

平成27年度自己評価報告書説明資料

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構

目次

I 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事項	
(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	2
②研究不正防止の取り組みの推進	8
③臨床研究及び治験データマネジメントの実行	13
④実用化へ向けた支援	17
⑤研究開発の基盤整備に対する支援	23
⑥国際戦略の推進	29
(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	
①医薬品創出	35
②医療機器開発	44
③革新的な医療技術創出拠点	51
④再生医療	58
⑤オーダーメイド・ゲノム医療	65
⑥疾病に対応した研究＜がん＞	74
⑦疾病に対応した研究＜精神・神経疾患＞	79
⑧疾病に対応した研究＜新興・再興感染症＞	86
⑨疾病に対応した研究＜難病＞	94
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	101
II 業務運営の効率化に関する事項	
(1) 業務改善の取り組みに関する事項	
①組織・人員体制の整備	114
②PDCAサイクルの徹底	117
③適切な調達の実施	120
④外部能力の活用	122
⑤業務の効率化	124
(2) 業務の電子化に関する事項	127
III 予算（人件費の見積りを含む。）、収支計画及び資金計画	130
IV 短期借入金の限度額	132
V 不要財産又は不要財産となることを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	134
VI 前項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（記載事項無し）	136
VII 剰余金の使途	137
VIII 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	139
(2) コンプライアンスの推進	142
(3) 情報公開の推進等	144
(4) 情報セキュリティ対策の推進	146
(5) 職員の意欲向上と能力開発等	148
(6) 施設及び設備に関する計画（記載事項無し）	
(7) 職員の人事に関する計画	151
(8) 中長期目標の期間を超える債務負担	153
(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	155

I 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事項

(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

I (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



評定(自己評価)

A

研究・経営評議会及びアドバイザリーボードの設置・運営、研究課題選定におけるピア・レビュー方式の導入、関連学会や拠点等との連携によるニーズ・シーズ情報の把握とそれら情報の公募、事業等の設計に生かす取組等を着実に実施した。また、PD/PS/PO等による基礎から実用化まで切れ目ない一貫したプロジェクトマネジメントを適切に実施した結果、課題の進捗に応じた助言等による問題解決につながった事例や各事業の成果が次のフェーズの支援に円滑につながった事例が見られた。こうした取組に加え、理事長のリーダーシップのもと、現場の意見等も踏まえ、研究費を効果的に活用することを目的とした、「研究費の機能的運用」を導入し、研究成果の最大化に大きく貢献するなど、所期の目標を上回った。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①「研究費の機能的運用」の導入

- 現場での研究費の効果的な活用に資するべく、次の内容を含む、「研究費の機能的運用」を導入し、研究成果の最大化に寄与(年度計画から前倒しで実現)
 - 1) 研究費の機動的運用
 - ・研究費の増額
 - ・研究費の合算使用
 - ・費目の大括り化、流用制限の緩和
 - ・執行状況に応じた予算配分
 - ・年度を跨ぐ物品調達・役務提供に係る契約
 - 2) 研究事務の効率的実施
 - ・採択決定と契約締結等の予定日の明示
 - ・研究開始までの事前の準備
 - 3) 研究機器の合理的使用
- 各種説明会や講習会での説明、ホームページへの掲載により、研究者・研究機関に周知

②プロジェクトマネジメントの適切な実施

- PD/PS/POによる実地調査や領域会議、班会議等を通じた進捗管理、研究者への指導・助言の実施によるプロジェクトマネジメントを適切に実施。
- これにより、機構が目指す「研究開発成果の最大化」に向けた方針の転換に相当する研究開発計画変更がなされるなど、問題解決や成果が次のフェーズの支援に円滑につながった事例を得た。

③シーズやニーズの把握とシンクタンク機能

- 創薬支援推進事業における目利き人材による創薬シーズの把握や関連学会・臨床拠点等との連携によるシーズ・ニーズ情報の把握とそれら情報の公募課題・事業の設定、課題間連携への活用
- 各種研究開発動向調査の実施、アナリストによる専門的解析への活用も視野に入れた「AMED研究開発マネジメントシステム」の開発の推進

I (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



評価軸

- ・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設置したか。
- ・患者や医療現場、研究者、産業界等からのニーズの把握等のためのアドバイザリーボードを理事長の下に設置したか。

○研究・経営評議会を設置し、平成27年9月16日及び平成28年3月2日に開催。機構の取組や課題について議論し、委員からの意見を踏まえて機構内PO制度について検討を進めるなどの対応を実施。

○アドバイザリーボードを設置し、平成27年10月29日及び平成28年2月26日に開催。機構の取組や課題について議論し、委員から様々な立場からのニーズを聴取、それを踏まえた取組状況について説明。

評価軸

- ・国内外の動向を把握、評価し、テーマを抽出するための専門家によるシンクタンク機能を備えたか。
- ・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とともに、大学や研究機関、企業との連携を進めたか。

○創薬支援推進事業における目利き人材による企業導出の可能性が高い創薬シーズについての調査のほか、各部各課においてシーズ・ニーズ把握とその活用に向けた取組を実施。

(取組事例)

- ◆ 臨床拠点を活用して臨床ニーズを機構に集約するとともに、機構職員が自ら現場に出向いてニーズを収集する体制を強化。収集した革新的な医療機器開発につながるニーズを機構に設置する「臨床ニーズ抽出委員会」で検討・精査し、その結果を未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業における新たな機構公募・事業等の設計に活用(未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業、国産医療機器創出促進基盤整備等事業)
- ◆ 関連学会との連携により、研究者コミュニティからのシーズ情報及び医師や医療従事者からのニーズ情報をくみ上げ、分野毎の長期的な研究戦略とそれに基づく公募研究開発課題の設定、課題間の連携に活用(循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業)

○各種研究開発動向調査を実施するとともに、アナリストによる専門的解析への活用も視野に入れた「AMED研究開発マネジメントシステム(AMS)」の構築に向けた検討及びシステム開発に着手。

I (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



評価軸

・個別研究課題の選定にピア・レビュー方式を導入したか。

○各事業において外部有識者から構成される課題評価委員会を設置。必要に応じ構成員以外の外部専門家等の出席をえたうえで、個別研究課題の選定を実施。

<モニタリング指標>

	H27年度
事前評価委員会の設置数	45
事前評価委員会の開催回数	71

評価軸

・世界の最新の情勢を把握したPD、PO等が、研究開発の開始、推進、監視・管理、さらには、方針の転換に至るまで一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメント機能を果たしたか。

1. プロジェクトマネジメントの取組

○各連携分野にPDを配置するとともに、事業毎にPS/POを配置しHPで公表。選任にあたっては、50歳未満のPOを委嘱するなど積極的な人材活用を実施。

○各事業において、評価委員会や領域会議、班会議、サイトビジット、PS/PO会議等を通じて、各研究課題の進捗管理・指導・助言、課題間連携の促進、研究方針の修正等のプロジェクトマネジメントを実施。

○課題の進捗に応じて、積極的に開発予算の見直し・再配分や継続審査を行うとともに、調整費及び次年度予算の要求、新規施策等へ反映を行い、事業成果の最大化を目指した事業運営を実施。

<モニタリング指標>

	H27年度
PDPSPPO会議実施回数	256

I (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



評価軸

・世界の最新の情勢を把握したPD、PO等が、研究開発の開始、推進、監視・管理、さらには、方針の転換に至るまで一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメント機能を果たしたか。

1. プロジェクトマネジメントの取組(続き)

○プロジェクトマネジメントの実施により、機構が目指す「研究開発成果の最大化」に向けた方針の転換に相当する研究開発計画変更がなされるなど、問題解決や成果が次のフェーズの支援に円滑につながった事例を得た。

(具体事例)

- ◆ 難治性疾患実用化研究事業「難治性の肝・胆道疾患に対する治療介入の有効性についてのエビデンス作成のための研究」: 当初計画していた原発性硬化性胆管炎に対する臨床研究を本研究計画から切り離し、原発性胆汁性肝硬変に研究内容を絞ることでより効果的に研究成果が出せるように方向転換を図った。
- ◆ 未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業: 脳卒中後上肢麻痺に対する脳波-BMIリハビリテーションシステムを次のフェーズに展開させるため、事業者と十分な調整を行った上で、医療機器開発推進事業への移行を促し、医師主導治験につなげた。

2. その他(研究費申請手続きのワンストップサービス化)

○契約書や事務処理説明書等について機構として統一した様式の整備・運用を開始。

→ 各事業に共通する部分について事務処理を標準化。

○平成28年度公募の開始に先立ち、機構職員による対面・メールによる研究者からの相談を受け付ける「ワンストップ相談サービス」を試行的に実施。

→ 事業をまたがる分野を対象とした研究課題に対して、適当な公募案件の紹介が可能に。

I (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



評価軸

・医療研究開発を円滑に促進するために、機構から交付される研究費について現場で効果的に使えるよう工夫を行ったか。

○現場での研究費の効果的な活用にあ資するべく、次の内容を含む「研究費の機能的運用」を導入し、研究成果の最大化に寄与（年度計画から前倒しで実現）

1) 研究費の機動的運用

- ・研究費の増額（調整費による増額、選択課題数の増加、新たな研究課題の募集）
- ・研究費の合算使用（機器の合算購入、旅費等の合算使用）
- ・費目の大括り化、流用制限の緩和
- ・執行状況に応じた予算配分
- ・年度を跨ぐ物品調達・役務提供に係る契約

2) 研究事務の効率的実施

- ・採択決定と契約締結等の予定日の明示
- ・研究開始までの事前の準備
- ・採択決定から契約締結までの期間短縮

3) 研究機器の合理的使用

○各種説明会や講習会での説明、ホームページへの掲載により、研究者・研究機関への周知に努めた。

<モニタリング指標>

	H27年度
研究費の効果的運用に関する計画変更数及び契約変更数	471

I 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事項

(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

②研究不正防止の取組の推進

I (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

② 研究不正防止の取組の推進



評価(自己評価)

B

不正行為等への対応や利益相反管理に関する規則の制定、医療法制等の知識・経験を有する専門的人材の配置、不正行為等の告発窓口の設置等、体制整備を着実に実施したほか、機構事業へ参加する研究者に研究倫理教育プログラムの履修を求めるとともに、研究機関に利益相反管理の実施を要請した。また、研究公正に関する説明会や、利益相反管理についてのセミナー開催等の啓発活動等を着実に実施するなど、着実な業務運営がなされた。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① 専門部署の設置

1. 医療法制、法律等の知識・経験を有する専門的人材を擁する専門部署として、研究公正・法務部を設置。
2. 不正行為等の告発窓口を設置。
3. 「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」等を制定・改定公表。

② 研究不正の防止に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材育成

1. ドイツ研究振興協会（DFG）と共催で、日独国際シンポジウム「研究公正を高める取組について～日独の取組の実践例～」を開催。（9/30開催、134人参加）
2. 利益相反管理に関するセミナーを開催。（3/22開催、94名参加）
3. 米国保健福祉省（DHHS）の研究公正局（ORI）を訪問し、インタビュー調査を実施。
4. 研究倫理教育に関する現状・ニーズ調査を実施。



研究不正防止に係る外部向け説明会、展示会等開催回数及び参加者数 平成27年度、25回、4,524人

③ 機構が配分する研究費により実施されている研究の公正かつ適正な実施の確保に向けた取組

1. AMEDの所管する研究費により行われる研究活動に参画する研究者全員を対象とする研究倫理教育プログラムの履修を義務づけ。
2. 「厚生労働科学研究における利益相反の管理に関する指針」に対応する事業について、利益相反管理を行うとともに、同管理と各種指針の遵守状況について報告書の提出を求めた。
3. 平成28年度以降における利益相反管理、同管理と各種指針の遵守状況に関する報告書をAMEDへ提出する制度に関する規則を制定し、ホームページを通じて公表。
4. 関連部署と連携して、e-Rad等の利用による不合理重複・過度集中の排除を行うとともに、遵守すべき法令、指針等の周知等の啓発活動を実施。
 - ・e-Rad、研究提案書等の情報に基づき、研究費の不合理な重複及び過度の集中について確認した。
 - ・機構の全事業における公募要領、事務処理説明書、契約書等に法令等遵守、不正時の措置等に関する記載を行い、注意喚起を行った。
 - ・研究者や事務に従事する者等を対象に法令、指針遵守等のための説明会を開催。（平成27年度18回開催、4,296人参加。）
 - ・研究機関等からの要請に応じ、講習会を実施。（3機関、計628名参加。）

研究倫理教育プログラムの履修及び利益相反管理の要請数 1,030件

I (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

②研究不正防止の取組の推進



評価軸

・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ため、専門の部署を設置したか。

- 医療法制、法律等の知識・経験を有する専門的人材を擁する研究公正・法務部を設置した。
- 文科省、厚労省、経産省の各ガイドラインを受けた統一的な規則となる、「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」を制定・改定公表した。
- 不正行為等の告発等窓口等を設置した。

評価軸

・自らが配分する研究費により実施される研究に対して、公正かつ適正な実施の確保を図ったか。

1. 研究費の不合理重複・過度集中の排除と不正防止に向けた啓発活動

- 各部門との連携を通じ、研究の構成かつ適正な実施の確保に向けて、次の取組を推進した。
 - ・ e-Rad、研究提案書等の情報に基づき、研究費の不合理な重複及び過度の集中について確認した。
 - ・ 公募要領、事務処理説明書、契約書等に法令等遵守、不正時の措置等に関する記載をし、注意喚起した。
 - ・ 研究者や事務に従事する者等を対象とした法令、指針遵守等のための説明会を開催した。
(平成27年度18回開催、4,296人参加)
 - ・ ホームページ等による募集を行い、研究機関等からの要請に応じ、講習会を実施した。(3機関、計628名参加)
- その他、以下の対応等を行った。
 - ・ 不正規則、公募要領、事務処理説明書、契約書等の各種文書や、リサーチレジデント等制度の法的観点からの検討を行った。
 - ・ e-Rad情報のメンテナンス、不正者リストの整備を行った。
 - ・ 事業部全課室が参加する研究公正連絡会において、不正者排除の具体的方策について、周知・徹底した。
 - ・ 不正事案への対応のため、他の配分機関における対応やフローについて聞き取りを行うとともに、AMED内関係部署と連携し協力体制について協議し、対応やフロー等について整備を行った。

I (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

②研究不正防止の取組の推進



評価軸

自らが配分する研究費により実施される研究に対して、公正かつ適正な実施の確保を図ったか。

2. 研究倫理教育プログラムの履修と利益相反管理

- AMEDの所管する研究費により行われる研究活動に参画する研究者全員を対象とする、研究倫理教育プログラムの履修を義務づけ、その旨をホームページにて公表するとともに、研究機関に文書を発出した。
- 各研究開発課題における各種の倫理指針の遵守状況や利益相反管理の状況を、AMEDに報告していただく体制を整備している。平成27年度は「厚生労働科学研究における利益相反の管理に関する指針」に対応する事業について、利益相反管理を行うとともに、同管理と各種指針の遵守状況について報告書の提出を求めることとし、研究機関に周知した。
- 平成28年度以降における利益相反管理、同管理と各種指針の遵守状況に関する報告書の、AMEDへの提出の制度に関する規則の制定等を行いホームページにて公表するとともに、研究公正連絡会において、利益相反管理の具体的方策について、周知・徹底した。

<モニタリング指標>

- ・研究倫理教育プログラムの履修及び利益相反管理の要請数

	H27年
要請数	1,030件

3. 適正な臨床研究推進に向けた取組

- 臨床研究実施機関(14機関)に対して「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」への適合性調査を実施し、その結果を受けた指摘を行うとともに、その後の改善計画も求めフォローアップを実施した(治験適正推進事業)。

I (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

②研究不正防止の取組の推進



評価軸

・業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正の防止に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成に努めたか。

- 日本学術振興会、科学技術振興機構と連携・協力し、研究機関等における研究倫理教育の着実な実施や高度化等に資するためシンポジウム「日独国際シンポジウム 研究公正を高める取組について～日独の取組の実践例～」を、ドイツ研究振興協会（DFG）と共催した（9/30開催、134人参加）。
- Bio JapanにおけるAMEDブースにおいてポスター出展した（10/14～16開催）。
- 第1回研究倫理を語る会においてポスターセッションに参加した（11/30開催）。
- メディカルジャパン（2016年2/24～26）へポスター出展した。
- CITI Japan プロジェクト第2回 研究倫理教育責任者・関係者連絡会議を共催した。
- 利益相反管理に関するセミナーを開催した（2016年3/22開催、94名参加）。
- 先行する海外機関の取組状況の調査として、平成27年度は米国保健福祉省（DHHS）の研究公正局（ORI）を訪問しインタビュー調査を実施した（11/29～12/5）。
- 研究機関等における研究倫理教育に関する現状・ニーズ調査を実施した。
- AMED課題に関する契約解除、参加制限、不正に関する相談、米国における訴訟等、各種個別案件に対応した。

<モニタリング指標>

・研究不正防止に係る外部向け説明会、展示会等開催回数及び参加者数

	H27年
開催回数及び参加者数	25回、4,524人

I 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事項

(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臨床研究及び治験データマネジメントの実行

I (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臨床研究及び治験データマネジメントの実行



評価(自己評価)

B

臨床研究及び治験の質を確保するためのパイロット事業の実施、CRC・DM養成研修の実施、新たにICT基盤整備に係る研究事業の立ち上げ研究を推進するなど、「臨床研究及び治験データマネジメントの実行」に向けた取組を着実に実施した。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められ、着実な業務運営がなされている。

① 研究マネジメントの効率的な実施

- 一部の課題を選定のうえ、臨床研究・治験の質を確保するため、質の高い人材を擁する国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所に業務委託し、機構のマネジメントを充実して行う体制を作ること、PDCAサイクルの充実・加速を図った。
- 知財部との連携を通じて研究データの管理(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の検討を実施(革新的医療技術創出プロジェクト)

② 臨床研究コーディネーター(CRC)及びデータマネージャー(DM)の育成

- 質の高い臨床研究を実施に資するべく、CRC及びDMの養成研修(上級CRC研修、DM研修)を開催。定員を上回る申込みのもと計約200名の参加者を得た。

③ ICT基盤構築に係る研究の推進

- ICTを用いた医療・介護・健康分野のデータを臨床研究等に効果的に利用するための方策に関する国の議論の動向を踏まえ、平成27年度第1回及び第2回の調整費により、新たに以下の2研究事業を立ち上げ、合計5課題を採択、PS/POとともに当該分野の研究を推進
 - 「臨床等ICT基盤構築研究事業」
 - 「地域横断的な医療介護情報のICT化により、世界最先端の臨床研究基盤等の構築を加速するための研究事業」

I (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臨床研究及び治験データマネジメントの実行



評価軸

・臨床研究及び治験に係る計画書(プロトコル)の策定、研究の進捗状況の把握、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なったか。

1. 研究マネジメントの実施

- 医薬品・医療機器等の実用化を目指す研究課題に対して、PDCAサイクルに基づく一貫した研究マネジメントを実施した。これに当たっては、試験的に、一部の課題を選定のうえ、臨床研究・治験の質を確保するため、臨床研究・治験に精通する医師や企業等での開発経験を持つ人材といった極めて質の高い非常勤職員を擁する国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所(以下、基盤研)に業務委託し、機構によるマネジメントを充実して行う体制を作ること、PDCAサイクルの充実及び加速を図った。具体的には115課題の進捗管理を業務委託し、内25課題に対して、基盤研がサイトビジットを実施した。
- 革新的医療技術創出プロジェクトにおけるサイトビジットにAMED知財部が同行することや、臨床研究・治験推進研究における研究開発提案書に知財に係る欄を設けた上で知財部と連携を図ることなどを通じ、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。また、機構内に設置した知的財産管理・相談窓口(Medical IP Desk)を通じて、研究機関における知的財産管理や特許取得戦略立案等の相談を実施。

2. 臨床研究コーディネーター(CRC)及びデータマネージャー(DM)の育成

- 質の高い臨床研究を実施できるようにするため、臨床研究コーディネーター(CRC)の経験を積んだリーダーシップが取れる上級者CRCやデータを迅速にまとめ、その質を確保するデータマネージャー(DM)を養成するため、上級者CRC研修を2回、DM研修を1回開催した。東京会場で実施した両研修については、定員を上回る申し込みがあった。

<モニタリング指標>

	H27年
臨床研究コーディネーター(CRC)研修の実施状況(回数及び人数)	2回、98名
データマネージャー(DM)研修の実施状況(回数及び人数)	1回、90名

I (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臨床研究及び治験データマネジメントの実行



3. ICT基盤構築に係る研究の推進

○国の議論の動向を踏まえ、「地域横断的な医療介護情報のICT化により、世界最先端の臨床研究基盤等の構築を加速するための研究事業」及び「臨床研究等ICT基盤構築研究事業」の2事業により、ICTを活用し、医療・介護・健康分野のデータを臨床研究等に効果的に利用するための研究を推進。

【臨床研究等ICT基盤構築研究事業】

- ◆ 平成27年度の新規事業として、平成27年度第1回調整費による一次公募で3課題を新規採択し、全国共同利活用型国際標準化健康・医療情報の収集及び利活用に関する研究、ISO13606を用いたEHRシステムの構築やAIM-DB(医用人工知能研究DB)の構築の研究を開始した。
- ◆ 平成27年度第2回調整費による二次公募では、NCDを用いた次世代型EBM診療サポートシステムの構築-次世代型Evidenced Based Medicineの基盤形成-に関する研究課題を開始した。

【地域横断的な医療介護情報のICT化により、世界最先端の臨床研究基盤等の構築を加速するための研究事業】

- ◆ 平成27年度の新規事業として一次公募で1課題を新規採択し、地域横断的な医療介護情報のICT化により、世界最先端の臨床研究基盤等の構築を加速するための研究を開始した。平成27年11月に採択課題の進捗状況ヒアリングを実施し、DPC・NDBデータの利用設定が完了、看護職員の動態把握のための機器の準備が完了し、いずれも本研究に着手されたことを確認した。

I 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事項

(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

④ 実用化へ向けた支援

I (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

④ 実用化に向けた支援



評定(自己評価)

B

知的財産管理・相談窓口の設置、研究機関における知的財産管理・取得戦略の立案支援、医療分野の知財動向調査等の実施及び調査結果の共有、研究機関のセミナーへの講師派遣や「医療研究者向け知財教材」の作成など知財人材の啓発活動等の取組を着実に実施した。また、研究成果活用促進施策の試行的な実施、PMDAやINCJとの連携協定の締結、再生医療等の分野におけるレギュトリーサイエンス研究の強化など、実用化に向けた支援を着実に実施した。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められ、着実な業務運営がなされている。

① 知的財産管理・相談窓口の設置

- 知的財産専門人材による知的財産管理・相談窓口を設置・周知
- 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・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推進

② 知的財産取得に向けた研究機関への支援

- 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
- 主要な医療分野の知財動向調査等を実施し、シンポジウムを開催してその結果を広く公表しつつ関係者とともに研究・知財戦略策定の議論を深めた
- セミナーへの講師派遣や「医療研究者向け知財教材」を作成により、知財人材の啓発活動実施
- 研究成果の早期導出のための成果活用促進施策を試行的に運用開始

③ PMDAと連携した実用化への橋渡しの促進

- 医薬品医療機器総合機構(PMDA)と連携協定を締結し、双方の機能・知識・経験を相互活用する協力体制を構築。

④ 官民ファンド等に研究開発の成果をつなげ、実用化を促進するための取組の支援

- 株式会社産業革新機構(INCJ)と連携協定を締結し、技術開発等の成果の事業化促進や産業技術の振興などに係る協力体制を構築

⑤ レギュトリーサイエンス研究の支援

- 国立医薬品食品衛生研究所(NIHS)との連携による再生医療等の安全性評価に関わる研究を強化
- PMDAとの連携の枠組みを活用し、レギュトリーサイエンス研究の新規課題を設定する取組の検討を開始
- レギュトリーサイエンスに精通した若手研究者の育成のため、リサーチレジデントのシステムを活用した支援を実施

・知的財産管理・相談窓口、知的財産取得戦略の立案支援等の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ったか。

2. 知財相談を計197件(内部からの相談を含む)受け、出願戦略や権利化戦略等の助言を実施した。相談内容は、FAQに整理してWeb公開。

Medical IP Desk
03-6870-2237
medicalip@amed.go.jp



FAQ

※質問時間をクリックすると、下に回答が表示されます。

1. **特許知識**
2. **Model IP Desk** (企業向け特許相談窓口)
3. **知財ナビ**
4. **日本発明家・発明家・知財支援**

1. 特許知識

Q ヒトの脳内化学伝達物質について特許を取得することはできますか。

A 論文や学術で特許を無視したとしても、特許法に基づいて出願しても、特許性要件の客観性（特許法第24条）の判断をめぐってどのような特許も取得することはできません。

Q 他人の特許権利を無視する場であっても、研究目的であれば、特許権を侵害することはならないとされていますか。

＜モニタリング指標＞

相談件数

H27年度

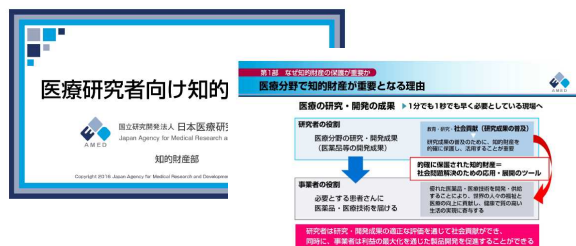
計197件

4. 医療研究者向け知財教材を作成してHPで公開、医療研究者の知財理解度の向上を支援。

「医療研究者向け知財教材の作成」

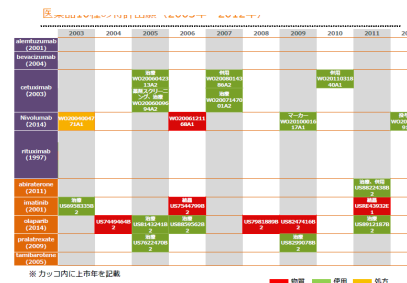


・全国計33回



5. がん分野、BMIの技術動向調査及び医薬・バイオ分野の外国特許出願戦略、重点プロジェクトに関する特許調査を行い、シンポジウムで結果を広く周知。

「技術動向調査、知財出願調査の実施と結果周知」



I (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

④ 実用化に向けた支援

評価軸

・企業への情報提供・マッチング、知的財産の導出(ライセンスアウト)及びワンストップサービスの提供等といっ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ったか。

1. AMED研究プロジェクトの成果を早期に産業界へ導入するため、産業界と商談会の共同開催を企画。研究成果の早期導出を図るため、国内外で開催される医療・バイオ分野の展示会・商談会等計4カ所への出展調整を実施。



「研究成果の早期導出を図るための展示会・商談会の例」



- ・国際バイオテクノロジー展
- ・MEDICA
- ・BIOヨーロッパ
- ・国際医療福祉機器展等



2. 医療系の研究成果の企業連携・産学連携の進め方について、複数のTLOや民間技術移転機関との間で意見交換を行った。速やかな連携ができる体制の構築に向け、シーズ・ニーズのマッチングシステムの検討、外部機関との間での試行的なライセンス支援等の取り組みを開始。



I (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

④ 実用化に向けた支援



評価軸

・独立行政法人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・助言の機能の具備を図ったか。

1. PMDAと連携した実用化への橋渡しの促進

○日本発の革新的医薬品・医療機器等の創出に向けて、AMEDとPMDAのそれぞれが持つ機能・知識・経験を相互に活用する体制を構築するために連携協定を締結(平成27年8月19日)

(協定締結後の具体的な取組例)

- ◆ PMDAの薬事戦略相談に該当する可能性のある機構事業を一覧化しPMDAに情報提供
- ◆ 公募要領作成において、実用化段階に移行する研究課題については、原則的に採択後、PMDAの薬事戦略相談を受けることを採択の条件とする他、積極的に薬事戦略相談を受けていただくことを明記。
- ◆ AMED及びPMDA各々の実施する内部研修について、相互に参加できる仕組みを構築。また機構の内部研修にPMDAから講師を招聘し、内部トレーニングを実施した。また、PMDAにおいて実施される科学委員会等に参加できる形を構築し、レギュラトリーサイエンスの最新動向の情報収集を実施。

<モニタリング指標>

	H27年度
PMDAと連携した出口戦略の策定・助言数	204件

2. レギュラトリーサイエンス研究の支援

○NIHSとの連携により、重点的に支援すべきレギュラトリーサイエンス研究を精査し、再生医療、抗体医薬等の安全性評価に関わる研究を強化。

○PMDAにおける審査業務から得られる最新の知見・情報に基づいた、レギュラトリーサイエンスの新規課題を設定する検討を開始。

○レギュラトリーサイエンスに精通した若手研究者を育成するため、リサーチレジデントのシステムを活用した支援を実施。

I (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

④ 実用化に向けた支援



評価軸

・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ったか。

○医療分野の研究開発成果の実用化を目的として、株式会社産業革新機構(INCJ)と相互協力協定を締結(平成28年3月18日)。概要は以下の通り。また、機構が支援している課題に関連して、2社がINCJから出資を受けた(株式会社アクアセラピューテックス及びステラファーマ株式会社)。

① 技術開発等の成果の事業化促進等

機構は、事業化を前提として実施又は支援している技術開発等の事業について、INCJに対してその技術開発内容、成果、知的財産、事業者等を紹介する。また、INCJは機構の事業に資するため、国際的な市場動向等を踏まえた技術ニーズや、技術の事業化に当たって想定される課題について、情報提供や助言を行う。

② 産業技術の振興

機構及びINCJは、医療分野の研究開発成果の実用化を通じた産業の創出に向け、産業動向、技術動向等に関する両者の知見を共有し、相互に連携及び協力を行う。

③ 連絡検討会の設置

上記①及び②を推進するため、連絡検討会を設置し、業務の連携・協力に係る具体的な企画立案並びにその実施に係る調整及び情報交換等を行う。

○その他、研究開発の成果の実用化を促進する取組として以下を実施。

- ・ 産学連携による医療分野の研究開発を推進するため、必要となる要素や解決手法を検討し、その結果を受けて産学連携医療イノベーション創出プログラム(ACT-M: ACceleration of Transformative research for Medical innovation)を創設し、産学連携による研究開発課題を公募。(応募:109件 採択:12課題)
- ・ 研究成果最適展開支援プログラム(A-STEP)、戦略的イノベーション創出推進プログラム(S-イノベ)、産学共創基礎基盤研究プログラムにおいて、実用化を促進する取組を実施。

→A-STEPを実施中の(株)アクアセラピューテックスがINCJから4.5億円の増資を受けた。

I 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事項

(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

⑤研究開発の基盤整備に対する支援

I (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

⑤ 研究開発の基盤整備に対する支援



評定(自己評価)

A

診断技術や機器をシームレスに開発するための支援を実施するとともに、革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備、バイオバンク・バイオリソースの構築など研究開発の基盤整備に対する支援を実施した。こうした取組の結果、乳がん、大腸がんなど5つのがんの早期診断に有用なmiRNAセットの選定成功とこれに基づく15件の特許申請、産学連携のもと次世代抗体医薬の技術開発・製造機能を併せ持つ国内初のGMP施設の稼働などの画期的な成果を創出した。また、機構の効果的な研究開発マネジメント等に資する「研究開発課題管理システム」の開発・試行版の構築、革新的医療技術創出拠点以外の研究機関及び専門領域の研究者間の連携強化・推進を目指した革新的医療技術創出拠点プロジェクトと他の8つの連携プロジェクトとの合同シンポジウムを開催するといった画期的な取組を実施するなど、所期の目標を上回った。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業(マイクロRNA測定技術基盤開発)

- 13のがん疾患を対象に含め約22,000例を解析
- 乳がん・大腸がん・胃がん・食道がん・肝がんについて早期診断に有用なmiRNAセットを選定
- これらの成果をもとに15件の特許申請を実施

② 次世代抗体医薬等の製造技術

- 我が国初の抗体生産技術のマザー工場となるGMP施設を完成、検証実験を開始
- アカデミアによるシーズ探索を抗体医薬品の生産につなぐ中で、抗体製造の技術開発を国内で実施する体制を整備

③ 研究開発成果のデータベース化に向けた取組

- 研究開発成果のデータベース化に向けて、「研究開発課題管理システム」の試行版を構築
- プロジェクトや事業を跨いだ効率的かつ効果的な課題管理の実施に大きく貢献

④ 革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備

- 拠点の強化、体制整備を進めるため、合同会議による拠点間の情報共有やサイトビジットによる改善指導・助言を実施
- 革新的医療技術創出拠点プロジェクトと他の8つの連携プロジェクトとの合同シンポジウムの開催し、拠点外シーズも含めた拠点機能の紹介及び活用を図るなどの取組を実施

I (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

⑤ 研究開発の基盤整備に対する支援

評価軸

・新たなバイオマーカーを探索・解明することで実現する革新的な診断技術・機器、既知のマーカーを取り扱いやすく、非侵襲、低侵襲で、正確かつ低コストで測定できる診断技術や機器をシームレスに開発するための体制を整備したか。

