

平成29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	14
③臨床研究及び治験データマネジメントの実行	19
④実用化へ向けた支援	26
⑤研究開発の基盤整備に対する支援	36
⑥国際戦略の推進	47
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	57
(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	64
②医療機器開発	74
③革新的医療技術創出拠点	88
④再生医療	96
⑤オーダーメイド・ゲノム医療	108
⑥疾病に対応した研究＜がん＞	116
⑦疾病に対応した研究＜精神・神経疾患＞	123
⑧疾病に対応した研究＜新興・再興感染症＞	131
⑨疾病に対応した研究＜難病＞	148
⑩健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業	155
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	178
②PDCAサイクルの徹底	184
③適切な調達の実施	187
④外部能力の活用	193
⑤業務の効率化	196
(2) 業務の電子化に関する事項	199
III 予算（人件費の見積りを含む。）、収支計画及び資金計画	208
IV 短期借入金の限度額	211
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	213
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）	215
VII 剰余金の使途	217
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	219
(2) コンプライアンスの推進	223
(3) 情報公開の推進等	226
(4) 情報セキュリティ対策の推進	229
(5) 職員の意欲向上と能力開発等	232
(6) 施設及び設備に関する計画（記載事項無し）	239
(7) 職員の人事に関する計画	240
(8) 中長期目標の期間を超える債務負担	245
(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	247

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

① 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し、医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)において、オールAMEDでの総合的なコンサルテーションによる伴走型支援を開始し、②国際レビューアの導入について、更なる課題評価の質の向上を図るため検討を行い、導入の方針を決定して平成30年度公募から一部の事業において先行的に実施し、③個別課題の進捗評価(go/no-go判断)を重要なステージゲートにおいてより適切に行えるよう、「研究マネジメントチェック項目(医薬品)」を作成して運用を開始し、④研究開発から生じるデータの種類、所在等を把握すべく原則全ての事業においてデータマネジメントプランの提出を求めることとし、⑤AMED研究開発マネジメントシステム(AMS)について、分析基盤の整備を進めるとともに、五独法理事長会合でデータ共有、共同利用をトップレベルで提案して分析基盤の更なる強化に取り組み、⑥AMEDの体制強化のため、組織改編を適時に実施し、⑦研究者等からの相談に更に丁寧かつ的確に応えるため、一元的な対応窓口「AMED Research Compass (AReC)」を開設するなど、所期の目標を大きく上まわった。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。
(例1)革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおける全ての拠点間の連携推進のため、全体会議を開催し、拠点における好事例の共有や重要課題の確認、協議等を実施。
(例2)革新的がん医療実用化研究事業においてサポート機関を設定し、次世代がん医療創生研究事業のサポート機関とともに、基礎研究から実用化までの一気通貫の進捗管理を開始。
(例3)感染症研究革新イニシアティブ(J-PRIDE)において、AMEDの国際的取組との縦横連携により、採択研究者が参加する日英ワークショップを開催し、国際共同研究の土壌を形成。
- 医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)において、オールAMEDでの総合的なコンサルテーションによる伴走型支援を開始。感染症分野の採択課題を対象に支援チームを形成して効果的に支援。
- 9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。
- 平成28年度に導入した10段階共通評価システムによる課題評価を平成29年度から各事業で実施。

- 年度報告の簡素化や、事後評価報告書を活用した総括報告の充実・効率化を実施。
- 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について整備した利益相反マネジメントルールを適切に運用。
- 平成29年11月にAMEDのホームページを刷新し、検索機能の強化等により、公募情報の提供機能を強化。AMEDホームページのページビュー数は着実に増加。
(27年度 約460万件 → 28年度 約610万件 → 29年度 約720万件)。

②国際レビューアの導入

国際水準での評価等を目指し、平成29年6月26日に課題評価英語化タスクフォース(TF)及び同タスクフォースの下にワーキンググループ(WG)を設置することとし、その後、英語化を優先して進めるべき対象事業や事前評価プロセスの英語化及び在外外国人評価委員の導入等について検討を実施した。(TF:4回開催、WG:9回開催)検討の結果、既に実施中の国際事業部における経験も踏まえて、国際レビューアと公募・評価プロセスの英語化をAMEDとして導入することとし、平成30年度公募から一部の事業において、先行して実施した。さらに、平成31年度以降に順次拡大し、本格的に実施していくことを目指し検討を推進。

I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

① 医療に関する研究開発のマネジメントの実現



③ 研究マネジメントチェック項目（医薬品）の作成

AMEDの開発支援の成果を高め、評価の共通基盤を構築するため、個別課題の進捗評価（go/no-go判断）を重要なステージゲートにおいてより適切に行えるよう、「研究マネジメントチェック項目（医薬品）」を作成し、運用を開始。

④ 研究データの統合的活用の推進

④-1 データシェアリングポリシーの対象をゲノム医療研究から難病研究にも拡大。

④-2 研究データの統合的活用に向けた土台づくりとして、公募事業での採択後等に、データの名称や説明、リポジトリ、データサイエンティスト等について記載したデータマネジメントプラン提出を原則全ての事業において義務づけ（適用時期：平成30年5月1日以降にAMEDが新規公募する事業）。

④-3 AMEDへのデータマネジメントプランの提出により、医療研究開発分野における「データサイエンティスト」を登録・公表する仕組みを構築。データサイエンティストの育成に貢献。

⑤ AMSを活用した分析と分析基盤の強化

⑤-1 AMED研究開発マネジメントシステム（AMS）に論文・特許等の成果情報を取り込み、分析基盤の構築を進めるとともに、情報分析企画室において平成28年度における医療研究開発の概況を取りまとめ、公表。また、AMSを活用した俯瞰的な分析を事業課とともに検討し、事例集積を進める等、分析手法の検討を推進。

⑤-2 さらに、医療研究開発の全体俯瞰のため、五独法理事長会合でデータ共有、共同利用をトップレベルで提案し、分析基盤の更なる強化に向けた取組を開始。

⑥ AMEDの体制強化のための組織改編

⑥-1 平成29年4月に、基盤研究を横割りで担う「基盤研究事業部」を整備し、また、医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）を担う「革新基盤創成事業部」を新設。さらに、エビデンスベースの事業企画、事業マネジメント等の機能を目指すため、機構横断的な組織として、情報分析企画室を設置。

⑥-2 平成29年7月に、AMED全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行う体制を構築するため「創薬戦略部」を整備し、また、ICT、AIの基盤整備を担うICT基盤研究グループを臨床研究・治験基盤事業部に設置。

⑥-3 AMED職員については、プロパー職員制度を導入するとともに、プロジェクトマネジメントに一定の経験、知識、能力等により従事することを理事長が認定するAMED-PO（AMEDプログラムオフィサー）の運営を本格化。

⑦ ワンストップサービスAReC

研究者等からの該当事業等についての相談に更に丁寧かつ的確に応えるため、業務経験や知識等の一定の要件を有するAMEDプログラムオフィサー（AMED-PO）で構成される「ワンストップサービス対応チーム」を新たに構築し、一元的な対応窓口「AMED Research Compass（AReC）」を平成30年2月1日にAMEDウェブサイト開設。

I. (1)AMED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



① 平成29年度プロジェクト連携シンポジウム

平成28年度の参加者からの意見を踏まえ、各連携分野のPD及びAMED内でテーマを以下の3つに絞り、PD・PS・POと、各テーマに関連するAMED及び他省庁の取組に関する情報を共有したうえで、現在と将来の課題と連携分野間の今後の協調の可能性についてPDを中心とした討議を行うことで、各連携分野間のさらなる連携を図った。

④-1 小児・AYA世代の心身の健康と医療を産官学の立場から考える

小児、AYA (Adolescent and Young Adult: 思春期及び若年成人) 世代における国内臨床開発の現状の課題と取組みを共有したうえで、今後さらに促進するうえでのAMEDとしてどのような支援ができ得るのかを討論した。

④-2 実用化加速に向けて出口戦略を考える

平成28年度から引き続きで実施するものとし、基礎研究を着実に実用化へ導いていくための、開発プロセス・マネジメントにおける現状と今後の課題や方向性を討論した。

④-3 若手研究者・人材育成(国際展開の視点を含む)

若手研究者の育成やアカデミアにおいて質の高い臨床研究・治験を実施するうえで必要な各種人材育成の現状と課題を把握し、AMEDとして今後どのような取組によりこれらの支援ができるのかについて総合討論を行った。

平成29年度プロジェクト連携シンポジウム

開催日	テーマ	ファシリテーター	参加者数	演者	PDPSPPO	省庁	拠点	AMED
2017/12/15	小児・AYA世代の心身の健康と医療を産官学の立場から考える	成育疾患PS 清野佳紀 AMED統括役 泉陽子	120	15	25	13	17	50
2017/12/21	実用化加速に向けて出口戦略を考える	革新PD 猿田 享男 医薬品PD 竹中 登一	177	6	42	5	31	93
2018/1/15	若手研究者・人材育成(国際展開の視点を含む)	がんPD 堀田知光 医療機器PD 菊地眞	140	7	32	9	23	69

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

②英語化(国際レビューアの導入)

目的と期待される効果	▶ 課題評価の質の一層の向上（世界水準での課題評価、COIによる評価者確保困難の克服）、日本の研究環境の国際化への貢献（世界最先端の基礎研究への日本の研究者の参加促進、多国籍・多施設の臨床研究への日本の研究者の参加促進）
国際レビューアとは	▶ 国外の施設に在籍する外国人または日本人専門家、世界水準の研究を理解し、海外FAの課題評価を実施
導入方法	▶ 公募要領→英文化、申請者提出書類（特に科学的評価部分）→英文化、書面評価に導入
導入計画	▶ 平成30年度事業は一部で先行実施、平成31年度事業では、全ての事業部（戦略推進部は課）で若手枠等少なくとも1トラックの公募で実施、具体的方法は各事業の特性を踏まえ検討、安全保障輸出管理体制は、平成30年2月から本格運用
課 題	▶ 国際レビューア候補者の選定、実際の協力、事前評価に要する期間の延長、日本人評価委員の負担、AMED職員のエフォート

国際レビューア導入を計画中の事業

部・課	対象事業	年度	公募枠
戦略推進部			
再生医療研究課	幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム	H31年度	国際連携枠
がん研究課	次世代がん医療創生事業	H31年度 1次公募	若手枠
脳とこころの 研究課	認知症研究開発事業 障害者対策総合研究開発事業	H31年度	事業の一部
難病研究課	難治性疾患実用化研究事業	H31年度 1次公募	病態解明枠
感染症研究課	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	H31年度	若手育成枠
産学連携部			
産学連携課	産学連携医療イノベーション創出プログラム(セットアップスキーム)(ACT-MS)	H30年度	
医療機器研究課	開発途上国・振興国等における医療技術等実用化研究事業	H30年度	
臨床研究・治験基盤事業部			
臨床研究課	臨床研究・治験推進研究事業のうち疾患登録システム(患者レジストリ)に関する研究	H31年度 1次公募	
臨床研究課 ICT基盤研究G	IoT等活用生活習慣病行動変容研究事業	H31年度	IoT活用による健康情報等を活用した行動変容等に関する基礎的研究
基盤研究事業部			
研究企画課	革新的先端研究開発支援事業・AMED-CREST	H30年度	新規領域
創薬戦略部			
医薬品研究課	次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業	H30年度	バイオ医薬品の高度製造技術の開発

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

③研究マネジメントチェック項目(医薬品)の作成と運用

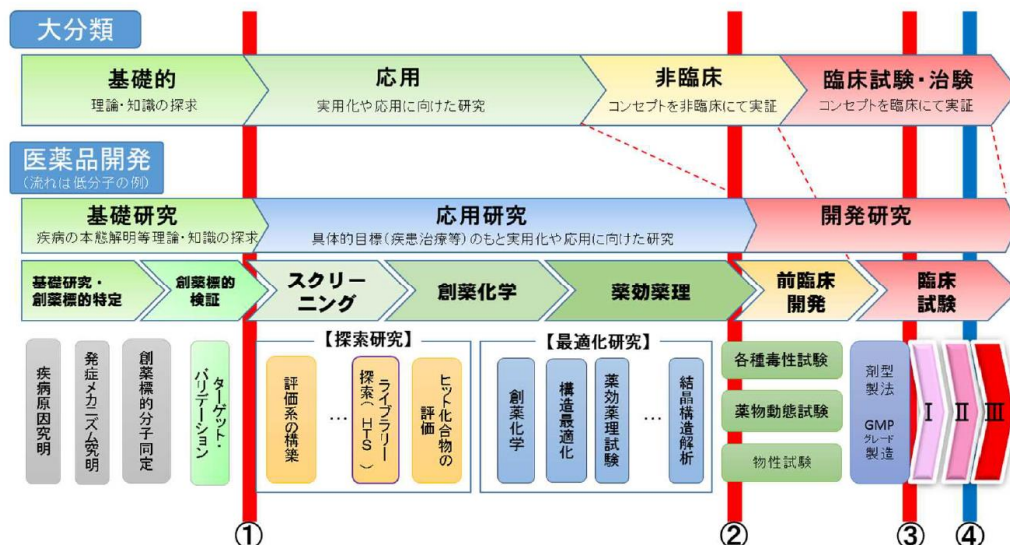
- ・当該チェック項目をAMED内で横断的に運用するため、「研究課題マネジメント会議」及び関係部課で構成されるワーキンググループをAMED内に組織し、平成30年度に開始する公募課題から運用を開始した。

◆研究マネジメントチェック項目(医薬品)について(HP公開資料より)

○目的

AMEDの支援により、アカデミア等が実施する医薬品等の研究開発に関し、適切な時点(ステージゲート)において、それまでの進捗状況等にかかる評価(Go/no-go 判断)を個別に行うことで、AMEDの研究開発支援の成果を一層高めるとともに、研究費の効果的な配分・使用に資することを目的とする。

アカデミア等は、チェック項目を確認することで、①各ステージゲートまでに最低限満たすべき事項を整理するとともに、②次のステージゲートまでに検討・解決すべき事項を整理することで、今後の開発研究の計画・実施に役立てることが可能となる。



ステージゲート①: 創薬標的検証終了時点
 ステージゲート②: 前臨床開発開始前時点
 ステージゲート③: 臨床第Ⅰ相開始前時点
 ステージゲート④: 探索的試験終了時点

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



④ー2 データマネジメントプランの作成

公的資金により行われる研究開発から生じるデータ等は国民共通の知的資産でもあり、AMEDは、現状では把握できていないデータの所在等を把握し、データの収集、質の確保、意味づけ、保存と活用等が適切かつ公正に行われるよう推進する役割がある。

平成30年度より『データマネジメントプラン』提出を義務化

- ✓ データマネジメントプランは、どの研究開発課題で、どんなデータが産出され、誰がどこに保有しているのかを記載するものである。
- ✓ 併せて、基本的なデータ管理を進める上で必須となるデータサイエンティスト等を記載する。
- ✓ AMEDがデータの所在等を把握することにより、マネジメント機能または触媒機能を強化し、可能な範囲で異なる研究開発課題間での連携促進や二重研究開発の回避等に役立てる。
- ✓ 副次的な効果として、研究コミュニティでデータを適切に整理・体系化する文化が醸成されることにも期待する。

④ー3 データサイエンティストの公表

データ管理・解析を推進していく上で、データサイエンティストの確保は必須であり、その人材育成やキャリアパス等については、これまでも多くの議論がなされている。

- ✓ AMEDは、医療研究開発分野における「データサイエンティスト」を登録・公表する仕組みを構築する予定であり、氏名等を見える化することで、その地位向上等につなげたいと考えている。

平成30年3月20日、AMEDホームページにデータマネジメントプランの提出の義務化について掲載。

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

⑥AMEDの組織改編

平成29年4月の組織改編（青字部分）

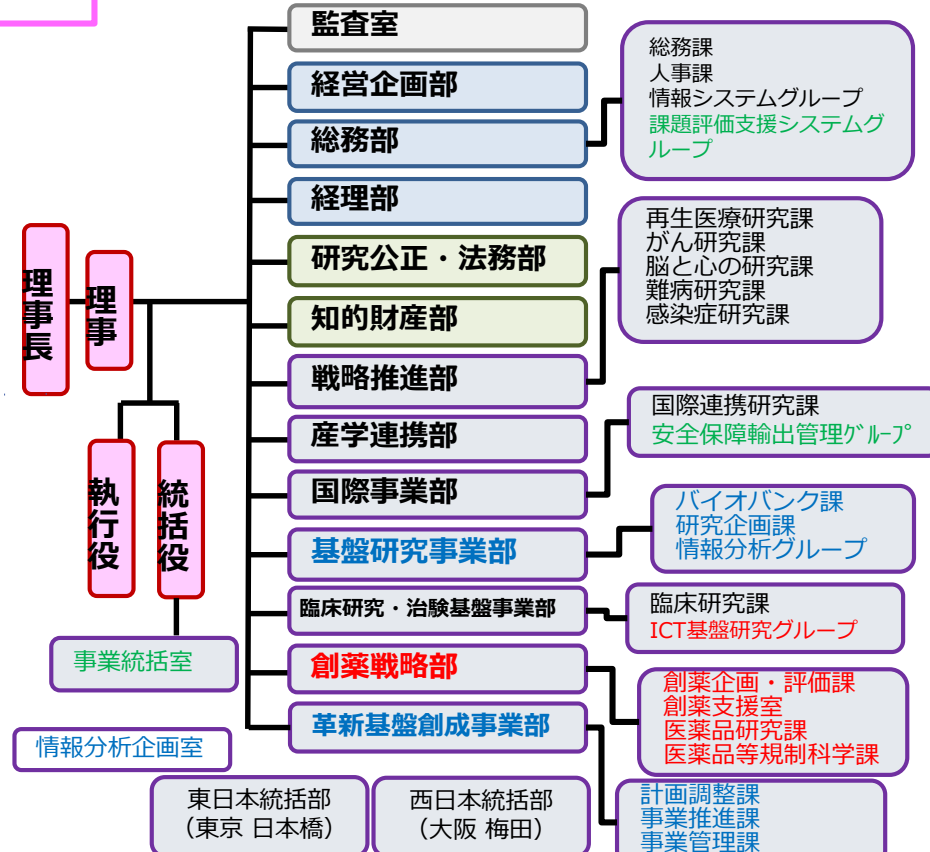
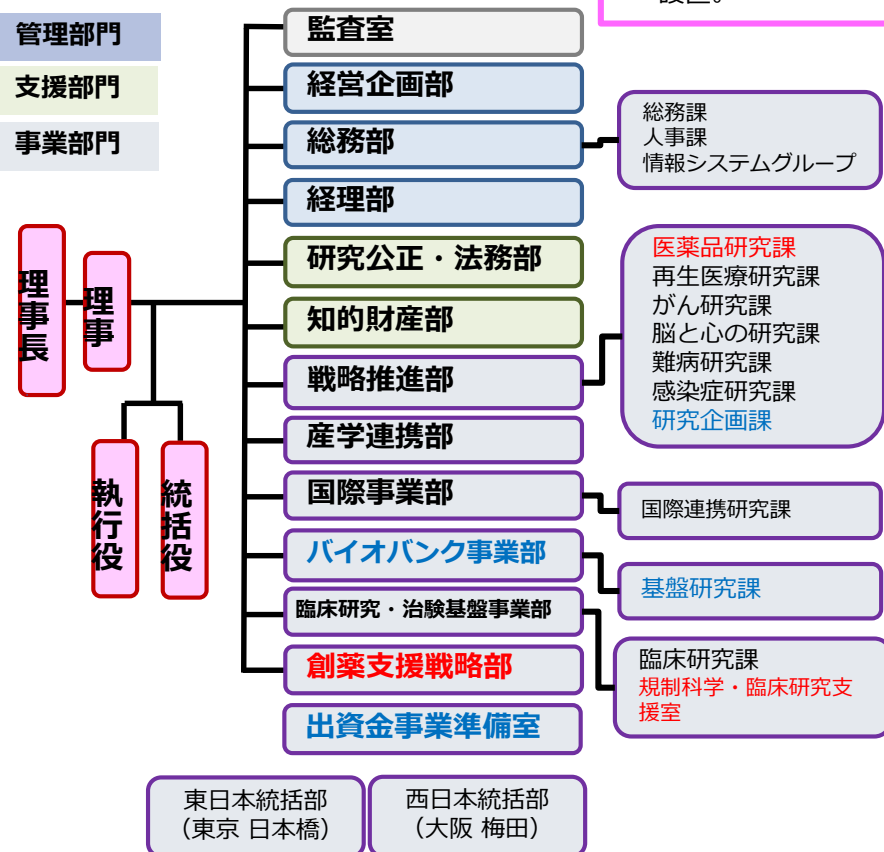
- 基盤研究の関係課を集約し、基盤研究を横割りで担う**基盤研究事業部**を整備。
- 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）を担う**革新基盤創成事業部**を新設。
- AMS＊を構築し、エビデンスベースの事業企画、事業マネジメント、施策提案等の機能を目指すため、機構横断的な組織として、**情報分析企画室**（統括役が室長）を設置。＊AMS:AMED研究開発マネジメントシステム

平成29年7月の組織改編（赤字部分）

- 「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトの関係課室の集約・一体化を図るとともに、同プロジェクトと他のAMED事業との連携を進め、AMED全体の創業シーズの横断的評価や戦略立案を行う体制を構築するため、**創薬戦略部**を整備。
- ICT、AIの基盤整備を担う**ICT基盤研究グループ**を臨床研究・治験基盤事業部に設置。

平成29年10月以降の組織改編（緑字部分）

- 課題評価のオンライン化に関する開発・運用の体制を整備するため、総務部に課題評価支援システムグループを設置（平成29年10月）。
- 英語による評価等を実現するために、並行して「安全保障輸出管理」の体制と仕組の構築が一層必要となることから、国際事業部に安全保障輸出管理グループを設置（平成30年1月）。
- 統括役の業務に属する事業に係る横断的事項の企画立案及び調整に関するもののうち、国際レビュー導入支援など統括役が指示した業務を行う事業統括室を設置（平成30年2月）。



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



⑦ワンストップサービスAReC

部署横断的な取り組みとして運用する、一元的な対応窓口として「AMED Research Compass (AReC)」をホームページ上に開設

AMEDのHP画面より(一部抜粋)

相談の流れ



1. まず、以下のPDFファイルに掲載されている「事業の対象範囲や関連する用語等」をご参照いただき、ご自身の研究内容のキーワードと合致するもしくは関連のある事業がないかご確認ください。

・ [事業および研究分野一覧](#)

該当する事業がある場合には、各事業のページに問い合わせ先が記載されておりますので、そちらにご連絡ください。

・ [事業紹介ページ](#)

2. 該当する事業がない、もしくは不明な場合はEmailにて相談を受け付けます。

相談は無料です。下記「お問い合わせ先」に記載の内容に従って、
arec”at”amed.go.jp
までEmailをお送りください。

3. AMED-POで構成される一元的な対応窓口「AReC」より、相談内容について返信いたします。

原則、1週間以内に受付についてのご連絡を差し上げた後に、ご相談に関する回答をいたします。場合によっては相談内容の詳細を把握させていただくため、面談を設定する場合もございます。

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

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

- 研究・経営評議会に関しては、平成29年度第1回会合を平成29年6月2日に、第2回会合を6月21日に、第3回会合を平成29年11月8日、第4回会合を平成30年3月14日に開催した。アドバイザリーボードに関しては、平成29年度第1回会合を平成29年11月20日に、第2回会合を平成30年3月16日に開催した。それぞれの回において、機構の取組や課題について説明し、委員から様々な意見やニーズを聴取した。
IRUD（未診断疾患イニシアチブ）やICTによるデータ基盤整備、AMEDの組織改編、医薬品研究開発マネジメントチェック項目、国際レビューアの導入、データシェアリング、認知症研究の充実、子どもの健全な成育に資する研究等について評価、期待する意見等をいただきその後の取組を推進した。
- 研究・経営評議会が行った外部評価については、各部において指摘事項に対するアクションプランを策定し実行に向け対応した。
- 五独法理事長会合を主催し（平成30年3月）、データ共有、共同利用をトップレベルで提案して、AMSの分析基盤の更なる強化に向けた取組を開始した。

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については、PS・PO及び機構職員によるサイトビジットによる研究者等からの直接聞き取りを行うなど、各部各課においてシーズ・ニーズ把握とその活用に向けた取組が行われており、こうした取組により、研究機関等との連携を進めている。
- ファンディングエージェンシー（FA）としての将来戦略に資する基盤情報を収集、また、国内外FAの取組も参考に、機構全体で整合性のあるファンディング成果の把握手法について検討を推進。

評価軸

AMEDが実施する課題をはじめとする関連研究開発のデータベースを構築し、ファンディングに係るマネジメント等への活用を図ったか。

- AMED研究開発マネジメントシステム（AMS）に論文・特許等の成果情報を取り込み、分析基盤の構築を進めるとともに、情報分析企画室において平成28年度における医療研究開発の概況を取りまとめ、公表。また、AMSを活用した俯瞰的な分析を事業課とともに検討し、事例集積を進める等、分析手法の検討を推進。

I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

① 医療に関する研究開発のマネジメントの実現



評価軸

個別研究課題の選定にピア・レビューを行うための評価委員会を設置し、評価の質及び公正性・透明性の一層の向上を図り、成果が見込まれる適切な研究課題を選定したか。

- 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開催し、個別研究課題の選定を実施。選定に際しては、評価委員について整備した利益相反マネジメントルールを適切に運用した。
- 課題評価において、その俯瞰・分析につなげるため、各事業で異なっていた評価手法の共通化を図るため、平成28年度に導入した10段階共通評価システムについて、平成29年度から各事業で実施した。
- AMEDの開発支援の成果を高め、評価の共通基盤を構築するため、個別課題の進捗評価（go/no-go判断）を重要なステージゲートにおいてより適切に行えるよう、「研究マネジメントチェック項目（医薬品）」を作成し、運用を開始。
- 国際水準での評価等を目指し、平成29年6月26日に課題評価英語化タスクフォース（TF）及び同タスクフォースの下にワーキンググループ（WG）を設置することとし、その後、英語化を優先して進めるべき対象事業や事前評価プロセスの英語化及び在外外国人評価委員の導入等について検討を実施した。（TF：4回開催、WG：9回開催）検討の結果、既に実施中の国際事業部における経験も踏まえて、国際レビューと公募・評価プロセスの英語化をAMEDとして導入することとし、平成30年度公募から一部の事業において、先行して実施した。さらに、平成31年度以降に順次拡大し、本格的に実施していくことを目指し検討を推進。
- 公募の実施に当たっては、公募要領の共通事項を整理・統一し、標準化を行うとともに、研究開発提案書の府省共通様式に統一化を行った。課題の評価において事前に評価に資するポイント（採択要件に対する事務局評価並びに懸念点等）を事務局にてまとめ、評価委員に提示することにより、評価委員の負担軽減や採択要件に沿った課題採択につなげるようにしている。

評価軸

世界の最新の情勢を把握したPD、PS、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。

- PD・PS・POによるマネジメントのもと、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、課題間連携の推進、研究方針の修正等のプロジェクトマネジメントを行った。また、PD・PS・POについて整備した利益相反マネジメントルールを適切に運用した。
 - （例1）革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおける全ての拠点間の連携推進のため、全体会議を開催し、拠点における好事例の共有や重要課題の確認、協議等を実施。
 - （例2）革新的がん医療実用化研究事業においてサポート機関を設定し、次世代がん医療創生研究事業のサポート機関とともに、基礎研究から実用化までの一貫通貫の進捗管理を開始。
 - （例3）感染症研究革新イニシアティブ（J-PRIDE）において、AMEDの国際的取組との縦横連携により、採択研究者が参加する日英ワークショップを開催し、国際共同研究の土壌を形成。
- 医療研究開発革新基盤創成事業（GICLE）において、オールAMEDでの総合的なコンサルテーションによる伴走型支援を開始。感染症分野の採択課題を対象に支援チームを形成して効果的に支援。
- 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、新規公募等への反映を行い、事業成果の最大化を目指した事業運営を実施。

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、AMED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。

- 継続して「研究費の機能的運用」を実施することで、研究機器の合理的運用や研究費の機動的運用（研究費の増額（調整費による増額や採択課題数の増加、新たな研究課題の募集）、研究費の合算使用（機器の合算購入、旅費等の合算使用）、費目の大括り化・流用制限の緩和、執行状況に応じた予算配分、年度を跨ぐ物品調達・役務提供に係る契約）、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準備、採択決定から契約締結までの期間短縮）を図り、研究成果の最大化に寄与した。

評価軸

ピア・レビューの方法や研究開発提案書について、国際的知見の収集等を行い、国際的視点も意識しつつ、これまで各分野で異なっていた評価システムの共通化を進めたか。

- 課題評価において、その俯瞰・分析につなげるため、各事業で異なっていた評価手法の共通化を図るため、平成28年度に導入した10段階共通評価システムについて、平成29年度から各事業で実施した。
- 国際水準での評価等を目指し、平成29年6月26日に課題評価英語化タスクフォース（TF）及び同タスクフォースの下にワーキンググループ（WG）を設置することとし、その後、英語化を優先して進めるべき対象事業や事前評価プロセスの英語化及び在外外国人評価委員の導入等について検討を実施した。（TF：4回開催、WG：9回開催）検討の結果、既に実施中の国際事業部における経験も踏まえて、国際レビューと公募・評価プロセスの英語化をAMEDとして導入することとし、平成30年度公募から一部の事業において、先行して実施した。さらに、平成31年度以降に順次拡大し、本格的に実施していくことを目指し検討を推進。

I 研究開発成果の最大化その他 業務の質の向上に関する事項

(1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

②研究不正防止の取組の推進

I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

② 研究不正防止の取組の推進



評定(自己評価)

A

- ① **RIOネットワーク**による積極的な情報交換、不正行為等事例集(ケースブック)の普及、研究倫理教育に関するモデル教材・プログラム開発等の推進、研究倫理ホームページの構築、関係機関との連携したシンポジウム、セミナーを開催するなどにより、他の配分機関にない特徴的な取組を行うことにより、ノウハウの蓄積及び人材育成に強力に推進するとともに、
- ② 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制度の整備を実施するなど、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 ノウハウの蓄積と専門的人材育成の取組

①-1 **RIOネットワーク** (Research Integrity Officer: 研究公正責任者の略)

研究機関の研究公正関係者は組織内において、連携・協力関係が希薄な存在になりがちなところ、AMEDがそのような立場の者を横断的に結びつけ、気軽に情報交換ができる場を提供すべく、平成29年7月に『RIOネットワーク』を構築した。同年9月から**毎週メールマガジン**を配信し、また、同年11月29日には、東京で**キックオフシンポジウム**(一般参加者は320名)を開催し、参加者とのフリーディスカッションや質問への回答をHPに掲載するなどして、活発な情報交換・共有を行った。

RIOネットワーク参加者(構築時: 約800機関、約1,700人、メールマガジン配信・キックオフシンポジウム後: 約850機関、約1,800名、3月末: 約900機関、約2,000名)。

①-2 ケースブック

主に医療分野における研究不正事例を集めたケースブックとして、ディスカッション形式を想定し、実例をもとにした効果的な教育教材として平成30年3月に作成し、RIOネットワークなどを通じて約700部を配布した。

①-3 研究倫理教育に関するモデル教材・プログラム開発等

研究倫理教育に関するモデルとなる教材やプログラム開発において作成された教材等を公開した。

①-4 研究倫理ホームページ

主に臨床研究法や研究倫理指針を適用して実施される研究開発に携わる者に対して、研究倫理に関する諸情報を集約した「研究倫理ホームページ」を構築した。

① ノウハウの蓄積と専門的人材育成の取組(続き)

①-5 セミナー・シンポジウム

関係機関との連携した以下のシンポジウム、セミナーを開催

- ・ 平成29年12月12日に、東京で研究公正セミナー『事例から学ぶ公正な研究活動セミナー』を開催した。5名の講師の講演があり、参加者は90名だった。

② 研究公正の啓発活動の推進及び体制の整備

②-1 規則、契約書等の整備と周知

- ・ 「不正行為等への対応に関する規則」及び「利益相反の管理に関する規則」を運用するとともに、必要に応じて改訂して研究機関に周知した。
- ・ 研究機関からの要望に応じ、出前説明会で2機関208名参加。
- ・ 個人情報保護法等の改正に伴う「研究倫理指針の改正に関する説明会」を、文部科学省及び厚生労働省と連携して平成29年5月から6月にかけて広島市、高松市、熊本市、盛岡市、旭川市で開催(134名参加)した。

②-2 事業部門との連携

- ・ これまでの、不正事案への対応を踏まえ、不正発生時における機構内関係部署との連携・協力をより効率的に進めるためのフロー等について必要な見直しを行い、機構内で認識を共有するなど体制の整備を行った。

I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

②研究不正防止の取組の推進

①-1 RIOネットワーク

研究公正活動を効率的に推進するにあたっては、AMEDと研究機関、あるいは研究機関同士が情報を交換し、互いに協力しあって推進していくことが重要。

全国的に効率的な研究公正活動を推進するため、AMEDから研究資金の配分を受けている研究機関の研究公正関係者が気軽に情報交換ができる場を提供すべく、「RIOネットワーク」を設立。

RIO : Research Integrity Officer (研究公正責任者) の略

RIOネットワークのメンバー

- AMEDから研究資金の配分を受けている研究機関等に所属する次の者
 - 研究公正責任者 (研究倫理教育責任者及びコンプライアンス推進責任者)
 - 研究公正担当者 (不正防止の教育研修に携わっている教員や事務職員等)
- 研究活動における不正防止あるいは研究費の不正使用防止に関する活動を行っている者

平成29年度の主な活動

- 平成29年7月21日から登録開始
平成30年4月1日時点の登録者数 : 2073名
登録機関数 : 約900機関
- 平成29年9月20日から原則毎週水曜日にメールマガジンを発行
- 平成29年11月29日に東京でキックオフシンポジウムを開催 (JSPS, JST共催)

「志向倫理」がメインテーマ

一般参加者数 : 320名

講演の動画、講演資料、講師と参加者によるフリーディスカッション、参加者アンケートに書かれた質問への講師の回答などをAMEDのホームページで公開

☆☆☆ AMED RIOネットワークメールマガジン
☆☆ 2017年11月22日号

こんにちは。
AMEDのRIOネットワークに関する情報をお届けするメールマガジン「AMED RIOネットワークメールマガジン」です。
どうぞよろしくお願いいたします。

／／
★
RIOネットワークキックオフシンポジウム「考え、気づかせる」研究倫理教育

標記シンポジウムは、おかげ様で満席に近い申し込み状況となっております。
参加を希望される方は、早めの申し込みをお願いします。

参加申込方法等の詳細は、AMEDのHPをご覧ください。
https://www.amed.go.jp/news/event/20171129_riosympo.html

開催日の都合が悪くなった場合は、代理の方に出席いただいても結構です。
その場合は、返信された参加受付メールでそのままご参加ください。
代理参加もご参加をキャンセルされる場合は、ご面倒でも下記アドレスへメールでご連絡ください。
一人でも多くの方に参加していただくためですので、ご協力をよろしくお願いいたします。
rianetwork2017@mc.co.jp



2017 11/29 WED 13:30-17:10
13:00 開場 (受付開始)

北とびあ つつじホール
〒100-0001 東京都千代田区千代田1-1-1
JR丸の内線 千代田駅 徒歩5分

定員: 350名 (要予約)

◆ PROGRAM ◆

1 13:30-14:30
開会式 挨拶 講演 質疑応答
講演者: 山崎 隆夫 (AMED 研究公正推進部長)

2 14:30-15:30
講演 質疑応答
講演者: 西川 祐司 (AMED 研究公正推進部長)

3 15:30-17:05
講演 質疑応答
講演者: 西川 祐司 (AMED 研究公正推進部長)

講演と参加者によるフリーディスカッション
参加者アンケートに「考え、気づかせる」について記入してください

問合せ先: AMED 研究公正推進部
TEL: 03-6362-0117
FAX: 03-6362-0181
Eメール: rianetwork@amed.go.jp
rianetwork2017@mc.co.jp

RIO NETWORK BY AMED

I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

②研究不正防止の取組の推進

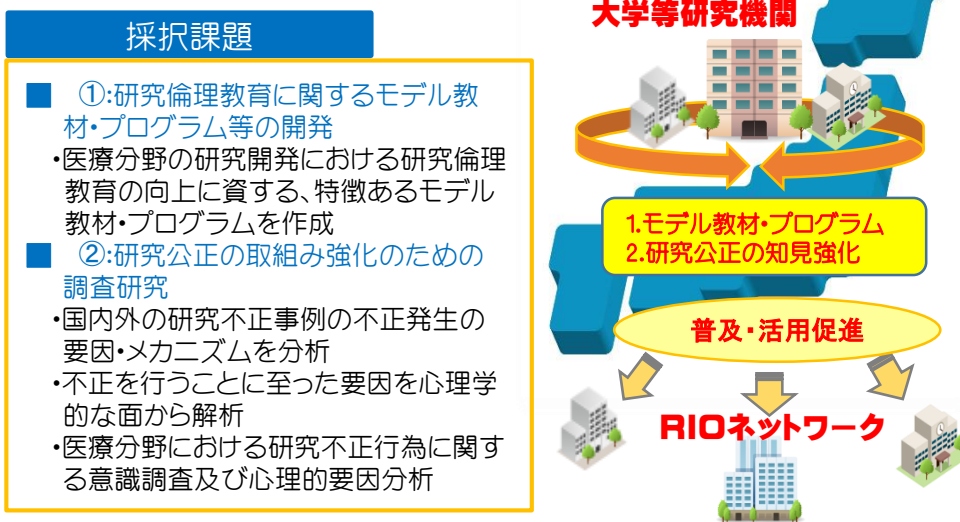
①-2 ケースブック作成等

・研究者が自ら考え、複数人の参加者同士で議論を行うことを目的とし、「双方向型の研究倫理教育プログラム」向けの教育教材として、主に医療分野の研究開発における不正行為等事例集「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」(普及版)を平成30年3月に作成し、RIOネットワークなどを通じて約700部を配布・普及した。



①-3 研究公正高度化モデル開発支援事業

- 研究不正防止の取組推進のため、各研究機関が行う研究公正高度化のための各種取組を支援する。



①-4 研究倫理ホームページ

- 臨床研究法や研究倫理指針を適用して実施される研究開発に携わる者(研究者、倫理審査委員会の委員、及び事務局員、研究倫理コンサルタントなど)に、機構の研究倫理に関する諸情報等を集約して、わかりやすく提供するための、「研究倫理ホームページ」を構築した。



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研究不正防止の取組の推進



評価軸

- ・基礎研究及び臨床研究における不正防止の取組を推進するため、専門の部署を設置したか。
- ・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。

■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

■規則、契約書等の整備と周知(前ページ等の②-1を参照のこと)及び事業部門との連携(前ページ等の②-2を参照のこと)

■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

- ・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、資金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と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。
- ・e-Radの大規模な改修に向けての事業担当者への説明会を開催し、情報共有を図るとともに、研究機関等に対してホームページにより周知を行った。

▼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: 845名

■適正な臨床研究推進に向けた取組

- ・臨床研究適合性確認事業において、臨床研究を実施する機関における臨床研究や、倫理審査委員会での手続等について、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」の遵守状況を、14機関を対象に、調査票をもとに書面及び実地にて確認した。
- ・上記確認の結果、改正後の倫理指針に対応した規定および手順書が整備されており、また、研究者や倫理審査委員会事務局の運用を支援する体制整備が進められていた。さらに、臨床研究法の施行を見据えて、法に基づく臨床研究審査委員会に対する体制整備を進めている機関も見られた。各機関の遵守状況の結果については厚生労働省へ報告した。手続き上の不備等が見られた機関については、厚生労働省指示のもと改善策及びその後の状況を確認し、その結果を厚生労働省に報告した。

■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して研究倫理教育プログラム履修の義務付け、報告書未提出の課題については提出の督促を行った。
- ・利益相反管理については、平成30年3月31日で経過措置が終了となるため、小規模な企業や病院でも利益相反管理が実施可能となるようにAMEDの規則を改正し、平成30年度以降に契約をする者においては、研究開発代表研究者および研究開発分担者において、必ず利益相反管理を実施できる体制を整えた。

■ノウハウの蓄積と専門的人材育成の取組(前ページ等の①-1～①-5を参照のこと)

▼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説明会: 13回、1,306名

シンポジウム等(共催含む): 2回、410名(計……15回、1,716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



評定(自己評価)

B

①外部委託で推進してきた進捗管理の手法を着実に承継して効率的なマネジメントを実施し、また中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会において多施設からの一括審査を可能とすることでより質の高い治験データマネジメント実施を促進した。②質の高い臨床研究の実施のために必要な臨床研究コーディネーターなど多職種の研修を実施し、③、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した。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められ、着実な業務運営がなされている。

① 研究マネジメントの効率的な実施

- ①-1 臨床研究・治験推進研究事業において、医薬基盤・健康・栄養研究所の進捗管理手法を着実に承継し、更なる改善を加えた上でAMEDにおける効率的な研究マネジメントを実施した。
- ①-2 平成28年度の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で作成された「多機関共同研究における倫理審査委員集約化に関するガイドライン」等を活用しながら、臨床研究中核病院等に設置されている治験審査委員会・倫理委員会で、他施設からの審査依頼を受け、一括審査をするための体制を整備し、実際に一括審査を行った。

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)、治験・倫理審査委員、医師を対象とした研修(上級者CRC養成研修、DM養成研修、治験審査委員会・倫理審査委員会委員養成研修、臨床研究・治験従事者研修)を開催。合計約600名の参加者を得た。

③ICT基盤構築に係る研究の推進

臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業において、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

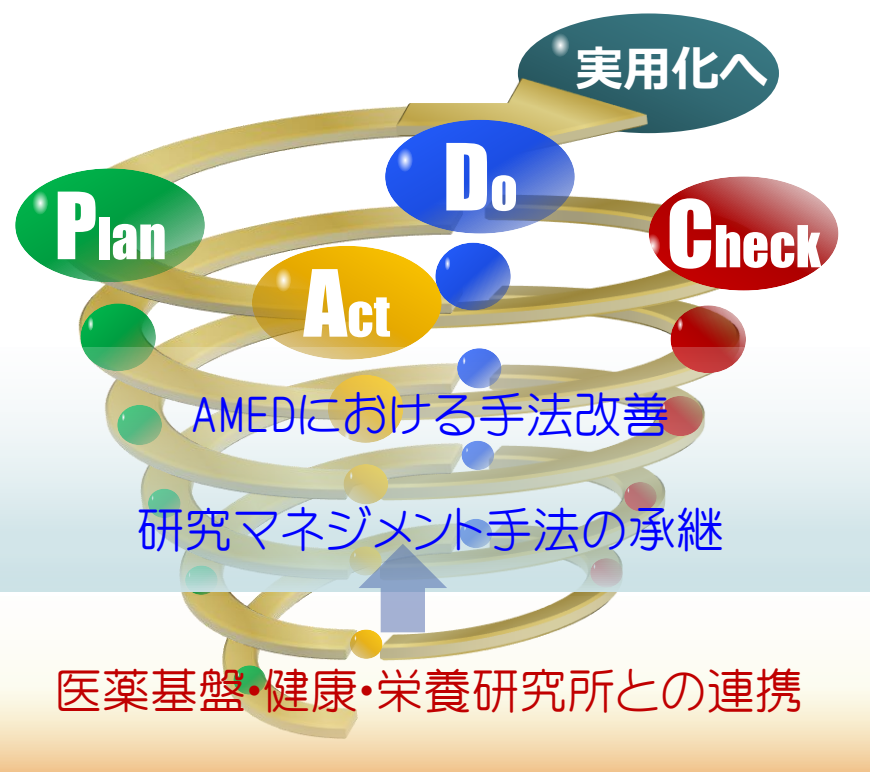
I (1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

③臨床研究及び治験データマネジメントの実行

①研究マネジメントの効率的な実施

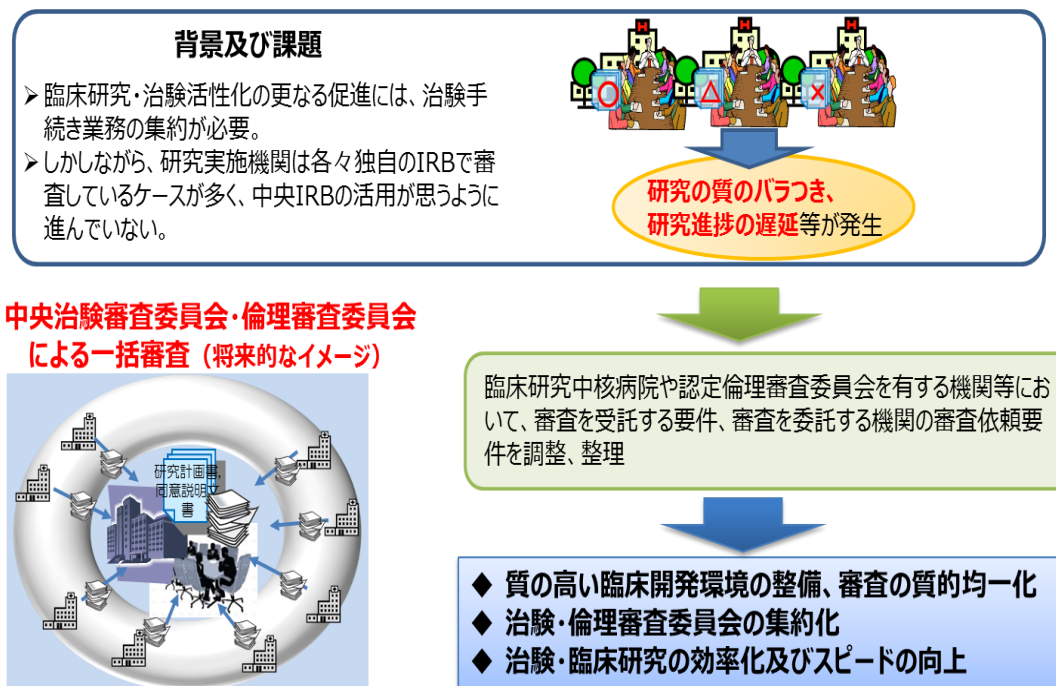
①-1 臨床研究・治験推進研究事業

研究成果を確実に実用化に結びつけるため、PDCAサイクルに基づく進捗管理手法を引き継ぎ、AMED独自の改善を加えて効率的な研究マネジメントを実行した。



①-2 中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備

平成28年度事業で作成された「機関共同研究における倫理審査委員集約化に関するガイドライン」等を活用しながら、臨床研究中核病院等の治験審査委員会・倫理委員会で、他施設からの審査依頼を受け、一括審査をするための体制を整備し、実際に一括審査を行った。



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

③臨床研究及び治験データマネジメントの実行



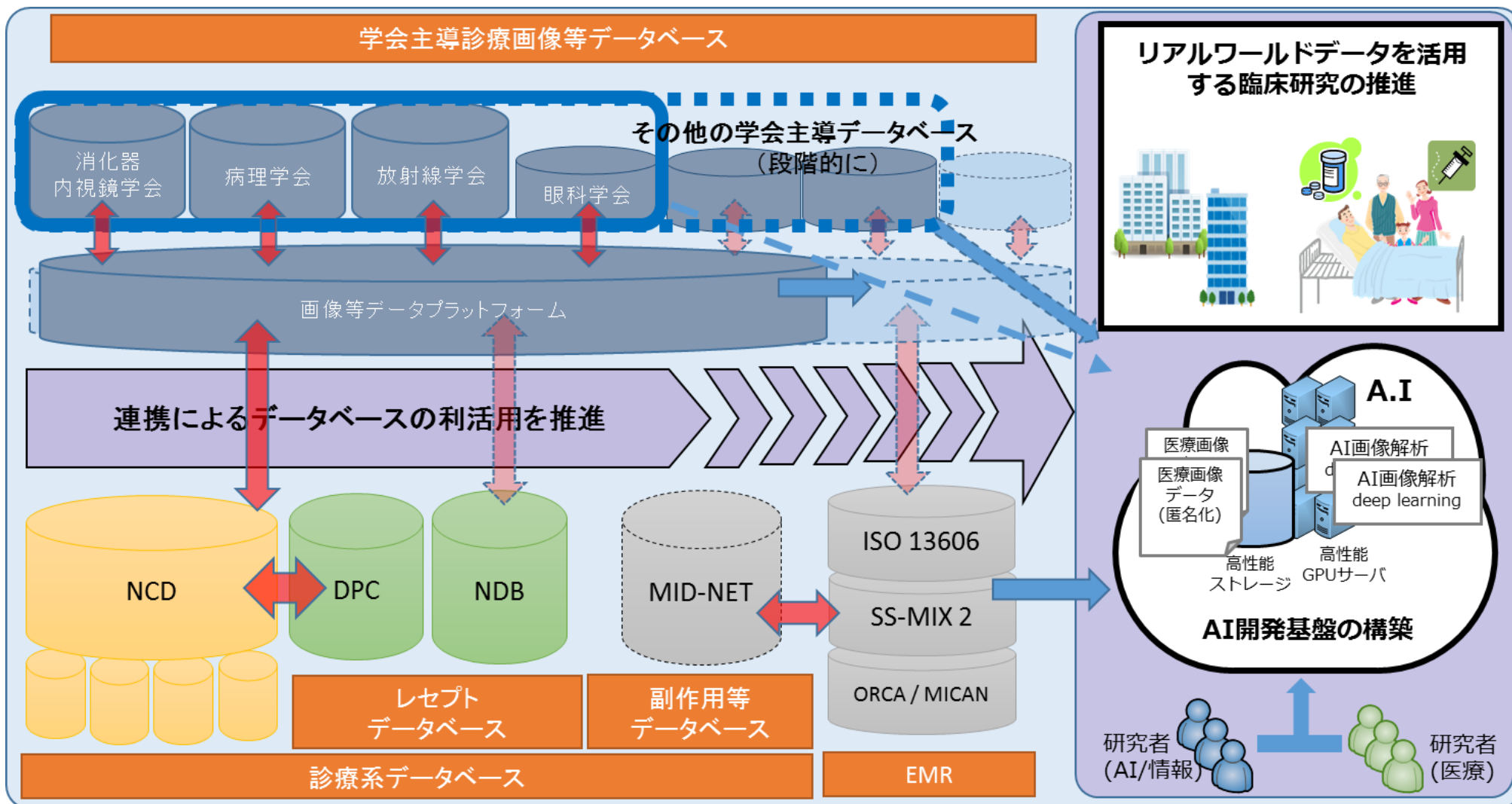
②臨床研究・治験従事者の育成

研修内容	開催日	主催
臨床研究・治験従事者研修	平成29年10月14日(土) 平成29年11月18日(土) 平成29年12月2日(土) 平成29年12月3日(日) 平成29年12月10日(日) 平成29年12月16日(土) 平成29年12月17日(日) 平成30年1月13日(土) 平成30年2月10日(土)	東京大学医学部附属病院 東京大学医学部附属病院 九州大学病院 国立がん研究センター東病院 京都大学医学部附属病院 岡山大学病院 慶應義塾大学病院 大阪大学医学部附属病院 東北大学病院
上級者臨床研究コーディネーター養成研修	平成29年10月21日(土)～22日(日) 平成29年11月30日(木)～12月1日(金) 平成30年1月7日(日)～8日(月)	大阪大学医学部附属病院 国立がん研究センター中央病院 国立がん研究センター東病院
倫理審査委員会・治験審査委員会養成研修	平成29年9月9日(土) 平成29年9月16日(土) 平成29年12月3日(日) 平成30年1月27日(土) 平成30年2月2日(金) 平成30年2月18日(日) 平成30年3月9日(金)	国立がん研究センター中央病院 大阪大学医学部附属病院 名古屋大学医学部附属病院 九州大学病院 東京大学医学部附属病院 慶應義塾大学病院 東京大学医学部附属病院
データマネージャー養成研修	平成29年11月24日(金)～25日(土) 平成29年12月16日(土)～17日(日) 平成30年2月9日(金)～10日(土)	東北大学病院 大阪大学医学部附属病院 千葉大学医学部附属病院

I (1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

③ 臨床研究及び治験データマネジメントの実行

③ ICT基盤構築に係る研究の推進



I (1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

③臨床研究及び治験データマネジメントの実行



評価軸

臨床研究及び治験に係る計画書(プロトコル)の策定、研究の進捗状況の把握、研究データの管理(データ入力、集計、解析)、研究成果や知的財産の管理等の研究マネジメントを効率的に実施する方策を検討し、その実行に向けた取組を行なったか。

① 研究マネジメントの効率的な実施

- ◆ ①-1「前ページ等の①-1、を参照のこと」
- ◆ ①-2 治験審査委員会・倫理審査委員会の中央化は、多施設共同臨床研究・治験をより速やかにかつ質を担保して実施するためにデータマネジメントの一環としても非常に重要である。平成28年度事業で作成された「機関共同研究における倫理審査委員集約化に関するガイドライン」等を活用しながら、臨床研究中核病院等の治験審査委員会・倫理委員会で、他施設からの審査依頼を受け、一括審査をするための体制を整備し、実際に一括審査を行うことで(平成30年3月)、平成30年4月に施行された臨床研究法にも対応し、より効率的に研究開発のマネジメントを進められるように取り組んだ。

② 臨床研究・治験従事者の育成

- ◆ 質の高い臨床研究・治験を効率的に実施していくための研究マネジメントを実現するための研修を、「医療技術実用化総合促進事業」において実施した(対象、開催日、主催等については、スライド2を参照)。また、DM研修、治験・倫理審査委員研修、医師研修については、養成カリキュラム及びシラバス案を作成した。平成30年度は、シラバス案等を活用しながら研修を実施し、シラバス等を完成させることで、引き続き臨床研究及び治験データマネジメントの実行に取り組む。

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なったか。

③ICT基盤構築に係る研究の推進

<臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業>

- ◆ 臨床研究・治験基盤事業部において、省庁横断的に一体的な管理運営を行い、各研究を推進した。例えば、進捗管理ヒアリング等において、担当省庁のみならず関連省庁もオブザーバーとして出席する、PS、PO、関係省庁及び研究者との頻繁な打合せの機会を設ける等、密な連携を図れている。
- ◆ 平成29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。

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)AMED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



評定(自己評価)

B

①知財相談窓口を通じた相談対応、②知財取得戦略に関する研究機関への支援、③研究成果の導出促進に向けたマッチング機会の提供 等の取り組みを着実に実施した。また、④研究開発成果の確実な上市に向けた取り組み、⑤ PMDAと連携した実用化への橋渡しの促進⑥レギュラトリーサイエンス研究の支援、⑦医工連携推進支援事業の運営の推進、⑧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等、実用化へ向けた支援を着実に実施した。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められ、着実な業務運営がなされている。

① 知的財産管理・相談窓口の開設と運用

①-1 知的財産部に常駐する知的財産コンサルタントや、全国に配置したAMED知財リエゾンによる相談対応を実施。

② 知的財産取得に向けた研究機関への支援

②-1 知的財産部に常駐する知的財産コンサルタントや、全国に配置したAMED知財リエゾンによる知財コンサルテーションを実施し、成果の知財化、企業への導出等を支援。

②-2 大学における知財・産学連携部門担当者を対象とした成果導出に向けた研修セミナーの開催、知財セミナー等への知財コンサルタントの派遣を通じ、知財人材育成を図った。

③ 研究成果の導出促進に向けたマッチング機会の提供

③-1 アカデミア発のシーズと企業のニーズを早期にマッチングするためのWebシステム「AMEDぷらっと」を開設した。

③-2 展示会、商談会等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連携を促進。

④ 研究開発成果の確実な上市に向けた取り組み

④-1 導出活動促進のための各種研究情報の積極的な公開。

④-2 「医療機器開発支援ネットワーク」を運営し、相談、伴走コンサルを実施。

⑤ PMDAと連携した実用化への橋渡しの促進

⑤-1 PMDAへレギュラトリーサイエンス戦略相談にAMED職員も同行し情報共有。

⑥ レギュラトリーサイエンス研究の支援

⑥-1 PMDAとの連携による研究の推進

⑦ 医工連携推進支援事業の運営の推進

⑦-1 PMDAと実施者が面談する際、AMED職員の同席や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。

⑧ 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

⑧-1 INCJと連絡検討委員会(平成30年3月6日)を開催した。

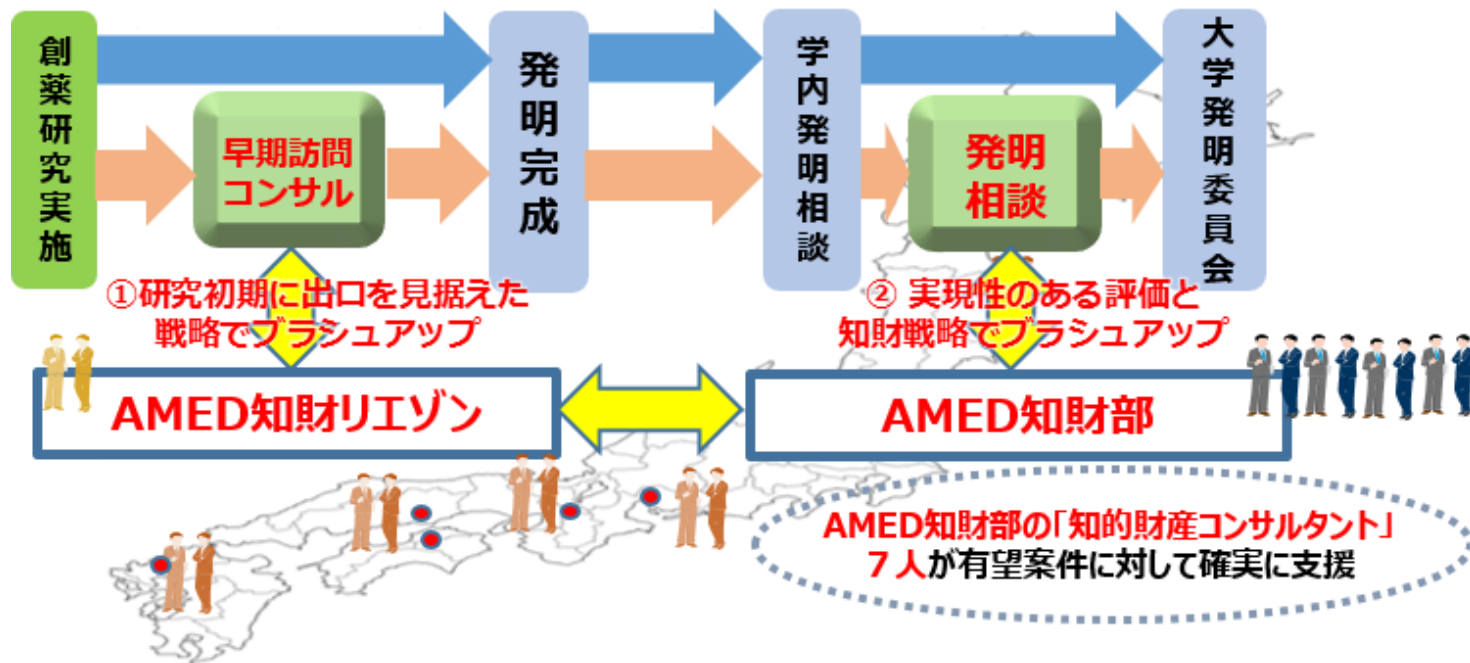
I (1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等

④実用化へ向けた支援



①知的財産管理・相談窓口の開設と運用

①-1 知的財産部に設置した相談窓口(Medical IP Desk)を通じた常駐する知的財産コンサルタントによる相談対応に加え、新たにAMED知財リエゾンを全国8ブロック11名配置し、コンサルタントとリエゾンが一体となって機動的な相談対応を可能とする体制を構築した。



「知的財産管理・相談窓口への相談件数」

＜モニタリング指標＞	H29年度
相談件数	計229件

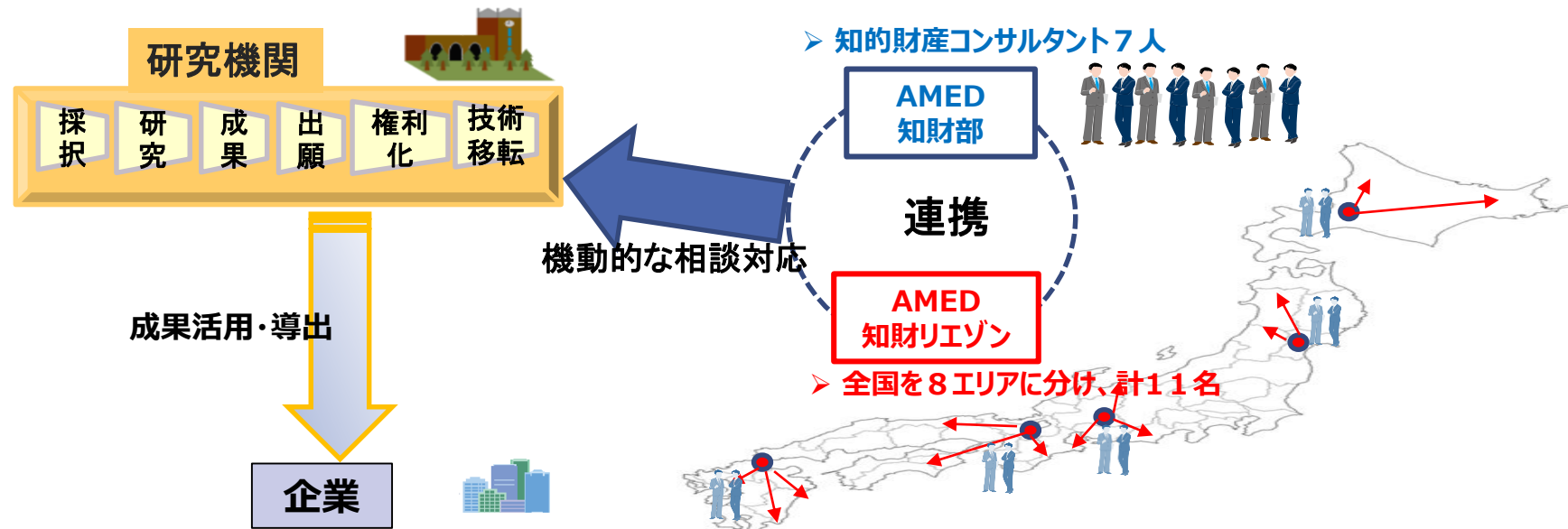
I (1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等

④実用化へ向けた支援



②知的財産取得に向けた研究機関への支援

②-1 研究機関から知財部に提出される発明等報告を通じ、成果の知財化、企業への導出、ライセンス活動の支援等、知的財産コンサルタントによるコンサルテーションを実施した。また、前記コンサルテーションを強化するために、「AMED知財リエゾン」を全国にくまなく配置し、研究成果の活用を着実に促進できる体制を構築した。



