

平成28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	9
③臨床研究及び治験データマネジメントの実行	15
④実用化へ向けた支援	19
⑤研究開発の基盤整備に対する支援	25
⑥国際戦略の推進	32
⑦政府出資を利用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等	38
(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	41
②医療機器開発	48
③革新的医療技術創出拠点	56
④再生医療	63
⑤オーダーメイド・ゲノム医療	70
⑥疾病に対応した研究＜がん＞	79
⑦疾病に対応した研究＜精神・神経疾患＞	84
⑧疾病に対応した研究＜新興・再興感染症＞	91
⑨疾病に対応した研究＜難病＞	98
⑩その他の健康・医療戦略の推進に必要な研究開発等	105
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	127
②PDCAサイクルの徹底	130
③適切な調達の実施	133
④外部能力の活用	135
⑤業務の効率化	137
(2) 業務の電子化に関する事項	140
III 予算（人件費の見積りを含む。）、収支計画及び資金計画	143
IV 短期借入金の限度額	145
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	147
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）	149
VII 剰余金の使途	150
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	152
(2) コンプライアンスの推進	154
(3) 情報公開の推進等	156
(4) 情報セキュリティ対策の推進	158
(5) 職員の意欲向上と能力開発等	160
(6) 施設及び設備に関する計画（記載事項無し）	164
(7) 職員の人事に関する計画	165
(8) 中長期目標の期間を超える債務負担	167
(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	169

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・経営評議会における意見を踏まえた医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)における人材育成を評価項目に加えることを含めた適切な事業設計、10段階の統一したスケールによる課題評価の導入、研究開発提案書概要の様式、Abstract・Keywordの英語と日本語の記述など様式の統一化の推進、利益相反マネジメントルールの整備、機構発のメディカルアーツ研究の立ち上げ、メディカルアーツ研究が機構が継続的に推進すべきとして健康・医療戦略等に位置付けられたこと、エビデンスベースの事業企画、事業マネジメント、施策提案等の機能を目指すため「情報分析企画室」設置などを実現し、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プロジェクトマネジメントの取組の強化

- 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
- 研究・経営評議会における意見を踏まえた、医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)の事前評価において、人材の育成を評価項目に加えることを含めた適切な事業設計
- 8つの連携プロジェクトについて、プロジェクト連携シンポジウムを企画・開催
- 10段階の統一したスケールによる課題評価の導入
- 研究開発提案書概要の様式、Abstract・Keywordの英語と日本語の記述など、様式の統一化を推進
- 課題選定、課題評価の複数事業合同での実施による課題の事業間の連携の推進
- 評価委員やPD・PS・POの利益相反マネジメントルールを整備・実施

①プロジェクトマネジメントの取組の強化(続き)

- AMED発の取り組みとして、メディカルアーツ(医療の有効性、安全性及び効率性の観点から医療に変革をもたらすための技術やシステムの開発及び普及)に関する研究を立ち上げ。同研究は、機構が継続的に推進すべきとして、健康・医療戦略等に位置付けられた。

②「研究費の機能的運用」の実施

- 現場での研究費の効果的な活用に資するべく、研究費の機動的運用、研究事務の効率的実施、研究機器の合理的使用を含む、「研究費の機能的運用」を導入し、研究成果の最大化に寄与
- 事務処理説明会(ライブ配信あり)、アンケート実施、機構HPへの掲載により、研究者・研究機関へ周知

③シーズやニーズの把握とシンクタンク機能

- 「AMED研究開発マネジメントシステム(AMS)」を構築し、エビデンスベースの事業企画、事業マネジメント、施策提案等の機能を目指すため「情報分析企画室」を設置

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。

○昨年度に引き続き、研究・経営評議会を設置し、平成28年6月1日及び同月8日、平成28年10月14日並びに平成29年3月30日に開催。研究・経営評議会において人材育成に取り組む課題を評価することとするなどの意見を踏まえ、平成29年3月に公募を開始した医療研究開発革新基盤創成事業(CICLE)の事前評価においては、評価項目に「人材育成への貢献度合い」を入れており、臨床情報を包括的に集積し分析する能力等を有する人材の育成に取り組む課題を評価することとした。また、政府の健康・医療戦略等の一部変更(平成29年2月)でリバーストランスレーショナルリサーチ(リバースTR)が新たに加えられたが、CICLEの立ち上げにおいては、この考え方を予め盛り込んだ事業設計とした。

○昨年度に引き続き、アドバイザリーボードを設置し、平成28年10月18日及び平成29年3月16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し、それを踏まえ、改正研究倫理指針による研究機関の対応に係る自己点検ツールの開発等に取り組む。

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。

○PS、PO及び当機構職員のサイトビジットによる研究者からの直接の現場のシーズやニーズの調査のほか、大学や研究機関、企業との連携を進める取組を実施。

(取組事例)

- ◆ 臨床ニーズに基づく医療機器の開発を強化するため、4つの学会(日本内視鏡外科学会、日本脳神経外科学会、日本コンピューター外科学会、日本整形外科学会)を対象として、臨床ニーズ収集体制を構築した。これらからの情報も含めて291件の臨床ニーズを収集した。
- ◆ 公募要領に「企業との連携について」と題する特記事項や、「薬事承認や第Ⅲ相試験等を実施する企業等への導出が成立すること」と題する目標、「実施体制に企業等が参画しており、評価や進捗管理の際に参画大学等の担当者と参画企業等の担当者の両者が参加すること」という採択条件を設けるなど、企業との連携状況を確認するスキームを強化した。(難治性疾患実用化研究事業、免疫アレルギー疾患等実用化研究事業)。

○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)」を構築し、エビデンスベースによる事業企画、事業マネジメント、施策提案等の機能の発揮を目指すため、「情報分析企画室」を設置。

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し、個別研究課題の選定を実施。選定に際しては、事業によって、ヒアリング審査に企業等担当者を同席させることや提案書類に目利き人材がコメントするなど質の高い評価を行う取り組みも行われた。評価委員会とPD・PS・POの役割整理や、評価委員の利益相反マネジメントルールの整備を行い、評価委員会の運営を改善。

＜モニタリング指標＞

	H28年度
事前評価委員会の設置数	90件
事前評価委員会の開催回数	116回

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。
- 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。また、PD・PS・POの利益相反マネジメントルールを整備し、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＞

	H28年度
PDPSPO会議実施回数	285回

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)

○難治性疾患等実用化研究事業では、全課題を対象にPS、POによる一斉ヒアリング等を実施。一斉ヒアリング等におけるPS、POからの助言に基づき、例えばシーズ候補に対して治験導入を促す指導を与える等の研究開発推進にとどまらず、方針の転換に相当する研究開発計画変更を実施する等、課題進捗に寄り添った一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメントが問題解決に繋がった事例を得た。

(具体事例)

- ◆ 難治性疾患実用化研究事業「MIRAGE症候群の治療法開発に向けた基礎的研究」: PSPOヒアリングでの指摘事項をうけて、当該疾患レジストリの拡充を目的として、本課題と未診断疾患イニシアチブ(IRUD)の連携を図った。

○関係事業と連携して、研究開発の開始、進捗管理を行い、マネジメントの強化を図った。

(具体事例)

- ◆ 認知症事業、障害者事業のPS、PO会議に、関連する脳プロ(融合脳)のPS、POが出席し、両事業の課題の連携を図った上で各事業において行う課題を選定した。
- ◆ 革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいては、PD、PS、POとともに全14拠点に対してサイトビジットを実施。また、臨床研究等ICT基盤構築研究事業、パーソナルヘルスレコード利活用研究事業においては、PS、POヒアリングを適宜実施し、課題の進捗管理を行った。

2. その他(研究費申請手続きのワンストップサービス化、移管した切れ目のない支援に向けた取組)

○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を引き続き改善しつつ運用。またFAQを整備し、機構ホームページに掲載。各事業に共通する部分について事務処理を標準化。さらなる簡素化・合理化を目指す。

○事業間の連携を図ることで、基盤技術研究から実用化への切れ目のない支援を促進する取り組みを行った。

(具体事例)

- ◆ 「未来医療」事業で開発中の『麻痺した運動や知覚の機能を回復する医療機器・システムの研究開発』の成果を基にした『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の医師主導治験』を「医療機器開発推進研究事業」で採択。

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)

- 平成28年度においては、革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携、専門領域の研究者間での連携の推進、さらには特定テーマにおけるネットワーク構築を目指し、平成28年9月～平成29年1月にかけて8つの連携プロジェクトについて、各PD、PS、POの意見も踏まえつつ、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、合計4回のシンポジウムを開催した。これにより、特定テーマに対し拠点も含めたネットワーク作り・縦横連携をより深化させた。シンポジウムは好評を博し、PD、PS、POの参加人数や1回あたりの参加人数等において平成27年度を上回った。
- 課題評価において評価方法の統一化を図り、分野や事業の間での評価結果の比較や分析が可能となるようにするため、10段階共通スケールの評価方法を策定し、29年4月から原則として各事業で実施することとした。実施に当たっては、29年1月にマニュアルを改定し、担当課における10段階共通スケールの導入を支援した。
- 研究開発提案書の共通フォームとして、Abstract・Keywordの英語と日本語の記述、および提案者の主要論文リストを新たに付加した。また、採択案件であるか不採択案件であるかに関わらず提案書要約の情報を、新規事業創出等のAMED事業運営に資する研究動向の分析にも利用できるような公募要領とした。
- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業と腎疾患実用化研究事業の両事業においては、糖尿病性腎症をテーマとした合同PS/PO会議を開催し、積極的に事業間連携、情報共有を図った。
- 機構発のメディカルアーツに関する研究を立ち上げた。この研究は機構が継続的に推進すべき内容であるとして、健康・医療戦略や医療分野研究開発推進計画の見直しにおいて主要な検討事項として採り上げられ、「医療の有効性、安全性及び効率性の観点から医療に変革をもたらすための技術やシステム(メディカルアーツ)の開発及び普及に関する研究」として盛り込まれた。

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

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資するべく、次の内容を含む「研究費の機能的運用」を前年に引き続き実施し、研究成果の最大化に寄与

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

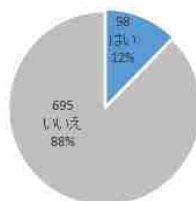
- ・採択決定と契約締結等の予定日の明示
- ・研究開始までの事前の準備
- ・採択決定から契約締結までの期間短縮

3) 研究機器の合理的使用

○事務処理説明会の実施およびインターネットライブ配信を行ったほか、アンケートの実施、機構ホームページへの掲載により、本取り組みについて研究者・研究機関への周知に努めた。

<アンケート結果>

回答を得た機関の12%(98機関)において、機能的運用の実績があった。



<事務処理説明会のライブ配信の様子>



<モニタリング指標>

	H28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	821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

(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研究不正防止の取り組みの推進

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研究不正防止の取り組みの推進



評定(自己評価)

B

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・取組等を踏まえて総合的に勘案した結果、公募事業・RIOネットワーク・ケースブック作成等の将来に向けた新たな取組を実施するとともに、規則等の適正化とその周知、事業部門との密接な連携による不正対応と体制の整備、研究機関における研究倫理教育プログラムの履修と利益相反管理の実施の促進、シンポジウムの開催等の着実な成果が認められる。

①研究公正の啓発活動の推進及び体制の整備

- ・公正かつ適切な研究開発の実施のために、規則、契約書等を整備して研究機関に周知するとともに、不正発生時の研究機関や関係府省に対する円滑な対応を図るための体制を整えた。また、研究公正に関する説明会を開催し多数の参加者を得た。
- ・機構内の新規事業や課室を横断する問題に対して研究公正・法務部として支援した。
- ・不正行為等の発生に伴い、法令、指針、規則に基づき、研究機関・関連府省庁及び事業担当者に対する連絡調整及び指示を実施するとともに、不正使用が認定された者に対する措置を決定した。
- ・e-Radを利用して研究費の不合理な重複及び過度の集中について確認するとともに、e-Radの利用について事業担当者からの意見を取りまとめた。また、他の配分機関で参加制限措置を受けた者の取扱いについて事業担当者への説明をしつつ運用を進めた。

②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)に対して倫理指針への適合調査を実施し、その結果を受けた指摘とフォローアップを適切に実施。

③研究倫理教育プログラムの履修と利益相反管理

- ・機構の事業に参加する研究者に対する研究倫理教育プログラム履修の義務付け、研究機関における利益相反管理規則の制定を行い、運用を図った。

④ノウハウ蓄積と専門的人材育成の取組

- ・ノウハウ蓄積と専門人材の育成に向けて、研究不正未然防止の強化や研究公正の高度化を目的とした公募事業、研究公正責任者のネットワーク構築に向けた取組、情報発信の媒体としての研究倫理HP及びケースブックの作成等を新たに実施した。また、他法人との連携も含めた各種セミナー、シンポジウムを通して、参加者の意識の底上げに寄与した。

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

②研究不正防止の取り組みの推進



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。
- ・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。

■公正かつ適切な研究開発の実施のための啓発活動の推進及び体制の整備

1. 規則、契約書等の整備と周知

- ・各省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」及び研究開発の透明性確保のための「研究活動における利益相反の管理に関する規則」を運用、改訂し、研究機関に周知した。
- ・公募要領、事務処理説明書、契約書及び補助金取扱要領等に、法令、指針及び規則の遵守並びに不正行為等への対応に関して記載した。また、法的観点からこれらの適正化のための修正を実施し、研究機関に周知した。
- ・再委託先にて不正行為等の疑いが生じた場合に、受託機関を通じた機構への速やかな連絡のため、再委託先が受託機関に通知する義務を課すよう「再委託契約書作成における注意書き」作成に協力した。
- ・研究者や事務担当者等を対象とし、研究公正にかかる説明会を継続的に開催した。平成28年度は合計7回開催し、計787名が参加した。さらに、HPによる募集を行い、研究機関等からの要請に応じ、研究公正に関する講習会を実施した。8月に東京大学先端科学技術研究センターで(62名参加)、11月に岐阜県立看護大学で(参加者48名)開催した。
- ・個人情報保護法等の改正に伴う「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」及び「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」の一部改正を受けて、AMED主催の「研究倫理指針の改正に関する説明会」を開催した。(3/9東京開催100名参加、3/15大阪開催72名参加)

2. 機構内事業の支援を通じた制度の整備

- ・複数の新規事業の制度設計に関して、担当事業担当者と連携しながら、法的観点からの助言を行った。
- ・医療分野の研究倫理に関する課題について事業課室を横断して検討し、その成果を提供することにより、大学・研究機関等における研究倫理の取組の強化に資することを目的とし、「研究倫理に関するタスクフォース」を6回開催した。その活動の一環として、各事業課での研究倫理関連の研究開発課題について情報共有をした。

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

②研究不正防止の取り組みの推進



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。

■公正かつ適切な研究開発の実施のための啓発活動の推進及び体制の整備

3. 不正発生時の対応：機構各部門との連携及び研究機関や他府省との連絡調整

- ・不正行為等の発生に伴い、法令、指針、規則に基づき、研究機関・関連府省庁及び事業担当者に対する連絡調整及び指示を実施した。また、機構の事業で発生した不正使用が研究機関で認定されたことへの対応として、機構にて措置検討委員会を設置し、被認定者に対して申請・参加制限措置を決定した。
- ・不正事案に対応するため、他の配分機関や関係府省に対して、事実確認の方法や指針等の法的解釈について現地調査や聞き取りを行い、機構他部門と情報共有を図った。また、「研究活動における不正行為に対する調査方法に関する調査」では、海外の資金配分機関を訪問し、不正発生時における調査方法等につきヒアリングを行った。
- ・本調査中の研究者が研究開発代表者や分担者に含まれている場合、契約締結前に本調査の対象者に関する事実の報告を研究機関から機構に行わせ、当該研究者の取扱い・契約締結の有無の判断権を機構に担保するために、委託研究開発契約書及び補助金取扱要領において、研究機関の義務として契約締結前に通知することを規定した。

4. 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

- ・各事業担当者との連携を通じ、e-Radに登録された採択課題情報と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。
- ・e-Radの運営に関して、配分機関としての管理業務、事業担当者からの各種依頼対応、e-Rad運営委員会と事業担当者の間の連絡窓口に関する業務を行った。
- ・「競争的資金の適正な執行に関する指針」に基づき関係府省に展開される、参加制限措置を受けた者の共有リストを整理し、事業担当者に周知するとともに取扱いについての説明を行った。また、他の配分機関で参加制限措置を受けた者の具体的な取扱いについて、事業担当者と連携しながら解決を図り、十分な説明を行った。

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研究不正防止の取り組みの推進



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。
- ・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。

■適正な臨床研究推進に向けた取組

- ・臨床研究の開始からその後の手続等、研究全体に関して「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に適合しているか確認するための調査を治験適正推進事業の中で行っている。調査票を整備し、14機関の調査を行った。
- ・上記調査の結果、指針の改定による規程や手順書等と体制の整備に時間を要していることが見受けられた。また明らかな指針違反等はなかったが、手続上の遅延や不備がある機関もあった。その都度、直接指摘をしており、その後の改善計画も求めフォローしている。

■研究倫理教育プログラムの履修と利益相反管理

- ・不正行為を事前に防止する取組の一環として、機構事業に参画する研究者全員を対象に、研究倫理教育プログラムの履修を義務付け、ホームページにて公表し、研究機関に通知した。平成27年度の課題(平成27年度終了課題を除く)について履修対象者からの報告書を受領した。また、研究倫理教育プログラムのより実効的な実施を図ることを目的として、「諸外国の研究倫理教育の実施状況に関する調査」を委託した。今後内容を分析して本実務に活用する予定である。
- ・研究の実施にかかる体制整備の一環として、倫理指針の遵守状況や利益相反管理の状況の報告を研究開発代表者及び研究開発分担者に求めた。平成28年度からは厚労省系事業に加えて、文科省、経産省、総務省系事業等を始め、これまで利益相反管理を義務づけていなかった事業についても、「研究活動における利益相反の管理に関する規則」に基づく管理を研究機関に依頼した。さらに、平成28年度に実施した「国内研究機関等における利益相反管理の実態調査」の結果を踏まえ、研究機関に過度な負担を掛けずに実質的な報告を受けられるような制度上の改善を検討している。

▼モニタリング指標:研究倫理教育プログラムの履修状況報告……609 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研究不正防止の取り組みの推進



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。

■ノウハウ蓄積と専門的人材育成の取組

1. 研究機関・研究者の意識の底上げのための取組

- ・研究不正未然防止の強化や研究公正の高度化を目的として公募を行い、「研究倫理教育に関するモデル教材・プログラム等の開発」に関して8課題、「研究公正の取組み強化のための調査研究」に関して1課題を採択した。
- ・機構の事業に参画する研究機関の研究公正関係者が情報交換ができる場(RIOネットワーク)を平成29年度から構築するのに先立ち、医系80大学の関係者を対象に「RIOネットワーク意見聴取会」を開催し、2会場で合わせて71名が参加した。また、この意見聴取会の参加メンバー等を対象にメールマガジンの試行版を5回発行した。
- ・「研究倫理に関するタスクフォース」の提言から、研究倫理に関する情報を共有ができる場を提供するため、「研究倫理HP」の作成に着手した。このHPは、研究者のみならず一般国民にも向けた情報の発信も想定している。
- ・研究者が自ら考え、議論することを目的とし、双方向型の研究倫理教育のための不正行為等事例集「事例から学ぶ公正な研究活動～気づき、学びのためのケースブック」を完成させた。

■セミナー、シンポジウムの開催

- ・平成28年3月の東京開催に引き続き、利益相反管理に関するセミナーを大阪にて開催した(5/10 開催、45 名参加)
- ・AMED研究公正国際シンポジウム「ORI(米国研究公正局)に聞く 医学研究における不正の防止と調査」を開催した(6/28開催、200名参加)。

科学技術振興機構と連携・協力し、シンポジウム「学術研究フォーラム 第8回学術シンポジウム 科学研究のよりよき発展と倫理の確立を目指して」を、日本学術振興会と共催した(11/29 開催、250名参加)。

- ・CITI Japan プロジェクト 最終報告会を、同プロジェクト事務局と共催した(1/27開催、340名参加)。
- ・日本薬学会第137年会のシンポジウム「公正な研究活動を推進するには」を後援し、研究公正・法務部長が「AMEDにおける研究公正への取り組み」についての講演を行った(3/25開催、参加者約100名)

▼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……13回、1,140名

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)

A

外部委託による進捗管理の推進及びそのマネジメント手法の着実な承継、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備(モデル)事業の実施、医師・CRC・DM養成研修の実施、悉皆性のある学会主導画像等データベース新規構築を含めICT基盤整備に係る研究事業を立ち上げ研究を推進するなど、顕著な成果が認められる。以上から、「臨床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 研究マネジメントの効率的な実施

- 国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所と密に連携しながら、サイトビジットへの随行、進捗管理に関する各種報告書、手順書等を通じて研究マネジメント手法を着実に承継するとともに、知識および技術の更なる向上を図った。
- H28年度の調整費による中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業等において、5機関でのモデル事業等を通じ、中央治験・倫理審査委員会を進めるガイドライン素案作り及び電子申請等の環境整備等の取組を行った。

② 臨床研究・治験従事者の育成

- 質の高い臨床研究の実施に資するべく、臨床研究コーディネーター(CRC)、データマネージャー(DM)及び治験・倫理審査委員向けに加え、新たに医師向けの研修(上級者CRC研修、DM研修、治験・倫理審査委員研修、医師研修)を開催。合計約180名の参加者を得た。

③ ICT基盤構築に係る研究の推進

- DPC、NDBなどの既存の医療等データベースや、電子カルテ情報などからマッピングした標準形式の情報を、臨床研究等の基盤としても活用する、恒常的な仕組みを構築するための複数の研究を行った。
- 平成28年度補正予算において、異なる3学会(日本病理学会、日本医学放射線学会及び日本消化器内視鏡学会)をとりまとめ、将来展望を見すえながら悉皆性のある画像等データベースを構築する研究等に着手した。

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

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(プロトコール)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ったか。

1. 臨床研究マネジメントの実施

- 国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所と密に連携しながら、サイトビジットへの随行、進捗管理に関する各種報告書、手順書等を通じて研究マネジメント手法を承継するとともに、知識および技術の更なる向上を図った。
- H28年度の調整費による中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業等において、5機関でのモデル事業等を通じ、中央治験・倫理審査委員会を進めるガイドライン素案作り及び電子申請等の環境整備等の取組を行った。
- 平成28年度補正予算「医療のデジタル革命プロジェクト」において、日本病理学会、日本医学放射線学会及び日本消化器内視鏡学会が主導する学会主導画像等データベース構築の中で、国立情報学研究所との連携を図った。

2. 臨床研究・治験従事者の育成

- 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)及び治験・倫理審査委員を養成するための研修に加え、臨床研究実施者である医師向けの研修を新たに実施している。業務委託先とプログラムや講師等を調整し、医師研修を7回、DM研修を2回、上級者CRC研修を1回、治験・倫理審査委員研修を2回開催した。

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

③臨床研究及び治験データマネジメントの実行



2. 臨床研究・治験従事者の育成(続き)

モニタリング指標	H27年	H28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	1回、82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	2回、96名
(参考)医師研修の実施状況(回数及び人数)	-	7回、208名

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、「臨床研究等ICT基盤構築研究事業」、「地域横断的ICT活用医療推進研究事業」及び「パーソナル・ヘルス・レコード(PHR)利活用研究事業」の3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。
- 平成28年度予算において、DPC、NDBなどの既存の医療等データベースや、SS-MIX2などに格納された電子カルテ情報などからマッピングした標準形式の情報を、医療の質向上・均てん化・診療支援の基盤として活用するとともに、臨床研究等の基盤としても活用する、恒常的な仕組みを構築するための複数の研究を行った。
 - 平成28年度補正予算「医療のデジタル革命プロジェクト」において、次世代NDBデータ研究基盤構築に係る研究や、総合診療医の診療支援基盤構築に関する研究のほか、異なる3学会(日本病理学会、日本医学放射線学会及び日本消化器内視鏡学会)をとりまとめ将来展望を見すえながら悉皆性のある画像等データベースを構築する研究等に着手した。更に、研究課題採択後はAMED主導で課題間連携を強力に推進した。これらの取り組みを通じ、学会主導、広域連携・分散統合、Real world dataの活用及び人工知能(AI)基盤構築に資するプラットフォーム作りを目指す。

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



評価(自己評価)

B

知財相談窓口を通じた相談対応、知財取得戦略に関する研究機関への支援、再生医療分野の知財戦略、医工連携における知財権の取扱い調査等の実施、採択者向け知財教材作成、成果導出に関する研修セミナーの実施等知財人材の啓発活動、成果導出促進に向けたマッチング機関の提供等の取組を着実に実施した。また、PMDAとの連携の一環として、研究者が薬事戦略相談を行う際のAMED職員の同行、腎領域におけるレギュラトリーサイエンス研究を実施するとともに、INCJ投資専門家の採択審査委員会等への参画により、有望な研究開発課題を選定する等、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 知的財産取得・活用に向けた研究機関への支援

- 発明等創出時等にAMEDが支援する研究機関から提出される発明等報告に通じて、知財専門人材による知財コンサルテーションを実施するとともに、コンサルテーションの一環として、外部調査機関による補足的な先行文献調査、市場調査等を実施。
- 採択された医療研究者向け知財e-learning教材作成、セミナーへの講師派遣、及び知財・産学連携部門の担当者を対象とする成果導出に向けた研修セミナー実施により、知財人材の啓発活動実施。
- 医療分野の知財戦略策定等の資料とすべく、腸内細菌叢を始め特定分野における特許・技術動向調査、再生医療分野の知財戦略、医工連携における知財取扱い、及び臨床データの知財側面に関する分析調査を実施。
- 知的財産を通じて研究成果の価値最大化を目指すため、技術シーズ情報の評価支援を行う技術シーズ支援システムを開発。

② 研究成果の導出促進に向けたマッチング機会の提供

- 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、展示会、商談会、シーズ説明会への参加支援を通じ、企業への情報提供・マッチング等の実用化に向けた企業連携・産学連携を促進。
- 研究シーズと企業ニーズとのより早期のマッチングを実現する枠組み構築のためのマッチングスキームに関する調査研究を、関係機関と協力の下、実施し、当該スキームを実施するためのマッチングシステム構築に着手。

③ 知的財産管理・相談窓口の運用

- 知的財産部に設置している知財相談窓口を通じ、知財専門人材による相談対応を実施。相談内容を蓄積し、FAQとしてWebに公開予定。

④ PMDAと連携した実用化への橋渡しの促進

- PMDAへ薬事戦略相談を行う研究者との情報共有を行うとともに、PMDAとの連携の一環として、AMED職員も同行。

⑤ レギュラトリーサイエンス研究の支援

- PMDA・AMED両理事長を代表とする定例の意見交換会を2回実施。情報共有や今後の検討課題について議論し、連携内容を検討。
- PMDAとの連携の一環として、レギュラトリーサイエンス研究事業において、PMDAからの提案を踏まえ、腎領域における慢性疾患に関するサロゲートマーカーに係る研究を実施。

⑥ 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

- AMEDの研究開発支援課題の採択審査委員会やAMEDが収集した「臨床シーズ」評価検討会等に、委員として、産業革新機構(INCJ)の投資専門家の参画により、市場性のある有望な研究開発課題を選定。

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 実用化へ向けた支援



評価軸

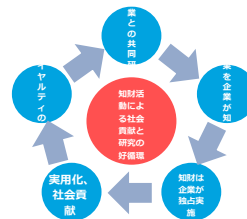
・知的財産管理・相談窓口、知的財産取得戦略の立案支援等の知的財産取得に向けた研究機関への支援機能の具備を図ったか。

1. 知的財産部に設置した知財相談窓口 (Medical IP Desk)を通じ、常駐する知財専門人材による相談対応を231件実施。相談内容は、FAQに整理してWeb公開。

「知的財産管理・相談窓口への相談件数」

＜モニタリング指標＞	H28年度
相談件数	計231件

2. AMED事業に採択された医療研究者向けに知的財産e-learning教材作成。



3. 大学等の知財実務担当者向けに、研究成果の知財化・導出に必要とされる知識やスキルの習得を目的とする研修セミナーを開催 (東京・大阪各20名で開催)

■成果導出・応用コース(5日間)

＜講義例＞
産官学連携および大学等における知的財産権取得の重要性
コーディネーター等の果たすべき役割
共同研究・ライセンス契約の基礎および留意点
＜演習＞
産官学連携推進のためのモデル案件を用いた演習

■契約・交渉実務コース(5日間)

＜講義例＞
受託研究・医師主導臨床試験の契約、交渉戦略
共同研究の契約、交渉戦略
ライセンス契約、交渉戦略、海外企業との契約交渉
＜演習＞
契約書作成の演習
モデル案件を用いた契約交渉の演習

4. 医療分野特有の出願戦略や技術導出等に関する知財専門人材による講演を計37回実施。

「医療知財に関するセミナー講演」



・全国計37回

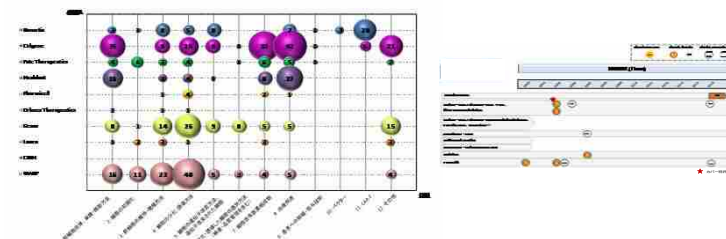
5. 発明等創出時及び特許等出願時に、研究機関から提出される発明等報告に基づく知財専門人材による知財コンサルテーションを実施。あわせて、知財コンサルテーションの一環として、発明等報告に基づき、外部調査機関による補足的な先行文献調査等を実施、調査結果を研究機関に提供。

「補足的な調査支援メニュー」

1. 先行文献調査(先行技術調査、FTO調査)
2. 市場調査
3. 多様な用途展開モデル調査

6. 腸内細菌叢及び中分子医薬の特許・技術動向調査、大学知財収支に関する分析調査、再生医療分野の知財戦略、医工連携の知財権の取扱い、臨床データの知財側面に関する調査分析を実施。

調査結果の一例「再生医療分野における知財戦略調査」



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 実用化へ向けた支援

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、展示会7件、商談会3件、シーズ説明会1件への参加支援を通じ、企業への情報提供・マッチング等の実用化に向けた企業連携・産学連携を促進。併せて、「企業導出の際に利用可能な組織や展示会等に関する調査」を実施し、効率的な機会利用方法を分析・検討。

「参加支援を行った展示会・商談会」

- ・DSANJ疾患別商談会（商談会）
- ・国際バイオテクノロジー展（展示会）
- ・BioJapan（展示会）
- ・革新的医療技術創出拠点プロジェクト成果発表会（シーズ発表会）
- ・BioPharmAmerica（商談会）
- ・国際福祉機器展（展示会）
- ・MEDICA（展示会）
- ・BIOヨーロッパ（展示会）

<平成28年度実績>

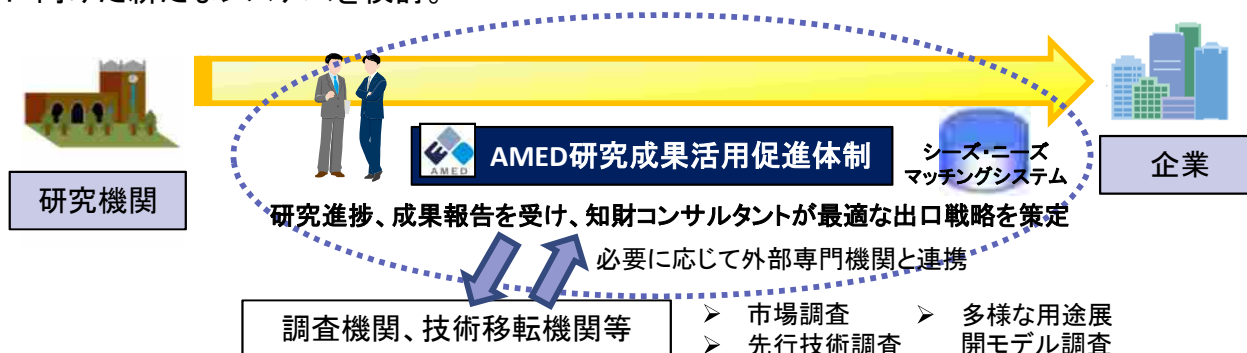
課題数	95件
面談数	429件
契約交渉開始数	20件

FY27,28のAMED支援プロジェクトからの発明等成果創出数

	発明等成果創出数
平成27年度	524件
（平成28年度）	（422件）

※平成28年度は暫定値

2. AMED研究プロジェクトから生じたシーズと企業ニーズとの早期のマッチングを実現するための枠組みを構築するためのマッチングスキームに関する調査研究を実施。日本製薬工業協会と医療系産学連携ネットワーク協議会（medU-net）と合同でフォーラムを開催し、早期マッチングに向けた新たなシステムを検討。



