

国立研究開発法人日本医療研究開発機構が  
中長期目標を達成するための計画  
(中長期計画)

平成27年4月1日

国立研究開発法人日本医療研究開発機構

## 目次

I 政策体系における法人の位置付け及び果たすべき役割	3
II 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する目標を達成するためとるべき措置	3
(1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等	3
① 医療に関する研究開発のマネジメントの実現	3
② 研究不正防止の取組の推進	4
③ 臨床研究及び治験データマネジメントの実行	5
④ 実用化へ向けた支援	5
⑤ 研究開発の基盤整備に対する支援	6
⑥ 国際戦略の推進	6
(2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施	7
① 医薬品創出	8
② 医療機器開発	9
③ 革新的な医療技術創出拠点	10
④ 再生医療	11
⑤ オーダーメイド・ゲノム医療	12
⑥ 疾患に対応した研究〈がん〉	13
⑦ 疾患に対応した研究〈精神・神経疾患〉	13
⑧ 疾患に対応した研究〈新興・再興感染症〉	14
⑨ 疾患に対応した研究〈難病〉	15
⑩ その他の健康・医療戦略の推進に必要な研究開発等	16
III 業務運営の効率化に関する目標を達成するためとるべき措置	17
(1) 業務改善の取組に関する事項	17
① 組織・人員体制の整備	17
② PDCAサイクルの徹底	17
③ 適切な調達の実施	17
④ 外部能力の活用	18
⑤ 業務の効率化	18
(2) 業務の電子化に関する事項	18
IV 予算(人件費の見積りを含む。)、収支計画及び資金計画	19
V 短期借入金の限度額	19

VI 不要財産又は不要財産となることが見込まれる財産がある場合には、当該財産の処分に関する計画 .....	19
VII 前号に規定する財産以外の重要な財産を譲渡し、又は担保に供しようとするときは、その計画(記載事項なし) .....	19
VIII 剰余金の使途 .....	19
IX その他主務省令で定める業務運営に関する事項 .....	19
(1) 内部統制に係る体制の整備 .....	19
(2) コンプライアンスの推進 .....	19
(3) 情報公開の推進等 .....	20
(4) 情報セキュリティ対策の推進 .....	20
(5) 職員の意欲向上と能力開発等 .....	20
(6) 施設及び設備に関する計画(記載事項なし) .....	20
(7) 職員の人事に関する計画 .....	20
(8) 中長期目標の期間を超える債務負担 .....	20
(9) 機構法第十七条第一項に規定する積立金の処分に関する事項 .....	21

独立行政法人通則法（平成 11 年法律第 103 号）第 35 条の 5 の規定により、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「機構」という。）の平成 27 年 4 月 1 日から平成 32 年 3 月 31 日までの 5 年間ににおける中長期目標を達成するための中長期計画を次のとおり定める。

## I 政策体系における法人の位置付け及び果たすべき役割

機構は、健康・医療戦略推進本部の下、医療分野の研究開発の司令塔として、国が定めた「健康・医療戦略」及び当該戦略に即した施策の基本的な方針や政府が集中的かつ計画的に講ずべき施策等を定めた「医療分野研究開発推進計画」（以下「計画」という。）に基づき、大学、研究開発法人その他の研究機関等と連携し、基礎から実用までの一貫した研究開発を推進する。この目的に資するため、法人の組織体制を柔軟に最適化することとする。

基礎から実用化までの切れ目ない研究支援を一体的に行うため、次のことを行う。

研究領域ごとにプログラム運営や研究領域間の連携等の高度な専門的調整を行うプログラムディレクター（PD）を配置する。また、領域を構成する事業運営や事業間の連携等の調整を行うプログラムスーパーバイザー（PS）、PS と協力して事業の運営管理実務を担うプログラムオフィサー（PO）を各事業に配置することにより、各事業の効率的・効果的な運営と研究開発の成果の最大化を目指し、全体として調和のとれたマネジメントを行う。

また、医薬品医療機器等法に基づく承認業務に精通した専門家等の専門的知見を有する者を登用し、実用化に向けた研究開発を効果的・効率的に実施する。

さらに、機構内に知的財産の専門家を配置し、研究開発の進捗に応じて、成果の実用化に向けた知的財産管理及び取得戦略の立案等の知的財産マネジメント支援を行うとともに、データマネージャーなどの臨床研究、治験及び医療への実用化をサポートする専門人材の人材育成支援を行う。

## II 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する目標を達成するためとるべき措置

### (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

#### ① 医療に関する研究開発のマネジメントの実現

機構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可能性を評価し、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実用化を実現するための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、機構全体の運営を適切に行うため、研究・経営評議会を理事長の下に置き、機構全体の運営について適切な助言・指導を得る体制を構築する。また、機構で行う研究開発等の業務について広く様々な立場からのニーズの把握等を行うため、患者や医療現場、研究者、産業界等から構成されるアドバイザリーボードを設置して運営する。さらに、医療研究開発の現場のシーズやニーズをサイトビジット等によって調査すること等により、医療分野の国内外の研究動向を把握・評価し、テーマを抽出するためのシンクタンク機能を果たすとともに、大学・国立高度専門医療研究センター等の研究機関や企業との連携を強化するための組織体制を構築する。