②-2 大学における知財・産学連携部門担当者を対象とした成果導出に向けた研修セミナーの開催、知財セミナー等への知財コンサルタントの派遣を通じ、知財人材育成を図った。



研修セミナー FY29は全国33回開催

■ 契約交渉コース(国内・国外)

■ 成果導出コース(基礎・応用)

➤ 合計104人が修了

I (1)AMED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



③ 研究成果の導出促進に向けたマッチング機会の提供

③-1 アカデミア発のシーズと企業のニーズを早期にマッチングし、アカデミアと企業の両方で研究開発成果のインキュベートを促すことができるWebシステム「AMEDぶらっと」を新たに開設した。



③-2 AMED研究プロジェクトの成果の早期導出および成果の最大化に向けて、展示会、商談会等への10回の参加支援を通じ、企業への情報提供・マッチング等の、実用化に向けた連携を促進した。

「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)
- ・BIO(展示会)
- ・MEDICA(展示会)
- ・BIOヨーロッパ(展示会)

＜平成29年度実績＞

課題数	77課題
面談数	515件
契約交渉開始数	18課題

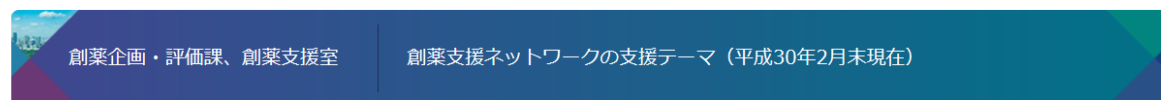
I (1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等

④実用化へ向けた支援

④研究開発成果の確実な上市に向けた取り組み

- 創薬支援ネットワークで支援しているテーマの一覧(課題名、研究者、モダリティ、研究フェーズ)を公開しており、支援テーマの導出活動を促進するために支援テーマの概要(創薬コンセプト、知財対応状況、最終目標などのノンコンフィデンシャル情報)も積極的に公開している。
- 創薬支援に必要な多岐にわたる最新かつ最良の科学技術を保有する産学官の研究開発機関を有機的に結びつけ、創薬支援ネットワーク機能の強化ひいては医薬品創出の推進力を強化するために、創薬研究の推進に資する貴重な民間リソース機能などを活用する「創薬支援推進ユニット」をH29年度より開始。新たに8機関を採択した。
- 「医療機器開発支援ネットワーク」を適切に運営した(具体的な運営実績は、「Ⅱ-(2)-②」を参照)。
- 委託事業においてバイ・ドール報告された特許出願中、341件(暫定値。5月末に調査完了予定)について、ライセンス等、実施可の状況などを調査。

トップ > 事業紹介 > 創薬戦略部 > 創薬企画・評価課・創薬支援室 > 創薬支援ネットワークの支援テーマ (平成30年2月末現在)



印刷用ファイル (PDF)

★…当月新規追加テーマ

◎…導出公募手続中テーマ

※課題番号をクリックすると支援テーマの概要をご覧いただけます

課題番号	課題名	Principal investigator	モダリティ	標的実用化検証	スクリーニング	リード最適化	前臨床開発
DNW-14025	HSVワクチンの探索	川口 寧 (東京大学医科学研究所)	ワクチン				
DNW-14030	HCMVワクチンの探索	白木 公康 (富山大学大学院医学薬学研究部)	ワクチン				
DNW-14031	抗がん剤新規作用機序の探索	藤田 孝夫	抗がん剤				



DNW-14030 の概要

課題番号 : DNW-14030
 課題名 : HCMV ワクチンの探索
 主任研究者 (Principal Investigator) :
 白木 公康 (富山大学大学院 医学薬学研究部)

概要: 本課題は、HCMV (ヒトヘルペスウイルス 8) に対するワクチンの開発を目的とする。HCMV は、ヒトに感染するウイルスであり、感染すると持続感染を引き起こす。持続感染した HCMV は、免疫抑制状態にある場合に、再活性化し、様々な疾患を引き起こす可能性がある。本課題では、HCMV の感染を抑制するためのワクチンの開発を目指す。

- 経路の特定: HCMV の感染を抑制するためのワクチンの開発には、HCMV の感染経路の特定が不可欠である。本課題では、HCMV の感染経路を特定し、感染を抑制するためのワクチンの開発を目指す。
- 感染抑制効果の評価: HCMV の感染を抑制するためのワクチンの開発には、感染抑制効果の評価が不可欠である。本課題では、HCMV の感染抑制効果を実験的に評価し、ワクチンの開発に活用する。
- 安全性の評価: HCMV の感染を抑制するためのワクチンの開発には、安全性の評価が不可欠である。本課題では、HCMV の感染抑制効果を実験的に評価し、ワクチンの開発に活用する。

I (1)AMED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

医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援

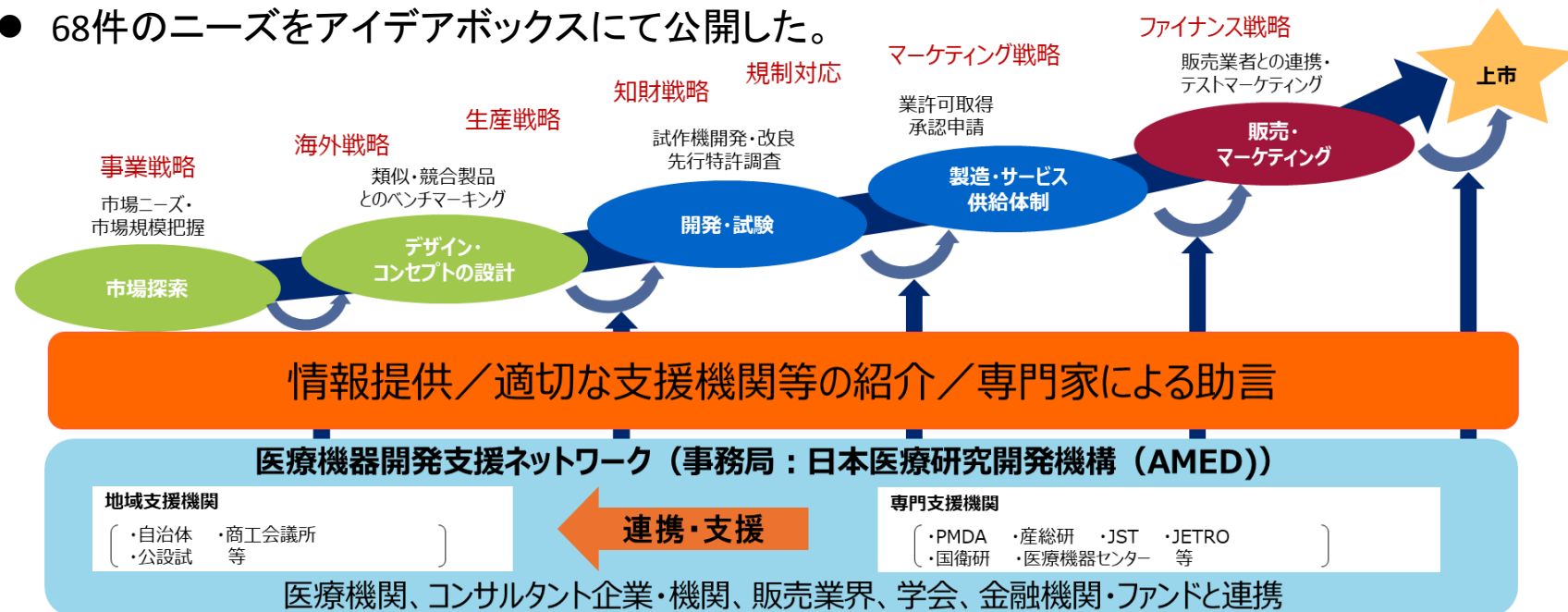
文科省、厚労省、各地支援機関の連携による「医療機器開発支援ネットワーク」

- H29年度は、約130件の伴走コンサルを含む、約180件の相談を実施した。
(通算で、約500件の伴走コンサルを含む、約1,300件の相談を実施した。)

参加者の感想

- ・ 業界への新規参入に際し、必要となる体制等が明確になった。
- ・ 競合品の情報収集の大切さ、その手段を知ることができた。
- ・ 欧州、アジア各国の保険制度の状況が理解できた。

- ポータルサイトMEDIC内の「医療機器アイデアボックス」にて、102件の医療ニーズを収集した。
- 68件のニーズをアイデアボックスにて公開した。



I (1)AMED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



⑥ レギュラトリーサイエンス(RS)研究の支援

- H29年度においてもPMDAとの連携協定に基づき、両機関のハイレベルを含めた様々な意見交換・シンポジウムの企画・参加など、連携を図っている。
- RS研究の観点から公募する研究の企画立案にあたっては、PMDAや国立医薬品食品衛生研究所などとの意見交換を通じ、国内外の情勢等を把握・参考にした上で対応している。
- H29年度におけるRS研究の具体的な成果としてはPMDAと連携し、腎領域における慢性疾患の臨床試験に関するガイドラインを作成・公表し、医薬品の承認・申請時に必要な試験のエンドポイントに関する考え方を明らかにした。またH30年4月のMID-NET運用開始を見越したアウトカム定義の明確化、及び医薬品の連続生産に関するPoints to Consider文書の作成・公表を行った。

腎領域における慢性疾患に関する臨床評価ガイドライン

AMED 医薬品等規制緩和・評価研究事業

腎領域における慢性疾患に関する臨床評価ガイドラインの策定に関する研究班

総合研究報告書

<研究班> (50音順、*研究代表者)

井関邦敏	豊見城中央病院 臨床研究支援センター
植木浩二郎	国立国際医療研究センター 分子糖尿病医学研究部
磯井知子	京都大学大学院医学系研究科 薬剤疫学
岡田浩一	埼玉医科大学病院 腎臓内科
松原直樹	川崎医科大学 腎臓・高血圧内科学
神田英一郎	東京共済病院 腎臓高血圧内科
田中哲洋	東京大学医学部附属病院 腎臓・内分泌内科
南学正臣*	東京大学大学院医学系研究科 腎臓内科学/内分泌病態学
松下邦洋	Johns Hopkins Bloomberg School of Public Health Department of Epidemiology
美上憲一	医薬品医療機器総合機構 新薬審査第一部
和田隆志	金沢大学医薬保健研究域医学系 腎臓内科学
綿田裕季	順天堂大学大学院医学研究科 代謝内分泌学

<システムディレクターチーム> (50音順、*チームリーダー)

磯井知子	京都大学大学院医学系研究科 薬剤疫学
岡田浩一*	埼玉医科大学病院 腎臓内科
友利浩司	埼玉医科大学病院 腎臓内科
渡辺裕輔	埼玉医科大学国際医療センター 腎臓内科

「腎領域における慢性疾患に関する臨床評価ガイドライン」
(一般社団法人 日本腎臓学会HPより)

I (1)AMED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。

知的財産部に設置した相談窓口（Medical IP Desk）を通じた常駐する知的財産コンサルタントによる相談対応に加え、新たにAMED知財リエゾンを全国8ブロック11名配置し、コンサルタントとリエゾンが一体となって機動的な相談対応を可能とする体制を構築した（前ページ等の①②を参照のこと）。

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。

- 創薬支援ネットワークでの支援テーマについて企業への情報提供を行うとともに、産学官連携による支援機能の充実を行った（前ページ等の④を参照のこと）。

産学連携部において、産学連携支援や医療ベンチャー支援検討のため、医機連や製薬協や民間企業、厚労省ベンチャー支援室や複数のベンチャー事業者、ベンチャーキャピタル、中小機構等のベンチャー支援機関との意見交換を行い、これら各機関との関係構築やAMED横断的な産学連携支援に向け、課題の抽出と対応の検討を開始した。

I (1)AMED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

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に係る助言機能の具備を図ったか。

- RS研究の観点から公募する研究の企画・立案にあたってのPMDA等との連携、PMDAとの連携によるガイドライン作成・公表などの成果をあげた(前ページ等の⑥を参照のこと)。
- ・PMDAと連携した実用化への橋渡しの促進
 - 研究者がPMDAへRS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

	H29年度
PMDAと連携した出口戦略の策定・助言数	59件

評価軸

株式会社産業革新機構との連携等を通じて研究開発の成果の実用化を促進する取組を行ったか。

- ・ 株式会社産業革新機構(INCJ)との連絡検討委員会において、AMEDの産学連携とINCJの取り組みについて情報交換と意見交換を実施した。委員会開催前には、担当者レベルで複数回、研究開発の成果の実用化促進に向けた意見交換を実施した。
- ・ 機構の研究開発支援課題の採択審査委員会や、機構が収集した「臨床ニーズ」の評価検討会などに、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推進した。



平成30年3月6日に実施した連絡検討委員会

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)AMED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)

B

①AMEDの研究開発の課題とその成果のデータベース化(AMS)を着実に進めるとともに、AMED外の研究者や一般市民がインターネット経由で検索・閲覧できる一般公開版のAMSを構築した。②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、臨床研究実施に必要なモニタリングや監査、知財関連などのネットワーク作りを促進することにつなげ、③「体液中マイクロRNA 測定技術基盤開発」において、12種のがんについての診断マーカーについて、特許出願、また診断性能の高い解析アルゴリズムを開発を達成した。また、創薬等先端技術支援基盤プラットフォームにおいてクライオ電子顕微鏡ネットワークを構築した。さらに、④患者のDNA・臨床情報や生体試料の収集を着実に進め、品質の取組みにも取り組んだ。⑤若手研究者の育成を着実に推進、⑥研究成果及び今後の展望を伝えるための合同シンポジウムの開催など、研究開発の基盤整備に対する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 AMS研究開発マネジメントシステム(AMS)

AMEDの研究開発課題に分類、分析用のタグ(ラベル)を付与することにより、単なる課題情報の蓄積データベースにとどまらず、マップ機能を備えるなど、FAとしての将来戦略にも資する分析基盤を検討中。

また、AMEDの研究開発の情報公開の促進、オープンサイエンスの促進を目的に一般公開版のAMS(AMED find)の初期版を別途構築。

② 革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備

②-1 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。

②-2 臨床研究実施に必要なモニタリングや監査、知財関連などのネットワーク作りを促進。

③ 体液中マイクロRNA 測定技術基盤開発、クライオ電子顕微鏡ネットワークの構築

③-1 主要がんをほぼ網羅する12種のがんについて、診断マーカーの特許出願を行った(体液中マイクロRNA 測定技術基盤開発)。

③-2 診断薬実用化の確度を高めるため、データ品質管理強化と統計解析手法の改善により、これまでよりも診断性能の高い解析アルゴリズムを開発した(同上)。

③-3 創薬等先端技術支援基盤プラットフォームにおいて、クライオ電子顕微鏡効率最大化のため「CryoEM Network」を構築し、平成30年度より外部支援を本格稼働するとともに、産側の利用(成果占有)のルールを明確化した。(I(2)①再掲)

④ バイオバンクの構築に向けた患者のDNA・臨床情報の収集

④-1 平成25年度から平成29年度末までに、約7万人の患者から、38疾患についてDNA及び臨床情報を収集した。(第2コホート)

④-2 バイオバンク検体の品質評価マーカーをプロテオミクス技術を用いて開発した。

④-3 BBJ(バイオバンクジャパン)について、ユーザーのニーズに応じた資料・情報の利活用を促進するバイオバンクとして、公募を実施。

⑤ 若手研究者の育成

⑤-1 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、若手育成枠の課題数は平成27年度に対し平成29年度においては3.1倍に増加。

⑤-2 若手研究者の革新的な発想を基にした医療分野の新たなシーズの創出を目的として、ニューヨーク科学アカデミー(NYAS)と連携して国際ワークショップInterstellar Initiativeを開催するなどの取組を実施。

⑤-3 原則、全ての事業において提出を義務づけるデータマネジメントプランにおいて、データサイエンティストについて記載項目とし、AMEDでデータサイエンティストを登録、公表する仕組みを構築することで、データサイエンティストの育成に貢献。

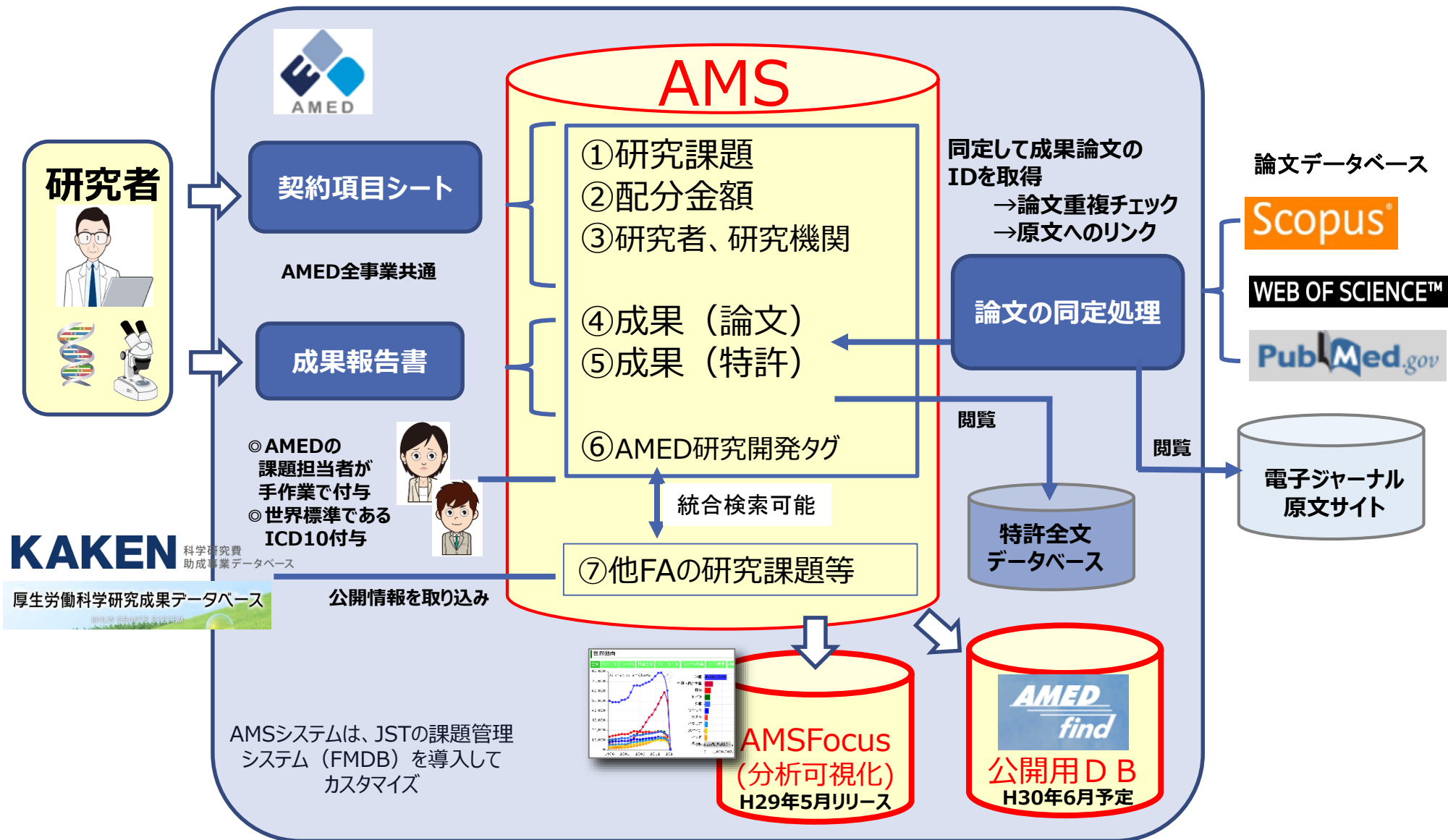
⑥ 合同シンポジウムの開催

AMED創設2年間の成果、今後の展望を国民及び関係者に伝えるための初の合同シンポジウム「AMEDシンポジウム2017～医療研究がめざす未来の笑顔～」を29年5月に開催した。

I (1)AMED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

①AMS（AMED研究開発課題管理システム）の概要

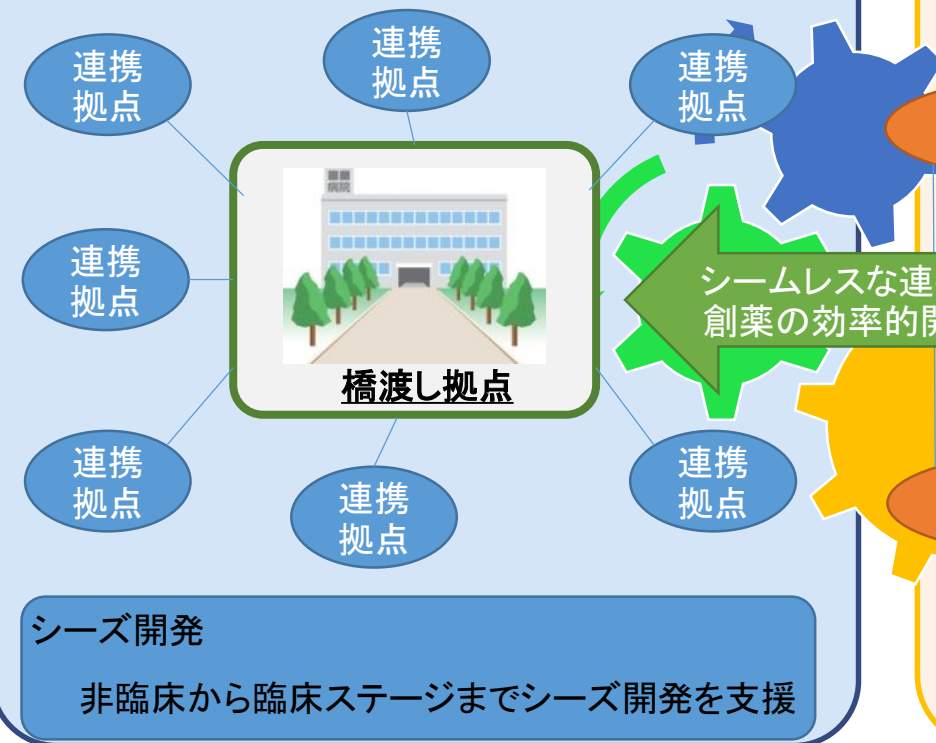


I (1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等

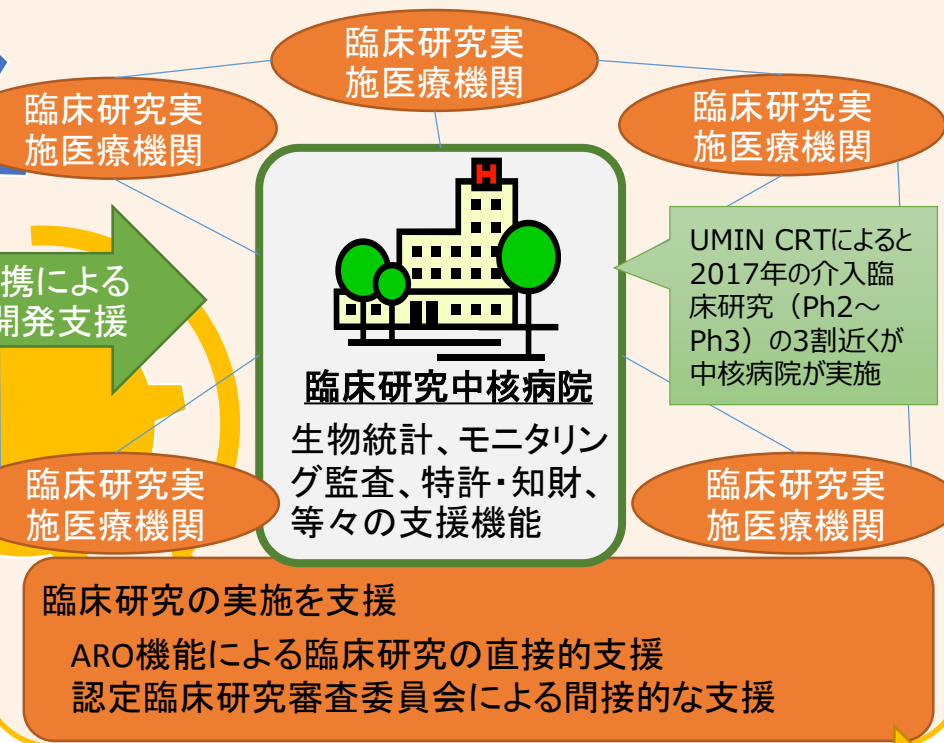
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

②革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備

②-1 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



②-2 臨床研究実施に必要なモニタリングや監査、知財関連などのネットワーク作りを促進



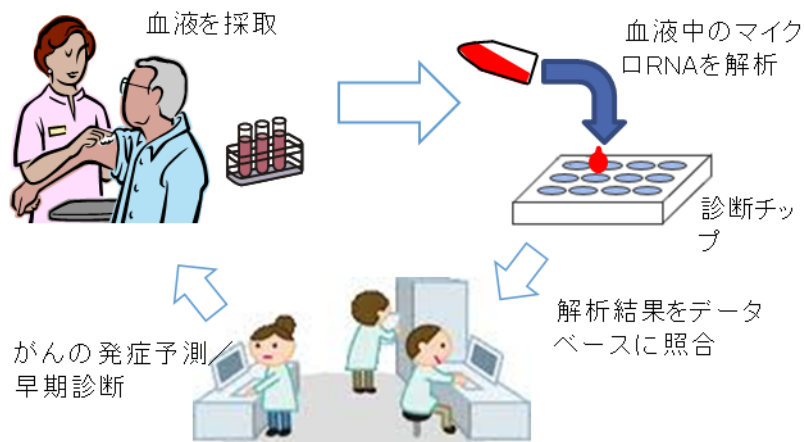
AMEDによる一貫した 画期的な新薬創生のための開発支援体制の整備

I (1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等

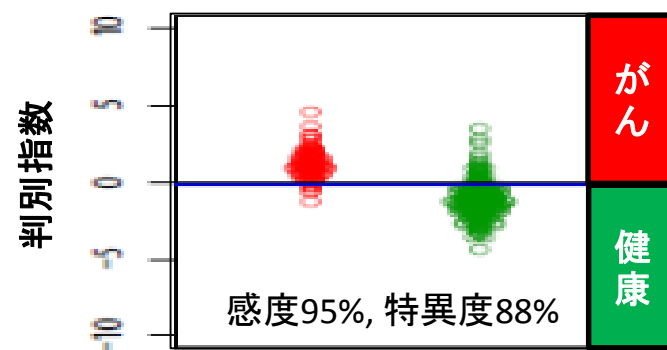
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

③「次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業等（体液中マイクロRNA 測定技術基盤開発）」

【事業イメージ】



膀胱がん: miRNA 4個の組合せ



臨床有用性を確認するための前向き臨床研究を完遂し、薬事申請を目指す。

これまでに、13種類※¹のがんと認知症について、診断マーカー候補を発見し、12種類について特許出願を行った。データ品質管理の強化（重複がん検体の排除等）、及び統計解析手法の改善（グリーディ法の採用等）により、9種のがん※²について、これまでよりも診断性能の高い解析アルゴリズムを開発するとともに、新たに膀胱がんで同等の解析アルゴリズムを開発した。

※¹ 13種類のがん：肺がん：食道がん、肝臓がん、胃がん、膵臓がん、大腸がん、前立腺がん、乳がん、胆道がん、脳腫瘍、骨軟部腫瘍、卵巣がん、膀胱がん

※² 9種類のがん肺がん：食道がん、肝臓がん、胃がん、膵臓がん、大腸がん、乳がん、胆道がん、卵巣がん

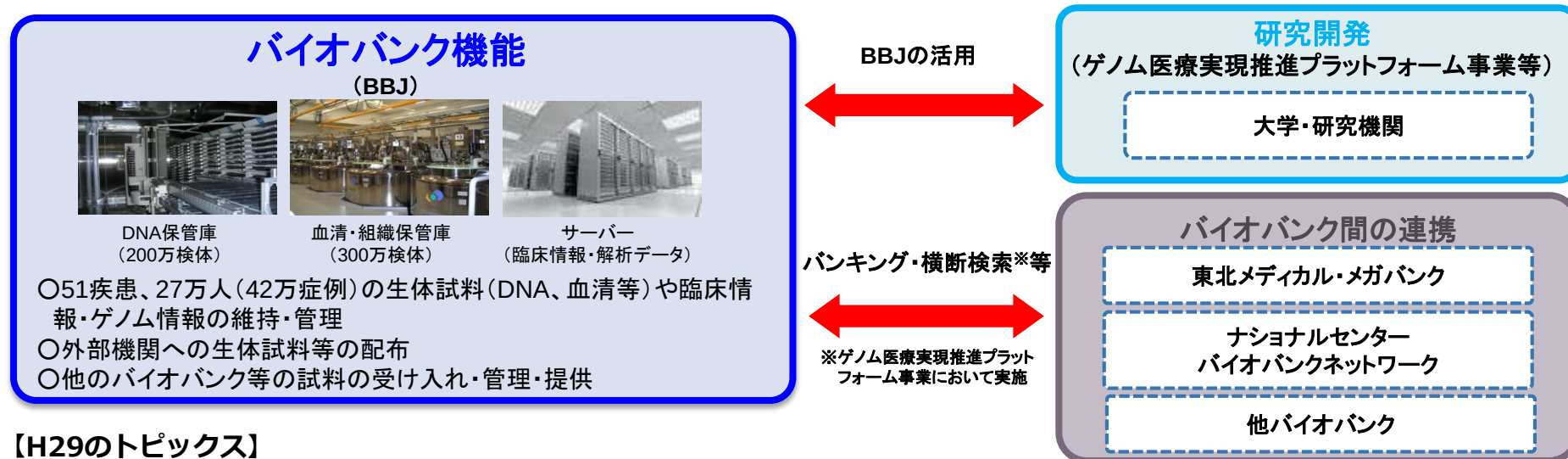
I (1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑤研究開発の基盤整備に対する支援

④バイオバンクの構築に向けた患者のDNA・臨床情報の収集

背景

○ゲノム医療実現推進協議会の提言(平成27年7月)を踏まえ、ゲノム医療の実現を推進するため、これまで構築してきたBBJを他のバンク等と連携させ、利活用されるハブとして再構築する。



【H29のトピックス】

- ・平成25年度から平成29年度末までに、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し(第2コホート)、臨床情報のクリーニングを行った。(H25からの累計同意取得数:68,5161件、DNA採取数:67,294件)
- ・既に平成29年度中に18.2万人分、約90万箇所のSNP情報をNBDCへ公開済みで、平成30年度中には、全ゲノムシーケンス1,000名分及び乳がん関連遺伝子シーケンス30,000人分についても公開予定。さらに理化学研究所にて解析済みの心筋梗塞1,800名、認知症200名の全ゲノムデータも順次公開する。
- ・バイオバンク検体のタンパク質品質評価の指標やその測定法についてはこれまで国際標準が存在していなかった。100検体の血清・血漿検体のタンパク質の品質評価マーカーを最先端のプロテオミクス技術を用いて開発し、高精度かつ迅速に評価できる測定法を確立した。
- ・病理学会と連携し、ゲノム病理標準化センターにおいて「ゲノム研究用病理組織検体取扱い規程」の発行と講習会を開催した(参加者数計366名)

I (1)AMED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



⑤-1 若手研究者の育成 事業数

	平成27年度※	平成28年度※	平成29年度※、※※※
全事業数	70事業	80事業	80事業
うち若手育成枠※※を設定する事業数	7事業	14事業	16事業

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※	平成29年度※、※※※
総課題数(a)	1,950件	2,246件	2,200件
うち、若手育成枠※※の課題数(b)	39件	98件 (対前年度2.5倍)	122件 (対27年度3.1倍)
(b/a)	(2.0%)	(4.4%)	(5.5%)

応募・採択課題数(事業ごと公募の有無等が年度で異なるため、一概に年度比較はできない)

	平成27年度※	平成28年度※	平成29年度※、※※※
全事業の応募数	2,741件	3,762件	3,584件
うち、若手育成枠※※の応募数	44件	490件	259件
全事業の採択数	515件	796件	823件
(採択率)	(18.8%) (515件/2,741件)	(21.2%) (796件/3,762件)	(23.0%) (823件/3,584件)
うち、若手育成枠※※の採択数	18件	81件	47件
(採択率)	(40.9%) (18件/44件)	(16.5%) (81件/490件)	(18.1%) (47件/259件)

※当該年度予算で公募、契約・交付決定したもの
※※平成30年3月31日現在時点

※※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)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑤合同シンポジウムの開催

⑤-1 AMEDシンポジウム2017～医療研究がめざす未来の笑顔～について

1. 開催趣旨

「医療分野の研究成果を一刻も早く実用化し、患者さんのもとに届ける」という使命を果たすため、AMEDは平成27年4月の発足以来走り続けてきたが、この2年間にどんな成果をあげてきたのか、その先にはどんな展望が開けているのかを国民及び関係者に伝えるため初の合同シンポジウムを開催した。

2. 開催日時：平成29年(2017年)5月29日(月)、5月30日(火)

3. 開催場所：東京国際フォーラム

4. プログラム

1日目 5月29日(月)

13:00 - 17:20 (12:30開場)

2日目 5月30日(火)

10:00 - 17:00 (9:30開場)

ご挨拶／健康・医療戦略担当大臣

基調講演／健康・医療戦略室長

講演／「AMEDに期待すること」

畑中 好彦(日本製薬工業協会 会長)

昌子 久仁子(テルモ株式会社 取締役上席執行役員)

小林 信秋(認定NPO法人難病のこども支援全国ネットワーク 会長)

東嶋 和子(科学ジャーナリスト)

招待講演①

山中 伸弥(京都大学 iPS細胞研究所長)

招待講演②

近藤 達也(医薬品医療機器総合機構 理事長)

講演／「AMEDの現在と未来」

末松 誠(AMED理事長)

講演／「AMEDの2年間の歩み」

AMED成果報告①「IRUD(未診断疾患イニシアチブ)」

水澤 英洋(国立精神・神経医療研究センター 理事長)

招待講演③

大村 智(北里大学 特別荣誉教授)

AMED成果報告②「基礎研究と若手育成」

間野 博行(国立がん研究センター研究所長)

AMED成果報告③

「国産技術による次世代バイオ医薬品製造技術基盤の開発」

大政 健史(大阪大学大学院 教授)

AMED成果報告④「大規模ゲノムコホートとデータシェアリング」

山本 雅之(東北大学 東北メディカル・メガバンク機構長)

AMED成果報告⑤「コミュニケーションロボットの効果」

大川 弥生(産業技術総合研究所 招聘研究員)

AMED成果報告⑥

「ヒトiPS細胞技術を活用した薬理試験法の開発と国際標準化」

諫田 泰成(国立医薬品食品衛生研究所 薬理部長)

5. ブース展示・ワークショップ

AMEDと認定NPO法人難病のこども支援全国ネットワークのブース展示や、ワークショップを実施



(写真: 当日の難病のこども支援全国ネットワークの展示ブースの様子)



6. 開催結果

(1) 参加者数: 1223名

(2) アンケート結果(2日間で合計261通回収)

<結果概要>

◆アンケート回答者の属性等

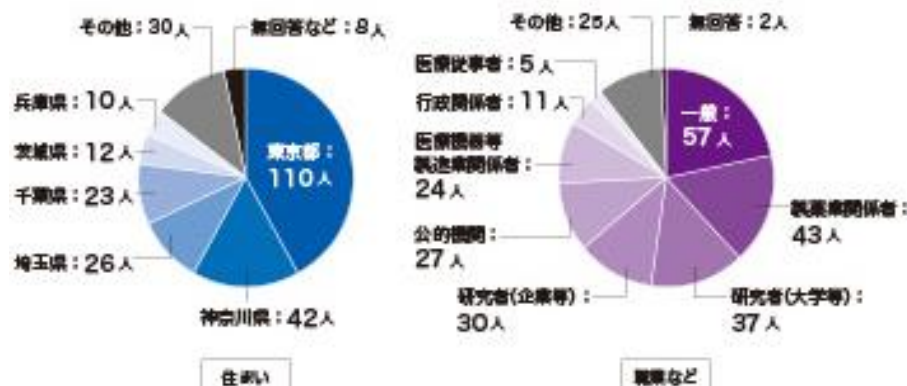
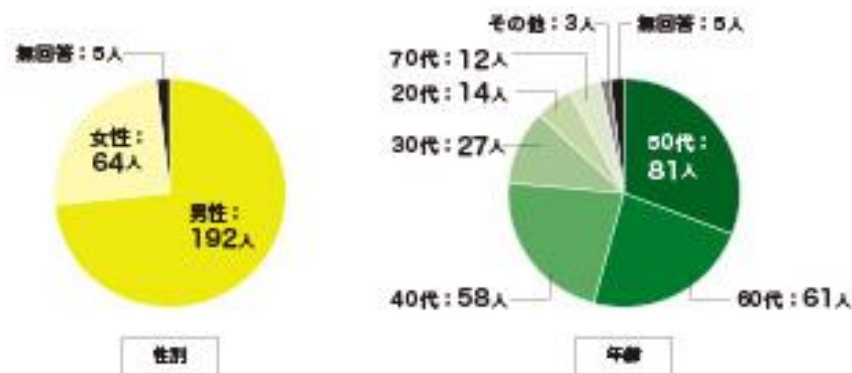
性別: 男女比は男:女=3:1

年齢: 50代が一番多く、60代、40代と続く。

住居: 東京都が一番多く、神奈川県、埼玉県、千葉県と続く。

職業: 一般、製薬業関係者、研究者(大学等)、研究者(企業等)、公的機関、医療機器等製造業関係者の順が多い。

図: アンケート回答者の属性内訳



◆本シンポジウムの総合評価

本項目回答者209人のうち、108人が「大変良かった」、91人が「まあまあ良かった」と回答。

◆次回イベントについての参加希望

本項目回答者210人のうち、193人が「参加したい」と回答。

I (1)AMED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

AMED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。

■ 研究開発課題や成果の情報をデータベース化(AMS)しただけでは利活用には十二分に資するとは言いがたく、予め研究開発課題に多面的(例えば疾病名や研究開発フェーズ)なタグ付け(ラベル貼り)を行い、折々の多様な分析ニーズの各観点からの検索や分析になるべく応えられるようにしておくことが肝要である。また、検索、分析結果を単に数値表化するのみならず、結果を図表上にマッピングして可視化するような俯瞰的な機能を用いて傾向を視覚的、直感的に掴み取ることが有効とされている。

このような視点から、AMSに収録された各研究開発課題にタグ付けを行い、このタグ等で検索した結果を図表上にマッピングする機能の開発に着手した。

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。

■ 橋渡し研究戦略的推進プログラム及び臨床研究中核病院関連事業(医療技術実用化総合促進事業(国際共同臨床研究実施推進事業、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、)、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・体制整備を行い、昨年を上回る医師主導治験が実施された。

<モニタリング指標>

	H28年度	H29年度
医師主導治験数	23件	36件
FIH試験数(企業治験も含む)	24件	24件

I (1)AMED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。

■「体液中マイクロRNA 測定技術基盤開発」では、当初予定していた13種のがん(肺がん、食道がん、肝臓がん、胃がん、膵臓がん、大腸がん、前立腺がん、乳がん、胆道がん、脳腫瘍、骨軟部腫瘍、卵巣がん、膀胱がん)に2種の希少がん(眼腫瘍、子宮肉腫)を加え、46,000検体以上の血清を網羅的に解析した。

■データ品質管理の強化(重複がん検体の排除等)、及び統計解析手法の改善(グリーディ法の採用等)により、9種のがん(肺がん、食道がん、肝臓がん、胃がん、膵臓がん、大腸がん、乳がん、胆道がん、卵巣がん)について、これまでよりも診断性能の高い解析アルゴリズムを開発するとともに、新たに膀胱がんでも同等の解析アルゴリズムを開発した。

■上記の取組により、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の開発を推進した。(前ページ等③参照)

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。

■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)

- ・平成25年度から平成29年度末までに、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した。(第2コホート)
(H25からの累計同意取得数:68,5161件、DNA採取数:67,294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)

- ・平成28年度末までに、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。
- ・平成29年6月からは詳細二次調査を開始し、宮城県では地域住民と三世代成人・子供をあわせ1.8万人、岩手県ではサテライトと特定検診参加型の調査を合わせて0.6万人実施、当初の目標を達成した。(平成29年度目標数 宮城県1.75万人、岩手県0.6万人)

■バイオリソースの整備(ナショナルバイオリソースプロジェクト)

- ・平成28年度に実施した公募によって採択した「中核的拠点整備プログラム」の25バイオリソース、及び、「情報センター整備プログラム」の1センターの課題を開始。

<モニタリング指標>

- ・医師主導治験届出数及びFIH(企業主導治験を含む)試験数: 0件
- ・バイオバンクの試料数:2,836,959件 ・バイオリソース数:バイオリソースの中核的拠点数:25件(試料数:6,537,971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

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)

A

①海外機関との協力覚書(MOC)や国際アライアンスの下で、縦横連携により未診断疾患分野でのグローバルデータシェアリングの推進による診断・治療の成果を得たことに加え、感染症・認知症・脳科学、エイジング、がんの各分野で国際連携体制を縦横連携により新たに構築することにより国際共同研究等への展開を図った。また、②若手研究者による画期的シーズ創出を目指したInterstellar Initiativeの試行と事業化や、スペインや米国との国際共同研究での若手研究者育成など、国際研究環境下での若手研究者育成とシーズ創出に取り組んだ。さらに、③地球規模課題対応国際科学技術協力プログラム(SATREPS)等の国際共同研究の実施や国際コンソーシアムへの積極的な関与等により、科学技術外交と国際貢献を推進した。また、協力関係にある海外の資金配分機関との連携を通じ、④革新的先端研究開発支援事業で国際的な議論を踏まえた領域設計を実施した。さらに、機構の研究事業の国際展開を図るため、国際水準での評価を目指した英語による公募・評価プロセスの構築と国際レビューの導入など国際的な研究環境の基盤構築に係る先導的な取組を拡大・推進している。以上により所期の目標を大きく上まわったことから、「国際戦略の推進による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縦横連携でのグローバルデータシェアリングの推進による未診断疾患の診断・治療、感染症・認知症・脳科学・エイジング・がん分野の国際共同研究への展開等

- ①-1. 未診断疾患イニシアチブ(IRUD)のグローバルデータシェアリングの推進による未診断疾患の確定診断の進展と治療等への展開
 - ・リトアニア：未診断疾患の確定診断、緩和療法の共有
 - ・米国国立先進トランスレーショナル科学センター(NIH/NCATS)等：未診断疾患の確定診断の進展
 - ・国際希少疾患研究コンソーシアム(IRDiRC)国際会議の開催：10カ年計画の策定、アジア、米州、欧州への連携強化をリード
 - ・豪州への展開：ケースマッチングを促進する世界標準化ツールの共有化
- ①-2. 英国MRCとの連携による感染症研究ネットワークの拡大展開
- ①-3. 日本・米国・英国・シンガポールの認知症・脳科学、エイジング研究ネットワーク構築
 - ・世界認知症審議会(WDC: World Dementia Council)の開催と英国医学研究会議(MRC)認知症研究所との長期連携体制を通じた認知症・脳科学研究の強化とプロジェクトの推進
 - ・米国BRAIN Initiativeとの連携によるマウス・マーモセット・ヒトの統合的脳科学研究ネットワーク
 - ・Healthy Agingシンポジウム(日英)の開催とエイジング分野での国際共同研究(シンガポール)の推進
- ①-4. 米国国立衛生研究所(NIH/NCI)とのMOCを基にしたがん分野の連携基盤の構築による共同研究の推進等
 - ・米国国立がん研究所(NIH/NCI)との膵がん等の早期診断バイオマーカー・ワークショップの開催と研究推進
 - ・e-ASIA共同研究プログラムや日米医学協力計画でのNIH/NCIとの共同研究の深化
 - ・国際がんゲノムコンソーシアム(ICGC)への貢献

②国際研究環境下での若手人材育成とシーズ創出

- ②-1. Interstellar Initiativeの試行と事業化による女性・若手研究者育成と画期的シーズ創出
- ②-2. スペイン経済・競争力省 調査・開発・イノベーション担当総局(SEIDI)との協力覚書(MOC)署名とナノメディシン分野での若手研究者育成
- ②-3. 日米医学協力計画における米国国立アレルギー・感染症研究所(NIH/NIAID)との連携による女性・若手研究者の育成

③国際共同研究等を通じた科学技術外交と国際貢献

- ③-1. SATREPS等の成果を通じた共同研究相手国への貢献
 - ・国連の持続可能な開発目標(SDGs: Sustainable Development Goals)への貢献
 - ・地球規模の保健課題への対応
- ③-2. 慢性疾患国際アライアンス(GACD)運営への貢献

④海外機関連携、国際アライアンスへの参加を通じたAMED事業の国際展開

- ④-1. 独・ライプニッツ協会との連携による国際ワークショップと革新的先端研究開発支援事業の連携、領域設計への活用
- ④-2. GACDのJoint Peer Reviewを通じた国際水準の評価プロセス等の情報・ノウハウの共有化と、外国人研究者を含むPeer Reviewプロセスの先行導入・国際レビューアのリストアップ等による英語化レビューの拡大推進

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



- 協力に関する覚書MOC署名国(5か国)
- H29年度国際共同研究事業実施国(28か国)

- 感染症研究ネットワーク
- 難病・未診断疾患ネットワーク
- エイジングネットワーク
- 脳神経科学ネットワーク
- がん研究ネットワーク
- ※()内はAMED事業、[]内は関係する外国機関
- ※国際コンソーシアムは事務局所在地域に記載

欧州、中東、ロシア、アフリカ地域 ロンドン事務所

英国MRC
Medical Research Council
平成28年度MOC署名

jpiamr GL PID-R

■ 感染症WS(J-PRIDE)[MRC] ①-2

■ World Dementia Council, IMI, JPND ①-3

■ ニューロサイエンスWS(脳プロ,革新脳)[MRC] ①-3

■ ヘルシーエイジングシンポ
(ロンドン事務所) ①-3

リトアニア保健省
平成28年度MOC署名

■ 難病・未診断疾患(IRUD)[MOH] ①-1

■ 免疫WS
[ライブニッツ協会] ④-1

■ 神経科学(SICP)[DFG]

スペインSEIDI
平成29年度MOC署名

■ ナノメディシン(SICORP)[SEIDI&AEI] ②-2

感染症の日アフリカネットワーク
(SATREPS, アフリカNTDs, J-GRID) ③-1

北中南米地域 ワシントンDC事務所

NIH 米国NIH
平成27年度MOC署名

[カナダ] Global Alliance
for Genomics & Health (トロント)

■ ICGC(革新がん)[ICGC] ①-4

■ 幹細胞(SICORP)[CIHR]

■ 難病・未診断疾患(IRUD)
[NCATS-NHGRI & UDNI] ①-1

■ がん(JCRPバイオマーカーWS,
e-ASIA)[NCI] ①-4

■ がん(日米医学協力計画)[NCI]

■ 脳科学(国際脳)[NIH, NSF] ①-3

■ 感染症(日米医学協力計画, e-ASIA)[NIAID] ③-1

■ 栄養(日米医学協力計画)[NIAID]

■ 若手育成(日米医学協力計画(感染症・免疫))[NIAID] ②-3

■ 若手シーズ創出WS(Interstellar Initiative)[NYAS] ②-1

CDISC
(オースティン)

がん・感染症分野の日米アジア・パシフィック
地域のネットワーク ①-4

■ 感染症(SATREPS)

アジア・大洋州地域 シンガポール事務所

シンガポールA*STAR
平成27年度MOC署名

■ エイジング(SICORP)[A*STAR] ①-3

■ 感染症(SATREPS, e-ASIA,
日米医学協力計画, J-GRID) ③-1

■ がん(e-ASIA, 日米医学協力計画) ①-4

■ 免疫(日米医学協力計画)[NIAID]

■ 栄養(日米医学協力計画)[NIAID]

■ メンタルヘルス(地球規模保健)[GACD]

■ エイジング(地球規模保健課題)

豪NHMRC等

■ 難病・未診断疾患(IRUD) ①-1

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

①縦横連携でのグローバルデータシェアリングの推進による未診断疾患の診断・治療、感染症・認知症・脳科学・エイジング・がん分野の国際共同研究への展開等

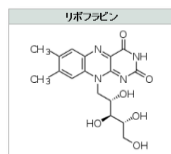
①-1. 未診断疾患イニシアチブ (IRUD) のグローバルデータシェアリングの推進による未診断疾患の確定診断の進展と治療等への展開

リトアニア 未診断疾患の確定診断、緩和療法の共有

- リトアニアとのMOCの下、リトアニアの未診断疾患患者31名のエクソーム解析をIRUDにおいて実施し、7名で診断が確定した。そのうち以下の1名はリトアニアにおいて治療へと進展。

リトアニア在住の小児の例

- 3歳時から原因不明の神経・筋症状を発症し急速に悪化
- ⇒ IRUDにてエクソーム解析を行い、わずか7週間でリボフラビントランスポーターの変異を同定
- ⇒ 現地において大量のリボフラビン投与による治療が速やかに開始され、症状の改善が見られつつある



NIH/ NCATS - NHGRI & UDN * 未診断疾患の確定診断の進展

- NIHとのMOCの下、NIHとのデータシェアリングを推進
- NIHとIRUDの未診断疾患症例について臨床上の表現型をマッチング後、遺伝子型を決定し、異なる酵素のバリエーションによる同じ代謝産物の異常を同定
- IRUDが構築する「表現型のデータベースとネットワーク」の活用により正確な診断を加速化

* NHGRI: 米国国立ヒトゲノム研究所
* UDN: Undiagnosed Diseases Network

IRDiRC 国際会議の開催: 10カ年計画の策定、アジア、米州、欧州への連携強化をリード

- IRDiRC最高意思決定機関である加盟機関総会をアジアに初招致し、機構で開催(平成29年11月: 写真)。希少疾患分野で各国の公的機関・民間が支援する研究開発の状況を共有
- IRDiRC 10カ年計画(2017-2027)策定に貢献し、その計画の推進に対応
- IRUDでは日本国内での検討のみでは確定診断に至らなかった症例について、表現型・候補遺伝子名をMatchmaker Exchange等の国際的な情報共有システムを通じて共有するなどの取組みを推進



加盟機関総会 in AMED

オーストラリア 豪州への展開: ケースマッチングを促進する世界標準化ツールの共有化

- IRUDと連携する難病・未診断疾患のアジア・パシフィック領域における研究開発の連携強化について日豪で議論。IRUDで使用しているレジストリプラットフォームIRUD Exchangeをさらに西オーストラリア大学やGarvan Institute of Medical Researchと共同開発し、より早期の段階でのデータシェアリングを推進。

①-2. 英国MRCとの連携による感染症研究ネットワークの拡大展開

- ロンドン事務所と英国MRCの連携により、感染症研究革新イニシアティブ(J-PRIDE)のPSと研究者8名が参加しインペリアルカレッジ、グラスゴー大学、オックスフォード大学を訪問(平成29年12月5-7日)し、日英連携を検討。統合プロジェクトの縦横連携による国際的取組、質の高い国際共同研究ネットワークを創出。平成30年度第1回調整費を活用して適時に開始予定 [右図]

日英国際共同研究のネットワークを拡大展開

統合プロジェクトの「縦横連携」で質の高い国際共同研究環境が一気に展開



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



①-3. 日本・米国・英国・シンガポールの認知症・脳科学、エイジング研究ネットワーク構築

認知症・脳神経疾患

- **世界認知症審議会(WDC: World Dementia Council)の開催と英国医学研究会議(MRC)認知症研究所との長期連携体制を通じた認知症・脳科学研究の強化とプロジェクトの推進**
 - ・2013年ロンドンG8の認知症サミットをうけて設立された世界認知症審議会(日本代表メンバー:黒川清 日本医療政策機構 代表理事)を「認知症研究のための国際連携体制の整備に関する調査研究事業」の推進を通じて、アジア(東京)で初開催(写真1)。機構からは超高齢社会である我が国の取組が注目される中、理事長の基調講演において認知症コホートデータの集約の必要性を強調。
 - ・英国MRCとのMOCの連携分野に基づき、MRCのDementia Research Instituteとの連携により、「脳とこころの健康大国実現プロジェクト」のPSや研究者が参加して、神経科学(認知症含む)に係る「AMED-MRC日英ニューロサイエンスシンポジウム」を開催(写真2)。
 - ・さらに、認知症分野での創薬等研究における官民連携での推進に向けたInnovative Medicine Initiative(IMI)との共催シンポジウム開催やThe EU Joint Programme-Neurodegenerative Disease Research(JPND)会合へも参加するなどし、これらの成果を受けて、平成30年度第1回調整費を活用し、認知症の包括的対策として①基盤充実強化、②基礎・応用研究の連携、③研究支援体制の確立の総合的な研究支援を行い、特に発症前・健常人レジストリの構築、ヒトのデータ・サンプルから研究を進め、得られたシーズを産学官連携で実用化する体制整備を推進している。
- **米国BRAIN Initiativeとの連携によるマウス・マーモセット・ヒトの統合的脳科学研究ネットワーク**
 - ・機構本部とワシントンDC事務所が協力して、米国国務省や全米科学財団(NSF)が主催する各国の脳科学の大規模プロジェクト間の連携であるInternational Brain Initiative(IBM)の会合に参加し、米国BRAIN Initiative(NIH, NSF)やEU Human Brain Project等の情報を収集。
 - ・脳神経ネットワーク解明の加速に向けて、米国を含む海外で進められている脳科学研究との研究手法や脳画像データの共有などによる国際的な基礎脳科学研究、疾患関連脳科学研究を踏まえ、平成30年度の新規事業「戦略的国際脳科学研究推進プログラム」の公募を開始。



(写真1)WDCメンバー



(写真2)日英ニューロサイエンスワークショップの様子

エイジング分野

- **Healthy Agingシンポジウム(日英)の開催**
 - ロンドン事務所が、英国においても重要な課題である高齢化に関して、疾病予防・介護予防のための取組や研究に着目して日英双方でシンポジウムを開催。海外諸国との情報共有を進め、必要とされる研究について研究者のみならず異分野間での議論を推進。
- **エイジング分野での国際共同研究(シンガポール)の推進** ※戦略的国際共同研究プログラム(SICORP)で実施
 - 少子高齢社会が共通の社会問題であるシンガポールのA*STARと、覚書を下にエイジング分野で国際共同公募を実施。平成29年度にシンガポール事務所のサポートの下で、両国研究者による合同評価委員会を実施し、3件の国際共同研究を平成29年6月に開始。



第1回ヘルシーエイジングシンポジウム
2017年4月12日 於ロンドン



第2回ヘルシーエイジングシンポジウム
2018年2月26, 27日 於東京

①-4. 米国国立衛生研究所(NIH/NCI)とのMOCを基にしたがん分野の連携基盤の構築による共同研究の推進等

- **米国国立がん研究所(NIH/NCI)との肺がん等の早期診断バイオマーカー・ワークショップの開催と研究推進**
 - ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト(JCRP)において、NIH/NCIと共催で日米のがん早期診断バイオマーカー研究のワークショップ「US-Japan Workshop for Cancer Research- Biomarker Discovery for Early Cancer Detection」を開催し、双方のシーズ紹介と今後の日米協力のプラットフォーム構築、当該分野の研究を推進。今後も日米協力の価値を引き出す機会として継続的に開催する。
- **e-ASIA共同研究プログラムや日米医学協力計画でのNIH/NCIとの共同研究の深化**
 - e-ASIA 共同研究プログラム「ヘルスリサーチ」領域の対象として、これまでの感染症分野に加えて、ASEANにおいても新規症例数、死亡者数が増加しているがん分野でもNIH/NCIと共同し、ベトナムを加えた肝細胞がんに関する国際共同研究を開始した。また、日米医学協力計画においてもがん分野をNIH/NCIと共同して推進するなど日米アジア・パシフィック地域におけるがん分野の連携基盤の構築と共同研究を推進している。
- **国際がんゲノムコンソーシアム(ICGC)への貢献**
 - ゲノム解析に係る研究開発課題を通じて国際がんゲノムコンソーシアム(ICGC)へ関与・貢献。収集した情報を公募策定の一助にすると共に、ICGC加盟に向けた検討を推進。

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

②国際研究環境下での若手人材育成とシーズ創出

②-1. Interstellar Initiativeの試行と事業化による女性・若手研究者育成と画期的シーズ創出

統合プロジェクトと連携して選抜した日本の優秀な若手独立研究者(PI)をリーダーとして、世界7か国50名の若手研究者を国際的かつ学際的チーム20組に編成し、国内外の著名研究者をメンターに、未知の課題解決に取り組む国際ワークショップを試行的に開催。2度のワークショップを通じて若手研究者による画期的シーズ創出を目指し、国際的なファンディングプログラム(HFSP等)への応募により、国際共同研究につなぐ。

実施概要



▲メンターを交えたチーム協議

- 日程: (第1回)H29年3月17-19日 (第2回)H29年8月1-2日
- 開催地: 米国ニューヨーク(ニューヨーク科学アカデミー)
- 分野とメンター: がん、脳科学、再生医療の3分野で計16名
- 若手研究者: 7か国・50名(うち、日本人研究者は20名)
※日本人研究者は統合プロジェクトのPSに協力の下、選抜
- 各チームの議論・プレゼンに加え、メンターの基調講演やキャリアパスについてのパネルディスカッション、HFSP紹介を実施

効果

※平成29年7月実施

- 参加者アンケートの途中集計結果より17件でHFSPに申請予定であるとの回答。他に、US Dept. of Defense grant, NMRC Singapore等が申請先として検討されている。



▲Satellite Interstellar Initiative at A*STAR

- 後日、若手研究者による自主的なサテライトイベント(12/4,5シンガポール、12/27福岡)が開催された。A*STARが場所を提供し、シンガポール事務所が後方支援を実施。

H30年度事業化

- 試行結果を基に平成30年度新規研究事業としてInterstellar Initiativeを予算化
- 平成30年度の参加研究者の公募をNYASの協力の下、世界規模で実施
(公募期間:平成30年3月8日~4月3日、対象分野:がん、脳神経疾患)
- H29試行時からの主な強化・改善点
 - 学際性の強化(生命科学(基礎・臨床)、自然科学(物理等)、テクノロジー(工学等)(H30はAIが重点要素)を追加)
 - 海外の日本人研究者の参加を奨励、■予備実験のための研究費を配分



②-2.スペイン経済・競争力省 調査・開発・イノベーション担当総局(SEIDI)との協力覚書(MOC)署名とナノメディシン分野での若手研究者育成

- 平成29年4月にスペイン経済競争力省 研究開発イノベーション庁(SEIDI)とMOCに署名
- 平成30年3月には、覚書に基づく初の共同事業かつ、2018年の日スペイン外交関係樹立150周年を記念する事業として、若手研究者(Early Stage Researcher)を対象としてナノメディシン分野での国際共同公募をスペイン国家研究機構(AEI)と開始。※戦略的国際共同研究プログラム(SICORP) 研究領域「ナノメディシン」で実施



(写真左)SEIDIカルメン・ペラ長官

- 本事業のキックオフ兼150周年記念行事を2018年秋に若手研究者や企業関係者が参加する形でマドリッドで開催することで合意。若手研究者の育成の一環として準備を進めている。

②-3. 日米医学協力計画における米国国立アレルギー・感染症研究所(NIH/NIAID)との連携による女性・若手研究者の育成

- 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と連携して推進する若手・女性育成のための国際共同研究10課題に加えて新規課題を7件を採択して、若手・女性研究者の育成に貢献した。
- また、NIAIDと共同で第20回汎太平洋新興・再興感染症国際会議を中国・深センにて開催し、アジアにまん延するウイルス性疾患の病因と防御免疫をメインテーマに日米アジア等の研究者による研究成果を共有。日米医学協力計画の研究者のみならず、e-ASIA共同研究プログラムの研究者や統合プロジェクトの機構担当者も参加するなど、機構内外に国際的な場でのコミュニケーションの機会を提供した。



I (1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等

⑥国際戦略の推進

③国際共同研究等を通じた科学技術外交と国際貢献

③-1. 国際共同研究等を通じた科学技術外交と国際貢献

➤ 国連の持続可能な開発目標(SDGs: Sustainable Development Goals)への貢献

地球規模課題対応国際科学技術協力プログラム(SATREPS)では、政府開発援助(ODA)を行うJICAとの連携により、アジア・アフリカ等の開発途上国との感染症に関する国際共同研究14課題を12か国で推進。「アフリカにおける顧みられない熱帯病対策のための国際共同研究プログラム」では、アフリカ地域6か国で3課題を推進。それぞれ、政府のSDGs実施指針に則し、その具体的施策として国連のSDGs達成へ貢献。

【事例】SATREPSのベトナムにおける薬剤耐性に関する研究開発課題では、研究開発代表者がベトナム保健省からベトナム人民健康功労記念章を授与されるなど、国際的な貢献が認められた。

(写真1)

「薬剤耐性細菌発生機構の解明と食品管理における耐性菌モニタリングシステムの開発」(研究代表者・大阪大学 山本 容正 招聘教授)



▲写真1



【事例】「アフリカにおける顧みられない熱帯病対策のための国際共同研究プログラム」が中心となって、SATREPS, J-GRID(感染症研究国際展開戦略プログラム)に参加するアフリカにおける感染症研究者や健康医療分野でSDGsビジネスを展開する企業関係者が集う国際シンポジウムをザンビアにて開催し、キャパシティ・ディベロップメント等を促進した。(写真2)



▲写真2

➤ 地球規模の保健課題への対応

地球規模保健課題解決推進のための研究事業では、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5件の研究を推進。

【事例】我が国の保健医療人材制度の実態把握とその分析結果に基づく政策の立案を推進することを目的に保健医療人材カントリープロフィールを作成し、WHOの西太平洋事務局の公式出版物としてオンライン公開された。本カントリープロフィールが活用されることで、保健医療人材制度の整備や人材の国外流出への対応など、一国のみでは解決できない課題への解決策を加盟国各国が協働で見出せるようになることが期待される。(写真3)

「国際保健課題のモニタリングフレームワークの実現可能性」(研究開発代表者：国立保健医療科学院 曽根 智史 次長)



写真3▶

③-2. 慢性疾患国際アライアンス(GACD)運営への貢献

➤ AMEDは平成28年6月にGACD加盟。加盟に伴い理事長がGACDのBoardメンバー(財務担当理事)に、ロンドン事務所長が運営委員に就任し、運営に積極的に貢献。GACD Board meeting(年2回の会合(6・12月)と電話会議(3・9月))、運営委員会(年1回の会合と2ヶ月に1回以上の電話会議)に参加し、予算、事務局運営、次期戦略計画等について議論。

