

日本医療研究開発機構（AMED） 第3期の取組の方向性について

日本医療研究開発機構（AMED）

統括役 鈴木 健彦

令和7年5月14日

国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) の概要

AMED: Japan Agency for Medical Research and Development



1. 目的

医療分野の研究開発における基礎から実用化までの一貫した研究開発の推進・成果の円滑な実用化及び医療分野の研究開発のための環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、健康・医療戦略推進本部が作成する医療分野研究開発推進計画に基づき、医療分野の研究開発及びその環境の整備の実施、助成等の業務を行う。

2. 設立日 平成27 (2015) 年 4 月 1 日

3. 組織等

①役員：4名

- ・理事長 中釜 斉
- ・理事 屋敷 次郎
- ・監事 (非常勤) 稲葉 カヨ 白山 真一



中釜理事長
(令和7(2025)年4月～)

②職員：746名

(役員含む。令和7 (2025) 年 1 月 1 日現在)

4. 予算 (令和7 (2025) 年度)

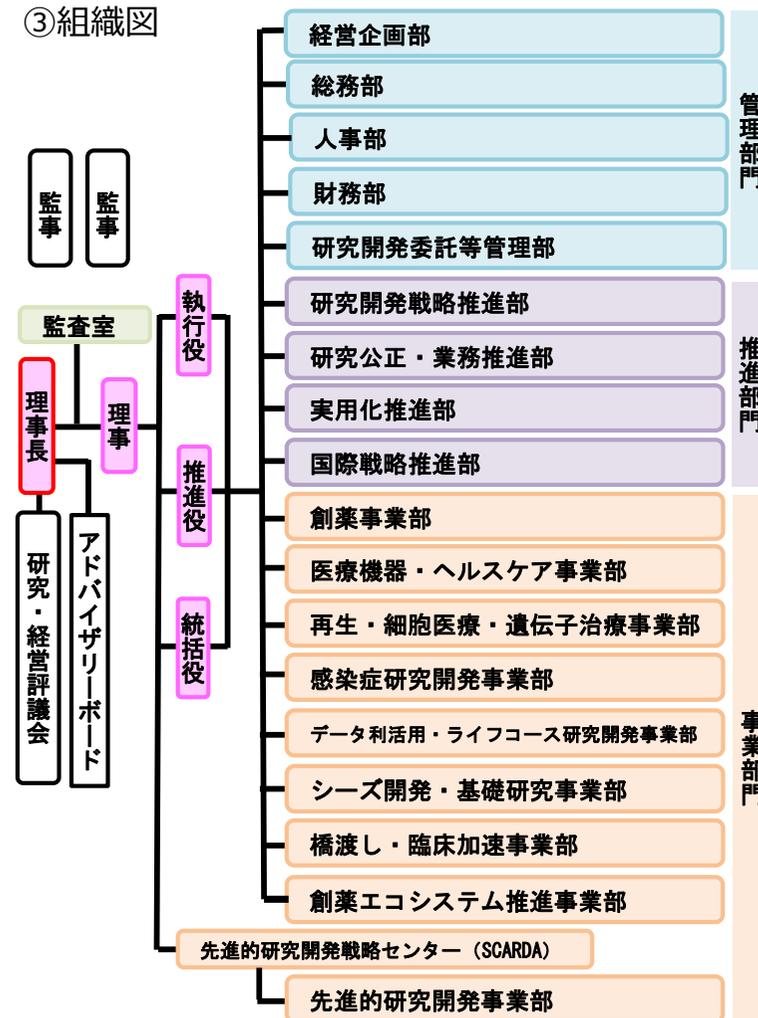
日本医療研究開発機構向け補助金等 1,232億円
調整費 175億円*

