

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構 御中

AMED の事業運営における定量化と可視化に資する
基盤情報整備に関する調査

最終報告書

平成30年10月

EY 新日本有限責任監査法人

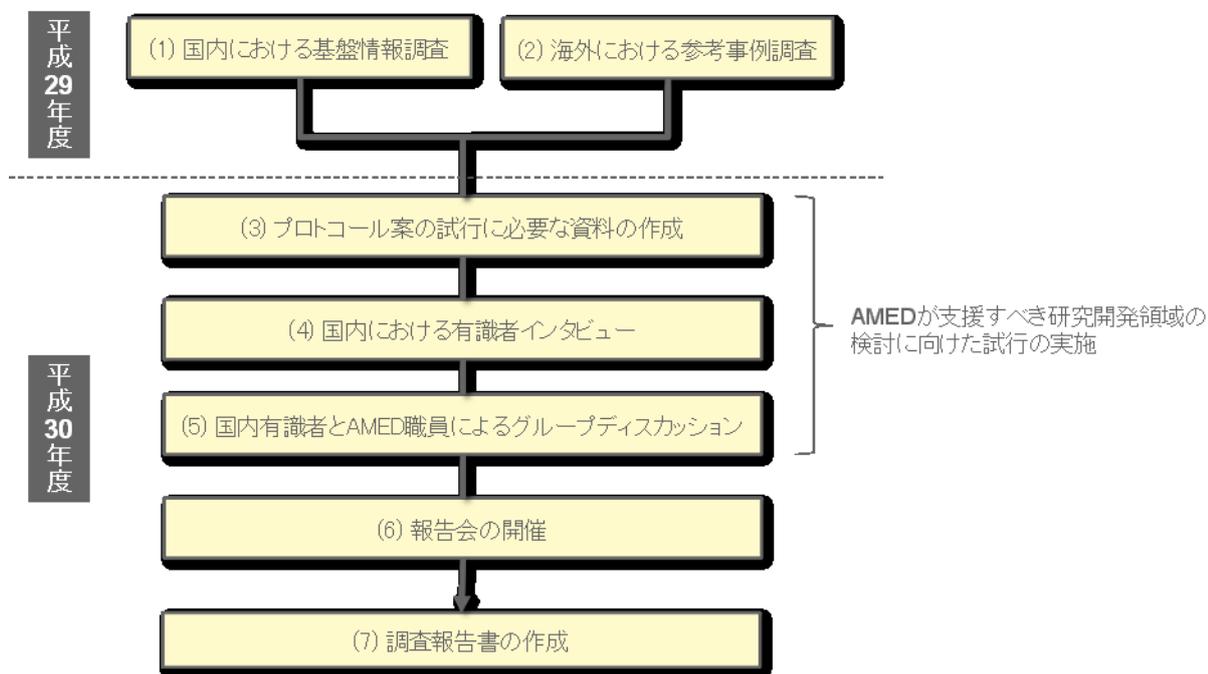
本報告書は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構による「AMEDの事業運営における定量化と可視化に資する基盤情報整備に関する調査」事業について、EY新日本有限責任監査法人が実施、成果を取りまとめたものです。

エグゼクティブサマリー

本調査は、国立研究開発法人 日本医療研究開発機構（以下、AMED という）が支援すべき医療研究開発領域の検討や事業運営における定量情報の活用と透明性の確保、つまり Evidence-Based Funding における、基盤情報の取得手法開発、分析体制構築案の検討に資する参考情報の収集と整理、有識者の意見収集と集約を目的とする。

本調査の全体像（図表 1）に示すとおり、本調査は7つの項目より構成される。まず、平成 29 年度において、(1) 国内における基盤情報調査、(2) 海外における参考事例調査を実施した。国内外の調査調査結果を踏まえたうえで、平成 30 年度において、AMED が支援すべき研究開発領域の検討に向けた試行を実施した。試行の実施では、「AMED が支援すべき研究開発領域の検討手法」のプロトコル案を作成し、作成したプロトコル案に基づいて (4) 国内における有識者インタビュー、(5) 国内有識者と AMED 職員によるグループディスカッションを行った。一連の調査結果を取りまとめ、報告会を開催し、調査報告書を作成した。

図表 1 本調査の全体像



出所) 仕様書より EY 作成

(1) 国内における基盤情報調査の結果

国内における基盤情報調査では、AMED が今後の事業運営を検討するうえで、考慮すべき公衆衛生・社会経済的定量指標を網羅的に抽出すること、また、今後国民にとって深刻になる可能

性がある社会・経済的課題に対して推進すべき健康・医療分野の研究開発領域を検討するために有効な定量指標を探索・整頓することを目的に、机上調査・現地調査を行った。

調査視点としては、研究者が研究・開発を行う環境から、発見された化合物が検証され、発売されて疫学的・経済的・社会的課題の解決につながるまでの、ライフサイクル全体を網羅するために、「1. 疫学的・経済的指標」、「2. 社会・経済的インパクト」、「3. 研究開発及び市場の競争力」、「4. 生物・医学分野及び近接分野の研究動向」、「5. 研究開発環境」、「6. 企業のニーズとアカデミアのシーズに関する動向」の6つを設定した。

机上調査では、公的機関あるいは公的資金による調査体制によって、継時的に収集・集計され、公表されている定量指標の網羅的抽出を行った。また、公的・民間を問わず、日本の健康・医療分野における疫学的・経済的・社会的現状や課題、研究開発環境の現状や課題、また将来に向けての提言についての調査報告書や研究レポートで、定量指標を利用、あるいは独自に集計・分析しているものも調査対象とした。その結果、6つの調査視点に対して計986件の指標が抽出された。そのうち、本調査の目的に合致しない指標を除外した結果、231件が得られた。

