

# 第2期医療分野研究開発推進計画の 実行状況について（令和3年度版）

# 目次

1. 医薬品プロジェクト	P. 2
2. 医療機器・ヘルスケアプロジェクト	P. 7
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	P. 11
4. ゲノム・データ基盤プロジェクト	P. 16
5. 疾患基礎研究プロジェクト	P. 20
6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト	P. 24
7. その他	P. 28

# 1. 医薬品プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
令和3年度予算額336億円

インハウス研究機関経費  
令和3年度予算額47億円

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

医薬品の実用化に向けた研究開発

■ 文科省、■ 厚労省、■ 経産省

● 次世代がん医療創生研究事業：  
がんの生物学的本態解明研究等による創薬シーズの導出

予算額36億円

連携

● 革新的がん医療実用化研究事業：  
個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発や  
免疫療法等をはじめとする新しい治療開発を推進

予算額23億円

● 難治性疾患実用化研究事業：核酸医薬などの新規モダリティ等の治療薬開発

予算額37億円

● 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：  
有効性の高いワクチン、迅速診断薬、感染症治療薬の開発

予算額20億円

● 腎疾患実用化研究事業 / 免疫アレルギー疾患実用化研究事業 / 肝炎等克服実用化研究事業 / 成育疾患克服等総合研究事業

予算額3億円

● 医療分野研究成果展開事業(産学連携医療イノベーション創出プログラム)：  
産学連携による大学・ベンチャー等のシーズ研究開発推進

予算額5億円

実用化研究開発

実用化研究開発への応用

モダリティ研究への  
フィードバック

革新的な創薬技術・手法の研究開発推進

● 先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業：  
バイオ医薬品の高機能化、医薬周辺技術、要素技術の研究開発

予算額13億円

モダリティ技術開発

モダリティ技術開発と実用化への連携  
中分子、核酸医薬等のデザイン構築研究や  
DDS・製剤化研究開発等

● 創薬基盤推進研究事業：  
開発過程の迅速化等に向けた新規モダリティの創薬技術開発支援、産学共同研究

予算額22億円

● 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業：  
企業等とともに事業化を志向した製造技術開発及び  
実用化のための基盤技術開発を実施

予算額63億円

企業/ベンチャー等による  
研究・実用化の推進

連携促進・基盤構築

● 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業：  
創薬等のライフサイエンス研究に資する高度な技術や施設等を共用する先端研究基盤を整備・強化

予算額38億円

● 創薬支援推進事業：アカデミアシーズを三法人等による支援(\*)により企業導出  
(\*創薬支援ネットワークにおける理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所 ※希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業では  
臨床研究・治験フェーズの一部まで支援を実施)

予算額36億円

● 医薬品等規制調和・評価研究事業：最先端技術を用いた医薬品・医療機器等の適切な評価方法を開発する等、評価基盤を構築

予算額11億円

他PJのシーズ  
研究等と連携

● 臨床研究・治験推進研究事業：  
革新的医薬品の創出を目指す質の高い臨床研究、医師主導治験等を支援

予算額30億円

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

医薬品実用化研究開発

創薬技術開発

基盤

実用化(市販・医療現場への普及等)

標的ごとに適切なモダリティ技術を活用し、支援基盤を積極的に活用した伴走支援によりシーズ研究開発を推進したことで、多数の企業導出や薬事承認を達成するなど、すでに現時点で目標値の多くを達成できており、2024年度末までに全項目の達成は可能であると考えることから、順調に進捗していると評価できる。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<b>&lt;アウトプット&gt;</b>				
・非臨床POCの取得件数 25件	81件(45件)	A	次世代がん医療創生研究事業(事業最終年度)など標的ごとに適切なモダリティ技術を活用してシーズ研究開発を進め、多数のシーズにおいて動物実験で効果が確認されるなど、2024年度末の目標達成に向けて十分な進捗がみられると評価できる。	
・創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出件数 10件	5件(3件)	A	3独法(理研・医薬健栄研・産総研)による支援やDISCなどの産学連携の枠組みによるシーズ開発の推進を通じて、アカデミアが発見した新規メカニズムを基にしたシーズ化合物の企業導出を達成しており、2021年度末の実績から勘案すると2024年度末の目標達成は可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。	
・臨床POCの取得件数 5件	23件(11件)	A	がんや感染症などの疾患に対し、PMDAへの早期相談を促しながら質の高い臨床試験の支援を通じて、臨床試験において、有効性及び安全性にかかる良好な結果が得られ、2024年度末の目標達成に向けて十分な進捗がみられると評価できる。	
・新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%	81.1%(80.8%)	A	次世代抗体、RNA標的創薬、マイクロバイオーム創薬などの、新モダリティ・先進手法に関する課題の新規採択を推進した結果、その割合は75%を超えており、順調に進捗していると評価できる。	

※ 「最新の数値」は、2022年3月31日時点の累計数、( )は昨年度、進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難

標的ごとに適切なモダリティ技術を活用し、支援基盤を積極的に活用した伴走支援によりシーズ研究開発を推進したことで、多数の企業導出や薬事承認を達成するなど、すでに現時点で目標値の多くを達成できており、2024年度末までに全項目の達成は可能であると考えことから、順調に進捗していると評価できる。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<b>&lt;アウトカム&gt;</b>				
・シーズの企業への導出件数 60件	87件(40件)	A	次世代がん医療創生研究事業(事業最終年度)などにおいて、PSPOによる実用化に向けた進捗管理や各種支援機能の適切な活用を推進した結果、多数のシーズで企業導出が認められており、2024年度末の目標達成に向けて十分な進捗がみられると評価できる。	
・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 10件	20件(5件)	A	新有効成分医薬品の薬事承認や適応拡大など、2021年度15件の薬事承認が認められ、医師主導治験の成果が承認に結びつく事例が増加しており、2024年度末の目標達成に向けて十分な進捗がみられると評価できる。	
・創薬等の効率化に資する 先進手法の企業導出件数 120件	164件(95件)	A	創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業(事業最終年度)などにおいて、PSPOによる実用化に向けた進捗管理や各種支援機能の適切な活用を推進した結果、多数の企業導出が認められており、2024年度末の目標達成に向けて十分な進捗がみられると評価できる。	
・研究成果を活用した臨床 試験・治験への移行状況	22件(14件)	A	臨床試験につながる非臨床安全性試験の支援などを通じて2021年度の8件を含む22件が臨床試験・治験に移行しており、順調に進捗していると評価できる。	

※ 「最新の数値」は、2022年3月31日時点の累計数、( )は昨年度、進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難



## (1) 関係府省の主な取組

先端バイオ創薬等基盤技術開発事業や創薬基盤研究事業において、創薬基盤技術を疾患横断的に活用する取り組みを進めた。難治性疾患実用化研究事業などにより実施した医師主導治験の成果をもとに小児、難治性疾患など医療ニーズの高い疾患に対して新たな多数の薬事承認を取得した。また、核酸医薬品などの新規モダリティを含めてシーズ開発を推進し、多数の企業導出を達成した。創薬ブースターの支援シーズの迅速な実用化推進、創薬基盤推進研究事業の産学官の連携スキームに患者を取り込む新たな仕組みなどを設けながら、医薬品の実用化を推進した。

## (2) 顕著な研究開発成果事例

### ① 新たなモダリティの創出や、各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法、製造技術等の研究開発

- 先端バイオ創薬等基盤技術開発事業の基盤技術をプラットフォームとして、疾患横断的にシーズ開発に応用する研究開発を支援し、基盤技術の高度化・応用範囲拡大とシーズ開発のブレイクスルーを一挙に実現する取組を推進(図1)。昨年度より先行的に開始した「神経難病の治療に応用可能な中枢移行性の高いヘテロ核酸の開発」における課題間連携の推進において、安全性や安定性に優れる新規人工核酸を導入した新たなヘテロ核酸を合成し、ヘテロ核酸の毒性が低減されることを発見。製薬企業による神経難病の新規治療開発につなげたなど、すでに成果が出始めている。(図2)
- 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業等において、開発を進めた細胞特性を分析するフローサイトメトリーなどの技術を用い、制御性T細胞のPD-1タンパク質の発現が、免疫チェックポイント阻害薬の治療耐性に関わり、これらが乳酸により調節されていることを見いだした。また、がん転移が起こりやすい肝転移病変で、細胞内への乳酸取込を阻害する乳酸代謝経路阻害薬剤(MCT1)の併用によりPD-1/PD-L1阻害薬治療効果の改善効果が見出された。(図3)

図1 要素技術開発のシーズ開発への応用展開による基盤技術の高度化

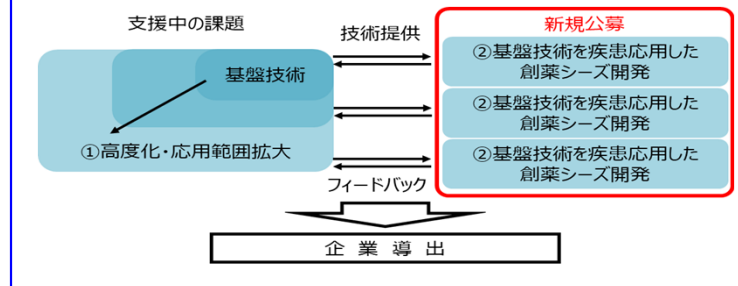


図2 採択課題の連携推進による具体例 - 中枢移行性ヘテロ核酸の開発 -

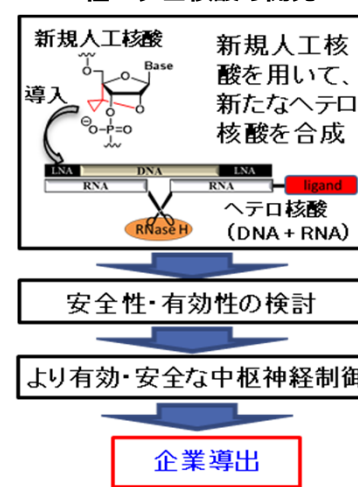
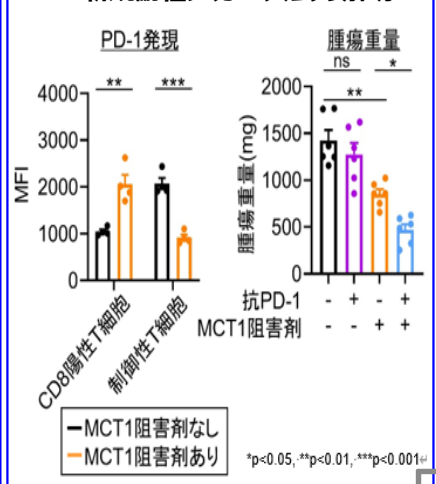


図3 肝転移病変における免疫チェックポイント阻害薬に対する新規耐性メカニズムの解明



## ②モダリティ技術を活用した医薬品の実用化研究開発の推進

- ・小児がん用抗がん剤で初めての医師主導治験による新規有効成分医薬品承認（神経芽腫に対する遺伝子組換えキメラモノクローナル抗体）  
①や難治性天疱瘡、全身性強皮症に対する適応拡大②、希少疾患である唾液腺癌に対する分子標的薬③の承認など多くの成果が患者の元に届けられた（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、臨床研究・治験推進研究事業等の成果）。（右記参照）
- ・次世代がん医療創生研究事業において、タンパク質に翻訳されない長鎖非翻訳RNAのひとつであるTUG1の機能を効率的に抑えることができるTUG1-DDS（がん細胞に治療薬を効率的に送り届ける“運び屋”と、TUG1の機能を効率的に抑えることができる薬剤を組み合わせた核酸治療薬）により、効率的に5-FUの抗腫瘍効果を増強することを確認し企業導出に至った。（図4）

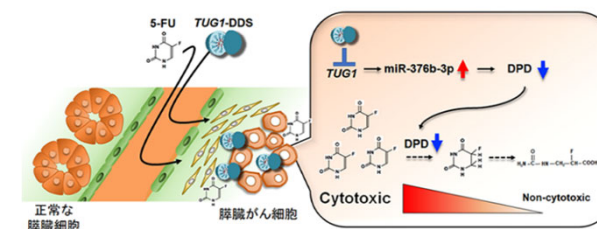
## ③創薬デザイン技術、化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築

- ・創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業において、クライオ電子顕微鏡関連設備の拡充などを実施し、2021年度、Covid-19関連24件を含む477件の支援を実施した。事業期間5年間で2940件の支援を実施した。2021年度支援した課題の中には、早期に薬剤耐性が生じるために創製が切望されるBRAF阻害薬耐性メラノーマに対して選択的に細胞増殖抑制作用を示す化合物を見出し、製薬企業との共同研究に至った課題など、実用化に向けて顕著な成果を得た課題も見られた。（図5）

### AMED支援課題関連の2021年度薬事承認された主な薬剤

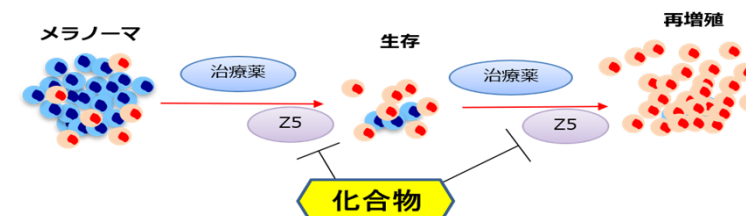
- ① **承認薬剤：ジヌツキシマブ**（ユニツキシン®点滴静注17.5mg/5mL）  
世界で初めて、神経芽腫に特化して開発された遺伝子組換えキメラモノクローナル抗体で、わが国において数十年ぶりに神経芽腫に対して承認された新薬
- ② **承認薬剤：リツキシマブ**（リツキサン点滴静注100mg/500mg）  
国内で500名程度と推測される難治性天疱瘡に対して、医師主導治験の国内第II相臨床試験等にて有効性が証明され、効能・効果追加された分子標的薬  
β細胞を除去する作用を持ち、全身性強皮症に対して、医師主導治験にて有効性が証明され、世界初、薬事承認された分子標的薬
- ③ **承認薬剤：トラスツズマブ**（ハーセプチン注射用60/150）  
標準的な薬物治療の確立していない唾液腺がんに対する個別化治療のアプローチによる初の抗HER2薬。併せて治療薬の適応判定を補助するコンパニオン診断薬も承認。

図4 難治性の膵臓がんに対する“長鎖非翻訳RNA”を標的とした新しい治療法の開発（次世代がん医療創生研究事業）



- ・TUG1-DDSは膵臓がん細胞特異的に5-FUの効果を増強するため、5-FUの正常細胞への毒性を抑えつつ、膵臓がんにおいて有効な治療薬となる可能性あり。

図5 化合物ライブラリー整備と支援・高度化による創薬研究の推進(創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業)

