

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構のこれまでの取組と課題

日本医療研究開発機構
理事長 末松 誠

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構の概要

1. 設立日 平成27年4月1日

2. 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環境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。

3. 予算(平成27年度)

日本医療研究開発機構対象経費	1,248億円
調整費（※科学技術イノベーション創造推進費のうち35%を充当）	175億円※

4. 事業方針

① 医療に関する研究開発の実施

- a. プログラムディレクター（PD）、プログラムオフィサー（PO）等を活用したマネジメント機能
- b. 適正な研究実施のための監視・管理機能

② 臨床研究等の基盤整備

- a. 臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点、橋渡し研究支援拠点の強化・体制整備
- b. EBM（evidence-based medicine）に基づいた予防医療・サービス手法を開発するためのバイオバンク等の整備

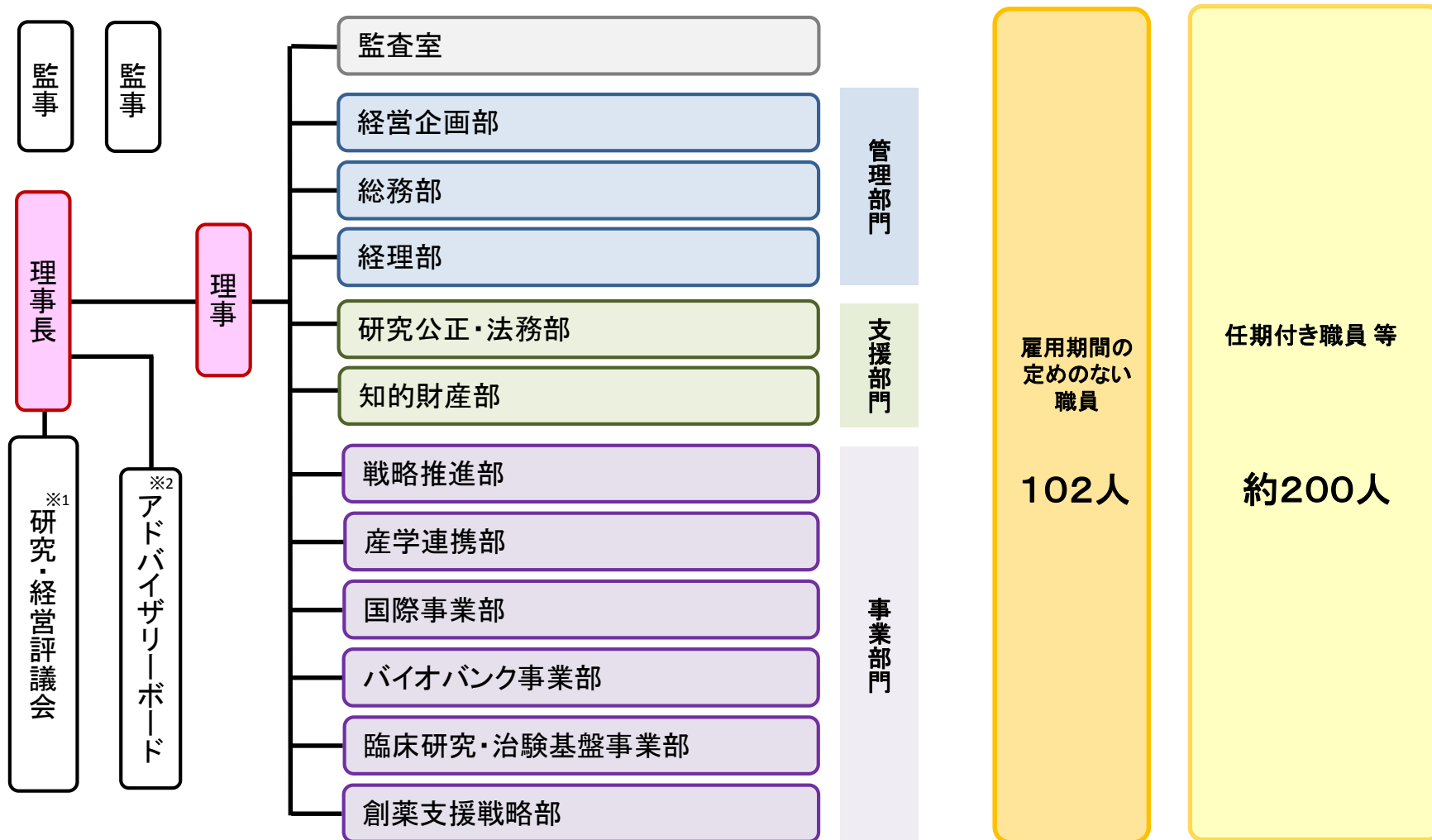
③ 産業化へ向けた支援

- a. 知的財産取得に向けた研究機関への支援機能
- b. 実用化に向けた企業連携・連携支援機能

④ 国際戦略の推進

国際共同研究の支援機能

日本医療研究開発機構の組織体制



※1 研究・経営評議会 …… 研究の実施を含む機構の運営に関する重要事項に関し、理事長に対し助言等を行う組織

※2 アドバイザリーボード …… 医療現場、産業界、研究者、患者等からの様々なニーズの把握のため理事長の下に置かれる会議

役員

理事長	末松 誠
理事	大谷 泰夫
監事(非常勤)	間島 進吾
	室伏 きみ子

7プロジェクトを包含する戦略推進部が他の5事業部との「縦横連携」によって Medical R&Dの全体最適化を目指す

