

## 「医療分野研究開発推進計画」一部変更案

## 目 次

|  |    |
|--|----|
| <u>はじめに</u>                                  | 2  |
| <u>I. 医療分野研究開発等施策についての基本的な方針</u>             |    |
| 1. 医療分野研究開発推進計画の実現により期待される具体的将来像             | 6  |
| (1) 国民に対し、世界をリードする医療提供を実現する国                 | 6  |
| (2) 医薬品、医療機器関連分野における産業競争力の向上                 | 7  |
| (3) 医療の国際連携、国際貢献を進める国                        | 8  |
| 2. 我が国の課題                                    | 8  |
| (1) 基礎研究の抱える課題                               | 8  |
| (2) 臨床研究及び治験の抱える課題                           | 9  |
| (3) 産業界の抱える課題                                | 9  |
| (4) 研究支援体制の抱える課題                             | 10 |
| 3. 基本的な方針                                    | 10 |
| <u>II. 集中的かつ計画的に講すべき医療分野研究開発等施策</u>          |    |
| 1. 課題解決に向けて求められる取組                           | 13 |
| (1) 基礎研究成果を実用化につなぐ体制の構築                      | 13 |
| (2) 医療研究開発の新たな仕組みの構築                         | 20 |
| (3) エビデンスに基づく医療の実現に向けた取組                     | 26 |
| (4) ICTに関する取組                                | 28 |
| (5) 世界最先端の医療の実現に向けた取組                        | 29 |
| (6) 国際的視点に基づく取組                              | 37 |
| (7) 人材の育成                                    | 40 |
| (8) 公正な研究を行う仕組み及び倫理・法令・指針遵守のための環境整備          | 41 |
| (9) 研究基盤の整備                                  | 43 |
| (10) 知的財産のマネジメントへの取組                         | 44 |
| 2. 新たな医療分野の研究開発体制が担うべき役割                     | 45 |
| (1) AMEDが果たすべき機能                             | 46 |
| (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施               | 48 |
| (3) 共通基盤の整備・利活用                              | 56 |
| (4) 臨床研究中核病院の医療法上の位置付け                       | 57 |
| <u>III. 医療分野研究開発等施策を集中的かつ計画的に推進するため必要な事項</u> |    |
| 1. フォローアップ                                   | 59 |

## はじめに

### ＜医学研究の新しい展開について＞

生命科学や情報通信技術など、近年の科学技術の進歩により、世界的に革新的な医療技術が相次いで開発され、我が国でも医療におけるイノベーションが期待されるようになった。特に、疾病の制圧と健康な社会の構築を目標とする医学研究においては、臨床現場で活用される医療技術の開発が研究の目標となるが、そのためには乗り越えなければならない多くの課題がある。

基礎科学の成果を疾患の克服に向けて具体的にいかすためには、何よりも研究者の自由な発想に基づく幅広い基礎研究の重要性を認識し、基盤を構築していかなければならず、これは、今後も推進しなければならない。特に、疾患の基礎研究、すなわち、疾患の病態生理を解明し、生体の恒常性の維持と破綻のメカニズムを明らかにする研究を推進する必要がある。これらの基礎研究により構築された概念は、人間の疾患について検証され、治療・診断用の薬剤や医療機器開発の基盤となる。しかし、新しい薬剤や医療機器が臨床現場で利用されるためには、安全性を確認した上で、規制やガイドラインに対応しつつ臨床研究<sup>1</sup>及び治験を行わなければならない。さらに、医療技術が臨床現場に実装されたとしても、多数の症例を対象とする臨床疫学研究によって、その有効性、特に、予後に対する効果を他の技術と比較検証することが求められる。また、検証の過程において臨床現場からは新たな課題が抽出され、基礎研究に還元される必要がある。このように、医療分野の開発研究には、基礎研究と臨床現場の間の循環（循環型研究開発。一種のPDCAサイクル）を構築しなければならない。重要なことは、人間を対象とする医療分野の開発研究は、生命への安全と社会との協働、特に研究倫理の遵守と透明性の確保が求められる点である。したがって、研究に当たっては、目的と目標を明確にし、十分な体制で実施しなければならない。さらに、研究開発を革新的なイノベーションに結びつけるためには、研究費のみではなく、社会と医学の接点となる医療機関等における多彩な人材の育成、情報システムやデータ管理等の基盤整備、規制当局との連携等が必須であり、そのための社会システムの確立が欠かせない。

基礎生命科学の成果を医療技術の開発へ展開する研究は、近年、トランスレーショナル・リサーチ（TR）と呼ばれている。研究の展開にはいくつかの重要なステップが存在する。例えば、1) 生命科学の技術や知見を基に疾患細胞やモデル動物などの生体試料において病態を解析し治療法を検討する、2) 実験

---

<sup>1</sup> 医療における疾病の治療方法等の改善、疾病原因等の理解及び患者の質の向上を目的として実施される人を対象とする医学系研究であって薬事法第2条第16項に規定する「治験」を除く。

動物における病態や治療効果が人間の病態にも適応できるか検討する、3)新しい診断・治療技術を開発し医療現場に実装するなどである。その際、医療現場から抽出されたデータを基に新しい課題に関して基礎研究を通じて解決するリバースTRを行う視点が重要である。TRにおいては、臨床研究及び治験の実施とともに、研究の進行に伴って生じる生命・身体の取扱いについての倫理的・法的・社会的な観点（ELSI）等における規制対応も重要である。臨床医学におけるこうした研究に対して、医療イノベーションを推進する立場からは大きな期待が寄せられている。これは社会と科学者が協働して行う新しい分野横断的な学術活動であり、我が国の科学技術政策において特に重要な課題の一つとなっている。

本計画が対象とする研究は、産学官連携研究とも密接な関係にある。大学においては必ずしも産学連携が十分に行える体制になっていなかった経緯もあり、我が国では、近年、そのための体制整備を急速に進めている。今後は、ビジネス創出やイノベーションの実現に直結するような実用化を念頭において整備を進める必要がある。この目的を達成するためには、医療分野の研究開発を推進する中核的な大学・研究機関などが、情報やヒト由来の臨床検体を共有できる広域連携を促進するための基盤を構築する必要があり、この点は、我が国基礎医学・臨床医学における透明性の高い産学官連携研究を推進する上でも重要である。なお、研究開発の方針の策定やプロジェクトの選択に当たっては、医療上のニーズと実現可能性等についての専門家による詳細な調査等を踏まえた科学的合理性と透明性に基づく判断を尊重する。

#### ＜医療分野をめぐる現状認識と新たな医療分野の研究開発の取組の開始について＞

我が国は既に世界に先駆けて超高齢社会を迎えた<sup>2</sup>。人口構成の変化は、既に日本の社会や経済に対して様々な影響を与えており、今後より広範な分野で一層大きな影響をもたらすと予想されている。こうした社会的背景と前述の医学研究の在り方を踏まえ、我が国基礎科学的研究を展開して世界最先端の医療技術の開発を推進し、その成果を活用した医療による健康寿命の延伸を実現するとともに、医療制度の持続性を確保することが、焦眉の課題とされるようになった。また、次世代を担う小児への医療の取組もいまだ十分であるとは言え

<sup>2</sup> 2015年の我が国の平均寿命は男性80.79年、女性87.05年となっている。我が国において65歳以上の高齢者の総人口に占める割合は、2015年の26.7%から上昇を続け、2060年には39.9%に達すると予測されている。同時に、高齢化の進展に伴い、75歳以上の高齢者について、慢性疾患による受療、疾患の罹患率、要介護等の高い者は増加しており、平均寿命と健康寿命の差を短縮することが課題となっている。（出典：厚生労働省平成27年簡易生命表、平成28年版高齢社会白書）

ない現状である。

あわせて、健康・医療分野に係る産業を戦略産業として育成し、経済成長への寄与<sup>3</sup>によって超高齢社会を乗り越えるモデルを世界に発信することが重要な政策課題となった。

こうした問題意識から新たな医療分野の研究開発の取組が検討され、具体的な対応が開始されることとなった。

#### ＜これまでの検討の経緯と進捗＞

20年以上続いた経済の低迷から脱却し、日本経済再生を目指す我が国新たな成長戦略として、2013年6月14日に日本再興戦略が策定された。本戦略は、課題をバネに新たな市場を創造することを目指し、なかでも“戦略市場創造プラン”の柱の1つとして「健康寿命」の延伸を掲げた。同テーマの取組に当たっては、2030年のあるべき具体的な姿として、以下の3つの社会像の実現を目指すものとされた。

- 健康管理の充実や効果的な予防サービスにより、健やかに生活し、老いることができる社会
- 医療関連産業の活性化により、必要な世界最先端の医療等が受けられる社会
- 病気やけがをしても良質な医療・介護を受けることにより、早く社会に復帰できる社会

すなわち、イノベーションの観点に加え、国民自身が疾病予防や健康維持に努めるとともに、超早期診断など、適切な予防サービスを多様な選択肢の中で購入でき、必要な場合には、世界最先端の医療やリハビリが受けられる適正な環境が確立された社会を目指すこととされている。

このような社会の実現に向けた取組の一環として、医療分野の開発研究も取り上げられ、司令塔機能を担うシステムの創設によって医療分野の開発研究の一元的な支援と管理、基礎研究から臨床研究及び治験への橋渡し、質の高い臨床研究や治験が確実に実施される仕組みの構築等が決定された。

あわせて、「健康・医療戦略」（以下「旧健康・医療戦略」という。）が、日本再興戦略と同日に関係閣僚申し合わせ事項として取りまとめられた。旧健康・医療戦略では、「新サービスの創出（健康寿命伸長産業の創出）」、「新技術・サ

---

<sup>3</sup> 世界の医療支出は、2003年から2013年まで年平均7%程度で成長を続けており、2013年の支出規模は、約720兆円（約7.4兆ドルを1ドル97.6円で換算）に達している。2013年には、医薬品、医療機器の貿易赤字は約3兆円に達する拡大傾向となっている。（出典：WHOデータ等を基に内閣官房にて算出）

ービスの基盤整備」及び「医療技術・サービスの国際展開」とともに、「新技術の創出（研究開発、実用化）」の全般的な方向性が示された。

2013年8月2日、健康・医療に関する成長戦略の推進及び医療分野の研究開発の司令塔機能の本部として、内閣総理大臣を本部長とする健康・医療戦略推進本部を内閣に設置することが閣議決定された。同年8月8日、同本部は、医療分野の研究開発に関する総合戦略の策定に係る専門的な事項の調査・検討を学術的・技術的観点から行うため、医療分野の研究開発に関する専門調査会を開催することを決定した。この専門調査会において検討が進められ、2014年1月22日、「医療分野の研究開発に関する総合戦略（報告書）」（以下「専門調査会報告書」という。）が取りまとめられた。

2014年5月23日、健康・医療戦略推進本部を法定化するなどの「健康・医療戦略推進法」（平成26年法律第48号）と、医療分野の研究開発及びその環境整備等の業務を行う独立行政法人を設立するための「独立行政法人日本医療研究開発機構法」（平成26年法律第49号）が成立した。

2015年6月14日、『「日本再興戦略」改訂2015－未来への投資・生産性革命－』が閣議決定され、引き続き「国民の「健康寿命」の延伸」の実現に向けて、医療・介護・ヘルスケア産業の活性化・生産性の向上等について、新たに取り組むべき施策が掲げられた。

2016年6月2日、「日本再興戦略2016－第4次産業革命に向けて－」が閣議決定され、世界最先端の健康立国を目指し、第4次産業革命に対応した新たなサービス等を世界に先駆け確立するための施策が掲げられた。

#### ＜医療分野研究開発推進計画の位置付け＞

「医療分野研究開発推進計画」（以下「本計画」という。）は、政府が講ずべき医療分野の研究開発並びにその環境の整備及び成果の普及に関する施策（以下「医療分野研究開発等施策」という。）の集中的かつ計画的な推進を図るため、内閣総理大臣を本部長とする健康・医療戦略推進本部が、健康・医療戦略推進法第18条に基づき、健康・医療戦略（2014年7月22日閣議決定）に即して策定する計画である。また、同法第19条に基づき、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「AMED」という。）が、研究機関の能力を活用して行う医療分野の研究開発及びその環境の整備並びに研究機関における医療分野の研究開発及びその環境の整備の助成において中核的な役割を担うよう作成する計画である。

本計画は、2014年度から、10年程度を視野に置いた2019年度までを対象とする。同法に基づき、医療分野研究開発等施策についての基本的な方針、集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策と当該施策の具体的な目標や達成の期間、及び医療分野研究開発等施策を集中的かつ計画的に推進するために

必要な事項について、専門調査会報告書等を踏まえ定めるものとする。

2016年7月29日に健康・医療戦略推進本部で決定した「医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針2016」において、「本年度は、医療分野研究開発推進計画の対象期間である2014年度からの5年間の中間年度に当たることから、施策の検証結果及び社会情勢の変化等を踏まえ、同計画の中間的な見直しを行うこととする。」とされ、今般、必要な見直しを行ったものである。

本計画は、他国を模倣するものではなく、諸外国の現状や方向性を理解した上で、我が国が現在有する人材や施設・設備、体制等を最大限に活用しつつ、更に必要な手当てを講ずるなど、我が国の強みをいかして課題を克服するための独自の取組を推進するものである。

## I. 医療分野研究開発等施策についての基本的な方針

### 1. 医療分野研究開発推進計画の実現により期待される具体的将来像

本計画の実現により期待される具体的将来像は以下のとおりである。

#### （1）国民に対し、世界をリードする医療提供を実現する国

##### ① 国民の健康寿命の延伸

我が国の国民の平均寿命と健康寿命（日常生活に制限のない期間）との差は、2013年に、男性は9.02年、女性は12.40年となっている。今後、健康寿命の延伸により、この差を短縮することができれば、個人の生活の質の低下を防ぐとともに、社会保障負担の軽減も期待できる<sup>4</sup>。

健康と疾病は必ずしも不連続なものではないことから、治療を中心とする医療のみでなく、疾病予防に係る研究等を通じて健康寿命の延伸を目指した対策を行うことや、まだ病気でない段階においても、疾患を高い確率で予測するとともに早期診断を行い、適切な対策によって発症、合併症や重症化を防ぐ取組をより重視することが望まれる。

また、近年の遺伝子解析技術の格段の進展により、エピゲノムを含む遺伝情報と疾患との関連の研究が急速に進んできていることも踏まえ、健康医療情報とゲノム情報を組み合わせた個別化医療の実現も期待される。

##### ② 国民・社会の期待に応える医療の実現

患者や社会の要請により的確に応えられる医療の実現も、医療分野の研究開発に関して期待される極めて重要な将来像である。このため、発症前から

<sup>4</sup>出典：厚生科学審議会地域保健健康増進栄養部会・次期国民健康づくり運動プラン策定専門委員会 「健康日本21（第二次）の推進に関する参考資料」

の取組等の先制医療に加え、可能な限り根拠に基づく医療を強化することや、現在の医薬品や医療機器では対応できない又は対応がまだ不十分であるニーズに対して適切な取組をすることが求められる。

すなわち、現在、生涯のうちに約2人に1人は罹患し、3人に1人の死亡原因となっているがん、国民の健康に直結する大部分の疾患群の中核に位置し、循環器疾患の主要な原因となる糖尿病などの生活習慣病、高齢化の進展等とともに、今後、患者数がますます増加すると予測されている精神・神経疾患、世界のグローバル化により万全の対応が求められている感染症、その他にも我が国の疾患別医療費及び死亡率の上位を占める脳卒中を含む循環器系疾患、呼吸器系疾患、筋・骨・関節疾患、感覚器系疾患及び泌尿器系疾患、妊娠期・出産期、新生児期、乳児期、幼児期、学童期及び思春期の疾患、生殖に関わる課題、新規患者数が増加しているHIV感染/エイズ、国内最大の感染症である肝炎、長期にわたり生活の質（QOL）を低下させる免疫アレルギー疾患、慢性の痛みを呈する疾患、希少な疾患や難病、フレイル等の高齢者の生活の質を大きく低下させる状態や疾患、障害者（障害児を含む。）における身体機能の低下や喪失、女性に特有の健康課題、生活習慣病との関連の可能性が高い口腔の疾患、依存症などの多岐にわたる疾患等に対し、治療後の生活の質という観点も含め、患者や国民、社会のニーズを的確に把握する取組を通じ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、発症予防・重症化予防に役立つ技術開発、先制医療や新たな医薬品や診断・治療方法の開発、医療機器等の開発が推進される社会の実現を目指す。

