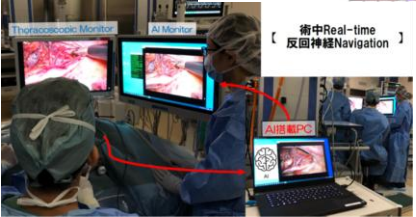
研究内容

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)



Dice Coefficient: 0.61
露出された反回神経を高認識率で判定



Thoracoscopic Monitor
AI Monitor
術中Real-time 反回神経Navigation

期待されるアウトプット、アウトカム

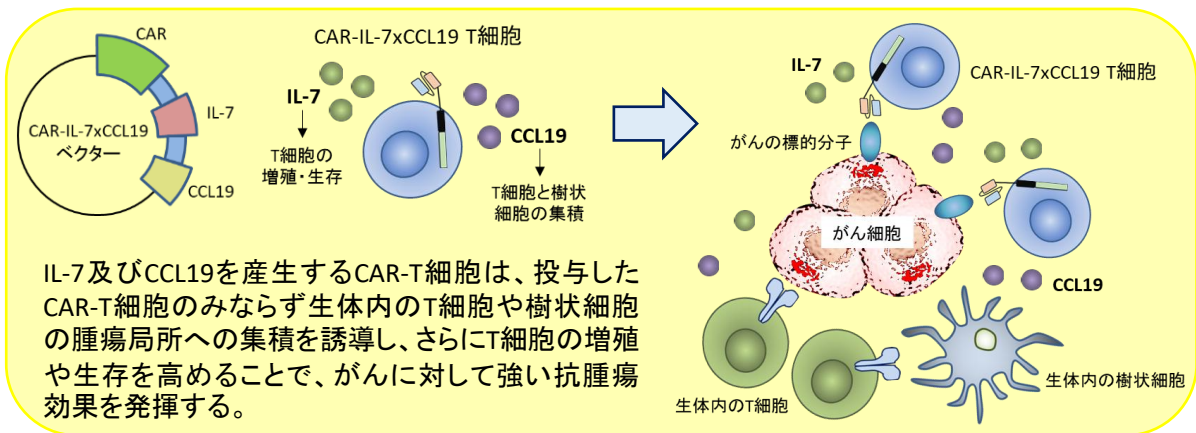
(※)アウトプット、アウトカムについては、医療分野研究開発推進計画(令和7年2月18日一部変更)を元に記載

- ①医薬品プロジェクト【全PJ共通モニタリング指標】(令和7年度末)
 - ・治験に至った件数 5件
 - ・優れたシーズの発展・継続支援件数 2件

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

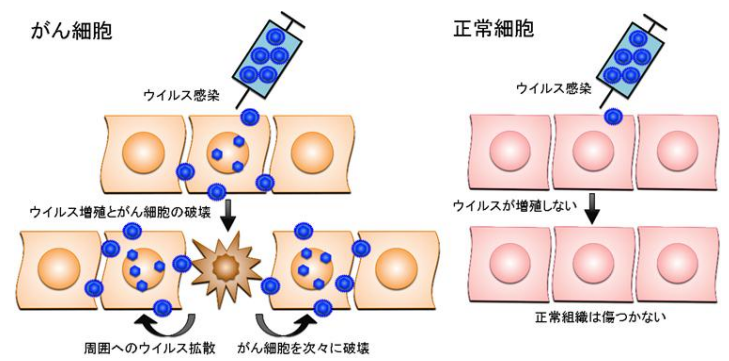
研究代表者らは、固形がんに対するCAR-T細胞療法の標的分子として、CAR発現効率及び腫瘍増殖抑制作用の高い分子を見出した。また、当該分子を認識するCARに加え、IL-7及びCCL19を組み込んだCARを発現するCAR-T細胞を開発し、非臨床試験及びGMP製造体制の構築を行った。本結果をもとに国内企業へ導出され、以後の臨床開発は企業のもとで行う予定である。



革新的抗がんウイルス療法の実用化臨床研究(H30～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7年2月18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【全PJ共通モニタリング指標】(令和7年度末)
- ・治験に至った件数 5件
 - ・優れたシーズの発展・継続支援件数 4件

具体的な研究内容等

プロジェクト⑤(データ利活用・ライフコース)

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】

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
—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—

	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

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。



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

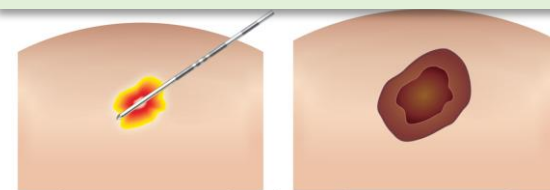
標準的乳がんラジオ波熱焼灼療法開発に係る多施設共同試験 (H27～R6)
国立病院機構東京医療センター 木下貴之

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。

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



焼灼中イメージ
プレスリリース:

<https://www.ncc.go.jp/jp/information/pr.release/2023/1215/index.html>

焼灼後イメージ

具体的な研究内容等

プロジェクト⑤(データ活用・ライフコース)

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。

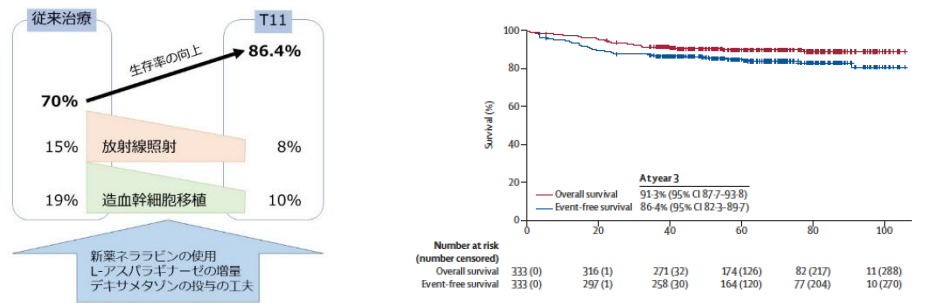
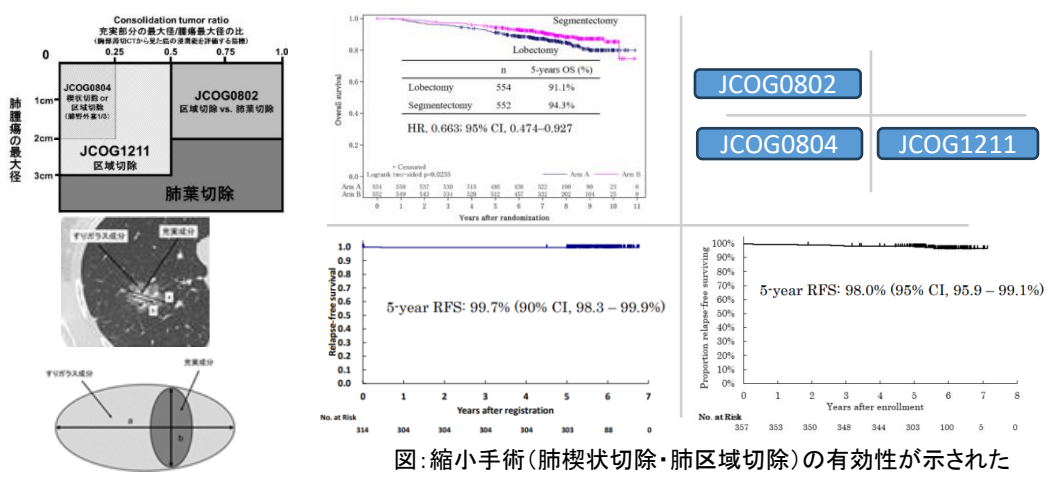
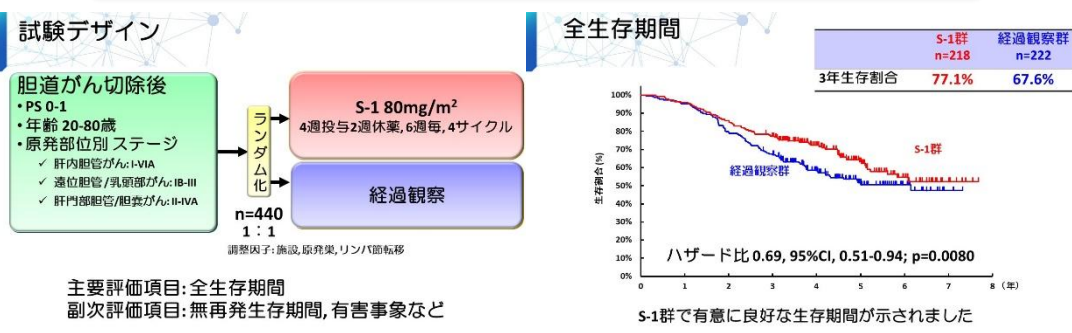
非浸潤または小型非小細胞肺癌に対する機能温存手術の確立に関する研究(H27～R6)
国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院 渡辺俊一

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、肺がん診療ガイドライン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—



具体的な研究内容等

プロジェクト⑤(データ利活用・ライフコース)

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、そのための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

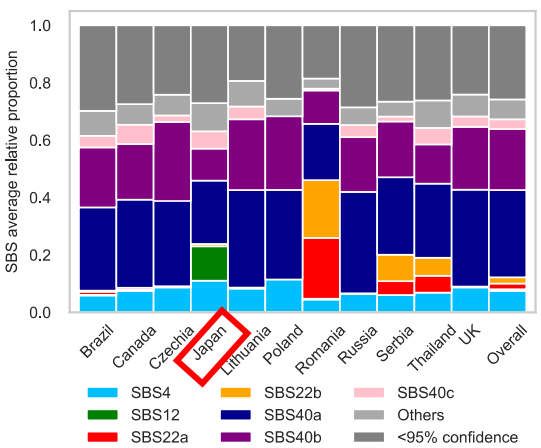
期待されるアウトプット、アウトカム

⑤データ利活用・ライフコースプロジェクト【全PJ共通モニタリング指標】(令和7年度末)

- ・シーズの企業導出数 8件
- ・治験に至った件数 9件
- ・優れたシーズの発展・継続支援件数 7件
- ・医療等に実装された件数 21件
- ・Top1% 論文 18件

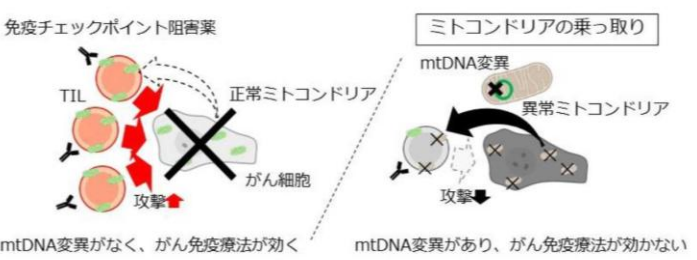
(※)アウトプット、アウトカムについては、医療分野研究開発推進計画(令和7年2月18日一部変更)を元に記載

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、病態未解明の認知症の病態解明・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、認知症の本態解明、予防、診断及び治療に関する基礎研究及び臨床研究等を進める。発症前の先制治療の可能性を見据えた大規模遺伝子解析、国際協働も目的とした高品質なコホートの全国展開、臨床研究の推進に寄与する支援体制の強化により、根本的治療薬、効果的な症状改善法、有効な予防法の開発を促進する。

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	1,201,565
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	1,201,565