支援終了後の導出活動の累積を集計
AMED支援終了全プロジェクトからの成果（企業連携・産学連携が開始されたもの）

（終了後の実用化指標例）

- ・共同研究契約
- ・バイ・ドール特許等の活用状況
- ・マテリアルの利活用
- ・臨床研究・薬事承認申請等
- ・試作機器等

等

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

- 研究者がPMDAへ薬事戦略相談に行くことにつき研究者から情報提供していただき、PMDAとの連携の一環として可及的に機構職員も同行
- ＜モニタリング指標＞

	H28年度
PMDAと連携した出口戦略の策定・助言数	301件

2. 医工連携推進支援事業の運営の推進

- PMDAとの連携協定に基づき、実施者が対面助言を受ける際にAMED職員の同席および面談記録の共有を受けることで、効果的な開発推進に活かした。平成28年度は、「医工連携事業化推進事業」で24件について情報提供等を受けた。

3. レギュトリーサイエンス研究の支援

- 平成28年度においても、PMDA・AMED両理事長を代表とし、定例の意見交換会を2回実施し、互いの情報共有及び今後の検討課題について議論をし、連携内容を検討
 - 効率的な治験を実施可能とするために、PMDAとの連携の一環として、レギュトリーサイエンス研究事業において、PMDAからの提案を踏まえて、腎領域における慢性疾患に関するサロゲートマーカーに係る研究を実施
- 平成29年度においても、PMDAからの提案に基づき、新規公募課題を立案

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実用化へ向けた支援



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。

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

AMEDの研究開発支援課題の採択審査委員会や、AMEDが収集した「臨床ニーズ」の評価検討会などに、産業革新機構(INCJ)の投資専門家に委員として参画してもらうことで、市場性のある有望な研究開発課題の選定を行った。

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



評価(自己評価)

A

次世代の治療・診断を実現するため、主要な13のがんを対象にした37000検体以上の血清の網羅的な解析を支援し、6つのがんについて、新たな診断マーカー、解析アルゴリズムが選定され、臨床での有用性の検証が進められており、当該診断分野で画期的な診断法を日本初で開発を目指す。また、我が国初の抗体生産技術の開発を支援し、マザー工場の施設で実証試験が開始され、国内での生産体制の整いつつある。さらに、AMED研究開発マネジメントシステム(AMS)において、研究開発課題情報による一部運用を開始し、成果の取込機能(報告書及び報告書記載の論文、特許)を構築し、内外の論文、特許情報とのリンク機能を開発するとともに、各課題に付与した研究タグを搭載する機能、各種データとのクロス分析が行える仕組みを構築し、研究開発成果のデータベースを活用した課題管理に向けた開発を進めた。その他、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。また、若手研究者の支援・育成を着実に実施した。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、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)

- 主要な13のがんを対象に37000検体以上の血清を網羅的に解析し、6のがんについて、新たに診断マーカーと解析アルゴリズムを選定。前向き臨床研究による臨床有用性の検証を推進。また既に32件特許出願し、実用化を着実に推進

② 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業(国際基準に適合した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施設での実証試験を開始。国産の培養・精製・品質管理に関する技術について実証・検証を進め、アカデミア発のシーズを抗体医薬品の生産に向け、抗体製造の技術開発を国内実施する体制を整備しているところ。

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、「AMED研究開発マネジメントシステム(AMS)」を構築し、一部運用を開始。
- 成果(報告書及び報告書記載の論文、特許)と内外の論文、特許情報とのリンク機能の開発、各課題に付与した研究タグを搭載する機能の構築など取組。

④ 革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備

- 拠点の強化・体制整備を行うため、全体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・助言等を実施
- 他の省庁連携プロジェクト所管事業課等との合同開催によるプロジェクト連携シンポジウムの開催により特定テーマに対しネットワーク作りを促進

⑤ 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)、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)等を推進。

⑥ 若手研究者の支援・育成

- 若手研究者が研究開発代表者となって研究を推進する課題の公募・採択、若手研究者の登用に要する経費についての支援を推進。
- 日本人若手研究者を国際的に活躍する次世代のリーダーへと育成するため、初の試みとして、国際的に評価の高いニューヨーク科学アカデミー(NYAS)と協力し、多国籍で学際的な若手研究者のチームを編成し、若手育成国際ワークショップ”INTERSTELLAR INITIATIVE”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。

主要がんのマイクロRNA診断マーカー等を選定

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早期発見マーカーを見出し、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

がん、認知症等の37000検体以上の血清を網羅的に解析し、主要がんをほぼ網羅する11のがんについて診断マーカーと解析アルゴリズムを選定した。これらの臨床有用性を検証するため、PMDAの助言を受けながら、前向き臨床研究の基盤整備とサンプル収集を行っている。また、実用化を確実にするため、これまで32件の特許出願を行った。



平成28年度は、新たに6の主要がんの高い性能の診断マーカーセット・解析アルゴリズムを見いだした。

マーカーセット	症例数	感度(%)	特異度(%)	AUC
乳がん	1206	97	83	0.97
大腸がん	564	80	95	0.91
肝臓がん	205	99	95	1.00
胃がん	650	100	99	1.00
食道がん	259	99	98	1.00
神経膠腫	51	98	94	n.d.
膵臓がん	463	99	94	0.99
胆道がん	206	98	99	1.00
卵巣がん	434	97	100	1.00
肺がん	1868	100	100	1.00
骨軟部腫瘍	120	93	81	0.95

今後薬事申請をにらんで、臨床有用性を確認するため、前向き臨床研究を実施する。

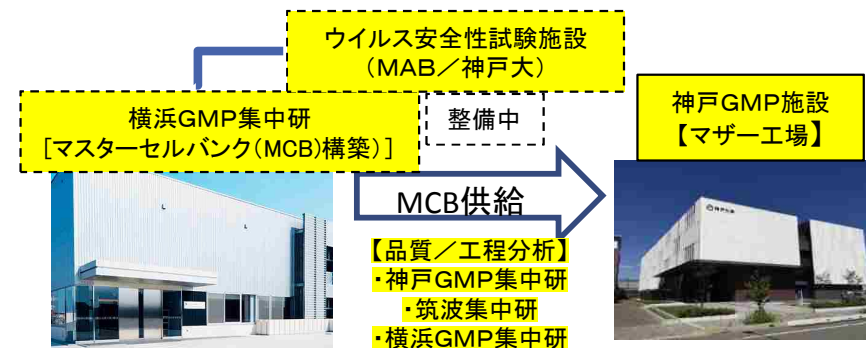
抗体医薬品製造のマザー工場での実証試験開始

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する:①オリジナルなCHO細胞を用いたマスターセルバンク、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ウイルスクリアランス試験、⑦開発した技術評価体系の整備

研究成果

プラットフォーム基盤としてのGMP準拠のバイオ医薬品(抗体)のマザー工場が本格稼働し、抗体医薬品候補を用いた実証試験を行った結果、個別条件設定に成功した。今後事例を増やし最適化を行う。



GMP準拠の抗体医薬の製造施設を活用し、抗体医薬品候補を用いた実証生産を継続して実施し、製造検討及び品質管理技術のプラットフォーム化を進める。並行して開発中の生産設備・技術の実証を目的としたテストランを行う。

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

○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（臨床研究品質確保体制整備事業、未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援事業、日本主導型グローバル臨床研究体制整備事業、国際共同臨床研究実施推進事業、早期探索的・国際水準臨床研究経費）により、革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備を行った。この中で、全体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・助言等の取組を行ったことに加え、他の省庁連携プロジェクト所管事業課等との合同開催によるプロジェクト連携シンポジウムの開催により特定テーマに対し拠点も含めたネットワーク作りを促進する取組を行った。

<モニタリング指標>

	H27年度	H28年度
医師主導治験数	31件	23件
FIH試験数（企業治験も含む）	16件	24件

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28年度の同意取得数：15,638件、DNA採取数：15,615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。
- ・ 三世代コホート調査（妊婦とその子供・家族を対象）：平成28年度に2.1万人をリクルート（平成25年度からの累計数が7.1万人）平成28年度末までの累計7万人の目標を達成）これにより、当初からの目標であった15万人規模の研究参加者のリクルートを計画通りに完了。

<モニタリング指標>

	H28年度
バイオバンクの試料数	36,290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



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」
- 第3期NBRPの最終年度にあたりNBRP課題評価委員会による事後評価をとりまとめた。この結果をライフサイエンス委員会に報告し、「概ね良好」との事後評価結果を得た。
- 平成27年度にとりまとめられた「今後のバイオリソース整備の在り方」報告書を基本として、NBRP各リソースの意見も反映し、文部科学省、PS/PO、AMEDの協議により、第4期NBRP事業の方針を決定し、公募を実施。「中核的拠点整備プログラム」25バイオリソースと「情報センター整備プログラム」1センターを採択した。

<モニタリング指標>

	H28年度
バイオリソースの数	24件

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。

- 平成27年度に引き続き、JSTとの連携協定に基づき支援を受けつつ、AMED研究開発課題マネジメントシステム(AMS)の開発を実施した。研究開発課題情報によるAMSの一部運用を開始(平成28年5月)。成果の取込機能(報告書及び報告書記載の論文、特許)を構築するとともに、内外の論文、特許情報とのリンク機能(同定処理等)の開発を実施した。また、各課題に付与した研究タグを搭載する機能を構築するとともに、各種データとのクロス分析が行える仕組みを構築。平成29年5月にAMSの完成版の運用を開始するとともに、今後の分析に資する機能改善を引き続き図っていく予定。

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



若手育成枠の推進について

プログラム数

	平成27年度※	平成28年度※
全プログラム数	70事業	80事業
うち若手枠※※を設定するプログラム数	<u>7事業</u> → <u>14事業</u>	

応募・採択 課題数

	平成27年度※	平成28年度※
全プログラムの応募数	2,741件	3,762件
うち、 <u>若手枠※※</u> の応募数	<u>44件</u> → <u>490件</u> (対前年度 11.1倍)	
全事業の採択数	515件	796件
(採択率)	(18.8% (515件/2,741件))	(21.2% (796件/3,762件))
うち、 <u>若手枠※※</u> の採択数	<u>18件</u> → <u>81件</u> (対前年度 4.5倍)	
(採択率)	(40.9% (18件/44件))	(16.5% (81件/490件))

支援課題数(新規採択課題、前年度以前からの継続課題を含む)

	平成27年度※	平成28年度※
総課題数	1,950件	2,246件
うち、 <u>若手枠※※</u> の課題数	<u>39件</u> → <u>98件</u> (対前年度 2.5倍)	

※当該年度予算で公募、契約・交付決定したもの

※※若手の定義は、「男性39歳以下、女性45歳以下」、「39歳以下」、「45歳以下」、「39歳以下又は医学部卒業後10年未満」等

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



若手研究者の育成・支援

1. 若手育成枠を設定する事業一覧

- 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業
- 再生医療実現拠点ネットワークプログラム
- 次世代がん医療創生研究事業
- 革新的がん医療実用化研究事業
- 脳科学研究戦略推進プログラム
- 認知症研究開発事業
- 難治性疾患実用化研究事業
- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業
- 感染症実用化研究事業
- ヒューマン・フロンティア・サイエンス・プログラム
- 地球規模保健課題解決推進のための研究事業
- 生体機能国際協力基礎研究事業
- 研究倫理に関する情報共有と国民理解の推進事業
- 医薬品等規制調和・評価研究事業

2. リサーチ・レジデント制度により、若手研究者の登用に要する経費を支援

- 再生医療実用化研究事業
- 革新的がん医療実用化研究事業
- 難治性疾患実用化研究事業
- 免疫アレルギー疾患等実用化研究事業(免疫アレルギー疾患実用化研究分野)
- 新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業
- 肝炎等克服実用化研究事業
- エイズ対策実用化研究事業

3. 若手研究者の革新的な発想を基にした医療分野の新規シーズの創出を目的とした国際ワークショップ INTERSTELLAR INITIATIVEをH29年3月にニューヨーク科学アカデミー(NYAS)と連携してNYで試行的に実施。ノーベル賞級の研究者をメンターとして招聘し、日本と世界各国から招聘した若手研究者が学際的チームを組み、難課題解決に向けた研究計画をワークショップを通じて立案。HFSP等国际的研究ファンドへの応募を目指す。

4. がん領域における若手研究者の総合的な研究能力向上及びネットワーク形成を目的とした若手ワークショップを平成28年11月に東京・晴海で開催。参加者を1.4倍に増加。(平成27年の31名から平成28年の44名へ)

5. 平成27年度に実施した日米医学協力計画50周年記念行事のフォローアップとして、日米医学協力計画で推進する若手・女性育成のための国際共同研究公募を行い、新規課題を13件採択。

6. 革新的先端研究開発支援事業PRIMEにおいて、より多くの若手研究者が参画するための方策について検討。平成29年度公募要領に、若手研究者の積極的な参画を促す理事長のメッセージを掲載。

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



評価(自己評価)

S

世界の生物医学研究を支援する資金配分機関等の長が参加する会合をアジアに初めて招致して東京で開催し、ファンディング機関のトップ間のネットワークを構築すると共に、アジアのファンディング機関からも多数の参加を得てアジアのリーダーシップを発揮した。米欧アジアの三極をカバーする海外事務所を米国、英国、星国に設置した。米国では、独法としては通常取得困難な準外交機関としての法人格を得たほか、英国でも同様の高いステイタスを得るなど国際的な地位を確立した。欧州に関しては、世界を代表するファンディング機関の1つである英国医学研究会議(MRC)と研究協力に関する覚書(MoC)を締結したほか、ゲノム編集技術を活用した遺伝子治療などの応用展開に結び付く先端的研究開発の推進が期待されるリトアニア共和国保健省といった国際戦略上重要な国ともMoCの締結を実現し、感染症や再生医療、難病・希少疾患やがんの分野における国際協力の枠組みを構築した。

さらに、中・低所得国での非感染性疾患(慢性疾患)を対象にした世界規模の研究やWHOの政策に貢献するためにGACD、ゲノム研究と医療における課題等について国際連携を推進するためにGA4GH、国際的臨床試験データ標準の確立にコミットするためにCDISC、といった国際コンソーシアムに新たに加盟し、世界規模の医療研究開発や国際共同治験における多国間連携に向けたグローバルネットワークを構築した。また初の試みとして若手研究者の革新的な発想を基にした医療分野の新規シーズの創出を目的に、国際ワークショップをニューヨーク科学アカデミーと連携して実施した。日本と世界各国の若手研究者からなるチームが難課題解決に向けた研究計画を立案し、HFSP等国際的研究ファンドへの応募を目指す。

一方、米国NIH、星国A*STAR、GACDと連携した3プログラムでは国際共同研究公募等を実施。募集、審査等一連のステップを機構内で初めて英語化し、外国人評価者が参画した事前評価を実現。国際的地位を活かした研究推進体制の具体的取組に向け先鞭をつけた。

さらに、希少疾病・未診断疾患の分野では、米国NIHとのMoCに基づく共同研究やUDNI(Undiagnosed Diseases Network International)との研究上の国際協力により今年度も新たに1件の未診断疾患の確定診断に成功するなど、国際的な枠組みを通じたグローバルなデータシェアリングが研究の加速に効果的であることを確認した。また、TICAD VIIに合わせて事業横断的にイベントを開催し、アフリカにおけるネットワークを構築すると共に、機構の感染症関連事業や企業も含めた横断的な情報共有の体制を整備した。

なお、国の戦略や外交上重要な相手国・地域及び研究分野における国際共同研究や、地球規模の保健課題に関する疾病の原因究明、予防法の検討、治療法・診断法の開発等での国際貢献・国際協力を、33か国72件の研究課題で推進した。

以上から、「国際協力体制の強化と国際的地位の確立」「英語化・外国人評価者の活用(国際的視点の導入)」「国際的データシェアリング体制の構築・推進」を実現したことは極めて顕著な成果と評価出来る。

①国際協力体制の強化と国際的地位の確立

- 世界の生物医学研究を支援する資金配分機関等の長が参加する会合をアジアに初招致し、ファンディング機関トップのネットワークを構築
- 海外事務所を米・欧・アジアの三極(米国、英国、星国)に設置。米国では独法としては取得困難な法人格(準外交機関)を得て、米政府機関への容易なアクセスを確保。各国日本大使館の協力を得て各国ライフサイエンス分野の重要人物に対する事務所開設周知を実現
- 英国医学研究会議(MRC)、リトアニア共和国保健省等、国際戦略上重要な国と研究協力に関する覚書を締結し、感染症や再生医療、難病・希少疾患やがんの分野での国際協力の枠組みを構築
- 国際コンソーシアム3件(慢性疾患を対象としたGACD、ゲノム研究と医療に関するGA4GH、国際的臨床試験データ標準に確立に関するCDISC)に新規加盟し、世界規模の医療研究開発や国際共同治験における多国間連携に向けたグローバルネットワークを構築

②英語化・外国人評価者の活用(国際的視点の導入)

3プログラムにおいて外国機関との国際共同研究公募等を実施。募集、審査等一連のステップを機構内で初めて英語化し、外国人評価者が参画した事前評価を実現。国際的地位を活かした研究推進体制の先駆的な取組。

- 米国NIAID/NIHと、アジアの感染症・免疫分野の若手・女性研究者育成のための国際共同研究公募を実施
- 星国A*STARと、エイジング分野で国際共同研究公募を実施
- メンタルヘルス分野でGACD加盟7か国と国際協調公募を実施

③国際的データシェアリング体制の構築・推進

- 希少疾病・未診断疾患に関して米国NIHやUDNIとの共同研究等により新たに1件の未診断疾患の確定診断に成功するなど、データシェアリングによる研究加速に効果的な枠組を構築した。
- TICAD VI関連イベントでアフリカにおけるネットワークを構築すると共に、感染症関連プロジェクトの事業横断的な情報共有のウェブサイト構築

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。

○世界の生物医学研究を支援する資金配分機関等の長が参加する会合をアジアに初招致し、東京で開催

- ファンディング機関のトップ間のネットワークを構築すると共に、アジアのファンディング機関からも多数の参加を得てアジアのリーダーシップを発揮した。

○米欧アジアの三極に海外事務所を設置

- 米欧アジアの三極をカバーする海外事務所を3拠点(シンガポール:6月、ワシントンDC:11月、ロンドン:2月)に短期間で設置完了
- 各国日本大使館の協力を得て事務所開所式典等を行い、ライフサイエンス分野の重要人物を含め広く周知を実施
- ワシントンDC事務所は独法としては取得困難な準外交機関としての法人ステイタスを取得したことで、NIH等、米政府系機関とのアクセスが容易に。一方、ロンドン事務所についてもTier5ビザの発給を受けるなど、同様に高いステータスを得て、国際的地位を確立
- 各事務所の役割は、対象地域の主要ファンディング機関等との連携強化、医療分野の研究開発に関する技術情報・政策情報の収集・分析、人的ネットワークの構築、およびAMEDの情報発信



シンガポール事務所

担当地域: アジア、大洋州

開設を記念し、シンガポール科学技術研究庁(A*STAR)のリム長官及び、在シンガポール日本国大使館の篠田特命全権大使のご列席の下、レセプションを在シンガポール日本国大使館との共催で実施。



篠田特命全権大使



リムA*STAR長官



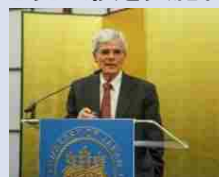
ワシントンDC事務所

担当地域: 北米州、南米州

開設を記念し、在アメリカ合衆国日本国大使館の主催によるレセプションを駐米大使公邸において開催。また、「日米健康医療研究協力に関するセミナー」も行われ、研究協力に関する意見交換を実施。



佐々江特命全権大使



NIH ゴテスマン副所長
(在米国日本大使館提供)



ロンドン事務所

担当地域: 欧州、中東、ロシア、アフリカ

事務所開設およびMRCとAMEDのMoC(協力に関する覚書)締結を記念して、レセプションを在英日本国大使館との共催で実施。



鶴岡特命全権大使



英国保健省CMO
サリー・デイヴィス卿
(在英日本大使館提供)

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



○英国医学研究会議(MRC)、リトアニア共和国保健省との研究協力に関する覚書(MoC)を締結し、国際協力の枠組みを構築

- 世界を代表するファンディング機関の1つである英国医学研究会議(MRC)と2月1日にMoC締結。連携分野は再生医療、認知症、薬剤耐性、感染症など
- ゲノム編集技術を活用した遺伝子治療などの応用展開に結び付く先端的研究開発の推進が期待されるリトアニア共和国保健省と3月9日にMoCを締結。連携分野は難病・未診断疾患、がん研究など
- 今後は各連携分野にて人材交流、共同セミナーやシンポジウム、共同研究等を予定



右: MRC議長 ジョン・サヴィル卿
左: AMED末松誠理事長
(写真提供: 共同通信社)

右: リトアニア共和国保健省大臣
アウレリウス・ベリガ博士
左: AMED末松誠理事長

○世界規模の医療研究開発や国際共同治験における多国間連携に向けたグローバルネットワークを構築

- 医療研究開発の国際コンソーシアムである、中・低所得国での非感染性疾患(慢性疾患)を対象にした世界規模の研究やWHOの政策に貢献するためにGACD、ゲノム研究と医療における課題等について国際連携を推進するためにGA4GH、国際的臨床試験データ標準の確立にコミットするためにCDISCに新たに加盟
- 既加入の国際希少疾患研究コンソーシアム(IRDiRC)の今後の10か年計画(2017-2027)草案の策定に貢献。

○英語化・外国人評価者の活用(国際的視点の導入)

- 3プログラムにおいて外国機関との国際共同研究公募等を実施。募集、審査等一連のステップを機構内で初めて英語化し、外国人評価者が参画した事前評価を実現。今後の国際的地位を活かした研究推進体制の具体的取組に向け先鞭をつけた。
 - 平成27年度に実施した日米医学協力計画50周年記念行事のフォローアップとして、NIAID/NIHと共同でアジアの感染症・免疫分野の若手・女性研究者育成のための国際共同研究公募を実施。募集・審査等を英語により行い、合同での課題評価を実現した。
 - MoCに基づきシンガポール科学技術庁(A*STAR)と共同でエイジング分野での国際共同研究公募を実施。募集・審査等を英語により行い、合同での課題評価を実現した。
 - メンタルヘルス分野で、慢性疾患国際アライアンス(GACD)加盟7カ国と公募概要や公募方法等を統一した英語による国際協調研究公募を実施している。

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

⑥国際戦略の推進



○国際的データシェアリング体制の構築・推進

- 希少疾病・未診断疾患の分野では、米国NIHとのMoCに基づく共同研究やUDNI(Undiagnosed Diseases Network International)との研究上の国際協力により今年度も新たに1件の未診断疾患の確定診断に成功するなどの成果が得られ、国際的な枠組みを通じたグローバルなデータシェアリングが研究の加速に効果的であることを確認した。
- 平成28年度第1回調整費を活用して、第6回アフリカ開発会議(TICAD VI)関連イベントを事業横断的に日本とナイロビで3回開催。感染症分野での日アフリカ科学技術イノベーション協力のさらなる推進・展開に向け、機構の感染症関連事業や企業も含めたアフリカにおけるネットワークを構築し、TID Africa-Japanのウェブサイトを開設するなど情報共有を行う体制を整備した。



TID Africa-Japanのウェブサイト

○国際ワークショップの開催

- 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に、主に相手国を開催場所として、国際ワークショップを11件開催した。

仏国INSERM[5/3神経変性疾患]、米国NSF[11/17,18脳科学]、スペインMINECO[12/1ナノメディシン]、カナダAIHS[2/24,25がん]、英国MRC[3/1再生医療, 3/2感染症]、ニュージーランドHRC[3/3介護ロボット]、米国NYAS[3/17-19若手育成]、インドDST[3/24人材育成] 他

事例

INTERSTELLAR INITIATIVEを初開催

若手研究者の革新的な発想を基にした医療分野の新規シーズの創出を目的とした国際ワークショップをH29年3月にニューヨーク科学アカデミー(NYAS)と連携してNYで試行的に実施した。ノーベル賞級の研究者をメンターとして招聘し、日本と世界各国から招聘した若手研究者が学際的チームを組み、難課題解決に向けた研究計画をワークショップを通じて立案。HFSP等国際的研究ファンドへの応募を目指す。



INTERSTELLAR INITIATIVEの様子

○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の推進

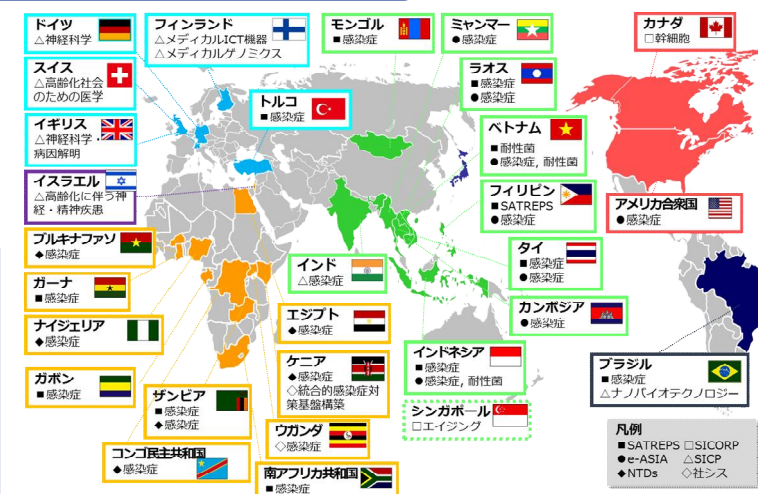
- 研究開発課題53件を世界各地で実施(関係国は28か国)。
アジア 9か国、北米 2か国、中南米 1か国、欧州 5か国、中東 1か国、アフリカ 10か国

事例

フィリピンでの重症肺炎治療薬の開発

ベトナムやフィリピンでは、インフルエンザウイルス感染に端を発して重症肺炎に移行するケースが多い。日本側研究により治療薬候補の探索が行われた結果有力な候補薬剤が見いだされ、適応外使用探索試験を日本主導によりフィリピンで実施中。

本研究開発により、フィリピンで重症肺炎に苦しむ子供だけでなく、日本国内でのインフルエンザ起因重症肺炎パンデミック時の備蓄などにも寄与することが期待される。



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

⑥国際戦略の推進

○地球規模の保健課題への対応

- 地球規模の保健課題についての現状及び我が国の保健外交政策に則り、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・提案し、新規含め9件の研究を実施。

○「日米医学協力計画」への取組

- 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、がんの9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NIHのNational Institute of Allergy and Infectious Diseases (NIAID)と共有して10件の研究を実施。
- 加えて、第19回EID国際会議をNIAID及びIVI (International Vaccine Institute)と韓国で共同開催し、AMRをテーマに研究成果を共有した。

事例

WHOによる妊婦健診等に関する母子保健分野のガイドライン策定に貢献

母子保健分野の各種指標の有効性を検証し、統計学的手法および策定した指標決定のための標準的方法を世界に発信することを目指した研究を実施。具体的には、診療記録を妊婦自身が保持することの効果、妊娠中の各栄養素やたんぱく質に関する栄養介入効果、妊娠中における重症感染症の予防・治療効果に関して、系統的レビューを行った。その成果が妊婦健診や妊娠中の重症感染症予防・治療に関するWHOの母子保健ガイドラインに反映された。



↑ブータンのNICU



↑WHOでの新生児蘇生に関する専門家会合

<モニタリング指標>

	H28年度
相手国への派遣研究者数	514件
相手国からの受入研究者数	165件
参加している国際コンソーシアムの数	7件
開催した国際ワークショップの数	11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

(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

⑦ 政府出資を利用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等

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

⑦政府出資を利用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等



評定(自己評価)

B

出資金事業の事業設計において、事業期間、事業規模、対象経費、返済方法、担保又は債務保証、成果利用料、公募対象機関の基本要件等について検討した。機構内に加え、関係府省とよく検討して事業設計し、公募に至った。また、あらかじめ目標を設定して目標達成の場合委託費全額を返済(未達の場合は条件に応じ委託費等の一部を返済)するという他の委託研究開発事業及び補助事業にはない本事業の特性を鑑み、外部有識者の協力を得つつ機構が主体となって行う採択・評価体制を構築した。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 医療研究開発革新基盤創成事業の公募

- 政府出資を活用し、革新的な新薬・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進する「医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)」の公募を平成29年3月16日に開始

② 医療研究開発革新基盤創成事業採択・評価会の設置

- 機構の役職員で構成し、医療研究開発革新基盤創成事業の採択、課題評価に関する事項を審議する「医療研究開発革新基盤創成事業採択・評価会」を機構に設置

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

⑦政府出資を利用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等



評価軸

- ・実用化が困難な革新的医薬品・医療機器等の実用化開発の不確実性を踏まえ、採択のための審査(事業計画・事業目標の審査を含む)、進捗確認や課題の相談、終了時の目標達成状況等の評価(判断基準の策定を含む)等、政府出資を活用して研究開発等を支援するために必要な実施体制を構築しているか。
- ・事業フェーズに応じた適切な研究開発マネジメントを行っているか。
- ・AMEDの取組状況や事業の進捗状況について、所管府省に適宜報告をしているか。改善を求められた場合は、これに適切に対応しているか。

1. 医療研究開発革新基盤創成事業の公募

○AMEDの役職員が部署を越えて協力し、政府出資を利用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等のための事業設計を行った。事業設計に当たっては、多くの医療研究開発関係者(企業、大学、国立研究開発法人等)と面談し、研究開発現場のニーズを聴取した。

○政府出資を活用し、革新的な新薬・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進する「医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)」の公募を平成29年3月16日に開始した。

2. 医療研究開発革新基盤創成事業採択・評価会の設置

○AMEDの役職員で構成し、医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)の採択、課題評価に関する事項を審議する「医療研究開発革新基盤創成事業採択・評価会」をAMEDに設置した。同採択・評価会には関係府省がアドバイザーとして参加でき、平成29年3月28日に開催した第1回会議では、内閣府、文部科学省、厚生労働省、経済産業省及び総務省からアドバイザー参加があり、当該府省と情報共有を行った。

<モニタリング指標>

	H28年
応募件数及び採択件数	0
事業に参画している研究者延べ機関数	0
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	0

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ライブラリーの多様性解析、次世代PPI阻害ライブラリー、GAPFREE2、クライオ電子顕微鏡を用いた支援、メディシナルケミストに関わる人材育成、AMS(AMED研究開発マネジメントシステム)登録課題やAMED戦略推進部公募申請課題を対象としたシーズ評価などの新たな取組を実施した。さらに製薬企業等からの優秀な専門人材登用、支援シーズ選定の評価手順及び基準の制定など総合的な創薬支援機能の充実に係る取組なども実施した。こうした取組みの結果、miRNA測定技術基盤開発において主要がんをほぼ網羅する11のがんについての診断マーカーと解析アルゴリズムの選定及びこれに基づく32件の特許出願、次世代抗体医薬等の製造技術における国内初のマザー工場となるGMP施設の本格稼働などの画期的な成果を創出すると共に、15件の企業導出につなげるなど、所期の目標を大きく上回った。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 2016年度成果目標達成状況(評価指標)

2020年度のKPI達成に向け、着実に件数を重ねている。

- ・相談・シーズ(目標:2020年度:1500件) **863件**
- ・有望シーズへの創薬支援(目標:2020年度:200件) **58件**
- ・企業への導出(ライセンスアウト)(目標:2020年度:5件) **15件(創薬支援ネットワーク:2件)**
- ・創薬ターゲットの同定(目標:2020年度:10件) **8件**

② 創薬基盤推進研究事業

- ・平成27年度に開始したGAPFREEの後、産業界からの要望があり、産官学共同rTRプロジェクト(GAPFREE2)を新たに立ち上げた。
- ・「次世代創薬シーズライブラリー構築プロジェクト」において、スクリーニングの実施体制を構築する上で必須となる3,000化合物×2件を予定通り合成し、創薬支援NWが活用できる仕組みを構築した。

③ 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、国際基準に適合した次世代抗体医薬等の製造技術)

II. (1) ⑤と再掲。詳細は、II. (1) ⑤を参照。

④ 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業

- ・抗体医薬品の糖鎖解析に利用可能な微量の糖タンパク質を濃縮・回収するチップの特許ライセンス契約を国内企業と締結

⑤ 創薬支援推進事業

- ・創薬総合支援事業(創薬ブースター)において、AMS(AMED研究開発マネジメントシステム)の活用や戦略推進部と連携して実用化の可能性の高い有望な創薬シーズの発掘を行った。また、創薬支援ネットワークにおける「導出に関する基本的考え方」に基づき導出契約2件締結するとともに、導出活動を促進するために、「『創薬総合支援事業(創薬ブースター)における導出に関する基本的考え方』に関する質疑応答集(Q&A)」を整備した。
- ・平成27年度に構築した産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)において、約20万化合物からヒット化合物の創製を効果的かつ効率的に行うため、化合物群の化合物ライブラリーの多様性解析を開始した。
- ・希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業において、希少疾患領域の医薬品開発を推進するために、引き続き、希少疾患領域の医薬品開発を目指す研究開発型企業等に対する実用化支援を行った。