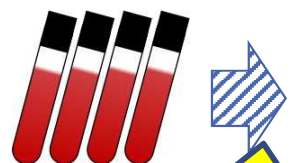
マイクロRNAによる5つのがんの早期診断を実証

研究概要

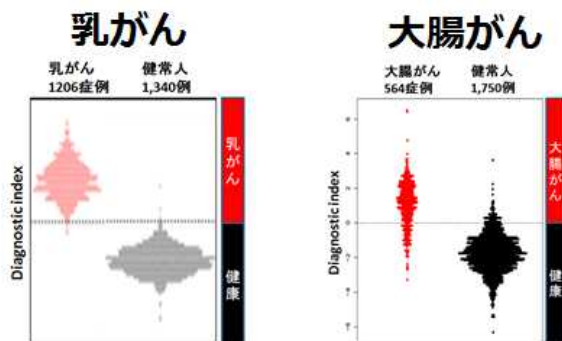
蓄積された膨大な臨床情報とバイオバンクの検体を活用して、血液中マイクロRNA発現データベースを構築し、網羅的に解析する。これにより、乳がんや大腸がんなど13種類のがんや認知症の発現データを取得し、低侵襲で高感度なマルチマーカーによる診断システム技術として世界に先駆け実用化することを目指す。

研究成果

患者血清約22,000例の網羅的miRNA発現データを取得した。結果を解析し、乳がん・大腸がん・胃がん・食道がん・肝がんについては早期診断に有用なmiRNAセットを選定することに成功した。これらの成果をもとに15件の特許申請。



2500種類のマイクロRNAの有無及び含有量を確認



今後マイクロRNAを利用して早期がんを見分ける診断技術確立する

抗体医薬品製造のマザー工場が本格稼働

研究概要

国内のバイオ医薬品製造技術を開発している25企業、2大学、3機関が参加の「次世代バイオ医薬品製造技術組合（MAB）」と他大学法人が連携し、抗体製造に係わる以下のような各種製造基盤技術を開発中：
①バイオ医薬品製造にふさわしいCHO細胞を用いたオリジナルな生産細胞系、②ハイスループットな細胞構築システム（装置）、③培養槽シミュレーション技術を利用した培養槽、④高性能な分離材、⑤糖鎖解析および凝集体解析技術、⑥開発した技術評価体系の整備、⑦ウイルス管理技術、⑧開発した技術評価体系の整備

研究成果

バイオ医薬品製造に関わる技術開発と製造の機能を併せ持つ国内初のGMP施設を、神戸大学統合研究拠点に設置し、抗体製造に関わる開発技術検証に向け、平成27年度末より本格稼働を開始した。

現在、製造技術検証用の抗体生産細胞を用いてテストランを実施し、ベンチマークとなる「設備の実証データ」を取得中である。



I (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

⑤研究開発の基盤整備に対する支援



評価軸

・革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備や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強化及びモデル動物等のバイオリソースの整備等を行ったか。

1. 革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備

○拠点の強化・体制整備に向けて、以下の取組を推進した。

- ・革新的医療技術創出拠点(以下、「拠点」という。)の合同会議を開催し(平成27年7月)、各拠点が支援しているシーズの開発進捗状況と今後の方向性を拠点間で共有。また、PD(PS)、PO、厚生労働省、文部科学省及び拠点代表者と全体会議を開催し(平成28年3月)、平成28年度の事業内容等や拠点の自立化の取組について共有。
- ・PD、PS、POと共にサイトビジットを実施し、必要に応じてARO機能等の改善に関する指導・助言を行った。
- ・研究支援に関わる人材の充実や教育体制の確立等により拠点機能の強化。(平成27年9月、平成27年度第1回調整費)

○拠点以外の研究機関との連携や専門領域の研究者間での連携の推進を目指し、平成27年11月～平成28年2月にかけて革新的医療技術創出拠点プロジェクト以外の8つの連携プロジェクトについて、機構内のプロジェクト担当課及び拠点等とプロジェクト連携シンポジウムの開催を企画し、8つの連携プロジェクトにおいてそれぞれ実施。

2. 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状況

○患者のバイオバンクの構築(オーダーメイド医療の実現プログラム)

- ・12医療機関の協力を得て、38疾患について患者よりDNA及び臨床情報を収集(平成27年度の同意取得数:16,338件、DNA採取数:15,661件)

○健常者のバイオバンクの構築(東北メディカル・メガバンク計画)

- ・同意に基づいて宮城県・岩手県の住民から生体試料及び健康情報(調査票)を収集するコホート調査を行うとともに、これら試料・情報を広く全国の研究者の医学研究への利活用のために提供するバイオバンクを構築。
- ・地域住民コホート調査(成人男女を対象):平成27年度に2.9万人をリクルート(平成25年度からの累計8万人の目標を達成)
- ・三世代コホート調査(妊婦とその子供・家族を対象):平成27年度に2.5万人をリクルート(平成25年度からの累計数が5.1万人(平成27年度目標数1.8万人、平成28年度末までの累計目標数7万人))

I (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

⑤研究開発の基盤整備に対する支援



2. 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状況(続き)

○ゲノム医療実現推進協議会「中間とりまとめ」を踏まえた取組

- ・我が国に相応しいゲノム研究・医療の基盤のあり方について提言を行うため、国内外の代表的な研究・医療機関のゲノム研究・医療に関する実態活動、計画等に係る調査を実施。
- ・3大バイオバンク(バイオバンク・ジャパン、ナショナルセンターバイオバンクネットワーク、東北メディカル・メガバンク計画)を「活用されるバンク」として再構築するため、日本製薬工業協会と意見交換会を開催し、バイオバンクの試料の質等について検討。
- ・上記中間とりまとめの「実利用に向けた効果的・効率的な研究の推進や研究環境の整備を行う必要がある」という提言を踏まえ、具体的な推進方策を検討するために、文部科学省、厚生労働省と連携し、実務者を中心とした外部専門家の検討の場として「ゲノム医療研究推進ワーキンググループ」を機構内に設置し、新たな枠組みや運用についての意見を集約して報告書を取りまとめ、平成28年2月に機構ホームページに掲載・公表。

＜モニタリング指標＞

	H27年度
バイオバンクの試料数	67,461件

3. モデル動物等のバイオリソースの整備状況

- 24バイオリソースの収集・保存・提供、及び情報提供(29バイオリソースの所在情報、関連知識情報及びゲノム情報等)に係る支援を推進。(「ナショナルバイオリソースプロジェクト」の「中核的拠点整備プログラム」「情報センター整備プログラム」)
- 事業全体の推進方針の策定等に資するため、PSを主査とする「ナショナルバイオリソースプロジェクト推進委員会」を設置。また、必要に応じてリソースの運営委員会への参加やPS、PO等とともにサイトビジット(メダカ、トマト、細胞性粘菌)を行い、拠点の状況を把握するとともに助言・指示を行った。
- 第4期(平成29年度開始予定)の在り方を策定するにあたり、推進委員会での論点整理を行うとともに、各リソースの現状と課題を知るために代表機関課題管理者に対するヒアリングを実施し報告書を取りまとめた。

＜モニタリング指標＞

	H27年度
バイオリソースの数	24件

I (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

⑤研究開発の基盤整備に対する支援



評価軸

・機構の研究開発の成果の利活用に向けたデータベース化を推進したか。

- 機構全体に集積される研究開発、研究費、研究者に関する情報を研究開発マネジメントに活用するための情報システム「AMED研究開発マネジメントシステム(AMS)」を構築するべく、その仕様等については、事業部門を中心とした「情報システムタスクフォース」、「情報システムタスクフォースワーキングチーム」を設置し、検討を推進。
- 上記検討を踏まえ、平成27年度は、AMSの構築に向けて科学技術振興機構(JST)等との連携による「研究開発課題管理システム」の構築に向けて、9月30日にJSTと協定を締結、10月よりシステムの開発に着手し、3月末までに試行版を構築。研究開発課題情報を集約し、研究の開発情報を検索できる基盤を構築。

I 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事項

(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

⑥ 国際戦略の推進

I (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

⑥国際戦略の推進



評定(自己評価)

A

戦略や外交上重要とされる研究開発課題を推進するとともに、将来の協力を見据えたワークショップを開催するなど着実な業務運営がなされたことに加え、米国国立衛生研究所(NIH)等との国際連携体制を構築した。
希少・未診断疾患について、国際ワークショップの開催や国際共同研究を進めた結果、すでに1件の診断につながるなど、顕著な成果が認められ、所期の目標を上回った。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①諸外国との関係構築への取組(国際共同研究等の推進)

- 承継された共同研究の推進及び新規課題の公募・採択を着実に実施し、科学技術外交に貢献

③地球規模の保健課題への対応及び「日米医学協力計画」への取組

- 承継された共同研究の推進及び新規課題の公募・採択、日米医学協力計画に基づく各分野の研究を着実に実施
- 日米医学協力計画50周年記念式典やその関連行事への対応を実施

②国際協力体制の整備(国際コンソーシアム、希少疾病への対応等)

- IRDiRCを初めとする各種分野の国際コンソーシアムへの加盟
- NIH及びA*STARとの連携のための覚書の締結を果たすとともに、8つの国際ワークショップを機構主催で開催し、国際協力体制の構築に大きく貢献
- 希少疾病・未診断疾患に関して、これまで国内だけでは診断に至らなかった1件の未診断疾患の診断に成功した

I (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

⑥ 国際戦略の推進



評価軸

- ・我が国にとって真に価値のある国際共同研究を推進したか。
- ・我が国の医療に係る研究能力を活用して国際的にも貢献したか。

1. 諸外国との関係構築への取組(国際共同研究等の推進)

- 文部科学省が戦略的に重要なものとして設定した相手国との国際共同研究及び国際科学技術協力を推進。具体的には次のとおり。
 - ・ カナダと幹細胞のエピジェネティクスの領域で戦略的国際共同研究を推進しており、一方、スイスとライフサイエンス、ドイツと計算論的神経科学、南アフリカとライフサイエンス、フィンランドとメディカルサイエンス、インドとバイオ医薬研究、ブラジルとバイオマス・バイオテクノロジー、イスラエルとライフサイエンス、イギリスと先端健康科学、それぞれの分野で戦略的国際科学技術協力(9カ国34件)を承継して着実に推進。
 - ・ 平成27年度には、新たに、アジア・大洋州等の18か国による国際共同研究プログラムで感染症領域の国際共同研究(6件)を推進しつつ、感染症領域及びがん研究領域の新たな公募を実施。
- 政府開発援助(ODA)との連携によるアジア・アフリカ等の開発途上国との共同研究：承継した11件の共同研究を着実に推進するとともに、感染症領域の新たな公募を実施。
- アフリカ諸国との感染症分野における国際共同研究等による継続的な拠点協力：承継した2件の着実に推進。
- 首脳宣言に基づいた取り組み：アフリカにおける顧みられない熱帯病(NTDs)対策のための国際共同研究プログラムを平成27年度第1回調整費を活用して新たに立ち上げ、3課題を推進(新規連携相手国に1か国追加。)
- 以上、国際事業の研究開発課題に関わる国は24か国(アジア 9か国、北米 2か国、中南米 1か国、欧州 4か国、中東 1か国、アフリカ 7か国)。

2. 国際協力体制の整備(国際コンソーシアム、希少疾病への対応等)

- 医療研究開発の国際コンソーシアムである、①国際希少疾患研究コンソーシアム(IRDiRC)、②薬剤耐性についてのコンソーシアム(jpiamr)、③感染症対策の研究連携についてのコンソーシアム(GIoPID-R)等、5つの国際コンソーシアム等に加わったことにより、国際協力に向けた体制を整備した。
- 国際的な連携の基盤とすることを目的として、米国国立衛生研究所(NIH)及びシンガポール科学技術研究庁(A*STAR)との連携のための覚書署名を行い、並行して8件の国際ワークショップを開催し協力連携分野の検討を進めた。
- 希少・未診断疾患に関しては、IRDiRCへの加入とともに、NIHとの覚書に基づく、ワークショップの開催(平成27年度第1回調整費を活用)や連携を進めた結果、1件の未診断疾患の診断に成功するなどの成果を得た。
- また、機構の海外業務を行うため、3か所(ワシントンDC、ロンドン、シンガポール)の海外事務所について、平成28年度の設置に向け、着実に準備を進めた。

I (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

⑥国際戦略の推進

3. 地球規模の保健課題への対応及び「日米医学協力計画」への取組

- 地球規模保健課題に関する各国の状況等について実際に調査を行い、WHO等の国際機関と適宜連携しながら我が国の知見や経験を基盤に各国の状況に沿った対策を作成・提案する、承継した16件の研究を着実に実施。また新たな公募を行い新規課題採択。これらの研究を通して、国際的な規範や開発途上国の保健政策の作成、改訂に寄与。
- 日米医学協力計画においては、AIDS等ウイルス分野、コレラ等寄生虫・細菌分野、栄養・代謝、環境ゲノミクス・疾病の各分野において、アジア地域に蔓延する疾病に関する研究内容を共有して実施するとともに、平成27年度第1回調整費を活用して平成28年1月に日米医学協力計画50周年記念式典及びその関連行事を行い、これまでの10年間の協力関係を日米で見直すとともに、今後に向けた計画の見直し等を行った。

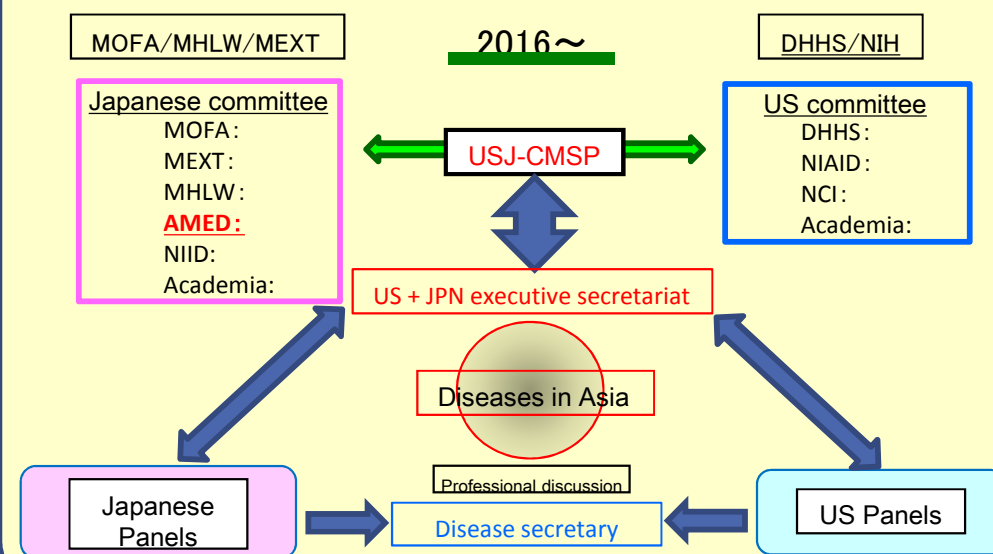
地球規模保健課題解決のための研究事業

(研究開発課題例)

- ・ 日本の先端情報科学技術を利用したユニバーサル・ヘルス・カバレッジ達成のための保健医療サービス提供の最適化に関する研究
- ・ モバイル情報通信を使用した災害時の精神保健・心理社会的支援に関する研究

→ 国際的な規範や開発途上国の保健施策の作成、改訂に寄与

2016年以降の日米医学協力計画の推進体制



<モニタリング指標>

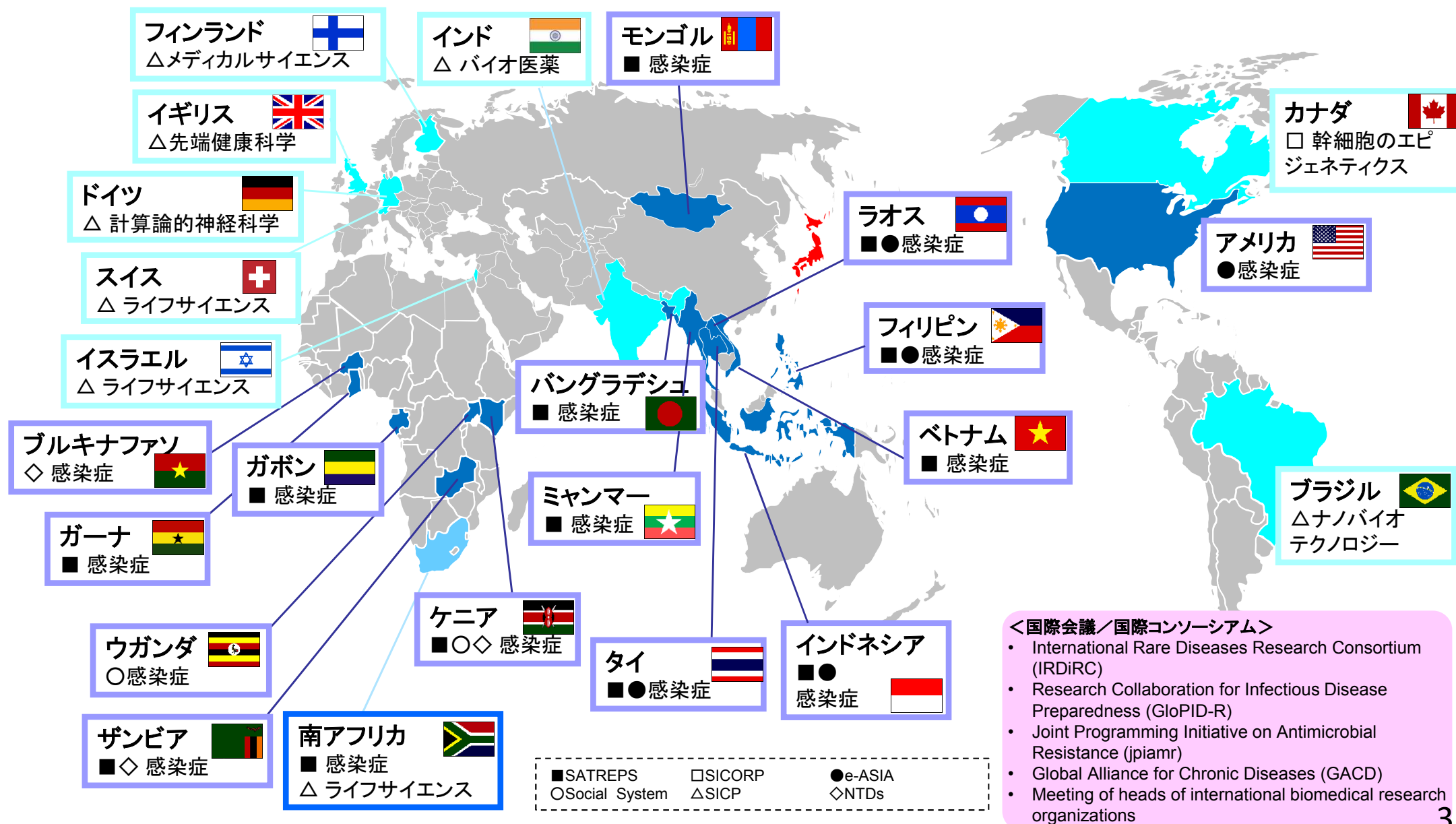
	H27年度
相手国への派遣研究者数	515件
相手国からの受入研究者数	148件
参加している国際コンソーシアムの数	5件
開催した国際ワークショップの数	8件

I (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

⑥ 国際戦略の推進

《AMEDの国際連携の例》

・ 共同研究・研究交流の推進



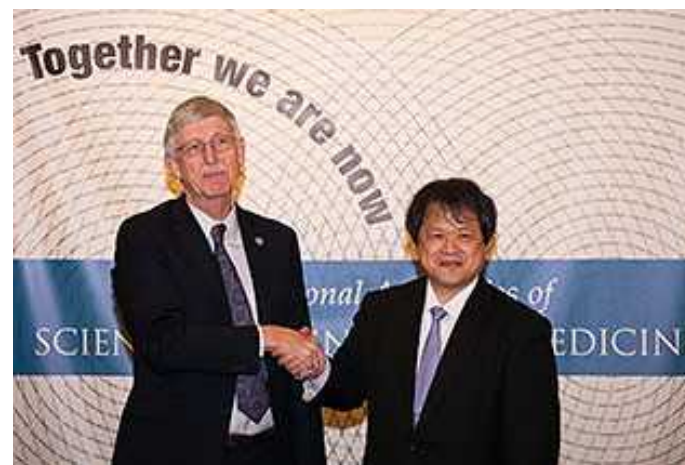
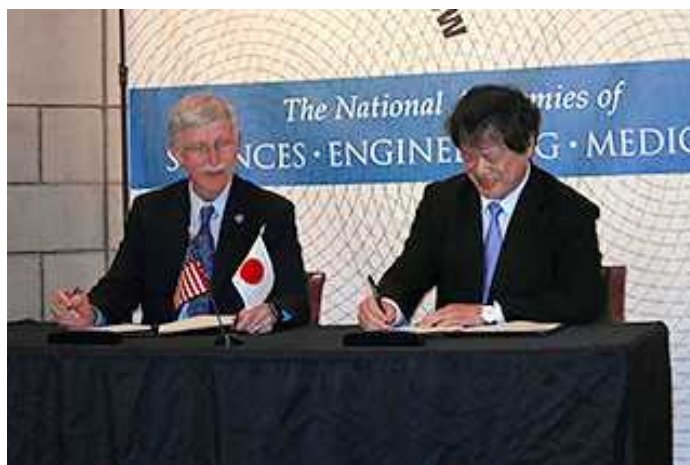
I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥ 国際戦略の推進

《AMEDの国際連携の例》

○米国国立衛生研究所(NIH)との研究協力に関する覚書を締結

- ・米国にて平成28年1月12日(現地時間1月11日)に、米国国立衛生研究所(以下、NIH)と研究協力に関する覚書を締結。
- ・NIHとの共同研究、共同セミナー・シンポジウム、人材交流が実施されるとともに、研究成果に係るデータ・シェアリングの推進等に期待。



※右側写真:
米国国務省提供

覚書締結の様子(写真内／左:NIHフランシス・コリンズ長官、右:AMED末松誠理事長)

○国際ワークショップを開催

- ・AMEDの国際戦略を推進するに当たり、平成27年度医療分野の研究開発関連の平成27年度第1回調整費を活用し、連携分野候補の妥当性や実現可能性を検証するとともに、各個別事業の将来的な国際連携の検討に資することを目的として、次のとおり国際ワークショップを開催

	開催時期	開催地
日米 希少・未診断疾患	平成27年10月	日本
日印 バイオ医学(SICP課題合同)	平成28年2月	日本
日米 がん	平成28年3月	日本
日英 バイオバンク	平成28年3月	イギリス
日星 エイジング	平成28年3月	シンガポール
日独 機能的代謝イメージング	平成28年3月	ドイツ
日欧 創薬支援	平成28年3月	イギリス
日米 脳科学	平成28年3月	日本

I 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事項

(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

① 医薬品創出

I (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

① 医薬品創出



評価(自己評価)

A

既存の取組に加え、DISC、創薬支援インフォマティクスシステム構築、GAPFREE、希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業、構造展開ユニットの創設、次世代PPI 阻害ライブラリの構築等の新たに画期的な取組を開始した。こうした取組の結果、乳がん、大腸がんなど5つのがんの早期診断に有用なmiRNA セットの選定成功とこれに基づく15件の特許申請、産学連携のもと次世代抗体医薬の技術開発・製造機能を併せ持つ国内初のマザー工場となるGMP施設の稼働などの画期的な成果を創出するとともに、「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトの中で、3件の企業導出(創薬支援推進事業(創薬総合支援事業)からは0件)(2020年頃までの達成目標:5件)につなげるなど、所期の目標を上回った。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① 成果目標達成状況(評価指標)

2015年度の全目標に対して、着実に件数を重ねすべてにおいて目標達成。

- ・相談・シーズ(目標 2015年度:400件) 421件
- ・有望シーズへの創薬支援(目標 2015年度:40件) 44件
- ・企業への導出(ライセンスアウト)(目標 2015年度:1件) 3件(創薬支援推進事業(創薬総合支援事業)からは0件)
- ・創薬ターゲットの同定(目標 2020年頃まで:10件) 8件

② 創薬支援推進事業(創薬総合支援事業)

- 創薬支援ネットワークの本部機能を独立行政法人医薬基盤研究所(当時)から国立研究開発法人日本医療研究開発機構に移管するとともに、創薬支援戦略部が選定した創薬シーズについて創薬支援ネットワーク構成機関等と連携の上、技術支援体制及び、運営並びに意思決定する体制も構築して当初目標を上回る44件の創薬支援を行うなど、順調に運営していることは評価できる。

② 創薬支援推進事業(創薬総合支援事業)[続き]

- 支援を行うアカデミア発創薬シーズの選定にあたって評価手順及び基準を定めるなど、適正な評価体制を確立したことは評価できる。
- 「導出に関する基本的考え方」を策定し、企業導出に向けた取組を開始したことは評価できる。

③ 創薬支援推進事業(創薬支援効率化事業)

- 製薬企業等が保有する低分子化合物群を用いて、アカデミア発創薬シーズ(創薬標的)に対するハイスループット・スクリーニング(HTS)を実施し、その結果を会員企業にフィードバックする取組としてDISCを構築するにあたり、大手製薬企業を含む22社より約20万化合物の提供を得るとともに、DISC臨時総会を開催することにより規約の改定を行う等、DISCの適切な運営体制を整備し、HTSを開始したことは評価できる。

I (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

① 医薬品創出



④創薬支援推進事業

(希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業)

厚生労働大臣による希少疾病用医薬品指定前における医薬品開発を推進する仕組が存在せず製薬企業等における研究開発が進みにくい傾向にある希少疾患領域の医薬品開発を推進するために、希少疾病用医薬品の製造販売承認取得を目指す研究開発型企业等に対する実用化支援を行う「創薬支援推進事業(希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業)」を構築し、開始したことは評価できる。

⑤創薬基盤推進研究推進事業

- 革新的新薬の開発に向けて、アカデミアにおける良質な臨床検体収集体制及び先進的なオミックス解析技術と製薬企業における創薬ノウハウをつなげる研究スキームを作成し、産学官共同研究プロジェクトとして前向き臨床研究の準備やオミックス解析に向けた体制を整備
- 次世代PPI阻害ライブラリーの構築を目指し、ベンチャー企業の有するノウハウ・創薬技術を活用して、化合物の設計、合成法の検討、化合物合成に着手

⑥創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業

- アカデミアでは困難とされていた化合物最適化研究を可能とするため、①eye ball(合成可否・有用性の見極め)、②structure design(構造展開)、③synthesis(合成)からなる構造展開を一体的に行える「構造展開ユニット」を設置

⑦次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業(マイクロRNA測定技術基盤開発)

- 13のがん疾患を対象に含め約22,000例を解析
- 乳がん・大腸がん・胃がん・食道がん・肝がんについて早期診断に有用なmiRNAセットを選定
- これらの成果をもとに15件の特許申請を実施

⑧次世代抗体医薬等の製造技術

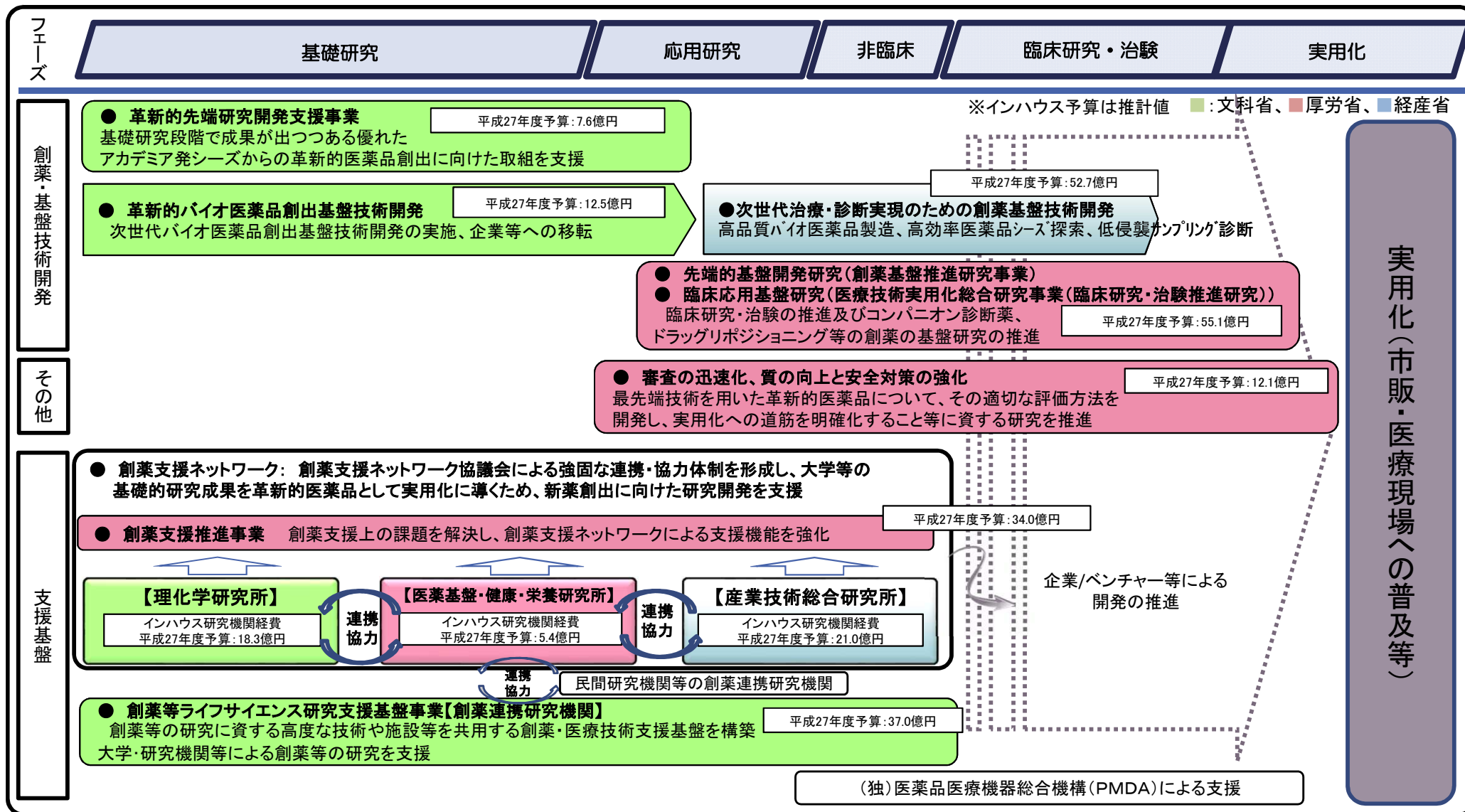
- 我が国初の抗体生産技術のマザー工場となるGMP施設を完成、検証実験を開始
 - アカデミアによるシーズ探索を抗体医薬品の生産につなぐ中で、抗体製造の技術開発を国内で実施する体制を整備

I (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

① 医薬品創出

概要

創薬支援ネットワークの構築により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。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。



I (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

① 医薬品創出

評価軸

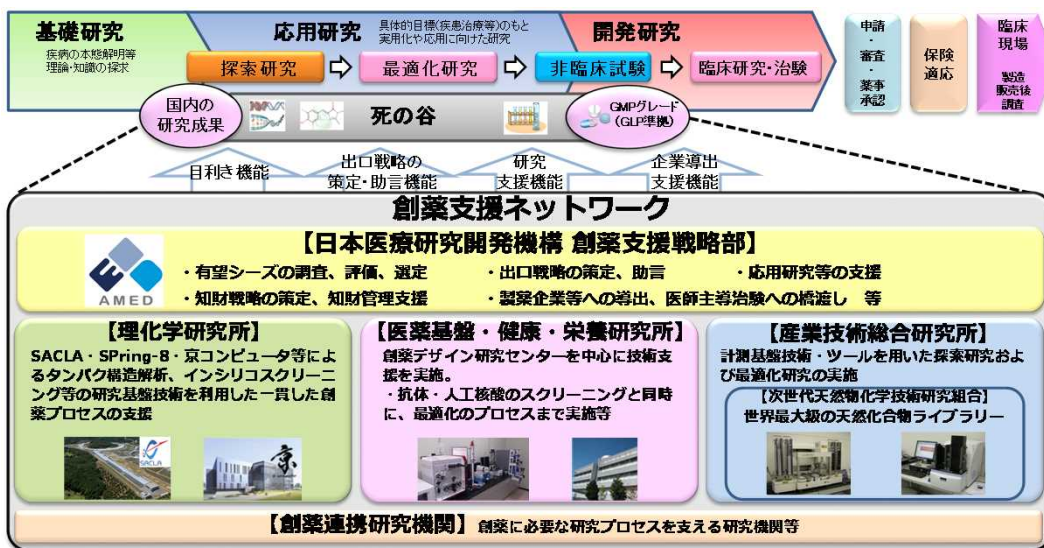
創薬支援ネットワークの構築により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図ったか。

創薬支援ネットワーク

概要

●創薬支援戦略部が本部機能を担い、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の創薬関連研究機関との連携により、革新的医薬品の創出に向けた支援体制を整備。

●大学・公的研究機関等で生み出された優れた基礎研究(創薬シーズ)のうち、医薬品としての実用化の可能性の高い創薬シーズについて、創薬関連研究機関が保有する創薬技術、設備等を活用して、探索研究から前臨床開発、権利化、企業導出等を切れ目無く総合的に支援。

