資料３

# 第１期中長期目標期間終了時に見込まれる業務の実績に係る自己評価報告書（案）

令和元年５月

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構

# 目　次


第１期中長期目標期間終了時に見込まれる業務の実績に係る自己評価について・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・ 4
国立研究開発法人日本医療研究開発機構　第１期中長期目標期間終了時に見込まれる業務の実績に係る評価　項目別評定総括表 5
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　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・7
② 研究不正防止の取り組の推進 ・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・32
③ 臨床研究及び治験データマネジメントの実行 ・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・42
④ 実用化へ向けた支援　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・48
⑤ 研究開発の基盤整備に対する支援　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・55
⑥ 国際戦略の推進　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・65
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　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・71
（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・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・ 76
② 医療機器開発 ・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・94
③ 革新的医療技術創出拠点・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・109
④ 再生医療　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・124
⑤ オーダーメイド・ゲノム医療　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・138
⑥ 疾病に対応した研究＜がん＞　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・152
⑦ 疾病に対応した研究＜精神・神経疾患＞　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・162
⑧ 疾病に対応した研究＜新興・再興感染症＞　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・179
⑨ 疾病に対応した研究＜難病＞　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・216
⑩ 健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・231
Ⅱ業務運営の効率化に関する事項
（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　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・252
② PDCA サイクルの徹底　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・255
③ 適切な調達の実施　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・258
④ 外部能力の活用　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・263
⑤ 業務の効率化　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・268
（２）業務の電子化に関する事項 ・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・271
Ⅲ（１）予算（人件費の見積りを含む。）、収支計画及び資金計画　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・276
（２）短期借入金の限度額　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・279
（３）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　・・・・・・・・・280
（４）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）・・・282
（５）剰余金の使途・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・283
Ⅳ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・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・284

(2)コンプライアンスの推進　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・286
(3)情報公開の推進・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・288
(4)情報セキュリティ対策の推進　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・290
(5)職員の意欲向上と能力開発等　・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・292
(6)施設及び設備に関する計画・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・295
(7)職員の人事に関する計画・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・296
(8)中長期目標の期間を超える債務負担・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・298
(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・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・299

# 第１期中長期目標期間終了時に見込まれる業務の実績に係る自己評価について

○自己評価の位置づけ

・ 独立行政法人通則法は、国立研究開発法人の業務運営について、主務大臣が法人他制すべき業務運営に関する目標（中長期目標）を定め、法人はこれを達成するための計画（中長期計画・年度計画）を作成し、これらに基づき業務運営を行うこととされている。

・ 業務の運営状況については、独立行政法人通則法第 35 条の６に基づき、中長期目標の期間の最後の事業年度の直前の事業年度終了後３ヶ月以内に自ら評価を行った結果を明らかにした報告書を主務大臣へ提出し、評価を受けなければならない

○自己評価委員会の位置づけ

・ 国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下、機構。）に、自己評価委員会を設置。委員会は理事長を委員長として、理事、執行役及び各部部長の委員によって構成される。ただし、委員長は必要に応じて委員会の構成員を追加することができる。

・ 自己評価書の記載内容の客観性、信憑性を担保するために、機構内に設置された外部有識者の委員から構成される研究・経営評議会において自己評価書案の評価を行う。研究・経営評議会はそれに対する意見を取りまとめ理事長に報告する。

○評価の基準

「独立行政法人の評価に関する指針（平成26年9月2日　総務大臣決定。平成31年3月12日最終改定）」及び「国立研究開発法人日本医療研究開発機構の業務の実績等に関する評価の基準（平成27年9月１日内閣総理大臣、文部科学大臣、厚生労働大臣、経済産業大臣決定）」に基づき、評定区分はSABCD（Bが標準）とする。

Ｓ：機構の目的・業務、中長期目標等に照らし、機構の活動による成果、取組等について諸事情を踏まえて総合的に勘案した結果、適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で「研究開発成果の最大化」に向けて特に顕著な成果の創出や将来的な特別な成果の創出の期待等が認められる。

Ａ：機構の目的・業務、中長期目標等に照らし、機構の活動による成果、取組等について諸事情を踏まえて総合的に勘案した結果、適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

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、「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。

Ｃ：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、「研究開発成果の最大化」又は「適正、効果的かつ効率的な業務運営」に向けてより一層の工夫、改善等が期待される。

Ｄ：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、「研究開発成果の最大化」又は「適正、効果的かつ効率的な業務運営」に向けて抜本的な見直しを含め特段の工夫、改善等を求める。

国立研究開発法人日本医療研究開発機構　平成 30 年度評価、中期目標期間評価（見込評価）　項目別評定総括表

| 中長期目標（中長期計画） | 年度評価 | | | | | 中長期目標期間評価 | | 項目別調書№. | 備考 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | ２７年度 | ２８年度 | ２９年度 | ３０年度 | ３１年度 | 見込評価 | 業務実績 | | |
| 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 | A | A | A | A | | A | | Ⅰ(1)① | |
| ②研究不正防止の取り組の推進 | B | B | A | B | | B | | Ⅰ(1)② | |
| ③臨床研究及び治験データマネジメントの実行 | B | A | B | B | | B | | Ⅰ(1)③ | |
| ④実用化へ向けた支援 | B | B | B | A | | B | | Ⅰ(1)④ | |
| ⑤研究開発の基盤整備に対する支援 | A | A | B | A | | A | | Ⅰ(1)⑤ | |
| ⑥国際戦略の推進 | A | S | A | A | | A | | Ⅰ(1)⑥ | |
| 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 | | B | B | B | | B | | Ⅰ(1)⑦ | |
| （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 | A | A | A | S | | A | | Ⅰ(2)① | |
| ②　医療機器開発 | B | B | B | B | | B | | Ⅰ(2)② | |
| ③　革新的な医療技術創出拠点 | A | A | A | A | | A | | Ⅰ(2)③ | |
| ④　再生医療 | A | B | B | A | | A | | Ⅰ(2)④ | |
| ⑤ オーダーメイド・ゲノム医療 | S | A | A | A | | A | | Ⅰ(2)⑤ | |

| 中長期目標（中長期計画） | 年度評価 | | | | | 中長期目標期間評価 | | 項目別調書№. | 備考 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | ２７年度 | ２８年度 | ２９年度 | ３０年度 | ３１年度 | 見込評価 | 業務実績 | | |
| Ⅲ予算（人件費の見積りを含む。）、収支計画及び資金計画 | | | | | | | | | |
| | B | B | B | A | | B | | Ⅲ | |
| Ⅳ短期借入金の限度額 | | | | | | | | | |
| | － | － | － | － | | － | | Ⅳ | |
| 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 | | | | | | | | | |
| | B | B | B | B | | B | | Ⅴ | |
| 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） | | | | | | | | | |
| | － | － | － | － | | － | | Ⅵ | |
| Ⅶ剰余金の使途 | | | | | | | | | |
| | － | － | － | － | | － | | Ⅶ | |
| 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 | B | B | B | B | | B | | Ⅷ(1) | |
| (2)コンプライアンスの推進 | B | B | B | B | | B | | Ⅷ(2) | |
| (3)情報公開の推進等 | B | B | B | B | | B | | Ⅷ(3) | |
| (4)情報セキュリティ対策の推進 | B | B | B | B | | B | | Ⅷ(4) | |

| | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | ⑥ 疾病に対応した研究＜がん＞ | A | A | A | A | | A | | Ⅰ(2)⑥ | |
| | ⑦疾病に対応した研究＜精神・神経疾患＞ | B | B | B | B | | B | | Ⅰ(2)⑦ | |
| | ⑧ 疾病に対応した研究＜新興・再興感染症＞ | A | A | S | A | | A | | Ⅰ(2)⑧ | |
| | ⑨ 疾病に対応した研究＜難病＞ | S | S | A | A | | S | | Ⅰ(2)⑨ | |
| | ⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業 | A | A | A | A | | A | | Ⅰ(2)⑩ | |
| 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 | B | B | A | B | | B | | Ⅱ(1)① | |
| | ② PDCA サイクルの徹底 | B | B | B | B | | B | | Ⅱ(1)② | |
| | ③ 適切な調達の実施 | B | B | B | B | | B | | Ⅱ(1)③ | |
| | ④ 外部能力の活用 | B | B | B | B | | B | | Ⅱ(1)④ | |
| | ⑤ 業務の効率化 | B | B | B | B | | B | | Ⅱ(1)⑤ | |
| （２）業務の電子化に関する事項 | | | | | | | | | | |
| | | B | B | B | B | | B | | Ⅱ(2) | |

| | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| (5)職員の意欲向上と能力開発等 | B | B | B | B | | B | | Ⅷ(5) | |
| (6)施設及び設備に関する計画(記載事項無し) | － | － | － | － | | － | | Ⅷ(6) | |
| (7)職員の人事に関する計画 | B | B | B | B | | B | | Ⅷ(7) | |
| (8)中長期目標の期間を超える債務負担 | － | － | － | － | | － | | Ⅷ(8) | |
| (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 | － | － | － | － | | － | | Ⅷ(9) | |

※重要度を「高」と設定している項目については各評語の横に「○」を付す。
難易度を「高」と設定している項目については各評語に下線を引く。

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(1)―① | (1)AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等<br>①医療に関する研究開発のマネジメントの実現 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価委員会の設置数 | | 45 件(事業部門合計) | 90 件(事業部門合計) | 185 件（事業部門合計） | | |
| 評価委員会の開催実施回数 | | 71 件(事業部門合計) | 116 件（事業部門合計） | 246 件（事業部門合計） | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 4,910,148 の内数 | 5,023,556 の内数 | 5,591,643 の内数 | 5,663,409 の内数 | |
| 決算額（千円） | 3,714,767 の内数 | 4,782,684 の内数 | 5,780,113 の内数 | 5,897,604 の内数 | |
| 経常費用（千円） | 3,406,993 の内数 | 4,786,289 の内数 | 5,649,104 の内数 | 5,799,415 の内数 | |
| 経常利益（千円） | 137,703 の内数 | 101,661 の内数 | 182,995 の内数 | 150,702 の内数 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 3,202,425 の内数 | 4,415,604 の内数 | 5,819,965 の内数 | 5,907,400 の内数 | |
| 従事人員数 | 227 人の内数 | 253 人の内数 | 290 人の内数 | 290 人の内数 | |

注１）　予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）　上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | （期間実績評価） |
| | | | | | 評定 | 評定 |
| 各省の関連する | 各省の関連す | ＜評価軸＞ | ■研究・経営評議会、アドバイザリー | ＜評定と根拠＞ | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 研究開発事業を統合的に連携させ、１つのプロジェクトとして一元的に管理する「統合プロジェクト」など、AMEDにおいて実施される研究開発の成否は、プロジェクトマネジメントにかかっている。このため、患者や医療現場、産業界等からのニーズの把握や技術的可能性を評価し、現実的なビジョンの下に計画を常に見直すことのできるマネジメントを実現する。そのためには、優れたシーズを見出す目利き機能、臨床研究及び治験への橋渡しや実用化を実現するための産業界への導出に向けての企画力、規制対応等の周到な準備と研究者を支援・指導する牽引力が求められる。<br>具体的には、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置くとともに、国内外の動向を把握、評 | る研究開発事業を統合的に連携させ、１つのプロジェクトとして一元的に管理する「統合プロジェクト」など、AMEDにおいて実施される研究開発の成否はプロジェクトマネジメントにかかっている。このため、患者や医療現場、産業界等からのニーズの把握や技術的可能性を評価し、現実的なビジョンの下に計画を常に見直すことのできるマネジメントを実現する。そのためには、優れたシーズを見出す目利き機能、臨床研究及び治験への橋渡しや実用化を実現するための産業界への導出に向けての企画力、規制対応等の周到な準備と研究者を支援・指導する牽引力が求められる。<br>具体的には、機構全体の運営を適切に行うため、研究・経営評議会 | ・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。<br>・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。<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・研究・経営評議会の取組状況<br>・アドバイザリーボードの取組状況<br>・専門家によるシンクタンク機能の具備状況<br>・シーズやニーズのサイトビジット等による把握状況、大学や研究機関、企 | ・機構全体の運営を適切に行うに当たり、機構全体の運営について適切な助言・指導を得る体制を構築するため、日本医療研究開発機構においても、研究・経営評議会を設置した。<br>・研究・経営評議会<br>平成 27 年 5 月 1 日付けで研究・経営評議会を設置し、第１回会議を平成 27 年 9 月 16 日に開催した。以降毎年４回（平成 27 年度は２回）開催し、各回において、機構の取組や課題について議論を行い。これらとあわせて、研究・経営評議会において外部評価を実施しており、その結果については評価報告書にとりまとめ、。また、本評価報告書を基に、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するとともに実行に向け対応し、着実に実施した。<br>・アドバイザリーボード<br>平成 27 年 10 月 1 日付けで研究・経営評議会を設置し、第１回会議を平成 27 年 10 月 29 日に開催した。以降、毎年２回開催し、各回において、機構の取組や課題について議論し、委員から意見を聴取した。<br><br>■シーズやニーズの把握とシンクタンク機能<br>・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。<br>（取組事例）<br>➢ 臨床ニーズ収集において、以下の取組によって収集対象を拡充するとともに、具体的な医療機器開発につなげていくためのそれらニーズ情報の整理・評価体制や方法論について、外部の有識者を含めた検討を進めた。また、それらの情報の利活用について、当事者間（医療現場と企業）での交流を円滑化するとともに、国として研究開発を推進するべき課題を精査し、プロジェクトの公募につなげた。<br>➢ 平成 29 年度に収集した 291 件のニーズから絞り込みを行った 2 件のニーズ（「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」および「術者の技能に依存しない高度かつ精密な手術システム」）について、「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」において平成 30 年度は、それぞれ 5 件、4 件の課題を実施した。<br>➢ 医療現場のニーズである、医師の暗黙知の活用という臨床価値の高いニーズに応えるため、調整費を活用して「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」において、「メディカル・デジタル・テストベッド」プロジェクトとして 4 | 評定：A<br>・PD・PS・PO 体制による研究開発プロジェクトマネジメントシステムを確立し着実に運用、PD・PS・PO 及び評価委員に対する利益相反マネジメントルールを導入し、マネジメントの公正性を担保、課題評価において 10 段階の共通評価システムの導入、医薬品・再生医療製品・医療機器の研究開発に関し、研究課題の重要なステージゲートにおいて、より適切な評価を行うため研究開発マネジメントチェック項目の策定、国際水準での評価等を目指した国際レビューアの導入、ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシーの設定及び研究データのデータベース化を要する全ての事業・課題にデータマネジメントプランの提出義務化、課題評価の効率化を図るため、オンライン課題評価システム（ARS）の構築や研究開発マネジメント等に資するデータベースとして AMED 研究開発マネジメントシステム（AMS）の構築。事業に応じた組織改編、研究者等からの相談に的確に応えるため、一元的な対応窓口（AReC）の開設、実用化進捗情報調査の実施等、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ため、評定を A とする。<br><br>【研究・経営評議会、アドバイザリーボード】 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 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る。 | を理事長の下に置き、機構全体の運営について適切な助言・指導を得る体制を構築する。また、機構で行う研究開発等の業務について広く様々な立場からのニーズの把握等を行うため、患者や医療現場、研究者、産業界等から構成されるアドバイザリーボードを設置して運営する。さらに、医療研究開発の現場のシーズやニーズをサイトビジット等によって調査すること等により、医療分野の国内外の研究動向を把握・評価し、テーマを抽出するためのシンクタンク機能を果たすとともに、大学・国立高度専門医療研究センター等の研究機関や企業との連携を強化するための組織体制を構築する。 | 業との連携の進捗状況<br>・研究開発データベースの構築や活用の取組状況 | 件の課題を実施した。<br>➢ また、ポータルサイト MEDIC (Medical Device InCubation platform) において、医療従事者より医療機器に関する臨床現場のニーズを収集し、これを開発企業に橋渡しすることを目的に開設した「医療機器アイデアボックス」（https://www.med-device.jp/db/）を継続して運営した。アイデアボックスで収集した 75 件のニーズについて、参考情報を付した上で、ニーズに応じた専門性を有する医療従事者（専門家）グループを組成してニーズの普遍性・重要性・将来性について 4 段階で評価した。評価結果をニーズ提供者にフィードバックするとともに、38 件の有望ニーズを医療機器アイデアボックスにて公開した。また公開されたニーズに対するコーディネーターおよび医療機器開発事業者等からの問い合わせ対応を行った (平成 31 年 3 月末時点で合計 27 件)。<br>➢ 革新先端研究開発支援事業において、平成 30 年度に、AMED-CREST, PRIME の研究開発代表者に対し、ヒト検体サンプルへのニーズやバイオバンク利用についてアンケート調査を行った。その結果、ヒト検体サンプルへのニーズは高いが、バイオバンク利用に関する情報不足や倫理申請の困難さが課題として挙がったため、バイオバンク利用や倫理申請の支援を目的とした PO を指名することを検討した。平成 31 年度から、この支援の開始を予定している。また、研究開発を進める上で必要となる最新技術について、特に若手研究者の間でそのニーズがあることが判明したため、領域内で技術を共有し共同研究を促進することを目的とした分科会を平成 30 年度に実施した。<br>さらに、今後推進すべき研究分野を調査しているが、エビデンスに基づく企画立案を実現するため、また、本事業の研究成果が如何に AMED の他事業へ利用、展開されているかを分析するため、平成 29 年度から情報分析Gと連携して分野動向調査を行うことを開始し、現在、革新的先端研究開発支援事業の成果論文が、AMED の応用系他事業の成果論文へどの程度引用されているかの分析を進めている。また、AMED 成果論文と主要 6 カ国の配分機関の成果論文の分野分類を進めている。さらに、Top1%論文の共引用分析に基づいた新たな研究領域の抽出・分析を進めている。<br>➢ 平成 28 年度に新規に「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」を平成 28 年度に新規に起ち上げ、日本再生医療学会を運営機関としたナショナルコンソーシアムが臨床研究支援、臨床研究に必要な人材の教育、データベースの整備等の活動を開始している。その中で研究者のシーズと企業のニーズを合わ | ・中長期計画及び年度計画に従い、研究・経営評議会及びアドバイザリーボードの運営を着実に実施したと評価できる。<br><br>【シーズやニーズの把握とシンクタンク機能】<br>・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着実に行われており、こうした取組により、研究機関等との連携を進め、また、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の収集を推進したこと等は高く評価できる。<br><br>【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の構築、ファンディングに係るマネジメント等への活用】<br>・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、公表し、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したことに加えて、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 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | せる産学連携・マッチングを行うことを重要な活動の一つとしている。<br>再生医療実用化研究事業では、平成 31 年 7 月 17 日に「製薬協・AMED 共催セミナー『花開け！再生医療のシーズ』」を開催し、再生医療のシーズをアカデミアから製薬企業にスムーズに受け渡すために必要なことについて、アカデミアと製薬企業でディスカッションする場を提供した。また、「多能性幹細胞（iPS/ES 細胞）、体性幹細胞等を用いて、産学が連携して再生医療等製品の開発を目指す研究」の公募に関連して、アカデミア発のシーズから速やかに再生医療等製品の開発につなげる研究の推進を目的に、開発の方向付け、実用化計画の策定を行う、バイオ医薬品又は再生医療等製品の開発経験がある企業担当者である「事業化提案者」候補の方とアカデミアのマッチングをはかる取り組みを行った。<br>➢ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトでは、次世代がん医療創生研究事業において、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。<br>➢ 脳プロ事業においては、H30年度秋に開催された中間評価では抗体医薬をはじめとする特定分野の専門性を持った有識者を外部評価委員として新たに加え、当該事業における成果目標と出口戦略に沿った課題評価を行った。<br>➢ 革新脳事業においては事業の中間評価や次年度公募に向けた国内動向等の把握を目的として時に非ヒト霊長類関連の研究機関のサイトビジットを行い研究者等からの聞き取りを実施した。<br>➢ 国際脳事業では H30 年度の事業開始より MRI 撮像撮像から公開に関するワーキンググループを開催し PS、PO とも今後の進め方について議論を交わし推進した。<br>➢ 認知症研究開発事業において、シーズ・ニーズの把握については。通例の PSPO からの意見、学会や AMS による情報収集のほかに、国内各地域でそれぞれ目的別のデザインで実施されている発症前プレクリニカルから発症後ケアにわたる認知症コホート・レジストリの実態調査を外部委託した。<br>➢ 認知症研究開発事業では、国内における治験への即応体制を整えるため認知症前臨床期を対象としたトライアルレディコホート構築に着手する際、製薬協や認知症関連 6 学会との意見交換会を実施した。<br>➢ 認知症のステージ毎のスクリーニング及びソリューションにおいて、ニーズ・シーズに関して広く情報収集を行う実態調査を実施した。認知症に関連する製品・サービス等の研究 | 案し、分析基盤の更なる強化に向けた取組を開始したことは高く評価できる。<br><br>【研究データの統合的活用の推進】<br>・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等を実施したことは高く評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 開発・社会実装の状況を網羅的に把握するとともに、さらなる研究開発・社会実装に向けて、アカデミア・民間企業・自治体・介護事業者等の自発的なマッチングを促進することを目的として、以下のニーズ・シーズに関する情報登録サイトを立ち上げた（登録機関：計 125 機関）。その後、情報登録を行った機関の情報交換の場を提供する目的で、登録機関（計 71 機関）による情報交換会を開催した。<br>➢ 認知症の超早期のリスク低減・予防から発症後の生活支援・社会受容のための環境整備に向け、関連取組の現状、重点的に取り組むべき領域や、産学官連携の実証フィールド整備に向けた論点について議論する目的で、病理学、老年学、介護等の異分野の専門家によるラウンドテーブルの議論を、国際会議含めて 5 回実施した。<br>➢ 難病研究課では、企業との連携に際し重要な情報となる特許の状況（出願、各国移行、成立、ライセンス又は譲渡の状況）を体系的に収集する研究開発計画書様式を新たに作成・導入し、かつ収集した知的財産権の状況を製薬企業出身の目利き人材が精査しコメントを付すことにより、機構によるマッチング支援策等の機会を有効活用する基礎情報の整備及びこうした方法論の知的財産部との共有に取り組んだ。また、事業に関連する国内外の学会・シンポジウム等への参加、学会・シンポジウム等における発表や講演、国際会議への出席、難治性疾患政策研究事業の班会議へのオブザーバー参加などの積極的な取組みによって効果的な情報収集を行うとともに情報発信も行った。<br>➢ 機構が推進する未診断疾患イニシアチブ（IRUD）の一環として、未診断疾患患者の診療状況の実態を把握するため、国立および私立大学附属病院の医師を対象とした調査を、国立大学附属病院長会議、日本私立医科大学協会の協力を得て、全国の国立および私立大学附属病院に対してアンケート調査を実施した。その結果、対象となりうる未診断疾患患者数や IRUD に対する医師側の要望等、望ましい診断体制の構築に資する満足すべき基礎的データを得た。<br>➢ 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、関連学会との連携により、研究者コミュニティからのシーズ情報及び予防・診断・治療にあたる医師や医療従事者からのニーズ情報をくみ上げ、分野毎の長期的な研究戦略とそれに基づく公募研究開発課題の設定、課題間の連携に活用する等の体制構築を実践した。また、PS、PO に加えて専門性の高い科学技術調査員が積極的に班会議に参加するなど効果的な課題管理を行った。<br>➢ 革新的医療技術創出拠点の全体会議や拠点調査会議におい | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | て、研究開発の現場において必要なニーズやシーズについて意見交換を行い、人材育成が更に必要であるなど情報収集をし、次年度の事業運営に反映させた。<br>➢ 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）において、委託先との事務処理要領説明会、キックオフ会議やヒアリングを開催して連携を進め、その後、適宜 PS・PO と共に進捗確認会議、打ち合わせ・サイトビジットなどを通じて、シーズ・ニーズ把握を実施した。<br>➢ 製薬業界とのハイレベル意見交換会を 2016 年度以降毎年度開催するなど、産業界のニーズの把握を行い、機構業務の推進方策検討時などに活用した。<br>➢ 平成 30 年度にオールジャパン医薬品プロジェクト公開シンポジウムを開催し、各事業の顕著な成果を発表するとととともに、パネルディスカッションにおいては、製薬協、企業、アカデミアの方に登壇いただき、今後の AMED オールジャパン医薬品創出プロジェクトに関する期待、ニーズなどを議論頂いた。<br>➢ 創薬支援推進事業では、大学への出張説明会、学会のブース展示等を通じて、アカデミア・シーズの蒐集のための広報活動を行うと共に、DSANJ のマッチング事業や DISC 事業等を通じて企業ニーズの把握を目的とした意見交換を行った。また、感染症領域においてパイロット的に、関連学会・製薬協との産学官連絡会を結成し、AMR を中心とした感染症の創薬課題についての意見交換を進めている。<br>➢ 創薬等支援技術基盤プラットフォーム事業（PDIS）・BINDS においては、薬学会年会や分子生物学会などライフサイエンス関連学会に展示ブースを出展、アウトリーチ活動を行って研究者と直接話す機会を通して、シーズ・ニーズの把握に努めている。また、BINDS においては製薬協の研究開発委員会など専門部会と定期的に意見交換を行って企業との連携を進めている。<br><br>■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の構築、ファンディングに係るマネジメント等への活用<br>・平成 27 年度に、「情報システムタスクフォース」を設置し、機構のファンディングの現状や課題の進捗状況の横断的な把握を行うための仕組みつくりを検討し、「AMED 研究開発マネジメントシステム（AMS）」の構築を開始した。<br>・平成 28 年度に、AMS に搭載された課題に、統一基準によるタグ情報を付与し、機構のファンディングの現状や課題の進捗状況の横断的な分析手法の開発を試行した。また、事業担当部署 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | が AMS を事業マネジメントに活用できるよう、説明会を開催して活用事例を紹介した。<br>・平成 29 年度には、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た。また、AMS を活用し、エビデンスベースによる事業企画、事業マネジメント、施策提案等の機能の発揮を目指すため、「情報分析企画室」(時限付）を設置し、平成 28 年度における医療研究開発の概況を取りまとめ、公表した。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した。また、解析可視化システムである AMSfocus の構築に着手した。<br>・平成 29 年度よおよび 30 年度に、健康・医療分野の国内外の研究動向を把握・評価し、AMED の事業に反映させていくため、分析体制構築の検討に資する参考情報の収集と整理等を目的に委託調査「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」を実施した。調査結果を元に、エビデンスベースによる事業企画、事業マネジメント、施策提案等の機能の発揮について情報分析企画室が検討した。<br>・平成 30 年度には、PubMed 型辞書の用語辞書によるキーワードや分類コードを試行的に付与し、分析手法のさらなる開発を推進、分析基盤の構築を進めるとともに、平成 28 年度、29 年度の医療研究開発況を取りまとめ、公表した。また、解析可視化システムである AMSfocus の構築を進めた。AMSfocus は令和元年 5 月リリースを予定している。さらに、AMS の利用における情報セキュリティ強化のため最高情報セキュリティ責任者による統制を強化した AMS 利用規程を定めた。<br>・国の健康医療戦略予算に係る 16 機関が実施している研究開発課題を統合したデータベースの簡易版を構築した。本データベースについては令和元年度に本格版データベース構築について検討を進める予定。<br>（取組事例）<br>➢ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトでは、次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業においてサポート機関を設置し、各事業の研究開発課題の進捗を整理したデータベースを構築し、それに基づき PD、PS、PO の指示の下、開発方針等について適切な助言や支援を行う体制を構築した。次世代がん医療創生研究事業では、サポート機関による進捗情報の整理に基づき技術支援班によるタイムリーな技術支援を実施した。また、革新的がん医療実用化研究事業のサポート機関において、国内の臨床試験の実施状況の整理を行い、データに基づいた公募策定等に役立てるため PS、PO 等に共有を行った。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ➢ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトでは、がん研究費配分機関の多国間の協力組織である ICRP（International Cancer Research Partnership）が構築した世界最大規模のがん研究費配分データベースを活用し、がん研究分野の世界的動向をいち早く把握・俯瞰し、がん研究の公募策定等に役立てるため、平成 31 年 2 月に ICRP へ正式メンバーとして加盟した。<br>➢ 革新的医療技術創出拠点プロジェクトでは、成果活用支援の業務を外部に委託しており、拠点が保有するシーズの情報を集計して俯瞰し、拠点のシーズの全体像をとらえることに役立てた。<br><br>■研究データの統合的活用の推進<br>・「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト」において、ゲノム情報のシェアリングに係る方針を示した「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」を策定。<br>・平成29年度にデータシェアリングポリシーの対象を「難病克服プロジェクト」に拡大。<br>・平成30年11月に改定を行い、平成31年度からは「脳とこころの健康大国実現プロジェクト」、「新興・再興感染症制御プロジェクト」、「肝炎等克服実用化研究事業」、「エイズ対策実用化研究事業」にも拡大。<br>・研究データの統合的活用に向けた土台づくりとして、公募事業での公募提案時又は採択時、採択後に、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た（平成30年5月以降に開始する公募の課題から実施。）。<br>・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した。データサイエンティストの公募により育成に貢献する。<br><br>■AMED の体制強化のための組織改編<br>・医療データの分析結果の活用のためのICT基盤整備や個々のニーズにきめ細かく応えるサービス・生産性の向上などを可能とする人工知能の実装に向けて、政府一体となった取組が進められており、これらの事業を専門的かつ組織的に行う目的で、平成29年7月1日付で、臨床研究課にICT基盤研究グループを新たに設置した。<br>・中長期計画の一部見直しにおいて、AMED が今後更に注力すべき役割のうち、研究開発マネジメントに資するデータベース | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | の構築について、データベースの構築とデータの分析等を一体的に実施することにより、医療に関する研究開発のマネジメントを着実に実施する体制を構築するため、シンクタンク機能を有する戦略推進部研究企画課を、データベースの構築を実質的に実施するバイオバンク事業部に移設するとともに、部内に情報分析グループを設置することとし、平成29年4月にバイオバンク事業部を基盤研究事業部に変更、設置した。<br>・創薬戦略強化等に向け、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評価等を行う一体的な体制を構築するため、医薬品事業を所管する部署を改編し、平成29年8月に創薬戦略部を設置した。<br>・平成30年度に向け、迅速なシーズ実用化、効果的な広域連携・分散統合（データシェアリングを含む）、効果的なシーズ育成などをプロジェクト・事業を超えて横割りで企画・調整を行い、必要に応じて基盤にフィードバックして改善を提言あるいは実施していくという機能を、事業部門が一層自律的に発揮することが重要と考えられたため、統括役の直属として、平成30年2月1日付で事業統括室を設置した。<br>・医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）を実施するため、平成29年4月1日に革新基盤創成事業部を設置した。<br>・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、平成29年10月に総務部に課題評価支援システムグループを設置した。<br>・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）。<br>・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）の運営を本格化した。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | また、個別研究課題の選定においてピア・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する。 | また、個別研究課題の選定においては、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する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・ピア・レビューの方法や研究開発提案書についての収集や活用の取組状況<br>・個別研究課題の選定における評価委員会の設置状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・評価委員会の設置数<br>・評価委員会の開催実績数 | ■課題選定におけるピア・レビュー方式の導入<br>・「研究開発課題評価に関する規則」に基づき、各事業において外部有識者から構成される課題評価委員会を設置し、必要に応じ構成員以外の外部専門家等の出席を求め、意見聴取を行い、個別研究課題の選定を行った。<br>・平成 29 年度から各事業で実施した 10 段階の共通評価システムについて、AMED の公募や事前評価のあり方に関する改善の議論の素材とするため、平成 29 年度分の事前評価結果を試行的に分析した。また、中間・事後評価の運用実績を踏まえて改善のために意見交換会を 3 回開催して検討を行った。平成 31 年度は、研究課題評価や課題管理を含めて、運用実績を踏まえた検討を行い、必要に応じて改善を図る。<br>・国際水準での評価と研究の質の向上を目指し、平成 29 年度に設置した課題評価英語化タスクフォースの検討を経て、国際レビューアと公募・評価プロセスの英語化を導入。平成 30 年度公募から一部の事業において先行実施し、平成 31 年度以降に順次拡大して取組を継続。<br>・評価の共通基盤を構築するとともに、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、平成 29 年度に、研究マネジメントチェック項目（医薬品）を作成しことに続き、平成 30 年度に、研究マネジメントチェック項目（医療機器）、研究マネジメントチェック項目（再生医療）を作成、運用を開始。研究マネジメントチェック項目（医薬品）について、平成 30 年度に医薬品の実用化に関する公募課題を有する 8 事業（約 300 課題）について活用するなど定着。<br>＜モニタリング指標＞<br>事前評価委員会の設置数及び開催回数<br><br>（取組事例）<br>➢ 平成 30 年度に開始した「再生医療実現拠点ネットワークプログラム/技術開発個別課題」の事前評価においては AI の専門家として委託した科学技術調査員に、対象課題への意見をもらった上で選定を行った。「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業/国内医療機関からのヒト（同種）体性幹細胞原料の安定供給モデル事業」の事前評価でも倫理の専門家として委託した科学技術調査員に、対象課題への意見をもらった上で選定を行った。<br>また、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム/疾患・組 | 【課題選定におけるピア・レビュー方式の導入】<br>・課題評価に関する規則を定め、それに基づき外部有識者から構成される課題評価委員会を設置・開催、個別研究課題の公平な選定を行い、また、10 段階共通スケール導入による課題評価における評価方法の統一化等の評価の質の向上に資する取組を実施できたことは高く評価できる。<br>・国際水準での評価等を目指した国際レビューアの導入、医薬品、再生医療製品、医療機器の研究開発に関し、研究課題の重要なステージゲートにおいてより適切な評価を行うこができるようになったことは高く評価できる。 | | |