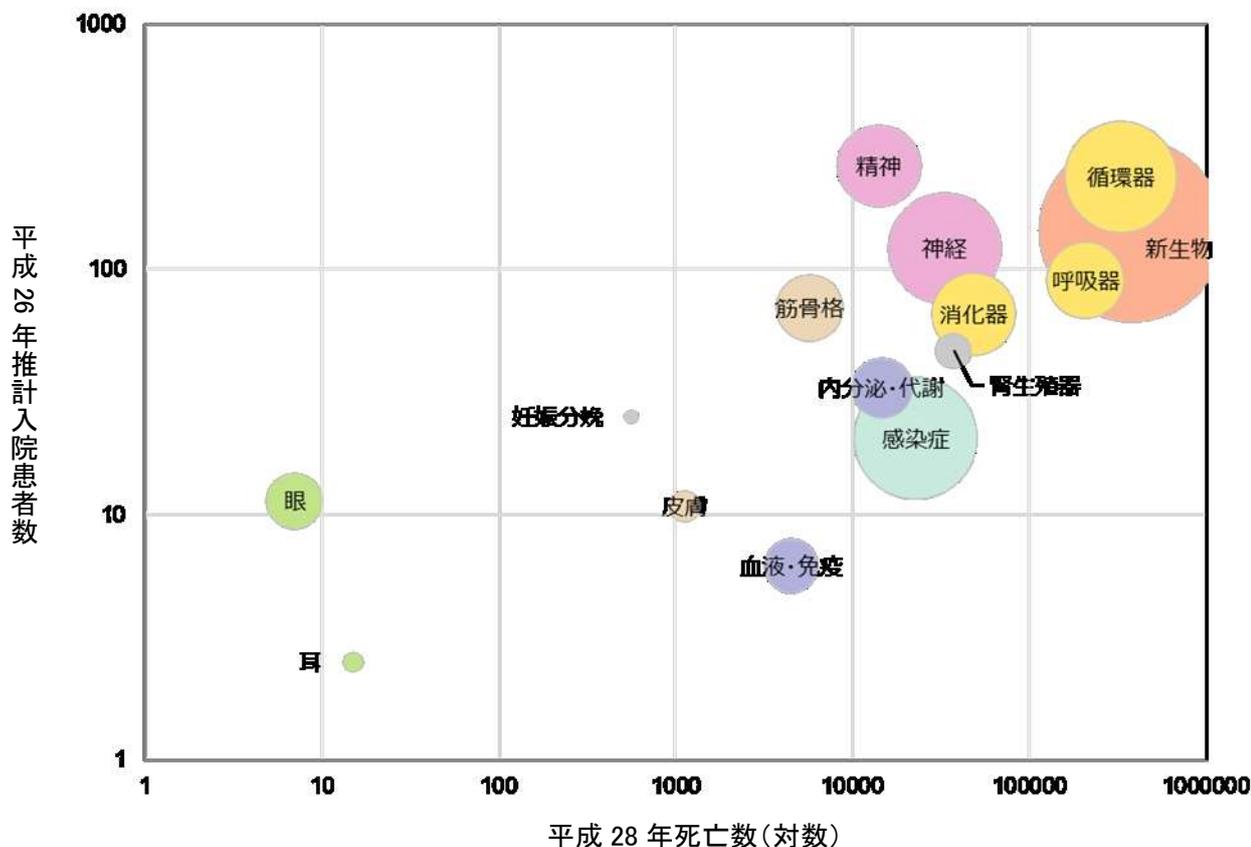
次に、健康・医療分野における課題が大きく、既存の解決法や、既存技術、民間投資が不足している分野の抽出・可視化の方法として、マトリクス分析を検討した。マトリクス分析は、一般的に、企業等の事業戦略や研究開発戦略の策定等において、投資すべき分野・領域の分析・検討に用いられるためである。疫学的・社会的・経済的課題に関する仮説を挙げ、それらの課題との対応関係が想定された定量指標を整理し、分析に用いた。また、特に研究開発環境や成果に関する指標で机上調査の結果得られていないものについては、現地調査を行い、その結果を踏まえて追加的に収集・作成を行った（図表2）。

マトリクス分析では、以下の課題仮説・視点を設け、分野の抽出を検討した。

- ・ 疫学的・経済的・社会的課題: 重篤化する疾患、小児で重篤化する疾患、外来が主体で患者数が多い疾患、健康寿命の低下につながる疾患、将来的な患者数増加が懸念される疾患
- ・ 研究開発環境の課題: 治療満足度や治療選択肢が未充足の疾患、直い将来に治療選択肢増が期待しにくい疾患

その結果、課題が存在するものの投資が活発な領域と、課題が存在するにもかかわらず治療選択肢が少ない上に、近い将来にも選択肢増が期待しにくく、投資も多いとは考えにくい領域の存在が示唆された。

図表2 マトリクス分析の例：
死亡数（横軸）×推計入院患者数（縦軸）×AMED 投資額（バブルサイズ）



出所) 調査結果よりメディリード作成

上記定量指標及び分野抽出の検討内容に基づき、本年4月以降に実施した有識者インタビュー、グループディスカッション等の参考資料を作成した。

(2) 海外における参考事例調査の結果

海外における参考事例調査は、Evidence-Based Fundingにおける、基盤情報の取得手法開発、分析体制構築案の検討に資する参考事例として、3つの国際機関、8つの国地域による合計25の取組を選定し、調査対象とした。