また、個別研究課題の選定においては、ピア・レビューを行うための評価委員会を設置し、成果が見込まれる適切な研究課題を選定する。また、各研究領域に世界の最新の情勢を把握したPD、PS、POを配置し、PD、PS、POがこれを活用した研究の実施、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、研究開発の開始から推進、監視・管理、方針の転換まで一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメントを行う体制を構築する。

機構に集約させた医療分野の競争的資金等の研究費申請手続きに関するワンストップサービスを実施する。また、これら研究開発事業の契約書の基本部分の統一を図り、これに合わせて各事業に共通する部分の事務処理を標準化する。さらに、各事業の募集等を適切に調整することにより、各事業の成果が次のフェーズの支援に円滑につながるように運営する。

さらに、機構から交付される研究費については、現場で効果的に活用できるよう工夫を行うことにより、医療研究開発を促進する。

## ② 研究不正防止の取組の推進

公正かつ適正な実施の確保を図るため、機構内に研究公正・法務に関する専門の部署を設置し、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。具体的には、機構が配分する研究費により実施される研究に対して、競争的資金制度を所管する関係府省で構築した研究開発管

理システムを活用し、研究費の不合理な重複及び過度の集中を排除する。また、基礎研究及び臨床研究における不正事案防止のために、関連する法令・指針遵守等のための啓発活動に取り組むことを通じて、研究費の不正使用及び不正受給並びに研究上の不正の防止対策を実施するほか、特に、臨床研究においては、関連府省との連携により、透明性の確保、利益相反管理、インフォームド・コンセントの取得、倫理委員会承認後のフォローアップ、被験者保護などに関する質の確保に努める。

また、研究倫理教材による研究者に対する研究開発活動の不正行為の防止に係る啓発活動等の取組により、ノウハウを蓄積するとともに、専門的人材の育成に取り組むことで、研究開発活動の不正行為の防止の取組を強化する。さらに、研究費の配分機関として、「研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」（平成 26 年 8 月文部科学大臣決定）等に則って、不正行為の疑惑が生じた際等に適切に対応する。

### ③ 臨床研究及び治験データマネジメントの実行

外部有識者による臨床研究及び治験に係る計画書（プロトコール）の評価や研究の進捗状況の把握に加えて、データ管理を行うデータマネージャーや治験に関する様々な業務の調整を行う臨床研究コーディネーター（CRC）の育成を支援することによって、臨床研究及び治験マネジメントを効率的に実施する体制を整備する。

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、その実行に向けた取組を行う。

ICT を活用し、医療・介護・健康分野の情報システムに収載されたデータを臨床研究等に効果的に利用するための研究を行う。

### ④ 実用化へ向けた支援

知的財産取得に向けた研究機関への支援機能の具備を図る。具体的には、知的財産に関する部署内に医療分野の知的財産専門人材を配置した知的財産管理・相談窓口を設置するとともに、知的財産のデータベースを利活用することによって、研究機関における知的財産管理及び知的財産取得戦略の立案支援を行うための体制を速やかに構築する。また、研究機関からの知的財産の取得・管理に係る相談内容を蓄積して、発信することにより、知的財産マネジメントの理解の共有を図る。

また、実用化に向けた企業連携・産学連携を支援する機能の具備を図る。具体的には研究成果として得られた知的財産の導出（ライセンスア

ウト)を促進すべく、技術移転機関等とも連携しつつ、シーズ・ニーズ情報の収集を行う場を提供するなど、研究機関とライセンス先とのマッチングを支援する。研究開発成果の確実な上市に向けたワンストップサービスの提供等として「創薬支援ネットワーク」、「医療機器開発ネットワーク(伴走コンサル)」を運営する。

さらに、医薬品医療機器総合機構(PMDA)と連携して薬事戦略相談等を活用した、出口戦略の策定支援等を積極的に推進し、臨床から実用化への橋渡し機能を整備する。国立医薬品食品衛生研究所(NIHS)等との連携により、医薬品等の品質・有効性・安全性の評価技術開発、判断基準の明確化、承認審査における科学的要件の明確化等のレギュラトリーサイエンス研究を支援する。

研究開発の成果が、我が国の医療技術水準や産業競争力の向上に寄与することができるよう、官民ファンド等に研究開発の成果をつなげ、実用化を促進する取組を行う。

#### ⑤ 研究開発の基盤整備に対する支援

大学等における基礎研究から企業等による実用化まで、研究開発段階や目的に応じた様々な研究開発テーマを設定したコンソーシアム形式による研究開発を支援することで、国際基準に適合する次世代抗体医薬の製造技術やバイオマーカーを正確かつ簡便に測定できる診断技術等の産業技術基盤の確立等をシームレスに開発する体制整備を行う。また、革新的医療技術創出拠点の強化、体制整備を進めるとともに拠点間のネットワーク化を図る。さらに、研究開発の効果的、効率的な推進の基盤として、機構と大学、研究機関等とのネットワーク化を進める。