### ③ 我が国の技術力を最大限いかした医療の実現

科学技術立国である我が国が、iPS細胞をはじめとする幹細胞を活用した再生医療技術やゲノム解析等に加え、工学、材料科学、製造業における特筆すべき課題解決力を最大限にいかした世界最先端の医療技術を開発し、これらを速やかに国民に提供できる国を目指すことが期待される。

## （2）医薬品、医療機器関連分野における産業競争力の向上

2003年から世界の医療支出は年平均7%程度で成長を続け、2013年の支出規模は約720兆円（約7.4兆ドルを1ドル97.6円で換算）に達している。その中で、我が国の貿易赤字（2013年には、医薬品・医療機器についての貿易赤字は約3兆円）は拡大傾向にある。一方、科学技術全般で見ると我が国の基礎研究や関連技術の力は、まだ国際的にも競争力を保っている。したがってこの力をいかし、伸ばすとともに、我が国発の創薬や機器及び医療技術開発を実現し、国の経済成長に貢献することが期待される。

### (3) 医療の国際連携、国際貢献を進める国

我が国発の創薬や機器及び医療技術開発を実現し、我が国のみならず諸外国の医療の向上に貢献することは必須の課題である。発展途上国の感染症等に対する取組は、あわせて、我が国の医療や安全に資する。

さらに、こうして実現された我が国の医療技術や産業競争力をいかし、諸外国との連携による地球規模の課題への取組や、我が国の優れた力をいかした国際貢献といった主導的取組を進めることも期待される。

## 2. 我が国の課題

基礎研究の成果が創薬や医療機器等の実用的診断・治療技術に必ずしもつながっていないことは、以前より再三にわたり指摘されてきた。その要因は、「基礎研究」、「臨床研究及び治験」、「産業界」及び「国等の研究支援体制」それぞれの段階に見出すことができる。

### (1) 基礎研究の抱える課題

近年、中国や韓国等の新興国においても基礎研究への取組が強化され、日米欧を急速に追いかけてきているなど、基礎生命科学や臨床医学分野での我が国の論文の国際競争力は相対的に低下傾向にあるものの、我が国の基礎研究力は国際的にも依然高い競争力を保っている。

従来は基礎研究に携わる研究者自身の開発への興味や、製薬会社における研究開発過程で見出された知見に基づいて、製品開発に至ったケースが多く、製品開発の可否は個人の見識に強く依存していた。

#### ＜基礎生命科学、臨床医学分野の国・地域別論文数比較＞

(科学技術政策研究所 調査資料239 科学研究のベンチマーク2015)

| 基礎生命科学分野    | 論文数   | トップ1%補正論文数 |
|-------------|-------|------------|
| 2001年-2003年 | 世界第2位 | 世界第5位      |
| 2011年-2013年 | 世界第5位 | 世界第10位     |

| 臨床医学分野      | 論文数   | トップ1%補正論文数 |
|-------------|-------|------------|
| 2001年-2003年 | 世界第4位 | 世界第9位      |
| 2011年-2013年 | 世界第5位 | 世界第15位     |

本計画はこうした基礎研究力を更に充実強化し、その結果を展開する研究を

促進するものである。これまで、多くの基礎研究が論文発表で留まり、疾患の病態解明や病態に基づく創薬あるいは医療機器の開発・実用化に展開する研究は、一部先駆的な事業が実施されてはいたが、全体としては必ずしも活発ではなかった。これは研究者の社会還元の志向性が強くなかったことに加え、推進するための研究費や支援体制が十分ではなかったこと、さらには、成果の中から実用化につながる有望シーズを見出し、育成する体制や目利きが不足していたことなど、組織的なマネジメントがなされていなかったことによると考えられる。

### （2）臨床研究及び治験の抱える課題

我が国の臨床研究及び治験については、国際的に見ていまだに課題が多く、そのため、製薬企業の治験を海外機関で実施する傾向のあることは否めない。これは、臨床研究及び治験における倫理規定、データマネジメント、安全性、品質保証等に関する国際基準がより厳格化される中で、我が国の対応が遅れたことが一因となっている。臨床研究及び治験においては厳密なデータ管理や各種規制への対応を行わなければならないこと、さらに、医薬品や医療機器の有効性が生命予後や心臓発作、脳卒中などの低い頻度ながらも重大な事象を指標とされるようになったことが、臨床研究及び治験の大規模化と長期化に拍車をかけた。その結果、多くの研究費と強力な研究支援体制なしに臨床研究及び治験を行うことが極めて困難となった。

大学病院では疾患の病態研究については多くの国際的実績を挙げてきたが、研究体制の不備や人材不足等により、臨床研究及び治験は十分に行われてこなかった。国立高度専門医療研究センター（以下「ナショナルセンター」という。）においては、特定の疾患群の治療を対象とした病院と治療技術の実用化に軸足をおいた研究所を併設しているという特長をいかして臨床研究及び治験を実施し、一定の成果を上げてきたが、企業との連携による創薬及び医療機器開発において貢献してきたとは必ずしもいえない。

このため、超高齢化社会における医療ニーズの変化を考慮し、健康長寿社会の実現に向けて、症例集積性の向上、臨床研究及び治験手続の効率化、研究者・専門家の育成・確保、臨床研究及び治験の情報公開、治験に要するコスト・スピード・質の適正化に関して、より一層の強化が求められる。

### （3）産業界の抱える課題

我が国は、世界第2位の医薬品開発実績を上げているが、革新的な新薬の開発実績における存在感が低下していること、世界で売上高ランキングの高い医薬品の多くに日本人研究者が関与しているものの製品化に際して日本企業参

画が非常に少ないと等の指摘がある。

医療機器については、今後、特に診断・治療機器の分野において市場の伸びが期待されている。しかしながら、我が国の企業の参入は限定的であり、市場における日本企業の存在感も欧米企業に比べて小さいのが実情である。我が国が誇る高度なものづくり技術や大学等の工学的な基礎研究シーズがいかせる分野も多いが、こうした技術と医療現場の要請との適合が必ずしも十分でなかったことも課題として挙げられる。

また、日本の製薬・医療機器メーカーは企業規模から見て欧米に比べてリスクを許容できる経営資源が少ない。さらに、近年、企業の医薬品研究開発投資が巨額化しており、企業規模の違いから1社当たりの研究開発費の日米間の格差が拡大している。

欧米諸国等においては、創薬、医療機器開発におけるベンチャー企業の果たす役割が大きい。これに対し、我が国においてはリスクマネーを供給するベンチャーキャピタルや目利き人材の不足をはじめ、ベンチャー企業の育つ環境は十分に整っていない。積極的にリスクを取って管理していくとする者が少ない構造も相まって、ベンチャーの果たす役割は小さい状況にとどまっている。

さらに、企業によっては医療の実態やアンメットメディカルニーズへの認識が必ずしも高くない。これは我が国では研究開発の基盤となる医療と疾病の実態を示すデータが十分でないこと、また企業に限らないものの、創薬を志向する研究者と臨床現場との間でのコミュニケーションや人材の交流が十分でないことも一因と考えられる。

#### （4）研究支援体制の抱える課題

従来、医療分野の研究開発については、基礎研究から非臨床試験までに軸足を置いた文部科学省、臨床研究及び治験から実用化に軸足を置いた厚生労働省、及び産業活性化の視点で推進している経済産業省により個別に実施されており、各省間の連携が不十分であったことは否めない。このため、限られた予算と人材を活用し、基礎研究から実用化までを切れ目なく実施できる体制の構築が喫緊の課題である。また、公的研究費の柔軟な使用について検討するとともに、民間からの資金を活用するために改正された寄附税制の活用を図るべきである。

### 3. 基本的な方針

我が国の健康・医療に関する先端的研究開発に係る基本理念は、健康・医療戦略推進法の基本理念にあるとおり、基礎的な研究開発から実用化のための研究開発までの一貫した研究開発を推進すること、そして、その成果を円滑に実

用化することにより、世界最高水準の医療の提供に資することである。

この理念を踏まえ、また、I. 2のような医療分野の研究開発に係る背景と現状に鑑み、以下を医療分野研究開発等施策についての基本的な方針とする（詳しくはII. 1. (1)～(10)を参照）。

#### （1）基礎研究成果を実用化につなぐ体制の構築

医療の研究開発を持続的に進めるためには、基礎研究を強化し、画期的なシーズが常に生み出されることが必要である。基礎研究の成果を実用化に展開するためには、臨床研究及び治験実施環境の抜本的な向上及び我が国発の医薬品、医療機器等の創出に向けたイノベーションの実現が鍵となることから、基礎研究成果を実用化につなぐ体制を整備する。

#### （2）医療研究開発の新たな仕組みの構築

国内に埋もれている有望なシーズをくみ上げるシステムを構築し、それを実用化に結び付けるため、最終的なビジネスとしての発展も視野に入れつつ、基礎から臨床研究及び治験、実用化までの一貫した研究開発の推進、さらに、臨床現場における検証と新たな課題を抽出できる体制を整備する。

#### （3）エビデンスに基づく医療の実現に向けた取組

近年、分子レベルでの因果関係や集団に対するエビデンスに基づく医療に加えて、環境や遺伝的背景をはじめとするさまざまな医療情報の統合データから個別に経過を予見して先手を打つ医療の重要性が高まっている。臨床研究及び治験における国際競争力の強化に向けても、客観的データを活用した取り組みが求められており、介入研究、レジストリー研究を推進する基盤の整備等を行う。

#### （4）ICTに関する取組

我が国の健康医療情報のICT（Information and Communication Technology）化に関しては、研究開発においても有効に活用するために適切な電子化及び有機的な統合やデータ利活用者の視点での基盤整備がなされているとはいえない。そのため、電子カルテの活用などICTによるビッグデータの活用を含む健康・医療・介護分野における実践的なデータベース機能の整備等を促進する。

#### （5）世界最先端の医療の実現に向けた取組

再生医療やゲノム医療の実現といった、科学技術先進国である我が国が重点的に取り組むべき世界最先端の医療の実現に向けた研究開発を推進する。

#### （6）国際的視点に基づく取組

国際的な視野に立った研究開発テーマの設定や取組の検討、ゲノム研究や感染症対策等における国際協力・展開及び国際貢献、我が国の医薬品、医療機器等がスムーズに世界マーケットに参入できるための規制等の国際整合に取り組む。

#### （7）人材の育成

医療分野の研究開発ポテンシャルの向上には、関係するあらゆる分野における人材の育成、確保が必要であり、臨床研究及び治験の観点も踏まえた大学における人材育成のほか、臨床研究コーディネーター（CRC）、データマネージャー（DM）、バイオインフォマティシャン、生物統計家等の専門人材を育成・確保し、キャリアトラックを確立する。

#### （8）公正な研究を行う仕組み及び倫理・法令・指針遵守のための環境整備

公正な研究を行う仕組みを整備するため、効率的な臨床研究及び治験を実施するためのデータベースの構築や、臨床研究の監査やモニタリングの確立等を図るとともに、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」、「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」等に基づき、適正な臨床研究の実施を進める。

#### （9）研究基盤の整備

創薬、医療機器開発につながる基盤技術については、継続的かつ確実に支援することが重要であり、様々な専門分野を融合し、イノベーションを起こすことが必要であることから、革新的医療技術創出拠点プロジェクト、創薬支援ネットワーク、医療機器開発支援ネットワーク等を通じた支援体制を強化する。

#### （10）知的財産のマネジメントへの取組

我が国の医療分野の国際競争力を高めるに当たって、知的財産教育の充実、知的財産管理専門家の育成や活用など、知的財産に関する戦略的な取組を促進する。

## II. 集中的かつ計画的に講すべき医療分野研究開発等施策

### 1. 課題解決に向けて求められる取組

長期的視野及び短期的成果を目指す両面から、アカデミア、医療機関、産業界、国、地方公共団体が連携しつつ、以下の取組を行うことが必要である。

#### (1) 基礎研究成果を実用化につなぐ体制の構築

医療の研究開発を持続的に進めるためには、基礎研究を強化し、画期的なシーズが常に産み出されることが必要である。基礎研究の成果を実用化に展開するためには、臨床研究及び治験実施環境の抜本的な向上及び我が国発の医薬品、医療機器等の創出に向けたイノベーションの実現が鍵となる。

また、先端研究施設・設備の共用・プラットフォーム化や研究費の機能的運用といった研究環境を整備することも重要である。

##### ① 臨床研究及び治験実施環境の抜本的向上の必要性

諸外国においては、臨床研究及び治験のために数千床規模の一か所集中型の臨床研究及び治験を行う拠点を創設する例も見られる。一方、我が国においては、複数拠点のネットワークの構築を推進してきたところであり、革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいて推進している橋渡し研究支援拠点及び臨床研究中核病院（以下「革新的医療技術創出拠点」という。）並びにナショナルセンターといった拠点を活用し、それらを中心としたARO（Academic Research Organization）機能の構築による臨床研究及び治験が推進されている。臨床研究及び治験を進めるため、ナショナルセンター等をはじめとする医療機関が連携して各施設で症例の集約化を図るネットワーク（クリニカル・イノベーション・ネットワーク）を整備するとともに、今後も、これらの資源を有効に活用しつつ、以下の更なる機能の向上を図り、国際水準の質の高い臨床研究や治験が確実に実施される仕組みの構築が必要である。なお、我が国の医療研究開発におけるナショナルセンターの在り方については、検討を更に深める必要がある。

また、医療分野の研究開発は、臨床研究の実施に当たり被験者の確保が必要となるなど、他分野にはない特性があり、国民の関心と理解を深め、幅広く協力を得ることが重要である。我が国が国内のみならず世界の医療の発展に向けて、医療分野の研究開発の推進に多大な貢献をした事例に関して、功績をたたえることにより、研究開発成果の実用化の重要性や意義を社会的に浸透させるとともに、研究者等のインセンティブにもつなげていくことが必要である。

### （i）臨床研究の質の向上

症例集積性の向上とコストの適正化、スピードの向上、ICH-GCP (International Conference on Harmonization of Technical Requirements for Registration of Pharmaceuticals for Human Use – Good Clinical Practice) 基準の推進など、臨床研究の質の向上を図ることが必要である。このためには、ALCOA原則に基づいた原資料作成、モニタリング、監査の実施等による品質管理と品質保証が求められる。その対応には各ネットワーク拠点となる革新的医療技術創出拠点のAROや中央倫理・治験審査委員会等の機能を活用するとともに、研究計画書（プロトコール）の策定、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開発マネジメントを効率的に実施するなど、個別の臨床研究及び治験に対する一貫したマネジメントが有効である。これにより、臨床研究及び治験の手続の効率化も期待される。また、研究成果を効率的に薬事承認につなげられるよう、大学、研究機関、医療機関、企業等と独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）との連携を強化するため、薬事戦略相談制度の拡充や優先的な治験相談制度の必要な運用改善を行う必要がある。

### （ii）研究者・専門家の育成・人材確保

我が国の医学分野においては基礎研究論文が比較的高く評価される傾向があり、そのため基礎研究論文における我が国の国際的存在感は高い。一方、臨床研究及び治験に係る論文に関する我が国の国際的存在感は、基礎研究論文と比較して低く、かつ低下傾向にある。臨床研究及び治験を重要な医科学と位置付け、臨床研究及び治験の質と量を向上させることが必要である。そのためには、まず臨床研究及び治験に従事する人材の魅力的なキャリアパスを確立する必要がある。特に、医学部、薬学部生等に対し、臨床研究及び治験に関する教育を充実するとともに、臨床研究及び治験のためのポストの整備など、若手研究者の育成が必要である。