ーGACDの法人化に向け、加盟各国の会計年度と予算運営についてAMEDから提言し採用された。

ー次期戦略計画(Strategic Plan 2019-2024)にAMEDからも意見出して、骨子案策定に貢献した。

ー平成29年度にはメンタルヘルスを対象とした国際協調公募へ初参加(④-2詳細参照)。さらに平成30年度の高血圧・糖尿病に関する国際協調公募についても参加の方向で加盟各国と調整(平成30年4月20日に公募開始済み)。ジョイントピアレビューに参加したことから、Annual Science Meeting(採択研究者会合)に参加可能となった。

ーアジアでのリーダーシップを示す機会として、社会実装のためのImplementation Science Workshopの東京での初開催(平成30年6月)を調整。

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



④海外機関連携、国際アライアンスへの参加を通じたAMED事業の国際展開

④-1. 独・ライプニッツ協会との連携による国際ワークショップと革新的先端研究開発支援事業の連携、領域設計への活用

- 平成28年度に続き、ライプニッツ協会との合同ワークショップ「疾患・老化の免疫制御」を開催(平成29年9月)。免疫系による直接的、間接的な神経系の制御、老化の制御、健康な老化や疾患防御への影響を議論。
- 2度のワークショップの成果は、平成30年度研究開発目標に対応する革新的先端研究開発支援事業の領域設計に初めて活用された。



(日本側チェア)
京都大学 医学部
本庶 佑 教授



(ドイツ側チェア)
German Rheumatism Research
Centre Berlin (DRFZ)
アンドレアス・ラドブリッチ 教授

④-2. GACDのJoint Peer Reviewを通じた国際水準の評価プロセス等の情報・ノウハウの共有化と、外国人研究者を含むPeer Reviewプロセスの先行導入・国際レビューアのリストアップ等による英語化レビューの拡大推進

- GACDに加盟する14の世界の医療研究開発ファンディング機関で公募の概要・方法、審査等を統一した英語での国際協調公募に参加。平成29年度はメンタルヘルス分野での研究課題を公募、2課題を採択(平成29年10月)
※地球規模保健課題解決推進のための研究事業で実施
- 世界各国の資金配分機関10機関とグローバルヘルスやメンタルヘルス、免疫等を専門とする30名のレビューアによるジョイントレビューに日本人レビューア2名と共に機構職員も参加し、国際水準での評価を経験。我が国からの研究提案の弱み・強みを把握するとともに、世界トップクラスの研究提案をレビューアとして評価する機会を作ることも研究者育成に重要であることを確認し、機構の公募・評価プロセスの英語化の取組に対して情報を共有した。(写真:平成29年9月ケープタウンでのGACD Joint Peer Reviewの様子)
- 国際水準での評価等を目指し、課題事前評価における国際レビューアの導入と、英語を用いた申請・評価のシステム構築に段階的に着手。関連する英文文書や機構内の組織体制を整備した。
- 「次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業」など、平成30年度事業の一部で先行的に導入し、平成31年度以降に順次拡大し本格的に実施予定。
- 国際レビューアのリストアップには、MOCを取り交わした海外の資金配分機関等からの推薦、国際学術誌のリストの活用、国際ワークショップに参加した研究者、国内研究者の紹介など複数の方法により作成を進めている。



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



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。

○国が戦略的に重要なものとして設定した相手国との国際共同研究及び国際科学技術協力を推進

- シンガポールA*STAR、スペインSEIDIとの国際共同研究公募を実施(①-3、②-2の詳細参照)
- IRUDIにおけるグローバルデータシェアリング(①-1の詳細参照)、NIHとの共同研究(①-4)を推進
- その他にも、欧米等先進諸国との国際共同研究／国際科学技術協力を着実に実施。
 - 戦略的国際共同研究プログラム(SICORP)：カナダCIHRと幹細胞のエピジェネティクス分野(1か国、3課題)
 - 戦略的国際科学技術協力プログラム(SICP)：ドイツDFGと計算論的神経科学、インドDSTとバイオ医薬研究分野(2か国、7課題)
- 東アジア諸国との共同研究を、e-ASIA共同研究プログラムにおいて9か国で感染症領域(7件)の国際共同研究を着実に推進。加えて新たにがん研究領域にも対象を広げて新規課題3件(感染症領域1件、がん領域2件)を採択し、研究開発を開始(①-4の詳細参照)。

モニタリング指標	H27年度	H28年度	H29年度
相手国への派遣研究者数	515件	514件	451件
相手国からの受入研究者数	148件	165件	201件

評価軸

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。

○IRUDでの未診断疾患の確定診断・治療への貢献(①-1詳細参照)

○国連の持続可能な開発目標(SDGs: Sustainable Development Goals)への貢献

※医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業

- 政府開発援助(ODA)を行うJICAとの連携によるアジア・アフリカ等の開発途上国との感染症に関する共同研究を12か国で着実に推進(継続課題12件、新規採択課題2件)。加えて、ベトナムでの薬剤耐性の広がり等の解明で貢献(③-1の詳細参照)。 ※地球規模課題対応国際科学技術協力プログラム(SATREPS)
- アフリカにおける顧みられない熱帯病(NTDs)対策のため、アフリカ6か国で3件の研究開発課題を着実に推進するとともに、新規課題1件を採択した。また、本プログラムが中心となって、機構事業に係る日本-アフリカの感染症研究者が集う国際シンポジウムをザンビアにて開催し、アフリカの感染症研究のネットワーク構築と人材育成に貢献した(③-1の詳細参照)。 ※アフリカにおける顧みられない熱帯病(NTDs)対策のための国際共同研究プログラム
- アフリカ諸国との感染症分野における国際共同研究等による継続的な拠点協力については、感染症研究国際展開戦略プログラム(J-GRID)において、2拠点を着実に推進した。

○地球規模の保健課題への対応

※地球規模保健課題解決推進のための研究事業

- 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5件の研究を実施。保健医療人材のカントリープロフィールを作成し、WHOの公式出版物になるなど、研究成果の普及促進に貢献した(③-1の詳細参照)。
- GACD国際協調公募でメンタルヘルス分野の研究開発課題2件を採択し、研究を実施(③-2、④-2詳細参照)。

○「日米医学協力計画」への取組

※地球規模保健課題解決推進のための研究事業「日米医学協力計画」

- 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)と共有して研究を実施するとともに、若手女性研究者育成のための国際共同研究10課題を推進。さらに平成30年3月に7件を新規採択した。
- 第20回EID国際会議をNIAIDと中国で共同開催し、アジアにまん延するウイルス性疾患の病因と防御免疫をテーマに研究成果を共有した(②-3詳細参照)。

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

グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応を行っているか。

- 「①-1. 未診断疾患イニシアチブ(IRUD)のグローバルデータシェアリングの推進による未診断疾患の確定診断の進展と治療等への展開」に記載の通り、IRDiRCや米国NIH、リトアニア、オーストラリアなどとのグローバルデータシェアリングを戦略的に推進した(①-1詳細参照)。
- その他にも、①-2で英国と感染症分野、①-3で米国・英国と認知症・脳神経疾患分野、英国・シンガポールとエイジング分野、①-4でICGC、米国NCI、ASEANとグローバルデータシェアリングや国際共同研究ネットワークの構築等を戦略的に展開。

モニタリング指標	H27年度	H28年度	H29年度
参加している国際コンソーシアムの数	5件	7件	8件
開催した国際ワークショップの数	8件	11件	49件

評価軸

海外事務所を活用しつつ、共同研究の調整・推進や情報収集・発信等を行っているか。

- 海外事務所が支援して国際共同研究や国際連携の調整・推進を実施した取組例
 - 【ワシントンDC事務所】 International Brain Initiative(IBI)に関する情報を収集し、米国を含む海外で進められている脳科学研究との研究手法や脳画像データの共有などによる国際的な基礎脳科学研究、疾患関連脳科学研究の推進のための公募立案に貢献(①-3詳細参照)。
 - 【ロンドン事務所】 英国MRCと連携して感染症研究分野における日英連携をコーディネート(①-2詳細参照)。神経科学分野においても、MRC認知症研究所との長期ワークショップをコーディネート(①-3参照)。さらにGACDの運営委員会メンバーに就任し、GACD運営に貢献するとともに、機構内で慢性疾患に関する情報を提供(③-2詳細参照)
 - 【シンガポール事務所】 SICORPシンガポールの合同評価委員会(①-3参照)の支援やInterstellar Initiativeサテライトイベント(②-1詳細参照)の開催を支援。
- 上記以外の海外事務所による情報収集・発信

【ワシントンDC事務所】

- 日米の連携強化を目指したイベント開催
 - 在米日本大使館と第5回がんの臨床研究に関するワークショップを共催。日米のがん領域における臨床試験及び治験の仕組みや問題点等について議論。
 - 事務所開設一周年シンポジウムを開催し、機構と連携する米国機関が参加
- 「U.S. Life Science Research Budget Trend Data Collection 米国における研究開発のダイナミズム エビデンスベースの研究開発実体に関する調査」を実施し、機構内に共有



【ロンドン事務所】

- 日・英双方が相手の強みを情報交換できるイベントの開催(①-3を参照:ヘルシーエイジングシンポジウム)
 - 第1回ヘルシーエイジングシンポジウム 於ロンドン
 - 第2回ヘルシーエイジングシンポジウム 於東京
- 英国及び欧州委員会のライフサイエンス関連ニュース等を機構内に共有



第1回ヘルシーエイジングシンポジウム 於ロンドン

第2回ヘルシーエイジングシンポジウム 於東京

【シンガポール事務所】

- 豪NHMRCやニュージーランドHRCで公募審査会(Peer Review Panel)の傍聴やヒアリングをするなどして、評価手法を調査報告。
- TechInnovation、Phar-East、Nikkei-NUS共催イベントへの出展等で情報収集、発信



(右) ニュースクリップの提供
担当地域の主要ニュース抄録を毎月、重要ニュースの要約・解説を不定期に提供



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)AMED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

- ①医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)第1回(平成29年8月採択決定)、第2回(平成29年12月採択決定)公募の採択課題を決定し、支援を開始した。
- ②総合コンサルテーションにより、効果的かつ効率的な事業運営をオールAMEDの伴走支援で推進している。
- ③平成29年度補正予算の政府出資金を活用し、第3回公募を開始した(平成30年3月)。従来の一般型に加え、スタートアップ型のベンチャー企業が出口戦略を持って短期間に行う研究開発・環境整備を支援する公募タイプも新設した。

①

外部有識者により構成される医療研究開発革新基盤創成事業課題評価委員会を設置し、CiCLEでは多様な分野の研究開発を対象とすることから、多数の専門委員を委嘱し、それら協力の下、医療研究開発革新基盤創成事業採択・評価会による公平で厳格な事前評価を実施した。その結果、第1回公募では48件の応募に対し7課題を採択し、第2回公募では64件の応募に対し10課題を採択した。

②

CiCLEでは、総合的コンサルテーションにより、効果的かつ効率的な事業運営を伴走型で支援することとしている。PS/POの下、AMEDのCiCLE課題担当者、AMED関連部署、外部有識者、外部コンサルタント(薬事、知財、財務、マーケティング、等)らによるチームの形成を始めた。

③

平成29年度補正予算を受けて第3回公募(平成30年3月7日～平成30年5月31日)を行っており、第1回公募、第2回公募を振り返り、技術やビジネスモデルに新規性・革新性があり、短期間に成長してIPO(株式上場)や導出(技術売却)、M&A(事業売却、企業売却)等の出口戦略を持つスタートアップ型のベンチャー企業が産学連携、産産連携の下に行う医薬品や医療機器、再生医療等製品、医療技術などの実用化に向けた研究開発や環境整備を支援する「スタートアップ型(Venture Innovation for Clinical Empowerment、ViCLE <ヴィークル>)」(実施期間:3年、金額:最大3億円、担保/債務保証は委託費総額の10%)を設定するとともに、第1回公募及び第2回公募と同様の一般型においても、応募要件や返済条件を緩和する対象を拡大し、より応募しやすいものへと変革した。

I (1)AMED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



①

第1回公募結果（7課題）（平成29年8月1日公表）

採択課題名	代表機関名
特殊ペプチド原薬CMO創設	ペプチドリーム株式会社
経口コメ型バイオ医薬品のプラットフォーム化を目指した実証研究	アステラス製薬株式会社
産医連携拠点による新たな認知症の創薬標的創出	エーザイ株式会社
進行性骨化性線維異形成症（FOP）に対する革新的治療薬の創出	第一三共株式会社
薬剤耐性（AMR）菌感染症治療薬を目的とした創薬研究	大日本住友製薬株式会社
マラリアワクチンの医薬品開発と商業製造の確立	ノーベルファーマ株式会社
新規核酸送達技術を用いたウイルス感染症遺伝子ワクチン開発	第一三共株式会社

第2回公募結果（10課題）（平成30年4月13日更新）

採択課題名	代表機関名
がん医療推進のための日本人がん患者由来PDXライブラリー整備事業	株式会社LSIメディエンス
創薬ライブラリーの共同管理・運用及び産官学連携によるその相互利用推進	株式会社CACクロア
手足口病VLPワクチンの開発	一般財団法人阪大微生物病研究会
新規の核酸合成とデリバリー技術を用いた核酸創薬研究	株式会社カン研究所
ゲノム編集により作製した疾患iPS心筋細胞を用いた肥大型心筋症治療薬の開発	武田薬品工業株式会社
オピオイドδ受容体活性化を機序とする画期的情動調節薬の開発	日本ケミファ株式会社
タンパク質構造解析のハイスループット化へ向けた装置開発	日本電子株式会社
セラノスティクス概念を具現化するための創薬拠点整備を伴う、抗体等標識治療薬（アルファ線）とコンパニオン診断薬の開発	日本メジフィジックス株式会社
サイトメガロウイルス（CMV）特異的完全ヒト型モノクローナル抗体の臨床POC確立	ノーベルファーマ株式会社
クローン病を対象とした産学連携による本邦発バイオ医薬品と新規薬効予測マーカーの開発	EAファーマ株式会社

凡例（色見本）

【イノベーション創出環境整備タイプ】

【研究開発タイプ】

【実用化開発タイプ】

I (1)AMED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



②

CiCLE採択課題の伴走支援

(平成30年3月現在)

医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）においては、総合的コンサルテーションにより、効果的かつ効率的な事業運営を伴走型で支援する。

1. 伴走支援の基本的な考え方

- ・ CiCLEは「分野レス、フェーズレス」であり、必要な情報が課題によって異なる。
- ・ PS/POが、しかるべき情報（薬事、連携・事業化、知的財産、技術面、マーケティング等）を持って課題マネジメントを行うことが重要。
- ・ 早い段階での規制側とのコンタクトは大きなメリットがある。

2. 支援の方法

多様な情報の収集・提供が必要となることから、PS/POの下で伴走支援のためのチームを形成する。チーム運営の外注化も図る。

全体支援チーム（チームA）

- ・ CiCLE担当PS/PO ・ 外部有識者
- ・ AMED関係部署

すべてのCiCLE課題を対象に、以下の支援活動の手法、内容等を調整・具体化し、実行する。

- ・ 知的財産部事業やAMED-CREST、橋渡し事業も含め、連携可能性がありそうなAMED基盤の事業の情報をAMEDから提供する。（全体説明会、個別メールでの提供、等）
- ・ CiCLE採択者から個別AMED事業に関心が示された場合は、個別に詳細な情報提供を行う。
さらにCiCLE採択者から希望があれば、支援メニュー提供の仲立ち調整等を行う。
- ・ また、レギュラトリーサイエンス関連事業の全般的情報提供も行う。
- ・ 外部有識者として若手を登用し、PS/PO等人材育成も図る。
- ・ その他

感染症分野支援チーム（チームB）

- ・ CiCLE担当PS/PO ・ 感染症プロジェクト担当PS/PO ・ 外部有識者
- ・ AMED戦略推進部感染症研究課 ・ 他AMED関係部署
（オブザーバー）厚生労働省、医薬品医療機器総合機構（PMDA）（今後調整）

感染症分野のCiCLE課題（第1回公募では4課題。第2回公募結果によって適宜加える）を対象に、以下の支援活動の手法、内容等を調整・具体化し、実行する。

- ・ CiCLE採択者に内外分析結果を適切な頻度で参考提供するとともに、要望事項を聴取する。
- ・ AMED企画の国内外イベントへの参加機会を提供する。
- ・ AMEDとして参画する展示会等への参加機会を提供する。
- ・ CiCLE採択者のうち大学等研究機関などにおける知財担当者のスキルアップ機会（AMED研修等）を提供する。
- ・ その他

（仮称）ベンチャー支援チーム（チームC）（検討中）

- ・ CiCLE担当PS/PO ・ 外部有識者 ・ AMED産学連携部 ・ 他AMED関係部署

今後、これらの他にも採択課題に応じて検討を行い、順次チームを形成の上、伴走支援を行う。

I (1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等

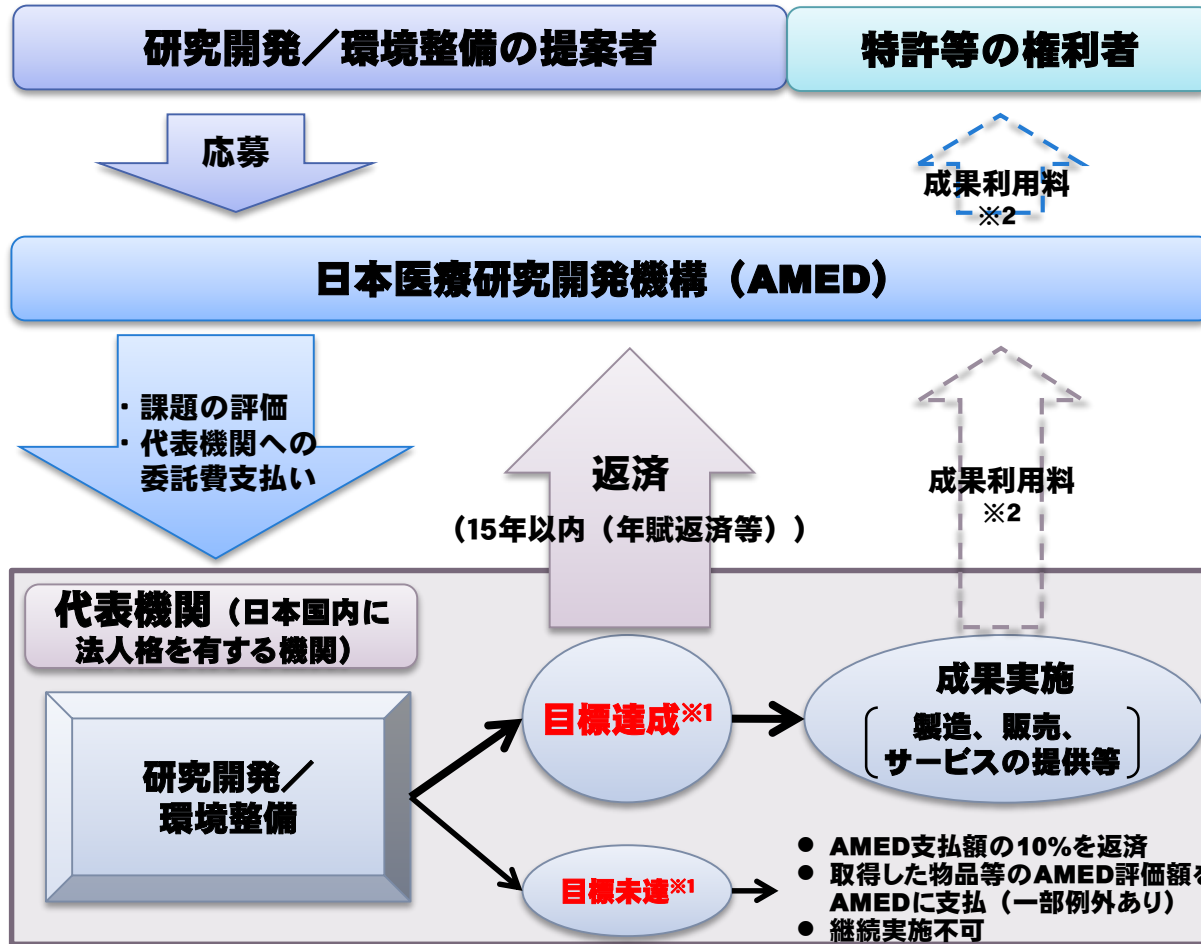
⑦政府出資を利用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等



③

CiCLEの実施スキーム

平成29年度補正予算
300億円



○ 一般型

産学連携、産産連携など企業や大学等の様々な組合せの混成チームが行う、医薬品や医療機器、再生医療等製品、医療技術などの実用化に向けた研究開発や環境整備を支援

期間：原則、最長10年（委託期間終了後15年以内の返済）

金額：原則、最大100億円／課題（実用化開発タイプは原則、最大50億円／課題）

新設

○ スタートアップ型 (ViCLE、"ヴィークル")

～ Venture Innovation for Clinical Empowerment ～

スタートアップ型のベンチャー企業が、産学連携、産産連携の下に出口戦略をもって短期間に行う医薬品や医療機器、再生医療等製品、医療技術などの実用化に向けた研究開発や環境整備を支援

期間：原則、最長3年（委託期間終了後15年以内の返済）

金額：原則、最大3億円／課題

※担保／債務保証に緩和措置あり

※1 目標達成／未達は、応募時に想定される、実用上、必要最低限の技術的水準／整備水準の達成で判定

※2 売上げに応じてAMEDに成果利用料を支払う（一部例外あり）。AMEDは支払われた成果利用料を積み立て、研究開発の基となる特許等がある場合は別途、特許等の権利者に還元

I (1)AMED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)など、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。

採択や終了時の評価においては、より専門性の高い査読を図るべく、第1回公募(平成29年3月～平成29年4月24日)の事前評価において、専門委員31名で査読した。第2回公募(平成29年4月25日～平成29年8月31日)の事前評価では、さらに強化すべく、70名追加し、101名とした。また、第3回公募(平成30年3月7日～平成30年5月31日)において、スタートアップ型(ViCLE)が加わることを踏まえ、事業性評価を強化する観点から、ベンチャーキャピタリストや起業経験者等を追加しようとしているところ。他方、課題評価委員会の委員についても適宜、議論し、第1回公募の事前評価では13名であったのに対し、第2回公募の事前評価では1名追加し、14名とした。

進捗確認や課題の相談など、支援するために必要な実施体制構築については、伴走支援参照のこと。

評価軸

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。

- ・ 外部有識者の中からプログラム・スーパーバイザー(PS)兼プログラム・オフィサー(PO)を3名、さらにPOを1名、委嘱しており、採択課題の実施計画策定において指導・助言を行った。
- ・ 医療研究開発革新基盤創成事業PO会議を平成29年11月16日に開催し、各採択課題の研究開発マネジメントの手法などについて情報共有をした。
- ・ CiCLEでは、総合的コンサルテーションにより、効果的かつ効率的な事業運営を伴走型で支援することとしている。PS/POの下、AMEDのCiCLE課題担当者、AMED関連部署、外部有識者らによる支援体制の形成を始めた。詳細は、前々ページの伴走支援参照のこと。
- ・ 多様な研究開発課題を推進することから、科学技術顧問が課題マネジメントに加わるほか、課題マネジメントのために科学技術調査員2名を委嘱した。

I (1)AMED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

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。

適切な頻度で報告をしており、改善を求められたら、改善を図っている。

また、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に設置しており、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る。平成29年度の同採択・評価会においては、内閣府、文部科学省、厚生労働省、経済産業省、総務省にはアドバイザーとして出席があり、情報共有を行った。

さらに、平成30年3月30日に進捗報告会を内閣府、文部科学省、厚生労働省、経済産業省に対して行った。

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

(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)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

①医薬品創出

評定(自己評価)

A

創薬戦略部の創設、研究マネジメントチェック項目(医薬品)の作成・運用、国際レビューの導入等、機構業務全般に資する取組を実施した。①研究開発においては、MANO法や連続フロー合成技術を開発し、製薬業界意見交換を踏まえた新たな産学官共同創薬プロジェクトを企画した。②BINDSにおいては、クライオ電顕NWの構築など体制整備・支援を実施し約30件(技術・シーズ)の導出達成、製薬協担当部会との意見交換を踏まえ、産側利用ルールを策定した。③CIN、レギュラトリーサイエンスにおいては、患者レジストリを活用した研究やデータの信頼性確保方策等を取りまとめ厚労省の通知として発出、またGAPFREEの仕組みをCIN推進事業へ活用した。④創薬支援ネットワークにおいては、DISCを用いた初の企業導出、創薬推進支援ユニットによる機能強化、中分子ライブラリーの運用開始とヒット候補化合物見出を行った。以上のとおり、AMED内外の連携も積極的に行い、オールジャパン医薬品PJ全体でH29年度だけで約50件(技術・シーズ)の導出を達成し、今後も更なる成果が見込まれることなどから、「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。

全般的取組

- AMED全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行う体制を構築するため「創薬戦略部」を創設【I(1)①と再掲】
- 研究マネジメントチェック項目(医薬品)の作成と運用【I(1)①と再掲】
- 国際レビューの先行的取組として、クライオ電子顕微鏡設置機関の選定会議、及びバイオ医薬品高度製造技術開発の事前評価に関し、外国人レビュアーを含めた英語による評価を実施するとともに、AMEDの業務手順標準化等に寄与【I(1)①と再掲】

研究開発

- がん遺伝子変異の高速評価と治療薬探索技術(MANO法)の開発【①-1】
- 医薬品の連続フロー合成技術の開発【①-2】
- 体液中マイクロRNA測定などのがんの早期診断技術の開発【I(1)⑤と再掲】
- 新たな産学官連携PJ(GAPFREE3・薬用植物国産化)の企画検討の実施【①-3】

- 外部連携
 - ・AMED・製薬業界ハイレベル意見交換会の開催
 - ・製薬協担当部会メンバーとの意見交換(BINDS産側利用ルールの策定・iD3の運用など)
 - ・PMDAとの連携によるRS研究の推進

平成29年度
約50件
(*)の
導出
達成

更なる
成果の
創出

支援基盤等

- 創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム(BINDS)【②】
 - ・BINDS全体のマネジメント体制の構築・支援の実施
 - ・クライオ電子顕微鏡ネットワーク(CryoEM Network)の構築
- クリニカルイノベーションネットワーク(CIN)/レギュラトリーサイエンス(RS)【③】
 - ・患者レジストリ活用研究のデザイン、データ信頼性確保方策等取りまとめ・公表
 - ・産学官共同レジストリ利活用プロジェクトマッチングスキームの開始
 - ・RSの観点から、動物試験代替法の評価に関し検討・通知化
 - ・PMDAとの連携によるRS研究の推進【I(1)④と再掲】

- 内部連携
 - ・「創薬基盤推進研究事業」におけるGAPFREEの仕組みを「CIN推進事業」へ活用
 - ・「次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業」で整備した抗体製造プラットフォームやエコシステム調査研究の成果を「創薬支援ネットワーク」で活用
 - ・「創薬基盤推進研究事業」の支援課題でデザイン・製造した中分子化合物を「創薬支援ネットワーク」で活用

事業名	平成29年度 導出件数()内はシーズ
革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業	12
次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業	1
創薬基盤推進研究事業	4
創薬支援推進事業	2(2)
創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業	29(9)
臨床研究・治験推進研究事業	1(1)
合計(*)	49(12)

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



①医薬品創出

①研究開発(創薬基盤/新薬創出研究等)

①-1 新規発がん遺伝子を短期間に発見し、かつその治療薬を探索可能とする革新的技術(MANO法)を開発しH29年11月に公表した。

①-2 不均一系触媒と連続フロー合成を組み合わせた最先端手法を開発し、医薬品の連続生産技術の開発に成功した。

①-3 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業において、12件の導出を行った。

①-4 製薬企業との意見交換を踏まえ、GAPFREE3(産学官共同創薬技術活用プロジェクト)を企画を進めるとともに、「薬用植物国産化・利活用促進プロジェクト」のマッチングスキームを開始した。

①-5 希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業において新たに2件への支援を開始した。

②支援基盤等(創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム)

②-1 H29年度は、「創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム(BINDS)」を開始・マネジメント体制を整備し、放射光施設利用(176件)や化合物提供等の支援(237件)を実施し、その結果29件の導出を行った。また、クライオ電顕稼働効率最大化のため「CryoEM Network」を構築し、平成30年度より外部支援を本格稼働するとともに、産側の利用(成果占有)のルールを明確化した。

③支援基盤等(CIN、RS)

③-1 クリニカルイノベーションネットワーク(CIN)の推進により、患者レジストリを活用した研究デザインやデータの信頼性確保方策等を取りまとめ、厚生労働省の通知として発出された(H30年2月)。

③-2 CIN推進支援事業「産学官共同レジストリ利活用プロジェクト」のマッチングスキームを開始した。

③-3 RSの観点から、動物試験代替法の評価に関し、検討・通知化された(H30年1月)。

③-4 PMDAとの連携によるRS研究の推進【I (1)④と再掲】

④支援基盤等(創薬支援ネットワーク)

④-1 産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)に関し、HTSによるヒット化合物について、初めて企業に1件導出した。

④-2 広範な支援に対応できるよう、民間リソース等を活用する創薬支援推進ユニット計8機関を新たに整備し、創薬支援ネットワークの機能をより強化した。

④-3 日本初の次世代創薬シーズライブラリー(中分子ライブラリー)による約12,000化合物のスクリーニングの運用を開始し、今年度ヒット候補化合物を見いだした。

④-4・5 創薬支援ネットワークに関し、アカデミアとの連携強化の観点から、革新的医療技術創出拠点(臨床中核病院等)の担当コーディネータの設置を開始し、窓口機能を強化した。また、支援撤退基準に支援開始からステージアップまでの期間を最長2年とする時間的視点を反映するなど、より効果的・効率的な運営を開始した。

④-6 以上の結果、オールジャパン医薬品PJ全体でH29年度だけで約50件の導出を達成した。

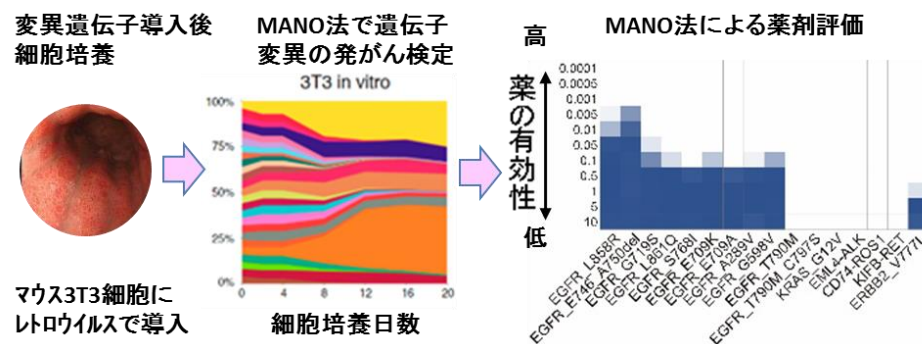
I. (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

①医薬品創出

①研究開発(創薬基盤/新薬創出研究等)

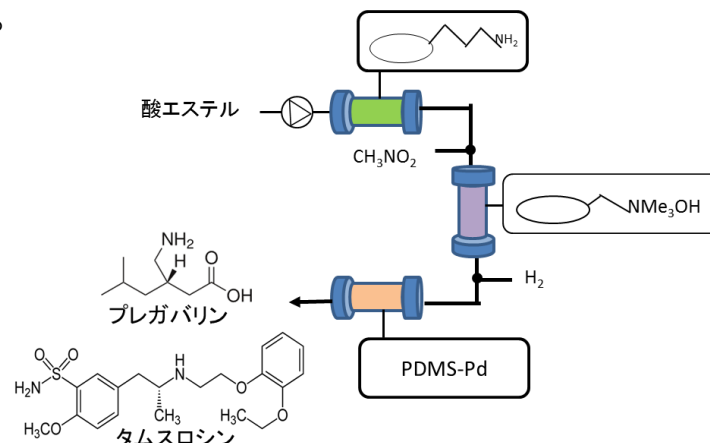
①-1 新規発がん遺伝子を短期間に発見し、かつその治療薬を探索可能とする革新的技術(MANO法)を開発した。

- がん細胞のゲノム解析から遺伝子変異は数多く見つかるが、真の発がん原因を明らかにするには、長い日数を要した。
- 今回、疾患関連不明の変異遺伝子機能を解明する革新的技術MANO法の開発に成功した(H29年11月)。
- 本法により、発がん原因遺伝子変異の検定に成功し、さらに有効な治療薬を短期間にスクリーニング可能なことを示した。



①-2 不均一系触媒と連続フロー合成を組み合わせた最先端手法を開発し、医薬品の連続生産技術の開発に成功した。

環境負荷が少なく、効率、安全面でも優れているフロー合成法はICHにおいて技術動向や評価手法についてトピック化検討が行われている注目技術である。キラルで市場性があり社会的インパクトのあるプレガバリンの連続フロー合成法を確立し、不斉1,4-付加反応に必要な新規触媒を開発した。さらにタムスロシンの不斉合成・不斉還元を可能とする不均一系触媒を見だし、連続フロー合成へ展開中である。追加化合物として新たに2化合物の合成検討に着手した。不斉触媒技術を利用したフロー精密合成は世界トップクラスの研究であり、研究実績を重ね、ICHでの議論をリードする。



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

①医薬品創出

②支援基盤等(創薬等先端技術支援基盤プラットフォームによる成果)

②-1創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム(BINDS)の開始

- ・事業内のユニット/領域間連携や事業外との連携をマネジメントすることで研究効率化並びに事業成果最大化を図ることを目的として、ヘッドクォーター機能としてPS/PO、外部有識者とAMED事務局からなる運営会議を設置した。
- ・クライオ電子顕微鏡を新規に整備した。また、電顕稼働効率の最大化のため、既存施設も活用し、全国規模でスクリーニングから高解像データ取得までを実施する、クライオ電子顕微鏡共用ネットワークを構築した。
- ・放射光施設利用(176件)や化合物提供等の支援(237件)を実施し、その結果29件の導出を行った。



③支援基盤等(レギュラトリーサイエンスによる成果)

③-1クリニカルイノベーションネットワークの推進

- ・希少疾患などランダム化比較試験が実施困難な場面でその代替となるような手法を開発することを目的として、患者レジストリデータを活用した研究デザインおよび解析法の開発を行った。
- ・研究班の主催によりシンポジウム「患者レジストリを薬事制度下で活用するためのデータの信頼の考え方」にて研究成果を発表した。
- ・研究班が作成した「患者レジストリ利活用における信頼性の考え方」の製販後の部分は、「製造販売後データベース調査における信頼性確保に関する留意点」に統合され通知された(H30年2月/薬生薬審発)。

③-3 レギュラトリーサイエンスの観点から、動物試験代替法の評価に関し検討・通知された(H30年1月/薬生薬審発)。

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

①医薬品創出



④支援基盤等(創薬支援ネットワークによる成果)

④-1 意思決定を担う会議体として、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の各理事長が指名する者から構成される「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運営会議の承認に基づき、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の創薬支援ネットワーク諮問委員会を開催した。

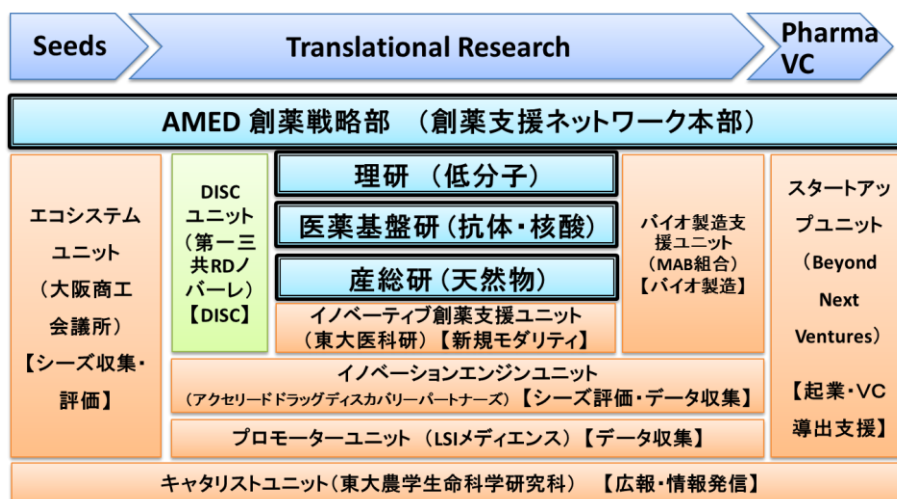
また、DISCでHTSを実施し、会員企業に創薬シーズを導出した。

➤ 「がん細胞DNA脱メチル化酵素を分子標的とするFirst-in-classのがん治療薬の探索」

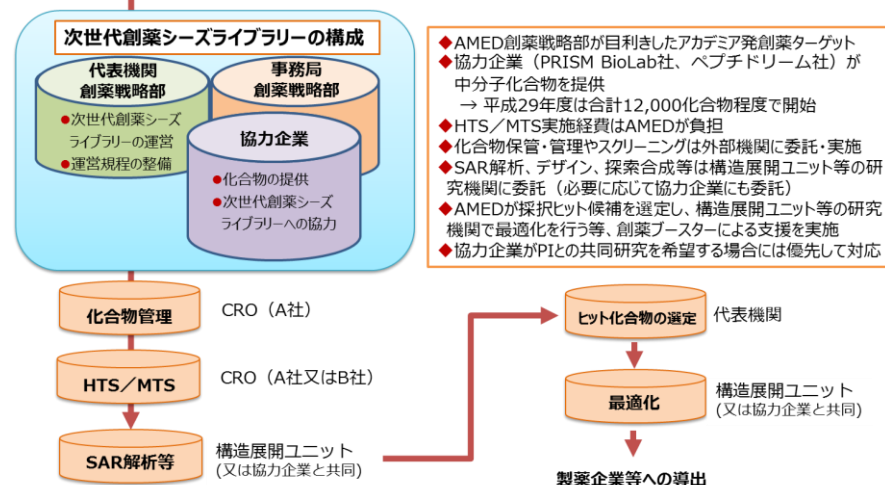
(辻川和丈 大阪大学大学院薬学研究科)

④-2 創薬研究の推進に資する貴重な民間リソースやARO機能などを有機的に結びつけ、創薬支援ネットワーク機能の強化ひいては医薬品創出の推進力を強化するために、「創薬支援推進ユニット」として8機関を採択し、利用開始した。

④-3 創薬基盤推進研究事業の「次世代創薬シーズライブラリー構築プロジェクト」で合成されたタンパク-タンパク間相互作用(PPI)阻害が期待される独自の中分子化合物(約12,000化合物)を活用して、創薬支援ネットワークの支援課題においてスクリーニングの運用を開始した。



創薬支援ネットワークによるアカデミア発創薬シーズの支援



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

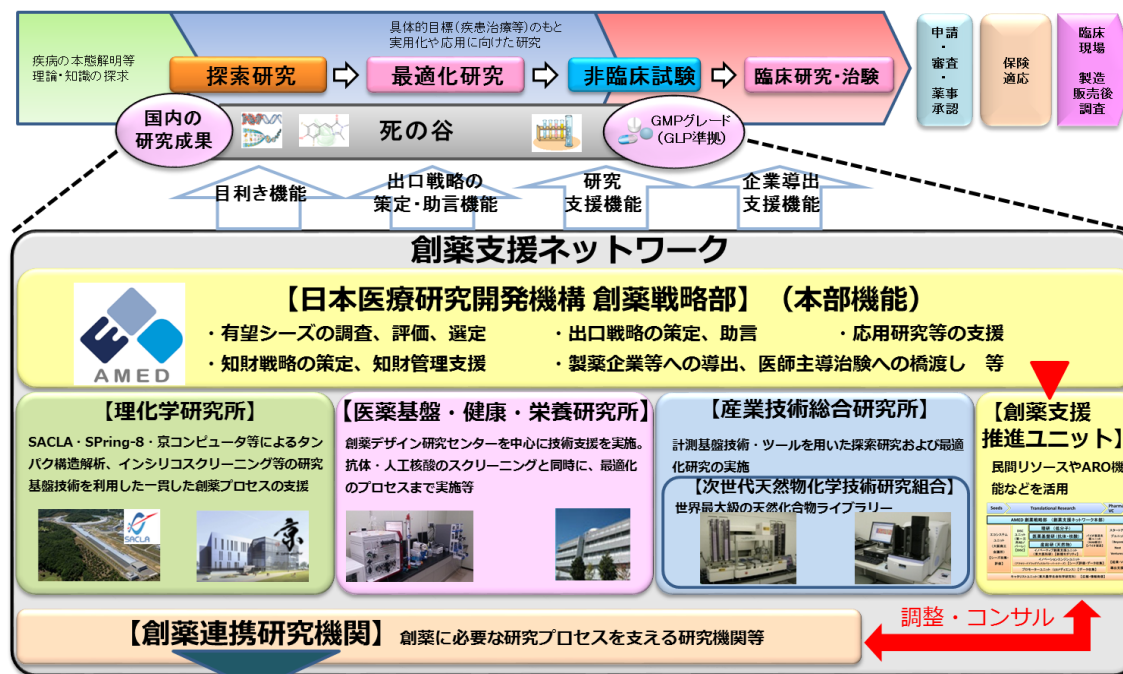
①医薬品創出

④支援基盤等(創薬支援ネットワーク)

④-4 革新的医療技術創出拠点(臨床中核病院等)の担当コーディネーターの設置を開始し、窓口機能の強化を行った。

④-5・有望な創薬シーズの選定に必要な実用化の可能性等に係る評価基準に基づき、アカデミア発創薬シーズの評価を実施した。平成29年度は相談・シーズ評価を275件実施し、有望シーズへの創薬支援を25件選定した。

④-6「導出に関する基本的考え方」に基づき、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、製薬企業の重点開発領域等やニーズの情報収集を行い企業導出に向けた取組みを進めるとともに、創薬支援ネットワークで導出契約を平成29年度単年度で2件(「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトとしては49件)締結した。



CRO、製薬企業等の設備・技術(創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業も一部含む)

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

①医薬品創出



<成果目標達成状況>

KPI【2020年までの達成目標】	①.平成30年3月末迄の累積達成状況	②.①のうち、平成29年度の達成状況
相談・シーズ評価:1,500件	1,138件	275件
有望シーズへの創薬支援:200件	83件	25件
企業への導出:5件	80件(うち創薬支援ネットワーク:4件)	65件*(うち創薬支援ネットワーク:2件)
創薬ターゲットの同定:10件	11件	3件

○企業への導出

* 平成29年度に新たに導出が判明した件数
(平成29年度単年度の導出件数は49件)

オールジャパン医薬品PJ各プロジェクトにおいて、企業への導出を行った。

(導出例)

【創薬支援ネットワーク】

- 「がん細胞DNA脱メチル化酵素を分子標的とするFirst-in-classのがん治療薬の探索」(辻川和丈 大阪大学)
- 「NF-κB標的遺伝子の発現を阻害する抗がん剤の探索」(伊庭英夫 千葉大学)

【創薬基盤技術開発事業】

- 「核酸医薬原薬及び核酸医薬原液製造技術に関する企業導出」(片岡正典 四国核酸化学)

【創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム(BINDS)】

- 「抗ATR抗体と抗TERT抗体の一部について、企業導出」(加藤幸成 東北大学 大学院医学系研究科)

○創薬ターゲットの同定

新たに3つの創薬ターゲットを同定した。1件は発がん能・薬剤抵抗性に関与する遺伝子変異を解明し創薬標的となることを確認した。他の2件はインフルエンザ発症に関する異なる宿主因子2種を発見し、創薬標的となることを確認した。

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

①医薬品創出



評価軸

・創薬支援ネットワークの構築や創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業などにより、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図ったか。

- 創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム(BINDS)の運用を開始。事業内外の連携促進のためのマネジメント体制を構築し、放射光施設共用や化合物提供等の支援を実施した。また、クライオ電子顕微鏡ネットワークの構築を行い、産業界側の利用のルールを明確にした。(前ページ等の②を参照のこと)。
- 創薬支援推進ユニットの設置、次世代創薬シーズライブラリー(中分子ライブラリー)の運用開始、CINの推進など、創薬支援に係る基盤強化を図った。(前ページ等の③、④参照)

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。

- 新たな創薬ターゲット同定研究に取り組み、新たに3つの創薬ターゲットを同定し、KPIの最終目標を達成した(前ページの「成果目標達成状況」を参照のこと)。
- がん遺伝子変異の高速評価と治療探索技術(MANO法)、医薬品の連続生産技術の開発など創薬の基盤となる技術開発を推進するとともに、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援した(前ページ等の①、「成果目標達成状況」を参照のこと)。

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

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。

- 革新的医療技術創出拠点(臨床中核病院等)の担当コーディネーターの設置を開始し、窓口機能の強化を行った。また、支援撤退基準に支援開始からステージアップまでの期間を最長2年とする時間的視点を反映するなど、より効果的・効率的な運営を開始した。(前ページ等の④参照)
- 上記のとおり、創薬支援資源を集中的に投下した結果、応用ステージも含めた支援を行い、導出実績2件などの成果をあげた。(前ページ等の④、「成果目標達成状況」参照)

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)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

②医療機器開発

評定(自己評価)

B

所掌する7事業・1継続課題153件については、中間・事後評価を適切かつ効果的に実施し、調整費、加速費の投入などメリハリのある推進を行うとともに、事業間連携を積極的に進めシームレスな支援を目指した。既存事業の新テーマ、新規1事業についてスキーム検討、公募、採択を行い着実に実施した。さらに、我が国医療機器産業の活性化のため、今後の医療機器開発の方向性の検討に着手した。KPI達成に向けて様々な取組を検討し、着実に実行したことからBと評価される。

オールジャパン医療機器開発分野における全体的な取り組み <AMEDの医療機器開発支援の方向性を検討>

「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」を設置し、社会ニーズや医療の方向性からバックキャスト的に整理した「医療機器開発の注目領域」と、中長期的な観点で「AMEDにおける医療機器開発支援の方向性」について検討実施。

①革新的医療機器の開発支援と普及

- (1) 先端計測分析技術・機器開発プログラムにおいて12件の革新的医療機器のシーズを採択。また、実施中の課題において、日本医療研究開発大賞AMED理事長賞を受賞(次世代乳がん画像診断機器の開発)。
- (2) 未来医療/認知症早期診断MRIの開発において、QSM/VBMハイブリッド撮像法による新規の画像処理プログラムプロトタイプを完成させ、健常人とAD患者での有意差を確認。磁化率上昇とAβとの相関のエビデンス構築を開始。
- (3) 未来医療/「スマート治療室」プロジェクトにおいて、信州大学付属病院に「スマート治療室」の標準モデルの構築を開始し、普及と展開に向けた活動を加速。
- (4) 未来医療/「メディカル・デジタル・テストベッド」プロジェクトにおいて、医師の暗黙知をデータ化/数値化し、高度・複雑な手術等を再現できる支援システムを目指した開発に着手。
- (5) 医療機器開発推進事業において、3件の革新的医療機器の医師主導治験を開始。

②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援

- (1) 文科省、厚労省、経産省、各地支援機関の連携による「医療機器開発支援ネットワーク」を通じて、伴走コンサルを129件(H29)実施。開発初期段階から事業化にむけ幅広く支援。更に製品評価サービスを提供した。
- (2) 医工連携事業化推進事業において、39件(新規採択含む)の課題を推進し、高度なものづくり技術を有する中堅・中小企業を支援。
- (3) 途上国/新興国医療技術実用化事業において、日本企業の現地ニーズに応じた機器開発を3件支援。

③臨床ニーズへの対応

平成29年度に収集した291件のニーズから2件を絞り込み、未来医療事業で新規にテーマ設定し、9件の課題を採択、実施した。

④医療機器開発人材育成

医療機器開発を目指す企業人材を臨床現場に受け入れるための体制構築を全国11医療機関で実施。

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

②医療機器開発 「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」の検討結果(1)

オールジャパン医療機器開発分野における全体的な取り組み
 <AMEDの医療機器開発支援の方向性を検討>

医学・工学・産業それぞれの有識者から構成された、「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」を設置し、全3回の討議を通じて下記について検討し、報告書(約200ページ)を取りまとめた。

- ① 医療ニーズを中心とした社会ニーズや技術シーズの変化に対応した医療のあり方の変化を踏まえた、今後の医療機器開発における注目領域の設定
- ② 医療機器開発に携わる企業、医師、研究者等の意見を踏まえた、AMEDによる医療機器開発支援の方向性の整理

約70～80件の医療機器開発に携わる企業、医師、研究者等の関係者に対するインタビューを実施し、今後、重点的に取り組んでいくべき医療機器の分野やテーマ、我が国の強みや弱み、AMED(又は国)が医療機器開発において果たすべき役割について、様々な「生の声」を収集し、現場を踏まえた検討を行った。

2018年3月22日付プレスリリース

トップ > ニュース > プレスリリース > 「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」の検討結果及びこれを踏まえたAMEDの対応等について

プレスリリース 「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」の検討結果及びこれを踏まえたAMEDの対応等について

平成30年3月22日(プレスリリース)

国立研究開発法人日本医療研究開発機構

ニュース

プレスリリース

成果情報

トピックス

事業に関するお知らせ

募集案内

イベント

その他お知らせ

・社会環境が大きく変化する一方、革新的技術が次々と登場しており、医療のあり方は大きく変化しようとしています。

・AMEDでは、平成29年12月に「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」を設置し、「医療機器開発の注目領域」と「AMEDにおける医療機器開発支援の方向性」について検討を行ってきました。

・このほど「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」の報告書が取りまとめられるとともに、AMEDとしての今後の対応を取りまとめました。

昨今、少子高齢化の進展、新興国市場の台頭など、社会環境が大きく変化する一方、遺伝子解析/編集技術やAI、IoTなど、革新的技術が次々と登場しており、医療のあり方は大きく変化しようとしています。そうした中、日本医療研究開発機構(AMED)をはじめとする医療機器開発に携わる関係者は、限られた資源をこれまで以上に効果的に配分し、高い成果をあげていくことが求められています。AMEDでは、このような課題認識の下、患者のQOLの向上及び我が国の医療機器産業の活性化・国際競争力強化を目指し、今後の医療機器開発の重点分野等の医療機器開発のあり方について総合的に検討するため、平成29年12月に「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」(委員長:菊地眞 公益財団法人医療機器センター理事長)を設置し、「医療機器開発の注目領域」と「AMEDにおける医療機器開発支援の方向性」について検討を行ってきました。

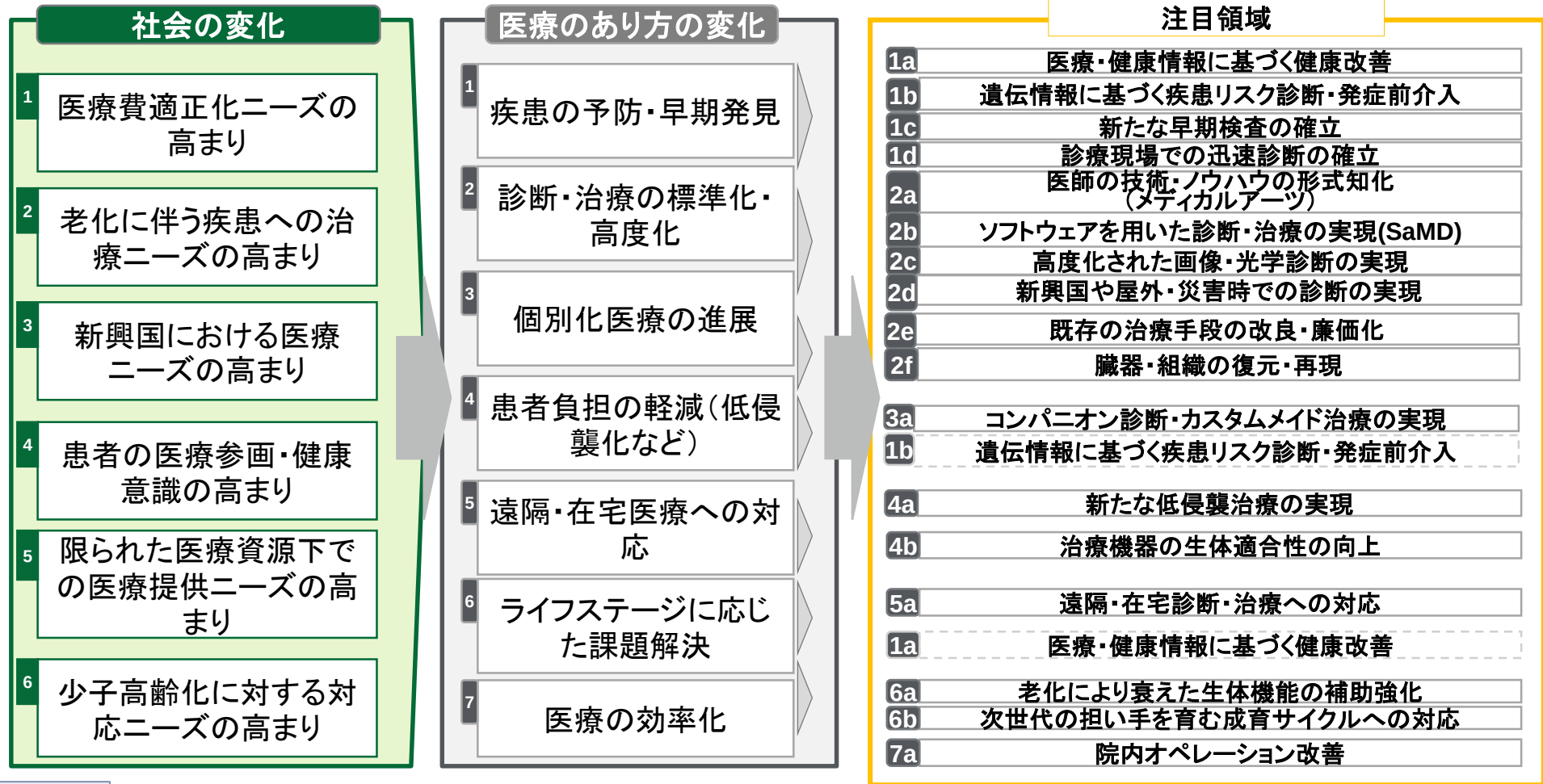
同委員会において、これまで検討を重ねた結果、「医療機器開発のあり方に関する検討委員会報告書」が取りまとめられました。またAMEDにおいて、これを踏まえたAMEDの対応等について整理し、「『医療機器開発のあり方に関する検討委員会』の提言を踏まえた今後の対応」を取りまとめたので、お知らせします。

インタビューで得られた「生の声」(一部)

- ・医療ICTへの対応は、自社だけでは十分な対応はできず、複数の社で取り組む必要があるため、AMEDにファシリテートして欲しい【日系大手医療機器企業】
- ・日本のメーカーはネットワーク形成が下手なので、AMEDには、ベンチャーとアカデミアが共同で事業に取り組む場合のコーディネーターとしての役割を期待している【ベンチャー企業】【医療機器新規参入企業】
- ・臨床現場が、医療機器メーカーに対して、具体的な機器開発の要望をもっと簡単に伝えられるような環境整備が必要である【医師・研究者】
- ・ソリューション化や機器間連携の進化が今後重要になるため、業界の共通規格を設け、企業・機器間の連携やソリューション開発を促す必要がある【日系大手医療機器企業】【外資系大手医療機器企業】
- ・民間企業がAMEDに期待することは、他のプレイヤーとの連携支援、国としての機器開発の方向性の提示などがより重要【日系大手医療機器企業】【医療機器新規参入企業】

取組Ⅰ 「医療機器開発の注目領域」の設定

医療機器開発に関連するプレイヤーの開発への一層の取り組みを促すため、社会の変化(ニーズ面)と要素技術の変化(シーズ面)に対応した医療のあり方の変化を整理し、今後の「医療機器開発の注目領域」を設定した。



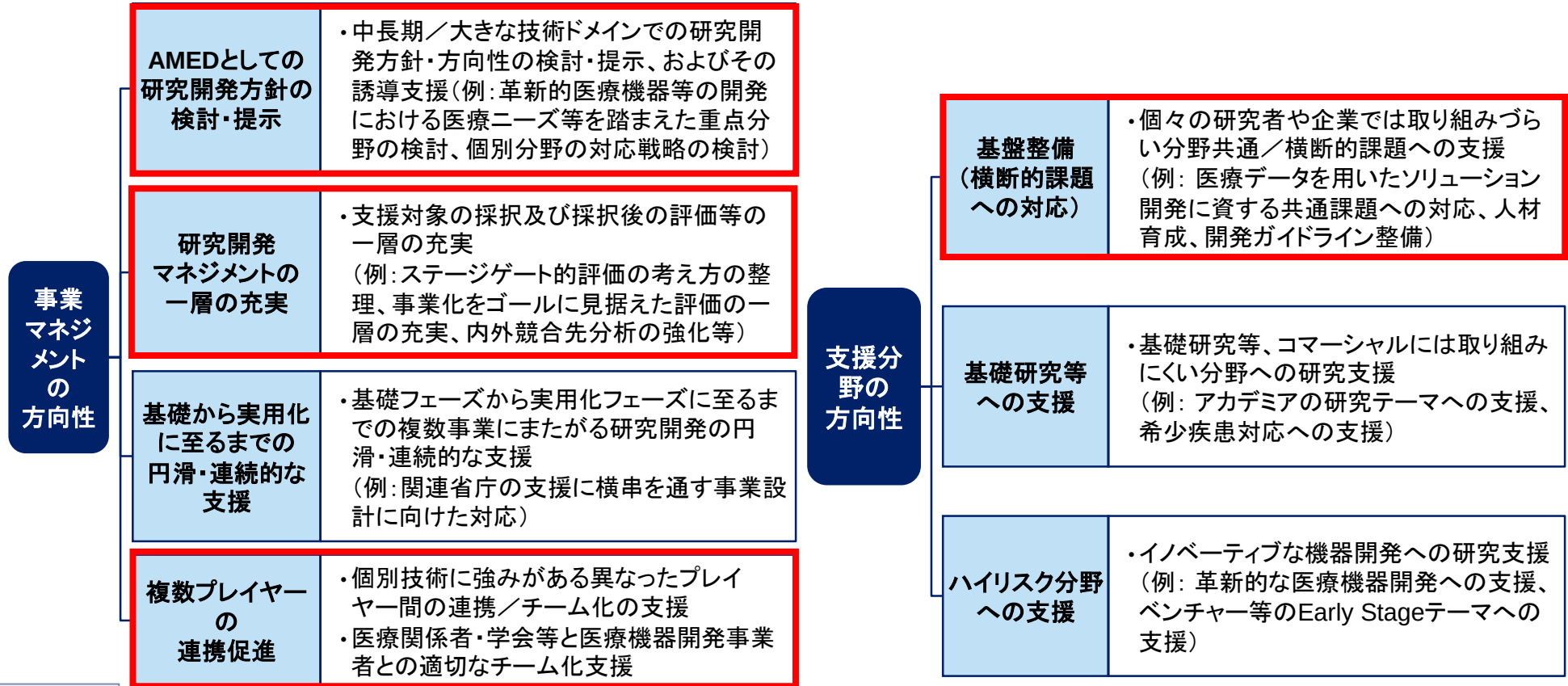
今後のアクション

- 限られたリソースでより多くの成果を生み出すため、支援の大胆な重点化を進め、平成30年度から重点分野の選定に着手する。(その際、重点化に馴染みにくい研究開発については、十分な留意を払う)
- 重点分野ごとにワーキンググループを設置して、どのような価値を提供しようとするかの将来ビジョン、及び実現のための課題や、当該課題を解決するためのコンセプトを検討する。

取組 II

「AMEDにおける医療機器開発支援の方向性」の整理

医療機器開発に携わる企業、医師、研究者等の有識者の意見を幅広く収集し、その内容に基づき、事業マネジメントと支援分野の二つの側面から、「AMEDにおける医療機器開発支援の方向性」を整理した。



今後の
アクション

- ・ 医療機器開発課題に係るGo/No-go判断の整理を行う。その際、事業化を目指す観点においてベンチマーク分析の視点等を取り入れる。
- ・ 医療機器分野に共通する個々の研究者や企業では取り組みづらい分野共通的・横断的課題を抽出し、対応策の検討を行う。
- ・ 特に「医療機器開発×デジタルデータ利活用」の領域において、データ利活用の実用化を図る医療機器関連企業、医療関係者等による検討WGを設置する。

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

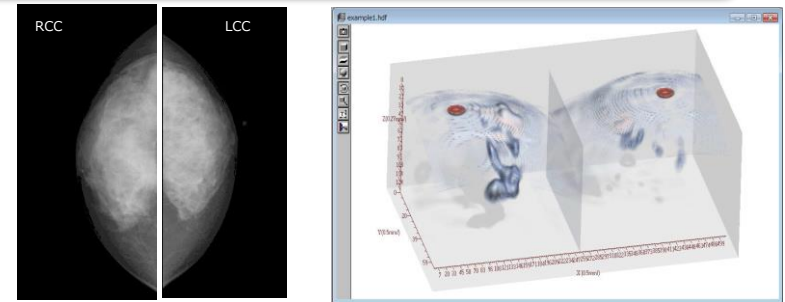
②医療機器開発

①革新的医療機器の開発支援と普及

(1)先端計測分析技術・機器開発プログラム

現行技術のX線マンモ画像や超音波では発見が困難であった高濃度乳房の乳癌を画像化することに成功。これにより、乳癌のより正確な診断が可能に。

- ・ 癌組織と正常組織のマイクロ波の反射の違いを利用したマイクロ波散乱場断層イメージングシステムのプロトタイプ機を完成
- ・ 約200人の臨床試験により現行技術では困難であった乳癌画像化を初めて達成
- ・ 日本と欧州6か国で基本特許が成立



X線マンモグラフィで撮影した乳がん患者の乳房
乳房全体が白く写る高濃度乳房の特徴がみられ、がん組織と正常組織の判別が困難。

本技術：がん組織を立体的に可視化（同じ患者での比較）

(2)未来医療/認知症早期診断MRI

MRIのハイブリッド撮像法(※)を用いてアルツハイマーの原因であるアミロイドβ(Aβ)沈着部位を示すことが出来る可能性を示唆。これにより認知症の早期診断・スクリーニングの可能性。

- ・ ハイブリッド撮像法において、鉄プラーク沈着の定量評価に必要な精度を達成
- ・ ハイブリッド解析プログラムのプロトタイプ完成
- ・ このプロトタイプを用いて鉄沈着部位とAβ沈着の相関を明らかにするためのエビデンス構築を開始



(※) VBM (Voxel Based Morphometry) : MRIの3次元画像から脳の萎縮の程度を客観的に評価する手法 と
QSM (Quantitative Susceptibility Mapping) : 鉄や神経線維の量によって変わる磁化率を解析する手法 のハイブリッド

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

②医療機器開発

①革新的医療機器の開発支援と普及

(3)未来医療/「スマート治療室」

術中MRIや医療機器をネットワーク化し画像やデータを確認しながら脳腫瘍などの手術を行うことで、正確で安全な手術が可能となり、また、手術の効率化により、患者の負担も軽減される。