また、疾患及び健常者バイオバンクの試料・情報を、新たな医療研究開発に利活用するために、バイオバンク機能の充実を図る。モデル動物等のバイオリソースの整備を行う等、ライフサイエンス研究の基礎・基盤となるバイオリソースについて収集・保存・提供を行う拠点の支援等を行う。

さらに、機構の研究開発の成果をデータベース化し、外部の研究者等がアクセスしやすいよう整備することにより、多くの研究者等の活用を図り、医療分野の研究開発の更なる促進につなげる。

#### ⑥ 国際戦略の推進

最先端分野における欧米等の研究開発先進国との協力、ゲノム研究におけるアジア諸国との連携をはじめ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、医療への貢献、海外展開を加速する。加えて、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、世界の全ての人々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。

このような認識の下、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研究分野・課題を対象に先進国及び開発途上国との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、地球規模の保健医療課題の解決に資する研究開発等を実施することにより国際的にも貢献する。特に、国際協力が欠かせない感染症研究の推進や、希少疾患、未診断疾患に関する研究などでの協力体制を構築する。

## (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

研究領域ごとの成果目標（KPI）の達成に向け、担当する研究領域のプログラム運営や研究領域間の連携協力の推進等の高度な専門的調整を行うPDを配置する。また、PDの下に担当する事業の運営や事業間の連携協力の推進等の調整を行うPS、PSと協力して事業の運営管理実務を担うPOを各事業に配置する。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、研究領域ごとに置く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、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随時選択することで、PD、PS、PO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、各事業において効率的・効果的な運営を行うとともに、全体として調和のとれたマネジメントを行う。

研究評価と進捗管理を最適化し、研究開発力の最大化を図るためには、PD、PS、POの人材として、担当する研究領域に精通した経験豊富なシニアの人材に加えて、世界最先端の研究を把握し、基礎研究・臨床研究に精通した中堅・若手研究者を登用し、強力なピア・レビュー体制を構築することが不可欠である。このため、研究の最前線にある中堅・若手研究者が課題選定・進捗管理を一定期間務めることが可能となるような取

組を行う。

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。

これらの各省連携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、研究の急激な進捗や、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。

また、各研究領域内でPDCAサイクルを活用した進捗管理を行うことにより、必要な対応を速やかに行うとともに、研究領域を超える課題についてはタスクフォースを設定するなどして柔軟に対応することにより、全体として連携のとれた研究開発を推進する。

研究領域等ごとの計画は以下のとおりであるが、これらは、健康・医療戦略推進本部が平成26年7月に決定した計画を達成するための機構の計画であることから、いずれも重要度、優先度等は高いものである。

## ① 医薬品創出

創薬支援ネットワーク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。

具体的には、大学等や産業界と連携して、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援ネットワークの構築により創薬支援のための基盤を強化する。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。大学等の優れた基礎研究の成果を医薬品として迅速に実用化につなげるため、医薬品開発の専門家である創薬支援コーディネーターチームを適切に配置する。創薬支援コーディネーターに関しては、民間等より優秀な人材を積極的に登用することに努める。大学等における創薬シーズについて、積極的に情報収集や調査を行うとともに、これを適正に評価し、有望な創薬シーズを支援対象として選定した上で、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し、開発期間の最短化を目指す。

また、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所等関連する機関と緊密に連携し、異なる分野で応用可能な研究成果を橋渡しする等、これまでの発想にとらわれない研究開発を促進する。

これらの取組を実施することにより、2020年頃までの達成目標として、  
・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

を目指すものとする。

## ② 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生かしながら、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。

大学等研究機関や関連する学会が保有する先端計測技術等の技術シーズを確実に実用化につなげる。ロボット技術、IT等を応用して日本発の国際競争力の高い医療機器・システムの開発や、介護従事者の負担軽減及び高齢者の自立支援に資する、実際に現場で使えるロボット介護機器等の開発を進める。具体的には、医療の安全性等の向上を目的として、①ロボット・IT技術を活用した医療機器、②低侵襲・高精度な診療を実現する医療機器、③身体組織・機能の回復技術、の開発・実用化を進める。これらと並行して、PMDA等の各種公的機関と連携し、技術評価・支援、経営・事業化、販路開拓等の様々な段階で関係する機関に適切な支援を行う。また、医療機器の開発拠点となる病院等（臨床拠点）を活用したユーザー評価等の支援や安全性評価等に関する助言及び薬事申請に係る情報提供や、医療機器等の開発に資する開発ガイドラインの策定等を行う。また、開発初期段階から事業化に至るまでの切れ目ないワンストップ支援（「伴走コンサル」）を行う「医療機器開発支援ネットワーク」を運営する。具体的には、大学や科学技術振興機構及び学会等を通じた、共同開発、技術シーズ活用及び実用化への橋渡しを実施し、産業技術総合研究所や中小企業基盤整備機構、メディカルエクセレンスジャパン及び日本貿易振興機構等による、技術評価、経営相談及び販路開拓の支援を実施する。また、医療機器開発に係る臨床拠点等をはじめとする臨床機関や、薬事関連法制への対応にかかわる専門機関（国立医薬品食品衛生研究所、PMDA等）を通じた医療機器の開発・実用化促進を実施する。