また、生物統計、バイオインフォマティクス、ビッグデータ解析等にかかる生物医学系の情報科学分野の人材育成や確保は、今後の遺伝子情報や医療情報等を活用した臨床研究及び治験の推進にとっても必須である。

さらに、疫学専門家、生命倫理、研究倫理等の専門家の果たす役割が

きわめて重要である。現在これらの人材が不足しているため、早急な人材の育成・確保が重要である。

(iii) 臨床研究及び治験のための共通的な基盤の共用

臨床研究及び治験のため大量に細胞培養を行うために用いるCPC (Cell Processing Center) 等の構造設備及びGMP (Good Manufacturing Practice) 基準準拠の製造管理・品質管理が可能な設備を全国の拠点で共用する。さらに、ナノテクノロジー、遺伝情報の解析、その他の最先端の計測分析技術など、特殊・高度な研究基盤についても共用を進めることが必要である。

(iv) 医療分野の研究開発におけるデータの共有と広域連携の強化

異なる研究者や医療機関で、臨床試料を包括的に解析することによって得られるデータや、これと紐付けられた所見・症状、経過に関するデータ等の共有・広域連携を強化し、協働してデータを収集、突合、解析、意味付けをして、提供者である患者の診断・治療の質の向上に反映させる体制を整備することは、医療の質・効率性の向上、臨床研究等の研究開発及び新産業の創出の観点からも重要であり、患者に最適の医療を提供するためにも、国民の理解の下に進めることが必要である。

(v) 研究不正・研究費不正使用等防止への対応

近年、特定の高血圧症治療薬に関する研究論文のデータ不正操作・利益相反行為の問題等が明らかになったが、このようなことが二度と起こらないよう、臨床研究に関する情報公開、監査、モニタリング、利益相反管理、医師・薬剤師・研究者等への卒前・卒後の研究倫理の教育など、行政のみならず、研究開発現場におけるコンプライアンス遵守への取組の徹底が必須である。

(vi) 患者との連携及び国民への啓発活動等への取組

臨床研究及び治験の実施に当たっては、その立案段階から被験者や患者の参画を促進するとともに、患者・国民への臨床研究及び治験の意義やそれが国民にもたらすメリット等についての啓発活動を積極的に推進する必要がある。特に、教育・研究を旨とする大学病院やナショナルセンターにおける取組の検討が必要である。

このため、以下の施策を行う。

## ＜「統合プロジェクト」＞（Ⅱ. 2. (2) に後述）

### ●革新的医療技術創出拠点プロジェクト（Ⅱ. 2. (2) に後述）

#### ●若手研究者の育成

- ・橋渡し研究支援拠点において、学生や若手研究者等を対象とした、橋渡し研究に関する教育や実地研修を推進する。
- ・質の高い臨床研究や治験を実施可能とするため、臨床研究及び治験をサポートする人材育成を目的に初級者臨床研究コーディネーター（CRC）、上級者CRC、データマネージャー（DM）を対象とした研修及び倫理審査委員を対象とした研修を引き続き実施し、2016年度までに500人以上の上級者CRCの養成を目指す。また、臨床研究及び治験に従事する医師に対し研修を行うとともに、民間で認定している上級者CRCの受験資格、試験内容の整合等を図る。

## ＜「統合プロジェクト」以外の施策＞

### ●研究成果の効率的な活用に向けた薬事戦略相談の充実

- ・PMDAにおいて、開発工程（ロードマップ）への助言や検証的試験プロトコルへの助言を行う相談を実施することにより薬事戦略相談の拡充を図る。さらに、薬事戦略相談を含む治験相談等の対象となる分野や相談の種類等について、相談者のニーズを反映し、信頼性基準に関するものも含め、拡充を図る。

#### ●若手研究者の育成

- ・世界の最先端医療の研究・開発等をリードし、将来的にその成果を国内外に普及できる実行力を備えたメディカルイノベーション推進人材を養成するための大学における取組を支援する。
- ・医学教育・薬学教育における教育内容の指針であるモデル・コア・カリキュラムに、臨床研究及び治験等に関する教育を位置付け、全ての大学における取組を促進する。

#### ●生物医学系の情報科学分野の人材育成や確保

- ・若手研究者や学生等の先進的な発想を対象とした研究開発を推進することで生物医学系の情報科学分野における研究者のキャリア確保を図

るとともに、大学等における研究・教育支援を行う。

#### ● 臨床研究における統計解析、モニタリングの適正な実施の推進

- ・「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」、「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」等により、対象となる研究に対してモニタリングや必要に応じた監査の実施を推進する。

#### ● 法的措置に係る検討

- ・我が国の臨床研究の信頼回復に向け、「高血圧症治療薬の臨床研究事案に関する検討委員会」の報告書等を踏まえ、「臨床研究に関する倫理指針」を見直し、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に基づき、適正な臨床研究の実施を進める。
- ・2016年5月13日に、臨床研究の実施の手続等を定めることにより、我が国の臨床研究に対する国民の信頼を確保すること等を目的とした「臨床研究法案」が第190回通常国会に提出された。法案成立後には円滑な施行に向けた関係法令の整備等を行う。

#### ● 啓発活動の推進

- ・国立保健医療科学院の「臨床研究（試験）情報検索ポータルサイト」にて臨床研究及び治験に関する情報提供を引き続き実施しており、検索機能を一層向上させるなど、国民・患者の視点から利用しやすいものとするとともに、より利用が進むように周知を図る。
- ・がん、循環器疾患などの特定の疾患群のうち、症例が集積しづらい疾患の臨床研究及び治験をより進めるために、ナショナルセンターを拠点とした当該疾患ごとの施設間ネットワークや患者登録システムの構築をより推進し、2017年度までに6つのナショナルセンターで運用を開始することを目指す。

#### ● 日本医療研究開発大賞の創設

- ・医療分野の研究開発の推進に多大な貢献をした事例に関し、その功績をたたえる日本医療研究開発大賞を創設する。

#### ② 「循環型研究開発」の推進とオープンイノベーションの実現

- (i) TRに関しては、基礎研究の成果を臨床につなぐ方向に加え、臨床で見出した課題を基礎研究に戻すリバースTRが重要である。これは多数の症例を対象とした疫学・臨床疫学により可能となる。また、大学、研

究機関、病院、企業等がネットワークを形成し、連携することの重要性が増しており、適切なテーマを設定するとともに、知的財産を確保しつつ、オープンイノベーションを実現する取組が必要である。

( ii ) 産学官の連携を強化し、実用化研究と技術開発を推進するため、コンソーシアムを形成し、産学官連携によるオープンイノベーション等の推進により次世代産業の育成を図るとともに、各種ファンドを通じた必要な資金の供給、中小・ベンチャー企業への支援等も重要である。また、医療分野の産業化の促進向上が必要である。

( iii ) 大学、研究機関、医療機関、企業等とPMDAとの連携を強化し、薬事戦略相談制度の拡充、審査ガイドラインの整備、審査員の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（有効性・安全性の評価、開発・審査に関するガイドラインの整備等に関する研究の基となる科学）を普及・充実させる。また、研究開発における出口戦略を見据え、開発プロセスの早い段階からPMDAが関与することにより、相談・承認審査・市販後安全対策を通じて革新的な医薬品、医療機器の実用化に向け適切な対応を行うなど創薬、医療機器開発支援の充実強化を図ることが必要である。

( iv ) レギュラトリーサイエンスに基づいた研究開発支援を行うため、PMDAや国立医薬品食品衛生研究所と大学等との人材交流を積極的に進める必要がある。

このため、以下の施策を行う。

#### ●創薬支援ネットワークによる新薬創出に向けた研究開発支援

- ・創薬支援ネットワークにより、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援する。
- ・創薬支援ネットワークの強化に向け、創薬支援ネットワーク協議会を活用しながら、革新的な研究基盤の整備を進める。

#### ●医療機器開発支援ネットワークの強化

- ・医工連携による医療機器開発・実用化を促進するため、複数の専門支援機関による開発支援体制（医療機器開発支援ネットワーク）を強化する。

- 各種ファンド等を通じた資金の供給、中小・ベンチャー企業への支援
  - ・健康・医療分野における産業の育成を図るため、官民ファンドによる資金供給の他、関係機関からの資金供給とも連携してベンチャー企業や中小企業等への事業拡大等の支援を行う。
- 医療分野の産業化の促進
  - ・大学等の研究成果の実用化に向け、有望なシーズの発掘から企業主体での事業化開発や、優れた基礎研究成果や産業界が抱える技術課題の解決に資するテーマを基にした产学協同研究等の支援を行う。
- TRの活性化や产学官の連携促進
  - ・リバースTR、ヒト由来の臨床検体等を使用した基礎医学研究や臨床研究を推進するために、他の病院等の臨床研究等を支援する機能を有する臨床研究中核病院、ナショナルセンター等の体制強化、臨床情報などを活用した研究等の強化やネットワーク化による循環型研究開発を活性化する。また、臨床研究中核病院等における臨床データの活用による产学官連携を図り、医療現場ニーズに的確に対応する研究開発の実施、創薬等の実用化の加速化等を抜本的に革新する基盤（人材育成を含む。）を形成するとともに、併せて、医療分野の研究開発でのオープンイノベーションが強力に促進される環境を創出する。
- レギュラトリーサイエンスの推進
  - ・日本が世界に先駆けて開発する核酸医薬の副作用評価法に関する研究、最先端技術に対応した新たな品質公定試験法や動物代替試験法等の新たな安全性試験法の開発等を行う。
- PMDAや国立医薬品食品衛生研究所と大学、研究機関等との連携強化
  - ・最先端の研究を実施している大学等とPMDAや国立医薬品食品衛生研究所との人材交流を通じて、レギュラトリーサイエンス研究に精通した人材の育成を行うとともに、革新的な医薬品、医療機器及び再生医療等製品について、開発及び評価するためのガイドライン等を作成する。
- 相談・承認審査・市販後安全対策等による創薬、医療機器開発の支援
  - ・PMDA自らが治験に係るデータ等を活用した研究、解析を行い、審査・相談の質の高度化を図る。また、医療情報データベースの安全対策等へ

の利活用に向けた環境整備を行う。また、PMDAの業務について、審査ラグ「0」を維持するとともに、審査の質の向上、安全対策の強化等を図るため必要な体制強化を図る。

- ・革新的な医薬品、医療機器及び再生医療等製品の実用化を加速するため、PMDA関西支部（PMDA-WEST）における薬事戦略相談、GMP調査等の実施、医薬品、医療機器等について承認の予見性向上に取り組む。
- ・PMDAへの新薬等申請に当たって、申請添付資料について、審査期間を維持しつつ、英語資料の受け入れ範囲の更なる拡大について検討する。

## （2）医療研究開発の新たな仕組みの構築

国内に埋もれている有望なシーズをくみ上げるシステムを構築し、それを実用化に結び付けるため、最終的なビジネスとしての発展も視野に入れつつ、基礎から臨床研究及び治験、実用化までの一貫した研究開発の推進、さらに、臨床現場における検証と新たな課題を抽出できる体制の整備が必要である。

その際には、研究開発の出口を見据えた知的財産戦略と、基礎研究の成果の中から実用化に向けた可能性の高いニーズを見極め、臨床研究及び治験に係るデータの集積・活用を図り、しっかりと基礎研究から応用研究、臨床研究及び治験、実用化へと橋渡しがなされることが重要である。また、日本発の革新的医薬品、医療機器の実用化促進に向け、幅広い分野につき高度の知識・技術を有する人材の育成、医薬品、医療機器開発の基盤整備による効率化、迅速化、レギュラトリーサイエンスを推進する必要がある。さらに、日常の臨床症例を登録するレジストリー研究のためのデータベース構築、ビッグデータ分析等のICTの活用による研究開発の迅速化とコストダウンを図る必要がある。

新薬開発のためのFirst in Human 試験（医薬品の第I相試験において人に初めて投与すること）をはじめ、あらゆる臨床研究及び治験の迅速な実施に向け、短期間で効率的な臨床研究及び治験を行うため、革新的医療技術創出拠点及びナショナルセンターのネットワークを強化し、世界に通用する臨床研究及び治験を遂行するため、症例を集積しやすい環境を整備する必要がある。

医薬品、医療機器の開発においては、大学発ベンチャーなどのベンチャー企業も重要な役割を果たすことが重要である。

さらに、医療の有効性、安全性及び効率性の観点から医療に変革をもたらすための技術やシステム（メディカルアーツ）の開発及び普及に関する研究を本格的に推進する。

なお、実用化へ向けた支援として、薬事戦略相談等に関するPMDAの体制強

化と、AMEDにおいて、PMDAと連携した有望シーズの出口戦略の策定・助言、企業への情報提供・マッチング等、企業連携・連携支援機能の強化が必要である。

こうした認識の下、医薬品分野及び医療機器分野それぞれにおいて、以下の取組を行う。

### ① 医薬品分野

我が国発の革新的医薬品開発を加速するためには、患者ニーズの把握等に努め戦略的なテーマを設定する必要がある。また、対象となる技術として、従来からの創薬資源である低分子化合物や天然物に加え、核酸、抗体、ワクチン、幹細胞といった新しい創薬資源に着目する必要がある。さらに、たんぱく質を中心とした生体高分子の分子機能を、その分子構造からの理解を目指すことを目的とした構造生物学の発展により、薬剤の分子設計が大きく進歩していることも念頭に置く必要がある。

創薬に向けては、アカデミアの研究成果からシーズを探索し、様々な分野の研究者が創薬関連研究支援基盤を活用しやすい環境を整備する必要がある。そのためには、創薬支援ネットワーク等を活用し、シーズの探索、知的財産管理、そして実用化に必要な応用研究等の支援を進める。また、既存の薬剤や開発途上で中断した新規な薬理作用を示す化合物について、網羅的薬効プロファイリングや新たな標的分子の同定を行うことにより、新しい適応症を探索し、新たな効果を持つ医薬品として開発するドラッグ・リポジショニングに向けた研究体制の構築等も視野に入れる必要がある。さらに、体内的薬物分布を量的・空間的・時間的に制御し、コントロールする薬物伝達システム（ドラッグ・デリバリー・システム：DDS）についても、ナノテクノロジーとの融合も視野に入れた取組が必要である。

また、当初からGLP（Good Laboratory Practice）及びGMP等の国際基準並びに品質、有効性、安全性を確保するレギュラトリーサイエンスを念頭に置いた研究の推進が必要である。さらに、分子標的薬等の効果あるいは副作用を予測するコンパニオン診断薬等の同時開発及び臨床研究及び治験のデザインの最適化を推進することも必要である。

このため、以下の施策を行う。

＜「統合プロジェクト」＞

●オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト（II. 2. (2) に後述）

●創薬支援ネットワークによる新薬創出に向けた研究開発支援（再掲：II. 1. (1) (2)）

●ドラッグ・リポジショニングによる希少疾病用医薬品の開発を推進  
・既存薬の新たな治療効果のエビデンス構築（ドラッグ・リポジショニング）に係る研究を推進することにより、難病・希少疾病等の克服に資する日本発の医薬品の創出を推進し、2020年までに企業への導出を目指す。

●薬物伝達システム等とナノテクノロジーとの融合  
・ナノテクノロジーの活用も視野に入れた、組織特異的な薬物伝達システム等に係る革新的な技術開発を実施する。

●個別化医療等におけるコンパニオン診断薬等の同時開発並びに臨床研究及び治験のデザインの最適化  
・医薬品審査と連携したコンパニオン診断薬の新たな評価手法に関する研究を推進する。医薬品とコンパニオン診断薬との同時審査体制は既に確立しているが、今後、特にゲノム情報を活用して開発されるコンパニオン診断薬等について、新たな評価手法の検討を行うことで、効率的な同時開発を推進する。