- ・ 平成29年度は標準的なスマート治療室を信州大学に設置した。
- ・ 手術情報や画像の同期により手術の効率・正確さの向上を図る。

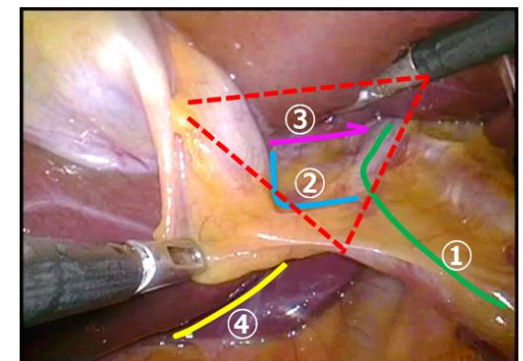


(4)未来医療/「メディカル・デジタル・テストベッド」

「医師の判断を伴う一連の治療・処置行為」を対象として、「暗黙知」となっている手技・判断をICTの活用によって機械が理解できる形で見える化し、今後の医療機器研究開発における、「テストベッド」として体系化することを実現する。

- ・ 医師の暗黙知として100例以上の内視鏡手術の動画を用い、熟練者と非熟練者において、特定の動作要素に差を見いだすことに成功。医師の暗黙知の数値化による解析が可能に
- ・ 医師の暗黙知(Medical Arts)をデジタルデータ化して解析できるプラットフォームの構築が進行中
- ・ 例えば、集めたデジタルデータを自動診断AIの「教師データ」や自動手術ロボット開発に活用する

腹腔鏡下胆嚢摘出術では、「堪能頸部のCalot三角展開」において、4つのランドマークを認知することが重要である
①総胆管・総肝管、②胆嚢管、③肝S4の下縁、④ルビエ溝



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

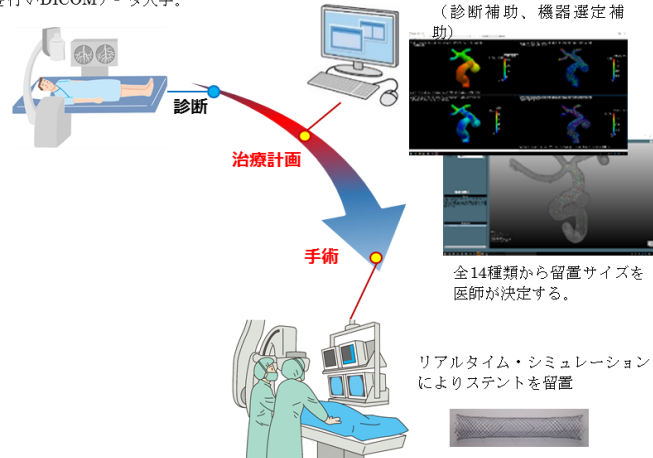
②医療機器開発

①革新的医療機器の開発支援と普及

(5)医療機器開発推進事業

- H29年度は3件のプロジェクトを新規採択し、継続プロジェクトとあわせて27件のプロジェクトに対し支援を実施した。
- H29年度採択課題「国産初流体解析に基づいた脳動脈瘤治療用セミカスタムメイドステントの医師主導治験」プロジェクトにて、FIH試験となる医師主導治験を開始した。
本プロジェクトの実用化により、術前シミュレーションによる適切なサイズの製品を用いた治療が可能となり、治療成績の向上等が期待される。
- H29年度採択課題「局所血流を可視化するウェアラブル多点センサーに関する臨床研究」プロジェクトにて、FIH試験となる臨床研究を開始した。
本プロジェクトの実用化により、局所血流をリアルタイムに観察することで、外科手術後の血流不全等を早期に発見可能となり、治療成績の向上等が期待される。

アンギオ装置により3D-DSA撮影を行いDICOMデータ入手。



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

②医療機器開発

②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援

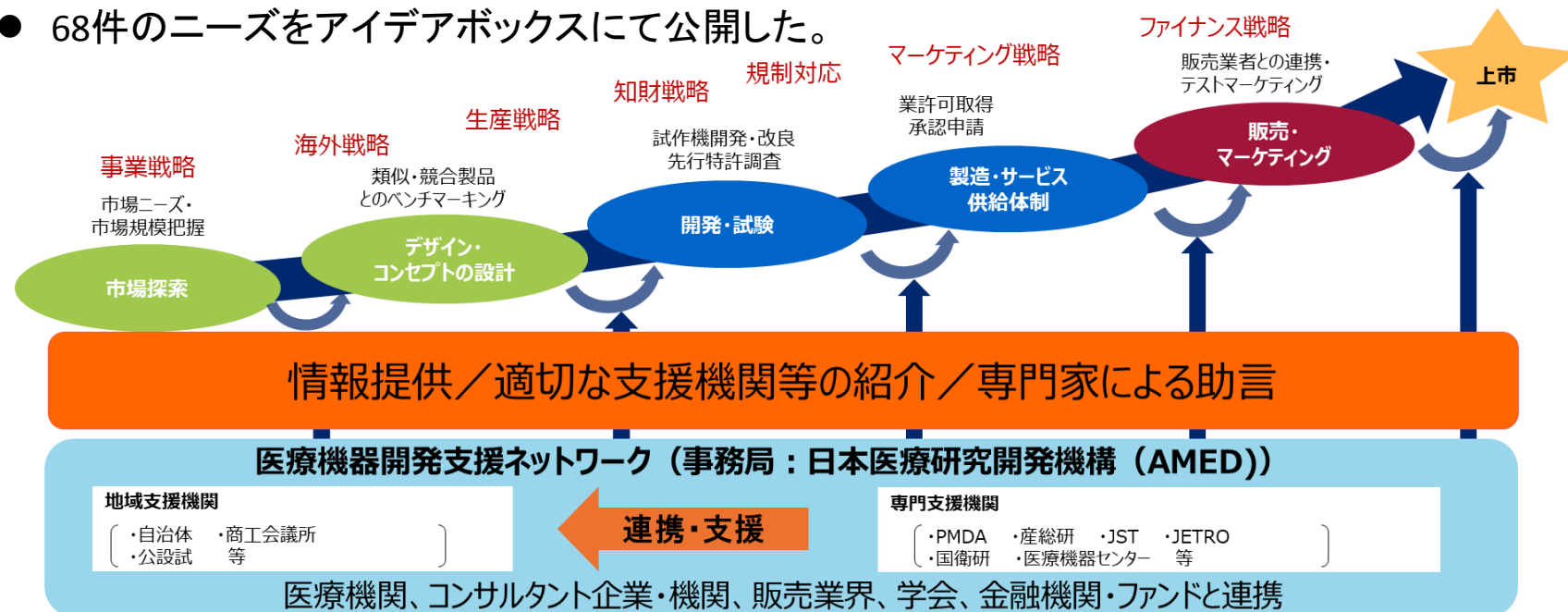
(1) 文科省、厚労省、各地支援機関の連携による「医療機器開発支援ネットワーク」

- H29年度は、約130件の伴走コンサルを含む、約180件の相談を実施した。
(通算で、約500件の伴走コンサルを含む、約1,300件の相談を実施した。)

参加者の感想

- 業界への新規参入に際し、必要となる体制等が明確になった。
- 競合品の情報収集の大切さ、その手段を知ることができた。
- 欧州、アジア各国の保険制度の状況が理解できた。

- ポータルサイトMEDIC内の「医療機器アイデアボックス」にて、102件の医療ニーズを収集した。
- 68件のニーズをアイデアボックスにて公開した。



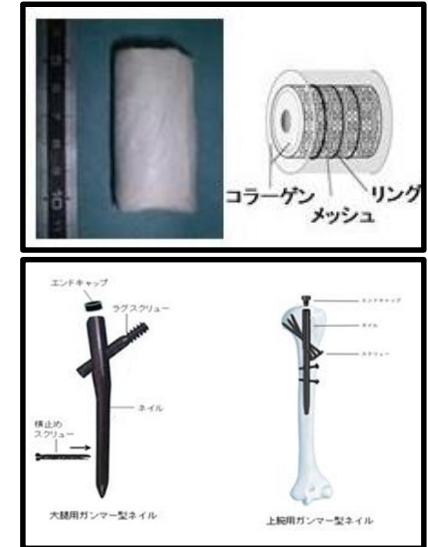
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

②医療機器開発

②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援

(2)医工連携事業化推進事業

- H29年度より補助事業として15件のプロジェクトを新規採択し、継続の委託事業とあわせて39件のプロジェクトに対し支援を実施した。
- H27年度採択課題「世界初の人工気管の製品化事業」プロジェクトにて、医師主導治験を終了した。本プロジェクトの実用化により、国産利用機器市場の拡大が期待される。
- H28年度採択課題「金属製骨折治療デバイスの課題克服を目指した次世代新素材骨折治療デバイスの開発・事業化」プロジェクトにて、医師主導治験が開始された。本プロジェクトの実用化により、国産利用機器市場の拡大が期待される。

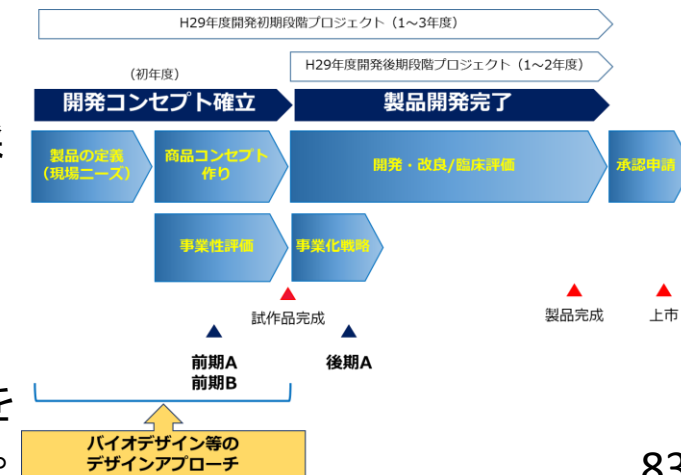


(3)途上国/新興国医療技術実用化事業

開発初期段階プロジェクト:2件及び開発後期段階プロジェクト:1件を採択した。インドネシア(前期:1件)及びベトナム(前期・後期:各1件)の病院及び助産院等において現地調査を実施し、医療ニーズを発掘した。

- ・ インドネシア:24施設・49名のインタビュー・20日間
- ・ ベトナム:5施設・22名のインタビュー・10日間

デザインアプローチを用いて、発掘したニーズから医療機器等の開発を開始した。今後、現地での承認等の取得を経て、市場の獲得を目指す。



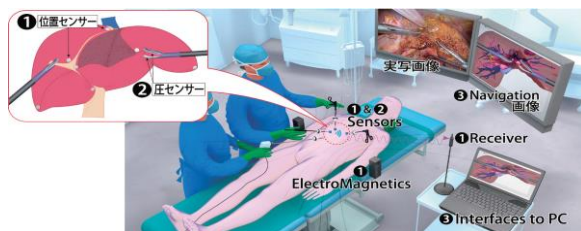
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

②医療機器開発

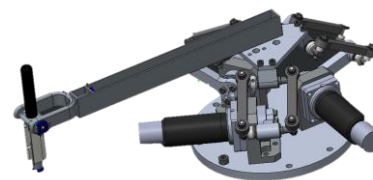
③臨床ニーズへの対応

1)術者の技能に依存しない高度かつ精密な手術システムの開発

腹腔鏡下肝切除術支援ナビゲーションシステム、微細手術を再現する超精密手術システムの開発、顕微鏡下手術支援ロボットシステムの開発、眼内内視鏡保持ロボット開発の4課題を実施。



腹腔鏡下肝切除術支援ナビゲーションシステム

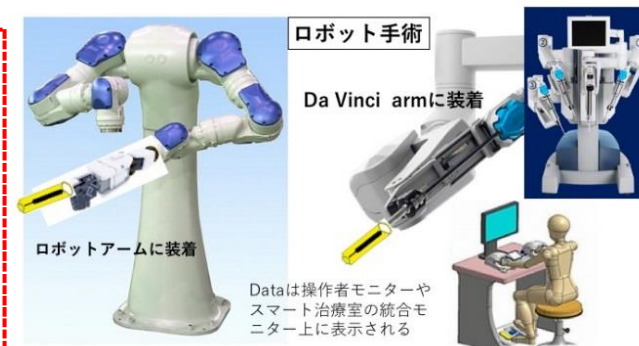
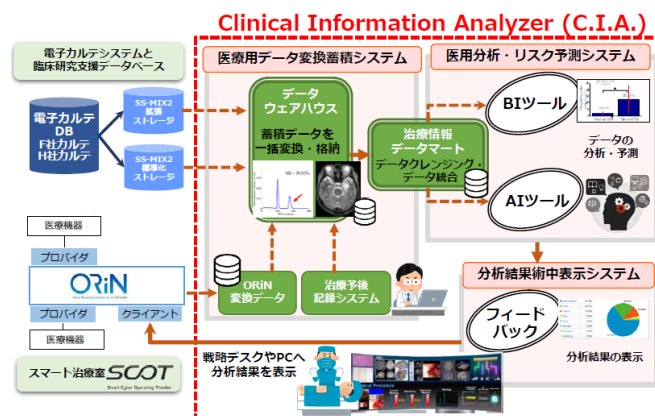
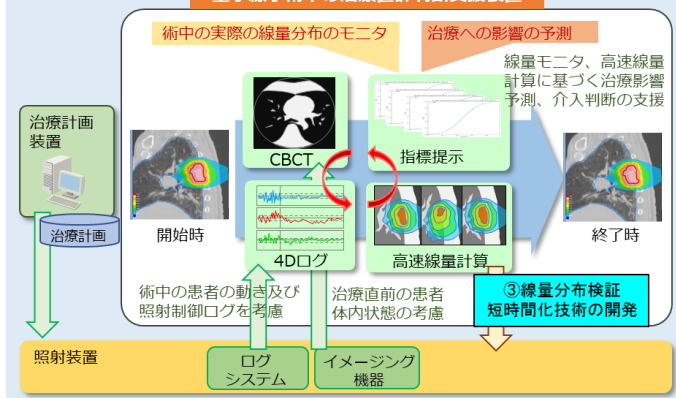


眼内内視鏡保持ロボット

2)術中の迅速な判断・決定を支援するための診断支援機器・システム開発

量子線手術における治療術中の迅速な判断・決定を支援するための診断支援機器・システム開発、AI Surgery実現のための基盤となる臨床情報解析装置(C.I.A.)の開発、術中の呼吸異常評価のための呼吸音モニタリングシステムの開発、術前と術中をつなぐスマート手術ガイドソフトウェアの開発、小型組織オキシメーター温度センサーの開発の5課題を実施。

量子線手術中の治療医師判断支援装置



小型組織オキシメーター温度センサー

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

②医療機器開発

④医療機器開発人材育成

医療機器に関する研究開発の実績がある11医療機関にてニーズ発見及び研修プログラムを実施するとともに、臨床現場に企業人材が参加するための各種ルール整備を行うことにより、人材育成を推進。

- 講習数(延べ): 約840講義
- 参加人数(延べ): 約2,200人
- 臨床現場等見学者数(延べ): 約2,000人
- 医療機関及び企業との連携数(延べ): 約900件

◆ 現場見学の取組



- 制度設計のポイント
- ・ 臨床業務の支障とならない
 - ・ 患者さんを含めた関係者に不安を与えない



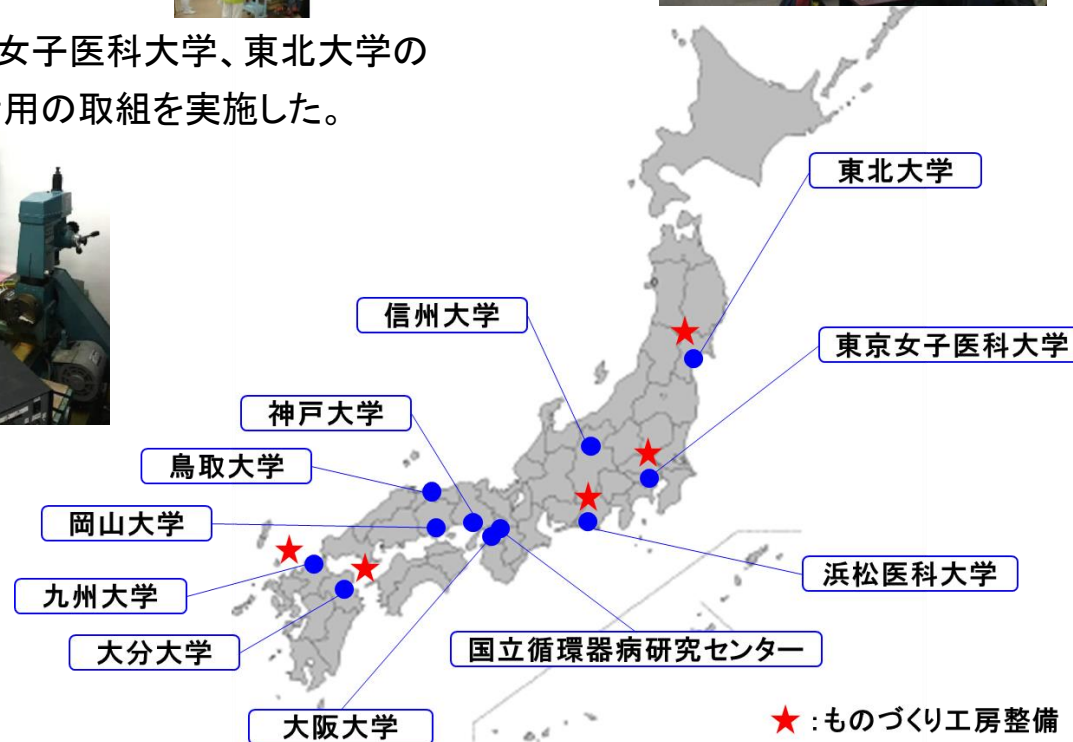
◆ 専門家による講義



- 九州大学、大分大学、浜松医科大学、東京女子医科大学、東北大学の5機関において、ものづくり工場の整備・活用取組を実施した。



- 11拠点による合同会議を開催し、各拠点の特徴的な取組等について、報告及び情報交換を行い、臨床機関に企業人材が参加するためのノウハウを共有した。



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

②医療機器開発



<成果目標達成状況>

KPI【2020年までの達成目標】	①.平成30年3月末迄の累積達成状況	②.①のうち、平成29年度の達成状況
【2020年までの達成目標】 ・5種類以上の革新的医療機器の実用化	未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業において11種類の革新的医療機器の実用化(進行中)	未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業において11種類の革新的医療機器の実用化(進行中)
・医工連携による医療機器開発件数 100件	医工連携事業化推進事業において、2017年度以前の終了案件(141件)について、2017年度末時点で、国内53製品、海外8製品の計61製品(暫定値)が上市した。なお、確定値については、2018年6月末にフォローアップ調査を行う予定。	2017年度の上市件数については、2018年6月末にフォローアップ調査を行う予定。
・医療機器の実用化による成果 約1,500億円	医工連携事業化推進事業において、2017年度以前の終了案件(141件)について、2017年度末時点で上市した61製品の累積売上高は35.0億円(暫定値)であった。なお、確定値については、2018年6月末にフォローアップ調査を行う予定。	2017年度の累積売上高については、2018年6月末にフォローアップ調査を行う予定。

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

②医療機器開発



評価軸

事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進めたか。

I(2)②－②、④参照

評価軸

複数の専門支援機関と大学病院、研究機関の連携による開発支援体制(医療機器開発支援ネットワーク)を強化し、その中核的役割を果たす医工連携並びに産学連携のハブとして機能を整備したか。

I(2)②－②、④参照

評価軸

我が国の高い技術力を生かし、医療機器の開発・事業化を加速したか。

I(2)②－①参照

評価軸

医工連携による医療機器開発を促進したか。

I(2)②－①、②、③、④参照

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)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

③革新的医療技術創出拠点



評定(自己評価)

A

①革新的医療技術創出拠点(拠点)以外の研究機関との連携を促進し、拠点外シーズ支援体制としての連携ネットワークの構築を図り、拠点外シーズ発掘に取り組んだ結果、拠点外シーズ数は急増した。また、拠点全体では医師主導治験33件、FIH26件と昨年度の実績を上回り、AMED全体では医師主導治験49件、FIH45件とKPIに到達し、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、所期の目標を大きく上まわった。②新たな「橋渡し研究支援拠点」に筑波大学を選定し、合計15拠点へ充実させた。サイトビジットを実施し、各拠点のARO機能等の体制整備状況についての助言及び持続可能な自立化に向けての議論を実施する等、拠点としての一体的な運営を促進した。③拠点を中心に、アカデミア発シーズを実用化につなぐ体制を充実させるための人材育成の研修・講習会を開催した。以上から、顕著な成果が得られ、「研究開発成果の最大化」に向けた実用化への創出体制が構築された。

①拠点以外との研究機関との連携の強化と拠点保有情報等の確認

- ・拠点外シーズの発掘、支援体制としての連携ネットワークの構築を図るとともに拠点内外の支援シーズ情報ならびに支援状況についてはR&D パイプライン管理システムやサイトビジット(SV)による調査などを通じて確認を行った。

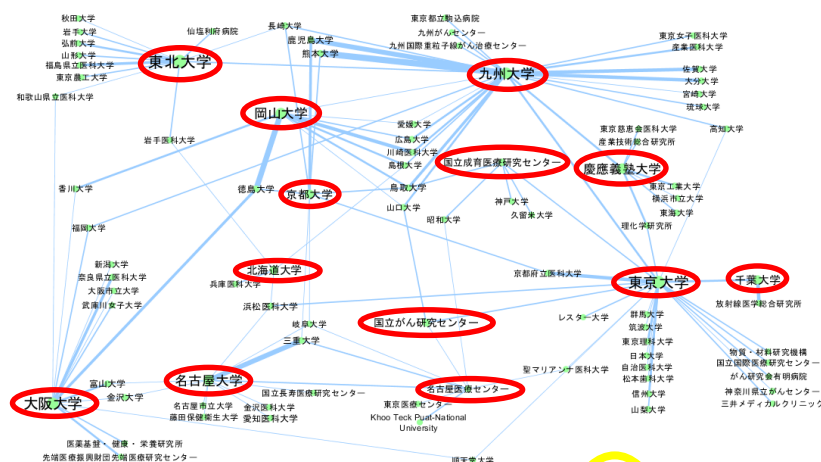
②橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院の一体的な運営の促進

- ・SV等を実施し、ARO機能の整備及び自立化に向けて必要な体制についての議論を深めた。
- ・拠点関連研究開発課題については合同公募を実施するなど、基礎から実用までの一貫通貫の研究支援ができるよう一体的な運営を行っている。

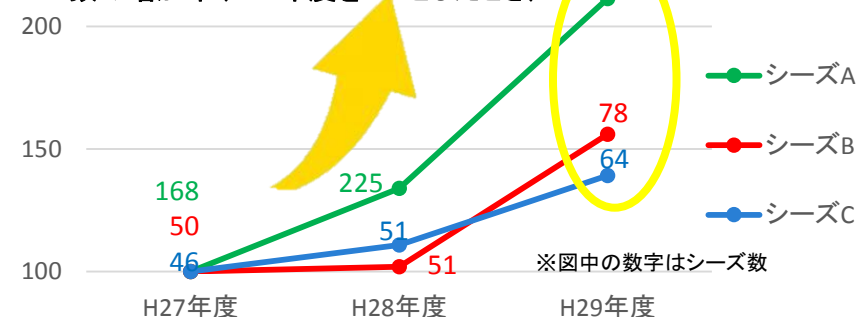
③人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化

- ・拠点機能の強化・特色化のための専門人材の育成(研修)を行った。平成29年度より臨床研究中核病院が主催し、上級者臨床研究コーディネーター、データマネージャー、治験・倫理審査委員、医師向けの研修を実施した。また、細胞培養員等に対しては学会と協働し講習会を開催した。
- ・ICH-GCP準拠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SVを通じて行った。
- ・中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会における一括審査の体制を整備した。また、IRUD事業においては、モデル事業実施機関にて先駆的に中央倫理審査委員会を活用した一括審査を行った。

拠点外シーズ支援による連携ネットワークの構築



拠点外シーズ数の増加率(H27年度を100としたとき)



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

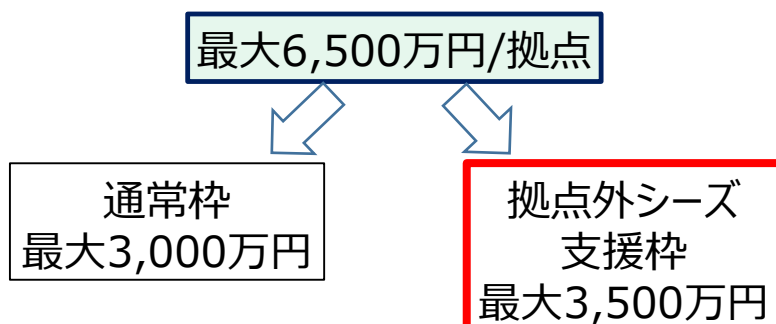
③革新的医療技術創出拠点



①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

拠点外シーズの育成支援の強化

シーズA：拠点外シーズ支援枠の新設

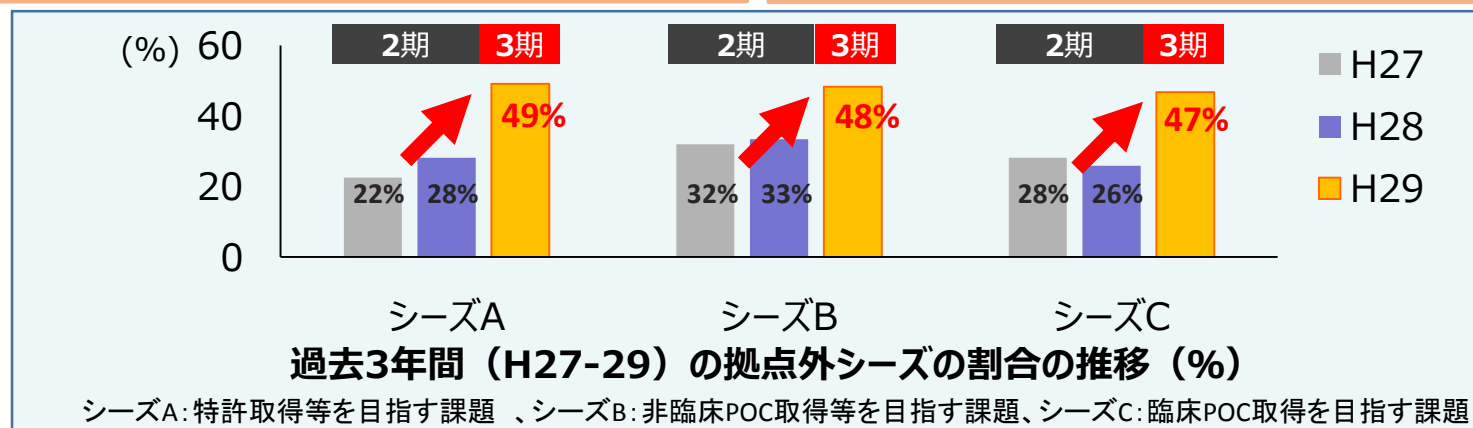


シーズB・C：シーズ応募枠の見直し

- ・シーズB：拠点内シーズ→上限4課題
拠点外シーズ→**上限なし**
- ・シーズC：拠点内シーズ→上限3課題
拠点外シーズ→**上限なし**

拠点外シーズの支援は、3,500万円を追加配分
➡ 拠点外シーズ支援を更に強化

第3期より、拠点外シーズ支援数の上限を廃止
➡ 拠点外シーズ支援を更に強化

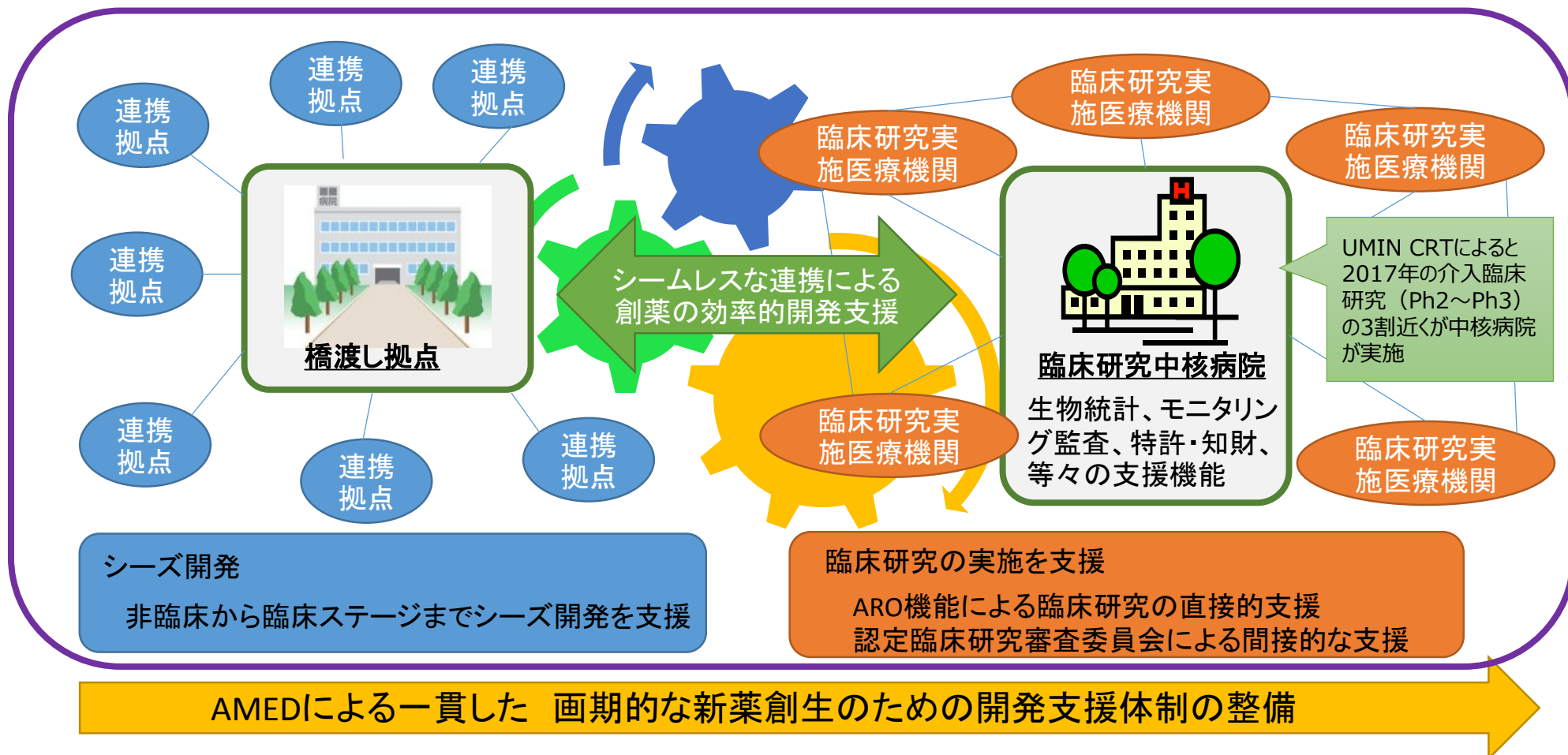


I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

③革新的医療技術創出拠点

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

革新的医療技術創出拠点



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

③革新的医療技術創出拠点



③人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化(専門人材の育成)

研修内容	開催日	主催
臨床研究・治験従事者研修	平成29年10月14日(土) 平成29年11月18日(土) 平成29年12月2日(土) 平成29年12月3日(日) 平成29年12月10日(日) 平成29年12月16日(土) 平成29年12月17日(日) 平成30年1月13日(土) 平成30年2月10日(土)	東京大学医学部附属病院 東京大学医学部附属病院 九州大学病院 国立がん研究センター東病院 京都大学医学部附属病院 岡山大学病院 慶應義塾大学病院 大阪大学医学部附属病院 東北大学病院
上級者臨床研究コーディネーター養成研修	平成29年10月21日(土)～22日(日) 平成29年11月30日(木)～12月1日(金) 平成30年1月7日(日)～8日(月)	大阪大学医学部附属病院 国立がん研究センター中央病院 国立がん研究センター東病院
倫理審査委員会・治験審査委員会養成研修	平成29年9月9日(土) 平成29年9月16日(土) 平成29年12月3日(日) 平成30年1月27日(土) 平成30年2月2日(金) 平成30年2月18日(日) 平成30年3月9日(金)	国立がん研究センター中央病院 大阪大学医学部附属病院 名古屋大学医学部附属病院 九州大学病院 東京大学医学部附属病院 慶應義塾大学病院 東京大学医学部附属病院
データマネージャー養成研修	平成29年11月24日(金)～25日(土) 平成29年12月16日(土)～17日(日) 平成30年2月9日(金)～10日(土)	東北大学病院 大阪大学医学部附属病院 千葉大学医学部附属病院

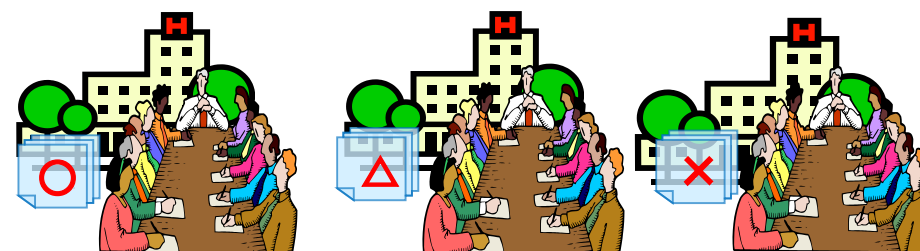
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

③革新的医療技術創出拠点

③人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化(一括審査体制の整備)

平成29年度事業対象機関と審査実績
(平成29年8月 拠点調査時)

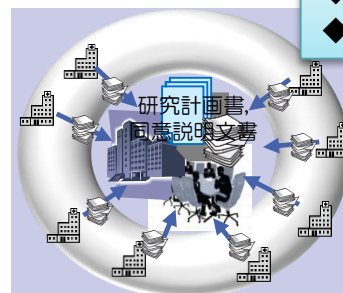
機関名	審査件数
国立がん研究センター	16
東北大学病院	4
大阪大学医学部附属病院	9
名古屋大学医学部附属病院	3
九州大学病院	5
東京大学医学部附属病院	2
慶應義塾大学病院	2
千葉大学医学部附属病院	14
京都大学医学部附属病院	1
岡山大学病院	3



研究の質のバラつき、
研究進捗の遅延等が発生

臨床研究中核病院や認定倫理審査委員会を有する機関等において、
審査を受託する要件、審査を委託する機関の審査依頼要件を調整、整理

- ◆ 質の高い臨床開発環境の整備、審査の質的均一化
- ◆ 治験・倫理審査委員会の集約化
- ◆ 治験・臨床研究の効率化及びスピードの向上



臨床研究法における施設基準や臨床研究審査委員会の
位置付けの明確化に活用された。

中央治験審査委員会・倫理審査委員会による
一括審査 (将来的なイメージ)

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

③革新的医療技術創出拠点



<成果目標達成状況>

KPI【2020年までの達成目標】	平成29年度の達成状況
医師主導治験届出数：年間40件	33件（AMED全体で49件）
First in human試験（企業主導含む）：年間40件	26件（AMED全体で45件）

評価軸

橋渡し研究支援拠点、臨床研究中核病院等の一体化を進めたか。

- 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29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29年9月～12月にかけて今年度のサイトビジットを計15回行い、平成28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。
- 平成30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30年2月に合同公募を開始した。

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

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

- 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。
- 中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会での一括審査促進に向けた取り組みについては、スライド1を参照。
- 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。

2. 人材確保・育成

- 生物統計家人材育成支援事業において、生物統計家人材育成支援プロジェクト会議を開催し、それぞれ東京大学大学院、京都大学大学院を中心とする2つの育成拠点の体制整備、教育カリキュラムの策定状況を確認するとともに、平成30年度からの学位授与コースの開設、専門教育・育成研修の実施に向けた指導・助言を行った。
- 質の高い臨床研究を実施できるようにするため研修については、スライド2を参照。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。

評価軸

各医療機関が有するARO機能について客観的な評価を行ったか。

- 「支援機能の見える化」を図るため、ARO機能評価事業において、拠点等を含む全国のAROの研究開発支援機能について調査、その結果を類型化しリストを作成し、類型化結果リストをホームページで公開。

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。

- 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、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。

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)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療

評定(自己評価)

B

PDPSP0による助言や交流会等による研究者同士のネットワーク形成、課題担当者の進捗管理・アドバイスによる橋渡し等、再生医療の迅速な実現を進めるための支援を行った結果、①同種iPS細胞を使用した臨床研究の実施や疾患特異的iPS細胞を活用した創薬研究での医師主導治験等、臨床研究・治験の実施が進んだ他、再生医療研究を支える周辺機器・商品の実用化等、顕著な成果を上げた。②臨床研究を支える基盤整備を進めると共に、研究課題の進捗管理を関連部門との連携で進め、事業運営改善に努めた。③研究交流会・再生医療ナショナルコンソーシアム等を通じてネットワーク形成・人材育成支援を行うと共に、公開シンポジウムにおいて患者・一般への情報発信、人的交流を行う等、積極的な活動を行った。④臨床研究・治験への移行数等、2020年迄の達成目標に着実に近づけている。以上より「研究開発成果の最大化」に向けての成果の創出が認められ、着実な業務運営がなされている。

①再生医療研究開発における顕著な成果事例

- ①-1 理研 高橋政代プロジェクトリーダーらにより同種iPS細胞から作成した網膜色素上皮細胞の移植臨床研究を実施した。
- ①-2 京都大学 戸口田淳也教授らにより疾患特異的iPS細胞を活用して進行性骨化性線維異形成症(FOP)の進行を抑える薬剤を発見、実用化に向けた取り組みとして、「創薬基盤推進研究事業」への橋渡しで医師主導治験を開始した。
- ①-3 東京医科歯科大学 関矢一郎教授らにより国内で初めて半月板損傷患者を対象とした再生医療等製品の治験を開始した。また、それにあわせて、「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」で非侵襲的評価手法の開発を実施した。
- ①-4 再生医療の産業化に向けた装置や周辺商品を実用化した

②再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

- ②-1 臨床研究促進を支えるための基盤整備を実施(再生医療等データ登録システムの登録を開始)した。
- ②-2 土屋教授(名古屋大)・金子教授(金沢大)の課題を橋渡し拠点事業のシーズを平成29年度に再生医療実用化研究事業で新規採択し、その後のサイトビジット共同開催や進捗状況の確認を臨床研究課と連携して実施した。
- ②-3 再生医療研究課のレギュラトリーサイエンスに深く関連する研究課題(移植細胞の造腫瘍性評価、iPS細胞を利用した医薬品毒性評価等)については、規制科学課の「医薬品等規制調和・評価研究事業」と連携し、両課で評価・採択・進捗管理した。

③研究育成、人的交流、国際連携等に資する活動

- ③-1 「平成29年度AMED再生医療研究交流会」に再生医療実現プロジェクトで支援する440名の研究者が参加した。その中で若手研究者の発表機会及び交流の機会を提供した。
- ③-2 「再生医療ナショナルコンソーシアム」において、30件以上の臨床研究に対する培養・その他の技術的支援や規制対応への教育を行った。また、再生医療に携わる全人材のための教科書を作成した。
- ③-3 再生医療について患者及びその家族(骨髄損傷・指定難病他)70名・一般を中心に理解を得ることを目的に「平成29年度AMED再生医療公開シンポジウム」を開催した。

④成果目標達成状況(評価指標)

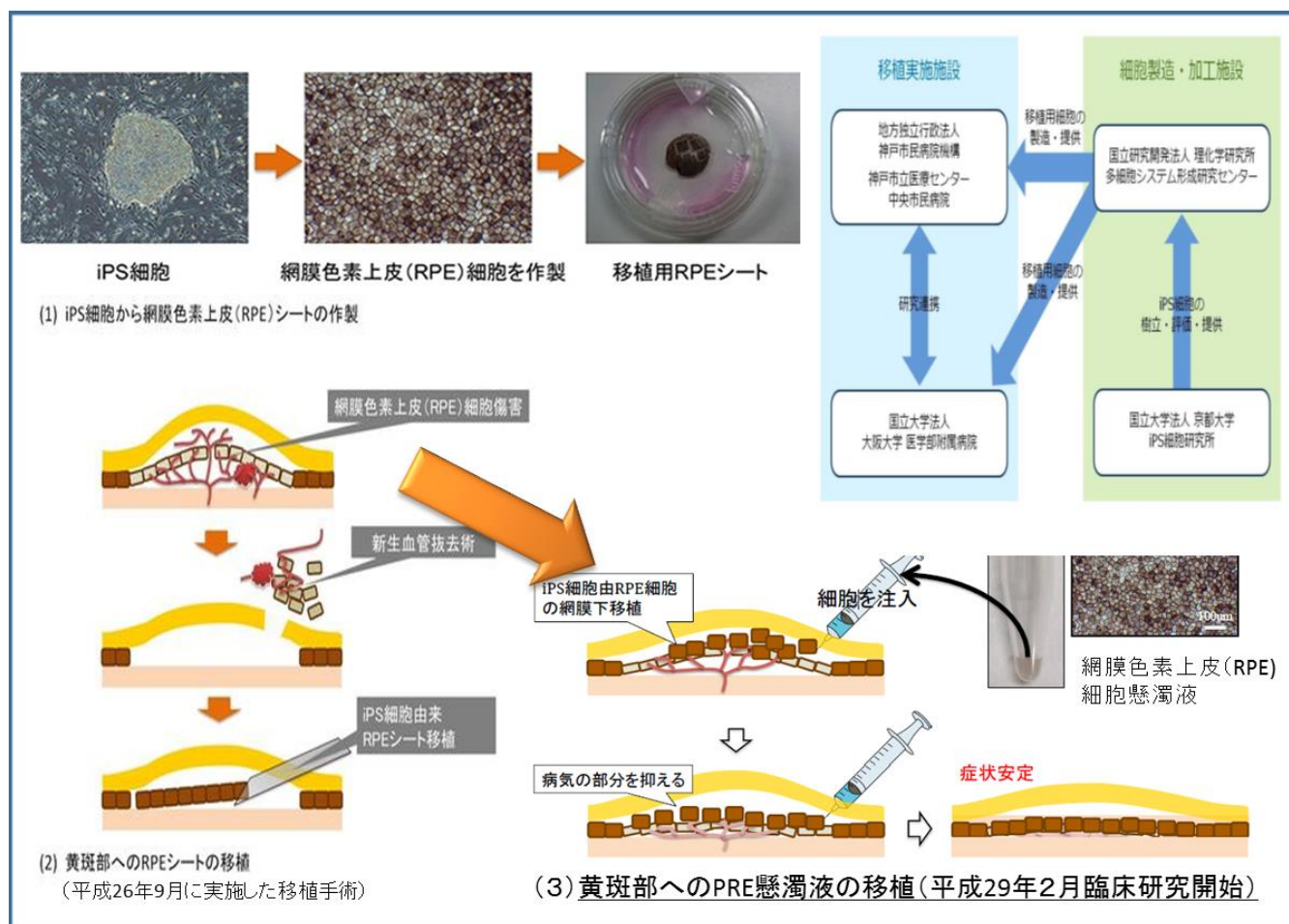
【2020年までの達成目標】	
・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用(臨床研究又は治験の開始)	疾患特異的iPS細胞を活用した創薬研究から医師主導治験を開始1件
・再生医療等製品の薬事承認数の増加	新たに薬事承認されたものはないが、4品目について先駆け審査として臨床研究及び治験を実施
・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35件	累計31件(対象疾患数 27疾患)が移行
・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	iPS細胞用自動培養装置(日立製作所)他の実用化が成功 5件
・iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言	国際バリデーション試験、国際安全性薬理学会、CiPA運営委員会等への参加を通じ、国際標準化に向けて提案、現在議論中。

I (2)基礎研究から実用化へー貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療

①-1 同種iPS細胞を使用した臨床研究を世界で初めて実施

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（現、神戸市立神戸アイセンター病院）、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、5例の移植を完了した。



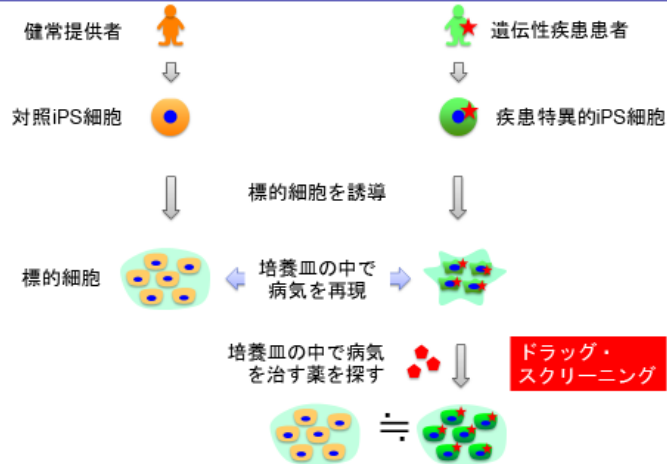
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療

①-2 疾患特異的iPS細胞を活用した創薬研究から医師主導治験を開始

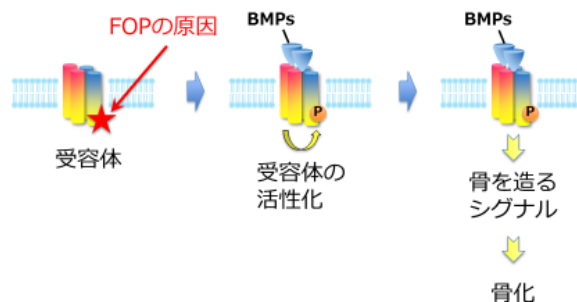
京都大学iPS細胞研究所 戸口田教授らグループが進行性骨化性線維異形成症(FOP)患者の細胞からiPS細胞を樹立し、培養皿の中で病気を再現し、異所性骨化発生の引き金となる物質(アクチビンA)を同定、アクチビンAがFOPを誘導する際に重要な役割を果たす伝達物質因子mTORの動きを阻害する薬剤として既にリンパ脈管筋腫症の治療で使用されているシロリムス(ラパマイシン)を発見した。この成果を持って本年度より医師主導治験を開始した。尚、本治験は「創薬基盤推進研究事業」にて支援を行う等、事業間連携により実現した。

iPS創薬の流れ

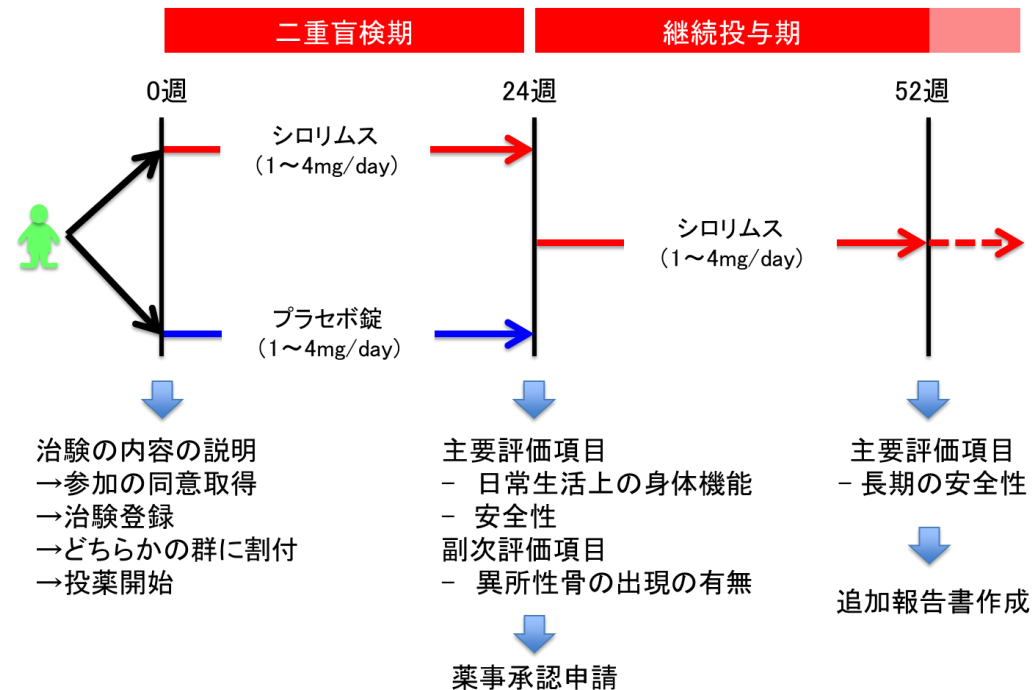


FOPの原因遺伝子

▼ BMP = 骨形成因子
= 骨を誘導できる蛋白



FOPに対するシロリムスを用いた医師主導治験



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

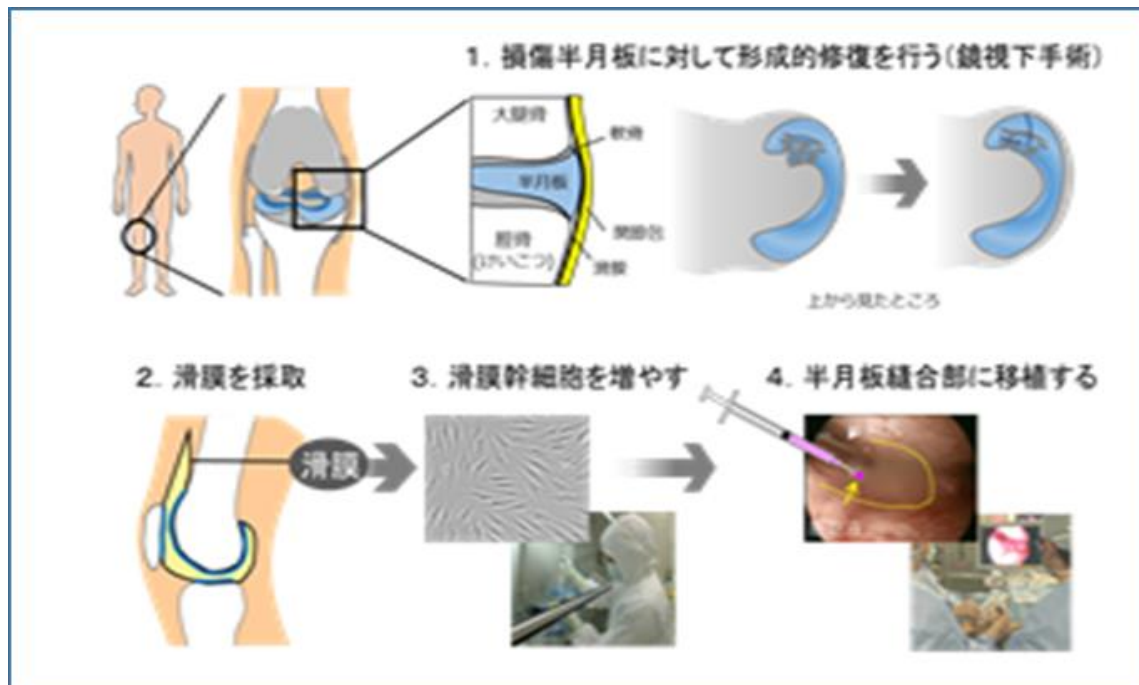
④再生医療

①-3 自家滑膜幹細胞の半月板損傷を対象とする医師主導治験の開始

「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」に引き続いて支援している「再生医療実用化研究事業」において、東京医科歯科大学関矢一郎教授らは、平成29年7月より、国内で初めて半月板損傷患者を対象とした再生医療等製品の治験を開始した。本治験で安全性や有効性が確認できれば、これまで対症療法しかなかった半月板切除術の適応となる半月板損傷患者に対して、新たな治療を提供することが可能になる。

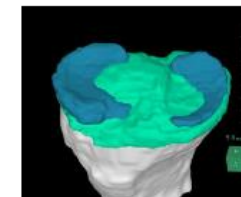
また、「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」において、MRI T2マッピング(*)の3次元解析による軟骨・半月板の非侵襲的評価手法の開発を実施し、医師主導治験にて有用性を検証している。

* MRIによって物理学的特性の横緩和時間(T2)を測定することにより、水分含有量・コラーゲン配列の変化を評価する手法

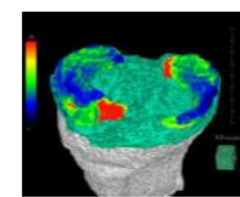


半月板

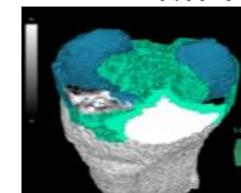
3D MRI



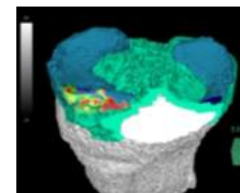
3D T2マッピング



3D MRI断面



3D T2マッピング断面



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

④再生医療

①-4 再生医療の産業化に向けた装置や周辺商品の実用化

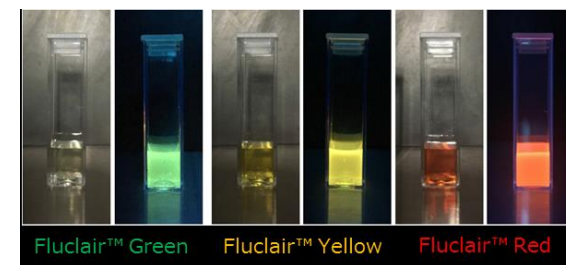
経済産業省「再生医療の産業化に向け評価基盤技術開発事業(再生医療の産業化に向けた細胞製造・加工システムの開発)」からは日立製作所がiPS細胞自動培養装置を、大陽日酸は小型でドライアイス不要の生体試料搬送容器CryoHandyを実用化、販売開始した。また、リプロセルが実用化したDMSOフリータイプの細胞凍結保存液が、薬機法に基づく原薬等登録名簿(マスターファイル)に登録された。文科省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム技術個別課題」からは、(株)マトリクスームが細胞培養基質のラミニンの高純度精製品iMatrix-411、希釈操作が不要なEasy iMatrix-511、Easy iMatrix-511をコーティングプレート化したQuick iMatrix-511を実用化・販売開始した。また、名古屋大学にて開発した「幹細胞標識用超低毒性量子ドット」を和光純薬工業(現・富士フイルム和光純薬工業)が「Fluclair™」として、3月に商品化した。



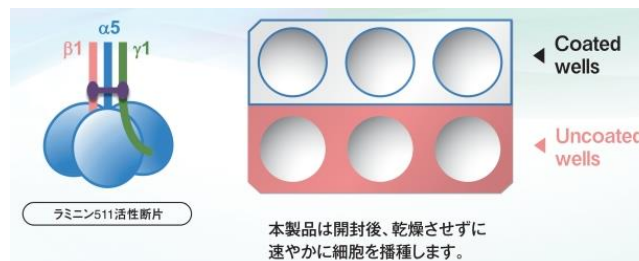
「iPS細胞大量自動培養装置」(日立製作所)



生体試料搬送容器「CryoHandy」(大陽日酸)



幹細胞標識用超低毒性量子ドット「Fluclair™」
(和光純薬工業(現・富士フイルム和光純薬工業))



「Easy iMatrix-511」(マトリクスーム)

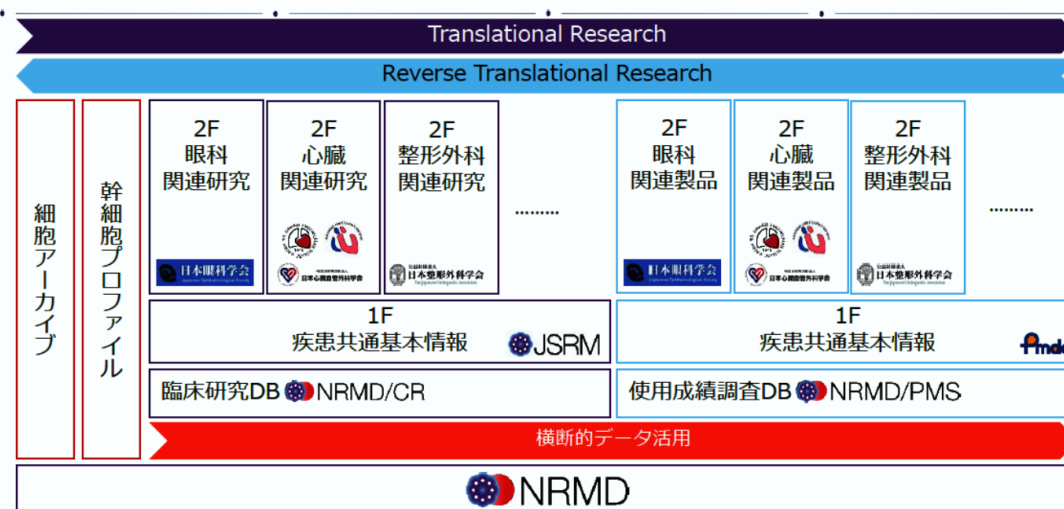
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療



②再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 再生医療臨床研究促進基盤整備事業(平成28年度～)において、再生医療学会を中心に、再生医療の知識・経験を有する大学、医療機関等が連携する「ナショナルコンソーシアム」の活動の一つとして、再生医療等データ登録システム(NRMD)の構築を進めている。臨床研究に関しては、再生医療等臨床研究データ登録システム(NRMD/CR)に10月2日より眼科関連研究(RPE臨床研究データ)の登録受入を開始、上市済みの製品に関しては、再生医療等製品使用データ登録システム(NRMD/PMS)に今年3月30日に、第一例目の製品の登録を開始した。



②-2 土屋教授(名古屋大)・金子教授(金沢大)の課題を橋渡し拠点事業のシーズから平成29年度に再生医療実用化研究事業に新規採択し、その後のサイトビジット共同開催や進捗状況の確認を臨床研究課と連携して実施した。

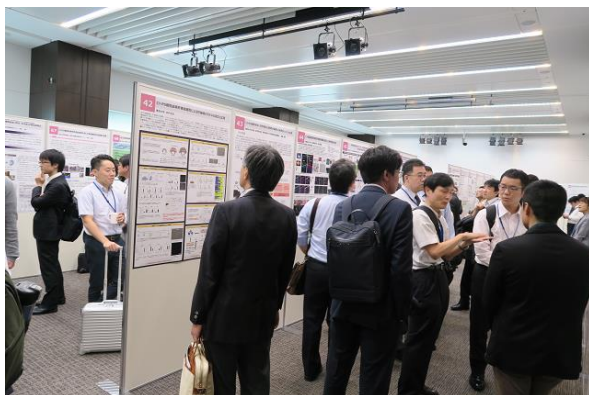
②-3 再生医療研究課のレギュラトリーサイエンスに深く関連する研究課題(移植細胞の造腫瘍性評価、iPS細胞を利用した医薬品毒性評価等)については、規制科学課の「医薬品等規制調和・評価研究事業」と連携し、両課で評価・採択・進捗管理した。

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

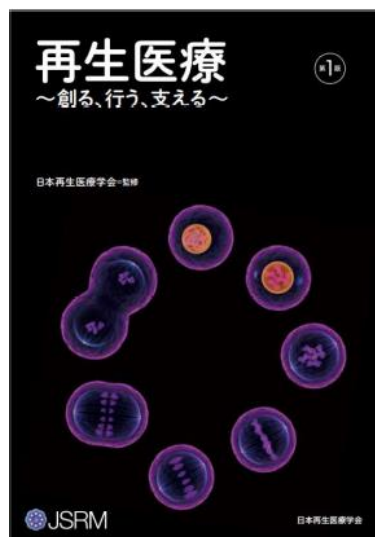
④再生医療

③研究育成、人的交流、国際連携等に資する活動

③-1 「平成29年度AMED再生医療研究交流会」における若手研究者の発表機会及び交流の機会を作りだし、提供



③-2 「再生医療ナショナルコンソーシアム」における臨床研究のための技術支援、規制対応への教育の実施、再生医療に携わる全人材のための教科書の作成



③-3 再生医療について患者・一般を中心に理解を得ることを目的に開催した「平成29年度AMED再生医療公開シンポジウム」。



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

④再生医療



④ 成果目標達成状況

- ・iPS 細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用の状況:
「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①-2疾患特異的iPS細胞を活用した創薬研究から医師主導治を開始」を参照のこと
- ・再生医療等製品の薬事承認数:
平成29年度は新たに薬事承認されたものはないが、4品目が先駆け審査として・臨床及び治験を実施している。
- ・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大:
「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」等で推進する研究開発について、31 件(対象疾患数:27疾患)が臨床研究又は治験に移行し、対象疾患は着実に拡大している。
- ・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化の状況:
「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①-4再生医療の産業化に向けた装置や周辺商品の実用化」を参照のこと
- ・iPS 細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言の状況:
国立医薬品食品衛生研究所の諫田らは国際バリデーション試験に参加して、FDAらとともにヒトiPS細胞由来心筋細胞の有用性を明らかにした(論文を投稿中)。ドイツで開催された国際安全性薬理学会(平成29年9月)で心毒性のシンポジウムを企画してパネルディスカッションするとともに、米国FDAで開催されたCiPA運営委員会(平成29年12月)等に参加して、国際的な議論を引き続き行っている。また、評価法の 国際標準化に向けて、さらに統合的な心毒性の評価法に関する研究計画を立案している。

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

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。

- ・使用しない試薬を使用した可能性が否定できないため、iPS細胞中核拠点(京都大学iPS細胞研究所)で構築を進める臨床用iPS細胞ストックの一部の供給を停止したが、①指導的人材の確保を含めた体制強化、②工程管理システムの最適化・管理機能強化、③CSV(Computerized System Validation)※の実施と自動化システムの導入、④予期せぬシステム障害に備えるシステム堅牢性の確保を進め、GCTP(Good Gene, Cellular, and Tissue-based Products Manufacturing Practice)に準拠したストック供給に向け体制を構築し、平成29年10月6日に供給を再開した。
- ・横浜市立大学の武部貴則教授、谷口英樹教授らは、複数の企業との産学連携体制のもと、iPS細胞からヒトのミニ肝臓(iPSC肝芽)を、大量製造する手法の開発に成功した。
- ・京都大学CiRAの高橋淳教授らは、パーキンソン病霊長類モデル(サル)にヒトiPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞を移植し、術後のサルの行動解析によりパーキンソン病の症状が軽減されていることを観測し、移植したヒトiPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞が脳内に生着し機能していることをMRIとPETおよび脳切片の組織学的解析によって確認した。
- ・国立医薬品食品衛生研究所の佐藤部長らは、ヒトiPS細胞等の多様性幹細胞由来移植細胞の臨床応用における最大の隘路とされる造腫瘍性評価について、国内外の動向調査を行った結果、性能が担保された造腫瘍性試験における非臨床評価が重要であることを再確認した。本成果を広く海外に周知する目的で、健康環境科学研究機構のCT-TRACS委員会で、各極産官学メンバーと共同でポジションペーパーの作成に着手した。また、造腫瘍性試験に関する官民共同・多施設による研究体制を構築し、造腫瘍性試験に代替可能な簡易試験法を標準化するため、簡易試験法の性能を検討した。
- ・先端医療振興財団の川真田センター長ら、東京医科歯科大学の森尾教授らは、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を検討した。現時点においては、発がん遺伝子リスト記載の遺伝子発現と造腫瘍性に関連は認められていないが、引き続き検討が行われる予定である。