戦略推進部

7つのプロジェクト

医薬品
研究課

再生医療
研究課

がん
研究課

脳と心の
研究課

難病
研究課

感染症
研究課

研究
企画課

産学連携部

産学連携等実用化へ向けた支援

国際事業部

戦略的国際研究の推進

バイオバンク事業部

バイオバンク等研究開発基盤の整備支援

臨床研究・治験基盤事業部

質の高い臨床研究・治験への支援

創薬支援戦略部

創薬支援ネットワークによる支援

5事業部

医療分野研究開発推進計画に基づくトップダウンの研究

○ 医療に関する研究開発の実施

- ・プログラムディレクター(PD)、プログラムオフィサー(PO)等を活用したマネジメント機能
 - 医療分野研究開発推進計画に沿った研究の実施、研究動向の把握・調査
 - 優れた基礎研究の成果を臨床研究・産業化につなげる一貫したマネジメント
(個別の研究課題の選定、研究の進捗管理・助言)
- ・PDCAの徹底
- ・ファンディング機能の集約化
- ・適正な研究実施のための監視・管理機能
 - 研究不正(研究費の不正使用、研究における不正行為)防止、倫理・法令・指針遵守のための環境整備、監査機能

○ 臨床研究等の基盤整備

- ・臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点、橋渡し研究支援拠点の強化・体制整備
 - 専門人材(臨床研究コーディネーター(CRC)、データマネージャー(DM)、生物統計家、プロジェクトマネージャー等)の配置支援
- ・EBM※(エビデンス)に基づいた予防医療・サービス手法を開発するためのバイオバンク等の整備

※ EBM: evidence-based medicine

○ 産業化へ向けた支援

- ・知的財産取得に向けた研究機関への支援機能
 - 知財管理・相談窓口、知財取得戦略の立案支援
- ・実用化に向けた企業連携・連携支援機能
 - (独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)と連携した有望シーズの出口戦略の策定・助言
 - 企業への情報提供・マッチング