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 |
|---|---|---|---|---|
| 設置数 | 46 件 | 90 件 | 84 件 | 83 件 |
| 開催回数 | 81 件 | 116 件 | 123 件 | 135 件 |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 織別実用化研究拠点」の中間評価においては、がん・消化器・軟骨の専門家として委託した科学技術調査員に、対象課題への意見をもらった上で評価を行った。<br>➢ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトでは、革新的がん医療実用化研究事業において、評価委員会に臨床分野、生物統計等の専門家や製薬企業での創薬経験者などを加え、評価レベルを向上させるとともに、各委員の専門性を考慮した分科会への配置によって、評価の質的向上に努めた。また、次世代がん医療創生研究事業では、平成 27 年度にとりまとめられた「がん研究の今後の在り方に関する検討会」による提言を踏まえ、評価委員会に企業在籍の経験をもつ創薬の専門家や機構の創薬支援戦略部の陪席を得て、実用化に向けた医薬品・医療機器を開発する基礎研究を適切に評価できる体制を整え、事前評価を実施した。<br>➢ 次世代がん医療創生研究事業ならびに革新的がん医療実用化研究事業では、各事業において過去に採択された研究開発課題によって新規公募への応募がなされた場合、事前評価の際に当該課題の事後評価結果を参考資料として活用した。<br>➢ 難病研究 6 事業について、知的財産部と連携し、知財管理上の課題について評価委員へ情報提供を行うとともに、面接選考の対象となった個々の研究課題に対して提案書類に記載された知的財産権の状況を製薬企業出身の目利き人材が精査し知財面のコメントを資料として提供した。その結果、研究課題の選定に関するピア・レビューにおいて不足しがちな知財面の視点を採択決定に先立って考慮することができた。また、公募の実施に当たり、提案書類の様式に改善を加え、また公募要領や提案書記載要領等の記述を充実させ、さらに一部の公募課題においては別途当該公募に必要な情報を体系的に収集可能な別紙の提出を求めることで、提案の質の更なる向上を図った。具体的には、開発段階の課題公募において公募要領に「企業との連携について」と題する特記事項や、「薬事承認や第Ⅲ相試験等を実施する企業等への導出が成立すること」と題する目標、「実施体制に企業等が参画しており、評価や進捗管理の際に参画大学等の担当者と参画企業等の担当者の両者が参加すること」という採択条件を設けるなど、企業との連携状況を確認するスキームを強化した。その結果として、連携・協力する企業の費用負担を含む具体的な貢献を可視化するとともに、ヒアリング審査に企業等担当者を同席させることで具体的な質疑応答を可能とした。<br>➢ 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）において、課題評価委員会の委員は第 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 | | | |

<table>
<tr>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td>した。また、より専門性の高い査読と委員一人ひとりの負荷低減を図るべく、専門委員を適宜、追加し、第1回公募（平成29年3月16日～平成29年4月24日）の事前評価では31名であったのに対し、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、”ヴィークル”）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の追加し、118名とした。その後、平成31年度以降の委嘱契約更新のタイミングにおいて、第4回公募に向け、より幅広い専門分野に適切に対応できるよう、専門委員を更に33人追加し、体制を強化した。<br>➢ 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業においては、海外GMP 準拠の施設を活用して、バイオ高度生産技術開発が求められており、世界水準の課題評価が必要なことから、平成29年度に国際レビューアによる課題事前評価を実施した。</td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
<tr>
<td></td>
<td>世界の最新の情勢を把握したPD、PS、PO等がこれを活用した研究の実施、研究動向の把握・調査、シーズの探査・育成研究の強化（スクリーニングや最適化研究）や優れた基礎研究成果を臨床研究及び治験、産業化へつなげる一貫したマネジメント（研究の進捗管理・助言、規制対応等）及び適切な研究実施のための監視・管理機能など、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</td>
<td>また、各統合プロジェクトに世界の最新の情勢を把握したPD、PS、POを配置し、PD、PS、POがこれを活用した研究の実施、研究動向の把握・調査、シーズの探査・育成研究の強化（スクリーニングや最適化研究）や優れた基礎研究成果を臨床研究及び治験、産業化へつなげる一貫したマネジメント（研究の進捗管理・助言、規制対応等）及び適切な研究実施のための監視・管理機能など、研究開発</td>
<td>＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・プロジェクトマネジメントの取組状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・PD・PS・PO会議実施回数</td>
<td>■プロジェクトマネジメントの取組<br>・各連携分野にPDを次のとおり配置し、HPで公表した。<br><table><tr><th>連携分野</th><th>現職・氏名</th></tr><tr><td>オールジャパンでの医薬品創出</td><td>公益財団法人　ヒューマンサイエンス振興財団　会長<br>竹中　登一</td></tr><tr><td>オールジャパンでの医療機器開発</td><td>公益財団法人　医療機器センター　理事長<br>菊地　眞</td></tr><tr><td>革新的医療技術創出拠点プロジェクト</td><td>公益財団法人　医療研修推進財団　顧問<br>学校法人慶應義塾　慶應義塾大学　名誉教授<br>猿田　享男</td></tr><tr><td>再生医療の実現化ハイウェイ構想</td><td>独立行政法人国立病院機構 名古屋医療センター　名誉院長<br>齋藤　英彦</td></tr><tr><td>疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト</td><td>国立研究開発法人　国立国際医療研究センター　理事長<br>春日　雅人</td></tr><tr><td>ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト</td><td>国立研究開発法人　国立がん研究センター　名誉総長<br>堀田　知光</td></tr><tr><td>脳とこころの健康大国</td><td>国立研究開発法人　理化学研</td></tr></table></td>
<td>【プロジェクトマネジメントの取組】<br>・事業の特性等も考慮のうえ、50歳未満の人材も積極的に活用し各事業でPD、PS、POを配置するとともに、PD、PS、POによる実地調査や領域会議、班会議等を通じた進捗管理、研究者への指導・助言を適切に実施し、課題の進捗に応じて積極的に開発予算の見直しや再配分、調整費及び次年度予算の要求、新規施策等へ反映を行い、事業成果の最大化を目指した事業運営を行ったことは高く評価できる。<br>・このような取組により、研究開発推進にとどまらず、研究者の自由な発想に基づく学術研究とは一線を画し、機構が目指す「研究開発成果の最大化」に向けた方針の転換に相当する研究開発計画変更がなされ問題解決につながった事例も得られており、</td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
</table>

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | ント機能を果たす。 | の開始から推進、監視・管理、方針の転換まで一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメントを行う体制を構築する。 | | <table><tr><td>実現プロジェクト</td><td>究所脳科学総合研究センターサイエンスコーディネーター<br>津本　忠治<br>（平成 28 年度中より）<br>国立大学法人　東京大学大学院医学系研究科　教授　岡部繁男</td></tr><tr><td>新興・再興感染症制御プロジェクト</td><td>国立感染症研究所　名誉所員<br>宮村　達男</td></tr><tr><td>難病克服プロジェクト</td><td>学校法人　鈴鹿医療科学大学<br>大学院医療科学研究科 研究科長、看護学部 教授<br>葛原　茂樹</td></tr></table>（平成 31 年 3 月末現在）<br>・事業ごとに PS、PO を配置し（PS：計 67 名、PO：計 217 名（平成 31 年 3 月現在））、HP で公表した。選任にあたっては 50 歳未満の PO を委嘱するなど、積極的な人材活用を実施した。<br>・上記 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。（平成 30 年度は全研究事業で延べ 3251 回のサイトビジットや班会議への参加、研究者打合せ等により進捗管理を実施した。研究領域ごとの実施の実績については、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①～⑩の参考指標を参照。）<br>・また、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、調整費や次年度予算の要求、新規施策等へ反映を行い、事業成果の最大化を目指した事業運営を行った。<br>・各年度における医療分野の研究開発関連の調整費では医療研究の現状や社会のニーズを踏まえた機動的な配分を行った。<br>・平成 29 年度は、各連携分野の PD 及び AMED 内で統合プロジェクトの横断的なテーマを新規に選定し、「小児、AYA 世代の臨床開発」、「実用化に関する出口戦略」、「若手研究者・人材育成」をテーマとしたプロジェクト連携シンポジウムを計３回開催した。平成 30 年度は、横断的な企画機能を強化するため、事業統括室でプロジェクト連携シンポジウムの実施体制と方法を再検討し、「遺伝子治療・ゲノム編集等の基礎・臨床研究基盤整備」、「感覚器研究と QOL」、「認知症研究の更なる発展」「子どもの健全な成長・発達と疾患克服」をテーマとしたプロジェクト連携シンポジウムを計４回開催した。平成 31 年度につい | | プロジェクトマネジメント機能を適切に果たしていると評価できる。 | | |

ても、事業統括室でテーマや実施体制等について検討を行い、プロジェクト連携シンポジウムを開催する。

・平成30年度はプロジェクト連携シンポジウムの開催に併せて、PS・POへの情報共有と理事長との意見交換を目的としたPSPO全体会議を開催した。平成31年度はAMEDシンポジウムの開催に併せてPS・PO会議を開催する。

・PD等の任期と再任の考え方を見直し、60～65歳を含む現役世代のPS・POの参画を進めるため、「プログラムディレクター、プログラムスーパーバイザー及びプログラムオフィサーに関する規則」に年齢要件等を加えた改正を行った。

・平成30年度に、平成27年度終了課題のうち、医薬品・医療機器等の開発を目指す課題を対象に、課題支終了の実用化進捗状況の把握について新たな仕組みの検討のため、実用化進捗情報調査を実施した。今後、調査の実施方法に改善を加えつつ、継続的に実施することを検討する。

・平成30年度、感染症分野へのデータシェアリングポリシーの適用範囲拡大のため、「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」について、プロジェクト間･事業間横断的に大幅な改訂を行った。一部事業においてポリシーを適用した研究開発課題の公募を行った。

・平成30年度にAMSを改修し、データサイエンティストを含めてAMED内で情報を共有できるようシステムの対応を実施。AMSへのデータ搭載は令和元年5月頃を予定。また、令和元年度には､公開を希望するデータサイエンティストについてAMEDfindにも掲載する。

＜モニタリング指標＞

PD・PS・PO会議実施回数

| 27年度 | 28年度 | 29年度 | 30年度 |
|---|---|---|---|
| 46件 | 90件 | 84件 | 83件 |
| 81件 | 116件 | 123件 | 135件 |

（取組事例）

➢ 革新的先端研究開発支援事業については、平成27年度から平成 30 年度までに6つの新規領域を立ち上げ、それぞれPS、POが研究開発目標に基づいて領域設計を行った上で、研究提案の公募を行った。既存領域については、PS、POのマネジメントのもと、領域会議やキックオフ、サイトビジットなどを行い、研究の進捗管理を行った。

| | 27年度 | 28年度 | 29年度 | 30年度 |
|---|---|---|---|---|
| 領域会議・キックオフ | 5 | 6 | 11 | 9 |
| サイトビジット | 41 | 53 | 36 | 34 |

また､研究開発を進める上で必要となる最新技術を領域内で

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 共有し共同研究を促進するため、平成 30 年度テーマを絞った分科会を行った。<br>➢ 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、様々な改革を進めた。具体的には、平成 29 年度には、AMED-CREST、PRIME、LEAP の PS、PO が一堂に会する全体会議を開催し、制度横断的また研究領域横断的な議論を行い、LEAP の改革案や基礎研究成果を展開する必要性について合意がなされた。そして、LEAP 申請予定者と AMED 他事業の臨床・応用研究者との共同提案を促し応用開発力を強化するため、平成 30 年度には、研究者間のマッチングを行うシステムを導入した。また同年には、AMED-CREST や PRIME で得られた基礎研究成果を AMED 他事業等へより多くつなげるため、ステップタイプ（FORCE）を導入し、目的を絞った短期的支援を開始した。<br>➢ 老化メカニズムの解明・制御プロジェクトについては、PS、PO によるマネジメントのもと、事前評価委員会や PS・PO 会議、拠点構想会議、外部有識者を含めた研究推進会議等を開催し、拠点間連携や拠点構築に向けた事業運営、事業内外の連携方針等について、事業全体の方向性や研究全体の発展に関する議論を行うなど積極的な事業推進・運営に務めた。サイトビジットやリトリート会議等を通して、事業全体の進捗管理を行った。さらに事業外連携として、革新的先端研究開発支援事業の「機能低下」領域と合同リトリートや合同シンポジウムを行い、研究分野の促進や発展に向けた情報共有、意見交換、人材交流等を促進するとともに、理化学研究所等の老化関連研究機関との意見交換等を行う等、幅広い事業促進を行った。平成 29 年度第 2 回医療分野の研究開発関連の調整費（平成 29 年 11 月）では、老化研究で最もニーズの高い国際レベルの標準化データ取得のための寿命解析を充実させるため機動的な配分を行った。<br>➢ 成育疾患克服等総合研究事業および女性の健康の包括的支援実用化研究事業については、PS、PO のリーダーシップおよびマネジメントのもと、研究開発実施については PDCA サイクルをまわして着実に研究開発を推進した。具体的には、全ての研究開発課題の班会議（下記表）に対し、PS、PO 等が最低 1 名参加し、進捗管理、推進にあたった。また、PS・PO 会議（成育事業 1～2 回、女性事業 1～2 回）を実施し、事業および課題推進や新規の課題設定などを行った。さらに、両事業合同で「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」にて、小児、AYA（Adolescent and Young Adult： | | | |

思春期及び若年成人）世代における国内研究開発の取組みの現状と課題を共有した上で、今後さらに促進するためにAMED としてどのような支援が求められるか、活発な意見交換を行った。また、「AMED プロジェクト連携シンポジウム 2018：子どもに健全な成長・発達と疾患克服」を主催し、母子に関する最新の研究や動向について AMED 内で周知を図るとともに、研究者を交え早期のライフステージにおける疾病予防、家系情報付ゲノム情報の活用等についても議論した。また、事業の効率的運用のため、両事業で公募を合わせて行うとともに、評価委員の一部を兼任させるなどの連携を図り、一体的な運用を行った。

| 成育・女性事業 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 |
|---|---|---|---|---|
| PS・PO 会議 | 3 | 4 | 3 | 3 |
| 班会議 | 22 | 33 | 25 | 25 |

- 再生医療研究では PD が全事業の各評価委員会等にオブザーバーとして出席することや各事業の評価委員やPS、PO を相互に兼任すること等により、事業内連携の助言、研究開発計画、研究開発費、体制改善の見直し指示が効率的・効果的になされるよう工夫した。
  また、PD・PS・PO 全体会議を開催し、再生医療実現プロジェクトプロマネジメントについて議論を進めると共に、各事業間での情報共有を行った。
  平成 30 年 9 月に開催した「再生医療研究交流会」においては、再生医療実現プロジェクト以外の PS、PO にも参加してもらい、交流・情報共有をはかった。
- ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトでは次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業にそれぞれサポート機関を設置し、PD、PS、PO の指示の下、各事業の研究開発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体制を構築した。次世代がん医療創生研究事業では、サポート機関による進捗情報の整理に基づき、技術支援班によって研究開発課題横断的にタイムリーな技術支援を実施した。
- 国際脳事業においては、研究計画の確認を実施し懸念事項がある課題においては面談やヒアリングを実施し研究計画の調整や次年度に向けた取り組みについてマネジメントを行った。また、研究開発推進支援組織を整備して事業全体の把握や情報の共有を行えるウェブサイト等体制整備を行った。また、研究者からの要望や今後の展開についてヒアリングを行い、PS、PO を始め有識者も含めて議論を行い臨床研究から治験へ橋渡し検討や研究成果の取り扱い等についてマネジメントを実施した。

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ➢ 難治性疾患実用化研究事業や循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業などでは、全課題を対象に PS、PO による一斉ヒアリング等を実施した。一斉ヒアリング等における PS、PO からの助言に基づき、例えばシーズ候補に対して治験導入を促す指導を与える等の研究開発推進にとどまらず、方針の転換に相当する研究開発計画変更を実施する等、課題進捗に寄り添った一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメントが問題解決に繋がった事例を得た。<br>難治性疾患実用化研究事業「MIRAGE 症候群の治療法開発に向けた基礎的研究」では、PS、PO によるヒアリングでの指摘を受けて、当該疾患レジストリの拡充を目的として、本課題と未診断疾患イニシアチブ(IRUD)の連携を図った。<br>・難治性疾患実用化研究事業「難治性の肝・胆道疾患に対する治療介入の有効性についてのエビデンス作成のための研究」：当初計画していた原発性硬化性胆管炎に対する臨床研究を本研究計画から切り離し、原発性胆汁性肝硬変に研究内容を絞ることでより効果的に研究成果が出せるように方向転換を図った。<br>➢ 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英国で開催、国際共同研究の土壌を形成、具体的共同研究に追加配分などの支援を行うことで協力を発展させた結果、在京英国大使館との協力で第２回ワークショップを東京で開催した。これらの取り組みをもとに、国際部事業での日英共同公募、共同課題支援の議論に発展させた。<br>➢ プロジェクト一体運営を実現するために感染症研究課 5 事業合同の PDPSPO 会議を開催し、事業間の情報共有を行うとともに、事業の運営方法等について積極的な意見交換を実施した。また、事業を横断して兼任する PS、PO による課題横断的な助言により、事業間の連携を促し、課題の管理を円滑に進めた。さらに、製薬企業での経験のある PO を新規に委嘱し、研究班会議や評価委員会における適切な助言により、創薬関係の課題管理の強化に繋げた。また、各事業において、課題慎重管理の一環として PD・PS・PO によるサイトビジット、ヒアリング等を実施した。<br>➢ 革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいては、PD、PS、PO と密に連携を取り、一体となって事業のマネジメントを行った。革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいては、PD、PS、PO とともに全 13 拠点に対して拠点調査会議（サイトビジット）を実施した。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、協議等を実施した。<br>➢ 臨床研究・治験推進研究事業、「統合医療」に係る医療の質向上・科学的根拠収集研究事業、臨床研究等 IC 基盤構築研究事業、パーソナル・ヘルス・レコード利活用研究事業においては、機構職員が積極的に班会議に出席し、その内容を PS、PO と共有してマネジメントに活かした。特に臨床研究等 ICT 基盤構築研究事業、パーソナル・ヘルス・レコード利活用研究事業においては、PS、PO によるヒアリングを適宜実施し、課題の進捗管理を行った。<br>➢ 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）において、委託先との事務処理要領説明会、キックオフ会議やヒアリングを開催して連携を進め、その後、適宜 PS・PO と共に進捗確認会議、打ち合わせ、サイトビジットや中間評価などを実施し、シーズ・ニーズ把握を実施した。さらに、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ため、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を実施した。<br>➢ 革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業では、平成 29 年 12 月、オールジャパンでの医薬品創出プロジェクトの PD、および他の事業の PS に参集してもらい、当事業の PS･PO の事業運営方法に関するプレゼン、および顕著な成果を上げた研究者数名のプレゼンを行い、同事業の進め方についてディスカッションを行った。これにより、オールジャパン医薬品創出の各事業におけるマネジメント手法等の共有を行った。<br>➢ 創薬等支援技術基盤プラットフォーム（PDIS）では、3 名の PS、PO によってプロジェクトマネジメントを行った。全 63 課題のほとんど全てについてサイトビジットを行い、マネジメント強化を図った。PDIS ではできていなかった支援窓口の一本化について、BINDS では H29 年 9 月から「ワンストップ窓口」としてシステム構築し、達成した。この取り組みにより、事業内ユニット/領域間連携だけでなく、AMED 所管の他事業・課題（例：創薬ブースター、創薬基盤推進研究事業、次世代がん医療創生研究事業など）との連携が促進された。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | AMED に集約させた医療分野の競争的資金等の研究費申請手続きに関するワンストップサービスを実施する。また、これら研究開発事業の契約書の基本部分の統一を図り、これに合わせて各事業に共通する部分の事務処理を標準化する。 | | ■研究費申請手続きのワンストップサービス化<br>・平成 29 年度から、研究者等からの医療研究開発の一元的な情報提供の要請に応える必要性から、ワンストップサービスの更なる充実等を行うため、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 29 年 2 月 1 日に AMED ウェブサイトに開設して刷新を図った。平成 30 年度以降も引き続き実施している。 | 【研究費申請手続きのワンストップサービス化】<br>・研究者等からの相談に丁寧かつ的確に応えるため、一元的な対応窓口<br>「AMED ResearchCompass（AReC）」を引き続き実施したことは評価できる。 | | |
| | | さらに、各事業の募集等を適切に調整することにより、各事業の成果が次のフェーズの支援に円滑につながるように運営する。 | | ■一貫した切れ目のない支援に向けた取組<br>・フェーズをまたぐ切れ目のない支援に資するべく、公募や事業運営において様々な工夫を行った。具体的な取組事例は以下のとおり。<br>➢ 再生医療における臨床段階に移行するために必要なデータ、規制等をとりまとめた「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を平成 30 年 6 月に完成させ、本チェック項目を活用することにより、事業間連携を強化した。<br>➢ 平成 28 年 4 月から、AMED 部門横断的に個別シーズについて開発支援の成果を高めること、評価の共通基盤を構築することを目的に、開発段階において各ステージで実用化の可能性を評価することが可能か検討を開始した。製薬企業等も含め、ステージゲートと各ステージゲートで進捗評価（Go/no-go 判断）を行うためのチェック項目の具体的な内容の検討を行い、平成 29 年 12 月に「研究課題マネジメントチェック項目（医薬品）」を公表、その実運用について検討を行う「研究課題マネジメント会議」及びその下に各ステージゲートでの検討を行うワーキンググループを設置した。平成 29 年度は医薬品の実用化に関する一部事業の公募で試行的に運用を行い、平成 30 年度は AMED 全体で医薬品の実用化に関する公募課題を有する 8 事業（約 300 課題）について、事業を担当する部及び課と連携して研究マネジメントチェック項目（医薬品）の運用をおこなった。<br>・フェーズをまたぐ切れ目のない支援に資するべく、公募や事業運営において様々な工夫を行った。具体的な取組事例は以下のとおり。<br>➢ 医療機器開発の重要なステージゲートにおける研究開発マ | 【一貫した切れ目のない支援に向けた取組】<br>・各種事業において、事業の成果を次のフェーズ支援の支援に円滑に繋げることを意識して、公募設定や募集方法の改善・工夫、課題採択に取り組み、切れ目ない支援に繋がった事例が得られたことは、「研究成果の最大化」に資するものであり評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ネジメントチェック項目リストを作成（平成 30 年 11 月策定）し、平成 31 年度の公募より適用を開始した。<br>➢ 産学連携部の PD・PS・PO 会議を毎年度実施し、プロジェクトマネジメントの改善や医療機器開発のあり方等について意見交換を行った。<br>事業の一部については、研究課題に関する技術・知財面での情報共有や、事後評価結果の当該事業内および他事業における事前評価の参考資料としての活用などを行うことで、研究費の効率的・効果的な運用や切れ目のない支援や質の高い課題採択に資するべく事業間連携を図った。また、研究が進捗し、他の事業による支援が可能であると考えられる研究チームについては、伴走コンサルを積極的に活用するなど、後継事業に採択されるために必要な研究項目の支援を行った。<br>➢ 革新的先端研究開発支援事業では、平成 27 年度から平成 30 年度まで、企業との連携等による研究加速が期待できる有望な課題について、インキュベートタイプ（LEAP）として採択した。また、革新先端事業において、画期的シーズの創出・育成をより一層進めるため、LEAP 申請予定者と AMED 他事業の臨床・応用研究者との共同提案を促し、研究者間のマッチングを行うシステムを平成 30 年度に導入した。さらに、同年には、AMED-CREST や PRIME で得られた基礎研究成果を AMED 他事業等へより多くつなげるため、ステップタイプ（FORCE）を導入し、目的を絞った短期的支援を開始した。<br>➢ 再生医療研究課では PS、PO が別事業の評価委員を兼任することにより、事業間の連携を進めた。また、プロジェクトの垣根を越えた採択連携を行うと共に、その後のフォローも連携して行う等切れ目ない支援を行った。<br>➢ 疾患特異的 iPS 細胞を活用した創薬支援を中心に。難病研究・臨床研究の各部門と情報共用を行い、事業協力を進めた。<br>➢ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトでは、有望な成果の導出を加速するため、特に進捗の優れた研究開発課題を事業内または事業間で次のステージへ進める仕組みを構築し、AMED のマネジメントにより省庁の枠を超えスムーズな課題移行を実現した。<br>➢ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトでは次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業にそれぞれサポート機関を設置し、PD/PS/PO の指示の下、各事業の研究開発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体制を構築している。基礎研究から実用化まで一元的なマネジメントの実現に向けて、両サポート機関が、研究倫理研修会の合同開催や、市民向け成果報告会および PD/PS/PO 会議での活動報告などを通じて、互いに連 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 携を強化した。<br>➢ 難治性疾患実用化研究事業では、シーズの探索を行うステップ 0、医師主導治験の準備を行うステップ 1、医師主導治験を行うステップ 2 の課題を設置し、各フェーズを見据えた支援を行った。また、長期にわたる治験・臨床研究への道のりを見据えた制度設計の試行として、45 歳以下の若手研究者を代表者とする研究開発提案に限定した公募を実施した。その結果、同事業の通常の応募数を上回る 132 件の提案があり、非常に評価が高かった 10 件の提案を採択した。採択されたこれらの若手研究者は、同事業での継続的な研究推進を含む今後の活躍を通じ、難病分野において指導的役割を果たす研究者集団を形成することが期待される。事業の一部については、研究課題に関する技術・知財面での情報共有や、事後評価結果の当該事業内および他事業における事前評価の参考資料としての活用などを行うことで、研究費の効率的･効果的な運用や切れ目のない支援や質の高い課題採択に資するべく事業間連携を図った。<br>➢ 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）では、既採択全課題をポートフォリオ化し、その結果確認された研究開発のステップおよび領域毎に募集を行い、各ステップにおける研究目標、成果が明確になるよう、募集方法を改善した。<br>➢ 腎疾患実用化研究事業では開発パイプラインを意識した課題管理を行うなど事業運用の改善を行った。<br>➢ 感染症研究課では、実用化に向けたシームレスな支援の実現のため、創薬戦略部、知的財産部、産学連携課と連携し、実用化に近い課題についてのヒアリングやサイトビジットを実施し、後継事業への公募･採択の支援を行った。<br>➢ 革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおける個別研究課題（シーズ）の選定に際しては、平成 29 年度に引き続き、橋渡し研究戦略的推進プログラムと革新的医療シーズ実用化研究事業を一つの公募で募集し、同一の評価委員会で採択・評価を行った。また、同プロジェクトの成果報告会においては、各研究者からのポスター発表ブースを設置する等の対応により研究者と企業のマッチングを推進した。<br>➢ 臨床研究課の「臨床研究等 ICT 基盤構築・人工知能実装研究事業」において在宅医療機器の臨床研究を実施している研究者より、医師主導治験を実施するにあたり、継続の研究費に関する相談を受けた。担当者が機構内の公募を検討したところ、医療機器研究課に適切と考えられる公募「医療機器開発推進研究事業」があったため情報提供した結果。同研究者は当該事業に提案し、提案採択され、研究期間も研究費も途切 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | れることなく、臨床研究から医師主導治験の準備へと繋がる支援を行うことができた。<br>➢ 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）は、事業の特性上、フェーズレスな支援を行うことから、公募においては、課題評価委員会委員及び専門委員全体で、評価の多様性を図りつつ、幅広い見識がある方が望ましいとして、企業の役員経験者などを評価委員とした。また、事業運営においては、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した。<br>➢ 障害者対策総合研究開発事業にて支援していた「両側前庭障害患者に対する経皮的ノイズ前庭電気刺激のバランス改善効果を検証する医師主導治験の実施と在宅使用可能な経皮的ノイズ前庭電気刺激装置の開発」について、治験機器製造及び安全性試験実施されたものを医療機器開発推進研究事業」で採択し、平成 30 年度に医師主導治験を開始した。<br>➢ 臨床研究等 ICT 基盤構築研究事業にて支援していた「在宅医療における再入院を阻止する革新的 ICT モニタリング環境の構築」による成果を、医療機器開発推進研究事業で採択し、「在宅心不全患者の再入院を回避する革新的 ICT 遠隔モニタリング環境の有用性の検証」として今後、医師主導治験の実施を予定。<br>➢ 未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業にて支援していた「磁気ナノ粒子によるセンチネルリンパ節の特定とがん転移の迅速診断法の開発」の成果を海外展開させるため、医工連携事業化推進事業にて、「乳腺非触知病変摘出のための磁性を用いたピンポイント検出システムの開発・海外展開」として採択し、事業化を加速させた。<br>➢ 平成 28 年度には、ユニットタイプ（AMED-CREST）の研究課題「腸内常在細菌特性理解に基づく難治性疾患新規治療法の開発」をインキュベートタイプ（LEAP）で採択し、機能的なヒト腸内細菌株カクテルを単離同定することによる感染症・慢性炎症・がん・代謝疾患に対する革新的な予防・治療法の開発を次のフェーズへつなげた。<br>➢ 平成 29 年度には、ユニットタイプ(AMED-CREST)の研究課題「疾患関連リゾリン脂質の同定と医療応用」をインキュベートタイプ（LEAP）で採択し、リゾリン脂質および受容体 GPCR の病態意義解明を通じた創薬、バイオマーカー開発等を次のフェーズへつなげた。<br>➢ 平成 30 年度には、ユニットタイプ(AMED-CREST)の研究課題「制御性 T 細胞を標的とした免疫応答制御技術に関する研究開発」をインキュベートタイプ（LEAP）で採択し、炎症性 T 細胞を制御性 T 細胞に機能転換できる新しい免疫抑制法の | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 確立を通じた様々な炎症性疾患の治療法開発等を次のフェーズへつなげた。<br>➢ 「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細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」と「橋渡し研究加速ネットワークプログラム」や「難治性疾患実用化研究事業」の連携により、平成30年度に2件の治験の実施に結びついた。<br>① Pendred症候群に対する、シロリムスの治験の実施。<br>② ALSへのロピニロール塩酸塩の治験の実施<br>③ 疾患特異的iPS細胞を用いたスクリーニングにより、ALSへのボスチニブの治験を開始。<br>➢ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトでは、次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム／次世代がん医療創生研究事業で得られた有望な研究成果39件（うち3件がステージゲート評価による課題導出）を革新的がん医療実用化研究事業の支援につなげることができた。<br>➢ カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノムデータベースを活用し、多剤耐性菌感染症に有効な新規抗菌薬の候補物質を見出し、平成30年度より創薬戦略部に課題を橋渡しすることにより、新規抗菌薬の導出に向けて開発を進めた。<br>➢ 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の支援課題の一部である万能インフルエンザワクチンの創出に関する研究について、「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)」にて採択され、実用化に向けたシームレスな支援を行った。<br>➢ 産学連携医療イノベーション創出プログラム（ACT-M)、感染症実用化研究事業（肝炎等克服実用化研究事業）の成果を元にした「C型肝硬変等に対するCBP/β-カテニン阻害剤を用いた抗線維化治療薬の開発」を平成30年度「橋渡し研究戦略的推進プログラム公募（シーズC)」で採択し、拠点の開発支援を受けて医師主導治験を開始した。<br>➢ 再生医療実用化研究事業、再生医療実現拠点ネットワークプログラム、難治性疾患実用化研究事業、橋渡し研究加速ネットワークプログラム、橋渡し研究戦略的推進プログラム（シーズA）の支援を受けて研究開発を行い、iPS創薬から得られた知見をもとにしたPendred症候群の難聴・めまいに対する低用量シロリムス療法の医師主導治験について、平成29年度「橋渡し研究戦略的推進プログラム」（慶應義塾大学拠点）シーズC（臨床POC取得を目指す課題）の支援を受けて、治験を実施している。プレスリリースや進捗状況の確認を再生医療研究課と連携して行った。<br>➢ 「研究成果最適展開支援プログラム（A-STEP）ハイリスク挑 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 戦タイプ」の成果を基にした「アルギン酸を使用した再生医療技術のための新規 scaffold の開発」について、平成 29 年度「橋渡し研究戦略的推進プログラム・シーズ B（非臨床 POC 取得を目指す課題）」で採択し、非臨床 POC 取得に向けた研究を実施している。研究者と両事業の PO、機構職員が参加して情報交換会を実施し、開発状況の情報共有を行った。<br>➢ 臨床研究等 ICT 基盤構築・人工知能実装研究事業の在宅医療機器の臨床研究の課題が、医療機器開発推進研究事業の医師主導治験の課題へと引き継がれるにあたり、両課と研究者が一堂に会し、研究開発計画書等の作成に関する打ち合わせを実施した。また、大学のシーズ登録を紹介したところ、研究者によるシーズ登録がなされ、医師主導治験の準備が進んだという報告を受けた。なお、現在の AMS では、研究開発課題名や研究開発代表者が変更になると継続課題として追跡することができないため、それぞれの計画書に課題管理番号等の基本情報を含める対策を講じた。<br>➢ 創薬支援推進事業では、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所等の創薬支援ネットワーク構成機関と創薬開発の専門家である AMED のプロジェクトマネージャーにより支援テーマに応じた支援を実施し、研究開発ステージにあわせた支援を継続することで、現在までに 6 件の導出を達成し、導出の KPI（当初の定義：創薬支援推進事業のみで 5 件）を 1 年前倒しで達成した。 | | | |
| | また、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調整費の活用や研究機器の合理的使用など工夫を行う。<br>さらに、効果的な研究開発を行う上で、研究開発に係る情報の集約及び分析、それに基づく研究開発マネジメントが重要である。従って、AMED が実施する課題を始め | また、AMED から交付される研究費については、現場で効果的に活用できるよう、調整費の活用や研究機器の合理的使用など工夫を行うことにより、医療研究開発を促進する。<br>さらに、効果的な研究開発を行う上で、研究開発に係る情報の集約及び分析、それに基づく研究開発マネジメントが重要である。従 | ＜評価軸＞<br>・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。<br>・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 | ■研究費の効果的運用に関する取組<br>・平成27年度より継続して「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。<br>・上記の「研究費の機能的運用」については、研究機関の事務担当者を対象とした事務処理説明会で説明を行うとともに、説明会のインターネットライブ配信や、HP への資料掲載などにより、研究者及び研究機関への周知に努めた。<br>・平成28年度に「研究費の機能的運用」の周知と実施状況の把握のために実施した研究機関へのアンケート結果やAMED の取り組みについて、平成29年度に発行されたAMED の成果集「3つのLifeに向け挑戦するAMED」へ掲載した。<br>・研究の実施に当たっては、年度途中における研究費の増額・ | 【研究費の効果的運用に関する取組】<br>・研究費の効果的運用に関する取組を着実に実施したことは評価できる。<br><br>【国際的視点を意識し、評価システムの共通化への取組】<br>・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、１０段階共通評価システムの導入、国際水準での評価等を目指した国際レビューアの導入、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の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 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 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る。また、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る。 | って、AMED が実施する課題を始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る。また、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る。 | 進めたか。<br><br>＜評価指標＞<br>・研究費の効果的運用に関する取組状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・研究費の効果的運用に関する計画変更数及び契約変更数 | 減額の弾力的運用等による「研究費の機能的運用」の推進に加え、契約書及び各種様式の簡素化等による「研究費事務処理の簡素・合理化」に継続的に取り組んでいる。<br>また、研究成果の報告についても、英文での報告や活動総括概要を廃止するなど、適切に簡素化を行い、研究者の負担軽減を図っている。<br>・研究成果報告書については考え方の整理を行い、年度報告の簡素化や報告様式の統廃合、毎年度のHP公開における新様式への統一などを行った。また、複数年にわたる総括報告については、従来、事後評価の際に提出を求めてきた報告書（事後評価報告書）の一部として、研究開発代表者に作成を求めることとした。<br>＜モニタリング指標＞<br>研究費の効果的運用に関する計画変更数及び契約変更数<br><table><tr><td>27 年度</td><td>28 年度</td><td>29 年度</td><td>30 年度</td></tr><tr><td>471 回</td><td>795 回</td><td>846 回</td><td>734 回</td></tr></table><br>■国際的視点を意識し、評価システムの共通化への取組<br>・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。<br>・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年度は13事業で実施（含む予定）しており、以降順次拡大し、本格的に実施していくことを目指し検討を推進。 | より適切に行えるよう、医薬品、医療機器、再生医療製品についても研究開発マネジメントチェック項目を作成、運用をできたことは高く評価できる。 | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(1)―② | (1)AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等<br>②研究不正防止の取組の推進 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、難易度 | － | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 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 | | 25 回<br>4,524 人 | 18 回<br>2,075 人 | 15 回<br>1,716 人 | 16 回<br>2,009 人 | |
| 研究倫理教育プログラムの履修及び利益相反管理の要請数 | | 1,030 件 | 609 件 | 845 件 | 788 件 | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 4,910,148 の内数 | 5,023,556 の内数 | 5,591,643 の内数 | 5,663,409 の内数 | |
| 決算額（千円） | 3,714,767 の内数 | 4,782,684 の内数 | 5,780,113 の内数 | 5,897,604 の内数 | |
| 経常費用（千円） | 3,406,993 の内数 | 4,786,289 の内数 | 5,649,104 の内数 | 5,799,415 の内数 | |
| 経常利益（千円） | 137,703 の内数 | 101,661 の内数 | 182,995 の内数 | 150,702 の内数 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 3,202,425 の内数 | 4,415,604 の内数 | 5,819,965 の内数 | 5,907,400 の内数 | |
| 従事人員数 | 227 人の内数 | 253 人の内数 | 290 人の内数 | 290 人の内数 | |