令和9年度の研究事業のポイント

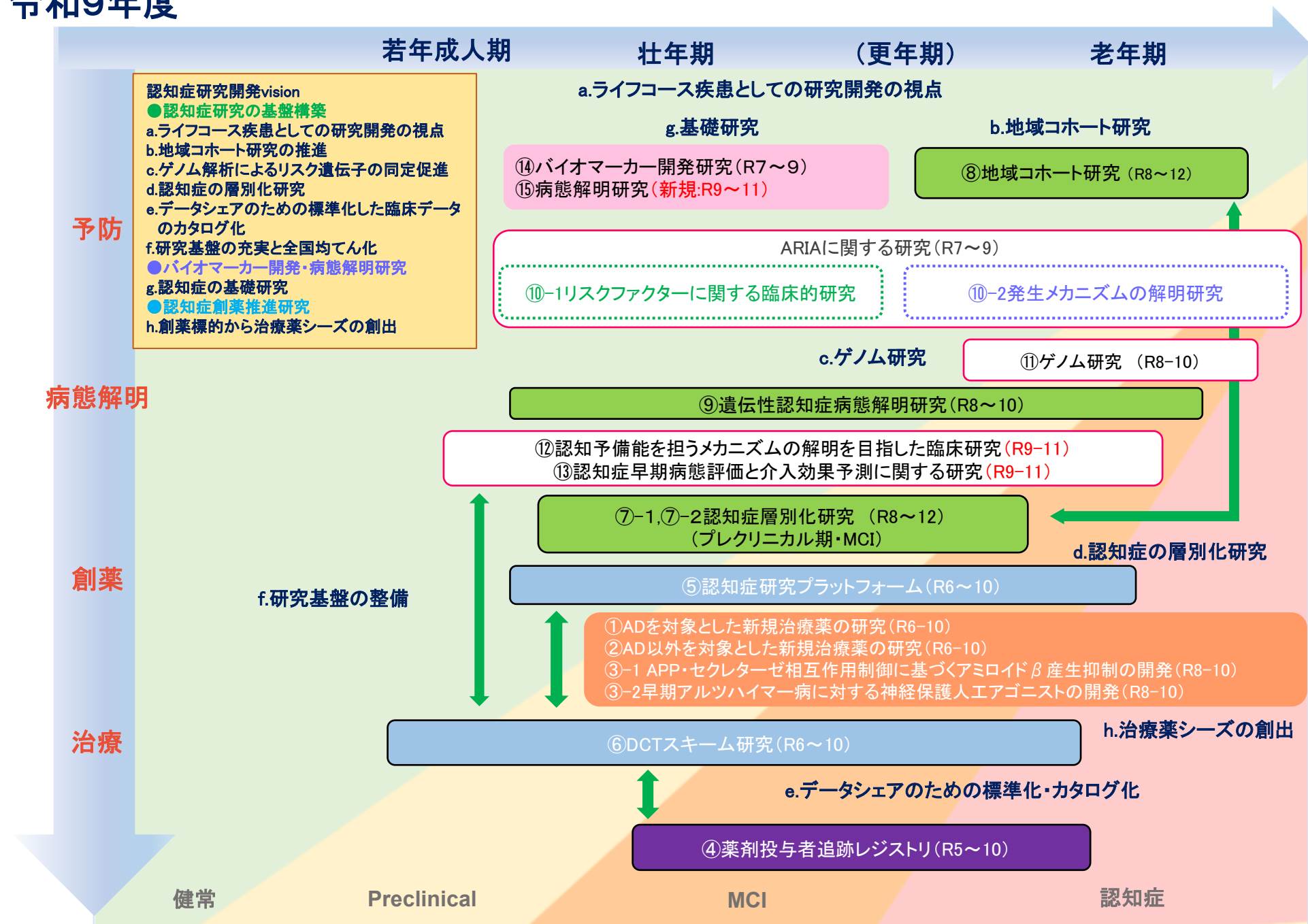
令和5年度補正予算より「アルツハイマー病疾患修飾薬全国臨床レジストリの構築と解析」を開始した(継続)。新たな認知症治療薬の開発に向けて、令和6年度より、「光酸素化触媒によるアミロイドクリアランス技術開発」及び「非アルツハイマー型認知症の新規治療薬についての研究」を開始している。令和9年度は4年目に当たり、非臨床POCの達成に向けて研究推進を加速する。これらの研究を継続するとともに令和8年度の追加公募により、新たなモダリティの創薬研究を視野に入れる(継続・新規)。令和6年度より「共生社会を実現する認知症研究プラットフォームの構築」「DCTスキームを用いた認知症研究体制構築の研究」を開始した。プラットフォーム構築研究においては、今後の認知症研究のハブ的役割を担うため、プラットフォームとしてのさらなる機能の充実を図る(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「脳アミロイド血管症および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レジストリ研究」、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「ヒト試料とモデル動物を活用したARIA発症の分子基盤の解明とバイオマーカー開発研究」を開始し、相互に連携しながらARIAの病態解明を目指す。(継続)令和8年度からは、「病的バリエーションを有する遺伝性認知症を対象としたコホート構築による病態解明、バイオマーカー開発、治験促進」(継続)、「生体センサを活用した脳内アミロイドβ蓄積の早期検知・予防ツールの開発」(継続)、「アルツハイマー病治療に関連する遺伝要因の同定とゲノム創薬に向けた統合ゲノム応用研究」(継続)、「プレクリニカル期/MCI期の層別化研究」(継続)を開始した。住民コホートデータを活用した認知症の病態解明研究においては、既存のサンプルを活用したゲノム・オミックスデータの充実や新たな手法を取り入れた前向き研究を推進する。また層別化研究ではプレクリニカル期とMCI期の連続性を意識した自然歴を追跡可能な研究基盤の構築を目指す。令和9年度の公募として、認知予備能(レジリエンス)を担うメカニズムに関する研究、認知症発症におけるAPOEや脂質の関与に関する研究、認知症早期病態評価と介入効果予測に関する研究を実施し、認知症の病態解明研究を推進する。(新規)

これまでの研究事業の成果概要

(※)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。

- データ基盤構築の状況(3件)
 - ・診療情報の精度が高い当事業のコホート群での血液BMの検証(調整費)
 - ・ARIAレジストリの立ち上げと症例登録開始と症例登録のための標準化完了
 - ・製薬企業のPMS(Post Marketing Surveillance)との協働による同意取得やデータ収集のスキームの整備とデータ利活用に向けた仕組みの構築
- 新たな疾患発症メカニズム解明(7件:他5件)
 - ・原発性側索硬化症表現型とFTLD/MNDにおけるANXA11およびTDP-43の共凝集
 - ・タウBMがアミロイドPETを高度に反映するメカニズムに関する新知見
- 新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数(1件)
 - ・アルツハイマー病に対する保護的バリエーションとしてAPOE ε7バリエーションの同定

<データ利活用・ライフコースPJ>(令和7年度～令和11年度)
うち、認知症研究開発事業該当箇所
・優れたシーズの発展・継続支援件数
※シーズの他の統合プロジェクトへの導出件数:PJ5年次目標値14.5件
・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
・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
・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



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。

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9年度の研究事業のポイント

- ・**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。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9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。さらに、バイオタイプに基づく患者層別化を活用した炎症標的新規抗うつ薬と成人ADHDに対する治療法アプリ(SaMD)の計3件の**医師主導治験**を推進する。さらに、症例登録10,000例の目標達成に向けて、施設間の異なるカルテベンダーを乗り越えカルテ情報を自動抽出できるCyber-NPを現在の7施設に加え、新規で4施設に導入する。
- ・**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9年度は精神疾患領域の臨床試験における**評価バリエーション軽減**に関する研究開発を推進する。
- ・**心の健康づくり等に資する研究開発の推進**
社会生活環境の変化等に伴う国民の精神的ストレスの増大に鑑み、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9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。

これまでの研究事業の成果概要

- ・国内初の非劣性試験(国内19機関)により、複数の精神疾患(うつ病、不安症、強迫症)に対するオンライン診療が、対面診療と同等の治療効果であることを証明した(令和5年12月)。これにより、令和6年度診療報酬改定では、「情報通信機器を用いた通院精神療法に係る評価の新設」が実施された。
 - ・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、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)の医師主導治験を開始した(令和8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)。
- 【データ利活用・ライフコースPJ】
- <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※
・新たな疾患・薬剤関連遺伝子の同定(令和2～6年度) 1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

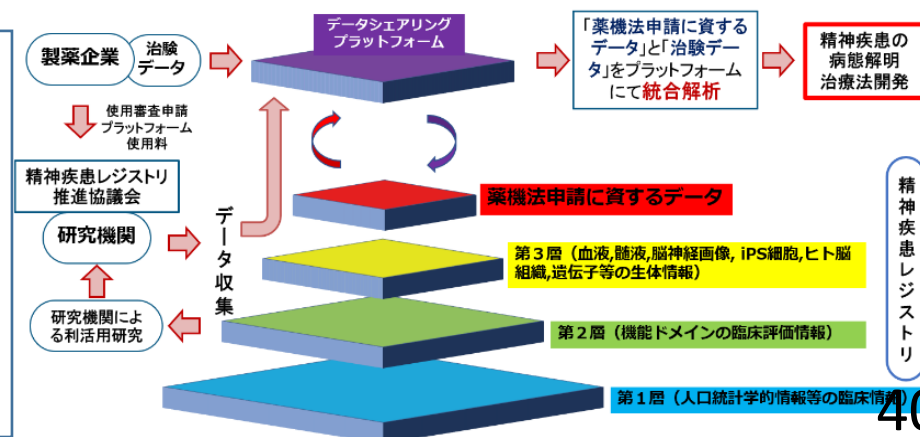
【期待されるアウトプット】

- 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（Top 1%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（マイレージストリ）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9年度の研究事業のポイント

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も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医療・福祉機器、システム、支援プログラム等を構築・開発し、効果検証により、実用化を促進する。

これまでの研究事業の成果概要

- ・災害時、緊急時に聴覚障害者が第三者を介さず、か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。
- 【データ利活用・ライフコースPJ】
- ＜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

身体及び知的障害児・者の社会復帰/社会参加に資する医療・福祉機器、システム、支援プログラム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も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医療・福祉機器、システム、支援プログラム等を構築・開発し、効果検証により、実用化を促進する。

身体及び知的障害児・者の医療・支援の質的向上を実現する診断・治療の層別化・最適化に関する研究

医療・福祉機器、リハビリテーション、生活支援方法や評価方法等、いずれかの開発・効果検証により、身体及び知的障害児・者の医療・支援の質的向上を図る。

感覚器障害分野

感覚器障害者の社会復帰/社会参加に資する医療・福祉機器、システム、支援プログラム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医療・福祉機器、システム、支援プログラム等を構築・開発し、効果検証により、実用化を促進する

感覚器障害者の医療・支援の質的向上を実現する診断・治療の層別化・最適化に関する研究

医療・福祉機器、リハビリテーション、生活支援方法や評価方法等、いずれかの開発・効果検証により、感覚器障害者の医療・支援の質的向上を図る。

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)

治療薬及び予防接種の発達・普及によって、一時は制圧されたと考えられた感染症であっても、新興・再興感染症として流行する可能性が指摘されている。結核、動物由来感染症、ヒトT細胞白血病ウイルス1型(HTLV-1)等については、基盤的な研究から、実用化に向けた開発研究まで、一貫して推進する必要がある。また、公衆衛生危機管理等の観点から、感染症対策上重要な「重点感染症」に対しては、ワクチン、治療薬、診断薬等の感染症危機対応医薬品等(MCM)の確保が求められている。また、平時から研究開発・基盤整備を推進することが重要である。本研究事業では、関連計画や政府方針※、厚生科学審議会における検討内容等を踏まえ、主に5領域(①総合的な公衆衛生対策に資する研究、②診療体制の確保、臨床研究の推進に資する研究、③ワクチンの実用化及び予防接種の評価に資する研究、④感染症に対する診断法、治療法に関する研究、⑤国際ネットワーク構築に資する研究)を主軸に据え、開発研究を推進する。

※「予防接種に関する基本的な計画」、「特定感染症予防指針」、「ストップ結核ジャパンアクションプラン」、「新型インフルエンザ等対策政府行動計画」、「国際的に脅威となる感染症対策の強化のための国際連携等に関する基本戦略」、「薬剤耐性(AMR)対策アクションプラン」等

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	2,036,323
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	2,036,323

令和9年度の研究事業のポイント

これまで推進してきた5領域(①総合的な公衆衛生対策に資する研究、②診療体制の確保、臨床研究の推進に資する研究、③ワクチンの実用化及び予防接種の評価に資する研究、④感染症に対する診断法・治療法に関する研究、⑤国際ネットワーク構築に資する研究)を主軸にし、特に重要課題として、④に関する以下の研究を推進する。

- MCMの開発
感染症の発生や流行状況が変化することを踏まえ、平時から安全で有効なMCMを迅速に供給するための研究開発、基盤整備等を推進する。
- 実用化推進(マイルストーン型研究)
診断薬、治療薬等の開発段階ごとに到達目標を設定し、それに基づくGo/No-Go判断により、実用化の促進を図る。

これまでの研究事業の成果概要

(※)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7年度実績】
 - ＜アウトプット指標＞
 - ・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) 4件
 - ・治験に至った件数 2件
 - ・優れたシーズの発展・継続支援件数 4件
 - ・Top1%論文数 8件
 - ＜モニタリング指標＞
 - ・医療等に実装された件数(ガイドライン・ソフトウェア) 14件
 - ・薬事承認・認証 1件
 - ・非臨床PoC取得件数 10件

具体的な研究内容等

これまで推進してきた5領域の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、治療薬、診断薬等の創薬研究開発を一体的に推進する。

基盤研究・情報収集・体制整備

国際ネットワーク構築

に資する研究

- 国内への流入・発生に備えた感染症の実態把握・情報収集
- 国際的なラボラトリーネットワークの強化

総合的な公衆衛生対策

に資する研究

- 病原体流行予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等)

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
- 新規ワクチンの開発及び実用化

診療体制の確保、臨床研究の推進

に資する研究

- 流行が懸念される感染症について臨床研究を開始できる体制構築
- 感染症の病態や臨床像の解明、診療体制の整備、医薬品の臨床研究の推進

開発研究・実用化

感染症に対する診断法・治療法

に関する研究

- 危機管理医薬品等(MCM)の開発(重点感染症に対する診断薬、治療薬等)
- 感染症対策の強化に資する基盤技術、新規の予防法、診断法、治療法等の開発

領域連携・情報提供

大学・研究機関(JIHS、地方衛生研究所等)・医療機関・企業

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】

- ・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)の全ゲノム解析結果等を基に、治療標的の特定や迅速診断法等の開発が進む。
- ・既存ワクチンの改良や、新規ワクチンに関する臨床研究及び実用化が進む。
- ・抗菌薬・抗真菌薬・抗寄生虫薬・抗ウイルス薬等の開発が促進される。
- ・WHOや諸外国との連携を通じ、感染症(特にポリオ、麻しん、風しん、結核)の制御や根絶に向けた取組が進む(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・予防法の開発等に至る実用化研究までを切れ目なく推進する。これにより、新興・再興感染症対策に資する研究成果が着実に創出され、診断薬、治療薬、ワクチン等としての実装が進むことが期待される。さらに、MCMの確保や供給体制の強化を通じ、感染症発生時における迅速かつ的確な対応が可能となる。これらの取組を通じて、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)