更に、全国の地域支援機関、伴走コンサルタント、専門支援機関間の交流を通じた情報共有・発信を図り、各地域における支援機関の底上げとネットワークを通じた支援機能の強化を行う。

これらの取組を介して、我が国の高い技術力を生かすために、技術シーズの創出を担う事業を確実に運営し、その成果を、医療機器・システ

ムの実用化を担う事業へと円滑に橋渡しをする。

産業技術の将来を担う創造性豊かな技術者、研究者を機構の技術開発プロジェクトや公的研究機関等の最先端の研究現場において技術開発等に携わらせること、及び大学等の研究者への支援をすることにより人材を育成する。

これらの取組を実施することにより、2020年頃までの達成目標として、

- ・ 5種類以上の革新的医療機器の実用化
- ・ 医工連携による医療機器開発件数 100件
- ・ 医療機器の実用化による成果 約1,500億円

を目指すものとする。

### ③ 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。

具体的には、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、革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいて、文部科学省及び厚生労働省と協力しつつ、PD・PS・POによる体制整備状況の確認・助言を適宜行うとともに、拠点間で情報を共有することにより、各拠点や病院の一体的な運営を推進する。

また、若手研究者等の教育や実施研修、データマネージャーなどの専門人材の教育訓練や講習会等による人材育成に加えて、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し、拠点機能の強化・特色化を進める。橋渡し研究支援拠点のネットワークを更に強化し、拠点間の情報共有等を推進するとともに、拠点以外の研究機関等からのシーズの創出を支援するため、オープンアクセス化に向けた取組を推進する。

早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究品質確保体制整備病院及び日本主導型グローバル臨床研究拠点といったICH-GCP準拠の国際水準の臨床研究や医師主導治験を実施又は支援することが可能な環境の整備を推進するとともに、橋渡し研究支援拠点において基礎研究段階から実用化まで一貫した支援を行う人材・体制を整備して、育成したシーズを強力かつ切れ目なく効率的に実用化につなげる体制の構築を推進する。

これらの取組を実施することにより、2020年頃までの達成目標として、

- ・ 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

を目指すものとする。

#### ④ 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。

具体的には、再生医療の迅速な実現に向けて、iPS 細胞を用いた他家細胞移植治療の基礎研究、応用研究、臨床研究及び治験を加速するために、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、その提供を推進する。また、幹細胞操作技術等の実用化に資する技術の開発・共有について、細胞を安定的に大量供給可能とする基盤技術や高度培養技術の開発等に対する支援を行う。再生医療の基礎研究・前臨床試験については、短期、中長期で臨床研究への到達を目指す再生医療の基礎研究・前臨床研究を推進するとともに、再生医療の安全性を確保するため、造腫瘍性等に関する研究等を支援する。

再生医療の臨床研究及び治験については、実用化に向けて橋渡し支援できるように、安全かつ有効な医療への実現化の可能性が高い研究を重点的に支援する。また、再生医療等製品の安全性評価手法について、原料細胞の品質及び安全性を確保するため評価項目を策定するとともに、iPS 細胞等の作成方法及び評価手法の確立とその最適化を行う。さらに、再生医療の実現化を支える産業基盤を構築するため、再生医療の開発・実用化に必要な装置等の周辺産業を含めた再生医療関連産業の競争力強化に向け、産学連携等による技術開発を推進する。

また、新薬開発の効率性の向上を図るために、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い、バンクの機能充実を図るとともに、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し、疾患の病因や病態解明を行う研究、創薬を視野においた治療法の開発を目指す研究を推進する。また、iPS 細胞技術を応用して催不整脈作用等の予測が可能な心毒性評価手法の開発を進め、ICH ガイドラインの改訂に向けて国際標準化への対応を促進する。さらに、創薬プロセスにおける安全性評価に活用可能な、幹細胞を用いた創薬スクリーニングシステムの開発等により、創薬支援の実現化に向けた産業基盤の構築を支援する。

これらの取組を実施することにより、2020 年頃までの達成目標として、

- ・ iPS 細胞技術を活用して開発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を目指すものとする。

## ⑤ 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。

具体的には、疾患及び健常者バイオバンクを構築するために、全国の患者及び東日本大震災の被災地の住民の協力を得て、生体試料や臨床情報等を収集する。疾患の発症原因や薬剤反応性等の関連遺伝子と遺伝的要因の関連を明らかにするため、収集した生体試料及び臨床情報を活用し、疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定に関する研究を推進する。日本人の標準ゲノム配列の特定を進めるために、協力者から提供頂いた生体試料を用いて全ゲノムデータ解析を行う。

また、難治性・希少性疾患・未診断疾患等の原因遺伝子の探索を図るため、国内の医療・研究機関及び国際機関等並びにその研究コミュニティと緊密な連携を進める。また、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支援する。