注）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指 | 法人の業務実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | （期間実績評価） |

| | | | 標等 | | | 評定 | | 評定 | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 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、専門の部署を置き、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るとともに、 | 公正かつ適正な実施の確保を図るため、機構内に研究公正・法務に関する専門の部署を設置し、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。具体的には、機構が配分する研究費により実施される研究に対して、競争的資金制度を所管する関係府省で構築した研究開発管理システムを活用し、研究費の不合理な重複及び過度の集中を排除する。また、基礎研究及び臨床研究における不正事案防止のために、関連する法令・指針遵守等のための啓発活動に取り組むことを通じて、研究費の不正使用及び不正受給並びに研究上の不正の防止対策を実施するほか、特に、臨床研究においては、関連府省との連携により、透明性の確保、利益相反管理、イン | ＜評価軸＞<br>・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。<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・専門部署の設置状況<br>・機構で実施されている研究の公正かつ適正な実施の確保に向けた取組状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・研究倫理教育プログラムの履修及び利益相反管理の要請数 | ■専門部署の設置と体制の整備（平成 27 年度）<br>・公正かつ適切な研究開発の実施を確保するため、医療法制、法律等の知識・経験を有する専門的人材を擁する研究公正・法務部を設置した。<br>・不正行為等の告発等窓口等を設置した。<br>・文科省、厚労省、経産省の各ガイドラインを受けた統一的な規則となる「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」を制定・改定公表した。<br>■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（平成 28 年度から）<br>【規則、契約書等の整備と周知】<br>・研究開発の透明性・公正性・信頼性を保つことを目的とした「研究活動における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。<br>・機構の全事業における公募要領、事務処理説明書、契約書、補助金取扱要領等に、法令、国の指針及び規則の遵守並びに不正行為等への対応に関して記載するとともに、これら各文書の法的観点からの妥当性について広く検討し、適正化のための修正を実施し、研究機関に周知した。<br>・再委託先において機構の事業や他の公的研究資金による研究における不正行為等の疑いが生じた場合に、受託機関を通じた機構への速やかな連絡のため、再委託先が受託機関に通知する義務を課すよう「再委託契約書作成における注意書き」作成に協力した。（平成 28 年度）<br>・以上の法令、指針及び規則の遵守並びに不正行為等への対応について周知を図るため、研究者や事務担当者等を対象とした説明会を継続的に開催した。平成 27 年度は 18 回開催、4,296 人参加。）。平成 28 年度は合計 7 回開催し、計 787 名、平成 29 年度は合計 5 回開催し、計 832 名、平成 30 年度は合計 5 回開催し、計 1,056 名が参加した。<br>・研究公正に関する説明会をホームページ等により募集し、研究機関等からの要望に応じ、平成 27 年度は 3 機関、計 628 名参加。平成 28 年度は研究公正に関する講習会を 2 機関、110 名参加。出前説明会として平成 29 年度は 2 機関 208 名参加、平成 30 年度は 3 機関 375 名参加した。平成 31 年度も数回開催見込み。<br>・個人情報保護法等の改正に伴う「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」及び「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」の一部改正を受けて、機構主催の「研究倫理指針の改正に関する説明会」を開催した。（平成 29 年 3 月 9 | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br>・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、機構の研究活動に参画する研究者への研究倫理教育プログラムの義務づけ、その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、研究データの質向上の指導者育成プログラム開発等の推進、研究倫理ホームページの公開、各研究開発課題における利益相反管理の状況の報告を求めたこと、臨床研究中核病院等以外の臨床研究実施機関に対して、倫理指針の遵守状況及び臨床研究法の対応状況を確認すること、また、関係機関と連携したシンポジウム、セミナーを開催するなど、他の配分機関にない特徴的な取組みを行うことにより、ノウハウの蓄積及び人材育成を強力に推進した。<br>・また、不正行為等に関する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（対研究機関対応を含む）と制度の整備を実施するなど、所期の目標を達成した。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ため、評定を B とする。<br><br>【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<br>・AMED 設立時から公正かつ適切な研究開発の実施のために、医療法制、法律等の知識・経験を有する専 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | フォームド・コンセントの取得、倫理委員会承認後のフォローアップ、被験者保護などに関する質の確保に努める。 | | 日に東京で開催（100 名参加）、同年 3 月 15 日に大阪で開催（72 名参加））。また、文部科学省及び厚生労働省と連携して機構主催の「研究倫理指針の改正に関する説明会」を開催した。（平成 29 年 5 月・6 月に広島市、高松市、熊本市、盛岡市、旭川市で開催（134 名参加））。<br>【機構内事業の支援を通した制度の整備】<br>・機構内事業の制度設計に関して、事業担当者と連携しながら、法的観点からの助言を行った。特に、医療研究開発革新基盤創成事業の開始に当たっては、事業を所管する内閣府に研究資金に対する不正行為等のガイドラインがないことが判明したため、内閣府に必要性の説明を行った。<br>・医療分野の研究倫理に関する課題について事業担当の課室を横断して検討し、その成果を提供することにより、大学・研究機関等における研究倫理の取組の強化に資することを目的とする、「研究倫理に関するタスクフォース」を 6 回開催し、事業担当の各課におけるこれまでの取組状況と今後の展開について報告するとともに、研究倫理関連の研究開発課題について情報共有をした。<br>【不正発生時の対応：機構各部門との連携及び研究機関や他府省との連絡調整】<br>・不正行為等の発生に伴い、法令、指針、規則に基づき、研究機関・関連府省庁及び事業担当者に対する連絡調整及び指示を行った。また、機構の事業で発生した不正使用が研究機関で認定されたことへの対応として、機構にて措置検討委員会を設置し、被認定者に対して申請・参加制限措置を決定し、関係府省に連絡するとともに、ホームページにおいて公表した。<br>・不正事案に対応するため、他の資金配分機関や関係府省に対して、事実確認の方法や指針等の法的解釈について現地調査や聞き取りを行い、機構内で情報共有を図るとともに、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、対応フロー等について必要な見直しを行った。機構内における基本的な業務の手順に沿って調査対象の課題を担当する事業部、経理部、研究公正・法務部が対応する事項を示した「研究活動における不正行為等の対応業務マニュアル」を平成 31 年 3 月末に策定し、機構内で認識を共有するなど体制の整備を継続している。<br>・また、「研究活動における不正行為に対する調査方法に関する調査」を実施した。本調査では、海外の資金配分機関である DFG（ドイツ）及び MRC（イギリス）を訪問し、機構の | 門的人材を擁する研究公正・法務部を設置し、不正行為等の告発窓口を設置している。契約書、不正に対する規則等を整備して研究機関に周知を継続していることは評価できる。毎年度研究公正に関する説明会を開催し多数の参加者を得たことは評価できる。<br>・毎年度機構内の新規事業や課室を横断する問題に対して研究公正・法務部として支援したことは評価できる。<br>・不正行為等の発生に伴い、契約、指針、規則等に基づき、研究機関・関連府省庁及び事業担当者に対する連絡調整及び指示を実施するとともに、不正行為等が認定された者に対する措置を決定したことは評価できる。<br>・不正発生時における機構内関係部署との連携・協力体制を整備したこと、また、機構内での不正対応のための業務マニュアルを作成したことは評価できる。<br>・e-Rad を利用して研究費の不合理な重複及び過度の集中について確認するとともに、e-Rad の利用について事業担当者からの意見を取りまとめたことは評価できる。<br>・また、研究機関における会計情報・成果情報の e-Rad への入力を徹底するよう要請するとともに、支援ツールを提供したことは評価できる。<br>・他の配分機関で参加制限措置を受けた者の取扱いについて事業担当者への説明をしつつ、AMED 事業への入り込みがないように事業担当課に確認を依頼したことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞ | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 取組みの紹介並びに不正発生時における調査方法等につきヒアリングを行った。今後は不正事案の調査や事実認定の知見を整理して実践に役立てることを予定している。<br>・事業部門から不正事案の本調査中の研究者が研究開発代表者や分担者に含まれている事実につき研究機関が機構に報告を行なわず、不正行為が認定される蓋然性が高いにもかかわらず研究機関がそのまま契約締結に至ろうとする事案が存在するとの相談があった。このような経緯があったため、契約締結前に本調査の対象者に関する事実の報告を研究機関から機構に行わせ、当該研究者の取扱い・契約締結の有無の判断権を機構に担保するために、委託研究開発契約書及び補助金取扱要領において、研究機関の義務として契約締結前に通知することを規定した。<br><br>■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<br>・各部門との連携を通じ、e-Rad 等の利用による不合理重複・過度集中の排除を行うとともに、基礎研究及び臨床研究において遵守すべき法令、指針等の周知等の啓発活動を推進した。具体的には、次の取り組みを実施した。研究公正・法務部に連絡があり、<br>・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の間の連絡窓口に関する業務を行った。<br>・「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。<br>・e-Rad、研究提案書等の情報に基づき、研究費の不合理な重複及び過度の集中について確認した。<br>・機構の全事業における公募要領、事務処理説明書、契約書等に法令等遵守、不正時の措置等に関する記載をし、注意喚起した。<br>・応募または採択された研究者や事務に従事する者等を対象とした法令、指針遵守等のための説明会を開催した（平成 27 年度 18 回開催、4,296 人参加。）。<br>・HP 等による募集を行い、研究機関等からの要請に応じ、講習会を実施した。（3 機関、計 628 名参加。）<br>・関連した取組として、上記のほか次のような対応を行った。 | ・研究の公正かつ適正な実施の確保に向け、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マニュアル及び対応フロー等を適宜見直し、機構内で認識を共有するなど、引き続き体制の整備に努める。<br><br>【適正な倫理研究推進に向けた取組】<br>・倫理指針の遵守状況を確認することで様々な規模の研究機関の現状を詳細に把握でき、また、指針からの逸脱に対しても厚生労働省の指示を仰ぎ適宜対応できていることは評価できる。<br>・臨床研究法の対応状況を確認することで、様々な規模の研究機関の現状を詳細に把握できていることは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ➢ 不正規則、公募要領、事務処理説明書、契約書等の各種文書やリサーチレジデント等制度の法的観点からの検討を行った。<br>➢ e-Rad 情報のメンテナンス、不正者リストの整備を行った。<br>➢ 事業部全課室が参加する研究公正連絡会において、不正者排除の具体的方策について周知・徹底した。<br>➢ 不正事案への対応のため、他の配分機関における対応やフローについて聞き取りを行うとともに、機構内関係部署と連携し協力体制について協議し、対応やフロー等について整備を行った。<br>➢ 内閣府から会計情報・成果情報の e-Rad への入力を徹底するよう要請を受け、研究機関等へ徹底させた。その際に会計情報の入力を支援するツールを作成・配布するとともに、事業担当者への説明会を開催し、情報共有を図り、研究機関等に対してホームページ等により周知を行い、負担を軽減した。<br><br>■適正な臨床研究推進に向けた取組<br>・臨床研究を実施する機関や倫理審査委員会に対して、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」（平成 27 年 4 月 1 日施行）の遵守状況の確認を書面及び実地にて行った。また、平成 29 年度からは「臨床研究法」（平成 29 年 4 月 14 日公布、平成 30 年 4 月 1 日施行）の施行を見据えた体制整備の対応状況についても確認を行った。<br>・平成 27 年度～28 年度においては、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」による規程や手順書等と体制の整備に時間を要していることが見受けられたが、平成 29 年度～30 年度においては、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いることが確認できた。<br>・「臨床研究法」への対応については、平成 29 年度には、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。平成 30 年度には、特定臨床研究を実施する研究者を支援する体制整備が進められ、法に基づく臨床研究審査委員会に認定されている機関も見られた。<br>・確認の結果については厚生労働省へ報告し、手続き上の不備等が見られた機関については、さらに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。<br><br>【各年度の事業名及び対象の臨床研究機関数】<br>・平成 27 年度～28 年度　治験適正推進事業（14 機関） | | |

<table>
<tr>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td>・平成 29 年度　臨床研究適合性確認事業（14 機関）<br>・平成 30 年度　臨床研究実施基準等適合性確認事業（14 機関）<br><br>＜モニタリング指標＞<br>研究倫理教育プログラムの履修及び利益相反管理の要請数<br><table><tr><td>年度</td><td>平成 27 年度</td><td>平成 28 年度</td><td>平成29年度</td><td>平成 30 年度</td></tr><tr><td>件数</td><td>1,030</td><td>609</td><td>845</td><td>788</td></tr></table></td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
<tr>
<td></td>
<td>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る。</td>
<td>また、研究倫理教材による研究者に対する研究開発活動の不正行為の防止に係る啓発活動等の取組により、ノウハウを蓄積するとともに、専門的人材の育成に取り組むことで、研究開発活動の不正行為の防止の取組を強化する。さらに、研究費の配分機関として、「研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」（平成 26 年８月文部科学大臣決定）等に則って、不正行為の疑惑が生じた際等に適切に対応する。</td>
<td>＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・研究不正の防止に関するノウハウの蓄積、専門的な人材育成の取組状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・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</td>
<td>■研究倫理教育プログラムの履修と利益相反管理<br>【研究倫理教育プログラムの履修】<br>・国のガイドラインに基づき、不正行為を事前に防止する取り組みの一環として、機構の所管する研究費により行われる研究活動に参画する研究者全員を対象とする研究倫理教育プログラムの履修を義務づけ、ホームページにて公表した。<br>・研究倫理教育プログラムのより実効的な実施を図ることを目的として、「諸外国の研究倫理教育の実施状況に関する調査」を委託した。今後内容を分析して実務に活用する予定である。<br>【利益相反管理】<br>・研究の実施にかかる体制整備の一環として、各研究開発課題における利益相反管理の状況の報告を研究開発代表者及び研究開発分担者に求めた。<br>・平成 30 年 3 月 31 日末で経過措置が終了となり、また平成 30 年 4 月 1 日付で臨床研究法が施行されたことから、「研究活動における利益相反の管理に関する規則」を平成 30 年 4 月 1 日付で改正し、また「利益相反管理状況報告書」の書式を変更し、利益相反委員会の設置が困難な機関については、「別表」に記入することで利益相反管理が行えるようにした。研究者において適切な運用がされるように FAQ などを充実させるなど周知に努めた。<br>■ ノウハウ蓄積と専門的人材育成の取組<br>・【研究機関・研究者の意識の底上げのための取組】<br>・研究機関における研究不正未然防止の強化や研究公正の高度化を図ることを目的として教育教材等の作成及び研究公正の取組強化のための調査研究を進めた。<br>・特に、「研究倫理教育に関するモデル教材・プログラム等の開発」は、研究現場での研究倫理教育に関するニーズを踏まえた目的・内容の提案を、公募により受け付けて教育研修教材等を開発するという特徴ある事業であり、平成 30 年度が最</td>
<td>【研究倫理教育プログラムの履修と利益相反管理】<br>・機構の事業に参加する研究者に対する研究倫理教育プログラム履修の義務付けを行ったことは評価出来る。<br>・研究機関における利益相反管理規則の制定を行い、FAQ などを充実させ、運用を図ったことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・研究機関における研究倫理教育プログラムの履修においては、「研究公正高度化モデル開発支援事業」の成果物の利用を促進していく。<br>・利益相反管理状況の報告について、AMED への報告内容などの運用をさらに改善し、FAQ を充実させて研究機関等への適切な周知を行う。<br><br>【ノウハウ蓄積と専門的人材育成の取組】<br>・研究不正未然防止の強化や研究公正の高度化を目的とした教育教材の作成等事業、研究公正責任者など約 900 機関、約 2,500 名がメンバーのネットワーク（RIO ネッ</td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
</table>

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 終年度であるため、本事業において作成された教材等をAMEDのHPで公開した。また、平成31年2月6日に『研究公正シンポジウム　平成28年度研究公正高度化モデル開発支援事業成果報告会』を開催し、関係者に研究成果を紹介する機会を設けた。一般参加者は199名であった。<br>・研究機関における研究データの品質管理や保管管理の状況を把握するために、「研究データのモニタリング（QC）及び生データの保管に関する調査」を行った。国内に関しては111の部局及び270の研究室からアンケートの回答があり、12大学及び2企業への現地調査も行った。海外については10ヵ国についてWeb等で調査を行い、イギリス、オランダ、デンマークの13機関の現地調査も行った。<br>・上記の調査結果を受けて、将来の研究開発の発展及び非臨床研究の研究データの質向上のため、研究現場での研究データの質向上指導者を育成する教育プログラムを開発し、全国各地で研修会を開催して指導者を育成する「研究データの質向上の指導者育成プログラム開発事業」で、平成30年5月15、16日にエジンバラ大学の研究データの専門家を招聘してキックオフミーティング開催し、また同年11月26日にアドバイザリーボード会議を開催した。<br>・RIO (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ており、継続している。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）。（平成31年3月末の登録機関数：約900機関、約2,500名）。<br>・RIOネットワークの構築により、研究公正に関する諸情報が研究公正責任者等に速やかに伝達できるようになった。また、RIOネットワークシンポジウムの資料及び動画等の公開や、研究公正高度化モデル開発支援事業における教材及び教育プログラムの作成状況を周知した結果、速やかな閲覧や利用が図られた。結果、RIOネットワークの構築とシンポジウムの開催の相乗効果により、研究倫理責任者等の知識・能力の向上のための研究倫理教育教材の普及が進められた。 | トワーク）構築を受け、規模の拡大を図ったことは評価できる。<br>・研究現場での研究データの質向上指導者を育成する「研究データの質向上の指導者育成プログラム開発事業」を行ったこと、研究倫理に関する情報提供のためのホームページ構築及びケースブック、「普及版」及び「考え方例集」の作成等を実施したことは評価できる。また、他法人との連携も含めた各種セミナー、シンポジウムを通して、参加者の意識の底上げに寄与することができた。<br><br>＜今後の課題＞<br>・研究不正の防止に関するノウハウの蓄積、専門的な人材育成の取組に資するRIOネットワークは、2019年度以降もトピックス等に応じた小規模な分科会的な活動をさらに活発化させるとともに、メールマガジンの配信サービス、研究倫理に関するホームページや、各種セミナー、シンポジウムの開催など、一方的な情報発信ではなく、双方向の情報交換となるよう充実を図るとともに、ケースブックの普及も継続して進める。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・RIO ネットワークメンバーの提案により、分科会として「倫理審査委員教育実施に向けたワークショップ」を平成 31 年 1 月 30 日と 2 月 20 日に東京で、3 月 20 日に大阪で開催した。参加者は 3 会場で 113 名であり、参加者は倫理審査委員会委員の教育の実施方法等を学ぶとともに、今後参加者同士で悩み等を気軽に相談できる関係が構築された。平成 31 年度は分科会の開催回数を増やす見込み。<br>・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」を平成 30 年 5 月に公開した。<br>・文部科学省研究公正推進事業の一環として「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の事例集「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 月に刊行し、平成 30 年 4 月以降、RIO ネットワークなどを通じて約 2,400 部を配布した。また、PDF 版を 6 月に AMED の研究公正の HP で公開した。<br>・上記のケースブックのうち、画像処理に関する部分を抜き出して A4 版 8 ページの小冊子を作成し、RIO ネットワークなどを通じて約 3,600 部を配布した。<br>・また、研究倫理教育の講師やファシリテーターの経験が浅い人にも上記のケースブックを活用していただけるように、ケースブックに記載されている「設問」に対する標準的な考え方をまとめた「考え方例集」を平成 30 年度に編集し、平成 31 年 3 月に刊行した。4 月以降に RIO ネットワークなどを通じて希望者に広く配布した。<br>・「資金配分機関部会」(平成 30 年 10 月)を開催し、資金配分機関における研究公正情報の共有や RIO ネットワーク等の共同で実施する研究公正事業の連絡調整を行った。また、「打合せ会」(12 月)を開催し、研究公正事象の連携・推進の観点から、研究公正情報の共有、各事業の連絡調整を行った。<br>ノウハウの蓄積・専門的人材の育成等に関連するものとして、平成 27 年度は次の取組を実施した。<br>・文科省研究公正推進事業として、日本学術振興会、科学技術振興機構と連携・協力し、研究機関等における研究倫理教育の着実な実施や高度化等に資するためのシンポジウム「日独国際シンポジウム　研究公正を高める取組について～日独の取組の実践例～」を、ドイツ研究振興協会（DFG）と共催した（平成 27 年 9 月 30 日、134 人参加)。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・Bio Japan における機構ブースにおいてポスター出展（平成27 年 10 月 14 日～16 日開催）<br>・第 1 回研究倫理を語る会においてポスターセッションに参加（平成 27 年 11 月 30 日）<br>・メディカルジャパン 2016（平成 28 年 2 月 24 日～26 日）へポスター出展。<br>・CITI Japan プロジェクト第 2 回 研究倫理教育責任者・関係者連絡会議を共催。<br>・先行する海外機関の取組状況の調査として、平成 27 年度は米国保健福祉省（DHHS）の研究公正局（ORI）を訪問しインタビュー調査を実施した（平成 27 年 11 月 29 日～12 月 5 日）。<br><br>【セミナー、シンポジウムの開催】<br>（平成 27 年度）<br>・利益相反管理に関するセミナーを東京で開催（平成 28 年 3 月 22 日、94 名参加）。<br>（平成 28 年度）<br>・利益相反管理に関するセミナーを大阪で開催（平成 28 年 5 月 10 日、45 名参加）。<br>・AMED 研究公正国際シンポジウム「ORI（米国研究公正局）に聞く　医学研究における不正の防止と調査」を開催した（平成 28 年 6 月 28 日、200 名参加）。<br>・文部科学省研究公正推進事業として、科学技術振興機構と連携・協力し、研究機関等における研究倫理教育の着実な実施や高度化等に資するためのシンポジウム「学術研究フォーラム 第8回学術シンポジウム 科学研究のよりよき発展と倫理の確立を目指して」を共催した（主催は日本学術振興会、平成 28 年 11 月 29 日、250 名参加）。<br>・CITI Japan プロジェクト 最終報告会を、同プロジェクト事務局と共催した（平成 29 年 1 月 27 日、340 名参加）。<br>・『日本薬学会第 137 年会のシンポジウム「公正な研究活動を推進するには」』を後援し、研究公正・法務部長が「AMED における研究公正への取り組み」についての講演を行った（平成 29 年 3 月 25 日、約 100 名参加）。<br>（平成 29 年度）<br>・平成 29 年 11 月 29 日には、東京で RIO ネットワークキックオフシンポジウムを開催した（再掲）。<br>・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。 | | | |

（平成 30 年度）

・文部科学省研究公正推進事業として、平成 30 年 11 月 2 日に、『研究公正シンポジウム「研究倫理教育の先進的な取組事例に学ぶ」』を共催した（主催は JST）。

・平成 30 年 12 月 5 日に東京で、12 月 13 日に大阪で研究公正セミナー『専門家から見た研究データ　～不適切なデータ処理はすぐにわかります～』を開催した。2 名の講師の講演及び総合討論があり、参加者は 2 会場で 148 名だった。

・平成 30 年 12 月 7 日に、日本生命倫理学会第 30 回年次大会主催、AMED 共催で『研究公正シンポジウム　研究倫理教育の課題と展望』を京都で開催した。基調講演とパネルディスカッションを行い、参加者は 95 名だった。

・平成 31 年 1 月～3 月に RIO ネットワークの分科会を 3 回開催した（再掲）。

・平成 31 年 2 月 6 日に『研究公正シンポジウム　平成 28 年度研究公正高度化モデル開発支援事業成果報告会』を開催した（再掲）。

＜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

| 年度 | 平成 27 年度 | 平成 28 年度 | 平成 29 年度 | 平成 30 年度 |
|---|---|---|---|---|
| 回数 | 25 | 18 | 15 | 16 |
| 人数 | 4,524 | 2,075 | 1,716 | 2,009 |

・説明会等：平成 27 年度　18 回、4,296 名、平成 28 年度　13 回、1,140 名　平成 29 年度　13 回、1,306 名　平成 30 年度　8 回、1,431 名

・シンポジウム等：平成 27 年度　2 回　228 名、平成 28 年度　5 回、935 名　平成 29 年度　2 回、410 名　平成 30 年度　8 回、578 名

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(1)―③ | (1)AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等<br>③臨床研究及び治験データマネジメントの実行 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 臨床研究コーディネーター(CRC)研修の実施状況（回数及び人数） | 定員 50 名×2 回 | 98 名(東京会場：71 名、大阪会場：27 名) | 82 名 | 132 名（大阪大学医学部附属病院：32 名、国立がん研究センター中央病院：52 名、国立がん研究センター東病院：48 名） | 98 名（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と合同：54 名、大阪大学医学部附属病院、岡山大学病院と合同：44 名） | |
| 研究データ管理を行うデータマネージャー(DM)研修の実施状況（回数及び人数） | 定員 80 名×1 回 | 90 名 | 96 名 | 142 名（東北大学病院：52 名<br>大阪大学医学部附属病院：30 名<br>千葉大学医学部附属病院：60 名） | 144 名（岡山大学病院：32 名、大阪大学医学部附属病院、東京大学医学部附属病院・東北大学病院と合同：33 名、名古屋大学医学部附属病院：30 名、千葉大学医学部附属病院：49 名） | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 4,910,148 の内数 | 5,023,556 の内数 | 5,591,643 の内数 | 5,663,409 の内数 | |
| 決算額（千円） | 3,714,767 の内数 | 4,782,684 の内数 | 5,780,113 の内数 | 5,897,604 の内数 | |
| 経常費用（千円） | 3,406,993 の内数 | 4,786,289 の内数 | 5,649,104 の内数 | 5,799,415 の内数 | |
| 経常利益（千円） | 137,703 の内数 | 101,661 の内数 | 182,995 の内数 | 150,702 の内数 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 3,202,425 の内数 | 4,415,604 の内数 | 5,819,965 の内数 | 5,907,400 の内数 | |
| 従事人員数 | 227 人の内数 | 253 人の内数 | 290 人の内数 | 290 人の内数 | |

