

AMED第3期の取組状況について

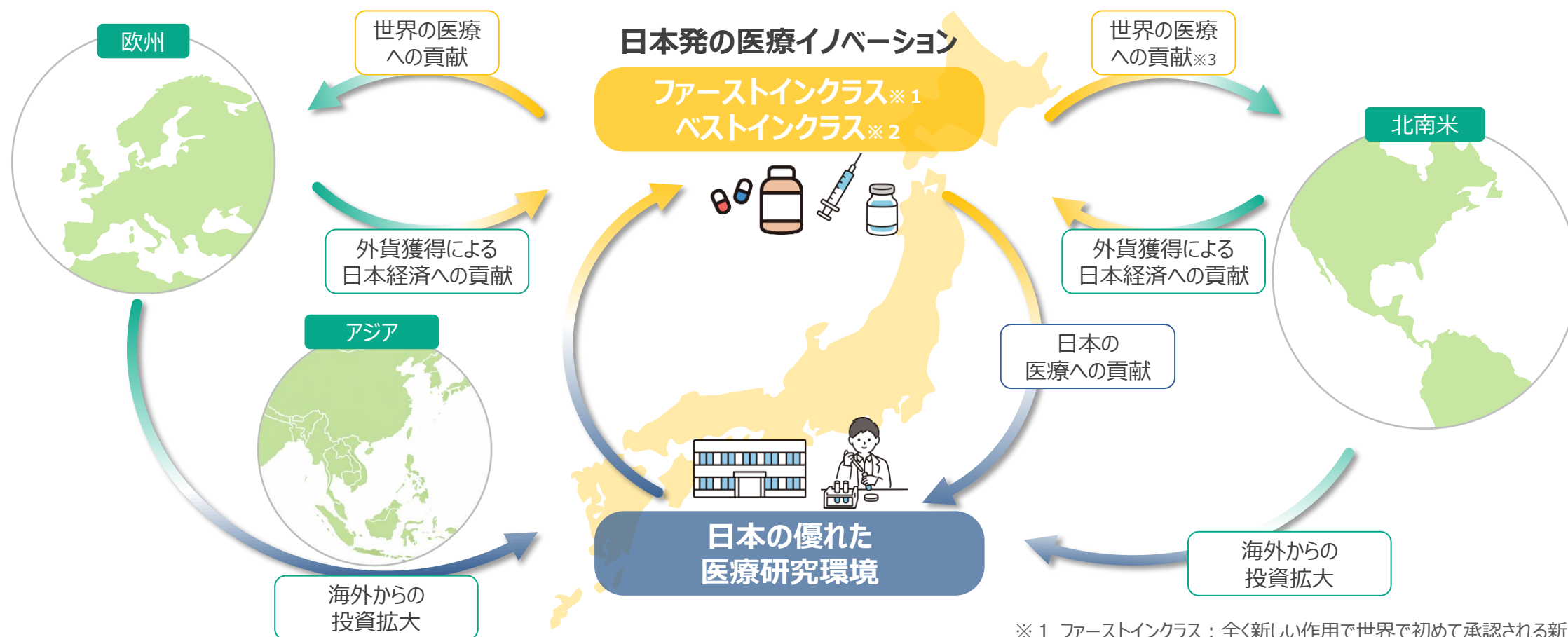
令和8年7月16日

日本医療研究開発機構（AMED）理事長

中釜 齊

日本の健康・医療分野の研究開発において重要な双方向の視点

- 世界の医療への貢献及び外貨獲得による日本経済への貢献を可能とするグローバルな動向を踏まえた日本発の医療イノベーションの促進
他方、日本の医療への貢献及び海外からの投資拡大を可能とする国内状況を踏まえた日本の医療研究環境の整備の双方向の視点が重要



※1 ファーストインクラス：全く新しい作用で世界で初めて承認される新薬
※2 ベストインクラス：同じ作用の製品の中で有用性が最も優れる医薬品
※3 がん、難病・希少疾患、免疫等を対象とした研究開発を含む

日本の創薬研究に対する指摘（＝AMEDの課題）と対応状況



グローバル開発に入れていない
（資金、人脈、技術、経験）



アカデミア研究成果と企業開発
ニーズにギャップがある



革新的な創薬シーズを創出できて
いない



国際的に高い研究水準の臨床試
験を実施できていない



AI・データの利活用環境が整備さ
れていない

①グローバルエコシステムの構築

進捗：創薬ベンチャーに対する国内外VCの投資増

今後：海外VCの一層の誘引、成功案件創出・再投資、
グローバルエコシステムとの接続深化（人脈、経験）

グローバル市場獲得

日本発の医療
イノベーション

②事業間連携及び企業導出による実用化の加速

進捗：がん分野等での事業間連携の実践

革新的新薬の創製に向けたAND-E（製薬協との連携）新設

今後：全課題スクリーニング本格稼働 (R7.10～)

事業間のギャップを埋めるための採択・評価基準見直し
他事業の成果を積極活用する仕組みの検討

優れた医療研究環境

③グローバルレベルのFIH、臨床試験や製品開発の環境整備

今後：国内での高度FIH※試験の拠点整備の検討

臨床試験や製品開発におけるCRO、CDMOの活用支援

④データ利活用環境整備

進捗：医療研究DXチーム発足（R7.11～）、官民投資ロードマップ
への反映、医療情報検討会（個情法改正等）への貢献

今後：先端解析機能の環境整備及び基盤強化とAI活用研究開発
複数機関の統一した情報収集及びデータ連携の促進

※FIH：First in Human（ヒト初回投与）

創薬力強化に向けたVC、スタートアップの進捗

VCの成長、世界のステークホルダーとの連携強化

日米を繋ぐ新規VC設立
(ANV Management)

新たなファンド設立
(FTI, D3合同会社, ANRI等)

グローバルVCの参画
(Blackstone, RA Capital,
TPG Global, Curie Bio等)

国内VCの海外展開
(大阪大学VC)

創薬ベンチャーの開発進捗

認定VC (AN ventures、UTEC) による
ステークホルダーとの連携強化
(Science to Startup (S2S) Japan)



AMEDによるステークホルダーとの連携強化
(Bio Japan、Link-J)



創薬スタートアップのグローバル展開

【Shinobi Therapeutics】 (2023年米国進出)

- 京都大学のiPS細胞の技術を活用して革新的ながん治療薬を開発

【レグセル】 (2025年米国進出)

- 大阪大学及び京都大学発のTreg細胞による革新的な医薬品を開発

【テンセグリティファーマ】 (2026年オプション契約)