{ * : 科学技術イノベーション創造推進費の一部を充当 }

5. 本部所在地

東京都千代田区大手町1-7-1 読売新聞ビル20～24階

③組織図

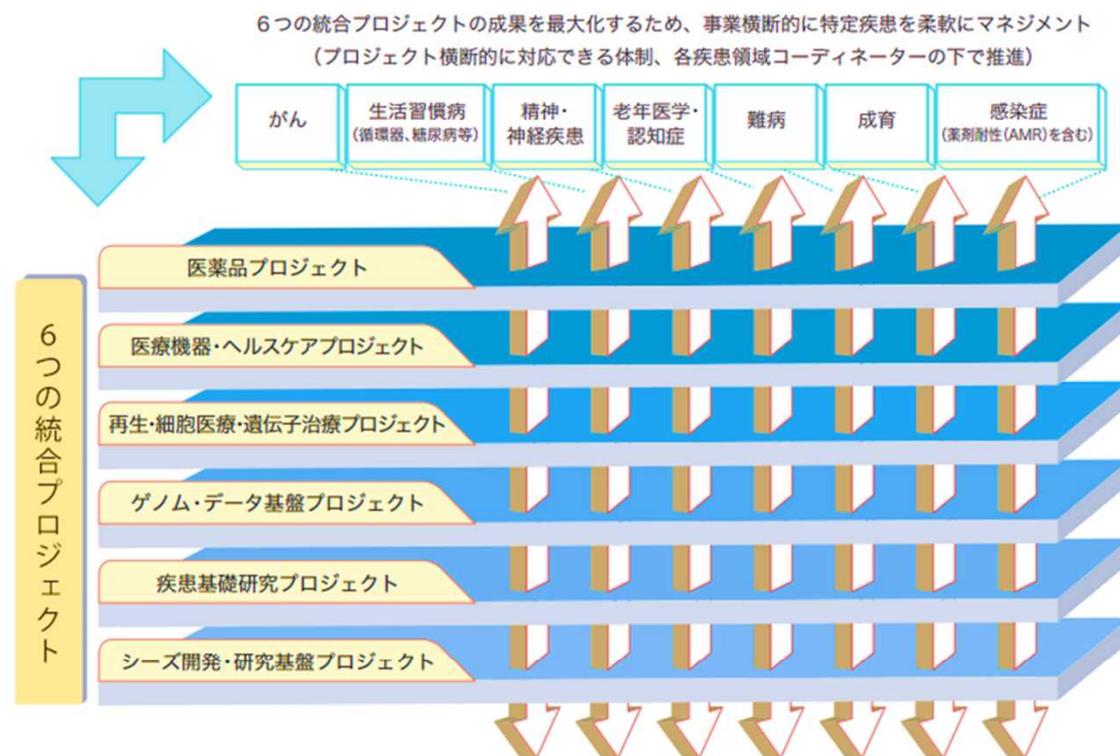


第2期; 6つの統合プロジェクトでの研究開発推進の検証

昨年度以降、統合プロジェクト連携推進会議の開催等を通じて、各プロジェクトのPD等の参加のもと、第2期における活動の振り返りや第3期に向けた課題等について継続的に議論を実施。

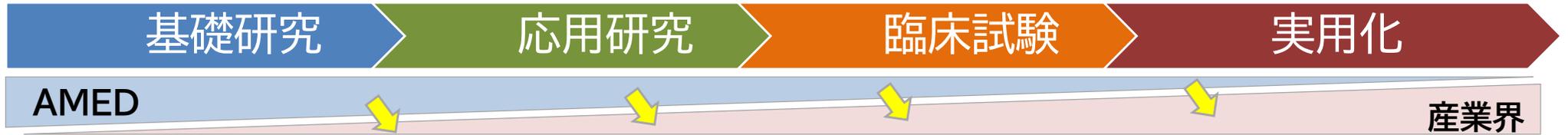
第2期の取組

- ❖ モダリティ等を軸とした6つの統合プロジェクトに再編したことで、医薬品、医療機器開発、再生医療などの**開発目的が明確になり、研究者の実用化への意識が変わった**
- ❖ 第1期は横断型のプロジェクトと疾患別のプロジェクトの別々に配置されていた事業が、第2期で共通の研究開発モダリティのPJに集約されたことで、ドラッグデリバリーシステム(DDS)等の横断的に活用できる**新たな医療技術等を様々な疾患に展開**が可能になった
- ❖ 医薬品PJのAMED-FluX、医療機器PJの実用化プログラム、再生・細胞医療・遺伝子治療PJのネットワークプログラムにおいて、**技術開発、規制、企業連携等に向けた戦略構築**など多様な視点で、基礎から実用化につなげる**伴走支援**などの取組を促進