注１）　予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

| ３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価 | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
| | | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | | 評定 | | 評定 | |
| | 推進する研究については、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う。 | 臨床研究及び治験に係る計画書（プロトコール）の評価や研究の進捗状況の把握に加えて、プロトコール作成や統計解析を支援する生物統計家、データ管理を行うデータマネージャー、治験に関する様々な業務の調整を行う臨床研究コーディネーター(CRC)の育成を支援することによって、臨床研究及び治験マネジメントを効率的に実施する体制を整備する。<br>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う。<br>ICT を活用し、医療・介護・健康分野の情報システムに収載されたデータを臨床研究等に効果的に利用する | ＜評価軸＞<br>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。<br><br>＜評価指標＞<br>・研究マネジメントを効率的に実施する方策の検討及びその実行に向けた取組状況 | ＜主要な業務実績＞<br>■研究マネジメントの効率的な実施<br>・研究マネジメントを効率的に実施する方策を検討し、次のような取組を実施した。<br>【臨床研究・治験推進研究事業、医薬品等開発研究ＰＤＣＡパイロット事業】<br>・平成 27 年度より、医薬品・医療機器等の実用化を目指す研究課題に対して、PDCA サイクルに基づく一貫した研究マネジメントを実施した。医薬品等開発研究ＰＤＣＡパイロット事業において、一部の課題については、臨床研究・治験の質を確保するため、臨床研究・治験に精通する医師や企業等での開発経験を持つ人材を要する国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所（以下、基盤研）に業務委託し、機構によるマネジメントを充実して行う体制を作ることで、PDCA サイクルの充実及び加速を図った。また、臨床研究・治験推進研究事業の平成 28 年度新規公募への申請課題に対し、事前評価委員会に先立ち、臨床研究及び治験に係る計画書（プロトコール）の一次評価及び問題点の整理の実施を基盤研に依頼し、その結果を事前評価委員会での評価に活用することにより、より質の高い研究の採択につなげた。<br>・基盤研とはその後密に連携しながら、サイトビジットへの随行、進捗管理に関する各種報告書、手順書等を通じて研究マネジメント手法を承継するとともに、知識および技術の更なる向上を図った。平成 28 年度をもって基盤研への業務委託を終了したが、各研究の進捗状況調査等の管理手法を承継し、研究者の進捗報告・自己評価用様式「PDCA シート」の改善や PS・PO および科学技術調査員による進捗管理ヒアリングの取り入れなどにより独自の研究マネジメントとして実施、平成 30 年度より様式・付属様式の一部見直し、提出サイクルの変更により更なる向上を図り、より効率的な研究マネジメントを実施した。<br><br>【革新的医療技術創出拠点プロジェクト】<br>・平成 27 年度には、革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおけるサイトビジットに機構知財部が同行することや、臨床研究・治験推進研究における研究開発提案書に知財に係る欄を設けた上で知財部と連携を図ることなどを通じ、研究デー | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br><br>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、 また臨床研究法の施行に伴い、認定臨床研究審査委員会となった機関が参加する協議会を設置し、臨床研究を審査する上での課題等について検討することで、審査する研究の質の担保を図ると共に研究の促進を図った。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、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ため、評定を B とする。<br><br>【研究マネジメントの効率的な実施】<br>・外部有識者として国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所への進捗管理の業務委託、知財部との連携を通じて研究データの管理（データ入力、集計、解析）、研究成果や知的財産の管理等の研究マネジメントを効率的に実施する方策の検討を実施することで、研究マ | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | ための研究を行う。 | | 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た。<br>・平成 28 年度には、倫理審査の効率化を図るため、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業において、厚労省の担当課と調整を図りながら、平成 28 年度の調整費（第 1 回及び第 2 回）を獲得したモデル事業等を通じ中央倫理・治験審査委員会を進めるガイドライン素案作り等の取組を行ったほか、臨床研究中核病院等に設置されている治験審査委員会・倫理委員会に対し、他施設からの審査依頼を受け、一括審査が可能となるような電子申請等のシステムを整備した（平成 28 年 12 月）。<br>・平成 29 年度には、倫理審査の効率化を図るため、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業において、厚労省の担当課と調整を図りながら、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「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（平成 30 年 3 月）。また、平成 29 年度第 2 回調整費にて新たに 31 機関を採択し、臨床研究法施行後に一括審査を円滑に進めるために必要な課題抽出及び運営ノウハウの共有についての会議を、疾患等 6 つの分野ごとに実施した。<br>・中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業及び臨床研究・治験推進研究事業での研究成果が、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づけの明確化、利益相反管理に活用された。<br>・平成 30 年 4 月、臨床研究法の施行に伴い、必然的に中央 IRB 化が進むことが想定されるが、中央 IRB での審査実績が十分でない機関が審査することによる委員会の運用や審査の視点にバラツキが生じる可能性がある。そこで、平成 30 年度は、平成 30 年度 4 月 1 日までに、臨床研究法第 23 条 1 項において厚生労働大臣の認定をうけ認定臨床研究審査委員会となった機関が参加する協議会を設置し、特定臨床研究を含めた臨床研究を審査する上での課題等について検討することで、審査する研究の質の担保を図ると共に研究の促進を図った。<br>・協議体は、4 つのワーキンググループ（①臨床研究法の統一書式及び利益相反管理様式の見直しについて検討②法施行前より実施中の特定臨床研究に関する調査③技術専門員の | ネジメントを効率的に実施したことは評価できる。<br><br>【臨床研究・治験推進研究事業】<br>・外部有識者によるマネジメント手法を承継し、進捗報告の様式、提出時期の見直しを行い、これを活用した研究マネジメントを実施により研究開発管理能力を着実に向上していることは評価できる。<br><br>【革新的医療技術創出拠点プロジェクト】<br>・臨床研究法施行に先駆けて作成したガイドライン等を活用しながら、多施設共同臨床研究の一括審査を行うなど、臨床研究マネジメント力の向上は評価できる。<br><br>【臨床研究・治験従事者の育成】<br>・CRC 及び DM の育成に向けて、定員を上回る申込みのもと計約 200 名の参加者を得て養成研修を開催できたこと、新たに臨床研究実施者である医師向けの研修を開催したことは評価できる。<br>・研修後のアンケート結果からも、受講生の満足度は高く、委託事業から臨床研究中核病院の主催に変わっても、質の高い研修が実施できていると考える。<br><br>【ICT 基盤構築に係る研究の推進】<br>・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 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 評価実績に関する調査④地域ごとの臨床研究審査委員会に関する情報整理と提供方法について検討）と調整し、協議会の議題を検討した。<br><br>■臨床研究・治験従事者の育成<br>【臨床研究・治験従事者研修及び啓発事業】<br>・平成 27 年度には、質の高い臨床研究を実施できるようにするため、臨床研究コーディネーター（CRC）の経験を積んだリーダーシップが取れる上級者 CRC やデータを迅速にまとめ、その質を確保するデータマネージャー（DM）を養成するための研修を実施した。業務委託先とプログラムや講師等を調整し、DM 研修を 1 回、上級者 CRC 研修を 2 回開催した。東京会場で実施した両研修については、定員を上回る申し込みがあった。<br>・平成 28 年度には「臨床研究・治験従事者研修及び啓発事業」において、上級者 CRC やデータマネージャー（DM）及び治験・倫理審査委員を養成するための研修に加え、臨床研究実施者である医師向けの研修を新たに実施した。業務委託先とプログラムや講師等を調整し、医師研修を 7 回、DM 研修を 2 回、上級者 CRC 研修を 1 回、治験・倫理審査委員研修を 2 回開催した。<br>・臨床研究実施者である医師、上級者 CRC、DM、治験・倫理審査委員の研修事業では、プログラム作成、講師の人選等の事務局業務を実施する者を入札で決定していたところ、平成 29 年度からは、臨床研究中核病院が主催し引き続き研修を実施した。<br>・平成 29 年度からは「医療技術実用化総合促進事業」において、上級者 CRC や、データマネージャー（DM）及び治験・倫理審査委員を養成するための研修、臨床研究実施者である医師向けの研修を実施した。平成 29 年度より臨床研究中核病院が主催し、医師研修を 9 回、DM 研修を 3 回、上級者 CRC 研修を 3 回、治験・倫理審査委員研修を 7 回開催した。また、臨床研究法において研究責任医師等及び倫理審査委員への継続的な教育が義務づけられたことを受け、当該研修の質の向上と標準化、均てん化を図ることを目的として、医師研修、DM 研修、治験・倫理審査委員研修における養成カリキュラム及びシラバス案を作成した。<br>・平成 30 年度には「医療技術実用化総合促進事業」において、質の高い臨床研究を実施できるようにするため、臨床研究コーディネーター（CRC）の経験を積んだリーダーシップが取れる上級者 CRC や、データを迅速にまとめその質を確保するデータマネージャー（DM）及び治験・倫理審査委員を養 | 究を推進した。「研究開発成果の最大化」に向けて、特に診療画像データベース構築基盤構築研究においては、学会共通の課題解決を目的とした会議を複数回開催し知識を共有するとともに、知財や個人情報に関する専門家の講義を通じて研究者の理解向上を図る等、コンサルティングを交えつつ研究管理を行っている。 | | |
| | | | ＜モニタリング指標＞<br>・臨床研究コーディネーター（CRC）研修の実施状況（回数及び人数）<br>・研究データ管理を行うデータマネージャー（DM）研修の実施状況（回数及び人数） | | | | |

成するための研修、臨床研究実施者である医師向けの研修を実施した。平成 29 年度より臨床研究中核病院が主催し、平成 30 年度は医師研修を 8 回、DM 研修を 4 回、上級者 CRC 研修を 2 回、治験・倫理審査委員研修を 6 回開催した。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、内容を検討することで更なる質の向上を図った。

・生物統計家育成支援事業においては、平成 29 年度に各育成拠点において入学者選抜試験を実施するとともに、平成 30 年度から大学院修士課程に学位授与コースを開設し、専門教育・育成研修を開始することとなった。これらの大学院における、質の高い生物統計家を育成するためのカリキュラムについて研究、育成した人材の将来のキャリアパス支援の方策の検討を支援するなど、継続して人材育成支援のさらなる強化を実施している。

■ICT 基盤構築に係る研究の推進

平成 27 年度より臨床研究等 ICT 基盤構築・人工知能実装研究事業を開始し、DPC、NDB などの既存の医療等データベースや、SS-MIX2 などに格納された電子カルテ情報などからマッピングした標準形式の情報を、医療の質向上・均てん化・診療支援の基盤として活用するとともに、臨床研究等の基盤としても活用する、恒常的な仕組みを構築するための複数の研究を行った。平成 28 年度からは診療画像に関係する学会と国立情報学研究所の共同研究にて、診療画像の大規模データベース構築、AI 開発のための共通プラットフォームの構築など持続可能な AI 開発へ向けた研究を推進している。

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 |
|---|---|---|---|---|
| 臨床研究コーディネーター(CRC)研修の実施状況（回数及び人数） | 2 回、98 名(東京会場：71 名、大阪会場：27 名) | 1 回、82 名 | 3 回、132 名（大阪大学医学部附 属病院：32 名、国立がん研究センター中央病院：52 名、国立がん研究センター東病院：48 名） | 2 回、98 名（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と合同：54 名、大阪大学医学部附属病院、岡山大学病院と合 |

| | | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | | | | | 同：44 名） | | | |
| | | | | 研究データ管理を行うデータマネージャー(DM)研修の実施状況（回数及び人数） | 1 回、90 名 | 2 回、96 名 | 3 回、142 名（東北大学病院：52 名 大阪大学医学部附属病院：30 名 千葉大学医学部附属病院：60 名） | 4 回、144 名（岡山大学病院：32 名、大阪大学医学部附属病院、東京大学医学部附属病院・東北大学病院と合同：33 名、名古屋大学医学部附属病院：30 名、千葉大学医学部附属病院：49 名） | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(1)―④ | (1)AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等<br>④実用化へ向けた支援 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 知的財産管理・相談窓口への相談件数 | | 197 件 | 231 件 | 229 件 | 315 件 | |
| PMDA と連携した出口戦略の策定・助言数 | | 204 件 | 301 件 | 290 件 | 294 件 | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 4,910,148 の内数 | 5,023,556 の内数 | 5,591,643 の内数 | 5,663,409 の内数 | |
| 決算額（千円） | 3,714,767 の内数 | 4,782,684 の内数 | 5,780,113 の内数 | 5,897,604 の内数 | |
| 経常費用（千円） | 3,406,993 の内数 | 4,786,289 の内数 | 5,649,104 の内数 | 5,799,415 の内数 | |
| 経常利益（千円） | 137,703 の内数 | 101,661 の内数 | 182,995 の内数 | 150,702 の内数 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 3,202,425 の内数 | 4,415,604 の内数 | 5,819,965 の内数 | 5,907,400 の内数 | |
| 従事人員数 | 227 人の内数 | 253 人の内数 | 290 人の内数 | 290 人の内数 | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価）<br>評定 | （期間実績評価）<br>評定 |
| 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 | 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る。具体的には、知的財産に関する | ＜評価軸＞<br>・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 | ■知的財産管理・相談窓口の開設と運用<br>・研究機関における知的財産の管理や戦略立案の支援として、H27 年度に相談窓口（Medical IP Desk）を設置し、常駐する知的財産コンサルタントによる電話、メール、面談等の手段による相談対応を行った。H29 年度からは、地方の中小規模大学等に対するサポートを強化すべく、「AMED 知財リエゾン」を全国に配置し、知的財産コンサルタントと AMED 知財リエゾンとが一体と | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br>評価期間を通じ、知財相談窓口の設置、知財リエゾンの配置、AMED ぷらっと®の設置など、実用化へ向けた支援体制を順次整備するとともに、支援内容の充実化を図ってきた。これら支援の充実化に | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | の支援機能や、2015 年８月に連携協定を締結した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や企業への情報提供・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る。 | 部署内に医療分野の知的財産専門人材を配置した知的財産管理・相談窓口を設置するとともに、知的財産のデータベースを利活用することによって、研究機関における知的財産管理及び知的財産取得戦略の立案支援を行うための体制を速やかに構築する。また、研究機関からの知的財産の取得・管理に係る相談内容を蓄積して、発信することにより、知的財産マネジメントの理解の共有を図る。 | た研究機関への支援機能の具備を図ったか。<br><br>＜評価指標＞<br>・知的財産支援の実施状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・知的財産管理・相談窓口への相談件数 | なって、機動的な相談対応を可能とする体制を構築した。<br>・これらの相談内容について分析をしたところ、H27 年度はバイ・ドール手続や簡単な特許出願手続に関する相談が主であったが、その後は実用化に向けた知財活用など高度な実用化戦略の相談が増加（知財の活用に関する相談数：H27 年度 33 件→H30FY 157 件）しており、これまで知的財産部が実施した支援や後述の知財人材育成を通じ、大学等における知財リテラシー向上の効果が現れたものと考えられる。<br>・さらに、AMED の委託事業・補助事業に基づく特許出願等を行ったことがある大学等を対象に、知的財産部が提供している支援全般についてアンケート調査を行ったところ、知的財産部の支援を受けたことがある大学等が増加（平成 29 年度 41.3%→平成 30 年度 60.6%）し、また、支援に対する満足度も向上（満足＋やや満足：H29 年度 79.2%→H30 年度 90.2%）しており、大学等に対する支援の周知がすすむと共に、効果的な支援が実施できていると考えられる。<br><br>年度 ｜ H27 年度 ｜ H28 年度 ｜ H29 年度 ｜ H30 年度<br>相談件数 ｜ 197 件 ｜ 231 件 ｜ 229 件 ｜ 315 件<br><br>■知的財産取得に向けた研究機関への支援<br>・上述のとおり、知財コンサルタント及び知財リエゾンによる知財・実用化戦略についてコンサルテーションを行っているところ、より有効な知的財産取得のために、平成 28 年度から□過去の特許・論文の状況を調査する先行技術調査、□当該発明に関するシーズの市場性を行ってきた。さらに、平成 29 年度には、□当該シーズのライセンス可能性調査（製薬企業等に対するプレマーケティング調査）を、平成 30 年度には特に医療機器開発で有効となる④関連技術の特許状況や競合者の状況を分析するパテントマップ調査を加え、成果の最大化及び実用化促進に向け、より高度な支援が行える体制を整えた。<br>・全国各地のアカデミア等で行われている医療分野特有の出願戦略や技術導出等に関するセミナーに、講師を派遣し、研究者や研究機関の知財実務担当者等を対象に、普及啓発活動（H27 年度：33 回、H28 年度：37 回、H29 年度：33 回、H30 年度：35 回）を毎年継続的に行った。<br>・医療分野の知財戦略策定等の資料とするために、AMED 機構内外からの意見・要望を参考に、医療分野の知財戦略や技術動向等に対する調査を行ってきた。具体的には、H27 年度 3 テーマ（がん領域における医薬の調査、BMI 分野の技術動向調査、医薬・バイオ発明の外国特許出願調査）、H28 年度 3 テーマ（再生医療 | より、実際に成果が創出されたのみならず、研究機関の人材育成にもつながっており、今後、さらなる成果創出への期待感が高まっている。また、創薬支援ネットワークや医療機器開発支援ネットワークによる着実な支援、レギュラトリーサイエンスにおけるＰＭＤＡとの連携を進めてきた。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。<br><br>【知的財産管理･相談窓口の開設と運用】<br>・知的財産コンサルタント及び AMED 知財リエゾンにより、知的財産管理・戦略立案支援を機動的に行い、相談対応の充実化を行った。<br>・その結果、後述の研修などの効果とあわせ、相談内容の高度化や、知的財産部の支援に対する満足度向上など具体的な成果が見られ、効果的な支援が実施されている。<br><br>＜今後の課題＞<br>・アカデミア発ベンチャーの立ち上げに向けた知財支援強化<br><br>【知的財産取得に向けた研究機関への支援】<br>・各種調査とコンサルテーションを組合せ、成果の最大化及び実用化促進に向けた知的財産取得の支援に寄与した。<br>・コース研修の充実化、研究者及び知財・産学連携担当者をペアとしたパートナリング塾の実施などを通じ、大学等における知財リテラシー向上につながった。<br><br>＜今後の課題＞<br>・医学系学部性及び大学院生向けの知財教材の完成、普及 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 分野の知財戦略、医工連携における知財権の活用、腸内細菌叢を応用した医療に関する調査）、H29 年度 4 テーマ（バイオ医薬品分野における知財戦略、医療ニーズ分析に関する実証調査、医療分野の試験研究データの取扱に関する調査、CRISPR/Cas9 を用いたゲノム編集技術に関する調査）、H30 年度 3 テーマ（遺伝子治療分野における知財戦略に係る調査、医師主導治験データ導出のための契約に係る調査、再生医療に関する海外団体における知財戦略に係る調査）の調査を、有識者からの助言、AMED 関係各課からの助言を得ながら実施し、結果を公表した（H30 年度は公表予定）。H31 年度／R1 年度は、H30 年度から継続して実施している遺伝子治療分野における知財戦略に係る調査について、我が国アカデミアが持つ遺伝子治療分野のシーズの導出のために、効果的な知財戦略に係る提言をまとめ、また、革新基盤創成事業部、産学連携部と共同で、バイオベンチャーに関する調査分析を行い、バイオベンチャーに対する効果的な支援についてまとめる予定である。<br>・研究機関等における知財人材育成のため、各地の大学等に講師を派遣し、医療分野特有の出願戦略や知財の活用戦略等に関するセミナーを平成 27 年度から継続的に開催した（H27 年度：33 回、H28 年度：37 回、H29 年度：33 回、H30 年度：35 回）。<br>・また、大学等における知財・産学連携部門の担当者を対象に、成果導出に向けた研修セミナーを平成 28 年度から実施した。H28 年度は、成果導出コース、契約・交渉実務コースの 2 コース（計 49 人修了）であったが、大学等における知財人材の幅広い育成のため、基礎から応用までコースを拡充することとし、H29 年度には、成果導出コース（基礎・応用）、契約交渉コース（国内契約・外国契約）、創薬塾の 5 コース（計 138 人修了）を、H30 年度には、成果導出コース（基礎コース、応用･医薬コース、応用･医療機器コース）、契約交渉コース（国内契約コース、外国契約コース）について実施した。さらに、平成 30 年度には、研究者と産学連携担当者がペアとなり、実際の研究課題について実用化までのプロジェクト計画、企業との連携戦略などを実践的に習得する「パートナリング塾」を製薬協･medU-net との共催で実施し、計 109 人がコースを修了した。<br>・成果の実用化のためには、研究者における知財マインドの醸成が重要である。そこで、早期の知財マインド醸成に向け、平成 29 年度に医療系学部生及び大学院生を対象とした知財教材のあり方について調査研究を実施し、平成 30 年度から 2 ヶ年計画で知財教材の作成を実施している。また、知財教材の活用に向け、6 大学と講義での利用について調整し、今後さらに普及させていく予定。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | また、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る。具体的には研究成果として得られた知的財産の導出（ライセンスアウト）を促進すべく、技術移転機関等とも連携しつつ、シーズ・ニーズ情報の収集を行う場を提供するなど、研究機関とライセンス先とのマッチングを支援する。研究開発成果の確実な上市に向けたワンストップサービスの提供等として「創薬支援ネットワーク」、「医療機器開発ネットワーク（伴走コンサル）」を運営する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・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状況 | ■研究成果の導出（ライセンスアウト）促進に向けたマッチング機会の提供<br>・セキュリティの担保されたクローズドシステム上において、アカデミア発のシーズ（公開前のシーズを含む）と企業のニーズとを早期にマッチングし、アカデミアと企業の両者で研究開発成果の実用化を促すWebシステムを構想し、H28年度に調査を実施した。当該調査の結果を基に、製薬協･medU-net の協力の下、H29年度にシステムを設計･構築し、トライアルを経て、H30年4月に「AMEDぷらっと®」として、本格稼働を開始した。これにより、上述の早期コンサルテーションからマッチング機会の提供まで、一貫した支援体制を確立した。<br>・「AMEDぷらっと®」に関しては、平成29年度から平成30年度にかけて、説明会を全国4カ所で開催すると共に、大学等50機関以上に訪問した。その他、各種知財セミナーなどで利用促進を図った結果、参加機関数、登録シーズ・ニーズ数とも順調に増加（H31年3月時点：参加機関数大学等63機関、製薬企業等61者、登録シーズ145件。なお、登録シーズは、月10件程度のペースで増加中）し、5件についてパートナリングに向けた交渉につながった。また、閲覧件数も毎月300件前後で推移しており、順調に活用が進んでいる。<br>・AMED研究プロジェクトの成果の早期導出に向けて、国内外で実施される展示会や商談会に対する大学等の参加支援を実施（H27年度：101課題、H28年度：60課題、H29年度：77課題、H30年度：69課題）し、秘密保持契約など導出に向けた企業との具体的な交渉につなげた（H29年度：18課題、H30年度：20課題）。特にH30年度は、商談参加資料の作成支援や、知財コンサルタント等によるビジネスマッチングの同席支援（海外）なども組み合わせることにより、20課題（支援課題の約29%）について、秘密保持契約など導出に向けた企業との具体的な交渉につなげた。<br><br>■研究開発成果の確実な上市に向けた取組<br>・「創薬支援ネットワーク」を適切に運営した（具体的な運営実績については、「Ⅱ-(2)-①」を参照）。<br>・「医療機器開発支援ネットワーク」を適切に運営した（具体的な運営実績については、「Ⅱ-(2)-②」を参照）。<br>・その他、事業部門の担当各部において個別に次のような取組を行った。<br>➢創薬支援ネットワーク基盤を活用した研究開発を推進するために、シーズ探索を行っている研究課題の情報を創薬戦略部に提供し、共有を図った。 | 【研究成果の導出（ライセンスアウト）促進に向けたマッチング機会の提供】<br>・「AMEDぷらっと®」を本格稼働させ、早期アドバイスからマッチング機会の提供まで一貫した支援体制を構築した。<br>・「AMEDぷらっと®」は利用が順調に進み、パートナリングに向けた交渉など効果も出始めている。<br><br>＜今後の課題＞<br>・「AMEDぷらっと®」の一層の活用促進<br><br>【研究開発成果の確実な上市に向けた取組】<br>・「創薬支援ネットワーク」及び「医療機器開発支援ネットワーク」の着実な運営とともに、事業部門の担当各部の日々の業務において、企業連携・産学連携の支援を意識して各種取組を行っていることは評価できる。 | | |
| | | さらに、 | ＜評価軸＞ | ■PMDAと連携した実用化への橋渡しの促進 | 【PMDA と連携した実用化への橋渡し | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 2015 年８月に連携協定を締結した医薬品医療機器総合機構（PMDA）と連携して薬事戦略相談等を活用した、出口戦略の策定支援等を積極的に推進し、臨床から実用化への橋渡し機能を整備する。国立医薬品食品衛生研究所（NIHS）等との連携により、医薬品等の品質・有効性・安全性の評価技術開発、判断基準の明確化、承認審査における科学的要件の明確化等のレギュラトリーサイエンス研究を支援する。 | ・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・独立行政法人医薬品機器総合機構(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状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・PMDA と連携した出口戦略に係る助言数 | ・医薬品等の研究開発を目的とした研究開発課題の進捗管理においては、平成 27 年８月に PMDA と連携協定を締結、両機構の機能・知識・経験を相互活用する協力体制を構築した。<br>・主な連携内容は、AMED 採択研究課題のうち実用化段階に移行するものは原則 PMDA 薬事戦略相談を受けることを条件とする、AMED 研究課題に PMDA は薬事戦略相談結果を踏まえて協力する、AMED の臨床研究・治験基盤整備に PMDA は研修講師派遣などで側面的に支援する、等としている。<br>・具体的には、研究者が PMDA へレギュラトリーサイエンス(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席することとした。<br>・研究開発課題公募においては、「原則採択後１～２年目に PMDA の実施する RS 戦略相談を受けていただく」ことや、「PMDA が実施する RS 戦略相談を活用し研究開発提案書に相談結果を反映させるなど、出口戦略を明確にした研究開発課題であること」を採択条件とすることを公募要領に明記している。<br>・また、連携による取組の重要事項の１つとして、委託研究課題の契約書において RS 戦略相談を活用するための契約条項を盛り込む運用を継続的に行った。<br>・機構及び PMDA 各々の実施する内部研修について、相互に参加できる仕組みを構築し、平成 27 年度の実績としてそれぞれの研修会に参加した。また機構の内部研修において PMDA から講師として招聘し、内部トレーニングを実施した。また、PMDA において実施される科学委員会等に参加できる形を構築し、レギュラトリーサイエンスの最新動向を情報収集した。<br><br>■レギュラトリーサイエンス研究の支援<br>・平成 27 年には PMDA と連携協定を締結し毎年ハイレベル意見交換を実施。この他、AMED の各種実用化研究に当たり RS 戦略相談等を通じた RS の観点からのアドバイスを受けている。国立医薬品食品衛生研究所（国衛研）からは、各種 RS 研究や RS シンポジウムの企画立案等について様々な協力を受けている。また、RS 研究実施に当たっては国際的な規制調和の動向を踏まえ対応する必要があり、PMDA 及び国衛研との意見交換を通じ、ICH に関する国内外の情勢等を把握した上で研究支援等を実施している。<br>・この他、RS 研究に関する AMED 内連携に関し、再生医療研究課との連携のもと、平成 28 年度には ICH での国際標準化を目指した iPS 細胞を用いた心毒性評価法を開発した。また、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案を平成 29 年度に作成・公表、インフルエンザと患者の異 | の促進】<br>・PMDA と連携協定を締結、両機構の機能・知識・経験を相互活用する協力体制を構築し、た<br><br>【レギュラトリーサイエンス研究の支援】<br>【規制課】<br>・PMDA と連携協定を締結し、PMDA とガイドライン策定を達成したことは評価できる。また PMDA との意見交換等で得た情報を参考に新規公募課題の立案を着実に実行したことは評価できる。<br><br>【医工連携推進支援事業の運営の推進】<br>・PMDA との連携のもと、面談記録を効果的な開発推進に活用したことは評価できる。 | | |

<table>
<tr>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td>常行動に関する疫学的研究等に基づき平成30年度に関連医薬品の添付文書の注意喚起の変更、医師主導治験実施時の健康被害の補償についての考え方を取り纏め平成30年度に公表、などの成果を得た。<br><br>■医工連携推進支援事業の運営の推進<br>・PMDAとの連携協定に基づき、実施者が対面助言を受ける際に機構職員の同席および面談記録の共有を受けることで、効果的な開発推進に活かした。（「医工連携事業化推進事業」における案件数は、H27年度：19件、H28年度：18件、H29年度：18件、H30年度：6件）<br><br>
<table>
<tr><td>年度</td><td>H27年度</td><td>H28年度</td><td>H29年度</td><td>H30年度</td></tr>
<tr><td>助言数</td><td>204件</td><td>301件</td><td>290件</td><td>294件</td></tr>
</table>
</td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
<tr>
<td></td>
<td>また、研究開発の成果が、我が国の医療技術水準や産業競争力の向上に寄与することができるよう、2016年3月に相互協力協定を締結した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う。</td>
<td>研究開発の成果が、我が国の医療技術水準や産業競争力の向上に寄与することができるよう、2016年3月に相互協力協定を締結した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う。</td>
<td>＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・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ための取組状況</td>
<td>■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<br>・株式会社産業革新機構とは平成27年度末に連携協定を締結し、その後、AMEDの研究開発課題の採択審査委員会や、AMEDが収集した「臨床ニーズ」の評価検討会などに、株式会社産業革新機構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ている。<br>・ 平成30年3月に実施した株式会社産業革新機構との連絡検討委員会において、AMEDの産学連携と、株式会社産業革新機構の取り組みについて情報交換と意見交換を実施した。<br>・ 連絡検討委員会の他に、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ている。<br><br>■機構全体で整合性のあるファンディング成果の把握体制の検討<br>・成果報告書記載論文に加え、未記載の成果論文もWeb of Scienceから捕捉する手法を仮構築し、平成30年8月より重複のないAMEDの成果論文情報の取得を開始した。<br>・委託調査「研究費助成機関の成果論文調査」を実施し、成果論文情報を元にAMEDと海外の主要ファンディング機関の研究支援の特徴の比較分析を行った。<br>・事業統括室による平成27年度終了課題実用化進捗情報調査実施にあたり、情報分析企画室において、調査項目設定や結果の解釈について検討協力した。</td>
<td>【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】<br>・株式会社産業革新機構と連携協定を締結し、連絡検討委員会を実施した他、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。<br><br>＜今後の課題＞<br>・株式会社産業革新機構の組織体制および業務内容の改編があったが、改めて今後の連携方法について協議しており、引き続き連携して実用化の促進につなげたい。<br><br>【機構全体で整合性のあるファンディング成果の把握体制の検討】<br>・評定：A<br>成果報告書記載の論文については、課題間や事業観で重複となるケースがあるが、これらの重複を排除の目処を付けたことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・論文謝辞等への課題番号等の記載について継続的に研究者等へ周知し続ける必要がある。</td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
</table>