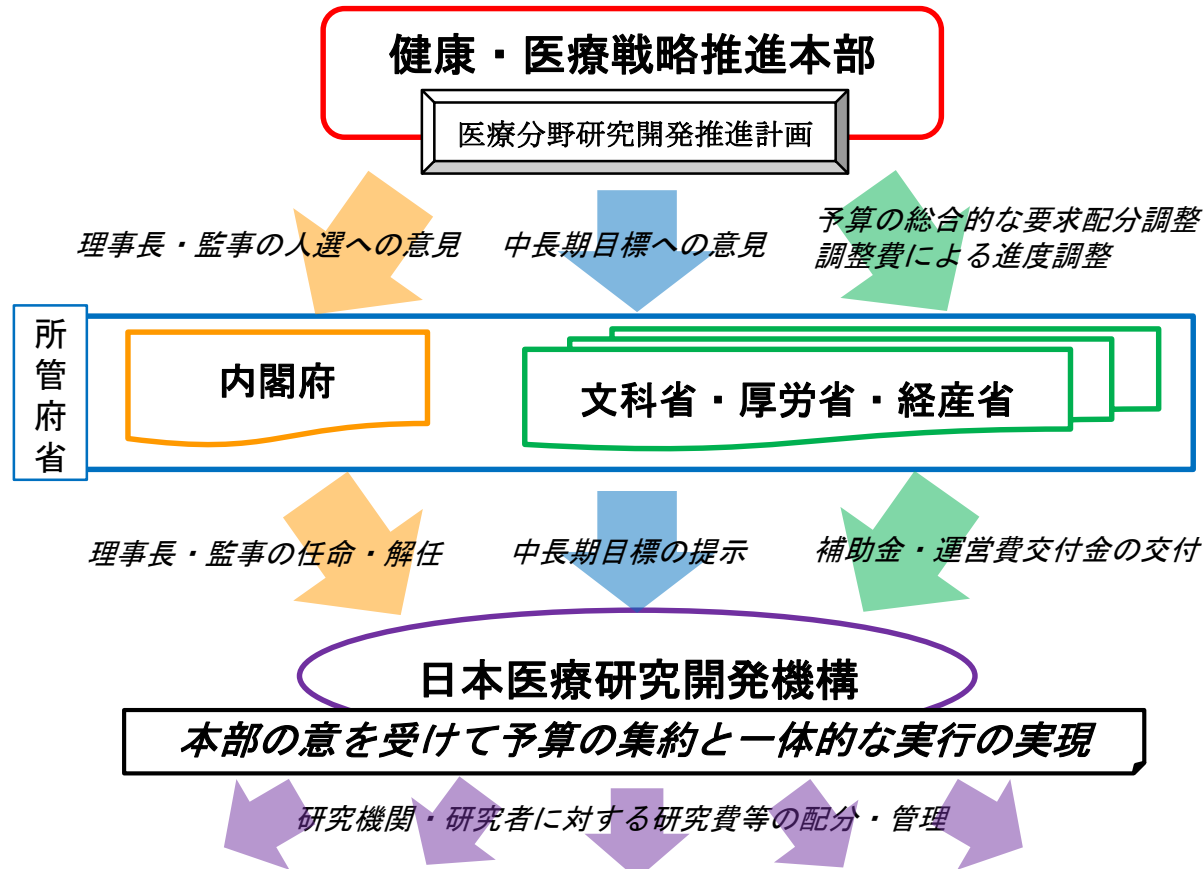
○ 国際戦略の推進

- ・国際共同研究の支援機能
 - 国際動向を踏まえた共同研究の推進
 - 医療分野に係る研究開発を行う海外機関との連携

医療分野の研究開発等の新たな推進体制について

【本部による総合調整】

【機構による一体的な業務運営】



○研究費等のワンストップサービス化

- 研究支援と研究環境整備の一体的な実施（例えば、国際水準の臨床研究の実施環境の整備を研究支援と体制整備の両面からサポート）
- 研究費等の配分を受ける研究機関・研究者の事務負担の軽減

○基礎から実用化までの一貫した研究管理

- 基礎から実用化までの切れ目のない研究支援の実現（知財戦略等についても基礎段階から総合的にサポート）
- 基礎から実用化までの一貫した研究マネジメントの実現（研究段階に応じた専門的・技術的な助言、公正かつ適正な研究の実施の確保等）