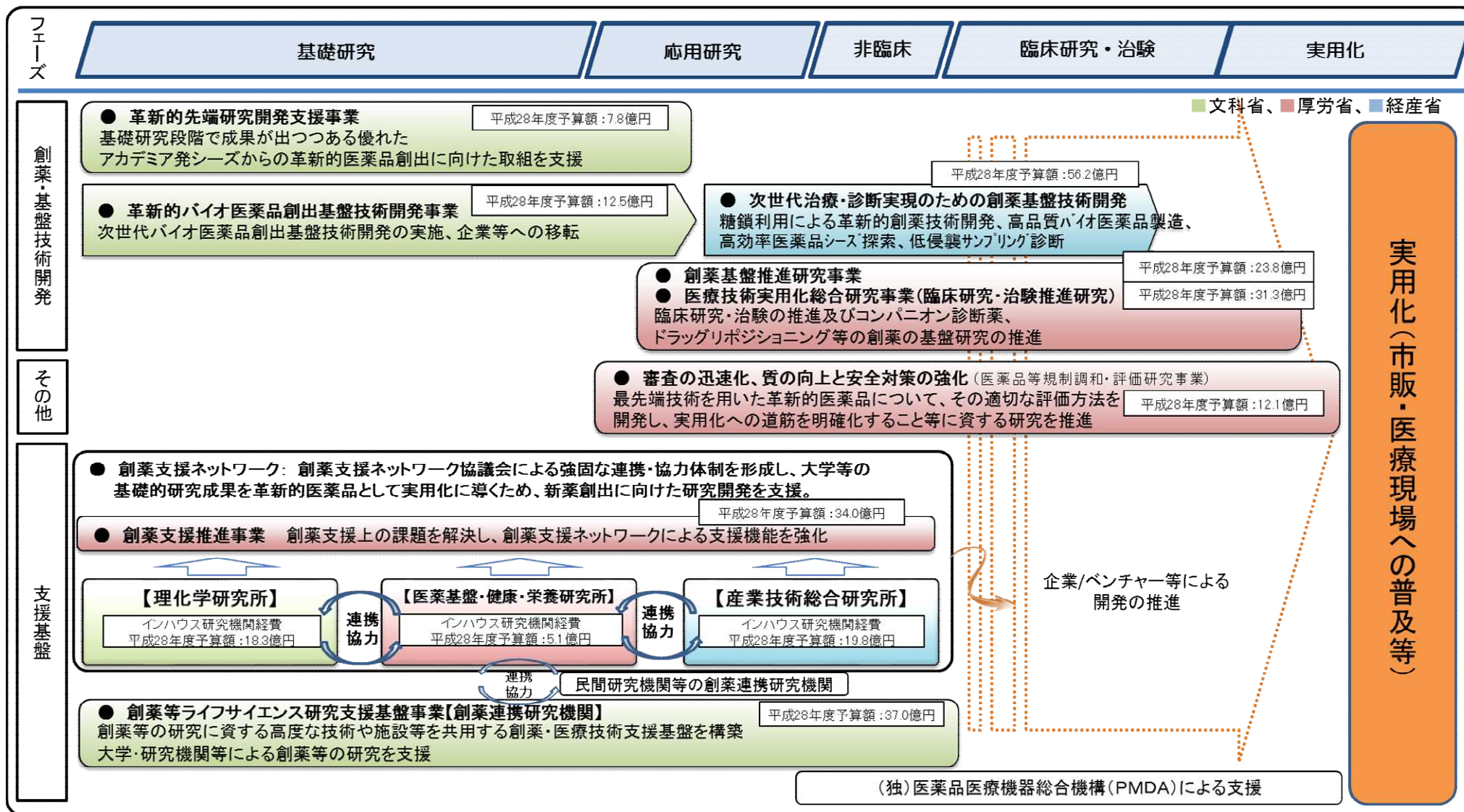
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施



① 医薬品創出

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。

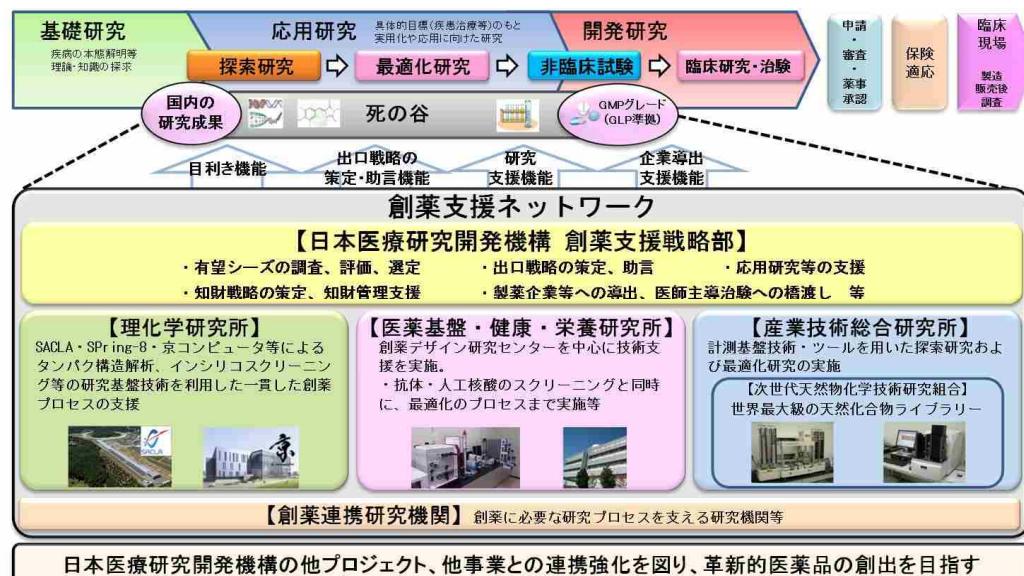


評価軸

創薬支援ネットワーク

概要

- AMS(AMED研究開発マネジメントシステム)を活用するとともに、機構に公募申請のあった235件の課題について独自に評価して、実用化の可能性の高い有望な創薬シーズを発掘する取組を実施
- 機構が本部機能を担い、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構築し、48件のプロジェクトを推進
- 意思決定を担う会議体「創薬支援ネットワーク運営会議」を定期的に開催するとともに、創薬支援ネットワークの在り方について助言する機能として、創薬支援ネットワーク諮問委員会を設置

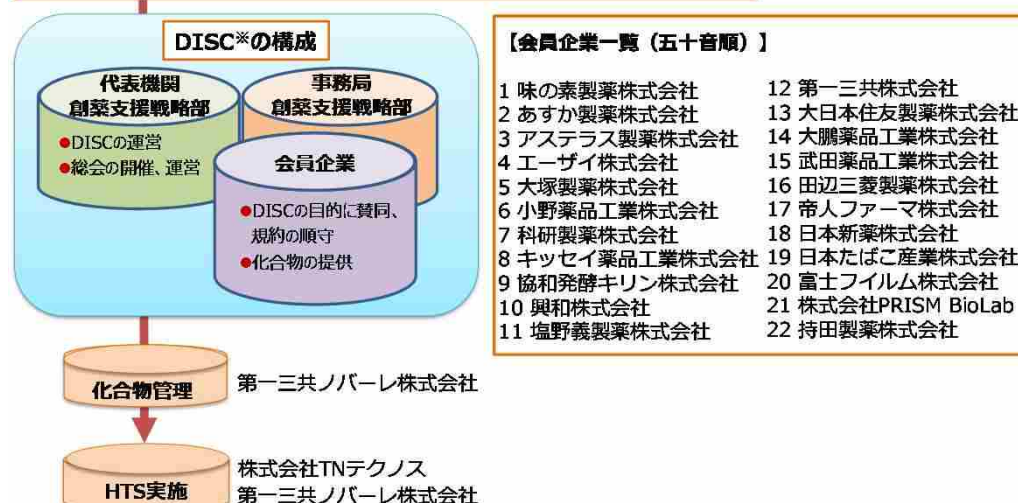


産学協働スクリーニングコンソーシアム（DISC）

概要

- 大手製薬企業を含む22社より提供された約20万化合物を用いたHTS※を2件実施するとともに、その結果を分析・評価し、円滑にHTSの結果を会員企業にフィードバック
- ※HTS(High-throughput screening)
- ヒット化合物の創製を効果的かつ効率的に行うにため、化合物ライブラリーの多様性解析を開始
- DISC総会を開催して規約の改定を行う等、DISCの適切な運営体制について整備するとともに、製薬企業等より提供された化合物を用いたHTSの結果について評価

創業支援ネットワークによるアカデミア発創業シーズの支援



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。

産官学共同rTRプロジェクト（GAPFREE2）

概要

●平成27年度にGAPFREEにて、有望なテーマが採択され、産官学の研究が開始された。

●さらに、産業界からの要望があり、平成28年度からは、既存薬をツール化合物として、これを用いた臨床研究から創薬研究を開始し、臨床研究データを創薬基礎・応用研究にフィードバックすることにより、臨床予測性を飛躍的に向上させ、革新的医薬品の開発につなげる産官学共同rTRプロジェクト(GAPFREE2)を立ち上げた。

GAPFREE2採択課題

個別疾患研究	イマチニブをツールとした自己免疫性水疱症における創薬基盤開発研究 【研究開発代表者】 京都大学 梶島 健治 アカデミア 京都大学 参画企業 田辺三菱製薬
	抗PD-1抗体治療患者における個別免疫担当細胞レベルにおける免疫応答の解析研究 【研究開発代表者】 国立がん研究センター 土井 俊彦 アカデミア NCC 参画企業 Astellas, Daiichi-Sankyo, Takeda
	ホスト防御で腸内炎症が確認された患者に対するミクログリア活性化抑制薬の有効性検証 【研究開発代表者】 理化学研究所 渡邊 恭良 アカデミア RIKEN 参画企業 Astellas
	産官学共同創薬プロジェクトの在り方に関する調査研究 【研究開発代表者】 東京大学 小野俊介 東京大学

次世代PPI阻害ライブラリ

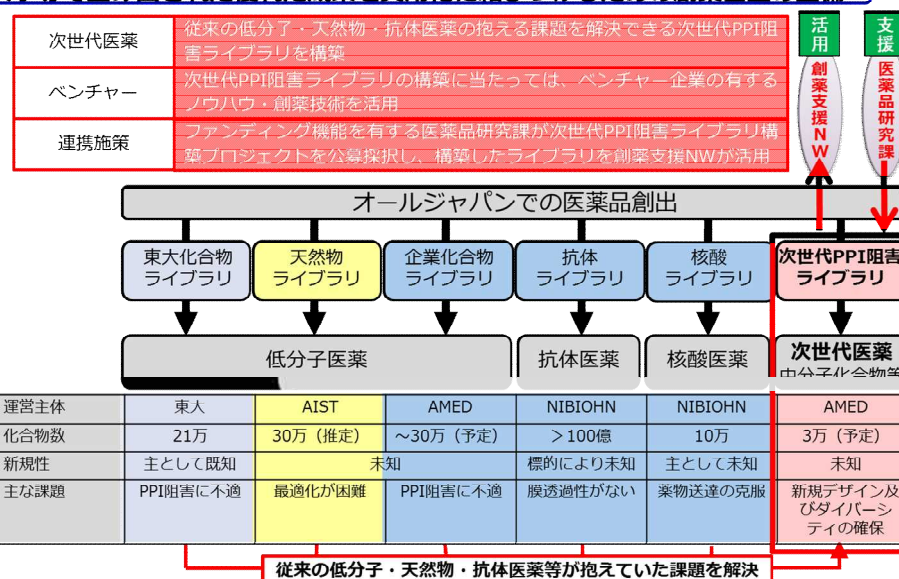
概要

●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。

●平成28年度は、「次世代創薬シーズライブラリー構築プロジェクト」において、スクリーニングの実施体制を構築する上で必須となる3,000化合物×2件を予定通り合成し、創薬支援NWが活用できる仕組みを構築した。

「オールジャパンでの医薬品創出」分野のミッション

大学等で生み出された優れた成果を実用化に結びつけるための創薬基盤の整備



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

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。

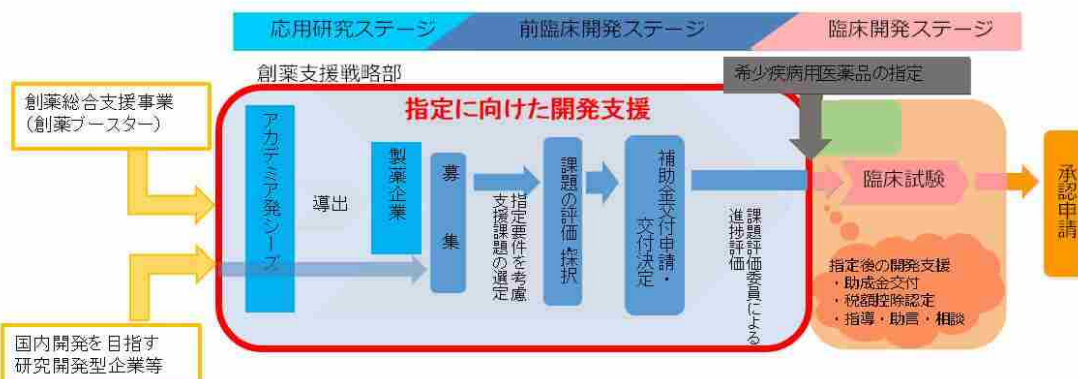
創薬支援推進事業（希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業） 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業

概要

●希少疾病用医薬品の製造販売取得を目指す研究開発型企业等による開発を進めるため、その環境を整備し、迅速かつ効果的に希少疾病用医薬品としての実用化を可能とすることを目的としている。

●平成27年度からの継続課題として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件に加えて、平成28年度は、新たにヒト初回投与試験後段階2件に対する支援を開始した。

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状況であるため、継続して希少疾患領域の開発を目指す品目に対して支援を実施した。



概要

●高い活性をもつバイオ医薬品を安定して製造するには、「糖鎖」配列を厳密に管理する必要がある、「糖鎖」の分析手法は極めて重要である。

●「糖鎖」分析の際には、タンパク質を切断し、得られる断片の中から「糖鎖」の結合した糖ペプチドだけを取り出す必要があるが、糖ペプチドだけを迅速かつ簡便に取り出す手法はこれまで存在しなかった。

●横浜市立大学のグループは、小ピペットチップの先端部分に、糖に親和性をもつ樹脂とペプチドに親和性をもつ膜を上手く組み合わせることにより、少量の試料から、糖ペプチドだけを簡単に濃縮・回収する手法を創出した。

●本技術に関する特許ライセンス契約を国内企業と締結。
(当該チップは発売済)(平成28年10月)。



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)

- ・製薬企業等で医薬品の研究開発に係る経験を積んだ専門人材を積極的に登用するとともに創薬支援コーディネーターチームを創薬支援戦略部に配置した。
- ・選定シーズ(支援課題)58件のうち24件について、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を活用して、探索研究から非臨床試験を中心とした技術的支援を行った。
- ・創薬支援ネットワークにおける「導出に関する基本的考え方」に基づき導出契約2件※締結するとともに、企業導出に向けた取組を開始するとともに、導出先となる製薬企業等のニーズとのミスマッチを避けるために、製薬企業ライセンス担当者等との意見交換を積極的に行う等により製薬企業の重点開発領域等やニーズの情報収集を行った。

※「新規がん免疫アジュバントの探索」(松本美佐子 北海道大学大学院医学研究科)

「がん間質を標的とした抗体・薬物複合体の開発」(松村保広 国立がん研究センター先端医療開発センター)

- ・創薬支援ネットワークで推進するプロジェクトの導出活動を促進するために、「『創薬総合支援事業(創薬ブースター)』における導出に関する基本的考え方』に関する質疑応答集(Q&A)」を整備した。

<モニタリング指標>

	H28年度
応募件数	242件
採択件数	100件
事業に参画している研究者延べ人数	1,546人

	H28年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	5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	65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



評価(自己評価)

A

所掌する7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、「医療機器開発支援ネットワーク」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。特にIoTを活用して各種医療機器を連携・接続させ、手術の進行や患者の状況を統合して把握することにより手術の精度と安全性を向上させる「スマート治療室」については、基本仕様モデル(※1)の完成及び運用開始、最終目標モデル(※2)の完成及び接続医療機器の拡大という顕著な成果があった。こうした取組の結果、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 基本仕様モデル(広島大学): 実際の患者への適用検証を推進(術例: 5件)。

※2 最終目標モデル(東京女子医科大学): 各種医療機器の連携・接続の実証を推進(接続医療機器: 29機種)。

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(11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: 2016年度末時点で、医療機器として12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29年3月末時点の累計売上額は、33. 2億円(目標: 2020年頃までに1500億円)

②医療現場のニーズに基づき医療機器開発を推進・強化する体制の構築

臨床ニーズ収集において、収集対象を拡充するとともに、具体的な医療機器開発につなげていくためのそれらニーズ情報の整理・評価体制や方法論について、外部の有識者を踏まえた検討を進めた。また、それらの情報の利活用について、当事者間(医療現場と企業)での交流を円滑化するとともに、国として研究開発を推進するべき課題を精査し、プロジェクトの公募につなげた。

○より客観性の高い臨床ニーズに基づく医療機器の開発を強化するため、4学会を対象として臨床ニーズ収集体制を構築した。これらも含め、291件の臨床ニーズを収集した。

○より多くの臨床ニーズを収集するため、各地で開催された医工連携に係るセミナー(9箇所)、地方経済産業局での地域連携会議(10箇所)において、医療従事者、コーディネーター、開発企業を対象に、「アイデアボックス」について講演したほか、チラシを配布し、アイデアボックスの活用を促した。また、医工連携への関心が高い職能団体、大学、病院(8箇所)との意見交換を行い、医療従事者らへのアイデアボックスの周知について協力を要請した。

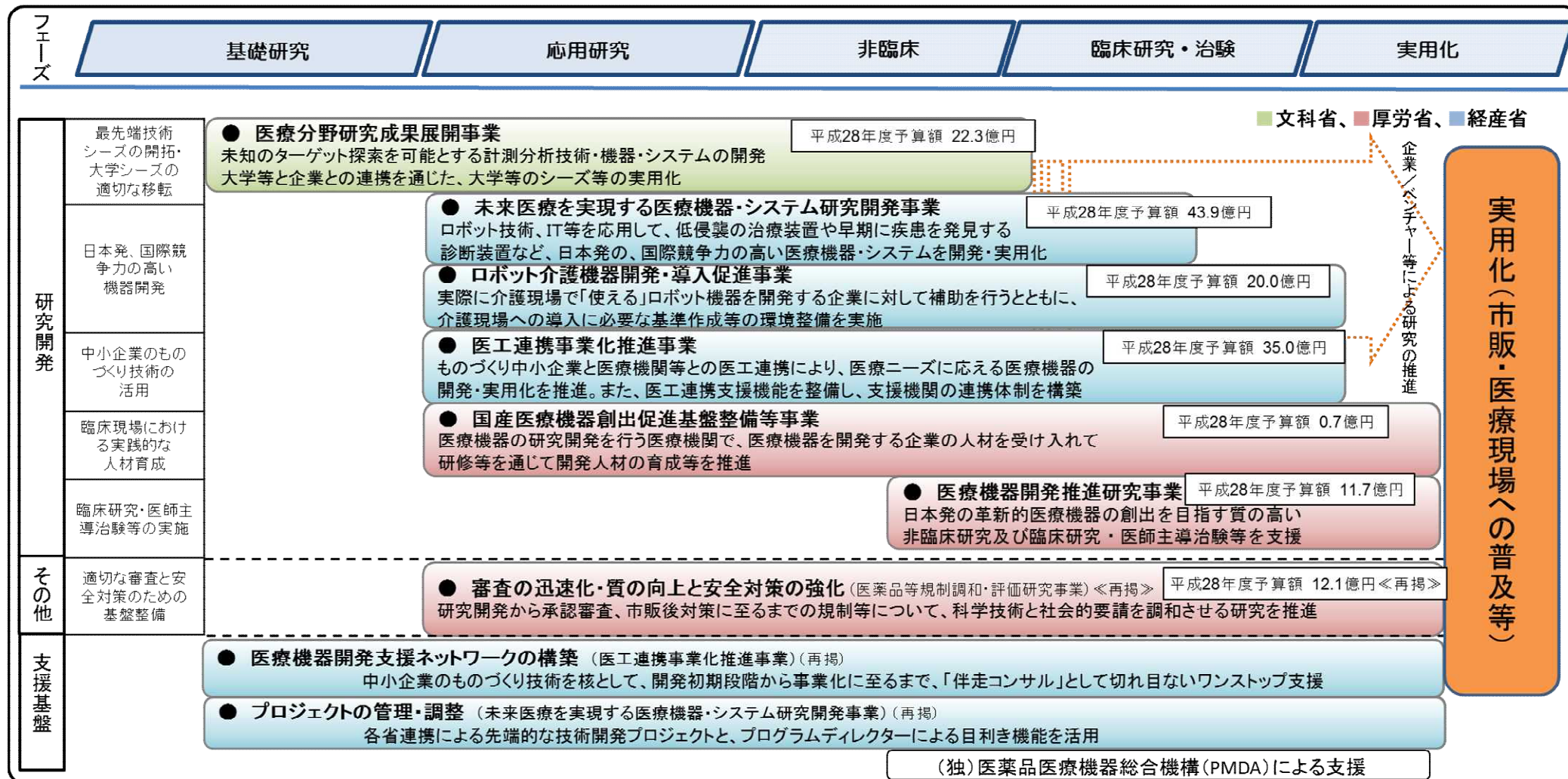
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

②医療機器開発



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。



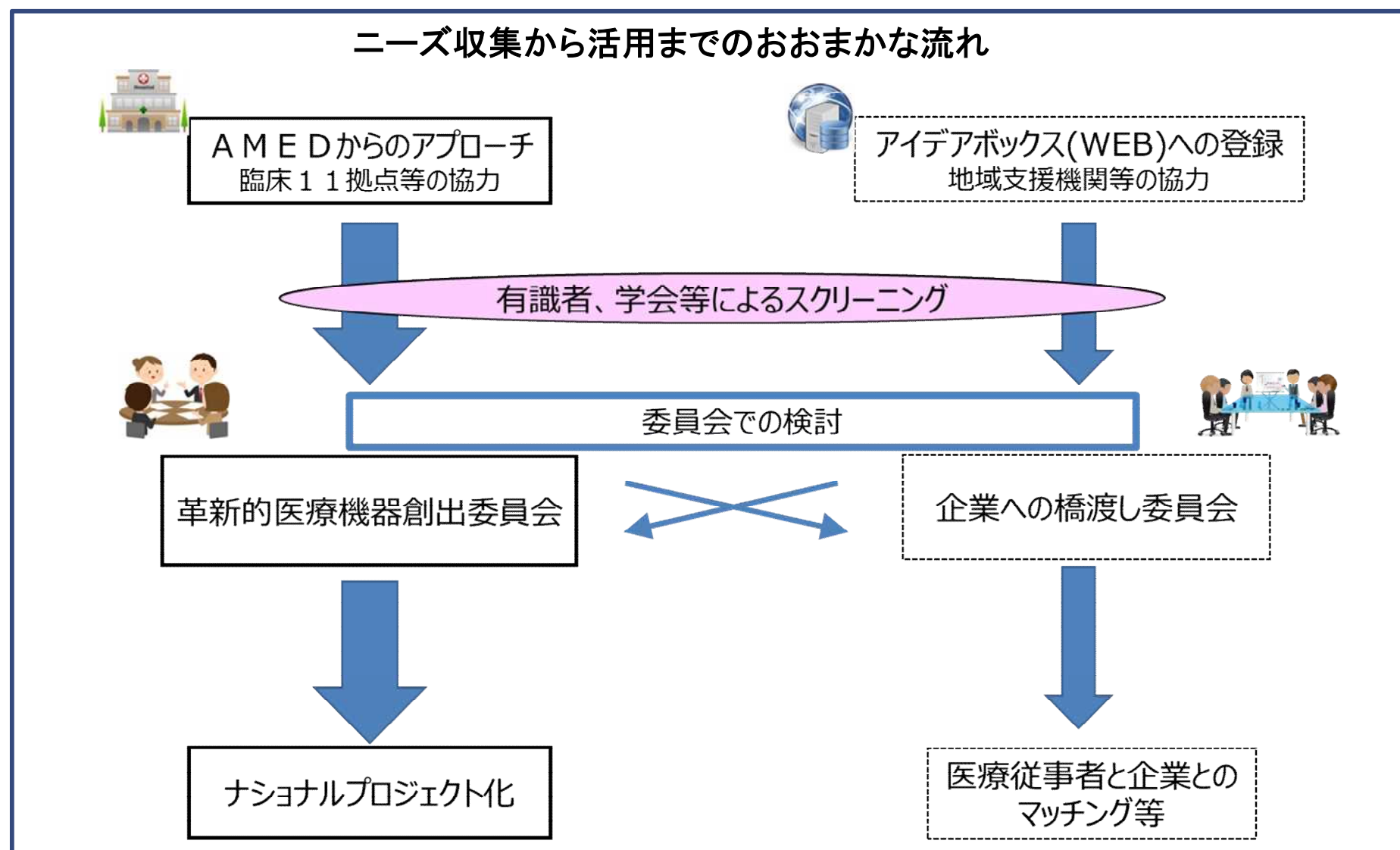
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

②医療機器開発

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。



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

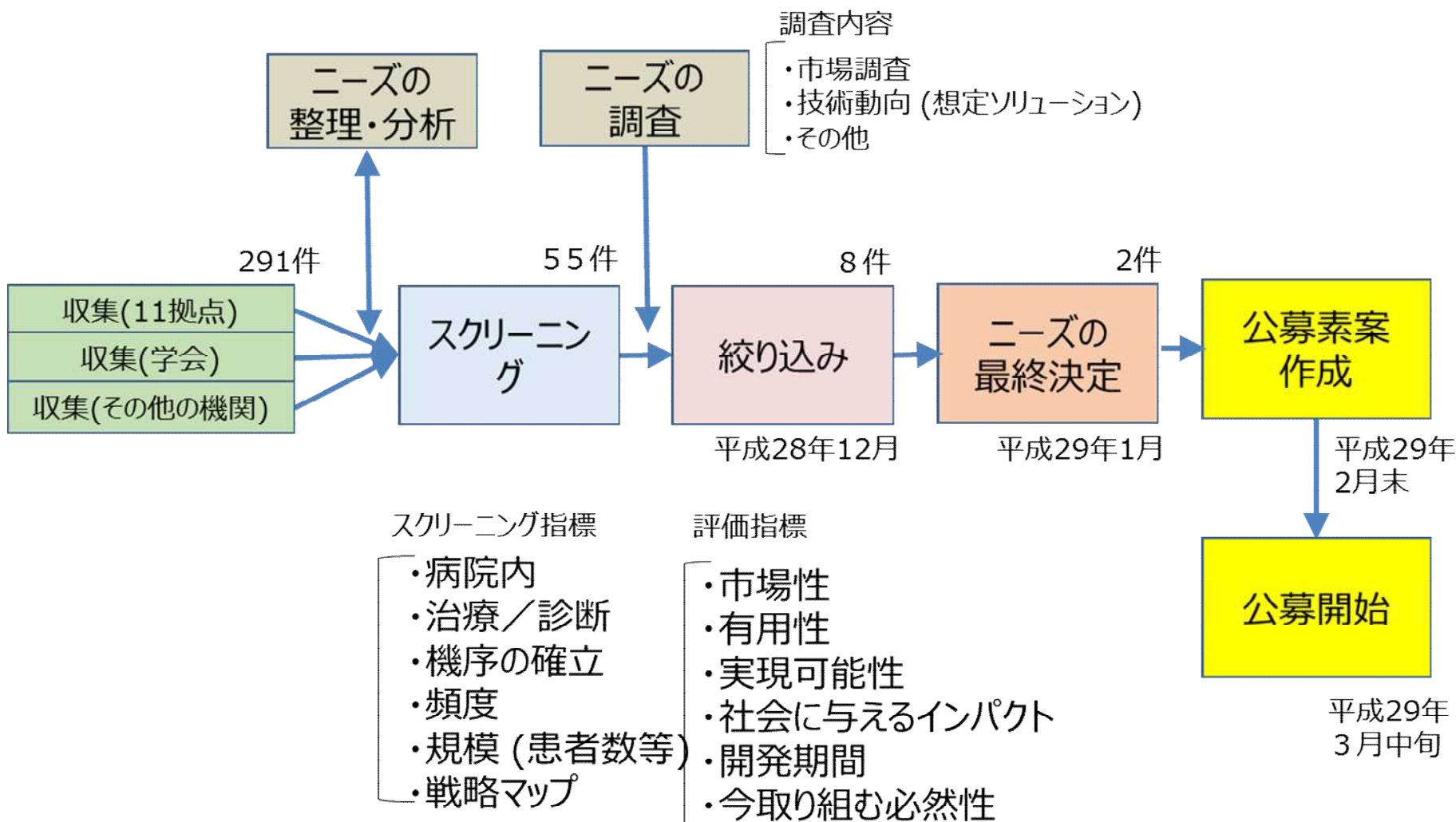


評価軸

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。

革新的医療機器創出に関する臨床ニーズ収集のプロセス



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

②医療機器開発

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）

○28年度は、スマート治療室の最終目標モデル（プロトタイプ）を東京女子医科大学に構築した。また、スマート治療室に接続する医療機器を29機種に拡充した。



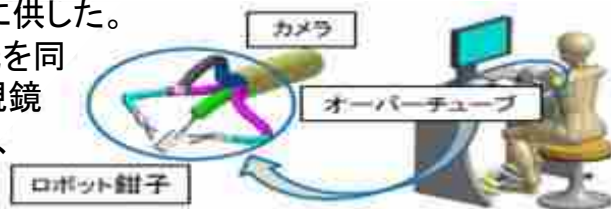
＜軟性内視鏡手術システムの開発＞

○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）

○28年度は、ロボット鉗子システムの操作性向上に注力し、臨床医による客観的な評価に供した。

また、可視光と近赤外光を同時撮像・表示可能な内視鏡カメラの試作品を完成し、その機能を実証した。



＜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。

【28年度の成果】

○28年度に、6本のガイドライン（手引き）を策定

①細胞加工に特化した工程資材の要求事項に関するガイドライン

②再生医療等製品の製造所における顕微鏡の設置と維持管理に関するガイドライン

③三次元積層造形技術を用いた歯科補綴装置の開発ガイドライン

④下肢活動機能回復装置性能項目開発ガイドライン

⑤インシリコ評価開発ガイドライン

⑥外科手術用、及び内視鏡下手術用低侵襲プラズマ止血装置開発ガイドライン

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

評価軸

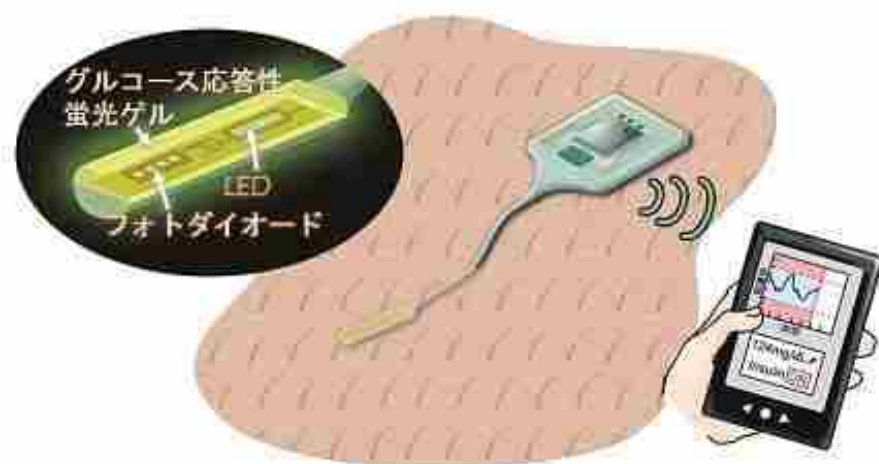
我が国の高い技術力を生かし、技術シーズの創出と医療機器・システムの実用化へとつなげる研究開発を行ったか。

1. 先端計測分析技術・機器開発プログラム

JST-ERATO等の研究開発成果を基にし、糖尿病治療に有効な血糖値連続計測を可能とする『インスリン投与量を決定可能な連続グルコース計測システムの開発』を採択した。

2. 医工連携事業化推進事業

「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」で開発中の『安全性と医療効率の向上を両立するスマート治療室の開発』の成果を基にした『医師の負担を減らす双腕型手術支援システムの開発・海外展開』を採択した。



システムイメージ

①インスリン投与量を決定可能な連続グルコース計測システムの開発



双腕型イメージ

②双腕型手術支援システムの開発

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

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の一環として、医療機器開発を担う企業の研究者を対象に、11の臨床拠点におけるニーズ発見および研修プログラムを実施した。

【28年度の実績】

- ・講習数(延べ): 約810講義
- ・参加人数(延べ): 約2,500人
- ・臨床現場等見学者数(延べ): 約2,400人
- ・医療機関及び企業との連携数(延べ): 約810件