●官民共同による医薬品開発促進プログラムの推進  
・日本の医薬品開発のボトルネックを解消するための課題を抽出し、その課題ごとに、アカデミア、製薬企業、ナショナルセンター等の関係者が参画する技術研究組合等を形成し、集中的に研究を推進する体制構築をし、計画当初から5年以内に成果を上げることを目指す。  
・製薬企業と国立医薬品食品衛生研究所等が共同で革新的な抗体医薬品の開発を加速させるための品質リスク評価・製造品質管理に関する研究や、副作用の早期診断・事前診断に利用可能なバイオマーカー開発に関する研究を推進し、計画当初から5年以内に成果を上げることを目指す。

＜「統合プロジェクト」以外の施策＞

●レギュラトリーサイエンスの推進（再掲：II. 1. (1) (2)）

### ●特に患者数が少ない希少疾病治療薬等の開発

- ・希少疾病用医薬品、医療機器等については、研究開発の加速が求められていることから推進する。その中でも特に患者数が少ないいわゆるウルトラオーファンドラッグ等に関する研究については重点的に支援する。

### ●イノベーションへの適切な評価

- ・我が国における革新的医薬品、医療機器の開発を進めるため、薬価制度等におけるイノベーションの適切な評価を図る。

## ② 医療機器分野

我が国において今後も最先端の医療が受けられるようになるとともに、有効で安全な医療機器の迅速な実用化等により国民が受ける医療の質の向上を図るため、医療機器の研究開発及び普及の促進に関する施策の基本となる事項等を規定した「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法律」（平成26年法律第99号）及び「国民が受け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」（平成28年5月31日閣議決定）が成立・公表された。

医療機器分野における取組に当たっては、全く新しい基礎技術シーズを臨床応用することにより実現されるような最先端の医療機器の開発に加え、我が国のもつくりの高い技術を継承、発展させることによる我が国発の多岐にわたる医療機器や周辺技術の開発を研究開発の出口を見据えつつ支援する必要がある。

医療機器については、「現場ニーズにあった研究開発、現場での改良と修正・最適化」が極めて重要である。大学等の基礎技術シーズや先端的な計測分析技術等の共通基盤技術、中小企業等の高度なものづくり技術等を医療現場ニーズとマッチングさせる施策、あるいは医療現場直結型の研究開発拠点の構築を大学病院やナショナルセンターをはじめとする医療機関に負託することによって、応用研究・試作開発の過程の加速を容易にし、臨床現場での評価を経て、医療機器として実用化させるための橋渡しが適切になされることが極めて重要である。また、医療機器の実証にあたっては、実証を行うために必要なスペース、人材育成及び研究開発への支援が重要である。そのためには、以下のような施策が必要となる。

（i）医療現場ニーズや実用化が期待されるシーズの把握、選択と集中による研究開発プロジェクトの立案と実施体制の構築

- ( ii ) 既存医療機器の改良・改善・最適化、医療現場が医療機器メーカーと協力して臨床研究及び治験を実施する仕組みの整備、短期に実用化が見込まれる既存機器の改良・改善、医療現場等におけるニーズと大学等の基礎技術シーズや中小企業における高度なものづくりの技術シーズの適切なマッチングを行うため、ナショナルセンター、大学病院等に組織とスペースを確保した機器開発の推進
- ( iii ) 相対的にリスクの高い治療機器技術（日本が強みを有する診断技術に治療技術を組み合せた機器や低侵襲診断・治療機器等）、高度診断技術、ロボット技術、重粒子線がん治療装置等をはじめとした最先端診断・治療機器技術の取組
- ( iv ) ICTとロボット技術等を融合活用した医療関連業務の効率化や低コスト化のための支援システム構築
- ( v ) 真の医療ニーズを見出す人材を育成するための仕組みの整備及び医療人材と開発人材の交流
- ( vi ) 開発における事業化・薬事（非臨床試験や治験における有効性・安全性に関するエビデンスの迅速、的確な収集・評価を含む。）・知的財産に係る戦略、開発を成功に導くための各種の支援を行うために関係機関が連携できるようなネットワークの構築
- ( vii ) 継続的に開発力を強化するとともに、国際的な産業競争力の向上を実現するためのプラットフォームの構築
- ( viii ) 高齢者・障害者等の機能支援機器開発への取組
- ( ix ) 高齢者の医療ニーズとケアニーズを融合したロボット、ICTを含む医療・介護機器研究開発の推進

このため、以下の施策を行う。

<「統合プロジェクト」>

●オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト（II. 2. (2) に後述）

●医療現場が医療機器メーカーと協力して臨床研究及び治験を実施する仕組みの整備、ニーズとシーズの適切なマッチング

- ・医療機器の研究開発を行う医療機関で、医療機器を開発する企業の人材を受け入れ、医療機器開発を担う医療機関の体制を整備する。あわせて、当該医療機関において、国内外の医療ニーズを満たす医療機器の開発の推進を図る。
- ・医療機器分野へのものづくり中小企業等の新規参入を促進するため、地域に密着した支援機関が医療機器開発・実用化に当たり必要な専門家等の派遣を支援する。

●最先端診断・治療機器技術開発等の推進

- ・産学連携体制により、臨床研究及び治験並びに実用化を見据えて、相対的にリスクの高い治療機器や新たな診断機器などの最先端診断・治療機器及びシステムの研究開発を推進する。

●医療関連業務の効率化や低コスト化支援システムの構築

- ・類似症例に関する過去の診療データを検索・分析することで、最適な治療を可能にする診療支援システム等の研究開発を推進する。

●医療ニーズを見出す人材を育成するための仕組みの検討

- ・医療機器を開発する企業の人材を、研究開発を行う医療機関で受け入れ、市場性を見据えた製品設計の方法に関する研修等を実施することにより、医療ニーズを見出す人材育成のための仕組みをプログラム作成等を含めて計画当初から5年以内に検討する。

●医療人材と医療機器開発人材の交流

- ・医療機器開発の経験者及び医療機器の審査・薬事等の経験者の招聘を通じて、医療機器関連企業及び医療機関内の医療機器開発関係者に対して研修や1年に1回程度のセミナー等を開催し、医療人材と医療機器の開発に係る人材の交流を推進する。

●高齢者・障害者等の機能支援機器の開発

- ・脳科学を応用したコミュニケーション支援機器や意思伝達装置、ロボット技術の活用など、高齢者・障害者等が地域社会で安心して暮らして

いくための社会的障壁の除去につながる技術開発を推進し、計画当初から5年以内に機能支援機器の実用化を目指す。

#### ●在宅医療機器の開発

- ・在宅医療における医療スタッフ等からのニーズを踏まえ、在宅医療機器の開発を推進する。また、介護の原因となる脳卒中などの循環器疾患に対する対策について、これからのは在宅医療を見据え医療機器のポータブル化等に着目した開発を推進し、遅くとも2020年までに企業への導出を目指す。

#### ●ロボット介護機器の開発

- ・高齢者・障害者等の自立促進や介護実施者の負担軽減を図るため、現場ニーズに合致した使えるロボット介護機器の開発を行うとともに、安全・性能・倫理基準の策定など、ロボット介護機器導入に向けた環境を整備する。

### <「統合プロジェクト」以外の施策>

#### ●最先端診断・治療機器技術開発等の推進

- ・重粒子線がん治療装置について、小型化・高度化に関わる研究開発や海外展開を視野に入れた研究開発を推進する。
- ・放射線診断・治療機器について、便益を受けつつリスクを減らし安心して利用するため、医療被ばくに関する調査及び研究開発を推進する。
- ・分子イメージング技術について、PET用プローブなどの放射性薬剤や生体計測装置の開発、病態診断及び放射性薬剤を用いた次世代治療法となる標的アイソトープ治療への応用に係る研究等を推進する。

#### ●イノベーションへの適切な評価

- ・我が国における革新的医薬品、医療機器の開発を進めるため、薬価制度等におけるイノベーションの適切な評価を図る。(再掲：II. 1. (2) ①)

### (3) エビデンスに基づく医療の実現に向けた取組

近年、分子レベルでの因果関係や集団に対するエビデンスに基づく医療に加えて、環境や遺伝的背景をはじめとするさまざまな医療情報の統合データから、個別に経過を予見して先手を打つ医療の重要性が高まっている。臨床

研究及び治験における国際競争力の強化に向けても、客観的データを活用した取組が求められている。特に、我が国は既に世界に先駆けて超高齢社会を迎えており、社会的背景を踏まえ、高齢者に関するデータの収集・活用が重要である。医薬品、医療機器等及び医療技術（医療の提供に必要な技術であって、医薬品（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。以下「医薬品医療機器等法」という。）第2条第1項に規定する医薬品）、医療機器（同条第4項に規定する医療機器）及び再生医療等製品（同条第9項に規定する再生医療等製品）を除く。「Ⅱ. 集中的かつ計画的に講すべき医療分野研究開発等施策」において以下同じ。）の評価には介入型の臨床研究及び治験が最も重要であるが、介入研究のみでなく、レジストリー研究も劣らず重要であり、これを推進する基盤整備や情報技術の発展が必要である。

特に、大規模ゲノム解析技術等の進展により、遺伝子情報と疾患や薬効との関係の解明が進むことに伴い、疾患予防、治療方法の選択、予後対応といった各種段階に対して貢献するため、十分な臨床情報が付帯された良質な試料を保有するバイオバンクや、疫学研究の重要性が増している。我が国においては、従来より、患者のみならず健常人に関する大規模コホートやバンクに加え、各種の目的で地域ごとの取組も実施されていることから、それらをネットワーク化し、効果的な相互活用を目指すことが必要である。これらの試料や情報は大規模かつ多岐にわたるため、それらを統括して進めることが重要であり、その下で、疾患組織等の患者由来試料、臨床情報を有効活用するため、生命倫理の課題等への対応の支援、疾患検体バンクの整備を行うとともに、企業等から匿名化されたデータへアクセスできるようにすることについて取組を進める。

また、医学研究の重点研究領域の設定に際しては、従来からの地道な疾患研究や疫学的な調査研究がおろそかにならないよう十分な配慮が必要である。

なお、統合医療については、多種多様な療法が存在するが、現時点では、全体として科学的知見が十分に得られているとは言いがたい状況であるため、安全性・有効性に関する知見を収集し、その評価手法を確立する必要がある。

このため、以下の施策を行う。

#### ＜「統合プロジェクト」＞

- 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト（Ⅱ. 2 (2) に後述）

●データベースの機能整備・連携を含む医療・介護・健康分野のデジタル基盤の構築（II. 1. (4) に後述）

（4）ICTに関する取組

我が国の健康医療情報のICT化に関しては、研究開発においても有効に活用するために適切な電子化及び有機的な統合がなされているとはいえない。そのため、電子カルテの活用などICTによるビッグデータの活用を含む実践的なデータベース機能の整備が早急に求められる。その際、医療情報の利活用を促進するための工夫とともに、国民全体が利益を享受できる社会的なルールの整備が必要である。

効率的な臨床研究及び治験の実施に向けた症例集積性の向上に関する重要な取組は、II. 1. (1) ① (i) に述べられているが、国民の医療情報、健診情報及びレセプト情報などの各種データを更に柔軟な形で統合することができるような技術の実装、データ形式や疾患分類の標準化、運用に当たってのルール等の早期の確立が求められる。

特に、医療情報を広く収集し、安全に管理・匿名化を行い、利用につなげる制度についての法制上の措置等を行うことが求められている。

また、遠隔医療や在宅医療に資する技術に関する研究開発、生体シミュレーション技術の開発と活用、ゲノム医療実現のためのデータ解析技術の活用、問診・診断・手術・治療における一層のデジタル技術の活用など、医療の包括的なICT化に関する研究開発等を推進するとともに、医療等分野の各種情報を扱うシステム間における相互運用性を確保する必要がある。

このため、以下の施策を行う。

●データベースの機能整備・連携を含む医療・介護・健康分野のデジタル基盤の構築

・医療・介護・健康分野の情報システムから目的に応じて必要なデータの集約を可能とする相互運用性・可搬性や拡張性の確保のための仕組みとそれらを総合的に推進、調整する体制のパッケージとしてのデジタル基盤の構築へ向けて、次世代医療ICT基盤協議会において引き続き、効率的かつ効果的なICTの利活用に必要な横串的な検討を行う。

●学術情報ネットワークの整備

・医療等分野の各種情報を扱うシステム間における相互運用性を確保するため、学術情報ネットワークの整備を行う。

- 医療の包括的なICT化に関する研究開発や実証等の推進
  - ・ ICTの利活用により、効率的で質の高い診断・治療を病院全体のレベルで実現するため、ICTを活用した次世代医療機器・病院システムの研究開発・実用化を推進する。併せて、医療ICTに関する研究開発において重要となる普及体制を研究開発体制とともに検討する。
- シミュレーション技術の高度化
  - ・ スーパーコンピュータを活用したシミュレーション手法による医療、創薬プロセスの高度化及びその製薬会社等による利用の促進等の基盤強化を図るため、効率的な創薬の促進に資する最先端のスーパーコンピュータの開発を行う。
- 医療情報等の扱いに関する整備
  - ・ 医療関連分野については、個人情報を含む医療情報等の利活用に関する整備のため、マイナンバー制度の基盤を活用した医療等ID制度の導入、医療情報等の活用に係る社会的ルールの明確化とともに、民間活力を利用した持続可能なデータ利活用制度の設計を行う。
- 医療・介護・健康分野における人工知能技術の研究開発・実用化
  - ・ 医療・介護等のデジタルデータの利活用基盤の構築を進めるとともに、革新的な人工知能の基盤技術を構築し、収集されたビッグデータを基に人工知能技術を活用することで、診療支援や新たな医薬品・医療技術の創出に資する研究開発を進める。

#### (5) 世界最先端の医療の実現に向けた取組

再生医療やゲノム医療の実現といった世界最先端の医療の実現に向けた研究開発も、科学技術先進国である我が国が重点的に取り組むべき重要な課題である。

このような最先端医療の開発に当たっても、基礎研究の果たす役割は重要である。我が国の基礎研究力はいまだ国際的にも競争力を保っているものの、革新的かつ医療ニーズに応える上で優れたシーズを将来にわたって創出し続けるためには、基礎研究への投資を怠ることなく、分野横断的な研究を推進することが必要である。加えて、基礎から臨床への流れだけではなく、両者間の緊密なフィードバックが不可欠であり、両者に対する同時支援が必要である。また、アカデミア創薬からの医薬品実用化においては、化合物ライブ

ラリーなどのリソースや技術を有する製薬企業との協働・協力が不可欠であり、産学連携への継続的な支援が必要である。

また、このような取組に当たっては、研究開発の着実な推進に加え、最先端が故に生じる課題やリスクに対し、その解決のための検討や社会の受け入れ態勢をも同時に整備する必要がある。

さらに、基礎研究の成果を出口につなげていく際には、その研究の当初から、患者をはじめとする国民のニーズに基づき出口戦略を明確にした工程表等に基づいた知的財産権を含む計画的、戦略的な取組や、研究の進捗に伴う客観的な評価を行いつつ推進することが求められる。