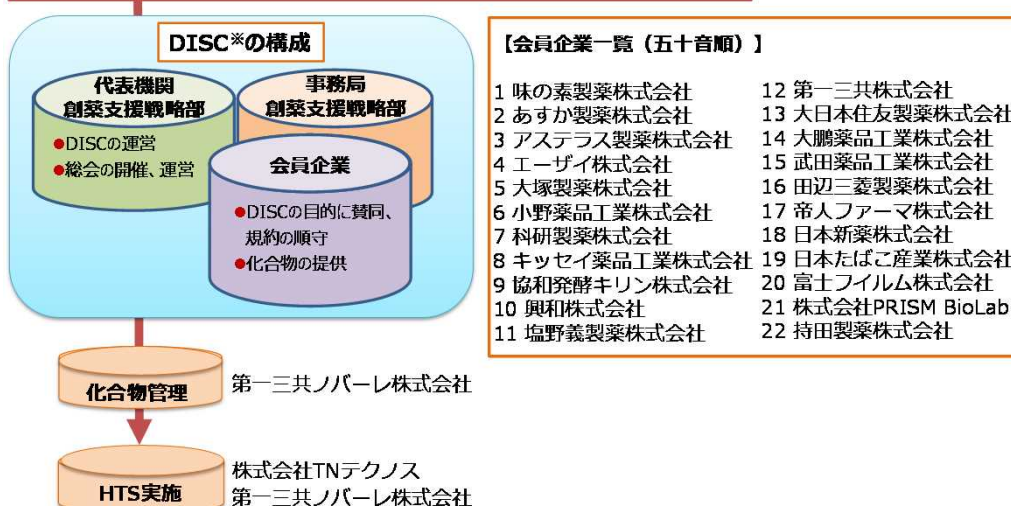


産学協働スクリーニングコンソーシアム (DISC)

研究概要

- 創薬支援戦略部が目利きしたアカデミア発の創薬標的
 - 製薬企業等の会員企業22社がHTS※用の低分子化合物を提供(約20万化合物)
 - HTS実施経費は創薬支援戦略部が負担し、外部機関に委託
 - HTSの結果を会員企業にフィードバック
- ※HTS (High-throughput screening)

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



■「創薬支援インフォマティクスシステム」構築

創薬支援ネットワークに資する創薬基盤を構築するため、薬物動態と毒性を中心としたインシリコの統合解析プラットフォーム(データベース、モデリング機能、予測機能から成るシステム)を構築するための支援を開始。

I (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

① 医薬品創出



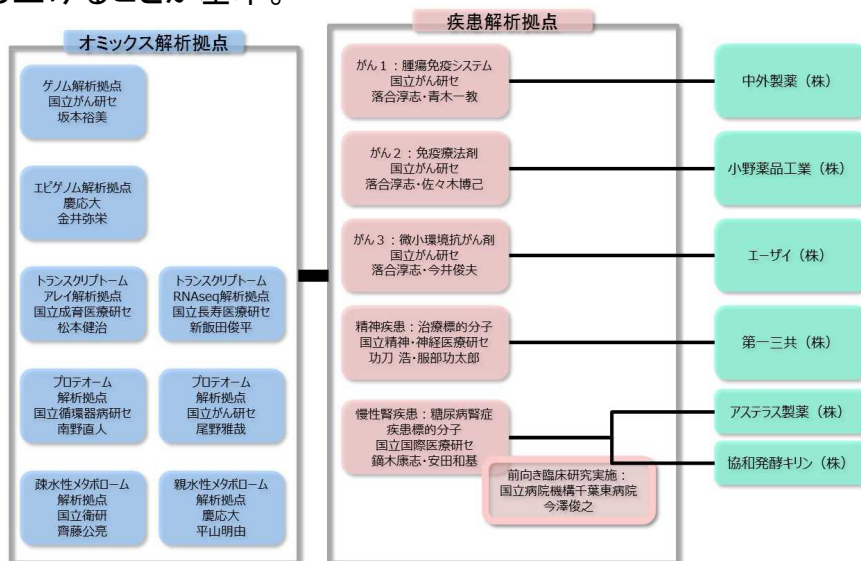
評価軸

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したか。

産学官共同創薬研究プロジェクト（GAPFREE）

研究概要

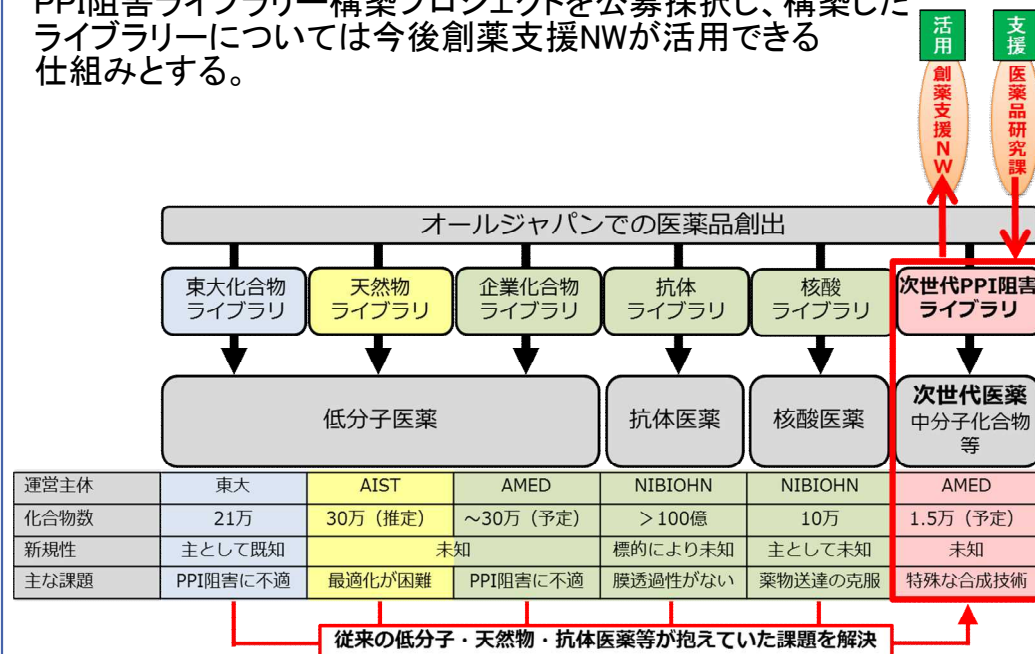
- 革新的新薬の開発に向けては、①アカデミアにおける良質な臨床検体収集体制及び先進的なオミックス解析技術と②製薬企業における創薬ノウハウをつなげる研究スキームが重要。
- 本プロジェクトは、参画企業も研究費を拠出の上、その研究成果を製薬企業による創薬等につなげることを前提としたAMED発の本格的な産学官共同研究プロジェクト。
- また、本プロジェクトでは、参画企業が必要とする臨床検体や付随する臨床情報等のニーズを踏まえて、オーダーメイドの前向き臨床研究を立ち上げることが基本。



次世代PPI阻害ライブラリ

研究概要

- 従来の低分子・天然物・抗体医薬の抱える課題を解決できる次世代PPI阻害ライブラリーの構築を目指す。
- また、次世代PPI阻害ライブラリーの構築に当たっては、ベンチャー企業の有するノウハウ・創薬技術を活用する。
- なお、ファンディング機能を有する医薬品研究課が次世代PPI阻害ライブラリー構築プロジェクトを公募採択し、構築したライブラリーについては今後創薬支援NWが活用できる仕組みとする。



■創薬支援推進事業（希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業）

希少疾患領域の医薬品開発を推進するために、希少疾病用医薬品の製造販売承認取得を目指す研究開発型企业等に対する実用化支援を行う創薬支援推進事業を開始した。本年度は、ヒト初回投与試験前段階3件、ヒト初回投与試験後段階5件に対する支援を開始した。

I (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

① 医薬品創出



評価軸

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したか。

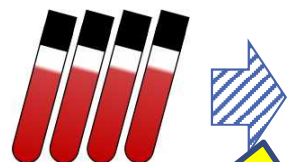
マイクロRNAによる5つのがんの早期診断を実証

研究概要

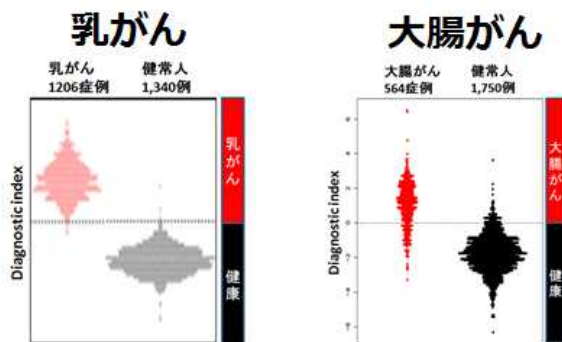
蓄積された膨大な臨床情報とバイオバンクの検体を活用して、血液中マイクロRNA発現データベースを構築し、網羅的に解析する。これにより、乳がんや大腸がんなど13種類のがんや認知症の発現データを取得し、低侵襲で高感度なマルチマーカーによる診断システム技術として世界に先駆け実用化することを目指す。

研究成果

患者血清約22,000例の網羅的miRNA発現データを取得した。結果を解析し、乳がん・大腸がん・胃がん・食道がん・肝がんについては早期診断に有用なmiRNAセットを選定することに成功した。これらの成果をもとに15件の特許申請



2500種類のマイクロRNAの有無及び含有量を確認



今後マイクロRNAを利用して早期がんを見分ける診断技術確立する

抗体医薬品製造のマザー工場が本格稼働

研究概要

国内のバイオ医薬品製造技術を開発している25企業、2大学、3機関が参加の「次世代バイオ医薬品製造技術組合（MAB）」と他大学法人が連携し、抗体製造に係わる以下のような各種製造基盤技術を開発中：
①バイオ医薬品製造にふさわしいCHO細胞を用いたオリジナルな生産細胞系、②ハイスループットな細胞構築システム（装置）、③培養槽シミュレーション技術を利用した培養槽、④高性能な分離材、⑤糖鎖解析および凝集体解析技術、⑥開発した技術評価体系の整備、⑦ウイルス管理技術、⑧開発した技術評価体系の整備

研究成果

バイオ医薬品製造に関わる技術開発と製造の機能を併せ持つ国内初のGMP施設を、神戸大学統合研究拠点に設置し、抗体製造に関わる開発技術検証に向け、平成27年度末より本格稼働を開始した。

現在、製造技術検証用の抗体生産細胞を用いてテストランを実施し、ベンチマークとなる「設備の実証データ」を取得中である。



神戸GMP施設

I (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

① 医薬品創出



評価軸

医薬品の実用化支援について、最新の特許関連情報データベースを活用しつつ、創薬支援コーディネーターチームの目利き評価により大学等で生み出された研究成果から有望シーズを選抜し、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することにより、応用ステージ(スクリーニング、最適化研究、非臨床試験)を中心に、革新的新薬の創出を目指したオールジャパンでの強力な支援を行ったか。

■創薬支援推進事業(創薬総合支援事業)

(1) 有望な創薬シーズ及び創薬技術の情報収集・調査

- ・大学等で生み出された優れた研究成果(アカデミア発創薬シーズ)の実用化を支援するための相談事業(以下「創薬ナビ」という。)を実施するとともに、日本医療研究開発機構研究費に申請された研究課題に申請された研究課題、創薬コーディネーターの大学等への訪問等を戦略的に展開し、効果的なシーズ情報収集を実施した。(シーズ目利き評価: 134件、創薬ナビ件数: 28件)
- ・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、国立高度専門医療研究センター等18機関と連携構築に係る覚書を締結し、効果的かつ効率的なシーズ情報収集の体制を構築した。

(2) 有望な創薬シーズの評価・選定

- ・創薬支援ネットワークの支援対象として、平成27年度に実用化の可能性の高い有望な創薬シーズ19件を選定した。

(3) 出口戦略の策定・助言

- ・選定シーズ(支援課題)44件の進捗状況等について適切にフォローアップを行うとともに、企業導出による確実な実用化を図るための知財戦略、出口戦略を含めた研究開発計画の立案等の支援を行った。

I (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

① 医薬品創出



評価軸

医薬品の実用化支援について、最新の特許関連情報データベースを活用しつつ、創薬支援コーディネーターチームの目利き評価により大学等で生み出された研究成果から有望シーズを選抜し、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することにより、応用ステージ(スクリーニング、最適化研究、非臨床試験)を中心に、革新的新薬の創出を目指したオールジャパンでの強力な支援を行ったか。

(4) 応用研究等の支援

- ・選定シーズ(支援課題)44件のうち、5件について国立研究開発法人理化学研究所、3件について国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所、1件について国立研究開発法人産業技術総合研究所において、探索研究から非臨床試験を中心とした技術支援を行った。
- ・創薬ナビ等の相談者に対して、情報収集したCRO(医薬品開発業務受託機関)やCMO(医薬品製造業務受託機関)等の紹介等を行った。

(5) 知財管理支援

- ・選定シーズ(支援課題)に対して、特許や創薬過程における周辺特許等、研究者(シーズ保有者)に対して医薬品の実用化に必要な戦略的な知財取得や知財管理の指導・助言を行った。また、製薬企業等への導出を見据えた特許戦略などを検討し、それらを踏まえた研究開発計画を立案するなど、研究を推進する上で必要な知財支援を行った。

<モニタリング指標>

	H27年度
応募件数	227件
採択件数	54件
事業に参画している研究者延べ人数	862人

	H27年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	14件
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	39件
シーズ情報の入手先機関数	109件
技術支援を実施した機関数	74件

I 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事項

(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

② 医療機器開発

I (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

②医療機器開発の実施



評価(自己評価)

B

所掌する6つの事業について滞りなく課題推進、公募、評価を実施したほか、「医療機器開発ネットワーク」の着実な運営や医療現場ニーズに基づき医療機器開発を推進・強化する体制の新たな構築、プロジェクト内の事業を体系的に連携させる意欲的な取組みを実施。こうした取組の結果、医療機器開発・実用化促進のガイドラインを15本の策定(うち2015年度は9本)(2015年度までの達成目標:10本)を達成するとともに、2020年の達成目標に向け、順調に進捗するなど、着実な業務運営がなされた。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① 成果目標達成状況

- 実用化に至った革新的医療機器の種類数: 複数種類の革新的医療機器を開発中(9種類のテーマで事業を実施し、各テーマにて複数の革新的医療機器を開発。目標: 2020年頃までに5種類以上の実用化)
- 医工連携による医療機器開発件数: 2015年度末時点で、医療機器として7件の薬事認証・承認取得を確認済み(目標: 2020年頃までに100件)
- 医療機器の実用化による成果: 平成28年2月調査時点の累計売上額は、25.4億円(目標: 2020年頃までに1500億円)
- 医療機器開発・実用化促進のためのガイドラインの策定数: 2015年度、新たに9本策定(2014年度からの累計15本。目標: 2015年度までに10本策定)

②医療現場のニーズに基づく医療機器開発を推進・強化する体制を新たに構築

- ・「国産医療機器創出促進基盤整備等事業」の臨床拠点を活用して臨床ニーズをAMEDに集約するとともに、AMED職員が自ら現場に出向いてニーズを収集する体制を強化した。
- ・臨床拠点から収集した革新的な医療機器開発につながるニーズについて、AMEDに設置する「臨床ニーズ抽出委員会」での検討・精査を行う。その結果を未来医療における新たな公募・事業等の設計に生かす。
- ・医療従事者が日常的に感じている改善・改良・工夫等については「医療機器開発支援ネットワーク」で吸い上げ、AMEDに設置する「臨床ニーズ抽出委員会」での整理・精査を行う。その結果には有望性等のコメントを付記して公開することで、企業とのマッチングを促進する。
- ・医療機器開発に関する各省の個々の事業を、AMEDが中核となり、医療現場ニーズの観点から体系的に連携させる意欲的な取り組みとして、今後の実施状況を踏まえ、さらには各省施策へのフィードバックを行うことも想定。
- ・医療機器開発・実用化促進のためのガイドラインとして、平成26年に6本、27年度中に9本作成した。

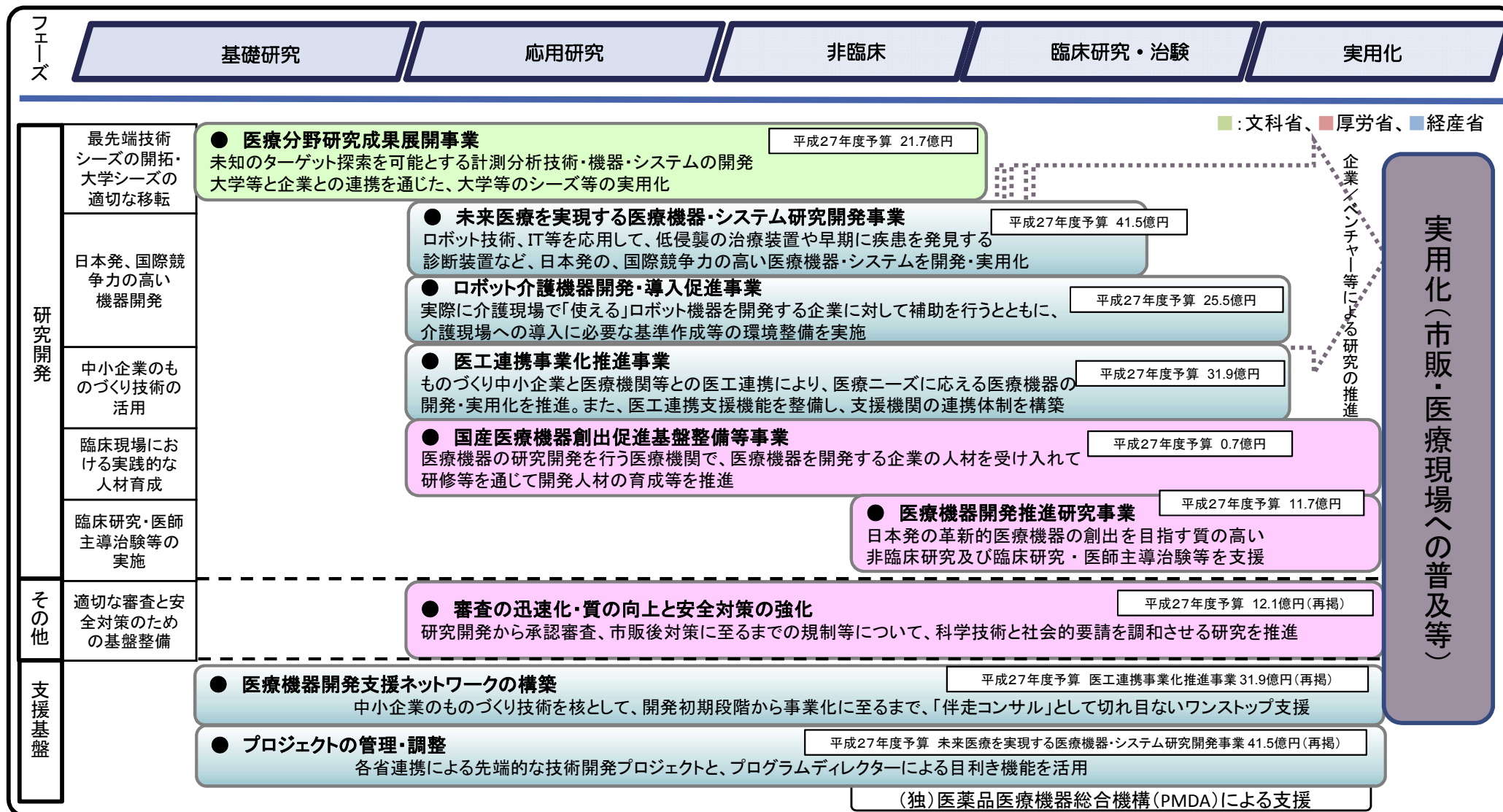
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

②医療機器開発の実施



概要

医工連携による医療機器開発を促進するため、複数の専門支援機関による開発支援体制(医療機器開発支援ネットワーク)を構築し、我が国の高い技術力を生かし、技術シーズの創出と医療機器・システムの実用化へとつなげる研究開発を行う。また、医療機器の承認審査の迅速化に向けた取組や、研究開発人材の育成も行う。



I (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

②医療機器開発の実施

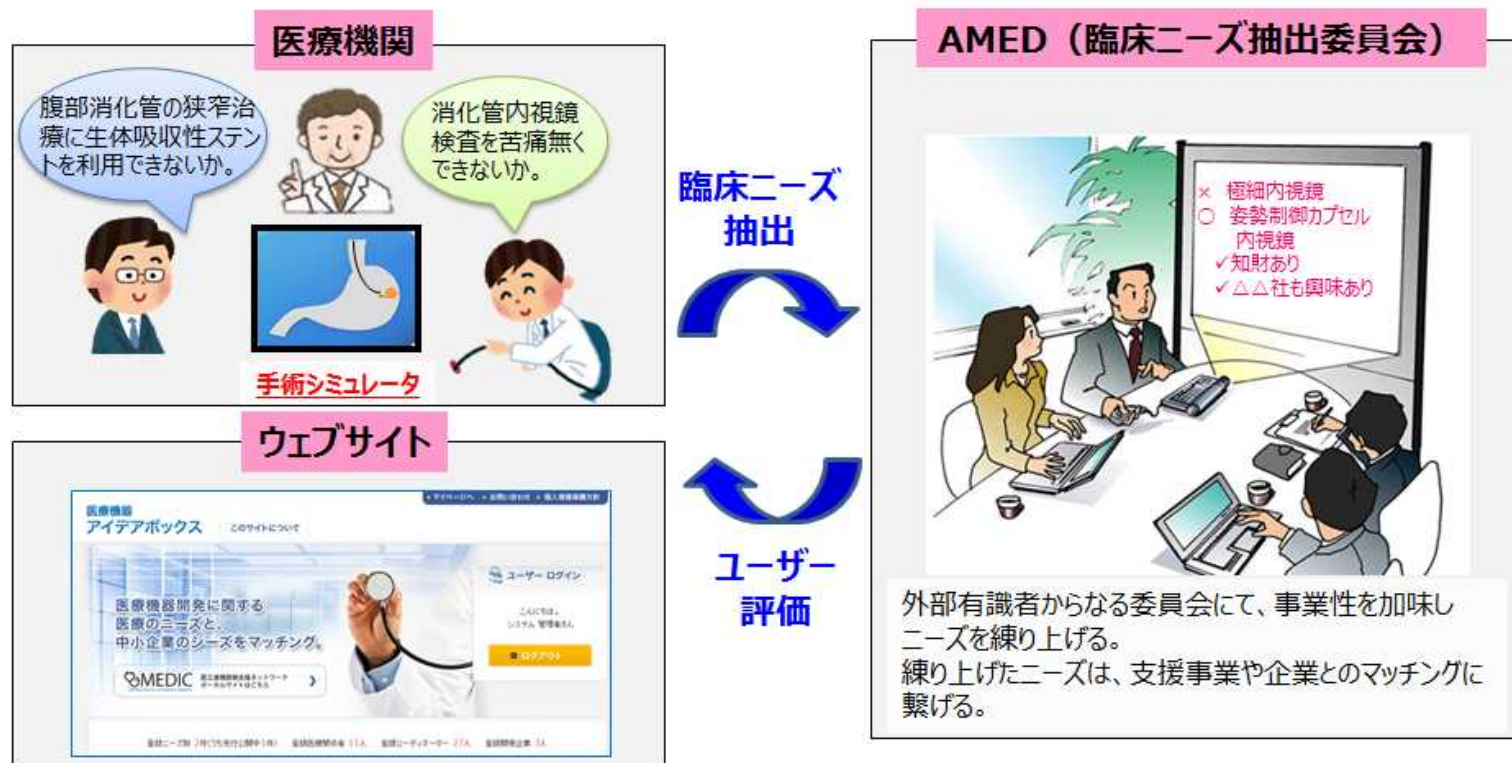
評価軸

医工連携による医療機器開発を促進したか。

【主な成果1】医療現場のニーズに基づく医療機器開発を推進・強化する体制を新たに構築した。

医療現場のニーズを抽出するスキームの立ち上げ

- 医療ニーズを踏まえた機器開発を加速すべく、①日頃の医療行為から生まれる改良ニーズや、②医療機関における高度かつ革新的な医療ニーズを抽出。
- 抽出したニーズは、AMEDに設置する臨床ニーズ抽出委員会において、その妥当性や市場性等を評価し、支援事業や企業とのマッチングに繋げる。



I (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

②医療機器開発の実施

評価軸

医工連携による医療機器開発を促進したか。

【主な成果2】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・機能の回復技術において開発を進めた。また、医療機器等の開発に資する開発ガイドラインの策定を行った。

<スマート治療室の開発>

○治療室内の主要な医療機器(電気メス、MRI、手術台(等))を一元的に管理することで、医師の手術中の意思決定を支援。治療の安全性と効果を向上させる。
(平成26～30年度)

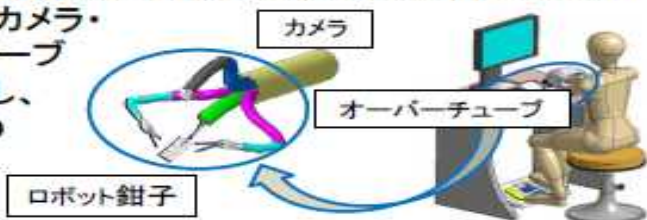
○27年度は、複数メーカーの医療機器の情報を同期できるシステムが完成。モデル機を広島大に整備。



<軟性内視鏡手術システムの開発>

○患部を俯瞰しながら直感的に操作可能な内視鏡システムを開発。
同システムの特徴として、①撮像部と処置具とを独立して操作、②近赤外線と可視光とを同時撮像可能等。
(平成26～30年度)

○27年度は、内視鏡を構成する各要素技術(ロボット鉗子・内視鏡カメラ・オーバーチューブ部分)を確立し、動物実験での動作確認を完了した。



<開発ガイドラインの策定>

【概要】

○革新的な医療機器の開発を円滑化すべく、開発の際に考慮すべき工学的評価基準等を整理。
○厚労省が策定する評価指標(レギュラトリーサイエンスに基づき、審査時に用いる指標)と連携。

【27年度の成果】

○27年度に、9本のガイドライン(手引き)を策定

- ①外科手術用低侵襲プラズマ止血装置
- ②積層造形医療機器(総論)
- ③高生体適合性(カスタムメイド)脊椎インプラント
- ④高生体適合性(カスタムメイド)上肢人工関節
- ⑤ロボット技術を用いた活動機能回復装置
- ⑥コンピュータ診断支援装置の性能評価
- ⑦ヒト細胞自動培養加工装置についての設計
- ⑧トレーニングシステム[改訂]
- ⑨ヒト細胞培養加工装置[改訂]

I (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

②医療機器開発の実施



評価軸

我が国の高い技術力を生かし、技術シーズの創出と医療機器・システムの実用化へとつなげる研究開発を行ったか。

○先端計測分析技術・機器開発プログラムの成果を元にした開発課題について、未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業にて1件、医工連携事業化推進事業にて1件採択した。

- ① 注視点検出技術を活用した発達障がい診断システムについて、「先端計測」での開発成果を「未来医療」につなげ、本年度より実用化開発を開始。
- ② FT-OCTを活用した「先端計測」での開発成果を「医工連携事業化推進事業」につなげ、本年度より視機能評価装置としての開発を開始。



①注視点検出技術を活用した発達障がい診断システムの開発



②FT-OCTを活用した視機能評価装置

I (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

②医療機器開発の実施

評価軸

研究開発人材の育成も行ったか。

○国産医療機器創出促進基盤整備等事業において、11の医療機関にて、企業の医療機器開発を促進するためのニーズ発見および研修プログラムを実施した。

【27年度の実績】

- ・講習数(延べ): 約590講義
- ・参加人数(延べ): 約2,000人
- ・臨床現場等見学者数(延べ): 約1,600人
- ・医療機関及び企業との連携数(延べ): 約700件



<モニタリング指標>

	H27年度
応募件数	325件
採択件数	39件
事業に参画している研究者延べ人数	527人

	H27年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	6件
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	59件

I 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事項

(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

③ 革新的医療技術創出拠点

I (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

③革新的医療技術創出拠点



評価(自己評価)

A

橋渡し研究加速ネットワークプログラム及び臨床研究中核病院関連事業で拠点や病院の一体的な運営の促進をするなどの取組を着実に実施した。こうした取組に加え、専門人材の育成・確保、サイトビジット・シンポジウム・会議等を通じ、各拠点の機能の強化・特色化等を進めるとともに、革新的医療技術創出拠点以外の連携シンポジウムによって拠点外との連携強化を図った。こうした取組の結果、骨格筋芽細胞シートが薬事承認を受けるなどアカデミア発医療技術が実用化するとともに、コメ型経口ワクチンなど革新的医療技術の医師主導治験が開始されるなど画期的成果を創出した。また、当該プロジェクトでは、医師主導治験届出数は31件(2015年度までの達成目標:年間21件)と目標を達成、FIH試験は16件(2015年度までの達成目標:年間26件)で目標が未達となったところであるが、AMED全体としては、医師主導治験届出数(67件)は上記達成目標の約3倍、FIH試験(30件)は上記達成目標の約1.1倍と上回っており、本プロジェクトの拠点の整備による波及効果が認められるなど、所期の目標を上回った。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① 成果目標達成状況(評価指標)

2015年度達成目標は、医師主導治験届出数については達成されたが、First in Human試験については達成されなかった。

・医師主導治験届出数(目標 2015年度:21件、2020年頃:40件)
31件(AMED全体では67件)

・First in Human試験(企業治験含む)(目標 2015年度:26件、2020年頃:40件)

16件(AMED全体では30件)

② 臨床研究・治験従事者研修及び啓発事業、橋渡し研究加速ネットワークプログラム及び臨床研究中核病院関連事業(※)

拠点機能の強化・特色化のために、専門人材の育成や確保に加え、プロジェクト連携シンポジウムによる拠点外とのネットワークの強化を実施し革新的な医療技術創出に向けたノウハウの共有を実施し、また、拠点の保有情報の確認を行う等の取組により、適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で「研究開発成果の最大化」に資する顕著な成果や今後の成果の創出の期待が認められる。

③橋渡し研究加速ネットワークプログラム及び臨床研究中核病院関連事業(※)

PD/PS/POと共に革新的医療技術創出拠点へのサイトビジット等を通じ、

①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の構築や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及び

②ARO機能の整備状況の確認及び改善・向上、に向けた指導助言を行ったことで、各拠点の体制整備の進捗が認められ、適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で「研究開発成果の最大化」に資する顕著な成果や今後の成果の創出の期待が認められる。

※臨床研究中核病院関連事業

臨床研究品質確保体制整備事業、臨床試験支援機能構築事業、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点整備事業

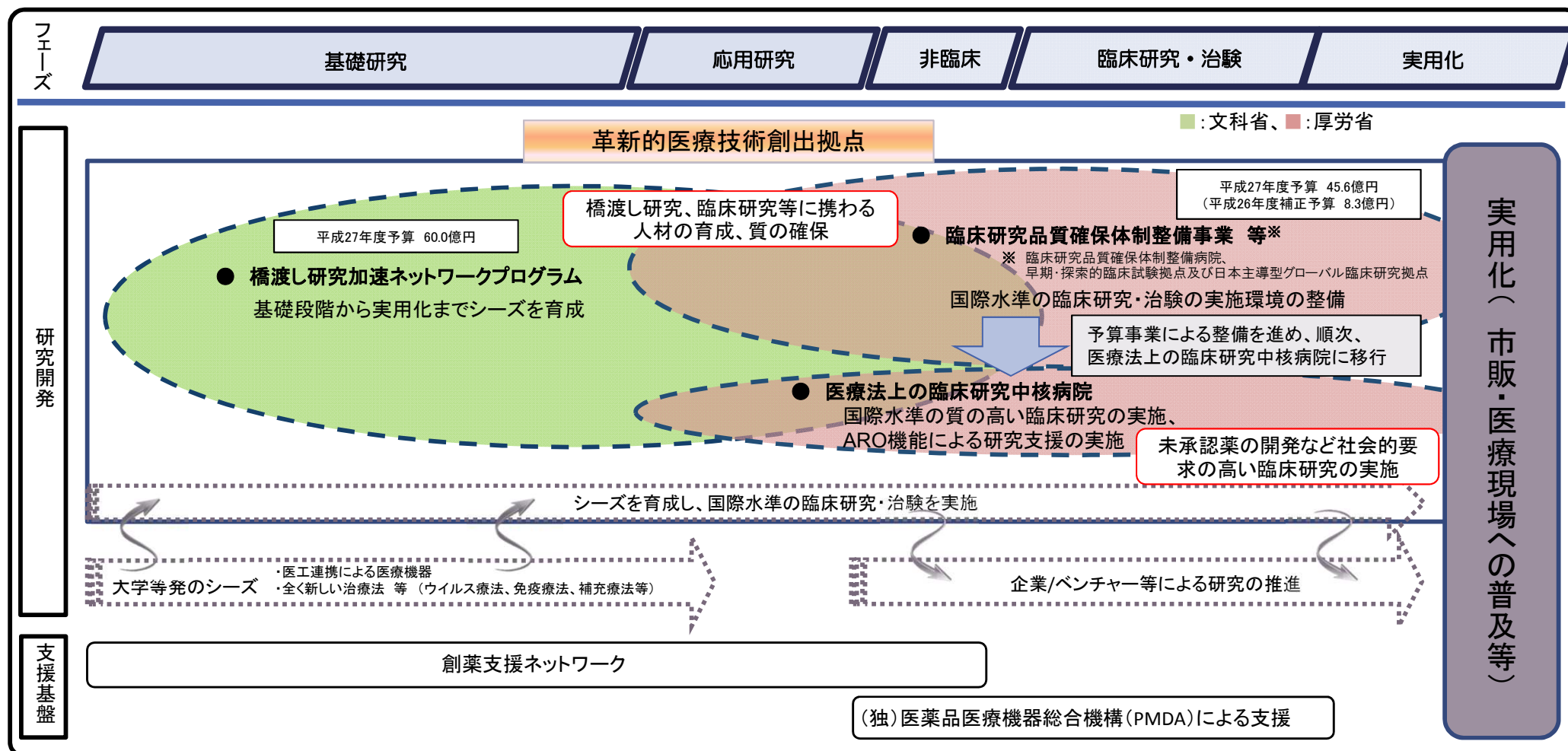
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