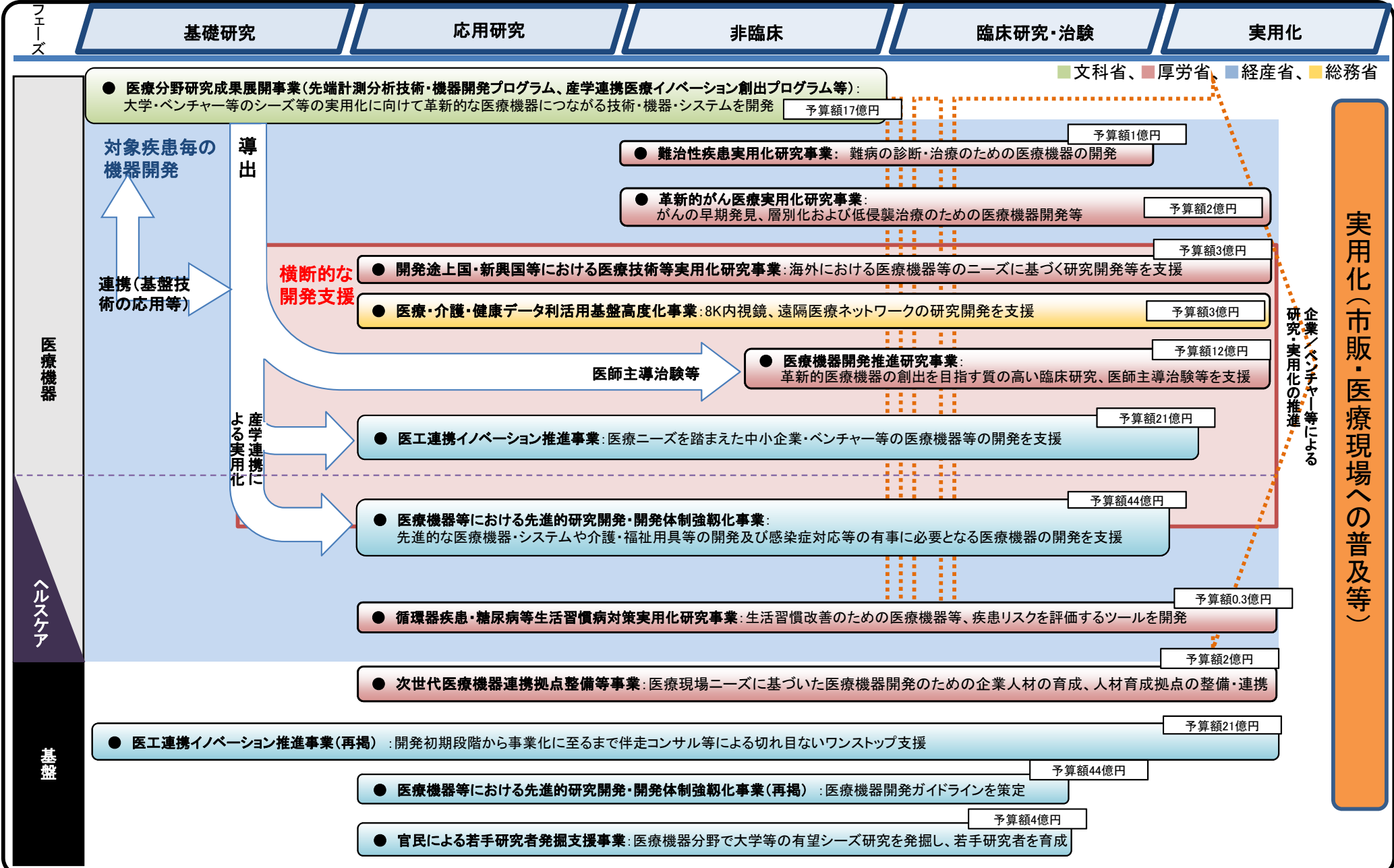


- ・製薬企業化合物ライブラリーをスクリーニングにより、BRAF阻害薬耐性メラノーマ細胞に選択的に細胞増殖抑制作用を示し、さらにメラノーマ症例で高発現を認めるがん特異的転写因子「ZIC5」の発現あるいは機能を制御する化合物を発見。
- ・構造展開ユニットの支援により、化合物提供企業と共同研究開始。

# 2. 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
令和3年度予算額109億円

AI・IoT技術、計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化や、予防・QOL向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。





革新的な医療機器・システム等の研究開発支援や開発ガイドラインの策定、医療機器開発支援ネットワーク等による開発支援体制の整備を通じ、医療機器の開発・実用化は着実に進捗している。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
＜アウトプット＞				
・非臨床POCの取得件数 25件	39件(23件)	A	産学連携による大学等の研究成果の実用化の推進により着実に成果が創出され、2021年度末の実績から判断すると、2024年度末の目標達成に向けて順調に進捗していると評価できる。	
・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題の割合 25%	28%(23%)	A	クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題を令和2年度及び3年度の累計として計56/201件採択をするなど、KPI達成に向け、順調に進捗している。	
・ヘルスケア関連機器等の実証完了件数 35件	15件(10件)	A	「医療機器等における先進的研究開発・開発体制強靱化事業」において令和3年度は5件の実証を完了しており、KPI達成に向け、順調に進捗している。	
＜アウトカム＞				
・シーズの他事業や企業等への導出件数 15件	9件(6件)	A	産学連携による大学等の研究成果の実用化の推進により着実に成果が創出され、2021年度末の実績から判断すると、2024年度末の目標達成に向けて順調に進捗していると評価できる。	
・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数 20件	3件(2件)	B	機器開発の途上の案件が多い状況ではあるが、「ウイルス等感染症対策技術開発事業」において計1件の薬事承認があった。 医師主導治験が終了し薬事承認申請の準備を進めている案件もあり、KPIの達成に向け、引き続き取組を進める。	
・ヘルスケア関連機器等の上市等の件数 10件	5件(1件)	A	2021年度末の実績から判断すると、2024年度末の目標達成に向けて順調に進捗していると評価できる。	
・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	44件(23件)	A	臨床試験や治験への移行を対象フェーズとしている事業において順調に進捗していると評価できる。	

※ 「最新の数値」は、2022年3月31日時点の累計数、( )は昨年度、進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難

## ② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

### (1) 関係府省の主な取組

- 我が国の中小企業が有する高度なものづくり技術を活用した医療機器等の開発や、医療機器に関する競争力ポテンシャル・公的支援の必要性や医療上の価値等を踏まえて策定した5つの重点分野(※)を対象に、先進的な医療機器・システム等の開発について支援を実施
- ※ 医療機器開発の重点化に関する検討委員会にて策定 (①検査・診断の一層の早期化・簡易化、②アウトカムの最大化を図る診断・治療の一体化、③予防、④高齢化により衰える機能の補完・QoL向上、⑤デジタル化/データ利用による診断治療の高度化)
- 医療機器の開発に際し、知財・法務等の課題や、異業種からの新規参入、国際展開に関する課題に対応するため、「医療機器開発支援ネットワーク(事務局:AMED)」を通じ、専門コンサルタントによる助言(伴走コンサル)等を実施
  - 先進的医療機器・システム等技術開発事業においては、医療機器の速やかな実用化を支援すべく、薬機法の承認審査に必要となる機器の安全性や有効性等に関する評価項目や、実験の条件に関するガイドラインを策定

### (2) 研究開発成果事例

課題名：ロボット技術を用いた介護老人保健施設入所者のADL状態定量化による施設運営の効率化を目指した研究

(ロボット介護機器開発・標準化事業)

代表者：コニカミノルタ株式会社

【概要】

- 介護人材不足解消のため、介護ロボットによる効果の定量化及びエビデンスによる科学的介護が期待されている。

【研究開発成果】

- 本事業では、介護ロボット「HitomeQケアサポート」が持つカメラ技術と画像認識技術、行動解析技術によって、介護施設入所者の「基本動作」「移乗」「歩行」に係る活動を定量的に評価し、入所者に最適なリハビリプランをレコメンドするアルゴリズムを開発した。さらに、そのアルゴリズムを搭載したツール(歩行速度や睡眠状態を可視化)を開発したことにより、リハビリスタッフや介護スタッフによる科学的介護を可能とした。



課題名：慢性期脳卒中を対象とした小型・軽量・安全・安価な手指リハビリロボットの開発・事業化(医工連携イノベーション推進事業)

代表者：株式会社メグウェル

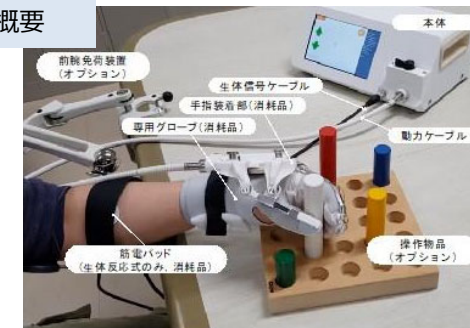
【概要】

- 国内の脳卒中の脳血管疾患の患者数は約118万人にのぼり、健康寿命延伸のため早急な対応が必要である。手指リハビリテーションは、日常生活に必要な運動機能再獲得に不可欠であり、多くの患者が困難に直面している。
- 本事業では、手指を対象とした生体信号反応式運動機能改善装置として、小型・軽量・安全・安価な手指リハビリロボットを提供する。これにより、健康寿命を延伸し、ひいては我が国の医療費削減を目指す。

【研究開発成果】

- 「関節可動域の測定評価試験」及び「筋電位を用いた装置使用に関する手指の運動機能向上を検証する試験」の臨床試験に着手した。

装着概要



## (2) 顕著な研究開発成果事例

課題名：ロボット麻酔システムの開発  
 (医療機器開発推進研究事業)  
 代表者：国立大学法人福井大学

### 【概要】

- 全身麻酔手術件数は年々増加しているにもかかわらず、麻酔科医は全国的に不足しており、特に地方での麻酔科医不足は深刻である。
- 麻酔の3要素（鎮静、鎮痛、筋弛緩）を自動的に制御する「ロボット麻酔システム」を開発することで、医療の質を担保しつつ、医師の働き方改革を推進する。

### 【研究開発成果】

- 医師の働き方改革を推進する技術として、全身麻酔における薬物投与をヒューマンエラーを来すことなく自動調節するシステム（ソフトウェア）を開発した。
- 医師主導治験において、123例の症例を実施し、安全性および有効性（自動調節群の非劣性）を確認し、令和3年3月に治験総括報告書の作成を完了した。

### 【今後の展望】

- 治験結果を開発企業に移管して薬事承認申請を行い、令和4年以降の販売を開始する計画である。



図 ロボット麻酔システム(イメージ)

課題名：リキッドバイオプシーによる尿中バイオマーカーの探索と尿路上皮がん早期診断システムの開発

(先端計測分析技術・機器開発プログラム・要素技術タイプ)

代表機関：九州大学大学院 江藤 正俊 教授

共同提案機関：京セラ株式会社、国立循環器病研究センター

### 【概要】

- 膀胱がんの患者数は増加傾向にあり、国内でも毎年2万人以上が発症し、年間死亡者数は8千人を超えている。そのため簡便に早期に検出され、治療できるようになることが求められている。

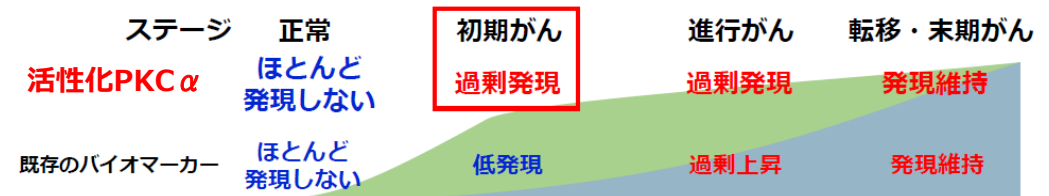
### 【研究開発成果】

- 初期がんから過剰に発現する活性型プロテインキナーゼC $\alpha$  (PKC $\alpha$ )に着目し、その特性を医学的に検証。尿中の活性型PKC $\alpha$ が十分な感度と特異度を持ち、従来の検査方法を遥かに上回ることを確認。
- さらに、この活性型PKC $\alpha$ に対する早期診断システムの開発に着手し、バイオセンサを用いた定量検出手法の開発に成功。膀胱がん等の尿路上皮がんの正確かつ簡便な早期診断となる新規検査法実用化に向けて実現への道筋が付いた。

### 【今後の展望】

- この技術は医工連携イノベーション推進事業へと引き継がれ、共同提案機関の企業等と研究体制が整い、短期間での実用化を目指す。

### 活性型PKC $\alpha$ と既存バイオマーカーの発現の違い

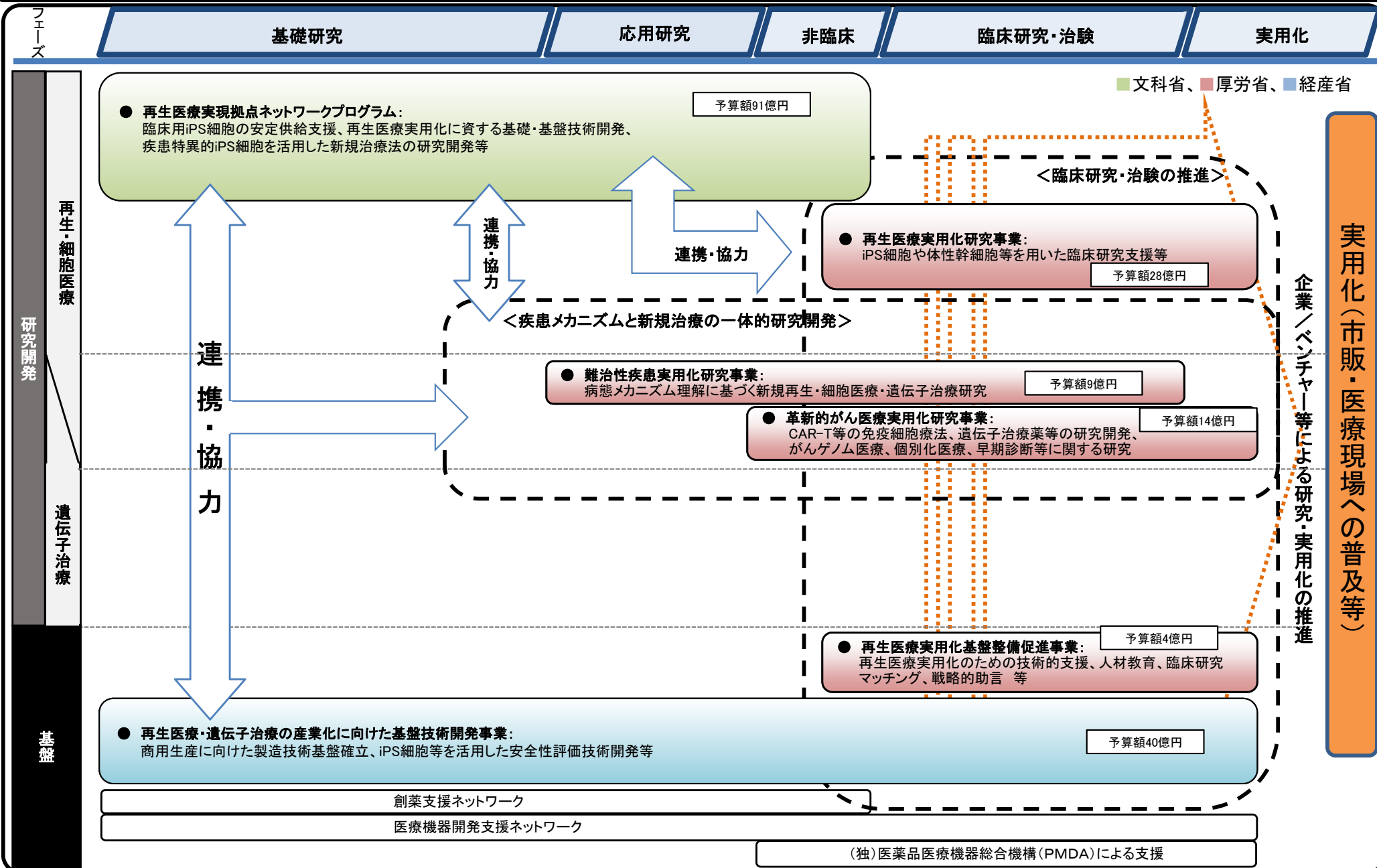




# 3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
令和3年度予算額185億円

再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床・臨床研究や製造基盤技術の開発、疾患特異的iPS細胞等を活用した難病等の病態解明・創薬研究及び必要な基盤構築を行う。また、遺伝子治療について、遺伝子導入技術や遺伝子編集技術に関する研究開発を行う。さらに、これらの分野融合的な研究開発を推進する。