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。

- ・同種iPS細胞を使用した臨床研究を世界で初めて実施 「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④再生医療 ①を参照
- ・久留米大学の鳥村拓司教授らは、関西医科大学、兵庫医科大学、湘南鎌倉総合病院とともに、C型肝炎ウイルスに起因する肝硬変患者を対象に、自家末梢血より採取したCD34陽性細胞を投与する臨床研究を平成29年6月に開始し、有効性・安全性を標準治療法と比較する計画である。
- ・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組みとして、医薬品等規制科学課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」の課題を実施しており、再生医療研究課が所管する4事業の144課題から抽出したデータをもとに調査研究を実施し、成果を研究課題にフィードバックすることを目指すものであり、より合理的で迅速な再生医療の実用化に貢献することが期待される。

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

④再生医療



評価軸

再生医療の実現化を支える産業基盤を構築したか。

・「再生医療の産業化に向けた細胞製造・加工システムの開発」では、技術開発と並行し、再生医療等製品の製造に利用可能な間葉系幹細胞の安定的な国内供給体制の実現について検討調査を実施した。有識者からなる委員会と再生医療等製品を開発している事業者からの意見聴取の結果、企業が商用利用することができる間葉系幹細胞の原料供給には、提供する医療機関の作業負担の軽減や細胞原料に係る情報の長期的管理の必要性、企業にとっての原料提供先の確保等の課題があることが明らかとなった。

・「再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発」では、個々の再生医療等製品の開発における安全性や有効性に関する評価手法の確立や、製造工程合理化の検討等を行っており、6課題の再生医療等製品の開発における品質評価手法に関する規制当局の見解や開発のプロセス等について、公開の成果報告会(2月20日、大手町サンケイプラザ)において公表した。

・大日本住友製薬は工業化に向けたスケールアップのため閉鎖型超高速セルソーターを選定・導入し、現行法との同等性を検証しながら、GCTPへの適合を進めた。また、ジャパン・ティッシュ・エンジニアリングは同種培養皮膚の製品化に向けて商業用セルバンクの構築可能性について検証し、1ドナーの皮膚から年間100万個の製品を製造できることを確認した。さらには東京女子医大の研究グループは次世代シーケンサーによる安全性評価手法を提唱し、判定用のWEBページを公開した。

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。

・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」のサブプログラムとして平成29年度より「疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」を開始した。難病等由来の疾患特異的iPS細胞を樹立し疾患メカニズムを解明する14件の「研究拠点」と、多数の健常人からiPS細胞を樹立して対照群に資する1件の「iPS細胞樹立課題」(京大CiRA)を採択すると共に「バンク活用促進課題」(理化学研究所バイオリソースセンター)を採択した。拠点等から疾患特異的iPS細胞等の寄託を受けるバンクの運営体制構築(細胞の寄託・管理・提供の方法、臨床情報の公開など)のため、2回の会議を始め、課題側と緊密に連携した。

・疾患iPS細胞を活用した創薬支援として、京都大学iPS細胞研究所の戸口田淳也教授らが行っている進行性骨化性線維異形成症(FOP)向け創薬研究では、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究)・「創薬基盤推進研究事業」の連携により、疾患特異的iPS細胞の樹立からFOP患者に対するシロリムスを用いた医師主導治験まで進める事が出来た。

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

④再生医療



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。

国立医薬品食品衛生研究所の諫田らは国際バリデーション試験に参加して、FDAらとともにヒトiPS細胞由来心筋細胞の有用性を明らかにした（論文を投稿中）。ドイツで開催された国際安全性薬理学会（平成29年9月）で心毒性のシンポジウムを企画してパネルディスカッションするとともに、米国FDAで開催されたCiPA運営委員会（平成29年12月）等に参加して、国際的な議論を引き続き行っている。また、評価法の国際標準化に向けて、さらに統合的な心毒性の評価法に関する研究計画を立案している。

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。

- ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム（疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究）」の研究拠点Ⅰ（6年以内に創薬スクリーニング系の構築と、企業・他事業への移行を検討する拠点）を6件、研究拠点Ⅱ（3年の研究開発の後、研究拠点Ⅰへの移行を検討できる拠点）を8件採択し、それぞれの支援・進捗管理を開始した。
- ・また同プログラムでは、同時に1件の「バンク活用促進課題」（理化学研究所バイオリソースセンター、BRC）を採択し、バンクの運営体制構築のため、課題側と緊密に連携した。特に、寄託された疾患iPS細胞のリストを平成30年1月にウェブ上で一般に公開し（<http://cell.brc.riken.jp/ja/>）、付随する臨床情報の提供手順についても公表した。
- ・幹細胞を用いて医薬候補品の安全性や薬物動態等の評価の基盤技術の構築を目指すため、平成29年度新規に「再生医療技術を活用した創薬支援基盤技術の開発」事業を開始した。本事業ではこれまでのiPS細胞研究の成果を活用し、iPS細胞等から分化誘導した細胞をチップ等のデバイス上で立体培養あるいは共培養する技術を駆使し、これまで成し得なかった培養システム（Organ-on-a-Chipシステム）を構築する。初年度として、ユーザーとなる製薬企業が参画する体制を構築しユーザーニーズを抽出すると共に、集中研を整備して技術開発に着手した。

I 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項

(2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑤ オーダーメイド・ゲノム医療

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

⑤オーダーメイド・ゲノム医療

評定(自己評価)

A

①東北メディカル・メガバンク計画の成果である健常人全ゲノムリファレンスパネルを未診断疾患に活用することによるゲノム診断の飛躍的加速の実現、事業間連携を創出するデータシェアリングポリシーの拡充など他事業連携・情報共有・成果の利活用を促進するとともに、②世界に例のない新規データベースの整備やデータ拡充を行うなど、所期の目標を大きく上まわった。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他事業連携による革新的成果の創出、成果の利活用等の新展開 東北メディカル・メガバンク計画によるゲノム診断の飛躍的加速

東北メディカル・メガバンク機構の提供する健常人全ゲノムリファレンスパネルの活用により疾患のゲノム診断が飛躍的に加速し、IRUD全体で800例以上の未診断疾患の方について半年以内に解析結果が返却可能となった。

臨床ゲノム情報統合データベース整備事業による医療実装につながる基盤の実現

臨床ゲノム情報統合データベース整備事業では、平成30年度に開始されるがんゲノム情報管理センターのプロトタイプ及び電子カルテシステム等を構築し、先進医療、保険医療につながる基盤を実現した。

東北メディカル・メガバンク計画と臨床ゲノム情報統合データベース整備事業の連携による新規認知症感受性ゲノムの発見

東北メディカル・メガバンク機構の提供する健常人全ゲノムリファレンスパネルを基に開発された、日本人に特化したゲノム解析ツールであるジャポニカアレイ7,000例以上を用い、臨床ゲノム情報統合データベース整備事業の研究開発課題において、ゲノムワイド関連解析を実施し、欧米人解析では報告のない新規の認知症感受性ゲノム変異を10力所以上発見した。

データシェアリングポリシーの拡充等による利活用の新展開の促進

「データマネジメントプラン」をAMED全事業に設けるとともに、疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクトで策定した「データシェアリングポリシー」について、難病克服プロジェクトにも拡充して展開するなど、成果の利活用の新展開を促す基盤を整備した。

新たな形態による情報共有の促進

研究機関、大学、企業等、国内の様々な所属のバイオバンク研究者が一堂に会した、これまでにない機会の提供を目的として、「バイオバンク連絡会」を定期開催。平成29年度は3回開催し各回100名前後の参加者により、活発な意見交換が行われた。

また情報ポータルサイトを開設し、バイオバンクや情報基盤、ELSIに関することなど、ゲノム医療研究者に有用な情報やトピックスの掲載を開始した。

②世界に例のない新規データベースの整備やデータ拡充 画期的なゲノム疾患データベースの公開

臨床ゲノム情報統合データベース事業では、がん、希少・難治性疾患、感染症、認知症等の各疾患領域を対象にデータストレージ(DS)を構築し、ゲノム解析情報と詳細な臨床データを研究者でシェアする体制を整備するとともに非制限公開可能なデータを集約した。これにより、米国ClinVarなどにも無かった日本人特有のゲノム疾患情報が蓄積されたデータベースとなる(MGeND)の構築が実現し、平成30年3月16日に一般公開した。

東北メディカル・メガバンク計画における日本人特有のゲノム変異頻度情報パネルの新規創出

東北メディカル・メガバンク計画では、これまでコホート参加者の全ゲノム解析により構築、公開してきた全ゲノムリファレンスパネルについて、平成29年度には、同計画参加者に加え、国立病院機構長崎医療センターやながはま0次予防コホート事業への協力者分も含め3,554人分に拡充して、新たに公開(3.5KJPN)した。

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

⑤オーダーメイド・ゲノム医療

①他事業連携による革新的成果の創出、成果の利活用等の新展開

東北メディカル・メガバンク計画成果の展開



800例以上の未診断疾患の方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



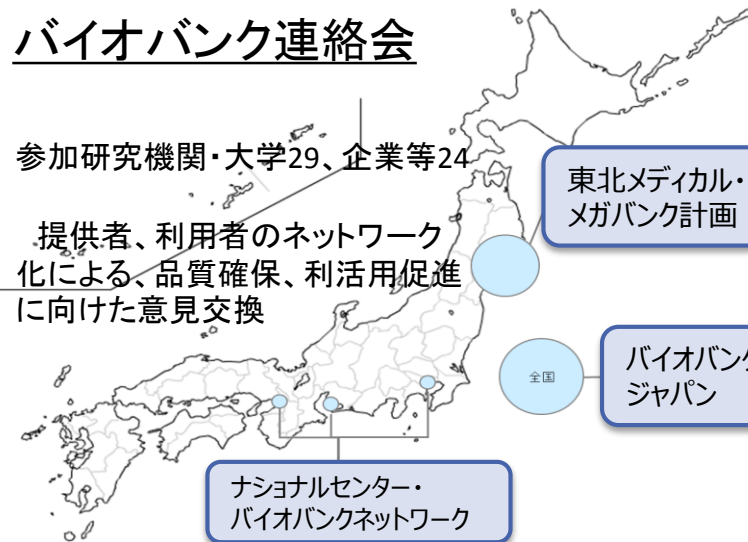
欧米人解析では報告のない
新規の認知症感受性ゲノム変異を10カ所以上発見
認知症臨床ゲノム情報データベース構築
に関する開発研究
臨床ゲノム情報統合データベース整備事業



バイオバンク連絡会

参加研究機関・大学29、企業等24

提供者、利用者のネットワーク
化による、品質確保、利活用促進
に向けた意見交換



がんゲノム医療推進コンソーシアムの体制と役割



＜疾患克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト及び難病克服プロジェクト＞
ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー

I. 目的

国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下AMED）では、医療研究開発における9

ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー
www.amed.go.jp/content/000004858.pdf

重要であると考えている。



ゲノム医療研究支援

疾病克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト



ゲノム医療研究支援情報ポータルサイト
www.biobank.amed.go.jp

2018年3月19日 **更新情報** 「関連情報」の「調査レポート」を更新しました。

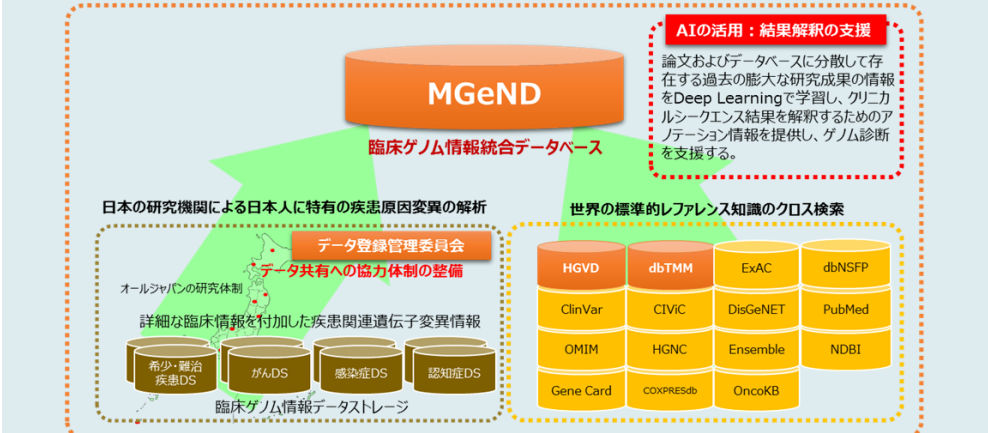
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑤オーダーメイド・ゲノム医療

②世界に例のない新規データベースの整備やデータ拡充

・臨床ゲノム情報統合データベース(MGeND)を構築

- 平成28年度に開始した「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、日本人に特有の疾患感受性ゲノム変異データを共有しゲノム医療を実践を可能とする臨床ゲノム情報統合データベース(MGeND)を構築し、平成30年3月16日に非制限公開を開始。非制限公開データの登録要件を整理し、データ登録の枠組みを築いた。
- ClinVarに類する我が国固有の疾患遺伝子変異データベースを目指す。



・バイオバンクの構築に向けた健康人の生体試料・健康情報等の収集

- 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い、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。当初目標15万人規模の研究参加者リクルートを計画通り完了。
- 世界に先駆けて実施している妊婦とその子供・家族をリクルートする大規模三代コホート調査を継続することで、平成29年度には0.2万人の出生確認を行い、累計数が7.3万人を達成。



・ゲノム医療研究のための基盤構築と提供

- 日本人特有のゲノム変異の頻度情報を知ることは、日本人に適したゲノム創薬、ゲノム医療などの基盤として極めて重要である。これまでコホート参加者の全ゲノム解析により構築、公開してきた全ゲノムリファレンスパネルについて、平成29年度には、同計画参加者に加え、国立病院機構長崎医療センターやながはま0次予防コホート事業への協力者分も含め3,554人分に拡充して、新たに公開(3.5KJPN)した。

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

⑤オーダーメイド・ゲノム医療

<成果目標達成状況>

KPI【2020年までの達成目標】	①.平成29年3月末迄の累積達成状況	②.平成29年度の達成状況
糖尿病などに関するリスク予測や予防、診断(層別化)や治療、薬剤の選択・最適化等に係るエビデンスの創出	2型糖尿病のリスクを1.1～1.2倍に上昇させる新規の遺伝子領域を同定した。同定された遺伝子領域の7つのうち3つについては日本人に特徴的であると考えられた。 また、2型糖尿病及び脂質異常症の発症への関与が示唆される遺伝子も同定した。さらに、心筋梗塞・不安定狭心症と関連する遺伝子領域を複数個と、心房細動の発症に寄与すると考えられるSNPを新たに5つ同定した。 ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業では、2型糖尿病について、1000ゲノムプロジェクト phase3を用いたインキュベーションの後にゲノムワイド関連解析を行い、複数領域において2型糖尿病との関連を認めた。このうち同定された糖代謝と関連する遺伝子のミスセンス変異について、タンパク質立体構造に影響を及ぼす可能性が示唆された。 平成28年度採択課題では、様々なコホート、バイオバンクと連携協力する体制により糖尿病発症・重症化・合併症の予防法作成を目指し、それらに関連する遺伝・環境因子の探索等を推進している。	・ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業「先端ゲノム研究開発」では、糖尿病の重症化、循環器疾患に重点を置き、ゲノムに加え、エピゲノム、メタボローム等のオミックス解析を取り入れ、疾患発症予測・予防法開発を目指す研究領域を新規に設定し、平成30年度公募を開始。(ゲノム医療実現推進協議会による「平成28年度報告」(平成29年7月)を踏まえたもの) ・糖尿病網膜症、糖尿病腎症に係る遺伝子領域を同定、追試中。2型糖尿病の全ゲノム関連解析にて同定された遺伝子のパスウェイ解析により、インスリン分泌制御機構に、日本人に特徴的な可能性のある病因を見いだした。 ・2型糖尿病について、健常者を対照とする全ゲノム関連解析にて、複数の薬剤標的遺伝子の蛋白変化を伴う変異を発見。また、複数の日本人固有の新規領域を検出。2型糖尿病で前増殖網膜症、増殖期、光凝固後の網膜症の進行した症例や、顕性腎症や透析中である腎症が進行した350例の全ゲノムシーケンスを実施。

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

⑤オーダーメイド・ゲノム医療



<成果目標達成状況>

KPI【2020年までの達成目標】	①.平成29年3月末迄の累積達成状況	②.平成29年度の達成状況
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に係る臨床研究の開始	抗がん剤ハーセプチンによる心毒性の副作用症例を用いたゲノム解析を終了し、心毒性のバイオマーカー候補となる8多型を同定した。また、遺伝性乳がん診断のための遺伝子変異データベース構築を目指し、研究を開始した。さらに、京都大学等で進められているオンコプライム(がんの遺伝子検査)研究とゲノム医療実施体制の構築と人材育成に関する研究との連携を進めた。 さらに、成果目標を達成するため、上記の取組に加え、ゲノム医療実用化推進研究事業において、平成28年度より事業を拡張し、新たにファーマコゲノミクス等の領域を創設した。	・「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、平成30年度に開始されるがんゲノム医療の体制整備として、情報センターのプロトタイプ及び電子カルテシステムの構築を行った。 ・「ゲノム創薬基盤推進研究事業」では、チオプリン製剤に対する不耐患者を判別するための遺伝子検査キットの開発を行った。
認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る臨床研究の開始	臨床ゲノム情報統合データベース整備事業では、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。 オーダーメイド医療の実現プログラムでは、認知症の疾患関連遺伝子解析に向けて、2013年度より血液サンプルと臨床情報について、認知症712症例を収集した。	「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、難聴約3000症例に対してクリニカルシーケンスを実施し、新規原因遺伝子を同定。また、クリニカルシーケンスの社会実装に向けて、企業とともに新規パネルの開発を開始。
神経・筋難病等の革新的な診断・治療法に係る臨床研究の開始	ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業では、インターフェロンβ治療を受けた多発性硬化症患者の累計216例の検体、インターフェロンβ治療以外の治療を受けている患者や類縁疾患の累計340例の検体をバイオバンクに収集した。追加された検体を含めたGWAS解析を実施し、薬剤反応性、副作用に関連する解析に着手した。	「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、H28年度から、希少・難病疾患約12300件のゲノム解析を行い、新規原因候補遺伝子を含む4000件の変異データと約1500件の確定診断を得た。得られた病的変異データは、基本的な臨床データとともに、統合データベースに登録。

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

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 ①を参照のこと

・ゲノム医療研究のための基盤構築と提供 ②を参照のこと

■ 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29年度 計5回、参加者数366名）ゲノム病理標準化センター講習会は、「日本専門医機構病理領域別講習のための単位取得講習会」として認定され、単位取得できる。

■ 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。

＜モニタリング指標＞

・応募件数及び採択件数：20件及び5件 ・事業に参画している研究者延べ人数：148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：31件

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。

■ 臨床ゲノム情報統合データベース(MGeND)を構築し、平成30年3月16日に非制限公開を開始

・本事業で採択された疾患領域別の研究開発課題（希少・難治性疾患領域、がん領域、感染症領域、認知症・その他領域）においても、ゲノム解析結果をMGeNDに登録するための申請手続きを平成30年3月末までに完了し、データ登録の準備を進めた。

・多因子疾患についてはその特性に応じたフォーマットの整備を、データベース構築担当の2次班と各疾患領域の1次班との間で進めた。

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

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。

・ゲノム情報の医療への実利用を進めるため、ゲノム創薬研究の成果の患者還元に係る諸課題の解決及びゲノム情報を活用した薬剤の開発等を推進している。

- ゲノム創薬及びその推進に係る課題解決に関する研究
 - ・疾患に関連したエピゲノムや遺伝子産物の相互作用等に着目し、薬効を高めた化合物の取得、個々人への薬剤の適正を調べる遺伝子検査キットの開発などに取り組んでいる。
- ゲノム創薬研究の推進に係る課題解決に関する研究
 - ・ゲノム医療に係るバイオバンクの検査の品質・精度を確保する国際的基準ISO20387の策定に向け、日本のバイオバンク機関にアンケート調査を実施した。
 - ・患者やその家族等に対して必要とされる説明事項や留意事項を明確化するため、提言を策定した。
 - ・ゲノム医療従事者の養成を推進するため、ゲノム医療に関わる看護師、薬剤師、検査技師向けのテキストを作成した。

I 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項

(2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑥ 疾病に対応した研究＜がん＞

I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑥疾患に対応した研究<がん>

評定(自己評価)

A

PD/PS/POを中心にジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト全体の一体的運用により、①エクソソームから腎臓がん早期診断バイオマーカー発見、がん転移を1細胞ごとに可視化する技術開発、タンパク質のがん特異的立体構造を標的にしたがん免疫療法開発等の顕著な研究成果を挙げた。②事業の枠を超えた連携強化、がんゲノム医療実用化に向け省庁や関係部署との縦横連携実現、革新がん事業サポート機関設置で基礎から実用化へつなぐ一貫したマネジメント基盤整備、がん対策基本法改正(H28.12)に対応した難治性・希少がんのシーズ探索研究開始、有望シーズを厳選し実用化へつなぐ評価の質向上、③若手研究者育成強化、企業向け・市民向け成果発表会実施、米国NCIと検体データ相互利用や日米合同WS開催で連携。その結果、④2020年までの成果目標の一部(治験導出数)を前倒しで達成、所期の目標を大きく上まわるとともに、次世代がん研究シーズ育成プログラムで得られた有望な成果14件(前年度実績3件)を革新がん事業の支援へつなげた。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がん研究における顕著な研究成果事例

- ①-1 血中を流れるナノサイズのがん細胞レプリカ「エクソソーム」から腎臓がん早期診断バイオマーカーを発見
- ①-2 組織透明化による全身全細胞解析基盤の構築 ～がん転移を1細胞ごとに見ることが可能に～
- ①-3 多発性骨髄腫に対する新規「CAR-T細胞療法」を開発 ～インテグリンβ7の活性型立体構造を標的とした免疫療法～

②がん関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

- ②-1 ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトとして事業の枠を超え、PD/PS/PO会議等を一体的に運用。がんゲノム医療のスムーズな実装を後押しすべく、がん研究課が関係省庁やAMED関係部署をとりまとめて、省庁AMED連絡会議を立ち上げ、濃密な縦横連携体制を構築することで、組織や部署間の効果的な情報共有や役割分担を実現した。
- ②-2 革新がん事業にサポート機関を設立し、研究の進捗管理、倫理研修等を開始。次世代がん事業サポート機関との連携を通じ、基礎から実用化まで一貫したマネジメントを実現する基盤を整備。
- ②-3 がん対策基本法改正(H28.12)に対応すべく、次世代がん事業で難治性がん・希少がんに対する新たなシーズ探索研究を開始。
- ②-4 評価委員の専門性や多様性の向上、専門性を考慮した分科会配置によって、研究成果を実用化へつなぐ評価の質向上に取り組んだ。

③研究者育成、人的交流、国際連携等に資する活動

- ③-1 若手WS開催、若手海外研修派遣、若手枠の研究費拡充。
- ③-2 次世代がん事業と革新がん事業の合同で企業向け成果発表会を開催し、研究者と企業の相互理解と人的交流を促進。
- ③-3 がん早期診断バイオマーカー開発に関し、米国NCIと検体データ相互利用に向けた協力や合同WS開催など国際連携を強化。
- ③-4 研究開発成果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て、市民向け成果発表会を開催。

④成果目標達成状況(評価指標)

- ④-1 2020年までの達成目標5件中2件を前倒しで達成。

2020年までの達成目標	2018年3月末
日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出	12種 達成
小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた12種類以上の治験への導出	21種 達成
小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加	42課題 支援中
いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消	9課題 支援中
小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立(3件以上のガイドラインを作成)	1件 達成

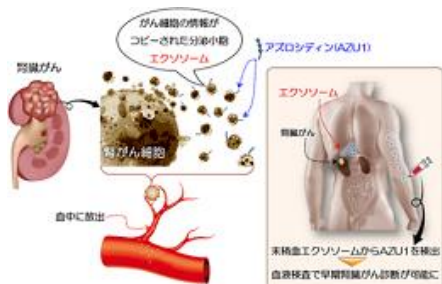
- ④-2 次世代がん研究シーズ育成プログラム(現在の次世代がん事業の前身事業、平成27年度終了)で得られた有望な研究成果14件(平成28年度実績3件)を革新がん事業の支援につなげた。

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

⑥疾患に対応した研究<がん>

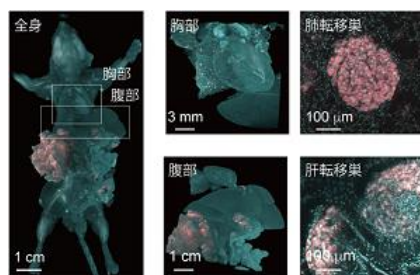
①がん研究における顕著な研究成果事例

①-1 血中を流れるナノサイズのがん細胞レプリカ「エクソソーム」から腎臓がん早期診断バイオマーカーを発見



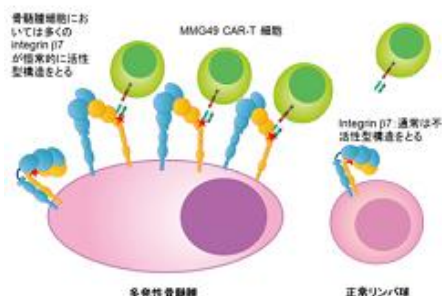
- 腎臓がん患者の腎臓組織から抽出されたエクソソームでアズロシディン (AZU1) タンパク質が著しく蓄積していることを発見した。血清エクソソームでは、ごく初期の腎臓がんでも健康者より高値でAZU1が検出されることを明らかにし、血液検査による腎臓がん早期診断バイオマーカーとして有用性が示された。
- これまで腎臓がんでは診断に使用可能な血液バイオマーカーが一つも発見されていなかったが、血液検査で今回発見したバイオマーカーを計測可能な診断法が実用化されれば、腎臓がんの早期発見率の向上とともに死亡数の大幅な減少が期待される。

①-2 組織透明化による全身全細胞解析基盤の構築 ～がん転移を1細胞ごとに見ることが可能に～



- 動物体内での1細胞レベルのがん転移を全身・全臓器で網羅的に同定し、定量化する技術の開発に成功した。この技術を活用することで、がん細胞による初期の転移巣の形成機構を解明したり、抗がん剤の治療効果を臓器や個体レベルで検証したりすることが可能となった。
- 肺や肝臓への遠隔転移、腹膜播種が個体レベルで観察可能となり、がん転移のメカニズムの解析に極めて有用であることが示された。がん細胞が抗がん剤投与後も残存している様子を1細胞ごとに観察することにも成功し、がん再発に対してより有効な抗がん剤を開発することにも貢献すると期待される。

①-3 多発性骨髄腫に対する新規「CAR-T細胞療法」を開発 ～インテグリンβ7の活性型立体構造を標的とした免疫療法～



- 骨髄腫細胞ではインテグリンβ7タンパク質の多くが常時活性化した状態にあり、この活性型構造をとった時にのみ露出する抗原が骨髄腫特異的抗原となり得ることを発見し、それを標的としたCAR-T細胞が骨髄腫に対して著明な抗腫瘍効果を持つことが明らかになった。
- 本研究によって、骨髄腫に対する新しい免疫療法の開発に成功したのみならず、タンパク質自体ががん特異的でなくとも、タンパク質のがん特異的な“かたち”ががんの治療標的となり得るという新たな知見を提示した。今後、他の多くのがん種において同様の“がん特異的立体構造”が治療標的として同定されることが期待される。

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

⑥疾患に対応した研究<がん>

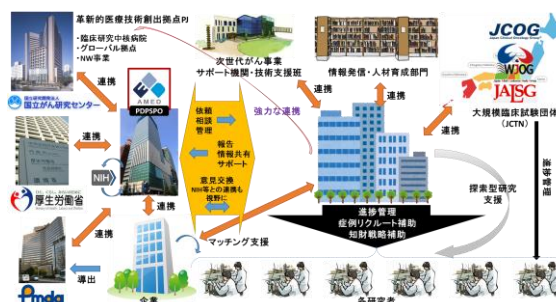
②がん関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトの一体的運用・がんゲノム医療実用化に向け縦横連携の推進

がん関連5事業がPD/PS/PO会議を年4回合同開催するなど、基礎研究から産業界への出口も見据えた成果導出に向け、事業の枠を越えた連携を強化した。また、がん関連遺伝子パネル検査の実用化を後押しすべく、文部科学省、厚生労働省など関係省庁や、難病研究課、基盤研究事業部、臨床研究・治験基盤事業部などAMED他部署を巻き込んで、AMED省庁連絡会議を立ち上げ、がん研究課が中心となって機構内外との縦横連携を構築し、がんゲノム医療実現に向けタイムラインや課題の共有、役割分担の明確化を図った。

②-2 革新がん事業サポート機関設立による、基礎から実用化までつなぐ一貫したマネジメントの基盤整備

PD/PS/PO指示の下、AMED事業担当者および次世代がん事業サポート機関と連携し、革新がん事業で支援する研究課題の進捗管理を補助し、開発方針等について適切な助言や支援を行うサポート機関を新たに設置し、平成29年度中は以下の項目に取り組んだ。



- 本事業の全研究開発課題情報を一元化・可視化し、進捗管理を最適化するため、プロジェクトマネジメントシステムのプロトタイプ版を完成させ、データシェアリング基盤を整備した。
- 国内外のがん分野の研究費配分や成果などの情報を事業運営に活かすためデータマイニングシステム構築に取り組み、がん種別臨床試験の実施状況を俯瞰したマップを完成させた。
- 異分野技術の融合を通じてリバーストランスレーショナルリサーチの促進を目指す研究情報マッピングシステム構築を進めた。
- 臨床研究法の改正をふまえた倫理講習会を次世代がん医療創生研究事業のサポート機関と合同開催。両事業のサポート機関の協力によって、基礎から実用化まで全研究開発課題の一貫したマネジメントを実現すべく、連携に着手した。

②-3 難治性がん・希少がんに対するシーズ探索研究の開始

難治性がん・希少がん研究分野は民間主導の研究開発が一般的に進みづらいとされ、アカデミア等で診断や治療法開発の取組を積極的に推進していく必要がある。平成28年12月のがん対策基本法の改正でも、難治性がん・希少がんの研究促進について配慮の必要性が条文に追加されたことに対応して、当該研究分野の底上げを図るため、次世代がん事業では、難治性がん・希少がんの新たな研究領域を立ち上げ、新シーズを探索する標的探索研究の公募を行い、165件の応募の中から13課題を採択し、研究を開始した。

②-4 評価委員会の多様性拡充と評価の質の向上

次世代がん事業では専門性を考慮した分科会運用を目的とした評価委員増員を図る中、女性や59歳以下の評価委員の割合増加を進め、評価委員会の多様性を拡充した。革新がん事業では製薬企業での創薬経験者や、臨床分野や疫学の専門家を増員し、各委員の専門性を考慮した分科会への配置によって、研究成果を実用化へスムーズにつなぐための評価の質向上に努めた。

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

⑥疾患に対応した研究<がん>

③研究者育成、人的交流、国際連携等に資する活動

③-1 若手研究者育成(若手WS、海外研修派遣等)



若手育研究者を対象にしたワークショップを次世代がん事業と革新がん事業の合同で実施。ニーズを意識した思考力を養うワークショップを体験し、研究計画の質的向上や研究者として総合的な能力向上を目指すとともに、事業の垣根を超えて、基礎から臨床まで幅広い分野の研究者間の交流を図った。また、年度中2度に分けて若手研究者の海外研修派遣を実施。革新がん事業二次公募の若手「臨床研究」枠では間接経費を含む研究費を500万円から1,000万円に上げた。

③-2 企業向け成果報告会の開催



研究成果の企業導出を通し実用化を促進するための取組として、製薬協や臨薬協の協力を得て、次世代がん事業及び革新的がん事業の合同で企業向け成果発表会を開催し、企業及びアカデミアの双方からの講演を通じて相互理解の促進を図るとともに、リモコンアンケートによる会場と登壇者の双方向のやりとりや、若手育成枠を含む研究代表者のポスター発表を通じてアカデミア研究者と企業参加者の直接対話の場を設ける等の工夫を行った。

③-3 米国NCIと国際合同ワークショップ開催



難治性がん・希少がん含むがんの早期発見のためのバイオマーカーに関するワークショップを米国NCI (National Cancer Institute)と合同で開催し、日米両国のシーズを相互に評価するために、互換性のあるリファレンスセットに求められる具体的な要件の検証を進めていくこととなり、有望シーズの早期実用化に資する情報資源の利活用に関する国際的な連携を一步前進させることできた。

③-4 市民向け成果報告会の開催



研究成果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に、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトの4事業に拡大して(平成28年度3事業)、市民向け成果発表会を合同開催した。リモコンアンケートによる会場との双方向のやりとり、がん研究への患者参画の紹介、一般来場者が研究者と直接対話できるポスター発表、若手研究者の講演等々、さまざまな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努めた。

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

⑥疾患に対応した研究<がん>

<成果目標達成状況> ※ I (2)①～⑨のみ

- 日本発の革新的ながん治療薬の治験への導出:12種(2020年までの目標10種)(④-1)
- 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:21種(2020年までの目標12種)(④-1)
- 小児がん、希少がん等の治療薬に関し、薬事承認・効能追加:0種(2020年までの目標1種)
※目標年度までの臨時承認、効能追加を目指し、医師主導治験等42課題の研究開発を支援中
- 小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ(開発ラグ)の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等の推進:小児がん、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を9課題以上で支援中。
- 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作成:1件(2020年までの目標3件)
※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、ガイドライン作成に資する多施設共同臨床研究を50課題で支援中(小児がん14件、高齢者がん7件、難治がん12件、希少がん17件)

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。

- 基礎から実用化にスムーズにつなげるため、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトのがん関連5事業が合同で年4回PD/PS/PO会議を開催するなど一体的な運用に取り組んだ。(②-1)
- 次世代がん研究シーズ育成プログラム(次世代がん前身事業)の有望な成果14件(平成28年度実績3件)を革新がん事業の支援へつなげることができた。(④-2)
- 女性や59歳以下、企業での創薬経験者、臨床分野や疫学の専門家等、評価委員の多様性や専門性を高めることで、有望な成果を厳選し、実用化につなげるための評価委員会の質の向上に取り組んだ。(②-4)
- 革新がん事業において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、同事業の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、評価の質向上に役立てた。
- 平成28年12月のがん対策基本法改正を踏まえ、難治性がん・希少がんのバイオマーカー等の早期同定や治療法の早期確立を実現するための新シーズ探索を新たに取組むべき基礎研究領域として抽出し、研究を開始した。(②-3)
- 次世代がん事業においてサポート機関による進捗情報の整理をもとに、技術支援班による技術支援マッチング会議を定期的に開催し、研究者の要望に応じたタイムリーな技術支援を行った。

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

⑥疾患に対応した研究<がん>



評価軸

臨床・ゲノム情報基盤を整備しビッグデータを活用することによって個別化医療の実現、国際的な貢献を果たしたか。

- 次世代がん事業ではNBDCとの連携を前身事業である次世代がん研究シーズ育成プログラムに引き続いて実施し、データシェアリングやデータ公開に取り組んだ。
- がん関連遺伝子パネル検査の実用化に対応して、AMED内及び関係省庁との連絡会議を定期開催するとともに、革新がん事業では、がんゲノム情報をもとに行う医師主導治験の共通プロトコル、共通方針の策定・整備を行う研究や、がんクリニカルシーケンスを運営、管理できるメディカルディレクター等の専門家を育成する研究を推進した。(②-1)
- 米国NCIと難治性がん・希少がんを含むがんの早期発見のためのバイオマーカーに関する国際合同ワークショップを開催し、有望シーズの早期実用化に資する情報資源の利活用に関する国際的な連携を進めた。(③-3)
- 革新がん事業のがんゲノム解析に係る研究開発課題を通じて国際コンソーシアム(ICGC)へ関与・貢献するとともに、海外のがんゲノム医療研究の動向や臨床への実装状況を把握し、公募策定等の事業運営に活用した。

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。

- 革新がん事業において新たにサポート機関を設立し、臨床研究・ゲノム研究を含む研究開発課題のデータシェアリングの基盤を構築し、異分野技術の融合を通じたリバーストランスレーショナルリサーチを促進するための環境を整備するとともに、倫理講習会の合同開催を端緒として、次世代がん事業サポート機関との連携を開始した。(②-2)
- 若手研究者育成を目的として、次世代がん事業及び革新がん事業の若手研究者を対象に若手ワークショップを開催。さらに、書面審査により選抜された若手研究者を海外研修へ派遣する機会を年2回設け、海外研究者との交流を促進した。革新がん事業二次公募では若手臨床研究枠の研究費上限を倍に上げた。(③-1)
- 研究成果の企業導出を通じ実用化を促進するための取組として、製薬協や臨薬協の協力を得て、次世代がん事業及び革新がん事業の合同で企業向け成果発表会を開催した。(③-2)
- 研究成果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に、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトの4事業に拡大して(平成28年度3事業)、市民向け成果発表会を合同開催した。(③-4)

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)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

評定(自己評価)

B

PDPSP0による適切な研究開発マネジメント、他事業との共同公募によるリソースや情報の共有促進、さらに、関係省庁との密な意見交換等のもとで事業間連携の加速を図ったことなどにより、①アルツハイマー病の早期診断に対する血液バイオマーカーについて顕著に進展、MRI画像解析により統合失調症における大脳皮質下領域の関与の発見、脳深部を非侵襲的にリアルタイムでの可視化を可能とする新技術の開発等の顕著な成果を挙げた。②認知症の全国的な情報登録・追跡システムのオレンジレジストリや、インターネットレジストリシステム(IROOP)の本格稼働により健常や認知症の人等の情報登録が進行した。③海外のファンディングエージェンシー等との情報交換、認知症研究等の国際的な枠組みとのワークショップ開催など、国際連携を積極的に推進した。④2020年までに達成すべき成果目標に向けて、認知症や統合失調症などの精神神経疾患において、診断や治療に資する血液や画像のバイオマーカーを見出すなど着実に成果が得られている。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脳と心の研究における顕著な研究成果事例

精神・神経疾患のうち、特に認知症研究の充実化に向けて、AMEDと3省(文科省、厚労省、経産省)による意見交換を行った。平成29年度に各事業において得られた以下のような顕著な研究成果等をふまえ、今後の事業間連携促進、研究成果の最大化等に向けた具体的な取り組みについて、検討を開始した。

- ①-1 質量分析システムを用いて血液からアルツハイマー病変(アミロイド蓄積)を早期に正確に検出する方法、血液中のリン酸化タウ蛋白(p-tau)を超高感度で定量する方法の開発に成功した。
- ①-2 MRI画像解析により、統合失調症をもつ人にみられる社会機能障害に、大脳皮質下領域における神経回路のかなめである視床の体積異常が関与することを発見した。
- ①-3 脳の深部を非侵襲的に観察できる人工生物発光システム(AkaBLI)の開発により、生きた動物個体深部からのシグナル検出能を飛躍的に向上させ、高次脳機能のリアルタイム可視化への応用が可能となった。

②集約的、体系的な情報基盤の整備

- ②-1 認知症の人等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し、前臨床期4,491名、MCI854名(平成29年12月時点)の登録が進んだ。また、レジストリを活用した研究として、心房細動と認知症の相関調査、ロボットなどの新しい技術と認知症ケアの統合等を推進した。

- ②-2 認知症予防を目的とするインターネットレジストリシステム(IROOP)を運用し、登録数は計4765名(平成30年1月9日時点)に到達した。

- ②-3 革新脳事業におけるマーマセット研究基盤の充実を図るため、事業内で保有しているすべてのマーマセット個体の家系図や遺伝情報等の情報を収集、整理に向けた取り組みを開始した。

③国際連携、研究者交流等に資する活動

- ③-1 MRC、NSF、NIH(NIMH、NINDS)などの海外機関や、IMI、WDC、IBI、JPND、等の国際的な枠組みとの連携に積極的に取り組んだ(IMI、WDCは東京で国際会議を開催)。各国の関係者らと情報共有、意見交換を行うとともに、認知症研究や基礎脳科学研究における最新の研究動向について情報収集を行った。

- ③-2 難病研究課との合同公募により認知症と糖尿病に関する研究3課題を採択し、リソースや情報の共有促進と成果創出を図った。

また、事業全体の研究交流会を開催し、バイオバンク課にも参加依頼するなど、事業間連携を加速した。さらに、認知症をテーマとする一般公開シンポジウムを開催し、医療機器課等へも発表を依頼するなど、事業横断的な情報発信に取り組んだ。

④成果目標達成状況(評価指標)

認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立(臨床POC取得1件以上)	・認知症の早期診断に資する血液バイオマーカーを開発(アミロイド、タウ蛋白)
日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始	・認知症治療薬に関する臨床試験の実施に向けて、レジストリなどの情報基盤を整備
精神疾患の客観的診断法の確立(臨床POC取得4件以上、診療ガイドライン策定5件以上)	・統合失調症に大脳皮質下領域の視床が関与することを発見 ・ガイドライン2件策定済
精神疾患の適正な治療法の確立(臨床POC取得3件以上、診療ガイドライン策定5件以上)	・ギャンブル依存症の神経基盤を解明 ・ガイドライン2件策定済
脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成	・構造マップのデータを蓄積中 ・活動マップ作成のため要素技術を開発

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

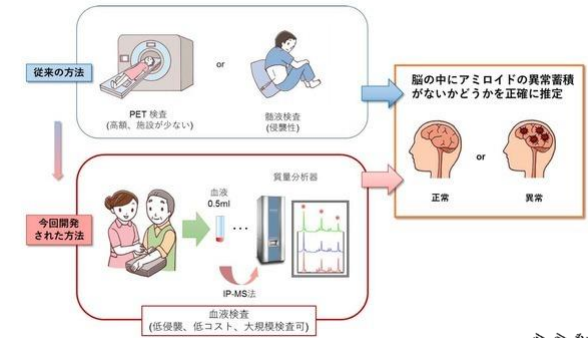
⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

①脳と心の研究における顕著な研究成果事例

精神・神経疾患のうち、特に認知症研究の充実化に向けて、AMEDと3省(文科省、厚労省、経産省)による意見交換を行った。平成29年度に各事業において得られた以下のような顕著な研究成果等をふまえ、今後の事業間連携促進、研究成果の最大化等に向けた具体的な取り組みについて、検討を開始した。

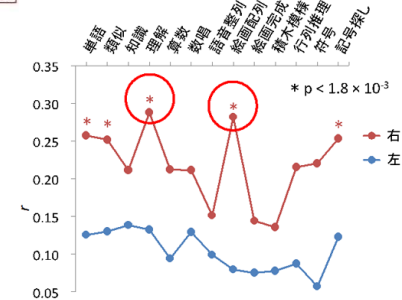
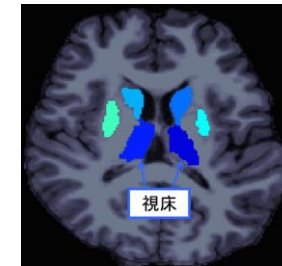
①-1 アルツハイマー病変の早期検出法を血液検査で確立

- ・質量分析システムを用いたアルツハイマー病血液バイオマーカーについて、採取が容易な血液(僅か0.5CC)でアルツハイマー病変を早期に正確に検出することが可能となり、現在用いられている脳脊髄液(CSF)やPETイメージングの検査に匹敵する極めて高い精度のアルツハイマー病変(アミロイド蓄積)検出法を確立した。
- ・アルツハイマー病患者の脳に特異的に蓄積するリン酸化タウ蛋白(p-tau)を、ヒトの血液中で特異的に定量できる超高感度定量系を世界で初めて開発した。



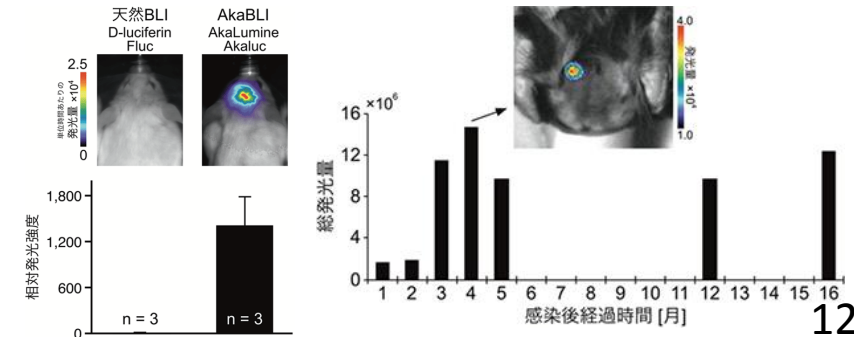
①-2 統合失調症における社会機能障害への大脳皮質下領域の関与を発見

- ・磁気共鳴画像法(MRI)を用いた研究により、統合失調症をもつ人にみられる社会機能障害に、大脳皮質下領域における神経回路のかなめである視床の体積異常が関与することを発見した。視床を中心とする神経回路の機能不全が統合失調症の社会機能障害に影響することを示唆しており、統合失調症の病態解明や新たな治療法開発の契機となることが期待される。



①-3 脳深部を非侵襲的に観察できる人工生物発光システムを開発

- ・新規の人工生物発光システムAkaBLIを開発し、生きた動物個体深部からのシグナル検出能を飛躍的に向上させ、マウスやコモンマーモセットの標識神経細胞からの発光を、無麻酔かつ自由行動の状態で非侵襲的に可視化することに成功した。AkaBLIは、少数の腫瘍細胞や幹細胞の新生や移入、さらにその後起こる生着、増殖、転移などの現象を高感度にかつ定量的に観察することを可能にし、動物個体を扱う生命科学分野で幅広い活躍が期待される。



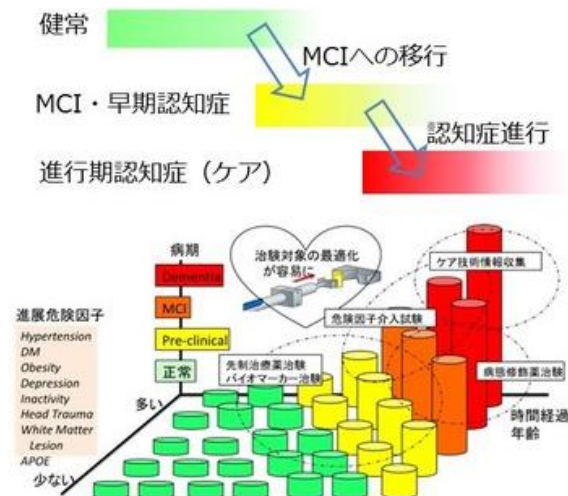
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

②集約的、体系的な情報基盤の整備

②-1 長期間にわたる前向き観察研究

臨床治験にスムーズに登録できるよう認知症の人等(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し、前臨床期4,491名、MCI854名(平成29年12月時点)の登録が進んだ。AMEDの他の研究とも連携し、オレンジレジストリを活用した研究として、心房細動と認知症の関連調査、地域包括ケアの中の一つとしてロボットなど新しい技術と認知症ケアの統合といった研究分野を推進した。引き続き被験者の登録を進めるとともに、認知症の評価・検査方法の標準化等による臨床研究の実施支援体制の整備など、治療薬等の大規模臨床研究への即応体制の構築を推進する。



②-2 全国規模の認知症データの効率的な集積

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システム(IROOP)を運用している。現在の登録状況は計4765名(平成30年1月9日時点)に到達した。IROOPを通じて、登録者が自身の記憶力の状態を定期的にチェックできる認知機能検査を無料で提供すると共に、産官学から提供される最新の情報により認知機能低下予防やあたまの健康増進に関する国民の知識向上を図った。



②-3 マーモセット研究基盤の充実

革新脳事業の中核拠点、臨床研究グループ、技術開発個別課題において、マーモセットを用いて研究を実施している課題を対象にアンケートを実施し、マーモセットを用いた研究のニーズ把握等を行うとともに、革新脳事業において保有しているすべてのマーモセット個体の情報(家系図、遺伝情報等)の収集・整理に向けた取り組みを開始した。

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

⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

③国際連携、研究者交流等に資する活動

③-1 国際連携の推進

- ・精神神経疾患、特に認知症分野での創薬等研究等の開発を加速するため、新たな官民連携の推進に向けてに官民連携機構である Innovative Medicines Initiative(IMI)との共催シンポジウムを東京にて開催した。
- ・アジアで初めてとなるWorld Dementia Council (世界認知症審議会)の東京開催に国際事業部とともに協力した。
- ・英国ロンドンにおいて神経科学(認知症を含む)に係るAMED-MRCシンポジウムを開催した。日英双方より、基礎研究の研究者や臨床の医師が参加し、基礎研究から実用化まで、各フェーズにおける最新の研究動向等について情報共有、意見交換を行った。
- ・チューリッヒで開催されたThe EU Joint Programme – Neurodegenerative Disease Research (JPND)の会合へ参加し、AMEDの認知症研究の取り組みなどを紹介した。
- ・平成29年12月のオーストラリアにおける国際ブレイン・イニシアティブ(IBI)設立をふまえ、関連の動向について情報収集を行うとともに、運営委員会等にPD等が出席するなど積極的に関与し、日本としての対応方針についてPDや関係省庁等とともに検討を行った。
- ・米国NSF及びNIH(NIMH、NINDS)へ訪問し、疾患研究や脳科学研究における連携の可能性等について意見交換を行った。



AMED-MRCシンポジウム

③-2 研究者交流の促進等

- ・脳と心の研究課の「認知症研究開発事業」と難病研究課の「循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業」の合同公募により研究課題を3課題採択し、両事業のPSPOによる進捗管理のなかで双方のリソースや情報の共有を促進し、成果の創出を図った。
- ・文科省事業と厚労省事業のPDPSPPO、研究者が参加する研究交流会を開催し、各事業への理解を深めるとともに、各課題の研究者交流の一層の促進を図った。さらに基盤研究事業部・バイオバンク課の研究者等も研究交流会への参加を依頼し、口頭発表やポスター発表を通じて、バイオバンク事業との連携の可能性等について議論を行った。
- ・一般市民向けの公開シンポジウム「認知症と生きる、認知症に挑む～よりよい暮らしと社会のために、研究者の挑戦～」を開催した。医療機器課や臨床研究課で実施している認知症関連の研究課題へもポスター展示等を依頼し、事業横断的な情報発信に取り組んだ。



事業全体の研究交流会

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

⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>



<成果目標達成状況> ※ I (2)①～⑨のみ

KPI 【2020年までの達成目標】	①.平成30年3月末迄の累積達成状況	②.①のうち、平成29年度の達成状況
認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立(臨床POC取得1件以上)	・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(Aβ)分子種間比、Aβと前駆物質との比、Aβ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・確立した。 ・新規イメージング技術を用いて、アルツハイマー病で蓄積するアミロイドβの脳内分布を一挙に可視化することに成功した。	・血液を用いたアルツハイマー病の簡便な早期診断、治療効果測定に資するバイオマーカーとして、リン酸化タウ蛋白(p-tau)等を発見した。 ・アルツハイマー病で蓄積するアミロイドβの脳内分布を一挙に可視化することに成功した。
日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始	・レビー小体型認知症の疾患修飾薬候補化合物を創製し、特許出願した。 ・臨床治験にスムーズに登録できるよう認知症の人等(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し、健常者4,765名、前臨床期4,491名、MCI854名(平成29年12月現在)の登録が進んだ。 ・認知症関連遺伝子グラニューリンが不要な神経結合(シナプス)の除去を遅らせるとともに、必要なシナプスを強めることを明らかにした。	・オレンジレジストリにおいて健常者4,765名、前臨床期4,491名、MCI854名(平成29年12月現在)の登録が進んだ。 ・認知症関連遺伝子グラニューリンが不要な神経結合(シナプス)の除去を遅らせるとともに、必要なシナプスを強めることを明らかにした。

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

⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

<成果目標達成状況>

KPI【2020年までの達成目標】	①.平成30年3月末迄の累積達成状況	②.①のうち、平成29年度の達成状況
精神疾患の客観的診断法の確立(臨床POC取得4件以上、診療ガイドライン策定5件以上)	・統合失調症発症の最大のリスクである 22q11.2欠失領域に存在するRTN4R遺伝子内に、統合失調症病態に強い関連を示すアミノ酸配列変異が存在することを同定した。 ・統合失調症発症高リスク群において、左後頭葉の脳回の過形成を示すことを明らかにするとともに、ギャンブル等依存症患者の背外側前頭前野と内側前頭前野との機能的結合の減弱が、有効なバイオマーカーならびに治療標的となる可能性を示唆した。 ・統合失調症をもつ人にみられる社会機能障害に、大脳皮質下領域における神経回路のかなめである視床の体積異常が関与することを発見した。 ・早期精神病に対する診断・治療ガイダンスを作成した。	・統合失調症発症の最大のリスクである 22q11.2欠失領域に存在するRTN4R遺伝子内に、統合失調症病態に強い関連を示すアミノ酸配列変異が存在することを同定した。 ・統合失調症発症高リスク群において、左後頭葉の脳回の過形成を示すことを明らかにするとともに、ギャンブル等依存症患者の背外側前頭前野と内側前頭前野との機能的結合の減弱が、有効なバイオマーカーならびに治療標的となる可能性を示唆した。 ・統合失調症をもつ人にみられる社会機能障害に、大脳皮質下領域における神経回路のかなめである視床の体積異常が関与することを発見した。 ・早期精神病に対する診断・治療ガイダンスを作成した。
精神疾患の適正な治療法の確立(臨床POC取得3件以上、診療ガイドライン策定5件以上)	・自閉スペクトラム症治療薬を目指し、オキシシン点鼻剤を6回から1回噴霧に改良し、医師主導治験(ph1)を開始した。 ・脳発達期において不飽和脂肪酸欠乏が核内受容体を介して精神疾患発症リスク増大に関与する可能性及び、核内受容体作動薬が統合失調症の新しい治療薬になる可能性を示した。 ・ギャンブル等依存症患者の背外側前頭前野と内側前頭前野との機能的結合の減弱が、有効なバイオマーカーならびに治療標的となる可能性を示唆した。 ・うつ病性障害における包括的治療ガイドラインを改訂し、早期精神病に対する診断・治療ガイダンス作成した。	・脳発達期において不飽和脂肪酸欠乏が核内受容体を介して精神疾患発症リスク増大に関与する可能性及び、核内受容体作動薬が統合失調症の新しい治療薬になる可能性を示した。 ・ギャンブル等依存症患者の背外側前頭前野と内側前頭前野との機能的結合の減弱が、有効なバイオマーカーならびに治療標的となる可能性を示唆した。 ・早期精神病に対する診断・治療ガイダンス作成した
脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成	・マーモセット脳内の遺伝子データベースサイト、及び脳画像データの3D化や動画をデータポータルで公開し、今後のマップ(データベース)作成の方向性を示した。 ・超高磁場MRIを用いて、高精細なマーモセット脳画像データを取得するとともに、構造マップの公開コンテンツの環境整備を実施した。また、マーモセットの複数の脳領域における神経回路データを収集し、3DトレーサーマップとDTI(拡散テンソル画像)データそれぞれの神経回路との相同性を評価した。機能マップ作成のために、fMRIを用いて眼球運動制御に関わる脳領域を特定するとともに、脳内視鏡により脳深部の神経細胞の活動を計測した。	・超高磁場MRIを用いて、高精細なマーモセット脳画像データを取得するとともに、構造マップの公開コンテンツの環境整備を実施した。また、マーモセットの複数の脳領域における神経回路データを収集し、3DトレーサーマップとDTI(拡散テンソル画像)データそれぞれの神経回路との相同性を評価した。機能マップ作成のために、fMRIを用いて眼球運動制御に関わる脳領域を特定するとともに、脳内視鏡により脳深部の神経細胞の活動を計測した。

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

⑦疾患に対応した研究<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。

- ・脳の深部を非侵襲的に観察できる人工生物発光システムの開発により高次脳機能のリアルタイム可視化への応用が可能となった。(前ページの①－3参照のこと)
- ・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した。(前ページの②－1、②－2参照のこと)
- ・平成29年度より開始の技術開発個別課題を新たに12課題採択し、これらの研究課題と中核拠点の緊密な連携を促進し、脳全体の神経回路の構造と活動マップの完成に向けて研究開発を推進した。
- ・機能的結合ニューロフィードバック学習法を応用しネットワーク内での特定の配線における繋がり方を増加または減少させることに成功し、繋がり方を変化させた方向に応じて認知機能の変化が異なることを明らかにした。
- ・ギャンブル依存症の神経メカニズムとして、前頭葉の一部の活動や結合が低下することにより、リスクの取り方の柔軟性に障害が生じることが明らかとなった。

評価軸

認知症やうつ病などの精神・神経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。

- ・血液を用いたアルツハイマー病の簡便な早期診断、治療効果測定に資するバイオマーカーを探索し、新規アミロイドβ関連ペプチド、リン酸化タウ蛋白(p-tau)等を発見した。(前ページの①－1参照のこと)
- ・統合失調症に関して、脳の後頭葉の脳回形成の変化が発症を予測することや、大脳皮質下領域の異常が社会機能障害に関与することを発見した。(前ページの①－2参照のこと)
- ・R-ケタミンに抗うつ作用があることを見出し、新規抗うつ薬R-ケタミンとして企業導出に成功した。また、R-ケタミンが認知症、パーキンソン病などの神経変性疾患治療薬への適応拡大へと繋がるよう支援を行った。
- ・前頭側頭葉変性症において病態早期に生じるタウ蛋白質リン酸化が、シナプス障害を通じて認知症状を引き起こしていることを明らかにし、アルツハイマー病と前頭側頭葉変性症の共通病態を発見した。

I 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項

(2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑧ 疾病に対応した研究＜新興・再興感染症＞

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>



評定(自己評価)

S

① PSPO及び事業担当(PMDAからの出向者等)によるタイムリーな助言や適切な課題管理を行った結果、麻疹ウイルスの膜蛋白質構造を原子レベルで解明、ジカウイルスの迅速診断法の開発、熱帯熱マラリア原虫感染による重症化メカニズムを解明、トキソプラズマ症の免疫反応関連因子を同定するなど顕著な研究成果を挙げ、グローバルヘルスに資する実用化研究を推進した。②新事業感染症研究革新イニシアティブ(J-PRIDE)立ち上げにあたり、評価委員への事業趣旨説明を十分に行った結果、斬新な視点・発想に基づく異分野連携・若手研究者による挑戦的課題を多くの応募の中から採択し、支援を開始した。③ 若手中心のJ-PRIDE研究者による英国機関訪問と国際共同研究の支援、AMRIに関連した国内シンポジウム及び国際ワークショップの開催等、研究者育成、人的交流、国際連携等に資する活動を実施した。これらの成果により、④ 2020年及び2030年までの達成目標に向け着実に進捗が得られている。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて極めて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待などが認められるため、評価をSとする。

① 顕著な研究成果

PSPO及び事業担当による課題進捗の把握、研究集会、班会議等での有用な助言や情報提供、薬事申請(①-2a)に際してはPMDAから出向している事業担当による専門性の高い助言や同行などの支援をタイムリーに行った結果、以下に代表される顕著な研究成果が創出された。

- ①-1 AMED 理事長賞(日本医療研究開発大賞)受賞研究者による成果:麻疹ウイルスの膜蛋白質構造を原子レベルで可視化し、抗ウイルス薬の開発を加速し得る感染阻害メカニズムを解明。
- ①-2 a)ジカウイルスの迅速診断法を開発し、薬事承認を申請。
b)東南アジアで最初のジカウイルス感染による小頭症例をベトナム拠点において証明。
- ①-3 熱帯熱マラリア原虫がヒトの免疫応答を抑えて重症化を引き起こす分子メカニズムを解明。
- ①-4 トキソプラズマ症の新規治療・予防戦略を提供できるヒト免疫反応に関する重要な因子Gate-16を同定。
- ①-5 ダニ媒介性脳炎ウイルスによる中枢神経症状発症メカニズムを解明。
- ①-6 高病原性H7N9鳥インフルエンザウイルスが、哺乳類間で飛沫感染することを感染伝播実験で証明。
- ①-7 エボラ出血熱の重症化メカニズムを解明するとともに、予後を予測するためのバイオマーカーを同定。

② プロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 J-PRIDE立ち上げ

新事業としての感染症研究革新イニシアティブ(J-PRIDE)の立ち上げに際して、PSとともに事業担当が評価委員全員を個別訪問、事業趣旨や評価方針を説明した。既存の感染症研究事業で支援してきた研究課題とは異なる斬新な視点・発想に基づく挑戦的な研究課題を優先すること、若手が代表者であるか、または若手が重要な役割を果たす課題に高い評点を与える審査方式としていることなどを強調して周知した。その結果として、新規公募では、異分野連携と若手の斬新な発想に基づく挑戦的な課題が高い評価を得て、229の提案から優れた30課題が採択され、8月より支援が開始された。

②-2 CiCLE伴走

CiCLE事業のAMR研究課題採択に至るプロセスでは、抗菌薬開発の経験をもつ事業担当が専門性を生かして、創薬戦略部、CiCLE事業部門と連携しながら、厚労省、製薬協、関連企業とも情報交換を行い、抗菌薬開発の置かれている現状の把握に努めた。その結果として、CiCLE事業でのAMR課題支援開始後は、課題伴走となる「耐性菌株バンク構築」、「抗菌薬開発インセンティブ調査」の実施につながる具体的対応が進んだ。

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>



③ 研究者育成、人的交流、国際連携等に資する活動

- ③-1 MRC(英国医学研究会議)とAMEDとの協力覚書締結に基づく活動として、AMEDロンドン事務所との連携により、日英共同研究のマッチングが促されるプログラム作成と参加者選定に入念な準備を行った。その結果として、若手研究者中心のJ-PRIDEの研究者8名の英国訪問、ワークショップ開催が実現(2017年12月)、若手人材交流、具体的な日英共同研究の可能性を見出し、実施に向けて各課題に追加支援を機動的に行った。
- ③-2 薬剤耐性(AMR)対策に資する研究支援の強化を図るため、AMED内では創薬戦略部、医薬品研究課、AMED外では厚生労働省、製薬協、感染症学会、PMDA等との連携を進めた。そうした積極的活動の結果として、AMRシンポジウム開催(2017年9月)及びヨーロッパのInnovative Medicines Initiatives (IMI)の専門家を迎えてのワークショップ開催(2018年2月)を成功させることができた。
- ③-3 若手枠の設定
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において、新たに設けた若手育成枠で若手が応募しやすいよう課題設定を工夫した。その結果、予想以上に多くの応募を得て、採択した研究者4名の研究課題を支援した。
- ③-4 感染症研究国際展開戦略プログラム(J-GRID)では、海外拠点での人材プログラムの実施を促す方針をPSおよび事業担当より明確に示してきた結果、各拠点での人材育成研修が定着し、タイ拠点では若手研究者が単クローン抗体の作製技術に関して習熟する等の成果を上げている。

④ 成果目標達成状況(評価指標) 一部抜粋

【2020年までの達成目標】 ・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	・得られた病原体のデータベース拡充と利活用、カルバペネム耐性腸内細菌科細菌(CRE)の新たな迅速検出キットの開発、ジカウイルス感染症迅速診断法(RT-LAMP法)の国内薬事承認申請の完了。
・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	・新たな次世代ノロウイルスワクチンシーズの開発開始、ワクチンシーズの企業導出調整中、経鼻インフルエンザワクチンの企業導出を達成し企業治験(第II相)を完了見込み。
【2030年までの達成目標】 ・新たなワクチンの開発 (例:インフルエンザに対する万能ワクチン等)	・非臨床試験準備に向けたエボラウイルスワクチンの候補ワクチン製造の開始、ジカウイルスワクチンの非臨床試験開始、新規全粒子インフルエンザワクチンの非臨床試験により有用なデータを取得。
・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発	・デングウイルスの全ての血清型にウイルス増殖阻害効果を示す候補化合物を取得、カルバペネム耐性菌の抗菌薬候補物質の阻害効果改善、多剤耐性結核菌の有効な新規抗結核薬候補物質発見。

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

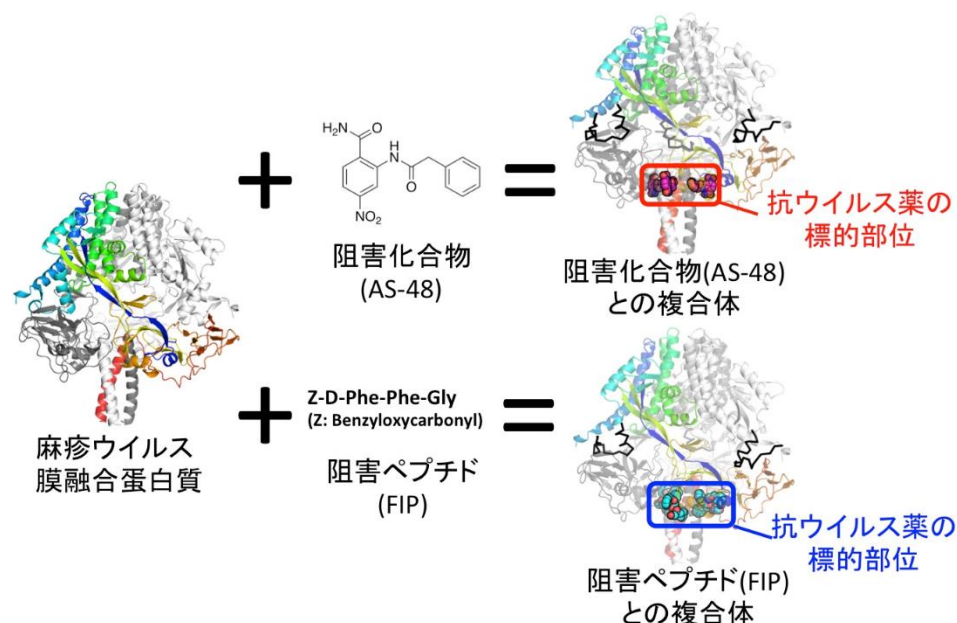
⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

①-1 構造生物学的手法による麻疹ウイルス中枢神経持続感染の治療薬創出を目指した研究

概要 麻疹(はしか)は、いまだに世界中で年間約9万人の死者(2016年度, WHO統計)が出ている、非常に感染力の強いウイルス感染症ある。感染後、数年を経て約1万人に1人の割合で発症する亜急性硬化性全脳炎(SSPE)は極めて予後不良であり、海外ではHIV感染児において麻疹ウイルス感染に関連する致死性の脳炎発症が近年問題になっているが特異的な治療薬は存在しない。本研究では高い感染力と一過性の強い免疫抑制を特徴とし、低頻度ながら難病指定されている致死性の脳炎(亜急性硬化性全脳炎(SSPE))を引き起こすことがある麻疹ウイルスに対し、感染阻害効果を示す阻害剤の作用メカニズムを解明した。(Proceedings of the National Academy of Sciences of USA, March 6, 2018. 115 (10) 2496-2501)

研究成果

- ウイルス学的手法と構造生物学的手法・コンピュータ科学計算・生化学的手法を組み合わせ研究を行い、異なる2つの阻害剤(化合物およびペプチド)がウイルス膜融合蛋白質Fの特定の領域に同じように作用して感染を阻害するメカニズムを解明した。
- 阻害剤とウイルスの膜融合蛋白質Fが結合した状態を原子レベルで可視化することに成功し、異なる2つの阻害剤が共にウイルス膜融合蛋白質Fのヘッド(頭部)とストーク(茎部)の境界領域に結合することで、ウイルス膜融合蛋白質Fの構造変化を阻害することで感染防御効果が発揮されていることが明らかとなった。
- 阻害剤とウイルス膜融合蛋白質Fの詳細な結合様式が明らかになったことで、阻害剤の改良による抗ウイルス薬の開発が加速することが期待される。



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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

①-2 a) ジカウイルス感染症の迅速診断法開発

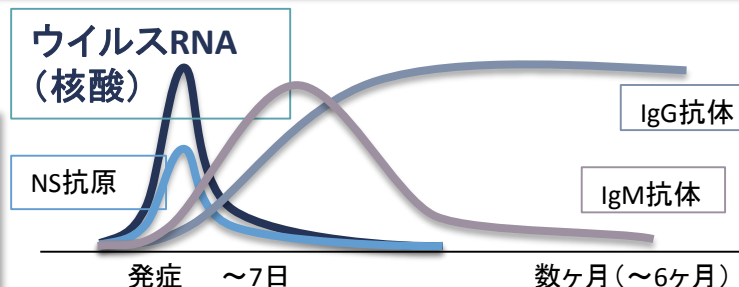
概要

- ・平成27-28年に中南米で流行したジカウイルス感染症は、胎児の小頭症の原因として公衆衛生上の大きな問題となっている。
- ・平成28年2月にWHOの「国際的に懸念される公衆衛生上の緊急事態(PHEIC)」が宣言され、サーベイランス体制の強化、ジカウイルス感染症への治療薬・ワクチン開発等について各国へ協力を求める提言が行われた。
- ・平成30年現在もWHOの重要な病原体(List of Priority Diseases 2017)とされるとともに、ワクチン、診断・治療薬の開発を急ぐべき病原体(2018 annual review of the Blueprint list of priority diseases)として、早急な対策強化が求められている。

研究成果

・平成27年に中南米で流行したジカウイルス感染症について、ウイルスRNAを検出するRT-LAMP法を応用し、従来90分以上要していたジカウイルスRNAの検出を30分以内(陽性の場合10~15分)で判定可能となる簡便で迅速な診断キットを開発。平成29年12月にブラジルでの臨床性能試験を完了し、平成30年1月に薬機法体外診断薬承認申請。

ジカウイルス検出用
診断キットの一部
(等温増幅蛍光検出装置)



ジカ熱の症状 (出典: 国立国際医療研究センター)

WHO 2018 annual review of the Blueprint list of priority diseases

The second annual review occurred 6-7 February, 2018. Experts consider that given their potential to cause a public health emergency and the absence of efficacious drugs and/or vaccines, there is an urgent need for accelerated research and development for*:

- Crimean-Congo haemorrhagic fever (CCHF)
- Ebola virus disease and Marburg virus disease
- Lassa fever
- Middle East respiratory syndrome coronavirus (MERS-CoV) and Severe Acute Respiratory Syndrome (SARS)
- Nipah and henipaviral diseases
- Rift Valley fever (RVF)
- Zika
- Disease X

I (2)基礎研究から実用化へー貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

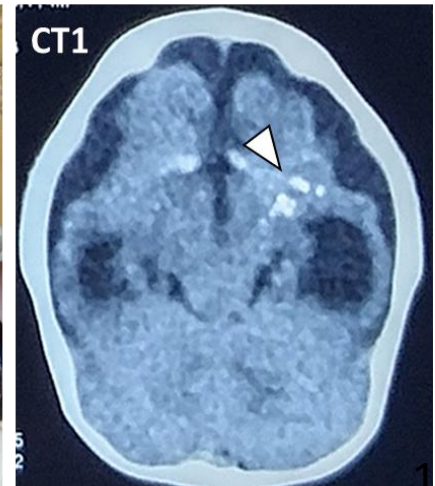
①-2 b) ベトナムにおけるジカ熱の流行とジカウイルス感染に起因する小頭症例を証明

概要

2016年3月にベトナム南部におけるジカウイルス感染症の流行を確認し、10月にはベトナム中央高地のDak Lak 省で見つかった新生児の小頭症例が血清学的診断結果から東南アジアで最初のジカウイルス感染による小頭症であることを証明した。(The Lancet Infectious Diseases, 2017 Aug;17(8):805-806.)