「希少性」、「原因不明」、「効果的な治療方法未確立」、「生活面への長期にわたる支障」の四要件を満たす希少難治性疾患を対象として、病因・病態の解明、画期的な診断・治療・予防法の開発を推進することで、希少難治性疾患の克服を目指す。

PJ区分	予算額(千円)
医薬品	2,830,985
医療機器・ヘルスケア	0
再生・細胞医療・遺伝子治療	1,415,239
感染症	0
データ利活用・ライフコース	4,374,128
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	8,620,352

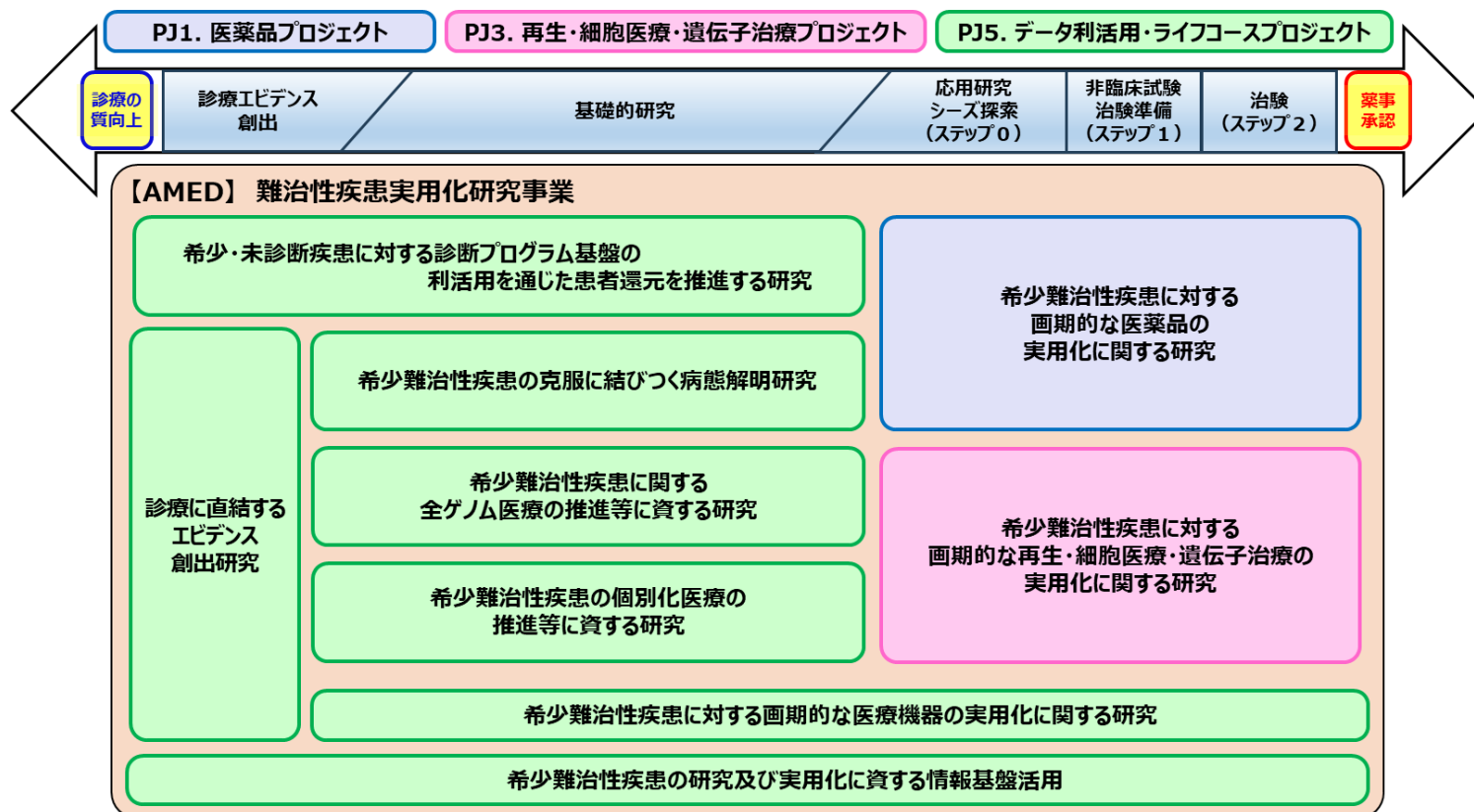
令和9年度概算要求のポイント

- ①医薬品プロジェクト
 - ・希少難治性疾患のアンメットメディカルニーズに応える新たな治療薬や治療法等の研究開発
 - ・優れたシーズの「マッチング」を含めた事業間連携の実施による実用化加速を推進
- ③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト
 - ・希少難治性疾患の克服を目指した画期的な治療・予防法の開発の推進
 - ・優れたシーズの「マッチング」を含めた事業間連携の実施による実用化加速を推進
- ⑤データ利活用・ライフコースプロジェクト
 - ・「がん・難病全ゲノム解析等実行プログラム」に基づく、がん・難病に係る創薬推進
 - ・ゲノム医療、個別化医療の実現に向けた出口を見据えたゲノム研究開発を推進
 - ・医療機器プログラムの研究開発を含めた、希少難治性疾患の診断・治療・予防に資する画期的な医療機器開発の推進
 - ・希少疾患のレジストリや次世代医療基盤法に基づく医療データベースを活用したリアルワールドエビデンスの創出を推進
 - ・新たな作用機序を持つ創薬標的の創出を目的とする、実用化研究につながる基礎研究を推進

これまでの成果概要等(令和7年度～)

・治験の実施	6件	・優れたシーズの発展・継続支援件数	1.5件
・薬事承認・認証	1件	・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定	10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

<AMED全体目標>

(※)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。

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(2025～2029 年度累計 650 件)

2) 治験に至った件数※ 60 件／年(2025～2029 年度累計 300 件)

※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(2025～2029年度累計600件)

※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)(2025～2029 年累計 600 件)

具体的な研究内容等(医薬品 PJ1分野)

希少難治性疾患の発症や進展に関するメカニズムに着目し、創薬標的の探索から治験に至る一貫した研究開発を支援する。抗体医薬・核酸医薬等含む多様なモダリティに対応し、革新的な新規医薬品の実用化を目指す。

具体的な研究内容等(再生・細胞医療・遺伝子治療 PJ3分野)

希少難治性疾患において、再生・細胞医療・遺伝子治療の開発シーズ探索から治験に至る一貫した研究開発を支援する。原因遺伝子が解明されている単一遺伝子疾患に対する根本治療となり得る遺伝子治療薬、iPS細胞や骨髄由来幹細胞等を用いた再生医療等製品等の革新的な新規医薬品の実用化を目指す。

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(医薬品 PJ1分野/再生・細胞医療・遺伝子治療 PJ3分野 共通)

以下のステップで応用研究から治験までの研究開発を支援し、企業導出を通じた薬事承認・実用化を推進する。

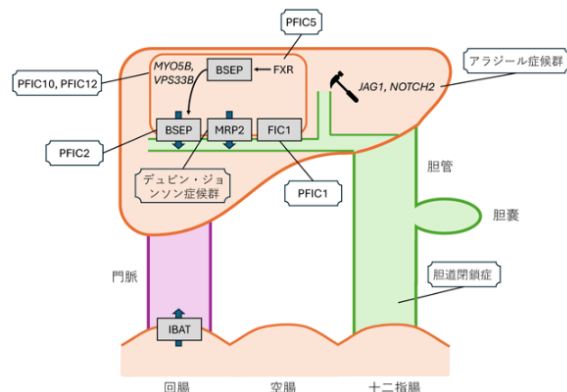
- ・ステップ0:「データ利活用・ライフコースプロジェクト」で支援している病態解明研究やエビデンス創出研究等から得られた知見等をもとに最適化された開発候補物を特定する。
- ・ステップ1:ターゲットプロダクトプロファイルに基づき非臨床試験(薬理試験、薬物動態試験、毒性試験等)を行う。
- ・ステップ2: 治験(臨床試験、医師主導治験等)により臨床POCを取得する。

有望な課題に関しては、マッチング制度の活用による円滑な連続的支援を行うことで、研究開発のステップアップ・実用化加速を推進する。

事業間連携(マッチング等)、TPP作成支援などの導出支援により、最終目標である薬事承認・実用化に向けた戦略的な研究開発を推進する。

個別班会議やPSPO会議等でPSPOが各課題の進捗状況を把握し、適切な予算配分や各課題研究開発計画の見直しに関して議論することで、事業運営・支援体制を随時見直し、事業の目的を達成する。

具体的な研究内容等(医薬品 PJ1分野)



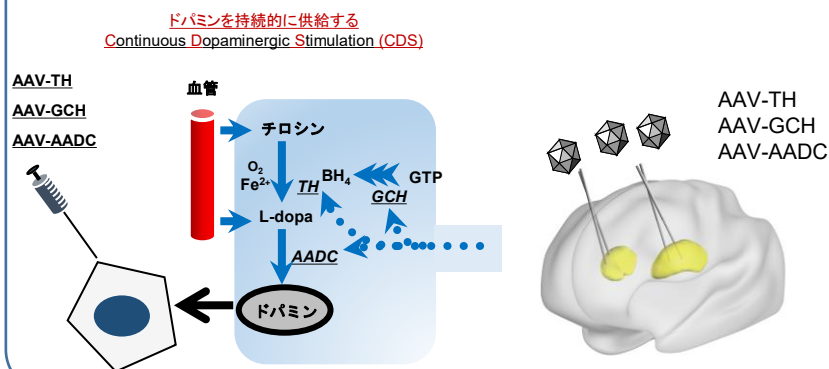
J Jpn Biochem Soc. 2024

指定難病である進行性家族性胆汁うっ滞症2型(PFIC)に対し、胆汁酸を排泄するトランスポーター「BSEP」の発現を高めるフェニル酪酸ナトリウムをドラッグ・リポジショニングで見だし、医師主導治験にてPFICに対する有効性・安全性を確認した。2025年9月26日、導出先企業がPFICに対する製造販売承認事項一部変更承認申請を実施。

出典:株式会社オーファンパシフィック「指定難病「進行性家族性肝内胆汁うっ滞症(PFIC)」に対するフェニル酪酸ナトリウムの希少疾病用医薬品指定および製造販売承認事項一部変更承認申請のお知らせ(2025年9月26日)」

治療法未確立な希少難治性疾患に対する
病態メカニズムに基づく初の内科的治療の実現

具体的な研究内容等(再生・細胞医療・遺伝子治療 PJ3分野)



パーキンソン病に患者に対して、AADC遺伝子の他、L-ドパ製剤服用なしに摂食で得られるチロシンから脳内に持続的にドーパミンが産生できるようにするTHの遺伝子、GCHの遺伝子を搭載したAAVベクターを、定位脳手術によって両側被殻に同時導入することで、L-ドパ服用におけるオンオフ現象やウェアリング現象の軽減/消失が期待できる。令和7年度に治験が開始され、重篤な有害事象なく進捗している。

新規遺伝子治療薬の治験

期待されるアウトプット、アウトカム(医薬品 PJ1分野/再生・細胞医療・遺伝子治療 PJ3分野)

<アウトプット>

- ・ 非臨床POC取得
- ・ 治験の実施
- ・ 優れたシーズの発展、継続、企業導出
- ・ 事業間連携

<アウトカム>

- ・ 薬事承認・認証
- ・ 製品上市

具体的な研究内容等(難治性疾患実用化研究事業 PJ5分野)

