

「医療分野研究開発推進計画」の見直しの論点について

平成28年11月9日
内閣官房健康・医療戦略室

1. 見直しの背景

○ 健康・医療戦略推進法（平成二十六年法律第四十八号）（抜粋）

第四章 医療分野の研究開発の推進

（医療分野研究開発推進計画）

第十八条 健康・医療戦略推進本部は、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、健康・医療戦略に即して、医療分野研究開発等施策の推進に関する計画（以下この条、次条及び第二十一条第二号において「医療分野研究開発推進計画」という。）を作成するものとする。

2 医療分野研究開発推進計画は、次に掲げる事項について定めるものとする。

一 医療分野研究開発等施策についての基本的な方針

二 集中的かつ計画的に講ずべき医療分野研究開発等施策

三 前二号に掲げるもののほか、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

3 前項第二号の医療分野研究開発等施策については、当該医療分野研究開発等施策の具体的な目標及びその達成の期間を定めるものとする。

4 健康・医療戦略推進本部は、第一項の規定により医療分野研究開発推進計画を作成したときは、遅滞なく、これを公表するものとする。

5 健康・医療戦略推進本部は、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、医療分野研究開発推進計画の見直しを行い、必要な変更を加えるものとする。

6 第四項の規定は、医療分野研究開発推進計画の変更について準用する。

（国立研究開発法人日本医療研究開発機構の中核的な役割）

第十九条 医療分野研究開発推進計画は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構が、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ものとする。

○ 医療分野研究開発推進計画（平成26年7月22日健康・医療戦略推進本部決定）（抜粋）

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に必要な事項

1. フォローアップ

本計画については、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、必要に応じ少なくとも概ね五年以内に、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。

○ 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（平成28年7月29日健康・医療戦略推進本部決定）（抜粋）

Ⅲ. 推進計画に基づく施策の推進

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。

2. パブリックコメントの実施

平成28年9月5日（月）から平成28年10月4日（火）までの間、「医療分野研究開発推進計画」の見直しに当たり、見直すべき点や新たに盛り込むべき事項等について、広く国民から本件に関する意見を募集した結果、4件の意見の提出があった〔参考10〕。

3. 主な変更点の論点と改訂案

(1) 対象期間

(考え方)

- ・ 2015年度までのK P I が終了したことに伴い、2020年頃までのK P I の時期を明確化するとともに、当該K P I を期間内に取り込むため、推進計画の対象期間を1年延長。
- ・ なお、これにより、AMED中長期目標期間（～2020年3月末）との整合性が図られる。

【現行】	【改訂案】※
「医療分野研究開発推進計画」（平成26年7月22日）[参考3] p5より抜粋（以下、ページ番号は同じ）	
本計画は、今後、10年程度を視野に置いた <u>2014年度からの5年間</u> を対象とする。	本計画は、今後、10年程度を視野に置いた <u>2019年度まで</u> を対象とする。

※改訂案は現時点のもの（以下同じ）

(2) 連携プロジェクト等の整理

(考え方)

- ・ 現行の推進計画の策定は、AMED発足以前であったことから「各省連携プロジェクト」としているが、AMEDが発足し体制が整備されたことを踏まえ、複数の事業を1人のPDの下で統合的に推進するものを「統合プロジェクト」と呼ぶこととする。
- ・ その際、「健康長寿社会の形成」という基本目標と9プロジェクトの関係を分かりやすくするため、単に羅列するのではなく、「統合プロジェクト」を「横断型統合プロジェクト」及び「疾病領域対応型統合プロジェクト」に整理する。
- ・ さらに、「統合プロジェクト」以外の事業についても、「横断型事業」と「疾病領域対応型事業」に整理する。
- ・ 以上により、横断型統合プロジェクト・横断型事業及び疾病領域対応型統合プロジェクト・疾患領域対応型事業を連携させて推進し、全体として健康長寿社会の形成を目指すとの姿勢を示す（別添）。