さらに主治医を通じて患者に成果を還元するためのゲノム医療実現に向けたシステム等の研究基盤の整備や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。これらを実現するために必要な、ゲノム解析で得た個人の遺伝情報について、返却を行う場合のインフォームド・コンセント及び結果開示方法等、ゲノム医療実現に不可欠な具体的課題の解決に向けた研究等を実施する。

これらの取組を実施することにより、2020－30 年頃までの達成目標として、

- ・生活習慣病（糖尿病や脳卒中、心筋梗塞など）の劇的な改善
- ・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
- ・うつ、認知症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

を目指すものとする。2020 年頃までに、上記の達成目標のうち少なくとも 1 つ以上達成することを目指すものとする。

## ⑥ 疾患に対応した研究<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。

具体的には、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。この際、実用化に向けた医薬品・医療機器を開発する基礎研究について、有望な成果を厳選できるよう、評価委員会の質的向上を図る。

また、機構が実施する研究において、がんに関する研究機関との連携体制を整備することにより、当該研究機関が保有する研究能力やデータベース等の研究資源を戦略的に活用し、がん治療の実用化に貢献する。さらに、応用研究段階にある研究課題に対し、臨床研究及び治験に導出するための出口戦略の明確化を重点的に実施する。

また、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に関わる臨床研究及び治験で新たに得られた新知見や問題点を集約して、新たに必要となる基礎研究領域を抽出し、将来を見越したがんの基礎研究の開拓を支援する。

これらの取組を実施することにより、2020 年頃までの達成目標として、

- ・ 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
- ・ 小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ（開発ラグ）の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等の推進
- ・ 小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン（3 件以上）作成に資する多施設共同臨床試験の実施を目指すものとする。

## ⑦ 疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

認知症やうつ病などの精神疾患等の発症に関わる脳神経回路・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、認知症・精神疾患等を克服する。

具体的には、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、霊長類等モデル動物の創出・活用・普及を促すとともに、神経回路の形成過程等の解析及び精神・神経疾患の分子細胞システムレベルでの解析に係る研究開発を推進する。また、拠点や実施機関間のネットワーク化を促し、疾患の特性を踏まえた臨床研究の基盤整備等を推進する。本領域に関わる疾患の発症や進行速度、臨床経過の特徴に鑑み、長期間の経過観察が必要な臨床研究を促進するために必要な措置を講じる。また、分子病態、環境等の要因を精密に解析することで、認知症やうつ病などの精神疾患等の発症メカニズムを解明し、発症リスクの客観的な早期診断法、適切な治療法の開発を推進する。

また、機構が実施する研究において、精神・神経疾患及び長寿に関する研究機関との連携体制を整備することにより、当該研究機関が保有する研究能力やデータベース等の研究資源を戦略的に活用し、精神・神経疾患治療の実用化に貢献するとともに、認知症などのコホート研究と臨床研究の連携を促進させる。身体機能障害の代替・回復やリハビリテーションに資する新しい開発研究を推進し、医療現場での効果的な実用化を支援する。

これらの取組を実施することにより、2020年頃までの達成目標として、

- ・日本発の認知症、うつ病などの精神疾患の根本治療薬候補の治験開始
- ・精神疾患の客観的診断法の確立
- ・精神疾患の適正な薬物治療法の確立
- ・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成

を目指すものとする。

### ⑧ 疾患に対応した研究<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。

具体的には、国の定める計画等に従って、新興・再興感染症や新型インフルエンザ等の国内への流入・まん延防止に必要なワクチン等の予防法・診断法の開発、病態・感染機序の解明、感染リスク評価、国内外の関係機関との調査研究協力を進めるとともに、機構が実施する研究にお

いて、感染症に関する研究機関との連携体制を整備することにより、当該研究機関が保有する研究能力やデータベース等の研究資源を戦略的に活用し、感染症治療の実用化を支援する。また、特に重要となっている感染症（インフルエンザ、デング熱、薬剤耐性菌、下痢感染症等）を対象に、海外と国内の流行株のゲノム変異、病原性、薬剤耐性等の変化をリアルタイムに把握し、国内侵入時の迅速対応を可能にするとともに、進化論的解析による流行予測の可能性を検討する研究を支援する。

また、病原体の感染から増殖にいたる過程を解析して治療薬の標的を定め、薬剤開発のシーズを抽出する。さらに、病原体の血清型と繰り返し感染・病態の重篤化等に関する情報、ゲノム情報を応用した計算科学による病原体タンパク質の構造情報等をもとに適切な抗原を設定し、ワクチン開発戦略等を構築する。

海外の感染症流行地で患者に直接接する機会を活用し詳細な臨床情報を収集・解析することを通じて、実践的な感染症研究者の育成を図るための研修プログラムを策定し実施する。