第2期のモダリティ等を軸とした統合プロジェクト体制は、基本的に有効に機能

AMED第2期中長期目標期間の主な成果 2023年度末までの実績



トップジャーナルへの論文掲載

6,090件

非臨床PoCの取得

357件

シーズの企業導出

434件

薬事承認

40件

薬事承認の事例

医薬品
【新薬】
エザルミア
2022年9月承認



新たなアプローチにより患者負担が軽減される希少がん「再発又は難治性の成人T細胞白血病/リンパ腫」の治療薬

医薬品
【新薬】
ダイチロナ筋注
2023年8月承認
2023年11月一部変更承認



新型コロナウイルス感染症に対する国産mRNAワクチン

新型コロナウイルス感染症関係では、4件のワクチン、23件の医療用検査薬、2件の医療機器の承認を達成

医薬品
【適応拡大】
ラパリムス
2021年9月承認、
2024年1月適応追加・剤形追加



外科的処置や対処療法中心であった小児難病「難治性リンパ管疾患」に薬剤療法を提供

医薬品
【新薬】
ユニツキシン
2021年6月承認



国内未承認小児がん治療薬を国内調達可能な治療法として導入

体外診断用医薬品
APOA2-iTQ
2024年2月承認



膵がんの早期発見が期待される新しい検査を提供

医療機器
シンフォリウム
2023年7月承認



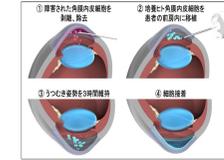
小児の術後QOLを改善させる心・血管修復パッチ

再生・細胞医療・遺伝子治療
デリタクト注
2021年6月承認(条件及び期限付)



