

第3期医療分野研究開発推進計画 骨子（たたき台）

1. 総論

(1) 現状総括

基礎から実用化までの一貫した研究開発に着実な進展が見られている。例えば、効率的かつ切れ目のない研究開発支援を可能とする、革新的医療技術創出拠点などの事業間・プロジェクト間連携の構築、創薬総合支援事業、AMED アカデミア医薬品シーズ開発推進会議（AMED-FLuX）に代表されるシーズの企業導出に向けた研究開発の加速、全ゲノム解析等実行計画に基づいた全ゲノム解析等の推進やデータ基盤構築など、「研究開発成果の創出・最大化」に向けて着実な運営がなされている。第2期で始めたモダリティ別の研究支援は、基礎研究から出口を見据えた構想を描くことや、知財や薬事承認への理解の浸透など、研究現場で実用化の意識を高める効果も生んだ。

しかし、新型コロナワクチンや新規モダリティの研究開発も他国に遅れをとるなどの現状に鑑みると、最先端の研究から医薬品・医療機器等の実用化に至るまでの国際クラスの研究開発力の確保が現下の課題である。

実際に、生命科学、特に基礎生命科学については研究力の低下が指摘されている。例えば、基礎生命科学の Top10%補正論文数における日本のシェアは、現在は世界第12位にまで低下している。革新的なモダリティや医療のアイデアは、生命現象を解明する基礎研究の長い積み重ねに基づくものであり、医療分野の研究開発において我が国が成果を出し続けるためには、基礎的なライフサイエンス研究の再興が不可欠である。最新技術や異分野との融合がもたらす新展開を見通しつつ、過度に時流に左右されずに研究の多様性を維持・拡張して、革新的な医薬品・医療機器等の開発に向け、Disruptive（破壊的）なライフサイエンス研究を振興する観点も重要である。

新規モダリティによる創薬及び医療を実現するためには、研究のみならず、製造や治験など上市までの各ステップで、新たな技術や設備、及びそれを担う人材も必要となる。しかし、我が国ではそうした視点のシームレスな支援、特に人材の育成と確保がなされてこなかったとの指摘がある。このような中、我が国において上市までに必要な機能が一度失われれば、創薬及び医療開発環境の消失と人材の散逸により再興は困難となる。昨今、日本起源の医薬品が減少し、世界シェアが低下するなど、我が国の医薬品産業の国際競争力・体力は低下しており、新規モダリティに対するシームレスな支援が喫緊の課題と認識されるべきである。日本医療研究開発機構（AMED）のみならず、医薬品医療機器総合機構（PMDA）との連携も不可欠である。

なお、世界的にバイオ系スタートアップが新薬の創出の多くを担っている現状に鑑み、我が国で第2期後半から創薬ベンチャー創出や医療系スタートアップ支援の充実が図られたことは、新しい創薬エコシステムに向けた大きな第一歩であり、第3期における進展が期待されている。

健康寿命を延ばすには、予防や疾病との共生の取り組みが望まれている。「全国医療情報プラットフォーム」の整備と合わせ、ライフログデータの標準化や流通基盤の開発・実装を推進し、個人が自らの健康増進のために安心してPHRを利活用できる環境の整備を加速させる必要がある。また、遠隔医療、ヘルスケア、早期診断、リハビリを含め幅広くDXを推進する必要がある。

(2) 今後の方向性

新しい医薬品・医療機器等を生み出す人材の確保及び医療分野特有の研究開発環境の整備が重要である。

基礎研究の推進による研究シーズの裾野を拡大するとともに、基礎から実用化への橋渡しをより一層強化する必要があるが、研究に専念できる環境の不足が最も深刻であり、抜本的な対策を講じる必要がある。

臨床現場のニーズに応じた医薬品・医療機器等の創出及び創出支援に従事する各種人材の育成・リスクリングを行う拠点の整備が求められている。産官学間の人材流動性を国際的スケールで高めることを含めて、日本と諸外国のエコシステムの接続を強化する。研究成果がグローバル展開されるよう、初期から海外ニーズも踏まえたグローバルな競争力獲得を目指した研究開発を推進するとともに、海外展開まで一貫した支援を推進する。