- 免疫疾患のグローバル企業Argenx BV社（ベルギー）と共同研究開発及びオプション契約を締結

SHINOBI
THERAPEUTICS

 **RegCell**

 **Tensegrity
Pharma**

グローバル創薬ベンチャーエコシステムの構築

①グローバルエコシステムの構築



④国内への還元

- ・次シーズへの資金供給
- ・経営人材・技術人材供給
- ・国外VC・人材とのネットワーク
- ・国内製造拠点整備
- ・国内における薬事承認 等

③高い市場価値でのExit

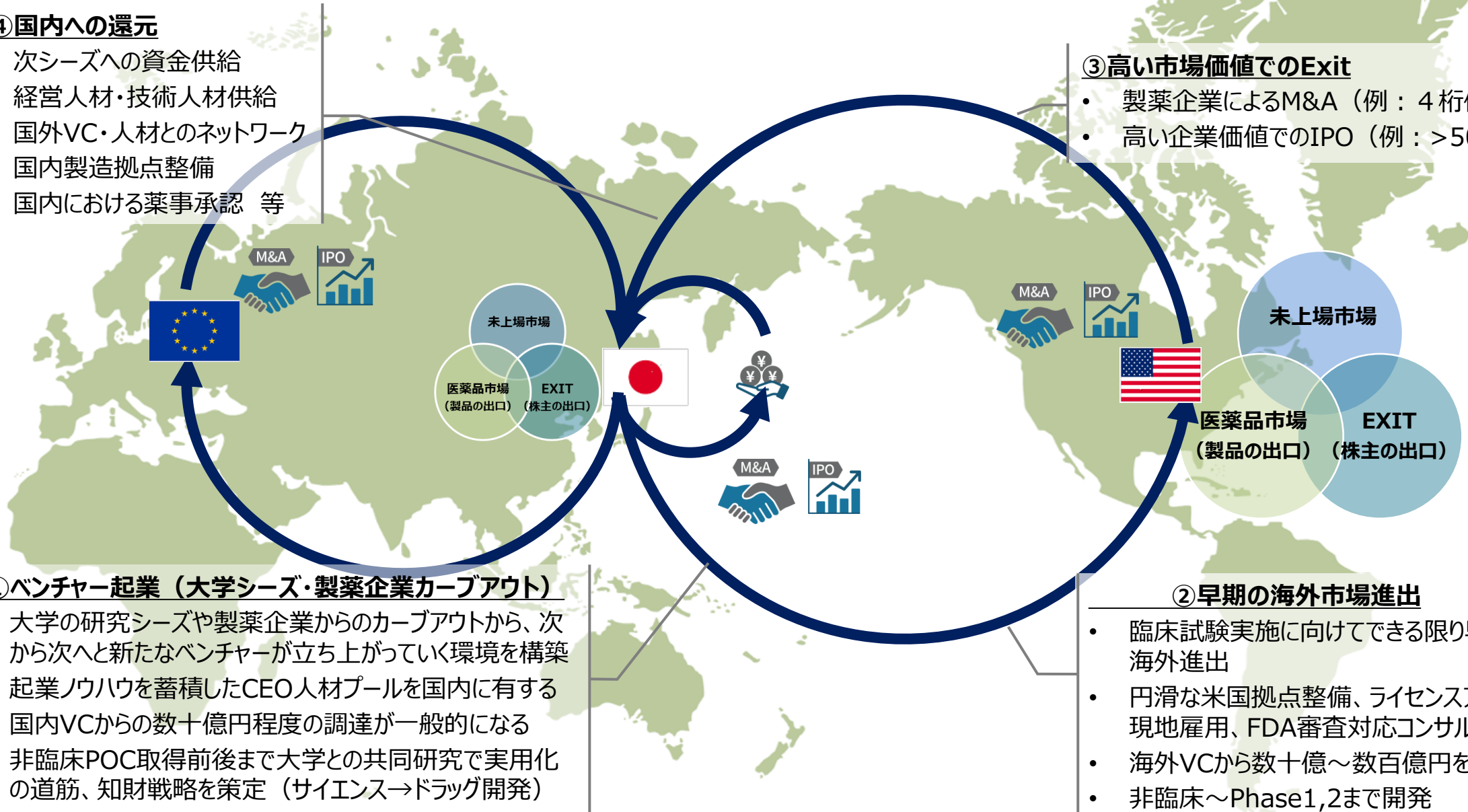
- ・製薬企業によるM&A（例：4桁億円規模）
- ・高い企業価値でのIPO（例：>500億円）

①ベンチャー起業（大学シーズ・製薬企業カーブアウト）

- ・大学の研究シーズや製薬企業からのカーブアウトから、次から次へと新たなベンチャーが立ち上がっていく環境を構築
- ・起業ノウハウを蓄積したCEO人材プールを国内に有する
- ・国内VCからの数十億円程度の調達が一般的になる
- ・非臨床POC取得前後まで大学との共同研究で実用化の道筋、知財戦略を策定（サイエンス→ドラッグ開発）

②早期の海外市場進出

- ・臨床試験実施に向けてできる限り早期に海外進出
- ・円滑な米国拠点整備、ライセンスアウト、現地雇用、FDA審査対応コンサル契約
- ・海外VCから数十億～数百億円を調達
- ・非臨床～Phase1,2まで開発



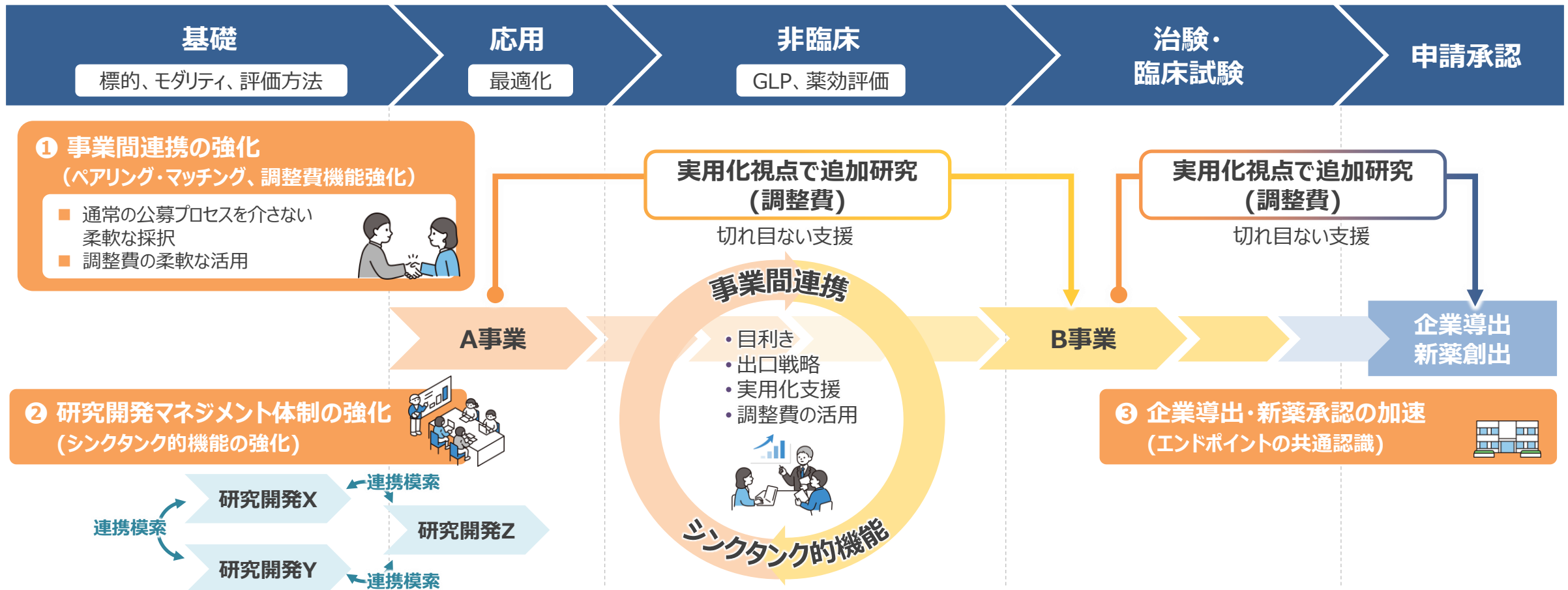
国内外からのリスクマネー供給の加速 (補助金を通じた海外VC投資の誘引)