既存の治療が効かないがん幹細胞を根絶し得る日本初のウイルス療法

再生医療等製品
ビズノバ
2023年3月承認



角膜移植に代わる革新的な新規治療法を提供





<疾患領域に関連した研究開発>

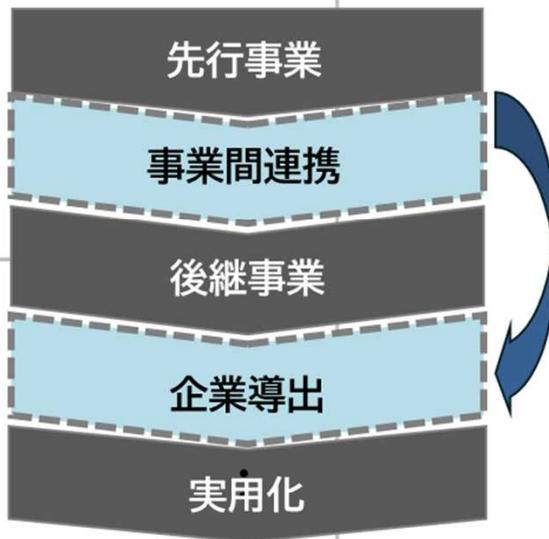
上記の統合PJを横断し、以下の領域を設定。

- がん
- 難病・希少疾患
- ライフコース

AMEDの研究開発支援の見直しについて

手段 効果	調整費の柔軟化	体制の強化
事業間の切れ目の解消	<ul style="list-style-type: none"> ❖ 事業の枠組みや範囲に縛られない機動的な措置 ❖ 実用化促進を目的に措置 ❖ 年度の制約を低減 ❖ 理事長裁量型経費で、有望なシーズを継続的に支援 	<ul style="list-style-type: none"> ❖ 審査委員の見直し、産業界の参画 ❖ 研究開発マネジメント機能の強化 <ul style="list-style-type: none"> ・ シーズに対する多角的判定、目利き ・ 開発ノウハウ・知財指導 ・ シーズ強化・創出のための関連研究・技術の探索と組み込み ・ 出口戦略の立案、ステージゲート設定 ・ 案件調整 ・ 工程管理、横断的マネジメント
シーズの早期の企業導出	<ul style="list-style-type: none"> ❖ 企業導出に求められる条件整備 <ul style="list-style-type: none"> ・ リスクテイクの判断に足りる有効性・安全性・再現性データ ・ データ知財戦略 等 ❖ 最先端の技術動向の国際的優位性 ❖ 市場動向や競合調査 ❖ 先行事業から企業導出・実用化に直行するケースも支援(ファストパス) 	<ul style="list-style-type: none"> ❖ 運営機能の強化 <ul style="list-style-type: none"> ・ 事業間連携施策の多面的な評価、PDCA実施 ・ 創薬研究の管理(ポートフォリオマネジメント、Go /No go 判断、予算管理) ・ 現場経験に基づくファストパス設計・事業設計の見直し提案

(ペアリング・マッチングの仕組みの構築・導入)



■ : 既存事業等
 ■ (点線) : 調整費の柔軟化

日本医療研究開発機構(AMED)第3期の運営方針(令和7年5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。

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。

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。

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。

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する。

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。

參考資料

創薬力の向上により国民に最新の医薬品を迅速に届けるための
構想会議中間とりまとめ（令和6年5月22日）より抜粋

1. 創薬力の強化 （アカデミアやスタートアップの絶え間ないシーズ創出・育成）

AMEDの研究開発支援において、各省庁に紐づく施策・事業の間に壁が存在するという指摘を真摯に受け止め、基礎・応用研究の段階から創薬という開発目的を見据えたプロジェクトを推進するため、資金の配分先や使い方、ファンディングの仕組み等について検討を行うべきである。また、AMEDの研究開発支援に限らず、内閣官房・内閣府が司令塔機能を十分に発揮し、政府一体として我が国の創薬力の向上に向けた施策・事業を推進すべきである。

第39回健康・医療戦略推進専門調査会
（令和6年6月14日）より抜粋

第3期医療分野研究開発推進計画に係る政府における今後の作業項目

○各省の補助事業間の連携促進に向けた具体的な調整
構想会議の指摘（注）を踏まえた、基礎的な研究開発から実用化のための研究開発までの連続的な支援に向けた仕組みの検討。

特に各省補助事業、委託事業間でできるだけ切れ目が生じない方策について、採択プロセスの柔軟な運用、調整費の活用やAMEDの体制強化策を含めて検討。

（使命）

AMEDは、医療分野の研究開発における基礎的な研究開発から実用化のための研究開発まで一貫した研究開発の推進及びその成果の円滑な実用化並びに研究開発が円滑かつ効果的に行われるための環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、健康・医療戦略推進本部が決定する医療分野研究開発推進計画に基づき、大学、研究開発法人等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整備等の研究支援を実施。

（現状・課題）

- ◆**強み**
 - 医療分野の研究開発関連予算を、疾患を限定しないモダリティ等の統合プロジェクトに集約し、基礎から実用化まで切れ目ない研究開発支援を実施することにより、多数の研究成果を創出
 - 疾患領域に関連した研究開発は、統合プロジェクトを横断する形で疾患ごとの柔軟なマネジメントを行い、研究成果の疾患横断的な展開や研究者の実用化への意識の変化などの効果
- ◆**弱み・課題**
 - 多様なプレーヤーと連携し、出口志向の研究開発をリードできる人材の不足
 - 関係府省庁に紐づく施策・事業の間の壁が存在