再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会での議論等を踏まえ、施策の先行実施のための枠組み整備、再生・細胞医療技術を活用した創薬支援技術に係る課題内容の刷新及び公募、遺伝子治療の研究開発の加速等を推進した。2021年度末の実績から勘案すると2024年度末の目標達成も可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。

2024年度末までの達成目標	最新の数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<b>&lt;アウトプット&gt;</b>				
・非臨床POCの取得件数 25件 [うち遺伝子治療 5件]	25件(14件) [23件(13件)]	A	遺伝子治療におけるPOCの取得の23件(R3年度10件)に関しては、難治性疾患実用化研究事業、革新がん医療実用化研究事業と再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業との連携による成果である。	
・研究成果の科学誌(インパクトファクター5以上)への論文掲載件数 400件	244件 (107件)	A	第1期から継続的にAMEDが本分野を支援してきた結果、若手を含めた研究者の裾野拡大により、R3年度137件/年と昨年度に続いて成果を達成したと考えられる。	クラリベイト InCites Benchmarking より集計
・治験に移行した研究課題数 20件 [うち遺伝子治療 2件]	18件(11件) [9件(6件)]	A	基礎から実用化へのシームレスな支援により、既に臨床研究の知見が蓄積されている領域における治験が増えておりR3年度も新たに7件が治験に移行した。	
・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	326件 (200件)	A	「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」の記載と同様に、インパクトファクターが高い論文のみならず、多くの論文が掲載された。	クラリベイト InCites Benchmarking より集計
・臨床研究に移行した研究課題数[うち遺伝子治療の研究課題数]	8件(4件) [1件(0件)]	A	既に臨床研究の知見が蓄積されている領域では、臨床研究を経ずに治験へ進む事例が増えているが、新たな技術領域における臨床研究への移行が概ね順調に進捗している。	

※ 「最新の数値」は、2022年3月31日時点の累計数、( )は昨年度、進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難



再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会での議論等を踏まえ、施策の先行実施のための枠組み整備、再生・細胞医療技術を活用した創薬支援技術に係る課題内容の刷新及び公募、遺伝子治療の研究開発の加速等を推進した。2021年度末の実績から勘案すると2024年度末の目標達成も可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進 捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<b>&lt;アウトカム&gt;</b>				
・シーズの他事業への導出件数 30件	14件(9件)	A	R3年度も5件のシーズが他事業へ導出され、堅調に推移した。	
・企業へ導出される段階に至った研究課題数 10件 [うち遺伝子治療 2件] [うち企業へ導出された件数 2件]	12件(9件) [7件(5件)] [7件(6件)]	A	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における遺伝子治療製造技術開発の技術(2件)が導出段階に至り、同事業における再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発の技術(1件)が企業に導出された。	
・薬事承認件数(新薬、適応拡大) 2件以上	3件 (1件)	A	R3年度は、再生医療実用化研究事業における男性腹圧性尿失禁治療に対する「セルーション セルセラピーキット SUI」が医療機器として、革新的がん医療実用化研究事業／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が支援した腫瘍溶解性ウイルスを用いた日本発の遺伝子治療製品が承認された。	先進医療 B、医療 機器含む
・関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況	—	A	再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業における再生医療の産業化に向けた細胞製造・加工システムの開発において、ISO/TC 276/WG 3のISO 23033、ISO/TC 198/WG 9の「ヘルスケア製品の無菌操作法-アイソレータシステム」の国際規格が発行。	
・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	26件(15件)	A	R3年度は、治験移行7件、臨床試験移行4件であった。	
・遺伝子治療の製造に関する要素技術の研究開発の進展状況	86件(48件)	A	ベクター作製、大量製造、精製、製品評価等の38件の製造関連要素技術開発が進展。	

※ 「最新の数値」は、2022年3月31日時点の累計数、( )は昨年度、進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難

## (1) 関係府省の主な取組

- AMEDにおいて、文部科学省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」における成果を、厚生労働省「再生医療実用化研究事業」「難治性疾患実用化研究事業」「革新がん医療実用化研究事業」に橋渡しするとともに、経済産業省「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」による産業基盤の構築の推進など、実用化に向け基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行っている。
- 文部科学省において、「再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会」を令和3年3月から開催し、「再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方について（中間とりまとめ）」を公表した（令和3年7月）。

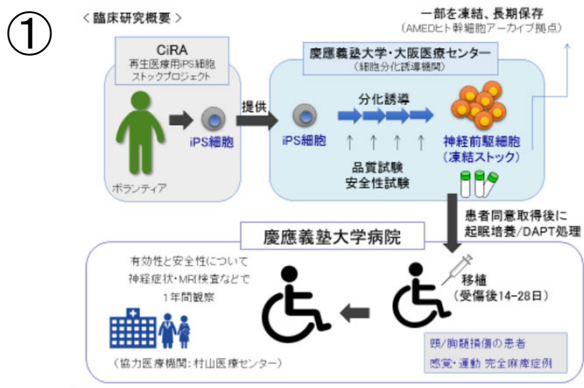
## (2) 顕著な研究開発成果事例

### ・ 亜急性期脊髄損傷患者に対するiPS細胞由来神経前駆細胞移植手術の実施

慶應義塾大学（岡野栄之教授ほか）で、他家iPS細胞から作製した神経前駆細胞を亜急性期（受傷後14-28日）の脊髄損傷患者に移植する手術を令和3年12月に実施（①）。

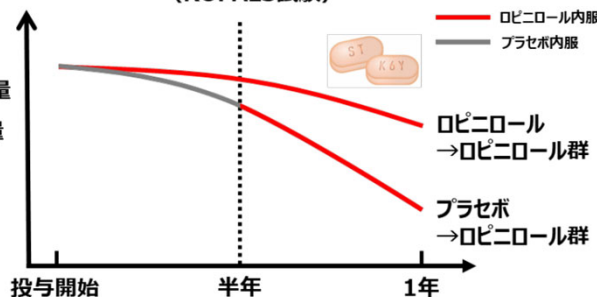
### ・ 筋萎縮性側索硬化症（ALS）患者に対する疾患特異的iPS細胞から見出した新規治療薬の有効性確認

慶應義塾大学（岡野栄之教授ほか）及び京都大学iPS細胞研究所（井上治久教授ほか）で、ALS患者から樹立したiPS細胞を用いて見出した新規治療薬候補のロピニロール及びボスチニブをALS患者に投与する初期（第1相）の医師主導治験を実施し、安全性及び有効性を確認（②、③）。



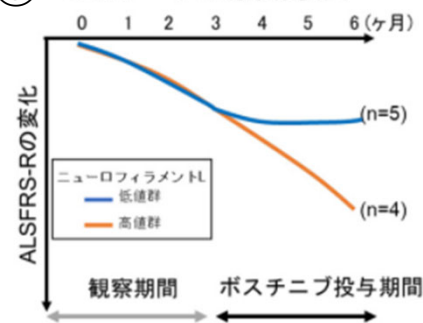
②

ALSに対するロピニロールの効果概要 (ROPALS試験)



③

ボスチニブの効果概要図



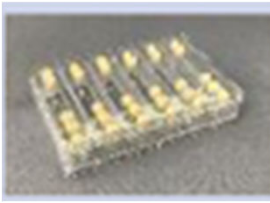
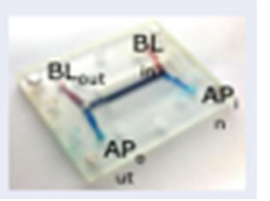
(2) 顕著な研究開発成果事例

・ヒト細胞を用いた生体模倣システム (MPS) の製品化

新たな創薬分野の研究開発では正確な安全性・有効性の評価が難しいことが多い中、再生医療技術を応用して、ヒト全身を模擬的に再現した生体模倣システム (MPS: Micro-physiological System) の開発を支援。

令和3年度には、事業内で開発したデバイスのうち、名古屋市立大学 (松永民秀教授) 設計、伸晃化学株式会社製造による2臓器連結デバイス (小腸-肝臓) と、東海大学 (木村啓志教授) 設計、東京応化工業株式会社製造の膜上下デバイス (腎臓) の2件が製品化し販売開始された。

【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】

設計・製造者	デバイス
2臓器連結デバイス (小腸-肝臓) 名古屋市立大学 (松永民秀先生) 伸晃化学株式会社	
膜上下デバイス (腎臓) 東海大学 (木村啓志先生) 東京応化工業株式会社	


製品化済のデバイス

・再生医療等製品の研究開発

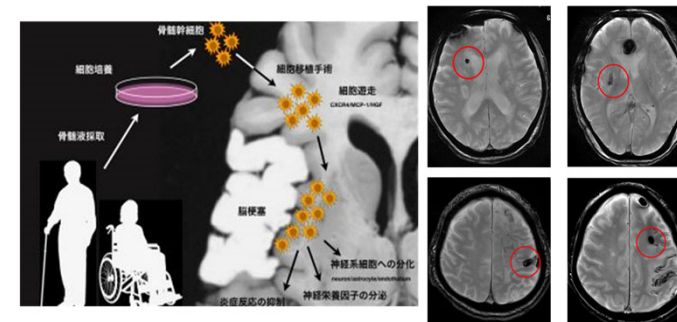
北海道大学病院 (藤村幹教授) の研究グループは、脳梗塞になり重度の麻痺が生じた患者に対して、患者自身の骨髄から製造した自家骨髄間質細胞 (BMSC) ※製品 (HUNS001) を脳内に移植する医師主導治験を実施し、安全性と有効性を調査。本結果をもとに、以後の治験は、北海道大学発ベンチャー (株式会社 RAINBOW) が主体となって実施する予定。

※患者自身の骨髄から製造した骨髄間質細胞で、間葉系幹細胞を多く含む。間葉系幹細胞とは、骨髄や脂肪中に存在し、神経や筋肉、骨などへの分化能を持つことが示唆されている細胞

【再生医療実用化研究事業】



医師主導治験  
『新たな培養・移植・イメージング技術を駆使した自己骨髄間質細胞移植による脳梗塞再生治療』  
Research on Advanced Intervention using Novel Bone marrow stem cell (RAINBOW) project



脳梗塞に対する再生医療等製品の研究開発



# 4. ゲノム・データ基盤プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
令和3年度予算額152億円

インハウス研究機関経費  
令和3年度予算額18億円

ゲノム・データ基盤の整備・利活用を促進し、ライフステージを俯瞰した疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進することで個別化予防・医療の実現を目指す。

■ 文科省、■ 厚労省、■ 総務省

ゲノム・医療データ研究開発

基盤

## ゲノム・医療データを活用した研究

### 主にゲノムデータを活用した研究

- **ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(B-cure)**  
(ゲノム医療実現推進プラットフォーム、次世代医療基盤を支えるゲノム・オミックス解析):  
研究プラットフォームを活用したゲノム解析やオミックス解析による  
基盤研究開発、戦略的ゲノム・オミックス解析による基盤データの整備を実施  
予算額 47億円の内数
- **革新的がん医療実用化研究事業**: がんに係る情報の集積と活用  
予算額39億円
- **難治性疾患実用化研究事業**: 難病の発症や疫学、診断方法に資する  
ゲノム・臨床データ等を集積、共有化し、個別化予防等のエビデンスを創出  
予算額29億円
- **認知症研究開発事業**:  
認知症に関するコホート研究、ゲノム等情報の集積と活用  
予算額9億円

### 主に医療データを活用した研究

- **医療・介護・健康データ利活用基盤高度化事業**  
医工連携・人工知能実装研究事業 / 循環器  
疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究  
事業 / 肝炎等克服実用化研究事業 / 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 / 障害者対策総合研究  
開発事業(精神障害分野、その他) / 女性の  
健康の包括的支援実用化研究事業 / 成育疾  
患克服等総合研究事業 / 「統合医療」に係る  
医療の質向上・科学的根拠収集研究事業 /  
メディカルアーツ研究事業  
予算額26億円

研究の推進  
研究基盤の利活用促進

ユーザビリティの  
フィードバック

## バイオバンクの整備、利活用の促進

- **ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム(B-cure)** (ゲノム医療実現推進プラットフォーム) (再掲):  
バイオバンク横断検索システムの構築  
予算額47億円の内数

### バイオバンク

#### 横断検索システムによる連携

- **ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム (B-cure)** (東北メディカル・メガバンク):  
健康人ゲノムコホートを構築するとともにゲノム研究基盤を構築  
予算額 47億円の内数
- **ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム (B-cure)** (ゲノム研究バイオバンク):  
バイオバンク・ジャパンの保有する試料・情報の利活用の促進  
予算額 47億円の内数
- **ナショナルセンターバイオバンクネットワーク (NCBN)**:  
臨床試料と電子カルテから抽出した精度の高い臨床情報を収集・整備  
インハウス研究機関経費 予算額11億円

データ共有プラットフォーム(クラウド等)

他のプロジェクトの研究へ展開・連携

1. 医薬品PJ
2. 医療機器・ヘルスケアPJ
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療PJ

- **ゲノム創薬基盤推進研究事業**: ゲノム情報を活用した新規創薬ターゲットの探索等のための基盤整備  
予算額3億円

- **ゲノム診断支援システム整備事業/NCIにおける治験・臨床研究推進事業**: 各国立高度専門医療研究センターでゲノム情報を診断に活用するための基盤整備及び治験等の推進  
インハウス研究機関経費 予算額7億円

全ゲノム解析や多因子疾患研究に関する取組や、世界最高水準の医療の提供に資するデータ利活用推進基盤の構築に向けた計画を通じて、全体として着実に成果が創出されており、2021年度末の実績から勘案すると、2024年度末の目標達成は全項目において可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<b>&lt;アウトプット&gt;</b>				
・非臨床POCの取得件数 5件	2件 (1件)	A	R2年度に引き続き「ゲノム創薬基盤推進研究事業」から取得された	
・臨床POCの取得件数 10件	3件 (3件)	B	R3年度の取得はないが、医師主導治験進行中の案件もあり、プロジェクト期間内の継続的な取得が見込まれる	
・研究成果の科学誌(インパクト ファクター5以上)への論文掲載 件数 900件	632件 (217件)	A	ゲノム・データ基盤プロジェクト内の全事業の研究開発成果として、R2年度の約2倍の論文掲載に至っており、継続性のある研究成果が創出された	クラリベイト InCites Benchmarkingより集計
・新たな疾患発症メカニズム解明 件数 10件	26件 (18件)	A	「肝炎等克服実用化研究事業」「ゲノム創薬基盤推進研究事業」「B-cure(ゲノム医療実現推進プラットフォーム)」の各事業より、達成目標値を超える成果が創出された	
・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関 連遺伝子の同定数 25件	106件 (70件)	A	「肝炎等克服実用化研究事業」「ゲノム創薬基盤推進研究事業」「難治性疾患実用化事業」「B-cure(ゲノム医療実現推進プラットフォーム)」からの成果により、すでに目標値をクリアしている	

※ 「最新の数値」は、2022年3月31日時点の累計数、( )は昨年度、進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難