| ４．その他参考情報 |
| --- |
| 特になし。 |

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(1)―⑤ | (1)AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等<br>⑤研究開発の基盤整備に対する支援 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 医師主導治験届出数及び FIH（企業主導治験含む）試験数 | | 97 件 | 105 件 | 94 件 | 91 件 | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 4,910,148 の内数 | 5,023,556 の内数 | 5,591,643 の内数 | 5,663,409 の内数 | |
| 決算額（千円） | 3,714,767 の内数 | 4,782,684 の内数 | 5,780,113 の内数 | 5,897,604 の内数 | |
| 経常費用（千円） | 3,406,993 の内数 | 4,786,289 の内数 | 5,649,104 の内数 | 5,799,415 の内数 | |
| 経常利益（千円） | 137,703 の内数 | 101,661 の内数 | 182,995 の内数 | 150,702 の内数 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 3,202,425 の内数 | 4,415,604 の内数 | 5,819,965 の内数 | 5,907,400 の内数 | |
| 従事人員数 | 227 人の内数 | 253 人の内数 | 290 人の内数 | 290 人の内数 | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | （期間実績評価） |
| | | | | | 評定 | 評定 |
| 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 | 大学等における基礎研究から企業等による実用化まで、研究開発段階や目的に応じた様々な研 | ＜評価軸＞<br>・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 | ■次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業<br>・「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、53,000 検体以上の血清を網羅的に解析し、診断性能の高い解析アルゴリズムを開発し | ＜評定と根拠＞<br>評定：A<br>クライオ電子顕微鏡などの大型施設や装置の整備・共用を促進。バイオバンク事業において患者の DNA・臨床情報や健常 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 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整備、 | 究開発テーマを設定したコンソーシアム形式による研究開発を支援することで、国際基準に適合する次世代抗体医薬の製造技術やバイオマーカーを正確かつ簡便に測定できる診断技術等の産業技術基盤の確立や医薬品創出のための支援基盤等の整備を行う。 | 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。<br><br>＜評価指標＞<br>・左記の診断技術や機器をシームレスに開発するための体制の整備状況 | た。また、これまで開発した解析アルゴリズムの臨床有用性を検証するための前向き臨床研究について、肺がん・乳がんを筆頭に検体収集と解析を進めた。さらに、三大認知症（アルツハイマー病、血管性認知症、レビー小体型認知症）を高感度かつ特異的に判別可能な予測アルゴリズムを開発した。また、主要がん 13 種と認知症マーカーの特許出願を行い、周辺技術と併せて、当プロジェクトにおいて合計 51 件の特許出願を行った。<br>・「国際基準に適合した次世代抗体医薬品等の製造技術」では、高生産オリジナル CHO 細胞の樹立、高性能フィード培地の開発及び国産シングルユース対応精製装置の開発を行い、それぞれ世界的に実用化されている技術レベルに到達した。さらに、GMP に準拠した、マスターセルバンク製造施設、製造実証試験（これまでに 6 件実施）を行うマザー工場、及び治験薬等製造施設の整備・稼働により、バイオ医薬品製造のトータルプラットフォーム化を実現した。<br>・「バイオ医薬品の高度製造技術開発」では、平成 30 年度に研究開発を開始し、ハイブリッドまたはインテグレート型のバイオ医薬品連続生産に関わる個々の要素技術開発と、それらを統合化したプラットフォーム技術・部分的連続生産システムを構築するための技術開発を行った。高性能な国産 CHO 細胞株（CHO-MK）、灌流培養、培地開発、分離精製に関する各要素技術については重要度に応じたラボレベルでの性能検証を通じてプラットフォーム化の準備を行うとともに、インテグレート／ハイブリッド型連続プロセス構築に向けて要素技術の部分的接続方法検討と接続検証、また統合化に向けたプロセスシミュレーションの準備、品質を含む管理戦略の立案について、他課題と連携しながら実施した。<br>・「遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業」では、遺伝子・細胞治療用ベクター大量製造技術の開発拠点と遺伝子・細胞治療のシーズ開発促進のためのアカデミア・研究機関及び医療機関を一体化した拠点の確立を目指し、平成 30 年度に研究開発を開始した。また、「難治性疾患実用化研究事業」と共通の評価委員、PO を委嘱、PS・PO によるヒアリングや連携シンポジウムの開催（11 月 21 日）を行うなど、基礎から応用まで関係者と AMED 内連携を図っている。<br><br>■創薬等に資する創薬・医療技術基盤の構築及び創薬等の研究支援（創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業）<br>・創薬等支援技術基盤プラットフォーム事業（PDIS）では、平成27年度にクライオ電子顕微鏡を整備してタンパク質の構造解析力の強化を図ると共に、構造展開ユニットを創設して、これまでアカデミアではできなかったMedicinal ChemistryとADME/物性評価を実践する仕組みを構築した。<br>・また、PDISに引き続きBINDSでは、クライオ電子顕微鏡などの大型創薬関連基盤をアカデミアが個別に保有するのではなく、共通基盤・ネ | 者データについて公開・提供条件を整備し提供するとともに、実験動物（マーモセット等）や細胞の提供も推進。日本人特有の疾患感受性ゲノム変異のデータベース（MGeND）へのアクセス要件の整備、未診断疾患イニシアチブに登録された未診断疾患の患者のデータベース（IRUD　Exchange）のポリシーに基づくデータ共有により、登録数・利用数などを飛躍的に増加させ、これらの基盤を利活用してサイエンス誌掲載などの顕著な成果や技術導出などを創出。非臨床から臨床までのシーズ開発と臨床研究の実施を一貫して支援する革新的医療技術創出拠点の体制整備・強化を行った。若手研究者を研究開発代表者とする課題の公募や若手育成国際ワークショップ”Interstellar Initiative”を実施するなどの取組を推進（若手育成の課題数は平成27年度に対し平成30年度は5.5倍に増加）。④ＰＰＩ：臨床研究及び治験の立案段階からの患者・市民参画（PPI）についてガイドブック作成などAMED としての取組を進めた。<br>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、評定をＡとする。<br><br>【次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業】<br>・「体液中マイクロ RNA 測定技術基盤開発」では、当初計画 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ットワーク化した上で他のアカデミアや産業界も一定のルールの下で活用できるよう、創薬・医療技術基盤の構築及び創薬等の研究支援を一層進めている。特に、BINDSの運営に関しては、それまでのPDISの経験を踏まえ、PSよりその運営方針8項目を「BINDS重点項目」として明示して研究者と共有した。BINDSの活用を検討する個別研究者がどの研究者とタイアップすべきかといった相談に応じるワンストップ窓口を設けて研究者の利便性向上を図った。また、PS・PO、外部有識者、AMED事務局で構成するBINDS運営会議において、研究内容や進捗状況に応じ、更なるユニット/領域間連携を行うべき研究課題を「BINDS重点PJ」として認定し、この取り組みによって事業内ユニット/領域間連携が一層促進された。また、創薬支援ネットワーク、創薬基盤推進研究事業、次世代がん医療創生研究事業などのAMED内他事業との連携も行っている。その結果、それまでのPDISにおける支援件数が5年間累積で約1,000件であったのに対し、BINDSの事業開始から2年間で1,465件の創薬・ライフサイエンス研究の支援を実施している。<br><br>■若手研究者の育成<br>・若手研究者育成枠の設定については、平成27年度から平成30年度にかけて、同枠を設定するプログラム数は７事業から24事業に増加、支援課題数は39件から214件に増加（5.5倍に増加）、応募数は44件から590件に増加、採択数は18件から137件に増加するなど取組を強化した。<br>・若手研究者の定義は、多くの事業で毎年度開始日（4月1日時点）に満39 歳以下（産休、育休は日数加算）としていたが、一部の事業では異なる定義を用い、また、科研費においては平成30年度から基準を年齢から研究歴に変更する動きがあったため、平成29年度に、AMED内での研究課題の公募における統一的な若手枠の定義を設定し、男性の場合は満40歳未満の者、女性の場合は満43 歳未満の者、又は博士号取得後の期間が8年未満の者。（産休、育休は日数加算）とした。平成30年度公募より適用を開始した。<br>・若手研究者の育成に関する個別事業における具体的な取組は以下のとおり。<br>➢ 未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業では、医療機器開発に携わっている若手研究者を対象として、試作機開発（5 件）を支援。その際、当該医療機器の開発に資する他施設での研究開発、サポート機関による講習・製品化に関する助言などによって支援し、多角的な観点を踏まえた革新的医療機器開発を推進。<br>➢ 基盤研究事業部研究企画課では、平成２９年度より革新先端研究開発支援事業の公募要領に、若手研究者の応募に関し、積極的な参画・活躍を奨励する旨の理事長メッセージを掲載した。また、平成３０年度より成育疾患克服等総合研究事業および女性の健康の包括的支援実用化研究事業の公募要領に若手研究者の登用の推進について項目を | を大幅に前倒して、13 種の主要がんに 2 種の希少がん（眼腫瘍、子宮肉腫）と三大認知症を加え、53,000 検体以上の血清を網羅的に解析し、診断性能の高い解析アルゴリズムを開発した。さらに、これまで開発した解析アルゴリズムの臨床有用性を検証するための前向き臨床研究について、肺がん・乳がんを筆頭に検体収集と解析を進めることができ、これにより臨床有用性が確認されれば、本前向き臨床研究検体を用いたプロジェクト参加企業による臨床性能試験・薬事審製が実施され、画期的な診断技術を日本初で開発する見通しが高まった。また、主要がん 13 種と認知症マーカーおよび診断技術に関する 51 件の特許を出願し、知財面においても実用化に向けて実績を上げることができ、高く評価できる。<br>・「国際基準に適合した次世代抗体医薬品等の製造技術」では、生産性が高い国産 CHO 株の樹立等、世界的な実用化レベルの国産の抗体医薬品製造技術を開発した。また、GMP に準拠したマスターセルバンク製造施設や治験薬等製造施設等の整備・稼働により、バイオ医薬品製造のトータルプラットフォーム化を実現した点は高く評価できる。<br>・「遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業」では、遺伝子・細胞治療用ベクター大量製造 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 追記し、若手登用を促進した。<br>➢ 革新的先端研究開発支援事業において、若手研究者間の共同研究や情報交換、相互啓発を図るため、平成２９年度より一部の領域においてPRIME 研究代表者が参加する PRIME 会議を開催し、平成３１年度には数領域で実施することを検討している。<br>➢ AMED 再生医療研究交流会において、若手研究者の発表機会及び交流の機会を作り、提供した。<br>➢ 平成 28 年度より新規に開始した「再生医療実現拠点ネットワークプログラム（幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム）」では、若手研究者の枠を設け、積極的に若手研究者の育成を行ってきた。また、平成 31 年度公募においては、国際若手研究者育成枠を設定し、研究開発分担者の若手研究者を研究開発期間内に 1 か月以上海外派遣することを必須とする等、国際的に活躍できる次世代の研究者を育成するようにした。<br>➢ ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトでは次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業の若手研究者を中心に AMED がん若手研究者ワークショップを計 4 回開催し、のべ 135 人の若手研究者が参加、事業やプロジェクトの枠を超えて、若手研究者同士や若手研究者と経験豊かな研究者との交流を促進した。さらに、計 22 人の若手研究者を海外学会や海外研究機関での研修へ派遣し、国際的に活躍できる若手研究者育成を推進した。<br>➢ 戦略推進部脳と心の研究課では、戦略的国際脳科学推進プログラム（国際脳）において、H30 年度には、若手研究者のみで実施する課題を先進的個別研究開発課題若手型として公募し 12 課題を採択し若手 PI の育成を図っている。また、がん研究課が実施した異分野交流を目的とした若手 WS へ国際脳若手研究者参加を促し発表や交流の機会を提供した。また、認知症研究開発事業及び障害者対策総合研究開発事業・精神障害分野において若手研究者を優先して採択する公募を実施し、４課題を採択し同領域においても若手 PI の育成を図った。<br>➢ 脳科学研究戦略推進プログラムにおいて、目標達成型探索的研究として若手枠を設けて公募し、５課題を採択し若手 PI の育成を図っている。<br>➢ 難治性疾患実用化研究事業の平成 28 年度 1 次公募において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を実施し、10 件の課題採択と進捗管理を行った。更に当該公募により採択された研究者については PSPO による一斉ヒアリングについて、若手枠を別途設け、研究開発課題に関するフォローを通常課題よりも手厚く実施した。また、平成 29 年度 1 次公募の一部においても若手研究者を対象とした公募を実施し、18 件の課題採択を行った。<br>➢ 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業の一部の公募において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を実施し、1 件の課題採択と進捗管理を行った。 | 技術の開発拠点と遺伝子・細胞治療のシーズ開発促進のためのアカデミア・研究機関及び医療機関を一体化した拠点の確立を目指し、調整費により、平成 30 年度に前倒しで公募を行い、短期間に研究開発体制を構築し、事業を開始、また、AMED 内連携を図った点は高く評価できる。<br><br>【創薬等に資する創薬・医療技術基盤の構築及び創薬等の研究支援】<br>・PDIS では、それまでアカデミアで出来なかった Medicinal Chemistry を実践する構造展開ユニットを創設した。また、クライオ電子顕微鏡を整備して構造解析力の強化を図った。BINDS では、ワンストップ窓口を開設して支援依頼の簡素化を行うと共に、運営会議によるヘッドクォーター機能の充実を図った。さらにクライオ電子顕微鏡ネットワークを整備して PDIS で強化した構造解析力のさらなる高度化を実現した。これら一連の取り組みとそこから生まれた成果は高く評価できる。<br><br>【若手研究者の育成】<br>・若手研究者育成枠の設定については、平成 27 年度から平成 30 年度にかけて、同枠を設定するプログラム数は 7 事業から 24 事業に増加、支 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ➢ 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）においては、研究機関における若手研究者の登用に要する経費についての支援を、3 課題に対して実施した。<br>➢ 若手の感染症研究者育成の推進の結果、キャリアパス支援の枠組みで、感染症研究課で登用した 30 名の若手研究者（リサーチ・レジデントを含む）が大学及び研究機関等の職員として採用された。感染症研究課において若手登用支援枠により採用したリサーチレジデント同士の交流促進のための発表会を医薬品研究課、医薬品等規制科学課、産学連携課、人事課と連携し開催した。<br>➢ 「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」において、平成 31 年度開始課題の公募を実施し、若手研究者が応募しやすいよう若手枠を設定した。若手枠には国際的な人材育成のために国際レビューアを導入し、提案書の一部英語化や国際レビューア候補者 43 名の確保を行った。その結果、若手枠には 38 件の応募があり、平成 31 年度より研究者 10 名の支援を開始する。<br>➢ 平成 29 年度新規事業、感染症研究革新イニシアチブ（J-PRIDE）では、平均年齢が 40 歳前半と若手の研究代表者による課題を中心に採択して支援を開始。初年度のキックオフミーティング、翌年度の合宿型合同班会議、全課題進捗報告会などの開催により、若手研究者の質的強化、研究者間の交流を積極的に図った。<br>➢ Interstelar initiative 事業の創設し、ニューヨーク科学アカデミーと連携した学際的・国際的チーム研究の支援と革新的シーズ創出を開始した。これまでに、40 チーム 120 名が参加し、本格研究に向けて HFSP などの革新的なファンドに応募している。<br>➢ 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、若手・女性研究者育成を目的とした日米共同研究公募事業を平成 28 年度から開始した。<br>➢ 「革新的医療シーズ実用化研究事業」の平成 30 年度公募では、公募研究開発課題「臨床研究中核病院の機能を活用した若手研究者によるプロトコール作成研究」において若手研究者を対象とした公募を実施し、7 課題を採択した。<br>➢ 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）において、第１～３回公募の事前評価において、課題評価実施要綱に基づき、評価項目⑧人材育成への貢献度合い（・本提案を実施することで、産学連携による若手人材（若手研究者、若手研究支援者等）の育成に貢献すること。）を含む評価を行った。また、採択課題は、実施計画書に、当該課題の実施期間中やその後の産学連携による人材育成・活用に係る取組みについて記載し、それに基づき課題を推進した。また、研究開発実施状況報告書には人材育成に関する実績を具体的かつ定量的に記述してもらうことにし、研究者の育成状況等を把握した。<br>➢ 創薬基盤技術開発事業において、平成 29 年度に 3 課題応募があり 2 | 援課題数は 39 件から 214 件に増加（5.5 倍に増加）するなど取組を強化したことは高く評価できる。<br><br>【研究への患者・市民参画（PPI）】<br>・PPI を推進していることは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・研究者等の関係者への PPI 活動の普及と作成したガイドブックの活用を推進する必要がある。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 課題を採択し、平成 30 年度に 7 課題応募があり 3 課題を採択した。<br>➢ 遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業において、若手育成枠を設定して公募を実施し、6 課題を採択した。<br>➢ 医薬品等規制調和・評価研究事業では若手研究者の人材育成を推進するため、若手研究者登用制度により平成 30 年度までに合計 8 名のリサーチレジデントを採用した（平成 31 年度 1 次公募含む）。また、若手研究者が研究開発代表者となって研究を遂行する「若手育成枠」の公募を行い、平成 29 年度―平成 30 年度に合計 8 課題を採択した。採択した研究課題については、PSPO による進捗管理ヒアリング等を行い、レギュラトリーサイエンスを牽引する若手人材の育成に努めた。 | | | |
| | 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う。 | また、革新的医療技術創出拠点の強化、体制整備を進めるとともに拠点間のネットワーク化を図る。さらに、研究開発の効果的、効率的な推進の基盤として、機構と大学、研究機関等とのネットワーク化を進める。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備状況<br>・エビデンスに基づいた予防医療・サービス手法を開発するためのバイオバンク等の状況<br>・モデル動物等のバイオリソースの整備状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・医師主導治験 | ■革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備<br>・革新的医療技術創出拠点（以下、「拠点」という。）の強化・体制整備を行うため、毎年、PD、PS、PO と共に全体会議（平成 27 年度 2 回、平成 28 年度 1 回、平成 29 年度 2 回、平成 30 年度 1 回）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・助言等を実施し、現在の各拠点が支援しているシーズの開発進捗状況や今後の拠点整備の方向性、自立化の取組について拠点間で共有した。また、必要に応じて ARO 機能等の改善に関する指導・助言を行った。<br>・平成 27 年 9 月に平成 27 年度第 1 回調整費により研究支援に関わる人材の充実や教育体制の確立等による拠点機能の強化を図った。<br>・拠点以外の研究機関との連携や専門領域の研究者間での連携の推進を目指し、平成 27 年 11 月～平成 28 年 2 月にかけて革新的医療技術創出拠点プロジェクト以外の 8 つの連携プロジェクトについて、機構内のプロジェクト担当課及び拠点等とプロジェクト連携シンポジウムの開催を企画し、8 つの連携プロジェクトにおいてそれぞれ実施した。平成 28 年度には、他の省庁連携プロジェクト所管事業課等との合同開催によるプロジェクト連携シンポジウムの開催により特定テーマに対し拠点も含めたネットワーク作りを促進する取組を行った。<br>・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し、拠点合同で支援人材を養成する研修等を実施した。<br>・拠点のネットワーク強化のため、実務者 WG として、シーズの発掘・実用化を前臨床段階から支援・進捗管理できるプロジェクトマネージャーの育成に関する課題について議論する会議を開催した。また、産学連携・知財の実務者 WG については、ARO 協議会の知財専門家連絡会と連携した会議を実施した。<br>・臨床研究中核病院の臨床研究の質を向上させ、臨床研究のさらなる安全性の確保をはかるため、病院情報システム内の医療情報データの標準化を図ると共にそのデータを研究等にも利活用できる体制整備を開始した。 | 【革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備】<br>・拠点の強化、体制整備を進めるため、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・助言等の取組を行ったことに加え、他の省庁連携プロジェクト所管事業課等との合同開催によるプロジェクト連携シンポジウムの開催により拠点外シーズも含めた拠点機能の紹介及び拠点も含めたネットワーク作りの促進を図るなどの取組、臨床研究実施に必要なモニタリングや監査、プロジェクトマネージャー、産学連携・知財関連担当者などのネットワーク作りの促進を行ったことは高く評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・継続的に本取組を実施する。<br>・拠点における支援基盤の整備から、拠点以外の研究機関や異分野のシーズ発掘・育成能力の更なる強化、拠点間連携による効率的な支援人材・開発人材の育成へと支援の方向性をシフトしていく。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 届出数及びFIH(企業主導治験を含む)試験数<br>・バイオバンクの試料数<br>・バイオリソース数 | | | | |
| | | また、疾患及び健常者バイオバンクの試料・情報を、新たな医療研究開発に利活用するために、バイオバンク機能の充実を図る。モデル動物等のバイオリソースの整備を行う等、ライフサイエンス研究の基礎・基盤となるバイオリソースについて収集・保存・提供を行う拠点の支援等を行う。 | | ■バイオバンクの構築<br>【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】<br>・東北メディカル・メガバンク計画では、同意に基づき宮城県・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している。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は計画通りに完了（地域住民コホート調査では平成 27 年度までに累計 8 万人、三世代コホート調査では平成 28 年度までに累計 7 万人の目標を達成）している。平成 29 年度には、三世代コホート調査について、里帰りや転院等で情報が得られなかった方を対象に 0.2 万人の出生確認を行い、累計数が 7.3 万人に達した。<br>・平成 29 年 6 月からは参加者に対する追跡・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 万人実施し、当初の目標を達成するとともに（平成 29 年度目標数 宮城県 1.75 万人、岩手県 0.6 万人）、平成 30 年度は宮城県では地域住民と三世代成人・子供をあわせ 2.34 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 0.73 万人実施し、当初の目標を達成した。（平成 30 年度目標数 宮城県 2.3 万人、岩手県 0.6 万人）<br>（取組の詳細は「II.(2)⑤オーダーメイド・ゲノム医療」を参照。）<br><br>【バイオバンクの構築に向けた患者の DNA・臨床情報の収集】<br>・オーダーメイド医療の実現プログラム（平成 29 年度終了）では、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。（H25 からの累計同意取得数：68,516 件、DNA 採取数：67,294 件）<br><br>【バイオバンクの利活用の促進】<br>・平成 30 年度から開始したゲノム研究バイオバンク事業では、これまでに構築したバイオバンクジャパンの試料・情報をユーザーへ効果的に分譲するためのデータベースや検索システムの開発と運用に務め、平成 30 年度は従来の実績を大きく上回る配布を行った。（DNA88,867 件、血清 3,771 件、臨床情報・ゲノム情報 27,072 件、検索システム利用 574 件） | 【バイオバンクの構築】<br>・健常人の DNA・臨床情報や生体試料の収集を着実に進め、BBJ 等と連携し品質・標準化の取組にも取り組んでおり、評価できる。<br>・資料・情報の配布数を大きく伸ばしたことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・海外への対応など、利活用の更なる促進のためには当初の同意を超えた対応が必要となるため、アドバイザリーボードの助言を受けながら、条件の検討を行っていく。<br><br>【バイオリソースの整備】<br>・バイオリソースの支援を着実に実施し、保存数・提供数の増加や、品質や保存技術の向上を行ったことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・IRUD-BEYOND を始めとした AMED 内の他課題との連携・情報共有に努めた。更なる知名度の向上、共同研究の増加が課題。 | | |

・バンク試料の活用幅を広げる血清パネルの作成に着手し、平成 31 年度からの配布開始の準備を整えた。
（取組の詳細は「II.(2)⑤オーダーメイド・ゲノム医療」を参照。）

■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」（NBRP）において、平成 28 年度に採択した「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した。事後・事前評価における報告や委員会の意見等を踏まえて、リソースの高度化や利活用の促進を図る為の事業推進を PS･PO や文部科学省と綿密に連携しながら行った。
・「中核的拠点整備プログラム」においては、AMED からの補助金交付の対象である動・植物・微生物等全 25 バイオリソースの中核的拠点について、バイオリソースの収集・保存・提供業務の支援を行った。なお、この他に、理研バイオリソースセンターの 5 リソースについては、AMED からの補助金交付の対象ではないが、NBRP のリソース事業を先導する重要な生物種等として、これまでに引き続いて一体的な運用を行っている。
・「情報センター整備プログラム」においては、30 バイオリソースのそれぞれを利活用する為に必要な様々な情報（所在情報・表現型情報・ゲノム情報等）を集約して提供する活動の支援を行った。その他、大型類人猿情報ネットワーク（GAIN）の活動、地球規模生物多様性情報機構（GBIF）日本ノードの活動、ABS（遺伝資源へのアクセスと利益配分）への対応活動、更に、動物実験の適正な実施に資する「外部検証促進のための人材育成」課題への支援を行った。
・「中核拠点整備プログラム」を支援するために、バイオリソースの遺伝子情報等の整備による付加価値の向上を目的とした「ゲノム情報等整備プログラム」、バイオリソースの品質管理や保存技術の向上を目的とした「基盤技術整備プログラム」について公募を実施した。課題評価委員会を経て 28 件（ゲノム情報等整備プログラム：13 件、基盤技術整備プログラム：15 件：2017 年度採択から 2019 年度採択までの課題数合計）が採択された。
・国立遺伝学研究所に設置した NBRP 広報室と連携して、NBRP リソースの利活用を促進する為の広報活動を行った。活動の一例としては、NBRP 事業パンフレット（日本語版、英語版）の作製と配布、NBRP 広報室ホームページの更新を行い、各種学会やイベント*において NBRP リソースの実物等を用いてユーザーおよびユーザー候補に向けて広報を行った。（日本分子生物学会「NBRP 実物つきパネル展示 バイオリソース勢ぞろい」等）

＜モニタリング指標＞

| | H27 | H28 | H29 | H30 |
|---|---|---|---|---|

<table>
<tr>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td>
<table>
<tr><td>医師主導治験届出数及び FIH(企業主導治験を含む)試験数</td><td>97 件</td><td>105 件</td><td>94 件</td><td>91 件</td></tr>
<tr><td>バイオバンクの試料数</td><td>67,461</td><td>36,290</td><td>約 28.4 万人分</td><td>約 29.5 万人分</td></tr>
<tr><td>バイオリソース数</td><td>24</td><td>24</td><td>25</td><td>25</td></tr>
</table>
</td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
<tr>
<td></td>
<td>AMED の研究開発の成果が、可能な限り広く共有され、医療分野の研究開発の更なる促進に活用されるよう、その利活用に向けたデータベース化を推進する。</td>
<td>さらに、AMED の研究開発の成果をデータベース化し、外部の研究者等がアクセスしやすいよう整備することにより、多くの研究者等の活用を図り、医療分野の研究開発の更なる促進につなげる。</td>
<td>＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・研究開発成果のデータベース化に向けた取組状況</td>
<td>■研究開発成果のデータベース化に向けた取組<br>・平成 27 年度に、「情報システムタスクフォース」を設置し、機構のファンディングの現状や課題の進捗状況の横断的な把握を行うための仕組みつくりを検討し、「AMED 研究開発マネジメントシステム（AMS）」の構築を開始した。また、AMS を用いた分析基盤を強化するため、研究開発課題を分析し可視化する機能（AMSfocus）の開発を推進した。令和元年 5 月リリース予定である。<br>・平成 28 年度以降、引き続き、AMS の開発を実施し、同年度 5 月に研究開発課題情報による AMS の一部運用を、平成 29 年 5 月には AMS の完成版の運用を開始した。また、事業担当部署が AMS を事業マネジメントに活用できるよう、説明会を開催して活用事例を紹介した。<br>・平成 30 年度までに KAKEN（科学研究費助成事業データベース）・厚生労働科学研究成果データベースについて、AMS への取り込みを行い、逐次最新の情報を追加している。<br>・AMED 外の研究者、市民等がインターネット上で AMED の支援する課題情報を検索、閲覧可能な一般公開版の AMS（AMEDfind）を平成 30 年 6 月に公開した。また、AMEDfind 上の公開情報を研究概要（当年度目的）まで拡張できるよう機能拡充し平成 31 年 3 月に公開した。<br><br>■研究への患者・市民参画（PPI）<br>・医療分野研究開発推進計画の平成 29 年 2 月 17 日の変更を受けて、臨床研究及び治験の立案段階から被験者や患者の参画を促進するための基礎調査「臨床研究等における患者・市民参画に関する動向調査」を実施し、AMED における PPI に関する基本的考え方を創出した。<br>・また、研究者への PPI の取組啓発を行うため、公募要領・研究開発提案書・実績報告書の雛形に PPI に関する任意記載欄を設置している。<br>・上記調査において作成した PPI に関するガイドブックを PPI の知識普及のため AMED 公式 web サイトより一般公開した。<br><br>■合同シンポジウムの開催<br>・平成 29 年 5 月 29 日及び 30 日に創設 2 年間の成果と展望を国民に伝えるため AMED 全体での初めてのシンポジウム「AMED シンポジウム 2017～医療研究がめざす未来の笑顔～」を開催し、延べ 1200 名を超える来場があった。令和元年 12 月に中長期計画期間の成果と次期中長期を展望するシンポジウムを開催予定である。</td>
<td>【研究開発成果のデータベース化に向けた取組】<br>・健常人の DNA・臨床情報や生体試料の収集を着実に進め、BBJ 等と連携し品質・標準化の取組にも取り組んでおり、評価できる。<br>・資料・情報の配布数を大きく伸ばしたことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・海外への対応など、利活用の更なる促進のためには当初の同意を超えた対応が必要となるため、アドバイザリーボードの助言を受けながら、条件の検討を行っていく。</td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
</table>

| ４．その他参考情報 |
| --- |
| 特になし。 |

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(1)―⑥ | (1)AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等<br>⑥国際戦略の推進 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 相手国への派遣研究者数 | | 515 件 | 514 件 | 451 件 | 304 件 | |
| 相手国からの受け入れ研究者数 | | 148 件 | 165 件 | 201 件 | 113 件 | |
| 参加している国際コンソーシアムの数 | | 5 件 | 7 件 | 8 件 | 11 件 | |
| 開催した国際ワークショップの数 | | 8 件 | 11 件 | 19 件 | 20 件 | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 4,910,148 の内数 | 5,023,556 の内数 | 5,591,643 の内数 | 5,663,409 の内数 | |
| 決算額（千円） | 3,714,767 の内数 | 4,782,684 の内数 | 5,780,113 の内数 | 5,897,604 の内数 | |
| 経常費用（千円） | 3,406,993 の内数 | 4,786,289 の内数 | 5,649,104 の内数 | 5,799,415 の内数 | |
| 経常利益（千円） | 137,703 の内数 | 101,661 の内数 | 182,995 の内数 | 150,702 の内数 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 3,202,425 の内数 | 4,415,604 の内数 | 5,819,965 の内数 | 5,907,400 の内数 | |
| 従事人員数 | 227 人の内数 | 253 人の内数 | 290 人の内数 | 290 人の内数 | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