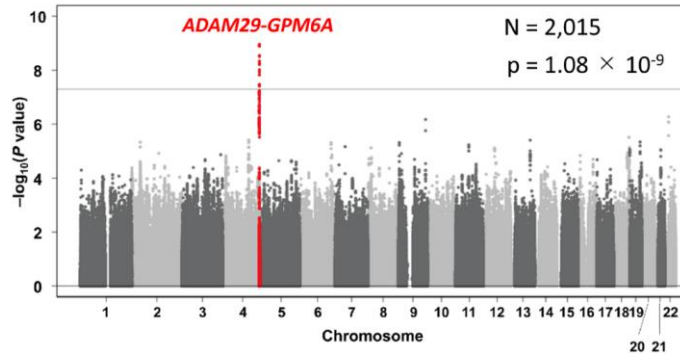
ゲノム医療・個別化医療の推進

エビデンス・病態解明等

1. 希少難治性疾患に関する全ゲノム医療の推進等に資する研究 「全ゲノム解析等実行計画2022」に基づき患者の臨床情報とゲノム情報を統合し、企業などの第三者利活用を可能とする情報基盤を構築することで、希少難治性疾患の原因同定や治療法・治療薬の開発を推進。 以下に重点的に取り組んでいる。 (1)様々な難病の全ゲノム解析データや臨床情報等を統合的に格納した情報基盤を構築し、それらデータを新規治療法開発等に利活用するための技術確立。 (2)全ゲノム解析等で病名を特定することで、適切な治療方針の決定などの患者還元を推進。	2. 希少・未診断疾患に対する診断プログラム基盤の利活用を通じた患者還元を推進する研究 網羅的ゲノム解析等によるオールジャパンの希少・未診断疾患の診断・ゲノム解析体制を活用し、未診断疾患の疾患確定の加速や、検出した新規バリエーションおよび機能解析研究の推進、創薬シーズの創出を推進。 未診断疾患の克服を目指し、以下に重点的に取り組んでいる。 (1)全国の医療機関にゲノム研究参加体制を提供 (2)データシェアリングによる共同研究を推進 (3)中央一括の臨床試料リポジトリを構築 (4)機能解析研究を実施し、新規疾患概念確立を推進 (5)超希少疾患の創薬研究をAMED連携班と推進	3. 希少難治性疾患の個別化医療の推進等に資する研究 大規模ゲノムプロジェクトを補完し、特に単一遺伝子性希少難治性疾患に焦点を当てた個別かつ戦略的な研究を支援し、ゲノム医療、個別化医療の実現に向けた研究開発を推進 (1)焦点領域深化型研究 テーマ集約型のゲノム解析研究を推進し、新たな診断法や治療標的の創出を推進 (2)先端技術探索型研究 研究者が持つ独創的視点や新興技術を用い、新たな解析アプローチの創出を推進 (3)IRUD 利活用創薬 IRUDに蓄積されたデータ基盤を利活用することで、病態解明および創薬を推進 (4)N-of-1+創薬 症例集積が困難な希少疾患における、創薬開発から臨床実装までの新しいモデルを模索
4. 診療に直結するエビデンス創出研究 希少難治性疾患の診療エビデンスを創出する研究を行う。治療選択・予後予測や薬効評価に活用可能な評価指標の開発研究、バイオマーカーに基づく治療目標の設定と有効性を評価する実用化研究を推進する。 さらに、臨床現場のアンメットニーズに対応し、以下特定分野の研究を推進している。 (1)小児、(2)超希少、(3)RWD、(4)栄養	5. 希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究 希少難治性疾患の病態解明研究により、新たな創薬標的を創出し、適切な創薬モダリティでの創薬コンセプトを証明することで、シーズ開発あるいは非臨床試験ヘステップアップする実用化研究に取り組む。 「新たな創薬標的の探索」「その創薬標的の検証」の連続する二つの目標を設定し、治療、診断に寄与する成果を求めることで、基礎研究を着実に実用化へ繋げる取り組みを実施している。 さらに若手枠を設け、若手研究者の支援や育成を推進している。	6. 希少難治性疾患に対する画期的な医療機器の実用化に関する研究 有望なシーズを創出し、非臨床試験を経て臨床試験(医師主導治験)に移行する等、医療機器プログラムの研究開発を含めた、希少難治性疾患の診断・治療・予防に資する画期的な医療機器開発を推進する。 7. 希少難治性疾患の研究及び実用化に資する情報基盤活用分野 統合的な情報基盤の構築を支援することで、個々の研究班の疾患レジストリにおける、データの戦略的な収集や維持等に係る負担を多角的に軽減し、臨床研究の質向上を通して希少難治性疾患の研究を推進する。

具体的な研究内容等(難治性疾患実用化研究事業 PJ5分野)

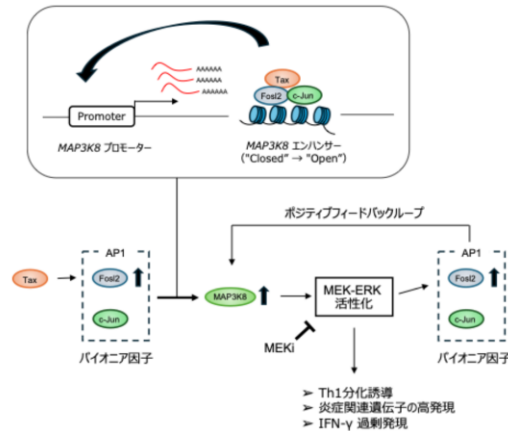
各コホートでのGWAS結果



日本人の多施設共同ALS患者レジストリJaCALS (Japanese Consortium for Amyotrophic Lateral Sclerosis Research)において日本人ALS患者の遺伝的要因をゲノムワイド関連解析(GWAS)により探索し、発症年齢の若年化と有意に関連する遺伝子多型を明らかにした。

Nakamura R. *Commun. Biol* 2025

ゲノム解析データを用いた個別化医療の実現



HTLV-1関連脊髄症(HAM)で炎症の原因分子MAP3K8をシングルセルマルチオーム解析にて特定し、ウイルス因子と宿主因子の協調作用により細胞の「クロマチン構造」が異常に作り替えられ炎症が強まる新しい機序を解明した。

Nakashima M. *Nat. Commun* 2025

病態解明研究による新たな創薬標的の創出

期待されるアウトプット、アウトカム

- ・ 医療等への実装(ガイドライン等の策定または改定、ソフトウェアや医療機器の上市)
- ・ データ基盤構築への寄与(データの蓄積・統合・連携および解析・実装)
- ・ 新たな疾患発症メカニズム解明
- ・ 新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定

事業概要(背景・目的)

グローバルヘルス(国際保健)は、人々の健康に直結する課題であるとともに、国家の平和と繁栄、人類社会と地球との共存にも関わる国際社会の最重要課題である。我が国は近年、国際保健関連の政府方針・戦略を相次いで策定し、令和元年のG20、令和5年のG7では議長国を務めるなど、国際的な役割を果たしてきた。また、厚生労働行政の更なる推進のため、国内戦略と国際戦略の連動を図り、令和6年8月に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通じ、日本だけでなく諸外国の医療水準の向上に貢献する方針を表明している。このため、開発途上国・新興国等のニーズを踏まえ、医療技術等の実用化に資する研究事業を推進することが求められている。

本研究事業では、我が国の知見・技術を諸外国と共有することにより、低・中所得国の保健医療分野におけるSDGsの達成に寄与する。加えてそれらの国々における健康・医療課題の改善に資する我が国発の医療機器・医療技術・医療システム等について、海外での活用に向けた実装・臨床研究を推進することを目的とする。併せて世界保健機関(WHO)等の国際機関等における規範設定や各国の保健医療施策の策定に資する成果を創出する。また、海外での実装段階において活躍する若手人材の育成・確保に寄与することも目指す。

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	0
シーズ開発・基礎研究	86,941
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9年度の研究事業のポイント

○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、既に国内外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。

これまでの研究事業の成果概要

(※)アウトプット、アウトカムについては、医療分野研究開発推進計画(令和2年3月27日決定、令和3年4月6日一部変更)を元に記載。

当事業における研究開発成果はこれまでに、WHO等の国際機関のガイドラインや対象国における保健政策に反映されている。

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。

【シーズ開発・基礎研究】(R7年度の成果)

＜アウトプット＞

・論文数(Top1%論文) 0件

＜アウトカム＞

・薬事承認 0件

・ガイドライン等 0件

・製品上市数 0件

【2期までの成果】

- 研究成果が、2つのWHOの母子保健ガイドラインに反映
- WHOの保健医療人材(HRH) Profileに基づく日本版HRHプロフィールを作成し、WPRO公式出版物として公開。
- 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。
- 研究成果が、Ghana National Action Plan for Health Security 2019－2023に反映。



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。
- 既に国内外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。



- 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※2)。

※1 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、SATREPS (Science and Technology Research Partnership for Sustainable Development) や新興・再興感染症研究基盤創生事業を想定。
 ※2 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)

低中所得国で実施

臨床試験

承認審査・製品化

社会実装



承認申請

助言・承認

臨床ガイドラインへの掲載

対象国の
薬事規制当局

実装研究

例:

- 途上国向けWHO事前認証・推奨の取得
- WHO ガイドラインへの掲載

期待されるアウトプット、アウトカム

【シーズ開発・基礎研究】

<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
1件
- 論文数(Top1%論文)
0件

<期待されるアウトカム>

- 薬事承認
0件
- ガイドライン等
1件
- 製品上市数
0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8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、アジア地域等にまん延している疾病等に未知の分野が多く、研究の余地が残されていることに鑑み発足した。本計画の下には、10の疾患・研究専門部会(コレラ・細菌性腸管感染症、抗酸菌症、ウイルス性疾患、寄生虫疾患、栄養・代謝、がん、肝炎、エイズ、急性呼吸器感染症、免疫)が設けられており、日米の関係機関・研究者が協力し、「医療に関する研究開発」を発展させる事を目的として日米両国の協同研究および連携活動の推進・強化を行っている。

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	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

令和9年度の研究事業のポイント

- 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9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、インドネシアで開催予定。
- 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、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として令和7年度より日本側で実施している、中堅以上の研究者からのメンタリングの機会を提供する「若手研究者のためのメンタリング強化プログラム」を拡大し、米国側パネルの協力のもと、米国・アジアの若手研究者・メンターを招聘し、より国際性を高めた実践的なプログラムを実施するとともに、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。更にメンタリングプログラムを端緒として成立した萌芽的国際共同研究チームの共同研究立案の支援を実施する。

これまでの研究事業の成果概要

(※)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7年度) 0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7年度) 0件



第25回EID会議でのプレナリー講演



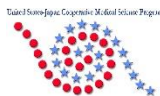
若手研究者育成のためのメンタリングイベント 第1回Boot Camp

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実用化等
- ・ 栄養・代謝: アジアの生活習慣病、栄養状態の評価法の実用化等
- ・ 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, 2027

- ・ 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10-12課題程度
- ・ 公募対象分野: 感染性疾患全般、感染症関連がん、栄養/代謝、免疫(米側と調整中)

3. 第27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27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基調講演や若手研究者によるFlash Talk、パネル会議での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とその後の支援

◆ 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、その後の発展的共同研究計画立案の支援を実施

◆ 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	0

令和9年度の研究事業のポイント

- ・ 本邦の医療実態を反映した循環器疾患・糖尿病等生活習慣病の予防・治療ガイドラインの質向上と、信頼性の高い科学的根拠の創出
- ・ 個々に最適化された重症化予防策、および発症後のQOL向上・予後改善に資する研究開発の推進
- ・ AI,ICT,新規ウェアラブルデバイスを活用してリアルワールドデータを収集し、生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりと質の高いエビデンス創出
- ・ 性差(ジェンダー)や胎児期から高齢期に至るライフコース全体を考慮し、栄養・運動・睡眠等の基本要素に基づいた効果的介入・予防戦略の確立
- ・ 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病における発症・重症化予防の病態解明、早期診断やリスク予測に寄与する革新的なバイオマーカーの探索
- ・ 病態解明に基づいた、革新的な予防・診断・治療法、および身体機能の回復を促すリハビリテーション手法の研究開発