（環境変化）

- 世界の売上上位の新薬の中心が、低分子医薬品からバイオ医薬品、再生・細胞医療・遺伝子治療など新規モダリティに変化。
- 情報化・デジタル化により生み出された膨大なリアルワールドデータを活用したAI技術が社会変革を引き起こすと予期される。
- パンデミックが国家安全保障上の課題と強く認識されるようになり、国に対して感染症危機への平常時からの備えが従前に増して求められるようになった。
- 早期の段階からの倫理的・法的・社会的課題(ELSI)への対応や研究への患者・市民参画(PPI)をはじめとした「社会共創」の取組がますます重要になっている。



（中長期目標（第3期））

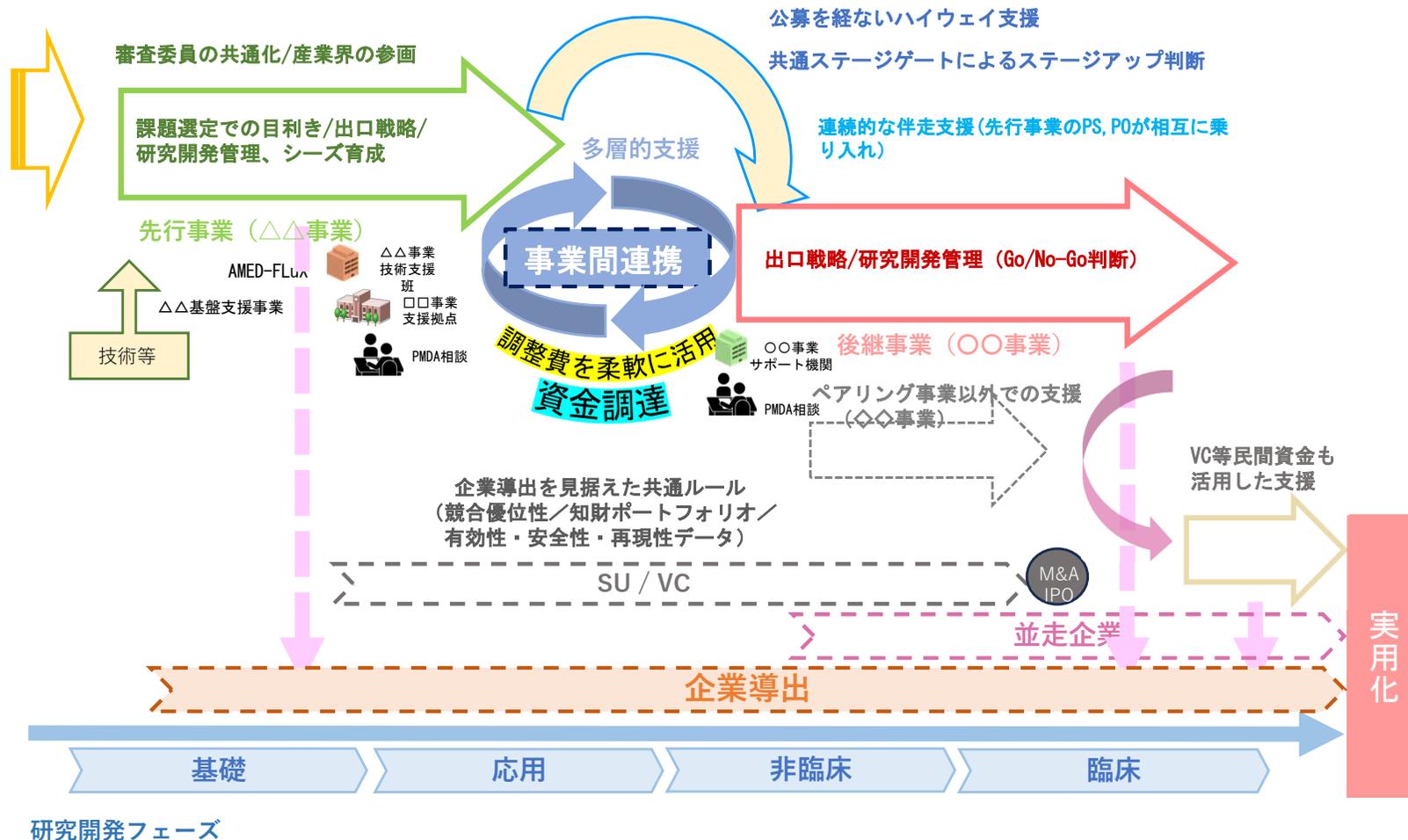
- 統合プロジェクトを、①医薬品、②医療機器・ヘルスケア、③再生・細胞医療・遺伝子治療、④感染症、⑤データ利活用・ライフコース、⑥シーズ開発・基礎研究、⑦橋渡し・臨床加速化、⑧イノベーション・エコシステムに再編するとともに、疾患領域に関連した研究開発については、統合プロジェクトを横断する形で、特定の疾患ごとに柔軟なマネジメントを行う。
- 基礎から実用化まで一貫した研究開発の推進について、絶え間なく創薬シーズを創出するとともに、出口志向性を強化して成果の実用化を加速。関係府省庁の事業間をつなぐ支援の仕組みを整備し、所要の体制強化を行う。
- 大学病院・医学部の研究開発力強化。イノベーションの種を創出する基礎研究の充実、バイオバンク・データベースなどの研究基盤の整備を進めるなどにより、総合的に研究推進体制を確立。
- 研究開発成果を産業界等に受け渡した結果や医療としての社会実装を、薬事承認、ガイドライン等、製品上市数をアウトカム指標として、その上昇を目標とする。シーズの企業導出、治験、優れたシーズの発展・継続支援、Top1%論文の数をアウトプット指標として設定。