③革新的医療技術創出拠点

概要

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、橋渡し研究支援拠点と臨床研究中核病院等の一体化を進める。また、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化、ネットワーク化、シーズの拡大等をさらに推進する。さらに、ICH-GCP準拠の質の高い臨床研究や治験を実施するとともに、ARO※機能を活用して多施設共同研究の支援を行うなどの体制の整備を進める。

※ARO：Academic Research Organizationの略、研究機関、医療機関等を有する大学等がその機能を活用して医薬品開発等を支援する組織



I (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

③革新的医療技術創出拠点



評価軸

橋渡し研究支援拠点、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究中核病院及び日本主導型グローバル臨床研究拠点の一体化を進めたか。

1. 橋渡し研究加速ネットワークプログラム及び臨床研究中核病院関連事業(※)

- 各拠点や病院の一体的な運営を推進するために文部科学省及び厚生労働省と協力しつつAMEDが中心となって、5月に推進委員会を開催し、今年度の本プロジェクトの実施内容及びスケジュール等について共有した。7月にはPD(PS)、PO、文部科学省、厚生労働省及び革新的医療技術創出拠点とともに合同会議を実施し、現在の各拠点の支援しているシーズの開発進捗状況と今後の方向性について拠点間で共有した。さらに、平成28年3月には、PD(PS)、PO、厚生労働省、文部科学省及び拠点代表者と全体会議を開催し、今後の方向性や拠点の自立化やネットワーク化に向けた取組等について共有した。
- 平成27年6月～8月にかけて平成26年度サイトビジットでの指摘事項に対するフォローアップ調査を計7施設に対し行い、指摘事項に対する各拠点の取組状況をヒアリングするとともにPD(PS)、PO、文部科学省、厚生労働省及びサポート機関と連携の上、適切なアドバイスを行った。平成27年9月～12月にかけて今年度のサイトビジットを計14回行い、研究成果の実用化のための体制構築について各拠点の取組状況をヒアリングするとともに、PD(PS)、PO及びサポート機関と連携の上、拠点のARO機能等の体制整備状況について適切なアドバイスを行った。
- 橋渡し研究加速ネットワークプログラムにおいて、課題選考委員会を設置し、平成27年6月及び平成28年2月に事前評価委員会を開催し、適切な課題を選定した。

※臨床研究中核病院関連事業

臨床研究品質確保体制整備事業、臨床試験支援機能構築事業、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点整備事業

I (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

③革新的医療技術創出拠点



評価軸

人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化、ネットワーク化、オープンアクセス化及びシーズの拡大を更に推進したか。

1. 臨床研究中核病院関連事業(※)、臨床研究・治験従事者研修及び啓発事業

- 本予算の取組に加え、平成27年度第1回調整費を追加配分して、研究支援に関わる人材の充実や教育体制の確立等による拠点機能の強化を図った。さらにデータを迅速にまとめ、その質を確保するデータマネージャー(DM)を養成するための研修を実施するとともに、レギュラトリーサイエンスの専門家の人材の確保を図った。

2. 橋渡し研究加速ネットワークプログラム、臨床研究中核病院関連事業(※)、生物統計家育成支援事業

- 拠点へのフォローアップ調査やサイトビジットにおいて、生物統計家やCPC技術員の確保状況を把握するとともに、拠点整備の一環として生物統計家の育成支援を行った。また、CPC業務をこなす細胞培養員等に対しては、学会と協働のもと拠点を対象とした講習会を開催するなどの人材育成を行った。
- 革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携の強化や専門領域の研究者間での連携の推進を目指し、平成27年11月～平成28年2月にかけて本連携プロジェクト以外の8つの連携プロジェクトについて、AMED内のプロジェクト担当課及び拠点等とプロジェクト連携シンポジウムの開催を企画し、8つの連携プロジェクトにおいてそれぞれ実施し、拠点のネットワーク機能の強化、拠点外との連携の強化を図った。
- 拠点が保有するシーズ情報やデータマネジメントシステムについて、R&Dパイプライン管理システムへの入力やサイトビジットによる調査などを通じて確認を実施した。

※臨床研究中核病院関連事業

臨床研究品質確保体制整備事業、臨床試験支援機能構築事業、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点整備事業

I (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

③革新的医療技術創出拠点



評価軸

ICH－GCP準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO機能を持ち、多施設共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進めたか。

1. 橋渡し研究加速ネットワークプログラム及び臨床研究中核病院関連事業(※)

- 本予算の取組に加え、平成27年度第1回調整費を追加配分して、研究支援に関わる人材の充実や教育体制の確立等による拠点機能の強化を図った。さらに、平成27年度サイトビジットとして、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に対し、ICH－GCP準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するための支援をサイトビジット等を通じて行った。
- 革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携の強化や専門領域の研究者間での連携の推進を目指し、平成27年11月～平成28年2月にかけて本連携プロジェクト以外の8つの連携プロジェクトについて、AMED内のプロジェクト担当課及び拠点等とプロジェクト連携シンポジウムの開催を企画し、8つの連携プロジェクトにおいてそれぞれ実施し、拠点のネットワーク機能の強化、拠点外との連携の強化を図った。

※臨床研究中核病院関連事業

臨床研究品質確保体制整備事業、臨床試験支援機能構築事業、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点整備事業

I (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

③革新的医療技術創出拠点



2. 実績

医師主導治験届出数やFIH試験の件数については、革新的医療技術創出拠点を中心に着実にその件数が増えてきており、中には医薬品医療機器等法に基づく承認を得る案件が出てくるなど適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で「研究開発成果の最大化」に資する成果や今後の成果の創出の期待が認められる一方で、現時点ではKPIを達成していない。

<モニタリング指標>

	H27年度
応募件数	187件
採択件数	57件
事業に参画している研究者延べ人数	927人

	H27年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	204件
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	77件

I 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事項

(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

④ 再生医療

I (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

④再生医療



評価(自己評価)

A

安全なiPS細胞の提供に向けた取組、幹細胞操作技術等のiPS細胞等の実用化に資する技術の開発・共有、再生医療の基礎研究・非臨床試験・臨床試験の推進などを実施した。また、プロジェクト内での事業連携の新規公募の実施や事業連携の公開シンポジウムの開催など事業間の連携を強化した。こうした取組の結果、生物由来原料基準に適合した、ヒトへの移植に適したiPS細胞ストックを作製し、配布を開始するなど顕著な成果を創出するとともに、ヒト幹細胞を用いた研究の臨床研究や治験への移行数が21件(うち2015年度は4件)(2015年度までの達成目標:約10件)となり、目標を大きく上回るなど、所期の目標を上回った。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① 成果目標達成状況(評価指標)

- ・「ヒト幹細胞を用いた研究の臨床研究又は治験への移行数約10件」
21件(うち平成27年度4件)
- ・「iPS細胞を用いた創薬技術の開発」
難病克服プロジェクトと連携して事業を推進した。共同研究拠点において、11疾患について創薬スクリーニングを実施し、その内3疾患で開発候補品を同定した。また、疾患研究論文として58報を発表した。(平成28年1月時点)
- ・所管する3省事業の研究課題を一堂に会した公開シンポジウムを開催する等、事業間の連携を強化し研究成果の最大化を図った。

② 安全なiPS細胞の提供に向けた取組

- ・リコンビナントラミニン-511 E8断片を含む動物由来の成分が含まれていない培地を用いて、ヒトiPS/ES細胞の維持培養法を確立し、ヒトへの細胞移植に最も適したグレードのiPS細胞を作製した。
- ・京都大学iPS細胞研究所が、平成27年8月6日から、臨床に使用できるiPS細胞ストックの配布を開始した。
- ・複数の課題で造腫瘍性試験を実施するとともに、規制支援を目的とした課題が各課題・拠点を横断的にバックアップし、First in Humanの実施に向けて取り組んでいる。

③ 幹細胞操作技術等のiPS細胞等の実用化に資する技術の開発・共有

- ・ヒトiPS細胞に適した3次元浮遊懸濁攪拌培養技術、および単一細胞状態を高密度未分化増幅する技術を開発した。また、低コスト・安定品質の培地及び大量培養装置の開発を行い、汎用性の高い接着培養用培地の開発に成功した。
- ・生物由来原料基準に適合した臨床グレードの培養関連製品を上市した。
- ・間葉系幹細胞由来の細胞株において、各種遺伝子発現レベル変化との関連に裏付けられた培養条件を確立し、標準化作業を開始した。

④ 再生医療の基礎研究・非臨床試験・臨床試験の推進など

- ・再生医療実現拠点ネットワークプログラムの課題において、6件の臨床研究が実施され、21課題において中長期的に臨床応用を目指す課題として研究開発を推進した。
- ・再生医療実用化研究事業の課題において、実用化に近い個別課題の支援を行い、臨床研究／治験の遂行を行った。

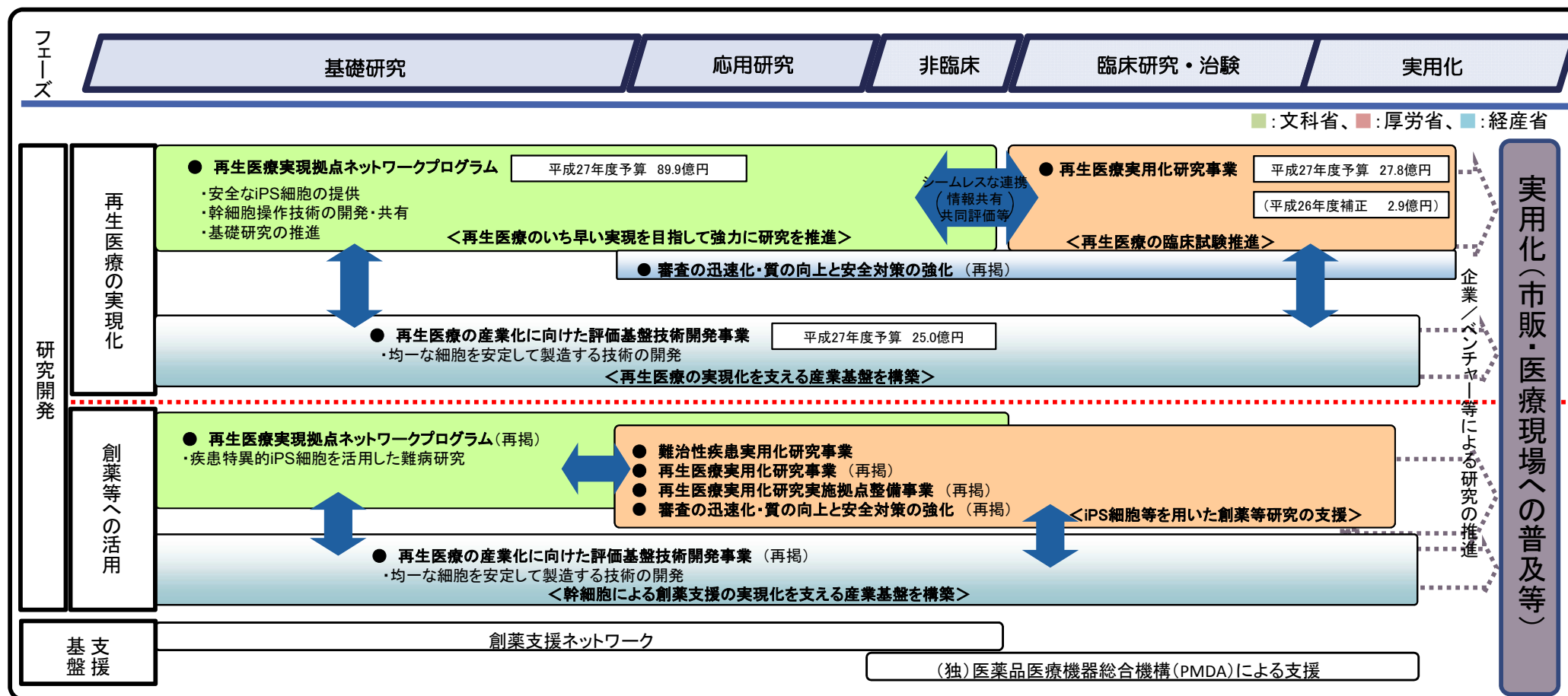
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

④再生医療



概要

創薬支援ネットワークの構築により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。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。



I (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

④再生医療



評価軸

安全なiPS細胞の提供に向けた取組、幹細胞操作技術等のiPS細胞等の実用化に資する技術の開発・共有、再生医療の基礎研究・非臨床試験の推進等を実施したか。

1. 再生医療の迅速な実現に向けて、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った。

他家細胞移植治療の基礎研究、応用研究、臨床研究及び治験の加速

[高品質のiPS細胞の樹立方法の開発]

・リコンビナントラミニン-511 E8断片を含む動物由来の成分が含まれていない培地を用いて、ヒトiPS/ES細胞の維持培養法を確立し、ヒトへの細胞移植に最も適したグレードのiPS細胞を作製した。

[安全性の高い再生医療用iPS細胞ストックの作製]

・京都大学iPS細胞研究所が、平成27年8月6日から、臨床に使用できるiPS細胞ストックの配布を開始した。

再生医療の基礎研究・非臨床試験の推進

[中期、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の支援]

・再生医療実現拠点ネットワークプログラムの課題から、6件の臨床研究が実施され、さらに21課題が中長期的に臨床応用を目指す課題として研究開発を推進した。

幹細胞操作技術等の実用化に資する技術の開発・共有

[細胞を安定的に大量供給可能とする基盤技術開発]

・ヒトiPS細胞に適した3次元浮遊懸濁攪拌培養技術、および単一細胞状態を高密度未分化増幅する技術を開発した。また、低コスト・安定品質の培地及び大量培養装置の開発を行い、汎用性の高い接着培養用培地の開発に成功した。

[高度培養技術の開発等に対する支援]

・分化誘導や培養の難易度が高い細胞の分化誘導方法探索に取り組むとともに、細胞ごとに最適な足場タンパク質を同定した。生物由来原料基準へ適合させ臨床グレードの製品を上市した。また、心筋細胞及び神経細胞の高度培養技術及び分化誘導法を確立した。

再生医療の安全性確保

[造腫瘍性等に関する研究等の非臨床試験の支援]

・複数の課題で造腫瘍性試験を実施するとともに、規制支援を目的とした課題が各課題・拠点を横断的にバックアップし、First in Humanの実施に向けて取り組んでいる。

I (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

④再生医療

評価軸

再生医療の臨床研究及び治験の推進や再生医療等製品の安全性評価手法の開発等を行ったか。
再生医療の実現化を支える産業基盤を構築したか。

再生医療の臨床研究及び治験の推進

〔臨床応用に近い段階にあり、安全かつ有効な医療の実現の可能性が高い研究の支援〕

「再生医療実用化研究事業」において、下記のような実用化に近い研究課題に対する支援を行った。

- ・これまで心臓移植しか治療法がなかった重症小児心不全に対する、幹細胞を用いた心筋再生医療製品の開発を行い、平成25年より第2相臨床試験を実施し解析を行っている。(平成28年2月には「先駆け審査指定制度」における対象品目として指定された。)(岡山大学・王教授)
- ・肝硬変患者を対象として、自己の皮下脂肪組織由来間質細胞を培養せずに肝臓に投与する肝修復再生療法の臨床研究を支援した。(金沢大・金子教授)
- ・家族性高コレステロール血症患者に対する、同種脂肪組織由来多系統前駆細胞を用いた新規治療法の開発を推進した。(大阪大・山下教授)

再生医療の実現化を支える産業基盤を構築

〔幹細胞関連技術の実用化によって関連産業をも含めた幅広い分野の産業発展につなげ、細胞培養等の関連装置の開発等を通じた標準化の検討〕

・間葉系幹細胞由来の細胞株において、各種遺伝子発現レベル変化との関連に裏付けられた培養条件(培地、培養容器・器材、添加剤)を確立し、標準化作業を開始した。開発中の自動培養技術、無菌インターフェース、スケジューリング・データ予測技術等において標準化の検討を開始した。

〔国際標準化機構(ISO)での再生医療に関する検討の支援等〕

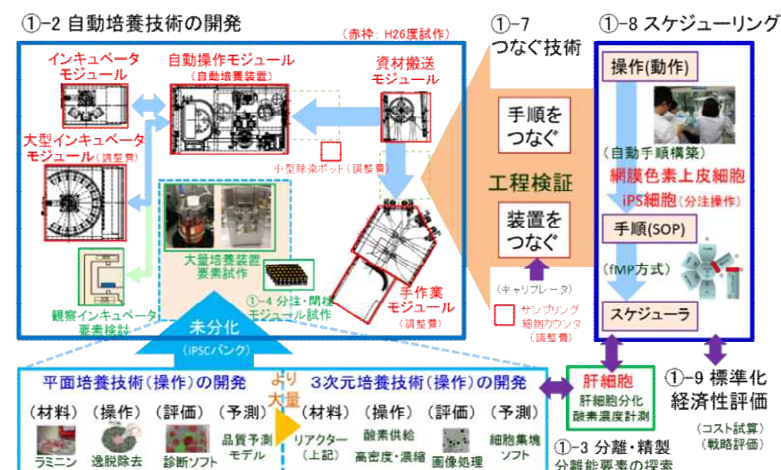
・ISO/TC276/WG4(Bioprocessing)およびISO/TC198/WG9(Aseptic processing)への日本提案のステージを進めている。細胞製造システムに関連するISO/TC276/WG4(Bioprocessing)、ISO/TC150/SC7(Tissue-engineered medical products)およびISO/TC198/WG9(Aseptic processing)への参画及び日本提案のステージは今後も継続する。

再生医療等製品の安全性評価手法の開発

〔評価項目の策定及び評価手法等の開発の研究支援等〕

・各種細胞特性と臨床適用法に応じた評価法開発・合理的評価法利用・解釈・運用の体系化に資するデータを蓄積するための取組を行った。

・軟骨細胞の品質評価手法、生物由来原料基準を満たした薬剤による分化誘導法等について事業期間内に規制当局の見解を確認し、その成果を成果報告会において公表した。



I (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

④再生医療



評価軸

新薬開発の効率性の向上を図るために、連携してiPS細胞等を用いた創薬等研究を支援したか。

[病態分析、創薬等に用いる細胞の作製に向け、様々な疾患の患者ボランティアからの検体をもとに疾患特異的iPS細胞を樹立する研究を推進する]

・平成28年1月時点において、共同研究拠点と樹立拠点が209疾患、544症例の疾患特異的iPS細胞を樹立し、研究を推進している。

[これらの細胞を用いた難病・希少疾病等の原因解析や創薬等に係る研究を推進する]

・共同研究拠点において、11疾患について創薬スクリーニングを実施しており、その内3疾患で開発候補品を同定している。疾患研究の論文として58報の発表があった。

[樹立細胞の品質を管理し、多くの研究者、企業等が創薬等研究に利用できる基盤の構築を進める]

・樹立拠点が標準化した樹立方法を共同研究拠点と共有し、統一した樹立方法で作成され、品質管理されたiPS細胞が理化学研究所バイオリソースセンターに寄託されている。さらに、細胞を寄託するだけでなく、臨床情報等の付加について準備を進めている。

評価軸

iPS細胞技術を応用した心毒性評価手法の開発及び国際標準化への提案を行ったか。

[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を開発するための基準設定の研究を推進し、ICHガイドラインの改訂に向けて国際標準化に対応するための議論を進める]

・iPS細胞技術を応用したヒト心筋細胞を用いて開発した心毒性評価法については、産官学が協力した研究班で心毒性評価系の検証試験等を実施し、その成果を国際会議(平成27年5月(米国、北京)、同9月(プラハ)等)で報告するなど、新たな心毒性評価法の国際的な議論に参加した。また、検証試験の結果を踏まえた更なる国際検証試験の計画を立案した。

・引き続き産官学が協力した研究班において、標準細胞と標準的試験法の開発を進め、その検証試験等の結果を国際会議に報告し、新たな心毒性評価法の国際的な議論に参加する。

I (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

④再生医療



評価軸

幹細胞による創薬支援の実現化を支える技術基盤を構築したか。

〔幹細胞を用いた創薬スクリーニングシステムの開発等への支援〕

・平成28年1月時点で、共同研究拠点において、11疾患について創薬スクリーニングを実施した。

〔創薬支援の実現化を支える産業基盤の構築を推進〕

・疾患特異的iPS細胞のバンク構築の他、対照群となる健康人のiPS細胞を平成28年度から樹立している。これは、今後、数多くの疾患研究や創薬研究において重要な基盤形成との位置づけである。

<モニタリング指標>

	H27年度
応募件数	62件
採択件数	39件
事業に参画している研究者延べ人数	400人

	H27年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	46件
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	24件

I 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事項

(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

⑤ オーダーメイド・ゲノム医療

I (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

⑤オーダーメイド・ゲノム医療



評価(自己評価)

S

バイオバンクの構築、疾患の発症原因や薬剤反応性等の関連遺伝子の同定等に向けた取組の結果、日本人の全ゲノムリファレンスパネル(1KJPN)の公開、質の高い病理組織検体採取法等のプロトコール作成・公開等の画期的な成果が創出された。こうした目標・計画に示された取組に加え、ゲノム医療実現推進協議会の「中間とりまとめ」を踏まえ、機構内に設置したゲノム医療研究推進ワーキンググループにおける精力的な検討を通じ、

- ①これまでのバイオバンクを大幅に変革し、研究基盤・連携のハブとして活用されるバンクとして再構築すること
- ②機構が既存のバイオバンク等の研究基盤と個別疾患研究のマッチングや連携の仲介役を果たすこと
- ③データシェアリングポリシーを策定し平成28年度公募へ反映させること

等の画期的な取組を平成28年度より開始すべく、精力的に省庁連携による新規事業の制度設計・公募の準備等を行い、ゲノム医療推進に向けた研究開発を強力に推進するための基盤を構築するなど、所期の目標を大きく上回った。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて特に顕著な成果の創出や将来的な特別な成果の創出の期待等が認められる。

ゲノム医療実現推進協議会の「中間とりまとめ」を受け新規事業の立ち上げ段階から、資料の提供や調整等を行い、次年度以降の準備を進め、省庁連携の新規事業がAMEDによる一体の管理の下、相互で補完する形で進められるよう機構内にゲノム医療研究推進ワーキンググループを設置し、以下の精力的な検討を行った。

- ①これまでのバイオバンクを大幅に変革し、研究基盤・連携のハブとして活用されるバンクとして再構築すること
- ②機構が既存のバイオバンク等の研究基盤と個別疾患研究のマッチングや連携の仲介役を果たすこと
- ③データシェアリングポリシーを策定し平成28年度公募へ反映させること

I (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

⑤オーダーメイド・ゲノム医療



<成果目標達成状況(評価指標)>

・バイオバンクジャパン(BBJ)、ナショナルセンターバイオバンクネットワーク、東北メディカル・メガバンク計画(東北MMB)等の連携の構築

BBJ、NCBN、臨床試験グループが連携し、試料の共同解析や共同保管を、平成27年2月から継続している。また、BBJと東北MMB、日本多施設共同コホート研究、多目的コホート研究の連携により、日本人一般集団約3.4万人のSNPデータセットを構築し(平成26年6月)、疾患関連遺伝子研究のコントロールデータとして活用した。さらに、BBJと日本病理学会の連携により、ゲノム研究用病理組織検体取り扱い規程の策定及び規程周知を目的としたセミナーを実施した(平成28年3月)。

ゲノム医療実現推進協議会「中間とりまとめ」を受け、オール・ジャパンにおける研究を推進するため、新規事業としてゲノム医療実現推進プラットフォーム事業及び臨床ゲノム情報統合データベース整備事業を平成28年度から開始すべく、準備を行った。また、ゲノム医療推進研究推進ワーキンググループを設置し、報告書を取りまとめて政策の具体化を進め、AMEDが研究基盤と個別疾患研究のマッチングや連携の仲介役を果たし、研究基盤の利活用を促進するため、AMEDゲノム医療研究支援機能の構築のための準備を進めた。さらに、ゲノム情報等のプロジェクト間でのデータシェアリングの推進を図るため、制限共有の考え方を含めたデータシェアリングポリシーを作成した。(平成28年4月22日公表)

・疾患に関する全ゲノム・多様性データベースの構築

BBJでは、第1コホートを用いて前年度から全ゲノム解析を実施している1,041例(心筋梗塞、薬疹、大腸がん、乳がん、前立腺がん)のデータを用いて2000万個以上の日本人のSNPを含むデータベースを構築した。さらに平成27年度第2回調整費により心筋梗塞を対象とした2,000例の全ゲノム解析に着手した。各疾患を担当する戦略推進部と連携を密にし、臨床ゲノム情報統合データベース整備事業(クリニカルシーケンス～知識蓄積型DB～臨床ガイドライン策定)の準備を進めた。

・日本人の標準的なゲノム配列の特定、疾患予後遺伝子の同定

東北MMBでは、15万人規模の健常者バイオバンクの構築を目指して、協力者の生体試料、健康情報、診療情報等を収集した(133,230人:平成28年3月時点)。また、約1000人分の全ゲノム解析を実施(平成25年11月)し、全頻度の遺伝子多型情報を全ゲノムリファレンスパネルとして一般公開(平成27年12月)し、日本人特有のゲノム配列も考慮した解析基盤の構築を進めた。東北MMBでは、平成27年度第2回調整費により東北以外の地域の住民800人を含めた、3,800人規模の全ゲノムリファレンスパネルの拡充に着手した。これにより、西日本の住民のゲノム解析に対しても精度が高い参照データの提供が期待される。また、長鎖シーケンサーを用いた日本人基準ゲノム配列の高精細化への取組を継続した。

・抗てんかん薬の副作用の予測診断の確立

抗てんかん薬適応症例のSNP解析を行い、カルバマゼピンの薬疹と関連するHLA-A*3101を用いた遺伝子検査の有用性を検証した。

I (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

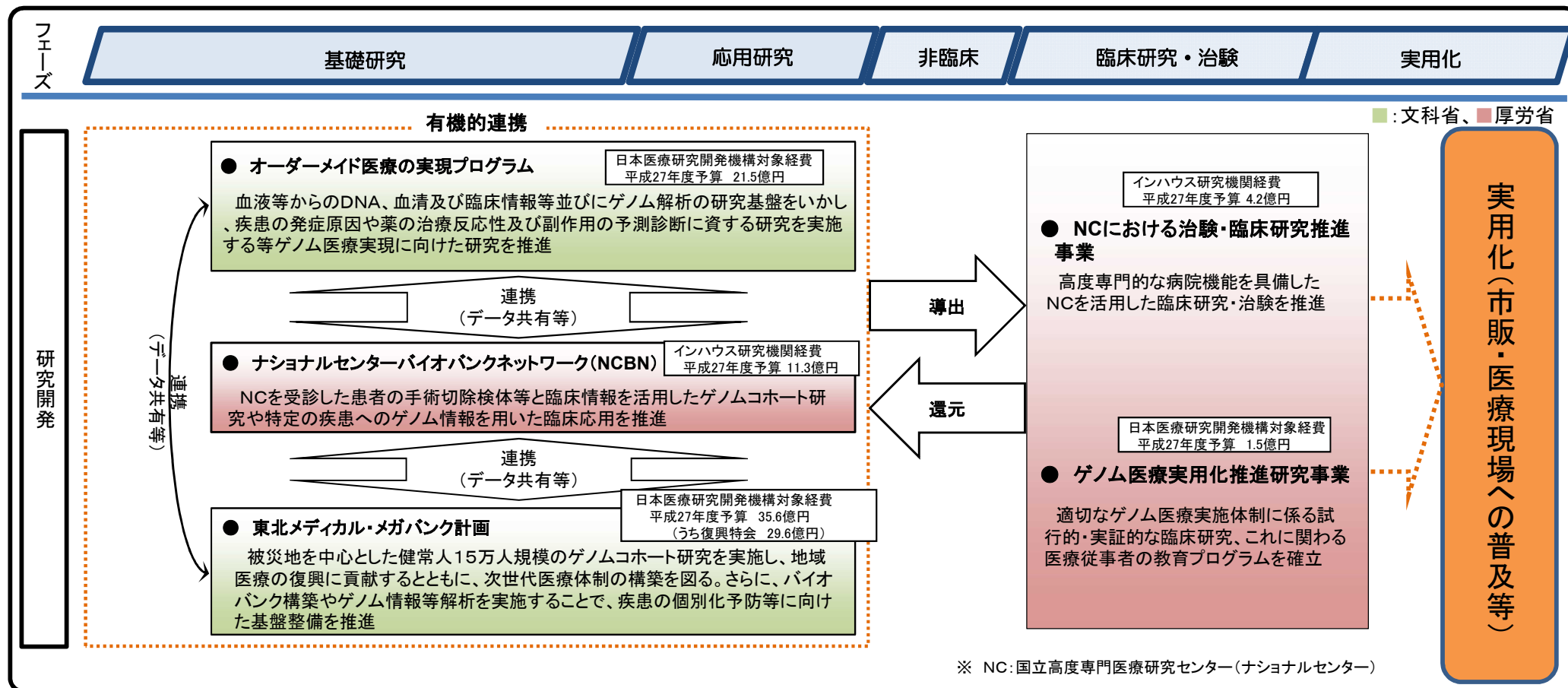
⑤ オーダーメイド・ゲノム医療



概要

疾患及び健常者バイオバンクの構築と共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患及び薬剤関連遺伝子の同定・検証並びに日本人の標準ゲノム配列の特定を進める。また、共同研究等による難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索や、ゲノム情報をいかした診断治療ガイドラインの策定に資する研究やゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備及び試行的・実証的な臨床研究を一体的に推進する。

ー平成27年度の実施体制ー



I (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

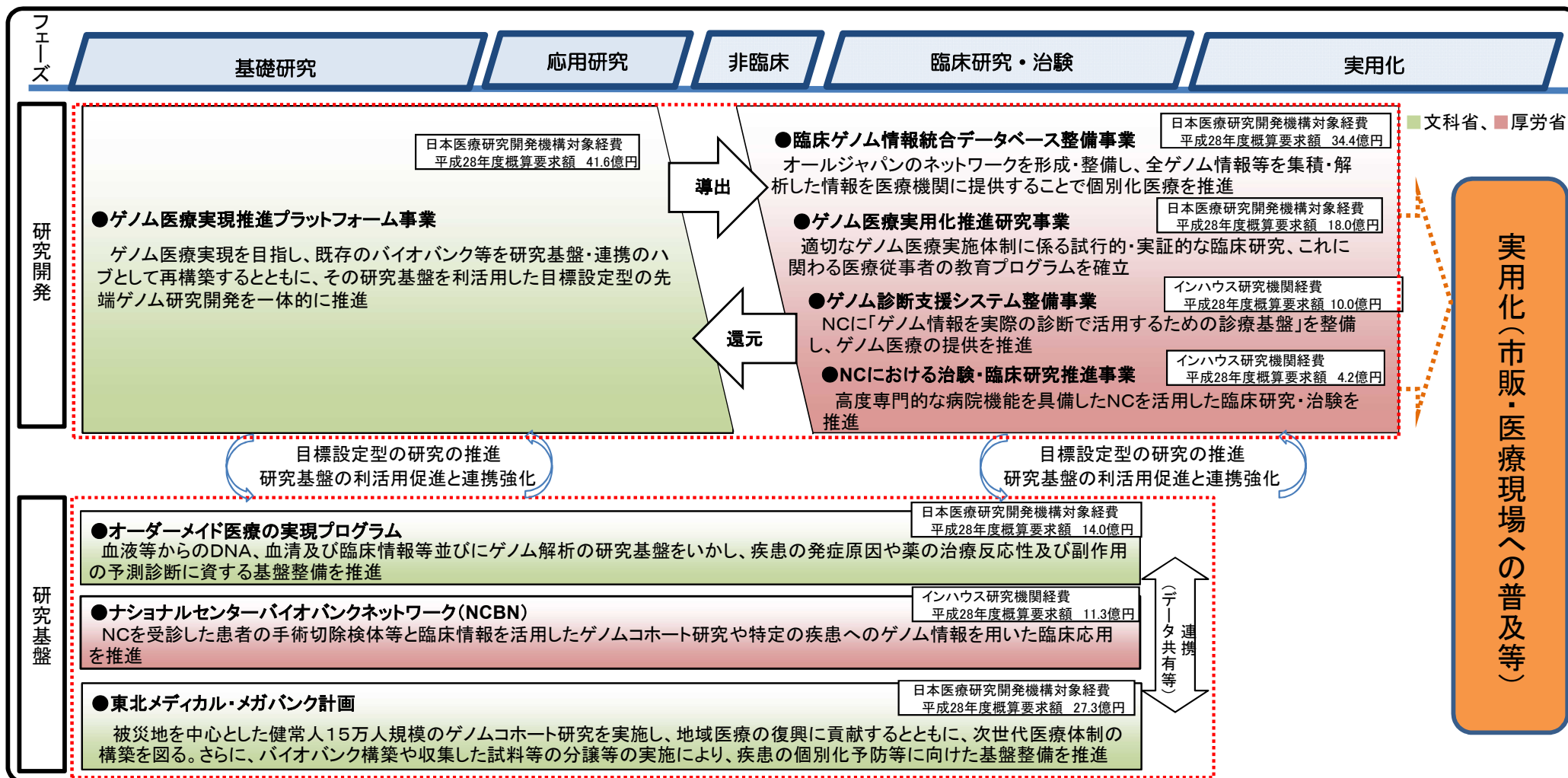
⑤ オーダーメイド・ゲノム医療



概要

疾患及び健常者バイオバンクの構築と共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患及び薬剤関連遺伝子の同定・検証並びに日本人の標準ゲノム配列の特定を進める。また、共同研究等による難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索や、ゲノム情報をいかした診断治療ガイドラインの策定に資する研究やゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備及び試行的・実証的な臨床研究を一体的に推進する。