| ３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価 | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣の評価 | | | |
| | | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | | 評定 | | 評定 | |
| | 最先端分野における欧米等の研究開発先進国との協力、ゲノム研究におけるアジア諸国との連携をはじめ国際貢献及び協力は、同時に、我が国の研究開発にとっても必要欠くべからざるものとなっており、ひいては世界の持続可能な発展につながるものである。産業化の視点では、画像診断分野において、医療への貢献、海外展開を加速する。加えて、相手国の実情とニーズに適した医療サービスの提供や制度開発等の協力を通じて、真に相手国の医療の発展に寄与する持続的な事業展開を意識した日本の産業競争力の強化を図る必要がある。さらに、地球規模課題としての保健医療（グローバルヘルス）を日本外交の重要課題と位置付け、日本の知見等を総動員し、世界の全ての人が基本的保健 | 最先端分野における欧米等の研究開発先進国との協力、ゲノム研究におけるアジア諸国との連携をはじめ国際貢献及び協力は、同時に、我が国の研究開発にとっても必要欠くべからざるものとなっており、ひいては世界の持続可能な発展につながるものである。産業化の視点では、画像診断分野において、医療への貢献、海外展開を加速する。加えて、相手国の実情とニーズに適した医療サービスの提供や制度開発等の協力を通じて、真に相手国の医療の発展に寄与する持続的な事業展開を意識した日本の産業競争力の強化を図る必要がある。さらに、地球規模課題としての保健医療（グローバルヘルス）を日本外交の | ＜評価軸＞<br>・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。<br>・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。<br>・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。<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・諸外国との関係構築への取組状況<br>・国際的な規範や開発途上国の保健医療政策の作成、改訂への寄与の状況<br>・世界に蔓延する疾病の予防及び治療法の開発への寄与の状況<br>・グローバルなデータシェアリングへの取組状況 | ＜主要な業務実績＞<br>■諸外国との関係構築への取組<br>・我が国にとって真に価値のある国際共同研究を推進ための基盤創成として、医療全分野に強い米英に加え、アジアの重要国の１つで我が国と同様、少子高齢化を抱えるシンガポール、国民の医療情報を集中管理しているリトアニア、ナノテクノロジーの医療応用に強みを持つスペイン、国民のカルテ情報をもとにした実態調査とゲノム医療（解析）の社会実装（保険償還）で先進的な取組が行われているオーストラリアの研究資金配分機関等と 7 件の MoC を取り交わした。<br>・米国 NIH やリトアニア保健省とは、未診断疾患イニシアチブ（IRUD）の推進により、未診断疾患の診断等で連携体制を整えた。加えて、NIH とは日米の二国間合意のもと 50 年以上の長い間実施されている日米医学協力計画プログラムを更に発展させ、若手・女性研究者育成を目的とした日米共同研究公募事業を平成 28 年度から開始した。<br>・英国医学研究会議(MRC)とは感染症分野で連携し、感染症研究革新イニシアチブ（J-PRIDE）で英国 3 大学との国際ワークショップを開催し、その成果をもって平成 30 年度第 1 回調整費を活用して国際共同研究を開始した。<br>・シンガポール科学技術研究庁（A*STAR）とは医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業 戦略的国際共同研究プログラム（SICORP）の枠組みでエイジング分野の研究課題を共同公募し、平成 29 年度より国際共同研究を開始した。平成 30 年度には、Cell-Therapy を課題にワークショップを開催、平成 31 年度の共同公募についての調整を開始した。<br>・スペイン研究開発イノベーション庁（SEIDI）とも平成 29 年度に署名した MoC を受け、ナノメディシン分野における国際共同公募を同年開始した。<br>・オーストラリアについては、国立保健医療研究評議会（NHMRC）と平成 30 年 10 月に MoC 署名した。NHMRC が平成 30 年度に医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業：e-ASIA 共同研究プログラムに参画したことを踏ま | ＜評定と根拠＞<br>評定：A<br><br>7 件の研究支援機関等と研究協力の覚書を締結し、11 件の国際コンソーシアムに参加することにより、国際連携の強化を行った。構築した国際的な枠組みのもとに共同研究等を実施するとともに、国際的にも貢献するため、グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応として、国際コンソーシアム等を通じた、国際連携を推進した。さらには、国際レビューアの導入または連携相手国機関との協力による共同評価を通じて、質の高い評価及び国際共同研究を推進したことは評価できる。以上により、機構の目的・業務、中期目標等に照らし、法人の活動による成果、取組等について諸事情を踏まえて総合的に勘案した結果、適正、効果的かつ効率的な業務運営が実施されたことが認められるため、評定を A とする。<br><br>【諸外国との関係構築への取組】<br>・我が国にとって真に価値のある国際共同研究の推進及び我医療に係る研究能力を活用するために、機構設立２年目に３つの海外事務所を立ち上げるとともに、7 件の研究支援機関等と MoC 締結、○件のワークショップを開催し、国際連携を展開した。さらに、国際水準での評価等を目指し、公募・評価プロセスにおける国際レビューアの導入 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 医療サービスを負担可能な費用で享受すること（ユニバーサル･ヘルス･カバレッジ）も求められる。<br>　このような認識の下、国際的な研究開発動向を踏まえ、我が国にとって真に価値のある国際共同研究を推進することによって国民に最高水準の医療を提供することが必要である。また、国際的にも貢献するため、グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応（例えば、難病・未診断疾患に関する情報を共有・分析する連携体制の構築など）を行う。さらに、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するため、ＡＭＥＤは、主要な海外ファンディング機関との協力協定の下、医療分野における研究開発の中核的な都市に置いた海外事務所（米国、英国、シンガポール）を活用しつつ、共同研究の推進・調整や情報収集・発信等を行っていく。 | 重要課題と位置付け、日本の知見等を総動員し、世界の全ての人が基本的保健医療サービスを負担可能な費用で享受すること（ユニバーサル･ヘルス･カバレッジ）も求められる。<br>　このような認識の下、国際的な研究開発動向を踏まえ、我が国にとって真に価値のある研究分野・課題を対象に先進国及び開発途上国との国際共同研究を推進するとともに、国際的にも貢献するため、グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応（例えば、難病・未診断疾患に関する情報を共有・分析する連携体制の構築など）を行う。さらに、我が国の医療に係る研究能力を活用して、主要な海外ファンディング機関との協力協定の下、医療分野における研究開発の中核的な都市に置いた海外事務所（米国、英国、シンガポール）を活用しつつ、共同研究の推進・調整や情報収 | ・海外事務所を活用した共同研究や情報収集・発信への取組状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・相手国への派遣研究者数<br>・相手国からの受け入れ研究者数<br>・参加している国際コンソーシアムの数<br>・開催した国際ワークショップの数 | え、平成 31 年 3 月にこの e-ASIA の枠組を活用して、e-ASIA メンバー組織である米国 NIH、ニュージーランド保健研究会議（HRC）の協力を得て、がん･感染症分野をテーマに ASEAN 諸国からの研究者を交えてワークショップ開催した。<br>・平成 28 年度には、医療分野における研究開発の中核的な都市に海外事務所（米国、英国、シンガポール）を設置した。この海外事務所を活用し、主要な研究資金配分機関や各事業の PS、PO と連携しながら国際連携を展開した。海外事務所は、国際連携活動を円滑に進めるため、所掌する国の政府、アカデミア、産業界等との連携強化、医療分野の研究開発に関する技術情報・政策情報の収集・分析、人的ネットワークの構築、および機構の情報発信等の活動を行った。<br>・また、機構における評価の質の一層の向上を図り、日本の研究環境の国際化への貢献として世界最先端の基礎研究や多国籍・多施設の臨床研究への日本の研究者の参加促進を目的として、国際レビューアの導入を含む、英語を用いた申請・評価のシステム構築を行った。<br><br>■国際協力体制の整備（国際コンソーシアム、希少疾病への対応他）<br>・世界 20 カ国以上の生物医学研究を支援するＦＡ、政府機関、民間財団、研究機関の長の会合に参加し、生物医学分野の研究開発に関する国際的重要課題について自由に議論し、情報共有を深めるとともに国際協調について検討を進めた。<br>・国際的な研究資金配分機関の連携、データシェアリングを念頭に 11 の国際的アライアンスに加盟した。慢性疾患国際アライアンスである GACD では運営に直接関して予算運営や次期戦略計画の骨子策定に貢献するとともに、GACD 加盟国と国際協調研究公募を平成 28 年度から実施した。国際希少疾患研究コンソーシアムの IRDiRC でも新 10 ヶ年目標の策定や加盟機関総会の招致・開催で貢献した。<br>・国際的な枠組みを通じたグローバルなデータシェアリングが研究の加速するため、希少疾病・未診断疾患の分野では、未診断疾患イニシアチブ（IRUD）の取組を通じて、リトアニア保健省との MOC に基づき、リトアニアの未診断疾患患者 31 名のエクソーム解析を実施した結果、７件の未診断疾患の確定診断に成功した。そのうち１名はリトアニア | を拡大して、国際的な研究環境の基盤構築をしたことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・機構の次期５カ年計画を踏まえて、諸外国との関係構築への取組を進める必要がある。<br><br>【国際協力体制の整備（国際コンソーシアム、希少疾病への対応等】<br>・グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応として、国際コンソーシアムのがんゲノム解析プロジェクトへの参画、ヒト脳の動作原理等の神経回路レベルでの解明に向けて脳画像解析等における国際連携の推進、難病・未診断疾患に関する情報を共有・分析する連携体制構築などに向けた取組みを推進したことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・我が国の研究開発推進に資すること、及び、国際貢献（国際協力・国際協調を含む）の観点を踏まえて、参加する国際的アライアンスを決定し活動を行う必要がある。<br><br>【国際共同研究等の推進】<br>・医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業において、地球規模の医療に係る課題の解決に貢献し、国際科学技術協力を戦略的に展開するとともに、新たに、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と Interstellar Initiative を立ち上げ、国際共同研究の推進を図ったことは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 集・発信等を行っていくとともに、地球規模の保健医療課題の解決に資する研究開発等を実施することにより国際的にも貢献する。特に、国際協力が欠かせない感染症研究の推進や、希少疾患、未診断疾患、がん、認知症に関する研究などでの協力体制を構築する。 | | において治療へと進展した。また NIH との MOC の下、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、異なる酵素のバリアントによる同じ代謝産物の異常を同定した。さらに 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した。<br>・感染症のアウトブレイクに対する国際連携ネットワーク（GloPID-R）では、ブラジルにおけるジカ熱流行（2016 年）、コンゴ民主共和国におけるエボラ出血熱流行（2018 年）に際して、英国 Wellcome Trust 主導のもと世界の研究支援機関や学術出版社と連携して、研究成果とデータを広く迅速に共有する声明に署名した。また、感染症研究革新イニシアティブ（J-PRIDE）では、英国医学研究会議（MRC）と 2 回のワークショップを開催し、新たな日英共同研究の開始や既存の共同研究発展を検討した。<br>・「がん研究 10 か年戦略」に沿った効果的な研究を行うために、海外の研究開発動向を俯瞰することや、がん研究に関わる海外の主要な研究資金配分機関と多国間の対話の場を持ち、国際連携を図るため、がん研究費配分機関国際アライアンス（ICRP）に加盟した。また、がん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・貢献するとともに、がんゲノム解析プロジェクトに関する国際的な連携への参画について検討を進めた。<br>・MRC と署名した覚書に基づき、ニューロサイエンスの発展に向けた日英合同シンポジウムを継続開催するとともに、脳科学研究の国際連携の枠組を活用したデータ共有に向けて、画像解析基盤、モデル霊長類基盤等の充実を図るとともに、国際協力体制の構築を推進した。<br>・日本のゲノム医療実現に向けた各事業の成果を統合する GEM-J（GEnome Medicine Alliance Japan）プロジェクトが、平成 31 年に GA4GH の基幹プロジェクト（ドライバープロジェクト）に参画した。GEM-J プロジェクトを通じて、国内の各機関と協力体制をより強固にするとともに、ゲノムデータ共有方法の世界標準の策定を主導し、日本におけるゲノム医療の社会実装の加速を図った。<br><br>■国際共同研究等の推進<br>・政府開発援助（ODA）との連携等により開発途上国と感染症分野の地球規模課題の解決を目指した医療分野の国際共同研究や両国の省庁間合意に基づく相手国・地域のポテ | ・アジア・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を推進したことは評価できる。<br>・生体の複雑な機能の解明を目的とする最先端研究の推進するため、国内における広報活動や記念式典を開催したことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・引き続き、我が国にとって真に価値のある研究分野・課題を対象に、先進国及び開発途上国との国際共同研究を、実用化の視点を入れて推進する。<br><br>【地球規模の保健課題への対応及び「日米医学協力計画」への取組】<br>・地球規模保健に関する研究課題を国際機関と連携しながら着実に推進するとともに、GACD 加盟国との国際協調公募に実施したことは評価できる。<br>・日米の二国間合意のもと 50 年以上の長い間実施されている日米医学協力計画プログラムを更に発展させ、若手・女性研究者育成を目的とした日米共同研究公募事業を実施したことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・GACD や WHO 等と連携し、地球規模保健課題解決に向けた研究と研究成果の国際保健政策への反映を推進する。<br>・日米医学協力計画において、引、NIAID と協力を行い、共同公募・研究を継続して実施していく。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ンシャルと協力フェーズに応じた多様な国際共同研究を推進した。<br>・首脳宣言に基づいた取り組みとして、医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業において、アフリカにおける顧みられない熱帯病（NTDs）対策のための国際共同研究プログラムを平成 27 年度第 1 回調整費を活用して新たに立ち上げた。本事業では、国際的なネットワークを活かした国際会議やシンポジウムを毎年度開催し、アフリカにおける感染症関連事業間の連携を推進した。<br>・さらに、平成 30 年度には同事業において Interstellar Initiative を立ち上げ、日本人の若手独立研究者をリーダーとした国際的・学際的研究チームによる医療分野での先進的な研究シーズの創出を推進した。<br>・感染症研究国際展開戦略プログラム（J-GRID）では、アジア・アフリカに整備された研究拠点を充実･強化することにより永続的な研究活動を進める基盤を確立し、さらにその拠点間ネットワークの強化、疾病ごとの拠点間の共同研究を推進した。<br>・生体の複雑な機能の解明を目的とする最先端研究の推進については、ヒューマン・フロンティア・サイエンス・プログラム（HFSP）において、財政的支援や国内委員会の運営等を行い HFSP の運営に貢献した。また、広報誌の作成･配布に加え、学会でのイベント国内の研究機関での説明会を開催し、日本人研究者の応募・採択数の増加に向けた取組を推進するとともに、2019 年の創設 30 周年を記念する式典を開催する。<br>・相手国のニーズや価格水準に基づいた製品（画像診断機器を含む）開発を、行うために、実際に開発途上国の臨床現場で、デザインアプローチを用いたニーズの発見やコンセプト作成と、上市に必要とされる研究開発を支援する「開発途上国・新興国等における医療技術等実用化研究事業」について検討し平成３０年度より開始した。<br><br>■地球規模の保健課題への対応及び「日米医学協力計画」への取組<br>・ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ （UHC）の視点を踏まえ、地球規模の保健課題（感染症対策、母子保健、新型インフルエンザ等への緊急対策、高齢化、生活習慣病など）に関して、疾病の原因究明、予防法の検討、疾病の治療法や診断法の標準化等に関する研究を推進するため、地球規模保健課題解決推進のための研究事業を着実に実施した。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | また、慢性疾患国際アライアンス（GACD）と協力し、国際協調公募を実施するとともに、Implementation Research（実装研究）を推進するためのワークショップを開催した。<br>・日米医学協力計画においては、AIDS 等ウイルス分野、コレラ等寄生虫・細菌分野、栄養・代謝、がんの９分野において、アジア地域に蔓延する疾病に関する研究内容を米国国立アレルギー・感染症研究所（NIH／NIAID）と共有して実施した。NIAID とは毎年汎太平洋新興・再興感染症国際会議（EID 国際会議）を共同で開催し、日米の研究成果を共有した。さらに、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、若手・女性育成のための公募を開始し、若手・女性研究者の育成に貢献した。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(1)―⑦ | (1)AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等<br>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 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 応募件数及び採択件数 | | － | 0 件 | 112 件<br>17 件 | 52 件<br>14 件 | |
| 事業に参画している延べ機関数 | | － | 0 件 | 39 機関 | 97 機関 | |
| ＰＭＤＡへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数 | | － | 0 件 | 0 件 | 0 件 | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |
| | | | | | | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | － | 5,023,556 の内数 | 5,591,643 の内数 | 5,663,409 の内数 | |
| 決算額（千円） | － | 4,782,684 の内数 | 5,780,113 の内数 | 5,897,604 の内数 | |
| 経常費用（千円） | － | 4,786,289 の内数 | 5,649,104 の内数 | 5,799,415 の内数 | |
| 経常利益（千円） | － | 101,661 の内数 | 182,995 の内数 | 150,702 の内数 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | － | 4,415,604 の内数 | 5,819,965 の内数 | 150,702 の内数 | |
| 従事人員数 | － | 253 人の内数 | 290 人の内数 | 290 人の内数 | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣の評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| 政府出資を | 政府出資を | ＜評価軸＞ | ■医療研究開発革新基盤創成事業の公募・審査 | ＜評定と根拠＞ | | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 活用し、革新的な医薬品・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進する。<br>当該事業を進めるに当たっては、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、研究開発に係る事業計画・事業目標を含む事業採択のための審査、事業の進捗状況の確認や進捗過程における課題の相談、事業終了時の事業目標等の達成状況等の評価など、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する。また、その進捗状況については、内閣府、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省（以下 | 活用し、革新的な医薬品・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進する。<br>当該事業を進めるに当たっては、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、研究開発に係る事業計画・事業目標を含む事業採択のための審査、事業の進捗状況の確認や進捗過程における課題の相談、事業終了時の事業目標等の達成状況等の評価など、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する。また、その進捗状況については、内閣府、文部科学 | ・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。<br>・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。<br>・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。 | ・平成 28 年度第 2 次補正予算からの政府出資を活用し、革新的な新薬・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進する「医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）」の設計において、政府の健康・医療戦略等の改定（平成 29 年 2 月）でリバーストランスレーショナルリサーチ（リバース TR）が新たに加えられたが、CiCLE の立ち上げにおいては、この考え方を予め盛り込み、第 1 回公募を平成 29 年 3 月 16 日に開始した。<br>・第 1 回公募（平成 29 年 3 月 16 日～平成 29 年 4 月 24 日）を行い、48 件の応募があった。また、それに引き続き、第 2 回公募（平成 29 年 4 月 25 日～平成 29 年 8 月 31 日）を行い、64 件の応募があった。さらに、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）を行い、52 件の応募があった。<br>・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、また、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、それらの協力の下、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 件の応募から 7 課題を採択し、第 2 回公募では 64 件の応募から 10 課題を採択し、第 3 回公募では 52 件の応募から 14 課題を採択した。<br>・課題評価委員会の委員については適宜、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。<br>・より専門性の高い査読と、委員一人ひとりの負荷低減を図るべく、専門委員を適宜、追加し、第 1 回公募（平成 29 年 3 月 16 日～平成 29 年 4 月 24 日）の事前評価では 31 名であったのに対し、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 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、”ヴィークル”）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、118 名とした。その後、平成 31 年度以降の委嘱契約更新のタイミングにおいて、第 4 回公募に向け、より幅広い専門分野に適切に対応できるよう、専門委員を更に 33 人追加し、体制を強化した。<br>・事業の特性として、将来的に委託費の精算を伴うことから、採択時においても応募企業の財務状況を確認し、評価の際の考慮対象としたこと、シーズに基づく研究開発・実用化を目指す課題に関してはそのシーズの状況が重要であることから、外部機関を適宜活用しつつ、先行技術調査を行い、評価の際の考慮対象とした。<br>・また、第 3 回公募では第 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 | 評定：B<br>政府出資金（28 年度第 2 次補正予算 550 億円、29 年度第 1 次補正予算 300 億円、30 年度第 2 次補正予算 250 億円）を活用して、医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）第 1～4 回公募を実施し、採択課題を決定し、支援を開始した。 また、CiCLE の課題推進マネジメントにおいては、強化された新たな PS/PO 体制の下、総合コンサルテーションやオール AMED の伴走支援で推進しながら効果的かつ効率的な事業運営を実施した。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ことから、評定をＢとする。<br><br>【医療研究開発革新基盤創成事業の公募】<br>・CiCLE の公募を 4 回実施した。第 1、2 回公募を踏まえ、第 3 回公募では、ベンチャーが利用しやすいよう「スタートアップ型（ViCLE）」を新たに設定した。。第 4 回公募では、引き続き「スタートアップ型（ViCLE）」を設定し、ベンチャーがより応募しやすいように応募下限額を引き下げた。審査においては、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、多数の専門委員を委嘱し、それらの協力の下、外部機関を適宜活用しつつ、先行技術調査も行い、評価の際の考慮対象とし、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。<br><br>＜今後の課題＞ | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 「所管府省」という。）に適宜報告するとともに、所管府省から改善を求められた場合には、これに適切に対応する。 | 省、厚生労働省及び経済産業省（以下「所管府省」という。）に適宜報告するとともに、所管府省から改善を求められた場合には、これに適切に対応する。 | ＜評価指標＞<br>・採択のための審査に係る取組状況（事業計画・事業目標の審査状況を含む）<br>・ＡＭＥＤの取組・事業の進捗や課題の相談に対する対応等の状況<br><br>・終了時の評価に係る取組状況（判断基準の策定状況を含む）<br><br>・上記の内容についての所管府省への適時適切な報告<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・応募件数及び採択件数<br>・事業に参画している延べ機関数<br>・ＰＭＤＡへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数 | 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。<br>・平成 30 年度第 2 次補正予算を活用して、第 4 回公募を平成 31 年 3 月 27 日に開始した。第 3 回公募を振り返り、ViCLE の提案下限額を原則 1 億円から原則 5000 万円に引き下げ、財務基盤が弱いベンチャー企業でも応募しやすい設計に改善した。<br><br>■医療研究開発革新基盤創成事業の研究開発マネジメント<br>・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、採択課題の実施計画策定において指導・助言を行った。<br>・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。<br>・第 3 回公募分採択課題 14 課題が増加し合計で 31 課題となったことから、これに対応し円滑な課題管理等に資するため、平成 31 年 1 月に PO 1 名を PS に、新たな PO を 17 名追加し、体制強化を図り、採択課題の実施計画策定において指導・助言を行った。<br>・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。<br>・PO を 17 名に拡充したことから、平成 31 年 3 月 28 日に PSPO 会議を開催し、CiCLE について、PS と新たに参画いただく PO17 名を一堂に会し、PS、PO の業務・役割期待の理解を深め、また事業全体および個々の課題に関する情報を共有し、今後の課題管理に有用な議論を交わした。<br>・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オール AMED の観点から伴走型で、運営費交付金財源（平成 29 年度当初予算から措置）により支援することとしている。PS・PO の下、機構の本事業担当部署、機構の関連部署、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）らによるチームを形成し伴走支援を実施している。具体的には、平成 29 年 12 月 11 日開催部長会議にて了承された伴走支援第 1 次実行計画に基づき、a）基盤的事業との連携実施（チーム A）、b）感染症関係事業との連携実施（チーム B）を感染症研究課と、c）安全保障貿易管理に関す | ・第４回公募まで含め、1100 億円の予算措置がなされ、第３回公募までに約 800 億円分の課題を採択しており、今後さらなる応募課題の掘り起こしが求められる。<br><br>【医療研究開発革新基盤創成事業採択・評価会の設置】<br>・AMED の役職員で構成し、医療研究開発革新基盤創成事業の採択、課題評価に関する事項を審議する「医療研究開発革新基盤創成事業採択・評価会」を AMED に設置した。<br><br>＜今後の課題＞<br>・事前評価のみならず、今後は中間・事後評価の開催が増えるため、効果的かつ効率的な運用が必要になると考えられる。 | | |

る取組との連携実施の支援活動を国際事業部とそれぞれ実施し、平成30年9月19日開催部長会議にて了承された伴走支援第2次実行計画に基づき、ベンチャー関連課題への機構横断的支援の実施（チームV）も産学連携課と行った。

・第1回公募、第2回公募の事前評価において、課題評価実施要綱に基づき、評価項目⑦健康・医療戦略、医療分野研究開発推進計画への貢献を含む評価を行い、複数の大学病院で臨床試験を行う課題を採択した。採択の結果、感染症分野の課題は、第1回公募で4件、第2回公募で2件あったため、感染症分野の各課題に対する適切な情報提供などの支援のために感染症研究課との連携を推進した。

・中間評価については、委託研究期間5年以上の課題に対しては3年以内を目安に実施し、加えてマイルストーン（以下「MS」という。）が設定されている課題については、予め定めたMS時期に応じてMS評価を含む中間評価を実施する運用となっている。平成30年度において4課題実施した。

■進捗状況の報告等

・課題の選考に当たっては、医療研究開発革新基盤創成事業採択・評価会及び医療研究開発革新基盤創成事業課題評価委員会の場において所管府省と進捗状況を共有するとともに、課題の採択に当たっては、関係府省に採択課題を報告した。

・第3回公募（平成30年3月7日～平成30年5月31日）の開始に当たっては、事前に公募要領案を関係府省に送付し、得られた意見についてはAMED内で検討の上、適切に対応した。

・事業の進捗状況に係る関係府省への報告会を平成30年3月30日に開催し、第1回及び第2回の採択課題、第3回公募の進捗状況などについて報告するとともに、事業の推進について意見交換を行った。

・第4回公募（平成30年3月27日～平成30年6月13日）の開始に当たっては、事前に公募要領案を関係府省に送付し、了承を得た上で、適切に対応した。

・事業の進捗状況に係る関係府省への報告会を平成31年3月19日に開催し、第3回公募の採択結果、第1～2回公募採択課題の進捗、第４回公募などについて報告するとともに、事業の推進について意見交換を行った。

| | 平成27年度 | 平成28年度 | 平成29年度 | 平成30年度 |
|---|---|---|---|---|
| 応募件数／採択件数 | 0／0（CiCLE発足前） | 0/0（CiCLE公募中） | 第1回公募 48／7<br>第2回公募 64／10 | 第3回公募 52／14 |
| 事業に参 | 0 | 0 | 39 | 97 |

| | | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 画している延べ機関数 | （CiCLE 発足前） | （CiCLE 公募中） | | | | | |
| | | | | ＰＭＤＡへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数 | 0<br>（CiCLE 発足前） | 0<br>（CiCLE 公募中） | 0 | 0 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(2)―① | (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<br>①医薬品創出 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | 重要度、優先度等は高い | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | 健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 25 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2016（平成 28 年 7 月 29 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-1、経済産業省 0037） |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 応募件数 | | 227 件 | 242 件 | 244 件 | | |
| 採択件数 | | 54 件 | 100 件 | 94 件 | | |
| シンポジウム等の開催件数 | | 4 件 | 7 件 | 9 件 | | |
| サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数 | | 235 件 | 365 件 | 396 件 | | |
| PS/PO 会議実施回数 | | 68 件 | 66 件 | 83 件 | | |
| 相談・シーズ評価（2020 年頃まで） | 1,500 件（累積） | 421 件 | 863 件 | 1,138 件 | | |
| 有望シーズへの創薬支援（2020 年頃まで） | 200 件(累積) | 44 件 | 58 件 | 83 件 | | |
| 企業への導出(ライセンスアウト) | 5 件（累積） | 3 件 | 15 件 | 80 件 | | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 23,716,806 | 23,378,042 | 24,438,010 | 22,438,568 | |
| 決算額（千円） | 23,484,233 | 23,030,424 | 24,495,528 | 22,032,888 | |
| 経常費用（千円） | 21,869,628 | 22,737,309 | 24,902,776 | 21,688,942 | |
| 経常利益（千円） | 0 | 0 | 44 | 0 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 21,829,717 | 22,564,996 | 24,033,541 | 20,967,219 | |
| 従事人員数 | 74 人 | 58 人 | 53 人 | 62 人 | |
| | | | | | |
| | | | | | |

| | | | | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | （2020 年頃まで） | | | | | | | | | | | | |
| | 創薬ターゲットの同定（2020 年頃まで） | 10 件（累積） | 8 件 | 8 件 | 11 件 | | | | | | | | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