将来的に、我が国で結核についての低まん延化ができるよう、新規結核ワクチン等の研究のうち、有望な革新的技術については早期の実用化を目標に開発を推進する。

また、2020年の東京オリンピック・パラリンピックに向け感染症の早期診断並びに発生動向の迅速かつ正確な把握に資する研究を推進する。

これらの取組を実施することにより、2020年頃までの達成目標として、

- ・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

を、2030年頃までの達成目標として、

- ・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）

を目指すものとする。

#### ⑨ 疾患に対応した研究<難病>

希少・難治性疾患（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。

具体的には、未だ治療法の確立していない難病等に対し、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因、病態解明を行う研究を推進するため、疾患モデルの作成や生体試料の収集、管理、運用するシステムに関する研究を行い研究基盤の創出を図りつつ、遺伝子解析等、病因、病態解明を行う研究及びシーズの探索を行う研究を推進する。また、実用化を視野に入れた画期的な診断法、治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進するため、薬事承認に必要とされる前臨床試験及び臨床試験を実施して薬事承認の取得を目指す研究や診療に関する質の高いエビデンスを提供するための研究を促進し、研究成果の実用化を図る。

また、難病患者由来の疾患特異的 iPS 細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等の推進を行う。

さらに、成果を患者に還元するための関係機関の協力体制を構築しつつ、希少疾患や未診断疾患に関する研究を行う。

これらの取組を実施することにより、2020年頃までの達成目標として、

- ・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推進を目指すものとする。

#### ⑩ その他の健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発等

その他の健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発として、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。例えば、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、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、次世代を担う小児・周産期の疾患、不妊症、免疫アレルギー疾患、慢性の痛みを呈する疾患、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、口腔の疾患、依存症など多岐にわたる疾患等に対し、病態解明、新たな予防・診断・治療・保健指導の方法の開発や標準化等といった研究を行う等、実用化を目指した研究を推進していく。エイズ及び肝炎については、エイズ対策に資する、基礎・臨床・社会医学・疫学等の観点からの医療体制の向上、長期予後における合併症等の克服等、感染予防の効果、早期発見と

早期治療に必要な実用化研究を実施し、加えて肝炎対策に必要な、肝炎に関する基礎・臨床研究等の総合的な推進、及びB型肝炎に対する画期的な新規治療薬の開発、肝炎・肝硬変等の治療効果の向上に繋がる新規治療薬・治療法の開発等の研究を推進する。統合医療についても、安全性・有効性に関する知見を収集し、その評価手法の研究を推進する。

また、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設定された研究開発目標の下、研究開発領域を組織の枠を超えて時限的に設定し、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。

### Ⅲ 業務運営の効率化に関する目標を達成するためとるべき措置

#### (1) 業務改善の取組に関する事項

##### ① 組織・人員体制の整備

機構に求められる機能（基礎から実用化まで一貫した研究管理、研究不正の防止、実用化へ向けた支援、国際戦略の推進等）を果たすための組織を設け、広く産・学・官から優秀な人材を登用するなど、当該業務を推進するために適切な人員を配置する。

関連する政策や医療分野の研究開発動向の変化、業務の進捗状況に応じ機動性・効率性が確保できるような柔軟な組織・人員体制を整備する。

また、特に、PD、PS、PO等、高度の専門性が必要とされる者については、産学官からの優れた人材の登用を積極的に行うこととする。また、利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用する。

##### ② PDCAサイクルの徹底

研究事業については、外部有識者からなる評価委員会による評価を行うとともに、機構の行う事業について、中長期目標に示された目標の達成に向けて年度ごとの計画を適切に定めるとともに、中長期計画及び年度計画の評価を行い評価結果を公表する。また、評価結果は、次年度以降の業務改善につなげるPDCAサイクルを徹底することにより効率的・効果的な業務を行う。一方、研究者の研究活動の円滑化にも十分配慮し、医療研究開発速度の最大化に資する進捗管理を実現する。

##### ③ 適切な調達の実施

物品調達等の契約については、主務大臣や契約監視委員会によるチェックの下、一般競争入札の厳格な適用により公平性、透明性を確保する

とともに、随意契約によることができる基準を会計規程等において明確化し、公平性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施する。

#### ④ 外部能力の活用

費用対効果、専門性等の観点から、自ら実施すべき業務と外部の専門機関の活用が適当な業務を精査し、外部の専門機関を活用することにより高品質で低コストのサービスが入手できるものについてアウトソーシングを積極的に活用する。

#### ⑤ 業務の効率化

運営費交付金を充当して行う事業については、新規に追加されるもの、拡充分等は除外した上で、一般管理費（人件費、公租公課等の所要額計上を必要とする経費及び特殊要因により増減する経費を除く。）は毎年度平均で2%以上、事業費は毎年度平均で1%以上の効率化を達成する。

また、総人件費については、政府の方針に従い、必要な措置を講じるものとする。

さらに、給与水準については、ラスパイレス指数、役員報酬、給与規程、俸給表及び総人件費を公表するまた、給与水準の検証を行い、これを維持する合理的な理由がない場合には必要な措置を講じることにより、適正化に取り組、その検証結果や取組状況を公表するものとする。こうした取組を通じて、必要な説明責任を果たすものとする。