日本医療研究開発機構設立以後の取組・今後の課題(1)

黒字はこれまでの取組
赤字は今後の取組・検討事項

1. 医療に関する研究開発の実施

- プログラム・ディレクター（PD）, プログラム・スーパーバイザー（PS）, プログラム・オフィサー（PO）の決定・公表（別紙①参照）
- 公募の着実な実施
 - ◆ 平成27年度事業公募一覧（公募開始時期）の公表
 - ◆ 平成27年度「研究開発代表者向け事業説明会」の開催
- 「競争的資金における使用ルール等の統一」への対応（別紙②参照）
 - ◆ AMED事務処理説明書等への反映
 - ◆ AMED Webサイト等による周知
 - ◆ 間接経費に関する検討
- 医療分野の研究開発関連の調整費の配分
 - ◆ 平成27年度 第1回の配分（別紙③参照）

日本医療研究開発機構設立以後の取組・今後の課題(2)

1. 医療に関する研究開発の実施（続き）

- 研究開発マネジメントシステムの導入に向けた検討
- IRUD（Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases：未診断疾患イニシアチブ）（希少・未診断疾患を体系的に診療する医療システム）の取組を開始（別紙④参照）
- 研究不正防止の取組の推進
 - ◆ 研究者や事務に従事する者等を対象とした説明会の開催
 - ◆ 不正防止・対応相談窓口、不正行為及び研究費不正使用の告発受付窓口の設置
 - ◆ 研究公正を高めるための国際シンポジウムを関係機関と連携・協力して開催（9月）
 - ◆ 「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」の策定・公表

2. 臨床研究等の基盤整備

- 平成26年度拠点調査フォローアップ調査を随時実施（6～8月）
- 革新的医療技術創出拠点プロジェクトの推進（拠点施設合同会議の開催）

日本医療研究開発機構設立以後の取組・今後の課題(3)

3. 産業化に向けた支援

- 実用化に向けた知財マネジメント支援の実施
 - ◆ 総合相談窓口（Medical IP Desk）の設置
 - ◆ 大学等研究機関への訪問、知財関連セミナーへの講師の派遣
- 「創薬支援ネットワーク」によるオールジャパンの創薬支援の推進
 - ◆ 産学協働スクリーニングコンソーシアム（DISC）の会員企業、創薬支援インフォマティクスシステム構築の実施機関の公募開始（別紙⑤参照）
- 医薬品医療機器総合機構（PMDA）との連携協定の締結（別紙⑥参照）

4. 国際戦略の推進

- 生物医学研究を支援する海外のファンディング機関が参画する会合への出席（別紙⑦参照）
- IRDiRC (International Rare Diseases Research Consortium : 国際希少疾患研究コンソーシアム)への加盟（別紙⑧参照）
- 日米医学協力 50 周年記念式典への参加
- NIH (National Institutes of Health : アメリカ国立衛生研究所) との連携協定

日本医療研究開発機構 プログラムディレクター (PD)

連携分野 (事項)	現職	氏名
1. オールジャパンでの医薬品創出	公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団 会長	竹中 登一
2. オールジャパンでの医療機器開発	公益財団法人 医療機器センター 理事長	菊地 眞
3. 革新的医療技術創出拠点プロジェクト	公益財団法人 医療研修推進財団 顧問 学校法人慶應義塾 慶應義塾大学 名誉教授	猿田 享男
4. 再生医療の実現化ハイウェイ構想	独立行政法人 国立病院機構名古屋医療センター 名誉 院長	齋藤 英彦
5. 疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト	国立研究開発法人 国立国際医療研究センター 理事長	春日 雅人
6. ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト	国立研究開発法人 国立がん研究センター 理事長	堀田 知光
7. 脳とこころの健康大国実現プロジェクト	国立研究開発法人 理化学研究所脳科学総合研究セン ター シニア・チームリーダー	津本 忠治
8. 新興・再興感染症制御プロジェクト	国立感染症研究所 名誉所員	宮村 達男
9. 難病克服プロジェクト	学校法人 鈴鹿医療科学大学 大学院医療科学研究科 研究科長 看護学部 教授	葛原 茂樹