本調査の対象とした取組は、公共政策を推進するために広い概念を形成し、グローバルレベルでのコンセンサスを得るものから、研究資金配分機関が具体的な研究開発領域の設定を行う取組まで、取り扱う範囲が多様であった。そのため、調査結果をもとに、今回の調査対象を(1)上位概念、(2)政策形成、(3)研究開発マネジメント、(4)情報ツール、という4つの項目に分類し、項目毎に各取組の特徴について整理した。

(3) 研究開発マネジメントは、さらに、予算戦略(分野等)、研究開発領域設定、研究開発・公

開、企画・公募・採択、研究管理・支援、という5つのフェーズに分け、このうち、今回の調査対象を1) 予算戦略（分野等）、2) 研究開発領域設定、3) 研究評価・公開の3つのフェーズに分類した。

海外における参考事例調査結果の全体像は以下のとおりである（図表3）。

図表3 調査対象の分類

<p>(1)上位概念</p>	<ul style="list-style-type: none"> ◆ 2030 Agenda for Sustainable Development (国連) ◆ Health in All Policies (WHO) ◆ Social Determinants of Health (WHO) ◆ Determinants of Health (カナダ)
<p>(2)政策形成</p>	<ul style="list-style-type: none"> ◆ FRESHER (EC) ◆ 2025 – Vision for Science choices for the future (オランダ) ◆ National Foresight Cooperation (フィンランド) ◆ Russian S&T Foresight (ロシア)
<p>(3)研究開発 マネジメント</p>	<div style="text-align: center;">  </div> <ul style="list-style-type: none"> ◆ European Research Area (EC) ◆ RePORT (米国・NIH) ◆ Researchfish (英国) ◆ The BNCT's work programme (OECD) ◆ Open Science Monitor (EC) ◆ GtR (英国・RCUK) <div style="display: flex; justify-content: space-between; margin-top: 10px;"> <div style="width: 45%;"> <p>1) 予算戦略(分野等)</p> <ul style="list-style-type: none"> ◆ BOHEMIA (EC) ◆ NIH-Wide Strategic Plan (米国・NIH) ◆ Catapult Programme (英国・Catapult UK) </div> <div style="width: 45%;"> <p>2) 研究開発領域設定</p> <ul style="list-style-type: none"> ◆ Common Fund (米国・NIH) ◆ Research Recommendation (英国・NICE) ◆ NETSプログラムにおける研究トピックの選定 (英国・NIHR) </div> </div>
<p>(4)情報ツール</p>	<ul style="list-style-type: none"> ◆ Innovation Policy Platform (OECD) ◆ Science, Technology and Innovation Outlook (OECD) ◆ Global Burden of Disease, Injuries and Risk Factors Study (米国・IHME)

出所) 調査結果より EY 作成

このうち、(3) 研究開発マネジメントの 2) 研究開発領域設定に分類した取組の特徴について整理する（図表4）。研究開発領域設定には、医療分野における研究開発の推進に向け、研究資金配分機関が助成対象とすべき研究開発領域を設定している取組を分類した。これらの取組は、「AMED が支援すべき研究開発領域の検討手法」におけるプロトコール案の作成にあたり、直接的に参考になる。特に、研究資金配分機関である米国の National Institutes of Health (NIH)、英国の National Institute for Health Research (NIHR) においては、研究開発課題の新規性や重複性を判断するために機関の基盤情報を活用したポートフォリオ分析を実施しているため、AMED における、研究開発領域設定に向けた基盤情報の構築への活用が期待される。また、NIHR をはじめとする英国の研究資金配分機関では、Researchfish という民間サービスを通して、支援中の研究成果情報の効率的な収集のみならず、支援終了後の成果追跡を行い、研究成果の社会的インパクト説明等に活用する取組を始めていることが分かった。

図表 4 研究開発領域設定に関わる海外参考事例の調査結果

取組名	Common Fund	Research recommendation	NETS (NIHR Evaluation, Trials and Studies) プログラムにおける研究トピックの選定
国地域・組織	米国・National Institutes of Health (NIH)	英国・National Institute for Health and Care Excellence (NICE)	英国・National Institute for Health Research (NIHR)
特徴	NIH の各機関の枠にとどまらない分野横断的な研究開発領域の設定と助成を実施。研究開発領域に求める5つのクライテリアを定義し、①科学的なニーズや研究がもたらすインパクトに関する専門家の助言を踏まえた議論による優先順位付け、②ワークショップの開催とポートフォリオ分析による研究開発領域の設定、の手順により、Common Fund の助成対象とする研究開発領域を決定。	診療ガイドラインの作成過程において、①エビデンスが不足している重要なギャップを Uncertainty として特定、② Uncertainty から Research Question に変換して Research recommendation を作成、③ Research recommendation の優先順位付けの実施により、助成対象とすべき研究開発領域を Research recommendation として特定。NICE により特定された Research recommendation は NIHR に提言され、NIHR の内部検討を経て助成対象とする研究開発領域が選定される。	NIHR はエビデンスの利用者と共に、多様なステークホルダーからのリサーチ・エビデンスのニーズに対応する NETS プログラムにおいて、研究の価値を高める枠組みに基づき、①研究者主導のワークストリーム、②委員会のワークストリーム、③主要なステークホルダー（例：NICE 等）との協働により、助成すべき研究トピックを選定。研究トピックの重要性評価のクライテリアの定義、外部の有識者から構成される委員会による研究トピックの優先順位付け、新規性判断のためポートフォリオ分析を実施。
本調査の参考	研究開発領域に求めるクライテリアの設定、優先順位付けする議論に用いる問い、基盤情報を用いたポートフォリオ分析の実施方法	①～③による研究開発領域の設定手法、Research recommendation に対する優先順位付けの判断基準	外部の有識者とエビデンスの利用者を活用した委員会のワークストリームによる研究トピックの選定プロセス、基盤情報を用いたポートフォリオ分析の実施方法