### (2) 業務の電子化に関する事項

事務処理手続きの簡素化・迅速化を図るため、各業務のシステム化を検討し、機構の制度利用者の利便性を図るとともに電子化によるペーパーレスを推進する。

また、幅広い ICT 需要に対応しつつ、職員の業務を円滑かつ迅速に行うことができるよう機構内情報ネットワークの充実を図る。情報システム、重要情報への不正アクセスに対する十分な強度を確保するとともに、震災等の災害時への対策を確実にを行うことにより、業務の安全性、信頼性を確保する。

このため、「独立行政法人等の業務・システム最適化実現方策」（平成 17 年 6 月 29 日各府省情報統括化責任者（CIO）連絡会議決定）を踏まえ、情報化統括責任者（CIO）等を配置し、業務・システム最適化計画を策定するとともに、当該計画に基づき、業務・システムの最適化を実施する。

#### IV 予算(人件費の見積りを含む。)、収支計画及び資金計画

運営費交付金の効率的活用の観点から、各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を分析し、減少に向けた努力を行う。

予算、収支計画及び資金計画の詳細は別紙参照

#### V 短期借入金の限度額

短期借入金の限度額は312億円とする。短期借入が想定される事態としては、運営費交付金等の受け入れに遅延が生じた場合、緊急性の高い不測の事態が生じた場合等である。

#### VI 不要財産又は不要財産となることが見込まれる財産がある場合には、当該財産の処分に関する計画

機構が保有する資産については、有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い保有する必要がなくなったものについては廃止等を行う。

#### VII 前号に規定する財産以外の重要な財産を譲渡し、又は担保に供しようとするときは、その計画(記載事項なし)

#### VIII 剰余金の使途

機構の実施する業務の充実、職員教育、業務の情報化、広報の充実に充てる。

#### IX その他主務省令で定める業務運営に関する事項

##### (1) 内部統制に係る体制の整備

機構の運営基本理念・運営方針、役職員の倫理指針・行動指針を策定する等の必要な取組を推進するため、法人の長である理事長のリーダーシップの下に組織内で目標達成を阻害する要因(リスク)を識別、分析及び評価し、適切な統制活動を行う。この際、「独立行政法人の業務の適正を確保するための体制等の整備」(平成26年11月28日付け総務省行政管理局長通知)等を参考にするものとする。

##### (2) コンプライアンスの推進

定期的な取組状況の点検や職員の意識浸透状況の検証を行うために、コンプライアンス体制に関する規定を整備するとともに職員に対して定期的に研修を行うことにより職員の意識浸透と機構の適切な運用を図る。

### (3) 情報公開の推進等

機構の業務運営及び事業の透明化確保と国民に対するサービスの向上を図る観点から、情報公開法令に基づき、法人文書の開示を適切に行うとともに、保有する個人情報について個人情報保護法及び個人情報保護規則に基づき適切な管理を行う。

### (4) 情報セキュリティ対策の推進

政府の情報セキュリティ対策における方針（情報セキュリティ対策推進会議の決定等）を踏まえ、職員に対する研修を年1回以上行い情報セキュリティに関する意識向上を図る等、適切な情報セキュリティ対策を推進する。

### (5) 職員の意欲向上と能力開発等

個人評価においては、適切な目標を設定し、その達成状況を多面的かつ客観的に適切にレビューする業績評価、役職に応じて設定された行動項目に基づく発揮能力評価により、評価結果を賞与や昇給・昇格に適切に反映させるとともに、職員の勤労意欲の向上を図る。

また、職員の能力開発を図るため、業務を行う上で必要な知識の取得に向けた研修の機会を設けるなど、当該業務実施に必要な知識等の獲得に資する能力開発に努める。

また、女性の活躍を促進するための取組を推進する。

### (6) 施設及び設備に関する計画（記載事項なし）

### (7) 職員の人事に関する計画

#### ①人材配置

職員の業績等の人事評価を定期的を実施し、その結果を処遇、人材配置等に適切かつ具体的に反映する。

#### ②人材育成

業務上必要な知識及び技術の取得、自己啓発や能力開発のための研修制度を適切に運用する。

### (8) 中長期目標の期間を超える債務負担

中長期目標を超える債務負担については、当該債務負担行為の必要性及び資金計画への影響を勘案し、合理的と判断されるものについては行うことがある。

**(9) 機構法第十七条第一項に規定する積立金の処分に関する事項**

前期中長期目標の最終年度における積立金残高のうち、主務大臣の承認を受けた金額については、国立研究開発法人日本医療研究開発機構法に定める業務の財源に充てる。

(別紙)

Ⅲ 予算（人件費の見積りを含む。）、収支計画及び資金計画

1. 予算（中長期計画の予算）

平成27年4月～平成32年3月 予算

(単位：百万円)

区 別	金 額
収入	
運営費交付金	24,107
医療研究開発推進事業費補助金	583,649
中小企業医療研究開発推進事業費補助金	15,934
計	623,691
支出	
一般管理費	18,427
人件費	6,544
物件費	11,862
公租公課	21
事業費	5,680
物件費	5,680
医療研究開発推進費	583,649
中小企業医療研究開発推進費	15,934
計	623,691

[人件費の見積もり]