### ① 再生医療の実現

国民への再生医療の迅速かつ安全な提供等を図るため、「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)において、医薬品、医療機器とは異なる再生医療等製品の特性を踏まえた承認制度が設けられるとともに、医療として提供される再生医療等についても、細胞の採取等の実施の手続き、再生医療等を提供する医療機関の基準、細胞を培養・加工する施設の基準等を規定し、安全性を確保する「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)が平成26年11月より施行された。このような中、iPS細胞等を含む幹細胞を用いた再生医療や創薬研究において、我が国の優位性を維持するためには、疾患の病態解明に加え、iPS細胞等の基礎研究から応用研究、臨床研究及び治験、実用化について引き続き重点的に推進するとともに、我が国が得意とする技術をいかし、世界に先駆けて自動大量培養装置や周辺装置等を開発するための産学連携が必要である。また、基礎研究から次のフェーズへ進めるためにも、再生医療に用いる材料の大量かつ安定的な国内生産及び供給体制が不可欠であり、国際的に整合性がとれた基準での製造・品質管理体制を構築する事業を産学連携の下で推進する必要がある。また、iPS細胞等のバンク化及び他家細胞移植治療の推進のため、他家細胞移植治療の基礎研究から応用研究、臨床研究及び治験、実用化を加速させる必要がある。

再生医療等製品は、非臨床試験から製造販売承認まで長期間を要することに加えて、製造プロセスも多く、衛生管理も極めて高度であり、かつ試験検査にも多額の費用を要するため、PMDAの薬事戦略相談による助言の積極的活用も含め、切れ目ない長期支援と一貫したサポート体制が必要である。このため、各省一体となり、基礎研究、応用研究、臨床研究及び治験、実用化へとそれぞれの成果をつなぎながらの一貫性のある支援が必要である。

一方、信頼性や国際競争力を維持するためには、製品の生産及び供給体

制に応じた規制も必要であり、高い品質を確保するための試験検査実施体制を構築することが必要である。

また、開発費用・開発に費やした時間が無駄にならないよう、ストック用iPS細胞等の再生医療等製品の原料等の基準、iPS細胞由来分化細胞を用いた医薬品評価法並びに臨床研究及び治験の基準を策定することが必要である。日本発のiPS細胞・分化細胞を海外にも普及させるため、医薬品評価法の国際標準化につき、国際的な調整・交渉を行うとともに、整合化を図る必要がある。

ヒトiPS細胞の臨床応用には、倫理的、法的及び社会的課題があるため、研究者のみならず、社会全体で議論を行い、丁寧に合意を形成することが必要である。

また、iPS細胞については、再生医療のみならず、それを活用した創薬研究を強化することが重要である。難病をはじめとした疾患特異的iPS細胞の樹立とストック、解析方法などの技術開発及びそれを用いた疾患研究及び創薬研究を、産学官が連携し、基礎研究から応用研究、臨床研究及び治験、実用化へと、一貫性を持って推進することが必要である。

このため、以下の施策を行う。

#### ＜「統合プロジェクト」＞

##### ●再生医療実現プロジェクト（II. 2 (2) に後述）

##### ●産学連携による世界に先駆けて自動大量培養装置や周辺装置等の開発、国際的な整合性がとれた基準での製造・品質管理体制を構築する事業の推進

・再生医療等製品を安全かつ安価に製造・加工するための製造システムを構築し、iPS細胞等の再生医療への産業応用の促進及び培養装置等の再生医療を支える周辺製品市場で我が国のものづくり産業の国際競争力を高める。さらに、iPS細胞等を活用した、医薬品候補化合物の安全性等評価基盤技術の開発を進め、幹細胞の創薬応用の促進を図る。

##### ●他家細胞移植治療の基礎研究、応用研究、臨床研究及び治験の加速

・均一なiPS細胞の高効率樹立法の確立等により、安全性の高い再生医療用iPS細胞ストックを構築し、iPS細胞の提供を推進する。また、幹細胞操作技術等の開発など、他家細胞移植治療の実用化に資する研究を推進

する。

- ・再生医療等の安全性の確保等に関する法律の施行に向けた政省令等の検討・作成を行うとともに、ヒト幹細胞を用いた臨床研究及び治験や、安全性確保に対する研究等に対し支援を行う。

#### ●高い品質を確保するための試験検査実施体制を構築

- ・iPS細胞の性質を明らかにする評価項目を策定し、iPS細胞の作製方法及び評価方法の確立とその最適化を行う。その他、高い品質の確保に資する基盤技術等の研究開発を推進する。
- ・再生医療等製品の原料等として利用するiPS細胞等の品質及び安全性を確保するための評価手法の開発を行う。

#### ●iPS細胞由来分化細胞を用いた医薬品評価法の策定及び国際標準化

- ・ヒトiPS細胞技術を用いた次世代の医薬品安全評価法の確立を目指し、心毒性の評価に用いる標準細胞の開発と標準的試験法の産官学オールジャパンで実施し、商用化の促進と評価法の国際標準化への提案を行う。
- ・国際標準化機構（ISO）規格化の動きに対応し、規格案が我が国の実情に合致するかどうかなどの調査・検証・検討を行うとともに、国内外のISO委員会に参加して、規格案の提案を行うための研究を実施する。

#### ●iPS細胞を活用した創薬研究の強化に資する、産学連携による疾患特異的iPS細胞の樹立とストック、解析方法等の技術開発、疾患研究及び創薬研究の推進

- ・拠点機関において、様々な疾患の患者体細胞からの疾患特異的iPS細胞の樹立及びバンクへの寄託を行うとともに、バンクの機能充実を図る。また、多くの研究者、企業等が創薬等研究を実施できる基盤を構築する。
- ・希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、疾患特異的iPS細胞を用いて、疾患の病因や病態解明を行う研究、創薬を視野においていた治療法の開発や予防法の開発を目指す研究を推進する。

#### ＜「統合プロジェクト」以外の施策＞

#### ●再生医療等製品の安全対策の推進

- ・再生医療等製品について市販後の有効性及び安全性を確保するため、PMDAにおいて構築した「再生医療等製品患者登録システム」等による情報収集を活用し、再生医療等製品の安全対策等を推進する。

## ② ゲノム医療の実現

ゲノム解析技術の著しい進展により、誰もが自分のゲノム情報を利用できる時代が到来しつつあり、抗がん剤や骨髄移植ドナーの選択に代表されるようにゲノム医療が既に開始されている。我が国においては、バイオバンク事業を展開し、疾患関連遺伝子の同定についての成果を上げているが、ゲノム医学の成果を臨床現場に普及する具体策を講すべき時期に来ている。具体的には、日本人（あるいは東アジア人）のゲノム多型情報やアジア人に固有の腸内細菌のゲノム情報の集積を行い、疾患の診断治療のみでなく、重症化や薬剤副作用の予防、発症予防の実現に向けた研究開発の促進及び環境整備等が必要である。

このため、研究基盤（バイオバンク、ゲノム解析、ゲノムコホート研究）の強化が重要であり、基盤整備に当たっては詳細な臨床情報が付帯された良質な生体試料を収集・保存することに留意する必要がある。これらの臨床試料を医療や創薬に活用するためには、必要なデータを確実に取得する計測技術や膨大なデータを解析する技術の開発、スーパーコンピュータの整備、データベースを含めたシステム環境の整備・運用が必要である。また、ハードの整備を進めるとともに、バイオインフォマティクスなどの専門家の育成・確保を進める必要がある。

さらに、生体分子ネットワークや恒常性維持機構の体系的研究を通じた疾患発症機構の解明に向け、多角的な情報を融合させることが重要であり、ゲノム解析拠点、オミックス解析拠点、画像解析拠点を整備し、それらをネットワーク化し、集中して解析することが必要である。また、臨床試料・臨床情報及び情報処理システムについては、個人情報保護を担保しつつ、外部にも利用可能とし、研究開発を更に加速化することが必要である。また、環境と遺伝の相互作用に関するエピゲノム研究を推進することが必要である。

個別化医療等については、治療薬開発と同時にコンパニオン診断薬を開発することや臨床研究及び治験のデザインの最適化を推進する必要がある。

ゲノム・エピゲノム情報、あるいはバイオマーカーに基づく個別化医療は、これからの中の世界の医療において主流になることが見込まれており、産学官連携による簡便、安価で高精度な遺伝子診断キット等の開発、新たなバイオマーカーの開発等の展開も期待される。疾患の本態解明に加え、特定健康診査等の情報とゲノム情報を融合することにより国民の健康寿命延伸に向けた予防への利用も期待される。

ゲノム情報の取り扱いについては、今後社会に及ぼす影響が大きいことか

ら、ゲノム研究の推進を図るとともに、倫理面での具体的対応や法的規制の必要性も含め、検討を進める。臨床情報等の取扱いに関しては、倫理的・法的及び社会的課題についての対応や、各種倫理指針を履行するための支援が必要である。また、協力をいただく患者や住民、地域と医療従事者側の協働が必要である。

本領域の取組に当たっては、国際的な連携や協力も重要である。ゲノム解析技術及び医療ビジネスで世界を先行する米国や大規模コホートで実績のある英国、スウェーデン、アイスランドをはじめとした欧州、類似性の高いゲノム情報を有する近隣アジア諸国との連携等につき、我が国と世界の研究開発動向を踏まえ、また、国際競争力の観点からも戦略的な国際協力をを行う必要がある。

このため、以下の施策を行う。

#### ＜「統合プロジェクト」＞

- 疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト（II. 2 (2) に後述）
- 研究基盤（バイオバンク、ゲノム解析、ゲノムコホート研究）の強化
  - ・ 疾患及び健常者バイオバンクを構築し、ゲノム解析機能の強化及びゲノムコホート研究を強化するとともに、臨床応用等に向けた共同研究を推進する。
  - ・ ゲノム医療の実現化など、新たな治療法の開発のため、ナショナルセンターを受診した患者の疾患検体と臨床情報を集積した「ナショナルセンター・バイオバンクネットワーク（NCBN）」について、一層の充実・強化を図るとともに、それらの基盤を活用したゲノムコホート研究をより推進する。
- 臨床試料を医療や創薬に活用するためのシステム環境の整備
  - ・ 企業や他の研究機関による治療薬開発等の一層の推進を図るため、NCBNが保有する疾患検体を活用した企業等との共同研究をより推進するとともに、NCBNのカタログデータベースのより一層の充実を図るなど、企業等がより活用しやすいシステム環境を隨時整備する。
- 臨床試料・臨床情報及び情報処理システムの個人情報保護を担保した外部利用可能の検討

- ・各バイオバンクでの保管試料及び臨床情報の有機的連携による利活用の促進を図りつつ、ゲノム医療の実現に向けた研究の実施機関等に対し、個人情報や研究の質等に関する審査等の手続きを経て提供する。

#### ●各種倫理指針を履行するための支援

- ・ゲノム医療実現に不可避な倫理的・法的・社会的課題を含む具体的課題の解決に向けた研究を推進し、2016年度までに「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」等への反映に資するような提言を行う。

#### ●戦略的な国際協力の推進

- ・ISOにおけるバイオバンクの規格化の動きへの対応として、規格案が我が国のバイオバンクの実情に合致するかどうかなどの調査・検証・検討を行うとともに、国内外のISO委員会に、我が国の実情を踏まえた規格案を隨時提案するための研究を実施する。
- ・「AMED知的財産ポリシー（2015年4月運用開始）」に従い、研究成果の知的財産保護を行うとともに、ゲノム医療研究においてAMEDの「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー（2016年4月運用開始）」を適用し、データシェアリングを推進する。
- ・がんゲノムやゲノム医療及びISO等における本分野の国際協力枠組みへ参加する。

#### ●個別化医療等におけるコンパニオン診断薬等の同時開発並びに臨床研究及び治験のデザインの最適化（再掲：II. 1. (2) ①）

#### ＜「統合プロジェクト」以外の施策＞

##### ●ゲノム解析等に係る研究の推進

- ・国立研究開発法人理化学研究所（以下「理化学研究所」という。）、ナショナルセンター、国立研究開発法人産業技術総合研究所（以下「産業技術総合研究所」という。）等におけるゲノム解析等に係る研究開発を推進する。

##### ●ゲノム医療に関する国際的な研究交流・協力の推進

- ・ゲノム医療に関し、行政部局間及び研究者・機関間の国際的な研究交流・協力を推進する。

### ③ その他の先進的な研究開発への取組

高度な科学技術を有する我が国にとっては、上記①「再生医療の実現」、②「ゲノム医療の実現」以外にも、各疾患の病態解明を進めるとともに、これに基づくゲノム編集技術等を活用した遺伝子治療、ウイルス療法、免疫療法、ワクチン療法、分子標的治療、核酸医療などの新たな治療法の開発や、DDS及び高精度かつ安全性の高い診断や治療に資する革新的な医薬品、医療機器等の開発など、将来の医薬品、医療機器や医療技術の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズの育成についても、積極的な取組が必要である。特に将来の市場規模の拡大が期待されるバイオ医薬品や中分子医薬品に関しての積極的な取組も必要である。

また、世界最先端の医療を実現するために必須であり、かつ年間約3兆円にもおよぶ貿易赤字の解消のためにも、最先端の医科学・医療分野の研究開発と臨床応用を強力に支援する次世代型計測分析評価技術・機器・システム開発の特段の強化・促進が喫緊の課題となっている。

このため、以下の施策を行う。

#### ●新たな画期的シーズの育成

- ・革新的な医薬品、医療機器等及び医療技術を創出することを目的に、客観的根拠に基づき定めた研究開発目標の下、画期的シーズの創出・育成に向けた先端研究開発を推進するとともに、有望な成果について研究を加速・深化する。
- ・理化学研究所などの研究開発法人においてこれまでの多用な研究で培われたポテンシャルをいかし、革新的シーズの創出等に貢献する基礎・基盤研究を実施する。

#### ●将来の市場規模の拡大が期待されるバイオ医薬品等への取組の推進

- ・我が国のバイオ医薬品の国際競争力強化に向け、我が国の強みであるケミカルバイオロジーと計算化学等を融合し、細胞内標的をターゲットとする技術、核酸医薬の機能向上等の世界初の次世代バイオ医薬品創出基盤技術開発を実施し、計画当初から5年以内に企業等へ移転することを目指す。
- ・我が国発の革新的なバイオ医薬品の創出に向けて、人材育成を含めた基盤・環境整備への支援の検討を引き続き実施する。
- ・次世代治療・診断の実現のため、患者に負担をかけずに早期診断を行

うための生体指標の探索技術、次世代創薬に必要なIT技術、天然化合物ライブラリの整備技術、高品質なバイオ医薬品製造技術の開発等を実施し、計画当初から5年以内に実用化を目指す。

・個人差や疾患状態に基づいて、より効果的な治療を行うための糖鎖利用技術の開発や、革新的な医薬品としての期待が高まっている中分子化合物の高効率製造技術の開発等を進める。

### ●次世代型計測分析評価技術・機器・システム開発の促進

・患者にとって負担が軽く、低コストな医療診断等に貢献するための診断技術・機器・システムや未知のターゲット探索を可能とする計測分析技術・機器・システムの開発等を推進する。

## (6) 国際的視点に基づく取組

### ① 国際的視野でのテーマ設定

研究開発テーマの設定や取組の検討に当たっては、国内のみならず、研究開発の現状や産業界における競争力等の国際動向及び国際的な標準化の現状について正確な把握を行うことが必須である。その際、相手国に応じて、感染症、生活習慣病、精神・神経疾患等に留意する必要がある。このため、テーマの設定に当たっては、国際的な視点も踏まえて、十分に検討する必要があり、個別の分野に関する専門家に加え、国際的思考のできる人材の育成と活用が必要である。また、課題の選考に当たっては、国内外の当該専門領域の科学者の意見を十分に聴取することが必要である。

### ② 国際協力・展開及び国際貢献

医療分野においても国際共同研究の重要性は議論をまたない。ゲノム研究や次世代診断・治療技術の開発等については、最先端分野における欧米等の研究開発先進国との協力が重要であるとともに、特に、ゲノム研究については、遺伝子レベルでの共通性のあるアジア諸国との連携が不可欠である。また、難病、生活習慣病やその他の疾患の患者データの精度を向上させ有効活用を図るためにも、国際協力の推進は不可欠である。質の高い臨床研究や治験、研究ネットワークの構築等の国際共同研究を実施するための支援体制の強化も求められる。