出所) 調査結果より EY 作成

(3) AMED が支援すべき研究開発領域の検討に向けた試行の実施

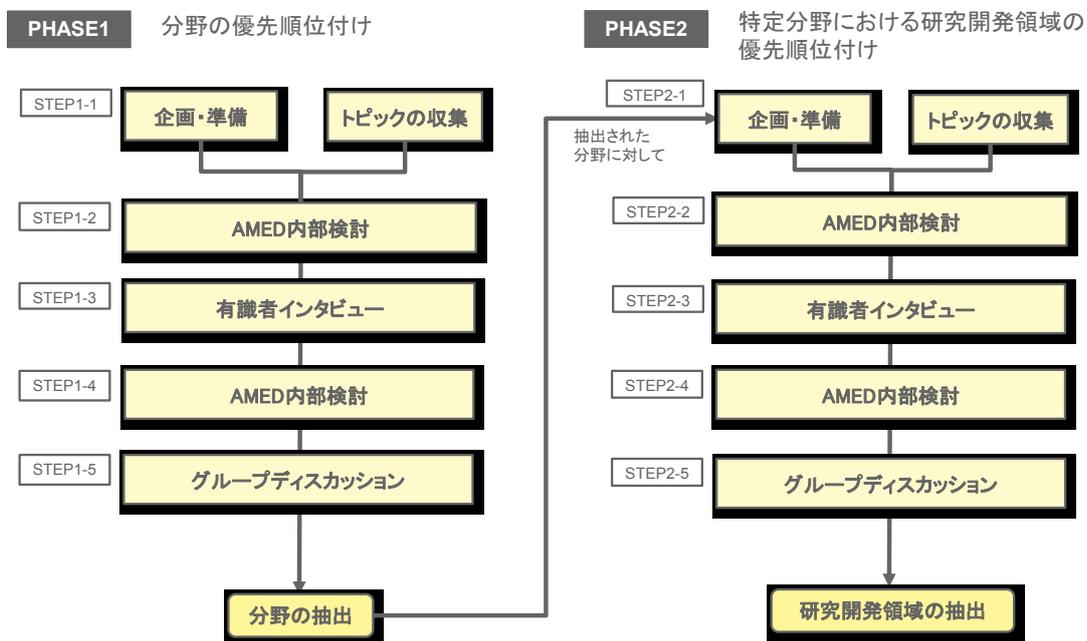
「国内における基盤情報調査」及び「海外における参考事例調査」の結果を踏まえ、「AMED が支援すべき分野・研究開発領域の検討手法」のためのプロトコル案を作成し、その試行を行った。

プロトコル案の試行の目的は、①健康長寿社会の実現、ならびに、AMED が目指す3つのLife（生命・生活・人生）の向上に関する「分野」及び未充足な「研究開発領域」を特定するための手法全般について、有識者より意見・示唆を得ること、②AMED の次期中長期計画（2020年4月1日～2025年3月31日）の策定に向けた機構内検討の参考材料を取得すること、とした。

◆ 「AMED が支援すべき分野・研究開発領域の検討手法」のためのプロトコル案の作成

試行の実施にあたり、「AMED が支援すべき分野・研究開発領域の検討手法」のためのプロトコル案を作成した。本プロトコル案は、PHASE1 と PHASE2 の2つのフェーズから構成される。まず、PHASE1 において「分野」についての優先順位付けを行い、当該フェーズによって抽出された分野に関して、PHASE2 において「研究開発領域」の優先順位付けを行う流れとなっている。PHASE1・PHASE2 いずれも、AMED 内部における企画・準備、トピックの収集からスタートし、有識者に対するインタビュー、有識者と AMED 職員によるグループディスカッションを経て、それぞれ「分野の抽出」と「研究開発領域の抽出」に至るものである。有識者インタビューとグループディスカッションの実施にあたっては、事前に AMED における内部検討を経て準備した。

図表 5 「AMED が支援すべき研究開発領域の検討手法」のフローチャート案



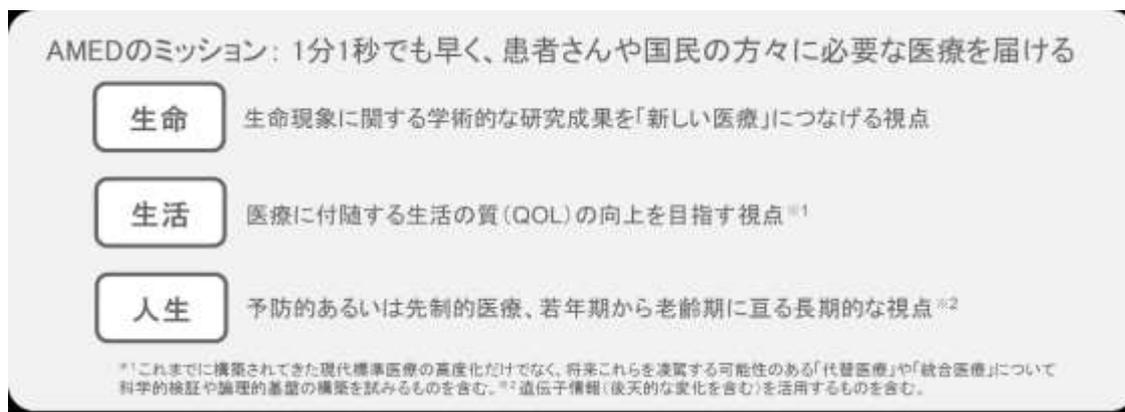
出所) EY 作成

本調査における当該フローチャート案の試行は、時間の制約等により図表 5 のフローチャート案にある PHASE1 から PHASE2 のプロセスを一通り行うのではなく、一部割愛して行った。また、「子どもの健全な成長・発育（ライフステージ）」及び「生活習慣病の予防」の 2 つの分野を予め設定し、PHASE2 はこれら 2 分野における「研究開発領域の優先順位付け」を行うこととし、PHASE1 及び PHASE2 をほぼ並行して実施することとした。