全ゲノム解析や多因子疾患研究に関する取組や、世界最高水準の医療の提供に資するデータ利活用推進基盤の構築に向けた計画を通じて、全体として着実に成果が創出されており、2021年度末の実績から勘案すると、2024年度末の目標達成は全項目において可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<b>&lt;アウトプット&gt;(続き)</b>				
• データ基盤構築の状況(連携、解析体制を含む)	-	A	「B-cure(ゲノム医療実現推進プラットフォーム)」では、バイオバンク横断検索システム第3版を公開し、「医療・介護・健康データ利活用基盤高度化事業」では、認知症対応型AI・IoTシステム連携を整備した	
• アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績	112件 (50件)	A	「B-cure(ゲノム医療実現推進プラットフォーム)(ゲノム研究バイオバンク)(東北メディカル・メガバンク計画)」より、継続的なデータ基盤の利活用が行われている	
• 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	1232件 (662件)	A	ゲノム・データ基盤プロジェクト内の全事業の研究開発成果として、論文掲載の累計数(R2~3年度)は昨年度(R2年度)の約2倍に至っており、継続性のある研究成果が創出された	クラリベイト InCites Benchmarking より集計
<b>&lt;アウトカム&gt;</b>				
• シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 25件	33件 (24件)	A	「ゲノム創薬基盤推進研究事業(1件)」「B-cure(ゲノム医療実現推進プラットフォーム)(8件)」からのシーズの導出により、すでに成果目標値をクリアしている	
• 臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 15件	12件 (4件)	A	「肝炎等克服実用化研究事業」「移植医療技術開発研究事業」「ゲノム創薬基盤推進研究事業」「成育疾患克服等総合研究事業」「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業」から、順調に成果が創出されている	
• 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 5件	5件 (2件)	A	R2年度に引き続き「ゲノム創薬基盤推進研究事業」から成果が創出されており、目標値をクリアしている	

※ 「最新の数値」は、2022年3月31日時点の累計数、( )は昨年度、進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難

## (1) 関係府省の主な取組

ゲノム医療協議会における議論も踏まえ、全ゲノム解析の実施や日本人のゲノムデータの戦略的整備を進めるとともに、それらのゲノム・データ基盤構築のため、関係各省において以下の取組を推進した。

- 文部科学省においては、バイオバンク・ジャパンが保有するゲノム情報に付随する臨床情報を更新するシステムの導入や、東北メディカル・メガバンク計画における官民共同10万人全ゲノム解析に向けた取組の継続などを通じて、大規模ゲノム・データ基盤の構築に貢献した。
- 厚生労働省においては、革新的がん医療実用化研究事業や難治性疾患実用化研究事業において、全ゲノム解析等実行計画に基づき、全ゲノム解析等を進め、がんや難病等の医療の発展や個別化医療の推進に貢献した。また、ゲノム解析による疾患の新たな病型の同定や、ヒト以外の生物の世界標準ゲノム塩基配列（リファレンス）を決定するなど、今後の医療の発展に貢献した。

## (2) 顕著な研究開発成果等

### 新しい成人急性リンパ性白血病の分子分類 ～成人に好発する予後不良病型と日本人最大病型の発見～

日本人のAYA・成人急性リンパ性白血病354症例を分類・ゲノム解析をし、85%の症例に分子分類を行った結果、成人に好発する予後不良の2つの新規病型と日本人最大（約20%）の病型の同定に成功した。病型の特徴に応じた最適な治療法の確立と、急性リンパ性白血病の治療にも分子標的薬の有効性を見いだした。

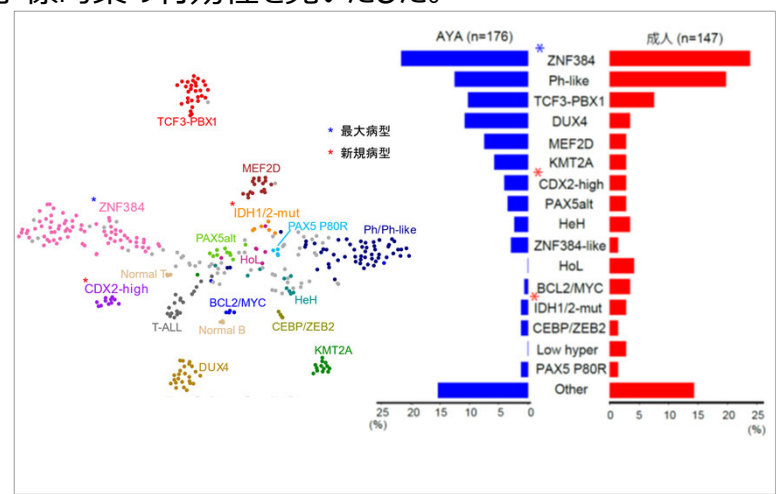
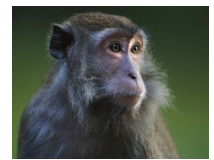


図. AYA・成人B細胞性急性リンパ性白血病の病型分類 掲載雑誌: Blood (2021)

## カニクイザルの世界標準ゲノム塩基配列を決定

核酸医薬の安全性と有効性の評価において重要なカニクイザルのゲノム塩基配列について、精度の高い短鎖塩基配列決定データとRNA転写開始点に関するデータを取得し、ゲノム塩基配列の精密化に成功した。その結果、様々な生物種におけるゲノム配列の標準（リファレンス）を選定している米国NCBIのRefSeqデータベースに採用され、世界中の研究者が標準的に利用するデータとして位置付けられた。



本成果は、医薬品、特に核酸医薬の安全性・有効性評価に大きく貢献するものである。

Name	Submitter	Date	Assembly	RefSeq
MFA1912RKSv2	Keio University / RIKEN	10/26/2021	Chromosome	representative genome (current) <span style="color:red">→</span>
mfascicularis_v7_phase1	PFIZER	07/08/2020	Scaffold	na
mfascicularis_v7_1	PFIZER	06/05/2020	Scaffold	na
mfascicularis_v7_phased1	PFIZER	06/05/2020	Scaffold	na
mfascicularis_v7_phased	PFIZER	06/05/2020	Scaffold	na
Macaca_fascicularis_6.0	Baylor College of Medicine Human Genome Sequencing Center	03/10/2020	Chromosome	na
Macaca_fascicularis_5.0	Washington University (WashU)	06/12/2013	Chromosome	representative genome (previous)
CE_1.0	Beijing Genomics Institute	10/19/2011	Chromosome	na
MacFas_Jun2011	F. Hoffmann-La Roche Ltd	07/23/2011	Chromosome	na

図. カニクイザルのゲノムアSEMBラー一覧。今回構築したMFA1912RKSv2が標準として採用された（赤矢印）。

# 5. 疾患基礎研究プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
令和3年度予算額177億円

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

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

■ 文科省、■ 厚労省、■ 経産省

## 疾患メカニズムの解明、 生命現象の機能解明等を目的とする研究(177.4億円)

がん・難病  
(17.2億円)

- 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

生活習慣病・  
成育  
(9.5億円)

- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業
- 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
- 女性の健康の包括的支援実用化研究事業

老年医学・  
認知症

- 脳とこころの研究推進プログラム
- 老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

精神・  
神経疾患  
(76.9億円)

- 認知症研究開発事業
- 長寿科学研究開発事業
- 慢性の痛み解明研究事業

感染症  
(73.7億円)

- 新興・再興感染症研究基盤創生事業
- 肝炎等克服実用化研究事業
- エイズ対策実用化研究事業

導出

企業(製薬、医療機器、ベンチャー等)

他PJの臨床  
研究等と連携

循環型の研究  
支援体制を構築

rTR\*の実施

1. 医薬品PJ
2. 医療機器・ヘルスケアPJ
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療PJ
4. ゲノム・データ基盤PJ

臨床研究中核病院  
による医師主導治  
験等の支援

橋渡し研究支援拠点

臨床研究中核病院

認知症等対策官民イノベーション実証基盤整備事業

創薬支援ネットワーク

医療機器開発支援ネットワーク

(※rTR:リバーシ・トランスレーショナル・リサーチ)

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

研究開発

より大きな成果の一刻も早い創出、実用化を実現するため、戦略的な研究費の配分を行い、効果的な研究開発の推進や研究基盤整備、研究開発成果の導出を加速するため双方向トランスレーショナルリサーチを推進した。全ての達成目標において、2021年度末の実績から勘案すると2024年度末の目標達成は可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<b>&lt;アウトプット&gt;</b>				
<ul style="list-style-type: none"> <li>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 400件</li> </ul>	1015件 (349件)	A	統合PJ 内、統合 PJ を超えた異なる疾患・事業間連携の更なる発展による研究基盤の強化、国際的に高い価値を有する研究の導出などの成果創出が認められ、2021年度末の実績から勘案すると2024年度末の目標達成は可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。	クラリベイト InCites Benchmarkingより集計
<ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul>	1528件 (783件)	A	統合PJ 内、統合 PJ を超えた異なる疾患・事業間連携の更なる発展による研究基盤の強化、国際的に高い価値を有する研究の導出などの成果創出が認められ、順調に進捗していると評価できる。	クラリベイト InCites Benchmarkingより集計
<b>&lt;アウトカム&gt;</b>				
<ul style="list-style-type: none"> <li>シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 10件</li> </ul>	6件 (3件)	A	双方向トランスレーショナルリサーチの推進による成果導出の加速、事業間連携の強化による共同研究への展開などの成果創出が認められ、2021年度末の実績から勘案すると2024年度末の目標達成は可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。	

※ 「最新の数値」は、2022年3月31日時点の累計数、( )は昨年度、進捗：A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難



(1) 関係府省の主な取組

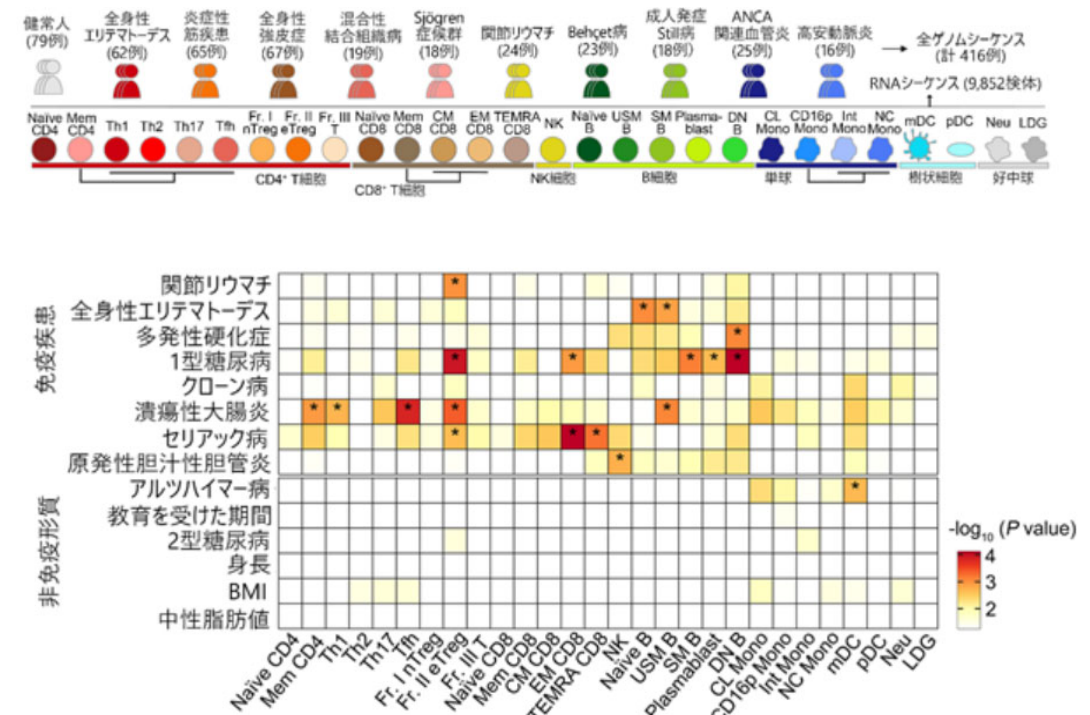
- 脳とこころの研究推進プログラムにおいて、「精神・神経疾患メカニズム解明プロジェクト」及び「領域横断的かつ萌芽的脳研究プロジェクト」を開始し、特にデータサイエンスとの連携などの異分野との融合研究、双方向トランスレーショナルリサーチや若手の人材育成を推進した。
- 平成31年1月に厚生労働省において発出した「免疫アレルギー疾患研究10か年戦略」に基づき、免疫アレルギー疾患の病因・病態の解明等に関する研究、エビデンスの創出や新規創薬に資する研究を推進した。

(2) 顕著な研究開発成果事例

・免疫の個人差をつかさどる遺伝子多型の機能カタログを作成  
—多様な免疫細胞ごとの違いと疾患による修飾が明らかに—

東京大学の藤尾圭志教授らは、日本人の免疫疾患患者および健常人の末梢血から分取した28種類の免疫細胞の遺伝子発現を定量化し、遺伝子多型が遺伝子発現に与える影響をカタログ化。このカタログを用いて、さまざまな免疫疾患発症に関わる細胞種や遺伝子を明らかに。本研究の成果は、免疫に関わるさまざまな病態のゲノム研究に応用可能であり、治療標的の同定や病態解明につながることを期待。本成果は、2021年4月に「Cell」に掲載。

【免疫アレルギー疾患実用化研究事業】



【免疫疾患の発症と関わる免疫細胞の同定】

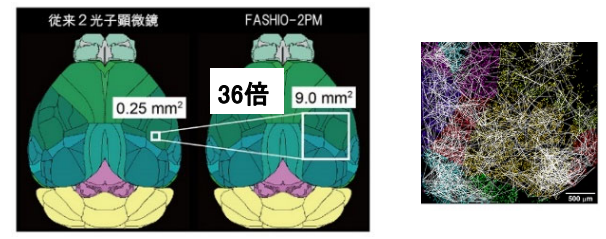


(2) 顕著な研究開発成果事例

・ 革新技术による脳機能解明と認知症の理解

① 脳の広域ネットワーク活動を観察できる顕微鏡を開発

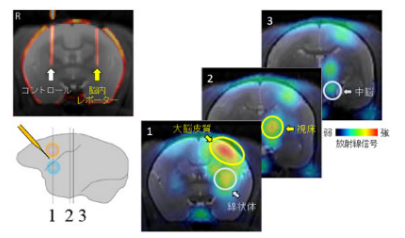
理化学研究所の村山正宜チームリーダーらは、広視野・高解像度・高速撮像・高感度・無収差を同時に満たす世界初の2光子顕微鏡を開発。1万6000個以上の神経細胞活動を同一視野で観測し、神経活動の細胞間ネットワーク解析を行った結果、大脳新皮質は情報処理においてコストがかかりにくいエコなシステム性を持つことを発見。(Neuron : 2021年4月)



従来の2光子顕微鏡と本技術で 大脳新皮質の観察できる視野の比較 スモールネットワーク

② 脳病態の神経回路の状態をPETにより画像化する技術を開発

量子科学技術研究開発機構の樋口真人部長らは、脳内の神経回路の活動異常を画像化する技術を開発。認知症の病因タンパク質が脳内に異常蓄積する最初期の過程を可視化。(EMBO Journal : 2021年10月)