※PDのほか、PS、POについても決定のうえ、AMED HPで公表

「競争的資金における使用ルール等の統一について」（平成27年3月31日関係府省連絡会申し合わせ）

1 趣旨

研究者、研究機関が研究資金を効果的・効率的に活用できるように競争的資金の使用に関わる各種ルール等の統一化を行うことで、研究資金の使い勝手が向上し、研究者は的確に研究資金を活用し、研究により専念できることとなり、より多くの、より優れた研究成果が期待できる。

競争的資金の使用ルール等の統一化及び簡素化・合理化は、研究の生産性の向上につながり、ひいては、科学・技術を通じた、国民生活の質的向上及び我が国経済の持続的成長へ寄与するものであることから、今般、以下の手続きを実施する。

項	目	AMED事務処理説明書等
2 年度末までの研究期間の確保	(1) 事業完了後速やかに事業完了届を提出させ、事業の完了と研究成果の検収等を行う。 (2) (2) 条件を満たした場合、会計実績報告書の提出期限を年度終了後61日以内まで可能とする。	委託研究開発実施期間の終了、委託研究開発の完了・中止・廃止のいずれか早い日から起算して <u>翌々月末（61日）以内</u>
3 使用ルールの統一	(1) 耐用年数1年以上かつ取得価格10万円以上の物品は備品として、耐用年数1年以上かつ取得価格50万円以上の物品は資産として管理する。 (2) 直接経費の使途に関し、消耗品やパソコンについても、事業の目的遂行に必要と認められるものは購入可能とする。 (3) 研究機器等について、リースだけでなく、購入も選択出来るようにする。	・資産管理対象（企業等）：取得価格が <u>50万円以上</u> かつ使用可能期間が <u>1年以上</u> のもの。 ・研究上、必要な合目的性のあるものの取得やその形態に制限は設けていない。
4 購入した研究機器の有効活用	(1) 購入した研究機器について、本来の事業に支障を及ぼさない範囲で、一時的に他の研究開発に使用する場合、報告書の提出をもって大臣等の承認があったものとして取り扱う。 (2) 各府省から貸付けを受けている研究機器について、一時的に他の研究開発に使用する場合、報告書の提出を行わせる。 (3) 各府省は、研究機器の管理者からの報告を受けた場合、必要に応じて関係府省と共有する。	<u>一時的他使用可能</u>
5 研究費の合算使用	(1) 旅費は、「他事業分の出張と明確に区分出来る場合」、消耗品は、「他事業の用途と合わせて購入する場合で、他事業分の経費と明確に区分出来る場合」等の要件により、合算による使用を可能とする。 (2) 補助事業により購入した研究機器は、購入機関の財産であり、国は、財産処分の取扱いについて、制度別に各持ち分の整理をする。委託事業では、国の他の補助金や研究機関の単独費を合算して購入することは考えにくい、複数省庁の委託費との合算も、所有権の問題をどう整理するか検討が必要。	<u>合算使用可能</u> ※(2)は大学や公的研究機関等に限る。
6 報告書の様式の統一	(1) 費目構成は、「府省共通経費取扱区分表」による取扱いを徹底する。 (2) 様式について、会計実績報告書の金額の部分について、所定の様式の内容を記載させる。 (3) 金額以外の部分についても、統一化、簡素化を検討し、順次実施する。	・費目構成は「 <u>府省共通経費取扱区分表</u> 」を使用。 ・会計実績報告も同様。

- 「医療分野の研究開発関連の調整費に関する配分方針」（平成26年6月10日健康・医療戦略推進本部決定）に基づき、平成27年度第1回配分予定額は総額で145.4億円。
- なお、第2回配分及び年度途中に機動的に対応すべき事項が生じた場合等に対応するため、29.6億円を配分せずに留保。（参考）科学技術イノベーション創造推進費（500億円）のうち35%（175億円）を医療分野の研究開発関連の調整費として充当。