<モニタリング指標>

	H28年度
応募件数	365件
採択件数	102件
事業に参画している研究者延べ人数	887人

	H28年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	38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	40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を促進するなどの取組を着実に実施した。こうした取組に加え、生物統計家も含めた専門人材の育成・確保、サイトビジット・シンポジウム・会議、中央治験・倫理審査委員会の体制や国際共同臨床研究の基盤整備等を通じ、**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、人工手関節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、VCP ATPase阻害剤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24件、FIH試験は24件と、医師主導治験届出数は前年度を下回ったものの、FIH試験数では前年比1.5倍となり、さらに、AMED全体としては、**医師主導治験届出数(66件)は2020年達成目標の約1.5倍、FIH試験(40件)も2020年達成目標に到達した。**加えて拠点外シーズ数も206件(平成27年度146件)と増加するなど、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、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)

医師主導治験届出数は前年度を下回ったものの、FIH試験数では前年比1.5倍となった。AMED全体としては、医師主導治験届出数もFIH試験数も概ね2020年度達成目標に到達するなど、2020年の目標達成に向けて順調に推移している。

- ・医師主導治験届出数(目標 2020年:40件)
平成27年度31件 → **24件(AMED全体では66件)**
- ・First in Human試験(企業治験含む)(目標 2020年: 40件)
平成27年度16件 → **24件(AMED全体では40件)**

【参考】(実用化関連指標)

製造販売承認件数 2件、企業導出件数 10件

②橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院の一体的な運営の促進

- ・ 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実施し、ARO機能の体制整備状況や開発マネジメント等について指導助言を行ったことで、基盤整備度評価点の得点率が9割を超えるなど、体制整備の進捗が認められた。
- ・ 平成29年度公募においては、文部科学省所管事業と厚生労働省所管事業の合同公募を実施するなど、一体的な運営が行われた。

③人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化

- ・ 拠点機能の強化・特色化のための専門人材の育成(研修)や確保を行った。特に、これまで不足が指摘されていた生物統計家については、生物統計家育成支援拠点を選定し、AMED初の、企業からの寄附金を活用した産官学連携によるプロジェクトとして、生物統計講座を設置した。
- ・ 国際共同臨床研究実施推進拠点を選定し、国際共同試験の推進を図った。
- ・ H28年度の調整費による中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業等において、5機関でのモデル事業等を通じ、中央治験・倫理審査委員会(CIRB)を進めるガイドライン素案作り及び電子申請等の環境整備等の取組を行った。これと連携して、IRUD事業においては、モデル事業実施機関において先駆的にCIRBを活用した審査を行っている。

④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と拠点保有情報等の確認

- ・ 革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携、専門領域の研究者間での連携の推進、更には特定テーマにおけるネットワーク構築を目指し、特定テーマ毎のプロジェクト連携シンポジウムを開催し、拠点を含むネットワークを強化した。

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

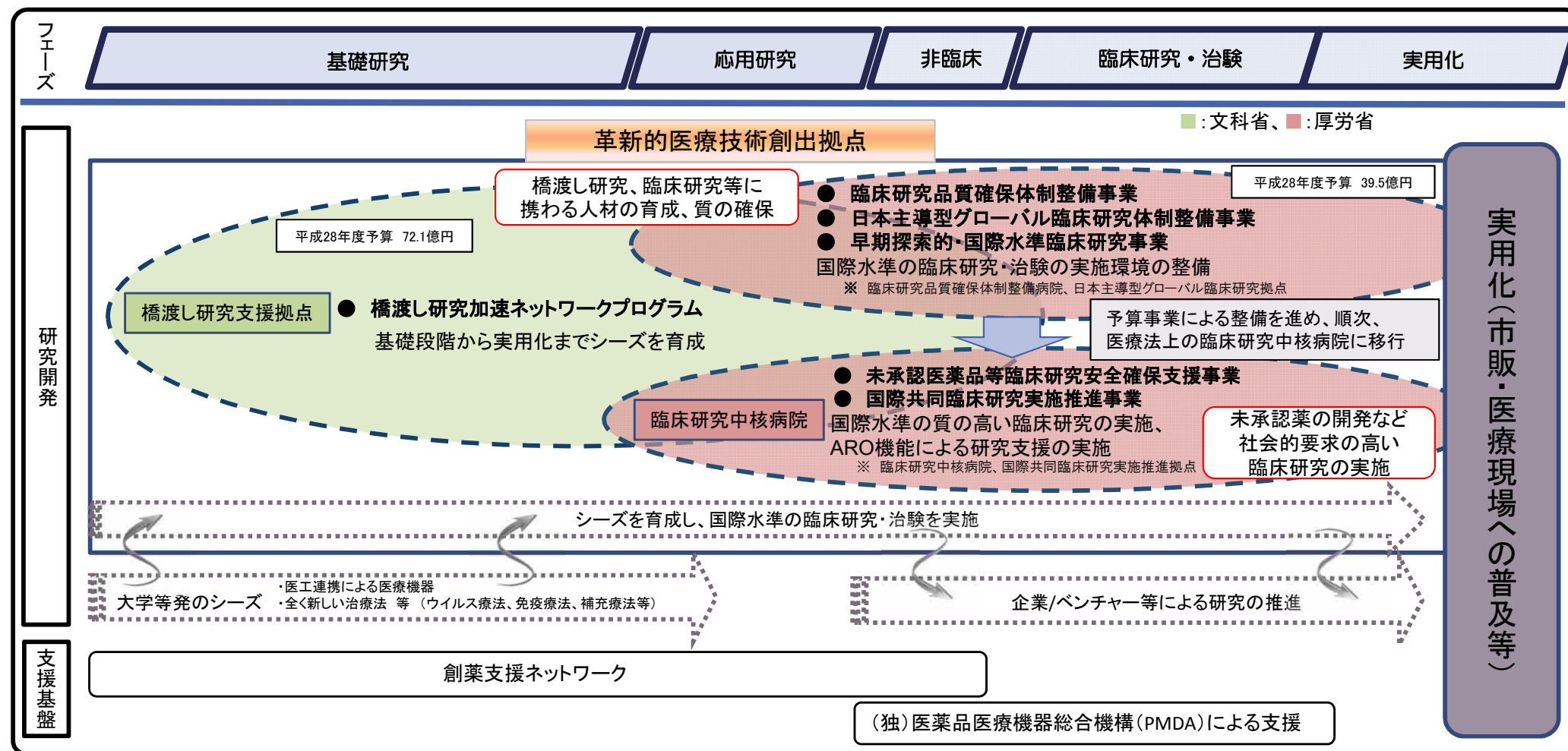
③革新的医療技術創出拠点



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、臨床研究品質確保体制整備病院、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. 橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院の一体的な運営の促進

【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(※)】

- 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、適宜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・議論した。6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全体会議を実施し、平成28年度のサイトビジットの重点方針等について拠点間で共有した。
- 平成28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、平成27年度サイトビジットでの指摘事項に対する対応や、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、文部科学省、厚生労働省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。今年度のサイトビジットでは、支援中止となったシーズについても説明してもらうこととしたため、拠点における支援継続又は支援中止の判断についての議論を深めることができた。
- 平成29年度革新的医療技術創出拠点プロジェクト関連シーズについては、文部科学省が所管する橋渡し研究戦略的推進プログラムと厚生労働省が所管する革新的医療シーズ実用化研究事業を、同一の課題評価委員会で一体的に評価出来るよう、PD(PS)、PO、文部科学省及び厚生労働省と調整を行い、平成29年3月に合同公募を開始した。

※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、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、国際共同臨床研究実施推進事業、日本主導型グローバル臨床研究体制整備事業 59

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. 拠点機能の強化・特色化

【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(※)、臨床研究・治験従事者研修及び啓発事業、生物統計家育成支援事業】

- 拠点へのサイトビジット等において、臨床研究コーディネーター(CRC)、データマネージャー(DM)、生物統計家、CPC技術員等の人員確保状況を把握するとともに、拠点機能の強化・特色化に向けた指導助言を実施した。
- H28年度の調整費による中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業等において、5機関でのモデル事業等を通じ、中央治験・倫理審査委員会(CIRB)を進めるガイドライン素案作り及び電子申請等の環境整備等の取組を行った。これと連携して、IRUD事業においては、モデル事業実施機関において先駆的にCIRBを活用した審査を行っている。
- 国際共同研究実施推進事業において、国際共同臨床研究実施推進拠点を2拠点(大阪大学、国立がん研究センター)選定し、国際競争力の強化を図った。
- 拠点機能は概ね整備されてきたため、平成29年度から開始する橋渡し研究戦略的推進プログラム及び医療技術実用化総合促進事業において、拠点機能の特色化を進めていく方針とした。
- 平成29年度より開始する橋渡し研究戦略的推進プログラムの公募において、新たな「橋渡し研究支援拠点」として、既存の9拠点に加えて、筑波大学を選定した。

※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、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、国際共同臨床研究実施推進事業、日本主導型グローバル臨床研究体制整備事業 60

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。

2. 人材確保・育成

【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、臨床研究・治験従事者研修及び啓発事業】

- 生物統計家育成支援事業において、平成28年度に生物統計家育成支援プロジェクト会議を計4回開催し、生物統計家育成支援拠点の公募を実施した。AMED初の、企業からの寄附金を活用した産官学連携により、平成28年9月に東京大学大学院及び京都大学大学院を生物統計家育成支援拠点として選定し、生物統計講座を設置した。
- 質の高い臨床研究を実施できるようにするため、従来からの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)及び治験・倫理審査委員を養成するための研修に加え、臨床研究実施者である医師向けの研修を実施した。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継続して行った。

3. 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と拠点保有情報等の確認

【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(※)】

- 革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携、専門領域の研究者間での連携の推進、さらには特定テーマにおけるネットワーク構築を目指し、平成28年9月～平成29年1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、各PD, PS, POの意見も踏まえつつ、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、合計4回のシンポジウムを開催した。これにより、特定テーマに対し拠点も含めたネットワーク作り・縦横連携をより深化させた。シンポジウムは好評を博し、PD, PS, POの参加人数や1回あたりの参加人数等において平成27年度を上回った。
- 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行った。

※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、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、国際共同臨床研究実施推進事業、日本主導型グローバル臨床研究体制整備事業

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. 臨床研究中核病院等の整備と研究開発の推進

【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(※)】

- 橋渡し研究支援拠点、臨床研究品質確保体制整備病院、臨床研究中核病院、日本主導型グローバル臨床研究拠点及び国際共同臨床研究実施推進拠点に対し、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。

2. 拠点のネットワーク強化及び切れ目ない実用化につなげる体制の構築

- 革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携、専門領域の研究者間での連携の推進、さらには特定テーマにおけるネットワーク構築を目指し、平成28年9月～平成29年1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を企画・開催し、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。

<モニタリング指標>

	H27年度	H28年度
応募件数	187件	135件
採択件数	57件	31件
事業に参画している研究者延べ人数	927人	2057人

	H27年度	H28年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	204件	132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	53件

※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、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、国際共同臨床研究実施推進事業、日本主導型グローバル臨床研究体制整備事業

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

基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援の実現に向けて、再生医療実現拠点ネットワークプログラム、再生医療実用化研究事業、再生医療臨床研究促進基盤整備事業及び再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業において、新規事業の創設等事業設計の見直しを行った。また、研究課題間の連携や研究成果の導出を促進するため、全事業の採択課題を対象とした情報交換会を開催した。さらに、若手研究者の育成を目的に、一部の新規事業に若手枠を設けたとともに、採択された若手研究者等のネットワーク形成を促進するため、研究者交流を重視した成果報告会を開催した。こうした取組の結果、平成28年度は7件の対象疾患が臨床研究又は治験に移行し(累計28件)、2020年度までの目標(35件)に向けて、着実に成果を挙げた。また、創薬応用については、6件の開発候補品を同定し、事業目標を大きく上回る成果を挙げた。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 2016年度成果目標達成状況(評価指標)

- ・ iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用(臨床研究又は治験の開始)
「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」共同研究拠点において、26件について創薬スクリーニングを実施し、その内6件で開発候補品を同定した。また、疾患研究論文として77報を発表した。(H28年12月31日現在)
- ・ 再生医療等製品の薬事承認数の増加
既承認品目である自己表皮由来細胞シート「ジェイス」において、「先天性巨大色素性母斑」の効能追加が承認された。
- ・ 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大
(2020年度までの目標:35件) H27年度実績:4件(累計21件)
→ H28年度実績:7件(累計28件)

② 安全なiPS細胞の提供及び臨床応用に向けた取り組み

- ・ より高い分化能をもつiPS細胞を高効率に作成する手法や、エピゲノム状態による分化能を予測するためのメカニズム解明等、高品質なiPS細胞の提供に資する成果を上げた。
- ・ 加齢黄斑変性を対象に、平成29年2月より、同種iPS細胞から作製した網膜色素上皮細胞を移植する臨床研究を開始し、平成29年3月28日に1例目となるヒトへの移植手術を実施した。

③ 再生医療の実用化を支える産業基盤の構築

- ・ 遺伝子や糖鎖の測定技術を応用し、間葉系幹細胞が軟骨・骨に分化する性質を測定するキットの開発に成功した。それにより、細胞が目的の組織に分化する能力を分化前に簡便に測定することが可能となった。
- ・ 細胞画像解析技術や無菌化技術を応用した再生医療製品製造用自動観察機能付インキュベータの開発に成功した。それにより、的に培養中の細胞の状態を評価することが可能となった。

④ 再生医療等製品の安全性評価手法の開発

- ・ 再生医療における品質・安全性評価手法の開発に向けた取り組みとして、規制科学・臨床研究支援室の医薬品等規制調和・評価研究事業と連携しながら、「再生医療研究における品質及び安全性の評価に係る調査研究」について平成28年6月より支援を開始した。また、平成27年度厚生労働科学特別研究事業「iPS細胞等を用いた臨床研究を実施する際の移植細胞の安全性評価の在り方に係る研究」の取りまとめ等を踏まえ、多能性幹細胞由来の移植細胞における遺伝子情報と造腫瘍性の関連性に係る科学的知見を蓄積するための研究課題について、平成28年10月より支援を開始した。

⑤ 再生医療研究推進のための基盤整備

- ・ 調整費を活用して、平成28年度から「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」を創設し、目標達成型の基礎研究の支援を新たに開始した。この中で若手枠を設け、39才以下の8件を採択すると共に一般枠として5件採択。若手研究者登用制度も取り入れ、若手支援を充実させた。更に、成果報告会を開催し、各課題の発表・ディスカッション等を通じて、若手研究者の交流・ネットワーク形成を促した。
- ・ 平成28年度に創設した「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」において、再生医療の知識・経験を有する大学・医療機関等からなる「ナショナルコンソーシアム」を構築し、再生医療臨床研究の推進に向けた基盤整備を開始した。
- ・ 「再生医療プログラム間連携のための情報交換会」を実施し、採択課題研究者間の意見交換・情報交換を促進し、研究者間の連携促進・研究推進を図る場作りを行った。
- ・ AMEDと英国Medical Research Councilが協力に関する覚書締結を受け、国際部と連携してロンドンにてMRCと再生医療分野に関するワークショップを開催した。
- ・ 「AMED再生医療公開シンポジウム」を開催し、一般のみならず、学生・指定難病患者及びその家族等に対して幅広く、再生医療への取り組みについて情報発信を行った。

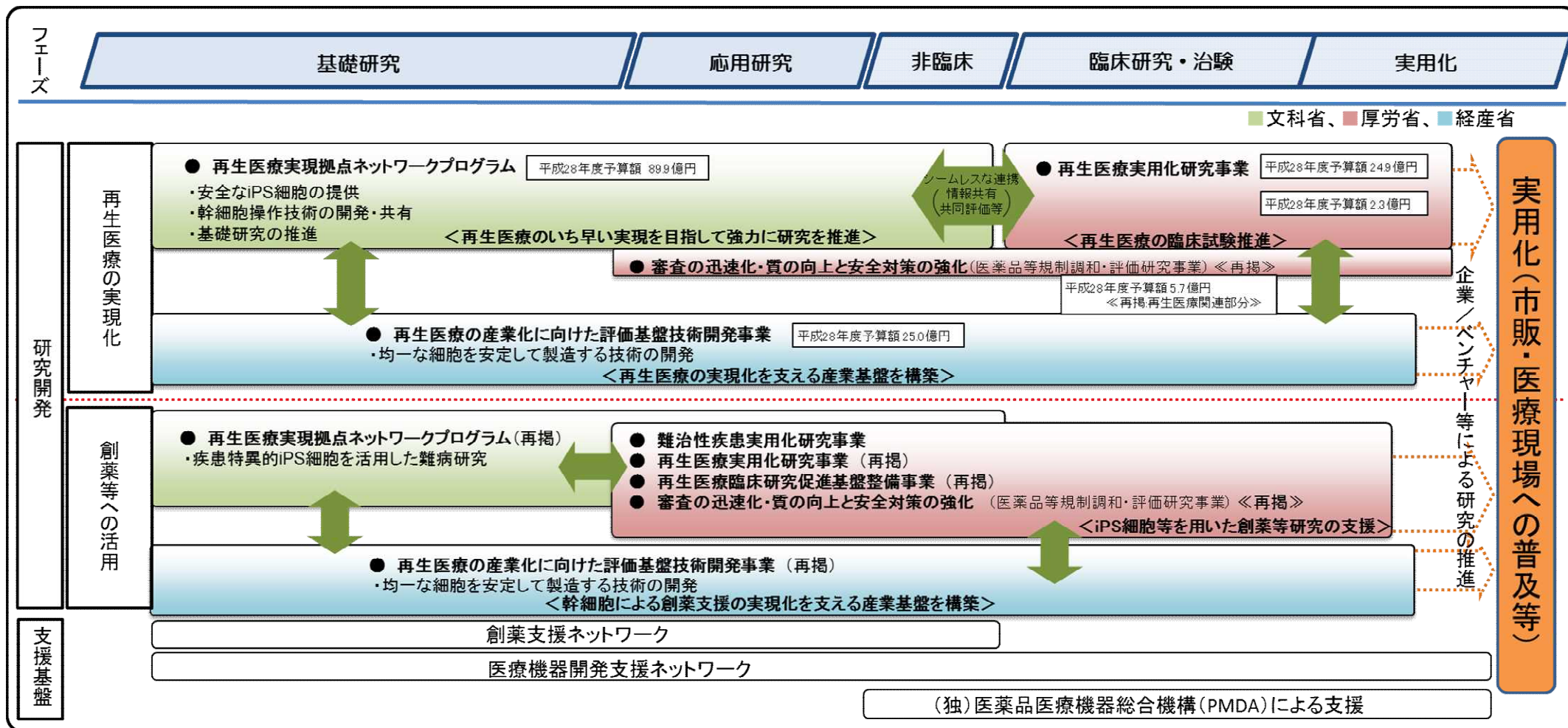
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施



④再生医療

概要

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ならびに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る



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. iPS細胞の樹立方法の開発

- ・遺伝子の初期化は受精直後の段階で達成されることに着目し、卵細胞に含まれる成分が遺伝子の初期化に関わっていると仮定し研究を進め、その結果、H1fooという卵細胞特異的なリンカーヒストンと、京都大学の山中教授が発見した4つの転写因子のうち3つを一緒に体細胞に発現させると、より高い多分化能を持つiPS細胞が高効率で作製できることを発見した。
- ・iPS細胞やES細胞のような多能性幹細胞から造血前駆細胞への初期分化には、IGF2遺伝子の発現量が影響することを明らかにした。一方、造血前駆細胞から血液細胞への成熟能に関しては、体細胞のiPS細胞への初期化の際に起こるDNAメチル化量が影響することが明らかになった。

2. 幹細胞操作技術等の実用化に資する技術の開発・共有

- ・微細加工細胞培養容器EZSPHERE®を用いた3次元培養方法を用いて、iPS細胞など幹細胞の細胞塊形成から、細胞増殖、分化誘導、細胞純化・成熟化までを一貫して効率よく行うことを示すと共に、細胞塊の大きさに依存して分化の効率が向上することを明らかにした。

3. 再生医療研究基盤整備のための取り組み

- ・平成28年度から「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」を創設し、目標達成型の基礎研究の支援を新たに開始した。本プログラムでは若手枠を設け、39才以下の8件を採択すると共に一般枠として5件採択。若手研究者登用制度も取り入れ、若手支援を充実させた。
- ・再生医療における品質・安全性評価手法の開発に向けた取り組みとして、規制科学・臨床研究支援室の医薬品等規制調和・評価研究事業と連携しながら、「再生医療研究における品質及び安全性の評価に係る調査研究」の課題を採択し、平成28年6月より支援を開始した。
- ・「再生医療プログラム間連携のための情報交換会」を実施し、採択課題研究者間の意見交換・情報交換を促進し、研究者間の連携促進・研究推進をはかる場作りを行った。
- ・AMEDと英国Medical Research Councilが協力に関する覚書締結を受け、国際部と連携してロンドンにてMRCと再生医療分野に関するワークショップを開催した。
- ・「AMED再生医療公開シンポジウム」を開催し、一般のみならず、学生・指定難病患者及びその家族等に対して幅広く、再生医療への取り組みについての情報発信を行った。

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



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。

1. 再生医療の臨床研究及び治験の推進

- ・理化学研究所の高橋政代プロジェクトリーダーらは、神戸中央市民病院、大阪大学、京都大学iPS細胞研究所と連携し、平成29年2月より、目の難病である加齢黄斑変性を対象に、同種iPS細胞から作製した網膜色素上皮細胞を移植する臨床研究を開始し、平成29年3月28日に1例目となるヒトへの移植手術を実施した。本研究は平成29年度も引き続き継続し、合計5例に投与し、各症例1年間の経過観察を行う計画となっている。
- ・平成28年度に新規事業「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」を創設し、臨床研究の推進に必要な技術的支援、人材育成、データベースの整備等の活動を行うための体制作りを行った。

2. 再生医療等製品の安全性評価手法の開発

- ・規制科学・臨床研究支援室の医薬品等規制調和・評価研究事業と連携しながら、「再生医療研究における品質及び安全性の評価に係る調査研究」の課題を採択し、平成28年6月より支援を開始した。
- ・更に同様の連携にて、平成27年度厚生労働科学特別研究事業「iPS細胞等を用いた臨床研究を実施する際の移植細胞の安全性評価の在り方に係る研究」の取り纏め等を踏まえ、多能性幹細胞由来の移植細胞における遺伝子情報と造腫瘍性の関連性に係る科学的知見を蓄積する目的で課題公募を行い、平成28年10月より支援を開始した。

3. 再生医療の実現化を支える産業基盤の構築

- ・遺伝子や糖鎖の測定技術を応用し、間葉系幹細胞が軟骨・骨に分化する性質を測定するキットの開発に成功し、細胞が目的の組織に分化する能力を分化前に簡便に測定することが可能となった。
- ・細胞画像解析技術や無菌化技術を応用した再生医療製品製造用自動観察機能付インキュベータの開発に成功し、非侵襲的に培養中の細胞の状態を評価することが可能となった。
- ・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)への参画を継続し、日本提案のステージを進めるとともに、本事業での研究開発成果の標準化作業を開始した。

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

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。

疾患特異的iPS細胞の樹立/利用基盤構築とそれらを用いた研究の推進

- ・「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」共同研究拠点において、26件創薬スクリーニングを実施しており、その内、6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77報の発表があった。(H28年12月31日現在)
- ・「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」の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。
- ・来年度から開始する「疾患iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」事業の事業設計において、難病克服プロジェクトのみならず、再生医療実用化研究事業との連携を新たに加えることにより、より効果的な事業スキームを構築した。

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細胞技術を応用した心毒性評価手法の開発と国際標準化

- ・医薬品等規制評価・調査研究事業(所管:規制科学・臨床研究支援室)において、新たな心毒性評価法の研究に対する支援を行った。
- ・平成28年12月6日に米国ワシントンDCで開催されたCritical Discussion - Future of the Assessment of Drug-Induced Arrhythmias and the Comprehensive in Vitro Proarrhythmia Assay (CiPA)において、関野裕子研究代表者(JiCSA)が参加・講演し国際標準化に向けた議論を行った。"

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



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。

1. 創薬スクリーニングの実施

・「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」の共同研究拠点において、26件の創薬スクリーニングを実施した。

2. 産業基盤の構築を推進

・「疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究」において、疾患特異的iPS細胞のバンクを構築している。

<モニタリング指標>

	H28年度
応募件数	231件
採択件数	42件
事業に参画している研究者延べ人数	854人

	H28年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	50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	94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)

A

バイオバンクの構築、日本人の標準ゲノム配列の特定等に向けた取組の結果、東北メディカル・メガバンク計画において計画通り15万人規模の健常者バイオバンクの構築、日本人の全ゲノムリファレンスパネルの拡充(2KJPN)がなされ、またオーダーメイド医療の実現プログラムにおいて患者のDNA・臨床情報が着実に収集される等の成果が創出されたことに加え、ゲノム医療実現推進協議会の「中間とりまとめ」を受けて、AMEDが既存のバイオバンク・地域コホート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し、様々な研究の支援を行うため、「AMEDゲノム医療研究支援機能」を構築して活動を開始したこと、その一環としてデータシェアリングの推進に向けてJST-NBDC及びDDBJ等の関係機関と協働して、ゲノムデータ等を制限共有データとして扱うAGD (AMED Genome group sharing Database)を構築し、運用を開始したこと、さらにゲノム医療研究において生じる倫理的・法的・社会的諸課題(ELSI)の問題解決の推進や、次世代のELSI研究者の育成等を目指して新規事業を開始したこと等の画期的な取組を実施し、所期の目標を上回った。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、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。

①15万人規模の健常者バイオバンクの構築を計画通り達成

- 東北メディカル・メガバンク計画の三世代コホート調査において、平成25年度からの累計数が7.1万人に到達。これより、成人男女をリクルートする平成27年度までの地域住民コホート調査累計8万人を合わせ、当初からの目標であった15万人規模の研究参加者のリクルートを計画通り完了。

②日本人の全ゲノムリファレンスパネルの拡充(2KJPN)

- 東北メディカル・メガバンク計画において、平成27年度に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1,070人分の1塩基バリエーション(SNV)の全頻度情報について、平成28年度は2,049人分に拡大して公開(2KJPN)。
- 未診断疾患イニシアチブ(IRUD)に参画し、健常人全ゲノムシーケンスデータ(2KJPN)と電算資源を提供することで、IRUD全体で500例近い患者について半年以内に解析結果が返却可能となったことに貢献。

③データシェアリングポリシーの適用開始

- ゲノム情報を用いた医療の実現に向け、平成27年度より準備を行ったデータシェアリングポリシーを策定し、平成28年4月に公開。AMED「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト」における、平成28年度新規研究課題の公募の際に、研究の計画等に加えデータマネジメントプランを提出することを義務づけるなど、公募課題への適用を開始。

④AGD (AMED Genome group sharing Database) の運用を開始

- AMED「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト」におけるデータシェアリングの推進に向けてJST-NBDC及びDDBJ等の関係機関と協働して、ゲノムデータ等を制限共有データとして扱うAGDを構築し、運用を開始。

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

⑤オーダーメイド・ゲノム医療



⑤ゲノム医療研究における倫理的・法的・社会的諸課題(ELSI)への対応

- ゲノム医療研究において生じるELSIの問題解決を推進するため「先導的ELSI研究プログラム」を新規に設定し、研究開発を開始。
- ELSIに関する国民理解の促進を図るとともに次世代のELSI研究者の育成を目指して「研究倫理に関する情報共有と国民理解の推進事業(ゲノム医療実用化に係るELSI分野)」を新規に立ち上げ、若手研究者等を中心とした研究開発を開始。

⑥バイオバンク品質確保・利活用促進の取組

- 3大バイオバンクである東北メディカル・メガバンク機構(ToMMo)、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(NCBN)の連携・協働によるバイオバンク品質確保の取組を支援し、共同の成果としてガイドライン発行に向けた準備を実施。
- バイオバンクが保有する試料・情報を横断的に検索できるシステムのプロトタイプ開発を、上記3大バイオバンクに加えクリニカルバイオバンクの協力のもと開始。

⑦ 2020～2030年度頃までの主な成果目標達成状況

- 生活習慣病(糖尿病や脳卒中、心筋梗塞など)の劇的な改善の状況:
 - ✓ ゲノム情報に基づく脳梗塞の発症リスク予測法を確立し、この予測法が脳梗塞の3つの病型全てでリスクを予測できること、脳梗塞の発症リスクを高めるとされている生活習慣病(高血圧、糖尿病、脂質異常症、心房細動)の罹患と独立していることを解明した【東北メディカル・メガバンク計画】
- 発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断の確立の状況:
 - ✓ がん患者における臨床情報とゲノム情報の紐づいたデータベース整備を開始した【臨床ゲノム情報統合データベース整備事業】
- うつ、認知症のゲノム医療に係る臨床研究の開始の状況:
 - ✓ 認知症、及び感覚器領域において、疾患関連遺伝子の同定に向け臨床情報とゲノム情報の紐づいたデータベース整備を開始した【臨床ゲノム情報統合データベース整備事業】
- 神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発の状況:
 - ✓ 神経・筋難病等について疾患関連遺伝子の同定に向けたゲノム解析を開始した【臨床ゲノム情報統合データベース整備事業】

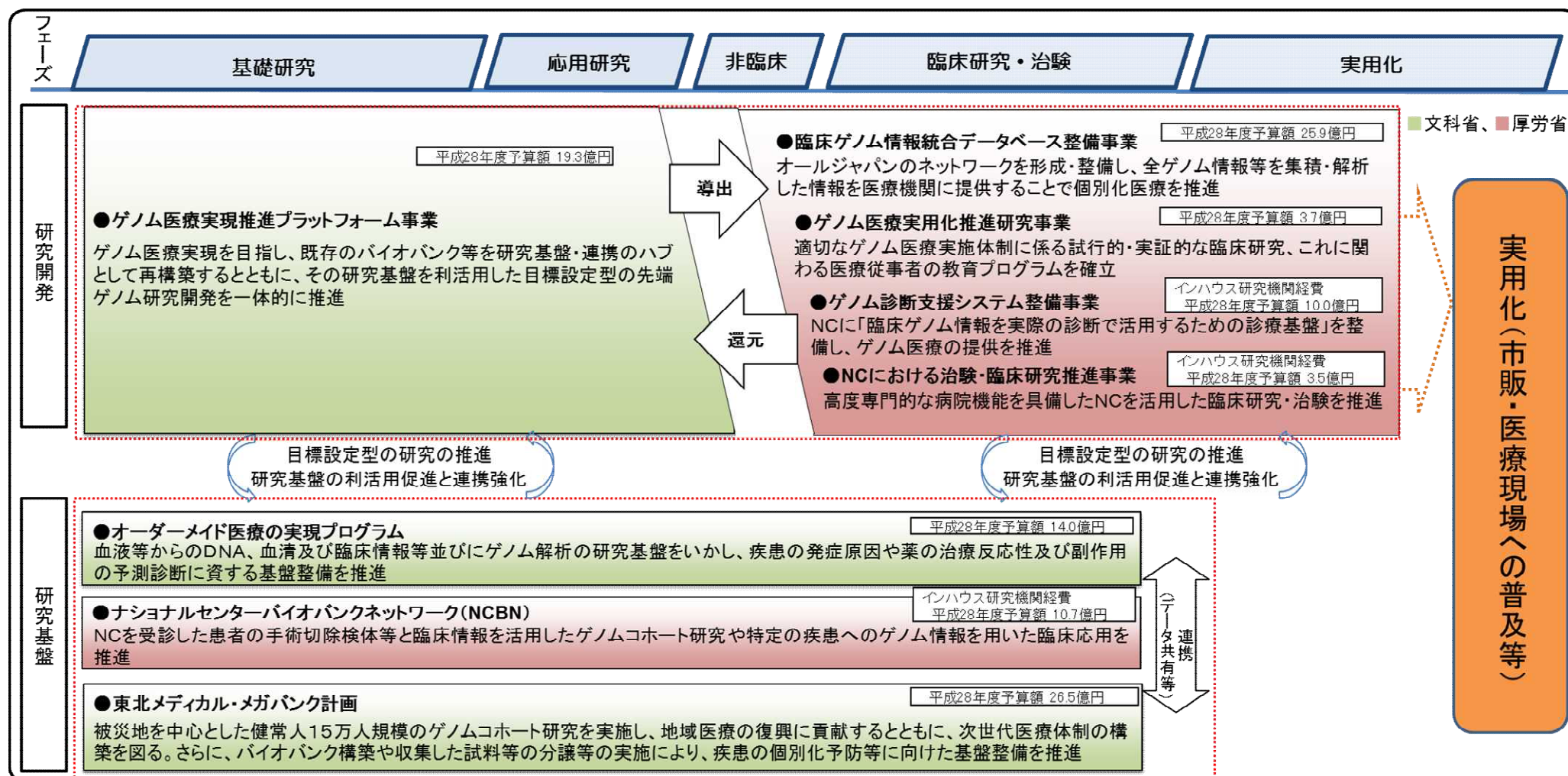
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

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。



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

- 成人男女をリクルートする地域住民コホート調査では、平成27年度までに累計8万人の目標を達成しており、妊婦とその子供・家族をリクルートする三世代コホート調査では、平成28年度に2.1万人をリクルートし、平成25年度からの累計数が7.1万人に達した（平成28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）。これより、当初からの目標であった15万人規模の研究参加者のリクルートを計画通りに平成28年度末までに完了した。