◆ フローチャート案の試行における条件設定とアウトプット

フローチャート案の試行にあたっては、AMED のミッションである「1 分 1 秒でも早く、患者さんや国民の方々に必要な医療を届けることに貢献すること」、ならびに「AMED が目指す『3 つの Life（生命・生活・人生）』の向上に資すること」を、「分野」及び未充足な「研究開発領域」を特定する際の条件として設定した（図表 6）。

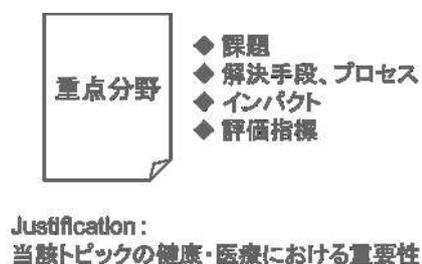
図表 6 AMED が目指す 3 つの Life(生命・生活・人生)



出所) https://www.amed.go.jp/koubo/02/02/0202C_00106.html

PHASE1 (分野の優先順位付け) の試行においては、公的な資源を重点投入すべき重点分野の抽出にあたって、考慮すべきポイントを具体化することをアウトプットとして設定した。具体的には、ある分野における「課題」、その「解決手段」と「プロセス」、それによってもたらされる「インパクト」、インパクトを測定する「評価指標」に関して有識者から意見をいただき、「当該トピックの健康・医療における重要性」を明らかにするためのポイントについての示唆を得ることとした (図表 7)。

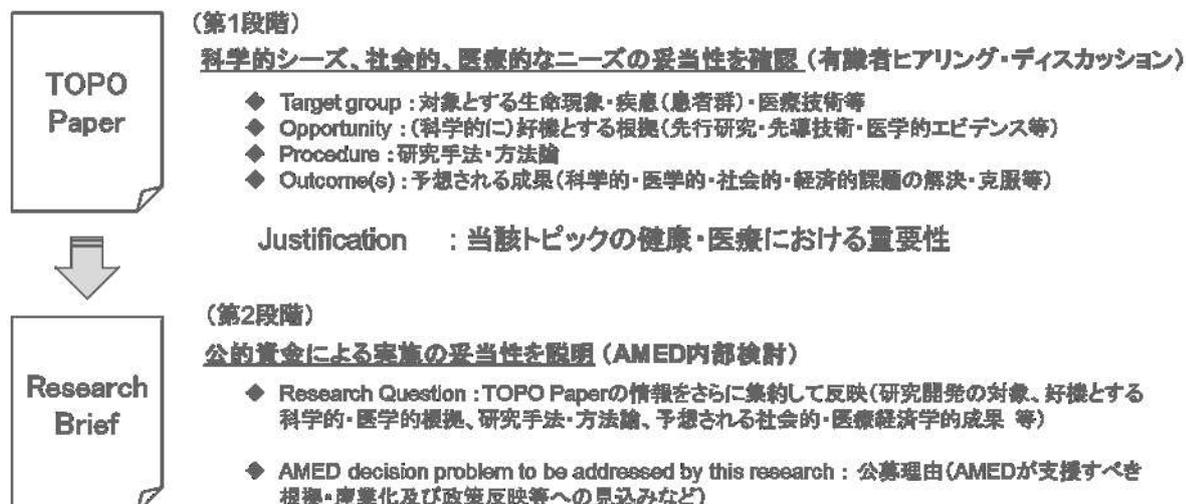
図表 7 想定するアウトプット(PHASE1 分野の優先順位付け)



出所) AMED・EY 作成

PHASE2 (特定分野における研究開発領域の優先順位付け) の試行においては、未充足な「研究開発領域」を特定するため、「TOPO Paper」から「Research Brief」を作成するフローと共に、それぞれのフレームワークを AMED が構築した (図表 8)。このうち「TOPO」のフレームワークは、前述の英国 NIHR による NETS プログラムにおける研究トピックの選定において用いられる「PICO」のフレームワークを参考に作成されたものである。英国 NIHR・NETSCC の Identification Team では、収集した研究トピックの内容と質を確認し、「PICO」のフレームワークに沿って PICO Question に発展させ、研究トピックの重要性を確認している。これを AMED における未充足な研究開発領域の特定という目的に置き換えることで、AMED 独自のフレームワークが構築された。

図表 8 想定するアウトプット (PHASE2 研究開発領域の優先順位付け)



出所) AMED・EY 作成

◆ 国内における有識者インタビューの実施

前述の「AMED が支援すべき分野・研究開発領域の検討手法」のプロトコール案に基づき、国内における有識者インタビューを実施した。PHASE1 (分野の優先順位付け) に関する有識者インタビューでは、公的な資源を重点投入すべき重点分野を明確化するため、各有識者より必要な情報を取得し、取得した情報から重点分野の候補を作成した。