ペアリングの流れ(展開イメージ): △△事業—〇〇事業

ペアリング：基礎段階の補助等事業を選定する時に、次の応用段階へと連続的に支援する可能性を検討して採択し、基礎段階の終了時には、確認を経て応用段階へと連続的に支援することで、補助等事業間で切れ目なく支援する運用の仕組み

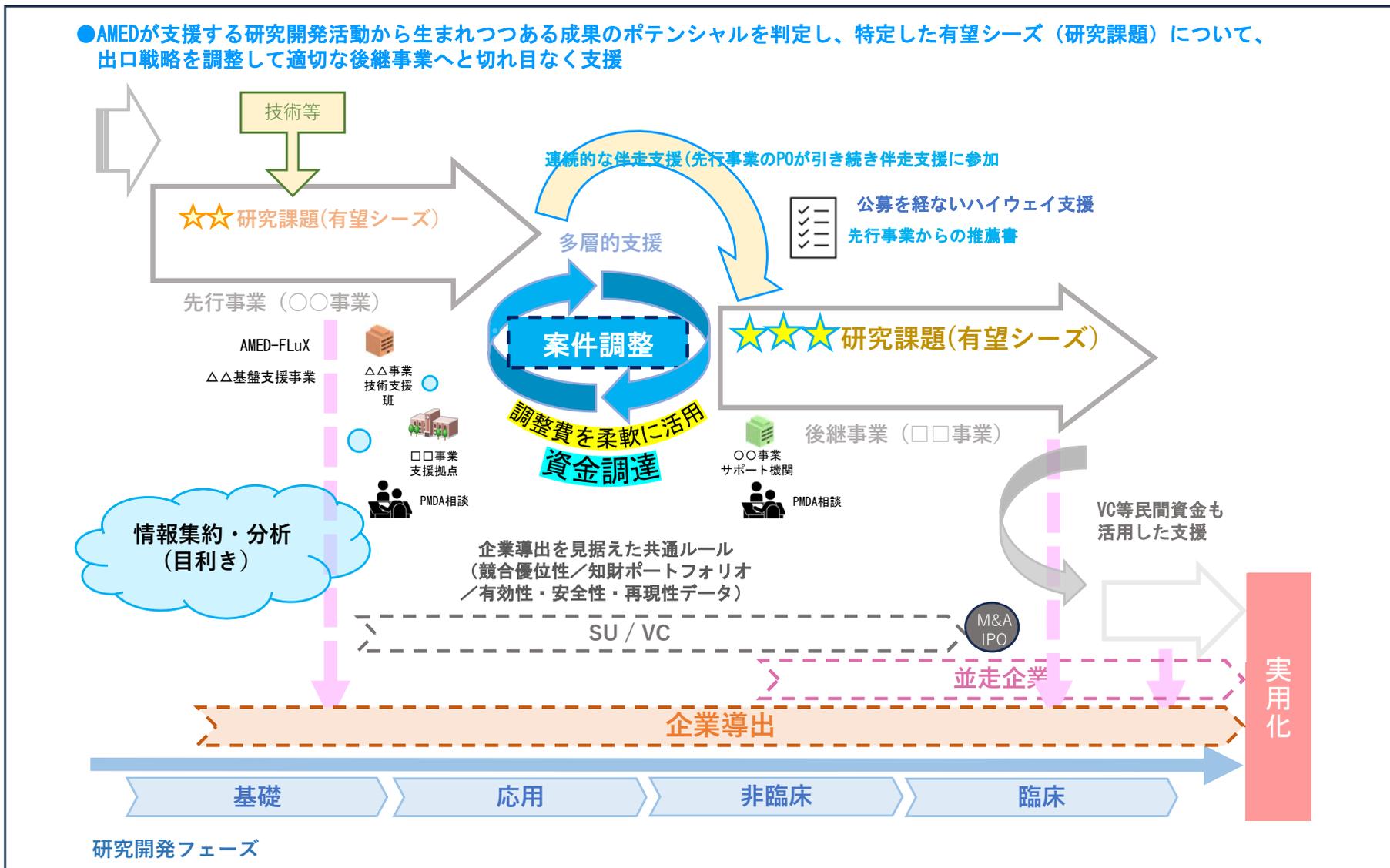
●連続的支援を行う事業ペアを予め設定し、先行事業選定時に連続支援課題を選定して、後継事業へと切れ目無く支援する仕組みを構築

仕組みの構築においては、①ペアリングする事業間のギャップの確認、②検証に基づく事業設計の見直し、③予算執行計画の策定等を行い、実効性のある取り組みを進める



マッチングの流れ(展開イメージ):☆☆研究課題(○○事業-□□事業)

マッチング: 基礎段階の補助等事業による研究開発の完了前に、次の応用段階へ進める是非を判断し、採用の場合は、次の補助等事業へと切れ目なく支援する運用の仕組み



情報集約・分析(目利き)

- ❖ 医療界等の動向、患者・家族等からの情報、国際的な研究動向等やデータベース等を活用した**分析、調査**
- ❖ 情報収集等のためのコミュニティへの参画、ネットワークの構築
- ❖ 重要な技術等のショートリスト作成、**インパクト分析**

対象アセット
年間約2,600課題
(うち新規約1,000課題)

連続的
支援

- ❖ 優れたシーズの企業導出を加速
- ❖ 競争優位性の維持・強化
- ❖ 出口志向の研究開発マネジメント
- ❖ これまで活用できていなかった研究成果の実用化

出口戦略立案

- ❖ 事業化に向けた**マイルストーン設定**
- ❖ 社会実装を見据え必要な関連研究・技術の探索、研究者・技術者、医療関係者や企業等の仲立ち
- ❖ 事業や担当部局の壁を越えた**横断的マネジメント**

案件調整

- ❖ 連続的支援を促進する新たな採択プロセスの柔軟な運用(**ペアリング・マッチング**)
- ❖ PD、PS、POやDCと評価委員等からの意見聴取、PSやPOとの合同会議・シンポジウムの開催