近年、交通や物流のグローバル化により国際連携での取組が必須となった感染症対策に関しては、特に、アジア・アフリカを含む二国間及び多国間での協力や国際連携による早期探知・封じ込めや創薬など、多様な協力への対応が必要である。同時に、結核や薬剤耐性菌などの感染症は、いまだに途上

国で大きな問題であり、ワクチンや感染症診断薬・治療薬の国際的なニーズは高く、我が国は、技術革新を促進し、国際的に貢献を果たすことが求められている。希少疾患研究では、AMEDが国際希少疾患研究コンソーシアム（IRDIRC）に加盟する等、データシェアリングへの戦略的な対応を行っているところであり、国際貢献及び協力は、同時に、我が国の研究開発にとっても必要欠くべからざるものとなっており、ひいては世界の持続可能な発展につながるものである。

産業化の視点では、画像診断分野において、医療機関との強い連携の下、コア技術を構築し、先進的な医薬品、医療機器等及び医療技術を開発してきた。これを更に強化し、医療への貢献、海外展開を加速する。加えて、アジア、アフリカ等と、相手国の実情とニーズに適した医療サービスの提供や制度開発等の協力を通じて、真に相手国の医療の発展に寄与する持続的な事業展開を意識した日本の産業競争力の強化を図る必要がある。

さらに、地球規模課題としての保健医療（グローバルヘルス）を日本外交の重要課題と位置付け、日本の知見等を総動員し、世界の全ての人が基本的保健医療サービスを負担可能な費用で享受すること（ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ）も求められる。

これら国際協力等の取組に当たっては、2015年9月の国連サミットで採択された「持続可能な開発目標（Sustainable Development Goals : SDGs）」の1つである「あらゆる年齢のすべての人々の健康的な生活を確保し、福祉を促進する」の趣旨を踏まえ、推進していくことが重要である。

このため、以下の施策を行う。

- 相手国の実情とニーズに適した医療サービスの提供や制度開発等の協力
  - ・相手国内での日本の医療関係者の円滑な活動の確保など、医療制度に関わる調整、日本の診断基準等の医薬品、医療機器等及び医療技術に係る標準の現地採用の懲懃、保険制度の導入支援、医療機関の設立・運営に必要な公的ファイナンススキームの構築支援など、広範な協力関係を事業の基盤として構築する。
  - ・日本が先進的に取り組んできた、健康的な生活習慣の促進、早期発見・予防医療の推進及び、公的医療保険制度の構築支援等に関する日本の経験・知見を移転し、ASEAN諸国を健康寿命先進地域にするため「ASEAN健康イニシアチブ」を推進する。
  - ・日本の医療技術等の国際展開をするため、新興国・途上国等における保健・医療課題を解決しつつ、途上国等のニーズを十分に踏まえた医療

技術・医薬品・医療機器の開発と、日本の医療技術等の新興国・途上国等への展開に資するエビデンスの構築を推進する。具体的には、新興国・途上国等における医療の水準、電力供給の状況や気候の違い等に適応するように既存の医療機器のスペックを現地向けに改良すること等に向けた研究開発及び実用化を目指す。また、我が国では有効性が確立している医療技術・医薬品・医療機器を現地の使用基準等に合うように改めて、遺伝的特性や現地の環境等へ適合するか否かを確認する。さらに、新興国・途上国等において蔓延する生活習慣病等の疾病について、現地の文化も考慮しつつ保健指導の方法等を開発する。

### ●画像診断分野等における海外展開の加速

- ・日本が強みを有する画像診断分野を含む、日本の医薬品、医療機器等及び医療技術、サービスの国際展開を図るため、新興国を中心に日本式医療拠点を構築する。

### ●ゲノム医療に関する国際的な研究交流・協力の推進（再掲：II. 1. (5)

(2)

### ●最先端分野における研究開発及び地球規模課題の解決に係る国際共同研究の推進

- ・先進的医療に係る研究開発を実現するとともに、地球規模の医療に係る課題の解決に貢献するため、国際科学技術協力の戦略的展開により、先進・新興国、開発途上国との共同研究等を推進する。

### ③ 規制等の国際整合

世界経済のボーダレス化が進む中、国際標準の重要性が増している。我が国の医薬品、医療機器等がスムーズに世界のマーケットに参入できるよう、規制の国際整合に取り組むとともに、国際的な規制業務に係る人材の育成・体制の強化を積極的に行う必要がある。

また、国際競争力強化のため、先端医療機器や再生医療技術等の我が国が優れた技術を有する分野について、安全性等の国際標準提案といった戦略的な国際標準化の取組を推進することが重要である。

このため、以下の施策を行う。

### ●国際的な規制業務に係る人材の育成・体制の強化

- ・PMDAにおいて、米国FDA (Food and Drug Administration)、欧州EMA (European Medicines Agency) に加え、他の欧米アジア諸国等の諸国際機関との連携を強化し、GCP等の調査に関する情報交換を更に活発に行うなどを含め、審査・相談に係る情報の受発信の促進を図るとともに、人材交流やICHをはじめとする国際的なガイドラインを検討する国際会議への出席等を通じて、国際的に活躍できる人材の育成を図る。

### ●戦略的な国際標準化の取組の推進

- ・最先端の技術を活用した医薬品、医療機器等の有効性及び安全性の評価に関する研究の充実や、最先端の診断・治療技術について世界に先駆けた国際規格・基準の策定を提案することで国際標準化を推進する。これにより、2020年までに日本が提案した国際規格等の策定を目指す。

## (7) 人材の育成

医療分野の研究開発ポテンシャルの向上には、関係するあらゆる分野における人材の育成、確保が重要である。

人材育成に関しては、臨床研究及び治験の観点からも大学の果たすべき役割が鍵である。特に、卒前教育に臨床研究及び治験に係る方法論、臨床疫学、生物統計学を組み込み、学生にも臨床研究及び治験に関する教育を実施することが期待される。また、医学系及び生命科学系の若手研究者を持続的に支援することで、基礎研究から臨床研究及び治験まで精通し、かつ、世界をリードする学術的な実績があり、強力な指導力を発揮できる若手・女性研究者を含めた人材を育成することが重要である。

さらに、研究者等の人材の流動性向上のための取組も推進する。加えて、専門家のみならず国民全体の健康や病気に関する理解力（リテラシー）の底上げも重要な課題となっている。

また、リーダーとなる研究者の育成のみならず、必要な専門人材、具体的には、生物統計家、臨床研究コーディネーター（CRC）、データマネージャー（DM）、バイオインフォマティシャン、研究倫理コンサルタント（相談員）、知的財産、有効性・安全性の評価、規制、広報、研究契約等の専門人材及びレギュラトリーサイエンスの専門家を育成・確保、適正な評価をするとともに、キャリアトラックを確立する必要がある。こうして育成された人材を橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点に複数配置するよう配慮する必要がある。

さらに、革新的な医薬品、医療機器等及び医療技術をより早く医療現場に届けるため分野横断的な研究を推進し、イノベーションの創出を行いうる人

材の育成が重要である。

このため、以下の施策を行う。

●医学系及び生命科学系の若手研究者の持続的な支援

- ・先端的研究開発への若手研究者の参画を促すことで、創造性・独創性を遺憾なく発揮した挑戦的な研究を支援し、次代のリーダーとなる研究者の育成に貢献する。

●専門人材、レギュラトリーサイエンスの専門家の育成・確保

- ・橋渡し研究支援拠点において、データマネージャー (DM)、生物統計家、細胞培養員、レギュラトリーサイエンスの専門家などの専門人材を確保するとともに、教育訓練や講習会、OJT等により人材育成を推進する。
- ・質の高い臨床研究や治験を実施可能とするため、臨床研究及び治験をサポートする人材育成を目的に初級者臨床研究コーディネーター (CRC)、上級者CRC、データマネージャー (DM) を対象とした研修及び倫理審査委員を対象とした研修を引き続き実施し、2016年度までに500人以上の上級者CRCの養成を目指す。また、臨床研究及び治験を実施する医師に対し研修を行うとともに、民間で認定している上級者CRCの受験資格、試験内容の整合等を図る。(再掲：II. 1. (1) ①)

●イノベーションの創出を行いうる人材の育成

- ・イノベーションの創出を行いうる人材を育成するため、橋渡し研究支援拠点等において、先進的なプログラムの導入や人材交流等を積極的に推進する。

(8) 公正な研究を行う仕組み及び倫理・法令・指針遵守のための環境の整備

公正な研究を行う仕組みを整備するには、効率的な臨床研究及び治験を実施するためのデータベースの構築や、臨床研究の監査やモニタリングの確立を図る必要がある。具体的には、研究計画書（プロトコール）の策定、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開発マネジメントを効率的に実施することが求められる。

また、我が国の臨床研究の信頼回復に向け、「高血圧症治療薬の臨床研究事案に関する検討委員会」の報告書等を踏まえ、「臨床研究に関する倫理指針」

を見直し、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に基づき、適正な臨床研究の実施を進める。その際、臨床研究の質の確保と被験者保護と研究機関及び製薬企業の利益相反管理等を目的として、倫理教育の強化、不正事案の公開、不正を抑止する環境の整備、組織としての責任体制の確立、不正事案に関する管理責任の追及、国の監視機能の強化と充実、国による組織の不正防止の取組の推進を行う。

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、業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正の防止に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成に努める。

このため、以下の施策を行う。

#### ●研究に関する不正への対応

- ・研究不正に対して、研究現場の実態を十分に踏まえつつ、個別事案を超えた大きな観点から検討を行い、これらを研究者、組織（予防）及び組織（事後）として対応すべき事項について取りまとめるとともに関係府省に周知し、取組を促す。
- ・研究機関の不正行為及び研究機関における公的研究費の管理・監査に関するガイドラインの内容等に関する周知徹底や着実な履行を求めること等の取組を推進する。
- ・我が国の臨床研究の信頼回復に向け、「高血圧症治療薬の臨床研究事案に関する検討委員会」の報告書等を踏まえ、「臨床研究に関する倫理指針」を見直し、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に基づき、適正な臨床研究の実施を進める。
- ・2016年5月13日に、臨床研究の実施の手続等を定めることにより、我が国の臨床研究に対する国民の信頼を確保すること等を目的とした「臨床研究法案」が第190回通常国会に提出された。法案成立後には円滑な施行に向けた関係法令の整備等を行う（再掲：II. 1. (1) ①）。

#### ●倫理審査の質の向上

- ・臨床研究を国際水準で行う必要性が高まるとともに、その高度化かつ複雑化する状況を鑑みると、倫理性・科学性を適切に判断する倫理審査委員会の役割の重要性が一層高まっている。現在、全国に設置されている約1,700の倫理審査委員会（2016年11月末現在）のうち、国が定めた基準を満たしている倫理審査委員会を認定する制度を実施しており、引き続き、当該倫理審査委員会における審査の質を確保するととも

に全体的な質の向上を図る。

- ・また、質の高い臨床開発環境の整備と審査の質的均一化が求められていることから、例えば多施設共同研究の場合等では、中央倫理・治験審査委員会を活用して一括審査が進むような環境整備を図る。

#### （9）研究基盤の整備

創薬、医療機器開発につながる基盤技術については、継続的かつ確実に支援することが重要であるとともに、様々な専門分野を融合し、イノベーションを起こすことが必要である。このため、革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいて推進している拠点を一体化することによりアカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制の構築が必要である。

さらに、知識の共有は研究開発推進の源であり、ライフサイエンスに関するデータベース、全国規模の難病データベース、ビッグデータベースシステムをはじめとした良質な情報・試料は可能な限り広く収集・保存し共有されることを目指す必要がある。各省等が個々に推進してきたデータベースについてもその連携を進めることが必須である。また、地道な疾患研究や疫学的な調査研究がおろそかにならないよう適切な目標を設定し、長期支援が必要な研究開発の安定的継続に対しては配慮が必要である。

さらに、研究基盤（患者由来の試料、モデル動物等のバイオリソース、先進的解析技術・機器等）の開発推進及び研究者が円滑に利活用可能な最新の基盤（ライブ・分子イメージング、次世代シークエンサー等）の整備を行い、既存の大規模先端研究基盤（放射光施設、スーパーコンピュータ等）や先端的な計測分析機器等を備えた小規模施設と連携を取りつつ、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ことが重要である。

創薬支援ネットワークの構築などの医薬品創出のための支援基盤の整備により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。

また、医工連携による医療機器の開発・実用化を促進するため、複数の専門支援機関による開発支援体制（医療機器開発支援ネットワーク）を強化する。

さらに、「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）、「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」（平成28年2月9日関係閣僚会議決定）及び「長崎大学の高度安全施設（BSL4施設）整備に係る国の関与について」（平成28年11月17日関係閣議会議決定）等を踏まえ、高度安全実験施設を中核とした感染症研究拠

点の形成について必要な支援を行い、我が国における感染症研究機能の強化を図る。

このため、以下の施策を行う（ICTに関する取組は、II. 1. (4) 参照）。

#### ● ライフサイエンス研究等に係る研究基盤の整備

- ・ ライフサイエンス研究に関するデータベースを統合するため、データの統合・検索技術等に関する研究開発を推進し、横断的な情報基盤を整備する。
- ・ 創薬などのライフサイエンス研究に資する技術や施設等を、高度化・共用する創薬・医療技術支援基盤を構築し、大学等の研究を支援する。
- ・ ライフサイエンス研究の発展に向け、重要かつ質の高いバイオリソースを、中核的拠点に戦略的に収集・保存し、研究機関に提供する。
- ・ 疾患及び健常者バイオバンクを構築し、ゲノム解析機能の強化及びゲノムコホート研究を強化するとともに、臨床応用に向けた共同研究を推進する。
- ・ 大学・国立研究開発法人等が所有する先端研究施設・設備の整備・共用及び共通基盤技術の開発等を推進する。
- ・ スーパーコンピュータ「京」を中心とする革新的ハイパフォーマンス・コンピューティング・インフラ（HPCI）を最大限活用し、医療及び創薬に関するシミュレーション手法を確立し、医療や創薬プロセスの高度化を更に推進する。
- ・ ゲノム医療の実現化や新たな治療法の開発のため、ナショナルセンターを受診した患者の疾患検体と臨床情報を集積したNCBNについて、一層の充実・強化を図る。

#### （10）知的財産のマネジメントへの取組

我が国の医療分野の国際競争力を高めるに当たっては、知的財産教育の充実、知的財産管理専門家の育成や活用など、知的財産に関する戦略的な取組を促進する。

また、ドラッグ・リポジショニングに必要な取組の観点からも、知的財産の状況を把握し、製薬企業が情報提供しやすい環境を整備する必要がある。

こうした課題に対処するため、AMEDにおいて専門の部署を設置し、知的財産取得に向けた研究機関への支援機能（知的財産管理・相談窓口、知的財産取得戦略の立案支援等）を行う。

さらに、知的財産戦略・標準化戦略の立案を支える人材を確保するため、大学等における知財・標準化教育の拡充を図る。

このため、以下の施策を行う。

●革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおける取組

・橋渡し研究支援拠点において弁理士を含む知的財産専門家の確保等により、医療分野に特化した、特許出願・調査、知的財産管理、知的財産戦略策定等の支援を更に推進する。また、学部学生や大学院生等を対象とした、知的財産教育を含む、橋渡し研究に関する教育や実地研修を推進する。

●次世代がん医療創生研究事業における取組

・創薬研究を中心に、研究進捗状況を踏まえ、特許調査、特許出願支援、企業等への導出活動支援等を行う。また、大学等の知的財産部門／TLO等と連携し、適時適切な知的財産コンサルテーションを行うことによつて、知的財産面から研究の推進と実用化に向けた支援を行う。