AMED内事業間連携の強化（基礎研究から実用化までの戦略的支援）

第3回 創薬・先端医療WG（2026/03/16）
AMED説明資料 一部改編

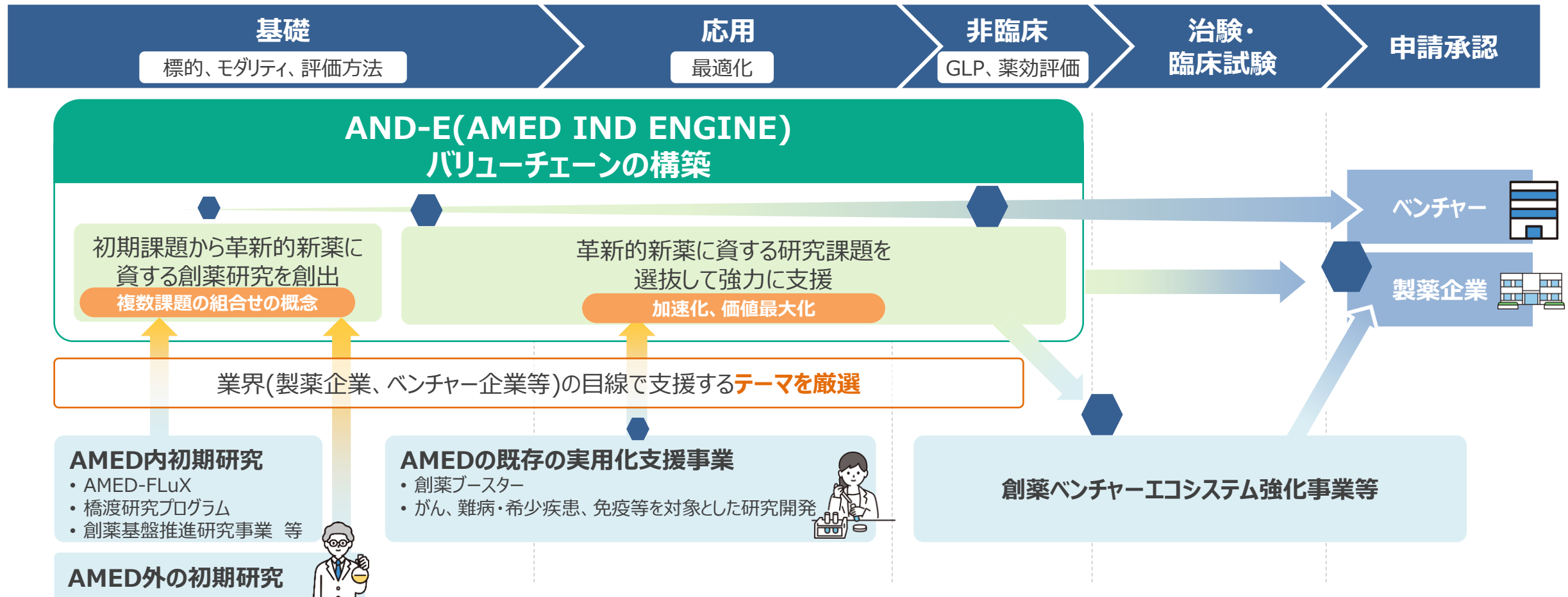
1. 各省縦割りと指摘される事業間をつなぐための新たな仕組み（ペアリング・マッチング）の導入
2. 文科省、厚労省、経産省等からの約60事業2,700課題を全体最適化するシンクタンクの機能の強化
3. 企業導出等の成果へ無駄なくつなぐための目標明確化に取り組んでいるところ



AMED研究の創薬実用化への強化 “AND-E (AMED IND ENGINE)”スタート

第3回 創薬・先端医療WG (2026/03/16)
AMED説明資料 一部改編

- AMED研究からの革新的新薬の創製に向けて新たなチームを設置
- AMEDと製薬協の連携のもと” AND-E”の取組を通じて、日本発の「ファーストインクラス製品、ベストインクラス製品」創製に貢献し、いち早く患者さんに届ける



国内の高度なFIH試験の推進

③グローバルレベルのFIH、臨床試験や製品開発の環境整備

第3回 創薬・先端医療WG (2026/03/16)
AMED説明資料 一部改編



- トップクラスの海外研究者が日本の地で我が国研究者と共同研究を行うことで研究成果の高度化・加速及びグローバル人脈の構築を図る。
- 特に、FIH（First in Human）試験や第I相国際共同治験を日本が主導して海外研究者とともに実施する環境整備に取り組む
- 具体的には、臨床研究中核病院を中心に国際的に評価される治験・臨床試験を行う医師・研究者（KOL※を含む）を育成するとともに、グローバルに使われる医薬品、医療機器、医療技術等に繋がる質・規模の研究開発を推進し、ドラッグラグ・ロスの解消を実現する

動物モデル（非臨床）検証の限界を突破する 早期でのヒトでのPOC取得を可能とする仕組み

- ・ モダリティの変化
In vivo CAR-Tなどヒトにだけ効く新規モダリティが増加
- ・ 動物データだけで開発を進めても薬事承認のフェーズに進むことができず、「ヒトでのデータ」が必須



世界各国が
臨床環境整備を
強化

▶ 現状では、開発コストが高まり、スピードも遅くなる

特定機能病院や臨床研究中核病院における医療安全の整理

- ・ 承認された治療とは異なり、未承認（特に早期開発）治療における医療安全は、予測が不可能であり、未知の毒性への対応が必要

▶ 医療安全を確保するために特別なPDCAを回せる
組織・体制・資金、倫理委員会の運用が必要



● 我が国が強みを持つ技術領域で臨床試験を先導

例

モダリティ：iPS細胞、放射線治療・医薬品、次世代遺伝子等
疾患領域：がん、神経・精神、感染症等



● Phase 0 臨床試験（特定臨床研究等）、解析環境、データ利活用、高品質な医薬品製造が可能なCDMO等が一体的になった拠点の整備



● 被験者の安全性担保、倫理・科学面の配慮、薬事承認へのパスウェイ構築等



- 医療分野の研究開発等における全ゲノムデータや画像データ等の利活用を加速するようデータ基盤を整備
- 蓄積したデータをAIにより利活用する研究開発を推進
- ファーストインクラス医薬品／ベストインクラス医薬品／フィジカルAI医療と育成された人材により医療分野の革新的な成長を目指す

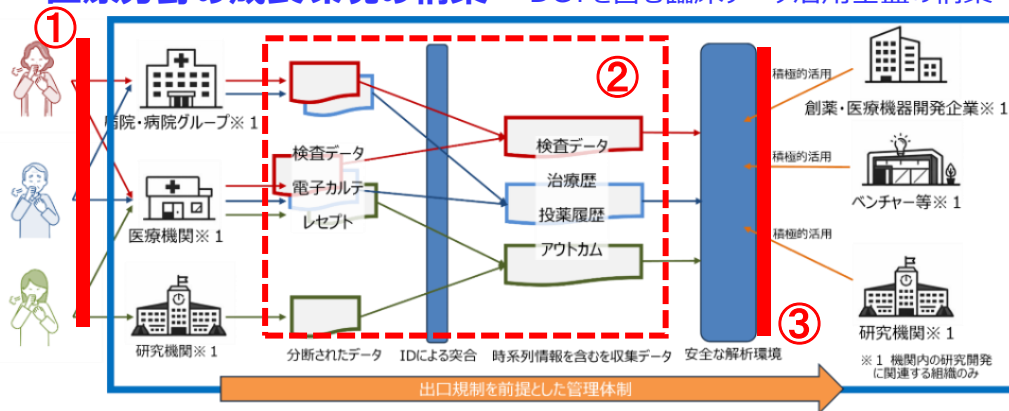
医療研究DXの定義

医療現場や関連するデータ基盤及び医療分野の研究開発から得られる知見やデータを、研究者が目的や文脈に応じて有効に活用できるようにするため、デジタル技術を活用し、制度・技術・運用面を再設計する枠組み。