これまでの研究事業の成果概要

(※)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。

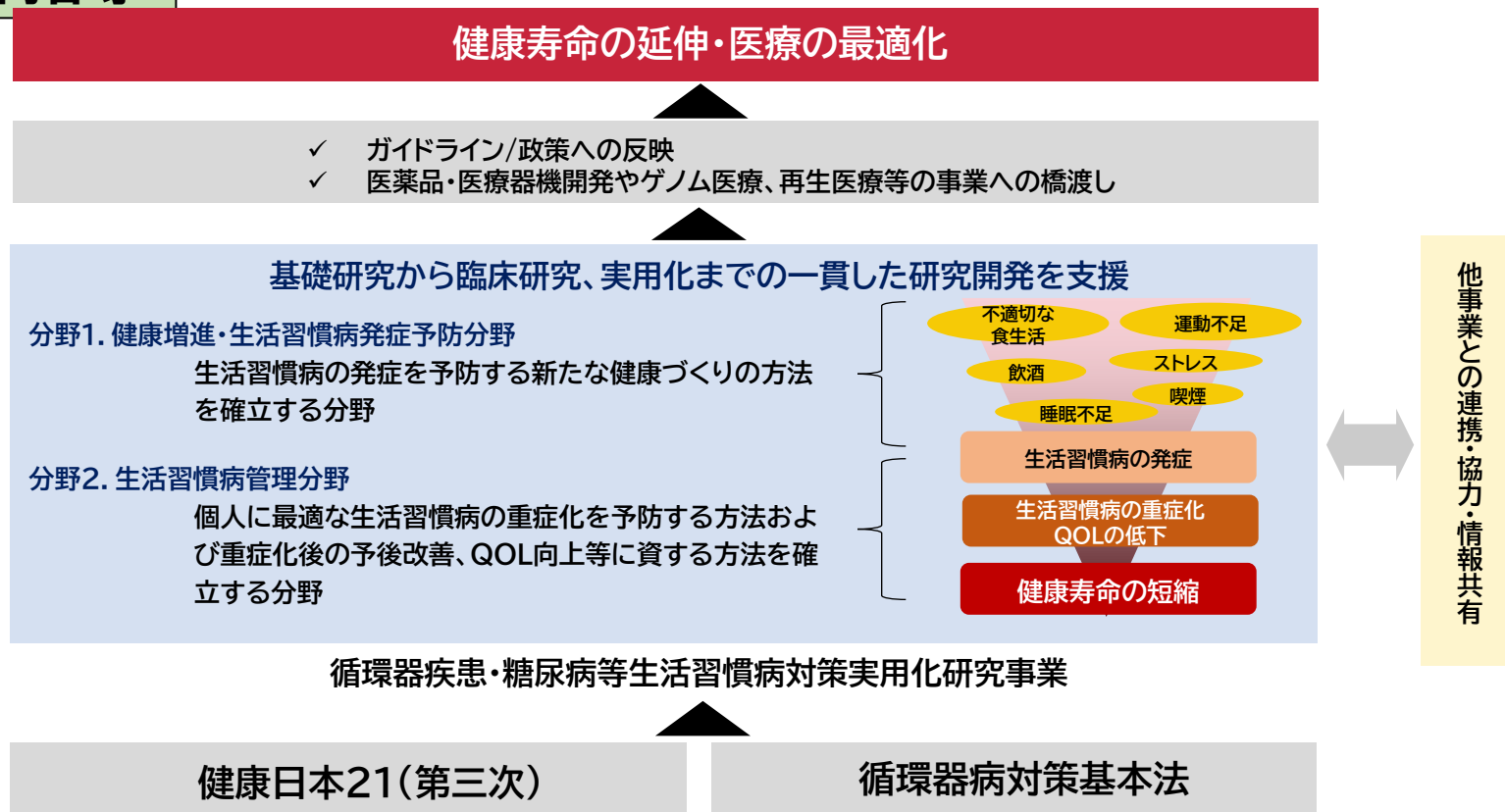
【PJ5】

- ・ 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多血管疾患のリスク評価法の確立【p.R4810K判定キットの社会実装を前倒しで加速:PMDAによる助言臨床性能試験における患者検体の決定(令和7年5月・8月)】。
- ・ 外来での心不全患者に対する未来型運動支援・教育啓発プログラム(SaMD)の探索的医師主導治験(多施設共同ランダム化比較試験)を実施し、その有効性と安全性を確認した(令和7年7月)。
- ・ インスリン抵抗性を予測する機械学習モデル「AI-IR」を開発、AI-IR で予測したインスリン抵抗性が、糖尿病や心血管病のみならずがんの発症のリスク因子であることを数十万人規模の大規模集団で解明した。健康診断データから糖尿病や心血管病、がん等の発症リスクの予測が可能(令和8年2月)。

<アウトプット>

- ・ IF5以上の論文掲載件数(令和7年度) 5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

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9年度の研究事業のポイント

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

1. 女性特有の疾病に関する研究について

女性の多様なライフスタイルを踏まえた、女性ホルモン等の影響による健康課題の予防や健康増進に資する研究開発
就労・育児等、女性のライフスタイルに関する多様な因子も考慮し、女性ホルモン等の影響による健康課題の解決に資する研究を推進する。
女性特有の臓器・器官に係る疾病の予防、診断及び治療に関する研究開発
子宮内膜症等の女性特有の臓器・器官に係る疾病の予防及び治療に資するエビデンスの創出と新たな介入方法を開発する。
若年女性に特有の疾病の予防や健康増進のための研究基盤の構築
若年者を対象とした研究を実施するうえでの課題を踏まえ、若年女性に特有の疾病の予防や健康増進のための介入が、生涯を通じたQOL向上に与える影響を評価するための研究基盤の構築を目的とする。

2. 男女共通課題のうち特に女性の健康に資する研究について

性差を考慮した健康課題の予防や健康増進に関する研究
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。

これまでの研究事業の成果概要

(※)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＞

- 研究成果の科学誌(IF5以上)への論文掲載件数
(令和2～7年度) 31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2～7年度) 134件※
- 新たな疾患発症メカニズム解明の件数 (令和2～7年度) 6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し、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	・時空間的卵胞機能解析を通じた革新的プレコンセプションケア開発 ・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)			
	1-1. 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)	継続1課題 (R8～10:1課題)		新規2課題程度
	1-2. 女性特有の臓器等に関係する疾病 (子宮内膜症、子宮腺筋症、卵巣疾患等)	・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リプロダクションライフプラン個別化設計への応用 継続2課題 (R7～9:2課題)		新規2課題程度
2. 男女共通課題のうち特に女性の健康に資する研究	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
	2-1. 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)	・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 ・性差に基づく腸管到達水分量の最適化による女性の便秘予防介入法の開発 継続3課題 (R7～9:2課題、R8～10:1課題)		新規3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】

- ・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】

- ・女性がより良い生涯を選択することを可能にする健康を享受できるような社会が創成される。

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新たな診断法および治療法の開発を通じた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9年度の研究事業のポイント

（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：AKI（acute kidney injury）の発症やAKIからCKDへの移行分子メカニズムに基づいた、新規抗体医薬の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：細胞老化や代謝に着目し、CKD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＞

- ・抑制性免疫受容体を標的とした急性腎障害に対する抗体医薬の開発
- ・細胞老化機構に着目した慢性腎臓病の病態解明と治療応用
- ・細胞老化と代謝を標的とした慢性腎臓病に対する包括的病態解明

（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：CKDのみならず、CKDの原因として重要な、AKI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。

【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。

これまでの研究事業の成果概要

（※）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】研究者らが新たに見出したTRPC3/6のdual阻害剤であるL862について、腎疾患モデル動物を用い、腎保護効果とその機序を確立し実用化を目指している。

【疾患基礎研究】不良小型細胞外小胞による腎微小環境内の細胞間相互作用を解明し、治療可能な共通病態経路の解明と新しいクラスのCKD治療薬の創薬を目指している。

【データ利活用・ライフコース（第3期計画での名称）】

＜アウトプット＞

- ・優れたシーズの発展・継続支援件数（令和7年度末）1件

＜アウトカム＞

- ・該当無し

記載例

【医薬品（第3期計画での名称）】

＜アウトプット＞

- ・非臨床POCの取得件数（令和7年度末）2件
- ・臨床POCの取得件数（令和7年度末）1件

＜アウトカム＞

- ・シーズの企業への導出件数（令和7年度末）2件

具体的な研究内容等

エビデンス創出

診療の質向上に資する
エビデンス創出

患者調査

病態解明治療研究

実用化に向けた基礎的研究

医薬品・医療機器等開発

Step 0

Step 1

Step 2

疾患基礎研究

医薬品研究

継続2課題

新規2課題

継続2課題

新規1課題

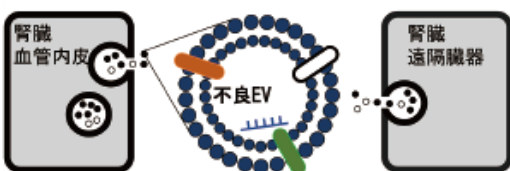
不良細胞外小胞を標的とした慢性腎臓病と腎性老化現象の病態解明
(萬代班 東京科学大学) R6~R8

健康EV・疾患EVによる細胞間／臓器間相互作用
不良EVが慢性腎臓病の進展、病的老化を促進する可能性

健康（免疫応答など）

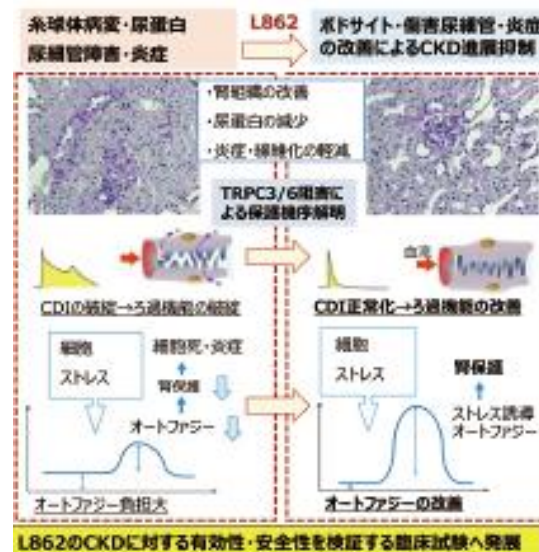


疾患（CKD） 疾患シグナルを他細胞、遠隔臓器へ伝播



疾患モデル動物および患者を対象に、不良小型細胞外小胞（small extracellular vesicles、EV）が腎微小環境内で果たす細胞間相互作用を解明し、治療可能な共通病態経路を特定するとともに、これに基づき、新しいクラスのCKD治療薬の開発を目指す。

TRPC3/6 を標的とした難治性かつ進行性腎疾患に対する
新規治療薬開発（山本班 大阪大学）R5~R7



CKDにおいて、傷害ポドサイトや近位尿細管細胞あるいは炎症細胞でのTRPC3/6 過剰活性が持つ病的意義を検討し、L862 の腎保護効果とその機序を確立し、新たなCKD治療薬開発を目指す。

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	686,953
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	686,953

令和9年度の研究事業のポイント

- (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
- 【疾患基礎研究】 (アレルギー疾患/免疫疾患領域) 病態解明研究 (基礎的研究)
- ・免疫アレルギー疾患の根源的な本態解明、予防的・先生的医療の実現を加速するため、オミクス解析等の最新技術を用い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】 アレルゲン免疫療法の開発または改善に資する研究 (病態解明研究/診療の質の向上に資する研究)
- (若手研究者推進領域) 免疫アレルギー疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究・診療の質向上に資する研究
 - ・10か年戦略に基づき、アレルゲン免疫療法、及び若手研究者による画期的な免疫アレルギー疾患研究を推進

これまでの研究事業の成果概要

(※)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2~7年度) 2件
- <アウトカム> ・シーズの企業への導出件数(令和2~7年度) 2件
- 【ゲノム・データ基盤研究】
- ・大規模シングルセルeQTLデータベースの構築、HLA遺伝子型がT細胞受容体配列に与える影響の解明(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2~7年度) 19件 ・新たな疾患発症メカニズム解明件数(令和2~7年度) 4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2~7年度) 0件
- 【疾患基礎研究】
- ・アレルギー性炎症における脂肪分解経路を用いた増悪メカニズムの解明(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2~7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2~7年度) 2件

具体的な研究内容等

ライフコース研究全体

継続 **21** 課題

新規 **19** 課題程度



免疫アレルギー疾患研究10か年戦略(H31年発出)

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

厚生労働科学研究と連携しながら、10か年戦略の目標を推進する形で医療開発研究を実施する。免疫アレルギー疾患の病因・病態の解明、予防、診断及び治療に関する質の高い基礎的研究に立脚した「成果やシーズ」を着実に実用化プロセスに乗せて、新規創薬、医療技術、医療機器等の研究開発等を促進する。

戦略1：本態解明

先制的医療等を旨とする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1課題

新規2課題

疾患基礎研究



継続19課題

新規16課題

医薬品研究

継続1課題

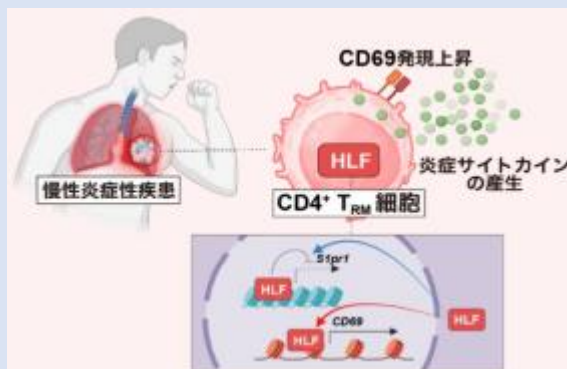
新規1課題

アレルギー疾患の解明

Science
2025

千葉大学
平原潔先生

慢性炎症の原因となるタンパク質を新たに特定
～ぜんそくなどの慢性炎症性疾患の新たな治療法開発に期待～

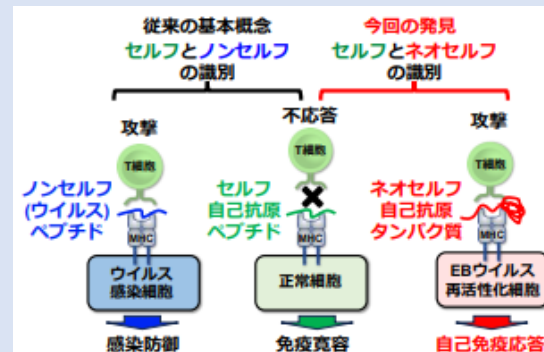


自己免疫疾患の解明

Cell
2024

大阪大学
荒瀬尚先生

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～8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

事業概要(背景・目的)

臓器・組織移植分野では、脳死下臓器提供数は増加傾向にあるが、移植希望者数に対する臓器提供数は依然として不足している。また、ドナー臓器の状態やレシピエントの状態等により、移植が成立しない例も一定数存在する。また、移植後の長期予後やQOLの改善も課題となっている。造血幹細胞移植分野では、移植関連合併症の克服や長期予後改善が引き続き求められている。

本研究事業では、移植患者の治療成績向上に資するよう、移植に関する検査・治療・管理の最適化や新規技術開発につながる研究を推進する。具体的には、移植免疫学的特性の解析、国内外のデータの検証に基づく研究開発・技術開発を進め、移植医療の質の向上と、安全かつ効果的な医療の実現を目指す。

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	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9年度の研究事業のポイント