霊長類脳で回路の構造を画像化

【革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト（革新脳）】

・ COVID-19患者で循環血小板凝集塊が重症度や死亡率と強く相関することを独自技術により発見

東京大学の西川真子助教らは高速で流れる血液サンプルの高感度光学撮像をAIで解析して細胞成分の検出・特徴情報取得ができる独自技術を活用。

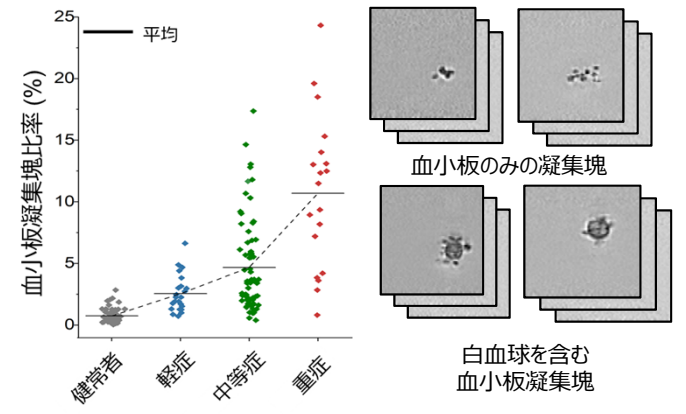
患者110名の血液には著しく多数の血小板凝集塊が存在し、その出現頻度は重症度や死亡率等と強く相関することを発見。

COVID-19の重症度・死亡率の重要な要因である血栓症の発症機序や後遺症の解明、臨床現場における診断、治療戦略に資すると期待。

本成果は、「Nature Communications」に掲載（2021年12月）。

【新興・再興感染症研究基盤創生事業】

COVID-19入院患者血液中の血小板凝集塊は、重症度、死亡率と関連がある



循環血小板凝集塊の出現頻度と重症度の関係性

# 6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト

日本医療研究開発機構対象経費  
令和3年度予算額231億円

アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制を構築し、新規モダリティの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究や、国際共同研究を実施する。また、橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院において、シーズの発掘・移転や質の高い臨床研究・治験の実施のための体制や仕組みを整備するとともに、リバース・トランスレーショナル・リサーチや実証研究基盤の構築を推進する。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

■ 文科省、■ 厚労省、■ 経産省

## アカデミアシーズの育成(98.0億円)

アカデミア連携によるシーズの創出・育成研究

● 革新的先端研究開発支援事業

他PJの研究へ展開・連携

導出

企業(製薬、医療機器、ベンチャー等)

1. 医薬品PJ
2. 医療機器・ヘルスケアPJ
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療PJ
4. ゲノム・データ基盤PJ

革新的医療技術創出拠点(文部科学省:橋渡し研究支援拠点、厚生労働省:臨床研究中核病院)

臨床研究中核病院による医師主導治験等の支援

TR/ARO機能を活用したアカデミアシーズの研究開発の推進

● 革新的医療シーズ実用化研究事業

● 橋渡し研究プログラム

● 橋渡し研究戦略的推進プログラム

臨床研究等の実施に係る体制の整備及び人材育成

● 臨床研究開発推進事業(医療技術実用化総合促進事業)

● 研究開発推進ネットワーク事業

● 臨床研究・治験推進研究事業

連携・協力

## 研究基盤の整備(97.9億円)

文部科学省:アカデミアシーズの育成支援

厚生労働省:医師主導治験等の臨床研究の支援

経済産業省:実証研究基盤の構築

サービス・製品等の創出に資する実証フィールドの整備

他のPJにおける認知症研究と連携

● 認知症等対策官民イノベーション実証基盤整備事業

## 国際事業(35.5億円)

● 医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業

● 地球規模保健課題解決推進のための研究事業

● ヒューマン・フロンティア・サイエンス・プログラム

創薬支援ネットワーク

医療機器開発支援ネットワーク

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

シーズ研究

基盤

国際

# ⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト

(◎文、厚、経)

プロジェクト内外の事業間連携及び外部機関との連携により画期的な基礎研究から革新的なシーズを創出するとともに、その成果を企業連携・実用化に繋げ、国際展開のための基盤整備を進めた。数多くの論文掲載や企業導出、薬事承認等の成果が創出されており、2021年度末の実績から勘案すると2024年度末の目標達成は可能と考えられることから、順調に進捗していると評価できる。

2024年度末までの達成目標	最新の 数値	進捗	進捗の詳細(含む成果と要因分析) ※達成に向けた過程等を総合的に勘案	備考 (出典、留意事項等)
<b>&lt;アウトプット&gt;</b>				
・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 550件	645件 (180件)	A	AMED-CREST, PRIME, FORCE, LEAPの推進により画期的な研究成果を「Nature」「Nature Aging」等に論文発表しており、2024年度末の目標達成に向けて十分な進捗がみられると評価できる。	クラリベイト InCites Benchmarkingより集計した、※R2年度は革新的先端研究開発支援事業のみ集計。
・医師主導治験届の提出件数(体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数) 170件	64件 (26件)	B	革新的医療技術創出拠点におけるシーズの育成及び質の高い臨床研究・治験の実施のための体制整備により、COVID-19感染拡大による遅れは認められるものの2021年度は年度目標(34件)を上回る成果を示しており、今後の進捗が期待できる。	
・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	511件 (183件)	A	革新的先端研究開発支援事業の新規領域「感染症創薬基盤」「マルチセンシング」を含む4領域で公募・選考を進め、アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制の構築により基礎的研究の成果が多数報告され、2024年度末の目標達成に向けて十分な進捗がみられると評価できる。	クラリベイト InCites Benchmarkingより集計した、※R2年度は革新的先端研究開発支援事業のみ集計。
<b>&lt;アウトカム&gt;</b>				
・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 125件	178件 (80件)	A	事業間連携の取組により有望な研究成果が他の統合プロジェクトや企業に導出され、2024年度末の目標達成に向けて十分な進捗がみられると評価できる。	
・医薬品等の薬事承認申請の件数 30件	20件 (11件)	A	革新的医療技術創出拠点における基礎研究から臨床研究まで一貫した循環型の研究支援体制の構築により、2021年度末までに薬事承認申請20件を達成し、順調に進捗していると評価できる。	

※ 「最新の数値」は、2022年3月31日時点の累計数、( )は昨年度、進捗: A. 順調に進捗している B. 進捗が不十分 N. 現時点で評価が困難

## ⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト

### (1) 関係府省の主な取組

- 橋渡し研究プログラムに関連し、文部科学省において、令和3年4月に新たに橋渡し研究支援機関認定制度の公募を開始し、申請のあった11機関を橋渡し研究支援機関として認定した。
- 革新的先端研究開発支援事業において、文部科学省では、令和4年度の研究開発目標を新たに設定した。老化分野の目標については、JSTにおける理工学系の基礎研究課題との連携により、幅広い分野からの提案に基づいた老化研究の推進および医療シーズの創出を図っていく。

### (2) 顕著な研究開発成果事例

#### ・ GABAを標的とする抗腫瘍免疫機構-代謝物を介した免疫細胞間制御の一端を解明-

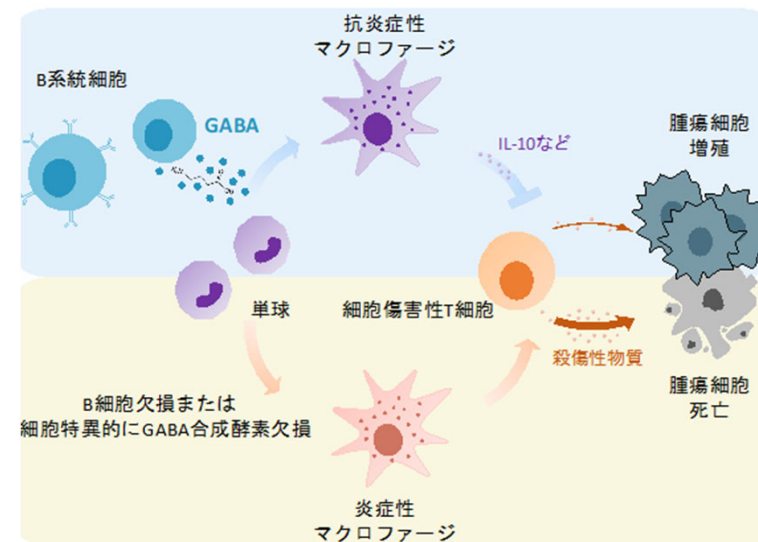
理化学研究所のシドニア・ファガラサン チームリーダーらの共同研究グループは、神経伝達物質として知られているγ-アミノ酪酸（GABA）が末梢の活性化B系統細胞により、合成および分泌されることを発見。

B細胞由来のGABAは、単球から抗炎症性マクロファージへの分化を促進し、インターロイキン-10（IL-10）の産生を増強することで、細胞傷害性T細胞の機能を阻害することが明らかに。

マウスモデルでは、B細胞欠損またはB細胞特異的にGABA合成酵素GAD67を欠損すると、抗腫瘍免疫反応が増強。

GABAまたは類似の代謝産物を制御し、腫瘍、自己免疫疾患や感染症時の免疫応答制御を可能にする医薬品の開発に期待。

【革新的先端研究支援事業（AMED-CREST 疾患代謝領域、FORCE）】



B細胞由来GABAを標的とする抗腫瘍免疫機構

Zhang et al., *Nature* (2021) 599, 471.

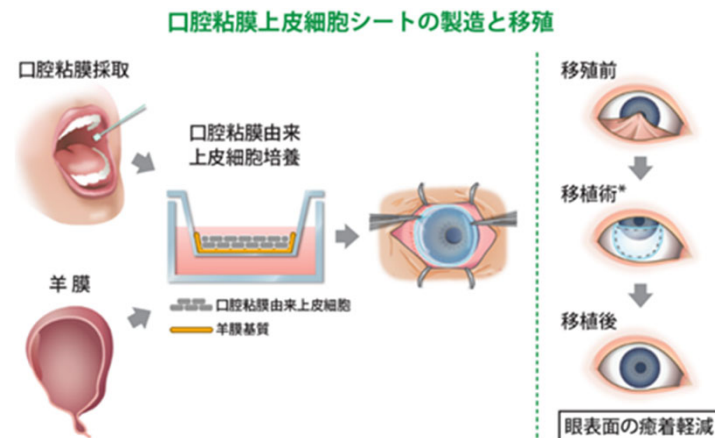


(2) 顕著な研究開発成果事例

・ヒト羊膜基質使用ヒト（自己）口腔粘膜由来上皮細胞シートの製造販売承認

難治性眼表面疾患は角膜上皮幹細胞の疲弊により重篤な視力障害を招くが、従来型の角膜移植では効果を得られず、視力改善に有効な治療法が無かった。京都府立医科大学の外園千恵教授らは、患者自身より採取した口腔粘膜組織から分離した細胞をヒト羊膜から調整した羊膜基質上に播種・培養して製造した培養自家口腔粘膜上皮シート移植を開発、世界で初めて移植に成功。2017-2019年度に橋渡し研究支援拠点（京都大学）の支援により多施設共同医師主導治験を実施し、有効性を確認。2022年1月20日、導出先のひろさきLI（株）において製造販売承認取得。

【橋渡し研究戦略的推進プログラム】

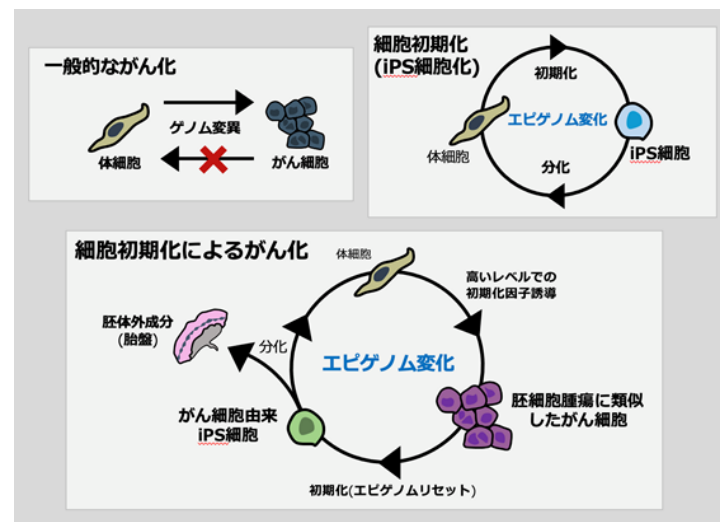


・がん細胞を経由するiPS細胞の新しい樹立経路の発見

—遺伝子変異を介さない細胞初期化によるがん化メカニズムを解明—

東京大学医科学研究所の山田泰広教授らのグループは、生体内で細胞初期化（iPS細胞化）を誘導できる遺伝子改変マウスを使用することで、全能性の特徴を持つがんである胚細胞腫瘍の発生過程には、遺伝子変異とは独立した、エピゲノム制御の変化にもとづいた細胞の初期化が重要であることを発見。がん細胞を経由するiPS細胞の新しい樹立経路を提示。特定の遺伝子変異が見つからないがんの発生メカニズムの解明や、その特徴に着目した新規がん治療法の開発に期待。

【戦略的国際共同研究プログラム（SICORP）】  
 【革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST）】  
 【次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE）】



細胞初期化によるエピゲノム発がん

医療分野研究開発推進計画上の記載 令和3年度の取組

**3.1 世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発**  
**(1) 医療分野の研究開発の一体的推進** (◎健医、総、文、厚、経)

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

具体的には、独立行政法人日本学術振興会（JSPS）では、科学研究費助成事業により研究者の自由な発想に基づく研究を推進する。

AMEDは、資金配分機関として、国が定めた戦略に基づき、科学研究費助成事業等で生まれたシーズも活用しつつ、医療分野の実用化のための研究開発を基礎段階から一貫して推進する。

また、他の資金配分機関として、例えば、国立研究開発法人科学技術振興機構（JST）ではライフサイエンス分野等の基礎的・基盤的な研究開発を推進し、国立研究開発法人新エネルギー・産業技術総合開発機構（NEDO）では工学分野等の産業技術の研究開発を推進しているところである。これらの機関の研究開発は、医療分野の研究開発につながり得るもの、あるいはそれを支えるものであることから、医療分野との融合領域等について、AMEDは他の資源配分機関とも適切に連携・分担を図る。

さらに、各インハウス研究機関においても医療分野の研究開発を行っているところであり、AMEDの研究開発支援とも適切に連携・分担を図りつつ、全体として戦略的・体系的な研究開発を推進していく。

特に、AMED及びインハウス研究機関が推進する医療分野の研究開発については、国の方針・戦略を踏まえて推進するものであることから、統合プロジェクト以外の予算も含め関連予算を戦略的・重点的に配分するため、推進本部において、有識者の意見も踏まえつつ、関係府省・機関に対して、一元的な予算要求配分調整を実施する。