医療分野の成長環境の構築～ 国際共同治験も想定したDCT環境の構築 ～

コホートを含むデータベースの運用・構築や、ビッグデータを活用したAI創薬（ゲノム解析、マルチモーダル画像解析、マルチオミックス解析）の実現に向け、
①統一した情報収集を行う体制・環境整備 ②既取得情報を含め、複数機関に分散しているDBを統合・連携し繰り返し活用できるような環境整備を目指す

医療分野の成長環境の構築 ～DCTを含む臨床データ活用基盤の構築～



ビッグデータ利活用研究開発の推進
先端解析機能の環境整備

革新的医薬品／医療機器創出スキーム

- AI創薬
- AI医療機器／AI手術室
例えば、AIMGAIN事業に「AI創薬・医療機器」枠を設置するなど
- AMED IND Engine

高度研究人材の創出

医療分野での革新的な成長を目指し
●ファーストインクラス医薬品
●ベストインクラス医薬品
●フィジカルAI医療
の創出を介してAI活用を促進する

課題解決の必要性⇒ ①同意プロセス(ICFの管理含む)の適正化 ②ゲノム情報の2次利用を可能に ③機関間の情報搬送を実現 等

日本の成長戦略・勝ち筋に向けた創薬・先端医療の研究開発へのアプローチ

- 「現場中心主義」を徹底、アカデミアからの基礎研究を継続的・安定的に支援し、活性化を図りつつ、その成果をいち早く戦略的かつ弾力的に展開させることにより、日本発の医療イノベーションを促進し、患者さんに届ける。また、それらを我が国の地で実現できる創薬・先端医療に向けた優れた医療研究環境の構築、整備に関係省庁とともに取り組む。これらを通じ、健康長寿社会の実現や日本の成長戦略に貢献

① 日本発の医療イノベーションの促進

② 優れた医療研究環境の整備

1

複数年度に跨がる継続的かつ弾力的な予算措置及びマネジメント強化

- 基礎研究から創薬への実用化のために長期的な計画の下に、**複数年に跨がる執行が可能な継続的かつ弾力的な予算措置**
- また、後継事業候補における枠の拡充、柔軟化
- これらマネジメントに当たり、必要な人材の確保・育成及びシステム基盤の強化

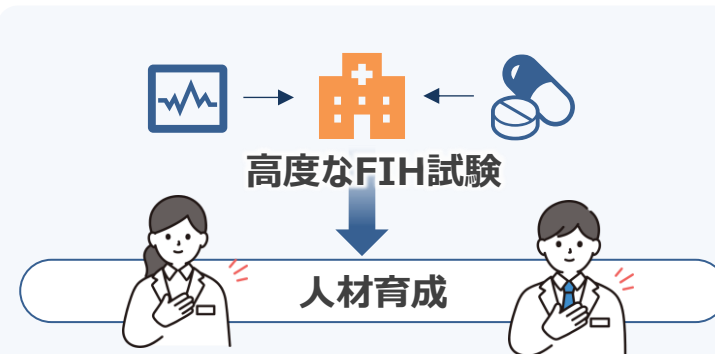
継続的かつ弾力的な支援が重要



2

高度なFIH試験推進のための環境整備に基づく研究開発の推進

- 臨床研究中核病院を中心に、高度なFIH試験を実施するために必要な**治験環境（治験設備、治験薬提供設備等）の整備**
- 治験・臨床試験を行う医師・研究者（KOLを含む）の**育成**



3

先端解析機能の環境整備及び基盤強化とAI活用研究開発による医療研究DXの推進

- 国際共同治験も想定したDCT環境の構築など**ビッグデータ利活用研究開発の推進に必要な先端解析機能の環境整備及び基盤強化**
- 医療研究DXを前提としたAI創薬（全ゲノムデータを用いた解析や画像解析、マルチオミックス解析等）やAI医療機器（AI手術室、フィジカルAI等）分野、データ連携等に関わる世界水準での研究開発の強化・推進

個々の医療データを統合して先端解析の環境整備を



年度計画

基礎から実用化まであらゆるフェーズにある医療分野の研究開発が社会の理解や信頼を得つつ進められるよう、責任ある研究・イノベーション(RRI)の考え方に基づき研究開発を推進・展開するために必要な施策を講ずる。

- AMED事業全体において、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、研究開発の早期の段階からELSIへの対応を行う。(■)
- 医療分野の研究開発における「社会共創」の取組を充実・普及させるべく、AMEDと社会のさまざまなステークホルダーとの協働による啓発活動を推進する。(■)
- AMED研究倫理・社会共創推進プログラムにおいて、医療分野の研究開発を推進・加速させるために必要な研究倫理や ELSI に関する研究開発を実施する。同プログラムにおいて、医療研究開発におけるPPI推進のためのプラットフォーム機能を果たす研究開発を実施する。(★)

1. ELSI等、研究の倫理性向上のための業務

- ① AMED事業全体に資する研究開発とプラットフォーム
★ ■ ■ AMED研究倫理・社会共創推進プログラム
- ② 事業部門における倫理関連の事業設計・マネジメント・取組支援等
(代表的なもの)
 - ゲノム医療実現推進プラットフォーム・社会共創推進領域
 - 再生医療実用化基盤整備促進事業／再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題(倫理・社会共創課題)
 - 脳神経科学統合プログラム(研究倫理支援班)
 - ムーンショット型研究事業
- ③ 当該領域の研究振興と課題解決に向けた取組
★ ■ ■ 研究倫理を語る会の開催
■ 学会等との連携による研究倫理に関するリテラシー向上に係る取組

2. PPI等「社会共創」の取組普及に係る業務

- ① AMED事業における取組支援
 - AMED事業におけるPPI取組に関する企画・運用
 - PPI導入に関するコンサルティング業務
 - ■ AMED事業の研究者からの問合せ対応
 - ■ 役所や他FA等からの問合せ対応
 - 患者の立場等を代表する方の紹介
- ② PPIの普及啓発に係る取組
 - ■ 外部からの依頼に基づく講演・研修講師等の対応
 - 研究現場におけるPPI初学者に向けた研修
 - AMED事業におけるPPIの事例
- ③ 社会との対話や協働の促進に向けた取組
 - AMED社会共創EXPO

3. 社会共創推進に向けた基盤的取組の充実 等

- ① 医学系研究をわかりやすく伝えるプロジェクト
★ ■ 医学系研究をわかりやすく伝えるワークショップの開催
- ② SDGsに関する取組
 - AMED事業におけるSDGsの取組紹介動画の制作・公開

日本医療研究開発機構（AMED）第3期の運営方針（令和8年1月）



～ 現場中心主義（研究現場や成果導出先との対話を基礎とする組織体制/風土の形成）の推進 ～

「現場中心主義」を徹底しつつ、以下の取組を通して、研究開発とその環境整備及び人材育成等を牽引・後押しすることにより、健康・医療分野における我が国の研究開発活動の活性化や底上げ、ひいては健康長寿社会の実現に向けて貢献する。