・ゲノム医療研究のための基盤構築と提供

- 日本人標準ゲノム配列を特定することは、日本人特有のゲノム配列も考慮したゲノム解析ができる基盤として極めて重要であり、これまで、コホート調査参加者計3,000人の全ゲノム解析を進め、平成27年度には東北地方1,070人分の1塩基バリエーション（SNV）の全頻度情報を日本人の全ゲノムリファレンスパネル（1KJPN）として公開し、平成28年度にはこれを2,049人分に拡大して公開した（2KJPN）。東北メディカル・メガバンク機構を含む東北大学は、未診断疾患イニシアチブ（IRUD）の解析センターの一つとして、健常人全ゲノムシーケンスデータ（2KJPN）と電算資源を提供することで、IRUD全体で500例近い患者について半年以内に解析結果が返却可能となったことに貢献した。

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

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。

■「AMEDゲノム医療研究支援機能」の活動開始

ゲノム医療実現推進協議会「中間とりまとめ」の提言を踏まえ、AMEDが既存のバイオバンク・地域コホート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し、様々な研究の支援を行うため、「AMEDゲノム医療研究支援機能」を構築し活動を開始した。

・AGD (AMED Genome group sharing Database)を構築・運用を開始

- データシェアリングの推進にあたって、科学技術振興機構(JST)の情報資産・知見を活用するため、JSTと基本連携協定を締結。さらに研究成果に紐付くゲノムデータ等の迅速、広範かつ適切な共有・公開を推進していくため、JST-NBDC、DDBJの協力の下、ゲノムデータ等を制限共有データとして扱うAGDを構築し、運用を開始した。



・ゲノム医療研究における倫理的・法的・社会的諸課題(ELSI)への対応

- ゲノム医療研究において生じうるELSIの問題解決を推進するため「先導的ELSI研究プログラム」を新規に設定し、研究開発を開始した。
- ELSIに関する国民理解の促進を図るとともに次世代のELSI研究者の育成を目指して「研究倫理に関する情報共有と国民理解の推進事業(ゲノム医療実用化に係るELSI分野)」を新規に立ち上げ、若手研究者等を中心とした研究開発を開始した。

・バイオバンク品質確保・利活用促進の取組

- 3大バイオバンクである東北メディカル・メガバンク機構(ToMMo)、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(NCBN)の連携・協働によるバイオバンク品質確保の取組を支援し、共同の成果としてガイドライン発行に向けた準備を実施した。
- バイオバンクが保有する試料・情報を横断的に検索できるシステムのプロトタイプ開発を、上記3大バイオバンクに加え臨床バイオバンクの協力のもと開始した。

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

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。

■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)

・病理組織検体の品質管理に向けた取組

- 東京大学医学部附属病院病理部に設置されている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・バンキングのためのプロトコル(「ゲノム研究用病理組織検体取扱い規程」)の講習会を開催した(平成28年度全5回開催:平成28年6月18日、第6回:平成28年7月24日、第7回:平成28年9月18~19日、第8回:平成29年2月11~12日、第9回:平成29年3月4日、参加者数計365名)



■バイオバンク機能等を活用した疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定等に関する研究の推進(ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業)

- 平成28年度新規の「先端ゲノム研究開発」プログラムでは、主に糖尿病、循環器疾患等の多因子疾患を対象としてゲノム医療の実現に向けた研究開発を実施する「多因子疾患研究」と、多因子疾患研究を含めたゲノム医療研究コミュニティ全体の基盤技術となる解析ツール等の研究開発を実施する「基盤研究開発」の両分野で公募を行い、選考の上、各々4課題を採択し研究開発を開始した。

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

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

- 平成28年度より開始した臨床ゲノム情報統合データベース整備事業「希少・難治性疾患領域」において、クリニカル・シーケンスを行い、得られるゲノムデータ、臨床情報等を用いて疾患遺伝子の探索を行う研究課題を開始した。

■臨床ゲノム情報統合データベースの整備

- 平成28年度より「臨床ゲノム情報統合データ整備事業」を新規に開始し、公募による選考の上、疾患別の研究開発課題として、希少・難治性疾患領域2課題、がん領域4課題、感染症領域3課題、認知症・その他領域2課題を採択したのに加え、データベース整備課題として3課題を採択し、研究開発を開始した。
- 希少・難治性疾患領域における臨床ゲノムデータストレージの整備に関する研究において、患者レジストリ・システムを構築するとともに、非典型例の網羅的ゲノム解析(目標症例数は1260例)を進めた。

■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

- クリニカル・シーケンスの現場の状況把握に基づく検討から、疾患領域や施設により偶発的所見等の捉え方や方針等の相違・多様性があり、現時点で日本として1つのポリシーを示すことは時期尚早と結論づけられた。しかし偶発的所見等の返却を判断する際の考え方の共通の枠組として、判断チャートや返却のフロー図(案)を提案した。

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)

- 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、バイオバンク試料の品質管理のための研究を実施した。
- このうち検体の品質管理について、東北メディカル・メガバンク計画やバイオバンク・ジャパンと相互に連携・協働し、NCBNの特長を活かしつつ、品質に関する比較解析を行った。特にがん組織についてはFFPE腫瘍検体を用いたトランスクリプトーム解析等も含めて検討するとともに、血液検体に比べて国際的にも検討が不足している病変組織について、質の高いオミックス情報を取得するための基礎的情報等の収集を行った(平成28年度第1回調整費)。
- 事業の成果は、通常の報告書に加え、偶発的所見等の返却・非返却判断チャート、『オミックス研究用生体試料取扱規程(仮称)』等、検討課題を後継事業に引き継ぐとともに、全国の関係者と共有するため、AMEDゲノム医療研究支援ホームページ等から発信する予定。

<モニタリング指標>

	H28年度
応募件数	119
採択件数	30
事業に参画している研究者延べ人数	311

	H28年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	0
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	20

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

次世代がん医療創生研究事業／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一体的な運用を実施。研究成果の企業導出を促進する環境を整備するため企業向け成果発表会の開催や、若手研究者育成や国際協力等の促進**を目的に若手WSの開催や若手研究者の海外研修などの取組を行った。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3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、日本発の革新的ながん治療薬の治験への導出数:10種(うち平成28年度に4種)(2020年頃までの達成目標:10種)、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:20種(うち平成28年度に11種)(2020年頃までの達成目標:6種)を実現し、所期の目標を前倒しで達成した。**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)

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:10種(うち平成28年度に4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:20種(うち平成28年度に11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種(目標1種類以上) ※目標達成を目指し、33課題以上で研究開発を支援中である。
- 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:平成25年時点で37.5ヶ月 ※国際基準に準拠した臨床研究等を8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47課題で研究開発支援中である。

② 基礎から実用化までがん医療研究の一体的運用(1)

「次世代がん医療創生研究事業／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」の両事業で、合同のPD/PS/PO会議を定期的に開催するなど情報共有や緊密な連携によって、基礎から実用化にスムーズにつなげる一体的な運用を実施し、次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラムの3課題について、平成28年度途中に革新的がん医療実用化研究事業に導出した。

◆ 次世代がん医療創生研究事業／次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラムの主な成果

- がん幹細胞を標的とした新規抗体療法の開発
- がん特異抗原glypican-3を標的としたiPS細胞由来再生T細胞療法の開発
- 分子標的薬の感受性・耐性を規定する新たな分子機構の解明

② 基礎から実用化までがん医療研究の一体的運用(2)

◆ 革新的がん医療実用化研究事業の主な成果

- 悪性神経内分泌腫瘍に対する¹³¹I-MIBG内照射療法
- 肉腫への革新的医薬実用化を目指した独自開発の増殖制御型アデノウイルス
- 非小細胞肺がんの根治に向けた術後補助化学療法後の新規ペプチドワクチン維持療法
- 小児急性リンパ性白血病に対する非ウイルスベクターを用いたキメラ抗原受容体T細胞療法 等

平成27年度にとりまとめられた「がん研究に係るプログラムの今後の在り方に関する検討会」による提言を踏まえ、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機構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て、事前評価を実施した。革新的がん医療実用化研究事業の中で得られたリバース・トランスレシヨナル・リサーチの成果に基づく課題を優先的に採択する旨、次世代がん医療創生研究事業の公募要領に明記し、事業間のシームレスな支援を推進した。

③ がん研究に関する若手育成・国際協力等の促進

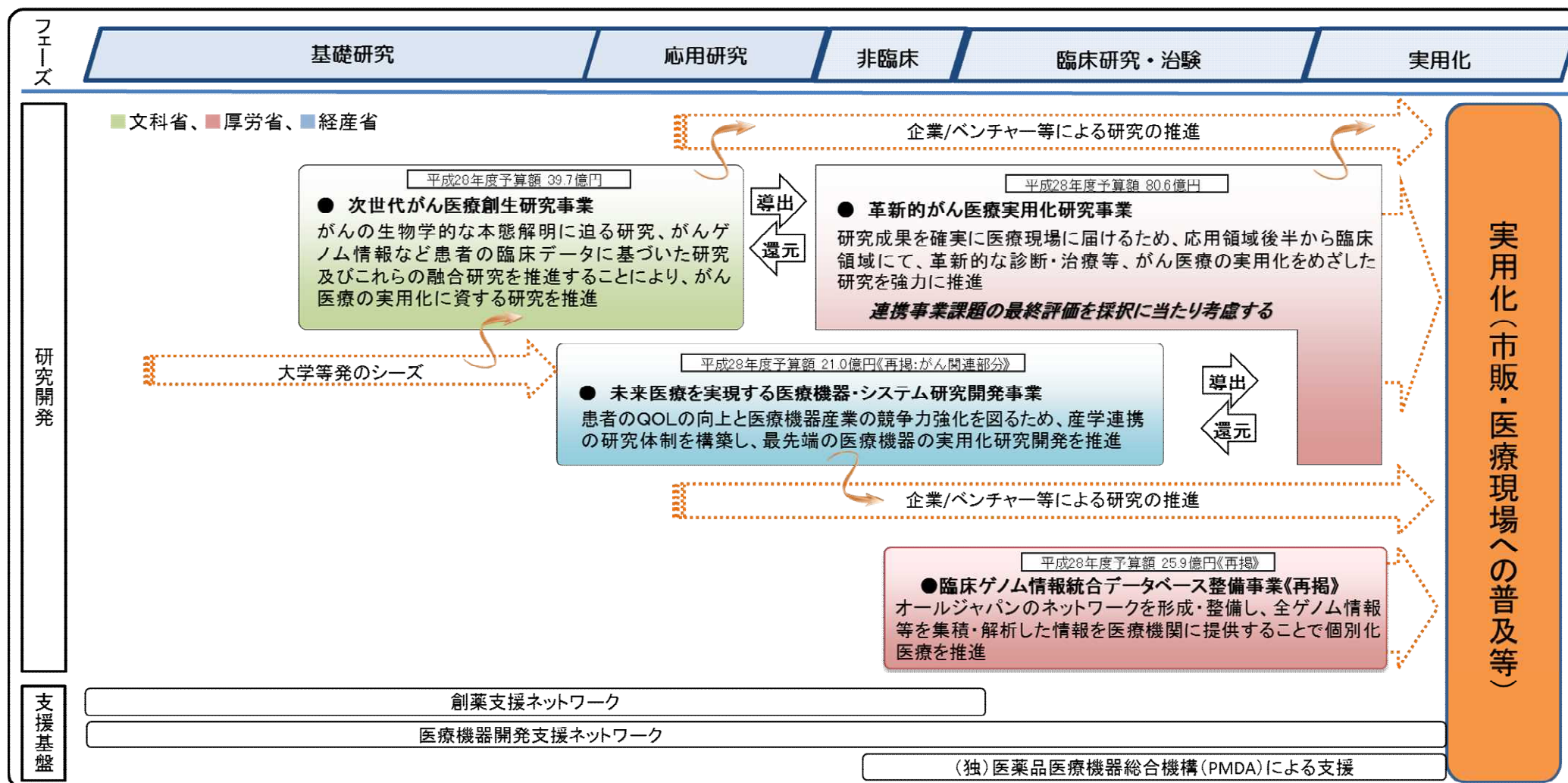
- ・ 若手研究者育成を目的として、次世代がん医療創生研究事業および革新的がん医療実用化研究事業の若手育成枠採択研究者等が合同で参加する1泊2日の合宿形式のワークショップを開催した。ベテラン研究者が準備した研究開発提案を若手研究者が評価委員となって評価する模擬課題評価委員会を実施。研究評価能力の高かったチームを海外研修に派遣し、研究者間の国際交流を促進した。
- ・ 今年度初めてAMED主催で製薬協や臨薬協の協力を受けて企業向け成果発表会を実施した。更に、製薬企業と研究者に対するアンケートを実施し、より緊密な連携のために両者が何を必要としているか、の把握に努めた。また、次年度新規課題の評価委員会においては、評価委員会における製薬企業での創薬経験者の割合を増加させ、評価委員の多様性の向上を図った。

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

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、今年度から開始された次世代がん医療創生研究事業(P-CREATE)と革新的がん医療実用化研究事業のPD/PS/POに加え、未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業と臨床ゲノム情報統合データベース整備事業のPSやPOも一部参加する形でPD/PS/PO会議を年度内に4回開催し、JCRP内の各事業の活動内容の共有や情報交換の実施、より緊密な連携に向けた取り組みに関する検討などを行った。次世代がん医療創生研究事業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290回行った。

研究開発成果のみならず、その社会的意義について、がん患者を含めた市民の理解を得ることを目的とし、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトの4事業合同で、市民向け成果発表会を開催した。リモコンアンケートによる会場での双方向のやりとりを行う、がん研究への患者参画の取り組みについても扱う、等の工夫を通してがん研究者やAMEDをより身近に感じつつ理解が得られるように工夫した。

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

PS/PO会議を5回実施した。PSおよびPO体制の下、P-CREATE主催の研究代表者会議を1回開催し進捗把握に努めた。P-DIRECT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28年度末までに3件あった。また、平成27年度にとりまとめられた「がん研究に係るプログラムの今後の在り方に関する検討会」による提言を踏まえ、本事業では、評価委員会に企業在籍の経験ももつ創薬の専門家や機構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、事前評価を実施した。

革新的がん医療実用化研究事業の中で得られたリバース・トランスレーショナル・リサーチの成果に基づく課題を優先的に採択する旨、公募要領に明記し、事業間のシームレスな支援を推進した。

若手育成枠採択研究者を中心として若手研究者育成を目的としたワークショップを昨年度革新的がん医療実用化研究事業で実施したのと同様、今回は次世代がん医療創生研究事業の若手研究者にも参加者を広げ、1泊2日の合宿形式で開催した。基礎研究から臨床研究に亘る幅広い分野の研究者が参加し、先進的ながん研究に関する講演、研究開発管理を行うプログラム・オフィサーに関する講演、更にがん治療に人工知能を活用する取り組みに関する発表を受講した。更には、ベテラン研究者が準備した研究開発提案を若手研究者が評価委員となって評価する模擬課題評価委員会や、若手研究者自身の研究内容に関するポスター発表を通じて、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。また、特に研究評価能力の高かったチームについては、海外研修に派遣し、研究者間の国際交流を促進した。

P-CREATEの研究事業の一環としてNBDCとの連携を前身事業に引き続いて実施し、データ共有やデータ公開に取り組んだ。

サポート機関による研究倫理研修会を今年度2回実施し、研究倫理指針の基本的事項やゲノム関連研究に係る個人情報保護法の改正に伴う各種研究開発指針改訂の動きに研究者がいち早く対応できるように支援した。

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。

3. 革新的がん医療実用化研究事業

二次公募等にて21課題を追加採択しており、合計219課題の研究管理を行った。3月末までに機構において研究代表者会議を1回、PS/PO会議を10回実施し、事業の推進に努めている。

次年度新規課題の評価委員会においては、評価委員会における製薬企業での創薬経験者の割合を増加させ、評価委員の多様性の向上を図るとともに、各委員の専門性との整合性を考慮した分科会形式を導入した。並行して、書面評価委員の負担の軽減、書面評価の充実等の観点から、書面一次評価を導入した。また当該事業で過去に採択された研究開発課題による新規事業への応募がなされた場合、事前評価の際に当該課題の事後評価結果を評価資料として活用した。

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4件導出した。

(導出例)

- 悪性神経内分泌腫瘍に対する¹³¹I-MIBG内照射療法
- 肉腫への革新的医薬実用化を目指した独自開発の増殖制御型アデノウイルス
- 非小細胞肺がんの根治に向けた術後補助化学療法後の新規ペプチドワクチン維持療法
- 小児急性リンパ性白血病に対する非ウイルスベクターを用いたキメラ抗原受容体T細胞療法 等

研究成果の企業導出を通し実用化を促進するための取り組みとして、次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業の合同で、今年度初めてAMED主催で製薬協や臨薬協の協力を受けて企業向け成果発表会を実施した。更に、製薬企業と研究者に対するアンケートを実施し、より緊密な連携のために両者が何を必要としているか、の把握に努めた。

<モニタリング指標>

	H28年度
応募件数	1246
採択件数	244
事業に参画している研究者延べ人数	2275

	H28年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	12
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	93

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

2020年までの達成目標に向け、脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの作成、精神疾患の客観的診断法・治療薬の治験・適正な薬物治療法等では、 α シヌクレインの凝集・伝播を阻害する化合物・アミロイド β 形成過程を制御する分子に対する抗体での特許出願、そううつ病の新規リスク遺伝子(脂質代謝異常に関連)の同定など順調な成果がでている。併せて認知症レジストリを構築し情報を蓄積・共有する体制を構築した。さらに文科/厚労両事業のPS・POの交流を行い、進捗報告会で研究者間の交流を深め、シーズ・成果等の共有を行うことにより新たな成果を導出できるよう取り組みを行った。NSFとワークショップを行い、MRCと認知症セミナーを行ったことでの連携に向けた情報交換を行っている。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 2016年度成果目標達成状況(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障害に対するオキシトシン治験に関しては、PMDA薬事戦略相談(平成28年11月)で実施プロトコルが確立したことにより、PⅠ相試験を平成29年2月に開始した。PⅠ相試験終了次第、入手したデータ解析を行うことで、引続き平成30年に開始予定のPⅡ相試験に備える。
 - 前頭側頭型認知症の分子標的治療薬となり得る化合物を見いだした。
 - レビー小体病において原因物質と考えられている α シヌクレインの凝集・伝播を阻害する化合物を見だし、平成29年3月に特許を申請した。
 - アミロイド β 形成過程を制御する分子に対する抗体(HMGB1)を開発し、平成28年8月に特許を申請した。
- ・ 精神疾患の客観的診断法の確立の状況
 - 自閉症スペクトラム症の新規診断法として開発されたGazeFinderは、医療機器開発推進事業で平成27年に医師主導治験が開始された。
 - 大規模全ゲノム解析でそううつ病の新規リスク遺伝子(脂質代謝異常に関連)を同定した。
 - 自閉症を脳回路から見分ける先端人工知能技術を開発した。
- ・ 精神疾患の適正な薬物治療法の確立の状況
 - 「日本うつ病学会治療ガイドライン」の改訂を行い完成した。(平成28年8月)
 - 精神疾患の適正な治療法の確立を目指し、発達障害を含む児童・思春期精神疾患の薬物治療ガイドライン、統合失調症早期治療ガイドライン、当事者を主体とした統合失調症治療ガイドライン、医療観察法・措置入院ガイドライン、危険ドラッグ治療ガイドライン、アルコール依存症治療ガイドラインの開発を進めている。
- ・ 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
 - 正常マウス脳の構造マップ・機能マップの作成に進捗が見られた他、マウス脳内の遺伝子データベースサイト(平成28年8月)、及び脳画像データの3D化や動画をデータポータル(平成29年3月)で公開し、今後のマップ(データベース)作成の方向性を示した。

② BMI技術を用いた研究

- ・ 自閉症を脳回路から見分ける先端人工知能技術を開発に成功するなど、身体機能の回復・代替・補完や神経疾患の革新的な予防・診断・治療法につながる研究を推進した。また、BMIについてのシンポジウムを広く一般向けに行い、成果の発信を行った。

③ 成果を蓄積・共有する体制の構築

- ・ 新オレンジプランによる認知症の大規模コホート研究を行う体制の構築、全国数万人規模のインターネットレジストリシステムの整備など、疾患の臨床情報等をもとにセンター、中核拠点、臨床グループ等の研究に係る成果を蓄積・共有する体制を構築した。

④ 国際連携の推進

- ・ 平成28年11月に米国サンディエゴで開催されたNSF-AMED Workshopにて、最新の研究状況について情報収集を行った。また、平成29年3月のAMED-MRCのMoC締結に先立ち、英国大使館主催「認知症セミナー」にて英国の認知症研究者と情報交換を行った。

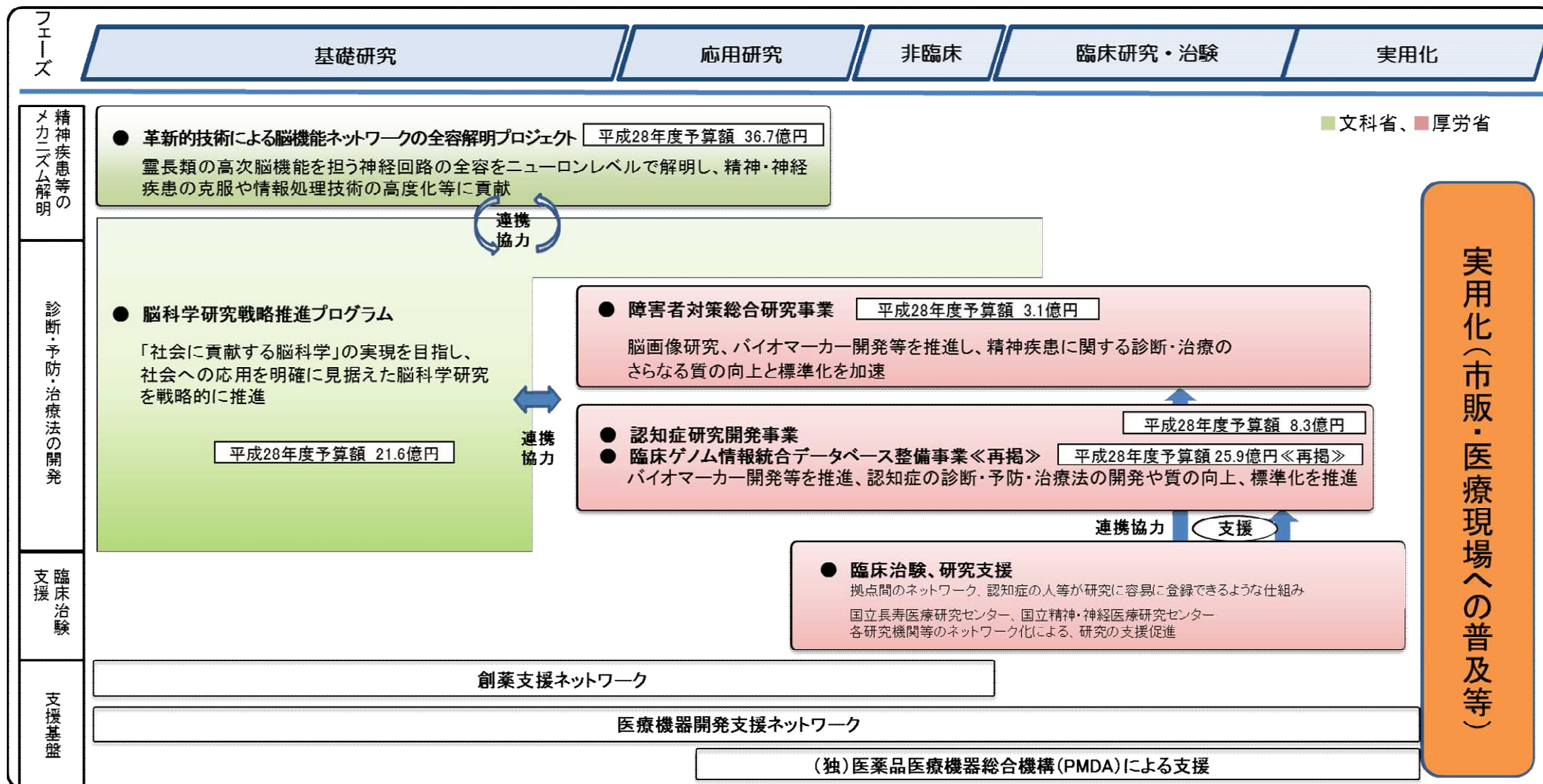
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

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

1. 脳科学研究を支える集約的体系的な情報基盤の構築

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・京都大学が加え、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運用を行っている。

2. 精神・神経疾患分野の特性を踏まえた研究開発の基盤の整備

東北メガバンク計画との連携により、うつ病成因解明に関しては、東北大学を中心に病態の客観的指標となるバイオマーカーカタログを平成30年度までに完成させることに取り組んでいる。また、このバイオマーカーカタログと生活習慣・社会環境要因情報と組み合わせによる、うつ病の病態メカニズムに基づいた発症や予後の予測技術開発を目指す。さらに大規模コホート調査で得られた医療情報(炎症関連分子、栄養成分など)を継続的にフィードバックすることで食品・栄養成分、抗炎症物質による個別化医療技術開発を見据えた研究開発基盤の構築を目指す。

3. 認知症研究を促進させるための基盤整備

認知症の人等(前臨床期、MCI、軽度・中等度・進行期)の全国的な情報登録・追跡システムであるオレンジレジストリを本格稼働させた。認知症が発症する前の症状をとらえ、認知機能の改善が期待される医薬品開発のための臨床研究や治験促進を図る。

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

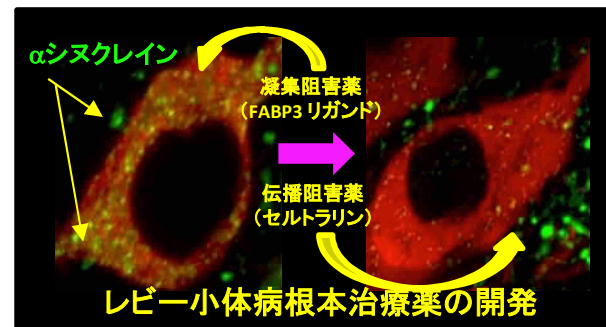
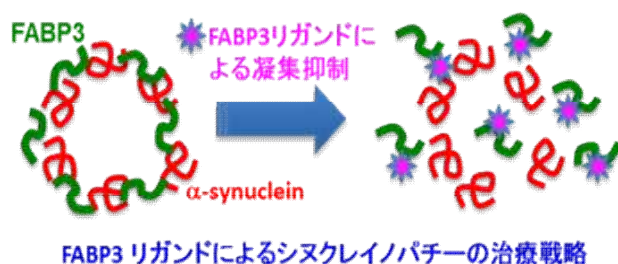
認知症やうつ病などの精神疾患等の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法の確立を目指したか

1. 認知症の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法について

世界的にも認知症のバイオマーカー・治療薬についてブレイクスルーは長年認められていない状況にある。そのため平成28年度に、これまでとは異なる視点からバイオマーカーにつなげるためのシーズ探索型基盤研究を立ち上げ、その状況の打破を目指している。

- ・血液を用いたアルツハイマー病の簡便な早期診断法・治療効果測定法に資するバイオマーカー探索として、アミロイド β ($A\beta$) 分子種間比、 $A\beta$ と前駆物質との比、 $A\beta$ 関連ペプチド、コレステロール代謝産物、エクソソーム等における標的分子同定や測定法開発、検証を開始・強化した。
- ・認知症予防のための日本で初めての健常者対象の新オレンジプラン統合レジストリの運用を開始した。さらに世界初の、認知症予防を目的とする40歳以上の健康な日本人を対象とした数万人規模のインターネットレジストリ「IROOP」を開発、運用を開始した。平成28年度は5000人程度の登録があった。
- ・アミロイド β 形成過程を制御する分子に対する抗体(HMGB1)を開発、レビー小体病において原因物質と考えられている α シヌクレインの凝集・伝播を阻害する化合物を発見(図)、ともに特許申請を行った。

図: レビー小体病の早期診断技術と根本治療薬の開発



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

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

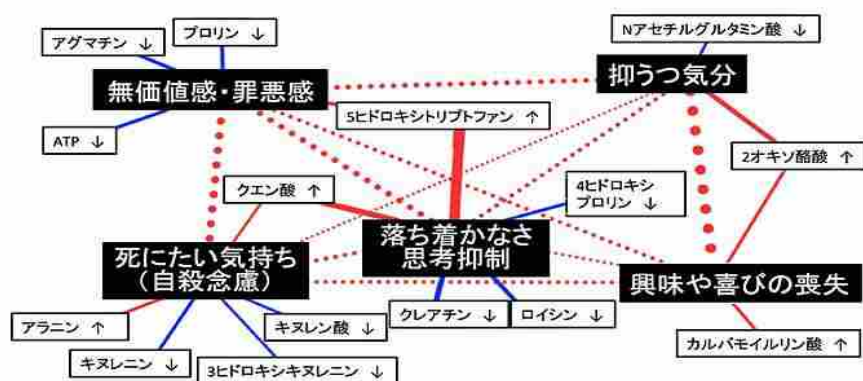
2. うつ病などの精神疾患等の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法について

精神疾患については、新規診断法・治療法のシーズの導出のみならず、治療の均てん化を目指し治療ガイドライン作成についても取り組みを行った。

平成28年度の主たる成果は以下の通りである。

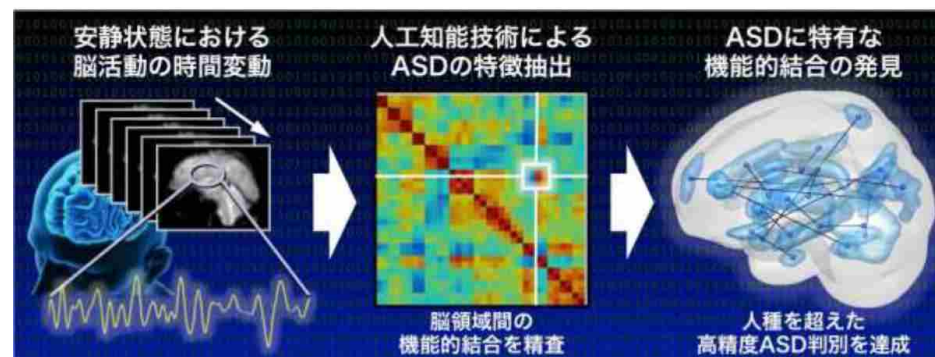
- ・「日本うつ病学会治療ガイドライン」の改訂を行い完成した。(平成28年8月)
- ・うつ病の客観的診断法の確立等を目指し、重症度、および「死にたい気持ち(自殺念慮)」に関連する血中代謝物を同定し、自殺念慮の有無や強さを予測するアルゴリズムを開発した(図1)。
- ・精神疾患の客観的診断法の確立等を目指し、人工知能の学習のためのサンプル数が少ない場合でも正しく判別・予測できる先端技術を開発し、自閉スペクトラム症(ASD)を脳のMRI画像を用いて脳回路から見分けるバイオマーカーを世界で初めて確立した(図2)。

図1: 自殺念慮の有無や強さを予測するアルゴリズムを開発



太い線ほど相関が高い。赤字は正の相関、青字は負の相関が認められることが判明。

図2: 人工知能技術を利用したASDを脳回路から見分けるバイオマーカー開発



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

⑦疾病に対応した研究<精神・神経疾患>



脳と心の研究課における国際連携の取り組み

- ・2016年3月に日米ワークショップを開催し、NIHやAllen Instituteから重要な研究者を多数招聘し、日米共同で推進すべき脳科学の分野を検討した。その後、調整費によるAllen Instituteとの共同研究に発展した。日本はマーモセット、米国はマウスの解析を進め、情報共有を進めて行く。
- ・H29年2月にニューヨークで開催されたBrain Initiativeに関するフォローアップ会議には岡部PDが出席し、日本としてBrain Initiative に協力する用意がある旨を表明した。
- ・H28年11月にサンディエゴで開催されたNSF-AMED Workshop: Comparative Principles of Brain Architecture and Functionsにて、幅広い動物種における神経回路マッピングを中心とした最新の研究状況について情報収集を行った。日本から15名、米国26名、カナダ1名、豪州1名の合計42名の研究者が参加した。来年度日本で開催予定のNSFとのワークショップについて国際事業部と検討を進める。
- ・H29年2月20日英国大使館認知症セミナーにてAMEDから講演を行い、英国の研究者と意見交換を行った。
英国MRCの他、ヨーロッパ各国で共同で開催する5月30日JPND management Board meetingに参加し、認知症分野について情報交換を行う予定である。
また、認知症分野に係る英国MRCとのワークショップ開催について国際事業部と検討を進める。

<モニタリング指標>

	H28年度
応募件数	200件
採択件数	52件
事業に参画している研究者延べ人数	2228人

	H28年度
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	0
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	85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・効果的に治療法・診断法・ワクチンの開発等につなげる取組みを実施した。

個別研究課題への支援として、PS、PO及びAMED事業担当者は研究班会議・ヒアリング等に参加し、研究進捗・知財状況の確認ならびに事業全体を俯瞰したシーズやニーズの把握を行った上、必要に応じて助言するとともに効果的かつ機動的に資金配分することによって、研究の加速や前倒しを図った。さらに、必要に応じて創薬支援戦略部、知的財産部への紹介等を行うことによってAMED他部門との連携を推進した。その結果、新規創薬につながる知見創出(1. MERSコロナウイルス阻害剤同定、2. マウスノロウイルス感染受容体発見、3. おたふくかぜ原因ウイルスの受容体構造解明)や新型インフルエンザ対策に資する知見(4. 高病原性鳥インフルエンザH5N1ウイルスの新知見解明)、その他、ノロウイルスVLPワクチンシーズの企業導出準備の完了、ジカ熱に対するワクチン・診断薬の開発推進など画期的な成果を得た。また、プロジェクト推進基盤の構築強化のため、新興・再興感染症制御プロジェクト内の2つの事業(厚労省: 新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業、文科省: 感染症研究国際展開戦略プログラムJ-GRID)の合同シンポジウムを主催するなど、異なる事業の研究者間における情報共有や連携を図った。

人材育成、特に若手育成に関しては、リサーチ・レジデントや若手研究者の登用を推進し、その支援を積極的に行った。加えて、国際化に向けた取組みとして、GloPID-R、JPIAMR等の国際連携コンソーシアムへの参加を通して、リアルタイムでの情報発信・共有を行った。以上から、総合的に勘案した結果、「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 2016年度成果目標達成状況(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
⇒ 薬剤耐性菌プラスミド解析プログラムを開発し、2016年度中に公開した。
さらに、下痢症及びデングウィルスのゲノムデータベースを整備するとともに、薬剤耐性菌ゲノムデータベースGenEpid-Jの拡充を図った。
- 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
⇒ ノロウイルスワクチンのシーズを確立し、当該ワクチンシーズについて企業導出への準備が完了した。また、経鼻インフルエンザワクチンを開発し、企業導出を完了した。さらに当該ワクチンの第II相試験に必要なワクチン製造法・評価法の技術的な研究を推進した。
- 新たなワクチンの開発の状況
⇒ ジカウイルスワクチンについて企業・研究機関等の連携のもとにワクチンシーズを開発した。エボラウイルスワクチンについて、製造システムの構築を開始し、マスターセルバンク及びマスターウイルスバンクを確立した。
- 新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発の状況
⇒ カルバペネム耐性菌の化合物スクリーニングを実施し、抗菌薬候補物質を見出した。また、MERSの原因ウイルスの感染を効果的に阻害する薬剤をドラッグリブローファイリングにより見出した。さらに、抗デングウイルス薬について、天然抽出物を中心としたスクリーニングを開始し、創薬推進に向けた取組みを行った。
- WHO、諸外国と連携したポリオ、麻しんなどの感染症の根絶・排除の達成の状況
⇒ ポリオについて、EV-D68感染症も含めたサーベイランス体制を構築するとともに検査法開発等に向けた広範な研究開発を支援した。麻しんについて、排除状態の維持に向けた研究開発を支援。既存検査法の改良、検査体制強化等、国内サーベイランス体制の強化支援に寄与。さらに、H28年度患者(麻しん152例)の疫学・ウイルス遺伝子情報解析より、全例が輸入症例であることを明かにした。結核については、治療用ワクチンの開発を推進した。既に品質試験、非臨床試験を開始し、国内治験開始に向けて研究開発を推進している。

② 2016年度の主な成果

1. 中東呼吸器症候群(MERS)コロナウイルスの感染阻害剤の同定

原因ウイルス(MERSコロナウイルス)の膜融合をウイルスを使用せずに再現し、その候補阻害剤を高効率にスクリーニングできる測定系を構築し、ウイルス感染初期過程を効果的に阻害する薬剤nafamostatを見出した。(Antimicrobial Agents and Chemotherapy, 60 11 6532-6539, 2016)

2. ノロウイルスワクチンの開発につながるマウスノロウイルス感染受容体(レセプター)の発見

マウスノロウイルスのレセプターが、細胞表面に存在するタンパク質CD300lf、CD300ldであることを発見するとともに、ノロウイルスの細胞侵入・感染機構を初めて明らかにした。このマウスノロウイルスをモデルとして、ヒトノロウイルス感染に対するワクチンや治療薬開発の加速が期待。(PNAS, 113 41:E6248-E6255 2016.)