研究成果

- 2016年3月にベトナム南部のホーチミン市とニャチャン市においてジカ熱疑い例が見つかり、J-GRIDベトナム拠点はハノイにある国立衛生疫学研究所(NIHE)と協力して、このジカ熱疑い例の検体からジカウイルス遺伝子を検出し、シーケンス解析によりウイルス遺伝子の塩基配列を決定し、ベトナムで初めてのジカウイルス感染例と確定した。
- 11月上旬には現地の研究機関と協力して、この患児の家族と周辺住民から血清を採取し、WHO協力機関である長崎大学熱帯医学研究所のウイルス部門に送付し、ジカウイルスと交差反応を示す他のフラビウイルス(デングウイルス1,2,3,4型、日本脳炎ウイルス)に対する中和抗体価についても測定した結果、母子と同居家族、及び周辺住民にジカウイルスに対する高い中和抗体価(4倍以上)が確認され、この地域におけるジカ熱の流行とジカウイルス感染による小頭症の関連が証明された。



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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

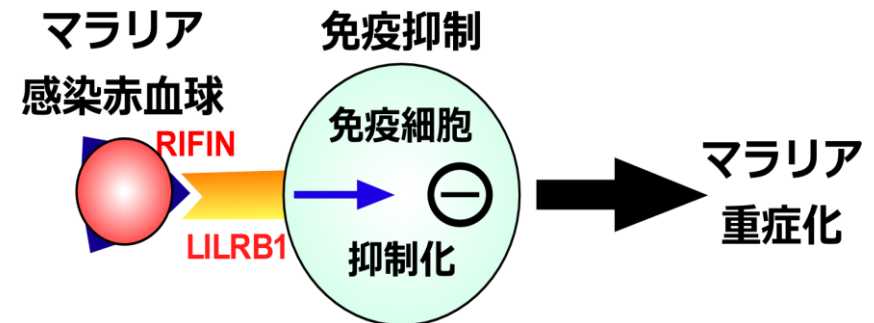
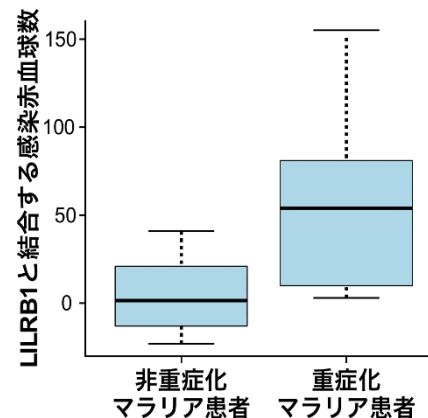
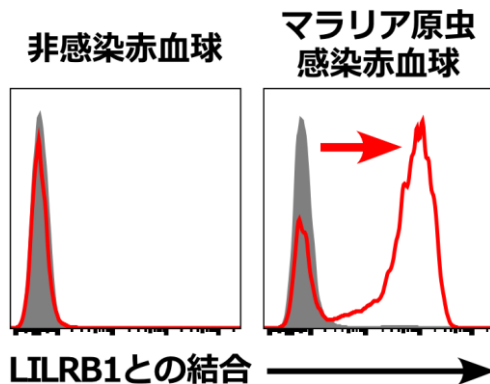
①-3 ペア型レセプターを標的にした新たな感染症制御法の開発

概要

マラリアは世界三大感染症のひとつであり、毎年およそ3億人が罹患し、50万人ほどが死亡すると報告されているが、これまでに有効なワクチンの開発は成功していない。ヒトに感染するマラリア原虫のうち、熱帯熱マラリア原虫が特に重症化を引き起こす。また、マラリアは感染しても十分な免疫が獲得されないため、何度も感染することから、マラリア原虫には我々の免疫システムから逃れるメカニズムが存在すると考えられる。本研究では、ヒトに感染する熱帯熱マラリア原虫が免疫応答を抑えて重症化を引き起こす分子メカニズムを発見した。(Nature. 2017 Dec 7;552(7683):101-105.)

研究成果

- マラリア原虫は動物の体内では主に赤血球に感染し、赤血球内で増殖する。本研究では、熱帯熱マラリア原虫のRIFINというタンパク質が感染した赤血球上に発現し、LILRB1という免疫応答を抑制する受容体に結合することを見出した。
- さらに、RIFINが熱帯熱マラリア原虫に対する免疫応答を抑制し、その結果、重篤な感染症が引き起こされることを発見した。
- 本研究によって、マラリア原虫には抑制性の免疫受容体(抑制化受容体)を利用して免疫応答を抑えるという新たなメカニズムが存在し、その免疫抑制機構がマラリア重症化に関与していることが世界で初めて明らかになった。本研究成果は、今後、予防効果の高いマラリアワクチンや治療薬の開発に大きく貢献することが期待される。



I (2)基礎研究から実用化へー貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

①-4 トキソプラズマ症におけるヒト免疫反応に関する研究

概要

・ トキソプラズマなど病原体に対する免疫反応に重要な因子を同定し、抗病原体分子をバランスよく配置して、免疫反応を効率化していることを見出した。本因子Gate-16(ゲート16)と呼ばれる宿主分子であり、Gate-16がインターフェロンガンマ依存的な抗病原体免疫反応を著しく効率アップすることを発見した。今後Gate-16の活性を人為的に制御することで、トキソプラズマ症やサルモネラの食中毒の発病を食い止める新規の治療・予防戦略を提供できることが期待される(Nat. Immunol., 18, 8:899-910 2017)。

研究成果

- トキソプラズマ原虫やサルモネラなどのような、「病原体含有小胞」を形成する病原体に対し、正常細胞ではインターフェロンによってGBPというタンパク質が誘導され、病原体含有小胞に蓄積することで小胞を破壊する。
- ・ 正常細胞内では抗病原体因子GBPが細胞内にバランス良く配置されていること
 - ・ ゲノム編集法で作製したGate-16欠損細胞ではGBPが細胞内で凝集し不均一な配置となることで、トキソプラズマやサルモネラの病原体含有小胞上への蓄積率が低下し、病原体の効率的な排除が出来ないこと
 - ・ Gate-16欠損マウスでは、GBPの病原体含有小胞への蓄積が低下し、トキソプラズマ感染に劇的に弱くなることを明らかにし、抗病原体分子をバランスよく配置して、免疫反応を効率化していることを見出した。

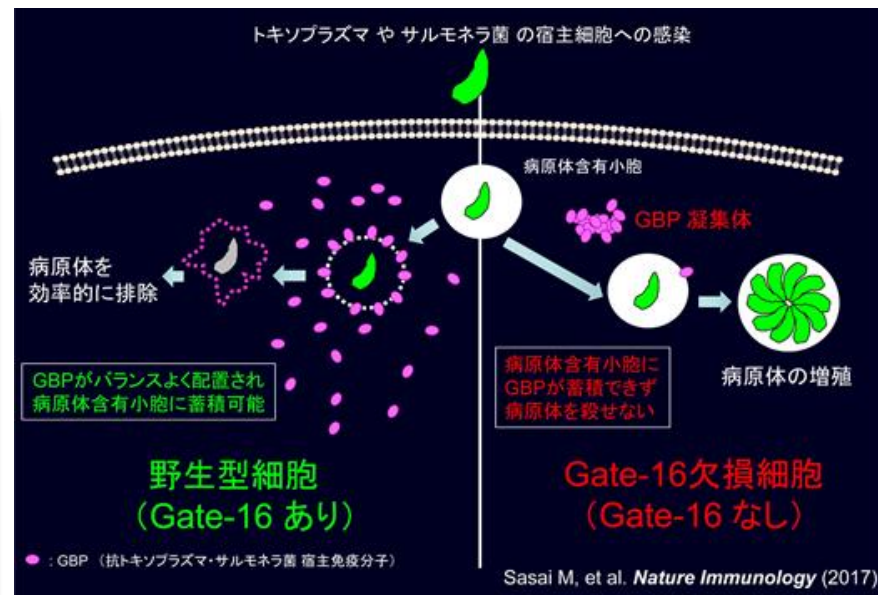


図. 宿主細胞内におけるGate-16の病原体排除反応

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

①-5 ダニ媒介性脳炎ウイルスの新たな発症メカニズムに関する研究

概 要

ダニ媒介性脳炎ウイルス(TBEV)の遺伝子RNAが神経細胞の樹状突起内を神経細胞の樹状突起内のRNA輸送機構を利用して移動し、中枢神経症状の発症に影響していることを解明した。このウイルス遺伝子RNA輸送機構を応用し、樹状突起内RNA輸送の障害による中枢神経疾患を治療するための新規ウイルスベクター開発が期待される(PNAS, 114, 37:9960-9965 2017)。

研究 成果

- ・神経細胞の樹状突起内のTBEVのウイルス遺伝子RNAの輸送には、ウイルス蛋白の設計情報を持たない5'非翻訳領域中の特定の遺伝子RNA配列が重要であることを同定。
- ・同定された領域に変異を導入し、樹状突起内のウイルス遺伝子RNA輸送機能を欠損させたウイルスを作出し、マウスモデルにおいて病原性を評価したところ、中枢神経症状の改善が認められた。
- ・ウイルス遺伝子RNAは神経顆粒の構成蛋白の一つであるFMRP(RNAに結合する多数の蛋白)と相互作用しており、神経顆粒が本来輸送する神経細胞のRNA輸送を妨げているという結果が観察された。

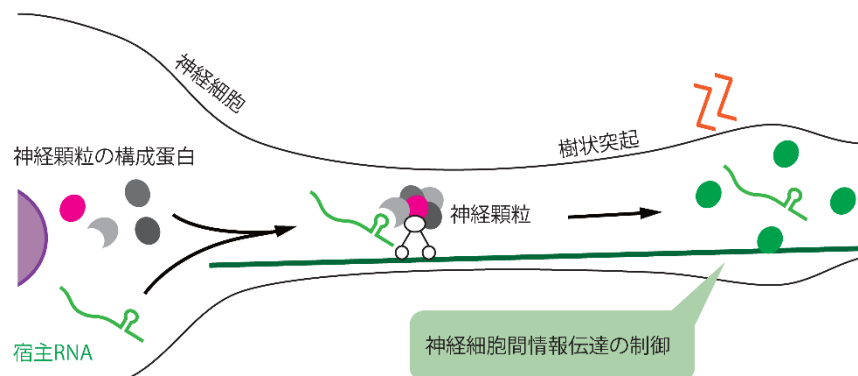


図. 神経顆粒による神経細胞内の宿主RNA輸送

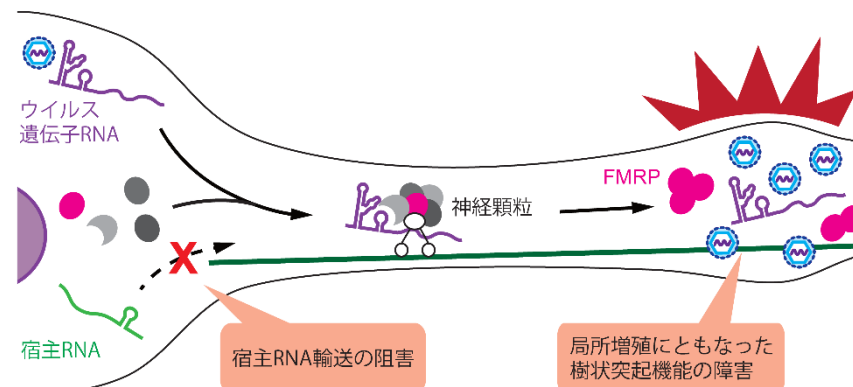


図. ウイルス神経顆粒内増殖および病態モデル

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

①-6 高病原性H7N9鳥インフルエンザウイルスの特性に関する研究

概要

中国の患者から分離された高病原性H7N9鳥インフルエンザウイルスの特性を解明した。本ウイルスが、哺乳類間で飛沫感染すること及び哺乳類に対して致死的な感染を引き起こすことを明らかにした。この研究によって、本ウイルスに由来するインフルエンザ・パンデミックへの対策が大きく進展することが期待される (Cell Host & Microbe, 22, 5:615–626 2017)。

研究成果

- ・ 2013年に出現したH7N9鳥インフルエンザウイルスが2016年後半に高病原性に変異し、さらに人に感染し死に至らしめた。この高病原性H7N9鳥インフルエンザウイルスの性状を解明するため、哺乳類を用いて感染伝播実験を行った。
- ・ 高病原性H7N9鳥インフルエンザウイルスは、哺乳類間で飛沫感染すること、哺乳類に対して致死的な感染を引き起こすことが分かった。
- ・ 性状解析により、高病原性H7N9鳥ウイルスではHA(ヘマグルチニン)構造に、鳥型レセプターとヒト型レセプターの両方を認識するようになるアミノ酸変異があること、哺乳類細胞での増殖効率を高めるウイルスポリメラーゼタンパク質のアミノ酸変異があることが分かった。

図. A型インフルエンザウイルスの模式図

表面のHAが動物細胞の表面にあるレセプターと結合することで感染が開始される

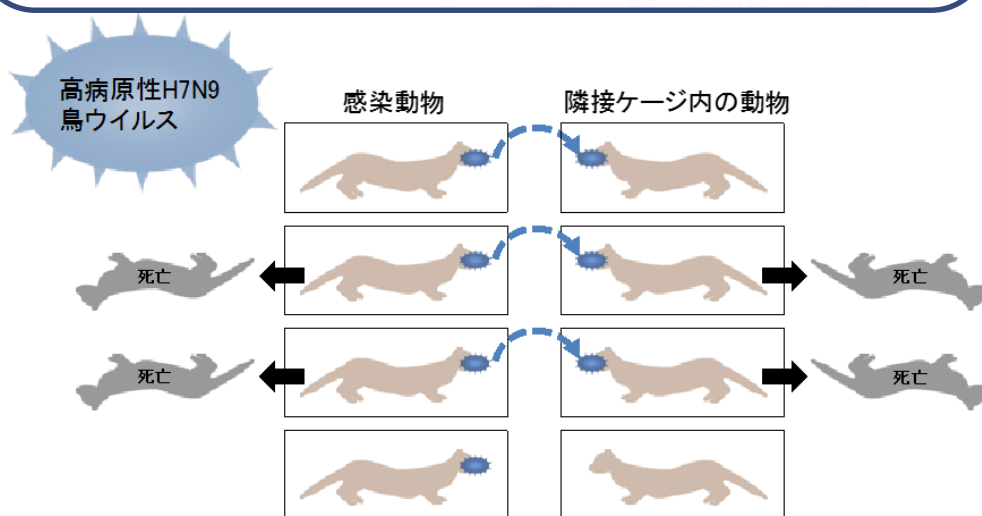
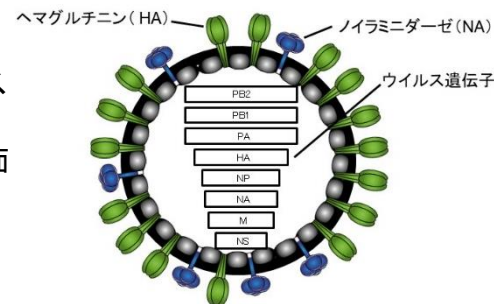


図. フェレットを用いたウイルス感伝播実験

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

①-7 エボラ出血熱の重症化メカニズム解明および予後予測するためのバイオマーカー同定

概要 西アフリカのシエラレオネ共和国において、エボラ患者から採取した血液サンプルを用いて、トランスクリプトーム、メタボロミクス、リピドミクス、プロテオミクスなどのマルチオミックス(各種網羅的)解析を行った。エボラウイルス感染後に、死亡した患者と回復した患者における宿主応答を比較解析したところ、エボラ重症患者(死亡者)の体内で起こる組織障害には、膵酵素や、好中球によって誘起された免疫系の異常反応が関与することが示され、エボラ出血熱の重症化メカニズムの一端が明らかとなった。さらに重症患者において特異的な発現パターンを示す宿主因子が同定され、これらの因子は病気の帰結を評価するバイオマーカーとして有望であることがわかった(Cell Host & Microbe, 22, 5:615–626 2017)。

研究成果

- ・エボラ出血熱の重症化メカニズムを解明するため、2013～2016年の西アフリカの流行の際にエボラ患者から採取した末梢血を用いてマルチオミックス解析を行った。
- ・エボラ重症患者の体内で起こる組織障害には、膵酵素分泌や、好中球によって誘起された免疫系の異常反応が関与する可能性が示された。
- ・エボラ出血熱の重症化を予測するバイオマーカーが同定された。今後のエボラ対策に大きく貢献することが期待される。

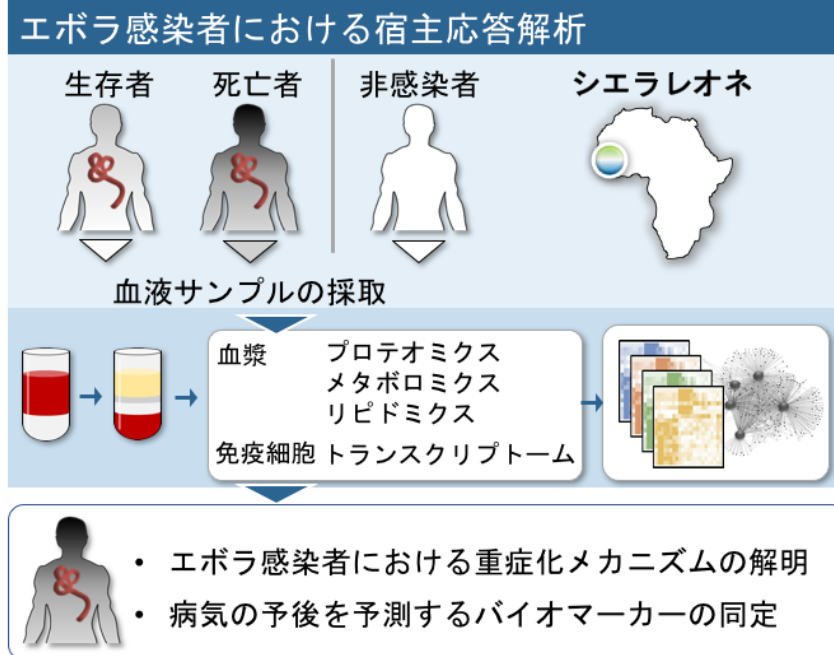


図. エボラ感染者における宿主応答解析

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

②-1/③-1 新事業J-PRIDE立ち上げと若手研究者における日英国際共同研究の可能性を探る英国研究機関訪問

概要

感染症研究革新イニシアティブ(J-PRIDE)は、【拠点形成研究】と【公募研究】の2本の柱で構成され、平成29年度新規事業としてスタートした。公募研究では229提案から若手研究者の提案を優先的に採択、8月に30課題の支援を開始した。強い病原性を持つウイルスやヒトに潜伏・持続感染するウイルス、血液脳関門の破綻を誘導する病原体等によって生じる重症感染症の発症過程と病態を分子レベルで理解し、革新的な医薬品の創出を将来に見据えて、創薬の標的探索につながる基礎からの感染症研究を推進している。若手育成を柱とするJ-PRIDE事業の試みとして、平成29年度12月にAMEDロンドン事務所と感染症研究課が連携し、J-PRIDE研究代表者による日英国際共同研究の検討のため、英国訪問を実施した。

研究成果

・J-PRIDE課題の若手研究者8名とMRC支援を受ける英国研究機関(インペリアルカレッジロンドン、グラスゴー大学、オックスフォード大学)の研究者との間で感染症研究分野の研究協力の可能性を探るためのワークショップを開催し、両国研究者間の研究紹介や情報交換、議論を通し、持続的な研究協力の可能性を見出した。帰国後、国際共同研究の実現の可能性を見出した課題に対して具体的検討のための英国再訪問に追加交付を行うなど、機動的な研究支援を行った。



AMEDの国際的取組との「縦横連携」の計画的推進

ロンドン事務所
開所(平成29年
2月)

英国医学研
究会議(MRC)
との協力覚書
(平成29年3
月)

J-PRIDE研究
開始(平成
29年8月)

日英ワーク
ショップ開催
(平成29年12月)

質の高い国際共同研究
が一気にスタート

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

③-2 薬剤耐性(AMR)対策に資する創薬等の基盤的研究とAMED内外との連携の推進

概要 近年、薬剤耐性(AMR)の脅威が世界的に拡大している一方で、新規の抗菌薬の開発が停滞、このままでは抗菌薬開発における人材や貴重な研究リソースが枯渇するとの懸念が高まっている。そうしたなか、AMEDは、平成28年4月に国が策定した「薬剤耐性(AMR)対策アクションプラン」に基づき、抗菌薬研究開発をはじめとするAMR研究開発を推進している。

平成29年9月28日(木)、日本橋ライフサイエンスハブ会議室(東京)において、「薬剤耐性(AMR)シンポジウムーAMEDが推進する基礎から創薬までの研究開発最前線ー」を開催した。

成果

- 多剤耐性菌に有効な新規抗菌薬シーズ探索において、知財化の可能性を見出し支援した。
- 多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、有効な新規抗結核薬候補物質を発見した。
- 国際的な結核データベースを拡充すると共に、それを用いて多剤耐性結核解析ツールTGS-TBを改良・公開し、国内外で利活用した。
- 結核DNAワクチンについては非臨床試験を完了し医師主導治験の準備を開始した。
- 2017年9月に開催した薬剤耐性(AMR)シンポジウムには、製薬業界、アカデミア、行政機関を中心に約230名が参加。シンポジウム会場、ポスター会場において、参加者間の情報共有、意見交換が活発に行われた。抗菌薬研究開発課題を中心にAMED各事業で支援しているAMR分野の多様な研究開発について発表が行われた。また、J-PRIDEやCiCLEなどAMED新規事業におけるAMRの研究課題、新しい方向性をもった研究について紹介した。
- これらの動きを通じて、AMED内の創薬戦略部はじめ関連部門、厚生労働省、感染症学会、製薬協等外部関連機関との連携が進んだ。
- 2018年2月、世界最大規模の官民連携研究支援機構であるInnovative Medicines Initiatives (IMI)の専門家を迎えてワークショップ(非公開)を開催し、厚生労働省担当官、AMR関連事業のPD/PS/PO及びAMED関係者で、AMR創薬等研究開発の加速のための官民連携に関する情報交換を実施。



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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

<成果目標達成状況>

「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」ジカウイルスについては、ゲノム情報等を元にした迅速診断法(RT-LAMP法)の海外流行地における臨床性能試験を完了し、国内薬事承認申請を行った。「新たなワクチンの開発の状況(例:インフルエンザに対する万能ワクチン等)」エボラウイルスワクチンについて、候補ワクチンの製造を開始し、非臨床試験の開始に向けた準備を行った。インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、非臨床試験を複数の企業と連携し当初計画より前倒しで進め、実用化に向けた非臨床試験の実施と臨床研究の準備が大幅に進捗した。「新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発の状況」多剤耐性菌に有効な新規抗菌薬シーズ探索において、大学と創薬支援戦略部が連携し、企業導出の可能性を検討すると共に、知財部と本件の知財化の可能性を見出し支援した。「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」ポリオの根絶に資する研究の一環として、企業と研究機関等が連携することによって、ワクチン量を低減可能な新規デバイス(マイクロニードル)を利用したポリオ貼るワクチンの開発支援を開始し、本デバイスの試作品を完成した。

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。

・中南米を中心に感染拡大が発生したジカ熱に対するワクチン開発、迅速診断法等の開発を加速するための支援を行った。また世界的に問題となった薬剤耐性菌について、平成28年4月に策定されたAMR対策アクションプランに基づき病原ゲノムデータベース(GenEpid-J)を拡充して薬剤耐性菌・結核菌などの病原体ゲノム情報を収集し利用する体制基盤を確立するとともに、病原体ゲノム分子疫学ツールを活用して薬剤耐性菌の解析を進め、国際的な感染症対策の強化に貢献した。また、SFTSに対する抗ウイルス薬については医師主導型臨床研究を実施、ノロウイルスワクチンについては新たな次世代ノロウイルスワクチンシーズの開発も開始、結核DNAワクチンについては非臨床試験を完了し医師主導試験の準備を開始した。平成28年度中に企業導出を達成した経鼻インフルエンザワクチンについては平成29年度において企業治験(第Ⅱ相)に進んだ。インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、非臨床試験の実施で想定以上に優れたデータが得られ臨床研究の準備が大幅に進捗した。多剤耐性菌に有効な新規抗菌薬シーズ探索において、大学と創薬支援戦略部が連携し、企業導出の可能性を検討すると共に、知財部と本件の知財化の準備を開始した。現在、創薬導出に向けて、AMED知財部と連携し、特許に関する情報、及び企業との共同研究に向けた支援を開始した。これらの感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等を一体的に推進したことは評価できる。

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

評価軸

国内外の病原体に関する全ゲノムデータベースの構築に着手することで、病原体情報をリアルタイムに共有し、感染症の国際的なリスクアセスメントを可能としたか。

病原体ゲノムデータベース(GenEpid-J)への薬剤耐性菌ゲノムデータの拡充を図り、薬剤耐性菌の解析を推進した。感染症国際サーベイランスソフトウェア(WHONET)に対応可能な院内感染対策サーベイランスシステム(JANIS)プログラムを作成するとともに、アジア地域の厚生省と連携を強化するなど本システムの海外展開を推進した。アジア地域を中心とした国内外の多剤耐性結核の菌株、核酸、ゲノム情報を収集し、国際的な結核データベース(GReAT)の拡充を行うとともに、構築した多剤耐性結核解析ツール(TGS-TB)を改良・公開し国内外で利活用した。これらの取組みは、感染症流行時の迅速対応に有効なツールとして利用価値が高く、評価できる。

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か。

麻しんについては排除認定の維持に向けた取組みを引き続き支援。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、平成29年患者(麻しん189例)の疫学・ウイルス遺伝子情報解析より、全例が輸入関連症例であることを明かにした。
ポリオについては、エンテロウイルスD68型(EV-D68)感染症も含めたサーベイランス体制の構築、検査法を含めた広範な試みも含めて取組みを行っている。
腸管出血性大腸菌については、国内サーベイランス体制の強化のため、PCRによる大腸菌血清型(O:H)型別手法の確立を行った。

評価軸

国内の臨床医や若手の感染症研究者の育成を推進するため、感染症研究国際展開戦略プログラム(J-GRID)の海外拠点と国立感染症研究所等で研修プログラムを着実に実施したか。

「新興・再興感染症制御プロジェクト 新興再興事業・J-GRID合同シンポジウム」(平成30年3月開催)をAMEDも主催となって国立感染症研究所において開催し、4大重点課題(薬剤耐性菌、インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症)の研究進捗情報等を集積する場を提供することで、研究者間の情報共有や連携を図り、今後のプロジェクト推進基盤の構築に努めたことは評価できる。

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

評価軸

予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針、ストップ結核ジャパンアクションプラン及び「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」（平成28年4月5日関係閣僚会議決定）等を踏まえ、病原体の薬剤ターゲット部位を同定すること等を通じ、新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を実施したか。

- ジカウイルスワクチン・ジカウイルス迅速診断法開発を進め、中南米を中心に世界的に流行したジカ熱に対し、ワクチンについては一部の非臨床試験を開始、迅速診断法開発についてはブラジルでの臨床性能試験を完了し国内薬事承認申請を行うなど迅速に対策を強化したことは高く評価できる。
- SFTSに対する抗ウイルス薬については医師主導型臨床研究を実施、ノロウイルスワクチンについては新たな次世代ノロウイルスワクチンシーズの開発を開始したことは評価できる。
- 治療困難な多剤耐性結核に対して、結核DNAワクチンの非臨床試験を完了し、医師主導治験の準備を進めたことは高く評価できる。
- コリスチン耐性株を特異的に検出可能な簡便・迅速検査法の開発や、問題となっている種々耐性菌に対する新規抗菌剤の開発を推進したことは、特に薬剤耐性（AMR）対策アクションプランに資する取組みの一環として高く評価できる。
- インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、非臨床試験の実施で想定以上に優れたデータが得られ臨床研究の準備が大幅に進捗したことは高く評価できる。

評価軸

2014年5月に採択されたWHOの結核対策に関する新戦略を受け、2020年までに我が国が低蔓延国入りできるよう、結核に関する研究を推進したか。

- アジア地域を中心とした国内外の多剤耐性結核の菌株、核酸、ゲノム情報を収集し、国際的な結核データベース（GReAT）の拡充を行うとともに、構築した多剤耐性結核解析ツール（TGS-TB）を改良・公開し国内外で利活用したこと、地方自治体や医療機関等の協力・連携を基盤とした結核対策の推進に資する研究開発を推進し、接触者健診の質的改善を目的とした手引き策定に向けた準備、小児結核対策の研修会を実施し、普及啓発、人材育成に寄与する成果を得たこと、さらに、結核対策の質の向上を目的に結核患者・潜在性結核感染症の支援・管理のための教育及びツール開発を行ったこと、AMED創薬支援と連携し、当初計画を上回るスピードで天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を発見したことは高く評価できる。

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

⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>



評価軸

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

- 麻しんや風しんのサーベイランス体制の構築と維持を行った。麻しんについて排除認定の維持に繋がる取組みを行ったことは評価できる。また風しんは輸入事例が多いことを確認し、ポリオについてもEV-D68感染症も含めたサーベイランス体制の構築を行ったことは評価できる。
- PCRによる大腸菌血清型(O:H)型別手法を確立し、腸管出血性大腸菌の国内サーベイランス体制の強化を推進したことは評価できる。

評価軸

高度安全実験施設を中核とした感染症研究拠点を活用する、危険性の高い病原体等の治療法、ワクチン等の研究開発を推進したか。

高度安全実験施設を中核とした感染症研究拠点形成支援を通して、危険性の高い病原体等の治療法、ワクチン等の研究開発に向けて感染症研究のレベルアップを図るとともに、感染症分野の若手人材育成を促進した。

I 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項

(2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

⑨ 疾病に対応した研究＜難病＞

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

⑨疾患に対応した研究<難病>

評定(自己評価)

A

患者の多くが未だ治療がない、もしくは診断さえつけられていない希少・未診断疾患に対する研究開発においては、迅速に研究成果を治療へと結びつけることが重要となる。我が国の先駆け審査指定制度を有効活用することで、①同制度の第一号としての製造販売承認(内転型痙攣性発声障害/チタンブリッジ)を達成した。また、その患者数の少なさを補完する国内外の連携を迅速に進めるため、AMEDが戦略的かつ主体的に関わることで、②未診断疾患イニシアチブ(IRUD)における CIRBによる審査を達成し、432の医療機関が関連する大規模ゲノム観察研究を円滑に遂行することに寄与し、診断困難な 3,416家系の登録と、そのうち 809例の解析結果を半年以内に返却することを可能とし、更に診断から治療やより正確な診断等に結びつけ、世界に向けて情報発信するための研究分野(IRUD Beyond)を開始したことは特筆すべき点である。また、難病研究の情報基盤(以下、「難病プラットフォーム」)やデータシェアリングポリシーの策定・公開等、オープンサイエンスを強力に推進したことも合わせてデータシェアリング等連携へ貢献した。③国際コンソーシアムである IRDiRC の第6回加盟機関総会を東京AMED本部で欧州以外で初めて開催し、新 10か年目標の策定に貢献した。国際共同研究チームで作成したプロトコルによる HTLV-1 関連脊髄症(以下、「HAM」)患者を対象とした医師主導治験の推進等が高く評価される。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ため評価を A とする。

①希少・難治性疾患に関する顕著な成果の創出

- ①-1 医師主導治験を実施し、先駆け審査指定制度によるチタンブリッジを含めて4件の製造販売承認に至った。
- ①-2 新規疾患原因遺伝子変異を同定し、中長期計画の目標を大きく上回る成果をあげた。
- ①-3 国際共同研究チームで作成したプロトコルによる HAM 患者を対象とした医師主導治験を推進した。

②成果創出を支える環境整備や事業運用改善

- ②-1 IRUDにおいて更なる環境整備として全国を網羅する診断ネットワークを 432施設へと拡大し、また、質の高い倫理審査を効率的に実施する目的で審査の中央化(CIRB)を達成した。さらに、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の有機的な連携を推進した。これらの取組みにより、通常の医療体制では診断が困難な症例 9,517例(3,416家系)を登録し、809例の患者で半年以内に解析結果を返却した。
- ②-2 症例情報の国際共有を念頭にIRUDに最適化したシステム(IRUD Exchange)を AMED が整備し、これを通じた情報共有を進め、確定診断の向上等を推進した。
- ②-3 情報基盤構築(難病プラットフォーム)を通じ臨床ゲノム情報統合データベース事業と共通のデータシェアリングポリシーを策定する等、オープンサイエンスの推進を実施した。

③研究者育成、人的交流、国際連携等に資する活動

- ③-1 日本国内での検討のみでは確定診断に至らなかった症例の国際的な情報共有等、研究面での国際協力を推進した。国際希少疾患コンソーシアム(IRDiRC)の第6回加盟機関総会をアジアで初めて東京で開催し、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 の新10か年目標(IRDiRC Goals 2017-2027)の策定等に貢献した。
- ③-2 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、病態解明から新規治療法開発へつなげる取組を強化した。
- ③-3 国際共同研究チームで作成したプロトコルによる HAM 患者を対象とした医師主導治験を推進した。
- ③-4 若手研究者を対象とし、動物実験の信頼性確保、知財戦略、企業導出を想定した非臨床試験等に関する教育講演を実施した。

④ 成果目標達成状況(評価指標)

④-1	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)	4件
④-2	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	開始済
④-3	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)	9件

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

⑨疾患に対応した研究<難病>

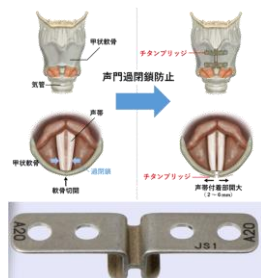
①-1 製造販売承認等(目標 11件以上)に対し
累計 4件の承認を取得した。

①-2 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 5件以上)に対し、累計9件を発見した。

緩徐進行性の
神経・筋疾患患者



内転型痙攣性発声障害



生体信号反応式
運動機能改善装置

甲状軟骨固定用器具
(チタンブリッジ)

SJS及びTENの眼後遺症

リンパ脈管筋腫症

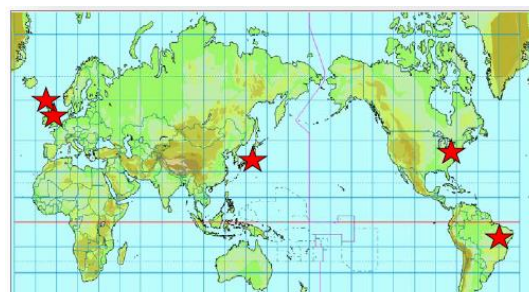


輪部支持型角膜形状
異常眼用コンタクトレンズ

mTOR阻害剤

No	疾患名	原因遺伝子
1	武内-小崎症候群	CDC42
2	小崎Overgrowth症候群	PDGFRB
3	無巨核球性血小板減少症を伴う上尺骨癒合症	EVI1
4	Schimmelpenning-Feuerstein-Mims症候群	BRAF
5	ZTTK症候群	SON
6	Bosma arhinia microphthalmia症候群	SMCDH1
7	Hydranencephaly-like severe form of cortical dysgenesis	TUBA1A
8	Intellectual disability with seizures and hypertonia	PIGG
9	West症候群	WDR45

①-3 国際共同研究チームで作成したプロトコルによるHAM患者を対象
とした医師主導治験を推進した。



世界のHAM研究者らでHAMの臨床試験を推進する
HAM clinical trial study group (HAM-CTSG)を結成

日本	聖マリアンナ医大	(山野嘉久)
英国	York大学	(Dr. F. Martin)
英国	Imperial大学	(Dr. G. Taylor)
米国	NIH	(Dr. S. Jacobson)
ブラジル	Bahiana大学	(Dr. B.G. Castro)

Why international?

- 高いエビデンスレベル
- 国際的な合意形成
- HAM臨床研究グループの促進
- 国際貢献

<世界の背景>

- HAMの治療に関するエビデンスが少ない
- 国際標準の「評価項目」が確立されていない
- 国際的な連携がとれていない

前向き臨床試験による

- 予後予測・治療効果判定因子の決定
- 進行度別のステロイド治療方法の決定
- 国際標準の outcome 評価法の決定

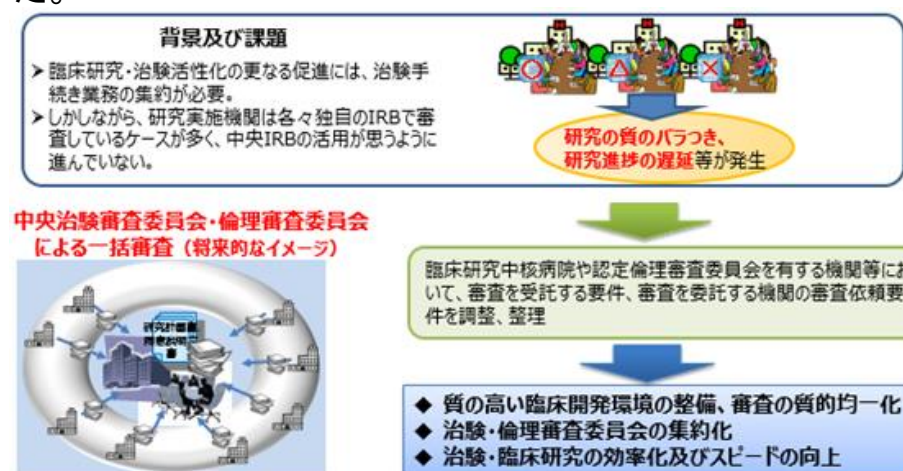
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑨疾患に対応した研究<難病>

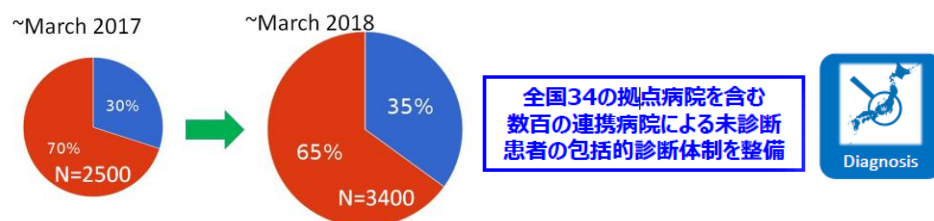
②成果創出を支える環境整備や事業運用改善

②-1 IRUDにおける更なる環境整備

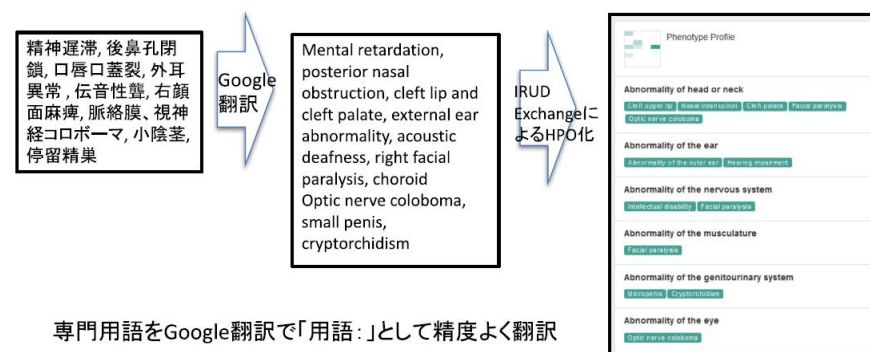
中央倫理審査委員会（CIRB）基盤整備モデル事業と連携の上、IRUDにおける審査の中央化（CIRB）を達成した。



全国を網羅する432の拠点・協力病院によ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、累計で3,416家系（9,517例）以上登録し、809例に解析結果を返却した。診断確定率は、35.3%であった（2017年9月末時点）。



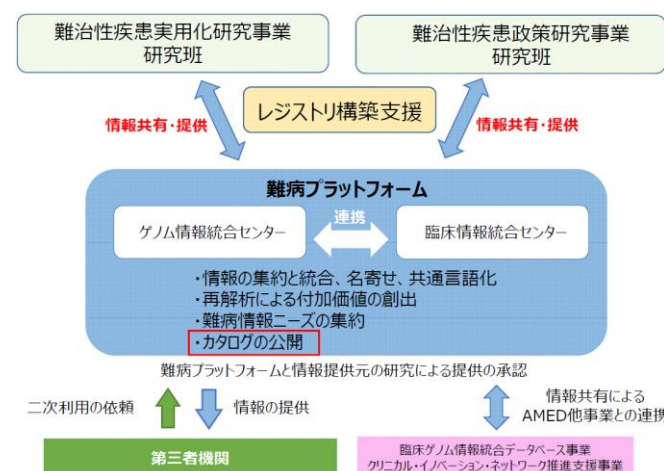
②-2 症例情報の国際共有による確定診断の向上
国際的な症例の情報共有システム（IRUD Exchange）をAMEDが整備し、これを通じた情報共有を進め、確定診断の向上等を推進した。



専門用語をGoogle翻訳で「用語:」として精度よく翻訳

②-3 オープンサイエンスの推進

情報基盤構築（難病プラットフォーム）を通じ臨床ゲノム情報統合データベース事業と共通のデータシェアリングポリシーを策定した。

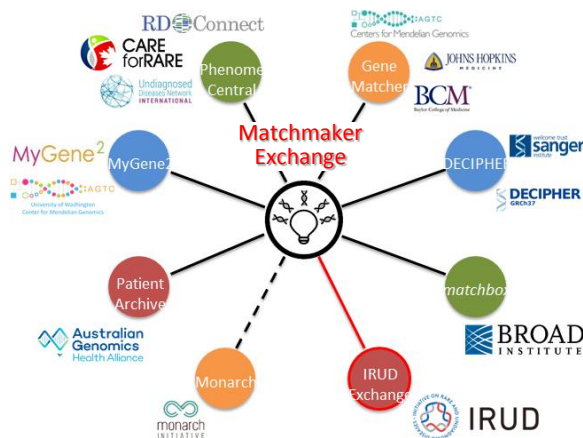


I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

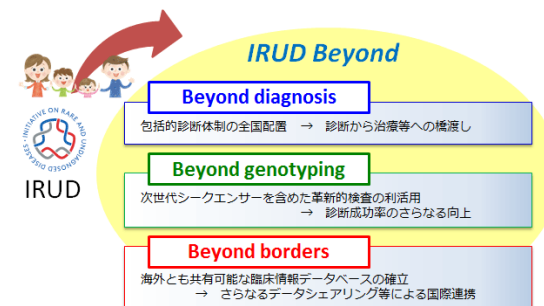
⑨疾患に対応した研究<難病>

③研究者育成、人的交流、国際連携等に資する活動

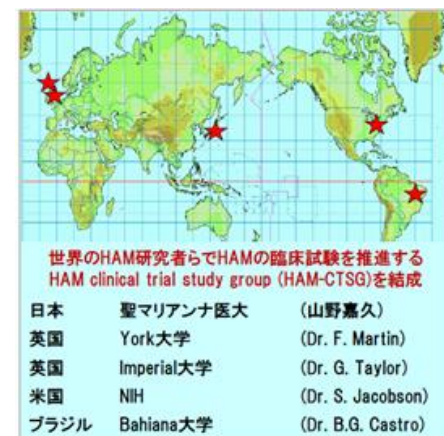
③-1 日本国内での検討のみでは確定診断に至らなかった症例の国際的な情報共有等、研究面での国際協力を推進した。国際希少疾患コンソーシアム (IRDiRC) の第6回加盟機関総会をアジアで初めて東京で開催し、国際的な規範や各国の保健医療政策へ影響を及ぼしうるIRDiRCの新10か年目標 (IRDiRC Goals 2017-2027) の策定等に貢献した。



③-2 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、病態解明から新規治療法開発へつなげる取組を強化した。



③-3 国際共同研究チームで作成したプロトコルによるHAM患者を対象とした医師主導治験を推進した。
(再掲)



IRDiRC Objective 2027

- Goal 1: 既知疾患であるなら、全て希少疾患患者について1年以内に確定診断できるようにする。
- Goal 2: 10年間で1,000の新規薬剤等の薬事承認 (既存治療薬のない疾患にフォーカス)
- Goal 3: 希少疾患患者の診断、治療方法のインパクトを評価する方法を開発する。

③-4 若手研究者を対象とし、研究推進に必要な知識に関する教育講演を実施した。



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

⑨疾患に対応した研究<難病>



<成果目標達成状況> ※ I (2)①～⑨のみ

KPI【2020年までの達成目標】	①.平成30年3月末迄の累積達成状況	②.①のうち、平成29年度の達成状況
新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11件以上達成	SL2 ①－1を参照のこと	
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	HAM患者を対象としたステロイド第Ⅱb相臨床試験(UMIN000023798) Rapid Progressor 8例中2例 Slow Progressor 40例中32例 を登録し予定通り進捗している。 * H30年1月末時点	世界のHAM研究者による臨床試験グループによる国際臨床研究を医師主導治験(治験届出 2016年7月)として実施
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を5件以上達成	SL2 ①－3を参照のこと	

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

⑨疾患に対応した研究<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とともに、未診断疾患に対する全国規模の診断体制を構築するための研究を推進したか。

■ SL2 ①-1、①-2、①-3を参照のこと

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細胞を用いた難病研究での成果を、難治性疾患実用化研究事業が受け皿となる形で実用化への研究が継続されている。

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 健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

評価(自己評価)

A

①異なる4学会が主導する研究をとりまとめ推進したことで、公益性が高く悉皆性のある画像等データベースを構築し、質の高い教師付データの充実が促進された。更に、研究開始時点より、各学会に対して密な相互連携を義務づけ、国立情報学研究所を分担研究者とすることで、より均質性の高いデータ集積システムを構築し、各学会のDB間の情報連携が可能となるような仕様が定まった。これにより、AIによる診断・治療支援のための基盤構築が加速され、世界的競争力を持つ日本発の医療用AI研究開発の速やかな発展に繋がることが期待される。②革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST、PRIME、LEAP)について、独・ライプニッツ協会との連携による国際ワークショップの成果が、平成30年度研究開発目標に対応する革新的先端研究開発支援事業の領域設計に初めて活用された。PSを中心としたマネジメントを行い、PDCAサイクルをまわすとともに、革新的な医療につながることを期待されるシーズも創出された。PSPO会議を実施して、より戦略的かつ効率的な事業運営への移行について合意がなされた。また、LEAP運営の可能性について次年度に向けた選考方法の見直しなどの検討を行った。海外レビューアの導入について先駆けて準備等行い実施した。③成育疾患克服等総合研究事業(BIRTHDAY) および女性の健康の包括的支援実用化研究事業(Wise)について、医療分野研究開発推進計画に追加されたライフステージに応じた健康課題の克服という視点等により、少子化やライフステージを踏まえた研究支援につなげるための取り組みを実施、平成30年度の調整費要求につながった。④糖尿病性網膜症の新規治療薬、iPS再生腎臓、食物アレルギーの新規治療法、エイズ対策及び肝炎対策など、各分野において研究成果を挙げ、産学連携医療イノベーション創出推進プログラム(ACT-M)において薬事承認の取得等、着実に実用化に向けた成果をあげるなど、所期の目標を大きく上まわった。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学会主導の画像DB構築等に関する研究

- 日本消化器内視鏡学会、日本病理学会、日本医学放射線学会及び日本眼科学会をとりまとめ、学会主導データベース(DB)構築の研究を推進したことで、我が国の医療の質の向上・均てん化・診療支援に資する公益性が高く、悉皆性のある画像等DBの構築及び質の高い教師付データの充実が促進された。
- 更に、これらの4学会に対して、研究開始時点から密な相互連携を義務づけ、AMED主体で立ち上げた連携会議で共通する課題を抽出し解決を図るとともに、国立情報学研究所を分担研究者とすることで、より均質性の高いデータ集積システムを構築し、各学会のDB間の情報連携が可能となるような仕様が定まった。
- なお、集積されたデータを効率的かつ有効的に活用できるよう、次世代研究基盤構築に関する研究や、診療・研究目的のAI開発のための基盤整備に関する研究開発を並行して行った。
- これらの取組により、AIによる診断・治療支援のための基盤構築が加速され、世界的競争力を持つ日本発の医療用AI研究開発の速やかな発展に繋がることが期待される。

②革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST、PRIME、LEAP)

- ②-1 独・ライプニッツ協会との連携による国際ワークショップの成果が、平成30年度研究開発目標に対応する革新的先端研究開発支援事業の領域設計に初めて活用された。
- ②-2 業務の効率化をより一層進め、顕著な成果をAMED他事業の応用研究へと主体的に繋げる仕組みを構築すべく、様々な改革を検討した。具体的には、全プログラムのPS、POが一堂に会する全体会議を初めて開催し制度横断的また領域横断的な議論を行い、領域会議を研究者主導で実施することへの変革(研究者へのアウトソーシング)等、より戦略的かつ効率的な事業運営への移行について合意がなされた。LEAP運営の可能性についても、次年度に向けて選考方法の見直しなどの検討を行った。
- ②-3 平成30年度のAMED-CREST新領域において、国際水準のピア・レビューを強化するため、海外レビューア(外国の研究機関に所属する外国人又は日本人の専門家その他これに準ずる者)の導入準備を行った。AMED全体への導入に先駆けた試行であったが、レビューアの探索から依頼までの仕組みを構築し、今後のAMED全体への導入へ繋がる成果・モデルケースとなった。
- ②-4 革新的先端研究開発支援事業における「インパクトの高い事例」

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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業



③成育疾患克服等総合研究事業(BIRTHDAY)、女性の健康の包括的支援実用化研究事業(Wise)

- 成育疾患克服等総合研究事業(BIRTHDAY) および女性の健康の包括的支援実用化研究事業(Wise)について、医療分野研究開発推進計画に追加されたライフステージに応じた健康課題の克服という視点等により、少子化やライフステージを踏まえた研究支援につなげるための取り組みを実施したことにより、「平成30年度の調査費の基本的な考え方」に沿った骨太の取り組みの一項目となり、平成30年度の調整費要求につながった。
- 成育疾患克服等総合研究事業は、小児・周産期の疾患に関する病態解明、新たな予防・診断・治療・保健指導の方法の開発や標準化等といった研究を行う等、実用化を目指した研究を実施した。女性の健康の包括的支援実用化研究事業では、女性がより良い生涯を送るために必要な健康を提供できるような社会創成を目的とし、女性の生涯を通じた健康や疾患について、病態の解明と予防および治療に向けた研究開発とその実用化を支援した。

④その他事業における主な研究成果

- 糖尿病などの生活習慣病、脳卒中を含む循環器系疾患、呼吸器系疾患、筋・骨・関節疾患、感覚器系疾患、泌尿器系疾患等の多岐にわたる疾患等に係る研究
- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、糖尿病性網膜症の病態メカニズムを解析し、マクロファージ由来シグナル分子に着目した創薬シーズを同定した。
- 腎疾患実用化研究事業では、ヒト由来iPS細胞による遺伝子導入ブタを用いた再生腎臓の製造技術基盤を確立した。
- 免疫アレルギー疾患等実用化研究事業では、アトピー性皮膚炎を有する乳児を対象とした臨床試験を実施し、鶏卵アレルギーに対する経口免疫療法の有効性にかかるエビデンスを確立した。

■ エイズ及び肝炎対策に資する研究

- エイズ事業では、抗体誘導型ワクチンに関する研究が著しく進捗した。新たなターゲットに作用する抗HIV薬のシーズも複数見いだされ、また、根治療法を目指した基盤研究が推進された。一化合物について企業導出を図っている。
- 肝炎事業では、HEVの動向調査やHBVの再活性化の実態解明により、ガイドラインに供する知見を得た。また、肝再生を目指し、Muse細胞などの多能性細胞を用いた基盤研究が推進された。肝炎ウイルス治療薬に関して、複数のスクリーニング系の開発やシーズの同定を行った。

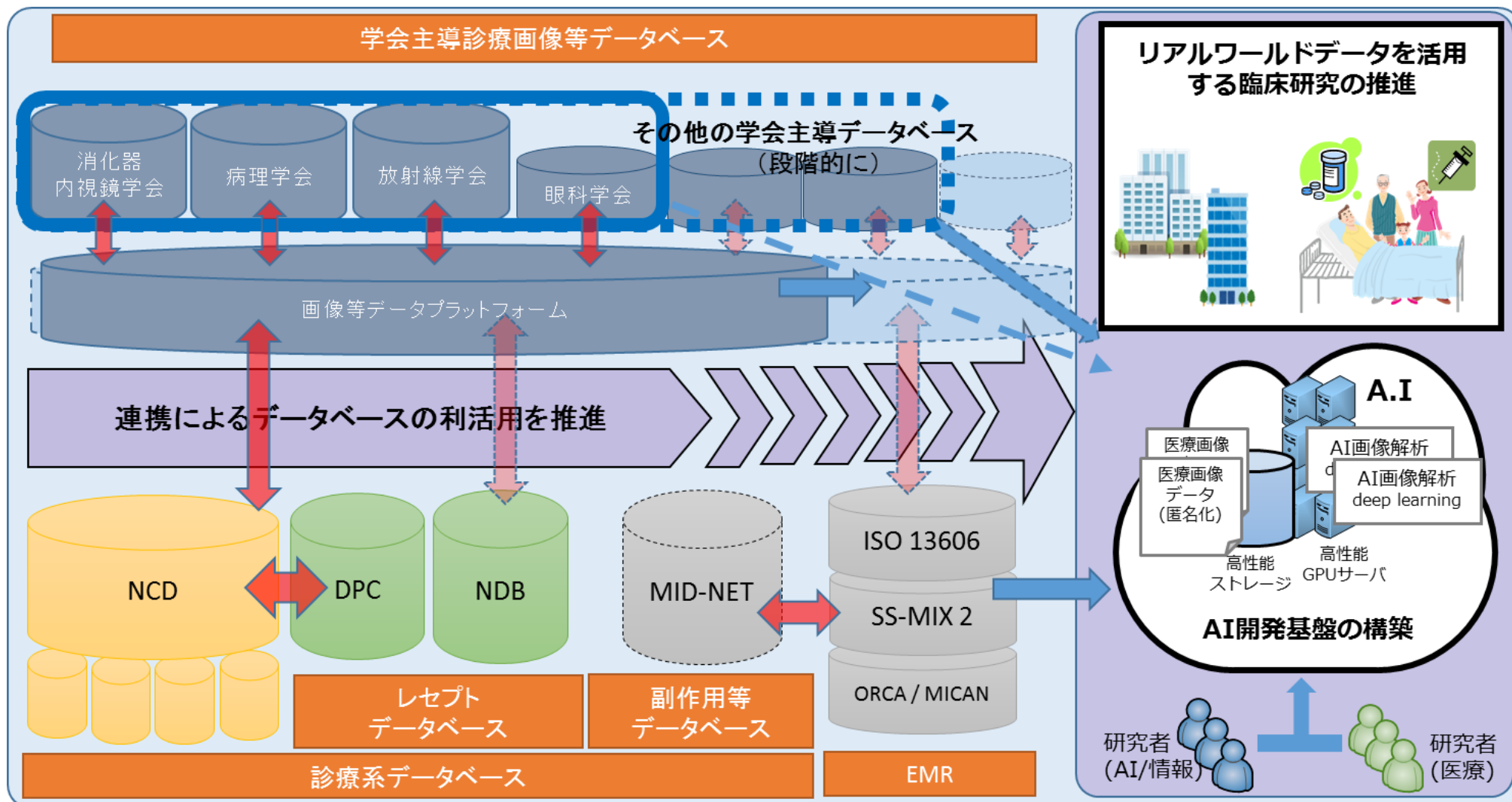
■ 産学連携医療イノベーション創出推進プログラム(ACT-M)、研究成果最適展開支援プログラム(A-STEP)