また、医療分野の研究開発に関連する他の資金配分機関、インハウス研究機関及びAMEDの間で情報共有・連携を十分に確保できる仕組みを構築する。

- 健康・医療戦略推進本部のもと、統合プロジェクト関連の協議会やインハウス連絡調整会議等において産業界、アカデミア等の関係者が連携し研究開発を一体的に推進している。令和3年度には、ワクチン開発に係る我が国の課題等について医薬品開発協議会で検討された結果を踏まえ、「ワクチン開発・生産体制強化戦略」を令和3年6月1日に閣議決定するなどの成果があった。
- 科学研究費助成事業で生まれたシーズについては、AMED-CRESTで19課題、PRIMEで29課題を採択し研究成果を実用化にむけて展開を図った。また、橋渡し研究支援拠点において、アカデミアの基礎研究成果を発掘・支援するシーズのうち科研費シーズが計24件あり、AMEDは基礎段階から一貫したシーズ研究開発を推進した。AMEDと科学技術振興機構（JST）が、共通の研究開発目標/戦略目標のもと、4つのプログラム（AMED-CREST、PRIME、CREST、さきがけ）でそれぞれ研究開発領域/研究領域を同時に立ち上げ、互いに連携しながら研究を進めている。令和3年度は研究代表者等のAMED/JST合同領域会議を行い、課題間の情報交換を図った。
- AMEDは理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所及び産業技術総合研究所と連携して、創薬支援ネットワークを構築し、知財・研究戦略策定、プロジェクトマネージメント、技術支援等、様々な支援を実施している。令和3年度は創薬ナビで23件の相談に対応し、また、68件の伴走支援を行った。
- 医療機器開発支援ネットワークにおいて、AMEDは産総研等と連携し、企業・大学等に対して専門コンサルタントによる対面助言等を行い、切れ目のない支援を実施。AMEDを事務局として80の地域支援機関等に「ワンストップ窓口」を設置し、令和3年度は154件の相談に対応し、うち102件の伴走コンサルを実施した。
- AMED及びインハウス研究機関における医療分野の研究開発について、専門調査会における審議を踏まえ、令和3年6月に資源配分方針を本部決定し、内閣府と関係省庁が共同して予算要求の調整を行うなど、一元的な予算要求配分調整を実施した。

医療分野研究開発推進計画上の記載 令和3年度の取組

**3.1世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発**  
**(2) インハウス研究開発** (◎健医、文、厚、経)

関係府省が所管するインハウス研究機関が行っている医療分野のインハウス研究開発については、推進本部の事務局、関係府省、インハウス研究機関及びAMEDの間で情報共有・連携を恒常的に確保できる仕組みを構築するとともに、推進本部の有識者会議やAMED等の有識者の意見を伺いつつ、インハウス研究機関との連携の下、研究開発の進捗状況の把握や資源配分の方向性の取りまとめなど、一元的な予算配分要求調整を推進本部において実施する。

この枠組みを用いて、医療分野のインハウス研究開発の今後の方向性について、各機関の特性を踏まえつつ、以下のような点をはじめとして検討し、2020年度中に取りまとめる。

- 各インハウス研究機関が今後重点的に取り組む医療分野の研究開発のテーマ、研究課題の設定方法
- 各インハウス研究機関における医療分野の研究開発の評価の在り方
- AMEDとインハウス研究開発機関の連携や役割分担の在り方。例えば、
  - インハウス研究開発の成果のAMEDが支援する研究開発での活用
  - AMEDが支援する研究開発に資する基盤的な研究開発をインハウス研究機関で推進

**3.1世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発**  
**(4) ムーンショット型の研究開発** (◎AMED室、科技、文、厚、経)

100歳まで健康不安なく人生を楽しめる社会の実現など目指すべき未来像を展望し、困難だが実現すれば大きなインパクトが期待される社会課題に対して、健康・医療分野においても貢献すべく、野心的な目標に基づくムーンショット型の研究開発を、戦略協議会等を通じて総合科学技術・イノベーション会議で定める目標とも十分に連携しつつ、関係府省が連携して行う。

- 健康・医療戦略に基づき、内閣府健康・医療戦略推進事務局、関係省、インハウス研究機関及びAMEDの間で情報共有・連携を恒常的に確保する仕組みとして2020年度にインハウス連絡調整会議を設置した。
- これを踏まえ、2021年度においては、インハウス研究機関間およびAMEDとの更なる連携強化により医療分野の研究開発を推進する観点から、これまでの連携事例についての類型化とそれぞれが成果に結びつくようなベストプラクティスに向けた検討を行った。また、限られた研究開発予算を効率的に活用し、効果的な研究開発を行う観点から、複数のインハウス研究機関間で連携して、整備・利活用を検討すべき研究施設・設備等についても検討を行った。これらの検討内容をインハウス連絡調整会議（2022年4月開催）において取りまとめた。
- 具体的なインハウス研究機関の取組としては、例えば、理化学研究所においては、新型コロナウイルス由来のウイルスRNAを1分子レベルで識別して5分以内に検出する革新的技術（SATORI法）を開発するなど、ヒトの生物学的理解を通じた健康長寿の実現等を目指して、基盤的な技術開発を行うとともに、ライフサイエンス分野の研究開発を戦略的に推進した。
- また、医薬基盤・健康・栄養研究所等においては、世界最高水準の研究開発・医療を目指して新たなイノベーションを創出するために、新たなニーズに対応した研究開発や効果的な研究開発が期待される領域等について積極的に取り組んだ。
- 更に産業技術総合研究所においては、創薬支援ネットワークにおけるリード最適化の支援に活用できる技術として、薬剤送達治療を目的とするマイクロマシンの開発等に取り組んだ。
- 詳細については、参考資料5「医療分野研究開発推進に向けた関係機関の連携強化について」を参照。

- 令和3年度は、採択された5人のPMの研究開発活動を開始したほか、令和3年4月の日米共同声明において、がんムーンショット分野での研究開発協力が盛り込まれたことを踏まえ、令和3年度補正予算において所要の経費を措置し、令和4年1月に研究開発構想を改定したうえで、同年3月に公募を開始した。



医療分野研究開発推進計画上の記載	令和3年度の取組
------------------	----------

**3.1世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発**  
**(5) 疾患領域に関連した研究開発** (◎健医、総、文、厚、経)

3.1(3)で述べた6つの統合プロジェクトの中で、疾患領域に関連した研究開発も行う。

その際、多様な疾患への対応が必要であること、感染症対策など機動的な対応が必要であることから、統合プロジェクトの中で行われる研究開発を特定の疾患ごとに柔軟にマネジメントできるように推進する。

特に、2040年の人口動態を見据え、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野については、戦略的・体系的な研究開発が推進されるよう、具体的な疾患に関するプロジェクト間の連携を常時十分に確保するとともに、研究開発の状況を適切に把握する。

(以下略)

- 疾患領域に配置したDCのもと、関連PD、PS、PO等と連携しながら研究開発を推進した。AMS（AMED研究開発マネジメントシステム）により、各疾患領域の予算や開発動向を分析し、マネジメントの向上、研究開発の推進に活用した。複数の統合プロジェクトにまたがる疾患関連事業等をモダリティを軸とした組織の中で円滑にマネジメントするため、当該事業の運営に関する深い管理職を新たに疾患調査役にアサインするとともに、関係課室の推進体制や役割分担を改めて明確化し、DCのサポートも含め、組織的な対応の強化を図った。
- 個々の疾患領域については、疾患領域の特性に応じPSPO会議等を活用し、関連する事業の柔軟なマネジメントや事業推進を図った。

(がん)

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

- 「次世代がん医療創生研究事業」において、小児肝腫瘍の発生機序を解明した（東京大学）ほか、「革新的がん医療実用化研究事業」において、家族性大腸腺腫症患者での低用量アスピリン服用によりポリープの増大を有意に抑制することを明らかにする（京都府立医科大学）などの成果を創出。

(生活習慣病)

- 個人に最適な糖尿病等の生活習慣病の重症化予防方法及び重症化後の予後改善、QOL向上等に資する研究開発。AI等を利用した生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法の確立
- 循環器病の病態解明や革新的な予防、診断、治療、リハビリテーション等に関する方法に資する研究開発
- 慢性腎臓病の診断薬や医薬品シーズの探索及び腎疾患の病態解明や診療工ビデンスの創出に資する研究開発
- 免疫アレルギー疾患の病態解明や予防、診断、治療法に資する研究開発

- 「循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業」において、大規模リアルワールドデータによりSGLT2阻害薬は蛋白尿の有無に関わらず、腎保護効果があることを見いだした（川崎医科大学）ほか、「免疫アレルギー疾患実用化研究事業」において、遺伝子多型が各種免疫細胞の遺伝子発現に与える影響をカタログ化し、様々な免疫疾患の発症に関わる免疫細胞種や遺伝子を明らかにした（東京大学）。



3.1世界最高水準の医療の提供に資する医療分野の研究開発

(5) 疾患領域に関連した研究開発 (◎健医、総、文、厚、経) (つづき)

<p>(精神・神経疾患)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>可視化技術導入等による慢性疼痛の機序解明、QOLの向上に資する治療法や、画期的な治療法開発に向けた慢性疼痛の定量的評価の確立に資する研究開発</li> <li>精神・神経疾患の克服に向けて、国際連携を通じ治療・診断の標的となり得る分子などの探索及び霊長類の高次脳機能を担う脳の神経回路レベルでの動作原理等の解明</li> <li>精神疾患の客観的診断法・障害 (disability) 評価法や精神疾患の適正な治療法の確立並びに発症予防に資する研究開発</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>「脳とこころの研究推進プログラム (戦略的国際脳科学研究推進プログラム)」では、オープンサイエンスの推進に資するべく、多施設で集めた複数疾患の脳画像ビッグデータを非制限公開データセットとして国内外に公開した。これにより、さらに精度の高い診断マーカーの開発や、より進化したハーモナイゼーション法の開発等の精神疾患研究の進展に貢献することが期待される (国際電気通信基礎技術研究所、東京大学)。「脳とこころの研究推進プログラム (脳科学研究戦略推進プログラム)」において、孤独を感じ仲間を求める親和的社会性に重要な分子と神経回路を発見した (理化学研究所)。</li> </ul>
<p>(老年医学・認知症)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>モデル生物を用いた老化制御メカニズム及び臓器連関による臓器・個体老化の基本メカニズム等の解明</li> <li>認知症に関する薬剤試験対応コホート構築やゲノム情報等の集積及びこれらを活用したバイオマーカー研究や病態解明等</li> <li>認知症に関する非薬物療法の確立及び官民連携による認知症予防・進行抑制の基盤整備</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>「認知症研究開発事業」において、網羅的ゲノム解析とインフォマティクス統合解析により日本人の認知症発症に関連する新規遺伝子を同定した (新潟大学) ほか、「戦略的国際脳科学研究推進プログラム」にて光酸化触媒を用いて、アミロイドβペプチド(Aβ)の凝集抑制ができること及びそれに凝集Aβの除去作用があることを明らかにした (東京大学)。</li> </ul>
<p>(難病)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>様々な個別の難病に関する実用化を目指した病因・病態解明、画期的な診断・治療・予防法の開発に資するエビデンス創出のためのゲノムや臨床データ等の集積、共有化</li> <li>上記の取組による病態メカニズム理解に基づく再生・細胞医療、遺伝子治療、核酸医薬などの新規モダリティ等を含む治療法の研究開発</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>「難治性疾患実用化研究事業」において、リツキシマブが全身性強皮症、天疱瘡で承認 (東京大学、慶應義塾大学) されたほか、難病領域3事業の支援により、筋萎縮性側索硬化症の患者由来iPS細胞を用いた薬剤スクリーニングで同定された治験薬の医師主導治験を完了した (慶應義塾大学)。</li> </ul>
<p>(成育)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>周産期・小児期から生殖期に至るまでの心身の健康や疾患に関する予防・診断、早期介入、治療方法の研究開発</li> <li>月経関連疾患、更年期障害等の女性ホルモンに関連する疾患に関する研究開発や疾患性差・至適薬物療法など性差にかかわる研究開発</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>「成育疾患克服等総合研究事業」において、高度周産期医療センターのネットワークを構築し、重症新生児に対するゲノム解析の有用性を確認 (慶應義塾大学)。</li> </ul>
<p>(感染症)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ゲノム情報を含む国内外の様々な病原体に関する情報共有や感染症に対する国際的なリスクアセスメントの推進、新型コロナウイルスなどの新型ウイルス等を含む感染症に対する診断薬・治療薬・ワクチン等の研究開発及び新興感染症流行に即刻対応出来る研究開発プラットフォームの構築</li> <li>BSL4施設4を中核とした感染症研究拠点に対する研究支援や、感染症流行地の研究拠点における疫学研究及び創薬標的の探索等、予防・診断・治療に資する基礎的研究、将来のアウトブレイクに備えた臨床・疫学等のデータの蓄積・利活用</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>「新興・再興感染症研究基盤創生事業」において、これまで詳細な発症メカニズムが解明されていなかった、インフルエンザウイルス感染が細菌性肺炎を誘発するメカニズム (特定のタンパク質の関与) を解明した (大阪大学)。</li> </ul>

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和3年度 of 取組
------------------	-------------

**3.2 AMEDの果たすべき役割**  
 ○医療に関する研究開発のマネジメント (◎AMED室、文、厚、経)

- 世界の最新の情勢を把握したPD、PS、PO等が研究の実施、研究動向の把握・調査、シーズの探査・育成研究の強化（スクリーニングや最適化研究）や優れた基礎研究成果を臨床研究及び治験、産業化へつなげる一貫したマネジメント（研究の進捗管理・助言、規制対応等）及び適切な研究実施のための監視・管理機能など、研究開発の開始、推進、監視・管理、さらには、方針の転換に至るまで一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメント機能を果たす。
- 患者や医療現場、研究者、産業界等からのニーズを把握しつつ、AMED Management System (AMS)の活用、トランスレーショナル・リサーチ (TR) やrTRによる基礎と実用化の橋渡し、研究成果の有効活用や他領域への展開のためのデータシェアの促進等、事業間の連携及び研究開発のマネジメントを適切に行うとともに、事業間連携を推進する。
- 個別研究課題の選定においてピア・レビューを行うための評価委員会を設置し、評価の質及び公正性・透明性の一層の向上を図り、将来的な成果につながるシーズの育成や人材育成等の視点にも留意しつつ、成果が見込まれる研究課題を選定する。
- さらに、ピア・レビューの方法等について、国内外の知見の収集を行い、これまで各分野で異なっていた評価システムの共通化・最適化を進める。
- 学会、産業界、他の政府機関等の外部の知見も活用し、国内外の技術開発動向の把握など、シンクタンク機能を果たす。

- PDを中心に6つの統合プロジェクトをマネジメントする体制のもと、各統合プロジェクトの推進・発展を図った。
- 第二期戦略機能の発揮に向けて、AMSに搭載されたデータから明らかとなった研究課題の分析結果等について、PD全体会議や個別のPD・DC・事業担当との意見交換を行い、統合プロジェクト及び疾患領域のマネジメントやプロジェクト運営のあり方の検討に活用した。
- 具体の例は以下のとおり。
  - ✓ 医療機器・ヘルスケアプロジェクトにおける医療機器開発事業で特定の疾患を対象とした研究課題がある一方、同プロジェクト以外の事業でも医療機器に関する研究課題があることを明確化して議論し、今後のPJ間連携や疾患領域との連携を促進するきっかけとした。
  - ✓ 橋渡し研究戦略的推進プログラム・橋渡し研究プログラムとAMEDの他プロジェクトとの連携が促進するよう、当該プログラムで支援している研究課題に関する情報をプロジェクト間で共有できる仕組みを整備した。

**3.2 AMEDの果たすべき役割**  
 ○研究不正防止の取組の推進 (◎AMED室、文、厚、経)

- 基礎研究及び臨床研究における不正防止の取組を推進するため、AMEDは、専門の部署を置き、自らが配分する研究費により実施される研究に対して、公正かつ適正な実施の確保を図る。他の関係機関と連携を図りながら、業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正への対応に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成等に努める。