3. 流行性耳下腺炎(おたふくかぜ)の原因ウイルスの受容体構造を解明

ムンプスウイルスがヒトに感染するために利用する受容体の構造を解明し、ウイルス糖蛋白質と結合した状態を原子レベルの分解能で可視化することに成功した。これは、ムンプスウイルスの感染メカニズム解明に加え、ワクチンや抗ウイルス薬の開発・改良に寄与。また、既感染者やワクチン接種者の一部がムンプスウイルスに感染する理由を解明する重要な情報。(PNAS 113 41:11579-11584. 2016)

4. 病原性鳥インフルエンザH5N1ウイルスに対する抗体保有状況の解明

H5N1ウイルスによる発症率及び致死率を明らかにするため、2012年より5年間に渡り、インドネシア生鳥市場従業員における鳥インフルエンザウイルス感染の疫学調査を行った。その結果、呼吸器疾患の発症を伴わない不顕性感染者が多数存在することを明らかにした。(J Infect Dis. 214, 12 1929-1936, 2016)

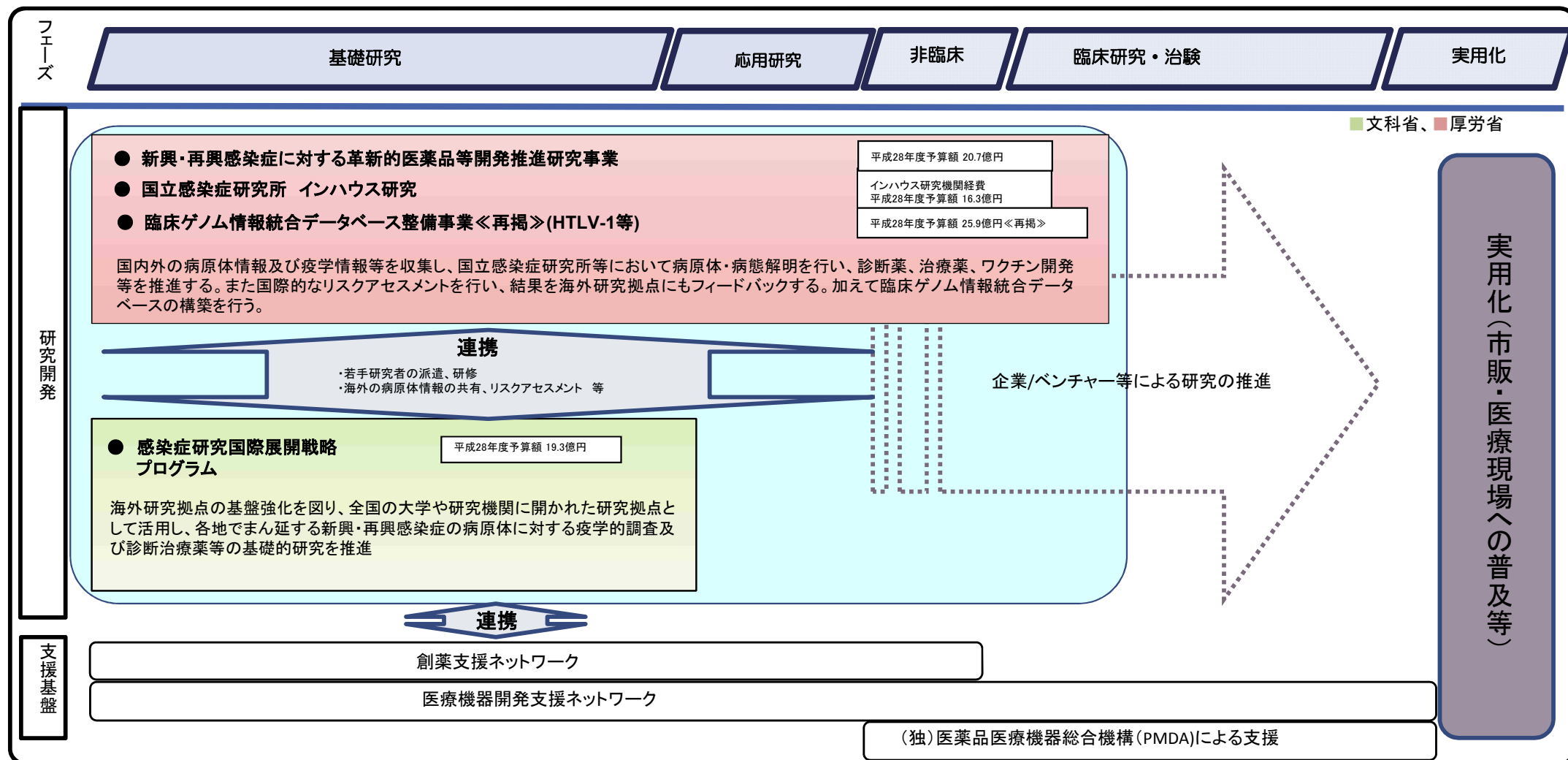
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

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。

(成功例 1) 中東呼吸器症候群 (MERS) コロナウイルスの感染阻害剤の同定

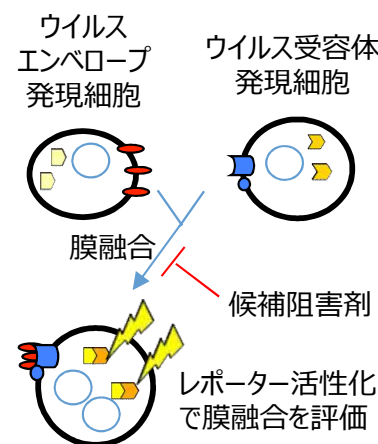
背景

中東呼吸器症候群 (MERS) は2012年に報告された重症呼吸器感染症であり、特異的な症状を欠くため初期の確定診断が容易ではなく、基礎疾患を持つ個人において40%に上る致死率を持つとされている。2015年の隣国である韓国での流行に見られるように、本邦でもその流行の可能性があり対応が求められている新興感染症であり、現在まで有効なワクチンや薬剤は開発されていない。

平成28年度の主な研究成果

- (1)原因ウイルス (MERSコロナウイルス) の膜融合をウイルスを使用せずに再現し、その候補阻害剤を高効率にスクリーニングできる測定系 (右) を構築した。
- (2)ウイルス感染初期過程を効果的に阻害する薬nafamostatを見出した。(Antimicrob Agents Chemother. 2016 Oct 21;60(11):6532-6539.)

平成28年8月23日
東大・AMED共同プレス発表



推定されるMERS-CoVの感染サイクル

出展: Pathogens and Disease
(2014), 71, 121-136, 2014.

将来の展望

- (1)今回見いだされた薬剤nafamostatは既に他疾患で臨床使用されている薬剤であることから、中東呼吸器症候群に対する治療への速やかな応用が期待できる。
- (2)その派生化合物の解析により新規薬剤開発も期待できる。

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

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。

(成功例 2) ウイルス様中空粒子 (VLP) を用いたノロウイルスワクチンの開発に向けた研究課題

背景

・ノロウイルスによる流行性胃腸炎や冬期集団食中毒の発生は、毎年世界的規模で発生し、ヒトの社会・経済活動に大きなダメージを与えている。ノロウイルスの研究においては、培養細胞を用いた感染増殖系が確立されておらず、病原性の解析および消毒薬の開発など予防対策に係る研究の進展が遅れている。さらに、ワクチンや治療薬など効果的な感染制御方法が無く、その対策に苦慮する状況が続いている。

平成28年度の主な研究成果

◆ VLPノロワクチンの企業導出への準備完了

ウイルス様中空粒子 (VLP) を用いたノロウイルスワクチンシーズを開発し、導出に向け特定企業との調整が完了。

◆ マウスノロウイルスの感染受容体(レセプター)を発見

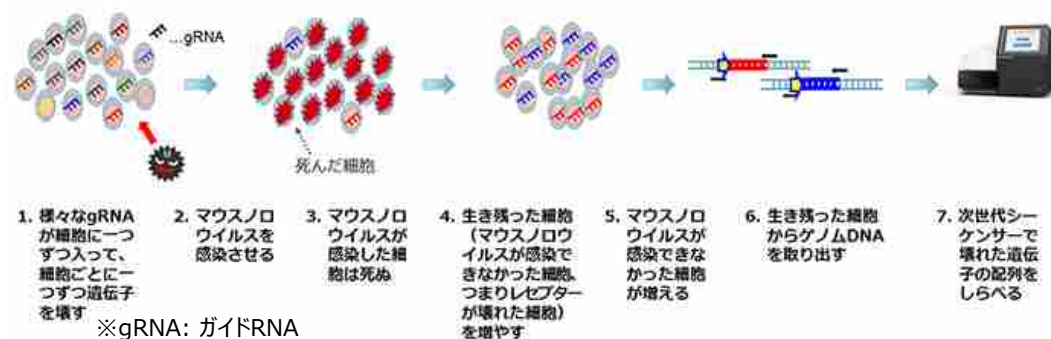
マウスノロウイルスレセプターが、CD300lfまたはCD300ldというタンパク質であることを発見し(図1)、ノロウイルスの感染の仕組みを世界で初めて解明(図2)。この成果を応用したマウスモデル確立により、ヒトノロウイルス感染に対するワクチンや治療薬開発の加速が期待。(PNAS 2016 Sep. 26;113(41): E6248-E6255.)

平成28年9月27日
AMEDプレス発表

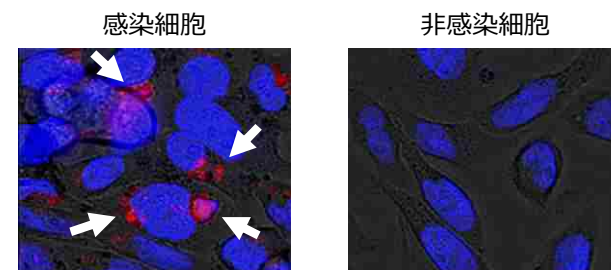
今後の研究

- (1) VLPノロウイルスワクチンシーズの企業導出完了
- (2) 上記成果を応用したモデル動物、インビトロ評価システムの構築
- (3) ヒトノロウイルスレセプターの解明、ヒトノロウイルスの培養増殖系の確立
- (4) 新規ヒトノロウイルスワクチン・治療薬・消毒薬開発に向けた開発

感染受容体(レセプター)の遺伝子の見つけ方 (図1)



マウスノロウイルスが細胞侵入している様子(ウイルス感染の様子) (図2)



マウス由来CD300lfを導入したサルの細胞 (COS7)

サルの細胞には、本来マウスノロウイルスレセプター(CD300lf)は発現していないが、CD300lfを導入するとマウスノロウイルスが感染できるようになる。
図左矢印 赤色部分

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。

(成功例 3) 立体構造情報を利用したムンプスウイルスに対する細胞侵入阻害薬の開発に向けた研究課題

背景

- ・ムンプスウイルス感染が原因である流行性耳下腺炎（おたふくかぜ、ムンプス）は、日本だけでも小児を中心に毎年数十万人の患者が出ている重要な全身性ウイルス感染症であり、無菌性髄膜炎、感音性難聴、脳炎、精巣炎、卵巣炎、膵炎など種々の合併症を引き起こす。
- ・既感染者やワクチン接種者であっても、一部がムンプスウイルスに感染し、ワクチンとは異なるアプローチによる予防・治療法が求められている。

平成28年度の主な研究成果

◆ ムンプスウイルスの細胞表面受容体への結合構造を解明

- ・ムンプスウイルスがヒトに感染するために利用する受容体の構造を解明。さらに、ウイルス糖蛋白質と結合した状態を原子レベルで可視化することに成功し、阻害薬（抗ウイルス薬）のターゲット部位の詳細を解明。（図1）
- ・ウイルス感染やワクチン接種で出来る抗体が、12種類あるムンプスウイルスの遺伝子型間で、ウイルス糖蛋白質HNのアミノ酸配列の違いが特に大きい領域に結合することを解明（図2）。既感染者やワクチン接種者であっても一部がムンプスウイルスに感染する理由を解明。

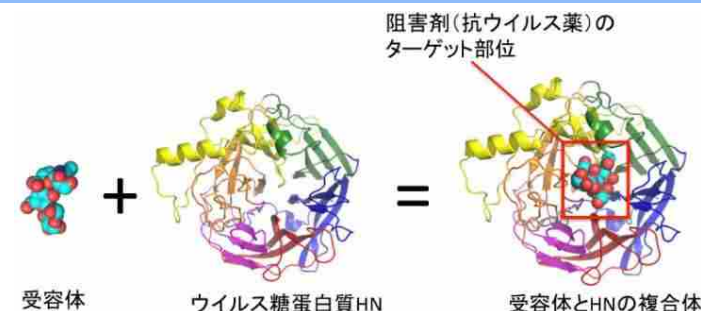
(PNAS 113 41:11579-11584. 2016)

平成28年9月27日
九州大・AMED共同プレス発表

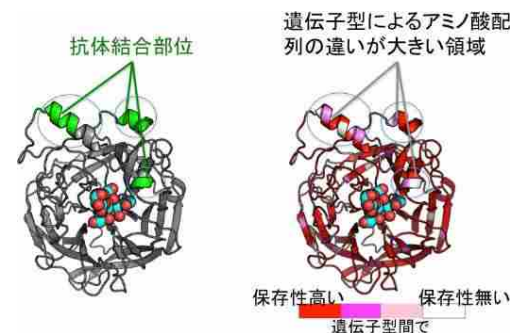
今後の研究

- (1) 上記成果を応用した、ウイルス糖蛋白質の原子レベルでの形に基づくワクチン改良、抗ウイルス薬開発（ウイルスの細胞侵入阻害剤の探索）
- (2) ムンプスウイルスの感染メカニズム解明

原子レベルで明らかとなった
細胞表面受容体とウイルス糖蛋白質HNの結合構造（図1）



ウイルス感染やワクチン接種によって出来る抗体は
遺伝子型によるアミノ酸配列の違いが大きい領域に結合（図2）



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

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。

(成功例 4) 高病原性鳥インフルエンザH5N1ウイルスに対する抗体保有状況の解明

背景

インドネシアでは高病原性鳥インフルエンザH5N1ウイルスが家禽や野鳥で風土病的に流行しており、また、散発的にヒトに感染し、世界で最も多く死亡者を出している。過去のインフルエンザパンデミックの内、1957年のアジアかぜと1968年の香港かぜは季節性インフルエンザウイルスと鳥ウイルスの混合感染により発生したことが明らかにされており、インドネシアにおいて同様な機構で新たなパンデミックウイルス（新型ウイルス）が発生する可能性が高いと考えられている。しかもH5N1ウイルス感染のインドネシアでの死亡率は84%と高率であり、その強毒性を引き継ぐことが危惧されてきた。

平成28年度の主な研究成果

2012年より5年間に渡るインドネシア生鳥市場従業員における鳥インフルエンザウイルス感染の疫学調査を行い、H5N1ウイルスに極めて濃厚に暴露している生鳥市場従業員101人のうち84%が陽性だったことが分かり、発症していない感染者が多く存在することが解明された。一方、抗体陽性者の一部から、季節性インフルエンザの遺伝子が検出されたことから、鳥インフルエンザと季節性インフルエンザの混合感染が起きれば、新型ウイルス発生の可能性があることも示唆された。

(J Infect Dis. 214, 12 1929-1936, 2016)

平成28年10月21日
神戸大・AMED共同プレス発表



将来の展望

生鳥市場従業員の感染状況を今後も継続的に確認することによって、新型ウイルスを早期に検出し、パンデミック（世界的流行）対策に応用することを目指す。

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、未診断疾患イニシアチブ(IRUD)に代表される希少・未診断疾患に関する研究、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、機構が参画する国際希少疾患研究コンソーシアム(IRDiRC)に関する各種取組みを行った。

希少・未診断疾患に関する研究では、IRUDの推進に機構が特に主体的に関わることで、200に及ぶ拠点・連携医療機関によって全国を網羅する診断ネットワーク等を構築し、通常の医療体制では診断が困難な症例を約1年半で2000例以上登録することに成功した。また、AMEDでのモデル事業等の取組と連携し、中央治験・倫理審査委員会(CIRB)を活用した審査を先駆的に実施すべく34の拠点病院で準備を進める等、IRUD体制整備を促進した。こうした取組の結果、500例近くの患者について半年以内に解析結果が返却可能となり、新規疾患原因遺伝子変異の同定・公開に関する中長期計画の目標を3年前倒しで達成したことは特に高く評価できる。また、IRUD及びIRDiRCについて、機構の国際戦略の推進とも関連する活動を推進して研究上の成果等につなげたことのほか、世界的な希少疾患研究に関する情報発信や海外との情報共有推進等、更にはIRDiRCの今後の10か年計画(～2027)草案の策定への主体的な貢献等も高く評価できる。更に、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、そして疾患特異的iPS細胞を用いた疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等の推進により画期的な成果を得たこと、そのほか研究基盤の創出や研究成果の実用化を図るべく、医療分野の研究開発関連の調整費等を原資に新たな切り口での公募を実施し課題を推進したことも評価できる。

以上のように、機構が特に主体的に関わることで、極めて多くの未診断患者の組み入れ、CIRBの推進、国際標準フォーマット等の迅速な反映等を通じて、短期間での解析結果返却を可能にするるとともに、世界初の疾患同定を含む多くの患者の診断を達成したことは極めて顕著な成果と評価でき、所期の目標を大きく上回ったと認められる。

① 成果目標達成状況(評価指標)*

*2017年3月改訂の中長期計画に基づく成果目標。2016年度末時点。

- ・ 未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見(目標 2020年までに5件以上): 累計6件* = 3年前倒しで達成
- ・ *未公開の見込を含めれば累計12件(うち3件が国際的な活動等に由来)。
- ・ 新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大(目標 2020年までに11件以上): 累計3件
- ・ 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開始(目標 2020年までに開始): 累計1件

② 希少疾患や未診断疾患に関する研究(1)

- ・ 米国、英国、リトアニア等との連携等、機構の国際戦略とも関連する活動、更にはUndiagnosed Diseases Network International (UDNI)との研究上の国際協力等を推進した。
- ・ 海外との情報共有推進に関連して、IRDiRCが議論を重ねた国際標準フォーマットを迅速に反映し、新規疾患の発見につなげた。
- ・ 国際的な規範や各国の保健医療政策へ影響を及ぼしうるIRDiRCの今後の10か年計画(～2027)草案の策定に機構が主体的メンバーとして貢献した。

③ 希少疾患や未診断疾患に関する研究(2)

- ・ IRUDの推進に機構が主体的に関わり*、新規疾患原因遺伝子変異の同定・公開に関する中長期計画の目標を3年前倒しで達成した。
- ・ * 代表的研究者を含めた推進会議を年度内10回(累計18回)、実務者会議を年度内6回(累計13回)、機構内5部7課室20人超の職員からなるタスクフォース会議を年度内15回(累計30回)開催。
- ・ 200に及ぶ拠点・連携医療機関によって全国を網羅する診断ネットワーク、複数科によって構成される診断委員会を構築し、通常の医療体制では診断が困難な症例を約1年半で2,000例以上登録することに成功した。
- ・ CIRBを進めるモデル事業等の取組と連携し、CIRBを活用した審査を先駆的に実施すべく34の拠点病院で準備を進める等、IRUD体制整備を促進した。
- ・ 上記に加え、IRUD内、難治性疾患実用化研究事業内、機構内、及び厚生労働省・関係機関等との間で有機的な連携を推進した結果、500例近い患者について半年以内に解析結果を返却可能とした。

④ 研究の推進

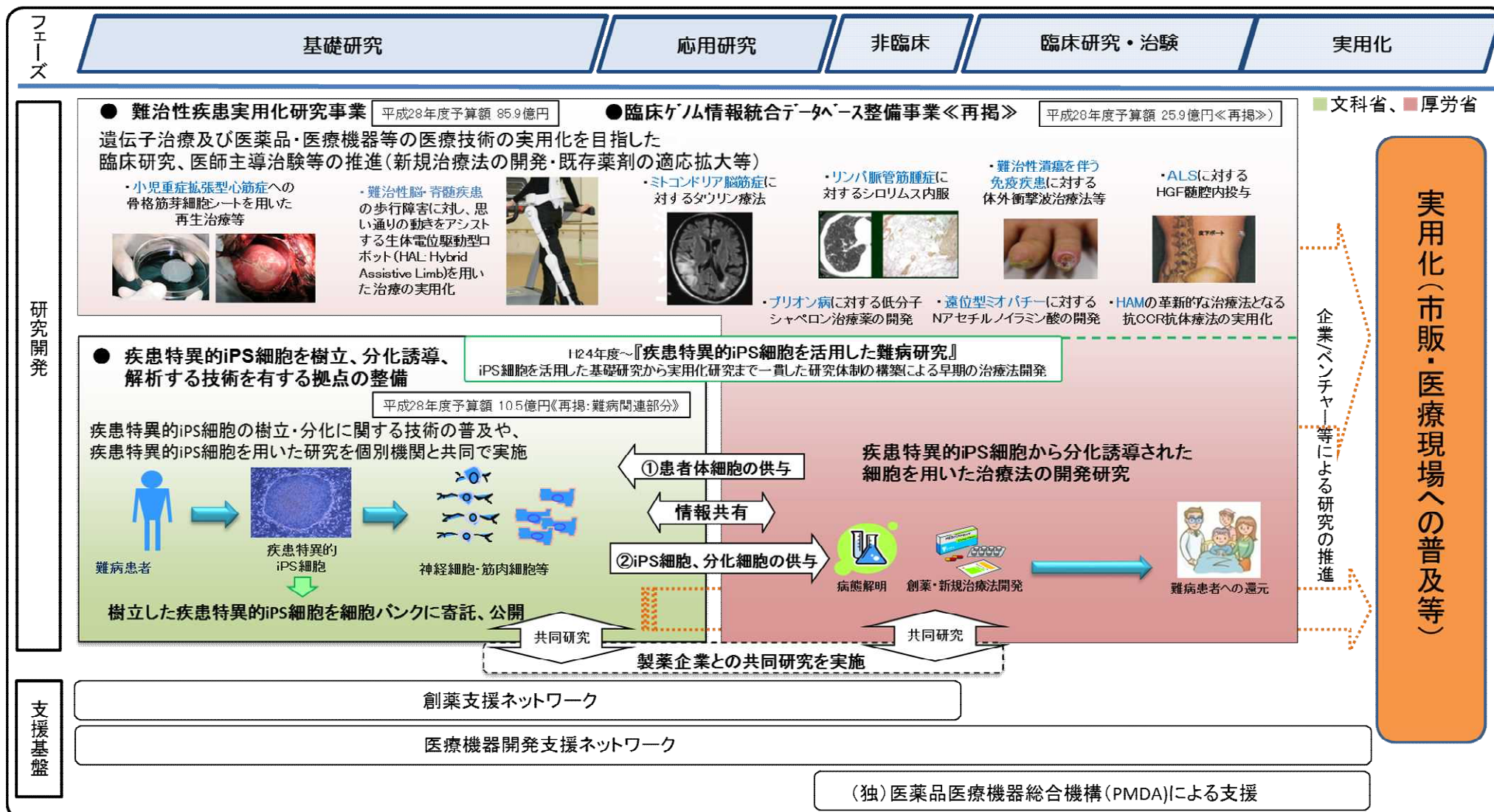
- ・ 先天性ミオパチーの新規原因遺伝子MYPNの発見
- ・ ミトコンドリア病の新規バイオマーカーGDF15の発見・開発
- ・ Pendred症候群の既存薬での治療可能性の開拓 等

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。



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

- ・診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見件数
- ・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

○ 平成28年度、委託研究開発として192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…2課題
- ・遺伝子解析等、病因、病態解明を行う研究…18課題
- ・シーズの探索を行う研究…66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…36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…61課題

その他、本プロジェクトのもとで研究基盤の創出や研究成果の実用化を図る研究

- ・医と食をつなげる新規メカニズムの解明と病態制御法の開発…3課題
- ・画期的な治療法開発のための基盤技術開発や研究基盤確立を目指す研究…5課題
- ・希少難治性疾患・未診断疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究…1課題

■ 診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見件数

- ・累計6件、うち2016年度は2件（論文発表等での公開）

■ 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は累計3件。その他治験実施中の課題が多数あり、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の実施にむけ、難治性疾患実用化研究事業の1課題において取り組んでいる。

○ HTLV-1関連骨髄症（HAM）に対するステロイド製剤：ステロイド製剤の国際共同治験では、治験届を提出し（2016年7月27日）、患者の登録を開始して16例で同意を取得し9例で投与を開始する等、順調に進行している。

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

⑨ 疾病に対応した研究<難病>



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

- ・ 平成28年度、委託研究開発として2件の研究開発課題を実施した。これら2件は、未診断疾患イニシアチブ (Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases: IRUD) として機構がその推進に特に主体的に関わる研究課題である。

< 主要な研究上の成果及びAMEDが主体的に関わることで得られた成果 >

- 200に及ぶ医療機関によって全国を網羅する診断ネットワークと、複数科によって構成される診断委員会を構築し、通常の医療体制では診断が困難な患者を2,000例以上登録することに成功した。
- AMEDでのモデル事業等の取組と連携し、中央治験・倫理審査委員会 (CIRB) を活用した審査を先駆的に実施すべく34の拠点病院で準備を進める等、IRUD体制整備を促進した。また、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を構築し、厚生労働省及び日本医師会と連携の上、難病医療提供体制とIRUD体制をあわせて都道府県自治体及び都道府県医師会へ周知した。
- 次世代シーケンサーでの解析能力を有する既存の機関 (遺伝子拠点研究) と連携の上、国際標準の患者表現型・ゲノム情報データネットワークと4つの解析センターによって構成されるコンソーシアムとを有機的に連携させたIRUD診断体制の構築を推進した。
- 米国NIH との覚書に基づく共同研究に加え、英国、リトアニア等との連携開始等、機構の国際戦略とも関連する国際的な活動、更には Undiagnosed Diseases Network International (UDNI) との研究上の国際協力等を推進した。また、海外との情報共有推進に関連して、国際希少疾患研究コンソーシアム (IRDiRC) が議論を重ねた国際標準フォーマットを迅速に反映し新規疾患の発見につなげる等、ガイドライン等の情報の積極的な展開・反映により国際標準のデータマネジメント体制の構築を促進した。
- 機構がその推進に特に主体的に関わった以上の取組みにより、IRUDにおいて、500例近い患者について半年以内に解析結果を返却可能となった。更に特筆すべきことに、平成28年度末までに新規疾患原因遺伝子変異の同定・公開は累計6件 (未公開の見込を含めれば累計12件) に達し、中長期計画の目標を3年前倒しで達成した。うち1件 (未公開の見込を含めれば3件) は、上述の国際的な活動等に由来するものである。

< 翌年度以降のIRUD推進を見据えた取組み >

- 平成29年4月1日より2課題 (小児IRUD・成人IRUD) を1つの統合課題として推進することで合意した。この過程において、代表的研究者を含めた推進会議 (平成28年度計10回、累計18回)、実務者会議 (平成28年度計6回、累計13回)、機構内5部7課室の20人超の職員からなるタスクフォース会議 (平成28年度計15回、累計30回) をAMEDが開催し、これらの機会等を通じて課題統合に関する意思疎通のみならず、統合計画書案の作成等についてAMED自ら積極的な研究支援を行った。
- IRUDの成果のさらなる発展を目的として、未診断疾患イニシアチブの成果を発展させる研究 (IRUD Beyond) 分野を設定し、公募を開始した。
- ・ 国際的な情報収集及び日本からの提言・発信、そして国内の希少疾患・難治性疾患の研究開発推進を目的として、国際希少疾患研究コンソーシアム (IRDiRC) に関する各種取組みを実施した。
- IRDiRCの最高議決機関であるConsortium AssemblyにAMED理事長が参加し、希少疾患分野の研究開発支援動向の把握に努める他、第3回 IRDiRC Conferenceの準備委員会に参画した。更に、IRDiRCの今後の10か年計画 (～2027) 草案の策定に機構が主体的メンバーとして貢献した。(本草案において、IRDiRCは「全ての希少疾患患者の診断」「1000の新規薬剤等の承認」「治療・ケア等の円滑な提供」を目指すとされている。)
- IRDiRC Consortium Assemblyの会議開催を日本へ誘致した (2017年11月開催予定)。

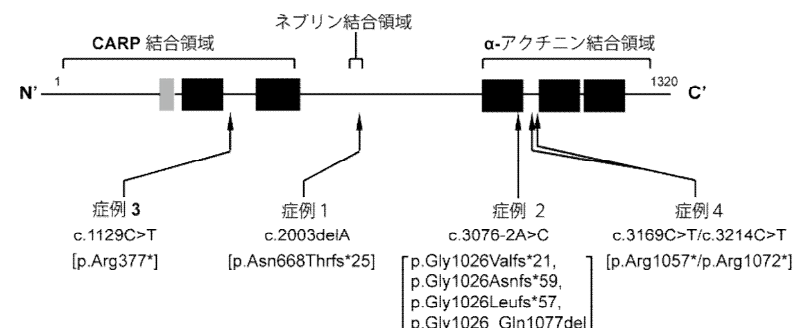
I (2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑨ 疾病に対応した研究<難病>