- 機能性タンパク質シルクエラスチンを用いた新規医療材料の開発に向け、平成30年2月より医師主導治験を開始した。(ACT-M)
- 骨の無機成分(低結晶性炭酸アパタイト)と同組成の人工骨を開発し、平成29年12月14日に薬事承認された。(A-STEP)

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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

- ①学会主導の画像データベース構築等に関する研究
 <臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業>



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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

②革新的先端研究開発支援事業(AMED-CREST、PRIME)

②-1 独・ライプニッツ協会との連携による国際ワークショップと革新的先端研究開発支援事業の連携、領域設計への活用

(I (1)⑥国際戦略の推進 ④-1 を再掲)

- 平成28年度に続き、ライプニッツ協会との合同ワークショップ「疾患・老化の免疫制御」を開催(平成29年9月)。免疫系による直接的、間接的な神経系の制御、老化の制御、健康な老化や疾患防御への影響を議論。
- 2度のワークショップの成果は、平成30年度研究開発目標に対応する革新的先端研究開発支援事業の領域設計に初めて活用された。



(日本側チェア)
京都大学 医学部
本庶 佑 教授



(ドイツ側チェア)
German Rheumatism Research
Centre Berlin (DRFZ)
アンドレアス・ラドブリッチ 教授

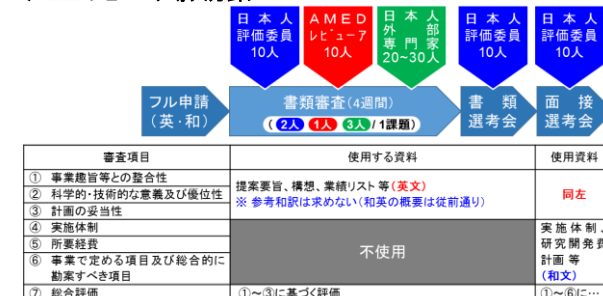
②-2 業務の効率化をより一層進め、研究企画課で実施している基礎研究事業で創出された顕著な成果をAMED他事業の応用研究へと主体的に繋げる仕組みを構築すべく、様々な改革を検討した。

具体的には、AMED-CREST、PRIME、LEAPのPS、POが一堂に会する全体会議を初めて開催し制度横断的また領域横断的な議論を行い、領域会議を研究者主導で実施することへの変革(研究者へのアウトソーシング)等、より戦略的かつ効率的な事業運営への移行について合意がなされた。

また、他事業を巻き込み緊密な連携構築を図りながら推進するLEAP運営の可能性についても、次年度に向けて選考方法の見直しなどの検討を行った。

②-3 平成30年度のAMED-CREST新領域において、国際水準のピア・レビューを強化するため、海外レビュー(外国の研究機関に所属する外国人又は日本人の専門家その他これに準ずる者)の導入準備を行った。AMED全体への導入に先駆けた試行であったが、レビューの探索から依頼までの仕組みを構築し、今後のAMED全体への導入へ繋がる成果・モデルケースとなった。

< AMEDレビュー導入方針 >



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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業



②革新的先端研究開発支援事業 (AMED-CREST、PRIME)

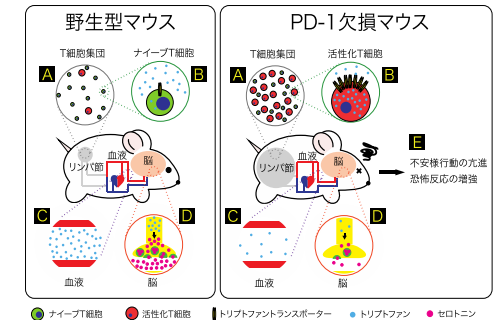
②-4 革新的先端研究開発支援事業における「インパクトの高い事例」

免疫活性化を起因とする不安・恐怖亢進メカニズムの解明 (2014～ CREST・AMED-CREST)

【シドニア・ファガラサン 採択時～現在:理化学研究所統合生命医科学研究センター チームリーダー】

(成果の概要・インパクト)

- ・T細胞は諸疾患で活性化されると細胞内代謝を変化させるが、持続的な免疫細胞の活性化による体全体の代謝変化や、免疫系・神経系の相互作用については多くの謎。
- ・慢性免疫活性化モデルであるマウスにおいて、脳内の神経伝達物質のセロトニンやドーパミンが減少するメカニズムを発見。
- ・免疫系の異常に基づく精神疾患の発症原因が解明されることが期待。
- ・本成果は2017年10月に「Nature Immunology」に掲載。



免疫活性化を起因とする不安・恐怖亢進メカニズム

肥満症の治療標的として期待される「褐色脂肪組織」の新規制御因子を同定 (2013～CREST・AMED-CREST)

【山内 敏正 採択時～現在:東京大学医学部附属病院 准教授】

(成果の概要・インパクト)

- ・肥満症の治療薬として、エネルギーの摂取や吸収を抑制する薬剤が開発されているが、副作用等の懸念から十分には活用されていない。
- ・熱産生を介してエネルギーを消費する褐色脂肪組織の新規主要制御因子 NFIAの同定に成功。
- ・エネルギーの貯蔵を担う白色脂肪細胞においても、NFIAの導入により褐色脂肪の遺伝子活性化。
- ・「エネルギー摂取の抑制」ではなく「エネルギー消費の促進」に基づく肥満症の新しい治療が期待。
- ・本成果は2017年8月に「Nature Cell Biology」に掲載。



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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業



②革新的先端研究開発支援事業 (AMED-CREST、PRIME)

②-4 革新的先端研究開発支援事業における「インパクトの高い事例」

脂質分子リゾホスファチジン酸 (LPA) を受容する膜受容体の構造を解明

【濡木 理 採択時～現在: 東京大学大学院理学系研究科 教授】(2011～2016 CREST・AMED-CREST)

【青木 淳賢 採択時～現在: 東北大学大学院薬学研究科 教授】(2013～CREST・AMED-CREST・LEAP)

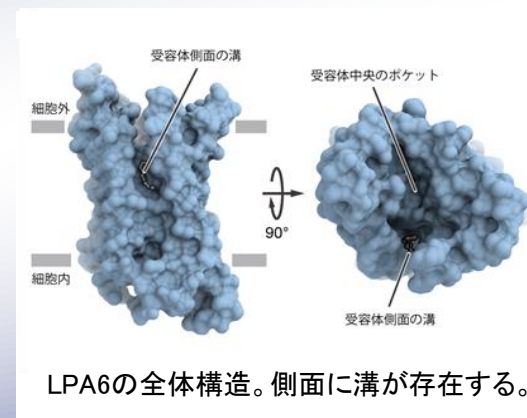
(成果の概要・インパクト)

・生体内で情報伝達物質として機能する脂質分子「リゾホスファチジン酸 (LPA)」の受容体であるLPA6の立体構造を解明。

・LPA6の立体構造と生化学的な実験に基づき、LPA6がLPA分子を認識する仕組みを解明。

・LPA6が毛髪形成や血管形成に関与していることから、これらの経路を標的とする薬剤の合理的な設計が可能となることが期待。

・本成果は2017年8月に「Nature」に掲載。



カフェインとその代謝産物がパーキンソン病診断のバイオマーカーになる (2014～CREST・AMED-CREST)

【服部 信孝 採択時～現在: 順天堂大学大学院医学研究科 教授】

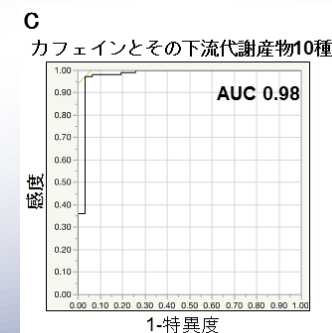
(成果の概要・インパクト)

・パーキンソン病はわが国で2番目に多い神経変性疾患であり、できるだけ早期にその予兆を見つけ、治療介入する「先制医療」が重要。

・パーキンソン病患者(軽症～重症)の血中のカフェイン・カフェイン代謝産物9種の低下を発見。

・パーキンソン病の診断精度向上に寄与するとともに、体内への吸収方法を改善したカフェイン投与による予防や治療法の開発が期待。

・本成果は2018年1月に「Neurology」に掲載。



カフェイン・その代謝産物濃度を用いたパーキンソン病診断

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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

②革新的先端研究開発支援事業(LEAP)

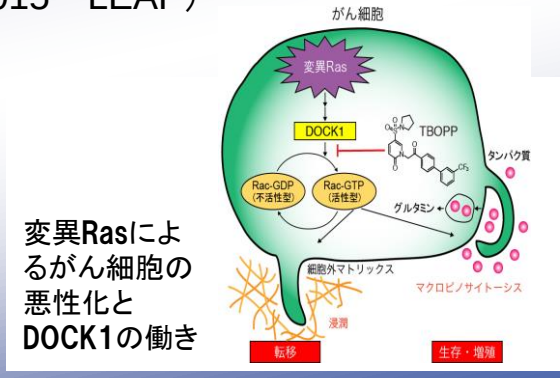
②-4 革新的先端研究開発支援事業における「インパクトの高い事例」

がん細胞の生存・転移に重要なタンパク質を狙い撃ちする化合物を開発(2015~LEAP)

【福井 宣規 採択時~現在:九州大学生体防御医学研究所 主幹教授】

(成果の概要・インパクト)

- ・Ras遺伝子の異常(変異)は、膵臓がんや大腸がん等、がん全体の3分の1に及ぶ。
- ・Ras遺伝子を介したがんの悪性化に、DOCK1というタンパク質が重要な役割を演じていることを発見し、DOCK1の選択的阻害剤(TBOPP)の開発に成功。
- ・TBOPPは変異Rasを有するがんを治療するための新たな創薬リードになることが期待。
- ・本成果は2017年5月に「Cell Reports」に掲載。

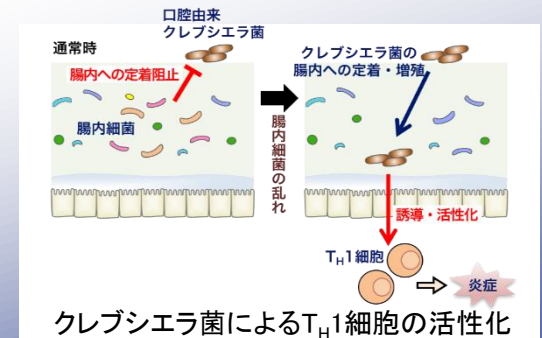


腸管への口腔常在菌の異所性定着による免疫の過剰活性化メカニズム(2012~CREST・AMED-CREST・LEAP)

【本田 賢也 採択時~現在:慶應義塾大学医学部 教授・理化学研究所生命医科学研究センター チームリーダー】

(成果の概要・インパクト)

- ・腸内に存在する様々な細菌種の変動が、炎症性腸疾患等の発症に関与していることが示唆されているが、腸内細菌叢の乱れによる疾患発症メカニズムについては不明。
- ・口腔に存在するクレブシエラ菌が腸管内に定着することで、 T_H1 細胞と呼ばれる免疫細胞の過剰な活性化を引き起こし、炎症性腸疾患(クローン病や潰瘍性大腸炎)などの発症に関与する可能性を示す。
- ・細菌を標的とした炎症性疾患の新たな予防法や治療薬、診断薬の開発が期待。
- ・本成果については、企業が独占実施権を取得し、開発を進めている。
- ・本成果は2017年10月に「Science」に掲載。



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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

③成育疾患克服等総合研究事業 (BIRTHDAY)

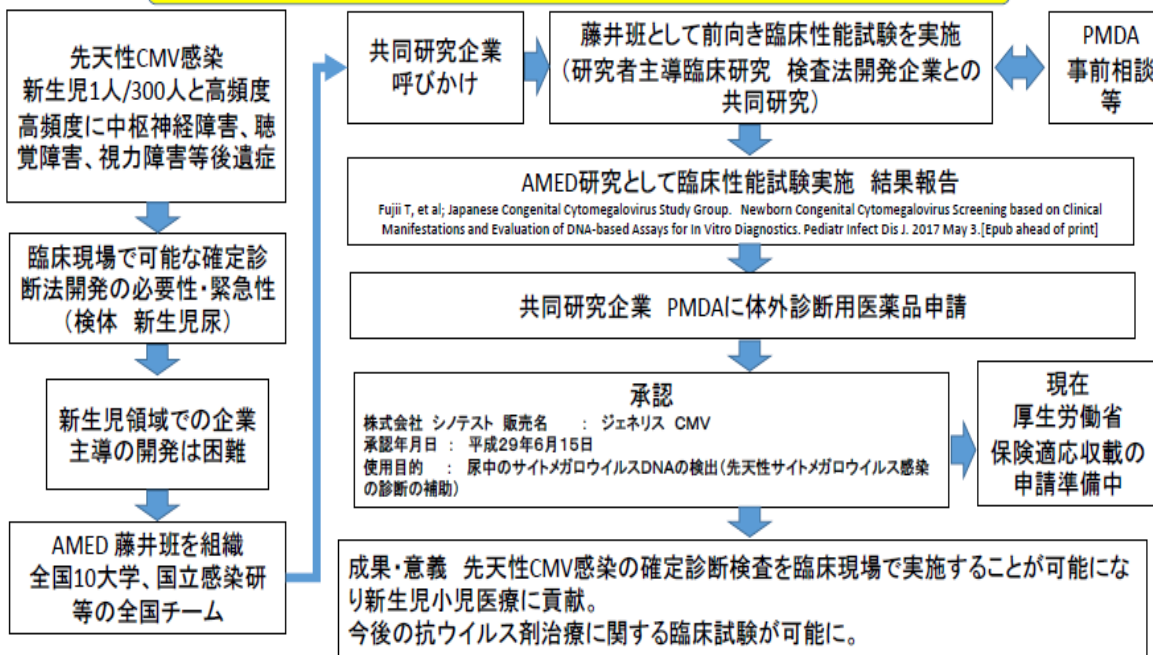
新生児サイトメガロウイルス診断法（尿中核酸検出法）の開発 （2017年6月 製造承認 2018年1月 薬事承認）



➤日本では、300人に1人（全国で3～4千人/年間）の新生児がサイトメガロウイルス（CMV）に先天感染しており、そのうち約3割に聴覚障害、視力障害、精神遅滞等の神経学的後遺症など、重要な健康問題が生じる。また、出生時に神経学的症状が無くても、後に発達障害や難聴等が明らかとなる場合もあり、母体への感染予防と同時に、生まれた児への早期診断方法の開発が求められていた。

➤リアルタイムPCR法等による尿中のCMV検出による先天性感染の確定診断を目的とした核酸検査技術の臨床開発を実施し、体外診断用医薬品として申請、平成29年6月に製造承認。平成30年1月に体外診断薬としての承認および保険適応の承認を受けた。

先天性サイトメガロウイルス(CMV)感染診断技術開発（2017年6月 製造承認済）



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

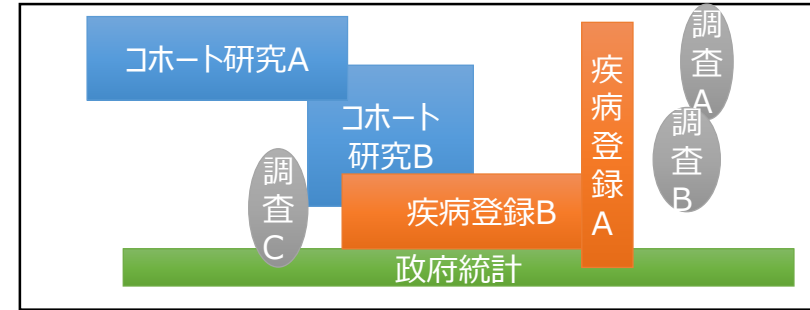
⑩健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

③成育疾患克服等総合研究事業 (BIRTHDAY)

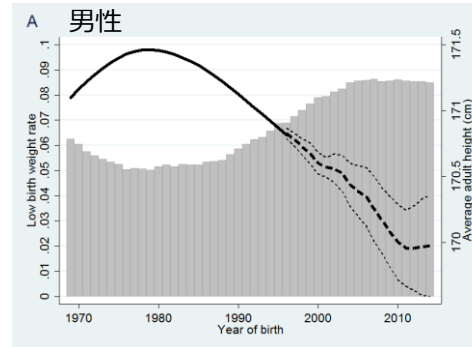
コホート間および疾病登録データ有効利用

様々なエビデンスを報告 (学校保健データへのアクセスやコホート間連携によるRecord Linkage, Data Linkage, Probabilistic Linkage)

**成果例：人口動態統計 (集計) と研究情報のリンケージ
出生情報と成人身長推移の関連**



成人身長が1970年生まれ以降低下しており、その低下は低出生体重児増加と強く相関しており因果関係を示唆することを報告。



* p<0.05 ** p<0.01 ***p<0.001	成人期平均身長への影響(95%CI) (mm)	
	男性	女性
低出生体重児率 (+1%あたり)	-2.6 (-2.9, -2.3)...	-1.5 (-2.1, -1.0)...
初産率 (+1%あたり)	-0.1 (-0.2, 0.0)•	0.1 (0.0, 0.2)•
多胎率 (+1%あたり)	3.2 (1.7, 4.8)...	1.1 (-0.6, 2.8)
十代妊娠率 (+1%あたり)	0.4 (-0.5, 1.3)	-0.9 (-2.1, 0.3)
高齢妊娠率 (+1%あたり)	-0.3 (-0.5, -0.1)...	0.0 (-0.3, 0.2)
一人あたりGDP (100万あたり)	-0.5 (-0.9, -0.0)•	0.4 (-0.0, 0.7)

J Epidemiology Community Health 2017 Oct;71(10):1014-18.

分類	テーマ	調査名	調査実施主体
データベース・サバイランス	疾患全般	レセプト・DPCデータ	厚生労働省
	疾患全般	小児慢性特定疾患登録事業	厚生労働省
	疾患全般	予防医学事業中央会 データベース	予防医学事業中央会
	妊娠・周産期	新生児マス・スクリーニング	厚生労働省
	妊娠・周産期	不育症臨床データベース	厚生労働省
	妊娠・周産期	新生児聴覚スクリーニング	厚生労働省
	妊娠・周産期	周産期登録データベース	日本産婦人科学会
	妊娠・周産期	周産期母子医療センターネットワーク	新生児臨床研究ネットワーク
	先天奇形	先天異常データベース	日本産婦人科医会
	新生物	全国・都道府県がん登録	国立がん研究センター
疫学調査	泌尿器	小児腎不全のデータベース	小児腎臓学会
	感染症	結核登録者情報調査・感染症発生動向調査	厚生労働省
	事故	学校事故事例検索データベース	日本スポーツ振興センター
	死亡	日本版死亡データベース	国立社会保障・人口問題研究所
	泌尿器	尿路結石全国疫学調査	日本泌尿器科学会
	呼吸器	アレルギー疾患に関する児童施設調査 (東京都)	東京都
	川崎病	川崎病全国調査	日本川崎病学会
	精神・行動障害	浜松出生コホート研究 (HBC Study)	浜松医科大学
	健康・生活	エコチル・エコチルパイロット調査	環境省
	健康・生活	北海道スタディ	北海道大学
政府統計	健康・生活	富山スタディ (出生コホート)	富山大学
	健康・生活	三世代コホート調査	東北メディカル・メガバンク
	健康・生活	地域子ども長期健康調査	東北メディカル・メガバンク
	健康・生活	子供の生活実態調査	東京都
	性行動	男女の生活と意識に関する調査	日本家族計画協会研究センター
	運動	子どものからだの調査	子どものからだと心・連絡会議
	疾患全般	人口動態統計	厚生労働省

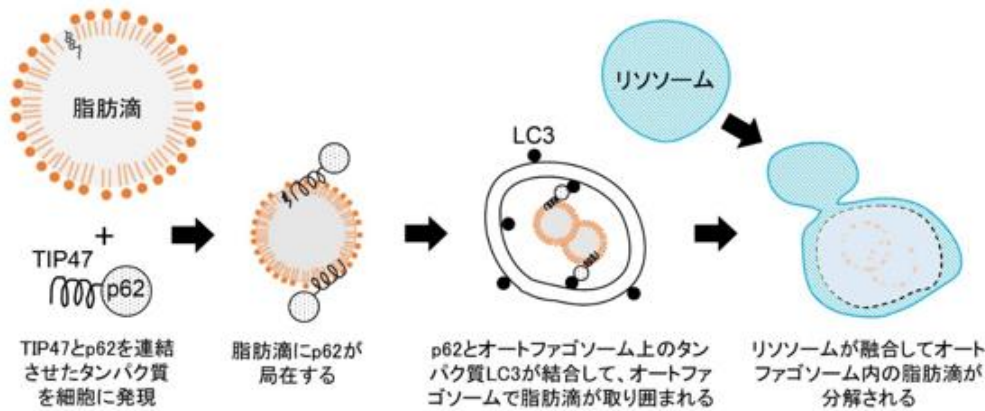
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑩健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

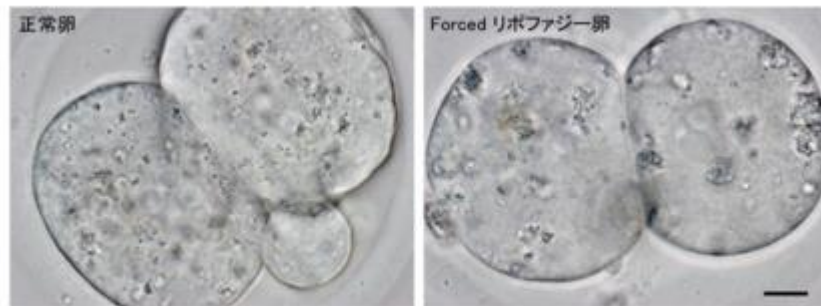
③成育疾患克服等総合研究事業 (BIRTHDAY)

受精卵の発育には脂肪が必要

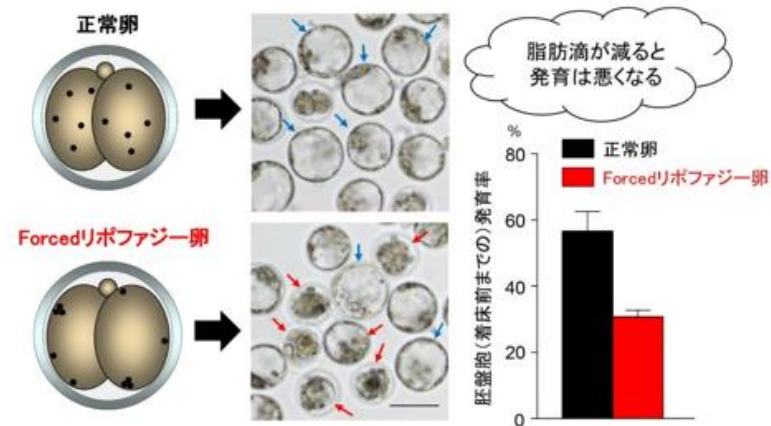
—ほ乳動物の胚発生における脂肪滴の役割を説明—



オートファジー受容体(p62)を用いた脂肪滴の選択的分解



Forced リポファジー卵の脂肪滴の変化



脂肪滴が減ると着床するまでの胚発育率が低下する

- 細胞内の脂肪滴をオートファジーによって選択的に分解するシステムを構築した。これを用いて脂肪滴含量を低下させた受精卵は、その後の胚発育が不良になったことから、卵細胞質に存在する脂肪滴は着床するまでの胚発生に必要であることを世界で初めて証明した。

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

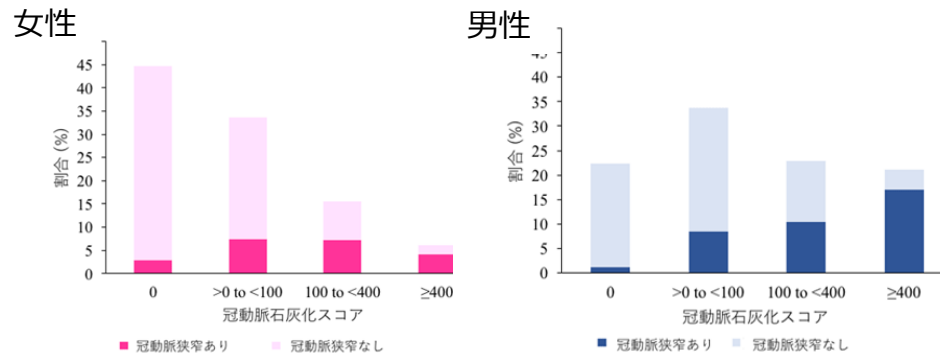
⑩健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

③女性の健康の包括的支援実用化研究事業(Wise)

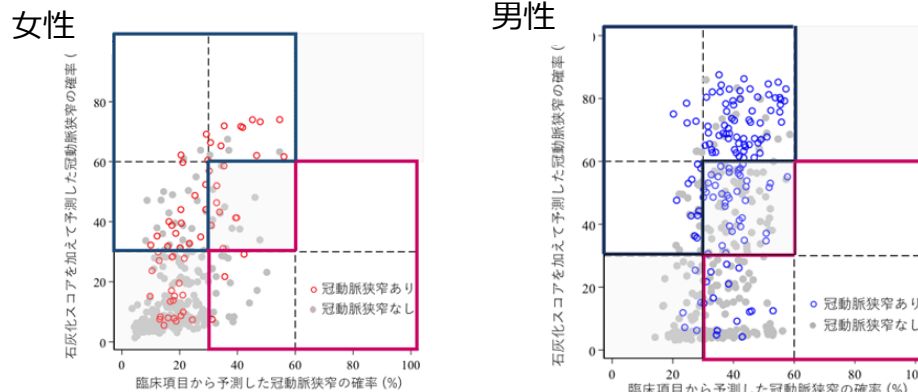
冠動脈疾患が疑われる場合のCT検査の意義には性差を認める —なでしこ研究—

「女性の冠動脈疾患診断およびリスク層別化における、冠動脈CTの多面的解剖学的指標および新規機能的指標の意義と費用効果分析」

冠動脈切開化スコア程度の差



冠動脈狭窄予測能の性差



平成30年2月15日プレスリリース

- 冠動脈疾患を発症した場合、女性は男性よりも重篤になるとされる。このため、性差が心疾患の発症・進行・予後に与える影響を多角的かつ包括的に理解することが今後の医療の個別化、効率化のために重要。
- 女性の冠動脈狭窄をより正確に予測するためには、臨床項目と冠動脈CT検査による冠動脈石灰化スコアに加え、より精度の高くなる指標を加えて総合的に判断することが必要。

Heart. 2018 Jan 13 Epub

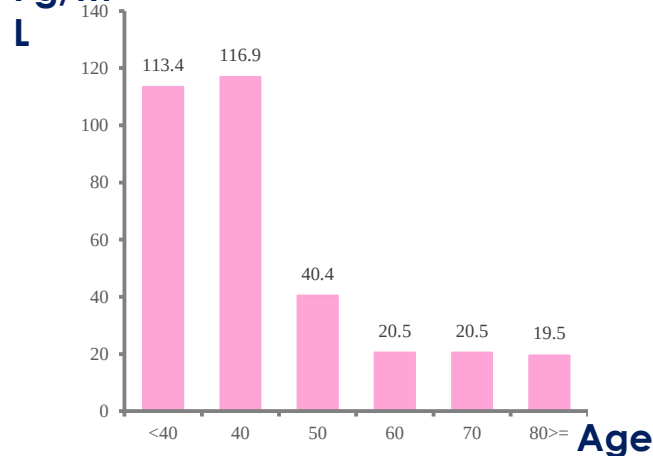
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑩健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

③女性の健康の包括的支援実用化研究事業(Wise)

エストロゲン低下に伴う骨粗鬆症の病態解明と予防、治療に関する研究

Pg/mL 血清E2値の年代別平均値(女性)

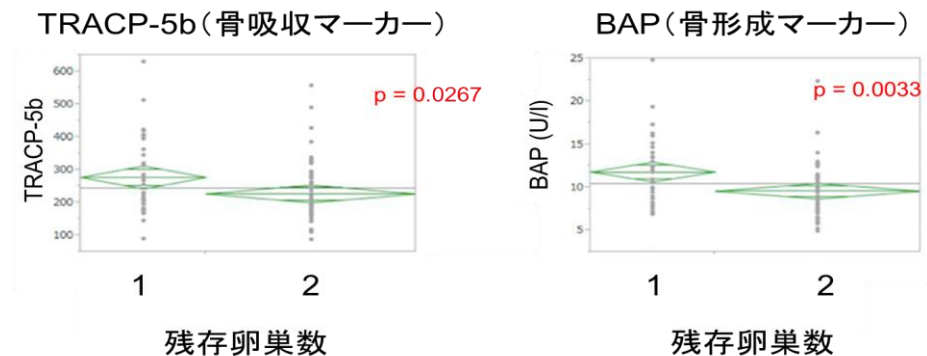


血清E2値と骨粗鬆症との関連

女性	オッズ比 (95% 信頼区間)	p値
骨粗鬆症(腰椎 or 大腿骨頸部)		
E2, +1 pg/mL	0. 972 (0.950-0.995)	0.017

ロジスティック回帰分析によりベースライン調査時の年齢、体格、地域を補正

残存卵巣数が少ないと骨代謝回転は亢進する



- 女性のライフステージごとのエストロゲン低下と骨粗鬆症との関連の解明を目的として、地域在住女性の血清E2値の年齢別分布を解明。
- 子宮内膜症女性のFSH、E2、抗ミュラー管ホルモン、骨代謝マーカーと骨密度との関連を明らかにした。

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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

③成育疾患克服等総合研究事業 (BIRTHDAY)・女性の健康の包括的支援実用化研究事業 (Wise)

少子高齢化社会において、特に、少子化については、平成27年に新たに策定された少子化社会対策大綱において、少子化が社会経済の根幹を揺るがす危機的状況であると示されていた。また、医療分野研究開発推進計画においては、平成29年に、ライフステージに応じた健康課題の克服という視点が示された。

これらの課題解決のため、成育疾患克服等総合研究事業 (BIRTHDAY) と女性の健康の包括的支援実用化研究事業 (Wise) とが一体となり、少子化問題を解決する研究として今支援すべき分野は何か、ライフステージを考えて連携が必要な分野は何かを考え、以下の取り組みを実施した。

少子化・ライフステージに応じた健康課題の克服を見据えた課題のアイデア出しと意識共有のために、PSPO、AMED、厚労省（国からの視点）、外部有識者（ベーシックサイエンス・疫学の視点）を会した以下の会議を実施

- 4月24日 成育疾患克服等総合研究事業PSPO会議 参加者数：PSPO6名+AMED+厚労省母子保健課
- 4月28日 女性の健康の包括的支援実用化研究事業PSPO会議 参加者数：PSPO3名+AMED+厚労省健康局健康課
- 9月 4日 思春期および若年女性の健康・疾患課題克服に向けた合同PSPO会議 参加者数：PSPO,有識者,AMED,厚労省母子保健課,健康課 36名
- 12月15日 AMEDプロジェクト連携シンポジウム2017
小児・AYA世代の心身の健康と医療を産官学の立場から考える (AMED臨床研究基盤研究事業部主催)
参加者数 120名 (演者15名,PDPSPO25名,省庁13名,AMED事業関係者17名,AMED50名)

以上のAMEDの取り組みにより、コミュニティの議論が活性化した結果、

**7学会が連携して、各府省大臣・AMED等宛に
「少子化人口減社会を直視した次世代育成のための緊急提言」を提出 (3月12日)**

緊急提言を受けて、周産期新生児学会が主導で

周産期臨床研究コンソーシアム構想 (仮題) キックオフミーティングを実施 (3月15日)

参加者数：学会関係者,AMED,厚労省母子保健課, 15名

H30年度の調整費要求

「平成30年度の調整費の基本的な考え方」に沿った骨太の取組についての1項目となる

その他、ライフステージに応じた健康課題の克服を見据えた取り組みとして、

障害者対策総合研究開発事業との連携課題 (周産期うつ、思春期レジリエンス) を設定し、公募を実施し、採択後に障害者対策総合研究開発事業とのキックオフ合同班会議 (周産期うつ) を開催することとしている。

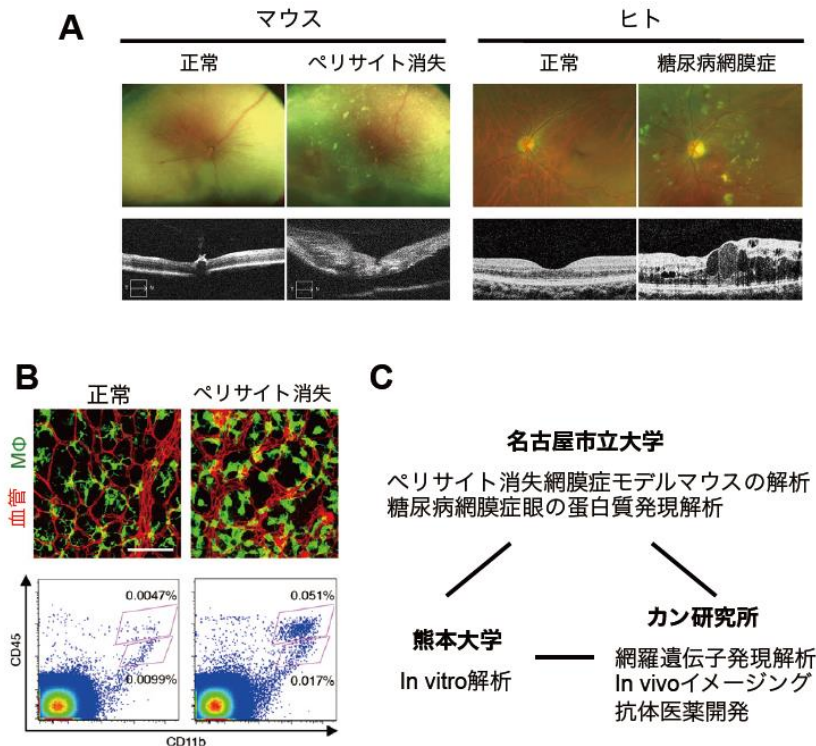
I (2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

⑩健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

④その他事業における主な研究成果

糖尿病性網膜症の新規治療薬

循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業



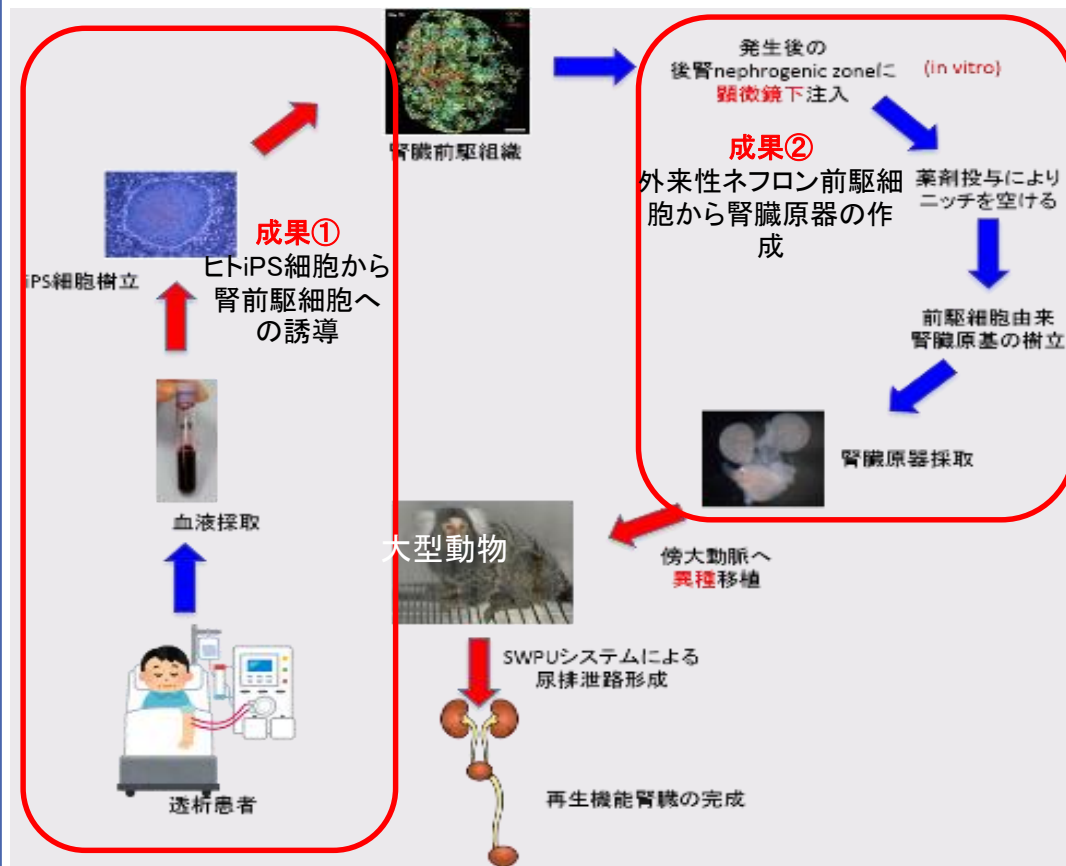
- A** ペリサイト消失による糖尿病網膜症の再現
B ペリサイト消失網膜におけるマクロファージ
C 研究体制

「マクロファージ由来シグナル分子を標的とした糖尿病網膜症の抗体医薬開発」 ペリサイト消失網膜症モデルマウスを用いて、マクロファージ由来シグナル分子を同定し、ヒト糖尿病網膜症患者の眼内でも蛋白質発現量の上昇を認めた。

再生腎臓の実用化

腎疾患実用化研究事業

霊長類を用いた再生腎臓の開発



「霊長類を用いた再生腎臓による実践的前臨床試験」 ヒトiPS細胞から腎前駆細胞への誘導に成功しており(成果①: 平成28年10月)、平成29年度には、外来性ネフロン前駆細胞からネフロン構造全てを置き換える技術を確認しさらに腎臓原基の作成に成功した。(成果②: 平成29年11月)。

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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

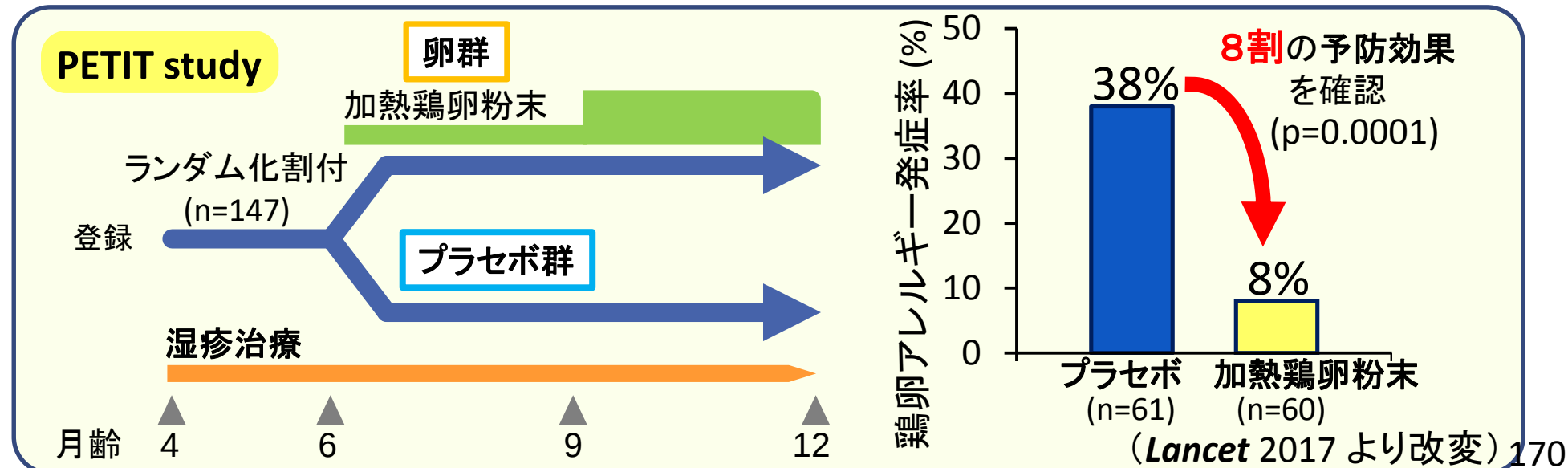


食物アレルギー予防を目指した臨床研究への取り組み

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)

食物アレルギーの有病率は増加しており、患者は長期にわたり不自由な除去食を強いられている。その治療と予防において、アレルギーを直接摂取する経口免疫療法が注目される一方、重篤なアナフィラキシー発症のリスクがあり、適切に予防、治療する方策の確立が求められている。

国立成育医療研究センターアレルギー科の大矢幸弘医長らは、鶏卵アレルギーの発症予防のため、PETIT study(the Prevention of Egg allergy with Tiny amount InTake)と名付けた無作為化二重盲検比較試験を行った。この研究では、鶏卵摂取経験のない生後4-5ヶ月のアトピー性皮膚炎罹患乳児を対象に、加熱鶏卵粉末を微量から摂取する群と、プラセボ摂取群に分けて比較検討した。また、アトピー性皮膚炎の皮膚病変がアレルギーの感作の場となる仮説に立脚し、両群で厳格な皮膚炎治療を併用した。その結果、加熱鶏卵粉末摂取群では、鶏卵アレルギーの発症が対照群と比較して8割減少した。本研究は日本小児アレルギー学会の食物アレルギー診療ガイドラインに引用される等、今後の適切なアレルギー診療法方略の創出に資するとともに、アレルギー感作の場としての皮膚の重要性を示した点でも顕著な成果をもたらした。



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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

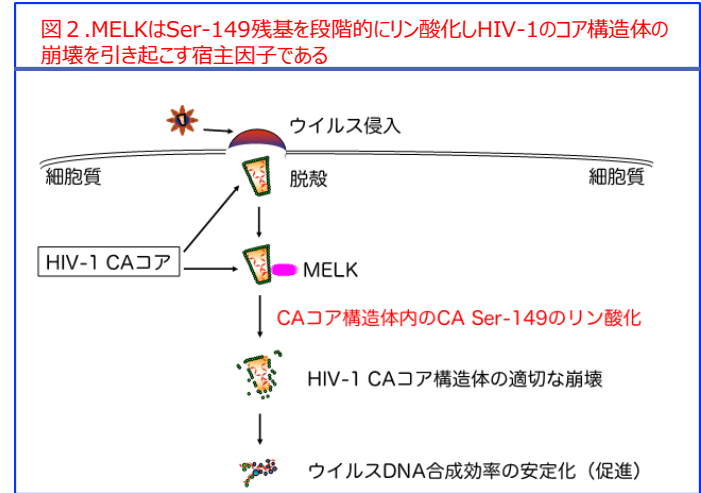
<エイズ対策に資する研究>

1. 研究開発の推進(調整費支援による加速・拡充)

- 生細胞内において、HIV Gagと相互作用する蛋白質を包括的に同定する手法の開発を加速
- ヘルパー増強HIVワクチン抗原の最適化
- 霊長類で中和抗体とCD4-mimic小分子(YIR-821)との併用効果を調べるPOC試験の加速
- ダルナビル耐性株にも活性を発揮し、CNSへの透過性のよいKU-241のSIV感染サルでの長期反復投与による薬効・安全性評価試験の実施

2. 主な研究開発成果

- ウイルスコア構造体崩壊の原因が、細胞内リン酸化酵素MELKのコア構造体リン酸化によることを明らかにした(右図)



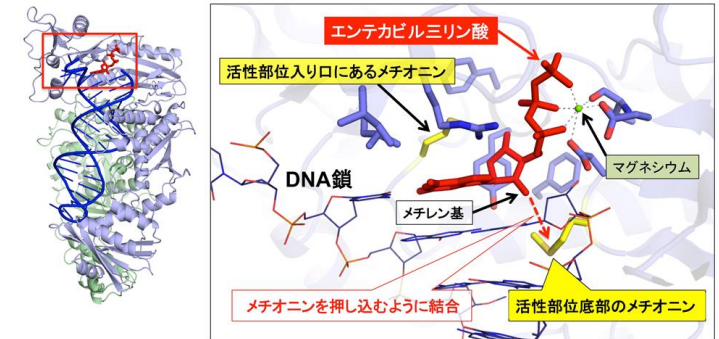
<肝炎対策に資する研究>

1. 研究開発の推進(調整費支援による加速・拡充)

- HCV排除後の肝発がんに関わるTLL1 SNP(遺伝子多型) 以外の新規マーカーの探索
- HCV侵入過程を阻害する化合物のスクリーニングの加速
- HCV排除後の遺伝子異常やオルガネラ異常の解析

2. 主な研究開発成果

- 疫学調査により、小児HCV感染では肝硬変と肝がんはなく、大部分の症例は肝組織で線維化がないか軽度であることを明らかにした
- HBV治療薬エンテカビルが逆転写酵素に結合する仕組みと薬剤耐性が生じる機序を解明(右図)
- HBVワクチンの効果に影響を与えるHLA遺伝子を同定した



エンテカビルのメチレン基と酵素の活性部位底部のメチオニンとの相互作用は、エンテカビルが活性部位で維持されるために重要であり、このメチオニンがより小さなバリンやイソロイシンに置換すると、メチレン基は活性部位底部アミノ酸に接触できない距離となり、結果的にこの疎水性相互作用が失われてエンテカビルは活性部位に安定に結合できなくなると考えられる。

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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業

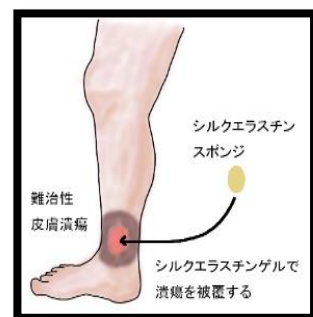
産学連携医療イノベーション創出推進プログラム(ACT-M)

ACT-M・ACT-MSの同時公募を行い、それぞれ7件・11件を採択し、継続課題と共に医療イノベーション創出に向けて研究開発を推進。研究開発の進捗状況を把握し助言を行うため、POを中心としたサイトビジット、進捗報告会等を実施。

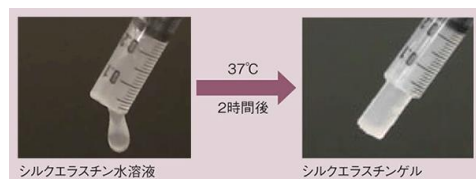
<主な成果>

難治性皮膚潰瘍を治すためには、適度な湿潤環境を維持し、また細菌感染などの増悪因子を助長させない治療が求められるが、そのためには毎日の処置が必要になる。

京都大学と三洋化成工業(株)は、シルクエラスチンの水溶液が37℃でゲル化するという特徴を利用して、創傷治癒材としての開発研究を行い、難治性皮膚潰瘍の治癒を促進する材料であることを動物実験で確認した。動物実験では、皮膚潰瘍部で一度固まったシルクエラスチンゲルは適度な湿潤環境を維持し、また細菌感染を助長しなかった。実用化できれば、毎日処置する必要がなくなり、負担が軽くなると考えられる。



ゲル化したシルクエラスチンは、傷に密着して創傷治癒を促進



シルクエラスチンを水に溶かして、体温付近(37℃前後)で加温するとゲル化する

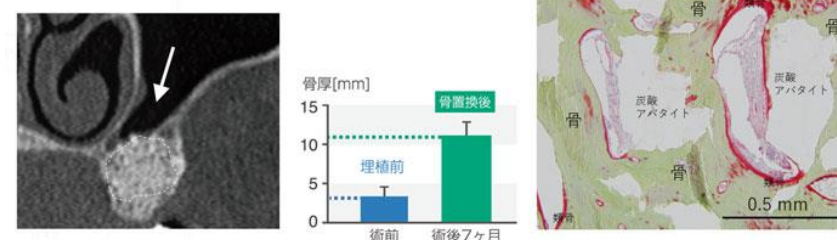
研究成果最適展開支援プログラム(A-STEP)

JSTから移管された本事業にて、産学連携体制による実用化に向けた研究開発を支援。POや外部評価委員によるサイトビジット、終了課題については事後評価を実施するとともに、リーフレットにて成果の普及に努めた。

<主な成果>

骨再建術においては、安全面・治療効果の面から自家骨の移植が優先されているが、自家骨移植は侵襲度が高く、負担が大きい。人工骨である他家骨、異種骨、合成骨は、安全性や治療効果の面で課題があるとされてきた。

九州大学は、骨の無機成分である炭酸アパタイトを焼結行程無しで顆粒状に成形する合成法を確立し、その技術シーズを(株)ジーシーが人工骨として実用化することに成功した。得られた炭酸アパタイト顆粒物について、歯科インプラント用途として多施設共同臨床試験(治験)を行った結果、医療機器としての有効性および安全性が実証された。同社が、国内では初めて歯科用インプラントの周囲を含む領域でも使用可能な人工骨「ジーシー サイトランス グラニュール」として開発し、薬事承認(2017年12月14日)された。



治験症例(術後7ヵ月)のCT画像(前頭断)(左図)。材料の骨置換が進んでいる。治験患者の術前と術後7ヵ月の骨の厚さの平均値推移グラフ(中図)。炭酸アパタイト顆粒を用いることで骨の薄かった部位(術前:3.4 mm)が厚くなり(術後7ヵ月:10.5 mm)、歯科用インプラント埋入が可能となった。術後8ヵ月の骨生検の病理組織像(右図)。炭酸アパタイト顆粒(白色)の周囲に隙間なく新しくできた骨(緑色)や類骨(赤色)が形成されていることを確認。

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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業



評価軸

健康・医療戦略推進本部が中心となって行う横断的な検討に基づき、医療・介護等のデジタルデータの利活用基盤の構築を進めるとともに、収集された臨床ビッグデータを集積・共有し、人工知能技術を活用することによって、診療支援や新たな医薬品・医療技術等の創出に資する研究開発を推進したか。

- 平成29年度は、平成28年度補正予算により開始した学会主導画像等データベース(内視鏡学会、病理学会、放射線学会)に眼科学会を加え、これらDB同士を連結させるnation wideな画像等データプラットフォーム構築を推進した。また、AMED主体で4学会を対象とした課題間連携会議を立ち上げ、研究代表者間で進捗状況及び抱えている問題点等を共有することで成果の最大化を図った。さらに、診療系データベース連結化、人工知能技術の基盤構築等の加速、等を通して本邦におけるリアルワールドデータを活用した臨床研究環境及びAI開発環境を整備するための研究開発を行った。(臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業)

評価軸

将来の医薬品、医療機器及び医療技術等への新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発の取組状況

- AMED-CREST、PRIME、LEAPのPS、POが集まる全体会議を初めて開催し、事業の今後の方針や課題について、領域を横断した議論を行った。
- 平成30年度のAMED-CREST新領域において、国際水準のピア・レビューを強化するため、AMEDレビューアの導入準備を行った。AMED全体への導入に先駆けた試行であったが、レビューアの探索から依頼までの仕組みを構築し、目標の10名に対して23名の内諾を確保することができ、今後のAMED全体への導入へ繋がる成果となった。
- 革新的先端研究開発支援事業については、7つの研究開発領域において着実に研究開発を推進した。研究開発の進捗状況を把握し、研究開発計画への助言・修正を行うため、PSを中心にサイトビジット、領域会議を実施するとともに、中間・事後評価および領域中間・事後評価を実施した。また、シンポジウムを開催し、情報発信に取り組んだ。
- 平成29年度新規の研究開発領域としては、1領域を立ち上げた。平成27年度に立ち上げた2領域および平成28年度に立ち上げた1領域とあわせて公募し、49件の研究開発課題を採択した。
- 平成29年度第1回調整費により、胚盤胞補完法を利用して異種動物体内でiPS細胞由来の臓器を再生させる技術開発を加速させ、医療応用に資する基礎的検討を実施した。
- インキュベートタイプ(LEAP)については、推進中の3件の研究開発課題において着実に研究開発を推進した。また、平成29年度新規の研究開発領域として1課題を採択した。

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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業



評価軸

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、予防、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進したか。

- 小児・周産期の疾患(成育疾患克服等総合研究事業)については、推進中の17件の研究開発課題において、病態解明、新たな予防・診断・治療・保健指導の方法の開発や標準化等といった研究を行う等、実用化を目指した研究を実施した。H29年度は、周産期メンタルヘルス、早産予防および治療、染色体異数性の原因・機序の解明、思春期のヘルスプロモーション、胎児期から高齢期まで生涯の健康を考慮した母子保健領域疾患の疾病負荷と効果的介入方法についての俯瞰研究について公募し、5課題について採択、研究開発支援を開始した。
- 新生児のサイトメガロウイルス(CMV)症について、先天性感染の確定診断を目的とした新規の核酸検査技術の臨床開発を実施し、体外診断用医薬品として申請、平成29年6月に製造承認。平成30年1月に体外診断薬としての承認および保険適応の承認を受けた。
- 全国に散在する様々な周産期・小児期のコホートデータおよび疾病登録データを有効利用(リンケージ分析等)し、H29年に報告した。
- 女性に特有の健康課題(女性の健康の包括的支援実用化研究事業)については、推進中の13件の研究開発課題において、女性器等に関する疾病、性差に関わる研究、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を行う等、主に実用化を目指した研究を実施した。H29年度は、月経関連疾患、更年期疾患、就労女性の心身の健康問題等についての研究開発、および子宮・卵巣等に関する疾病および健康課題についての研究開発、また、若年女性の心身に視点を置いた研究開発、および性差による発症メカニズム等の差異に関する研究開発について公募し、5課題について採択、研究開発支援を開始した。
- 冠動脈疾患が疑われる場合のCT検査の意義には性差を認める事を明らかにした研究(なでしこ研究)や妊娠糖尿病女性を対象とした妊娠中から産後3か月までの包括的強化介入プログラムと従来介入法を対照としたランダム化比較試験のパイロット研究の実施等を行った。
- 成育疾患克服等総合研究事業と女性の健康の包括的支援実用化研究事業との一体的な管理・運営を行った。また、PSPOのマネジメントによるPDCAサイクルをまわして着実に研究開発を推進し、両事業のみならず他事業と連携し課題解決等に向けた取り組みを行った。また、研究者間の連携や問題共有を推進するため、研究者主体の取組について協力・支援した。

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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業



評価軸

健康・医療戦略推進本部が中心となって行う横断的な検討に基づき、医療・介護等のデジタルデータの利活用基盤の構築を進めるとともに、収集された臨床ビッグデータを集積・共有し、人工知能技術を活用することによって、診療支援や新たな医薬品・医療技術等の創出に資する研究開発を推進したか。

- パーソナル・ヘルス・レコード(PHR)利活用研究事業においては、平成29年度は4つのライフステージごとにPHR利活用モデルを構築し、最終年度に実証研究を行う準備を整えた。また、異なるPHRシステム間で横断的にデータを管理・活用できるPHRプラットフォームを実現するため、分散管理モデルと集中管理モデルをそれぞれ構築する研究開発を行った。
- AIを活用した保健指導システム研究推進事業においては、平成29年度は、地域における健診・レセプトデータ及びエビデンスデータをもとに、医療費階層化及び指導パスウェイのプロトタイプモデルの構築とその有効性の検証を行った。また、自治体職員が自治体の課題と原因を発見・分析するためのAIエンジンのプロトタイプを完成させた。
- IoT等活用生活習慣病行動変容事業においては、日本糖尿病学会主導で世界的にも大規模(2,000名)かつ長期間の介入研究、及び、健康情報等交換規約定義書(経産省)を活用した共通データベース構築、療養指導のためのAIアルゴリズム開発に取り組み研究開始5ヶ月でプロトコル策定、倫理委員会承認、臨床研究システムの構築、全国74施設(2018年2月末現在)協力を達成し、順調に被験者登録が開始された。

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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業



評価軸

健康・医療戦略推進本部が中心となって行う横断的な検討に基づき、医療・介護等のデジタルデータの利活用基盤の構築を進めるとともに、収集された臨床ビッグデータを集積・共有し、人工知能技術を活用することによって、診療支援や新たな医薬品・医療技術等の創出に資する研究開発を推進したか。

- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業において、全国救急搬送データと病院診療データ(DPC、レセプト)に、各病院の地域特性情報(人口、地理情報、天候情報など)を組み入れ、AIを用いた疾患発症予測モデルの構築を進め、人を含めた医療資源配置の適正化を検討した。

評価軸

将来の医薬品、医療機器及び医療技術等の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発を推進したか。

- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業において、糖尿病網膜症モデルであるペリサイト消失網膜症モデルマウスを解析し、病態形成に重要なマクロファージ由来シグナル分子を同定するとともにヒト糖尿病網膜症患者の眼内でも蛋白質発現量の上昇を認めた。さらに、同モデルを用いて阻害抗体の効果を検証し、マクロファージ由来シグナル分子に着目した創薬シーズを同定した。「p.2 ⑤-1を参照」
- 腎疾患実用化研究事業において「霊長類を用いた再生腎臓の開発」に取り組み、非臨床研究での核心的技術基盤(ヒトiPS由来腎前駆細胞、異種腎前駆細胞からの腎臓原器作成)の確立に成功し、将来的な患者由来iPS再生腎臓の実用化に向けた推進がなされた。「⑤-2を参照」

評価軸

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、予防、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進したか。

- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業において、透析導入の原因第一位の糖尿病腎症の重症化予防に向けた実臨床で有効かつ実践可能と考えられた理想的な栄養指導法を策定した。
- 腎疾患実用化研究事業において「霊長類を用いた再生腎臓の開発」に取り組み、腎不全患者のQOLを著しく損なうだけで無く、医療費を逼迫する人工透析に変わる治療法として、iPS再生腎臓の実用化に向けた開発推進を行った。

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健康・医療戦略の推進に必要な研究開発事業



評価軸

高齢者に特有の疾患や老化・加齢メカニズムの解明・制御についての研究を推進したか。

- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業において、サルコペニアが顕著に進むと予想される糖尿病患者において、耐糖能異常を始め種々のリスク因子とサルコペニアとの関連を明らかにし、加齢性のサルコペニアの病因解明の一助となった。

評価軸

将来の医薬品、医療機器及び医療技術等の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発を推進したか。

- 肝炎及びエイズ事業では、ウイルス増殖過程及び宿主とウイルスのインターアクションの解析に取り組み、新規ターゲットの同定やそのスクリーニング系を構築し、革新的なシーズを複数見いだした。
- HIV-1 コア構造体崩壊の原因が、細胞内リン酸化酵素MELKによるコア構造体Ser-149残基の段階的なリン酸化によるものであることを明らかにし、MELKが新たな創薬ターゲットとなる可能性を見いだした。

評価軸

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、予防、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進したか。

- 肝炎及びエイズ事業では、in vivoモデルを用いた構造活性相関の研究及びウイルス感染時の免疫系の解析に取り組み、QOLの向上につながる治療薬候補の合成や免疫系による根治療法の可能性を示した。
- HIV感染症に対するワクチンは、現在、存在していないため社会的ニーズが高い。ワクチン抗原を最適化した抗体誘導型ワクチンの開発を加速し、HIV感染予防、治療に向けた取り組みを推進した。

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

① 組織・人員体制の整備

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

①組織・人員体制の整備

評定(自己評価)

B

①求められる機能を果たすため、定常的組織を理事長の下に12部1室を整備した。また人員の不足については、随時公募等により、産・学・官の各分野から適切な人材を採用し、配置した。②機動性・効率性が確保できる柔軟な組織・人員体制を確保するため、組織変更を実施した。さらに、「産学官共同医薬品・医療機器研究開発事業(CiCLE)」を実施する部署として「革新基盤創成事業部」を設置し、人員を配置した。④利益相反・透明性に配慮した外部人材の登用など、着実な業務運営がなされている。

① 組織・人員体制の整備

- 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7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12部1室の体制とした。
- 退職等に伴う人員の不足を確保するため、また新規事業に必要な人員を確保するため、随時、公募等により、産・学・官の各分野から経験、能力を有した人材を採用し、配置した。

③PD,PS,PO等の産学官からの登用

- 優れた学識経験や研究開発の実績、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・官・学の各分野から厳正に人選し、利益相反に充分配慮して、外部より委嘱し、登用した。

②機動性・効率性が確保できる柔軟な組織・人員体制の確保

- 平成29年4月に、基盤研究を横割りで担う「基盤研究事業部」を整備し、また、医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)を担う「革新基盤創成事業部」を新設。さらに、エビデンスベースの事業企画、事業マネジメント等の機能を目指すため、機構横断的な組織として、情報分析企画室を設置。
- 平成29年7月に、AMED全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行う体制を構築するため「創薬戦略部」を整備し、また、ICT、AIの基盤整備を担うICT基盤研究グループを臨床研究・治験基盤事業部に設置。
- AMED職員については、プロパー職員制度を導入するとともに、プロジェクトマネジメントに一定の経験、知識、能力等により従事することを理事長が認定するAMED-PO(AMEDプログラムオフィサー)の運営を本格化。