- 継続的な取組として、毎週1回RIO\*ネットワークメールマガジンを配信、研究公正シンポジウムや「研究公正に関するヒヤリハット集」を活用した講習会を開催したほか、研究機関職員向けに、研究公正の知識・能力の向上を図るため、実務的な事例を用いた講習会を開催した。また、研究者向けに、研究データの質向上を担う指導者を育成するための講習会を開催した。その他の取組として、研究倫理教育履修の時期を、これまでの「研究開発期間の開始初年度」から「研究開始前まで」に変更した。研究開発の透明性、公正性および信頼性をより確保するため、令和3年度分の利益相反管理状況報告書からAMEDfindに公表することとし、そのための準備を行った。
- \*: Research Integrity Officer: 研究公正責任者

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和3年度の取組
<p><b>3.2 AMEDの果たすべき役割</b>  <b>○研究データマネジメント</b> (◎AMED室、文、厚、経)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>AMEDが推進する研究については、研究の進捗状況の把握、研究データの管理（データ入力、集計、解析）、研究成果や知的財産の管理等の研究マネジメントを効率的に実施する。</li> <li>AMEDが実施した研究開発から得られたデータが持続的に共有されるよう、研究データ基盤のクラウド化を推進する。また、研究開発から得られたデータの共有を図るべく、まずは「ゲノム・データ基盤プロジェクト」においてデータシェアリングを推進し、その実施状況を踏まえつつ他の統合プロジェクトにおいてもデータシェアリングの実施を検討する。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>疾患領域のタグ付け情報もAMSシステムに取り込むことにより、統合プロジェクトと疾患領域の縦横な解析を円滑に行う仕組みとした。現行の研究開発タグの適切性や有用性、タグ付与作業の効率化や品質向上の検討を開始した。</li> <li>研究開発マネジメントのための更なる基盤強化等に向けた第2期独自の理事長の重点的推進方針として立ち上げた「三島イニシアティブ」の推進において、「AMEDにおける研究開発データの取扱いに関する基本方針」の策定や、データマネジメントプラン（DMP）を元にしたカタログの作成・公開を行い、研究開発データの利活用促進に繋げた。また、令和4年度公募において、作成した個人情報の第三者提供に関する同意書のひな型及び解説書についても、一部の課題における使用を開始するための調整を行っている。</li> </ul>
<p><b>3.2 AMEDの果たすべき役割</b>  <b>○実用化に向けた支援</b> (◎AMED室、文、厚、経)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>研究成果の実用化に向け、戦略的な知財管理を行うとともに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）や官民の支援機関等とも連携して、インキュベーション機能や産学官連携のマッチング機能を果たす。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>AMED内の知財コンサルタント（6名）や、主要地域に配置されているAMED知財リエゾン（18名）が連携して知財コンサルテーションを着実に実施（令和3年度：バイ・ドール報告受付約2,000件、相談対応約300件）したほか、国内外のマッチングイベントへの出展支援（令和3年度実績：約110課題）や、AMEDぷらっと（シーズ・ニーズマッチングシステム）の運営、知財・実用化調査（令和3年度実績：約30件）等の取組を進めた。</li> </ul>
<p><b>3.2 AMEDの果たすべき役割</b>  <b>○国際戦略の推進</b> (◎AMED室、文、厚、経)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>研究開発の推進に当たっては、海外の主要なファンディング機関等の関係機関や専門人材とのネットワーキングを活用するなど、適切な国際連携を図る。</li> <li>国際的な貢献も果たすため、グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応を行う。</li> <li>我が国の医療に係る研究能力を活用して国際的に貢献しつつ、世界の知を取り込み、国民への世界最高水準の医療提供に資するため、海外事務所も活用しつつ共同研究の推進・調整や情報収集・発信等を行う。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>令和3年度においては、リトアニア共和国保健省との臨床データ・バイオリソース分野におけるLOI（4月）および北欧3カ国FAとNordForskとの健康長寿分野におけるMOC（6月）署名など、海外研究機関とのネットワークを強化。日米医学協力計画のもとでの米国とのがん及び感染症分野における連携強化など、重点分野と国・地域を定めた戦略的な国際連携を推進した。</li> </ul>

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和3年度の取組
<p><b>3.2 AMEDの果たすべき役割</b>  <b>○基金等を活用した産学連携等への支援</b>（◎AMED室、文、厚、経）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>基金や政府出資を活用して中長期の研究開発を推進する。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>医療研究開発革新基盤創成事業（CICLE）については、令和3年度に5課題を採択した。ムーンショット型研究開発事業については、令和2年度に採択された5つの研究課題の研究開発活動を開始するとともに、令和3年度補正予算による新規公募を令和4年3月に開始した。新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対するワクチン開発については、課題運営委員会により、きめ細やかに進捗の把握・管理を行った。支援したモデルナワクチン（武田薬品）が令和3年5月に特例承認された。また、ノババックスワクチン（武田薬品）が令和3年12月に承認申請された。3課題（第一三共、塩野義製薬、KMバイオ）について、厚生労働省事業への橋渡しを実施した。</li> <li>ワクチン・新規モダリティ研究開発事業、ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成事業、創薬ベンチャーエコシステム強化事業それぞれについては、令和4年3月に基金を造成し、新規公募を開始した。</li> </ul>



医療分野研究開発推進計画上の記載	令和3年度 of 取組
<p><b>3.3 研究開発の環境の整備</b>  <b>○研究基盤の整備</b></p>	
<ul style="list-style-type: none"> <li>医療法（昭和23年法律第205号）上に位置付けられた国際水準の臨床研究や医師主導治験の中心的役割を担う臨床研究中核病院の機能を強化するとともに、臨床研究中核病院による質の高い臨床研究や医師主導治験の実施、他施設への支援等を促進する。（◎厚）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>A M E Dにおける「医療技術実用化総合促進事業」を通じ、臨床研究中核病院のA R O（Academic Research Organization）機能の強化、臨床研究中核病院の基盤を活用して複数機関が連携等を行い、質の高い臨床研究や医師主導治験の実施、他施設への支援等を促進した。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>アカデミアの優れた研究成果に基づくシーズを切れ目なく実用化するため、基礎研究段階から臨床試験段階まで一貫した研究開発支援を行う拠点となる橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院を整備するとともに、機械工学、情報工学等の関連分野及び拠点外の大学等との更なる連携強化やシーズ発掘・評価機能の向上を行う。（文、◎厚）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院の整備を推進するとともに、橋渡し研究支援拠点における医歯薬系以外の先端技術・知識を活用した研究開発支援や臨床研究中核病院におけるベンチャー支援相談窓口等を通じ、Medical Innovation Support Office（MEDISO）との連携も活用した医療系ベンチャー支援を行うことで、自施設内外のシーズを実用化につなげる取組を推進した。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>これまでの検討で整理された課題を踏まえ、我が国における臨床研究拠点としての国立高度専門医療研究センターの組織の在り方について早急に検討する。（健医、◎厚）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>令和2年4月に、6 N Cの横断的研究推進組織として、「国立高度専門医療研究センター医療研究連携推進本部（JH）」を設置。令和3年度より独法評価において本組織の活動状況を評価しており、これも踏まえ、引き続き本組織の状況や効果、課題の検証を行いながら、国立高度専門医療研究センターの組織の在り方について検討を進める。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>統合プロジェクトによって整備する研究基盤と、放射光施設、クライオ電子顕微鏡、スーパーコンピュータなどの既存の大規模先端研究基盤や先端的な計測分析機器等を備えた小規模施設との連携及び機器の共同利用等が可能となる体制を実現し、科学技術共通の基盤施設をより使いやすくし、医療分野の研究開発の更なる促進に活用する。（◎文、厚）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>「創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業（BINDS）」において、BSL3に措置したクライオ電子顕微鏡を活用し、ウイルスの侵入・排出・伝搬機構などを経時的な観察を可能とする体制を整備するなど、Covid-19感染症をはじめとする新興・再興感染症に即応することが可能な創薬基盤を構築した。また、大学等における研究設備・機器の共用を推進するため、文部科学省において、「研究設備・機器の共用促進に向けたガイドライン」を策定した。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>研究で得られたデータが産業利用を含めて有効かつ継続的に活用されるよう、IT基盤を含む個人の同意取得（E-consent）や倫理審査の円滑化、国際連携対応を想定した取得データの標準化等データ連携のための取組を進める。また、様々なデータ基盤に関する情報を見える化し、体系的な取組となるよう関係者間で連携を図る。（総、文、◎厚、経）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>令和3年6月30日に施行した「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」（令和3年文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第1号）において、インフォームド・コンセントの手続における電磁的方法について規定し、また、倫理審査の円滑化について、原則一の倫理審査委員会による一括審査を原則とする旨、規定を設けている。</li> <li>医療現場での有用性を考慮し、傷病名、アレルギー等の情報を格納する診療情報提供書等の文書の記述仕様を国際的な情報交換方式であるHL7 FHIR規格を用いて策定し、令和3年度に厚労省標準規格として採択した。</li> </ul>

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和3年度の取組
<p><b>3.3 研究開発の環境の整備</b></p> <p>○研究基盤の整備（つづき）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>バイオバンクについて、精密医療・個別化医療等への活用や研究開発成果の世界市場への展開を目指し、海外の取組も参考にしつつ、バイオバンクの構成や、試料・検体の種類の選択等を含め、戦略的に構築を進める。また、健康・医療・介護情報等とも連携して、臨床や社会実装に向けた研究基盤として、将来の民間の利活用も含め、関係者が活用出来る体制を産学官が連携して整備する（◎文、◎厚、経）</li> <li>我が国のこれまでのIHCCにおけるゲノムコホート研究での貢献を基礎に、ゲノムコホートの国際連携における我が国の連携統合窓口を創設する。また、ゲノム医療の実装段階への国際連携を視野に入れたIHCC、G2MCの活動に参加し、国際連携活動を強化する。（文、◎厚、経）</li> <li>臨床研究・治験をはじめとする医薬品等の開発を効率的に行うため、クリニカル・イノベーション・ネットワーク構想において、疾患登録システムの利活用等を進めるとともに、リアルワールドデータを活用した効率的な臨床研究・治験を推進するため、国内外の連携を想定しつつ、医薬品・医療機器の研究開発拠点である臨床研究中核病院における診療情報の品質管理・標準化、ならびに連結を進める。さらに、ヘルスケアサービスや各種バイオバンクとの連携により、健康から医療まで切れ目のない情報の連結を図りつつ、リアルワールドデータを蓄積する。また、国内外の連携を図りつつ、リアルワールドデータからリアルワールドエビデンスを抽出する際の我が国としてのフレームワークを検討し、薬事承認申請のエビデンスとして活用するためのルールの整備を行い、効率的な臨床研究・治験を推進する。（◎厚、経）</li> <li>国内の研究機関における感染症に係る基礎研究能力の向上及び病原体等の取扱いに精通した人材の育成・確保等を図るため、BSL4施設の整備等について、必要な支援を行うとともに国、大学及び自治体の地方衛生研究所等との連携を強化する。また、パンデミック対策のみならずバイオセキュリティ強化のため、米国CDC等も参考にしつつ我が国の危機管理対応能力の強化を図っていくとともに、緊急時の課題解決のための迅速な研究開発体制を整備する。（◎国際感染症室、新型インフル室、文、◎厚）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム（ゲノム医療実現推進プラットフォーム）の研究開発事業の一環として、3大バイオバンクをはじめ、国内主要バイオバンクの保有する試料・情報を横断的に検索する「バイオバンク横断検索システム」を整備し、令和3年度は第3版を公開した。</li> <li>国立がん研究センターは国際連携活動の一環として、2021年5月25～27日に行われたInternational HundredK+ Cohorts Consortium (IHCC) International Cohorts Summitにオンライン参加した。</li> <li>レジストリデータを医薬品等の承認申請に利活用するためのガイドライン2件を令和3年3月に発出し、その内容について適宜周知を行った。</li> <li>AMEDの「臨床研究・治験推進研究事業」及び「医療機器開発推進研究事業」において、レジストリを利活用した治験・臨床研究を支援した（令和3年度は医薬品に関する研究を15件、医療機器に関する研究を2件支援）。</li> <li>クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）中央支援事業において、全国のレジストリの一覧公開やレジストリ検索システムの改修によりマッチング検索機能を強化し、レジストリの構築、運営、利活用等に係る相談業務を行った。</li> <li>CIN推進支援事業では、レジストリ保有者と企業とのマッチングや、レジストリの改修を支援・補助する取組を実施した。令和3年度においては5件のレジストリ改修を支援した。</li> <li>臨床研究中核病院における診療情報の品質管理・標準化等については、診療情報を用いたデータ駆動型臨床研究を実施するため、6つのサブワーキンググループを設定し、MID-NETの経験を含む研修実施による人材育成、ユースケースの実装等により、品質管理・標準化に向けた体制整備を行った。</li> <li>「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本方針」（平成27年9月11日関係閣僚会議決定）や「長崎大学の高度安全実験施設（BSL4施設）整備に係る国の関与について」（平成28年11月17日関係閣僚会議決定）等を踏まえ、令和3年度においては文部科学省にてBSL4施設の整備等に必要となる経費として約22.8億円を計上した（長崎大学のBSL4実験施設は令和3年7月に竣工）。</li> <li>文部科学省設置の監理委員会を開催し、当該BSL4施設の稼働に向けて、安全確保の方策等の検討や地域における理解促進に向けた助言等を行った。</li> <li>患者の臨床情報や検体等を国立感染症研究所と国立国際医療研究センター等にて収集、解析し、その検体やデータを治療法やワクチン等を開発する研究機関に提供する体制を整えるための事業を進めている。令和3年度は、データ・検体を提供いただける複数の医療機関との契約締結、本格的なデータ・検体の組み入れを開始した。また、ゲノム解析結果等の利活用希望者への提供に向けた体制整備を行った。</li> </ul>