主な取組

1. 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 23億円
 - 次世代PPI阻害ライブラリの構築、リード化合物の創出による革新的医薬品の開発を加速
- ② オールジャパンでの医療機器開発 12億円
 - 力触覚フィードバック機能を付加した手術支援ロボット等の最先端医療機器の開発を加速

3. 世界最先端の医療の実現に向けた取組

- 再生医療の実現化ハイウェイ構想 17億円
 - 疾患特異的iPS細胞を活用した創薬・疾患研究の加速、臨床利用目的の新規ES細胞の樹立

5. その他

32億円

（感染症）

エイズに対する世界初となる革新的医薬品開発を加速

（その他疾病）

糖尿病・循環器疾患に関する研究開発の加速、環境因子（常在菌叢、ウイルス叢）に着目したアレルギー疾患の研究開発を加速

（ICT）

大規模健康・診療データ収集・利活用の促進

2. 臨床研究・治験への取組

- 革新的医療技術創出拠点プロジェクト 18億円
 - 幹細胞を用いた小児代謝性肝疾患根治療法の開発、国産小児用体外式拍動型VADシステムの研究開発

4. 疾病領域ごとの取組

- ① ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト 11億円
 - AYA世代（思春期及び若年成人）の希少がんの治療法開発を目指したゲノム機能解析とその臨床応用
- ② 脳とこころの健康大国実現プロジェクト 15億円
 - 認知症等の研究加速および標準化等に係る研究、うつ病等の精神疾患バイオマーカー開発を加速
- ③ 新興・再興感染症制御プロジェクト 6億円
 - エボラ出血熱に対する治療薬等の開発を加速
- ④ 難病克服プロジェクト 13億円
 - 未診断疾患プログラムの基盤作りに必要な各スキームの構築、潰瘍性大腸炎に対する新規治療法の確立

IRUD: Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases

(未診断疾患イニシアチブ)

【目的】

希少(Rare)・未診断(Undiagnosed)疾患患者に対して

- ・体系的に診療する医療システム
- ・患者情報を収集蓄積し、開示するシステム

を確立すること

【成果】

- ・全国の各地方における希少・未診断疾患診療施設設置、体制構築
- ・患者への診断フィードバック
- ・未診断疾患患者に関する新規疾患概念の確立
- ・国際連携可能な国内データネットワーク・解析コンソーシアムの設立等

IRUD診療体制



受診

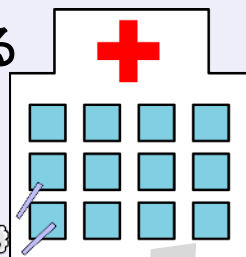


紹介受診

IRUD診断連携

・IRUD診断委員会は地域の拠点病院等に配置し、全国配備を目指す

IRUDに参加する
拠点病院
(総合病院)



エントリーシート
(臨床・検査データ)



IRUD診断委員会

- ・幅広い診療科の医師で構成
- ・臨床遺伝専門医を中心として臨床カンファレンスを開催
- ・地域の臨床医と積極的に連携し地域をあげて取り組む

解析結果

検査依頼

データ

IRUD データネットワーク

AMED
データセンター

- ・登録システムの構築・運営
- ・データベースの構築・運営
- ・国際ネットワークとの連携

フォローアップ

診断説明
カウンセリング



地域での
密接な連携



IRUD 解析コンソーシアム

IRUD解析センター

- ・依頼された検体についてエクソーム解析等の遺伝学的検査を行う
- ・遺伝学的検査以外の検査や遺伝子変異の機能解析も検討する

オープンイノベーション推進によるiD3の創薬支援戦略 産学協働スクリーニングコンソーシアム (DISC)