ー平成28年度の実施体制ー



I (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

⑤オーダーメイド・ゲノム医療



評価軸

・疾患及び健常者バイオバンクを構築すると共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患の発症原因や薬剤反応性等の関連遺伝子の同定・検証及び日本人の標準ゲノム配列の特定を進めたか

■健常者のバイオバンクの構築とこれを活用した日本人標準ゲノム配列の特定(東北メディカル・メガバンク計画)

- ・ バイオバンクの構築に向けた健常者の生体試料・健康情報等の収集・分譲等
 - 試料・情報分譲について平成27年8月に専用ウェブサイトを公開し申請受付を開始した。
- ・ 日本人標準ゲノム配列の特定のための全ゲノムデータ解析
 - 東北地方約1,000人分の全ゲノム解析結果の精度検証を行い、日本人の全ゲノムリファレンスパネル(1KJPN)として公開した。これによりIRUD等の稀少疾患・難病のゲノム解析における病的変異の絞り込み等に活用される基盤となった。
 - 日本人全ゲノムリファレンスパネルの規模と精度の拡充を目指し、東北地域外の住民等の解析を追加するとともに、長鎖シーケンサーを用いた日本人基準ゲノム配列の高精細化を進め、日本人の標準ゲノム配列の特定を進めた(平成27年第2回調整費)。
 - コホート調査に参加した日本人500人分の血漿オミックス解析を完了し、日本人多層オミックス参照パネルとして公開した(プレスリリース:平成27年7月2日)。500人以上の血漿の網羅的メタボローム及びプロテオーム統合解析を行った世界初の成果である。
- ・ 「プログラム検討会議」及び「プロジェクト推進会議」の設置
 - 文科省との調整の上で、PD/PS/POが事業推進方針の決定などを行う際に、適切な助言を得るための「プロジェクト推進会議」を設置した。

■患者のバイオバンクの構築とこれを活用した疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定に関する研究の推進(オーダーメイド医療の実現プログラム)

- ・ バイオバンクの構築に向けた患者のDNA・臨床情報の収集
 - 平成27年度の同意取得数:16,338件、DNA採取数:15,661件 ※年間2万件が目標
- ・ 疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定に関する研究の推進
 - がん、メタボリック・シンドローム、感冒薬の重症薬疹について、疾患と遺伝子との関連、バイオマーカー候補となる遺伝子多型の同定等について研究課題を推進した。またゲノム情報を用いた治療最適化のための研究、疾患原因遺伝子の同定や発症機序解明を目的とする研究、認知症の発症関連遺伝子の同定について公募を行い、平成27年度に新たに8課題を採択し、当該研究課題を推進した。
 - 遺伝性乳がん診断のための遺伝子変異カタログデータセットを構築する等、成果共有のための基盤情報提供の準備を進めた。(平成27年度第2回調整費)
 - ゲノム病理標準化センターにおいて、ゲノム研究のための質の高い病理組織検体の採取法等のプロトコルを作成し、講習会を開催した(第2回:平成27年8月、第3回講習会:平成27年12月、第4回講習会:平成28年3月)。
- ・ 「オーダーメイド医療の実現プログラム」の中間評価の実施
 - プログラム全体として、おおむね順調に進捗しているとの評価が得られた。また、業務の優先順位を付けて、効率的な運用を行うべき等の指摘を踏まえ、PS、POのサイトビジットをサポートし、研究者に対して助言や指示を行った。

I (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

⑤ オーダーメイド・ゲノム医療



評価軸

- ・共同研究やゲノム付随研究等の実施により、難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索を図ったか。
- ・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推進したか。

■ 難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索

- ・ゲノム医療実用化推進研究事業において、小児遺伝性疾患領域での疾患スクリーニング法の確立のためのパイロットスタディを進めた。その結果として、新生児への適用に際して起こる問題点等の抽出ができた。
- ・東北MMBにおいて、未診断疾患イニシアチブ(IRUD)診療体制と連携し、病因解明のための病的変異の絞り込みに必須な健常人コントロールとして、全ゲノムリファレンスパネルの全1塩基バリエーションをはじめとするバリエーション頻度情報の提供を開始した。

■ 革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究の推進

- ・ゲノム医療実用化推進研究事業において、がん領域のクリニカル・シーケンス(FFPEのシーケンス)を行い、解析結果の得られた全例についてエキスパート会議にて臨床的意義づけを行った。また、米国CLIA準拠の遺伝子検査室の整備、標準手順書の整備、次世代シーケンサーの導入により、品質が確保された結果を担当医に報告するまでの時間を短縮できる体制を構築した。
- ・がんの個別化予防として、遺伝性腫瘍あるいはそれを疑われる症例に対する既知の原因遺伝子の変異検索法として汎用性のある多遺伝子パネルNCConcopanel FCv1.0を作成した。
- ・遺伝性腫瘍及びそれを疑われる症例に対する診断法に、次世代シーケンサーの導入を試行的・実証的に進め、全エクソーム解析に基づく変異コールと、その結果に対する臨床的妥当性のアノテーションのパイプラインのプロトタイプを構築した。
- ・各疾患領域について、クリニカル・シーケンスとして必要な精度・効率を確保する技術・情報基盤の整備を継続するとともに、偶発的所見への対応法を含むインフォームド・コンセントの方針の検討を実施した。

I (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

⑤ オーダーメイド・ゲノム医療



評価軸

・ゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備やゲノム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したか。

■ゲノム医療提供体制の構築に向けた研究の推進

- ゲノム医療実用化推進研究事業において、適切なゲノム医療実施体制の開発及びこれに係る試行的・実証的な臨床研究、ゲノム情報に基づく適切な医療のための患者等情報の管理手法の開発のための研究、国際標準化機構におけるバイオバンクの規格化の動きへの対応のための研究、ゲノム医療に従事する医療従事者の育成プログラムの開発のための研究を実施した。また、現行のゲノム医療実用化推進研究については中間評価を平成28年2月24日、3月4日に実施し、概ね妥当と判断された。本評価を次年度計画に反映していく。

(平成27年度第2回調整費)

- 臨床ゲノム情報統合データベースのプロトタイプ案として、連邦型と集約型のhybrid型のデータベース、及び必要な情報等を検討した。
- がん組織のクリニカル・シーケンシングを試行しエビデンスを蓄積するとともに、偶発的所見に関する諸課題に特に焦点を当て、臨床研究として試行・実証や、ゲノム情報等の付随した患者の正確な臨床情報の管理・利活用による「データを医学的知識に変える」知識ベースの試作を計画している。

<モニタリング指標>

	H27年度
応募件数	24件
採択件数	8件
事業に参画している研究者延べ人数	144人

	H27年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	0件
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	4件

I (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

⑤オーダーメイド・ゲノム医療



(参考)

【ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシーの作成】

- ゲノム情報等について、プロジェクト間でのデータシェアリングの推進を図るため、データシェアリングポリシーを作成した(日本のファンディングエージェンシーとして初めて)。
作成に当たっては、バイオサイエンスデータベースセンター(NBDC)との連携により、公的データベースへの登録の義務付けや研究者へのインセンティブを付与しつつ、データ項目の互換性が担保される取組の検討を行った。
- 当該データシェアリングポリシーでは、新規概念として制限共有の考え方(課題採択時にデータマネジメントプランに記載された研究者等の間で共有できる非公開データ)を取り入れ、データシェアリングポリシーが適用されるゲノム情報等は、「ゲノム解析終了後2年」又は「論文採択時」のいずれか早い時点でAMEDが指定する公的データベースに登録すること、又は自機関(代表機関等)に保管しそれを申告することを原則として義務化することとし、平成28年度の事業から適用させるべく公募要領へ反映させる等の準備を実施した(なお、「個人情報」、「商業的機密情報」等により制限共有を実施することが困難な場合、必ずしもこの限りではない。)
- また、公募時にはデータマネジメントプランを提出し、研究課題で得られた公開・共有の対象となるデータ、登録データベース、登録時期、利用条件等を明確にすることを求めるとともに、データマネジメントプランは公募審査の評価対象とし、データマネジメントプランに従った公開を実施した研究者は、中間・事後評価及び以降の公募審査時に、その実施度合に応じて提案の評価に反映させることとし、平成28年度の事業から適用させるべく公募要領へ反映させる等の準備を実施した。

I 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事項

(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

⑥ 疾病に対応した研究＜がん＞

I (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

⑥ 疾病に対応した研究<がん>



評価(自己評価)

A

次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム及び革新的がん医療実用化研究事業において、基礎から実用化にスムーズにつなげるため、合同のPD/PS/PO会議やサイトビジット等を行うなど一体的な運用を実施。また、がん分野の若手研究者の斬新な視点による研究を支援するため、公募枠に若手育成枠を設定するとともに、若手研究者による合宿形式のワークショップを開催するなどの取組を実施した。こうした取組の結果、次世代がん研究シーズ育成プログラムで得られた14件の有望な研究成果を革新がん実用化研究事業の支援につなげることができた。また、新規抗がん剤の有望シーズを17種(うち2015年度は9種)(2015年度までの達成目標:10種)、早期診断バイオマーカー及び免疫治療予測マーカーを10種(うち2015年度は6種)(2015年度までの達成目標:5種)を取得し、目標を上回って達成するなど、所期の目標を上回った。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① 成果目標達成状況(評価指標)

1. 2015年度成果目標達成状況(評価指標)

- 1) 新規抗がん剤の有望シーズ17種を取得済み(うち2015年度9種)(目標:10種)
- 2) 早期診断バイオマーカー及び免疫治療予測マーカー 10件を取得済み(うち2015年度6種)(目標:5種)

2. 2020年頃成果目標達成状況(評価指標)

- 1) 日本発の革新的ながん治療薬の治験への導出数:6種(うち2015年度3種)(目標10種)
- 2) 小児がん、難治性がん、希少がん等に関する未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた治験への導出数:9種(うち2015年度6種)(目標6種以上)
- 3) 小児がん、希少がん等の治療薬に関して薬事承認・効能追加数: 0件(目標1種類以上)※目標達成に向け39課題以上で研究開発支援中
- 4) 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状況: 国際基準に準拠した臨床研究等を5課題以上で支援中。
- 5) 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状況: ガイドライン作成に資する多施設共同臨床試験48課題で支援中

② 次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム

事業内で、PSおよびPOによる会合の開催等により適切に研究管理を行うとともに、基礎から実用化研究にスムーズにつなげるため、両事業合同のPD/PS/PO会議やサイトビジット等を行うなど一体的な運用を実施した。

(主な成果)

- メラノーマや腎がんにおける貪食細胞-がん細胞相互作用を制御する抗体
- 細胞増殖シグナル経路を標的とする低分子化合物による小細胞肺がんの治療法開発
- RET融合遺伝子陽性肺がんに作用する分子標的薬の開発

研究開発課題においてゲノム解析やDDSなど技術面で課題横断的に支援可能な領域でコンサルティングや共同実験などを行う技術支援基盤を整備し、効率的な研究推進をサポートした。

② 次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム(続き)

また、研究事業の一環としてNBDCでの我が国初の大規模がんゲノム情報データベースの構築と公開を行った。支援しているゲノム解析の成果をより活用可能な形で公開することによりこの領域の研究が加速することが期待できる。

国際事業部と協力し米国NCIとバイオマーカーのワークショップを開催し次世代がんの研究者を中心に交流し国際連携のきっかけとなった。

③ 革新的がん医療実用化研究事業

事業内で、PSおよびPOによる会合の開催等により適切に研究管理を行うとともに、基礎から実用化にスムーズにつなげるため、両事業合同のPD/PS/PO会議やサイトビジット等を行うなど一体的な運用を実施した。

(主な成果)

- 難治性がんを対象としたウイルス遺伝子薬の実用化研究
- 成人T細胞白血病に対する抗CCR4抗体を併用した樹状細胞療法
- 化学療法に対する抵抗性を克服することを目的とした希少がん(悪性胸膜中皮腫)のウイルス療法の開発

調整費を活用して若手育成枠を拡大し、単年度枠を追加し、POによる研究指導を行った。若手研究者育成を目的としたワークショップを合宿形式で開催した。



基礎から臨床に亘る幅広い研究分野の研究者が医師も含め参加し、講演会や若手研究者による自身の研究内容に関するポスター発表や模擬課題評価委員会などを通して、がん研究に対する幅広い理解や研究発表力や研究評価能力の涵養を行うとともにベテランから若手まで研究者間の人的交流を図った。その結果単年度枠採択者が次年度の一般枠で採択されるなど一定の成果が見られた。

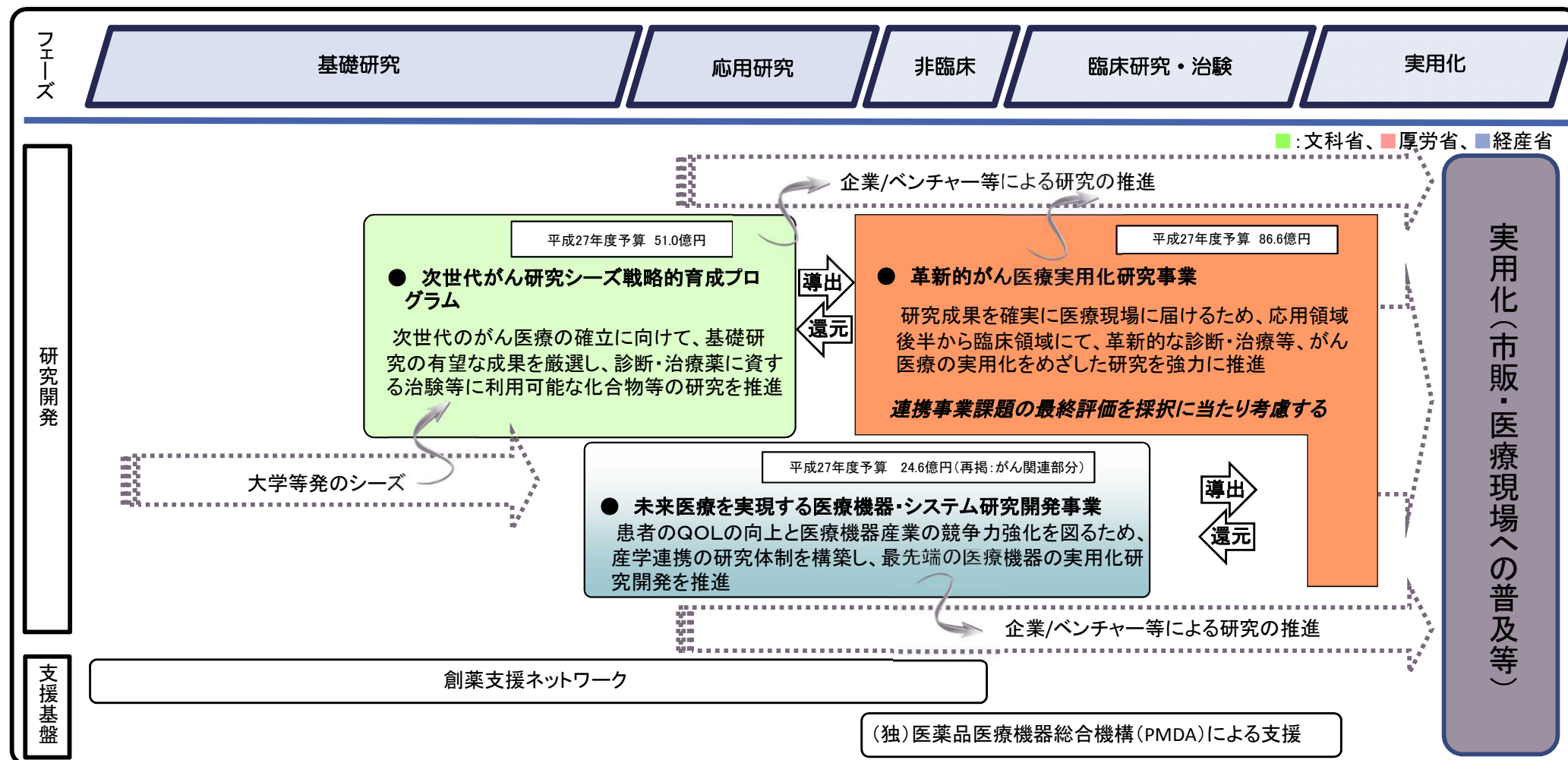
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥ 疾病に対応した研究<がん>



概要

基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に向けた医薬品・医療機器の研究開発を推進し、臨床研究等へ導出する。また、臨床研究で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品・医療機器開発をはじめとするがん医療の実用化を「がん研究10か年戦略」に基づいて加速する。



I (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

⑥ 疾病に対応した研究<がん>



評価軸

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したか。

1. ジャパンキャンサーリサーチプロジェクト(JCRP)

JCRPの下で支援しているがんの本態解明等基礎的な研究開発課題から臨床研究等より実用化に近い研究開発課題にスムーズにつなげていくため、次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラムと革新的がん医療実用化研究事業のPD/PS/POが一堂に会するPD/PS/PO会議を3月末までに4回開催し、JCRP内の各事業の進捗管理状況の確認や情報交換を行った。次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラムおよび革新的がん医療実用化研究事業でPO又はAMED職員によるサイトビジットを年度末までに33回行った。

2. 次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム(P-DIRECT)

文部科学省「次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム」の中で進捗が良好な3研究課題について、平成27年度途中に厚生労働省「革新的がん医療実用化研究事業」に導出した。PS/PO会議を1回実施した。P-DIRECT主催の研究代表者会議にPSおよびPOと共に2回参加し進捗把握に努めた。本プログラムで支援を受けた研究開発課題の成果をベースに革新的がん医療実用化研究事業に応募し採択された課題が平成27年度末までに8件あった。また、上記プログラムの事後評価結果をベースに、がんの基礎的研究の今後の在り方を模索した「がん研究の今後の在り方に関する検討会」による提言を踏まえ、来年度から開始される次世代がん医療創生研究事業では、評価委員会に企業在籍の経験ももつ創薬の専門家やAMEDの創薬支援戦略部の陪席を得て、実用化に向けた医薬品・医療機器を開発する基礎研究を適切に評価できる体制を整えた。

3. 革新的がん医療実用化研究事業

平成27年7～9月に二次、三次公募等で34課題を追加採択しており、合計192課題の研究管理を行った。

12月末までにAMEDにおいて研究代表者会議を2回、PS/PO会議を2回実施し、事業の推進に努めている。

来年度新規課題の評価委員会においては、臨床研究を適切に評価できるように生物統計学の専門家や腫瘍学における臨床研究の専門家を加え評価レベルを向上させる取り組みを行った。

次世代がん事業からの導出課題を優先的に採択する旨公募要領に記載し、事業間のシームレスな支援を推進した。

I (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

⑥ 疾病に対応した研究<がん>



評価軸

臨床研究及び治験で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品、医療機器の開発を始めとするがん医療の実用化を加速したか。

主な事業の成果として、日本発の革新的ながん治療薬の治験へ3件導出した。このうち、画期的な作用機序による新たな治療法により化学療法に対する抵抗性の問題を回避することが見込める希少がんのウイルス療法開発が含まれている。

(導出例)

- 難治性がんを対象としたウイルス遺伝子薬の実用化研究
- 希少がんに対するウイルス療法
- 成人T細胞白血病に対する抗CCR4抗体を併用した樹状細胞療法
- オリジナル抗原HSP105由来ペプチドワクチンのFIH医師主導治験 等

4. 次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム(P-DIRECT)／次世代がん医療創生研究事業

P-DIRECTでは、研究開発課題においてゲノム解析やDDSなど技術面で課題横断的に支援可能な領域でコンサルティングや共同実験などを行う技術支援基盤を整備し、効率的な研究推進をサポートした。また、P-DIRECTの研究事業の一環としてNBDCでの我が国初の大規模がんゲノム情報データベースの構築と公開を行った。

ヘッドクォータ主催による研究倫理研修会を2回実施した。

次期プログラムにおいては、知財の戦略と研究倫理に関してAMEDとPS/POによる事業の推進をサポートする課題を設置し、AMED内の知的財産部との連携によりプログラムの推進を図る体制を構築した。

<モニタリング指標>

	H27年度
応募件数	391件
採択件数	54件
事業に参画している研究者延べ人数	1975人

	H27年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	14件
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	58件

I 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事項

(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 疾病に対応した研究＜精神・神経疾患＞

I (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 疾病に対応した研究<精神・神経疾患>



評価(自己評価)

B

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た研究開発及び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とともに、認知症やうつ病などの精神疾患等の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法の確立に向けた取組を実施した。こうした取組の結果、脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの作成について順調な成果がでている。さらに精神疾患の客観的診断法・治療薬の治験・適正な薬物治療法の確立についても、着実に進歩が認められたなど、着実な業務運営がなされた。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められ、着実な業務運営がなされている。

① 成果目標達成状況(評価指標)

- ・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の状況
 - 自閉症スペクトラム症の中核症状に対する初の治療薬としてのオキシトシン経鼻剤:パイロットスタディは終了、多施設・大人数による治験に移行準備中
 - 認知症予防・治療のため、神経細胞内でのtauの凝集阻害効果をもつ薬剤としてイソプロテレノールを同定:平成28年度より単回投与薬効試験を開始、次いで反復投与試験に移行予定
 - アルツハイマー病の原因の脳神経細胞の脱落を抑制する化合物群を動物実験で見出した。
- ・精神疾患の客観的診断法の確立の状況
 - 脳機能・構造評価システム(磁気共鳴イメージング装置用ファントム):気分障害の客観的な診断に有用、国際特許出願中
 - 血液メタボローム解析により見いだした抑うつの重症度を反映するバイオマーカー:検査キット開発済み、米国特許出願中
 - 大うつ病性障害と双極性障害の鑑別診断に応用するための測定キット開発:米国特許出願中
 - 中高年者のうつ病重症度を反映するマーカー遺伝子の同定:平成28年度に補助診断マーカーの多施設連携大規模調査を開始予定
 - 視線計測装置Gazefinder®:視線パターンで自閉スペクトラム症を高率で弁別可能
- ・精神疾患の適正な薬物治療法の確立の状況
 - クロザピンがもつ副作用のリスク遺伝子を同定
- ・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成状況
 - 脳の透明化技術を用いた死後脳の組織病変の可視化観測、2光子顕微鏡と蛍光プローベを用いた生体内での神経細胞活動の計測等の新技術の開発、さらに脳の記憶に関わる大域的な分布の標識等、脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップ作成に貢献する成果が得られた。

② コモンマーマモセットの新たなヒトモデル実験動物としての確立の推進

コモンマーマモセットは脳の機能や疾患の解明に用いる前臨床実験モデル動物として重要である。ゲノム配列を再シーケンスしより詳細に解読することにより、マーマモセットのゲノム情報基盤の整備等を行うことにより、新たなヒトモデル実験動物としての確立の推進を図った。

③ 国際連携について

米国とはUS-JAPAN Brain Workshopを開催した(3/30 AMED於)。マルチレベルの計測技術開発、データ収集・データベース構築、動物データの臨床展開が重要であり、これら研究課題について情報提供しつつ、互いのポテンシャルを生かした研究を進めていくとの合意形成に至った。プロジェクトが一丸となって国際連携による研究(WS開催、共同研究の推進等研究水準の向上と加速)を推進できるよう準備を進めている。平成28年度秋には北米神経科学学会(サンディエゴ)、冬には日本でワークショップを開催予定である

④ AMED内での事業連携

オーダーメイド医療の実現プログラムでの課題採択(認知症患者ゲノムと超正常者としての超百寿者ゲノムの網羅的比較による認知症発症要因の解明)、また東北メディカル・メガバンクを活用する課題の採択によりAMED内での事業連携を推進した。

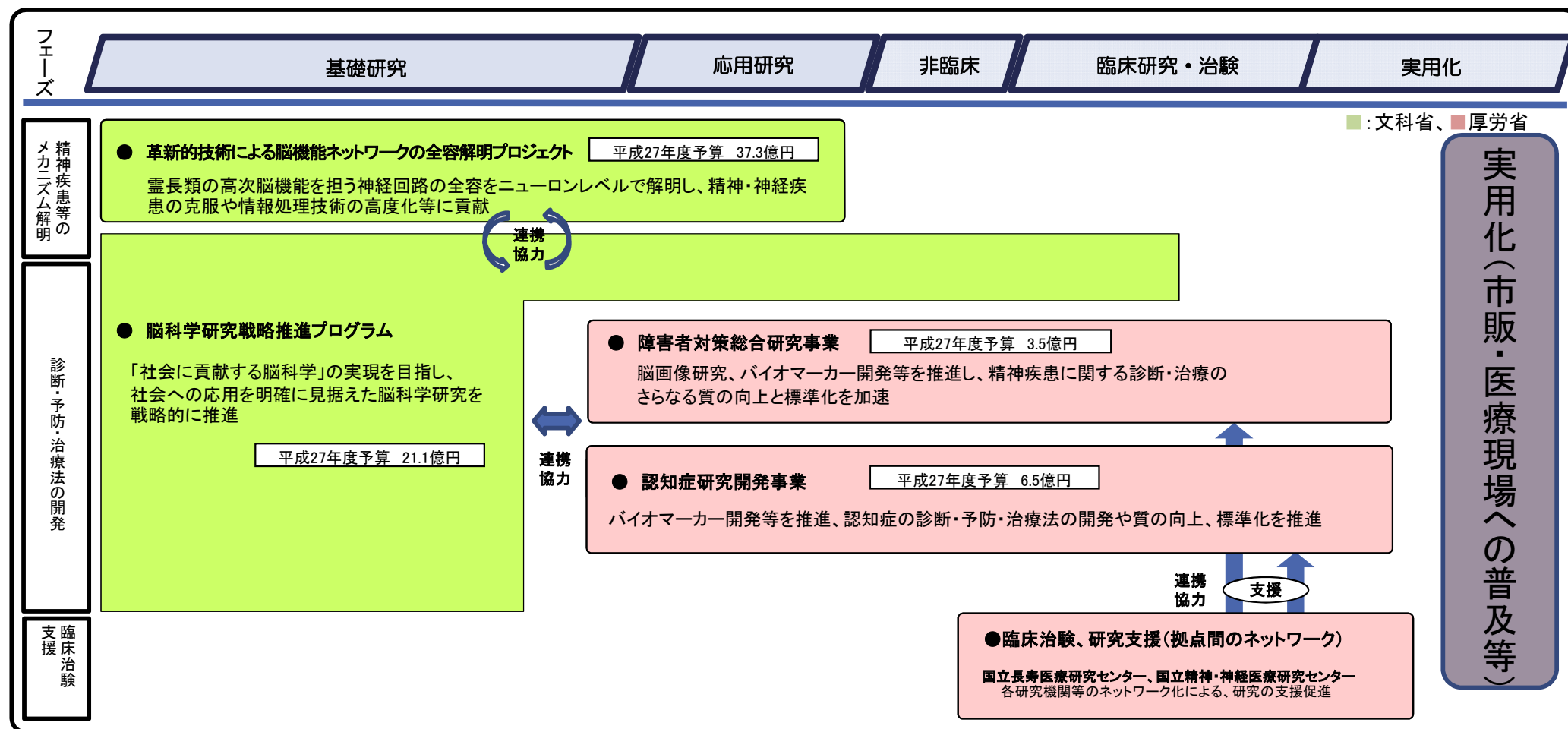
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑦疾病に対応した研究<精神・神経疾患>



概要

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予備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。



I (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

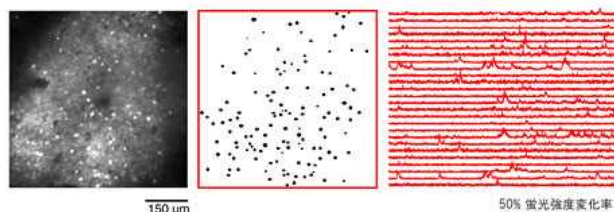
⑦ 疾病に対応した研究<精神・神経疾患>

評価軸

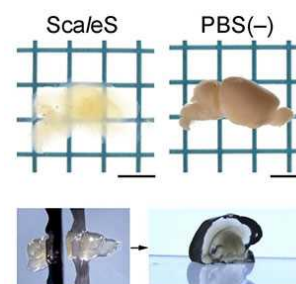
脳全体の神経回路の構造・機能の解明やバイオマーカー開発に向けた研究開発及び疾患の特性を踏まえた臨床研究の基盤整備等を推進したか。

革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト

霊長類の脳構造・機能マップの作成を実施するとともに、これに寄与する革新的な解析技術の開発等を実施するため、平成26年より代表機関として独立行政法人理化学研究所にて事業を開始した。その後参画機関として、慶應義塾大学・京都大学を加え、この3機関により基盤を構築、その後全国の様々な研究拠点の連携を得てプロジェクトを強力に推進できるよう研究を継続している。



マーモセットの大腦皮質で、長期間にわたり数百個の神経細胞の活動を同時に計測する技術の開発



死後脳に適応可能な新しい透明化技術の開発

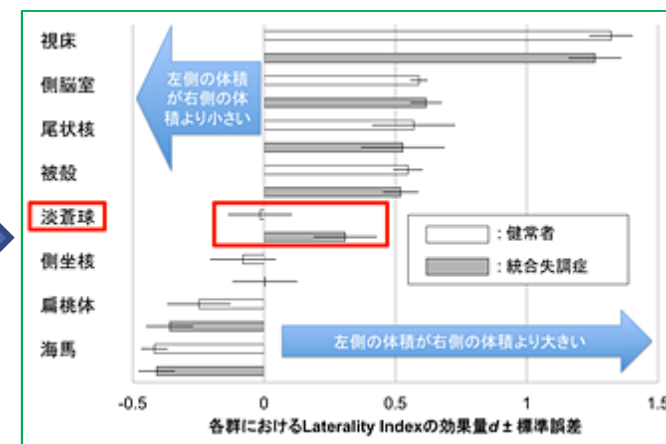
成果の例

日本の37研究機関からなる認知ゲノム共同研究機構(COCORO)

精神疾患の成因・病態生理等における遺伝要因の解明、および新たな診断と治療法の開発を目指すだけでなく、脳機能の分子メカニズムを明らかにすることを目的とし、精神疾患の遺伝的成因を明確にするための共同研究機構の構築・整備を行った。

認知症領域

新オレンジプランを受け、認知症の人やその前段階(前臨床期・軽度認知障害等)の人の全国的なレジストリ体制や、認知症の評価・検査方法の標準化等による臨床研究の実施支援体制の整備などにより、治療薬等の大規模臨床研究への即応体制の構築を開始した。



統合失調症において、大腦皮質下領域に存在する大腦基底核のひとつである淡蒼球の体積が健常者に比べて大きいという既知の報告を再現するとともに、その健常者との差に左側優位の非対称性が存在することを新たに見出した

I (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 疾病に対応した研究<精神・神経疾患>

評価軸

認知症やうつ病などの精神疾患等の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法の確立を目指したか。

背景

精神・神経疾患（認知症等の神経変性疾患、発達障害・統合失調症等、うつ病・双極性障害等）の発症メカニズムの探求とともに、病態モデル動物の開発と創薬への応用、新しい診断技術の開発と早期診断、新しい疾患概念と革新的技術による治療・予防法の治験につなげることを目標として、臨床と基礎研究の連携強化を図った。

また認知症については、平成27年1月に発表された「認知症施策推進総合戦略（新オレンジプラン）」に基づき、重点的な研究開発を推進した。

平成27年度の主な成果

認知症やうつ病などの精神疾患等の発症メカニズム解明

- 1) 統合失調症の病態神経回路の解明
- 2) 統合失調症の大脳皮質下領域の特徴を発見（淡蒼球）
- 3) アルツハイマー病態におけるオートファジーの新たな役割の解明
- 4) ストレスフルライフイベントとうつ状態と関連するストレスと遺伝子多型の相互作用の同定(BMP2)