| ３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価 | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| 創薬支援ネットワークなどの医薬品創出のための支援基盤の整備及び基礎研究から医薬品としての実用化につなげるまでの切れ目のない支援を推進する。<br>具体的には、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の医薬品創出のための支援基盤の整備により、大学 | 創薬支援ネットワークなどの医薬品創出のための支援基盤の整備及び基礎研究から医薬品としての実用化につなげるまでの切れ目のない支援を推進する。<br>具体的には、大学等や産業界と連携して、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援ネットワークの構築や創薬等ライフサイエ | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況<br><br>＜評価軸＞<br>・創薬ターゲットの同定に | | ＜評定と根拠＞<br>評定：A<br>平成 27 年 4 月の AMED 設立以降 4 年間の医薬品創出に関する取り組み状況としては、平成 29 年に AMED 内組織改編による「創薬戦略部」を設立するとともに、①全般的な取組としては、創薬支援 NW の安定的運営と導出成果、製薬企業各社が有する各種アセットを集約した DISC／創薬インフォマの構築、製薬以外の産業を交えた GAPFREE 型産学連携スキームの構築、BINDS による創薬基盤共同利用スキーム構築、生物統計家育成、AMED 内の全創薬課題を対象とした研究マネジメントの運用など。②研究成果としては、がん治療薬の効率的開発に資する MANO 法開発、革新バイオ事業 5 年間の成果として 40 件の導出を達成、抗体製造技術開発、希少疾病治療薬開発、レギュラトリーサイエンスの推進など。③創薬支援基盤としては、創薬支援ネットワークに関する外部ユニットと連携したエコシステム構築、BINDS での顕著な創薬支援成果、CIN 拠点整備などを実施。<br>このような「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」の取り組みを通じ、成果目標の中で最も重要な成果指標「企業導出」について、所期の目標を大きく上まわるとと | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。 | ンス研究支援基盤事業などの医薬品創出のための支援基盤の整備により創薬支援のための基盤を強化する。 | 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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況 | ■組織の改編、設置（Ⅰ―(1)―①の再掲）<br>・AMED 設立当初、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」に関連する事業については、創薬支援戦略部、戦略推進部及び臨床研究・治験基盤事業部に散在していたところ、同プロジェクトの一体的運営と他の AMED 事業との連携を組織的に進めるとともに、AMED 全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行うなど、AMED による革新的医薬品の研究開発支援を一層強化する目的で平成 29 年 7 月に組織改変を行い、創薬戦略部を設置した。<br>・この組織改編以降、AMED の各種創薬関連事業が飛躍的に進展し、同プロジェクトの企業導出に関する成果指標・5 件に対し、同プロジェクトの開始以降これまでの実績として 162 件の導出を達成するなど、以下に記載の様々な成果を出すことができた。<br><br>■創薬支援ネットワークの構築（創薬支援推進事業（創薬総合支援事業））<br>・従来、アカデミア発の創薬シーズについては、十分なデータの蓄積がないままに将来的な医療上の位置づけを想定したり知財戦略などが明確にならない状況で製薬企業との共同研究や導出に関する交渉を行うなど、我が国発の革新的アイデアが実用化に結びつ | に、創薬活性化に資する新たな産学連携・創薬基盤構築に大きく貢献した。以上から、適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で、「研究開発成果の最大化」に向けて、顕著な成果の創出や将来的な特別な成果の創出の期待等が認められるため、評定を A とする。<br><br>【創薬支援ネットワークの構築】<br>・アカデミアや製薬企業双方のニーズを踏まえながら画期的なシーズを育成する本事業を様々な取り組み・体制整備を構築しながら安定的に運営することが可能となったことは評価できる。<br>・成果指標（KPI）の中でも研究成果の実用化に関する重要な指標である企業導出について、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」実施期間の目標 5 件に対し、これまでの間で 6 件を達成するとともに、現在更に 2 件の導出予定の成果を達成したことは高く評価できる。<br><br>【創薬支援のための基盤強化】<br>・「産学協働スクリーニングコンソーシアム（DISC）」及び「創薬支援インフォマティクスシステム」に関し、製薬企業各社が保有する化合物や情報などの各種アセットを AMEDが集約し、一定のルールの下で産学が連携して活用するユニークなスキームを構築するとともに、この4年間でその創薬支援基盤を飛躍的に充実強化したことは高く | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | きづらい状況があった。創薬支援ネットワークは、アカデミア発の革新的な創薬シーズを見極めた上で、AMED を中心に理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所及び産業技術総合研究所の創薬関連研究所と連携し、その後外部機関（創薬支援推進ユニット）の機能も活用しながら企業導出・創薬実用化までの切れ目のない支援を目指すものである。このような early phase の創薬シーズ育成・橋渡しスキームは世界的にもユニークな取り組みであり、AMED 設立からの 4 年間でアカデミア･製薬企業双方のニーズを踏まえながら本事業を安定的に運営することが可能となった。<br>・これまでの同事業の取り組みとしては、前述の三研究所との連携のほか、AMS（AMED 研究開発マネジメントシステム）の活用や AMED 内他事業との連携、創薬支援コーディネーターによる学会/アカデミア個別訪問、創薬ナビの活用、外部ユニット 8 機関との連携、国家戦略特区内の臨床拠点中核病院との連携、感染症分野における産学官意見交換の実施など、幅広いシーズ情報の調査、有望な創薬シーズの発掘、積極的な導出活動等に取り組んだ。その結果、成果指標（KPI）の中でも研究成果の実用化に関する重要な指標である企業導出については、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」実施期間の目標 5 件に対してこれまでの間に 6 件を達成するとともに、現在更に 2 件の導出を公募中である。また、相談・シーズ評価数については、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」の開始以降これまでの間の累計で 1,376 件となり、同プロジェクト実施期間の目標 1,500 件を達成見込みとなった。<br><br>■創薬支援のための基盤強化（創薬支援推進事業（創薬支援効率化事業））<br>・画期的な医薬品開発に当たっては、創薬関連基盤・情報をアカデミア/製薬企業が個別に保有するのではなく、共通基盤化した上で産学連携により効率的に活用する必要がある。「産学協働スクリーニングコンソーシアム（DISC）」及び「創薬支援インフォマティクスシステム」については、製薬企業各社が保有する化合物や情報などの各種アセットを公的機関であるAMEDが集約し、一定のルールの下で産学が共同で活用するユニークなスキームであり、この4年間でその創薬支援基盤を立ち上げるとともに飛躍的に機能の充実強化を果たした。 | 評価できる。<br><br>・DISC については、化合物の多様性を高めるとともに、アカデミア研究者への構造開示も考慮して HTS を実施できる体制を整備したこと、DISC ライブラリの活用について参加製薬企業との間で意見交換を実施し、協力して事業を進める体制を整備したことは評価できる。中でも DISC を活用して企業導出を達成したことは高く評価できる。<br><br>・創薬支援インフォマティクスシステムについては、国内主要製薬企業 7 社の持つアセット・約 2 万 5 千化合物分のデータを統合して予測システム開発が可能となったこと、そのデータベースは多様性のある化合物から構築される予測性の優れたものであり、そのようなデータベース構築を実現できたことは大いに評価できる。また、そのシステムを創薬支援ネットワークのみならず、創薬支援ネットワーク構成機関や連携参加企業が活用できるようになり、将来的に安定的な運用を図るための商用化についても検討が進んでいることは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 「産学協働スクリーニングコンソーシアム（DISC）」<br>・ハイスループット・スクリーニング（HTS）実施のためのDISCライブラリについては、これまでに製薬企業22社から約27万化合物の提供を受けるとともに、ライブラリ内の化合物の多様性と医薬品候補物質としての可能性を高めるため市販の約1.4万化合物を購入した。これにより、約30万化合物のライブラリに拡充するとともに、これらの化合物群は偏在するのではなく、普遍的な多様性を伴うライブラリであることが検証されるとともに、これまで課題となっていたアカデミア研究者への構造開示にも対応できる体制を整備した。また、平成30年度にはDISCの化合物管理やHTS実施等業務を一元的に担う外部ユニットを選定、始動するとともに、DISCを利用した探索研究を活性化するため、DISC参加企業とのクロストークを実施し、創薬支援ネットワークによる支援テーマの情報共有やDISCのHTS利便性向上に関する意見交換を行っている。また、HTSに当たっては、創薬基盤推進研究事業による中分子ライブラリとも連携し効率的なスクリーニング実施を行っている。<br>・これらの取り組みの結果、創薬支援ネットワークによる導出6件のうち、平成29年度にDISCによるヒット化合物由来の創薬シーズ1件につき、企業導出を達成した。<br><br>「創薬支援インフォマティクスシステム」<br>・毒性・薬物動態を中心としたインシリコの統合解析プラットフォーム（データベース、モデリング機能、予測機能から構成されるシステム）を構築する「創薬支援インフォマティクスシステム」については、民間企業の有する化合物情報の分散統合を公的機関であるAMEDが図る世界的にもユニークなシステム開発であり、これまでに国内製薬企業7社から提供された約2万5千化合物の毒性/薬物動態についてデータベースへ統合/構築した。その化合物の空間解析を行った結果、予測システム開発に十分な多様性のある化合物データであることが確認された。また、企業との連携により作成された予測モデルについては、創薬支援ネットワークでの活用だけでなく、創薬支援ネットワーク構成機関や連携参加にも提供して活用してもらうこととしており、予測モデルを将来的にも継続的に運用するための商用化についても、その予測システム開発について関係者間での基本合意がなされているなどの進捗が見られる。 | ■創薬等に資する創薬・医療技術基盤の構築及び創薬等の研究支援（クリニカル・イノベーシ | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ■創薬・医療技術基盤の構築及び創薬等の研究支援（創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業）（Ⅰ―(1)―①、Ⅰ―(1)―⑤の再掲）<br>・創薬等支援技術基盤プラットフォーム事業（PDIS）では、平成27年度にクライオ電子顕微鏡を整備してタンパク質の構造解析力の強化を図ると共に、構造展開ユニットを創設して、これまでアカデミアではできなかったMedicinal ChemistryとADME/物性評価を実践する仕組みを構築した。<br>・また、PDISに引き続きBINDSでは、大型創薬関連基盤をアカデミアが個別に保有するのではなく、共通基盤・ネットワーク化した上で他のアカデミアや産業界も一定のルールの下で活用できるよう、創薬・医療技術基盤の構築及び創薬等の研究支援を一層進めている。特に、BINDSの運営に関しては、それまでのPDISの経験を踏まえ、PSよりその運営方針8項目を「BINDS重点項目」として明示して研究者と共有した。BINDSの活用を検討する個別研究者がどの研究者とタイアップすべきかといった相談に応じるワンストップ窓口を設けて研究者の利便性向上を図った。また、PS・PO、外部有識者、AMED事務局で構成するBINDS運営会議において、研究内容や進捗状況に応じ、更なるユニット/領域間連携を行うべき研究課題を「BINDS重点PJ」として認定し、この取り組みによって事業内ユニット/領域間連携が一層促進された。また、創薬支援ネットワーク、創薬基盤推進研究事業、次世代がん医療創生研究事業などのAMED内他事業との連携も行っている。<br>・その結果、それまでのPDISにおける支援件数が5年間累積で約1,000件であったのに対し、BINDSの事業開始から2年間で1,465件の創薬・ライフサイエンス研究の支援を実施している。そのうち、181件が放射光施設の供用、234件が化合物ライブラリーの提供支援で、支援件数は順調に推移している。また、BINDSの事業開始から2年間で企業導出はシーズ・技術をあわせて累積74件となっている。更に、BINDSのクライオ電子顕微鏡ネットワーク発の成果として、これまでX線結晶解析法では解明できなかった、RNAポリメラーゼIIにより折りたたまれた染色体構造中のDNAを段階的に引き剥がしながら読み取る姿（構造）が解明されるなど（Science(2018.10), (2019.2)）、今後、疾患ターゲッ | ョン・ネットワーク（CIN）推進支援事業）<br>・平成29年より患者レジストリ情報の収集のための調査を実施し、CIN 推進拠点として「レジストリのレジストリ」を構築するに至った。この成果を活用してレジストリ保有者と企業ニーズのマッチングを実現し、さらには具体的な利活用を目指した企業との協同課題を採択、研究開発の開始に至ったことは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ト探索などの創薬研究に大きな進展が期待できる。<br><br>■レギュラトリーサイエンス研究の支援（Ⅰ―(1)―④の再掲）<br>・レギュラトリーサイエンス（RS）研究に関しては、平成 27 年には PMDA と連携協定を締結し毎年ハイレベル意見交換を実施。この他、AMED の各種実用化研究に当たり RS 戦略相談等を通じた RS の観点からのアドバイスを受けている。国立医薬品食品衛生研究所（国衛研）からは、各種 RS 研究や RS シンポジウムの企画立案等について様々な協力を受けている。また、RS 研究実施に当たっては国際的な規制調和の動向を踏まえ対応する必要があり、PMDA 及び国衛研との意見交換を通じ、ICH に関する国内外の情勢等を把握した上で研究支援等を実施している。<br>・この他、RS 研究に関する AMED 内連携に関し、再生医療研究課との連携のもと、平成 28 年度には ICH での国際標準化を目指した iPS 細胞を用いた心毒性評価法を開発した。また、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案を平成 29 年度に作成・公表、インフルエンザと患者の異常行動に関する疫学的研究等に基づき平成 30 年度に関連医薬品の添付文書の注意喚起の変更、医師主導治験実施時の健康被害の補償についての考え方を取り纏め平成 30 年度に公表、などの成果を得た。<br><br>■人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化（Ⅰ―(2)―③の再掲）<br>・これまで不足が指摘されていた生物統計家の育成については、座学的教育を実施する大学院と実学的研修を実施する病院が一体となった育成体制を整備した。具体的には、平成 28 年度に生物統計家育成支援拠点の公募を実施し、同年 9 月に東京大学大学院及び京都大学大学院を生物統計家育成支援拠点として選定。AMED 初の企業からの寄附金を活用した産官学連携により両拠点に生物統計講座を設置した。また、平成 29 年 10 月には生物統計家育成支援プロジェクト会議を開催し、東京大学大学院および京都大学大学院を中心とする拠点に対する指導・助言を実施。平成 29 年度には各拠点において入学者選抜試験を実施するとともに、平成 30 年度から学位授与コースを開設し、専門教育・育成研修を開始することとなり、合計 21 名が第一期生として在籍中、研鑽に励んでいる。<br><br>■創薬等に資する創薬・医療技術基盤の構築及び創薬等の研究支援（クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）推進支援事業） | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・疾患登録システム（患者レジストリ）の更なる利活用を促進するため、利用目的毎にレジストリ情報を収集し、将来的に治験・臨床研究等のコーディネートを行うなどのワンストップサービスの実現に向けた拠点として、国立国際医療研究センターの支援を開始した。平成 29 年度より患者レジストリ情報の収集のための調査を実施しており、平成 31 年度中に一般公開する予定である。また平成 30 年には、CIN 推進拠点にて収集された患者レジストリ情報も活用し、レジストリ保有者と企業のニーズマッチングを実施したうえで、企業ニーズを踏まえたレジストリの改修及び改修レジストリを活用した産学協同の課題を採択、研究開発の立ち上げの支援を開始した。<br><br>■一貫した切れ目のない支援に向けた取組（Ⅰ―(1)―①の再掲）<br>・AMED の支援によりアカデミアが実施する医薬品等の実用化研究開発に関し、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に、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）を個別に行う仕組み「AMED 研究開発マネジメント」について、他のモダリティに先駆けて医薬品を対象としたマネジメントを平成 29 年度に開始した。この取り組みを AMED 横断的に実施することを通じて、AMED 内の創薬評価に関する共通基盤を構築するとともに、チェック項目の公表を通じて評価の透明性確保にも資するものと考える。<br>・この運用については平成 29 年度より順次開始し、平成 30 年度は AMED 内の医薬品実用化に関する全ての公募を対象に 8 事業（約 300 課題）を対象に、創薬戦略部が中心となって事業担当部課と連携して実施した。<br><br>■シーズやニーズの把握とシンクタンク機能（Ⅰ―(1)―①、Ⅰ―(1)―⑥の再掲）<br>・画期的な医薬品の研究開発に当たっては、アカデミアの関与無しで民間企業が独自に創薬の研究開発を行うことはもはや困難であり、今後の研究開発に当たっては産学連携を前提とした様々なステークホルダーの意見を集約する取り組みが重要である。また、医薬品のグローバル展開を見越したレギュラトリーサイエンスの | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 動向も併せて加味する必要がある。このような状況を踏まえ、これまでの 4 年間で様々なステークホルダー間の意見交換、シーズ/ニーズの把握に関する取り組みを行ってきた。具体的には以下のとおり。<br>・製薬業界とのハイレベル意見交換会を平成 28 年度以降毎年度開催し、製薬企業の研究開発を取り巻く様々課題や産業界のニーズ等を把握し、AMED 業務に活用している。<br>・レギュラトリーサイエンス（RS）の観点からは、規制の国際標準化（ICH）に関する動向も把握した上での対応が必要。平成 27 年には AMED－PMDA の連携協定を締結し、毎年ハイレベル意見交換会を実施。国立医薬品食品衛生研究所とでは、各種 RS 研究や RS シンポジウムの企画立案等について意見交換を実施。<br>・平成 30 年度にオールジャパン医薬品プロジェクト公開シンポジウムを開催。各事業の顕著な成果を発表するとととともに、パネルディスカッションにおいて、製薬企業、アカデミア代表者とともに、創薬分野での産学連携をはじめとするニーズなどについて議論。<br>・創薬支援ネットワークに関しては、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所及び産業技術総合研究所との連携のほか、創薬支援コーディネーターによる学会/アカデミア個別訪問、創薬ナビの活用、外部ユニット（創薬支援推進ユニット）8 機関との連携、国家戦略特区内の臨床拠点中核病院等との連携、感染症分野における産学官意見交換会の実施、DISC 事業等を通じたスクリーニングに関する企業ニーズの把握など、幅広いシーズ情報の調査、有望な創薬シーズの発掘、積極的な導出活動に取り組んだ。<br>・創薬等支援技術基盤プラットフォーム事業（PDIS・BINDS）においては、ライフサイエンス関連学会へのブース出展を通じたアウトリーチ活動の実施や研究者との対話を通したシーズ・ニーズの把握、BINDS の産業利用に関する製薬協・研究開発委員会等との定期意見交換会を通じた連携を進めている。<br>・この他、トランスレーショナルリサーチの共通課題に取り組むため、米国 NIH・NCATS をはじめとする 5 カ国・地域／5 機関から構成される国際コンソーシアム（Translation Together）に平成 30 年度より参画し、橋渡し研究の現状と課題を参加機関共同で取りまとめるなどの取り組みを実施している。 | | | |
| | また、創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、 | また、創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、 | | ■創薬ターゲットの同定（革新的先端研究開発支援事業（インキュベートタイプ））<br>・創薬ターゲットの同定については、革新的先端研究開発支援事業（インキュベートタイプ）により、平成 29 年度までの 11 件に対し平成 30 年度は 33 件にまで大幅に増加した。平成 30 年度増加分のうち 4 件については、大腸がんに関与する新たな遺伝子変異 | 【創薬ターゲットの同定】<br>・これまで治療薬のなかったタイプの肺がんや大腸がんに関与する創薬ターゲットを同定するとともに、インフルエンザに関連する創薬ターゲットをこれまでに 21 因子が見いだすなどの成果をあげている。このように創 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援する。 | 医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援する。 | | などのがん関連のものであった。また、ノックアウトマウスを用いた手法等により、インフルエンザ増殖に関わる因子として新たに 18 件の因子が見いだされた。このことによりこれまでの本事業実施により、がん関連で 12 件、インフルエンザ関連で 21 件の創薬ターゲットが見いだされた。<br>・がんのドライバー遺伝子変異（真の発がん原因）を見つけ出すハイスループット・アッセイ法（MANO 法）について、今年度は更に幅広いがん種へ適用することに成功した。<br><br>■創薬の基盤技術に係る研究の推進（創薬基盤推進研究事業）<br>・画期的新薬創出のためには産学連携が必要な中で、公的資金だけでなく民間資金を活用し、また AMED によるアカデミア・製薬企業等とのマッチングによる GAPFREE 型産学共同研究を AMED 設立当初から新たに立ち上げた。このような医療分野における産学連携の取り組みについては我が国初の試みであり、製薬業界としても、平成 31 年 1 月の「次期「健康・医療戦略」、「医療分野研究開発推進計画」の策定に向けた提案」においても今後の継続・更なる推進を希望するなど、高く評価している。<br>・GAPFREE 型産学連携に関するこれまでの実績としては、「オミックス創薬（GAPFREE1）」、「リバース TR（GAPFREE2）」を実施するとともに、平成 30 年度には薬用植物国産化促進を目的とした GAPFREE 型プロジェクトを立ち上げた。このプロジェクトは従来型の製薬企業と医療系アカデミアとの連携に留まらず、製薬産業以外の業種及び医療系以外のアカデミアを含む新たな産学連携の取組であり、今後の創薬研究に際しては、IT や AI | 薬ターゲットの同定について、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」実施期間での目標 10 件に対し、これまでの間で 33 件と目標を大きく上回る創薬ターゲットを見いだしたことは、革新性もあり大きく評価できる。<br>・また、真のドライバー遺伝子変異を短期間に解明が可能なアッセイ法（MANO 法）を確立し、幅広いがん腫への適用について成果があったことは、今後の新規標的遺伝子の探索研究への応用が期待できるものであり評価できる。<br><br>【創薬の基盤技術に係る研究の推進】<br>・民間資金の活用・アカデミアとのマッチングによる GAPFREE 型産学共同研究を新たに立ち上げた。このような医療分野における産学連携の取り組みについては我が国初の試みであり、また今後、異分野を交えた様々な産学連携構築の礎となるものであり、これまでの取り組みは大いに評価できる。<br><br>【希少疾病用医薬品の開発支援、医療技術の実用化に係る研究】<br>・厚生労働大臣による希少疾病用医薬品指定を受ける前の段階を対象とした医薬品研究開発を支援する十分な仕組みがこれまで存在せず、製薬企業等における研究開発が進みにくい傾向にある中で、希少疾病用医薬品の製造販売承認を目指す研究開発型企業等に対する実用化支援を継続的に行ってきたことは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | の活用などが想定される中で、様々な交流の可能性を示唆するものである。これ以外にも、新たに「創薬技術」に着目したGAPFREE 型プロジェクトも立ち上げた。<br>・上記GAPFREE型産学連携のほか、同事業においては、ヒト細胞や生体レベルでの生物学的反応を総合的に解析したアジュバントデータベースの構築・公開、がん癌遺伝子治療に資するデータベース(SCRUM-J)の構築、及び中分子創薬に資する化合物ライブラリとAI活用データベースの構築が進んでいる。<br>・希少難病である進行性骨化性線維異形成症（FOP）患者から疾患特異的iPS細胞を樹立するとともに、mTOR 阻害剤（シロリムス）が異所性骨化を抑制することを確認、この結果をもとに、iPS 細胞を活用した創薬研究として、世界初の医師主導治験を平成29年度に開始した。<br><br>■希少疾病用医薬品の開発支援（創薬支援推進事業（希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業））<br>・開発の進みにくい希少疾患領域の医薬品について、希少疾病用医薬品の製造販売承認を目指す研究開発型企業等に対する実用化支援を行った。<br>・平成 30 年度までのこれまでの実績としては、ヒト初回投与試験前段階 7 件、ヒト初回投与後段階 9 件（合計 16 件）に支援を行っている。<br><br>■革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業<br>・バイオ医薬品創出にあたり企業が直面する技術的課題を解決するとともに、革新的次世代技術創出を目指した本事業において、平成 30 年度は 5 年計画の最終年を迎えた。これまでの 5 年間の実績としては、特許出願総数 124 件であった。また、これまでの 4 年間に、全 26 課題のうち 14 課題から企業導出を達成し、企業導出の総数は 40 件となった。これら導出技術の最終想定産物は、医薬品 55%、試薬・診断薬 42%、ソフトウエア 3%であり、導出先企業としては、大手企業 48%、中小企業 17%、ベンチャー35%、 | 【革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業】<br>・全事業期間において創薬の基盤技術および創薬技術で数多くの成果が獲得され、特許出願が 124 件、企業導出が 40 件に到達するなど、当初想定を大きく上回る企業導出に結びつけることができたことは高く評価できる。<br><br>【医療技術の実用化に係る研究】<br>・主に希少難治性疾患を対象として、企業への導出や薬事承認を目指した医師主導治験を実施している。製薬企業での開発が進みにくいとされる希少疾患領域の開発を継続指定支援していることは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 導出先企業の所在地は、国内 73%、海外 27%であった。<br>・本事業による成果の一例としては、本事業で確立した抗がん剤や放射性金属キレート剤等の機能性リガンドを部位特異的に抗体に付加する独自技術開発がある。これは、抗体医薬品の高機能化が期待できるもので、本技術を用いて作製された放射性核種標識抗体は企業導出されており、医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）の下で、がん診断・治療薬の開発研究が進められている。<br><br>■医療技術の実用化に係る研究（臨床研究・治験推進研究事業）<br>・本事業によるこれまでの主な成果は以下のとおりである。<br>・組織線維化に関わる酵素である「オートタキシン」の作用を抑制する化合物を製薬企業へ導出した。<br>・希少疾患である難治性クッシング症候群及びサブクリニカルクッシング症候群に対する治療薬（11βHSD1 阻害剤）の医師主導治験を開始した（平成 28 年 10 月）<br>・希少難治性疾患である難治性リンパ管異常に対する mTOR 阻害剤（シロリムス）の有効性及び安全性を検討する多施設共同医師主導治験を開始した。（平成 29 年 9 月）<br>・運動ニューロンの細胞死を防ぐ物質として同定されたボスチニブの筋萎縮性側索硬化症患者に対する安全性を検討する医師主導治験を開始した。（平成 31 年 3 月）<br><br>■次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業<br>（Ⅰ―(1)―⑤の再掲）<br>・「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、53,000 検体以上の血清を網羅的に解析し、診断性能の高い解析アルゴリズムを開発した。また、これまで開発した解析アルゴリズムの臨床有用性を検証するための前向き臨床研究について、肺がん・乳がんを筆頭に検体収集と解析を進めた。さらに、三大認知症（アルツハイマー病、血管性認知症、レビー小体型認知症）を高感度かつ特異的に判別可能な予測アルゴリズムを開発した。また、主要がん 13 種と認知症マーカーの特許出願を行い、周辺技術と併せて、当プロジェクトにおいて合計 51 件の特許出願を行った。<br>・「国際基準に適合した次世代抗体医薬品等の製造技術」では、高生産オリジナル CHO 細胞の樹立、高性能フィード培地の開発及び国産シングルユース対応精製装置の開発を行い、それぞれ世界 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 的に実用化されている技術レベルに到達した。さらに、GMP に準拠した、マスターセルバンク製造施設、製造実証試験（これまでに 6 件実施）を行うマザー工場、及び治験薬等製造施設の整備・稼働により、バイオ医薬品製造のトータルプラットフォーム化を実現した。<br>・「バイオ医薬品の高度製造技術開発」では、平成 30 年度に研究開発を開始し、ハイブリッドまたはインテグレート型のバイオ医薬品連続生産に関わる個々の要素技術開発と、それらを統合化したプラットフォーム技術・部分的連続生産システムを構築するための技術開発を行った。高性能な国産 CHO 細胞株（CHO-MK）、灌流培養、培地開発、分離精製に関する各要素技術については重要度に応じたラボレベルでの性能検証を通じてプラットフォーム化の準備を行うとともに、インテグレート／ハイブリッド型連続プロセス構築に向けて要素技術の部分的接続方法検討と接続検証、また統合化に向けたプロセスシミュレーションの準備、品質を含む管理戦略の立案について、他課題と連携しながら実施した。<br>・「遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業」では、遺伝子・細胞治療用ベクター大量製造技術の開発拠点と遺伝子・細胞治療のシーズ開発促進のためのアカデミア・研究機関及び医療機関を一体化した拠点の確立を目指し、平成 30 年度に研究開発を開始した。また、「難治性疾患実用化研究事業」と共通の評価委員、PO を委嘱、PS・PO によるヒアリングや連携シンポジウムの開催（11 月 21 日）を行うなど、基礎から応用まで関係者と AMED 内連携を図っている。 | | | |
| | 医薬品の実用化支援については、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、 | 大学等の優れた基礎研究の成果を医薬品として迅速に実用化につなげるため、医薬品開発の専門家である創薬支援コーディネーターチームを適切に配置する。創薬支援コーディネーターに関し | ＜評価軸＞<br>・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 | ■総合的な創薬支援（創薬支援推進事業（創薬総合支援事業））<br>・創薬シーズ情報等の収集・調査から、有望創薬シーズの評価・選定、出口戦略の策定・助言まで、一連の総合的な創薬支援として次の取組を実施した。<br>（1）有望な創薬シーズ及び創薬技術の情報収集・調査<br>・創薬支援ネットワークによる有望な創薬シーズ及び創薬技術の情報収集・調査の専門性確保の観点から、その実務を担う者（創薬支援コーディネーター）として製薬企業等で医薬品の研究開発に係る経験を積んだ専門人材を積極的に登用しており、現在製薬企業出身者 22 人が創薬支援コーディネーターとして活躍している。コーディネーターによる情報収集・目利き等活動に当たってはチーム制を導入し、コーディネーター間の連携を強化するとともに、組織的な有望創薬シーズの発掘・評価を行う体制を構築した。また、有望な創薬シーズや医療ニーズを幅広く情報収集する観点から、AMED 内事業間連携・コーディネーターによる学会・アカデミアの個別訪問に加え、国家戦略特区域内の臨床研究中核病院との連携に関し担当コーディネーターを指名してコミュニケーショ | 【総合的な創薬支援】<br>・有望な創薬シーズに関する従来の情報収集体制に加え、創薬支援コーディネーターの積極採用・チーム制導入、特区臨床研究中核病院等との連携、外部ユニットとの連携、感染症領域における産学官連絡会での意見交換、創薬ナビの着実な実施と創薬シーズリクルートへの活用など、情報収集先の多様化を積極的に推進し、その結果、数多くの相談・シーズ評価を実施したことは大いに評価できる。<br>・支援シーズ選定の評価手順及び基準のもとで適正な評価を実施し、実用化の可能性の高い有望な創薬シーズ 117 件を選定できたこ | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 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う。 | ては、民間等より優秀な人材を積極的に登用することに努める。大学等における創薬シーズについて、積極的に情報収集や調査を行うとともに、これを適正に評価し、有望な創薬シーズを支援対象として選定した上で、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し、開発期間の最短化を目指す。<br>また、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所等関連する機関と緊密に連携し、異なる分野で応用可能な研究成果を橋渡しする等、これまでの | 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。<br><br><モニタリング指標><br>・左記の評価軸に係る取組状況 | ンを図るとともに、臨床研究中核病院、国立高度専門医療研究センター等 18 機関と連携構築に係る覚書を締結し効果的かつ効率的なシーズ情報収集の体制を構築、外部ユニットとして大阪商工会議所と連携したシーズ情報の収集、感染症領域に関して関係学会・産業界とのクロストーク「AMED 抗菌薬産官学連絡会」を立ち上げ情報収集を図るなど、アカデミア・産業界との連携強化を図るとともに、創薬シーズ情報の収集体制等を構築した。また、アカデミアの創薬シーズ実用化を支援するための相談事業（以下「創薬ナビ」という。）を着実に実施、これまでの 4 年間で約 100 件の創薬ナビに対応し、コーディネーターによる創薬の観点からの研究アドバイスを行うとともに、有望な創薬シーズとして創薬支援ネットワークによる支援に結びつけ、その後のコーディネーターによる大学等への訪問等に結びつけるなど、効果的なシーズ情報収集にも結びつけた。その結果、相談・シーズ評価数は、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」の開始以降これまでの間で 1,376 件、有望な創薬シーズとして支援を開始したものが 117 件となっている。<br>・この他、国内の大学や企業等が保有する様々な創薬支援技術を収集し、創薬シーズの実用化に活用するための技術登録活用事業（創薬アーカイブ）を実施し、大学や企業等への訪問等を通じて有用性の高い創薬支援技術の情報収集に努めた。<br><br>（2）有望な創薬シーズの評価・選定<br>・有望な創薬シーズの評価・選定に当たっては、個別創薬シーズの革新性・医療ニーズ・知財対応状況など、評価に当たっての考え方をあらかじめ整理した上で個別シーズ毎に評価している。また、評価に当たっては、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所及び産業技術総合研究所とともに評価・選定や研究開発計画の検討を行っている。<br>・また、アカデミア等の現場ニーズを踏まえ、創薬のごく初期段階のシーズや核酸・遺伝子治療などの新たなモダリティについても支援対象として評価・選定の俎上にのせ、創薬ネットワークとして「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」の開始以降これまでの間で 117 件の創薬シーズを支援開始し、うち 6 件につき企業導出を達成した。 | とは評価できる。<br><br>・有望な創薬シーズの評価・選定に当たり、一定の基準及び手順のもとで適正な評価を実施している。また、アカデミア等現場ニーズを踏まえ、実用化の可能性の高い有望な創薬シーズを選定し、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」の開始以降これまでの間で 117 件の支援、うち 6 件の企業導出を達成したことは、効率的な実用化が実現できており、高く評価できる。<br><br>・「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適切な交渉を行うとともに、専門性の高い人材確保などの体制整備に取り組んでいる。これらの取り組みの結果、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」の開始以降これまでの間の累積で創薬支援ネットワーク関連事業だけで 6 件の導出を達成（「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクト全体で 162 件）、同プロジェクト実施期間での導出目標 5 件をすでにクリアできた状況は大いに評価できる。<br><br>・適宜、進捗状況の把握、研究開発計画の修正等を行いつつ、41 件の選定シーズ（支援課題）について、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所の有する技術を活用して、効率的な実用化支援を行ったことは評価できる。<br>・また、外部ユニットの技術を活用する体制を整備し、多様な創薬技術を駆使した応用研究を実施できる体制を整備したことは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 発想にとらわれない研究開発を促進する。 | | （3）出口戦略の策定・助言<br>・創薬支援ネットワークによる選定シーズ（支援課題）を導出するに当たっては、導出経験のある高い専門性を有する者により、知財戦略・導出戦略を考える必要がある。これまでも、知的財産部とも連携しつつ、企業との導出交渉に当たり留意すべき点についてまとめた「導出に関する基本的考え方」に基づき対応してきたところであるが、平成 30 年度は製薬企業で導入交渉を経験した専門性の高い人材を更に 1 名採用するなどの体制整備を図り、企業導出による確実な実用化を図るための知財戦略、出口戦略を含めた研究開発計画の立案等の支援を行った。また、外部ユニットとして大阪商工会議所と連携して、創薬支援ネットワークによる支援課題を導出に結びつける取り組みを強化した。<br>・これらの取り組みにより、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」の開始以降これまでの間で企業導出 6 件を達成。更に 2 件の支援課題について導出準備中の成果が得られた。<br><br>（4）応用研究等の支援<br>・理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所及び産業技術総合研究所との間で定期的に会合の場を設け、各研究所の有する個別創薬技術に関する情報共有等を通じるなど、連携体制を整備している。「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」の開始以降これまでの間の実績としては、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」の開始以降これまでの選定シーズ（支援課題）117 件のうち 41 件について、理化学研究所、医薬基盤・健康・栄養研究所、産業技術総合研究所等の創薬関連研究機関を活用して、探索研究から非臨床試験を中心とした技術的支援を行った。技術支援にあたっては、適宜、進捗状況の把握、研究開発計画の修正等を行うことで、効率的な実用化支援を行った。また、平成 29 年度からは外部ユニット（創薬支援推進ユニット）として、CRO（医薬品開発業務受託機関）や CMO（医薬品製造業務受託機関）の技術を活用する体制を整備し、多様な創薬技術を駆使した応用研究を実施できる体制を整備した。<br>・また、創薬ナビの相談者等に対し、必要に応じ CRO（医薬品開発業務受託機関）や CMO（医薬品製造業務受託機関）等に関する情報提供を行うなど、応用研究等の支援を行った。 | ・大学等のアカデミア創薬における知財管理の脆弱性を克服するために、知的財産部と連携しつつ、「信頼性保証に関する基本的考え方」に基づき、シーズ保有者に指導・助言を行うとともに、創薬シーズ（支援課題）に対して先行技術調査等を実施し、適切な知財評価を行ったことは評価できる。 | | |

<table>
<tr>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td>（５）知財管理支援<br>・アカデミア創薬における知財管理の脆弱性を克服するために、創薬支援ネットワークにおける「信頼性保証に関する基本的考え方」に基づき、適切な知財管理を行えるよう、知的財産部とも連携しながらシーズ保有者に指導・助言を行っている。<br>・選定シーズ（支援課題）について、特許や創薬過程における周辺特許等、研究者（シーズ保有者）に対する医薬品の実用化に必要な戦略的な知財取得や知財管理の指導・助言を行った。また、製薬企業等への導出を見据えた特許戦略等を検討し、それらを踏まえた研究開発計画を立案するなど、研究を推進する上で必要な知財管理支援を行った。</td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
<tr>
<td></td>
<td>これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・相談・シーズ評価 1500 件<br>・有望シーズへの創薬支援 200 件<br>・企業への導出（ライセンスアウト）５件<br>・創薬ターゲットの同定10 件<br>を目指すものとする。</td>
<td>これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・相談・シーズ評価 1500 件<br>・有望シーズへの創薬支援 200 件<br>・企業への導出（ライセンスアウト）５件<br>・創薬ターゲットの同定10 件<br>を目指すものとする。</td>
<td>＜評価指標＞<br>【2020 年までの達成目標】<br>・相談・シーズ評価 1500 件<br>・有望シーズへの創薬支援 200 件<br>・企業への導出（ライセンスアウト）５件<br>・創薬ターゲットの同定 10 件</td>
<td>■医療分野研究開発推進計画　達成すべき成果目標（KPI）
<table>
<tr><th></th><th>平成27年度</th><th>平成28年度</th><th>平成29年度</th><th>平成30年度</th><th>合計</th></tr>
<tr><td>相談・シーズ評価</td><td>421 件</td><td>442 件</td><td>275 件</td><td>238 件</td><td>1,376 件</td></tr>
<tr><td>有望シーズへの創薬支援</td><td>44 件</td><td>14 件</td><td>25 件</td><td>34 件</td><td>117 件</td></tr>
<tr><td>企業への導出（ライセンスアウト）</td><td>3 件</td><td>12 件</td><td>65 件</td><td>82 件</td><td>162 件</td></tr>
<tr><td>創薬ターゲットの同定</td><td>8 件</td><td>0 件</td><td>3 件</td><td>22 件</td><td>33 件</td></tr>
</table>
（導出例）<br>（創薬支援ネットワーク）<br>➢ 新規がん免疫アジュバントの探索<br>➢ がん間質を標的とした抗体・薬物複合体の開発<br>➢ 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<br>➢ NF-κB 標的遺伝子の発現を阻害する抗がん剤の探索<br>➢ 味覚・食感を損ねない長時間作用型口内炎疼痛緩和薬の開発<br>➢ HSV ワクチンの探索<br>（臨床研究・治験推進研究事業）<br>➢ デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するエクソン 53 スキップ薬の早期探索的臨床試験により、本薬の治療効果を予測する</td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
</table>

ジストロフィン発現を確認した。先駆け審査指定制度の対象品目に指定され、日本新薬（株）が国内第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験を開始、すでに試験は終了し、現在申請準備中。（臨床研究・治験推進研究事業）

（創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業等）

- 組織線維化に関わる酵素である「オートタキシン」の作用を抑制する化合物を製薬企業へ導出した。
- 抗 ATRX 抗体と抗 TERT 抗体の一部について、企業導出

（革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業）

- がん細胞に特異的反応性を示すモノクローナル抗体に関する特許をベンチャー企業に導出した。
- 抗体医薬品の糖鎖解析に利用できる、微量の糖タンパク質を濃縮・回収するチップの開発
- 抗体医薬品の高機能化を達成するため、ペプチドを利用して抗がん剤や放射性金属キレート剤等を部位特異的に抗体に付加する技術を導出

（創薬基盤推進研究事業）

- 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
- バイオ医薬品の品質管理人材育成プログラムを導出

＜モニタリング指標＞
・応募件数及び採択件数
・事業に参画している研究者延べ人数
・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数
・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
・シーズ情報の入手先機関数
・技術支援を実施した機関数

| | 平成27年度 | 平成28年度 | 平成29年度 | 平成30年度 | 合計 |
|---|---|---|---|---|---|
| 応募件数及び採択件数（応募件数及び採択件数：○件及び○件） | 227件及び54件 | 242件及び100件 | 244件及び94件 | 205件及び76件 | 900件及び312件 |
| 事業に参画している研究者延べ人数（事業に参画している研究者延べ人数：○人） | 862人 | 1,546人 | 5,289人 | 3,624人 | 11,321人 |
| PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数（PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数：○件） | 14件 | 5件 | 10件 | 9件 | 38件 |
| 機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数（機動的な研究推進の | 39件 | 65件 | 71件 | 121件 | 296件 |

| | | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ため年度内に契約変更を実施した課題数：○件） | | | | | | | |
| | | | | シーズ情報の入手先機関数<br>（シーズ情報の入手先機関数：○機関） | 109<br>機関 | 95<br>機関 | 83<br>機関 | 71<br>機関 | 168<br>機関 | | |
| | | | | 技術支援を実施した機関数<br>（技術支援を実施した機関数：○件） | 74 件 | 42 件 | 50 件 | 57 件 | 83 件 | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(2)―② | (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<br>②医療機器開発 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | 重要度、優先度等は高い | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | 健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-2、経済産業省 0035・0036） |