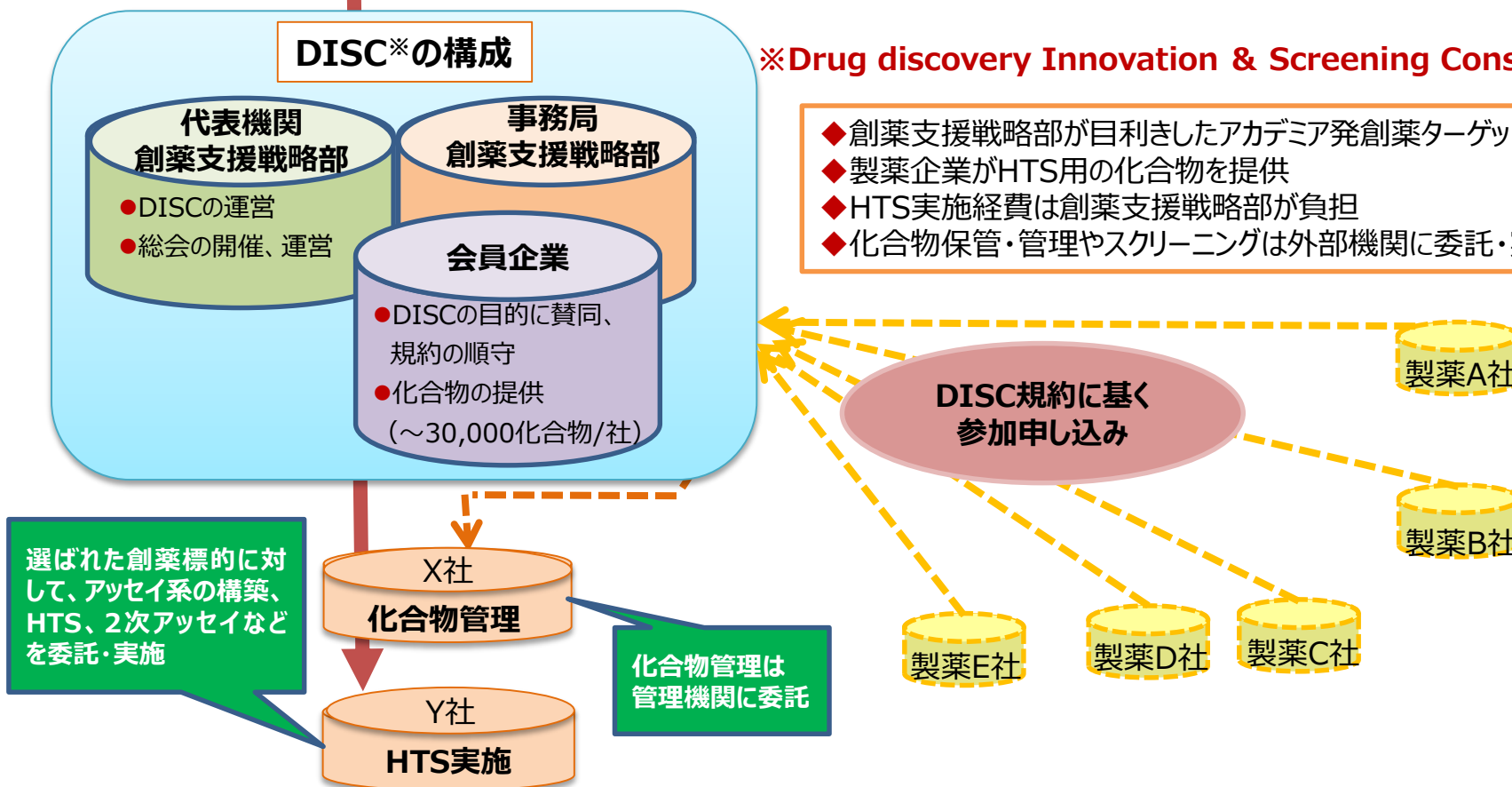
東京大学（低分子化合物）、医薬基盤・健康・栄養研究所（抗体・核酸）、次世代天然物化学技術研究組合（天然物）の各ライブラリーに加えて、製薬各社が保有するユニークな化合物群を創薬支援ネットワークに活用