1. 事業間連携の取組の強化

研究開発事業及び課題の間をつなぎ、切れ目なく連続した支援を可能とする仕組み（ペアリング、マッチング）を構築・導入する。その際、研究開発の目利きをはじめ出口戦略の立案やそれら実施に向けた案件調整等に取り組むシンクタンクの機能と機動性を向上させた調整費を有効に活用し、研究支援を充実させていく。

2. 研究開発の初期段階からの産学協創・企業導出

上記の研究支援の充実を図りつつ、初期段階からアカデミアと企業が協創して研究開発を進め、企業の視点による各シーズ・技術への支援等を実施することにより、最適な開発段階（基礎・応用研究から臨床研究まで）での企業導出を促進する。

革新的新薬の創製に向けて、各事業及び課題についてバリューチェーンの観点からも捉えながら、仕組みづくりや各段階の取組を進める。

3. 社会実装・貢献へつながる成果創出のための基礎研究の充実

研究者の自由な発想と社会的な要請を踏まえた基礎研究を継続的・安定的に支援し、また、その基礎研究の成果と先端技術開発との融合を図ることにより、医薬品及び医療機器等の開発の源泉となるイノベーションの種を絶え間なく創出していく。

4. 国際展開の推進

国際的に優れた研究成果の創出に向け、国際共同研究の戦略的・機動的な推進や海外ニーズを取り込んだ国際共同治験への参画により、日本人研究者の国際的なトップサークルへの参入を促進するとともに、次世代の優秀な研究者同士の交流や関係構築の強化をする。また、国内外の医薬品市場を見据えた創薬エコシステムを構築する。

5. 医療分野の研究開発のDX

AIをはじめ、生成AIや量子技術等の先端技術を用いた医療分野の効果的・効率的な研究開発を促進する。そうした取組において基盤となるデータベースの構築・整備及び活用を見据えたデータマネジメントに取り組む。

第3期中長期目標期間の成果（令和7年度）



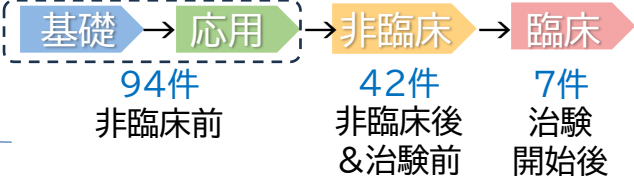
<成果概要>

数値目標やモニタリング指標は、第3期を迎えるに当たって、項目設定や内訳の取得など、研究開発の成果を適切に把握できるよう設定された。今回はその初年度の数値(スナップショット)ではあるが、今後、承認品目の分類及び新規性などの各項目の詳細分析、年次的な数値の推移による進捗把握等により、一層効果的な研究開発のマネジメントへの活用、次の事業設計や政策検討への貢献を目指す。

①企業導出

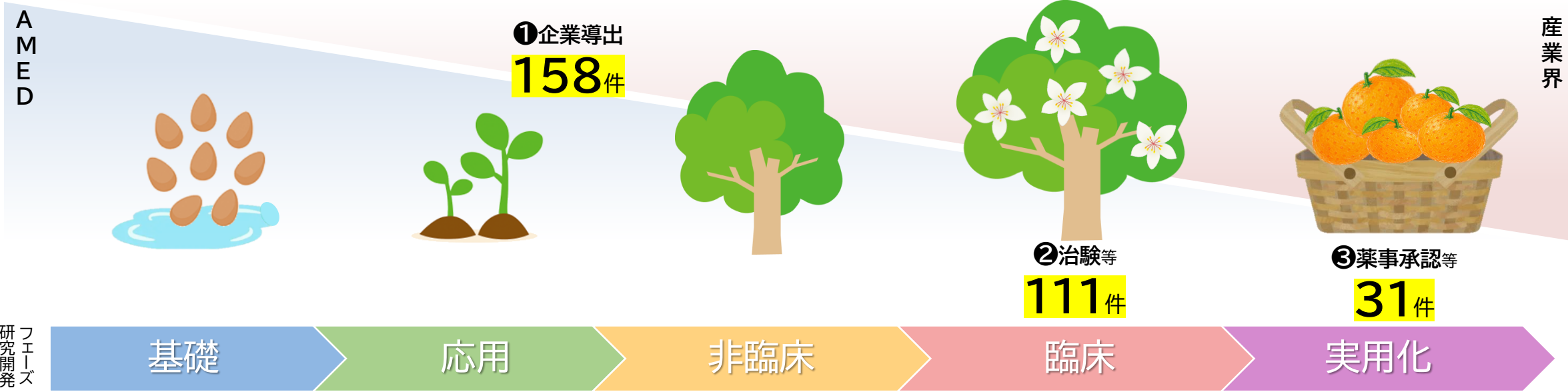
- ・権利譲渡契約 7件
- ・実施許諾契約 36件
- ・共同研究契約 115件
- ・外資系企業 15件
- ・ベンチャー企業 50件

・企業導出フェーズ



・主な疾患領域

- ・がん 40件
- ・生活習慣病 21件
- ・難病 22件



②治験等

- ・医師主導治験 77件
- ・企業治験 31件
- ・臨床性能試験 3件
- ・国際共同治験 14件

③薬事承認等

- ・医薬品 6件
- ・医療機器 16件
- ・体外診断用医薬品 7件
- ・再生医療等製品 2件
- ・新規 15件
- ・適応拡大 9件
- ・認証 4件
- ・その他 3件
- ・海外承認・認証 5件

- ガイドライン等 136件
- ソフトウェア 一般医療機器の上市 19件

薬事承認 <一覧>

⑥薬事承認31件の内、医薬品と再生医療等製品の8件

分野	No.	PJ	事業名	研究開発課題名	研究開発代表者	所属機関	薬事承認の性格	販売名	医薬品 モダリティ
医薬品	1	1	臨床研究・治験推進 研究事業	SCRUM-Japan GI-SCREEN基盤を活用した血液循環腫瘍DNA ゲノムスクリーニングに基づくHER2遺伝子異常を有する 固形がんに対するDS-8201aの医師主導治験	谷口 浩也	愛知県がん センター	適応拡大	エンハーツ	高分子 ー抗体
	2	1	難治性疾患実用化研 究事業	本邦のシュニッツラー症候群患者の急性期炎症所見に対 するカナキマブを用いた多施設医師主導治験	神戸 直智	京都大学	適応拡大	イラリス	高分子 ー抗体
	3	1	臨床研究・治験推進 研究事業	進行卵巣癌・卵管癌・腹膜癌に対する腹腔内化学療法確 立のための研究	藤原 恵一	埼玉医科大学	適応拡大	カルボプラチン	低分子
	4	1	臨床研究・治験推進 研究事業	小児難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症 候群を対象としたリツキシマブ治療併用下でのミコフェ ノール酸モフェチルの多施設共同二重盲検プラセボ対照 ランダム化比較試験	飯島 一誠	神戸大学	適応拡大	セルセプト	低分子
	5	1	臨床研究・治験推進 研究事業	小児・AYAがん患者の薬剤アクセスの改善と薬事承認に 利活用可能なデータ収集を目的とした患者申出療養制度 に基づく特定臨床研究	荒川 歩	国立がん研究 センター	適応拡大	テセントリク	高分子 ー抗体
	6	7	臨床研究品質確保体 制整備事業	新治療法開発～創成と科学双翼プロジェクト～	花岡 英紀	千葉大学	適応拡大	ジアグノグリーン	低分子
再生医療等製品	7	3	再生医療実用化研究 事業 ほか	虚血性心筋症に対するヒト(同種)iPS細胞由来心筋細胞 シートの臨床試験 ほか	澤 芳樹	大阪大学	条件&期限 付き承認	リハート	ー
	8	3	再生医療等実用化研 究事業 ほか	パーキンソン病に対するヒトiPS細胞由来ドパミン神経 前駆細胞の細胞移植による安全性及び有効性を検討する 臨床試験(治験)に関する研究 ほか	高橋 淳	京都大学	条件&期限 付き承認	アムシェプリ	ー