一方、PHASE2 (特定分野における研究開発領域の優先順位付け) では、特定分野として「子どもの健全な発育・成長 (ライフステージ)」と「生活習慣病の予防」を対象として、未充足な研究開発領域の抽出・形成を試みた。有識者から必要な情報を提供いただくためのフレームワークとして前述した TOPO Paper を用い、各分野における研究開発領域の提案をいただいた。有識者の協力を得て、「子どもの健全な発育・成長 (ライフステージ)」では 8 つの TOPO Paper (図表 9) を作成し、「生活習慣病の予防」では 6 つの TOPO Paper (図表 10) を作成した。これらの TOPO Paper を、次のステップであるグループディスカッションにおいて用いた。

図表 9 作成した TOPO Paper（子どもの健全な成長・発育(ライフステージ)）

No.	研究タイトル
TOPO Paper 1	DOHaD 理論に基づく生涯の健康
TOPO Paper 2	低出生体重児の原因と影響の解明による予防法の確立
TOPO Paper 3	ライフステージを通じた小児・AYA 世代の腎臓検診の構築
TOPO Paper 4	小児科医のがん診断を支援する AI 技術の開発
TOPO Paper 5	ライフタイムコホートによるがん発症後の生活状況の長期的な把握
TOPO Paper 6	健全な子どもたちの発達発育を見守ることが可能な社会構造の構築
TOPO Paper 7	川崎病患者におけるライフタイムコホート体制の確立と新たな診療技術の開発
TOPO Paper 8	生活・人生への影響が大きい思春期に発症する精神疾患の生物・心理・社会的研究

出所) 有識者・EY 作成

図表 10 作成した TOPO Paper（生活習慣病の予防）

No.	研究タイトル
TOPO Paper 1	*健康寿命の要因構造の解明とそれを延伸するための研究開発 *医療・介護システムの質・効率・公正性を向上するための研究開発 *健康医療介護システムの全体最適を実現するための研究開発
TOPO Paper 2	早期バイオマーカーの発見と生活習慣情報の統合解析による生活習慣病のリスク要因の特定と予防法の確立
TOPO Paper 3	職場での健康増進による労働生産性への影響および退職後の健康への影響
TOPO Paper 4	医療行為の質、ならびに医療行為によるアウトカム等の可視化に関する研究
TOPO Paper 5	特定の自治体における予防医療の開発・実施による患者数減少・医療費削減の実証研究
TOPO Paper 6	生活習慣病の予防をもたらす社会技術の開発と検証

出所) 有識者・EY 作成

また、分野・研究開発領域の優先順位付けに共通するヒアリング項目として、①基盤情報と定量化と可視化に対する意見、②研究開発の成果・社会的影響の評価指標についても設定し、AMED の事業運営における基盤情報の定量化と可視化の在り方や、AMED が支援すべき研究開発領域の検討手法の考察につなげた。

◆ 国内有識者とAMED職員によるグループディスカッションの開催

有識者インタビューの結果を踏まえて作成した TOPO Paper を検討材料として、国内有識者とAMED職員によるグループディスカッションを開催した。グループディスカッションの目的として、以下の2つを設定した。

- ① 有識者とAMED職員によるグループディスカッションにより、科学的シーズ、社会的・医療的なニーズの妥当性を確認し、未充足な研究開発領域を抽出・形成する。
- ② 上記の取組を通して、研究開発領域の作成と評価に必要な情報・方法についての示唆を得る。

グループディスカッションは計2回の実施とした。第1回グループディスカッションは「子どもの健全な成長・発育（ライフステージ）」をテーマに実施し、第2回グループディスカッションは「生活習慣病の予防」をテーマに実施した。

グループディスカッションの前半においては、上記目的①に基づいて、TOPO Paper の内容を充実させる議論につなげるため、AMEDが目指す「3つのLifeを向上する」という観点からTOPO Paperの各要素の強み・弱みに着目する枠組みを作成した。具体的には、TOPO Paperの各要素について、3つのLife向上に向けた視点を設定（図表11）し、各TOPO Paperの強み・弱みに着目した議論を行うことで、TOPO Paperのポイント・改善点をまとめた。

図表 11 TOPO Paper の各要素と有識者コメントの視点

TOPO Paper の要素		3つのLife向上に向けた視点
Target group	対象とする生命現象・疾患（患者群）・医療技術等	研究対象の妥当性
Opportunity	（科学的に）好機とする根拠（先行研究・先導技術・医学的エビデンス等）	好機とする根拠、特に定量的根拠の明確さ
Procedure	研究手法・方法論	調査・研究手法の実効性
Outcome(s)	予想される成果（科学的・医学的・社会的・経済的課題の解決・克服等）	予想される成果のインパクト等
Justification	健康・医療における重要性和科学的妥当性	健康・医療における重要性和科学的妥当性、フィージビリティ

出所）AMED・EY作成

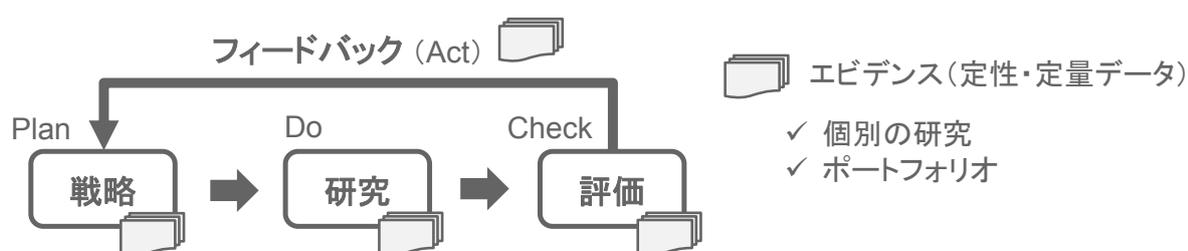
また、グループディスカッションの後半においては、上記目的②に基づいて、(1) TOPO Paperの作成・内容の充実に必要な基盤情報の定量化と可視化を含めた手法全般【作成者の視点から】、(2) 将来的に実施する TOPO Paper の評価に必要な研究開発領域の優先度についての考え方【評