また、研究開発拠点、開発支援拠点の役割を担うアカデミアや医療機関、企業が連携し、各々に属する医療従事者、医薬理工学系の研究者、企業人材等の異なる専門性を有する人材が連携・協力可能なオープンイノベーションの場を構築することが望ましい。このような広がりを持った研究開発を推進し、真に臨床現場で必要とされる医薬品・医療機器等を創出するためには、時代に即したオープンイノベーション、PHRや情報通信機器の利活用を含めたDX等の進展を取り込みつつ、更なる革新的な知の創造に向けて、異分野連携を加速させる。

我が国においては、今後少子高齢化がより一層進展していくものとみられている中、持続可能な医療の提供の維持と健康を実現していくためには、従来型の疾病を治療する観点からの研究開発のみならず、あらゆるライフステージの国民が健康かつ幸せに年齢を重ね、社会に貢献していくことを目指す疾病予防・介護予防や健康増進の観点からの研究開発も重要性を増しており、これらへの取組を加速させる。

2. 主要な検討項目

(1) 人材力の強化

新しい医薬品・医療機器等を生み出す創造性に富んだ人材、更にはそれを支える人材が必要である。人材配置の最適化も不可避と考えられる。異分野間での人材交流によって知の創造を活性化することが重要である。

○ 創造性に富んだ人材

- ・ 分野横断的な人材の育成、異分野人材の参入

(最先端の健康・医療研究の人材のみならず、数理学、情報科学、統計学分野、人文・社会科学の専門家を呼び込み、異分野・融合研究を推進するための待遇面の改善も含めた支援方策、臓器システム関連に着目した研究や、生殖、早期ライフステージから老化までのライフコースを通じた研究など、空間的・時間的な広がりを持つ研究の推進)

- ・ 若者の研究離れ防止

(アカデミア研究者でも、発明等によるインセンティブを獲得し経済的な成功を収めるチャンスがあることを提示。経済的な基盤を持って研究を続けられる環境の整備。)

- ・ 現場研究者が提案するボトムアップ型事業枠

(第一線の研究者による事業設定等)

- ・ 国際頭脳循環

(人材交流による国際的な研究プレゼンスの維持・向上 (ASPIRE、HFSP 等))

- ・ 基礎研究と臨床研究間の双方向の活動強化

- ・ 研究時間の確保

(働き方改革、専門医制度、教育、研究管理の合理化、事務支援者の活用等)

- ・ 最先端機器に係る研究人材の育成

○ 実用化の担い手

- ・ 医療の研究開発に従事するアカデミア人材の評価

個人に対し、論文数のみでの評価から脱却し、先端技術の先鋭化や提供、実用化への貢献など多様な価値観への転換

(対象はスタッフサイエンティスト、インキュベーション及びデータパッケージの整備を担う人材等。実用化、非臨床試験・治験に従事することのインセンティブを付与。)

- ・ バイオ医薬品開発 (CMC) ・ 製造人材の育成強化

- ・ 目利きと伴走支援 (スタートアップ創出支援を含む)、プロジェクトマネジメントへの

現役企業研究者・薬事人材・投資家等の活用

- ・開発プロセスを管理し、リードする人材
- ・実務生物統計家の育成
- ・アカデミア・臨床研究中核病院における人材育成と確保
(各業務についてOJTが可能なノウハウの蓄積が前提であり、組織の環境整備へ発展。人材育成費用も重要。)

○相互の流動性

- ・企業・アカデミア連携による人材育成・強化
- ・産学官間での人材の流動性を高め、人材配置を最適化
(アカデミア、官における待遇改善、別の業界での経験がキャリア形成に利するスキームを構築。)

(2) 研究から医薬品・医療機器等の実用化へつなぐ環境の整備

知財を含めた開発品の評価やグローバル市場への展開について、産学官が目線を合わせることが必要である。実用化までのプロセスを熟知している人材による伴走支援を含めた体制等を強化し、基礎研究の推進を含めた研究開発環境の整備を進めることが重要である。

○ 研究開発環境の整備

- ・基礎研究の推進、優秀な若手支援の充実
- ・早期から実用化&グローバル市場を見据えた開発
 - 1) 世界的に魅力ある研究開発基盤の確保(海外からの研究開発投資も呼び込む)と海外拠点との連携。国際的な競争力獲得のための臨床試験等の研究開発の推進。
 - 2) 日本での速やかな社会実装による国民への貢献に加え海外市場への展開
先進国と途上国それぞれのニーズ等を把握し、実装を見据えた研究開発の推進。
 - 3) 国民のアクセシビリティの確保及び有事における安定供給の確保
- ・創薬・医療機器開発エコシステム/スタートアップ
(アントレプレナー教育、TLOの強化、リスクマネーの提供、海外のエコシステムとの連携など)
- ・日本における製造施設整備
(CMO、CDMO、Early Phase 小規模生産、治験レベルの品質の製造、大量生産※、サプライチェーン) ※安定供給のための研究開発も含む
- ・実用化に向けた進捗状況を適切に評価・把握