創薬支援ネットワークによるアカデミア発創薬シーズの支援

DISC※の構成

※Drug discovery Innovation & Screening Consortium

- ◆ 創薬支援戦略部が目利きしたアカデミア発創薬ターゲット
- ◆ 製薬企業がHTS用の化合物を提供
- ◆ HTS実施経費は創薬支援戦略部が負担
- ◆ 化合物保管・管理やスクリーニングは外部機関に委託・実施



革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品の創出を効率的に進めるためには、規制方針を踏まえた研究開発戦略の構築、最新の研究開発の動向を踏まえた合理的な規制の実現が必要である。

このため、本邦発の革新的医薬品・医療機器等の創出に向けて、AMEDによる医療分野の研究開発の推進業務等、PMDAによる審査・相談業務等についてそれぞれの使命や責務を果たしつつ、それぞれが持つ知識や経験を相互に活用する。

AMEDによる委託研究課題

研究者
シーズ

基礎・応用研究

非臨床試験・治験

承認申請・審査

承認・実用化

出口戦略を見据えた研究の増加

課題採択

採択の条件

進捗管理・
評価

相談記録の共有、評価時の助言

薬事
戦略相談

承認申請に向けた
効率的かつ円滑な
研究推進、実用化促進

実用化の視点からの研究評価の強化

AMED

最新研究動向のインプット

PMDA

研修講師派遣、AMEDによる助言・指導のための協力

(例：信頼性調査方法に関するSOP等の共有、AMED職員勉強会への講師派遣)

研修事業の実施、助言・指導

臨床研究・治験
環境の整備

治験関連スタッフ

革新的医療技術創出拠点等

AMED情報

- ・医療分野の研究開発動向(RS研究含む)
- ・創薬支援事業の実施状況
- ・医療機器開発支援(伴走コンサル)の実施状況

情報共有

お互いの業務
に活用

PMDA情報

- ・医薬品・医療機器等の規制動向
- ・薬事戦略相談の実施状況
- ・治験の実施状況(FIH、医師主導治験)

世界の医療研究開発の動向:めまぐるしい動き ＜各国のファンディングエージェンシーとの意見交換等＞

1. 感染症に対する国際協力
エボラ出血熱、MERS、多剤耐性菌問題
2. Precision Medicineの潮流
3. Genome Editing (ゲノム編集技術の光と影)
4. 失敗データのファイリングと利活用
5. 難病克服のためのGlobal data sharing (GA4GH, IRDiRC)
6. International harmonization of medical devices



：国際希少疾患研究コンソーシアムへの加盟について

【IRDIRC 組織・活動概要】

- ◆ 2011年4月設立。17カ国40団体が加盟。
- ◆ 希少疾患の分子的・治療的解析を行い、倫理・規制面も含めた情報共有化とともに臨床開発を進めて2020年末までにほとんどの希少疾患の診断方法ならびに200の新規治療法を提供することを目指す。
- ◆ 【加盟資格】IRDIRCの目的に沿ったプロジェクトに対して5年間US\$10M(12億円)以上助成する助成機関。製薬企業・患者団体も可。
- ◆ エグゼクティブコミッティーが最高意思決定機関。
- ◆ エグゼクティブコミッティーの下に3つのサイエンスコミッティー（診断、総合領域、治療）を置き、タスクフォース（データベース・データ発掘・同意書・臨床試験・評価手法）での検討内容を踏まえ、協議した結果をエグゼクティブコミッティーに議題として上呈。

【IRDIRC 加盟目的】

- ◆ 患者数が少ない難病・希少疾患治療薬開発では国際連携が必須。
 - 研究開発動向・情報共有ツールなど国際動向をフォローし、国内での診断法・治療法の開発に活用。
 - 日本の難病対策についても発信。



✓ AMEDとして7月30日に加盟承認