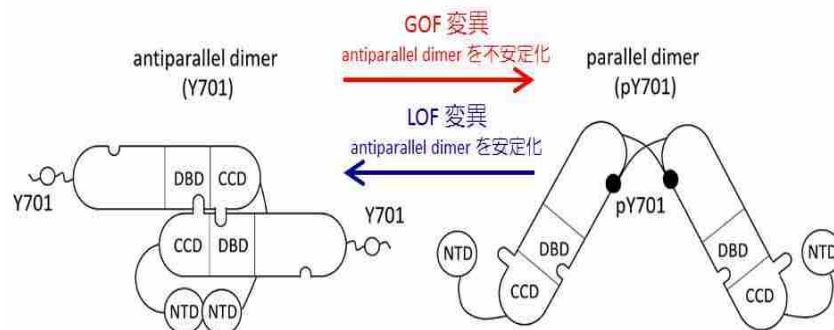
評価軸

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。

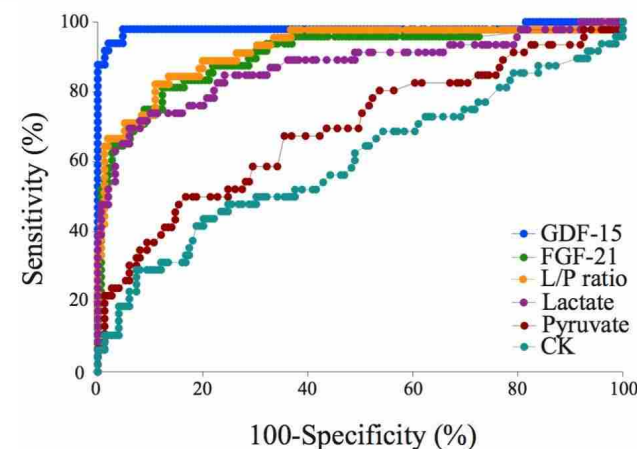
○ 横浜市立大学遺伝学診療部の宮武聡子助教、遺伝学講座の松本直通教授らの研究グループは、先天性ミオパチーの一つであるネマリンミオパチーの疾患原因遺伝子MYPNを発見した。本研究成果により、ネマリンミオパチーの早期診断、早期の適切な治療介入にさらに貢献できる可能性がある。またその病態解明が進めば、ネマリンミオパチーに対する新しい治療法の開発にも寄与することが期待される。



○ 広島大学小児科学の小林正夫教授、岡田賢らの研究グループは、感染防御に関わるSTAT1遺伝子変異の病的意義を予測するツールとして、STAT1遺伝子変異の参照データベースの作成に成功した。本データベースは格段に精度が高い予測ツールであり、網羅的遺伝子解析手法で問題視されている『患者で同定される膨大な数のアミノ酸置換の質的評価』の解決法の一つとして、網羅的アラニンスキャニングによる参照データベース作製の有用性を示した。



○ 久留米大学小児科学講座の古賀靖敏教授らの研究グループは、早期にミトコンドリア病と特定できる画期的な診断バイオマーカー「GDF15」を発見・開発した。ミトコンドリア病は決定的な検査方法がなく、診断するまでに長い時間を要し、結果的に有効な治療法のタイミングが遅れ、病気が進行するという深刻な問題があった。「GDF15」は、病気を特定できる感度・特異度が98%とほぼ100%に近く、従来型よりも20ポイントも高く、世界で最も有用なミトコンドリア病の診断バイオマーカーとなる。病気の重症度、ひいては薬効評価にも有用であることが示されている。本バイオマーカーの実用化により、ミトコンドリア病の早期診断・早期治療が期待できる。



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

⑨ 疾病に対応した研究<難病>

評価軸

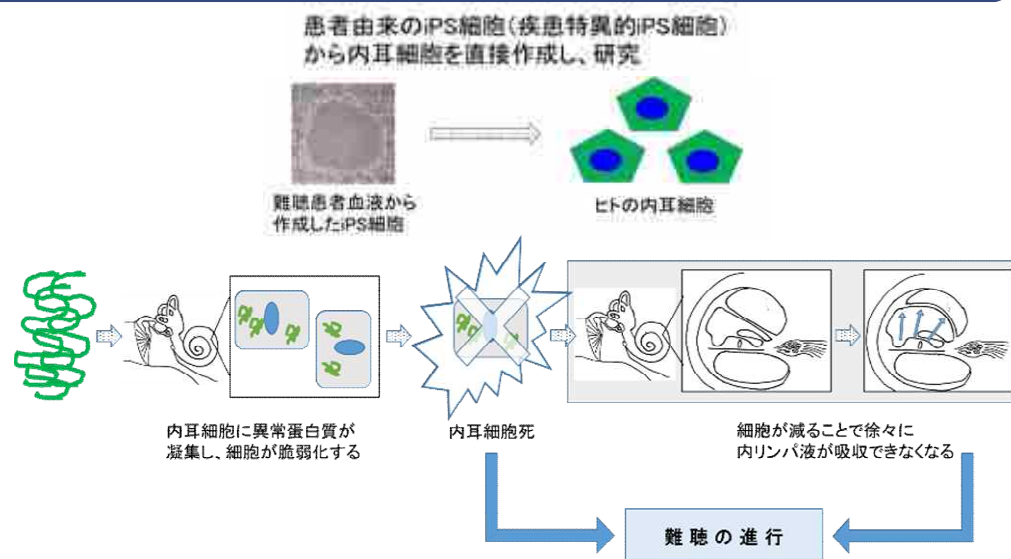
希少・難治性疾患(難病)の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進したか。

- 平成28年2月10日付けで先駆け審査指定制度の第一号として指定された研究課題「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、2016年度に医師主導治験を施行し、総括報告書の作成に至った。

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。
- 「Pendred症候群由来疾患iPS細胞を用いた病態生理と新規治療標的の探索およびiPS細胞技術を用いた症例毎の薬剤感受性の事前予測に関する研究」:Pendred症候群において、PENDRINというタンパク質の凝集が病態のひとつであることを発見し、既存薬が治療薬候補となり得ることを報告した。



<モニタリング指標>

	H28年度
応募件数	412件
採択件数	97件

	H28年度
事業に参画している研究者延べ人数	732人
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	24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	63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等



評定
(自己評価)
A

小児・周産期の疾患に関する研究では当初計画に加えてジカウイルスによる母子感染の問題に迅速に対応して国内の診療体制構築を確立、ジカウイルス感染症に関するQ&Aを作成、日本赤十字社の献血血液を利活用した性差に基づく薬物療法の有効性・安全性の評価研究を開始し、ICTに関する研究では次世代NDBデータ研究基盤構築に係る研究や、総合診療医の診療支援基盤構築に関する研究のほか、異なる3学会(日本病理学会、日本医学放射線学会及び日本消化器内視鏡学会)をとりまとめ将来展望を見すえながら悉皆性のある画像等データベースを構築する研究等に着手し、AMED発のメディカルアーツに関する取組では、研究を立ち上げたことに加えて機構が継続的に推進すべきとして政府の健康・医療戦略等に位置付けられた等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

- 全国的な循環器病のデータベースに基づいた診療の質評価を行い「見える化」し、循環器病診療の質均てん化・向上。
- 高脂肪食動物モデル(マウス)によるメガリンを介した腎障害メカニズムの解明

②小児・周産期の疾患に関する研究

- ジカウイルスによる母子感染の問題に対して迅速に対応し、国内の診療体制構築を確立し、ジカウイルス感染症に関するQ&Aを作成
- 日本赤十字社の献血血液が研究に活用可能となったことを受け、公募課題を設定し、性差に基づく薬物療法の有効性・安全性の評価研究を開始

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
- 次世代シーケンサーを用いた先天性難聴遺伝子診断システム開発・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

- 喘息等の重症アレルギー疾患に関わる蛋白質MyI9/12を同定し、発症のメカニズムを解明
- 食物(卵)アレルギー予防にアトピー性皮膚炎治療と、原因食物の早期摂取が重要である旨を報告

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・ワクチン・化学療法薬に係る企業導出へ向けた非臨床試験の加速 等

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)

- 日本オリジナルの無電源・完全埋め込み型の新規聴覚機器(人工聴覚上皮)の開発の推進(ACT-M)
- 医薬品利用を指向したリボヌクレオチド関連化合物の大量合成技術の開発(A-STEP)

⑦ICTに関する研究

- 次世代NDBデータ研究基盤構築に係る研究や、総合診療医の診療支援基盤構築に関する研究のほか、異なる3学会(日本病理学会、日本医学放射線学会及び日本消化器内視鏡学会)をとりまとめ将来展望を見すえながら悉皆性のある画像等データベースを構築する研究等に着手した。

⑧革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST,PRIME,LEAP)

- 喘息や好酸球性副鼻腔炎などの難治性のアレルギー疾患発症の鍵となるタンパク質を発見し発症のメカニズムを解明
- ラット体内に作製したマウス多能性幹細胞由来膵臓で糖尿病マウスの治療に成功

⑨メディカルアーツに関する取り組み

- AMED発の取り組みとして、メディカルアーツ(医療の有効性、安全性及び効率性の観点から医療に変革をもたらすための技術やシステムの開発及び普及)に関する研究を立ち上げ。機構が継続的に推進すべきとして、健康・医療戦略等に位置付けられた。

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

⑩その他の健康・医療戦略の推進に必要な研究開発等



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

【循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業】

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」(平成28年度予算額758,420千円、研究開発課題数57)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。

2. 主な研究開発成果

○我が国における全国的な循環器病のデータベースに基づいた診療の質評価を行い「見える化」することで、循環器病診療の質均てん化・向上への道筋をつけた。(Circ J 2016; 80: 2327-2335) さらに循環器病に係る新たな予後予測モデルを構築し、我が国の目指す先制医療実現への道筋をつけた。

○我が国における電子カルテ情報を活用した全国的な糖尿病の臨床情報収集システムを構築し32施設から25181名(平成28年8月時点)のデータを収集した。これにより我が国における糖尿病の診療内容と合併症の推移を明らかにし、糖尿病診療の質の均てん化・向上への道筋をつけた。

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等



＜モニタリング指標：循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業＞

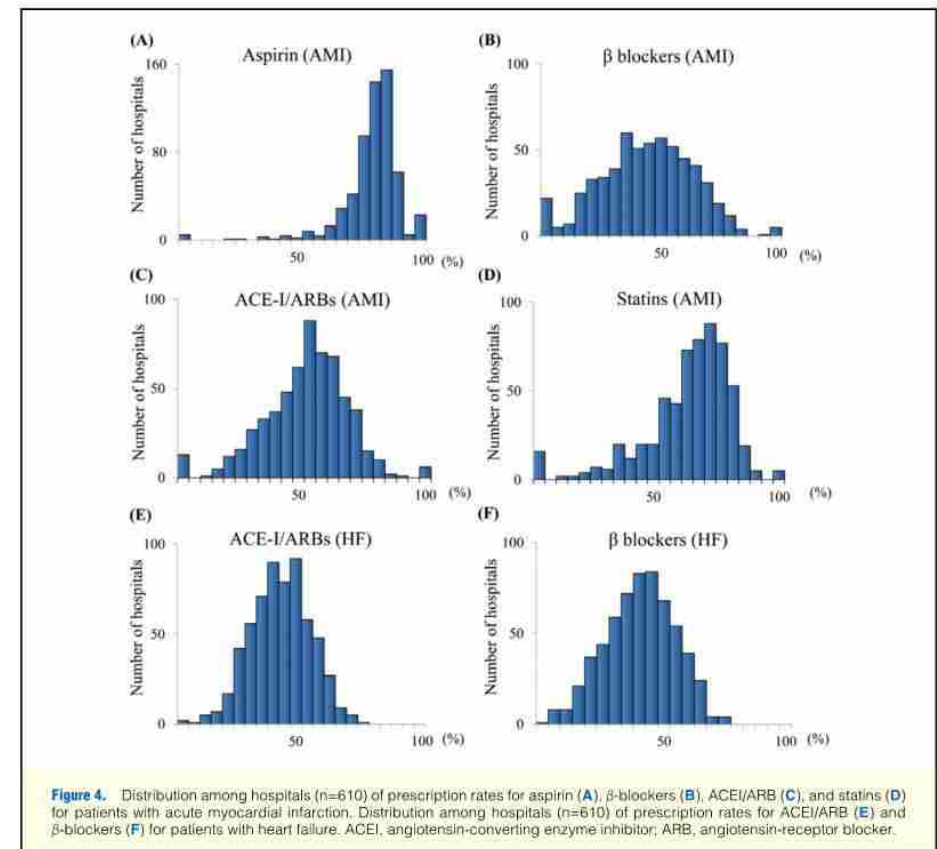
	H28年
○応募件数	75 件
○採択件数	23 件
○シンポジウム等の開催件数	1 件
○サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数	51 回
○PSPO会議実施回数	3 回
○事業に参画している研究者延べ人数	258 人
○PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	0 件
○機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	25 件

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

⑩その他の健康・医療戦略の推進に必要な研究開発等

2. 主な研究開発成果(続き)

- 我が国における全国的な循環器病のデータベースに基づいた医療の質評価を行い「見える化」することにより、循環器病に係る医療の質均てん化・向上への道筋をつけた。(Circ J 2016; 80: 2327-2335)
- さらに循環器病に係る新たな予後予測モデルを構築し、我が国の目指す先制医療実現への道筋をつけた。



2016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 安田班
循環器疾患の発症予測・重症化予測に基づいた診療体系に関する研究

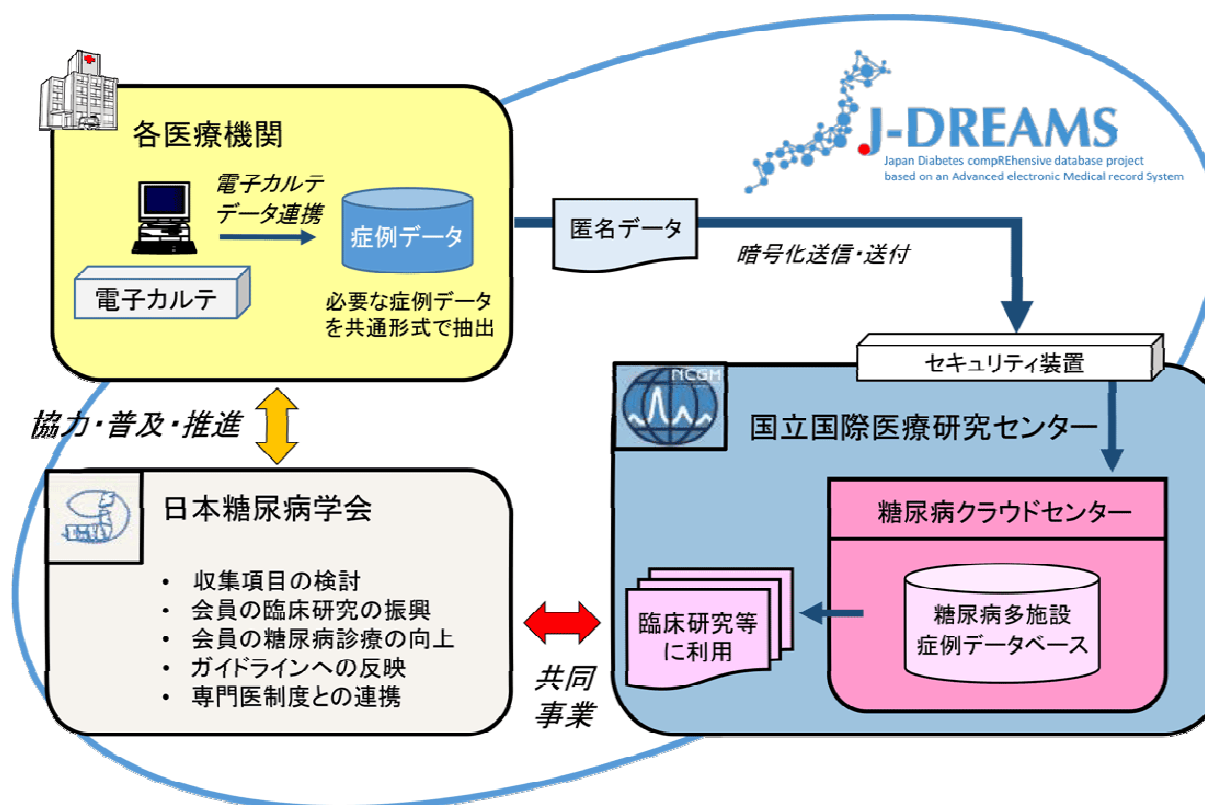
Circ J 2016; 80: 2327-2335.

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等

2. 主な研究開発成果(続き)

我が国における電子カルテ情報を活用した全国的な糖尿病の臨床情報収集システムを構築し32施設から25181名(平成28年8月時点)のデータを収集した。これにより我が国における糖尿病の診療内容と合併症の推移を明らかにし、糖尿病診療の質の均てん化・向上への道筋をつけた。



2016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 梶尾班
電子カルテ情報活用型多施設症例データベースを利用した糖尿病に関する大規模な臨床情報収集に関する基盤的研究

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等



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。

【腎疾患実用化研究事業】

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28年度予算額89,513千円、研究開発課題数6)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した。

<モニタリング指標:腎疾患実用化研究事業>

	H28年
○応募件数	8 件
○採択件数	1 件
○シンポジウム等の開催件数	1 件
○サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数	18 回
○PSPO会議実施回数	3 回
○事業に参画している研究者延べ人数	31 人
○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 (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

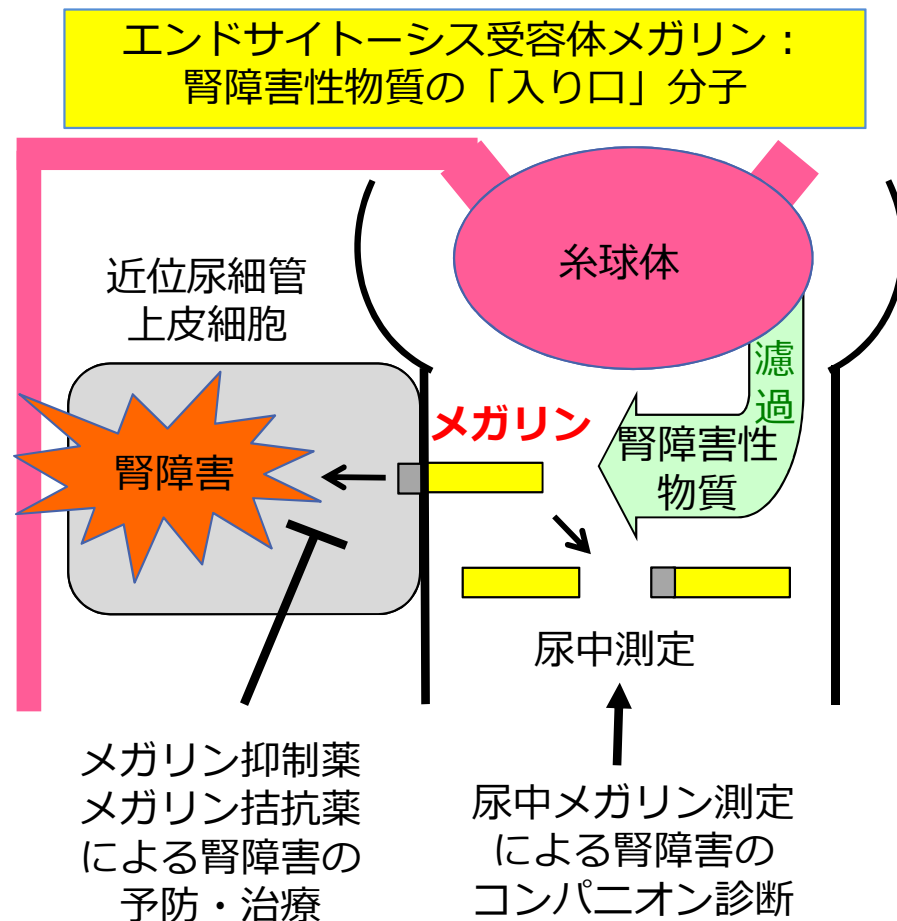
⑩その他の健康・医療戦略の推進に必要な研究開発等



2. 主な研究開発成果

2016年度 腎疾患実用化研究事業 斎藤班 「メガリンを標的とした腎機能温存・再生療法の開発」

糖尿病性腎症などの慢性腎臓病および薬剤性腎症などの急性腎障害の病態に関連する、エンドサイトーシス受容体「メガリン」についての動物モデルを用いた機能解析を行い、慢性腎臓病の新たなバイオマーカーとしてだけでなく治療標的としての意義に道筋をつけた。



Megalin-Mediated Tubuloglomerular Alterations in High-Fat Diet-Induced Kidney Disease

Shoji Kuwahara,* Michihiro Hosojima,[†] Reika Kaneko,* Hiroyuki Aoki,* Daisuke Nakano,[‡] Taiji Sasagawa,[§] Hideyuki Kabasawa,[§] Ryohei Kaseda,[†] Ryota Yasukawa,[§] Tomomi Ishikawa,[§] Akiyo Suzuki,[§] Hiroyoshi Sato,* Shun Kageyama,^{||} Takahiro Tanaka,^{||} Nobutaka Kitamura,^{||} Ichie Narita,[§] Masaaki Komatsu,^{||} Akira Nishiyama,[‡] and Akihiko Saito*

*Department of Applied Molecular Medicine, [†]Department of Clinical Nutrition Science, [§]Division of Clinical Nephrology and Rheumatology, and ^{||}Department of Biochemistry, Niigata University Graduate School of Medical and Dental Sciences, Niigata, Japan; [‡]Department of Pharmacology, Faculty of Medicine, Kagawa University, Kagawa, Japan; and [§]Protocol Data Center, Niigata University Medical and Dental Hospital, Niigata, Japan

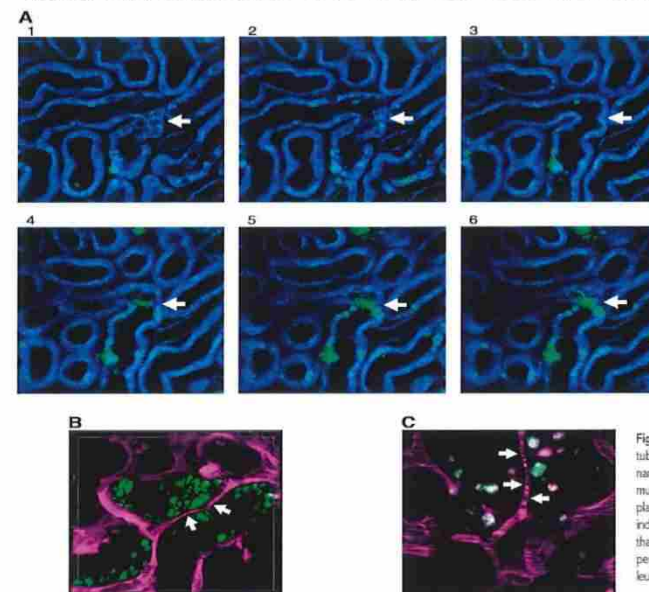


Figure 3. Intravital imaging reveals narrowing of proximal tubular lumens and peritubular capillaries in the kidney of HFD-fed C57BL/6J mice. (A) Z-stack images showed narrowing of the tubular lumen in the regions where autofluorescent vacuoles accumulated in PTECs. The arrows indicate the same part of the tubule in six different z-planes (A1 [superficial] to A6 [16 μ m deeper than A1]). (B) The peritubular capillary indicated by the arrows between two vacuolized tubules showed a smaller diameter than the other capillaries (magenta: Rhodamine B-conjugated 70-kDa dextran). (C) The peritubular capillary indicated by the arrows showed disturbed blood cell flow with leukocyte attachment that was visualized by clear, rounded shadows.

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等



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・周産期の疾患に関する研究開発>

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、卵子の老化、男性不妊、妊娠高血圧症等、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。
- 女性の健康の包括的支援実用化研究事業と公募を合わせて行うとともに、評価委員の一部を兼任させるなどの連携を図り、両事業を一体的に運用。

2. 主な研究成果

- 当初計画外であったジカウイルスによる母子感染の問題に対して、迅速に国内の診療体制構築を支援。日本における妊婦及び新生児について、ジカウイルス感染症の診療体制を確立、ジカウイルス感染症に関するQ&Aを作成(藤井知行・東京大学) 等

<女性に特有の健康課題に関する研究>

1. 研究開発の推進

- 日本赤十字社の献血血液が研究に活用可能となったことを受け、日本赤十字社と連携し、献血血液を利活用する研究の推進のための公募課題を設定、性差に基づく薬物療法の有効性・安全性の評価研究を開始。
- 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等の早期介入に関する研究、若年女性のスポーツ障害予防のための介入研究、出産後メタボリックシンドローム発症のリスク同定と予防研究等、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。

2. 主な研究成果

- 若年女性のスポーツ障害予防のための介入研究の成果として、日本産科婦人科学会から冊子「若年女性のスポーツ障害の解析」を刊行(藤井知行・東京大学) 等

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等



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等

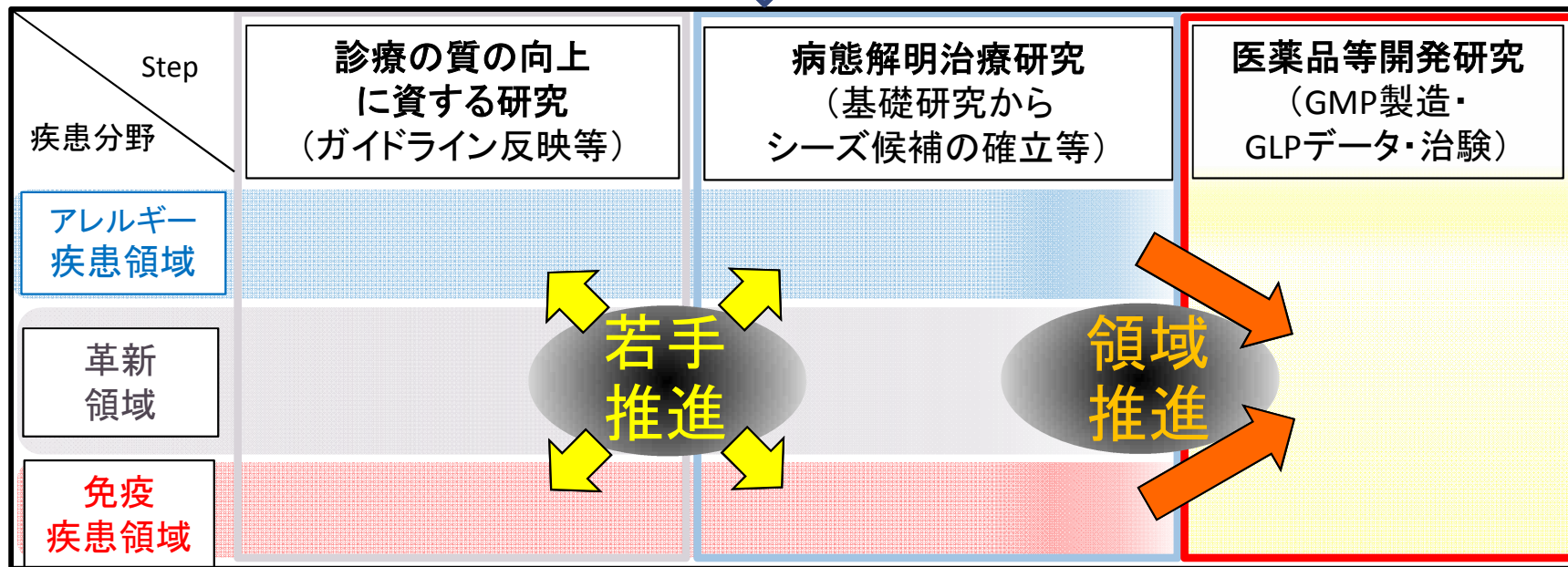


4. 免疫アレルギー疾患等に関する研究

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42)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。

アレルギー疾患対策基本法（平成26年6月20日成立）第四節 研究の推進等 第19条
国は、アレルギー疾患の本態解明、革新的なアレルギー疾患の予防、診断及び治療に関する
方法の開発その他のアレルギー疾患の罹患率の低下並びにアレルギー疾患の重症化の予
防及び症状の軽減に資する事項についての疫学研究、基礎研究及び臨床研究が促進され、
並びにその成果が活用されるよう必要な施策を講ずるものとする。



政策との連動
研究成果の反映

2. 主な研究開発成果

- 喘息等の重症アレルギー疾患に関わる蛋白質Myl9/12を同定し、発症のメカニズムを解明した。(Science Immunology 2016)
- 皮膚の表面を覆う細胞が、ケルビン14面体と呼ばれる特殊な多面体を応用した形をとり、さらにその多面体の形をした細胞がお互いに重なり合っ
て配列し、規則的に順序だって新しい細胞と入れ替わっていくことで、皮膚が新陳代謝している間もバリア機能を保つことを報告した。(eLife 2016)
- 自己炎症疾患については、疾患特異的iPS細胞による解析により診断の困難な孤発性の患者の正確な診断に至った報告がなされた。(Arthritis
and Rheumatology 2016)
- 食物(卵)アレルギー予防にアトピー性皮膚炎治療と、原因食物の早期摂取が重要である旨を報告した。(Lancet 2016)
- 花粉症等の診断用バイオマーカーに関する特許が出願された。(特願2016-31056)

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

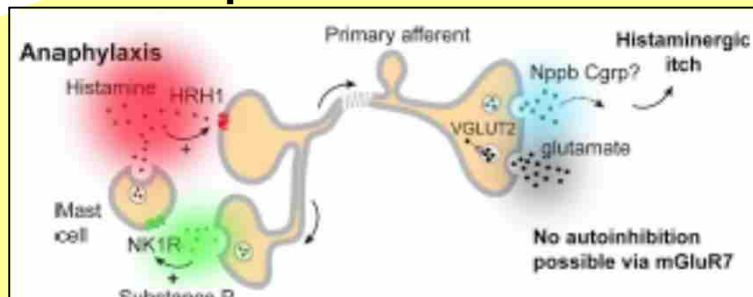
⑩その他の健康・医療戦略の推進に必要な研究開発等

Neurobarriologyに焦点を当てた革新的研究領域の研究開発推進

目的

2016年に入り致死性的アレルギーであるアナフィラキシーと末梢神経受容体との関連が報告された。世界的にも、末梢神経障害についての研究センターが相次いで立ち上がり、新規報告が続いている。物理的バリア、免疫学的バリアに加えて末梢神経学的バリアに焦点を当てた研究領域“Neurobarriology”を創出、推進し、世界に先駆けた新規知見の創出、新規治療開発の促進を図る。

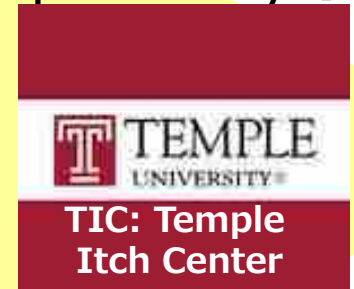
末梢神経上の受容体シグナルによる致死性的アレルギー（アナフィラキシー）の制御 【Cell Reports 2016年1月12日】



末梢神経障害の制御等が、致死性的アレルギーであるアナフィラキシーの病態解明、治療へ寄与する可能性が示唆された革新的報告が2016年に発表された。

末梢神経障害研究センターが 世界で相次いで発足

【Washington University, Temple University等】



外界とのインターフェイスにおいて新たに発見された免疫細胞や、感覚神経と末梢神経障害との関連が報告されている。

2016～18年度

2019年度以降

ek16
新規
公募

タイトジャンクション、上皮細胞間接着因子や皮膚の角層、粘膜臓器の粘膜層など物理的バリアについての解析研究

バリア臓器局所に在住し迅速な免疫応答に寄与する細胞の生体内解析・一細胞解析等十次世代シーケンサーを用いた常在微生物叢解析による免疫学的バリアの統合的研究

生体内における末梢神経、神経シグナルの可視化、免疫アレルギー疾患における末梢神経の細胞抽出、ゲノム解析による局所神経障害因子探索等による病態解明研究（新規）

【Step 1/2】
における新規課題
採択・推進による
創薬開発研究

- ・末梢神経による恒常性維持機構とその破綻による免疫アレルギー疾患の病態解明
- ・免疫アレルギー疾患予防、新規治療の開発シーズの同定
- ・世界的に先駆けた“Neurobarriology”という革新的な研究領域の創出

3つのバリアを包括する革新領域

物理的バリア

+

免疫学的バリア

+

末梢神経学的バリア

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等



日本人固有データの集積/開示に資する日赤保管検体のバイオリソース活用を目指す調査研究

目的

2016年に初めて、毎年廃棄される保管検体をバイオリソースとして活用する具体的な提案が日本赤十字社よりなされた。地域的、時間的に網羅された500万人規模の大規模な検体は他に例がなく、研究者が切望する健常人対照等試料となり得る。事前同意内容や保管方法等、その活用に向けた課題を克服し、日本人固有データの集積、開示を目指すfeasibility studyを加速する。