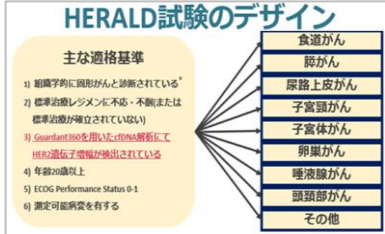
薬事承認 主な成果事例

⑥薬事承認31件 (医薬品 6件 / 医療機器 16件 / 再生医療等製品 2件 / 体外診断用医薬品 7件)

医薬品 1

エンハーツが標準的な治療が困難なHER2陽性の進行・再発の固形がんに対する治療薬として承認【新効能医薬品】

臨床研究・治験推進研究事業



- リキッドバイオプシーからHER2遺伝子増幅が検出された、16種の固形がん患者を対象とする臨床試験（HERALD試験）の実施にあたりAMEDが第Ⅱ相医師主導治験の支援を行った。
- 当該試験結果を基に、日本で初めてのがん種横断的な抗HER2療法の取得に繋がった。本承認の取得により、**多くのHER2陽性の固形がん患者に対する治療**への貢献が期待される。

医薬品 2

イラリスが世界初の「シュニッツラー症候群」に対する治療薬として承認【適応拡大】

難治性疾患実用化研究事業



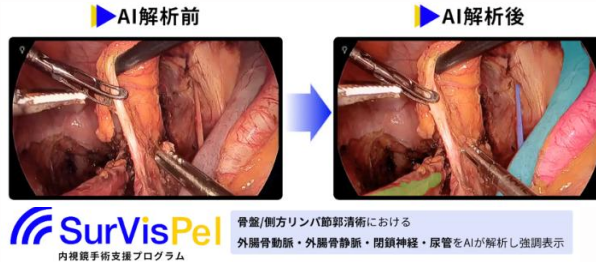
- AMEDの第Ⅱ相医師主導治験の支援により、後天性の自己炎症性疾患であるシュニッツラー症候群に対する世界初の治療薬（「IL-1β」の働きを抑える抗体医薬）の承認に繋がった。
- 本効能の取得（適応拡大）によって、**これまで治療薬のなかった当該患者に対する治療**への貢献が期待される。

医療機器 3

骨盤内腫瘍の内視鏡外科手術における術中リアルタイムAIナビゲーション（SurVis-Pel）の開発・事業化【クラスⅡ】

医工連携グローバル展開事業

- 医師の経験に依存してきた術中の解剖構造の認識を支援するための**手術用画像認識支援プログラム**を開発し、医師の認識感度が向上された。



医療機器 4

実臨床におけるdrug coated balloon (AGENT DCB) の有効性検証【クラスⅡ】

医療機器開発推進研究事業

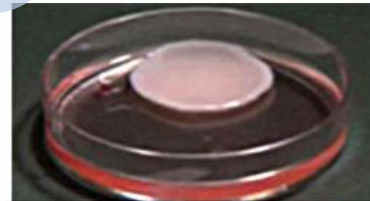
- 冠動脈疾患に対する経皮的冠動脈インターベンション（PCI）治療における薬剤塗布型バルーン（DCB）国内レジストリを構築し、このエビデンスを用いた研究開発を実施。
- **国内レジストリのみを用いて迅速に薬事承認を取得した本邦初の事例**となる。



iPS細胞由来再生医療等製品の世界初の実用化【条件&期限付き承認】

- 令和8年3月虚血性心筋症及びパーキンソン病を対象とした2品目のiPS細胞由来の再生医療等製品が、条件及び期限付きでの製造販売承認を取得した。この製造販売承認によって、**iPS細胞由来の再生医療等製品が世界で初めて実用化**されることになった。

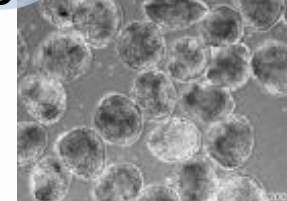
再生医療 5 リハート



再生医療実用化研究事業

← iPS細胞由来心筋シート

再生医療 6 アムシェプリ



再生医療等実用化研究事業

← iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞

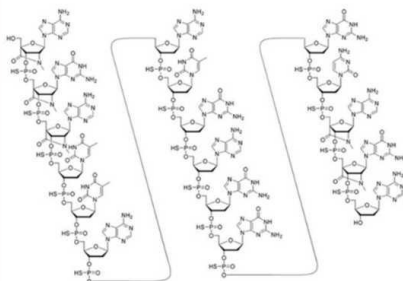


治験 主な成果事例

治験届数111件

フェーズ1 1 切除不能な進行・胃癌患者に新規アンチセンス核酸医薬品を投与する治験の開始【第Ⅰ相医師主導治験】

ASO-4733の構造式



アミド架橋型人工核酸を搭載し、生体内安定性を実現

- ・橋渡し拠点（名古屋大学）
- ・創薬支援推進事業
- ・次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業

- 腹膜播種を有する切除不能な進行・胃癌患者に対して、新規アンチセンス核酸医薬品を腹腔内に投与する治験を令和7年6月に開始した。
- 本シーズは、基礎研究成果をもとに「創薬ブースター」の支援で検証を実施後、名古屋大学拠点で「橋渡し研究プログラム」preBから育成を行った。
- 治験薬は医薬基盤・健康・栄養研究所及び大阪大学との連携により創製され、「次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業」との事業間連携で治験開始に至った。

フェーズ2 3 CPP吸着カラムの大動脈弁狭窄の進行抑制について治験の実施【第Ⅱ相企業治験】

革新的先端研究開発支援事業事業

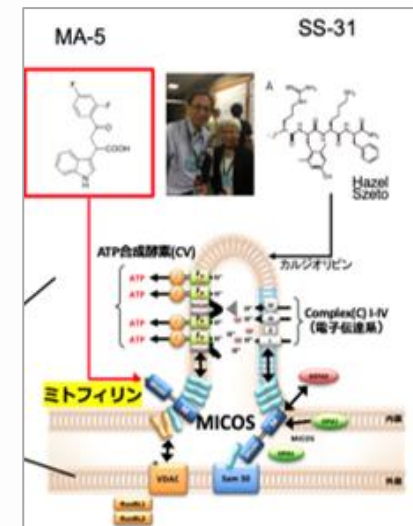
- 血液透析回路に接続して使用する医療機器「CPP吸着カラム」の探索的治験における残余血清検体を用いた臨床研究を実施した。
- この臨床研究で、血中CPPレベルが減少した患者において、大動脈弁狭窄の進行が抑制されることを示唆するデータが得られた。
- この成果に基づき、CPP吸着カラムを共同開発した株式会社力ネカが、大動脈弁狭窄の進行抑制を主要評価項目とした新たな探索的治験を、企業主導で実施することになった。