働者の視点から】に関する意見を取得した。グループディスカッションの結果を踏まえ、「AMED が支援すべき研究開発の検討手法」を考察した。

(4) 今後の課題と展望

本調査は、AMED が支援すべき医療研究開発領域の検討や事業運営における定量情報の活用と透明性の確保、つまり Evidence-Based Funding における、基盤情報の取得手法開発、分析体制構築案の検討に資する参考情報の収集と整理、有識者の意見収集と集約を目的として実施されたものであった。本調査結果を踏まえ、エビデンス（定性・定量データ）に基づいて資源配分の PDCA サイクルを回転させ、Evidence-Based Funding の実現をもたらすことを到達目標として、AMED の事業運営における基盤情報の定量化と可視化の在り方を考察する（図表 12）。

図表 12 Evidence-Based Funding における PDCA サイクル



(出所) EY 作成

上記の観点から、(1) 国内基盤情報調査、(2) 海外参考事例調査、(3) AMED が支援すべき研究開発領域の検討に向けた試行の実施結果より、得られた示唆を以下にまとめる。

<分野と研究開発領域の優先順位付けに向けたフレームワーク（仮称）の作成>

- 本調査において、プロトコル案の前提となる「分野と研究開発領域の優先順位付けに向けたフレームワーク（仮称）」を検討・作成した。
- 本フレームワークはミッションを上位に据えることで、健康・医療戦略が掲げるビジョンと AMED の目的（ミッション）に適合するように方向性付け、分野や研究開発領域の優先順位付けを行うための主軸を形成した。
- AMED が求めるリサーチ・インパクトについて考えたうえで、今回の調査において抽出すべき分野や研究開発領域に求めるクライテリアを定義し、リサーチ・インパクトをもたらすことが期待される研究開発領域を抽出に貢献することを目的とした。
- 本フレームワークでは、AMED が支援すべき分野や研究開発領域の優先順位付けを行ううえで「基準設定」の手順を設定していた。本調査の試行においては、AMED のミッションと

AMED が目指す 3 つの Life（生命・生活・人生）の視点を評価の軸に据えたが、これらは概念的な考えであるため、分野や研究開発領域の優先順位付けにあたり、よりブレークダウンした「基準設定」を行うことが今後の課題として挙げられる。

<定量指標の情報・収集による分野と研究開発領域の優先順位付け>

- 国内における基盤情報調査では、日本国内における社会的・経済的ニーズが大きい分野、すなわち課題が大きく、かつ十分な対策が共有されていない分野を特定するという観点から、特に疾患という切り口で定量指標を収集・結合し、マトリクス分析を実施した。様々な分野の異なる視点を有する専門家にマトリクス分析の結果を提示し、議論を促すことが、日本における社会的・経済的ニーズの充足に向けて、新たな、かつ抜け漏れのない分野の抽出に重要である。
- 分野を抽出した後に、研究開発領域の設定を目指す際には、分野特異的な視点での指標収集と分析が欠かせない。分野特異的な課題設定を行って分析に用いるべき指標を整理し、不足がある場合は新たな収集・作成が必要となる。
- 社会的・経済的ニーズに関する統合指標と研究開発シーズに関する統合指標によるマトリクス分析・グラフを作成し、個々の定量指標を用いたグラフと比較・対比することにより、個々のグラフ間の比較だけでは得られなかったインサイトの発掘が期待される。

<分野と研究開発領域の優先順位付けにおける海外参考事例調査からの示唆>

- 国内基盤情報を活用した分野・研究開発領域の抽出において、過去や現在における指標のみならず、未来の社会・経済・技術に関するトレンドを踏まえ、将来的な指標の試算を実施し、バックキャストの視点から優先順位付けを行う材料として用いることが有効である。
- 定量的な手法による分野・研究開発領域の抽出に加えて、文献や有識者等から未充足な研究開発領域に該当するギャップについての情報を収集し、既存の研究成果や AMED のポートフォリオに照らし合わせたうえで、新規の研究開発領域の候補として活用することが挙げられる。
- 有識者との協働により分野・研究開発領域を抽出するにあたっては、前述のフレームワークの作成と提示により、アウトプットに対する参加者の共通認識を形成したうえで、抽出すべき分野や研究開発領域に求めるクライテリアに基づき、有識者から効果的な発言が得られるような「問い」を設定することが重要である。