認知症やうつ病などの精神疾患等の客観的な早期診断法の確立

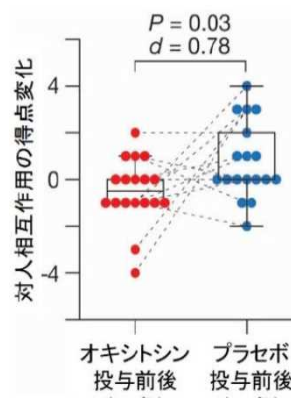
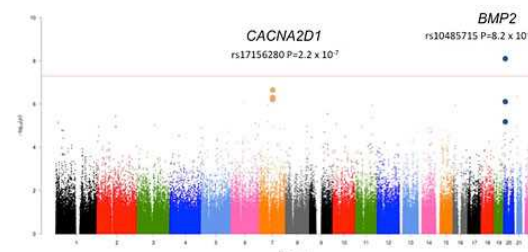
- 1) 中高年者のうつ病重症度を反映するマーカー遺伝子の同定
- 2) Gazefinder®の開発：視線パターンで自閉スペクトラム症を高率で弁別可能
- 3) 血液メタボローム解析により見いだした抑うつの重症度を反映するバイオマーカーの開発

認知症やうつ病などの精神疾患等の適切な治療法の確立

- 1) 自閉スペクトラム症(ASD)の中核症状に対するオキシトシン点鼻剤
- 2) クロザピンがもつ副作用のリスク遺伝子の同定
- 3) タウ蛋白のシステイン残基を標的にしたタウ蛋白凝集阻害剤の開発

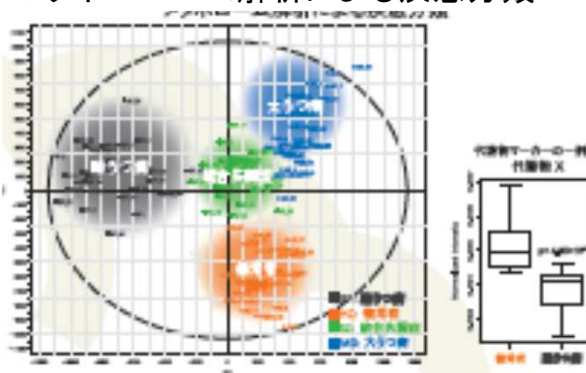
成果の例

うつ状態に対するストレスフルライフイベントと全ゲノムの遺伝子多型との相互作用の関連性の結果



オキシトシン経鼻剤連日投与による自閉スペクトラム症中核症状の改善

メタボローム解析による疾患分類



今後の研究: 精神疾患については成果はでているものの、急速な進歩とまではいえないため、基礎研究の充実が必要。認知症は従来のアミロイド仮説に基づく研究ではブレイクスルーは多く得られておらず、新たな見地からの研究も必要と考え、平成29年度課題採択に反映していく。

I (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疾病に対応した研究<精神・神経疾患>



評価指標

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の状況

1. 「自閉症スペクトラム症の中核症状」に対する初の治療薬としてのオキシトシン経鼻剤
→パイロットスタディは終了。多施設・大人数による治験に移行準備中。
2. 認知症予防・治療のため、神経細胞内でのtauの凝集阻害効果をもつ薬剤としてイソプロテレノールを同定
→平成28年度より単回投与薬効試験を開始、次いで反復投与試験に移行予定
3. アルツハイマー病の原因の脳神経細胞の脱落を抑制する化合物群を動物実験で見出した。

評価指標

精神疾患の客観的診断法の確立の状況

1. 脳機能・構造評価システム(磁気共鳴イメージング装置用ファントム): 気分障害の客観的な診断に有用、国際特許出願中
→平成28年度に気分障害患者と健常者の脳画像・血液・臨床データの追加収集・解析を開始予定
2. 血液メタボローム解析により見いだした抑うつの重症度を反映するバイオマーカー: 検査キット開発済み、米国特許出願中
3. 大うつ病性障害と双極性障害の鑑別診断に応用するための測定キット開発: 米国特許出願中
4. 統合失調症における淡蒼球の体積: 健常者に比べて大きい、左側優位の非対称性が存在
5. 「ストレスを感じるような出来事(ストレスフルライフイベント)と遺伝子多型との相互作用」を同定
6. 中高年者のうつ病重症度を反映するマーカー遺伝子の同定
→平成28年度に補助診断マーカーの多施設連携大規模調査を開始予定
7. 視線計測装置Gazefinder®: 視線パターンで自閉スペクトラム症を高率で弁別可能

評価指標

精神疾患の適正な薬物治療法の確立の状況

1. クロザピンがもつ副作用のリスク遺伝子を同定: クロザピン誘発性無顆粒球症の病態生理の解明、さらには新たな薬剤開発へ役立つことが期待される。

I (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疾病に対応した研究<精神・神経疾患>

評価指標

脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成状況

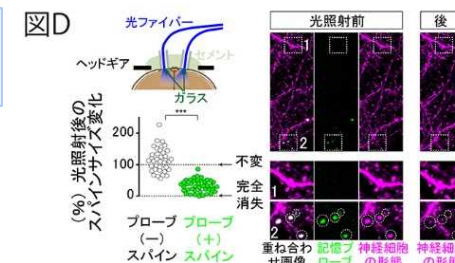
革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト

神経細胞がどのように神経回路を形成し、どのように情報処理を行うことによって、全体性の高い脳の機能を実現しているかを解明するため、我が国が強みを持つ新しい技術開発を生かすことにより、その全容を明らかにすることを目指した研究開発を継続して行っている。

平成27年度の主な成果

- 1) 2光子顕微鏡と蛍光カルシウムセンサーを組み合わせ、生体内で数百個の神経細胞の活動を同時に計測する技術の開発
- 2) 老齢マウスやヒトの死後脳に適応可能な新しい透明化技術の確立
- 3) 貯蔵された記憶を可視化および消去する新技術の開発
- 4) 神経伝達物質やインスリン分泌の新しい可視化法の開発
- 5) 大規模リン酸化プロテオミクス解析による快感を生み出すメカニズムの解明
- 8) 報酬への反応を制御する神経線維がつくる特殊な神経細胞間のつながりの発見

成果の例：記憶プローブと運動学習によって獲得された記憶の可視化



今後の研究

有望な新技術の開発は順調に行われている。その一方脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの作成には時間を要する。米国、EU等の諸外国の研究機関やファンディング機関のプロジェクト等と連携し、互いに補完しながら、研究推進を加速・強化する。(マルチレベルの計測技術開発、データ収集・データベース構築、動物データの臨床展開、が重要であり、これら研究課題について情報提供しつつ、互いのポテンシャルを生かした研究を進めていく)

<モニタリング指標>

	H27年度
応募件数	205件
採択件数	76件
事業に参画している研究者延べ人数	1523人

	H27年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	2件
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	59件

I 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事項

(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

⑧ 疾病に対応した研究＜新興・再興感染症＞

I (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

⑧疾病に対応した研究<新興・再興感染症>



評価(自己評価)

A

感染症に関する国内外での研究の推進や、得られた成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげる等の取組を実施した。本取組を行う上で、効果的かつ機動的な資金配分による研究の加速や前倒し、新興・再興感染症制御プロジェクト内及び機構の他部門との連携を推進した。また、感染症に対する国際連携ネットワーク(JPIAMR等)へ新たに参画した。こうした取組の結果、

- ・経鼻インフルエンザワクチンの開発では、第Ⅰ相臨床試験を開始するとともに、世界初の発見となる多量体IgA抗体の存在と効果を明らかに
- ・薬剤耐性ゲノムデータベース(GenEpid-J)を用いて、世界的に出現が注視される抗菌薬コリスチンに対する耐性遺伝子(mcr-1)を日本で初めて確認
- ・新たな数理モデルを開発してジカ熱の流行予測を行い、流行拡大の可能性に関する国民への注意喚起を行う上での重要な科学的根拠を提示
- ・デングウイルス阻害剤開発において、デングウイルスⅡ型のVero細胞における増殖を阻害する候補化合物を選別

等、画期的な成果を得るなど、所期の目標を上回った。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①成果目標達成状況(評価指標)

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・実用化の状況

⇒平成26年度から構築を開始した病原体(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を利用し、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・実用化に向けた基盤整備を行った。

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の状況

⇒経鼻インフルエンザワクチンの実用化に向けて平成27年10月に第Ⅰ相臨床試験を開始した。ノロウイルスワクチンについては、VLPワクチンの基盤となるシーズ(VLPとモノクローナル抗体)の開発を行った。

新たなワクチンの開発の状況(例:インフルエンザに対する万能ワクチン等)

⇒エボラ出血熱については無毒化エボラウイルスワクチンの臨床試験用のマスターウイルスバンク等の製造システム構築に着手した。

新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発の状況

⇒新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発に資する感染症の病態の解明等を行った。また、抗デング熱薬剤開発(長崎大学)でも天然抽出物を中心としたスクリーニング支援を行い、創薬推進に向けた取組を行った。

WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成の状況

⇒ポリオの根絶に向けては、継続して、発生動向調査や定期の予防接種の推進といった取組を行った。2015年3月、WHO西太平洋事務局により認定を受けた、麻疹の排除状態を引き続き維持した。さらに風しん排除を目指し、検査体制整備等の取り組みを進めている。

②成果目標達成状況(補足)

グローバルな病原体・臨床情報の共有体制の確立を基にした、病原体に関する全ゲノムデータベースの構築、生理学的及び臨床的な病態の解明、及びアジア地域における病原体マップの作成(インフルエンザ・デング熱・下痢症感染症・薬剤耐性菌について、公衆衛生対策能力向上を図るため)

⇒病原体ゲノムデータベースに関し、サーバー等のハード面の更なる拡充を行った。グローバルな病原体・臨床情報の共有体制の基盤を確立し、国内外の病原体全ゲノムデータの収集を行い、病原体マップの作成や病態解明に向けた研究を推進した。

③2015年度の主な成果

- ・平成27年10月に国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチン第Ⅰ相臨床試験を開始した。また、多量体IgA抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した。
- ・薬剤耐性ゲノムデータベース(GenEpid-J)を用いて、抗菌薬コリスチンに対する耐性遺伝子「mcr-1」を日本で初めて確認した。
- ・数理モデルを用いてジカ熱の流行予測を行い、国民への情報提供を行った。
- ・デングウイルス複製に必須のRNA依存性RNAポリメラーゼ(RdRP)の阻害剤開発の化合物スクリーニングを行ってデングウイルス2型のVero細胞における増殖を阻害する候補化合物を選別した。

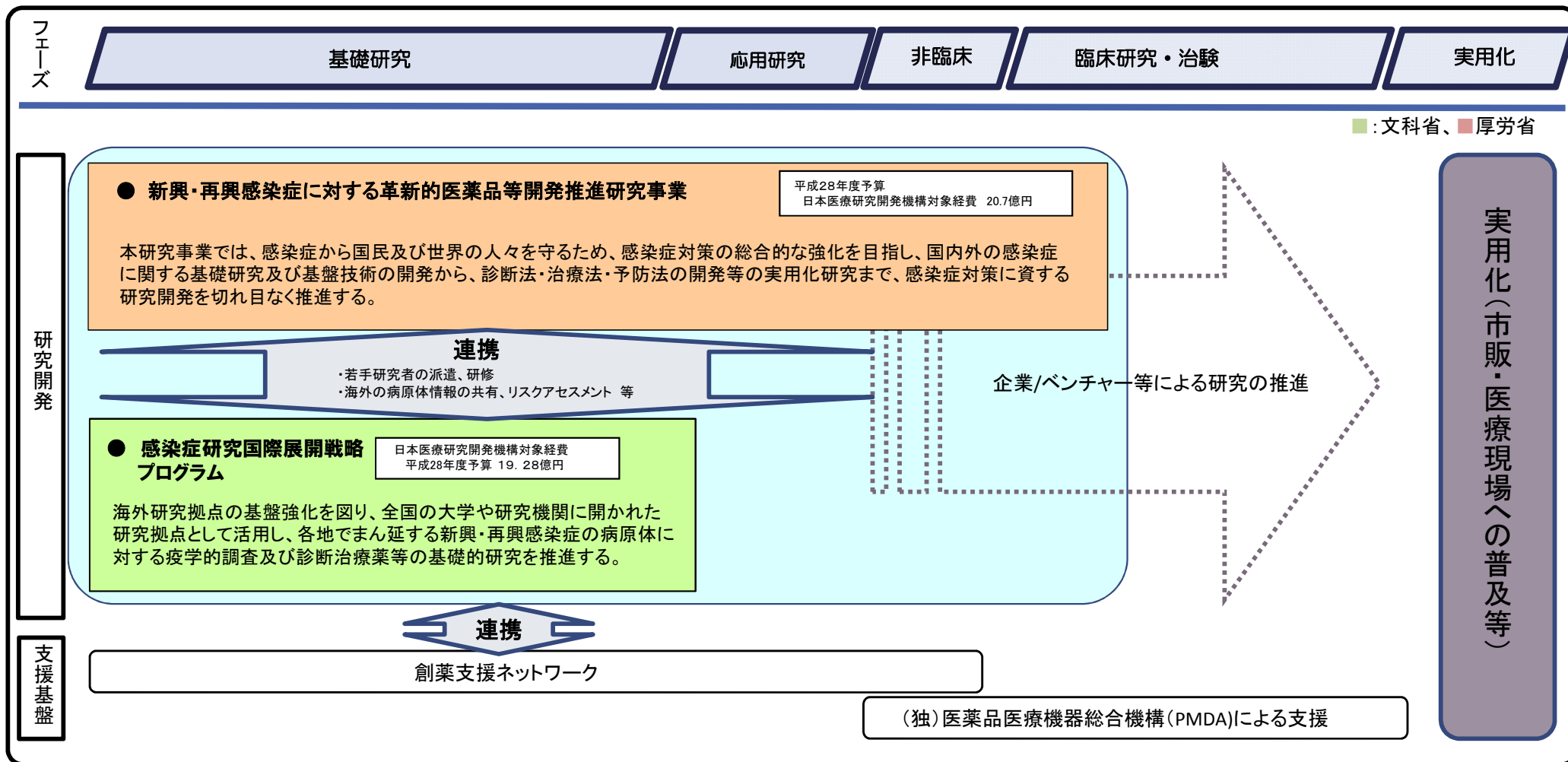
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧疾病に対応した研究<新興・再興感染症>



概要

新型インフルエンザ等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。



I (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

⑧ 疾病に対応した研究<新興・再興感染症>

評価軸

・国内外の様々な病原体に関する疫学的調査及び基盤的研究並びに予防接種の有効性及び安全性の向上に資する研究を実施し、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発を一体的に推進したか。

背景

効果的な経鼻インフルエンザワクチンの開発に向けた研究課題

- ・季節性インフルエンザにより、本邦では毎年1000万人程度の患者が発生している。現在使用されている注射型のインフルエンザワクチンは感染に伴う重症化の阻止には有効であるが、感染防御には有効ではないため、ワクチン接種を受けてもインフルエンザを発症する場合がある。
- ・新規経鼻インフルエンザワクチンは、①インフルエンザの感染を防御し、②多様な流行株にも効果(交差防御能)を有すると示唆されており、③さらに接種が簡便である。この新規経鼻インフルエンザワクチンの開発及び実用化を目指す。

平成27年度の主な研究成果

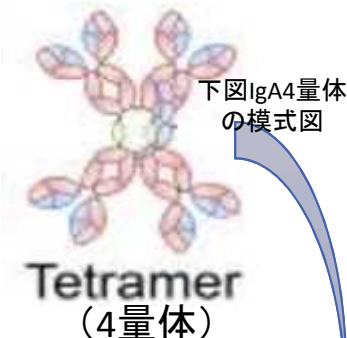
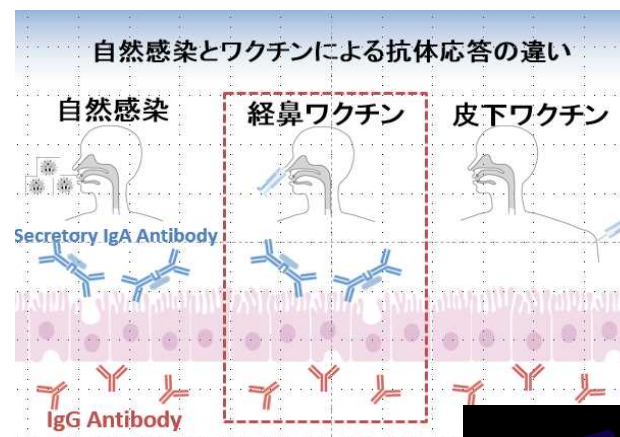
◆ 第I相臨床試験の開始

- ・2015年10月に国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチン第I相臨床試験を開始。

平成27年6月9日
AMEDプレス発表

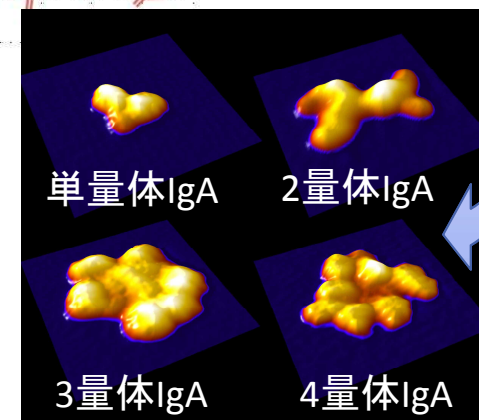
◆ 多量体IgA抗体の存在を確認

- ・多量体IgA抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した。(PNAS 2015 Jun 23;112(25):7809-14.)



今後の研究

- (1) ワクチン製造方法やアジュバントの最適化、宿主免疫応答の解析、第II相及び第III相臨床試験における有効性評価等の検討を行いワクチンの実用化を進める。
- (2) 新型インフルエンザA(H5N1)、A(H7N9)に対応できる経鼻インフルエンザワクチンの開発を目指す。



I (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

⑧ 疾病に対応した研究<新興・再興感染症>



評価軸

- ・国内外の病原体に関する全ゲノムデータベースの構築に着手することで、病原体情報をリアルタイムに共有し、感染症の国際的なリスクアセスメントを可能としたか。
- ・集積された情報を分析することで、重点的なサーベイランスを実施するなど、感染症流行時の迅速な対応の促進を図ったか。

背景

薬剤耐性菌に関する疫学的研究

- ・ WHOが極めて重要と位置づける抗菌薬コリスチンに対する薬剤耐性菌の出現が、近年世界的な問題となっている。
- ・ このコリスチンの耐性遺伝子 *mcr-1* は、すでに中国、ヨーロッパ、アジア、アフリカ等で確認されていたが、これまで日本では確認されていなかった。
- ・ 本プロジェクトでは薬剤耐性ゲノムデータベース (GenEpid-J) の整備を行い、家畜衛生分野における薬剤耐性モニタリング体制 (JVARM) とのデータベース統合を進めている。

平成27年度の主な研究成果

今回、本プロジェクトで整備を進めている薬剤耐性菌のゲノムデータベース「GenEpid-J」を探索し、国内で収集された家畜由来株が *mcr-1* を有するプラスミドを持ち、さらにそのプラスミドが中国で報告されたプラスミドと極めて類似した遺伝子配列を持つことを世界で初めて確認した。(Lancet Infect Dis. 2016 Mar;16(3):284-5. doi: 10.1016)

今後の研究

病原体データベースの構築や整備をJ-GRIDとの連携の元に行い、日本だけではなく、日本と関連の深いアジア地域の病原体情報も包括するデータベースの構築を推進する。またデータベースの病原体情報を利用した抗菌薬開発等、蓄積した病原体情報の効果的な活用方法を検討する。



I (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

⑧ 疾病に対応した研究<新興・再興感染症>

評価軸

・2020年の東京オリンピック・パラリンピックに向け、感染症サーベイランスの強化に関する研究を促進したか。

背景

数理モデルを使用したジカ熱の流行予測

平成27年ジカ熱の流行が中南米を中心に発生し、平成28年2月WHOより「国際的に懸念される公衆衛生上の緊急事態(PHEIC)」が宣言された。さらに、平成28年6月にはリオデジャネイロオリンピック・パラリンピック開催によるジカ熱流行地への渡航者の増加等が予測され、引き続き国内への流入・感染拡大が危惧されている。

平成27年度の主な研究成果

ジカ熱について、数理モデルを用いて感染症流行動態を予測し、その感染力がデング熱と同等であることを世界で初めて明らかにした。(Int J Infect Dis. 2016 Feb 26;45:95-97.)



今後の研究

引き続き2020年東京オリンピック・パラリンピックに向け、海外から本邦へ輸入される可能性のある感染症についてサーベイランス強化を支援する。



I (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

⑧疾病に対応した研究<新興・再興感染症>

評価軸

予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針及びストップ結核ジャパンアクションプラン等を踏まえ、病原体の薬剤ターゲット部位を同定すること等を通じ、新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を実施したか。

背景

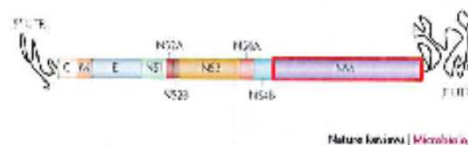
デング熱治療薬の開発/スクリーニング

これまで輸入感染症とされていたデング熱の日本国内での流行が69年ぶりに発生した。デング熱が重症化し、デング出血熱またはデングショック症候群を引き起こす要因は未だ不明である。デングウイルスには4つの血清型があるが、型別に重症度が異なるとの報告もある。従って、デング熱の重症化要因の解明と共に、診断・治療薬シーズ開発に重点を置いた事業を進める必要がある。

平成27年度の主な研究成果

- (1) 理研において、16000化合物のスクリーニングを完了した。
- (2) 阪大にて試行した生細胞を使った抗ウイルス効果試験において、理研のスクリーニングから候補に挙げられた8つの薬剤のうち、血清型のDENV-1、DENV-2、DENV-3に有効な薬剤が2つ認められた。

RNA依存性RNAポリメラーゼ(RdRP)
デングウイルス (I~IV型)
NS5タンパク質



- ウイルス複製において中核的な役割
 - ・ゲノム(＋鎖RNA)複製
 - ・アンチゲノム(－鎖RNA)複製
 - ・遺伝子の転写
 - ・ホスト因子と相互作用
- ほ乳類細胞には存在しない

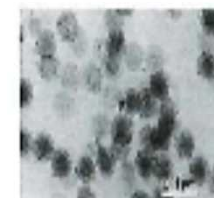


抗ウイルス薬のターゲットとして有望

今後の研究

- (1) 理研は、東大創薬機構の化合物ライブラリーを使用し、まずは9600化合物を対象としたスクリーニングを継続する。
- (2) 阪大は理研の結果を基に試験・検討他をさらに進め、化合物の絞り込みを目指す。

デング熱ウイルス



I (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

⑧疾病に対応した研究<新興・再興感染症>



<モニタリング指標>

	H27年度
応募件数	88件
採択件数	31件
事業に参画している研究者延べ人数	906人

	H27年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	0件
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	3件

I 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事項

(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

⑨ 疾病に対応した研究＜難病＞

I (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

⑨疾病に対応した研究<難病>



評価(自己評価)

S

難病に関し、疾患の原因・病態解明を行う研究、画期的な診断法・治療法・予防法の研究を推進するとともに、疾患特異的iPS細胞を用いた疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進した。こうした取組に加え、未診断疾患イニシアチブ(IRUD)の立ち上げや、難病研究に関する国際連携の礎を築いたこと(IRDiRCへの加盟)、再生医療実現ネットワークプログラムと連携した公募や若手研究者を対象とする公募を実施した。こうした取組の結果、2015年度までの成果目標に掲げた薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上に対し、実績は21件(うち2015年度は12件)となり目標を大きく上回り、かつ中長期目標(2020年頃までの達成目標)である薬事承認や適応拡大11件に対してはこれまでに3件(うち2015年度は2件)を達成するなど、目標の達成に向かって順調又は上回るペースで進捗している。これに加え、さらに新規の知見として、薬剤抵抗性のてんかん発作を引き起こす視床下部過誤腫や二次進行型多発性硬化症等の病態解明がなされる等の画期的な成果を得るなど、所期の目標を大きく上回った。以上を踏まえ「研究開発成果の最大化」に向けて特に顕著な成果の創出や将来的な特別な成果の創出の期待等が認められる。

① 成果目標達成状況(評価指標)

- ・薬事承認を目指した新たな治験導出件数...21件(2015年度までの目標:7件以上)(2015年度の研究で治験を実施していた課題数12件)
- ・新規薬剤、新規医療機器の薬事承認...3件(うち平成27年度は2件)(2020年までの達成目標:11件以上)
- ・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件数...2件(2016年度開始に向けて準備中)

② 難病の病態解明(1)

- ・「二次進行型多発性硬化症の画期的な新規治療法の開発に関する研究」、「多発性硬化症における革新的な医薬品等の開発を促進させる研究」:神経難病である多発性硬化症のなかでも、特に高度の神経障害を残す二次進行型多発性硬化症で、Eomesというタンパクを発現するリンパ球が重要な役割を果たすことを明らかにした。

③ 難病の病態解明(2)

- ・「遺伝性難治疾患の網羅的遺伝子解析拠点研究」:将来的に脳になる細胞に生じるGLI3及びOFD1の変異が、薬剤抵抗性のてんかん発作を引き起こす視床下部過誤腫の原因となることを発見した。

④ その他特筆すべき事例

- ・「内転性痙攣性発声障害に対するチタンブリッジを用いた甲状軟骨形成術2型の効果に関する研究」:開発品目が先駆け審査指定制度の対象に指定された(平成28年2月10日)。

I (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

⑨ 疾病に対応した研究<難病>

概要

希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品・医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発をめざす研究を推進する。また、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・治療法の開発等を推進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

● 難治性疾患実用化研究事業

遺伝子治療及び医薬品・医療機器等の医療技術の実用化を目指した臨床研究、医師主導治験等の推進（新規治療法の開発・既存薬剤の適応拡大等）

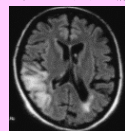
平成27年度予算額 85.7億円

■ 文科省、■ 厚労省

・小児重症拡張型心筋症への骨格筋芽細胞シートを用いた再生治療等



・ミトコンドリア脳筋症に対するタウリン療法



・リンパ脈管筋腫症に対するシロリムス内服



・難治性潰瘍を伴う免疫疾患に対する体外衝撃波治療法等



・ALSに対するHGF髄腔内投与



・プリオン病に対する低分子シャペロン治療薬の開発
・遠位型ミオパチーに対するNアセチルノイラミン酸の開発
・HAMの革新的な治療法となる抗CCR抗体療法の実用化

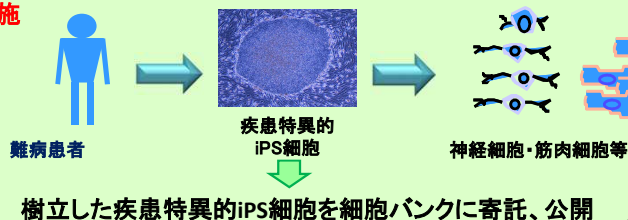
● 疾患特異的iPS細胞を樹立、分化誘導、解析する技術を有する拠点の整備

H24年度～『疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究』

iPS細胞を活用した基礎研究から実用化研究まで一貫した研究体制の構築による早期の治療法開発

平成27年度予算額 10.5億円（再掲）

疾患特異的iPS細胞の樹立・分化に関する技術の普及や疾患特異的iPS細胞を用いた研究を個別機関と共同で実施



①患者体細胞の供与

情報共有

②iPS細胞、分化細胞の供与

● 疾患特異的iPS細胞から分化誘導された細胞を用いた治療法の開発研究



共同研究

製薬企業との共同研究を実施

共同研究

創薬支援ネットワーク

（独）医薬品医療機器総合機構（PMDA）による支援

企業ベンチャー等による研究の推進

実用化（市販・医療現場への普及等）

研究開発

支援基盤

I (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

⑨ 疾病に対応した研究<難病>

評価軸

希少・難治性疾患(難病)の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進したか。

○平成27年度、委託研究開発として165件の研究開発課題を実施した。

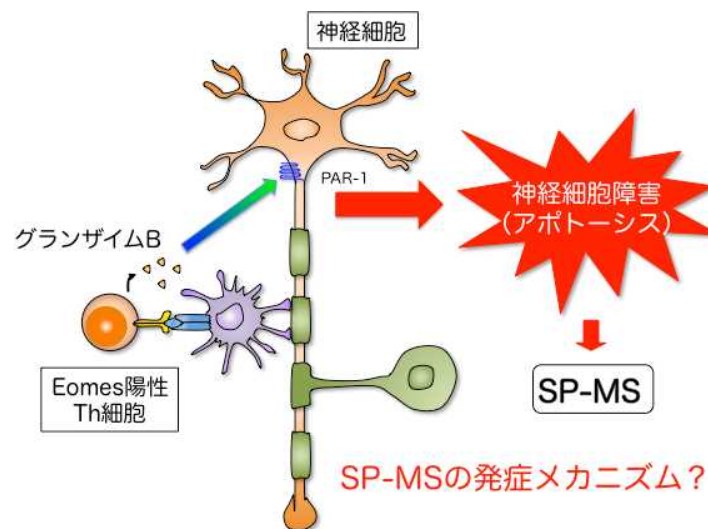
■ 治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究

- ・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(事業内の定義で「生体試料の収集と活用による病態解明を推進する研究(生体試料バンク)」に相当)...2課題
- ・遺伝子解析等、病因、病態解明を行う研究(事業内の定義で「疾患毎の集中的な遺伝子解析及び原因究明に関する研究(遺伝子拠点研究)」 「未診断疾患イニシアチブ(Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases: IRUD)」に相当)...7課題
- ・シーズの探索を行う研究(事業内の定義で「革新的な医薬品等の開発を促進させる研究」に相当)...65課題

■ 医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究

- ・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(事業内の定義で「希少難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究(ステップ1)」 「希少難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究(ステップ2)」に相当)...33課題
- ・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...58課題

○国立精神・神経医療研究センター神経研究所 免疫研究部山村隆部長らの研究グループは、神経難病である多発性硬化症(MS, Multiple sclerosis)のなかでも、特に高度の神経障害をのこす二次進行型MSで、エオメス(Eomes)というタンパクを発現する新型リンパ球が重要な役割を果たすことを明らかにした。このリンパ球は神経細胞を障害する物質を分泌して脳や脊髄の慢性炎症を引き起こす。研究グループは、マウスモデルでこのリンパ球が病気の発症に関わることを証明し、治療薬開発の新たな標的になることを示した。また二次進行型MS患者の血液や髄液でも、この新型リンパ球が増加していることが分かった。エオメス陽性の新型リンパ球を阻害する薬剤によって、進行型MSや炎症を伴う神経変性疾患を治療できる可能性がある。



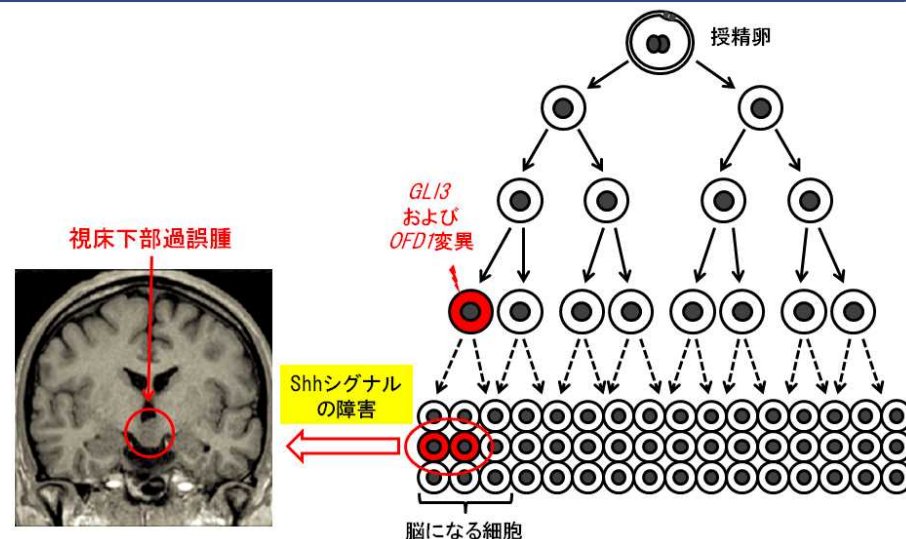
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑨ 疾病に対応した研究<難病>

評価軸

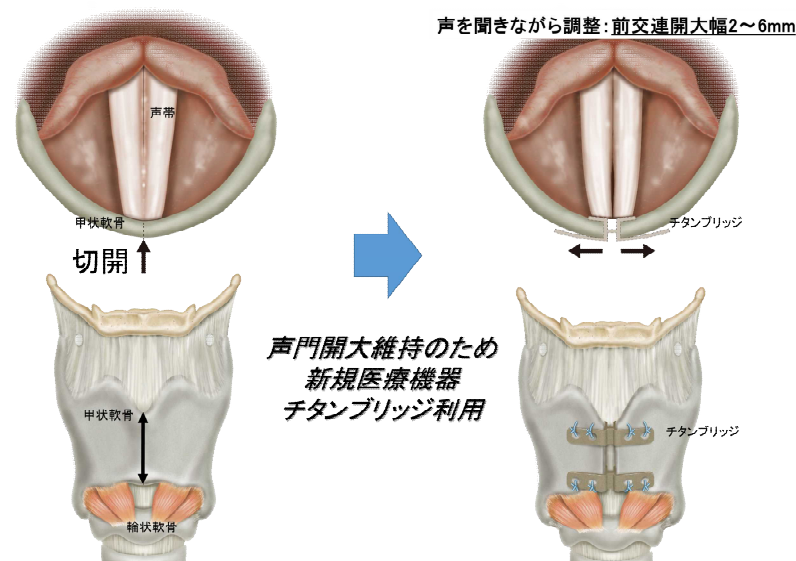
希少・難治性疾患(難病)の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進したか。