フェーズ2 2 ミトコンドリア機能改善薬MA-5【第Ⅱ相医師治験】

- ・ムーンショット型研究開発事業
- ・臨床研究・治験推進研究事業

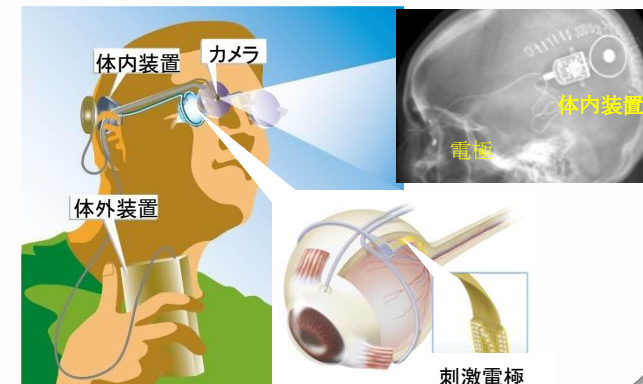
- ミトコンドリア病及び難聴の治療薬の承認を目指し、臨床試験を行っている。
- 「ムーンショット型研究開発事業」の支援により、第Ⅰ相臨床試験において安全性が確認された。
- その後、「臨床研究・治験推進研究事業」につなげ、難聴を伴うミトコンドリア病患者を対象とする第Ⅱ相臨床試験を、国内の4医療機関で令和7年12月から開始した。



フェーズ3 4 日本初の人工網膜技術STS法で網膜色素変性症の視覚再建【第Ⅲ相企業治験】

医療機器開発推進研究事業

- STS法は、網膜外層変性症などの視覚障害に対する人工網膜治療の1つで、脈絡膜上腔に電極を埋め込み、視神経を刺激することで視覚を生み出す技術。網膜へのダメージリスクを軽減し、欧米の技術よりも高い安全性と安定性を実現する。
- AMED医療機器開発推進研究事業で2016～2017年度に医師主導治験を支援。その後第Ⅲ相企業治験に発展した。



第3期中長期目標期間の成果の個別分析 (ファーストインクラス・ベストインクラスを目指す革新的医薬品の例)



数値目標やモニタリング指標は、第3期を迎えるに当たって、項目設定や内訳の取得など、研究開発の成果を適切に把握できるよう設定された。今回はその初年度の数値(スナップショット)ではあるが、今後、承認品目の分類及び新規性などの各項目の詳細分析、年次的な数値の推移による進捗把握等により、一層効果的な研究開発のマネジメントへの活用、次の事業設計や政策検討への貢献を目指す。

成果	総数	カテゴリー内訳	医薬品の内訳
承認取得	31件	・医薬品 6件 ・医療機器 16件 ・体外診断薬 7件 ・再生医療等製品 2件	・新薬 0件 ・適応拡大 6件 (実施主体はアカデミア)
治験	111件	・医薬品 約70% ・医療機器 ・体外診断薬 ・再生医療等製品	・医師主導治験 約70% ・企業治験 約30% (うち製薬企業 数件)
企業導出	158件	・医薬品 約15% (ワクチン、再生医療等製品は除く)	・製薬企業 数件 (うちグローバル展開可能 数件)

1. 優れたシーズの創出・実用化の加速

◆ 出口志向の研究開発マネジメント

- ・アカデミア医薬品等シーズ開発推進会議(AMED-FLuX)、TPP策定支援における研究開発方針の提案、調査・分析機能の整備を進めるとともに、“AND-E(AMED IND ENGINE)”の取組を開始し、AMED研究からの革新的新薬の創製に向けて新たなチームを設置

◆ 事業間連携の強化

- ・統合プロジェクト連携会議を開催。ペアリング・マッチングの先行的な取組、機能強化された調整費を活用して事業間をつないだ連続的支援等を推進

◆ シーズの育成

- ・合理的・効果的なフォローアップ調査の実施・分析、AMSを活用した分析結果を統合PJ横断的なマネジメント等に活用

2. 統合プロジェクトの運営、統合プロジェクトに共通する取組及び環境の整備の推進調整

◆ 関連する研究開発事業の統合的な連携の推進

- ・各疾患領域に経験豊富なDCを配置し、DCがマネジメントする領域運営会議を新たに設置。各DCは統合プロジェクト連携会議に参加し、プロジェクト横断的な連携強化を進めた。

3. 事務の合理化

◆ 契約管理・経理に関する検査方法の見直し

- ・執行状況や内容の把握／調整などもする進捗把握や中間検査を中心とする運用に移行を予定
- ・新たに「事務手続きに係る提案箱」をA-POST内に設置し、研究機関等から、事務手続きに関する意見や提案を聴取

1. 事業間連携の取組の強化

- ・ 難治性がん克服フラグシッププログラムの立ち上げ
- ・ 調整費（ウ）による支援 7 件

2. 研究開発の初期段階からの産学協創・企業導出

- ・ AND－Eの立ち上げ
- ・ 調整費（ウ）による支援 7 件

3. 社会実装・貢献へつながる成果創出のための 基礎研究の充実

- ・ 坂口志文博士ノーベル賞「制御性T細胞」
- ・ 再生医療条件・期限つき承認「虚血性心筋症」「パーキンソン病」
- ・ 日本医療研究開発大賞「バレメトスタット」
(成人T細胞白血病リンパ腫及び末梢性T細胞リンパ腫の発症・進行メカニズムを解明した世界初の治療薬)

4. 国際展開の推進

- ・ ASPIREの事業中間評価が総合評価S。日本と海外のトップ研究者同士を結び付け、国際頭脳循環を促進

5. 医療分野の研究開発のDX

- ・ 攻めの予防医療に向けた性差に由来するヘルスケアの推進に資するデータとして成果の活用が期待される遺伝子と環境の相互作用（G×E）（Natureに掲載）。

組織マネジメント上の改革

- ・ 戦略企画機能の強化
- ・ 現場中心主義の徹底
- ・ 契約・事務等の合理化
- ・ 電子契約一部導入
- ・ 検査の重点化・合理化
- ・ 事務処理説明会実施
- ・ 事務手続きの提案箱導入

①グローバルエコシステムの構築

②事業間連携及び企業導出による実用化の加速

- ・ 複数年に跨がる継続的かつ弾力的な予算措置
- ・ 後継事業候補における枠の拡充
- ・ 経済安保を始めマネジメントに必要な人材の確保・育成及システム基盤の強化

③グローバルレベルのFIH、臨床試験や製品開発の環境整備

- ・ 国際共同治験推進に向け、高度なFIH試験を実施するために必要な治験環境（治験設備、治験薬提供設備等）の整備及び人材育成

④データ利活用環境整備

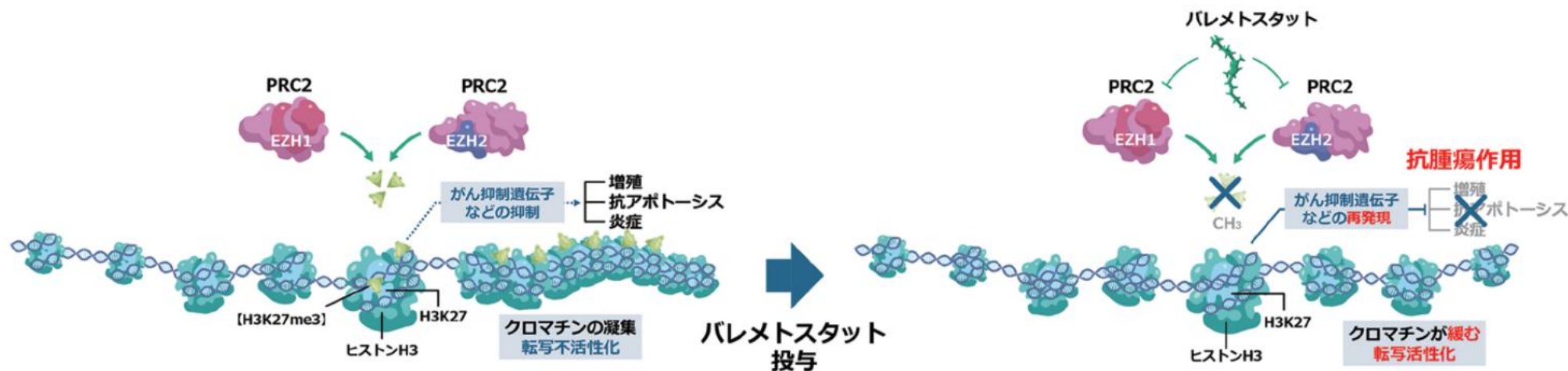
- ・ 先端解析機能の環境整備及び基盤強化とAI活用研究開発（全ゲノムデータを用いた解析や画像解析、マルチオミックス解析等）による医療研究DXの推進