500万人分の
日赤保存日本人検体

同意内容/
保管方法の
検討等

健常人対照活用
による効率的・
効果的研究推進

日本の健常人
データの
公開・活用

主な
取組

2016年度

新規分子標的薬によるアレルギー等患者
のリスク因子、バイオマーカー等解析

充実

既存パイプラインにおける健常人
対照として日赤検体が使用
可能かどうかの検討等

2017年度

使用可能なパイプラインに
おける日赤検体の活用、
及び他研究開発課題、
他事業へのフィードバック

2018年度以降

日赤での同意内容や保管
方法の検討等により、新た
に施行可能となった解析パ
イプラインについても、日赤
検体を活用していく

全体

現状で施行できない解析を可能とする
同意内容、保管方法等検討

連携

日赤での同意内容、
保管方法の検討等

施行可能となった解析の
施行、データの集積、開示

日本赤十字社等

成果

- ・ 日本独自リファレンスデータの基礎研究及び臨床への応用
- ・ 既存事業における健常人対照確保による研究開発推進

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等



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。

【免疫アレルギー疾患等実用化研究事業(移植医療技術開発研究分野)】

・「免疫アレルギー疾患等実用化研究事業(移植医療技術開発研究分野)」(平成28年度予算額86,109千円、研究開発課題数15)において、診断・治療方法等、移植成績向上を目指す研究を推進した。

<モニタリング指標:免疫アレルギー疾患等実用化研究事業(移植医療技術開発研究分野)>

	H28年
○応募件数	14件
○採択件数	5件
○シンポジウム等の開催件数	1件
○サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数	12回
○PSPO会議実施回数	3回
○事業に参画している研究者延べ人数	69人
○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	7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

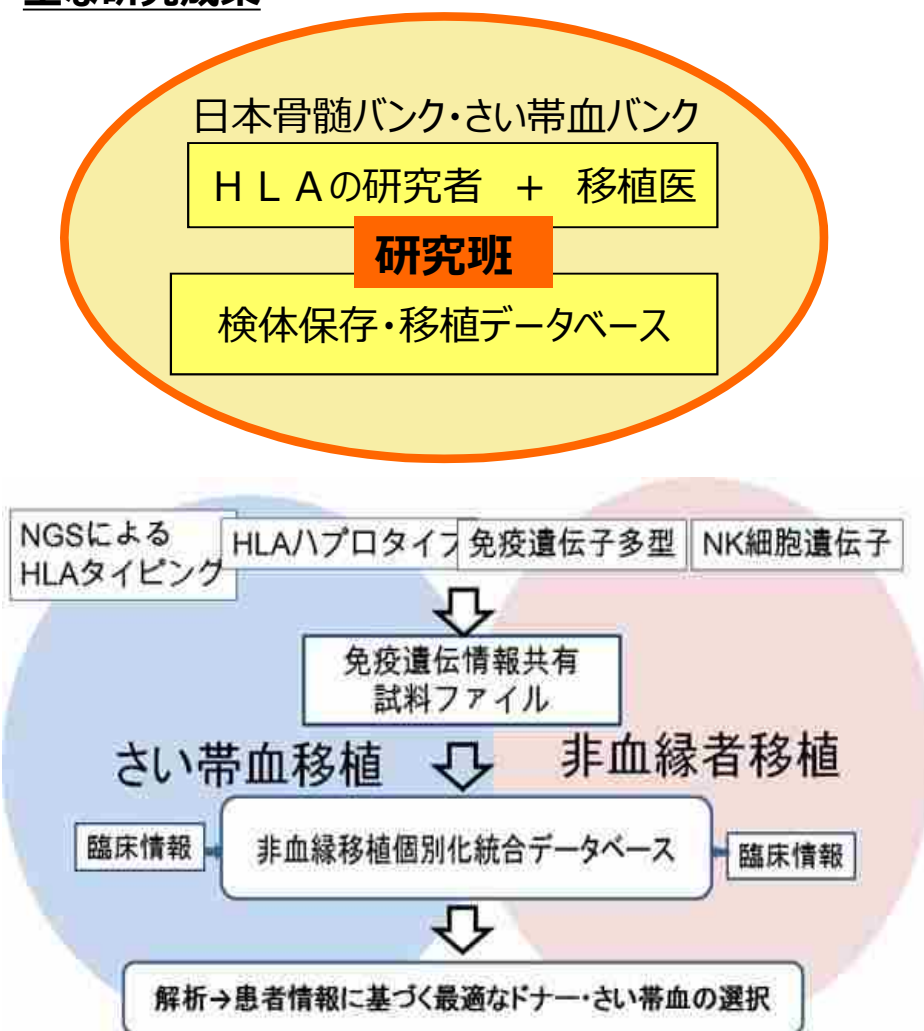
⑩その他の健康・医療戦略の推進に必要な研究開発等



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。

主な研究成果



対象疾患名：非血縁造血幹細胞移植

移植に関与する組織適合性を研究し、最適なドナー・移植細胞源の選択など移植成績を向上させることを目的とした。

非血縁者間移植に加えてさい帯血移植の多数症例検体を用い、最新の免疫遺伝学的手法を駆使した。

●非血縁者間移植とさい帯血移植においてHLA-A～DPB1アリル不適合の詳細なリスクを明らかにし、新たなドナー・さい帯血選択アルゴリズムの構築が可能になった。

●さらに、NGS-HLAタイピング法の開発と検証を行い、バンクへの導入が可能になった。

●HLAに加えて移植免疫に関与する遺伝子多型を多数同定し、免疫遺伝情報にもとづく非血縁移植統合データベースが可能になった。

成果・論文発表等

非血縁者間骨髄移植において重症急性GVHDと予後に関連するHLAアリルを見出した。

(Haematologica.2016;101(4):491-498)

免疫遺伝情報に基づく非血縁移植統合データベースの構築と最適なドナー・さい帯血の選択

愛知県がんセンター研究所 疫学・予防部 研究員 森島 泰雄

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等



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。

【慢性の痛み解明研究事業】

・「慢性の痛み解明研究事業」(平成28年度予算額68,477千円、研究開発課題数9)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した。

<モニタリング指標:慢性の痛み解明研究事業>

	H28年
○応募件数	27 件
○採択件数	6 件
○シンポジウム等の開催件数	1 件
○サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数	11回
○PSPO会議実施回数	3 回
○事業に参画している研究者延べ人数	53 人
○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	6 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

⑩その他の健康・医療戦略の推進に必要な研究開発等



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。

主な研究成果



小児の手足の痛み発作

寒さや悪天候で痛む、親族に同じ症状

(乳幼児期)「疳(かん)」が強い
＝よく泣く、不機嫌になる

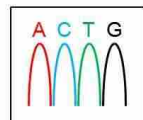
(学童期)痛みにより学校を休みがち

(青年期)痛みが軽くなる

現在まで見過ごされていた子供の痛みの病気

原因遺伝子の解明

SCN11A遺伝子(Nav1.9)の
p.R222Hおよびp.R222S変異



モデルマウスによる検討

- ①痛みの再現
- ②神経細胞の興奮しやすさ



新しい病気「**小児四肢疼痛発作症**」の発見
疾患概念と遺伝子診断法の確立

社会への波及効果

- ・国内に多数いると予測される潜在患者の診断と実態把握
- ・モデルマウス等を用いた治療薬開発研究
- ・「温度・天候と痛み」「加齢による痛みの軽減」に着目した鎮痛薬創薬への新しいアプローチ

対象疾患名：小児四肢疼痛発作症

1) 乳児期に発症する手足の痛み発作、2) 思春期以降の痛みの軽快、3) 寒さや悪天候による痛みの誘発という特徴的な症状を示す家族性の疼痛疾患の原因遺伝子の探索を行った。全国6家族の御協力を得て、遺伝解析およびマウスモデルを用いた解析を行い、SCN11A遺伝子(Nav1.9)のp.R222Hあるいはp.R222S変異が原因であることを明らかにし、この病気を「小児四肢疼痛発作症」と命名した。この病気は成長に伴い痛みは軽快することから見過ごされてきたと考えられ、潜在患者の数は多いことが予想される。現在はさらなる患者の探索と病気のメカニズムの解明に取り組んでいる。

成果、論文発表等

SCN11A遺伝子(Nav1.9)のp.R222Hあるいはp.R222S変異が周期性四肢疼痛症の原因であることを解明した。
(PLoS One.2016;11(5):e0154827.)

新規周期性四肢疼痛症の加齢による寛解の分子機構解明と創薬への応用 中部大学 生命健康科学部 准教授 小林 果

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等



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>

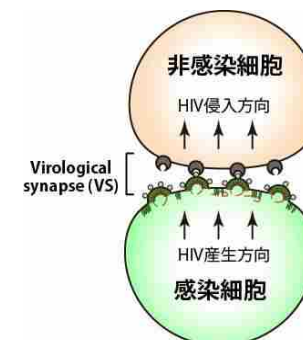
1. 研究開発の推進(調整費支援による加速・拡充)

- 既存の抗HIV薬耐性ウイルスに奏功する新規HIV薬のサルでの有効性・安全性の検討
- HIV感染症治療のための抗体薬とその効果を増強する小分子とのサルでの併用試験の加速
- 抗HIV活性とHIVのEnv蛋白構造再変化能を有するバイファンクショナルEnv阻害剤の同定

2. 主な研究開発成果

- HIVの「細胞－細胞間感染」の分子メカニズムの解明(右記論文)
- 国際共同臨床試験第I相で、センダイウイルスベクターを用いたHIVワクチンの安全性・有効性を確認(J. Nyombayire, et al., J. Infect. Dis. 2017, 215, 95-104.)

Virological Synapseを介した細胞-細胞間感染



K. Miyakawa, et al : The tumour suppressor APC promotes HIV-1 assembly via interaction with Gag precursor protein, *Nature Communications* 8, 14259 (2017)

<肝炎対策に資する研究>

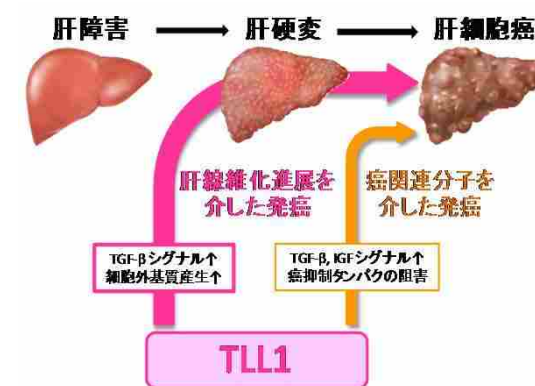
1. 研究開発の推進(調整費支援による加速・拡充)

- B型肝炎ウイルスポリメラーゼ阻害剤スクリーニング系の確立とシーズの同定
- B型肝炎ウイルス逆転写酵素阻害薬の合成と前臨床試験の実施
- 小児ウイルス性肝炎データベースの構築と小児B型・C型慢性肝炎治療ガイドラインの改訂
- インターフェロンフリー治療不成功例の調査と治療指針の作成

2. 主な研究開発成果

- C型肝炎ウイルス排除後の肝がん発症に関連する一塩基多型(SNP)を世界で初めて同定(右記論文)

肝発症におけるTLL1の寄与(仮説)



K. Matsuura, et al : Genome-Wide Association Study Identifies *TLL1* Variant Associated With Development of Hepatocellular Carcinoma After Eradication of Hepatitis C Virus Infection, *Gastroenterology* (2017) in press

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等



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28年度は、アカデミア発の技術シーズを産業界(企業)に円滑かつ効果的に移転することで新しい医療(医薬品、医療機器など)の実現(実用化・事業化)を目指すため、産学連携による研究開発課題を新たに8件選定し、平成27年度からの継続10件とあわせて、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。

○さらに、平成28年度調整費を活用し、特に、アカデミアが有する「早期段階の挑戦的な技術シーズ」を医療への適用を目指す企業に戦略的に受け渡すことを前提に、当該技術シーズに関する課題を明確化してそれを解消するための研究開発を重点的に支援するセットアップスキームを創設。14件の挑戦的な研究開発課題を選定した。

○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、中間進捗報告会等を実施。

2. 主な研究開発成果

○新型人工内耳(人工聴覚上皮)の開発について、設計(企業)、作製(大学)、動物実験(臨床機関)の連携により効果的に実施した。/○固形癌内部で形成される低酸素領域に選択的に集積し、癌の特定に有効な新規低酸素イメージング剤[18F]DiFAについてFIH試験を実施し、安全性が確認された。

現行人工内耳 → 人工聴覚上皮

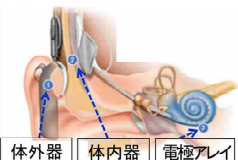
<研究成果最適展開支援プログラム(A-STEP)>

1. 研究開発の推進

○JSTから移管された88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支援。計画通り終了した課題について、外部評価委員による事後評価を実施、外部公表を行った。

2. 主な研究開発成果

○OP2X4受容体アンタゴニスト(NC-2600)について、平成28年6月から国内における第I相試験を開始。ほか、3課題で臨床試験を開始。

原 理	音声を電気刺激に変換	音声振動による 圧電素子膜の歪みで起電
特 徴	・体外装置が必要 ・体内装置も大 ・電源が必要 ・外国産	・体外装置不要 ・電池不要 ・国産
機 器	 体外器 体内器 電極アレイ	 人工聴覚上皮

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等



7. ICTに関する研究

<臨床研究等ICT基盤構築研究事業>

- ◆ 平成28年度調整費により、SS-MIX2規格による大規模診療データの収集と利活用に関する研究、疾患・目的別データベースの共通プラットフォームの構築、CDISC標準の利用による診療情報入力を省力化する臨床研究エコシステムの構築等に着手した。
- ◆ 平成28年度補正予算により、次世代NDBデータ研究基盤構築に係る研究や、総合診療医の診療支援基盤構築に関する研究のほか、異なる3学会（日本病理学会、日本医学放射線学会及び日本消化器内視鏡学会）をとりまとめ将来展望を見すえながら悉皆性のある画像等データベースを構築する研究等に着手した。

<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・エビデンスベースの医療政策立案を加速するための研究>

- ◆ 平成28年度調整費により、レセプト等の大規模電子診療情報を活用した薬剤疫学研究を含む医療パフォーマンス評価に関する研究を開始した。

<パーソナルヘルスレコード(PHR)利活用研究事業>

- ◆ 平成28年度予算により、妊娠・出産・子育て支援PHRモデル、疾病・介護予防PHRモデル、生活習慣病重症化予防PHRモデル、医療・介護連携PHRモデルの各モデルに関する研究を開始したほか、平成28年度調整費により、分散PDSの応用に関する研究、CDMSを用いた情報のデジタル化・ネットワーク化の基盤的技術に関する研究等に着手した。

(平成29年2月に進捗状況ヒアリングを実施し、計画に従い進められていること等を確認した。)

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

⑩その他の健康・医療戦略の推進に必要な研究開発等



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。

8. 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

- ユニットタイプ(AMED-CREST)、ソロタイプ(PRIME)、インキュベートタイプ(LEAP)の3つのタイプについて、科学技術振興機構から承継したものを含め、継続中の課題を着実に推進。(7領域、114課題)
- 研究開発進捗状況を把握し助言・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。
- PSの判断により、成果の創出が見込まれる課題に対して、総括裁量経費として研究開発費を増額。
- 新たな研究開発領域を立ち上げ、AMED-CREST及び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(3領域、13課題)。
- JSTで実施されたCREST等を含めた研究開発課題のうち、医療応用への展開が期待される課題をLEAPとして採択。(1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。
- 末梢神経損傷によって未熟化した神経膠細胞(グリア細胞)が難治性慢性疼痛を起こす脳内回路を作ることの解明(鍋倉 淳一・自然科学研究機構 生理学研究所)
 - 喘息や好酸球性副鼻腔炎などの難治性のアレルギー疾患発症の鍵となるタンパク質を発見し発症のメカニズムを解明(中山 俊憲・千葉大学)
 - ラット体内に作製したマウス多能性幹細胞由来膵臓で糖尿病マウスの治療に成功(中内 啓光・東京大学) 等

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等

9. メディカルアーツに関する取り組み

○平成28年度は、メディカルアーツ(医療の有効性、安全性及び効率性の観点から医療に変革をもたらすための技術やシステムの開発及び普及)に関する研究を推進するために、第1回調整費により、事業横断的な公募・評価を実施した。第2回調整費では「超高齢社会への対応」に着目し、継続課題に追加交付を実施。

○本取り組みについては、機構が継続的に推進すべき内容であるとして、健康・医療戦略や医療分野研究開発推進計画の見直しにおいて主要な検討事項として採り上げられ、「医療の有効性、安全性及び効率性の観点から医療に変革をもたらすための技術やシステム(メディカルアーツ)の開発及び普及に関する研究」として盛り込まれた。



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)業務改善の取り組みに関する事項

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11部1室として運用、新規事業等に必要な組織を設置、人員体制は産学官から適切な人材を採用・配置、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

- ・組織は、求められる機能を果たすため、定常的組織として事業部門に6部、事業支援部門に2部、管理部門に3部1室とし、理事長、理事の下に11部1室として運用

○人員体制

- ・退職等による人員の不足、新規事業に必要となる人員は、随時、公募等により、産・学・官の各分野から事業を推進するためにふさわしい適切な人材を採用して配置

○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、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
- ・平成28年度補正予算によって措置された出資金を活用した「産学官共同医薬品・医療機器研究開発事業(CiCLE)」について、年度内に事業を開始するため「出資金事業準備室」(11月14日付)及び増加する業務に対応し一層の効率化を図るため、経営企画部に「業務改革グループ」(7月1日付)を設置し、人員を配置

Ⅱ(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



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>

	H28年
PD/PS/POの委嘱件数	208

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】

・利益相反の防止に係る対応として、PD/PS/POについて利益相反マネジメントルールを整備し、実施。また、PD/PS/POの一覧をHPIにおいて公表

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)業務改善の取り組みに関する事項

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、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、適切に公表するとともに、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10月及び3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から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。その際、各指示事項に対して、複数の部局の連携も含めた担当部局、対応内容、対応スケジュールを明確化、具体化したアクションプランに整理していくこととし、フォローアップを効率的・効果的に実施したとともに、部局を超えた活動を促進した。
- 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HPIにおいて公表。
- 中間・事後評価委員会の実施回数<モニタリング指標>

	H28年度
中間・事後評価委員会の実施回数	109回

II (1)業務改善の取り組みに関する事項

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

- 「研究評価・課題管理タスクフォース」において研究評価・課題管理の改革に関する提言を平成28年4月にまとめるとともに、これを受けて、研究開発課題の評価委員会等の一層の質の向上と透明性・公平性の確保のため、評価委員会とPD等の役割整理や利益相反マネジメントのルール整備等を行った他、課題評価において評価方法の統一化を図り、分野や事業の間での評価結果の比較や分析が可能となるようにするため、10段階共通スケールを導入した。

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)業務改善の取り組みに関する事項

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28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。

○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: 114件

- ◆ 競争性のない随意契約の契約実績: 885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、平成28年度の「調達等合理化計画」を策定し、公開。平成28年度の調達等合理化計画や会計規程等に基づき契約し、物品などを調達。

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)業務改善の取り組みに関する事項



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。平成28年度の外部委託の件数は、平成27年度の460件から597件に増加した。具体的な取組事例は次のとおり。

(取組事例)

- ◆ 専門的見地からの見直しが不可欠であること等から、業務合理化及びIT化のための業務分析業務の一部を外部委託。専門的なコンサルティングの知見により、現状の業務を実務レベルまで分析し、公募型プロジェクト業務フローの可視化、業務プロセスでの改善項目の洗い出し、IT化等を明示的に抽出した。また、効果的・効率的な業務推進となるよう部分最適化から全体最適化に向け、それらに合わせた合理化、IT化等を進めてゆく必要性が分析より導出され、具体的な業務の見直し等に役立てた。
- ◆ これまで事業部署単位で行っていた評価委員等の委嘱に係る業務の一部を集約・一元化し、その業務を派遣スタッフに担ってもらう体制を構築する等、業務の効率化に向け外部委託
- ◆ 専門性の観点からホームページの大幅な情報拡充に向けてのコンテンツ作成・掲載業務の支援を外注した。また、利用者の利便性向上に向けたホームページのリニューアルを行うため、コンテンツマネジメントシステム等の導入・開発を外部委託
- ◆ 当機構における内部統制システム構築に、専門的知見を有する外部機関からの助言が必要と考え、アウトソーシングを行い、業務記述書、業務フロー図、リスクアセスメントシート(RCM)を作成
- ◆ 当機構の例規については電子媒体により作成し共有フォルダに保存することにより閲覧、改廃等を行ってきたところであるが、例規数が多く、改廃等の手続きの際の資料作成が煩雑であったり、容易に検索できないといった状況にあったため、業務の効率化の観点から例規データベースの作成を外部委託

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)業務改善の取り組みに関する事項

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。また、人件費・給与制度等については、人事院勧告等を基に適正に運用するとともに、給与規定等を公表しており、着実な業務運営がなされていると判断される。

1. 業務の効率化状況(評価指標)

【実績】

○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。

○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＞

平成27年4月設立の法人であるところ、業務の効率化指標については、立ち上げから業務が標準化に移行する平成29年度のものを使用する予定である。

Ⅱ(1)業務改善の取り組みに関する事項

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。
- ・増加する業務に対応し業務の一層の効率化を図るために設置した業務改革グループの検討結果に基づき、PD・PS・PO等の委嘱業務を平成29年1月より職員の指導下、派遣職員による組織化したグループで実施し、事業部門の業務軽減による効率化、人員の増加抑制、人員配置の適正化を図った。

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、類似する独立行政法人等の給与規則に準じた給与規程等を、人事院勧告等により改正を適時で実施、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った(平成28年度のラスパイレス指数: 109.5(年齢勘案)、92.8(年齢・地域・学歴勘案))。

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)

B

目標・計画に基づき、事務処理手続きの簡素化・迅速化及び機構の制度利用者の利便性向上、機構内情報ネットワークの充実、業務・システム最適化計画の策定などを実施し、着実な業務運営がなされている。

1. 電子化の促進等により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

- ・文書管理システムにおいて規程に基づく秘密文書の適切な管理を可能とする機能追加及び人事給与システムにおける勤怠情報や旅費申請の入力方法の改善を行った。
- ・財務会計システム及びAMED研究開発マネジメントシステムについて、各システムに入力するための契約情報を一元的に収集し、相互に共有する仕組みを整備した。また、適切かつ効率的に予算執行状況を把握すべく、新財務会計システムの調達に着手し、平成29年度中に開発を行い、平成30年4月から運用を開始することとした。
- ・例規システムの運用を平成28年8月から開始し、例規・法令の検索・参照に加え、例規の制定・改正作業の簡便化を図った。
- ・公募から契約までの業務フローのうち、評価業務の合理化を図るべく、AMED共通型の評価支援システムの導入を見据えて、その前段階と位置付けられる戦略推進部の全課が利用可能な統一仕様の研究評価支援システムの調達に着手し、平成29年度上期中に開発を行うこととした。

○機構の制度利用者の利便性向上

- ・国民に対するサービス向上を図るため、平成28年8月より、情報公開システムを新たに公開した。
- ・入札情報等を提供する公告等掲示システムの運用を平成28年7月から開始し、応札者への利便性を確保しつつ、契約業務の効率化を実現した。

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、データセンターと機構オフィス間のスタンバイ通信回線のアクティブ化による通信容量の増強、コピー機のオンラインプリンタ化、新会議室予約システムの導入等を実施した。
- ・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一環として、DDOS攻撃対策を実施した。
- ・震災等の災害時に備え、AMED基盤情報システム上のデータを遠隔地に保存可能なデータ保全環境を構築し、日次で自動的にデータ転送する運用を平成29年4月から開始することとした。

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、現在運用中のAMED基盤情報システムにおける課題を洗い出し、最近の技術動向調査結果を踏まえた次期AMEDシステム基盤としてのあるべき姿を描くとともに、最適化工程表及びコスト試算を含めた最適化計画を策定した。

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（人件費の見積もりを含む。）、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、運営費交付金予算の執行について、実績の把握等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うなど、適切な執行に向けた取組を着実に実施した。平成28年度運営費交付金債務は、その大半については使途決定した契約済みのものとなっている。

1. 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。
- 平成27年度の運営費交付金債務（約11億円）については、執行計画に沿って執行しており、一部（約5億円）については、引き続き、中長期目標期間中の執行が見込まれている。
- 平成28年度においては、新情報等による支援事業の追加検討等により契約は締結したが年度内の完了に至らなかった案件等により運営費交付金債務（約6億円）が生じている。）

＜平成27年度主務大臣評価における今後の課題への対応状況＞

○指摘事項

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。

【対応状況と今後の課題】

平成28年度運営費交付金債務は、その大半について使途決定した契約済みのものとなっている。今後の課題として、交付金債務の減少に向け更なる効率化を行いつつ、具体的な事業に早期に着手しつつ、平成29年度以降の運営費交付金債務の計上を行う。

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)

—

短期借入の実績なし。

1. 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>

	H28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、一定価格以上の資産については網羅的に現地確認するとともに、研究終了の研究機器の譲渡を適正に行うなどの取組を着実に実施し、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と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に関しては、取得価額50百万円以上の資産は網羅的に現地確認を実施し、取得価額50百万円未満の資産は抽出して現地確認を実施した。
- 研究終了した研究機関に所在する研究機器等に関しては、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は無償譲渡し、企業等には有償若しくは無償で賃貸借をし、資産である研究機器等の有効活用をしている。
- 不要財産又は不要財産となることが見込まれる場合には、不用決定を行い処分した。
- 1月1日現在所有の償却資産に関する償却資産税申告を行った。

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)	
—	実績なし。

1. 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28年度に関しては、目的積立金は生じない見込み。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

Ⅷ(1)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、平成28年度における内部統制推進システム構築の進め方等について方針を決定するとともに、内部統制を推進するために、リスクコントロールマトリクス等を作成した。また、内部統制に関する研修を役職員を対象に実施し、着実な業務運営がなされている。

内部統制の進捗状況(評価指標)

【実績】

1. 内部統制推進委員会等の開催

○内部統制を推進するため内部統制推進委員会を開催し、平成28年度の方針を決定した。

2. リスクに関するアンケートの実施

○目標達成の阻害要因(リスク)の洗い出しのためアンケートを実施した。

3. 業務に関するヒアリング等の実施

○資金配分事業、経理業務、研究公正・研究倫理、利益相反、知的財産の各業務についてヒアリングを実施しリスクの洗い出しを行った。

○管理部門及び支援部門に対し管理業務等に共通するリスク項目について対応状況を確認した。

4. 内部統制に関する研修の実施

内部統制に関する意識向上のため、役職員に対する研修を実施した。

5. 成果物の取りまとめ

上記1から4の取組により、次の成果物を取りまとめた。

○リスクコントロールマトリクス(RCM) ○業務記述書 ○業務フロー図

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

VIII(2)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、職員のコンプライアンス意識啓発のための研修を実施するとともに、役職員に係る利益相反マネジメントの実施に関する規則を制定するなど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。

コンプライアンスの取組状況(評価指標)

【実績】

1. 規程の周知

- 例規データベースを構築し掲載することにより、役職員倫理規程を常に確認・検索できるようなシステムを構築した。
- 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。
- 機構の業務の公正確保を図るため、役職員に係る利益相反マネジメントの実施に関する規則を策定・周知した。

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3回実施した。
- コンプライアンス研修の参加者数<モニタリング指標>

	H28年度
コンプライアンス研修の参加者数	231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

Ⅷ(3)情報公開の推進等

評価(自己評価)

B

目標・計画に基づき、引き続き、情報公開法等に基づく法人情報公開について、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の掲載などによる情報公開を着実に実施した。また、個人情報の保護について、職員へ教育研修を実施するなどの取組みを着実に実施し、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28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28年度	5件	5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

○個人情報保護規則第42条の規定に基づく台帳について、より適切な管理が行えるよう様式の改正を行った。

○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。

年度	研修名	受講者数
平成28年度	個人情報保護研修	478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)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、情報セキュリティ研修、標的型攻撃メール訓練、ポリシー遵守状況確認のための自己点検を行うなど、着実に情報セキュリティ対策を推進している。また、サイバー攻撃の一つであるDDOS攻撃対策を実施するなどセキュリティ強化の取組を着実に実施している。

情報セキュリティ対策の取組状況(評価指標)

【実績】

○情報セキュリティ研修

- ・平成28年4月に全職員を対象に集合研修を実施した。
- ・平成28年9月から12月にかけて最新の情報セキュリティ上の脅威を含むeラーニングを実施し、受講率100%を達成した。
- ・研修参加者数<モニタリング指標>

	H28年度
研修参加者数	479名

○標的型攻撃メール訓練

- ・平成28年9月と11月に標的型攻撃メール訓練を実施した。前年度に比べ、開封率が大幅に減少する結果となり、研修等の啓発活動による一定の効果が確認できた。

○自己点検

- ・情報セキュリティポリシーの遵守状況を確認するため、平成29年3月に全職員を対象に自己点検を実施した。

○サイバー攻撃に備えるための対策

- ・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一環として、DDOS攻撃対策を実施した。

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

VIII(5) 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、人事評価制度の運用・定着、能力開発研修、女性の活躍促進、育児・介護等制度の利用促進等の取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】

○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28年5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29年1月末までに業績評価、発揮能力評価を実施。また評価者研修会を開催して制度の普及、定着を促進

○人事評価結果の反映

- ・評価結果は、任期制職員等について平成29年度契約更新の判断材料とし、平成29年度の昇給へ反映、平成29年6月の期末手当へ反映予定
- ・定年制職員については、平成27年度の評価結果を平成28年7月の昇給及び期末手当に確実に反映。なお、平成28年度の評価は4月に業績及び発揮能力評価を行い、平成29年度の昇給、期末手当へ反映を予定

VII(5) 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】

- ・業務の効果的、効率的な実施を図るため、基礎事項の周知・徹底、グローバル化等に対応し入構時研修、文書管理、コンプライアンス、ハラスメント他、新たにタイムマネジメント、英会話、英文E-mail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>

	H28年度
研修会等参加者数(延べ人数)	1,083名

- ・AMEDの職員は、各機関等において研究、開発を経験してきた職員が多く、事業を担当する職員はPD、PS、POと共に研究開発プロジェクトのマネジメント業務に従事している。
- ・業務を円滑に遂行し成果を挙げるため、プロジェクトマネジメント能力等を育成し発揮させることが必要であり、これらに優れた能力を発揮し業績をあげている職員を「AMEDプログラムオフィサー」として認定し、業務に対するモチベーションの向上による一層の成果の創出を図った。
- ・平成28年度AMED-PO認定者数:63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、医療研究開発基礎研修(5ヶ月間に13回、延べ1,101名参加)、医薬品開発シミュレーション研修(PMDA共同開催、PMDA職員21名参加)、JST/CRDS講演会を開催

VⅢ(5)職員の意欲向上と能力開発等



4. 女性の活躍を促進するための取組状況(評価指標)

【実績】

- ・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3件)、育児・介護にかかる早出遅出勤務の制度(利用実績10件)、男性職員の育児、介護の制度利用(利用実績2件)などを促進
- ・次世代育成支援対策推進法に基づく一般事業主行動計画を策定し、HPを通じて機構内外へ公表

VIII その他主務省令で定める業務運営に関する事項

(6) 施設及び設備に関する計画(記載事項無し)

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)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業務研修を実施するなどの取組みを着実に実施し、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及び発揮能力評価を計画通り適切に実施
- ・評価結果は、任期制職員等について、平成29年度契約更新の判断材料として用い、平成29年度の昇給、期末手当へ反映を予定。定年制職員は平成29年4月に業績評価、発揮能力評価を行い、平成29年度の昇給、期末手当への反映を予定
- ・また評価結果は、人事配置上の更なる適切性、職員のモチベーション向上を図るため、平成29年4月の人事異動、昇任に具体的に反映

2. 人材の育成に関する運用状況(評価指標)

【実績】

- ・業務の効果的、効率的な実施を図るため、基礎事項の周知・徹底、グローバル化等に対応し入構時研修、文書管理、コンプライアンス、ハラスメント他、新たにタイムマネジメント、英会話、英文E-mail研修を計画通り実施
- ・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、医療研究開発基礎研修(5ヶ月間に13回、延べ1,101名参加)、医薬品開発シミュレーション研修(PMDA共同開催、PMDA職員21名参加)、JST/CRDS講演会を開催
- ・能力開発に係る研修(参加者数)＜モニタリング指標＞

	H28年度
能力開発に係る研修参加者数	延べ1,369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) 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負担はないことから、資金計画にも影響はない。

中長期目標期間を超える債務負担額の状況(評価指標)

【実績】

○中長期計画を超える債務負担はない。(平成29年3月末現在)

○中期目標期間を超える債務負担については、当該債務負担行為の必要性及び資金計画への影響を勘案し、合理的と判断されるものについて行うこととしている。

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)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



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】

○平成27年度決算において積立金はないため、実績なし。