○横浜市立大学遺伝学講座の松本直通教授、浜松医科大学医化学講座の才津浩智教授、西新潟中央病院の亀山茂樹先生、園田真樹先生らの研究グループは、将来的に脳になる細胞に生じるGLI3及びOFD1の変異が、薬剤抵抗性のてんかん発作を引き起こす視床下部過誤腫の原因となることを発見した。これらの遺伝子変異によって、形態形成に重要な役割を果たしているShh(ソニックヘッジホッグ)シグナルが障害されることが強く示唆され、効果的な治療法の開発に寄与することが期待される。



○チタンブリッジ(甲状軟骨形成術2型)が、平成28年2月10日付けで先駆け審査指定制度の対象品目に指定された。
(現在、AMED委託費「難治性疾患実用化研究事業」で実施している研究開発課題「内転型痙攣性発声障害に対するチタンブリッジを用いた甲状軟骨形成術2型の効果に関する研究」において、製造販売承認を目的とした医師主導治験を実施中である。)

コンセプト:発声時の声門過閉鎖の防止



I (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

⑨ 疾病に対応した研究<難病>



評価軸

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・治療法の開発等を推進したか。

■ 疾患特異的iPS細胞を用いた疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等

- ・再生医療実現拠点ネットワークプログラムとの連携体制をとる10課題の採択・課題運営を行い、さらに下記の成果を得た。
- 「オートファジー促進によるミトコンドリアクリアランス上昇を薬理作用とする新たなパーキンソン病治療薬開発」: 世界に例の無い規模のパーキンソン病iPS細胞バンク(数千例以上)を構築し、順天堂大学と慶應義塾大学はiPS細胞を用いたパーキンソン病の病態研究・再生医療を連携して促進していくことで合意

評価軸

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ったか。

■ 希少疾患や未診断疾患に関する研究

- ・未診断疾患イニシアチブ(IRUD)を立ち上げ、各種取り組みを行った。
- 成育疾患克服等総合研究事業と連携して研究課題を採択
- 日本医師会、東京都医師会、日本私立医科大学協会、国立大学附属病院長会議との協力体制構築
- 成人IRUDにおける全国15か所にIRUD拠点病院の設定とIRUD診断委員会・臨床専門分科会の構築
- 小児IRUDにおける全国15か所のIRUD拠点病院と150か所を超える協力病院の設定
- 小児・成人IRUD両課題の代表者・関係者による推進会議・実務者会議の定期的開催・体制構築
- 小児IRUDにおける7件の新規疾患原因遺伝子変異の同定
- 米国NIHの未診断疾患プロジェクト等との連携とNIHデータベース利用による新たな疾患・原因遺伝子変異の同定
- NIHと共同での学会発表やシンポジウムの主催ならびにゲノム情報マッチングに関する国際シンポジウム協賛

■ 希少疾患や未診断疾患に関する研究

- ・情報収集及び日本からの提言・発信を目的として、国際希少疾患研究コンソーシアム(IRDiRC)に関する各種取り組みを実施。
- IRDiRCへの新規加盟およびIRDiRCの最高議決機関であるExecutive CommitteeにAMED代表者が参加し国内状況等紹介
- 医薬基盤・健康・栄養研究所のIRDiRC新規加盟ならびにTherapies Scientific Committee参加を支援し、会議情報を共有
- 医薬品医療機器総合機構からの少数患者を対象とした臨床試験のタスクフォースへの参加を支援し、議論内容を共有

I (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

⑨疾病に対応した研究<難病>



評価指標：・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大件数
・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状況
・薬事承認を目指した新たな治験導出件数

■新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大件数：

・新規薬剤、新規医療機器の薬事承認3件。これらの他にも治験を実施している課題が多数あり、今後更なる薬事承認（実用化）が期待される。

■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状況：

・国際共同臨床研究及び治験を、難治性疾患実用化研究事業の2課題において実施にむけ取り組んでいる。
・HTLV-1関連骨髄症（HAM）に対するステロイド製剤について、2016年度の国際共同治験開始に向け準備中である。また、中性脂肪蓄積心筋血管症に対する中鎖脂肪酸製剤については現在国内治験を実施中であるが、国際共同臨床研究に向けて準備中である。

■薬事承認を目指した新たな治験導出件数

・薬事承認を目指した新たな治験導出件数：21件（2015年度の研究で治験を実施していた課題数）

目標に掲げた「7件以上」を達成した。薬事承認に向け更なる成果が期待される。

- ・「タウリンによるMELAS脳卒中様発作再発抑制療法の実用化」：ミトコンドリア脳筋症（MELAS）患者対象の治験実施中。
- ・「肝細胞増殖因子（HGF）による筋萎縮性側索硬化症（ALS）の治療法開発」：ALS患者を対象とした第Ⅰ相試験を実施済み。
- ・「遠位型ミオパチーにおけるN-アセチルノイラミン酸の第2/3相試験」：第2/3相試験を開始した。
- ・「HAMに対する日本発の革新的治療となる抗CCR4抗体の実用化研究」：抗CCR4抗体（モガムリズマブ）を用いた神経難病HAMに対する第1/2a相試験を開始した。

<モニタリング指標>

	H27年度
応募件数	171件
採択件数	25件
事業に参画している研究者延べ人数	227人

	H27年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	21件
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	67件

I 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事項

(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

⑩ その他の健康・医療戦略の推進に必要な研究開発等

I (2) 基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑩その他の健康・医療戦略の推進に必要な研究開発



評定(自己評価)

A

適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で、脳損傷後のリハビリテーション作用機序の解明、次世代シークエンサーを用いた先天性難聴遺伝子診断システムの保険収載、大動脈解離のバイオマーカー開発、脳卒中急性期の臨床研究基盤構築、アレルギーマーチにおける皮膚細菌叢の偏りとアトピー性皮膚炎の病態に関する世界初の報告、免疫アレルギー疾患のバリア機能亢進とかゆみ制御化合物としてのJAK阻害薬(外用剤)の第II相試験(企業治験)の開始、新規抗肝炎薬のシーズの発見、AADC欠損症に対する遺伝子治療の実施、小児対象の未診断疾患イニシアチブ(IRUD-P)の始動、筋電義手や適応学習機能を持つ筋電制御システムの実用化開発での臨床試験の開始、AIM投与による急性腎不全治療につながる革新的成果、皮膚における脂質の新しい役割の発見などの成果が得られているなど、所期の目標を上回った。以上を踏まえ「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①生活習慣病、循環器疾患、呼吸器系疾患、筋骨格系・結合組織疾患、泌尿器系疾患に関する研究

- 大動脈解離のバイオマーカー(GM-CSF)の開発
- オールジャパン体制での脳卒中急性期の臨床研究基盤の構築

②小児・周産期の疾患に関する研究

- 小児を対象とした未診断疾患診断体制の構築(IRUD-P)
- 芳香族Lアミノ酸脱炭酸酵素(AADC)欠損症に対する国内初の遺伝子治療の実施

③身体機能障害や高齢者のQOLを低下させる疾患に関する研究

- 脳損傷後のリハビリテーション作用機序の解明
- 次世代シークエンサーを用いた先天性難聴遺伝子診断システムの開発・保険収載
- 「複合(口腔・栄養・運動)プログラム実施マニュアル」等の作成

④免疫アレルギー疾患等に関する研究

- アレルギーマーチにおける皮膚細菌叢の偏りとアトピー性皮膚炎の病態に関する世界初の報告
- 免疫アレルギー疾患のバリア機能亢進とかゆみ制御化合物としてのJAK阻害薬の第II相試験(企業治験)の開始

⑤エイズ及び肝炎対策に資する研究

- HIV感染症の抗体治療薬・HIV予防ワクチンに係る臨床試験の加速・推進
- 新規抗肝炎薬シーズ(核トランスグルタミナーゼ標的劇症肝炎治療薬、非核酸アナログ新規抗HBV薬等)の同定

⑥産学連携医療イノベーション創出推進プログラム(ACT-M)、研究成果最適展開支援プログラム(A-STEP)

- 筋電義手や適応学習機能を持つ筋電制御システムの実用化開発での臨床試験の開始

⑦革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST,PRIME,LEAP)

- AIM投与による急性腎不全治療につながる革新的成果
- 皮膚の健康と病気を調整する脂質の新しい役割の発見

I (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

⑩その他の健康/医療戦略の推進に必要な研究開発



評価軸

・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・結合組織疾患及び泌尿器系疾患、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、エイズ、肝炎など多岐にわたる疾患等に対し、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、医療機器等の開発等を推進したか。

1. 生活習慣病、循環器疾患、呼吸器系疾患、筋骨格系・結合組織疾患、泌尿器系疾患に関する研究

1. 研究開発の推進

- 「循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業」(研究開発課題数51)により診断・治療方法等、生活習慣病に係わる保健・医療の更なる向上を目指す研究を推進。
- また、筋骨格系疾患のうち慢性疼痛をきたす疾患については、「慢性の痛み解明研究事業」(研究開発課題数9)において、泌尿器系疾患のうち腎疾患については、「腎疾患実用化研究事業」(平成27年度予算額100,000千円、研究開発課題数5)において、病因病態解明や治療法開発に資する研究を推進。

2. 主な研究開発成果

- 大動脈解離のバイオマーカーとしてGM-CSFの有用性を見出すとともに分子標的対象としての可能性を示唆(Nat Commun. 2015; 6: 6994)
- オールジャパン体制で脳卒中急性期の臨床研究基盤を構築し、当該分野の世界的に影響力のある雑誌に紹介された(Stroke. 2016; 47: 304-305)

I (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

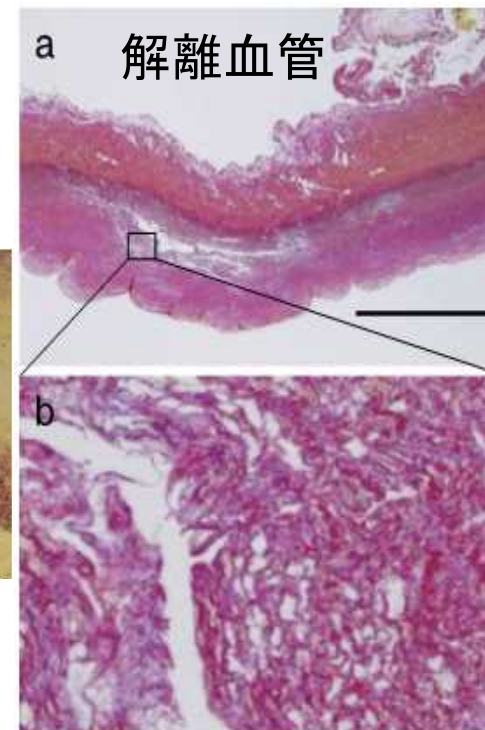
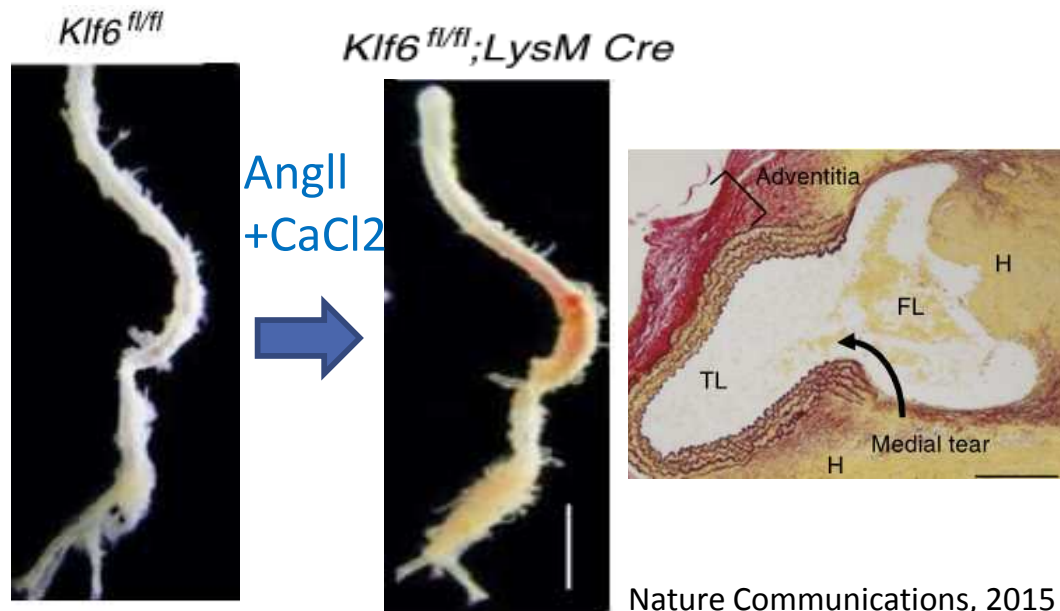
⑩その他の健康/医療戦略の推進に必要な研究開発

2. 主な研究開発成果(続き)

大動脈解離のバイオマーカー(GM-CSF)の同定

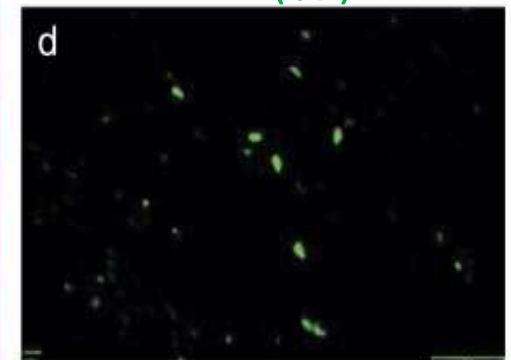
【背景】循環器疾患は臨床情報による疾患の発症・重症化予測の精度が比較的高い事が知られる。
バイオマーカーの開発によりさらにこうした予測精度を高めることを可能にし、先制医療の実現に結びつけることができる。

＜大動脈解離発症モデルの作成に成功＞



＜大動脈解離の機序 解明と新規バイオマ ーカーの同定・臨床的有 用性の検証＞

GM-CSF (緑)



2015年度 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業 鈴木班

慢性炎症を基盤とする心血管病態モニタリングマーカーの開発と臨床導入の実現—慢性炎症の制御に着目した創薬のための新たなバイオマーカー開発—

大動脈解離・心不全・冠動脈疾患に関する新たなバイオマーカーの同定と臨床応用を行い、有用性の検証を実施している。

I (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

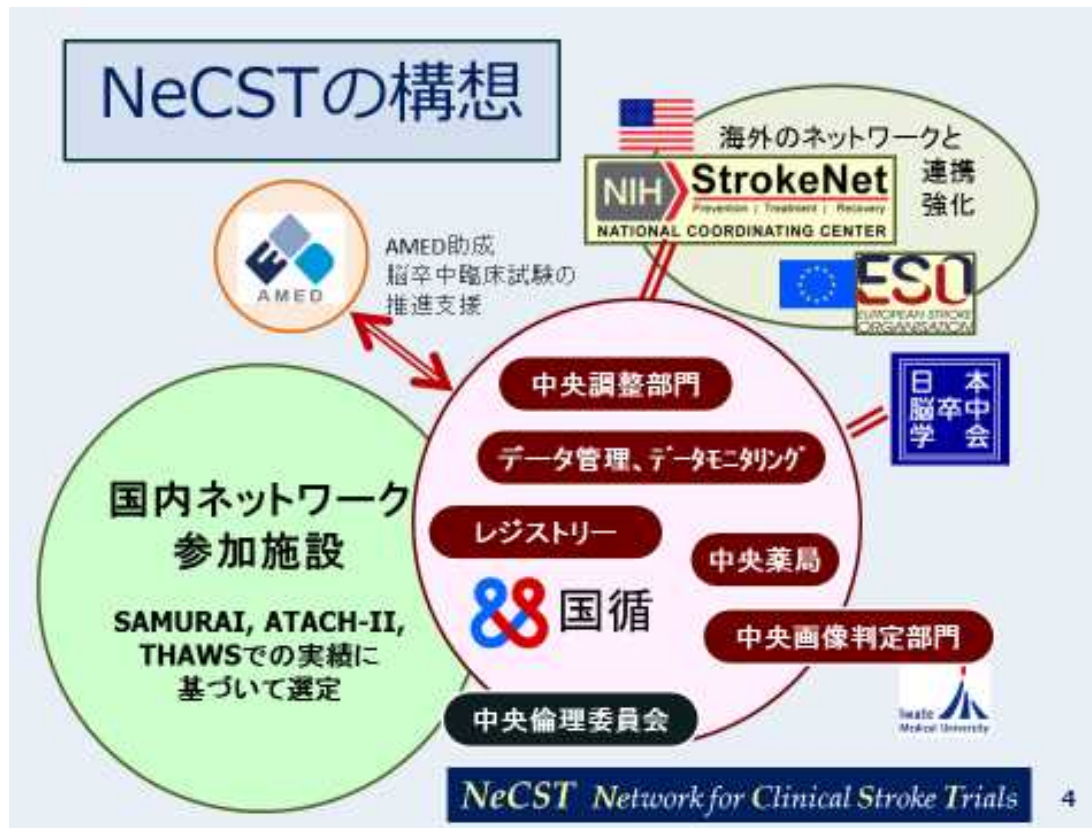
⑩その他の健康/医療戦略の推進に必要な研究開発



2. 主な研究開発成果(続き)

オールジャパン体制で脳卒中急性期の臨床研究基盤を構築

【背景】脳卒中急性期治療については、これまで血栓溶解療法等の革新的な治療方法がもたらされるたびに海外とのドラッグラグ・デバイスラグが問題となっている。その解決策の一つとして我が国の臨床研究基盤の構築が求められていた。



H27年度 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業
豊田班 成果

脳卒中急性期治療に関する国内臨床拠点施設を適切に活用した国際共同試験の円滑な企画・遂行を目指した基盤整備研究

国立循環器病研究センターを中心とした国内多施設の研究網を構築し国際共同臨床試験を円滑に企画・遂行するための研究基盤を構築し、2016年に国際誌にて論文発表を行った。

Editorial

Network for Clinical Stroke Trials (NeCST) for the Next Stroke Researchers in Japan

Kazunori Toyoda, MD, PhD; Haruko Yamamoto, MD, PhD; Masatoshi Koga, MD, PhD

Stroke 2016;47(2):304-305

本年度の成果を利用し
今後期待される成果

2016年度より複数の脳卒中国際共同研究を開始していく。

I (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

⑩その他の健康/医療戦略の推進に必要な研究開発



2. 小児・周産期の疾患及び女性に特有の健康課題に関する研究

＜小児・周産期の疾患する研究開発＞

1. 研究開発の推進

- 小児・周産期の疾患について、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、実用化を目指した研究を実施。全ての研究開発課題の班会議にPSPO等が参加。PSPOへの進捗報告会を実施。
- 先天性重度免疫不全症に対する遺伝子治療の課題については、革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化推進事業(厚生労働省)及び成育医療研究開発費(国立成育医療センター)の研究者、厚生労働省、PMDA等とともに三班合同班会議を実施し、関連事業等と連携。
- 難病・希少疾患の予防・診断・治療法開発を実現する未診断疾患イニシアチブ(IRUD-P)を本年度新たに構築。
→ 全国15カ所に拠点病院・診断委員会を設置し、診断に至らないような希少疾患や潜在的な新規疾患症例を全国からリクルートし、診断、遺伝カウンセリングおよび治療につなげるための基盤となる体制を整備

2. 主な研究成果

- 日本初の難治性小児神経疾病に対する遺伝子治療を実施し効果発現(山形 崇倫・自治医科大学) 等

＜女性に特有の健康課題に関する研究＞

- 女性の一生のステージごとの健康課題に対して横断的・包括的に支援するための研究の推進、およびその成果の普及、活用を目指し、本年度より事業開始。
- PS/PO及び評価委員の選定委嘱、公募課題の調査・検討を行い、7月までに7つの公募課題を設定。
- オリンピックへ向けて女性アスリートのスポーツ障害の課題や女性ホルモンに関わる各種疾患、また高齢化に伴う閉経後骨粗鬆症の早期介入に向けての課題等、現在我が国で問題となっている女性に特有の疾患・健康課題に関わるテーマを取り上げ、7月より公募を開始し、課題を採択するとともに11月より研究開始。
- 公募にあたり、専門領域にかかわらず広く情報を周知することにより、基礎研究者から臨床医までを含む多様な提案を集め、女性研究者の採択にも繋げることができた。

I (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

⑩その他の健康/医療戦略の推進に必要な研究開発



3. 身体機能障害や高齢者のQOLを低下させる疾患に関する研究

<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研究開発>

1. 研究開発の推進

- 身体・知的等障害、感覚器障害、精神障害、神経・筋疾患の分野において、障害全般に関するリハビリテーション等の適切な支援を提供するための研究開発、障害を招く疾病等についての病因・病態の解明、予防、診断、治療法、リハビリテーション法等の先進的・実践的な研究に取り組んだ。

2. 主な研究成果

- 集中的リハビリテーションによる運動野-赤核路の増強が運動機能回復を導くことを世界で初めて証明
- 体温調節が困難な頸髄損傷者等の障害者に対する運動中の体温調節システムを開発
- ノイズ様前庭電気刺激を利用した抹消前庭障害患者に対するバランス障害改善機器の開発を行い、PMDA薬事相談をした上で、pilot studyを開始
- 次世代シークエンサーを用いた先天性難聴遺伝子診断システムを開発し、保険収載された。

<高齢者の生活の質を大きく低下させる疾患に関する研究>

1. 研究開発の推進

- 高齢者の健康保持や介護予防に向けた取り組みを一層推進するため、高齢者に特徴的な病態等に着目し、それらの予防、早期診断及び治療技術、リハビリテーションプログラムの確立を目指すとともに、口腔ケアや薬物投与のあり方の観点から、多職種が連携するためのガイドライン等の作成を行い、標準化を図ることに取り組んだ。

2. 主な研究成果

- 「高齢者の安全な薬物療法ガイドライン改訂版」の作成
- 地域高齢者(二次予防対象者、要支援・介護高齢者)に対する、口腔機能および口腔の健康状態の改善ならびに食生活の質の向上を目的として、「複合(口腔・栄養・運動)プログラム実施マニュアル」さらには「実施のための研修マニュアル」を作成

I (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

⑩その他の健康/医療戦略の推進に必要な研究開発



4. 免疫アレルギー疾患等に関する研究

1. 研究開発の推進

○「免疫アレルギー疾患等実用化研究事業」(研究開発課題数37)において、病因病態解明や治療・予防法開発に資する研究を推進。

疾患分野 \ Step	患者実態調査・ガイドラインへの反映	Step 0 シーズプール	Step 1/2 (GMP製造・GLPデータ採取・治験)
アレルギー疾患	5課題程度 ・アレルギーマーチを阻止する乳児アトピー性皮膚炎早期介入研究 ・新規分子標的薬による皮膚障害の調査および重症化予防の研究 ・アレルギー性気管支肺真菌症研究 等	8課題程度 ・NSAIDs不耐症病態解明・新規薬剤開発 ・アトピー性皮膚炎発症機序の解明と皮膚バリアケアによる予防法の開発 ・皮膚・腸内細菌叢解析によるアレルギー疾患病態解明研究 等	5課題程度 ・表皮を標的としたアトピー性皮膚炎の治療最適化 ・花粉症に対する舌下免疫療法 ・重症喘息に対するオレンシア適応拡大 ・乳幼児喘息に対するフルチカゾン療法 等
免疫疾患	3課題程度 ・関節リウマチのドラッグホリデーゼロを目指す観察研究 ・難治性膠原病治療プロトコール作成研究 等	4課題程度 ・ミスフォールド蛋白質標的新規治療法の開発 ・疾患特異的iPS由来単球株を用いた創薬スクリーニング系構築と新規候補化合物探索 等	

2. 主な研究開発成果

○常在細菌, ウィルス叢に焦点を当てた新規アレルギー治療の開発研究

- ・アレルギーマーチにおける皮膚細菌叢の偏りとアトピー性皮膚炎の病態に関する世界初の報告
- ・免疫アレルギー疾患のバリア機能亢進とかゆみ制御化合物としてのJAK阻害薬(外用剤)につき、2015年4月に国内で企業治験として第II相試験が開始

○関節リウマチに対するオールジャパンデータベースを用いた遺伝因子探索研究の推進

- ・2002年から継続して構築されてきた全国規模のデータベースNinJaを用いた解析から関節リウマチ合併肺病変に関連する遺伝因子を発見

I (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

⑩その他の健康/医療戦略の推進に必要な研究開発

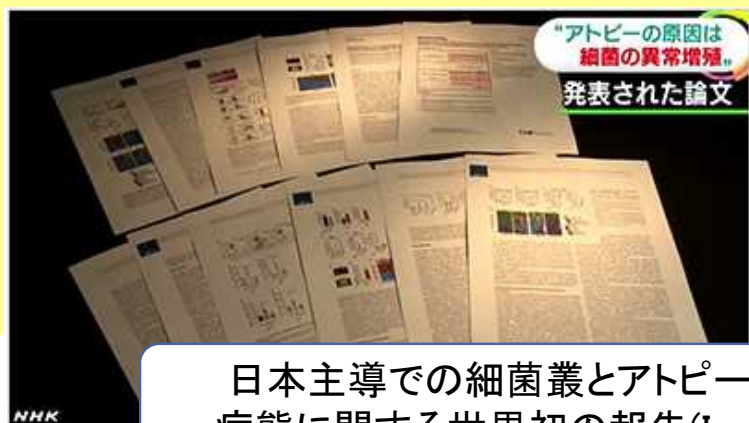
2. 主な研究開発成果(続き)

常在細菌, ウィルス叢に焦点を当てた新規アレルギー治療の開発研究

目的

平成27年に入って相次いで報告されている皮膚, 腸などのバリア臓器におけるヒト常在細菌, ウィルス叢の偏りについて疾患レベル(薬剤アレルギー, アレルギーマーチ)での解析を行い, 新規アレルギー治療の開発研究分野を世界に先駆けて創出する。また, これら質の高い基礎的研究の成果を着実に実用化パイプラインにのせ, 新規医薬品等開発を推進する。

アトピー性皮膚炎は皮膚の細菌バランス異常が原因【NHK 2015年4月】



日本主導での細菌叢とアトピー性皮膚炎の病態に関する世界初の報告(Immunity. 2015)

皮膚バリア機能を改善する革新的皮膚外用剤の開発【JACI 2015年9月】と企業治験(phase II)開始【2015年4月】

Atopic dermatitis and skin disease

The Janus kinase inhibitor JTE-052 improves skin barrier function through suppressing signal transducer and activator of transcription 3 signaling

J ALLERGY CLIN IMMUNOL
SEPTEMBER 2015

常在ウィルス叢についての疾患レベルでの世界初の報告

成果

- ・関連する細菌・ウィルスに対する既存薬のrepositioning
- ・広く他分野に応用可能な日本独自の環境因子データ集積
- ・アレルギー分野における細菌・ウィルスを標的とした新たな研究分野の創出

既存事業の免疫学的解析
(免疫制御細胞等の患者免疫動態の観察)

ヒト常在細菌・ウィルス叢ゲノム解析
(既存検体を用いた次世代シーケンサー解析)

I (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

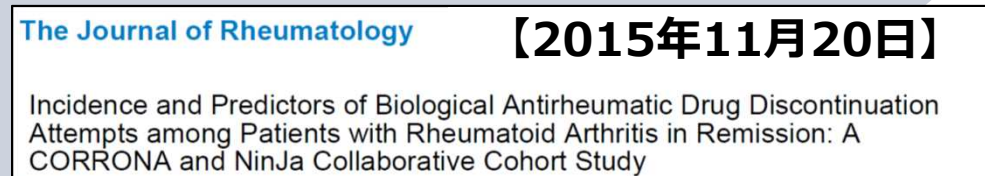
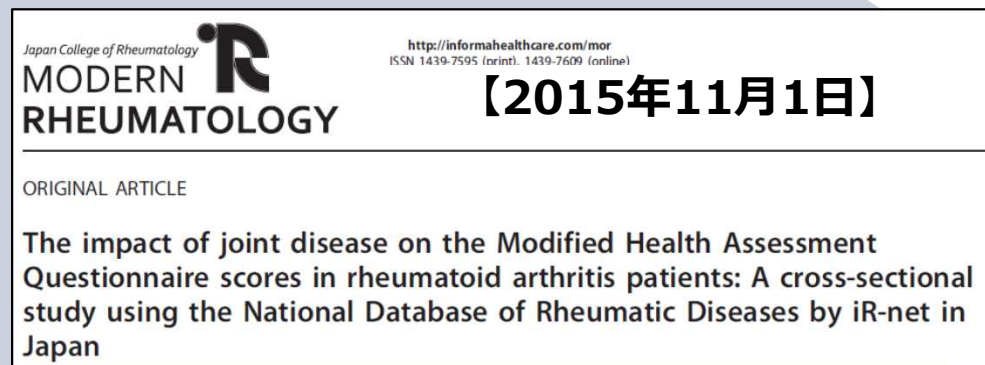
⑩その他の健康/医療戦略の推進に必要な研究開発

2. 主な研究開発成果(続き)

関節リウマチに対するオールジャパンデータベースを用いた遺伝因子探索研究の推進

目的

継続して構築されてきた関節リウマチに対するオールジャパンデータベースを用いた解析研究は、関節リウマチ合併肺病変に関連する遺伝因子の同定に至っている。さらなる促進をねらう。



2002年より継続して構築されてきた関節リウマチに対するオールジャパンデータベース NinJa (National Database of Rheumatic Diseases by iR-net in Japan)

NinJaを用いた国内外のコホート結果が実を結び、様々な報告が続いている。

データベースの拡充に基づく
関節リウマチ関連
遺伝因子探索研究の加速

成果

国内外で活用可能な関節リウマチの包括的データベースの構築と、遺伝因子探索研究の推進

I (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

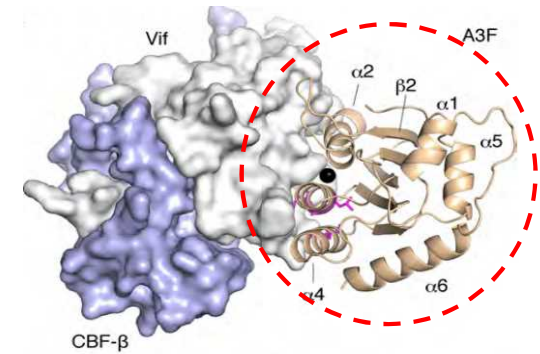
⑩その他の健康/医療戦略の推進に必要な研究開発



5. エイズ及び肝炎対策に資する研究

<エイズ対策に資する研究>

- 成果の著しい研究開発課題を選定し、調整費を交付して日本発の革新的医薬品創出を強く推進。
 - エイズワクチンの国際臨床試験を加速し、ヒト型抗体薬の第I相臨床試験の結果を受けた抗体薬の改善を推進。新規治療薬としては、耐性ウイルスにも有効性の高い化合物の探索研究を加速。
- さらに追加交付により、HIV感染の治癒を目指した研究を推進。
 - HIVリザーバ細胞の同定と排除のメカニズムの解明を加速。ワクチン研究においても、ウイルス様粒子を用いた予防ワクチンの開発を推進。
- 本事業の支援により、右記の論文の成果が得られた。



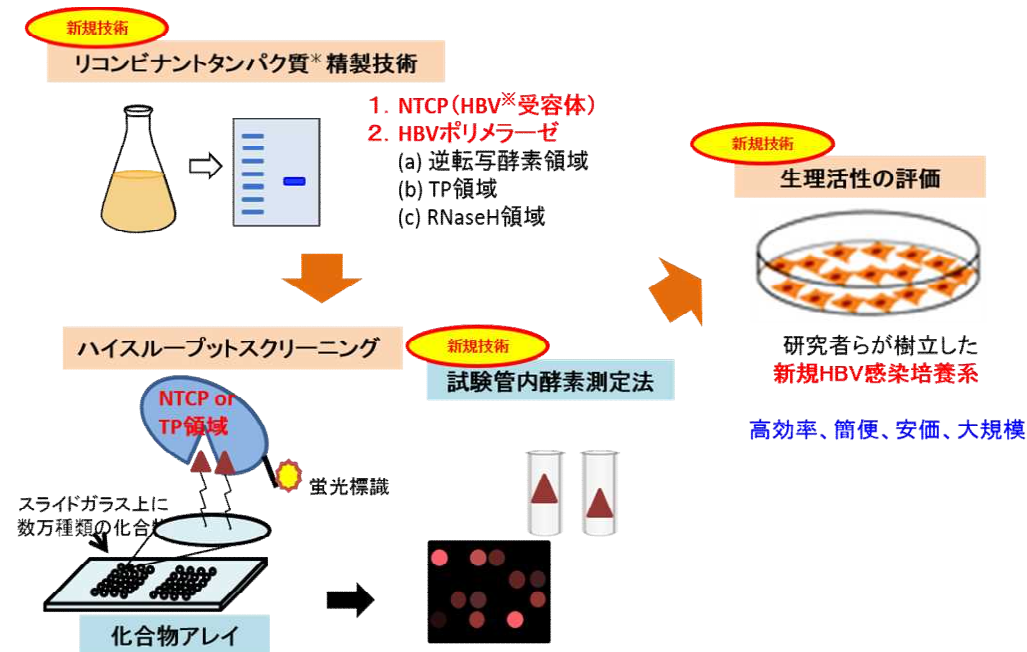
Journal of Virology 2016

Takuya Tada et al. MARCH8 inhibits HIV-1 infection by reducing virion incorporation of envelope glycoproteins. Nature medicine, 21(12), 2015.