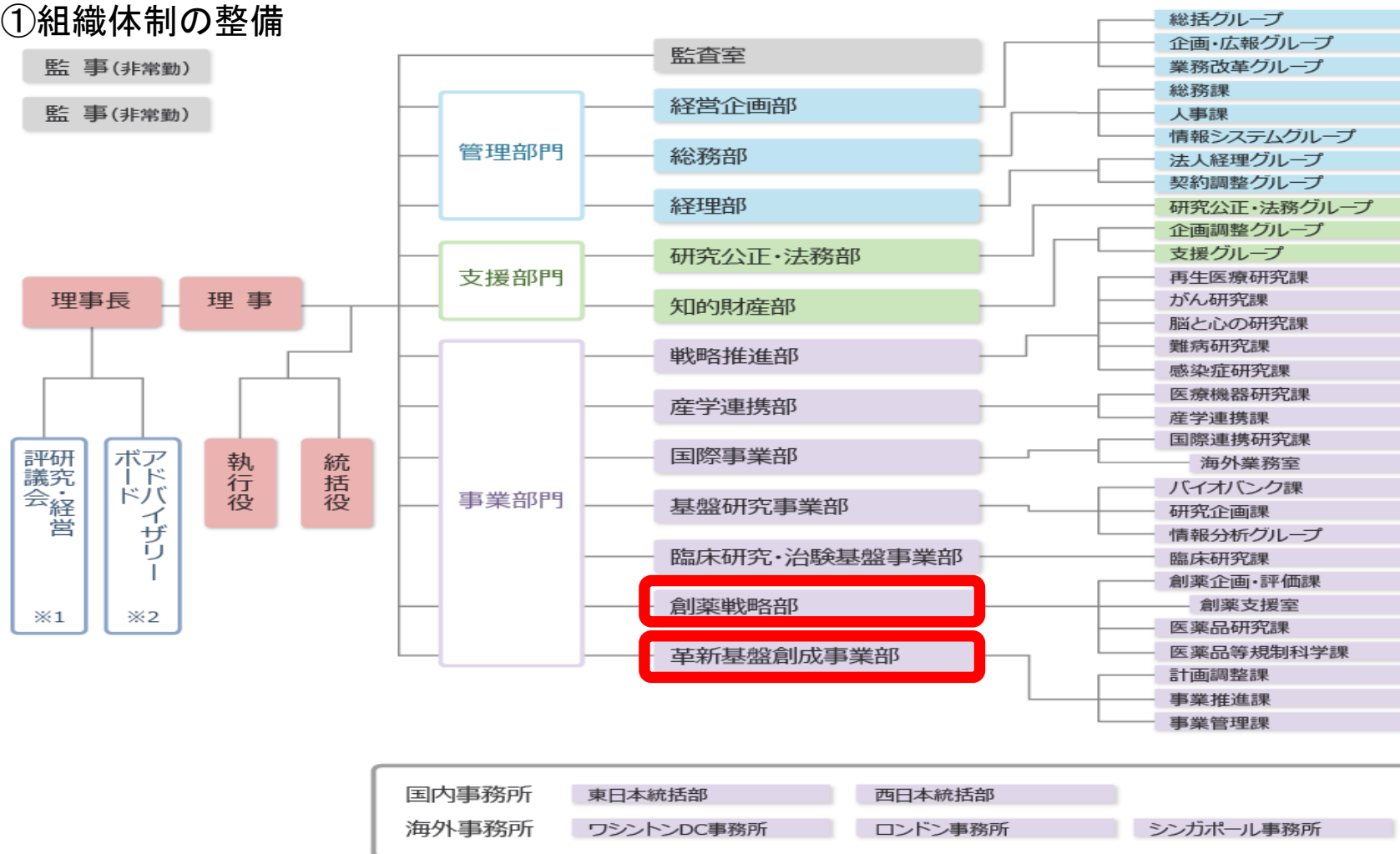
④利益相反・透明性に配慮した外部人材の登用

- 利益相反の防止について利益相反マネジメントルールを運用し、PD/PS/PO、**評価委員**の一覧をHPに公表して透明性に配慮し、外部人材の登用を実施した。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

①組織・人員体制の整備

①組織体制の整備



※1 研究・経営評議会
 ※2 アドバイザリーボード

研究の実施を含む機構の運営に関する重要事項に関し、理事長に対し助言等を行う組織
 医療現場、産業界、研究者、患者等からのさまざまなニーズの把握のため理事長の下に置かれる会議

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項 ①組織・人員体制の整備



②機動性・効率性が確保できる柔軟な組織・人員体制の確保

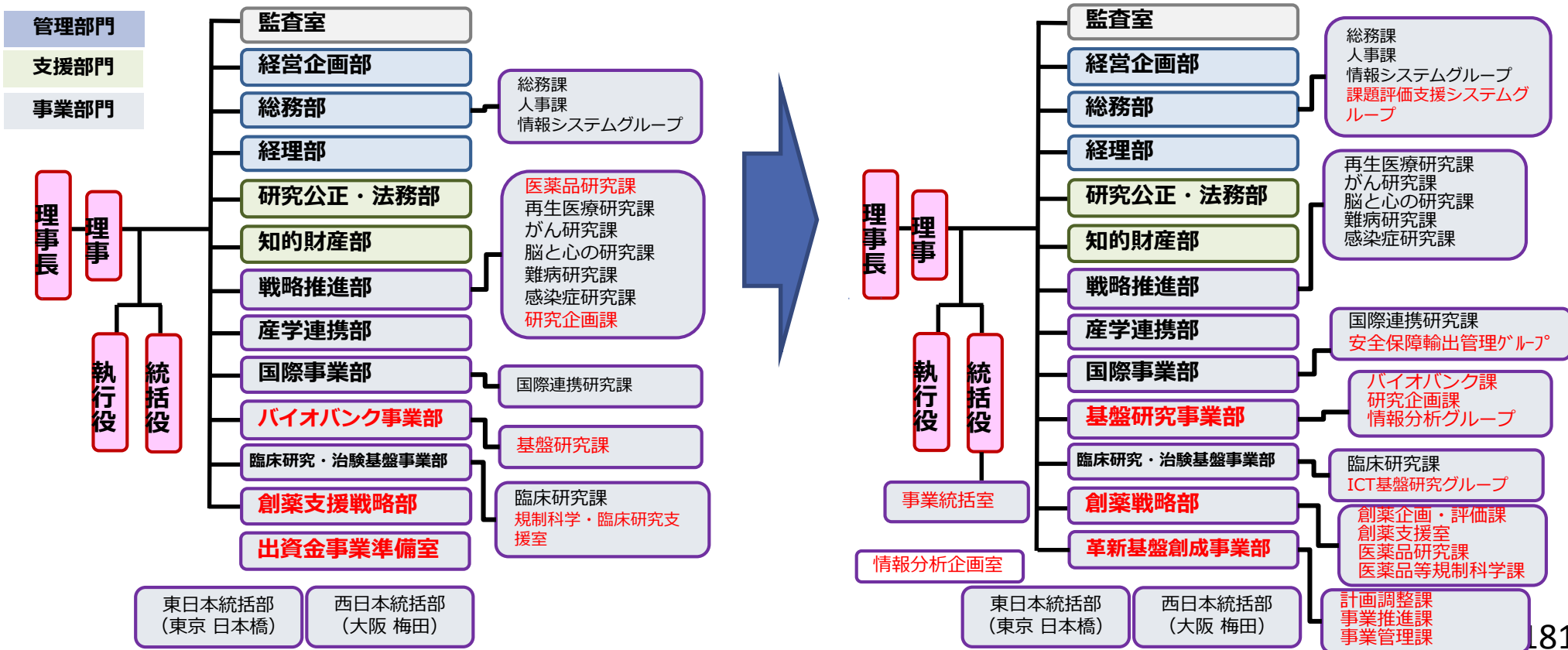
創薬支援戦略部等の組織改編

・新組織(創薬戦略部)は、「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトのみならず、他のAMED事業との連携の下、創薬に資するAMED横断的な基盤整備・戦略立案・支援のほか、レギュラトリーサイエンスの観点からもシーズ評価等を行う。

・新組織内に、臨床研究・治験基盤事業部規制科学・臨床研究支援室の機能を一部組み替えた医薬品等規制科学課を設置し、戦略推進部医薬品研究課と創薬支援戦略部の機能と合わせた体制とする。

・臨床研究・治験基盤事業部は、規制科学・臨床研究支援室の業務のうち臨床研究支援業務を臨床研究課へ移管するとともに、同課の中に「ICT基盤研究グループ」を設置し今後のICT、AIの基盤整備を専ら行う部署としてAMEDにおける組織的な受け皿を構築

→「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトの推進体制を整備するため、民間リソースの活用による支援機能の強化や、関係課室の集約・一本化を図るとともに、同プロジェクトと他のAMED事業との連携を進め、AMED全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行う体制を構築し、創薬シーズの発掘・支援を促進することにより、オールAMEDでの革新的医薬品開発の更なる加速を指向。



Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

①組織・人員体制の整備



③PD,PS,PO等の産学官からの登用

PD、PS、POの委嘱件数(平成30年3月31日時点)

合計	PD	PS	PO
243名	9名	55名	179名

④利益相反・透明性に配慮した外部人材の登用

HPに利益相反の規則等を公表している

https://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/riekisohan_kanri.html

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

①組織・人員体制の整備



評価軸

AMEDに求められる機能を果たすため、適切かつ柔軟な組織・人員体制を整備したか。

- ・「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトの推進体制を整備するため、民間リソースの活用による支援機能の強化や、関係課室の集約・一本化を図るとともに、同プロジェクトと他のAMED事業との連携を進め、AMED全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行う体制を構築し、創薬シーズの発掘・支援を促進することにより、オールAMEDでの革新的医薬品開発の更なる加速を指向した組織改編を行った。
- ・「産学官共同医薬品・医療機器研究開発事業(CiCLE)」を本格的に稼働させるため、平成29年4月1日付で「出資金事業準備室」から「革新基盤創成事業部」へ組織を改組した。
- ・今後の進展が見込めるICT、AIの基盤整備を行う部署として、臨床研究・治験基盤事業部臨床研究課に「ICT基盤研究グループ」を設置し、AMEDにおける組織的な受け皿を構築した。

評価軸

高度の専門性が必要とされる者については、産学官からの優れた人材の登用を積極的に行ったか。

- ・PD/PS/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、登用した。

評価軸

利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用したか。

- ・利益相反の防止について利益相反マネジメントルールを運用し、PD/PS/POの一覧をHPにおいて公表して透明性に配慮して、外部人材の登用を実施した。

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

②PDCAサイクルの徹底

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

②PDCAサイクルの徹底



評定(自己評価)

B

目標・計画に基づき、①研究成果に係る中間・事後評価の実施、②年度計画に沿った進捗の把握と評価、③医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理、④研究評価・課題管理の改善に向けた検討に基づく取組を着実に実施し、着実な業務運営がなされている。

①研究成果に係る中間・事後評価の実施

- ・ 中間・事後評価が必要な研究課題について、外部有識者により構成される「課題評価委員会」を123回開催。
- ・ 評価結果について、研究者にフィードバックし、また、適切に公表するとともに、追加配賦の課題選択、翌年度の研究費の配分、研究課題や事業の改善に活用。
- ・ 評価の実施に当たり、必要と認めた課題をヒアリング審査対象とする等、効率的な評価を実施。

③医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理

- ・ 課題の進捗管理については実用化を見据えた目標設定やスケジュール管理を実施。
- ・ ヒアリングやサイトビジット、班会議への参加などを行い研究開発の進捗状況の把握、研究代表者への指導、助言を行い、適切な課題管理を実施。
- ・ 医薬品研究開発マネジメントチェック項目を作成・活用することで、研究成果の実用化を目指した、研究開発速度の最大化に資する進捗管理を推進。

②年度計画に沿った進捗状況の把握と評価

②-1 業務と予算に関する会議

- ・ 年度計画の達成に向けて、定期的に業務の進捗状況を把握・管理する体制を構築し、実施。

②-2 自己評価委員会及び外部評価委員会

- ・ 平成28年度の業務実績の評価は内部メンバーで構成される自己評価委員会及び外部有識者で構成される外部評価委員会の2段階で評価を実施し、評価結果をHPで公表。

④研究評価・課題管理の改善に向けた検討に基づく取組の着実な実施

- ・ 平成28年度に導入した課題評価における10段階共通評価システムを、平成29年度においては各事業において実施。
- ・ 研究課題の重要なステージゲートにおいて実用化に必要な研究が着実に実施されているかの評価を行えるシステムづくりのため、医薬品の研究開発に関し、医薬品研究開発マネジメントチェック項目を作成・公表し、一部事業で運用を開始した。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

②PDCAサイクルの徹底



評価軸

AMEDで行っている事業については厳格な評価を行い、不断の業務改善を行ったか。

- 中間・事後評価が必要な研究課題について、外部有識者により構成される「課題評価委員会」を123回開催。評価結果について、研究者にフィードバックし、また、適切に公表するとともに、追加配賦の課題選択、翌年度の研究費の配分、研究課題や事業の改善に活用。評価の実施に当たり、必要と認めた課題をヒアリング審査対象とする等、効率的な評価を実施。
- 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。
- P0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。また、中止等の判断を適切に行うため、中間評価を行う段階に至るまでの手続フローを作成・共有した。

評価軸

評価結果をその後の事業改善にフィードバックするなど、PDCAサイクルを徹底したか。

- 年度計画の達成に向けて、定期的に業務の進捗状況を把握・管理する体制を構築し、業務と予算に関する会議を実施。
- 平成28年度の業務実績の評価は内部メンバーで構成される自己評価委員会及び外部有識者で構成される外部評価委員会の2段階で評価を実施し、評価結果をHPで公表。

評価軸

研究者の研究活動の円滑化にも十分配慮し、医療研究開発速度の最大化に資する進捗管理を実現したか。

- 課題の進捗管理については実用化を見据えた目標設定やスケジュール管理を実施。
- ヒアリングやサイトビジット、班会議への参加などを行い研究開発の進捗状況の把握、研究代表者への指導、助言を行い、適切な課題管理を実施。
- 医薬品研究開発マネジメントチェック項目を作成・活用することで、研究成果の実用化を目指した、研究開発速度の最大化に資する進捗管理を推進。
- 研究開発提案書を府省共通様式に統一するとともに、年度報告の簡素化や、事後評価資料を活用した総括報告の充実・効率化を実施し、研究者の研究活動の円滑化、及びPD・PS・P0の効率的・効果的な進捗管理に寄与。
- 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、P0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、適切な課題管理に実施。
- 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。

Ⅱ 業務運営の効率化に関する事項

(1) 業務改善の取り組みに関する事項

③適切な調達の実施

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

③適切な調達の実施



評定(自己評価)

B

目標・計画に基づき策定した、平成29年度の「調達等合理化計画」に基づき、合理的な調達に向けた取組を着実に実施した結果、①平成28年度に比べ、随意契約の比率改善につながった。②また、ホームページでの各種情報の公表による公平性・透明性の確保などを行った。

① 契約実績

- 競争性のある契約のうち、一般競争入札の契約実績：118件
契約実績総数に占める割合 平成28年度 2.8% → 平成29年度 2.9% (+0.1ポイント改善)
- 競争性のない随意契約の契約実績：780件
契約実績総数に占める割合 平成28年度 19.7% → 平成29年度 19.3% (▲0.4ポイント改善)

②ホームページでの各種情報の公表

- ②-1 調達等合理化計画、契約監視委員会における審議概要、中小企業者に関する契約の方針、環境物品等の調達方針及び調達実績、競争入札結果・随意契約情報等各種契約実績等
- ②-2 ホームページでの入札公告の公示、仕様書・入札説明書等の頒布等

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

③適切な調達の実施

①契約実績

- 競争性のある契約のうち、一般競争入札の契約実績：118件
契約実績総数に占める割合 平成28年度 2.8% → 平成29年度 2.9% (+0.1ポイント改善)
- 競争性のない随意契約の契約実績：780件
契約実績総数に占める割合 平成28年度 19.7% → 平成29年度 19.3% (▲0.4ポイント改善)

平成29年度の国立研究開発法人日本医療研究開発機構の調達全体像

(単位: 件、億円)

	平成28年度		平成29年度		比較増△減	
	件数	金額	件数	金額	件数	金額
競争入札等	(2.8%) 116	(1.3%) 15	(2.9%) 118	(2.5%) 31	(0.1%) 2	(1.2%) 16
企画競争・公募	(77.5%) 3,220	(97.3%) 1,135	(77.8%) 3,152	(96.3%) 1,137	(0.3%) ▲68	(▲1.0%) 2
競争性のある契約(小計)	(80.3%) 3,336	(98.6%) 1,150	(80.7%) 3,270	(98.9%) 1,168	(0.4%) ▲66	(0.3%) 18
競争性のない随意契約	(19.7%) 818	(1.4%) 16	(19.3%) 780	(1.1%) 13	(▲0.4%) ▲38	(▲0.3%) ▲3
合 計	(100%) 4,154	(100%) 1,166	(100%) 4,050	(100%) 1,181	(0.0%) ▲104	(0.0%) 15

平成29年度の国立研究開発法人日本医療研究開発機構の調達全体像 (単位: 件、億円)

(注1) 計数は、それぞれ四捨五入しているため、合計において一致しない場合がある。

(注2) 比較増△減の()書きは、平成29年度の対28年度差分である。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

③適切な調達の実施

②ホームページでの各種情報の公表

- ②-1 調達等合理化計画、契約監視委員会における審議概要、中小企業者に関する契約の方針、環境物品等の調達方針及び調達実績、競争入札結果・随意契約情報等各種契約実績等

調達等合理化計画に関する取組状況

(ホームページでの情報公開の例)

調達等合理化計画

- [平成29年度](#) PDF
- [平成28年度](#) PDF
- [平成27年度](#) PDF

調達等合理化計画の進捗状況に関する

- [平成28年度](#) PDF

契約監視委員会における

詳細は以下のリンクをご覧ください。

- [平成29年度](#)
- [平成28年度](#)
- [平成27年度](#)

中小企業者に関する契約の方針

- [平成29年度における国立研究開発法人日本医療](#)
- [平成28年度における国立研究開発法人日本医療](#)
- [平成27年度における国立研究開発法人日本医療](#)

環境物品等の調達方針及び

- [環境物品等の調達の推進を図るための方針](#) PDF
- [平成28年度における環境物品等の調達実績](#) PDF
- [平成27年度における環境物品等の調達実績](#) PDF

競争入札結果の公表

- [一般競争入札の契約実績](#) PDF
- [低入札価格調査の実施概要](#) PDF

過去の契約分

- 平成28年度 [一般競争入札契約実績](#) PDF、[低入札価格調査実施概要](#) PDF

随意契約情報の公表

- [随意契約の契約実績](#) PDF

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

③適切な調達の実施

②-2 ホームページでの入札公告の公示、仕様書・入札説明書等の頒布等

(ホームページでの情報公開の例)



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development

HOME > 調達情報トップ

調達情報検索

件名 (件名の一節でも可)

検索

物品・役務関係 RSS

物品関係

物品の購入等

役務関係

役務の提供 New

保守・リース保守

文字サイズの変更

大 中 小

調達情報マイページ

様 現在ログイン中です

役務関係

役務の提供 New

保守・リース保守

労働者派遣

労働者派遣

工事関係 RSS

現在募集中の調達情報

役務の提供(4) 労働者派遣(2)

現在募集中の調達情報の最新15件

現在募集中の一覧はこちら

調達形態	公告日	入札締切日	開札日	件名	調達場所
一般競争入札	平成30年 04月12日	平成30年 05月25日	平成30年 05月25日	最高情報セキュリティアドバイザー業務	本部
				平成30年度研究開発提案書印刷及びファイリング業務	本部
				平成30年度ゲノム医療研究支援機能情報ポータルサイト支援業務	本部
				平成30年度労働者派遣(H30S04)〈単価契約〉	本部
				平成30年度労働者派遣(H30S02)〈単価契約〉	本部
				AMED研究倫理ホームページの運用管理支援業務	本部

AMEDの調達情報サイトへようこそ

このページは日本医療研究開発機構における調達情報左の各項目をクリックすると該当する情報を表示します

◆【問合せ先】
経理部 契約課
TEL: 03-6870-XXXX
FAX: 03-6870-XXXX
なお、各案件のダウンロードにて

現在募集中の
役務の提供

調達情報 公開情報 詳細ページ

調達案件名 AMED研究倫理ホームページの運用管理支援業務

調達情報公開情報一覧へ戻る

調達形態	公告日	入札締切日	開札日	調達場所	担当
一般競争入札	平成30年03月14日	平成30年04月26日	平成30年04月26日	本部	廣瀬 03-6870-2208

入札公告のダウンロード

AMED研究倫理ホームページの運用管理支援業務(PDF 版 102KB)

仕様書等の資料ダウンロード

仕様書(PDF 版 217KB)

入札説明書等(PDF 版 244KB)

技術審査資料(PDF 版 115KB)

その他1(XLS 版 56KB)

基本情報(はじめての方へ)

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

③適切な調達の実施



評価軸

公正性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施したか。

目標・計画に基づき策定した、平成29年度の「調達等合理化計画」に基づき、合理的な調達に向けた取組を着実に実施した結果、平成28年度に比べ、随意契約の比率改善につながった。また、ホームページでの各種情報の公表による公平性・透明性の確保などを行った。

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

④ 外部能力の活用

Ⅱ(1)業務改善の取組に関する事項

④外部能力の活用



評定(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、着実な業務運営を実施している。

○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、外部委託を推進。平成29年度は546件を実施(平成27年度:460件、平成28年度:597件)。具体的な取組事例は次のとおり。

(取組事例)

■ 医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)では、次の取組を実施。

- 契約時の論点抽出と解決のため、複数の弁護士のレビューを経てから契約書を確定。
- 採択から契約までの間に、応募機関の財務状況の確認、シーズとなる知的財産の先行技術調査を外部機関に依頼。
- 今後の採択課題の管理、推進支援に必要となる専門的な情報収集を目的とした調査を外部機関に依頼。

■ 公開シンポジウム実施にあたり、情報セキュリティを考慮した申込みWebの構築、プログラム・抄録等の編集、動画配信等の業務を外部機関に委託し、効率的な運営と集客を実現。

■ 新財務会計システムの運用開始に向けて、仕様書作成に関与した外部機関に開発支援業務を外注し、専門的な見地から助言を得ながら着実な進捗管理を実現。

■ 革新的先端研究開発支援事業では、論文と研究分野の関連性分析調査や基礎のライフサイエンス領域における研究動向調査を専門機関へ外部委託し、新規研究開発領域の設定に活用。

等

Ⅱ(1)業務改善の取組に関する事項

④外部能力の活用



評価軸

外部の専門機関の活用が適当と考えられる業務を精査し、外部の専門機関の活用が適当と考えられる業務については、外部機関を活用したか。

- 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、外部委託を推進。平成29年度は546件を実施(平成27年度:460件、平成28年度:597件)。

Ⅱ 業務運営の効率化に関する事項

(1) 業務改善の取り組みに関する事項

⑤業務の効率化

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

⑤業務の効率化

評定(自己評価)

B

①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、②増加する業務に対応し業務の一層の効率化及び③給与制度、給与水準及び公表について適切に対応を図るなど、着実な業務運営がなされている。

①業務の効率化

- 運営費交付金を充当して行う事業については、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。)

②総人件費

- 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い、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、委嘱業務を派遣職員グループで引き続き実施し、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給与制度、給与水準及び公表

- 給与制度は、類似の独立行政法人等の給与規則に準じた給与規程等を適正に運用し、規程類はホームページで機構内外へ公表している。
- 給与等の水準については、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適正化を図った。
- ラスパイレス指数を含めた給与水準の検証結果等公表は、平成27年度分について内容を分析・評価して公表した(平成28年6月)

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項

⑤業務の効率化



評価軸

給与水準については、ラスパイレス指数、役員報酬、給与規程、俸給表及び総人件費を公表するとともに、国民に対して納得が得られるよう説明したか。

- ・給与規程等（役員報酬規程、役員退職手当支給規程、定年制職員給与規程、任期制職員給与規程、職員退職手当支給規程及び在外職員の取扱に関する規則）はホームページで機構内外へ公表している。
- ・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29年度のラスパイレス指数：○（年齢勘案）、○（年齢・地域・学歴勘案））。

評価軸

給与水準の検証を行い、これを維持する合理的な理由がない場合には必要な措置を講じることにより、給与水準の適正化に取り組み、その検証結果や取組状況を公表したか。

- ・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行い適正に運用した。
- ・ラスパイレス指数を含めた給与水準の検証の実施及び結果等の公表については、平成28年度分について内容を分析・評価して公表した（平成29年6月）。平成29年度分については給与支給額をもとに、同様に内容を分析・評価して結果の公表を予定している（平成30年6月）。

Ⅱ 業務運営の効率化に関する事項

(2) 業務の電子化に関する事項

Ⅱ(2)業務の電子化に関する事項

評定(自己評価)

A

①オンライン課題評価システム、②新財務会計システムの開発により、業務の効率化・迅速化を実現し、③AMED find 及び ④ AMEDぷらっとの開発と ⑤ AMEDホームページの刷新により、制度利用者の利便性向上に大きく寄与した。また、⑥ セキュリティ運用業務を強化し、不正侵入への対応を高度化した。以上より、所期の目標を大きく上まわった。

① オンライン課題評価システム (H30年4月～利用中)

- ・ 評価方法の標準化、評価業務全般にわたるシステム化により、AMED職員と評価委員の業務を効率化
- ・ ユーザー認証機能等セキュリティ機能を強化し、評価業務に伴う情報セキュリティリスクを低減

② 新財務会計システム (H30年4月～利用中)

- ・ 契約管理機能を内包する新財務会計システムを開発
- ・ 研究開発課題ごとの予算執行状況が容易に

③ AMED find (AMS公開版、H30年6月公開予定)

- ・ AMEDが資金配分している研究開発課題の成果を検索可能な形で広く公開することにより研究開発を促進
- ・ 疾患名等のキーワードや研究開発タグを用い、様々な視点から情報の検索・俯瞰が可能

④ AMEDぷらっと (H30年4月～公開済み)

- ・ アカデミアの研究シーズと企業ニーズのマッチングの場を提供し、研究成果の実用化を促進
- ・ 研究シーズ情報のうち「非公知」かつ「ノンコンフィデンシャル情報」を登録
- ・ 事務局がシーズ情報の登録を全件支援

⑤ AMEDホームページ(*)の刷新 (H29年11月)

- ・ キーワード検索、公募情報検索、公募進捗状況の閲覧、スマホ対応等で利便性向上
- ・ AMEDホームページのアクセス件数(ページビュー数)は着実に増加

28年度 約611万件→29年度 約720万件

* URLが <https://www.amed.go.jp/> で始まるウェブページ全体

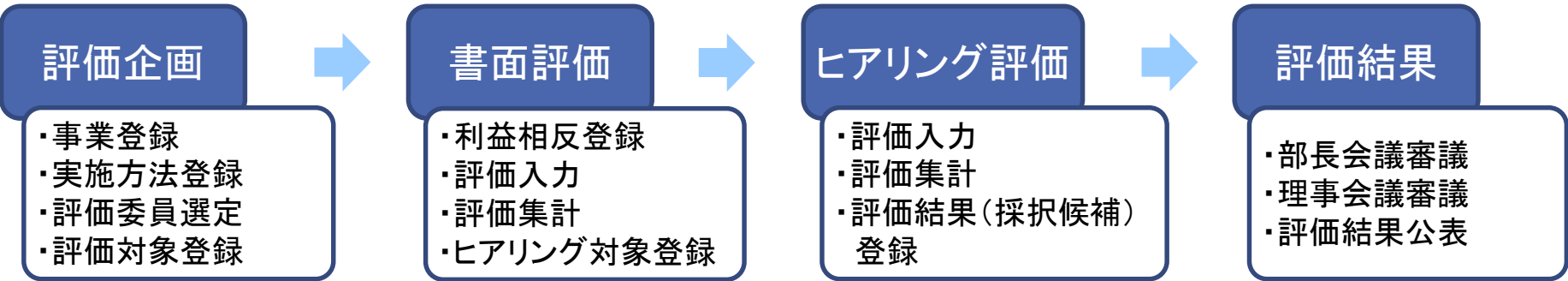
⑥ セキュリティ運用強化 (H29年6月～運用中)

- ・ サイバー攻撃に精通したアナリストが不正侵入防御装置のアラート、各種ログを常時監視

Ⅱ(2)業務の電子化に関する事項

① オンライン課題評価システム

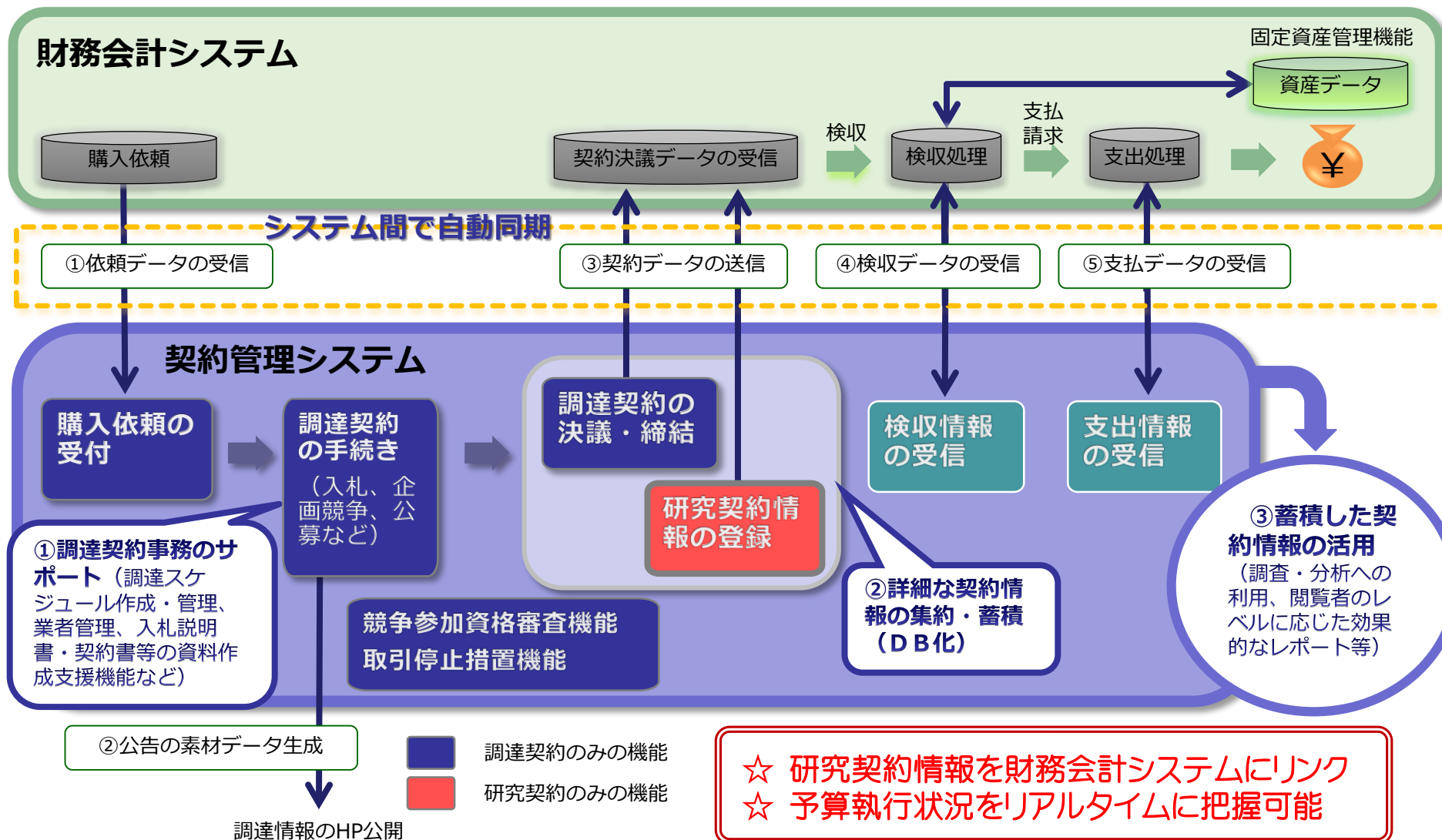
☆ 評価方法を標準化(10段階評価等)し、評価業務全般にわたりシステム化



業務の効率化	・ AMED担当者（自動集計、公募企画から採択までの工程管理、メール一斉送信等が可能） ・ 評価委員（書面審査は随時どこでも可能、資料の管理不要、メール添付不要） ・ ペーパーレス化
セキュリティ向上	・ 評価に必要な資料をメール配布不要 ⇒ 誤送信リスク低減 ・ 2要素認証、サイバー攻撃対策など、各種のセキュリティ機能を充実
他システムとの連携	・ e-Rad からダウンロードしたデータの読み込みが可能 ・ 評価結果をエクスポート可能 ⇒ AMS連携へ
日英二か国語対応	・ 国際 reviewer の活用に対応

Ⅱ(2)業務の電子化に関する事項

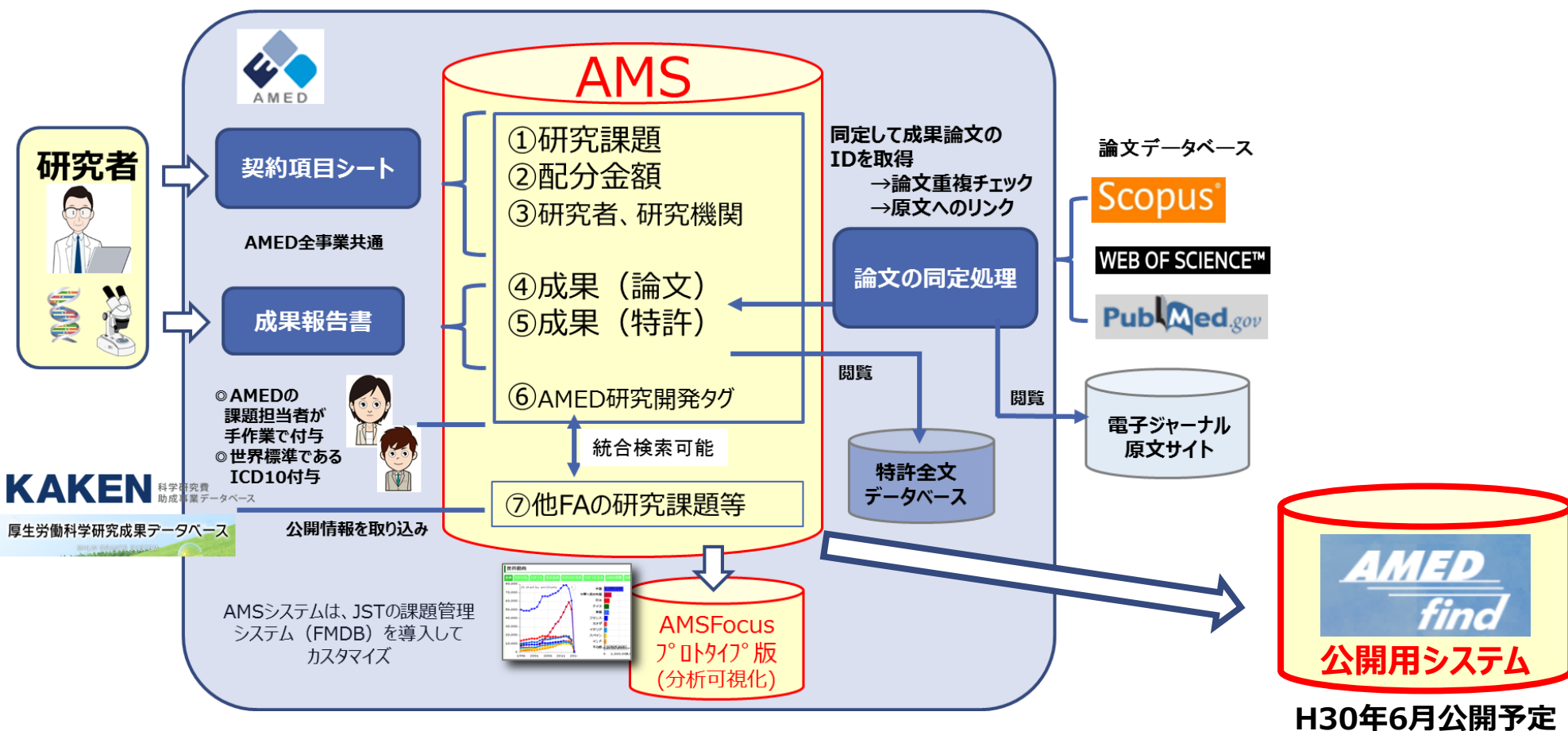
② 新財務会計システム



Ⅱ(2)業務の電子化に関する事項

③ AMED find

- ☆ AMEDが資金配分する研究開発課題の成果を検索可能な形で公開することで研究開発を更に促進
- ☆ 疾患名などのキーワード、研究開発タグを利用して様々な視点から情報の検索・俯瞰が可能



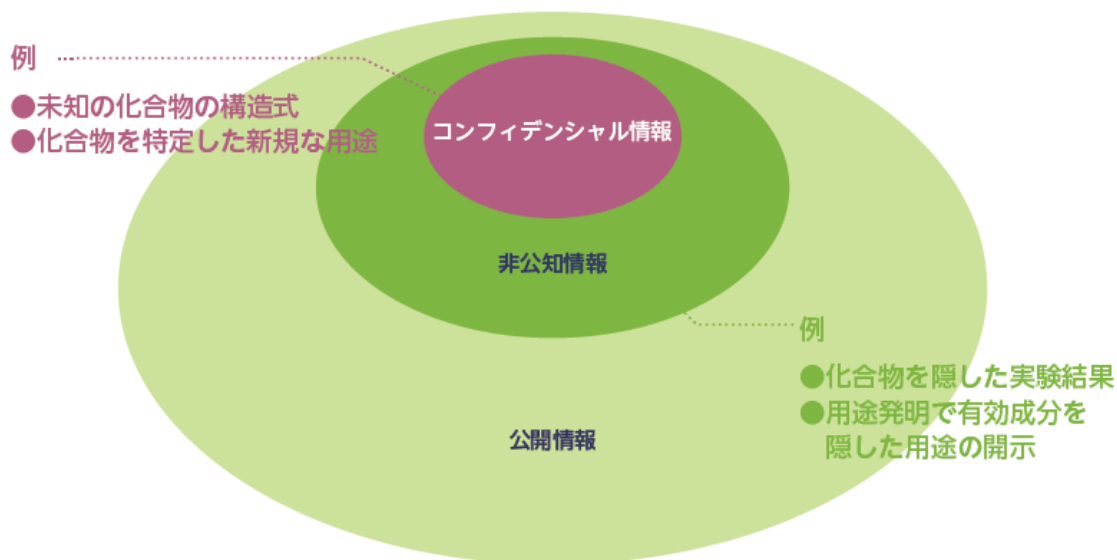
Ⅱ(2)業務の電子化に関する事項

④ AMEDぷらっと

☆ 医薬品に関するアカデミアの研究シーズと企業ニーズのマッチングの場を提供し、研究成果の実用化を促進



AMEDぷらっとで扱う情報は「公知情報」と「非公知 かつ ノンコンフィデンシャル情報」



「AMEDぷらっと」のメリット

アカデミア	- 研究シーズを複数企業にアピール - 早期に企業と連携することで研究費、特許出願、特許維持の負担軽減 - 非公知ネットワークなので特許出願前でも新規性を失わない
企業	- 研究シーズに早期にアクセス - 厳秘情報を含まないの安心して情報交換

Ⅱ(2)業務の電子化に関する事項

⑤ AMEDホームページ刷新

公募情報の提供等により、AMEDホームページのアクセス数は着実に増加しており、今後も研究者等による閲覧の増加が期待される。

トップページの充実(キービジュアル、サイト内検索、キーワード検索、他)



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development

日本語 | English

採用情報 | 情報公開 | アクセス | お問い合わせ | メールマガジン登録

サイト内検索

AMEDについて | 事業紹介 | 公募情報 | 事業の成果 | ニュース

更新日：平成30（2018）年4月18日
「臨床研究法施行に伴う対応について」
随時内容を更新しますのでご留意下さい。

臨床研究法施行に伴う対応について

キーワードから公募情報を検索できます。

キーワードを入力

検索

絞込検索

公募一覧

平成30年4月17日
平成30年度（情報更新）「医療研究
開発革新基盤創成事業（CICLE）」に

公募予告一覧

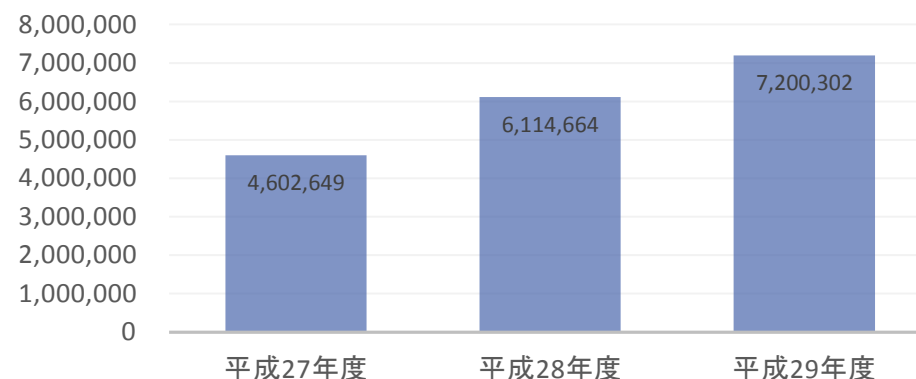
平成30年4月19日
平成30年度【公募予告】「医療機器
開発推進研究事業」に係る公募につ

採択一覧

平成30年4月17日
平成30年度「再生医療実現拠点ネッ
トワークプログラム（幹細胞・再生

AMEDホームページ(*)におけるアクセス数
(ページビュー数)の推移

(単位:件)



* URLが <https://www.amed.go.jp/> で始まるウェブページのみ。

公募情報検索機能の強化

研究者が求める公募情報を様々な切り口
(公募の段階、分野、開発フェーズ)
で絞り込んで検索・閲覧可能

Ⅱ(2)業務の電子化に関する事項

評価軸

電子化の促進等により事務手続きの簡素化・迅速化を図るとともに、機構の制度利用者の利便性の向上に努めたか。

- 各事業部の業務見直し等を踏まえ、課題評価業務(事前・中間・事後)の効率化、ペーパーレス化を推進するため、オンライン課題評価システムを開発した。日英二か国語にも対応。
- 契約管理機能を内包する新財務会計システムを開発した。
これにより、研究開発課題ごとの予算執行状況の把握と進捗管理が容易になった。
- AMEDの研究開発の課題とその成果のデータベース化を進めるとともに、AMED外の研究者、市民等がインターネット経由で検索、閲覧できる一般公開版AMS(AMED find)を構築した。
- アカデミアの研究シーズと企業ニーズの相互マッチングを図り、研究開発成果の早期実用化を促すことを目的とする新規システム「AMEDぷらっと」を開発した。
- AMEDホームページを刷新し、キーワード検索の強化、公募情報検索の充実、スマホでも見やすい画面の導入、公募進捗を俯瞰できるページの新設などにより、制度利用者の利便性を高めた。

評価軸

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を図ることとする。情報システム、重要情報への不正アクセスに対する十分な強度を確保するとともに、震災等の災害時への対策を確実に行うことにより、業務の安全性、信頼性を確保したか。

- 不正侵入リスクの低減及び発生時の被害拡大防止を図るため、基盤情報システムの運用支援業務(外部委託)を拡充し、サイバー攻撃に精通したオペレーターとアナリストが、不正侵入防御装置のアラート及び各種システムのログを常時監視するサービスの利用を開始した。
- 想定を超える災害に備えるため、AMED基盤情報システムのバックアップデータを遠隔地にある第二のデータセンターに自動転送して保存する運用を開始した。

Ⅱ(2)業務の電子化に関する事項

評価軸

業務・システム最適化計画を策定するとともに、当該計画に基づき、業務・システムの最適化を実施したか。

<評価指標>

・業務・システム最適化計画の策定・実施状況

- 業務・システムの最適化を実現する上で、システム基盤の更改は、最も重要な機会であり、次期基盤情報システムへの更改を活用して最適化を進める。
- 平成29年度は、まず、次期システムの方向性をAMED内で共有するため、全役職員を対象に説明会を開催し、利用シーンに応じた端末や主要なシステムの利用イメージを提示した。その後、アンケート調査を実施し、職員と業務システムの担当者から意見を集約した。
- 平成28年度に策定した最適化計画を軸に、職員のニーズ、技術動向調査、ベンダー調査の結果を盛り込み、次期基盤情報システムの実装方針書と調達仕様書案を作成した。
このように、最適化計画を踏まえた次期基盤情報システムの調達に向け、着実に準備を進めた。

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(人件費の見積りを含む。)、収支計画及び資金計画



評定(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27年度、平成28年度の運営費交付金債務については、執行計画に沿って執行してきており、その一部(約2.4億円)について引き続き、中長期目標期間中の執行が見込まれている。

・平成29年度においては、革新基盤創成事業における開発支援案件等により運営費交付金債務(約6.6億円)が生じている。

- ・平成29年度運営費交付金債務見込み
:約 902百万円
- ・平成28年度運営費交付金債務(確定額)
:1,204百万円
- ・平成27年度運営費交付金債務(確定額)
:1,060百万円



※記載数値については、仮集計値である。
(運営費交付金債務は、会計監査人(監査法人)による決算監査において、次年度に繰越しする内容として適切であるかの確認を経た上で決定する。)

Ⅲ(1)予算(人件費の見積りを含む。)、収支計画及び資金計画



評価軸

各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を厳格に分析し、減少に向けた努力を行ったか。

各年度期末における運営費交付金債務の状況(評価指標)

＜29年度決算は未確定であり、運営費交付金債務について、監査法人との摺合せ後に確定するため、以下、未定稿＞

- ・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・確認作業を予算執行調査として定期的に行うとともに、適正な執行となるよう指示等を行った。
- ・運営費交付金債務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、運営費交付金債務の計上を行った。

その結果、平成29年度運営費交付金債務は、平成28年度の4分の3となり、その多くについても、用途決定した契約済みであり、着実な執行となり、平成29年度執行額をⅡ－(1)－⑤業務運営の効率化に関する事項中の業務の効率化において設定する基準指標額の設定も実現できたと判断する。

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。
---------------	------------

○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>

	H29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 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



評定(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た。

- ① 前年度に新規取得した取得額50百万円以上の委託研究由来取得資産
：物品所在地に赴き、活用・管理状況を確認

- ② 取得額50百万円未満の委託研究由来取得資産
：抽出した対象について、物品所在地に赴き、活用・管理状況を確認

- ③ 不用財産又は不用財産が見込まれる場合には
不用決定を行い処分
※現在決算作業中で処分件数等未確定
※補助金により取得した処分制限財産は
処分実績なし

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

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



評価(自己評価)

—

実績なし。

【実績】

○実績なし。

VII 剰余金の使途

VII 剰余金の使途

評定(自己評価)

—

実績なし。

【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。AMED設立以来、目的積立金は生じておらず、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

評定(自己評価)

B

- ① 目標・計画に基づき、平成29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した。
- ② 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更新するとともに、モニタリングを実施した。
- ③ 役職員を対象に、内部統制に関する研修を実施するなど、着実な業務運営がなされている。

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29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議論し、方針を決定した。

② 文書化成果物の見直し、策定

内部統制推進委員会で策定した、業務記述書、業務フロー図、リスクコントロールマトリクス(RCM)(以下「3点セット」)について、現状の業務内容との整合が取れるよう見直しを行うとともに、新たに設置された革新基盤創成事業部にかかる3点セットを作成した。

③ モニタリングの実施

内部統制が図られているか、実効性を確認するため、策定した3点セットにより自己点検を行った(モニタリング)。

④ 文書化成果物の共有

平成29年度に策定した3点セットについて、AMED掲示板に掲示することにより、全職員に共有した。

⑤ 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。

Ⅷ(1)内部統制に係る体制の整備

① 内部統制推進委員会等の開催

①ー1 内部統制推進委員会

開催日 第1回 7月10日(月)
第2回 12月18日(月)
第3回 3月27日(火)

①ー2 リスク管理委員会

開催日 第1回 7月10日(月)
第2回 12月18日(月)
第3回 3月27日(火)

② 文書化成果物の見直し、策定

③ モニタリングの実施

④ 文書化成果物の共有

平成28年度に策定した、業務記述書、業務フロー図、リスクコントロールマトリクス(RCM)(以下「3点セット」)について、現状の業務内容との整合が取れるよう見直しを行うとともに、革新基盤創成事業部にかかる3点セットを策定し、モニタリング(自己点検)を実施

⇒ 第2回内部統制推進委員会(12月18日(月))で報告

⑤ 内部統制に関する研修の実施

⑤ー1 基礎編 204人 参加

開催日 第1回 10月12日(木)
第2回 19日(木)

⑤ー2 応用編 253人 参加

開催日 第1回 12月13日(水)
第2回 14日(木)

VII(1)内部統制に係る体制の整備

評価軸

内部統制については、法人の長による法人運営の基本理念／運営方針／職員の行動憲章を定めるなど、必要な取組を推進したか。

- 内部統制推進委員会等の開催
- 文書化成果物の見直し、策定
- モニタリングの実施
- 文書化成果物の共有
- 内部統制に関する研修の実施

前々頁①を参照のこと

前々頁②を参照のこと

前々頁③を参照のこと

前々頁④を参照のこと

前々頁⑤を参照のこと

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

評定(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等を通じて、役職員倫理規程の周知を図るとともに、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周知するなど、着実な業務運営がなされている。

① 意識向上のための研修の実施

職員に対し、コンプライアンス意識の啓発のために、研修を計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>：平成29年度 326名

② 規程の周知

- 課長相当職以上の役職員に四半期毎の贈与等報告書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た。
- 平成29年1月より施行した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、職員に複数回周知した。
- 職員に対して、コンプライアンス意識を啓発するため、役職員倫理規程の周知を図る等の職員研修を計3回実施した。(再掲)

■ 意識向上のための研修の実施

- ・ 職員に対して、コンプライアンス意識の啓発のため研修を計3回実施した。
- ・ 開催日 平成29年12月6日(水)・20日(水)・21(木)
- ・ コンプライアンス研修の参加者数 3回 計 326名

評価軸

コンプライアンス体制について、必要な規程を整備するとともに、定期的な取組状況の点検や職員の意識浸透状況の検証を行い、適宜必要な見直しを行ったか。

■ 意識向上のための研修の実施

前ページ ①を参照のこと

■ 規程の周知

前ページ ②を参照のこと

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、取組等について諸事情を踏まえて総合的に勘案した結果、下記のとおり「研究開発成果の最大化」に向けて、着実な業務運営がなされているため、評定をBとする。

① 情報公開

1. 開示請求

機構の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を行っており、今年度3件(請求実績別紙)の法人文書開示請求がなされ、法に基づき適切に対応した。開示決定に関する審査請求、訴訟はなかった。

2. ホームページ関連

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。

(続き)また、AMEDの制度利用者や利用を検討する者等の更なる利便性向上、世間一般へのより効果的な情報発信等のため、平成29年11月、AMEDホームページのリニューアルを行った。

② 個人情報の保護

保有個人情報の不適正管理事案(漏えい、滅失、き損)が発生しないよう役職員に規則等の周知徹底及びe-ラーニングによる研修(受講実績別紙)等を行った。また、改組に伴う個人情報保護規則の改正に適切に対応した。

VIII(3)情報公開の推進等

①情報公開

①-1 開示請求

法人文書開示請求の実績

年度	開示請求件数	開示決定件数
平成27年度	2件	2件
平成28年度	5件	5件
平成29年度	3件	3件

②個人情報保護

e-ラーニング研修受講の実績

受講対象者数	未ログイン者数	修了者数	ログイン率	修了率
527人	0人	527人	100%	100%

評価軸

AMEDの適正な業務運営及び国民からの信頼を確保するため、適切かつ積極的に情報の公開を行うとともに、個人情報の適切な保護を図る取組を推進したか。

■ 情報公開

前ページ①を参照のこと

■ 個人情報の保護

前ページ②を参照のこと

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

評定(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、基盤情報システムを対象に外部監査を実施しており、目標の水準を満たしている。

① 情報セキュリティ研修

①-1 集合研修

- メール誤送信、標的型メール攻撃、インシデント発生時の対応等に焦点を絞った集合研修を実施

①-2 e-ラーニング

- 「ケースで学ぶ情報セキュリティの最新脅威」
- 今年度から派遣職員も対象に加えて実施
- 修了者数 527 名（受講率100%）

② 標的型攻撃メール訓練

- 擬似的な攻撃メールを2回送信する訓練
- 2回とも不審なメールと判断し、適切に対応した職員の割合は91%で、昨年度の74%より向上

③ 自己点検

- ポリシー遵守状況を確認(回答率 82%)

④ 情報セキュリティ監査

(監査人を有する機関による助言型監査)

- 基盤情報システムを対象に、情報セキュリティポリシーに基づいた情報セキュリティ対策実施状況の監査を実施
- 適合事項 61件、指摘事項 2件、観察事項 3件
- 指摘事項及び観察事項は、システムの運用支援に関する外部委託契約(仕様書)の修正等により対応済み

⑤ 情報セキュリティポリシーの改訂等

- 「政府機関の情報セキュリティ対策のための統一基準(平成28年度版)」への準拠性を高めるため、情報セキュリティポリシーを改訂
- 情報セキュリティポリシーに基づく実施手順を整備した

VⅢ(4)情報セキュリティ対策の推進

評価軸

適切な情報セキュリティ対策を推進したか。

- 前ページ①～④に記載のとおり、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、基盤情報システムを対象とする外部監査を実施し、着実な対策が実施されている。

<モニタリング指標>

研修(e-ラーニング)参加者数

	平成29年度（派遣職員を含む）	（参考）平成28年度（派遣職員を含まず）
研修参加者数	527	479

Ⅷ その他主務省で定める業務運営に関する事項

(5) 職員の意欲向上と能力開発等

VII(5)職員の意欲向上と能力開発等

評定(自己評価)

B

①人事評価制度の運用・定着を図るとともに、評価結果については、契約更新の判断材料に用いるとともに職員のモチベーションの向上及び異動、昇任等に反映させた。②AMEDプログラムオフィサー制度についてプロジェクトマネジメント能力優れ、業績をあげている職員の認定を図った。③業務の効果的、効率的な実施を図るため基礎研修を実施、また④職員の能力開発に資する研修も実施した。⑤女性の活躍躍進・介護等の制度を整備し、適切に運用した。

① 人事評価制度の運用・定着

①-1 人事評価については、業績評価と発揮能力評価を計画通り実施した。また管理職を対象とした評価者研修を実施

①-2 評価結果については契約更新の判断材料に用いるとともに昇給、昇任、異動、期末手当等にも反映する。

②AMEDプログラムオフィサー(AMED-PO)制度の策定、認定等の運用

・研究開発プロジェクトマネジメント能力等に優れた職員を「AMEDプログラムオフィサー」として認定。

平成29年度はAMED-POとして24名認定。

③基礎研修

・業務の効果的、効率的な実施及び基礎事項の周知、徹底等に資する研修を開催した。

④能力開発研修

・職員の能力開発に資する基礎的な知識、実践的な知識の取得を目的とした研修を開催した。

⑤女性の活躍躍進・介護等制度の整備

・男女共同参画を推進するため制度を設け、適切に運用した。

①人事評価制度の運用・定着

①-1 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29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30年1月に業績評価、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、定着を促進した。(参加者16名)

①-2 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30年度契約更新の判断材料とし、平成30年度の昇給へ反映、平成30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28年度の評価結果を平成29年7月の昇給及び期末手当に確実に反映。なお、平成29年度の評価は4月に業績及び発揮能力評価を行い、平成30年度の昇給、期末手当へ反映を予定

②AMEDプログラムオフィサー(AMED-PO)制度の策定、認定等の運用

- ・平成29年度AMED-PO認定者数:24名(累計87名)

VⅢ(5)職員の意欲向上と能力開発等



③基礎研修

- ・AMED全体研修:平成29年4月5日～27日に延べ10回開催 参加者404名
- ・文書管理研修:平成29年4月5日および17日 参加者95名
- ・ハラスメント研修:平成29年8月23日および9月6日 参加者214名
- ・メンタルヘルス研修:平成29年8月23日および9月6日 参加者206名
- ・コミュニケーション研修:平成29年11月17日 参加者16名
- ・英会話研修(基礎コース):平成29年12月6日～平成30年1月25日に延べ5回開催 参加者38名
- ・英会話研修(中級コース):平成29年12月6日～平成30年1月25日に延べ5回開催 参加者17名
- ・英文E-mail研修(基礎コース):平成30年2月14日 参加者14名
- ・英文E-mail研修(中級コース):平成30年2月15日 参加者9名
- ・人事評価制度研修(評価者向け):平成29年10月4日 参加者16名

基礎研修等参加者数:延べ1029名

VII(5)職員の意欲向上と能力開発等



④能力開発研修

職員の能力開発について、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計画を策定し、PD、内外部講師及び外部関係機関等の協力を得て以下を実施した。

- ・知的財産に関する研修会：平成29年6月2日「CRISPER-CAS9の特許動向」(橋本弁護士、参加30人)
平成29年11月9日「アメリカ最新特許法アップデート」(土井弁護士、参加15人)
- ・医療研究開発業務基礎研修：平成29年5月23日～平成29年12月29日の期間に27回、出席者延べ約1,628名 機構においてファンディング業務等に従事する職員が、臨床研究を含む医療研究開発に係る全般的な基礎知識(医薬品、医療機器の開発・実用化プロセス、GCP等の規制要件、研究公正・研究倫理等)を得るための研修として、機構の事業部横断的に研修を実施
- ・研究開発プログラム・マネジメント研修：新たな専門業務研修として、臨床研究・治験業務及び組織管理業務の実践において必須となるプロジェクト・マネジメントの基本概念、知識体系、マネジメント・プロセス、各種技法について習得することにより、プロジェクト・マネジメント力を向上させ、利害関係者との質の高いコミュニケーションを構築・維持することにより、効果的な業務実施、進捗管理・課題解決を推進することを目的として開催。平成29年7月26日(参加78名)、8月2日(70名)、8月3日(76名)
- ・その他、JST/研究開発戦略センター(CRDS)による「CRDS研究開発の俯瞰報告書(2017年)の紹介」に関する講演会(平成29年6月26日、参加者40名)等を開催

能力開発研修等参加者数：延べ1,927名

VⅢ(5)職員の意欲向上と能力開発等

⑤女性の活躍促進、育児・介護等制度の整備

AMED職員の取得、利用状況(平成29年度)

	男性	女性	合計
育児・介護休業や部分休業	2	11	13
早出勤務	1	12	13
介護休業	0	1	1
合計	3	24	27

VII(5)職員の意欲向上と能力開発等

評価軸

個人評価においては、適切な目標を設定し、その達成状況を多面的かつ客観的に適切にレビューすることにより、評価結果を賞与や昇給・昇格に適切に反映させるとともに、職員の勤労意欲の向上を図ったか。

評価については管理職に対し評価制度研修を行うなど適切な運用、定着を図った。
評価結果については昇任、昇格、期末手当等に反映させる等職員の勤労意欲の向上を図った。

評価軸

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

職員の能力開発に資する研修を行った。詳細は基礎研修、能力開発研修を参照。

評価軸

女性の活躍を促進するための取組を推進したか。

女性の活躍を促進するための各種制度を設け、利用促進に努めた。取得利用状況は女性の活躍促進、育児・介護等制度の整備を参照。

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

評定(自己評価)

B

①人事評価制度の運用・定着を図るとともに、評価結果については、契約更新の判断材料に用いるとともに職員のモチベーションの向上及び異動、昇任等に反映させた。②人材育成、業務の効率化等に資する様々な研修を開催した。③適切な労務管理のため、義務化されたストレスチェックを実施するとともに、高ストレスと評価された職員に対しては医師による面談、カウンセリングを実施する等適切な対応を行った。

① 人材配置

- ①-1 人事評価については、業績評価と発揮能力評価を計画通り実施した。
- ①-2 評価結果については契約更新の判断材料に用いるとともに昇給、昇任、異動、期末手当等にも反映する。

② 人材育成

- ②-1 業務の効果的、効率的な実施及び基礎事項の周知、徹底等に資する研修を開催した。
- ②-2 職員の能力開発に資する基礎的な知識、実践的な知識の取得を目的とした研修を開催した。

③ 適切な労務管理

- ③-1 職員の超過勤務状況については月1回開催される安全衛生委員会へ報告するとともに、産業医から助言を受け対応を図っている
- ③-2 ストレスチェックを実施し、高ストレスの職員に対しては医師または産業医による面談、カウンセリングを実施した。
- ③-3 短期集中する業務については、派遣職員を導入する等して、職員の業務軽減を積極的に図っている。

Ⅷ(7)職員の人事に関する計画

①人材配置

①-1 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29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30年1月に業績評価、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、定着を促進した。

①-2 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30年度契約更新の判断材料とし、平成30年度の昇給へ反映、平成30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28年度の評価結果を平成29年7月の昇給及び期末手当に確実に反映。なお、平成29年度の評価は4月に業績及び発揮能力評価を行い、平成30年度の昇給、期末手当へ反映を予定
- ・評価結果を踏まえ、人員配置(昇任、異動)に反映する。

②人材育成

②-1 基礎研修についてはⅣ-(5)職員の意欲向上と能力開発等を参照

②-2 能力開発研修についてはⅣ-(5)職員の意欲向上と能力開発等を参照

Ⅷ(7)職員の人事に関する計画

③適切な労務管理

③-1 安全衛生委員会を下記日程で開催

4月度:4月20日(木)	10月度:10月20日(金)
5月度:5月18日(木)	11月度:11月 9日(木)
6月度:6月15日(木)	12月度:12月21日(木)
7月度:7月20日(木)	1月度: 1月18日(木)
8月度:8月24日(木)	2月度: 2月15日(木)
9月度:9月21日(木)	3月度: 3月15日(木)

③-2 ストレスチェックを実施、受診率は約86%だった。

③-3 外部委託の推進

募集、採択、契約など短期集中する業務について、派遣職員を導入し、職員の業務の軽減を図った。

VII(7)職員の人事に関する計画

評価軸

人材の配置に関する運用は適切か。

職員の経験、能力を踏まえ、適正な配置を行った。

評価軸

人材の育成に関する運用は適切か。

業務の効果的、効率的な実施を図るため基礎事項の周知、徹底を図る基礎研修、職員の能力開発に資する実践的な知識の取得を図ることを目的にした能力開発研修研修を踏まえ人材育成する機会を適正に提供した。

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

評定(自己評価)

B

中長期計画を超える債務はあるが、いずれも毎年度予算措置される運営費交付金の範囲で賄えるものと考えており、資金計画にも影響はない。

【実績】

○中長期目標計画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っている。
(平成29年度末時点の債務負担額: 56,573千円)

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) —	実績なし。
---------------	-------

【実績】

○積立金はないため、実績なし。