<基盤情報の定量化と可視化に向けた有識者からの示唆>

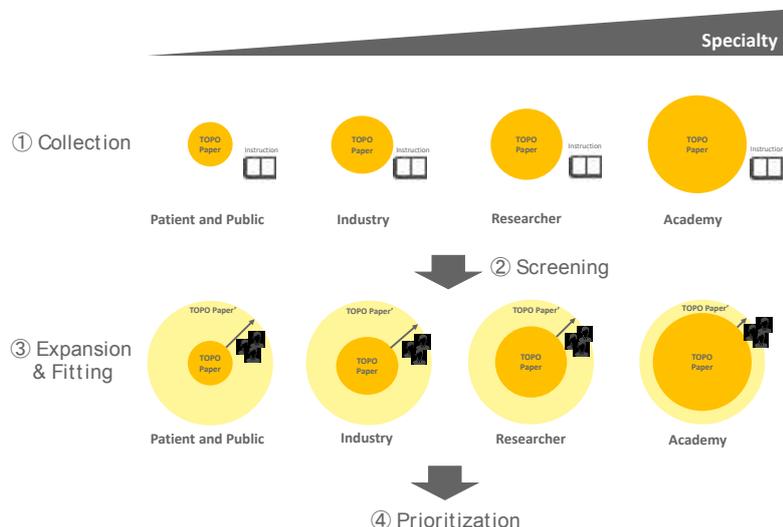
- 現時点の可視化では、AMED が目指す 3 つの Life のうち「生命」にしかフォーカスされておらず、「生活」や「人生」を可視化できていないことが指摘された。生命偏重に見えることから脱却するためには、①生活・人生の視点から生きていくうえで負荷の高い疾患に着目する、②疾患に人生（ライフステージ）の軸を入れ、データの連続性を捉える、③生活・人生に係る指標を取り入れること等が必要である。
- 基盤情報の定量化と可視化が AMED のミッション（1 分 1 秒でも早く、患者さんや国民の方々に必要な医療を届ける）の達成に貢献するうえでは、①開発パイプラインと成果のつながりを分析する、②未病、予防、診断、治療、リハビリテーション等、疾患の特性に応じた効果的な介入方法を可視化し、疾患をセグメンテーションする、③定量化・可視化の新たな切り口として、疾患横断的なブレイクスルーを生み出す「技術」や「モダリティ」の軸を加える、④革命的・革新的なシーズの創出に限定せず、既存の薬や治療法を組み合わせた研究や、健康・医療・介護システム全体に貢献する研究の重要性を可視化すること等が有効であり、これらの分析手法の研究が必要である。

<試行の結果を踏まえた分野と研究開発領域の優先順位付け>

- 本試行では、AMED が取り組むべき分野・研究開発領域を探るべく、基盤情報の定量化と可視化によるエビデンスに基づいて、有識者インタビューにより分野・研究開発領域の候補に関する意見の収集を行った。
- 特に、AMED が取り組むべき研究開発領域に関する意見の収集においては、英国 NIHR の PICO を参考として、TOPO という独自のフレームワークを提案した。そして、有識者に TOPO Paper の作成を依頼し、研究開発領域の候補を取得した。その後、グループディスカッションによって、提案された TOPO Paper の内容の充実を図った。このように、研究開発領域の優先順位付けにおいては、TOPO Paper をメディアとした外部の知の活用プロセスを試行した。
- TOPO Paper の活用においては、有識者よりコンセプトの明確化が重要であるとの指摘を受けた。本調査では、TOPO Paper のコンセプトを「AMED が支援すべき研究開発領域のアイデアを外部から取得する」と設定したうえで、試行の結果を踏まえ、AMED が支援すべき研究開発領域の優先順位付けの方法について図表 13 に整理した。
- TOPO Paper を用いた研究開発領域の優先順位付けの方法（図表 13）の提案の特徴として、①専門性の異なる対象者（患者・市民、産業界、研究者、学会等）から多様な粒度の TOPO Paper を受領する（Collection）、②評価基準を設定し、TOPO Paper のスクリーニングを実施する（Screening）、③提案された TOPO Paper の内容を充実させる情報やアイデアを取得したうえで、適切な情報を用いて研究開発領域を形成するプロセスにより TOPO Paper を洗練させる（Expansion & Fitting）、④ Research Brief を形成する対象とすべき TOPO Paper を選択するための優先順位付けを行う（Prioritization）ことが挙げられる。

- 実際の運用に当たっては、TOPO Paper の各項目の位置づけや記載内容について、提案者や収集の目的、領域により、さらなる作りこみを要する。

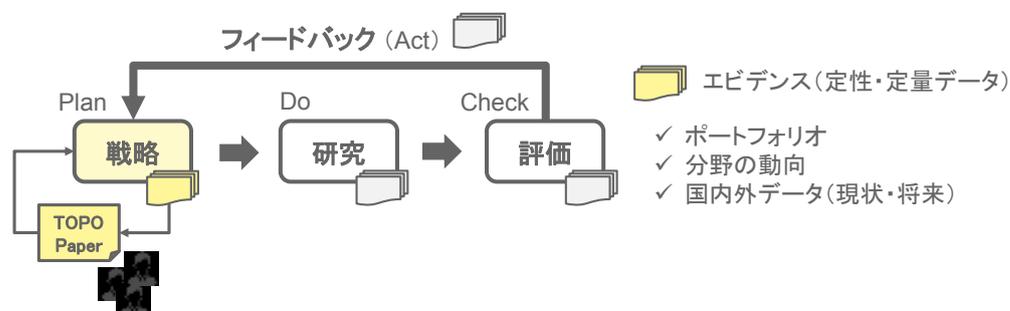
図表 13 TOPO Paper を用いた研究開発領域の優先順位付けの方法 (提案)



出所) EY 作成

以上、本調査結果に基づき、定量化と可視化に資する基盤情報の在り方、並びに、AMED が支援すべき分野・研究開発領域を検討する手法について論じた。これらの提案が、今後の AMED の事業運営における検討材料として大いに活用されることを期待する。また、本調査において実施した試行は、Evidence-Based Funding の PDCA サイクルにおける戦略 (Plan) の部分に特化したものであった (図表 14)。そのため、研究の進捗管理 (Do)、評価 (Check)、フィードバック (Act) においても、本調査における国内基盤情報調査の成果や海外の配分機関の情報を参考として、定量化と可視化に資する基盤情報の在り方について、さらなる検討が行われることが望ましい。

図表 14 本調査における試行の位置付け



出所) EY 作成