●AMEDにおける取組（II. 2. (1) に後述）

## 2. 新たな医療分野の研究開発体制が担うべき役割

2014年5月、健康・医療戦略推進法及び独立行政法人日本医療研究開発機構が成立し、AMEDの設立をはじめ、我が国の医療分野の研究開発体制が新たに構築された。

具体的には、医療分野の研究開発の司令塔本部として、内閣に内閣総理大臣を本部長とし、全ての閣僚が本部員となる健康・医療戦略推進本部が設置され、政治のリーダーシップにより、①政府が総合的かつ長期的に講ずべき健康・医療に関する先端的研究開発及び新産業創出に関する施策の大綱等である健康・医療戦略及び当該戦略に即した医療分野研究開発推進計画を定め、②同戦略及び同計画の実施のために必要な、各省に計上されている医療分野の研究開発関連予算を集約すること及び内閣府に計上される「科学技術イノベーション創造推進費」の一部を活用した医療分野の研究開発関連の調整費により、司令塔機能の発揮に必要な予算を確保し、戦略的・重点的な予算配分を行い、③AMEDにおいては、基礎研究、臨床研究及び治験、創薬開発等の豊富な経験を有するプログラム・ディレクター（以下「PD」という。）、プログラム・スーパーバイザー（以下「PS」という。）、プログラム・オフィサー（以下「PO」という。）等の

適切な配置を行い、実用化のための研究を基礎段階から一貫して一体的な管理を行うこととなっている。

このような新たな医療分野の研究開発体制において、具体的に以下の取組を行う。

#### (1) AMEDが果たすべき機能

##### ① 医療に関する研究開発のマネジメント

統合プロジェクトなど、AMEDにおいて実施される研究開発の成否は、プロジェクトマネジメントにかかっている。このため、患者や医療現場、産業界等からのニーズの把握や技術的 possibility を評価し、現実的なビジョンの下に計画を常に見直すことのできるマネジメントを実現する。そのためには、優れたシーズを見出す目利き機能、臨床研究及び治験への橋渡しや産業界への導出に向けての企画力、規制対応等の周到な準備と研究者を支援・指導する牽引力が求められる。

具体的には、患者や医療現場、研究者、産業界等からのニーズの把握等のためのアドバイザリーボードを理事長の下に置くとともに、国内外の動向を把握、評価し、テーマを抽出するための専門家によるシンクタンク機能を備える。また、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、成果が見込まれる適切な研究課題を選定する。PD、PS、PO等がこれを活用して専門調査会報告書を踏まえた研究の実施、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ことが必要である。また、効果的な研究開発を行う上で、研究開発に係る情報の集約及び分析、それに基づく研究開発マネジメントが重要であることから、研究開発マネジメント等に資するデータベースの構築が必要である。さらに、ピア・レビューの方法や研究開発提案書について国際的知見の収集・共有を進める。

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、業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正の防止に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成に努めることが必要である。

##### ② 臨床研究及び治験データマネジメント

AMEDが推進する研究については、臨床研究及び治験に係る計画書（プロト

コール）の策定、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方策を検討し、できる限り早期にその実行に向けた取組を行うことが必要である。

### ③ 実用化へ向けた支援

AMEDには、知的財産管理・相談窓口、知的財産取得戦略の立案支援等の知的財産取得に向けた研究機関への支援機能や、2016年3月に相互協力協定を締結した株式会社産業革新機構との連携、2015年8月に連携協定を締結したPMDAと連携した有望シーズの出口戦略の策定・助言や企業への情報提供・マッチング及びワンストップサービスの提供等といった実用化に向けた企業連携を支援する機能の具備が必要である。また、医療機器開発に関して、関係機関が連携して支援できるようなネットワークを構築し、その中核的役割を果たす医工連携並びに産学連携のハブとして機能を整備することが必要である。

医薬品の実用化支援については、創薬支援コーディネーターチームの目利き評価により大学等で生み出された研究成果から有望シーズを選抜し、創薬支援ネットワークが保有する創薬支援資源を集中的に投下することにより、応用ステージ（スクリーニング、最適化研究、非臨床試験）を中心に、革新的新薬の創出を目指したオールジャパンでの強力な支援を行うことが必要である。

### ④ 研究開発の基盤整備に対する支援

新たなバイオマーカーを探索・解明することで実現する革新的な診断技術・機器、既知のマーカーを取り扱いやすく、非侵襲、低侵襲で、正確かつ低コストで測定できる診断技術や機器をシームレスに開発するための体制整備、革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備やエビデンスに基づいた予防医療・サービス手法を開発するためのバイオバンク等の強化及びモデル動物等のバイオリソースの整備等を行うことが必要である。

### ⑤ 国際戦略の推進

国際的な研究開発動向を踏まえ、我が国にとって真に価値のある国際共同研究を推進することによって国民に最高水準の医療を提供することが必要である。また、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ことが必要である。さらに、我が国の医療に係る研究能力を活用して国際的にも貢献するため、AMEDは、主要な海外ファンデ

イング機関との協力協定の下、医療分野における研究開発の中核的な都市に置いた海外事務所を活用しつつ、共同研究の推進・調整や情報収集・発信等を行っていくことが必要である。

#### ⑥ 政府出資を活用した産学連携等の取組への支援

政府出資を活用し、革新的な医薬品・医療機器等の研究開発及び研究環境整備について、産学連携等の取組を支援する。

#### （2）基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

本計画は、基礎研究からの優れたシーズを見出し、これを実用化へ一貫してつなぎ、具体的な成果を目指すものである。このため、取組の当初から、臨床研究及び治験への橋渡しや産業界への導出に向けた戦略と周到な準備に基づく実施が求められる。

多岐に広がる医療分野の研究開発への取組の中で、AMEDにおいて、PDの下に、各省の関連する研究開発事業を統合的に連携させ、1つのプロジェクトとして一元的に管理する取組を「統合プロジェクト」とする。このうち、複数の疾患領域における研究の基盤的な性質を有する研究開発であるなど横断的な取組を「横断型統合プロジェクト」（後述の「医薬品創出」、「医療機器開発」、「革新的な医療技術創出拠点」、「再生医療」、「オーダーメイド・ゲノム医療」）とし、社会的・臨床的に医療上の必要性・重要性が高い疾患領域に関する取組を「疾患領域対応型統合プロジェクト」（後述の「がん」、「精神・神経疾患」、「新興・再興感染症」、「難病」）とする。

その実施に当たっては、個々のプロジェクトごとに達成すべき成果目標（KPI）を設定し、その達成に向けて個々の研究開発の開始・方針の転換等について権限と裁量をPDに付与し、PDの下に各研究チームが、出口を見据えて、シーズの探索・選択や個々のシーズごとの戦略に基づく開発研究を行うとともに、当該プロジェクトの進捗管理・レビューを的確に実施し、シーズが頓挫した場合にはそれに替わる新たなシーズを隨時選択することで、各チームの下で常に複数のシーズの開発研究が行われるようなマネジメントを行うこととする。なお、当該統合プロジェクトに関しては、以下に示すKPIが掲げられており、このKPIに基づき取組を進めることとする。なお、これらのKPIについては、状況に応じて、更なる検討・検証等がなされ、必要な見直しがなされることもあり得る。また、今後開始される統合プロジェクト等についても、KPIを設定し、取り組むものとする。

統合プロジェクト以外の取組についても、本計画の主旨を踏まえつつ、着実に推進する。

さらに、リスクはあるが、飛躍的な可能性を秘めた課題に対しても、画期的なイノベーションの実現を目指す支援を行うことが期待される。

これらの統合プロジェクトの推進に当たっては、疾患の基礎研究の発展を図りつつ、研究の急激な進歩や、関係する科学技術の画期的な発展等に機動的に対応できるような資源配分やマネジメント、レギュラトリーサイエンスの充実を実現する。

### ① 横断型統合プロジェクト

複数の疾患領域における研究の基盤的な性質を有する研究開発であるなど横断的な取組をいう。

#### ○医薬品創出

創薬支援ネットワークや創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業などの医薬品創出のための支援基盤の整備及び基礎研究から医薬品としての実用化につなげるまでの切れ目のない支援を推進する。達成目標及び統合プロジェクトは以下のとおり。

##### 【2020年までの達成目標】

- ・相談・シーズ評価 1,500件
- ・有望シーズへの創薬支援 200件
- ・企業への導出（ライセンスアウト） 5件
- ・創薬ターゲットの同定 10件

##### ●オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト

- ・創薬支援ネットワークの構築や創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業などの医薬品創出のための支援基盤の整備により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。また、創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援する。

#### ○医療機器開発

我が国発の優れた医療機器について、医療ニーズを確実に踏まえて、日本の強みとなるものづくり技術もいかしながら、開発・実用化を推進し、研究開発から実用化につなげる体制整備を進める。達成目標及び統合プロジェクトは以下のとおり。

##### 【2020年までの達成目標】

- ・医療機器の輸出額を倍増（2011年約5千億円→約1兆円）
- ・5種類以上の革新的医療機器の実用化
- ・国内医療機器市場規模の拡大 3.2兆円

### ●オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

- ・医療機器促進法に基づく医療機器基本計画を着実に実行するため、また医工連携による医療機器開発を促進すべく、AMEDを通じて、各省・専門支援機関（産業技術総合研究所、公益財団法人医療機器センター等）・地域支援機関・医療機関・学会等の連携による開発支援体制（医療機器開発支援ネットワーク）を強化し、我が国の高い技術力をいかし、医療機器の開発・事業化を加速する。また、医療機器の承認審査の迅速化に向けた取組や、事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進める。

### ○革新的な医療技術創出拠点

アカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するとともに、各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究や治験を実施・支援する体制の整備も行う。達成目標及び統合プロジェクトは以下のとおり。

#### 【2020年までの達成目標】

- ・医師主導治験届出数 年間40件
- ・First in Human (FIH) 試験（企業治験を含む。）年間40件

### ●革新的医療技術創出拠点プロジェクト

- ・大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、当該プロジェクトにおける、橋渡し研究支援拠点、臨床研究中核病院等の一体化を進めるとともに、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化、ネットワーク化、オープンアクセス化及びシーズの拡大を更に推進する。
- ・また、ICH-GCP準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO機能を持ち、多施設共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進める。なお、AROの更なる活用のため、各医療機関が有するARO機能について客観的な評価を行う。

### ○再生医療

基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療

関連事業のための基盤整備並びに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。達成目標及び統合プロジェクトは以下のとおり。

【2020年までの達成目標】

- ・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用（臨床研究又は治験の開始）
- ・再生医療等製品の薬事承認数の増加
- ・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35件
- ・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化
- ・iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言

●再生医療実現プロジェクト

・iPS細胞等を用いた再生医療の迅速な実現に向けて、安全なiPS細胞の提供に向けた取組、幹細胞操作技術等のiPS細胞等の実用化に資する技術の開発・共有、再生医療の基礎研究・非臨床試験の推進等を実施する。また、再生医療の臨床研究及び治験の推進や再生医療等製品の安全性評価手法の開発等を行う。さらに、再生医療の実現化を支える産業基盤を構築する。

また、新薬開発の効率性の向上を図るために、連携してiPS細胞等を用いた創薬等研究を支援する。また、iPS細胞技術を応用した心毒性評価手法の開発及び国際標準化への提案を行う。さらに、幹細胞による創薬支援の実現化を支える産業基盤を構築する。

○オーダーメイド・ゲノム医療

急速に進むゲノムレベルの解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図るとともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。その際、ゲノム医療の実現には時間を要することから、長期的視点に立って戦略的に推進する。達成目標及び統合プロジェクトは以下のとおり。

【2020年までの達成目標】

- ・糖尿病などに関するリスク予測や予防、診断（層別化）や治療、薬剤の選択・最適化等に係るエビデンスの創出
- ・発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断に係る臨床研究の開始
- ・認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る臨床研究の開始
- ・神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発に係る臨床研究の開始

### ●疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト

- ・疾患及び健常者バイオバンクを構築すると共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患の発症原因や薬剤反応性等の関連遺伝子の同定・検証及び日本人の標準ゲノム配列の特定を進める。また、共同研究やゲノム付随研究等の実施により、難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索を図るとともに、ゲノム情報をいかした革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究を推進する。さらに、ゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備やゲノム医療提供体制の構築を図るための試行的・実証的な臨床研究を推進する。

### ② 疾患領域対応型統合プロジェクト

社会的・臨床的に医療上の必要性・重要性が高い疾患領域に関する取組をいう。

#### ○がん

がん対策推進基本計画（平成24年6月閣議決定）に基づき策定された「がん研究10か年戦略」（平成26年3月関係3大臣確認）を踏まえ、関係省の所管する研究関連事業の連携の下、がんの本態解明等に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する。達成目標及び統合プロジェクトは以下のとおり。

#### 【2020年までの達成目標】

- ・日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出
- ・小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた12種類以上の治験への導出
- ・小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加
- ・いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消
- ・小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立（3件以上のガイドラインを作成）

### ●ジャパン・キャンサリサーチ・プロジェクト

- ・我が国でリードすべき基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に向けた医薬品、医療機器を開発する研究を推進し、臨床研究及び治験へ導出すると共に、臨床・ゲノム情報基盤を整備しビッグデータを活用するこ

とによって個別化医療の実現、国際的な貢献を果たす。また、臨床研究及び治験で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品、医療機器の開発をはじめとするがん医療の実用化を加速する。

#### ○精神・神経疾患

認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発症に関する脳神経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を各省連携の下に強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、精神・神経疾患等を克服する。達成目標及び統合プロジェクトは以下のとおり。

##### 【2020年までの達成目標】

- ・認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立（臨床POC取得1件以上）
- ・日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始
- ・精神疾患の客観的診断法の確立（臨床POC取得4件以上、診療ガイドライン策定5件以上）
- ・精神疾患の適正な治療法の確立（臨床POC取得3件以上、診療ガイドライン策定5件以上）
- ・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成

#### ●脳とこころの健康大国実現プロジェクト

- ・脳全体の神経回路の構造・機能の解明やバイオマーカー開発に向けた研究開発及び基盤整備等を推進するとともに、認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法の確立を目指す。

#### ○新興・再興感染症

新型インフルエンザなどの感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症に関する国内外での研究を各省連携して推進するとともに、その成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげることで、感染症対策を強化する。達成目標及び統合プロジェクトは以下のとおり。

##### 【2020年までの達成目標】

- ・得られた病原体（インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌）の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化
- ・ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請

## 【2030年までの達成目標】

- ・新たなワクチンの開発  
(例：インフルエンザに対する万能ワクチン等)
- ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発
- ・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成  
(結核については2050年までの達成目標)

## ●新興・再興感染症制御プロジェクト

- ・インフルエンザ、結核、動物由来感染症、薬剤耐性菌、HTLV-1（ヒトT細胞白血病ウイルス1型）、ジカウイルス感染症など、国内外の様々な病原体に関する疫学的調査及び基盤的研究並びに予防接種の有効性及び安全性の向上に資する研究を実施し、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発を一体的に推進する。
- ・国内外の病原体に関する全ゲノムデータベースを構築することで、病原体情報をリアルタイムに共有し、感染症の国際的なリスクアセスメントを可能とする。また、集積された情報を分析することで、重点的なサーベイランスを実施するなど、感染症流行時の迅速な対応の促進を図る。さらに、予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針、ストップ結核ジャパンアクションプラン及び「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」（平成28年4月5日関係閣僚会議決定）等を踏まえ、病原体の薬剤ターゲット部位を同定すること等を通じ、新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を実施する。これにより、国内のみならず、感染症が発生している海外の現地における予防・診断・治療等への貢献が可能となる。
- ・若手の感染症研究者の育成を推進するため、感染症研究国際展開戦略プログラム（J-GRID）の海外拠点と国立感染症研究所等で研修プログラムを実施する。
- ・2014年5月に採択されたWHOの結核対策に関する新戦略を受け、2020年までに我が国が低蔓延国入りできるよう、結核に関する研究を推進する。
- ・2020年の東京オリンピック・パラリンピックに向け、感染症サーベイランスの強化に関する研究を促進する。
- ・「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）、「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」（平成28年2月9日関係閣僚会議決定）及び「長崎大学の高度安全施設（BSL4施設）整備に係る国の関与について」（平成28年11月17日関係閣議会議決定）等を踏まえ、感染症に係る基礎研究能力