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】○移植に用いる臓器の新規管理戦略の開発に資する研究

- 臓器移植前後の免疫応答やHLAの解明を通じた患者予後の延長に資する研究
- ドナー不足解消や移植希望者待機時間短縮に資する多施設臨床試験
- 臓器移植医療とがん診療の免疫学的エビデンスの相補的活用 に資する研究

【造血幹細胞移植分野】○造血幹細胞移植後の移植関連合併症や長期予後改善に資する研究

これまでの研究事業の成果概要

(※)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。

【データ利活用・ライフコース(第3期計画での名称)】

〈アウトプット・アウトカム〉

権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約(シーズの企業導出数):2件(令和7年度)

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

新規開発

【臓器】移植に用いる臓器の新規管理戦略の開発に資する研究

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】臓器移植医療とがん診療の免疫学的エビ
デンスの相補的活用にあ資する研究

【臓器】臓器移植前後の免疫応答やHLAの解明を
通じた患者予後の延長にあ資する研究

【造血】造血幹細胞移植後の移植関連合併症や長
期予後改善にあ資する研究

ゲノムデータ

最適な移植片の選択

実施体制の効率化

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

【臓器】ドナー不足解消や移植希望者待機時間短縮にあ資する多施設臨床試験

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】

- 移植に用いる臓器の新規管理戦略の開発に資する研究

臨床応用を視野に入れた革新的な機械灌流法や臓器機能温存・改善につながる研究

- 臓器移植前後の免疫応答やHLAの解明を通じた患者予後の延長に資する研究

免疫応答に係る基礎研究、レジストリデータや抗HLA抗体を用いた基礎研究、患者負担軽減につながる検査・診断法の開発、バーチャルクロスマッチを行う方法の開発、またバイオマーカーや予後予測モデルといった非侵襲的管理法の開発、免疫抑制薬の最適化、移植後免疫にかかる病態解明を実施

- ドナー不足解消や移植希望者待機時間短縮に資する多施設臨床試験

臓器移植に関しての新規治療法や診断法、また開発した機器等を臨床応用するために、多施設共同試験を行う

- 臓器移植医療とがん診療の免疫学的エビデンスの相補的活用に資する研究

がん患者の移植医療への適応拡大に加え、がん免疫に関する基礎的エビデンスを応用し、非侵襲的管理法の開発、免疫抑制薬の最適化、移植免疫にかかる病態解明を実施

【造血幹細胞移植分野】

- 造血幹細胞移植後の移植関連合併症や長期予後改善に資する研究

シングルセル解析やエピゲノム解析等革新的技術を積極的に用いた造血幹細胞移植後の新規GVHD診断やGVHD-free, relapse-free survival (GRFS)の改善に資する研究、新規治療技術によるGVHD抑制や多角的な免疫拒絶のメカニズム解析、臨床情報の解析に基づくGVHD予測やGVHD抑制、GVHD抑制に資する新規薬剤の開発や免疫抑制薬の最適化研究を行う



造血幹細胞移植の成績向上
移植後合併症等にかかる医療費の削減

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的合併症、移植後再発の予防法、治療法等を開発するための成果を得る。

○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9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。

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	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

令和9年度の研究事業のポイント

- ・末梢の神経-免疫-止血系ネットワークが、線維筋痛症の病態にどのように関与するかを明らかにし、既存薬とは異なる治療シーズを同定し、実用化につなげる。
- ・痛覚変調性疼痛を呈する特定の疾患において、病態を整理するための基盤技術を構築し、トランスレーショナル研究を行うことで、機序解明や治療法の実用化につなげる。
- ・抗がん剤投与等による神経障害性疼痛の動物モデル等を用いて、末梢神経障害の器質的変化を評価できる低侵襲な検査システムを構築し、神経障害性疼痛の予防法、治療薬の実用化を促進する。

これまでの研究事業の成果概要

(※)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。

- ・マウスを用いて神経障害性疼痛の発症・慢性化メカニズムを解明し、神経障害性疼痛に有効な物質(EPA)を明らかにした。EPAを基軸とした栄養学的な予防・治療法の基盤を確立し、有効な予防法(健康食品)と治療薬(医薬品)を患者に届けることを目指す。
- ・線維筋痛症患者の層別化を行い、血中に分泌される遊離タンパク質量を測定・バイタル解析と照合することで、タイプ別線維筋痛症バイオマーカーを選定し、モデルマウス動物を作成した。
- ・HMGB1が媒介する末梢の神経-免疫-止血系ネットワークについて、抗HMGB1中和抗体とTM α の予防・治療効果がモデルマウスで検証できた。

【PJ5:データ利活用・ライフコース】

<アウトプット>

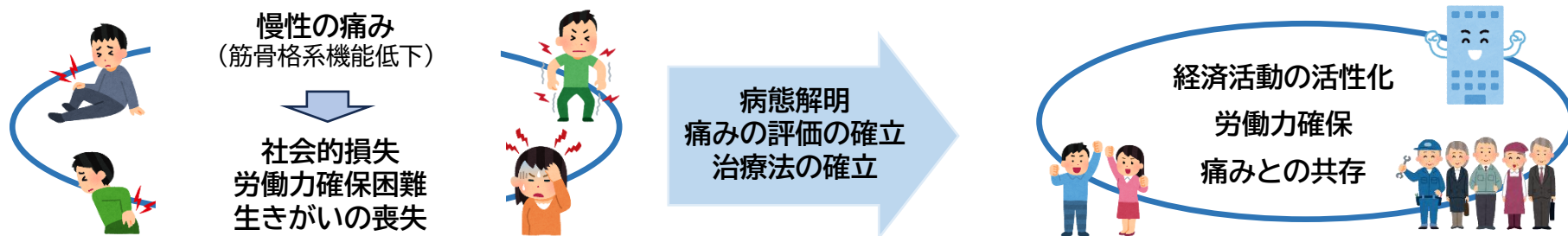
- ・論文数(Top10%論文)(令和7年度末) 0件
- ・全論文数(※謝辞あり)(令和7年度末) 1件

<アウトカム>

- ・医療等実装された件数 (令和7年度末) 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に対応していく。
- 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、先端の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、について実施する。
- R8年度新規課題として、痛覚変調性疼痛の病態解明、治療法につながる研究開発、抗がん剤投与等による神経障害性疼痛の治療・予防システム開発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(※謝辞あり) 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】

医療等を実装された件数 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2024年末時点で約4,080万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994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	507,490千円
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	507,490千円

令和9年度の研究事業のポイント

- 令和9年度は、以下の研究を推進する。
- ・HIVワクチンの複合的な活用によるHIV感染コントロールのための開発研究(予防、治療のためのHIVワクチンとそのほかの薬剤や治療法との戦略的組み合わせによる、新たなHIVワクチン開発のための研究)
 - ・HIV根治治療のための新たな治療薬開発に関する研究(免疫賦活、ゲノム医療、新規抑制因子などを用いた新たな治療法研究開発)
 - ・HIV関連疾患の病態解明と治療法開発(血友病の遺伝子治療法開発等を目指した研究)
 - ・HIV感染症治療効果判定のための新たな指標創出のための研究(薬剤治療によりCD4数が正常化し、血中ウイルス量が感度以下になった後に用いる治療効果判定のための新たな指標の開発)
 - ・国内流行HIV及びその薬剤耐性株の長期的動向把握に関する研究
 - ・mRNAワクチン技術を用いたHIV感染症の機能的治癒を目指す研究開発

これまでの研究事業の成果概要

(※)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。

- ・時間経過で蛍光が変化するタイマー蛍光タンパクを組み込んだHIV-Tockyウイルスを作製し、HIVが細胞に感染・侵入した後の動態を観察できる新たな感染モデルを確立。(革新的核酸解析技術によるHIV潜伏感染機序の解明と克服のための研究(令和4～6年度))
- ・長期作用型HIV-1 CA 阻害剤であるLenacapavir (LEN) の第二の作用機序の解明及び安定型LEN耐性型HIV-1の発見、ナノポア技術を活用したHIV薬剤耐性遺伝子検査法の構築(長期作用型HIV-1 CA 阻害剤の安定的活用に資する学術的基盤構築(令和5～7年度))

【感染症】

<アウトプット>

- ・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)(令和7年度)0件
- ・治験に至った件数(令和6年度)1件(令和7年度)0件
- ・優れたシーズの発展・継続支援件数(令和7年度)6件
- ・論文数(Top1%論文)(令和7年度)0件

<アウトカム>

- ・薬事承認(令和7年度)0件
- ・ガイドライン等(令和7年度)1件
- ・製品上市数(令和7年度)0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**

○ **持続感染動物モデル開発**

令和9年度の研究概要

- ・ HIVワクチンの複合的な活用によるHIV感染コントロールのための開発研究
- ・ HIV根治治療や機能的治癒のための新たな治療法開発に関する研究
- ・ HIV潜伏感染機序の解明、感染機構の解明を推進
- ・ 国内流行HIV及びその薬剤耐性株の長期的動向把握に関する研究
- ・ 血友病等のHIV関連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。

○HIV治療効果判定のための新たな指標の開発

現在の強力な薬剤治療により、CD4数が正常化し、血中ウイルス量が検出限界値未満に抑制された後の治療効果判定のための新たな指標を創出する。

(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型肝炎は国内最大級の感染症である。全国で約150万人の持続感染者がいると推定されており、肝がんリスクが残るC型肝炎ウイルス治療後の患者を含めるとその数はさらに上回る。

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。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	0

令和9年度研究事業のポイント

- 肝炎等克服緊急対策研究事業** 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。
- 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。
 - 従来の低分子医薬に加え、免疫学的手法、細胞医療、核酸医薬等の新規モダリティをも用いて、肝硬変や肝発がん・再発を含む肝炎及び肝炎関連疾患の新規治療法・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C型肝炎ウイルス排除後の病態解析と予後の解明や、薬剤耐性獲得例やC型肝炎治療後の病態変化、小児ウイルス性肝炎における病態評価法及び治療法の確立に向けた研究を推進する。
 - 代謝関連脂肪肝疾患の機序解明及び治療法や代謝関連肝がんの病態解明に関する研究やA型・E型肝炎ウイルス感染症の制御を目指した研究、肝疾患領域における新たな検査法や治療法等の新規知見の創出等に関する研究等を行う。
 - B型肝炎の治療効果向上やHBs抗原消失率向上に資する研究、B型肝炎ウイルス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、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

未だウイルスを完全に排除する根治治療法がないB型肝炎の画期的な新規治療薬の開発・実用化を目指して、抗B型肝炎ウイルス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B型肝炎ウイルスの持続感染動物モデルの確立、新規技術を活用しB型肝炎ウイルスの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、B型肝炎ウイルス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

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】
＜アウトプット＞

- 非臨床POCの取得件数（令和7年度末） 18件
- 臨床POCの取得件数（令和7年度末） 0件

＜アウトカム＞

- シーズの企業への導出件数（令和7年度末） 0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。

(HBV：B型肝炎ウイルス HCV：C型肝炎ウイルス)

R7年度までの研究成果の例

○ 日本の500例超のデータを用いたゲノムワイド関連解析（GWAS）で、15番染色体の遺伝子多型rs4778350がHCV排除後のSVR後の肝発がんに関連し、この遺伝子多型AA型の患者ではSVR後発癌がオッズ比5〜6倍相当のリスク上昇を確認した。高リスク（AA型）の患者には丁寧で頻度の高い観察をし、低リスクの患者には負担軽減を目指すという、最適な検査間隔の設計の可能性を示した。

○ 肝臓のうっ血が肝線維化を引き起こすメカニズムの詳細は不明だったが、マウスモデルやヒト臨床検体に対するシングルセル解析や空間トランスクリプトーム解析を行い、慢性的な肝臓のうっ血が肝線維化や肝臓がん発症を引き起こすメカニズムを解明した。肝臓のうっ血が生じる疾患等に対する肝線維化や肝臓がん発生を抑制する治療法の開発への応用に期待される。

○ 肝細胞がんにおいて、複合免疫療法（アテゾリズマブ・ペバシズマブ）に対する治療抵抗性をもたらす分子メカニズムを解明し、COX-2阻害剤の併用が、免疫抑制を解除し免疫療法の効果を高める可能性が示唆された。COX-2の代謝産物プロスタグランジンE2が、免疫療法の効果予測マーカーとなる可能性が示され、新たな治療戦略開発につながることに期待される。

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型肝炎の慢性化機序の解明 ・ 肝疾患における肝臓-他臓器連関の作用機序解明 等
---	---	---	---	--

R9年度からの主な新規研究内容

肝硬変の病態解明及び線維化改善、肝再生等に関する研究
肝硬変の新規技術を用いた肝再生及び肝機能の改善に関する研究
肝疾患における肝臓-他臓器連関の作用機序解明に関する研究

〔若手登用枠〕

〔女性研究者推進枠〕

肝発がんの予防等に関する研究
肝がんを含む代謝関連肝疾患の病態解明に関する研究
肝炎からの肝発がん、再発の発症機序の解明とその予防および治療法の開発に関する研究

ウイルス性肝炎の新規治療法の開発や長期予後改善、既存薬での治療法開発等に関する研究

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

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

72

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： 現在使用されている核酸アナログ製剤ではHBVの完全排除は困難である。継続投与が必要であるが、薬剤耐性の出現や副作用のリスクがある。