- ・中長期目標期間中に支出する人件費の見積りは、6,544 百万円である。

[注釈1]運営費交付金の算定ルール

毎事業年度に交付する運営費交付金(A)については、以下の数式により決定する。

$$A(y) \text{ (運営費交付金)} = B(y) \text{ (一般管理費)} + C(y) \text{ (事業費)}$$

$$B(y) \text{ (一般管理費)} = (B(y-1) \text{ (前年度一般管理費)} - D(y-1) \text{ (前年度人件費)} - E(y-1) \text{ (前年度一般管理所要額計上経費)}) \times \beta \text{ (消費者物価指数)} \times \alpha 1 \text{ (一般管理費効率化係数)} + D(y) \text{ (人件費)} + E(y) \text{ (一般管理所要額計上経費)} + \varepsilon 1 \text{ (新規追加・拡充一般管理経費)} + \delta \text{ (当該年度特殊経費)}$$

$$C(y) \text{ (事業費)} = C(y-1) \text{ (前年度事業費)} \times \beta \text{ (消費者物価指数)} \times \alpha 2 \text{ (事業費効率化係数)} + \varepsilon 2 \text{ (新規追加・拡充事業経費)} + \delta \text{ (当該年度特殊経費)}$$

各経費及び各係数値については、以下の通り。

A(y) : 運営費交付金

B(y) : 運営費交付金額の一般管理費

C(y) : 運営費交付金額の事業費

D(y) : 人件費 =  $D(y-1) \text{ (前年度人件費)} \times \gamma \text{ (人件費調整係数)}$

E(y) : 一般管理所要額計上経費

当該事業年度における所要額により計上する経費(保険料、公租公課、任期付職員等人件費等)。各事業年度の予算編成過程において具体的に決定。

$\alpha 1$  : 一般管理費効率化係数

毎年度平均で2%以上の効率化を実施。

$\alpha 2$  : 事業費効率化係数

毎年度平均で1%以上の効率化を実施。

$\beta$  : 消費者物価指数

各事業年度の予算編成過程において当該事業年度における具体的な係数値を決定。

$\gamma$  : 人件費調整係数

各事業年度予算編成過程において給与昇給率等を勘案し、当該事業年度における具体的な係数値を決定。

$\delta$  : 当該事業年度における特殊経費

事故の発生、退職者の人数の増減、法令改正等に伴い必要となる措置等の事由により当該年度に限り時限的に発生する経費であって、運営費交付金算定ルールに影響を与えうる規模の経費。各事業年度の予算編成過程において具体的に決定。

$\varepsilon$  1: 新規追加・拡充一般管理経費

新規に追加されるもの、拡充分など、社会的・政策的需要を受けて実施する事業に伴い増加する一般管理経費。各事業年度の予算編成過程において具体的に決定。

$\varepsilon$  2: 新規追加・拡充事業経費

新規に追加されるもの、拡充分など、社会的・政策的需要を受けて実施する事業のため増加する事業経費。各事業年度の予算編成過程において具体的に決定。

[中長期計画予算の見積りに際し使用した具体的係数及びその設定根拠等]

上記算定ルール等に基づき、以下の仮定の下に試算している。

- ・運営費交付金の見積りについて、一般管理所要額計上経費、新規追加・拡充事業経費及び当該事業年度における特殊経費については各事業年度の予算編成過程において具体的に決定するが、ここでは、各事業年度において便宜的に平成27事業年度の値を用いて試算。
- ・物件費の見積りについて、 $\beta$  (消費者物価指数)は変動がないもの(±0%)として試算。
- ・人件費の見積りについて、 $\gamma$  (人件費調整係数)は変動がないもの(±0%)として試算。

[注釈2]各欄積算と合計欄の数字は四捨五入の関係で一致しないことがある。

(別紙)

2. 収支計画

平成27年4月～平成32年3月 収支計画

(単位：百万円)

区 別	金 額
経常費用	
業 務 費	597,764
一般管理費	29,800
財 務 費 用	0
雑 損	0
計	627,564
経 常 収 益	
運営費交付金収益	23,776
業 務 収 益	0
受 託 収 入	0
補助金等収益	592,084
資産見返負債戻入	11,704
財 務 収 益	0
雑 益	0
経常利益	0
臨時損失	90
固定資産除売却損	0
承継物品消耗品費	90
臨時利益	90
資産見返負債戻入	0
貸倒引当金戻入益	0
保証債務損失引当金戻入益	0
固定資産売却益	0
承継物品受贈益	90
当期純利益	0
当期総利益	0
計	627,564

(別紙)

3. 資金計画

平成27年4月～平成32年3月 資金計画

(単位：百万円)

区 別	金 額
資金支出	
業務活動による支出	615,790
投資活動による支出	7,831
財務活動による支出	0
翌年度への繰越金	69
計	623,691
資金収入	
業務活動による収入	623,691
運営費交付金による収入	24,107
国庫補助金による収入	599,584
政府出資金による収入	0
貸付金の回収による収入	0
業務収入	0
その他の収入	0
投資活動による収入	0
前年度よりの繰越金	0
計	623,691