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和3年度の取組
<p><b>3.3 研究開発の環境の整備</b>  <b>○先端的研究開発の推進のために必要な人材の育成・確保</b></p>	
<ul style="list-style-type: none"> <li>医療分野の先端的な研究開発推進に必要な人材については、国内での育成のみならず、高度外国人材を含めて海外での経験を有する人材の確保も図る。特に、多様な分野の経験を有するバイオインフォマティシャン等、国内での育成のみでは十分な確保が難しい人材については、海外での経験を有する人材の確保を図る。(総、◎文、厚、経)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>海外での経験を有する人材の確保に向けて、Interstellar Initiative において、健康長寿をテーマに優秀な若手独立研究者 (PI) 国内19名・海外39名を採択、国際・学際的チーム19組を形成し、国内外の著名な研究者をメンターとする国際ワークショップや予備研究を通じて、新規シーズ創出 (研究計画立案) を推進した。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>基礎から臨床研究及び治験の各フェーズ、様々なモダリティ等や疾患領域、さらにはそれらの横断領域等の研究の担い手となる優れた研究者を、若手や女性を含めて育成・確保する。(◎文、厚、経)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>令和3年度から開始した「脳とこころの研究推進プログラム (領域横断的かつ萌芽的脳研究プロジェクト)」において、「研究開発代表者の約3割以上を若手研究者」とする若手研究者枠を設け、採択を実施した。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>臨床研究及び治験の効率的・効果的な推進のため以下の人材を育成・確保する。また、この際、医学部における臨床研究分野の教育の充実、そのほか教育訓練やe-learning の更なる整備等、臨床研究及び治験関連業務に従事する者に対する臨床研究及び治験に係る教育の機会の確保・増大を図る。(文、◎厚)             <ul style="list-style-type: none"> <li>i. 臨床研究及び治験において主導的な役割を果たす専門的な医師等</li> <li>ii. 臨床研究及び治験関連業務を支援又は当該業務に従事する人材 (臨床研究コーディネーター (CRC)、データマネージャー、治験・倫理審査委員会委員等)</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>臨床研究・治験を実施する人材育成については臨床研究中核病院が主催し、当該機関以外の者を対象とする研修を実施している。特に医師 (研究者) を対象とした研修形態として、令和2年度よりOJTを取り入れた。令和3年度は145名が研修に参加した。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>基礎研究段階から臨床試験段階まで一貫して効率的にシーズ研究開発を行うため、大学等の現場において、研究者・企業等との協力の下で医薬品・医療機器等の開発戦略・計画の策定・管理や薬事・特許等の総合調整、及び開発のgo/no-go判断を行うスキルを有する人材の育成と確保を推進する。(◎文、経)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>大学等の橋渡し研究支援拠点において、実用化研究に関する人材を継続的に育成し、橋渡し研究支援拠点外も含めて人材・ノウハウを供給する仕組みを構築した。また、令和3年度に「橋渡し研究支援機関」を認定・フォローアップする制度を新たに開始し、11機関を認定した。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>爆発的に増加している医療関係データや情報等を効果的に活用し、解析数の増大が見込まれるゲノム解析など今後のライフサイエンス分野の研究開発を進展させる上で必要不可欠なバイオインフォマティクス人材、医療分野におけるAIの研究開発・活用を進めるための医療従事者等の人材、データの連携のためサイバーセキュリティ人材の育成と確保を推進する。(◎文、厚)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>バイオインフォマティクス人材等の受け皿拡大のため、「精神・神経疾患メカニズム解明プロジェクト」において、チーム型研究体制にデータサイエンティストを組み入れることを設定し、令和3年度中は21課題中18課題においてデータサイエンティストと連携した。</li> </ul>



医療分野研究開発推進計画上の記載	令和3年度の取組
<p><b>3.3 研究開発の環境の整備</b>  <b>○先端的研究開発の推進のために必要な人材の育成・確保（つづき）</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>生物統計家などの専門人材及びレギュラトリーサイエンスの専門家の育成・確保等を推進するとともに、研究者に対してレギュラトリーサイエンスや知財等の実用化に必要な教育を推進する。（文、◎厚、経）</li> <li>再生医療の基盤を整備することで、単独での臨床研究を実施できない研究機関や医療機関、ベンチャー企業等に対しての技術的支援、人材交流等により、人材の育成・確保を推進する。また、再生医療の事業化に必要な細胞の品質管理、大量培養、運搬技術等の開発を担う人材の育成・確保を強化する。（文、◎厚、◎経）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>レギュラトリーサイエンス推進のため、「医薬品等規制調和・評価研究事業」において、医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する研究を支援している。当事業では人材育成の推進を図ることを目的に、研究公募の際に目的に適う若手人材の登用を支援している。また「新型コロナウイルス感染症（COVID-19）とレギュラトリーサイエンス」をテーマに公開シンポジウムを開催するなど、新しい技術の適正かつ早期実用化に向けたレギュラトリーサイエンス研究について広く周知・討論を行っている。</li> <li>生物統計家については、「臨床研究・治験推進研究事業」にて生物統計家育成支援事業（現在生物統計家育成推進事業）を開始し、質の高い臨床研究に寄与するための人材育成に取り組んだ。第一期生：21名（令和2年3月修了）、二期生：19名（令和3年3月修了）、三期生：18名（令和2年4月入学）、四期生：11名（令和3年4月入学）であり、第一、二期生の約8割がアカデミアに就職した。</li> <li>再生医療実用化基盤整備促進事業の企業、アカデミア、学術団体等が参加する連合体（ナショナルコンソーシアム）の活動において、施設管理士の要件設計に基づく教育プログラム等を確立し、パイロット運用を行うことで、人材育成等を図った。また、再生医療知財セミナーの開催や再生医療テクノオークションを開催し、研究機関と企業とのマッチングや人材交流を図った。</li> </ul>



医療分野研究開発推進計画上の記載	令和3年度の取組
<p><b>3.4 研究開発の公正かつ適正な実施の確保</b>  <b>○研究の公正性・適正性の確保、法令等の遵守のための環境整備</b></p>	
<ul style="list-style-type: none"> <li>我が国の臨床研究に対する国民の信頼の更なる向上と研究の推進を図るため、臨床研究法（平成29年法律第16号）を適切に運用し、その施行状況等を踏まえ、通常の診療で用いられるが薬事承認外である医薬品等の用法・用量等を用いる研究の特定臨床研究の該当性等も含め、必要に応じて見直しを行う。なお、十分な科学的知見が得られていない医療行為に対する措置については、個別の医療技術や具体的な医療行為の性質に応じた検討を行う。（◎厚）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>臨床研究法附則第2条第2項に基づき、厚生科学審議会臨床研究部会において検討を行い、臨床研究法や運用の見直しを実施した。令和3年12月13日「臨床研究法施行5年後の見直しに係る検討の中間とりまとめ」を公表した。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>臨床研究法に基づき認定された臨床研究審査委員会における審査能力のさらなる向上を図る（文、◎厚）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>認定臨床研究審査委員会における審査能力の向上を目的に、有識者会議を通して作成した研究計画サンプルを複数の認定委員会に申請し、審査意見業務等に関する標本調査を実施。認定委員会の審査実態を把握することで、審査体制の在り方について検討を行った。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>多施設共同研究における倫理審査の適正かつ円滑な実施を図るため、中央倫理・治験審査委員会の設置・運用を推進する。（文、◎厚）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>中央倫理審査の運用においては、多施設共同研究における一括審査を円滑に行うことが不可欠であり、令和3年6月に施行された「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」（令和3年文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第1号）において、倫理審査においては原則一括審査を求めている。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>基礎研究及び臨床研究における不正防止の取組を推進するため、AMEDは、専門の部署を置き、自らが配分する研究費により実施される研究開発に対して、公正かつ適正な実施の確保を図る。他の関係機関と連携を図りながら、業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正への対応に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成等に努める。（◎AMED室、文、厚、経）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>AMEDにおいては研究公正・業務推進部にて、基礎研究および臨床研究における不正防止の確保を図っている。具体的な取組については「AMEDの果たすべき役割」中「研究不正防止の取組の推進」を参照。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>動物実験等についての基本指針等に則り、適正な動物実験等の実施を確保する。（食品、警、総、文、厚、農、経、国、◎環）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>動物実験等については、「動物の愛護及び管理に関する法律」に基づく、「実験動物の飼養及び保管並びに苦痛の軽減に関する基準」及び関係省庁が策定する基本指針等に基づき、各省庁において適正な実施を図るとともに、関係省庁による連絡会議を開催した。</li> </ul>

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和3年度の取組
<p><b>3.4 研究開発の公正かつ適正な実施の確保</b>  <b>○倫理的・法的・社会的課題への対応</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• 社会の理解を得つつ実用化を進めることが必要な研究開発テーマについて、患者・国民の研究への参画の観点も加えながら、研究開発を推進するとともに、ELSI 研究を推進する。（◎文、厚）</li> <li>• ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用に関する規制の在り方について、法制化も含めて検討する。（科技、文、◎厚）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• AMEDにおいて、国民の安全・安心、理解・信頼を得ながら医療研究開発を進め、社会の真のニーズに基づく、社会との調和が図られた研究開発の実施と成果創出を目指すために、①医療研究開発にともなう倫理的・法的・社会的課題への対応、②患者・市民参画（PPI）をはじめとするダイバーシティ推進、③持続可能な開発目標（SDGs）の対応を、「社会共創（Social Co-Creation）」として位置づけ、その取組を推進する部署を令和3年10月に設置した。また、AMEDとJST社会技術研究開発センター（RISTEX）との連携セッションを実施し、AMED感染症研究開発ELSIプログラムにおける調査の成果を社会に広く還元した。</li> <li>• ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用に関する規制については、「厚生科学審議会科学技術部会ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用のあり方に関する専門委員会」において、令和2年1月に、臨床利用に対しては、法律による規制が必要である、という結論に至っている。法制化に向けて、令和4年3月18日に同専門委員会を再度開催し、臨床利用の規制に関する現状について改めて整理を行った上で、上記結論に修正のないことを確認した。</li> </ul>
<p><b>3.5 研究開発成果の実用化のための審査体制の整備等</b>  <b>○薬事規制の適切な運用等</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• 「先駆け審査指定制度」、「条件付き早期承認制度」の法制化等を含む医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律（令和元年法律第63号、2019年11月27日成立、同年12月4日公布）の円滑な施行に向け、政省令の整備等に着実に取り組む。（◎厚）</li> <li>• 研究開発成果を効率的に薬事承認に繋がられるように、PMDAのレギュラトリーサイエンス戦略相談制度や優先的な治験相談制度等の必要な運用改善を行い、革新的な医薬品等の迅速な実用化を図る。また、PMDAの国際的な規制調和に向けた海外当局との協力関係を強化しつつ、海外の規制動向に関する情報を相談者にも可能な限り提供する体制を推進する（◎厚）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 「先駆け審査指定制度」、「条件付き早期承認制度」の法制化等については、関連する政省令の公布等を行い、令和2年9月から施行されている。</li> <li>• 令和2年度にレギュラトリーサイエンス総合相談を169件実施した。また、革新的な医薬品等の迅速な実用化を図るため、医薬品等の承認申請にレジストリを活用するための指導及び助言のための相談枠として、レジストリ活用相談、レジストリ信頼性調査相談等を平成31年4月に設置し、令和2年度までに、医薬品について、レジストリ活用相談を3件、レジストリ信頼性調査相談を2件実施した（※年度実績については、翌年度の夏頃実施されることから、フォローアップ対象年度の前年度の実績を記載している）。</li> <li>• 国際的な規制調和については、PMDAのアジア医薬品・医療機器トレーニングセンターにおいて令和3年度にアジアをはじめとする各国の薬事規制当局の担当官に対して審査や安全対策等の研修を合計16回実施するなどした。</li> </ul>

医療分野研究開発推進計画上の記載	令和3年度の取組
<p><b>3.5 研究開発成果の実用化のための審査体制の整備等</b>  <b>○薬事規制の適切な運用等（つづき）</b></p>	
<ul style="list-style-type: none"> <li>再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成25年法律第85号）の施行状況等を踏まえ、in vivo遺伝子治療に対する法的枠組み、提供された再生医療等の科学的妥当性（有効性を含む）、認定再生医療等委員会の質の担保等について、見直しも含めて検討を行う。（◎厚）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>in vivo遺伝子治療に対する法的枠組み等について、令和3年12月から厚生科学審議会再生医療等評価部会において、「令和2年度 厚生労働省委託事業 認定再生医療等委員会の審査の質向上事業 成果報告書」や「再生医療等安全性確保法の見直しに係るワーキンググループとりまとめ」（令和3年11月17日）等を踏まえた、再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成25年法律第85号）の見直しに向けた議論を行った。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>我が国の遺伝子治療の開発等の推進を図るため、遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（平成15年法律第97号）の運用等について、必要に応じて見直しを検討する。（財、文、◎厚、農、経、環）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>医薬品等のカルタヘナ法に基づく厚生労働大臣1種承認／2種確認について、①厚生労働大臣第一種承認の実質的な一部変更手続きの導入、②厚生労働大臣第一種承認取得が必要な時期を治験届提出前から治験開始前までに緩和、③治験薬等に係る厚生労働大臣第二種使用確認について、文部科学大臣確認済みの場合は厚生労働大臣確認は不要と整理、④厚生労働大臣第一種承認及び第二種確認の申請前の申請書ドラフト確認の廃止、といった運用改善を行った。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>健康関連の製品やサービス等について、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和35年法律第145号）や医師法（昭和23年法律第201号）等の規制の適用の有無の範囲を明確化するため、ガイドライン等の策定等を推進する。（◎厚、農、経）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>令和3年3月に作成した「プログラムの医療機器該当性に関するガイドライン」も踏まえ実施した該当性判断の事例のうち事業者より公表の了承を得られたものを公表し、薬機法の規制対象の範囲の明確化を行った。また、厚生労働科学研究において当該ガイドラインの改訂に向けて検討を進めた。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>AI等の先端技術を利用した医療機器プログラム等については、審査時の評価の考え方を含めた薬事規制の在り方や薬事該当性の明確化の検討を引き続き推進する。（総、文、◎厚、経）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>AMED研究班「人工知能等の先端技術を利用した医療機器プログラムの薬事規制のあり方に関する研究」において検討を継続し、現時点で令和3年度実施の結果を取りまとめているところ。今後、提言として成果報告がなされる予定。</li> </ul>
<ul style="list-style-type: none"> <li>デジタルヘルス機器等を用いて収集したものを含め、蓄積されたリアルワールドデータを、医薬品、医療機器等の臨床研究・治験や薬事承認申請のエビデンスとして活用するためのルールを整備する。（◎厚）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>リアルワールドデータを薬事承認申請のエビデンスとして活用するためのルールの整備については、レジストリデータを医薬品等の承認申請に利活用するためのガイドライン2件を令和3年3月に発出し、その内容について適宜周知を行った。また、臨床研究中核病院における医療情報の品質管理・標準化等については、診療情報を用いたデータ駆動型臨床研究を実施するため、MID-NETの経験を含む研修実施による人材育成等により、品質管理・標準化に向けた体制整備を行った。</li> </ul>

医療分野研究開発推進計画上の記載

令和3年度 of 取組

3.5 研究開発成果の実用化のための審査体制の整備等  
○レギュラトリーサイエンスの推進

- 国際的な規制調和を前提とした医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する研究の支援、審査ガイドラインの整備、審査員に対する専門的知識（新たなモダリティとしてのデジタルセラピューティクス 分野とデータ連携に必要な法、技術、倫理及びサイバーセキュリティの知見を含む）の向上等を通じて、研究開発におけるレギュラトリーサイエンスを普及・充実させる。（◎厚）
- このうち、PMDAは、レギュラトリーサイエンスセンターにおいて、国内各種レジストリやそれに附帯するバイオバンクを有するアカデミア等との連携、臨床試験成績等のビッグデータを活用し、品目横断的な情報の統合等により、審査・相談の高度化や医薬品等の開発に資するガイドラインの策定等の取組を推進する。その際、国際的な規制調和の動向を適宜反映するよう努める。（◎厚）

- ICH（医薬品規制調和国际会議）やIMDRF（国際医療機器規制当局フォーラム）等における成果をもとに、令和3年度は、医薬品のライフサイクルマネジメントの考え方や医療機器の審査プロセスの効率化等に関して国際的な規制調和のためのガイドライン作成に取り組んだ。また、我が国のレギュラトリーサイエンスの成果を踏まえ、ICHにおいてリアルワールドデータを活用した薬剤疫学調査の計画・デザインに関する一般原則を提案し、議論を進めることとなった。さらに、IMDRFのAIやサイバーセキュリティWG等に参加し、医療機器の評価に関わる論点整理に取り組んだ。
- PMDAは、包括的連携協定を締結している国立高度医療機関や大学との人材交流、人材育成、共同研究等を行い、レギュラトリーサイエンス人材の育成に寄与した。国際的な動向も見つつ、「承認申請等におけるレジストリの活用に関する基本的考え方」等のガイダンス文案のとりまとめを行い、厚生労働省からの通知発出後、レジストリデータに係るガイドラインの内容について学会等に周知を行った。