の向上及び危険性の高い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、高度安全実験施設を中核とした感染症研究拠点の形成について必要な支援を行い、危険性の高い病原体等の治療法、ワクチン等の研究開発を推進する。

#### ○難病

難病の克服を目指すため、患者数が希少ゆえに研究が進まない分野において、各省が連携して全ての研究プロセスで切れ目ない援助を行うことで、難病の病態を解明するとともに、効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を一体的に推進する。達成目標及び統合プロジェクトは以下のとおり。

##### 【2020年までの達成目標】

- ・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11件以上達成  
(ALS、遠位型ミオパチー等)
- ・欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始
- ・未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を5件以上達成

#### ●難病克服プロジェクト

- ・難病の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進するとともに、未診断疾患に対する全国規模の診断体制を構築するための研究を推進する。

また、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

#### ○健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

統合プロジェクト以外の事業であって、複数の疾患領域における研究の基盤的な性質を有する研究開発であるなど横断的な取組を「横断型事業」、社会的・臨床的に医療上の必要性・重要性が高い疾患領域に関する取組を「疾患領域対応型事業」とする。各事業に関連した取組は以下のとおり。

##### ＜横断型事業＞

健康・医療戦略推進本部が中心となって行う横断的な検討に基づき、医療・介護等のデジタルデータの利活用基盤の構築を進めるとともに、革新的な人

人工知能の基盤技術を構築し、収集されたビッグデータを基に人工知能技術を活用することで、診療支援や新たな医薬品・医療技術の創出に資する研究開発を進める。

リバースTRやヒト由来の臨床検体の使用等による産学官連携の循環型研究開発を活性化させる。

将来の医薬品、医療機器及び医療技術等の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発を推進する。

幅広い研究開発を安定的かつ効果的に促進するために不可欠な生物資源等を戦略的・体系的に整備するとともに、研究開発等の国際展開を推進する。

#### ＜疾患領域対応型事業＞

健康寿命延伸に向けて、ライフステージに応じた健康課題の克服という視点に立って、妊娠期・出産期、新生児期、乳児期、幼児期、学童期及び思春期の疾患、生殖に関わる課題、糖尿病などの生活習慣病、脳卒中を含む循環器系疾患、呼吸器系疾患、筋・骨・関節疾患、感覚器系疾患、泌尿器系疾患、エイズ・肝炎等の多岐にわたる疾患、フレイル等の高齢者の生活の質を大きく低下させる状態や疾患等に対し、患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、診断、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進する。さらに、高齢者に特有の疾患や老化・加齢メカニズムの解明・制御についての研究を推進する。

#### （3）共通基盤の整備・利活用

希少疾患や難病をはじめとした疾患データベースの維持・構築、各種ゲノムバンクやコホートの連携と利活用等のエビデンスに基づく医療の実現に向けた基盤の確保、ライフサイエンスに関するデータベースの統合を着実に推進する。

創薬支援ネットワークを中心としたオールジャパンでの創薬支援基盤の一層の利活用に加え、先端的な大型研究施設、スーパーコンピュータ、先端計測分析機器をはじめとする先端研究基盤を形成する諸施設・設備の産学官の研究者の利用を推進するなど、科学技術共通基盤の利活用を進める。また、医工連携による医療機器開発・実用化を促進するため、複数の専門支援機関による開発支援体制（医療機器開発支援ネットワーク）を強化する。

このため、以下の施策を行う。

- ライフサイエンスに関するデータベースの統合

- ・ライフサイエンス研究に関するデータベースを統合するため、データの統合・検索技術等に関する研究開発を推進し、横断的な情報基盤を整備する

●創薬支援ネットワークによる新薬創出に向けた研究開発支援（再掲：II. 1. (1) (2)）

●医療機器開発支援ネットワークの強化（再掲：II. 1. (1) (2)）

●科学技術共通基盤の利活用の推進

- ・創薬等のライフサイエンス研究に資する技術や施設等を、高度化・共用する創薬・医療技術支援基盤を構築し、大学等の研究を支援する。
- ・ライフサイエンス研究の発展に向け、重要かつ質の高いバイオリソースを、中核的拠点に戦略的に収集・保存し、研究機関に提供する。
- ・先端的な大型研究施設やスーパーコンピュータ等の利活用を進めるための基盤となる学術情報ネットワークの整備を行う。
- ・医療等分野の各種情報を扱うシステム間における相互運用性を確保するため、学術情報ネットワークの整備を行う（再掲：II. 1. (4)）。

（4）臨床研究中核病院の医療法上の位置付け

日本発の革新的な医薬品、医療機器の開発等に必要となる質の高い臨床研究や治験を推進するため、医療法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要件については、以下の観点等から策定されてきた。

- ①当該臨床研究中核病院に必要な機能を病院管理者等の下、病院全体で確保できること
  - ②出口戦略を見据えた適切な研究計画を企画・立案し、ICH-GCPに準拠して臨床研究を実施できること
- ※医療機器については、IS014155：2010に準拠する。以下同じ。
- ③倫理性、科学性、安全性、信頼性の観点から適切かつ透明性の高い倫理審査ができること
  - ④ICH-GCPに準拠したデータの信頼性保証を行うことができること
  - ⑤シーズに関して知的財産の管理や技術移転ができること
  - ⑥質の高い多施設共同での臨床研究や治験を企画・立案し、他の医療機関と共同で実施できること。また、中核病院として、他の医療機関が実施する臨床研究及び治験を支援できること

## ⑦関係者の教育、国民・患者への普及、啓発、広報を行えること

このため、以下の施策を行う。

### ●臨床研究中核病院を通じた臨床研究環境の向上

- ・2014年6月18日に医療介護総合確保推進法案が国会で可決・成立し、新たに医療法上に臨床研究中核病院が位置付けられることとなった。現在、革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいて整備を進めている臨床研究品質確保体制整備病院をはじめとする病院のうち、一定の要件に該当するものは、厚生労働大臣の承認を得て、医療法に基づく臨床研究中核病院と称することができる。
- ・この医療法に基づく臨床研究中核病院は、質の高い臨床研究や治験を自ら実施するとともに、他施設で実施する臨床研究及び治験の計画立案や実施について支援するARO機能をもつことから、これを活用し、橋渡し研究支援拠点のシーズや医療上の必要性が高いものの企業による開発が進まない研究を実施して、エビデンスを構築することで、革新的な医薬品、医療機器等及び医療技術の創出を推進する。更に、研究者が国際共同臨床研究・治験を円滑に実施するための体制構築や、他施設の臨床研究従事者等の養成等、革新的医薬品・医療機器等の実用化を総合的に支援することで、国内における臨床研究環境の向上を目指す。

### III. 医療分野研究開発等施策を集中的かつ計画的に推進するため必要な事項

#### 1. フォローアップ

本計画については、毎年度、実行状況をフォローアップするとともに、今後の取組方針を取りまとめることとする。また、医療分野の研究開発を取り巻く状況の変化を勘案し、及び医療分野研究開発等施策の効果に関する評価を踏まえ、必要に応じ、その進捗状況について検討を加え、この結果を踏まえ、見直しを行い、必要な変更を講ずるものとする。

## 別添：用語集

- ・ ALCOA原則

研究における原資料の質に関してFDAのガイダンスの中で求められている Attributable（帰属/責任の所在が明確である）、Legible（判読/理解できる）、Contemporaneous（同時である）、Original（原本である）及び Accurate（正確である）の5つの基本要素のこと

- ・ ALS : Amyotrophic Lateral Sclerosisの略

筋萎縮性側索硬化症

- ・ AMED : Japan Agency for Medical Research and Developmentの略

国立研究開発法人日本医療研究開発機構。2015年4月設立

- ・ ARO : Academic Research Organizationの略

研究機関、医療機関等を有する大学等がその機能を活用して医薬品開発等を支援する組織

- ・ CRC : Clinical Research Coordinatorの略

「臨床研究コーディネーター」。臨床研究及び治験業務の円滑な進行と運営を支援する専門家。臨床研究及び治験を実施する医療機関において被験者・医師・治験依頼者間の調整役となり、臨床研究及び治験に関する医学的判断を伴わない業務全般にかかわる。

- ・ DDS : Drug Delivery Systemの略

体内の薬物分布を量的・空間的・時間的に制御し、コントロールする薬物伝達システム

- ・ ELSI : Ethical, Legal, Social, Implicationsの略

倫理的・法的・社会的課題のこと

- ・ EMA : European Medicines Agencyの略

欧州医薬品庁

- ・ FDA : Food and Drug Administrationの略

## 米国食品医薬品局

- ・ FIH : First in humanの略

医薬品、医療機器等の臨床研究及び治験において人に初めて投与（使用）すること

- ・ GCP : Good Clinical Practiceの略

医薬品、医療機器等の承認申請の際に提出すべき資料収集等のために行われる臨床研究及び治験が、十分な倫理的配慮の下に科学的に適正に実施されるために必要な事項を定めたもの

- ・ GLP : Good Laboratory Practiceの略

医薬品、医療機器等の承認申請の際に提出すべき資料のうち、動物を用いた安全性試験データの信頼性を確保するために、試験実施施設が遵守しなくてはならない事項を定めたもの

- ・ GMP : Good Manufacturing Practiceの略

原材料の受け入れから製造、出荷まで全ての過程において、製品が安全に作られ、一定の品質が保たれるようにするための製造工程管理基準のこと

- ・ ICH : International Conference on Harmonization of Technical Requirements for Registration of Pharmaceuticals for Human Useの略

日米EU医薬品規制調和国際会議

- ・ ICT : Information and Communication Technologyの略

情報通信技術

- ・ iPS細胞 : induced pluripotent stem cellの略

人工多能性幹細胞

- ・ IRDiRC : International Rare Diseases Research Consortiumの略

国際希少疾患研究コンソーシアム

- ・ ISO : International Organization for Standardizationの略

国際標準化機構

- ・KPI : Key Performance Indicators の略  
達成すべき成果目標
- ・NCBN : National Center Biobank Networkの略  
ナショナルセンター・バイオバンクネットワーク
- ・OJT : On the Job Trainingの略  
実際に仕事をしながら仕事を覚えていく訓練（教育）
- ・PD : Program Directorの略  
AMEDのPDは、外部有識者から選任されて統合プロジェクトごとに置かれ、プロジェクト運営や統合プロジェクト間の連携等を行う。
- ・PET : Positron Emission Tomographyの略  
陽電子放射断層撮影法
- ・PMDA : Pharmaceuticals and Medical Devices Agencyの略  
独立行政法人医薬品医療機器総合機構。国民保健の向上に貢献することを目的として、医薬品の副作用等による健康被害に対する迅速な救済、医薬品・医療機器等の品質・有効性・安全性に対する審査、市販後の安全性に関する情報の収集・分析・提供を行っている。
- ・PO : Program Officerの略  
AMEDのPOは、外部有識者から選任されて事業ごとに置かれ、PSと協力して事業の運営管理実務を担う。
- ・POC : Proof of Conceptの略  
少数の被験者による簡易な試行により、治療法や治療薬開発の概念や理論、原理などが実現可能であることを実証すること
- ・PS : Program Supervisorの略  
AMEDのPSは、外部有識者から選任されて事業ごとに置かれ、事業運営や事業間の連携等を行う。
- ・TLO : Technology Licensing Organizationの略  
技術移転機関

- ・ TR : Translational Researchの略  
基礎研究の成果を診断・治療法の開発につなげるための橋渡し研究
- ・ アンメットメディカルニーズ  
いまだに治療法が見つかっていない疾患に対する医療ニーズのこと
- ・ 遺伝子治療  
ある遺伝子、あるいは、体外で遺伝子導入した細胞を人の体内に投与し、治療すること
- ・ エピゲノム  
DNAの塩基配列を変えることなく、遺伝子の働きを決める仕組み（エピジェネティクス）の情報の集まりのこと
- ・ 遠位型ミオバチー  
遺伝性筋疾患の総称
- ・ オープンイノベーション  
外部の開発力やアイデアを活用することで課題を解決し、これまでにない価値を生み出すこと
- ・ オミックス  
生体中に存在する分子全体を網羅的に研究する学問
- ・ ゲノム  
遺伝子（gene）と染色体（chromosome）から合成された言葉で、DNAの全ての遺伝情報のこと
- ・ ゲノム医療  
ヒトの遺伝情報（ゲノム情報）を利用して、個々の患者の薬剤に対する反応性や副作用を予測したり、患者ごとの罹患予想に基づいた予防等を行う医療
- ・ ゲノム創薬  
ゲノム情報を基に薬の標的となるタンパク質の立体構造を推定して新薬を開発すること

・コンパニオン診断薬

特定の医薬品の有効性又は安全性の向上等の目的で使用するものであって、当該医薬品の使用に不可欠な体外診断用医薬品（単に疾病の診断等を目的とする体外診断用医薬品を除く。）

・持続可能な開発目標（Sustainable Development Goals: SDGs）

先進国を含む国際社会全体の開発目標として、2015年9月の国連サミットで全会一致で採択された、2030年を期限とする包括的な17の目標。目標3として、「あらゆる年齢のすべての人々の健康的な生活を確保し、福祉を促進する」が設定されている。

・疾患修飾薬

疾患の根本（原因）に介入し、その進行を止めたり遅らせたりする治療薬のこと

・治験

医薬品や医療機器等の製造販売承認申請に際して提出するべき資料のうち、臨床試験の試験成績に関する資料の収集を目的として実施する臨床試験

・ドラッグ・リポジショニング

既存の薬剤や開発途上で中断した新規な薬理作用を示す化合物について、網羅的薬効プロファイリング等を行うことによって新しい適応症を探索し、新たな効果を持つ医薬品として開発すること

・バイオ医薬品

細胞、ウイルス、バクテリアなどの生物に由来するタンパク質（成長ホルモン、インスリン、抗体等）など、有効成分が生物由来物質を基に作成されている医薬品

・バイオインフォマティクス

生物学のデータを情報科学の手法によって解析する学問及び技術

・バイオマーカー

客観的に測定され、評価される特性値であり、正常な生物学的プロセス、病理学的プロセス、又は治療的処置に対する薬理学的反応の指標

- ・バイオリソース

研究に使われる実験動物や植物、細胞や遺伝子、微生物等のこと

- ・伴走コンサル

事業者が医療機器等の製品を上市するまでの各段階で抱える課題に対し、各分野で専門性を有するコンサルが事業者に伴走し、ソフト面を支援する取組のこと

- ・ピア・レビュー

専門分野の近い複数の研究者による審査

- ・非臨床試験

臨床研究及び治験へと進むために、品質、有効性及び安全性を評価・証明するための科学的データを提供するものであり、動物を使った試験や、細胞培養等を用いた試験管内試験のこと

- ・フレイル (Frailty)

加齢とともに、心身の活力（例えば筋力や認知機能等）が低下し、生活機能障害、要介護状態、そして死亡などの危険性が高くなった状態

- ・メディカルアーツ

医療の有効性、安全性、効率性のための技術又はシステム

- ・リバースTR

臨床及び臨床研究で得られた知見・情報を基礎研究にフィードバックする研究

- ・臨床研究

医療における疾病の予防方法、診断方法及び治療方法の改善、疾病原因及び病態の理解並びに患者の生活の質の向上を目的として実施される医学系研究であって、人を対象とするもの

- ・レギュラトリーサイエンス

科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づく的確な予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学。（第4期科学技術基本計画）特に、医薬品、医療機器な

どの分野については、医療分野の研究開発の成果の実用化に際し、その品質、有効性及び安全性を科学的知見に基づき適正かつ迅速に予測、評価及び判断することに関する科学（健康・医療戦略推進法第13条第2項）