(共同研究か、知財のライセンス又は譲渡による導出か、自身が関与するアカデミア発
スタートアップとの協業か又は第三者との協業かなどに分別する、メリハリのある
Go/No Go 判断、KPI、ポートフォリオ管理、振り返り)

- ・ 中核的な臨床拠点における臨床ニーズに基づく医療機器開発、産学官連携による開発
- ・ 大型研究基盤施設における連携（重粒子線施設、RI 医薬製造用原子炉・加速器施設、放射光施設等）、先端研究機器の整備・共用強化
- ・ バイオリソースや生物資源の安定的な提供が可能な体制の整備

○ 臨床試験

- ・ 治験の活性化と効率化
(国内開発の促進に加え、海外オリジンのドラッグラグ・ロス対策も含む)
 - 1) 国際共同治験に関するワンストップサービスの在り方
 - 2) 臨床研究中核病院の特色化とレベルアップ
 - 3) 医療 DX のグランドデザインに基づいた治験 DX (DCT、DDC 等) の推進
 - 4) PMDA との連携 (アカデミアにやさしく、新規モダリティに関する支援・相談の拡充)
 - 5) 医療機器に関して、医工+産が集積して病院で臨床治験を推進する体制
 - 6) RWD を活用した医薬品・医療機器開発
- ・ 国際的な規制調和、海外との共同臨床試験・治験のネットワーク拡大・グローバル人材の育成、海外への情報発信
- ・ 市販後ステージにおける臨床研究によるエビデンス確立及び競争力強化の推進
- ・ 遺伝子治療及び細胞治療の治験前に求められている治験薬に関する情報の充実

○ 制度

- ・ 小児疾患、希少疾患、感染症用の研究開発促進につながる薬事・薬価制度の充実
(希少疾患の FIH or FIP から承認申請に向けた臨床試験及び安全性試験ガイドライン)
- ・ 医療保険制度におけるイノベーションに対する適切な評価

(3) **新時代にふさわしい研究開発活動の展開**

研究開発活動のオープンイノベーションモデルへの転換を図り、最新の AI の活用も含めたデータ駆動型研究や、アンダー・ワン・ルーフで融合を実現できる環境の整備を促進すべきである。クローズドな体質を打破し、産学連携、国際連携、異分野連携を加速させることが重要である。

○ オープンサイエンス、オープンイノベーションの推進

- ・ オープンイノベーションの具体的施策と優先順位付け
- ・ 知的財産及び経済安全保障との関係
(国内外のベストプラクティスの精査を政府が主導する等)
- ・ 橋渡し研究支援機関や臨床研究中核病院等を核とした異分野融合とネットワーク形成の推進
(GTB のような地域巻き込み型のスケールや、多面的な連携を想定。ここで記載するのは具体的な製品開発を第一目的としない底上げ型。)
- ・ 長期的視野がありつつも、技術革新に迅速に対応できる柔軟な研究開発環境の構築
- ・ バイオバンク等における、国際的に競争力のある試料と情報の一体的な利活用の促進
- ・ 知見へのオープンアクセス (論文、研究データベース等)

○ 国際連携・国際共同研究の推進

- ・ 研究成果の国際展開、科学技術外交への貢献

○ 研究 DX の推進

- ・ 生成 AI をはじめとした AI 利活用や量子技術による、研究開発の加速
(新たな創薬ターゲットの創出、画期的な医療診断システムの構築、データを統合的に利用する技術 等)
- ・ AI 利活用の基盤となるデータ収集・整備
(バイオバンク等におけるゲノム情報を含むマルチオミクスデータの収集・整備、利活用)
- ・ データ連携とプラットフォーム整備

(4) モダリティ・研究開発の発展

従来のモダリティの研究を深化させるとともに新規モダリティの創出、育成と開発、導入及び利活用に取り組むことが重要である。併行して、感染症や難病、希少疾患等の国が担うべき疾患に対する研究開発の取組を継続し、発展させることが重要である。