（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。）

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。

事業開始時の状況： ○ 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～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

研究成果の例

- HBVの持続感染を支える完全閉環二本鎖DNA（cccDNA）からの転写を制御するウイルスタンパク質HBxとヒト因子DDB1の複合体構造を、クライオ電子顕微鏡により初めて解明した。
- HBVが標的肝細胞を認識し、HBV受容体のNTCPと強く結合するための、多段階からなるユニークな仕組みを解明した。

期待されるアウトプット、アウトカム

（令和9年度まで）

<アウトプット>

- ・ 非臨床POCの取得件数
- ・ 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

1件
35件

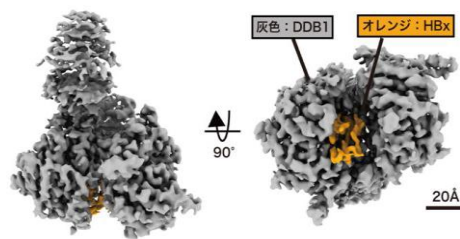
<アウトカム>

- ・ 薬事承認件数（新薬、適応拡大）
- ・ シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数

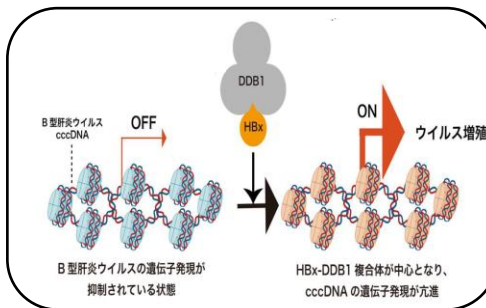
1件
1件

HBVの持続感染を支えるウイルス因子HBx複合体の立体構造を解明

HBx-DDB1 複合体のクライオ電子顕微鏡構造を解明



B型肝炎ウイルス因子HBxはV字構造を形成しDDB1のポケット部分に結合する。



HBx-DDB1複合体によるB型肝炎ウイルス遺伝子発現亢進のモデル

【概要】

B型肝炎ウイルスの持続感染を支える完全閉環二本鎖DNA(cccDNA)からの転写を制御するウイルスタンパク質HBxとヒト因子DDB1の複合体構造を、クライオ電子顕微鏡により初めて解明した。高速原子間力顕微鏡(HS-AFM)により、HBxが柔軟かつ球状の構造動態を示すことを可視化し、その動的性質が多様な宿主因子との結合を可能にし、ウイルスの持続感染に寄与していることが示唆された。

【成果の活用】

HBxが宿主タンパク質と協調的に相互作用する様子を可視化したことで、B型肝炎ウイルスが宿主の抑制的エピゲノム機構をいかに回避し、ウイルス遺伝子の発現を促進しているのかという根本的な問いへの理解が大きく進展し、今後、B型慢性肝炎に対する新たな治療戦略の基盤となることが期待される。

【論文名】

Structural basis of the hepatitis B virus X protein in complex with DDB1, Proceedings of the National Academy of Sciences of USA (PNAS), 2025

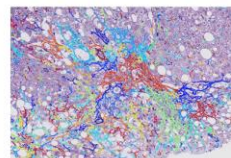
【AMED課題名】

B型肝炎ウイルスXタンパク質(HBx)の構造機能研究に基づく抗ウイルス治療基盤開発

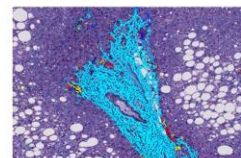
量だけじゃない — 線維化の形状が脂肪肝の予後を左右する

AIがとらえた肝臓がんのリスクの高い線維の“かたち”

リスクの高い線維

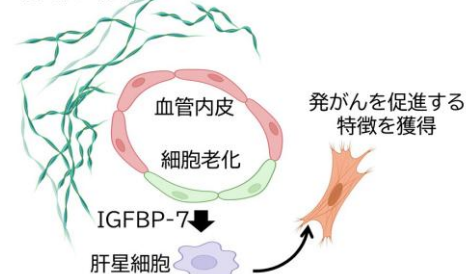


リスクの低い線維



肝臓の線維の“かたち”や“質”が病態(発がん)を反映する重要な要素であることが示された。

網目状の線維



門脈の老化した血管内皮細胞が分泌するIGFBP-7が肝星細胞をがん促進型に変化させる。

【概要】

人工知能(AI)アルゴリズムを用いてMASLD組織の肝線維形態を分析し、従来の病理診断では捉えきれなかった「線維の形」が、疾患進展や肝臓がんの発症と関連することを明らかにした。特に、網目状の線維は肝臓がんの高リスク状態を反映していることを発見し、さらに老化した血管内皮細胞が肝星細胞に働きかけることでその微小環境を形成していることを見出した。網目状線維の形成に関与する分子の一つであるIGFBP-7は、がんを促進する肝星細胞の性質を変える重要な分子であることから、新たな治療標的としての可能性も示された。

【成果の活用】

IGFBP-7に対する発がん予防ワクチンの効果検証が動物モデルで進められており、今後の予防的介入法の開発につながることが期待される。

【論文名】

AI-based phenotyping of hepatic fiber morphology to inform molecular alterations in metabolic dysfunction-associated steatotic liver disease, Hepatology, 2025

【AMED課題名】

“次世代型プレジジョンメディシン”を目指したNAFLDの病態解明と臨床応用

事業概要(背景・目的)

我が国では、2040 年頃まで、高齢者人口の増加、生産年齢人口の減少が進展し、独居高齢者の増加などの課題が、社会に変化が生じていく。老いや高齢者特有の機能低下、疾患等を抱えながら、その人らしく生活を送るため、適切な医療・介護が必要である。また、医療・介護人材の確保がさらに難しくなることが予想され、限られた人材・資源によって効率的かつ質が担保された医療・介護の提供が求められる。さらに、高齢者が自立して生活を送るためには介護予防の推進が重要であり、フレイルやサルコペニア(筋肉減少症)など、要介護の原因となる状態や疾患等に対して、国民が自ら予防に取り組める簡易な技術や、その他の予防・重度化防止の手法等の開発が求められている。

本事業は、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、要介護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。

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	0

令和9年度の研究事業のポイント

- 要介護高齢者のケアを最適化する因子を解明する研究開発では科学的介護の推進において診療情報・介護記録・動画像より介入指標の同定とケア最適化における意義付けを行い、要介護状態の改善効果があるプログラムや医療機器等の開発推進に繋げる。(継続)
- 新規バイオマーカーを統合した複合マーカーによるサルコペニア評価モデルの開発研究では妥当性の検証を行い実装化へ展開する。(継続)
- 高齢者の意欲低下の評価・診断・介入のためのフローチャートの開発及び指針作成を行う。(継続)
- 適切な介入へに繋げるAI 活用フレイル検出・評価アルゴリズムの開発を行う。(継続)
- 急性期病院等のフレイル・サルコペニア予防に関する多職種連携による介入プログラム構築にむけてフレイルリスクの抽出を行う。(新規)
- 高齢者の経口摂取を阻害する要因に対するアセスメントツールの開発を行う。(新規)
- 新診断基準に基づき、適切な介入方法の提案および開発に繋がるサルコペニアの層別化を行う。(新規)

これまでの研究事業の成果概要

エコー画像およびAIを用いて構築した経皮的骨格筋評価システムを開発し、科学的介護情報システム(LIFE)との連携が可能なパーソナルヘルスレコード(PHR)としての仕様も構築した。健診会場や医療資源の限られる地域などでも実装可能なシステムとしての展開が期待される。

※令和6年度終了課題「高齢者への最適なりハビリテーションと栄養管理の提供を目的とした骨格筋量評価アルゴリズムの開発研究」

- 【PJ5(第3期計画での名称)】
- <アウトプット>
 - ・論文数(査読あり謝辞あり)(令和7年度末)4件
 - <アウトカム>
 - ・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、ガイドライン等の作成(令和7年度末)1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)
課題 3. 適切な介入および新たな介入法の開発に資するサルコペニアの層別化に関する研究 (R9~R10)

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、臨床応用を見据えたサルコペニアに関するバイオマーカーの開発および介入に資する層別化の研究を推進する。

B. 介護予防・重度化防止のための手法開発

- 課題 4. 急性期病院等のフレイル・サルコペニア予防に関する多職種連携による介入プログラム構築 (R9~R11)
課題 5. 高齢者の食物の経口摂取 (食事) を障害する要因に対するアセスメントツールの開発 (R9~R11)

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。また高齢者の摂食機能障害について阻害因子を包括的に評価し、患者個人の特性に沿った適切な介入につなげるアセスメントツールの開発を推進する。

C. 高齢者特有の疾患・病態・徴候に対する適切な医療・介護手法の開発

- 課題 6. 高齢者の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. 介護予防や重度化防止に資するAI活用フレイル検出・評価アルゴリズムの開発 (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、介護予防や重度化防止に資するAIを活用したフレイル検出・評価アルゴリズムの開発を推進する。

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

**老年医学領域における
研究推進のための基盤整備**

エビデンスに基づいた
産官学連携を促進
重症化防止/QOLの向上

**高齢者医療・介護のための予
防・医療・介護手法の整備**

体系的なケア手法の確立

**健康寿命延伸
健康長寿社会への貢献
新産業創出への貢献**

期待されるアウトプット、アウトカム

【アウトプット】(令和8年度~令和12年度)

研究成果の科学誌 (Top10%論文) への論文掲載2件以上

研究成果の科学誌 (上記以外) への論文掲載20件以上

特許申請・登録等に至った研究1件以上

【アウトカム】(令和8年度~令和12年度)

シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出、実装件数2件以上

本事業で得られた成果に基づいた長寿科学に資するマニュアル、ガイドライン等の作成2件以上

事業概要(背景・目的)

「統合医療」については、多種多様であり、科学的根拠が乏しいものが含まれているとの指摘もあることから、これまで、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ることでさらに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	101,657
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	101,657

令和9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7年2月18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	令和6	令和7
件数	15	15	11	13	14	12	14	14	14

- 【データ利活用・ライフコース】
- ＜アウトプット＞
- ・優れたシーズの発展・継続支援件数(令和7年度) 3件
- ＜アウトカム＞
- ・医療等を実装された件数(ガイドライン等の策定又は改定件数)(令和7度)0件
 - ・データ基盤構築の状況(令和7年度) 2件

具体的な研究内容等

AMED

「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業(研究事業)

【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指す。 ※平成27年度よりAMEDにおいて研究事業として開始。

各種療法に関する
安全性・有効性等の
科学的根拠の
収集

科学的根拠
の収集

新たな
科学的知見
の創出

漢方、鍼灸等につ
いて、新たな科学的
知見を創出

他領域・各診療科
における各種療
法の活用推進

西洋医学との組
み合わせ・融合

実態把握、基盤
整備

科学的知見
創出の基盤
整備

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

用語や規格の標準化やデータ
利活用による研究開発の展開

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(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
 - ・統合医療の社会モデルに基づくプログラムの社会的実装のための基盤を構築する研究
 - ・「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＞

- ・優れたシーズの発展・継続支援件数(令和7～11年度) 5件
(※事業間の連続支援数。同一事業内での受け渡しも含む)

＜アウトカム＞

- ・医療等実装された件数(ガイドライン等の策定又は改定件数)
(令和7～11年度) 1件
- ・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)(令和7～11年度) 3件

事業概要(背景・目的)

健康・医療分野においては、アカデミア、産業界等が連携(医工連携)したシステム開発が求められる。特に、膨大なデータを活用した解析や、個々に最適な健康管理・診療・ケアの実現に向けて、AI技術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)においても、医療アクセスの改善や個別化医療、診断支援、遠隔医療などが重点分野として挙げられている。また、高齢化の進展や医療従事者の負担増大に対応するためには、オンライン診療やAIを活用した遠隔医療(D to P(Doctor to Patient):医師一患者間の遠隔医療)等の診療体制の構築が不可欠である。このため、医工連携によるAI技術の開発とともに、AI技術の臨床現場への実装に向けた基盤整備が求められている。

本研究事業では、既存データや既存AI技術を活用したプログラム医療機器の開発支援や、医療従事者の負担軽減につながるAI技術の開発を推進する。さらに、様々な疾患の専門診療を遠隔でも継続的に提供できるD to P等の診療体制を構築し、どこでも安心して最先端・最適な受けられる環境の実現を目指す。

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	985,243
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9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全領域に拡大し、AI技術の開発や医療現場への導入を迅速に推進するために、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および既存のAIを活用した新たなプログラム医療機器について、事業化計画を含めた実用化の道筋が明確なシーズの開発を支援する。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6年度から1課題実施しているところであり、令和8年度が最終年度となる。令和9年度からオンライン診療(D to P)を活用し、AI技術やモニタリング情報等を活用して、医療従事者及び患者双方の負担軽減や医療資源の柔軟な活用と医療の質の向上を目標として、新たな課題を実施する予定である。