【現行】 [p43及びp51]	【改訂案】
<p>多岐に広がる医療分野の研究開発への取組の中でも、2014年度から開始する「<u>各省連携プロジェクト</u>」として、2013年8月30日に健康・医療戦略推進本部により決定された取組は、各省の関連する研究開発プログラムを統合的に連携し1つのプロジェクトとして<u>一体的な運用を図るものとなっている</u>。機構設立後は機構で<u>一元的に管理するものの、機構設立前においても、各省行政部局が連携を取るとともに、各省関連プログラムの共同推進委員会を設置するなど、統合的に推進するための体制を整備する。</u></p> <p>○その他の健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発</p> <p>糖尿病などの生活習慣病、脳卒中を含む循環器疾患、呼吸器系疾患、筋骨格系・結合組織疾患及び泌尿器系疾患、高齢者の生活の質を大きく低下させる疾患、<u>次世代を担う小児・周産期の疾患</u>、エイズ、肝炎など多岐にわたる疾患等に対し、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、先制医療や新たな医薬品や診断・治療方法の開発、医療機器等の開発を推進する。</p>	<p>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、<u>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</u>。このうち、<u>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」</u>（後述の「医薬品」、「医療器開発」、「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、<u>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」</u>（後述の「疾患に対応した研究」における「がん」、「精神・神経疾患」、「新興・再興感染症」、「難病」）とする。</p> <p>○健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業</p> <p><u>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</u>。各事業に関連した取組は以下のとおり。</p> <p><横断型事業></p> <p><u>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、収集された臨床ビッグデータを集積・共有し、人工知能を活用することによって、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効果的に推進する。</u></p> <p><u>臨床現場で見出した課題を基礎研究に戻すリバースTRやヒト由来の生体試料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。</u></p> <p>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</p>

	<p><u>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。</u></p> <p><u>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。</u></p> <p><u><疾患領域対応型事業></u></p> <p><u>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、新生児期及び乳児期の疾患、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、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進する。</u></p> <p><u>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。</u></p>
--	---

(3) K P I

(考え方)

- ・健康長寿につながるものや研究開発の評価になじむものを設定する。特に、新たなK P Iを設定する場合、原則として定量化できるものを作成する。
- ・「2020年頃」までのK P Iを「2020年」と時期を明確化する。
- ・既に2015年度末において「2020年頃までの達成目標」が達成されている項目については、K P Iの数値の更新等を行う。
- ・評価基準が不明確なK P Iについては、判断基準を追記する。
- ・「2015年度までの達成目標」のK P Iは、削除する。

○ オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト

【現行】(2020年頃までの達成目標) [p44]	【改訂案】(2020年までの達成目標)
<ul style="list-style-type: none"> ・相談・シーズ評価 1500 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 	<ul style="list-style-type: none"> ・相談・シーズ評価 1500 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

(※)「2015年度までの達成目標」は削除(以下も同様)

○ オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト

【現行】(2020年頃までの達成目標) [p45]	【改訂案】(2020年までの達成目標)
<ul style="list-style-type: none"> ・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 	<ul style="list-style-type: none"> ・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

○ 革新的医療技術創出拠点プロジェクト

【現行】(2020年頃までの達成目標) [p45]	【改訂案】(2020年までの達成目標)
<ul style="list-style-type: none"> ・医師主導治験届出数 年間 40 件 ・FIH試験(企業治験含む) 年間 40 件 	<ul style="list-style-type: none"> ・医師主導治験届出数 年間 40 件 ・FIH試験(企業治験含む) 年間 40 件

○ 再生医療の実現化ハイウェイ構想プロジェクト

【現行】(2020年頃までの達成目標) [p46]	【改訂案】(2020年までの達成目標)
<ul style="list-style-type: none"> ・ iPS 細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用 ・ 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 約 15 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 	<ul style="list-style-type: none"> ・ 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

※2016年3月31日時点で21件

○ 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト

【現行】(2020-30年頃までの達成目標) [p47]	【改訂案】(2020年までの達成目標)
<ul style="list-style-type: none"> ・ <u>生活習慣病(糖尿病や脳卒中、心筋梗塞など)の劇的な改善</u> ・ <u>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の確立</u> ・ <u>うつ、認知症のゲノム医療に係る臨床研究の開始</u> ・ <u>神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発</u> 	<ul style="list-style-type: none"> ・ <u>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</u> ・ <u>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</u> ・ <u>認知症のゲノム医療に係る臨床研究の開始</u> ・ <u>神経・筋難病等の革新的な診断・治療法に係る臨床研究の開始</u>

○ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

【現行】(2020年頃までの達成目標) [p48]	【改訂案】(2020年までの達成目標)
<ul style="list-style-type: none"> ・ 5年以内に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 6 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） 	<ul style="list-style-type: none"> ・ 5年以内に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）

※2016年3月31日時点で9種類

○ 脳とこころの健康大国実現プロジェクト

【現行】(2020年頃までの達成目標) [p48]	【改訂案】(2020年までの達成目標)
<ul style="list-style-type: none"> ・ <u>(新規)</u> ・ 日本発の認知症、うつ病などの精神疾患の<u>根本治療薬候補の治験開始</u> ・ 精神疾患の客観的診断法の確立 ・ 精神疾患の適正な<u>薬物治療法の確立</u> ・ 脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成 	<ul style="list-style-type: none"> ・ <u>認知症の診断・治療に資するバイオマーカーの確立</u> ・ 日本発の認知症の<u>疾患修飾薬候補の治験開始</u> ・ 精神疾患の客観的診断法の確立 <u>(臨床POC取得4件以上、診療ガイドライン策定5件以上)</u> ・ 精神疾患の適正な治療法の確立 <u>(臨床POC取得3件以上、診療ガイドライン策定5件以上)</u> ・ 脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成

○ 新興・再興感染症制御プロジェクト

【現行】(2020年頃までの達成目標) [p49]	【改訂案】(2020年までの達成目標)
<ul style="list-style-type: none"> ・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 	<ul style="list-style-type: none"> ・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

○ 難病克服プロジェクト

【現行】(2020年頃までの達成目標) [p50]	【改訂案】(2020年までの達成目標)
<ul style="list-style-type: none"> ・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<u>推進</u> ・<u>(新規)</u> 	<ul style="list-style-type: none"> ・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<u>開始</u> ・<u>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</u>

(4) 上記以外の主な変更点

○ 現行の推進計画では①～⑩の基本方針の項目名のみを記載していたが、それぞれの内容を記述することとする。

【現行】〔p10〕	【改訂案】
<p>①基礎研究成果を実用化につなぐ体制の構築</p> <p>②医薬品、医療機器開発の新たな仕組みの構築</p> <p>③エビデンスに基づく医療の実現に向けた取組</p> <p>④健康医療情報の情報通信技術（ICT）の活用とその促進</p> <p>⑤世界最先端の医療の実現に向けた取組</p> <p>⑥国際的視点に基づく取組</p> <p>⑦人材の育成</p> <p>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</p> <p>⑨研究基盤の整備</p> <p>⑩知的財産のマネジメントへの取組</p>	<p>（1）基礎研究成果を実用化につなぐ体制の構築</p> <p><u>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の整備が必要である。</u></p> <p>（2）医療研究開発の新たな仕組みの構築</p> <p><u>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。</u></p> <p>（3）エビデンスに基づく医療の実現に向けた取組</p> <p><u>近年、分子レベルでの因果関係に基づく疾患の理解に加え、環境や遺伝的背景といったエビデンスに基づく医療の重要性が高まるとともに、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必要である。</u></p> <p>（4）健康医療情報の情報通信技術（ICT）の活用とその促進</p> <p><u>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</u></p>

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早急な整備が必要である。

(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必要がある。

(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、規制等の国際整合を図ることが必要である。

(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重要である。

(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等を図る必要がある。

(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

	<p><u>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。</u></p> <p><u>(10) 知的財産のマネジメントへの取組</u> <u>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の促進等を行うことが必要である。</u></p>
--	--

○ 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について追記

【現行】 [p12]	【改訂案】
<p>(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。</p>	<p>(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。</p> <p><u>(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</u> <u>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難病等の所見・症状、経過に関するデータ等を共有・広域連携を強化し、協働してデータを収集、突合、解析、意味づけをして、提供者である患者の診断・治療に反映させる体制を整備することは、国民の理解の下に研究開発を加速し、さらには患者に最適の医療を提供するためにも必要である。</u></p>

○ TR活性化、産学官連携について追記

【現行】 [p16]	【改訂案】
<p>●医療分野の産業化の促進</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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産学協同研究等の支援を行う。 	<p>●医療分野の産業化の促進</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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産学協同研究等の支援を行う。 <p>●TRの活性化や産学官の連携</p> <ul style="list-style-type: none"> ・臨床現場で見出した課題を基礎研究に戻すリバースTRやヒト由来の生体試料等を使用した基礎医学研究を推進するために、<u>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・NC等の体制強化、臨床情報などを活用した基礎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。</u>また、<u>臨床研究中核病院等における臨床データの活用による産学官連携を図り、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。</u>