参考

国内外の主要な賞を受賞

- **2025年のノーベル生理学・医学賞を受賞**につながった、制御性T細胞（Treg）機能を標的とする治療薬研究に対し、次世代がん医療加速化研究事業等において2015年度から2024年度までの9年間にわたり、実用化を見据えた研究支援を継続的に行った。
- 以下の研究課題に対して研究の進捗状況及び課題特性を踏まえた機動的・柔軟な支援を行い、社会的価値の高い革新的な成果が得られた。
- 極めて予後不良な成人T細胞白血病リンパ腫及び末梢性T細胞リンパ腫の発症・進行メカニズムの解明＜世界初の作用機序を有する治療薬（バレメトスタット）の承認取得、**第8回日本医療研究開発大賞**＞

がん細胞内で想定されるバレメトスタット投与時の反応



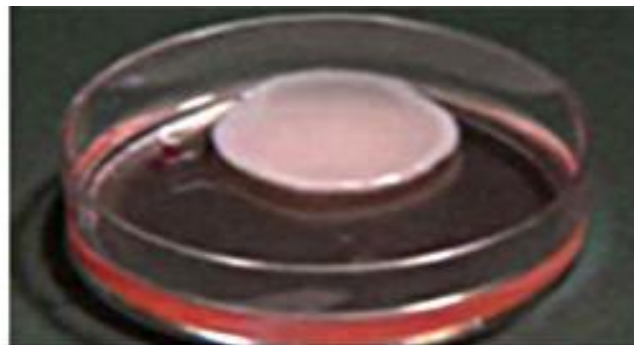
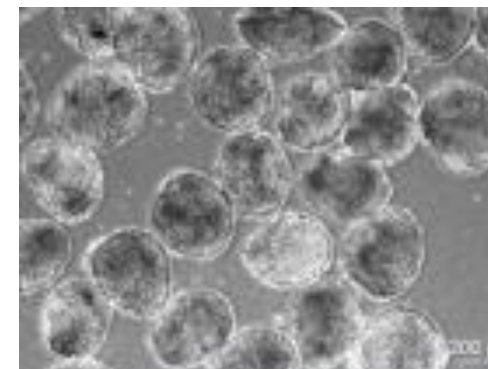
Yamagishi M, et al: Cell Rep. 29 (8): 2321-2337, 2019 及び Yamagishi M, et al: Nature 627: 221-228, 2024 より作図

iPS細胞研究の社会実装の加速

世界初となるiPS再生医療等製品 2 品目承認へ

平成18年に山中伸弥教授が世界で初めてiPS細胞を樹立。令和7年度、日本においてiPS細胞由来の再生医療等製品 2 品目が条件及び期限付きで製造販売承認され、実用化段階へと大きく前進。虚血性心筋症およびパーキンソン病を対象とし、日本発の基礎研究成果が各省事業による複層的かつ一貫したAMED支援を通じて社会実装に至った画期的事例。

iPS細胞由来心筋シート

iPS細胞由来ドーパミン
神経前駆細胞

再生医療・遺伝子治療の産業化を加速する製造技術革新と実用化支援

国産AAVベクター産生細胞（HAT細胞）の樹立による製造基盤強化

次世代バイオ医薬品製造技術研究組合、ちとせ研究所、国立成育医療研究センター、大阪大学の協働により、安定した増殖性と高いAAVベクター生産性を両立する国産細胞株のGMP準拠マスターセルバンクを樹立。海外細胞株に最適化された高額な培養、精製費用や海外CDMO製造委託による資金流出の課題に対し、国産製造技術基盤の強化による供給安定性とコスト競争力の向上。AMEDによる産学連携体制の構築と伴走型マネジメントの支援が成果創出へ。

約98万人規模の解析で解明された遺伝子×環境（G×E）の全体像

約**98万例**を対象に**47の疾患形質**及び**12の環境因子**の全組合せの網羅的解析を行い、**遺伝子と環境の相互作用（G×E）**が人類に普遍的に存在することを示した。**攻めの予防医療に向けた性差に由来するヘルスケアの推進**に資するデータとして成果の活用が期待される。

A Cross-population Compendium of Gene-Environment Interactions (Namba et al., Nature, 2026)

① 遺伝子座位について

- ゲノムが個人差に与える影響（遺伝的効果）が、加齢、性別、生活習慣といった環境因子によって変化した

② ゲノム全体について

- ゲノム全体に存在するG×E効果を網羅的に同定し、G×E効果がヒト疾患形質の個人差の一部を形成していた
- 従来のゲノムワイド関連解析（GWAS）では見逃されてきた遺伝的効果が明らかとなり、疾患形質の予測精度が改善した

③ 一細胞解析

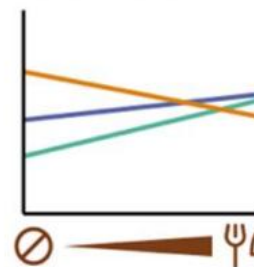
- 加齢によって遺伝的効果に重要な働きをする細胞種や関与するパスウェイが変化した

④ オミックス解析

- 同一の遺伝子座位であっても、性別によって遺伝的効果の向きが逆転する例が複数同定された
- 男女で遺伝的効果が逆転する例が同定され、脂質代謝をはじめとした分子レベルでの性差が確認された

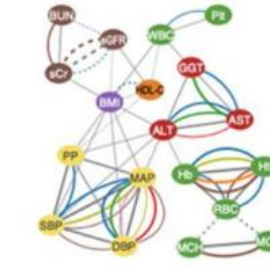
メカニズム解明・医療応用への貢献

① 遺伝子座位



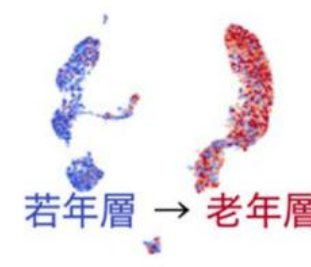
環境因子特異的な
遺伝的効果

② ゲノム全体



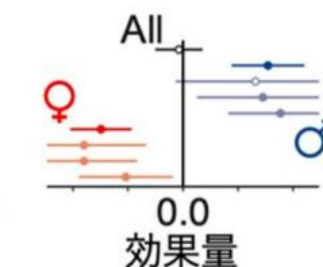
G×Eによる遺伝率・
形質感の遺伝的相関

③ 一細胞解析



加齢による
責任細胞種の変化

④ オミックス解析



男女で正負が
逆転するG×E効果

- 疾患の分子メカニズム解明に寄与
- ゲノムと環境因子の両方を考慮した精緻なゲノム個別化医療への貢献
- 性差に依存した遺伝的効果や分子レベルでの差異を踏まえ、創薬標的の評価や創薬研究への貢献