○ 新規モダリティ

- ・ 日本発の新規モダリティの創出・育成
- ・ 新規モダリティ開発の政府主導オープンイノベーション

- ・新規モダリティ等に対する DDS、評価系の開発、レギュラトリーサイエンス研究
- ・日本発のモダリティの国際競争力の強化、国際標準化、及び普及展開
- ・国際的新規モダリティの導入・改良・利活用

○ 統合プロジェクトの深化・発展

・医薬品

バイオ医薬品等の高機能化

小児や難治性疾患等のアンメットメディカルニーズへの対応

・医療機器・ヘルスケア

医療機器基本計画の重点5分野（医療従事者の業務効率化等）、SaMD/non-SaMD、ヘルスケア（予防・行動変容のエビデンス構築等）

・再生・細胞医療・遺伝子治療

・ゲノム・データ基盤

バイオバンクの持続的運用と利活用促進等

ゲノムデータ、オミックスデータや臨床情報の統合解析の促進

ゲノム創薬を含む次世代創薬研究

医療データ、情報通信機器の利活用の促進

・疾患基礎研究

臨床上の課題を取り込んだ研究

○ 少子高齢社会を見据えた研究開発

- ・高齢者をはじめあらゆる年代が健康な社会を実現していくため、ライフコースや高齢化に関する研究開発を総合的に推進（認知症の病態解明や早期介入、iPS 創薬研究、バイオバンクの連携強化、挑戦的ながん研究の推進 等）

○ ヘルスケアサービスの社会実装

- ・上記統合 PJ でのエビデンス構築等の研究に加え、予防・健康づくり領域での特色を踏まえた指針等の策定による環境整備
- ・事業化を見据えた健康医療情報（PHR 等）や IoT を活用したヘルスケアサービス開発支援

○ 疾患領域に関連した研究開発

（項目直下の本文は感染症、認知症、成育、難病を重点的に記載。）

- ・感染症

(重点感染症 (AMR 含む) に係る、ワクチン、診断薬等を目指した基礎から実用化に至る研究開発の推進、感染症危機対応医薬品等)

(COVID-19 の経験を踏まえ、有事に即時対応できる研究体制を整備。)

- 1) 研究基盤確保のための研究開発、人材育成、国際展開に関する強力な推進
- 2) 企業の参入を促す支援 (push 型、pull 型)
- 3) 平時からの大規模臨床試験実施に備えた体制整備 (感染症臨床研究ネットワーク (仮称))
- 4) 国際共同治験が推進できる体制整備 (ARISE)
- 5) ネットワーク構築 (病原体検体等の入手・分与、データ環境)

- ・認知症

認知症の病態解明、創薬、バイオマーカー開発、診断・治療、ケア研究などの推進

- ・成育、小児・周産期

- 1) 負担の少ない不妊治療の研究開発
- 2) 周産期及び小児の医薬品開発 (胎児治療、周産期合併症に対する治療等)
- 3) こども及び妊産婦のメンタルヘルスの改善に向けた技術開発

- ・希少疾患・難病

症例数が少ないという制約の中で病態解明や治療法の開発を行う必要があり、企業が開発に着手しにくいという特性を踏まえて対応

- ・精神・神経疾患

- ・がん

「がん研究 10 カ年戦略 (第 5 次)」等を踏まえた研究開発の推進

- ・生活習慣病

- 1) 各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
- 2) 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研究開発

(5) 社会共創：ELSI PPI

- ・国民の理解を得られる衡平性が担保された施策
- ・適切な利用者側管理による幅広いデータ利活用の促進の検討
- ・国民視点に立った医療研究全般、治験・臨床研究の適切な情報発信

(国民の科学リテラシーの深化への貢献も含む)

- ・ゲノムデータを含む各種のデータの利活用により、差別や不利益が生じないようにするための対応

3. AMED の役割

- ・ KPI とフォローアップの見直し、支援終了後のフォローアップ
- ・ 課題採択者に対する AMED 関連事業への橋渡し移行支援
- ・ 知財確保や薬事承認等の実用化に向けた適切な助言等の支援の推進
- ・ 科学技術振興機構（JST）や新エネルギー・産業技術総合開発機構（NEDO）を含む国内外の FA との連携
- ・ 医療分野の研究開発に係るモダリティやステークホルダーの多様性・複雑性が大幅に増大する中で、今後本格化していく業務や役割の増大に応じた体制整備 等