○ メディカルアーツの推進を追記

【現行】 [p17]	【改訂案】
<p>(2) <u>医薬品、医療機器開発の新たな仕組みの構築</u></p> <p>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</p>	<p>(2) <u>医療研究開発の新たな仕組みの構築</u></p> <p>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</p>

<p>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。</p>	<p>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。</p> <p>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<u>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。</u></p>
--	---

○ 医療機器分野の進展状況を追記

【現行】 [p20]	【改訂案】
<p>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、我が国のものづ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。</p>	<p><u>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するとともに、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「国民が受ける医療の質の向上のための医療機器の研究開発及び普及の促進に関する基本計画」（平成28年5月31日閣議決定）が成立・公表されたところ。</u></p> <p>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、我が国のものづ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。</p>

○ 日本の医療技術等の国際展開について追記

【現行】 [p35]	【改訂案】
<p>●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</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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慫慂、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。 	<p>●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</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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慫慂、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。

○ 研究基盤の整備について追記

【現行】 [p39]	【改訂案】
<p>創薬支援業務等に関する独立行政法人医薬基盤研究所から機構への業務移管、特に創薬支援ネットワークの本部機能の円滑な移行に向け万全を期す。さらに、医療機器の開発を進めるため、大学、研究開発法人、その他の研究機関及び企業等から成るネットワークを構築する。</p>	<p>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。</p> <p>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。</p>

○ AMEDが担うべき役割について追記

【現行】 [p41、p42及びp43]	【改訂案】
<p>機構においては、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・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。</p> <p>（1）機構に期待される機能</p> <p>① 医療に関する研究開発のマネジメント</p> <p>個別研究課題の選定にピア・レビュー方式を導入する。</p> <p>⑤ 国際戦略の推進</p> <p>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</p>	<p>AMED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。</p> <p>（1）AMEDが果たすべき機能</p> <p>① 医療に関する研究開発のマネジメント</p> <p>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。</p> <p>⑤ 国際戦略の推進</p> <p>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</p>

<p>る国際共同研究を推進するとともに、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ことが必要である。</p> <p>(新設)</p>	<p>る国際共同研究を推進することによって国民に最高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、主要な研究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。</p> <p>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等について、産学連携等の取組を支援する。</p>
--	---

○ フォローアップ等を行うことの追記

【現行】 [p54]	【改訂案】
<p>本計画については、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<u>少なくとも概ね五年以内に</u>、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。</p>	<p>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、<u>今後の取組方針を取りまとめることとする</u>。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。</p>

2020年頃までのKPI達成目標を既に超えた事例の実績

○ 再生医療の実現化ハイウェイ構想プロジェクト

・ 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大

2015年度までの実績（2016年3月31日現在） 21件

- ・ 滲出型加齢黄斑変性に対する自家iPS細胞由来網膜色素上皮（RPE）シート移植に関する臨床研究
- ・ 培養ヒト角膜内皮細胞移植による角膜内皮再生医療の実現化
- ・ 膝半月板縫合後の滑膜幹細胞による治癒促進
- ・ 非代償性肝硬変患者に対する培養自己骨髄細胞を用いた低侵襲肝臓再生療法の安全性に関する研究
- ・ 自己骨髄間葉系細胞の磁気ターゲティングによる関節軟骨欠損修復
- ・ 逸脱を伴う膝半月板損傷の滑膜幹細胞による治癒促進
- ・ 重症心筋症に対する骨格筋芽細胞シート移植による治療法の開発
- ・ 肝硬変に対する脂肪組織由来間質細胞を用いた肝再生療法実用化研究
- ・ 小児心不全に対するヒト幹細胞移植による先進医療の実用化加速に向けた第2相臨床研究
- ・ 関節鏡視下自己骨髄間葉系幹細胞移植による関節軟骨欠損修復—多施設共同、非盲検、ランダム化、並行比較試験
- ・ 新生児低酸素性虚血性脳症に対する自己臍帯血幹細胞療法
- ・ 重症家族性高コレステロール血症（主としてホモ接合体）に対する同種脂肪組織由来多系統前駆細胞移植療法の安全性の検討
- ・ 難治性四肢潰瘍患者を対象とした自己末梢血単核球生体外培養増幅細胞移植による血管・組織再生治療に関する第I相試験臨床研究
- ・ 歯科再生医療拠点を活用した歯周組織再生療法の確立
- ・ 高密度スキャフォールドフリー脂肪由来幹細胞構造体を用いた骨軟骨組織再生の探索的臨床研究
- ・ ヒト皮下脂肪由来間葉系前駆細胞を用いた重症虚血肢に対する血管新生療法
- ・ 表皮水疱症に対する他家骨髄間葉系幹細胞移植再生医療の実用化研究
- ・ 脳梗塞患者に対する自家培養骨髄間葉系幹細胞の静脈内投与
- ・ 脊髄損傷患者に対する自家培養骨髄間葉系幹細胞の静脈内投与による細胞療法の検討
- ・ 長期保存型3次元再生皮下軟骨の医師主導治験の実施
- ・ 自家末梢血CD34陽性細胞移植による骨・血管再生療法に関する医師主導治験

○ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト

- ・ 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治験への導出

2015年度までの実績（2016年3月31日現在） 9種類

- ・ 難治性がんを対象としたウイルス遺伝子薬の実用化研究
- ・ 希少がんに対するウイルス療法
- ・ 成人T細胞白血病に対する抗CCR4抗体を併用した樹状細胞療法の開発
- ・ 難治性神経芽腫に対する分化誘導療法併用下でのエピジェネティック治療法の開発
- ・ 希少遺伝子変異を有する小細胞肺癌に対する低分子化合物を用いた治療法の開発
- ・ RET融合遺伝子陽性肺癌に対するアレクチニブの有効性を明らかにする研究
- ・ がん免疫療法における抗CCR4抗体によるTreg除去療法の開発
- ・ トリプルネガティブ乳がんの転移後増殖をターゲットとした新規抗がん剤の開発
- ・ 成人T細胞白血病・リンパ腫(ATL)に対する抗体医薬を用いた治療法の開発

健康長寿(健康寿命の延伸)

新技術・新サービスの創出、新たな事業化・活動の創出

横断型統合プロジェクト(①~⑤)・事業と疾患領域対応型統合プロジェクト(⑥~⑨)・事業を連携させて推進し、AMED全事業で目的を達成。

【疾患領域対応型統合プロジェクト】

がん

⑥ ジャパン・キヤンサーリサーチ・プロジェクト
早期診断・新たな治療法(免疫療法)等を通じた生存率の向上

脳とこころ

⑦ 脳とこころの健康大国実現プロジェクト
精神・神経疾患対策等による健康寿命の拡大

感染症

⑧ 新興・再興感染症制御プロジェクト
治療・診断薬、ワクチン開発等を通じた感染症対策の推進

難病

⑨ 難病克服プロジェクト
難病の病因・病態の解明、画期的な診断・治療法の開発の推進によるQOLの向上

【疾患領域対応型事業】

【横断型統合プロジェクト】

医薬品・医療機器開発への取組

① オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト(革新的医薬品・希少疾病用医薬品などの開発促進によるQOLの向上)

② オールジャパンでの医療機器開発プロジェクト(医療・介護機器の開発促進によるQOLの向上)

臨床研究・治験への取組

③ 革新的医療技術創出拠点プロジェクト(基礎と臨床の連携強化による医薬品開発等の体制整備)

世界最先端医療の実現に向けた取組

④ 再生医療の実現化ハイウェイ構想プロジェクト(iPS細胞・ES細胞等の利活用促進を通じた疾患対応への貢献)

⑤ 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト(個人の特徴を考慮したきめ細かい医療の実現)

【横断型事業】(ICT関連研究基盤構築・研究開発(※)、革新的先端研究開発、産学官連携による研究開発・研究基盤整備、生物資源等の整備、国際展開 他)

成果目標(KPI)を設定し、1人のPDの下で複数の事業を統合的に推進する必要があるものを「統合プロジェクト(①~⑨)」としている。
※ 健康・医療戦略推進本部の下の次世代医療ICT基盤協議会での具体的検討等を踏まえる