Masaaki Nakashima et al. Structural Insights into HIV-1 Vif-APOBEC3F Interaction. J. Virol., 90(7), 2016.

<肝炎対策に資する研究>

- 肝炎については、肝炎ウイルスの増殖過程の解析や肝硬変移行への病態解析などの研究開発課題を中心に支援。
 - 新規治療薬のターゲットを同定し、HTSを実施して、複数の新規治療薬のシーズ(核トランスグルタミナーゼ標的劇症肝炎治療薬、非核酸アナログ新規抗HBV薬等)の同定に貢献。
 - 経口C型肝炎治療薬によるHCV排除後の病態を解析し、病態マーカーへの応用を加速。
 - 追加交付を行い、抗線維化薬のPhase I試験の終了までの時間の短縮、並びに新規B型肝炎治療薬のリードオプチマイゼーションを加速するとともに、新規B型肝炎治療薬の新規ターゲットを単離し、ハイスループットスクリーニング系を構築。



I (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

⑩その他の健康/医療戦略の推進に必要な研究開発

6. 産学連携医療イノベーション創出推進プログラム、研究成果最適展開支援プログラム

<産学連携医療イノベーション創出推進プログラム(ACT-M)>

1. 研究開発の推進

- 平成27年度新規プログラムとして立ち上げ、患者や社会、医療上、経済上のニーズを十分に意識しつつ、先制医療や新たな医薬品や診断・治療方法、医療機器等の開発を産学連携により推進するため、必要となる要素や解決手法を検討。
- その結果を受け戦略的に設定されたテーマに基づき産学連携で構成される研究開発チームを12チーム選定し、医療イノベーション創出に向けて一体的に研究開発・実用化を推進。
- 研究開発の進捗状況を把握し助言・修正を行うため、PS・POを中心としたサイトビジット、領域会議等を実施。

2. 主な研究開発成果

- 埋め込み型人工内耳の研究開発においてヒトへの適用のための基本設計やATLL治療薬の研究開発においてリード化合物が見いだされる、等、3年後のヒトへの応用を目指した進捗がなされている

<研究成果最適展開支援プログラム(A-STEP)>

1. 研究開発の推進

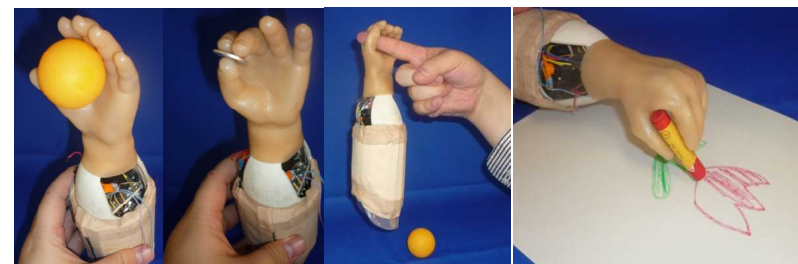
- JSTから移管された86課題について、課題や研究開発の特性に応じた最適なファンディングを設定し、総合的かつシームレスに研究開発・実用化を推進。

2. 主な研究開発成果

- 乳幼児サイズから成人用サイズまでの筋電義手の実用化と適応学習機能を持つ筋電制御システムの実用化を目指した研究開発において、臨床試験を開始する等進捗がなされている。



1. 最新の個性適応型筋電義手



2. 小児用筋電義手

I (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

⑩その他の健康/医療戦略の推進に必要な研究開発



評価軸

・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、客観的な根拠に基づき設定する研究開発目標の達成に向け、画期的シーズの創出・育成の取組を着実に進めたか。

革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST, PRIME, LEAP)

1. 研究開発の推進

- 科学技術振興機構(JST)から研究開発領域を承継し、ユニットタイプ(AMED-CREST)として着実に推進。(7領域、84課題)
- 研究開発の進捗状況把握し助言・修正を行うため、PSを中心としたサイトビジット、領域会議等を実施。
- 国際ヒトエピゲノムコンソーシアムの年次総会を含め、4件のシンポジウムを開催し情報を発信。
- 新たな研究開発領域を立ち上げ、AMED-CREST及びソロタイプ(PRIME)として、新規の研究開発課題を採択し、研究開発を開始するとともに、PS/POを中心にキックオフ会議、サイトビジットを実施(7領域、41課題)。
- JSTで実施されたCREST等の研究課題のうち、医療応用への展開が期待される課題をインキュベータータイプ(LEAP)として採択。(2課題)

2. 主な研究開発成果

医療応用への展開が期待される成果として以下のような成果が得られた。これらの成果については、LEAPや他事業への展開を検討。

- AIM(Apoptosis Inhibitor of Macrophage)投与による急性腎不全治療につながる革新的成果(宮崎 徹・東京大学)
- 脳内の免疫担当細胞ミクログリアのM1/M2極性転換分子スイッチの発見(中西 博・九州大学)
- 皮膚の健康と病気を調節する脂質の新しい役割の発見(村上 誠・東京都医学総合研究所)

等

Ⅱ 業務運営の効率化に関する事項

(1) 業務改善の取り組みに関する事項

① 組織・人員体制の整備

II (1)業務運営の効率化に関する事項

①組織・人員体制の整備



評価(自己評価)

B

目標・計画に基づき、組織体制は事業部門に連携9分野を推進する6部、事業支援部門2部、管理部門3部・1室として構築、人員体制は産学官から適切な人材を採用・確保、組織は縦横連携による全体最適化と各事業間の緊密な連携、機構内の情報共有を徹底し、機動性・効率性を確保。PD・PS・POは研究開発マネジメントの中心的役割として、産学官から見識を有する専門家を利益相反に留意して人選、登用し、着実な業務運営がなされている。

1. 組織人員体制の整備状況(評価指標)

【実績】

○組織体制

- ・ 事業部門に連携9分野を推進する戦略推進部、産学連携部等6部、事業支援部門として知的財産部、研究不正防止のための研究公正・法務部を独立した組織として設置、管理部門に経営企画部等3部1室、理事長、理事の下に11部1室として組織を構築

○人員体制

- ・ 国、類似するファンディング業務を行う独法、大学等研究機関等の研究者、技術者、医師、看護師、弁護士等、産・学・官の各分野から適切な人材を公募等により採用・確保

○機動性・効率性の確保

- ・ 戦略推進部を軸に他5事業部との縦横連携による全体最適化を図る体制とし、政策や研究開発動向の変化等に対応し、各事業間の緊密な連携による効率性を確保するため、各部室に産・学・官各分野の人員をバランスを考慮して配置。部長会議、関連課長会議を定期的に開催して機構内の情報共有を徹底し、機動性・効率性を確保

II (1)業務運営の効率化に関する事項

①組織・人員体制の整備

2. 産学官からの優れた人材の積極的登用状況(評価指標)

【実績】

○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)は、機構に求められる機能である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研究開発マネジメントの中心的な役割として、優れた学識経験や研究開発の実績等を有し、研究開発課題の評価及び業務運営に関して見識を有する専門家を産・学・官の各分野から厳正に人選し、登用。

○PD/PS/POの委嘱件数<モニタリング指標>

	H27年度
PD/PS/POの委嘱件数	182件

3. 利益相反の防止や透明性の確保にも配慮した外部人材の登用状況(評価指標)

【実績】

○利益相反の防止及び透明性の確保に係る対応として、「研究開発課題評価に関する規則」において利益相反に係る基準を規定するとともに、PD/PS/POをHPで公表。

○個別研究課題の選定のための評価を行う事前評価委員会の委員については、採択課題の公表時に併せてHPで公表するよう努力。

Ⅱ 業務運営の効率化に関する事項

(1) 業務改善の取り組みに関する事項

②PDCAサイクルの徹底

II (1)業務運営の効率化に関する事項

②PDCAサイクルの徹底



評価(自己評価)

B

目標・計画に基づき、研究成果に係る中間・事後評価の実施、年度計画に沿った進捗の把握と評価、医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理、研究評価・課題管理の改善に向けた検討を着実に実施し、着実な業務運営がなされている。

1. 機構で行っている事業についての評価の実施状況及びPDCAサイクルの実施状況(評価指標)

【実績】

1. 研究成果に係る中間・事後評価の実施

- 外部有識者により構成される課題評価委員会を設置し、本年度は37事業について中間・事後評価を実施。
- 委員の選任にあたっては、必要に応じて生物統計家を選任するなどし、適切な研究デザイン、コントロールの選択、サンプルサイズ設計等の評価を可能とした。
- POの進捗管理のもと進捗に問題があると判断された課題や書面審査の結果必要と認めた課題をヒアリング審査の対象とするなど、効率的・効果的な評価の実施に努めた。
- 中間・事後評価を実施した研究開発課題については、その結果及び必要なコメントを研究者へ通知することでフィードバック。また、評価結果は、追加配賦の課題選定や翌年度の研究費の配分、残る研究期間での方向性修正等の改善に活用。

2. 年度計画に沿った進捗状況の把握と評価

- 機構が実施する事業については、定期的(本年度は11月及び2月に実施)に「業務及び予算に関する会議」を開催し、年度計画に沿った進捗状況の把握、必要に応じて理事長指示事項として業務改善の検討等の指示を行い、次回の同会議において指示事項に対する対応状況のフォローアップを実施。
- 平成27年度の機構の業務実績については、自己評価委員会(平成28年4月25日、5月9日開催)及び外部評価委員会(平成28年6月1日及び8日開催)を実施。評価結果はHPにおいて公表を予定。
- 中間・事後評価委員会の実施回数<モニタリング指標>

	H27年度
中間・事後評価委員会の実施回数	66

II (1)業務運営の効率化に関する事項

②PDCAサイクルの徹底



2. 医療研究開発の進捗管理状況(評価指標)

【実績】

1. 医療研究開発速度の最大化に資する進捗管理

- 応募時から成果報告に至るまでの提出書類(研究開発提案書、研究開発計画書、成果報告書等)に関して、共通記載部分のフォーマットの統一化を図り、研究者の研究活動の円滑化、およびPD・PS・POの効率的・効果的な進捗管理に寄与。
- 課題の進捗管理においては、非臨床データの取得、薬事戦略相談の実施、臨床研究／治験の届出など、実用化を見据えた目標設定やスケジュール管理を実施し、その内容を課題評価にも反映。また、基礎研究課題の進捗状況を把握しながら、応用研究や臨床段階の研究課題に関する公募内容を検討する等、事業間の連携を図ることで、実用化への移行を促進する取り組みを実施。
- 研究代表者が提出する進捗状況申告書等を基に、各領域担当のPS、POや外部有識者とともに研究代表者へのヒアリングやサイトビジット、班会議への参加等を行い、研究開発の進捗状況を把握し、必要に応じて研究代表者への指導、助言を行い、適切な課題管理に努めた。
- 進捗管理の結果を踏まえて追加配賦や次年度の研究費配分を検討し、追加配賦により研究の進展が期待できる課題の加速を図った。

2. 研究評価・課題管理の改善に向けた検討

- 国費をもとにする研究費の公平・公正な配分、研究開発スピードの最大化、研究資金の有効活用、機構内の業務効率化、評価を通じた研究者の支援等に寄与することを目指し、「研究評価・課題管理タスクフォース」を設置し、研究評価・課題管理の更なる改善に向けた検討実施。今後、その検討結果を踏まえ、必要な規則改正等を行い、課題管理の充実を図っていく。

Ⅱ 業務運営の効率化に関する事項

(1) 業務改善の取り組みに関する事項

③適切な調達の実施

Ⅱ (1)業務運営の効率化に関する事項

③適切な調達の実施



評価(自己評価)

B

目標・計画に基づき、「平成27年度調達等合理化計画」に基づき、合理的な調達に向けた取組みを着実に実施するとともに、ホームページでの各種情報の公表による公平性・透明性の確保など、着実な業務運営がなされている。

合理的な調達の取組状況(評価指標)

【実績】

- 実際の調達に関しては一般競争入札を原則としつつも、随意契約可能な事由を会計規程等において明確化するとともにHPにおいて公表し、公正性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施できるように整理を実施。
- 契約の透明性確保の観点から、契約情報及び契約監視委員会の開催実績をHPにおいて公表。
 - ◆ 一般競争入札の契約実績: 77件
 - ◆ 競争性のない随意契約の契約実績: 718件
- 調達案件については、主務大臣や契約監視委員会によるチェックの下、まずは平成27年度の「調達等合理化計画」を策定・公開。平成27年度調達等合理化計画に基づく取組として、消耗品の一括調達やコピー用紙、企業信用調査及び事務用消耗品などの単価契約を行った。
- 創設当初であることを踏まえ、全ての調達案件について、機構内に審査チームを設置して審査を行い、合理的な調達となるよう進め、随意契約となる案件についても、合理化計画及び会計規程等に沿って、厳正に審査を行い、その適否を判断。

Ⅱ 業務運営の効率化に関する事項

(1) 業務改善の取り組みに関する事項

④ 外部能力の活用

II (1)業務運営の効率化に関する事項

④外部能力の活用



評価(自己評価)

B

目標・計画に基づき、費用対効果、専門性等の観点から業務を精査し、外部能力の活用が適当と考えられる業務については外部委託を着実に実施し、着実な業務運営がなされている。

外部委託の活用状況(評価指標)

【実績】

○費用対効果、専門性等の観点から業務を精査し、外部能力の活用が適当と考えられる業務については、外部委託を推進した。具体的な取組み事例は次のとおり。

(取組事例)

- ◆ 各種調査・分析業務を外部調査機関に委託して実施。外部調査機関を用いることで、労力と時間を要する膨大なデータの収集・解析とより迅速かつ詳細な調査が可能となるとともに、機構が契約していないデータベースを用いた情報収集が可能となり、費用対効果、専門性等の観点から極めて有用であった。ゲノム情報の取扱いについて国内外の規制状況の調査や国内外の既存のデータベースに関する実態調査等の調査結果は、「ゲノム医療研究推進ワーキンググループ報告書」(平成28年2月)の作成やデータシェアリングポリシー案(平成28年度早期に公表を予定)の検討に貢献。
- ◆ 国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所に、臨床研究・治験推進研究事業への応募課題のうち、臨床研究及び治験のプロトコルの内容の評価及び問題点の整理を依頼し、機構での事前評価委員会の際の参考資料とすることにより、より質の高い研究の採択につなげた。
- ◆ 「6事業合同成果報告会」、「脳とこころの研究第一回公開シンポジウム」、「公募説明会」等の主催イベント開催において、情報セキュリティを考慮した申込みWeb構築、eポスター閲覧機能を備えた演題検索システム構築、プログラム・抄録集の編集作業、USTREAM配信等の業務を外部機関に委託。
- ◆ 研究事業の課題評価委員会におけるヒアリング時の採点・集計の効率化のため、当該作業用のプログラム開発を外部委託した。
- ◆ 経理に係る定型的な業務(伝票入力、伝票チェック)を外部専門業者にアウトソーシング。

Ⅱ 業務運営の効率化に関する事項

(1) 業務改善の取り組みに関する事項

⑤業務の効率化

Ⅱ (1)業務運営の効率化に関する事項

⑤業務の効率化



評価(自己評価)

B

目標・計画に基づき、運営費交付金を充当して行う事業については、一般管理費、事業費ともに効率化に努め、業務の効率化を着実に実施した。以上から、着実な業務運営がなされている。

1. 業務の効率化状況(評価指標)

【実績】

- 機構は平成27年4月1日に設立された法人であり、平成27年度においては前年度実績がないため、今年度の削減率の算出はできない。一方で、運営費交付金を充当して行う事業については、一般管理費及び事業費とも効率的な執行に努め、着実な経費の削減を実施している。
- 経営企画部、総務部、経理部の部課長が調達購入案件に関する適否を審査する会議を毎週開催し、不要な案件は却下することにより効率化を図った。
- 一般管理費削減率・事業費削減率(対前年度予算額)＜モニタリング指標＞

	H27年度
一般管理費削減率(対前年度予算額)	—
事業費削減率(対前年度予算額)	—

Ⅱ (1)業務運営の効率化に関する事項

⑤業務の効率化



2. 総人件費については、政府の方針に従い、必要な措置を講じたか。(評価軸)

【実績】

○政府の方針に従い、機構管理、定員管理及び人員配置を適切に行うとともに、人事院勧告に基づく給与改定を行った。

3. 給与水準公表等の取組み状況(評価指標)

【実績】

○給与制度は、類似のファンディング業務を行う独立行政法人等の給与規則に準じた給与規程等を整備して適正に運用。

○規程類は機構ホームページで機構内外へ公表。

○民間給与実態調査に基づく人事院勧告を踏まえ給与等を決定するなど給与等の水準の適正化を図り、ラスパイレス指数を含めた給与水準の検証の実施及び結果等は、平成27年度分の給与支給額をもとに、内容を分析・評価して結果を公表(平成28年6月)

Ⅱ 業務運営の効率化に関する事項

(2) 業務の電子化に関する事項

Ⅱ (2) 業務の電子化に関する事項

評価(自己評価)

C

目標・計画に基づき、事務処理手続きの簡素化・迅速化と機構の制度利用者の利便性向上、機構内の情報ネットワークの充実、業務・システム最適化計画に係る体制整備などを着実に実施した。一方で、更なる「適正、効果的かつ効率的な業務運営」に向けて、順次、業務の電子化を進めているところで、進捗が不十分であるため、「適正、効果的かつ効率的な業務運営」に向けて、今後、より一層の工夫、改善等が期待される。

1. 電子化の促進等による事務手続きの簡素化・迅速化及び機構の制度利用者の利便性の状況 (評価指標)

【実績】

○事務処理手続きの簡素化・迅速化を図るため、次のシステムを導入・運用。

- ◆ 文書管理システム
- ◆ 人事給与システム
- ◆ 財務会計システム

○電子化により、決裁文書及び添付文書の電子媒体での保存を推進している。また、タブレット型端末を用いた会議を導入し、ペーパーレス化を図っている。

○各課室等から情報システム化に関する要望調査を行い、優先度の高い「大容量ファイル転送システム」等を導入した。また、入札情報などを提供する「公告等掲示システム」を開発し、平成28年度導入を予定している。

○職員が簡便に利用できる「例規システム」の導入に向けて、規程等の整備(文言等の統一化)を実施。

○法人文書及び個人情報の開示請求に関し、開示請求書等の必要書類を機構ホームページからダウンロードできるシステムを構築し、利便性の向上を図った。

Ⅱ (2) 業務の電子化に関する事項

2. 幅広いICT需要に対応できる機構内情報ネットワークの充実及び情報システム、重要情報への不正アクセスに対する十分な強度の確保についての取組状況(評価指標)

【実績】

○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本部と東日本統括部、西日本統括部とを接続し、機構内情報ネットワークの充実を図った。さらにリモートアクセス、モバイルパソコン等の利用を開始した。

○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ため、情報セキュリティ対策の強化のための基盤情報システム拡張(標的型メール攻撃対策等)を実施。

3. 業務・システム最適化計画の策定・実施状況(評価指標)

【実績】

○「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検討する体制を構築。

Ⅲ 予算（人件費の見積りを含む。）、 収支計画及び資金計画

Ⅲ 予算（人件費の見積りを含む。）、収支計画及び資金計画



評価（自己評価）

B

目標・計画に基づき、運営費交付金の執行について、実績の把握等を定期的に行うとともに、機構内で、適宜、適正な執行となるよう指示等を行うなど、適切な執行に向けた取り組みを着実に実施した。運営交付金債務については、設立初年度であり事業の立ち上げ等に時間が要したことによるものであり、平成28年度に執行することとしている。以上から、機構の目的・業務、中長期目標等に照らし、機構の活動による成果、取組等について諸事情を踏まえて総合的に勘案した結果、着実な業務運営がなされている。

各年度期末における運営費交付金債務の状況（評価指標）

【実績】

- 運営費交付金予算の執行について、執行の予定や実績の把握・確認作業を定期的に行うとともに、適正な執行となるよう指示等を行った。
- 運営費交付金債務（約11億円）については、一般管理費は順調に執行したが、業務経費の執行が、創立初年度であったことから研究開発の支援となる事業の立ち上げ等に時間を要したことに起因するが、今後、中長期目標期間中に執行が見込まれるものである。
- 運営費交付金の執行にあたっては、調達必要性、価格の妥当性及び調達方法の適正さなどについて、内部の審査会で審査を行い、適切・適正に執行した。

IV 短期借入金の限度額

Ⅳ短期借入金の限度額



評価(自己評価)

—

短期借入金の実績なし。

短期借入金の状況(評価指標)

【実績】

○短期借入の実績なし。

○短期借入金額実績<モニタリング指標>

	H27年度
短期借入金額実績	0円

V 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

V 保有財産の処分に関する計画



評価(自己評価)

B

目標・計画に基づき、機構の資産の大部分を占める研究委託機関所在の研究機器等について、機構設立に伴う承継資産の簿価を確定させるとともに、研究終了の研究機器の譲渡を適正に行うなどの取組を実施し、着実な業務運営がなされている。

機構が保有する資産の有効活用の状況及び不要財産の処分状況(評価指標)

【実績】

- 土地・建物といった不動産資産は保有していない。
- 資産の大部分を占める研究委託機関所在の研究機器等である(文科省、厚労省、医薬基盤研究所からの)法定承継資産及び(JST、NEDOからの)任意承継資産に関しては、平成27年4月1日現在の簿価・償却期間を確定。
- 物品管理ラベル貼付けによる物品所在確認を行っているところであり、引き続き、研究終了課題の研究機器等に関しては譲渡を実施。
- 1月1日所有の償却資産に関する償却資産税申告を実施。
- 不用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、不用決定をし、処分を行った。
- 研究終了した研究機関に所在する資産である研究機器については、研究機関において研究を継続する場合には、大学等の公的機関については無償で譲渡し、企業等には有償で賃貸者をし、資産である研究機器の有効活用をしている。

VI 前項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）

VII 剰余金の使途

VII 剰余金の使途

評価(自己評価)

—

積立金はないため、実績なし。

剰余金の使途の状況(評価指標)

【実績】

○損益計算において利益が生じたときは、その利益のうち主務大臣により経営努力として認定される分は目的積立金として「剰余金の使途」に充てることができる。平成27年度に関しては、損益計算において利益はほとんど出ない見込みであり、目的積立金も生じない見込み。よって、実績なし。

VIII 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

VII(1) その他業務運営に関する事項 内部統制に係る体制の整備



評価(自己評価)

B

目標・計画に基づき、内部統制に必要な規程の制定や内部統制推進委員会等を設置するとともに、内部統制に係るリスクの識別・評価、モニタリング等の工程の作成、内部統制研修を実施するなどの取り組みを実施し、着実な業務運営がなされている。

内部統制の推進状況(評価指標)

【実績】

1. 体制の構築

○「内部統制体制整備タスクフォース」を立ち上げ、次の規程を制定した。

- ◆ 内部統制推進規程
- ◆ リスク管理規程

○各規程に基づき、次の組織を立ち上げ、それぞれ取組を行った(タスクフォースは発展的に解消)。

内部統制推進部門……………ヒアリングによるリスクの抽出並びに内部統制推進委員会及びリスク管理委員会への報告

内部統制推進委員会……抽出したリスクに関する検討、内部統制の工程表の策定

リスク管理委員会……………抽出したリスクに関する検討

2. 研修会の実施

○内部統制に関する役職員の意識向上を図るための研修を実施した。

Ⅷ(1) その他業務運営に関する事項 内部統制に係る体制の整備

【実績】

3. 会議等の開催

- 理事長の機構マネジメントの一環として、業務運営に関する重要事項について連絡・調整を行う部長会議を定期(原則週1回)又は随時に開催した。
- 理事長と課長職とのランチミーティングを開催し、各課が抱える内部統制に関する問題等について意見交換を行った。

4. 安否確認システムの導入

- 災害発生時等における出勤時等の安否情報を速やかに確認することはリスク管理上重要であるため、「安否確認システム」を導入し体制の充実を図った。

VIII その他主務省令で定める業務運営に関する事項

(2) コンプライアンスの推進

Ⅸ(2) その他業務運営に関する事項 コンプライアンスの推進



評価(自己評価)

B

目標・計画に基づき、コンプライアンス体制に必要な規程を整備するとともに、職員の意識啓発のための研修を実施するなどの取り組みを実施し、着実な業務運営がなされている。

コンプライアンスの取組状況(評価指標)

【実績】

1. 規程の整備

- 役職員倫理規程を整備し、共用システムで常に確認できるようシステムを構築。
- 課長相当職以上の役職員に四半期毎の贈与報告を求める際に当該規程を併せて送付し、倫理管理者として所属職員の倫理管理の徹底を図るよう促している。

2. 意識向上のための研修の実施

- コンプライアンスに関する意識啓発のための研修を実施した。

○コンプライアンス研修の参加者数<モニタリング指標>

	H27年度
コンプライアンス研修の参加者数	76人

VIII その他主務省令で定める業務運営に関する事項

(3) 情報公開の推進等

Ⅸ(3) その他業務運営に関する事項 情報公開の推進等

評価(自己評価)

B

目標・計画に基づき、情報公開について、必要な規程の整備、開示請求への適切な対応、各種情報のHPの掲載・記者説明会の開催・プレスリリースの発出などによる情報発信を着実に実施した。また、個人情報の保護について、必要な規程の整備及び職員への周知徹底を図るとともに、研修を実施するなどの取り組みを実施し、着実な業務運営がなされている。

機構の情報の公開及び個人情報の適切な保護を図る取り組みの推進状況(評価指標)

【実績】

1. 情報公開

○ホームページに法人文書及び個人情報の開示請求手順について掲載しており、開示請求に対し適切に対応した。平成27年度実績は次のとおり。

年度	開示請求件数	開示決定件数
平成27年度	2件	2件

○通則法、情報公開法等に基づく情報を含む各種情報をHPで公開するとともに、公募・採択情報などの各種HP掲載情報の適時の更新、記者説明会の開催、プレスリリースの発出、外部イベントへの参加、並びに機構案内パンフレットの作成など、情報の発信に積極的に取り組んだ。

2. 個人情報保護を図る取り組み

○総務省の指針の改正に併せ、次の規程類の改正を行った。

- ◆ 個人情報保護規則
- ◆ 個人情報保護マニュアル

○個人情報保護の意識向上のため、eラーニングによる研修を実施した。

研修名	受講者数
個人情報保護研修	449人

VIII その他主務省令で定める業務運営に関する事項

(4) 情報セキュリティ対策の推進

VIII(4)その他業務運営に関する事項 情報セキュリティ対策の推進

評価(自己評価)

B

目標・計画に基づき、情報セキュリティ対策のために必要な規程や手順の整備(インシデント時の対応の明確化を含む。)・周知を図るとともに、情報セキュリティ研修や標的型メール攻撃訓練を実施した。また、サイバー攻撃に備えるためのシステムの改善を図るなどの取り組みを実施し、着実な業務運営がなされている。

情報セキュリティ対策の取組状況(評価指標)

【実績】

1. 情報セキュリティポリシーの策定

- 「政府機関の情報セキュリティ対策のための統一基準」に準拠した「情報セキュリティポリシー」を策定
- 情報セキュリティインシデント発生時の実施すべき行動、報告フロー及び緊急連絡網を整備

2. 情報セキュリティ研修

- 平成27年4月に全職員を対象に集合研修を実施
- 平成28年1月から3月にeラーニングを実施
- 研修参加者数<モニタリング指標>

	H27年度
研修参加者数	449人

3. 標的型メール攻撃訓練

- 平成27年12月から平成28年1月に、疑似攻撃メールを送信する訓練を実施
(終了後に標的型メール攻撃に対する注意喚起と対処法を周知)

4. サイバー攻撃に備えるための対策

- 受信電子メールの表示画面を改良し、送信元アドレスを確認できるように詳細表示に改善
- 外部への不正通信等の不振な動作をする端末・サーバーをネットワークから遮断する装置を導入

VIII その他主務省令で定める業務運営に関する事項

(5) 職員の意欲向上と能力開発等

VII(5) その他業務運営に関する事項 職員の意欲向上と能力開発等



評価(自己評価)

B

目標・計画に基づき、人事評価制度の構築・運用、能力開発研修、女性の活躍促進、育児・介護等制度の整備等の取り組みを着実に実施し、着実な業務運営がなされている。

1. 個人評価の実施への取組状況(評価指標)

【実績】

1. 人事評価制度の構築

- 業績評価及び発揮能力評価制度を規則、マニュアルにより整備し、研修会を開催して制度の普及、定着を促進。

2. 人事評価制度の運用

- 業績評価は、定年制職員・任期制職員について、平成27年12月末までに目標管理シートの作成を行い、任期制職員は契約更新、昇給等に反映させるため平成28年1月末までに業績評価、発揮能力評価を実施
- 評価結果は、任期制職員等について平成28年度契約更新の判断材料とし、平成28年度の昇給へ反映、また平成28年6月の期末手当へ反映予定

VII(5) その他業務運営に関する事項 職員の意欲向上と能力開発等



2. 職員の勤労意欲の向上への取組状況(評価指標)

【実績】

- 機構設立初年度のため、基礎事項の周知・徹底を図ることを目的に、入構時研修、文書管理、コンプライアンス、ハラスメント、メンタルヘルス、勤怠・旅費システム、人事評価の各研修を計画通り実施
- 新規入構者、セクハラメンタル等研修参加者数<モニタリング指標>

	H27年度
研修会等参加者数(延べ人数)	1,053名

3. 職員の能力開発への取組状況(評価指標)

【実績】

- 業務実施上で必要な基礎的な知識、実践的な知識取得を目的として、知的財産研修会、臨床研究支援の勉強会、事業推進のための横断研修会、JST/CRDS説明会、AMED内部セミナー(講師:田中耕一先生)を開催

4. 女性の活躍を促進するための取組状況(評価指標)

【実績】

- 組織体制の構築に当たり、女性を積極的に管理職級に登用(管理職級全体の15%)。
- 男女共同参画を推進するため、育児・介護にかかる休業や部分休業の制度(育児休業取得実績2件)、育児・介護にかかる早出遅出勤務の制度(早出遅出勤務制度の利用実績15件)、男性の育児・介護への参加を促す特別休暇を整備。
- 若手人材育成支援事業における応募年齢制限に、産前産後休業、育児休業期間を加算可能とした。

VIII その他主務省令で定める業務運営に関する事項

(7) 職員の人事に関する計画

Ⅷ(7)その他業務運営に関する事項 職員の人事に関する計画

評価(自己評価)

B

計画に基づき、人事評価に必要な規則及びマニュアルを整備するとともに、評価を適切に実施しその結果を契約更新などに活用した。また、基礎事項の周知徹底や知識取得を目的とした各種研修を実施するなどの取組を着実に実施し、着実な業務運営がなされている。

1. 人材の配置に関する運用状況(評価指標)

【実績】

- 人事評価について業績評価制度及び発揮能力評価制度を規則及び評価マニュアルを整備して導入
- 業績評価は、定年制職員・任期制職員について、平成27年12月末までに目標管理シートの作成を行い、任期制職員は契約更新、昇給等に反映させるため平成28年1月末までに業績評価、発揮能力評価を実施
- 評価結果は、任期制職員等について平成28年度契約更新の判断材料とし、昇給、期末手当へ反映させる予定の他、人員配置上の更なる適切性を図るため、平成28年4月の昇任、人事異動に具体的に反映

2. 人材の育成に関する運用状況(評価指標)

【実績】

- 機構設立初年度のため、基礎事項の周知・徹底を図ることを目的として、入構時研修、文書管理、コンプライアンス、ハラスメント、メンタルヘルス、勤怠・旅費システム、人事評価制度の各研修を計画通り実施
- 職員の能力開発では、業務実施上で必要な基礎的な知識、実践的な知識取得を目的として、知的財産に関する研修会、臨床研究支援のための勉強会、事業推進のための横断研修会(延べ参加者約611名)を開催したほか、JST/CRDS説明会、AMED内部セミナー(講師:田中耕一先生)を開催
- 能力開発に係る研修(参加者数)＜モニタリング指標＞

	H27年度
能力開発に係る研修参加者数	延べ611名

VIII その他主務省令で定める業務運営に関する事項

(8) 中長期目標の期間を超える債務負担

VIII(8)その他業務運営に関する事項 中長期目標の期間を超える債務負担



評価(自己評価)

中長期計画を超える債務はないことから、資金計画にも影響はない。

組織人員体制の整備状況(評価指標)

【実績】

○中長期計画を超える債務負担はない。(平成28年3月末現在)

VIII その他主務省令で定める業務運営に関する事項

(9) 機構法第17条第1項に規定する積立金の処分に関する事項

VⅢ(9)その他業務運営に関する事項 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



評価(自己評価)

—

積立金はないため、実績なし。

積立金の活用状況(評価指標)

【実績】

○法人設立初年度であり、積立金はないため、実績なし。