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全領域に拡大、既存製品よりも優位で実用化の道筋が明確な、以下のシーズに対し、AI技術を活用した製品・サービスの技術開発を支援する。
 - ・ AI を利活用した疾病の診断・治療技術の改善による患者の予後や生活の質の向上に資するプログラム医療機器の開発
 - ・ 医療従事者の業務負担軽減を目的とした AI サービス又は AI 製品の開発
- オンライン診療(D to P)を活用し、AI技術やモニタリング情報等を活用して、医療従事者及び患者双方の負担軽減や医療資源の柔軟な活用と医療の質の向上を目標として実施する。

期待されるアウトプット、アウトカム

▶期待されるアウトプット

- 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、遠隔においても診療が可能なD to Pの診療体制構築を可能とする基盤整備を行う。

▶期待されるアウトカム

- プログラム医療機器等を通じ、診断・治療の適正化や医療の質の確保・向上に寄与する。
- AI技術の実装により、医療従事者の業務負担の軽減を図るとともに、労働生産性の向上、労働意欲の向上、離職率の低下など、医療現場への波及効果が期待される。
- 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 P等の診療体制を支えるAI技術を活用した基盤を医療現場に実装する。これにより、どの地域においても、医療の質を確保した最先端・最適な医療の継続提供を可能とする。

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	48,859
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	48,859

令和9年度の研究事業のポイント

○「省力化投資促進プランー医療ー」において医療負担の軽減に資するものを含む医療機器等の開発・実装を推進することとしていることを踏まえて、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。これにより、AI技能評価システムや人材教育プログラム等の革新的なシステムを実用化し、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することを目指す。その結果、人手不足の状況においても医療の質を維持・向上することが期待される。(拡充)

○「健康・医療戦略」(令和7年2月18日閣議決定)において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を踏まえて、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。設計したソフトウェアやプログラムをAMED研究における他の統合プロジェクトへ導出し、手術支援ロボット等の革新的な医療機器を開発、実用化することを目指す。これにより、医師偏在対策に貢献することが期待される。(拡充)

これまでの研究事業の成果概要

(※)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

○構築した腹腔鏡下S状結腸切除術の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への改良を行った。

○小児希少性疾患(胆道閉鎖症・胆道拡張症・食道閉鎖症)に対する手術ナビゲーションシステムの開発を行った。

【アウトプット】(令和7年度末)

優れたシーズの発展・継続支援件数

- ・他事業への受け渡し件数 0件
- ・過去にAMED支援を受けた課題について、新たに公募により採択された件数 1件

論文数

- ・インパクトファクター5以上の国際誌に採択された件数 2件

【アウトカム】(令和7年度末)

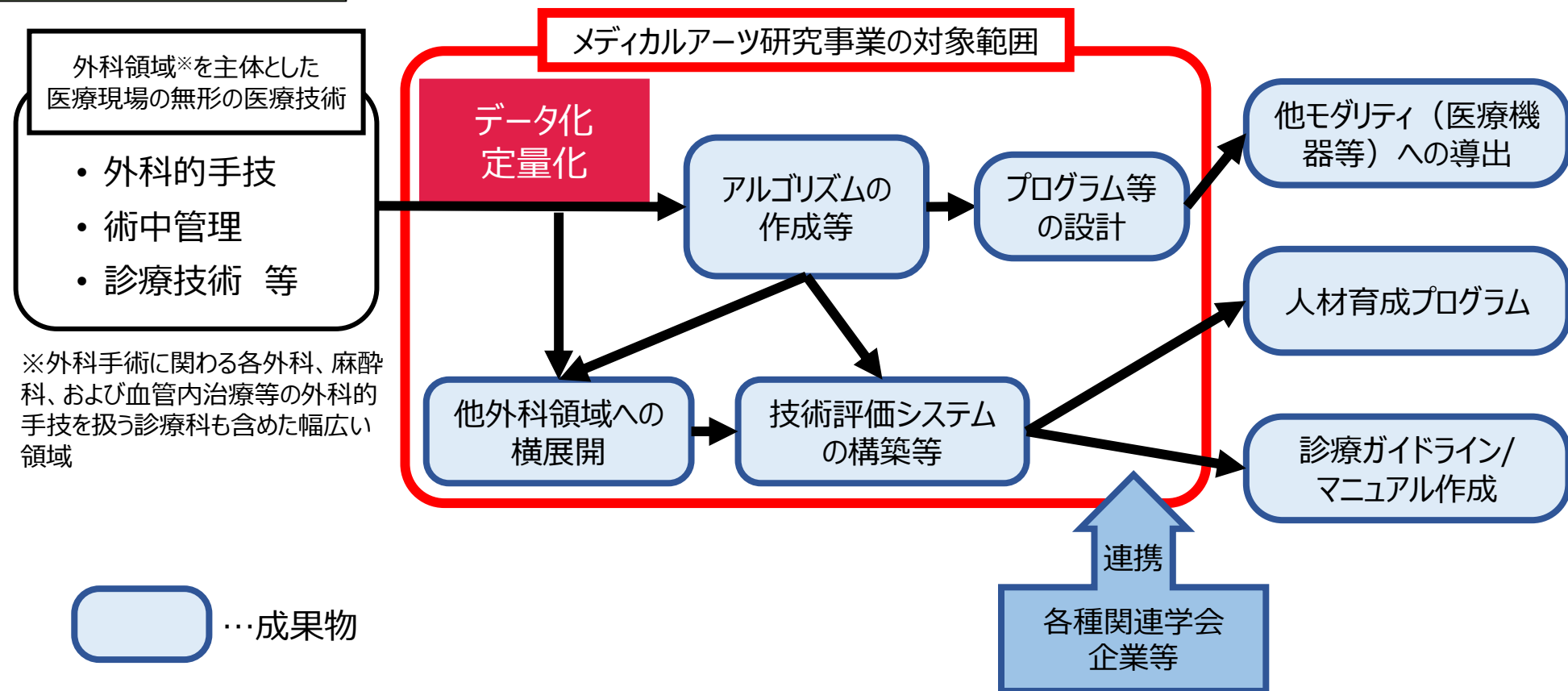
シーズの企業導出数

- ・権利譲渡契約、共同研究開発契約件数 5件

医療等の実装された件数

- ・ガイドライン等の策定又は改定件数 0件
- ・ソフトウェアや一般医療機器が上市に至った件数 0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】

外科的手技等の無形の医療技術をデータ化・定量化し、統計的手法を用いて分析することで、**外科的手技等の最適なアルゴリズムを作成**する。
また、作成したアルゴリズムを用いて、無形の医療技術の伝承に資する技能評価システム等を構築すること、及び、手術支援ロボット等の革新的な医療機器や医療者負担軽減につながる医療機器の開発、外科医の不足・偏在問題解消にもつながる遠隔手術への応用等に資するソフトウェアやプログラムを設計することを目指す。

【期待されるアウトカム】

本研究事業で得られた研究成果を企業に導出し、**AI技能評価システムや人材教育プログラム等の実用化**を目指す。また、**診療ガイドラインを作成・改訂**することを目指す。さらに、本研究事業で得られた研究成果を他の統合プロジェクトに導出し、**手術支援ロボット等の革新的な医療機器を開発、実用化**することを目指す。

事業概要(背景・目的)

医療DXに関する基盤や環境を整備し、医療等データの利活用を推進することは重要であり、国は、「医療DXの推進に関する行程表」(令和5年6月2日医療DX推進本部決定)に基づき、全国医療情報プラットフォームの構築等の医療DXに関する施策を進めてきた。令和7年12月には医療法等の一部改正法が公布され、医療DXの推進に関する改正内容についても段階的に施行される。

医療等情報の利活用の観点では、令和5年の次世代医療基盤法改正及び今般の医療法等改正により、これらの法に基づくデータベース上のデータについて、匿名化情報に加えて、仮名化情報の利活用を可能とする等の制度改正が行われた。さらに、電子カルテ情報を共有・閲覧するためのサービスを法に位置づけた上で、共有される臨床情報を格納し二次利用を可能とするための電子カルテ情報データベース(仮称)、安全にデータの解析等を行えるクラウドの情報連携基盤の構築等が進められている。

本事業は、医療DXに関する実証・実装等を目的とした研究開発を行うことを目的とする。医療DX施策に係る基盤の整備及び医療等情報の利活用の推進によって、国民がより良質な医療やケアを受けるための環境整備が図られるとともに、医療現場のみならず、健康、医療、介護等の厚生労働分野における産官学の様々な取組が進むことが期待される。

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	80,000
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	80,000

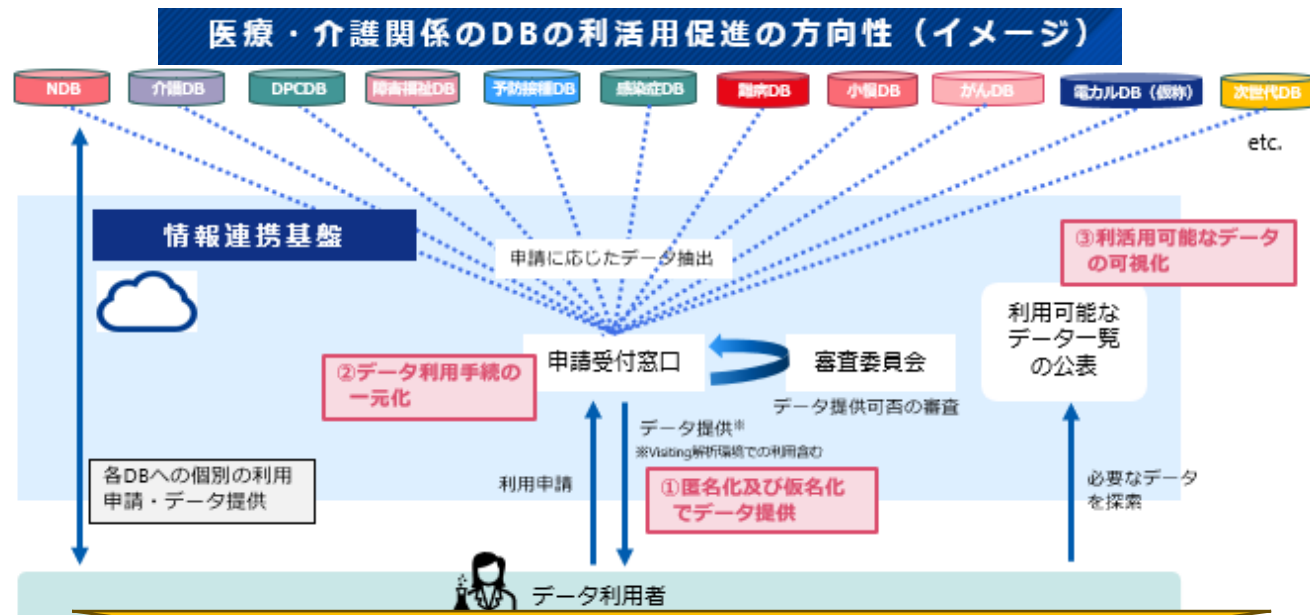
令和9年度の研究事業のポイント

- 公的DB、次世代DB等を活用したユースケースの実証等
厚生労働省が保有する医療等・介護関係のデータベース(いわゆる公的DB)、次世代医療基盤法に基づくデータベース等のデータを用いて、公的DB等に蓄積されたリアルワールドデータ(RWD)の利活用ユースケースについて、実証を行う。
- 地域医療・自治体データ等を活用したユースケースの実証等
都道府県、市区町村等の自治体が保有するデータや、医療機関が保有するデータ等、地域レベルで保有・運用される複数の医療データ等を用いて、リアルワールドデータ(RWD)の利活用ユースケースについて、実証を行う。

これまでの研究事業の成果概要

令和8年度から新規に開始する研究事業であるため、現時点において特筆すべき研究成果はない。

具体的な研究内容等



医療等データの利活用推進により
得られることが想定される
様々な成果、政策的効果

(例)
国民の健康増進
より質の高い医療・ケア
医療の技術革新
(医学研究、医薬品開発等)
医療資源の最適配分
社会保障制度の持続性確保
次の感染症危機への対応力強化 等

データ利活用によるユースケース実証

データ利活用によるユースケース(例)

基礎研究	1 疫学研究
	2 疾患メカニズム研究・ターゲット探索/評価
	3 アンメットメディカルニーズ/患者層の特定
研究政策	14 法規制等評価・政策提言（慢性疾患）
	15 法規制等評価・政策提言（感染症）

臨床研究	4 エビデンス創出・補強
	5 診断/治療の実態把握
	6 新たな診断・治療アルゴリズムの創出・評価
	7 予後予測/診断AIの構築・検証
	8 医療経済性の試算・評価

実装・成果の還元

製品開発	9 臨床予測モデルの構築
	10 臨床試験負担の軽減（適応追加を含む）
	11 臨床試験デザインの最適化
	12 治験の施設選定・患者組入れの効率化
	13 適正使用/安全性監視

期待されるアウトプット、アウトカム

【モニタリング指標】

- データの蓄積・統合・連携および解析・実装を行った課題数
- アカデミア、企業等によるデータの利活用実績
- 研究成果の科学誌への論文掲載件数

【アウトカム】

医療等情報の利活用を推進し、ユースケースの実証に取り組むことにより、基礎研究、臨床研究、医薬品・医療機器に関する製品開発、政策研究等の様々な領域で研究の質が向上し、その成果が社会実装されることにより、国民の健康増進等に寄与することが見込まれる。