２．主要な経年データ

①主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 応募件数 | | 325 件 | 371 件 | 306 件 | | |
| 採択件数 | | 39 件 | 106 件 | 63 件 | | |
| シンポジウム等の開催件数 | | 0 件 | 9 件 | 5 件 | | |
| サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数 | | 209 件 | 177 件 | 436 件 | | |
| PS/PO 会議実施回数 | | 4 件 | 8 件 | 44 件 | | |
| 革新的医療機器の実用化（2020 年頃まで） | 5 種類以上（累積） | 9 種類（開発中） | 11 種類（開発中） | 11 種類（開発中） | | |
| 医工連携による医療機器開発件数（2020 年頃まで） | 100 件（累積） | 7 件 | 12 件 | 65 件 | | |
| 医療機器の実用化による成果 | 約　1,500 億円／年 | 25.4 億円 | 33.2 億円 | 43.0 億円 | | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 14,513,718 | 14,291,517 | 13,796,156 | 12,453,685 | |
| 決算額（千円） | 13,460,667 | 13,792,740 | 12,899,432 | 11,256,115 | |
| 経常費用（千円） | 13,187,672 | 13,488,742 | 13,632,747 | 12,095,562 | |
| 経常利益（千円） | 0 | 1,405 | -21 | 0 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 12,988,431 | 13,168,601 | 12,806,952 | 11,426,357 | |
| 従事人員数 | 23 人 | 27 人 | 27 人 | 23 人 | |
| | | | | | |
| | | | | | |

| | | | | | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | （2020 年頃まで） | | | | | | | | | | | | | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | （期間実績評価） |
| | | | | | 評定 | 評定 |
| 我が国発の優れた医療機器について、医療ニーズを確実に踏まえて、日本の強みとなるものづくり技術も生かしながら、開発・実用化を推進し、研究開発から実用化につなげる体制整備を進める。<br>具体的には、推進計画において設定された成果目標（医療機器の輸出額を倍増、国内医療機器市場規模の拡大等）の実現に向け、医工連携による医療機器開発を促進する。 | 我が国発の優れた医療機器について、医療ニーズを確実に踏まえて、日本の強みとなるものづくり技術も生かしながら、開発・実用化を推進し、研究開発から実用化につなげる体制整備を進める。<br>大学等研究機関や関連する学会が保有する先端計測技術等の技術シーズを確実に実用化につなげる。ロボット技術、ＩＴ等を応用して日本発の国際競争力の高い医療機器・システムの開発や、介護従事者の負担軽減及び高齢者の自立支援に資する、実際に現場で使えるロボット介護機器等の開発を進める。具体的には、医療の安全性等の向上を目的として、①ロボット・ＩＴ | ＜評価軸＞<br>・医工連携による医療機器開発を促進したか。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況 | ■医療現場のニーズに基づき医療機器開発を推進・強化する体制の構築<br>・ 臨床ニーズ収集において、具体的な医療機器開発につなげていくためのそれらニーズ情報の整理・評価体制や方法論について、外部の有識者を踏まえた検討を行った。また、それらの情報の利活用について、当事者間（医療現場と企業）での交流を円滑化するとともに、国として研究開発を推進するべき課題を精査し、プロジェクトの公募につなげた。<br>・ 医療機器研究課実施事業において、医工連携による医療機器開発を実施しており、累計課題数 343 件に達した。<br>・ 「国産医療機器創出促進基盤整備等事業」では、臨床拠点を活用して臨床ニーズを機構に集約するとともに、機構職員が自ら現場に出向いてニーズを収集する体制を強化した。 臨床拠点から収集した革新的な医療機器開発につながるニーズについては、機構に設置する「臨床ニーズ抽出委員会」での検討・精査を行い、その結果を未来医療における新たな機構公募・事業等の設計に生かすこととした。<br>・ より客観性の高い臨床ニーズに基づく医療機器の開発を強化するため、4 つの学会（日本内視鏡外科学会、日本脳神経外科学会、日本コンピュータ外科学会、日本整形外科学会）を対象として臨床ニーズ収集体制を構築した。これらも含め、291 件の臨床ニーズを収集した。<br>・ 収集した 291 件のニーズから絞り込み | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br>・ 全体的な取組としては、医療機器開発のあり方の検討や、重点分野を設定。課題と課題解決に向けた方向性を整理、公開した。革新的医療機器の開発支援と普及については、「先端計測事業」では 65 件を推進、「未来医療機器・システム開発事業」において、34 テーマを通じて革新的医療機器・システムの開発及び実用化を推進。「医療機器開発推進事業」で医師主導治験を 4 件実施。また、「ロボット介護事業」では、開発補助（46 件）のみならず、環境整備を行った。「医療機器開発支援ネットワーク」で伴走コンサルを 641 件実施して開発から事業化まで幅広く支援。「医工連携事業化推進事業」で 167 件推進してものづくり技術を有する中堅・中小企業を支援。「途上国事業」において、日本企業の、現地ニーズに応じた機器開発を 5 件実施。臨床ニーズへの対応については 291 件のニーズを収集し、9 課題を実施。④医療機器開発人材育成についても、11 医療機関で企業人材の育成を実施した。KPI の達成に向けて、様々な取組を検討し、着実な業務運営が見込まれる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 技術を活用した医療機器、②低侵襲・高精度な診療を実現する医療機器、③身体組織・機能の回復技術、の開発・実用化を進める。これらと並行して、PMDA 等の各種公的機関と連携し、技術評価・支援、経営・事業化、販路開拓等の様々な段階で関係する機関に適切な支援を行う。また、医療機器の開発拠点となる病院等（臨床拠点）を活用したユーザー評価等の支援や安全性評価等に関する助言及び薬事申請に係る情報提供や、医療機器等の開発に資する開発ガイドラインの策定等を行う。 | | を行った 2 件のニーズ（「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」、および、「術者の技能に依存しない高度かつ精密な手術システム」）について、「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」において新規プロジェクトとして平成 29 年度から、それぞれ 5 件、4 件の課題を実施した。<br>・ また、ポータルサイトMEDICにおいて、医療従事者より医療機器に関する臨床現場のニーズを収集し、これを開発企業に橋渡しすることを目的に「医療機器アイデアボックス」を解説し、運営した。アイデアボックスで収集した 264 件のニーズについて、参考情報を付した上で、ニーズに応じた専門性を有する医療従事者（専門家）グループを組成してニーズの普遍性・重要性・将来性について 4 段階で評価した。評価結果をニーズ提供者にフィードバックするとともに、150 件の有望ニーズを医療機器アイデアボックスにて公開した。また公開されたニーズに対するコーディネーターおよび医療機器開発事業者等からの問い合わせ対応を行った（平成 31 年 3 月 18 日時点で合計 79 件）。<br>・ 「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」を平成 29 年 12 月に設置し、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」について検討を行い、平成 30 年 3 月に取りまとめ公表した。さらに、「医療機器開発の重点化に関する検討委員会」を平成 30 年 11 月に設置し、医療の価値（対応すべき課題）、我が国の競争力ポテンシャル、AMED 支援の必要性の高い領域の視点で、医療機器開発の重点分野を設定した。重点分野別に、将来のあるべき姿を検討し、実現に向けての対応すべき課 | 【医療現場のニーズに基づく医療機器開発を推進・強化する体制の構築】<br>・臨床ニーズの収集とその利活用について、推進するべき課題を精査し、医師の暗黙知の活用という臨床価値の高いニーズに応えるため、プロジェクトを実施した。また、医療の価値（対応すべき課題）、我が国の競争力ポテンシャル、AMED 支援の必要性の高い領域の視点で、医療機器開発の重点分野を設定するとともに、対応すべき課題の整理と、課題解決に向けた方向性を整理、公表するなど、具体的な取組を行ったことは評価できる。<br><br>【大学等研究機関等が保有する先端計測技術等の技術シーズを実用化につなげる取組】<br>・大学等が保有する革新的な技術と臨床ニーズをマッチさせた開発を行い、特に有望な課題とＰＳＰＯが判断した課題は研究加速を行い、早期実用化を促進する事業運営をしている。<br><br>【様々な段階で開発する機関への支援、開発ガイドラインの作成等の取組】<br>・研究開発と薬機法の承認ができる限り整合的に進められるような環境整備を行ったことは評価できる（PMDA との連携協定に基づいて、個々の研究開発課題の進捗状況を具 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 題の整理と、課題解決に向けた方向性を整理した。平成 31 年 3 月に取りまとめ、公表した。<br>・ 検討内容は、平成 31 年度から始まる「先進的医療機器・システム等技術開発事業」等の医療機器開発支援事業の計画立案に活用した。<br><br>■大学等研究機関等が保有する先端計測技術等の技術シーズを実用化につなげる取組<br>・「先端計測分析技術・機器開発プログラム」では平成 27～30 年度に 65 課題を推進した。また、サイトビジット・伴走コンサル・AMED を交えてのチーム会議を平成 27～30 年度に合計 389 回以上実施した。また、２課題において、日本医療研究開発大賞・AMED 理事長賞を受賞するに至った（次世代乳がん画像診断機器の開発、心筋梗塞時の迷走神経刺激カテーテル装置の開発）。次世代乳がん画像診断機器は、被検者に対する物理的負荷が少なく、高濃度乳房における早期発見・診断・治療に伴う医療経済的効果向上が期待される。<br>・大学等の技術シーズを確実に実用化につなげるため、「先端計測分析技術・機器開発プログラム」（機器開発タイプ）については、外部有識者による評価を経て開発期間を延長する仕組みを導入し、実用化への更なる加速支援が必要と考えられる有望な課題について課題評価委員会によるステップアップ評価を実施し開発期間延長を行った。<br><br>・「医療機器開発支援ネットワーク」活動の一環として、企業自身が医療従事者と直接的なコネクションをもたなくても、企業等に代わって、当該製品の想定ユーザーである医療従事者等に対して製品の有効性や提供価値の妥当性、使い勝手（ユーザビリティ）、購入意思等の観点から意見を収集し、 | 体的に把握して AMED での支援方法に反映させた。医療機器開発・実用化促進のための開発ガイドラインを着実に策定した。また、次年度の新規開発ガイドラインの策定に向け学会や有識者に幅広くアンケートを取るなど、新たな試みを行った点は評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | より医療現場のニーズに訴求する製品の開発をサポートすることを目的に「製品評価サービス」を提供した。平成 28 年度に作成した「製品評価サービス実施マニュアル（企業向け、支援機関向け、医療機関向け）」を用いて、34 の協力医療機関（大学病院、市中病院等）から製品評価サービス利用企業のニーズに合致した医療従事者（医師、看護師等）に評価の依頼を行った。企業から 23 件の相談を受け、16 件の評価を実施した。また、全国のセミナー・会議等のイベントにて、医療機器開発事業者・地域支援機関等に対して、製品評価サービスの周知を図った。<br><br>・「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」の一環として、「ロボット・ＩＴ技術を活用した医療機器」、「低侵襲・高精度な診療を実現する医療機器」、「身体組織・機能の回復技術」等において、開発・実用化を進めた。平成 27～30 年度に実施した、革新的医療機器開発の 11 種類のテーマは下記に示すとおり。<br>① 医療情報の高度利用： がん診断・治療ナビゲーションシステムの研究開発/再生医療製品の有効性予測支援システムの研究開発<br>② 先端医療機器： システムの研究開発･高い安全性と更なる低侵襲化及び高難度治療を可能にする軟性内視鏡手術システムの研究開発/麻痺した運動や知覚の機能を回復する医療機器・システムの研究開発/安全性と医療効率の向上を両立するスマート治療室の開発<br>③ 立体機能造形(再生医療等製品)： 高機能足場素材とバイオ３Ｄプリンタを用いた再生組織・臓器の製造技術の開発/バイオ 3D プリンタで造形した小口径 Scaffold free 細胞人工血管の臨床開発/組織工学を用いたヒト心臓壁立体造形技術の開発/細胞シート工学を基盤とした革新的立体臓器製造技術の開発/革新的な | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 三次元精密細胞配置法による立体造形と小口径血管を有するバイオハートの研究開発<br>④ 低侵襲がん診断：　磁気ナノ粒子によるセンチネルリンパ節の特定とがん転移の迅速診断法の開発/生体多光子励起イメージング技術を利用した新規低侵襲・高解像度がん診断装置の開発<br>⑤ 低侵襲がん治療：　微粒子腫瘍マーカとリアルタイム 3 次元透視を融合した次世代高精度粒子線治療技術の開発/4 次元腫瘍認識誘導型至適放射線治療システムの研究開発<br>⑥ ICT：　ウェアラブルモニターで実現する循環器診断支援技術の開発/表情・音声・日常生活活動の定量化から精神症状の客観的評価をリアルタイムで届けるデバイスの開発/注視点検出技術を活用した発達障がい診断システムの開発<br>⑦ 認知症対策（予測、診断技術等）：　認知症発症予測・予防介入・徘徊検知支援技術の開発と実用化を目指す研究/QSM と VBM のハイブリッド撮像･解析による認知症の早期診断 MRI<br>⑧ 救急現場の革新技術：　急性期 IoT リストバンド型ウェアラブルデバイス・クラウドスマホアプリシステム医療機器開発研究/早く正しい救急医療実現のためのスマートな患者情報収集・処理・共有システムの開発<br>⑨ 精密手術システム：　肝切除シミュレーションに触覚センシングと位置モニタリング可能な医療用ワイヤレスマイクロセンサシステムを合体したリアルタイムナビゲーションシステムの開発/熟練微細手技を人工再現するμm超精密手術システムの開発/直径 1mm の血管吻合を容易にする顕微鏡下手術支援ロボットシステムの研究開発/眼科硝子体手術普及のための眼内内視鏡保持ロボット開発<br>⑩ 術中診断支援：　量子線手術（クオンタム・ビーム・サージェリー）と放射線照射 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 後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/術中の迅速な呼吸異常評価のための連続呼吸音モニタリングシステムの研究開発/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/指先や鉗子ならびにロボットアーム先端に装着可能な小型組織オキシメーター温度センサーの開発<br>⑪ メディカルデジタルテストベッド（医療技術）：　ランドマークを暗黙知する内視鏡外科医の教師データ創出と人工知能による術中教示システムの開発/内視鏡外科手術における暗黙知のデータベース構築と次世代医療機器開発への応用/病理診断の暗黙知を“見える化”し、治療法選択のための医療機器開発に資する病理情報テストベッド構築/脳血管内治療における暗黙知の可視化とデジタル画像処理に基づいたカテーテル治療支援システムの開発<br><br>・「医療機器開発推進研究事業」においては、革新的医療機器の医師主導治験を 4 件実施した。<br><br>・実際に現場で使えるロボット介護機器等の開発を進める取り組みとして、「ロボット介護機器開発・導入促進事業」では高齢者の自立支援、介護従事者の負担軽減の観点から、経済産業省・厚生労働省で定めた「ロボット技術の介護利用における重点分野（平成 29 年 10 月改訂）」で追加された新規 1 分野 5 項目（装着移動、排泄予測、排泄動作支援、コミュニケーション、業務支援）の介護現場のニーズに基づいたロボット介護機器の開発に向けたフィージビリティスタディ・試作開発と既存 5 分野 8 項目の介護現場のニーズに基づいたロボッ | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ト介護機器の改良開発について、平成 27～29 年度の補助金交付決定数はのべ 46 件。なお、これまでに研究開発を終了した計 17 製品が市場投入された。<br><br>■様々な段階で開発する機関への支援、開発ガイドラインの作成等の取組<br>・クリニカルイノベーションネットワーク推進プロジェクトの一環として、「医療機器開発推進研究事業」で「医療機器開発に利活用する疾患登録システム（患者レジストリ）の研究開発」を推進。委託先（一般社団法人日本脳神経外科学会）は PMDA との綿密な連携の下、疾患登録システムの構築を進めた。<br>・PMDA との連携協定に基づき、実施者が対面助言を受ける際に AMED 職員の同席および面談記録の共有を受けることで、効果的な開発推進に活かした。「医工連携事業化推進事業」で 105 件、「医療機器開発推進研究事業」で 40 件の実績があった。<br>・「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業（平成 27～30 年度）」、「先進的医療機器・システム等技術開発事業（平成 31 年度）」の「医療機器等に関する開発ガイドライン（手引き）策定事業」では、厚生労働省・経済産業省・PMDA・AMED 連携による「次世代医療機器評価指標検討会／医療機器開発ガイドライン評価検討委員会合同検討会」にて、今後の合同検討会の枠組みおよびガイドライン策定に取り上げるテーマの選定プロセスについて見直しを実施した。平成 29 年度からは、事務局側で広くテーマの候補を挙げると共に、各年度第一回の合同検討会において委員からの追加の提案を募り、第二回において絞り込むというプロセスで来年度のテーマ選定を進めた。のべ 22 件のガイドラインを策定し、経済産業省のホームページにて公開し、医療機器開発を行う企業の実 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 用化を促進した。 | | | |
| | 医療機器開発は医療現場のニーズを取り込むことが重要であることや医薬品医療機器等法対応等において課題があるため、各省・専門支援機関（国立研究開発法人産業技術総合研究所、公益財団法人医療機器センター等）・地域支援機関・医療機関・学会等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するとともに、 | また、開発初期段階から事業化に至るまでの切れ目ないワンストップ支援（「伴走コンサル」）を行う「医療機器開発支援ネットワーク」を運営する。具体的には、大学や医療機関、科学技術振興機構及び学会等を通じた、共同開発、技術シーズ活用及び実用化への橋渡しを実施し、産業技術総合研究所や中小企業基盤整備機構、公益財団法人医療機器センター、メディカルエクセレンスジャパン及び日本貿易振興機構等による、技術評価、経営相談及び販路開拓の支援を実施する。また、医療機器開発に係る臨床拠点等をはじめとする臨床機関や、薬事関連法制への対応にかかわる専門機関（国立医薬品食品衛生研究所、PMDA 等）を通じた医療機器の開発・ | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況 | ■医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援<br>高度なものづくり技術を有する中堅・中小企業の支援を推進するため、「医工連携事業化推進事業」において、69 件の課題を新規採択し、既存課題と合わせて 97 件の課題に対し支援を実施（平成 27～30 年度は 167 件）した。<br>・「開発途上国・新興国等における医療技術等の実用化研究事業」において、開発初期段階プロジェクトとして 4 件、及び開発後期段階プロジェクトとして 1 件を採択し、タイ（開発初期 2 件）、インドネシア（開発初期 1 件）及びベトナム（開発初期 1 件、開発後期 1 件）を対象国として、デザインアプローチを用いて、現地ニーズを踏まえた医療機器等を開発した。<br>・平成 27 年度に開発した、医療機器開発をサポートする「伴走コンサル」育成のための教育プログラム、第三者評価方法を活用することによって、平成 28 年度に引き続き伴走コンサルタントの人材育成セミナー及び第三者評価を実施した。人材育成セミナーは医療機器開発支援経験年数が 2～3 年目までの方や今後コンサルタントとしての活動を予定している方を対象に実施し、東京と大阪の 2 箇所で計 79 名が受講した。第三者評価は人材育成セミナー受講者から希望者を募り、OJT プログラムとして伴走コンサルティング及び第三者評価への参加を案内する方法をとった。計 5 回の OJT プログラムに、新任のコンサルタント 5 名（延べ 9 名）が参加し、第三者評価を受けた。第三者評価の方法としては、外部から評価者を招き、対面でのコンサルタントへのフィードバックを行う形態を採用した。 | 【「医療機器開発支援ネットワーク」の運営】<br>・医療現場のニーズに訴求する製品の開発をサポートすることを目的とした「製品評価サービス」を提供し、企業からの相談を受け、評価を実施したこと、また、全国のセミナー・会議等のイベントにて、医療機器開発事業者・地域支援機関等に対して、製品評価サービスの周知を図ったは評価できる。また、「医療機器開発支援ネットワーク」の運営は軌道に乗りつつあり、相談件数も増加している点は大いに評価でき、地方における取組の裾野を広げるべく、それらを一律に底上げするのか、状況に応じたメリハリをつけるのかについて検討したことは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 実用化促進を実施する。<br>　更に、全国の地域支援機関、伴走コンサルタント、専門支援機関間の交流を通じた情報共有・発信を図り、各地域における支援機関の底上げとネットワークを通じた支援機能の強化を行う。 | | ・「医工連携事業化推進事業」の一環として運営する「医療機器開発支援ネットワーク」への相談件数は、のべ 1,540 件（うち、平成 30 年度は 146 件）、うち伴走コンサル件数はのべ 641 件（うち、平成 30 年度は 117 件）にのぼった。地域別にみると、関東・近畿が多いものの、他地域でも徐々に増加傾向となっている。<br>・「医療機器開発支援ネットワーク」における相談対応、製品評価サービスの地域での対応可能性を検討するため平成 30 年度に地域拠点実施可能性調査を行い、一般財団法人 ふくしま医療機器産業推進機構、関西医療機器産業支援ネットワーク（事務局大阪商工会議所）、一般財団法人九州産業技術センターの 3 拠点を選定し試行調査を実施した。<br>・同ネットワークにおいては平成 28 年度に引き続き、医療機器開発に係る施策や規制、開発支援事業等について新規参入事業者でも分かるようにまとめた「医療機器開発ハンドブック」を作成し、ホームページで公開するとともに、無料冊子としてイベント、展示会等で広く配付した。<br>・「全国医療機器開発会議」を 4 回開催し、地域支援機関や医療機器開発事業者を対象に、関係省庁及び専門支援機関の支援施策や医工連携事業化推進事業の成果について説明した。同会議には全国からのべ 929 名が参加し、地域間の情報共有、連携促進を図った。<br>・　ポータルサイト MEDIC において、医療従事者より医療機器に関する臨床現場のニーズを収集し、これを開発企業に橋渡しすることを目的に開設した「医療機器アイデアボックス」（https://www.med-device.jp/db/）を継続して運営した。アイデアボックスで収集した 264 件のニーズについて、参考情報を付した上で、ニーズに応じた専門性を有する医療従事者（専門家）グループを組成してニーズの普遍性・重要性・将 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 来性について 4 段階で評価した。評価結果をニーズ提供者にフィードバックするとともに、150 件の有望ニーズを医療機器アイデアボックスにて公開した。また公開されたニーズに対するコーディネーターおよび医療機器開発事業者等からの問い合わせ対応を行った（平成 31 年 3 月 18 日時点で合計 79 件）。<br>（「■医療現場のニーズに基づき医療機器開発を推進・強化する体制の構築」の一部再掲）<br><br>・医療機器開発支援ネットワーク活動の一環として、企業自身が医療従事者と直接的なコネクションをもたなくても、企業等に代わって、当該製品の想定ユーザーである医療従事者等に対して製品の有効性や提供価値の妥当性、使い勝手（ユーザビリティ）、購入意思等の観点から意見を収集し、より医療現場のニーズに訴求する製品の開発をサポートすることを目的に「製品評価サービス」を提供した。平成 28 年度に作成した「製品評価サービス実施マニュアル（企業向け、支援機関向け、医療機関向け）」を用いて、34 の協力医療機関（大学病院、市中病院等）から製品評価サービス利用企業のニーズに合致した医療従事者（医師、看護師等）に評価の依頼を行った。企業から 23 件の相談を受け、16 件の評価を実施した。また、全国のセミナー・会議等のイベントにて、医療機器開発事業者・地域支援機関等に対して、製品評価サービスの周知を図った。（「■先端計測技術等の技術シーズを実用化につなげる革新的医療機器の開発支援と普及の再掲）<br>・「医工連携事業化推進事業」の一環として実施中の全開発課題について、それぞれ事業期間中毎年 2～3 回の伴走コンサルを行った。加えて、のべ 313 回のサイトビジットを行い、技術評価・支援、経営・事業化、販路開拓等の様々な段階で開発チームに対し適切に指導した。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・「先端計測分析技術・機器開発プログラム」の開発課題に対し、「医工連携事業化推進事業」が実施する「医療機器開発支援ネットワーク」の活用を積極的にすすめた。17課題が伴走コンサルを受けて事業化戦略等のアドバイスを受け、実用化に向けたソフト支援を行った。<br><br>■「医療機器開発支援ネットワーク」の運営<br>・「医工連携事業化推進事業」の一環として運営する「医療機器開発支援ネットワーク」への相談件数は、のべ1,540件（うち、平成30年度は146件）、うち伴走コンサル件数はのべ641件（うち、平成30年度は117件）にのぼった。地域別にみると、関東・近畿が多いものの、他地域でも徐々に増加傾向となっている。一方で、地方における取組状況についてはそれぞれの対応能力に応じたばらつきがあるため、それらを一律に底上げするのか、状況に応じたメリハリをつけるのかについて検討を開始した。<br>・同ネットワークにおいては平成28年度に引き続き、医療機器開発に係る施策や規制、開発支援事業等について新規参入事業者でも分かるようにまとめた「医療機器開発ハンドブック」を作成し、ホームページで公開するとともに、無料冊子としてイベント、展示会等で広く配付した。<br>・（再掲）<br><br>・<br>・<br>・<br>・ | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 我が国の高い技術力を生かし、医療機器の開発・事業化を加速する。<br>併せて、事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進める。 | これらの取り組みを介して、我が国の高い技術力を生かすために、技術シーズの創出を担う事業を確実に運営し、その成果を、医療機器・システムの実用化を担う事業へと円滑に橋渡しをすることで、医療機器の開発・事業化を加速する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■技術シーズの創出と医療機器・システムの実用化へとつなげる研究開発<br>・「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」で開発中の「注視点検出技術を活用した発達障がい診断システムの開発」の成果を基にした「視線計測装置及び視線計測装置用診断プログラム（Gazefinder）による自閉スペクトラム症（ASD）の診断能に関する多施設共同試験」を「医療機器開発推進研究事業」で採択し、実用化に向けたシームレスな支援を行った。<br>・「医療機器開発推進研究事業」の成果を基にした「立体構造が極めて複雑な先天性心疾患患者への 3D モデル診断による術時間削減を実現する、オーダーメイド型超軟質 3D 精密心臓モデルの開発・事業化」及び「在宅医療における新規口腔プラーク除去装置の開発・事業化」を「医工連携事業化推進事業」で採択し、事業化を加速させた。<br>・産学連携部の PD・PS・PO 会議を毎年度実施し、医療機器開発のプロジェクトマネジメントの改善や医療機器開発のあり方について意見交換を行った。<br>・産学連携部が実施する医療機器開発関連事業の紹介パンフレットを改訂作成し、各事業の目的、支援対象、支援後の展開例を具体的に示した。作成したパンフレットは各事業の公募説明会で配付し、提案内容に合致した事業の活用を促した。（Ⅰ―(1)－①の再掲）<br>・<br><br>・ | 【技術シーズの創出と医療機器・システムの実用化へとつなげる研究開発】<br>・開発フローにおける上流を支援する事業において創出された「技術シーズ」を次の段階を支援する事業につなげて、さらに課題採択に至った事例は、切れ目のない支援が着実に具体化しつつあるものであり評価できる。 | | |
| | 併せて、事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進める。 | 産業技術の将来を担う創造性豊かな技術者、研究者を機構の技術開発プロジェクトや公的研究機関等の最先端の研究現場に | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況 | ■研究開発人材の育成<br>・「国産医療機器創出促進基盤整備等事業」の一環として、医療機器開発を担う企業の技術者、研究者を対象に、11 の臨床拠点におけるニーズ発見および研修プログラムを実施した。 | 【研究開発人材の育成】<br>・シンポジウム等による啓蒙普及に留まらず、研修プログラムの実施等の一定のルールに基づいた医療機器開発を目指す企業人材による臨床現場の見学機会増大のための取組が、国産医療機器創出拠点（大学病院等）に | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | おいて技術開発等に携わらせること、及び大学等の研究者への支援をすることにより事業化人材・伴走コンサル人材を育成するとともに、国際標準化、知財強化を進める。 | 等 | ➢ 参加人数：（延べ）　3,976 人<br>➢ 参加企業数：（延べ）2, 417 社<br>➢ 臨床現場等見学者数：（延べ）4,113 人<br>➢ 臨床現場等見学参加企業数：（延べ）1,875 社<br>・<br>・<br>・<br>■医療機器開発開発人材の育成<br>・同上<br>・<br>・ | おいて実施されるようになったことは評価できる。 | | |
| | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・５種類以上の革新的医療機器の実用化<br>・医工連携による医療機器開発件数 100 件<br>・医療機器の実用化による成果 約 1,500 億円<br>を目指すものとする。 | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・５種類以上の革新的医療機器の実用化<br>・医工連携による医療機器開発件数 100 件<br>・医療機器の実用化による成果 約 1,500 億円<br>を目指すものとする。 | ＜評価指標＞<br>【2020 年までの達成目標】<br>・実用化に至った革新的医療機器の種類数<br>・医工連携による医療機器開発件数<br>・医療機器の実用化による成果<br>・医療機器開発・実用化促進のためのガイドラインの策定数<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・応募件数及び採択件数<br>・事業に参画している研究者延べ人数<br>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数<br>・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 | ■医療分野研究開発推進計画　達成すべき成果目標（KPI）<br>・5 種類以上の革新的医療機器の実用化<br>・医工連携による医療機器開発件数 100 件<br>・医療機器の実用化による成果 約 1,500 億円<br><br>・実用化に至った革新的医療機器の種類数：<br>複数種類の革新的医療機器を開発中（11 種類のテーマ（平成 31 年 3 月末現在）で事業を実施、各テーマにて複数の機器開発を予定している。）<br><br>・医工連携による医療機器開発件数：<br>平成 30 年 3 月末現在で医療機器として薬事認証・承認を得たと確認出来た件数は、62 件。<br>医療機器研究課実施事業において、医工連携による医療機器開発を実施しており、累計課題数 343 件に達した。特に医工連携事業化推進事業においては、平成 30 年度以前の終了案件（149 件）について、医療機器として薬事認証・承認を得たと確認できる件数見込みは、国内 60 製品、海外 15 製品の計 75 製品。このうち、平成 30 年 3 月末までに国内 43 製品、海外 12 製品の計 55 製品が上市見込み。<br>※平成 30 年度末時点のデータは、今後のフォローアップ調査にて判明する予定。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・医療機器の実用化による成果：<br>平成 31 年 3 月末時点の累計売上額は、調査中（平成 31 年 6 月に金額確定予定）。<br><br>・医療機器開発・実用化促進のためのガイドラインの策定数：　22 本（平成 27～30 年度）<br><br>・応募件数及び採択件数：295 件及び 51 件（平成 30 年度）<br>・事業に参画している研究者延べ人数:720 人（平成 30 年度）<br>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数：26 件（平成 30 年度）<br>・機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数：58 件（平成 30 年度） | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(2)―③ | (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<br>③革新的医療技術創出拠点 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | 重要度、優先度等は高い | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | 健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-3） |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 応募件数 | | 187 件 | 135 件 | 382 件 | 211 件 | |
| 採択件数 | | 57 件 | 31 件 | 109 件 | 52 件 | |
| シンポジウム等の開催件数 | | 11 件 | 4 件 | 4 件 | 1 件 | |
| サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数 | | 33 件 | 52 件 | 117 件 | 74 件 | |
| PS/PO 会議実施回数 | | 17 件 | 2 件 | 3 件 | 6 件 | |
| 医師主導治験届出数（2020 年頃まで） | 年間 40 件 | 31 件 | 24 件 | 33 件 | 36 件 | |
| FIH 試験（企業治験含む）（2020 年頃まで） | 年間 40 件 | 16 件 | 24 件 | 26 件 | 22 件 | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 12,322,551 | 11,598,949 | 10,046,555 | 11,194,264 | |
| 決算額（千円） | 11,774,614 | 11,585,030 | 9,786,731 | 10,867,333 | |
| 経常費用（千円） | 11,773,498 | 11,809,121 | 9,903,639 | 11,039,734 | |
| 経常利益（千円） | 0 | 0 | -3 | 0 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 11,773,498 | 11,585,334 | 9,736,395 | 10,869,679 | |
| | | | | | |
| 従事人員数 | 11 人 | 19 人 | 18 人 | 16 人 | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

| | 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | （期間実績評価） |
| | | | | | | 評定 | 評定 |
| | アカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するとともに、各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究や治験を実施・支援する体制の整備も行う。<br>具体的には、大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、当該プロジェクトにおける、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るとともに、 | アカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するとともに、各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究や治験を実施・支援する体制の整備も行う。<br>具体的には、大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいて、文部科学省及び厚生労働省と協力しつつ、PD・PS・POによる体制整備状況の確認・助言を適宜行うとともに、拠点間で情報を共有することにより、各拠点や病院の一体的な運営を推進する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況 | ■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<br>【橋渡し研究戦略的推進プログラム（＊）、臨床研究中核病院関連事業(※)】<br>・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機構が中心となって、PD・PS・PO会議を開催し、今年度の本プロジェクトの実施内容及びスケジュール等について共有し、今後の運営方針等を確認、議論した。<br><br>・年１～２回、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、現在の各拠点の支援するシーズの開発進捗状況と今後の方向性、拠点の自立化やネットワーク化に向けた取組、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。<br>・革新的医療技術創出拠点に対して拠点外シーズへの積極的支援を義務づけ、更に各拠点の特色化も推進することにより、広域連合・分散統合を推進した。<br><br>・平成27年６月～８月にかけて平成26年度サイトビジットでの指摘事項に対するフォローアップ調査を計７施設に対し行い、指摘事項に対する各拠点の取組状況をヒアリングするとともにPD(PS)、PO、文部科学省、厚生労働省及びサポート機関と連携してアドバイスを行った。<br>・毎年 9～12 月にかけて全拠点に対しサイトビジットを行い、研究成果の実用化のための体制構築について各拠点の取組状況をヒアリングするとともに、PD・PS・PO及びサポート機関と連携の上、拠点のARO機能等の体制整備状況について適切なアドバイスを行った。各拠点の成果の把握の方法や指導助言については、体制整備にあたりポイントとなる点を、拠点の意見も踏まえサイトビジットで議論し、適宜反映した。<br>平成28年度には、前年度のサイトビジットでの指摘事項に対する対応状況についてもヒアリングした。平成28年度のサイトビジットでは、支援中止となっ | ＜評定と根拠＞<br>評定：A<br>・橋渡し研究加戦略的推進プログラム及び臨床研究中核病院関連事業等で拠点や病院の一体的な運営を促進するなどの取組を着実に実施した。こうした取組に加え、専門人材の育成・確保、サイトビジット・シンポジウム・全体会議等を通じ、各拠点の機能の強化･特色化等を進めるとともに､革新的医療技術創出拠点以外の連携プロジェクトとのシンポジウムによって拠点外との連携強化を図った｡こうした取組の結果､拠点間のネットワークが構築され、また、拠点外シーズは急増した。さらに、支援シーズの医師主導治験開始､薬事承認を取得するなどアカデミア発医療技術が実用化され、画期的成果を創出した。また、当該プロジェクトでは､医師主導治験届出数は年間24～36件(2020年までの達成目標：年間40件）FIH試験は16～26件（2020年までの達成目標：年間40件）で目標には未達であるが、機構全体としては、医師主導治験（49～67件)､FIH試験（30～45件）ともにほぼ上回っており､本プロジェクトの拠点の整備による波及効果が認められるなど、所期の目標を上回った。以上から、機構の目的・業務、中長期目標等に照らし、機構の活動による成果、取組等について、諸事情を踏まえて総合的に勘案した結果、適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | たシーズについても説明してもらうこととしたため、拠点における支援継続又は支援中止の判断についての議論を深めることができた。<br>平成 29 年度のサイトビジットでは、拠点の自立化に向けて必要な、基礎から実用化まで一貫した研究課題のマネジメントや研究開発戦略を実現するために必要な体制についての議論を深めることができた。<br>平成 30 年度のサイトビジットでは、拠点の自立化に向けて必要な、基礎から実用化まで一貫した研究課題のマネジメントや研究開発戦略を実現するために必要な体制についての議論を深めることができた。サイトビジットの調査票について見直しを行い、これまでの調査との継続性に配慮するとともに、医療法に基づく調査等との重複部分について削除し負担軽減・効率化を図る一方、拠点の自立化関連指標や臨床研究法施行後の対応状況等の必要な項目については重点的に記入を求める様式に改訂した。変更点について拠点を訪問しての説明を行ったことにより、拠点において改訂の意図が反映された調査票が作成された。また、拠点内外におけるシーズ発掘体制について確認を行った。それらの記載内容から、シーズ発掘や育成を担うプロジェクトマネージャーの人材不足が各拠点共通の課題として抽出され、その解決策を協議するための拠点間ネットワーク実務者 WG による取り組みを平成 30 年度内に開始した。<br>・サイトビジットでは、重点事項に焦点を絞ることで調査実施の効率化を図ったほか、当課以外の関係課室の参加の下、当課以外の関係課室から研究費を受けるシーズの進捗管理・助言指導も併せて行い、効率的に研究支援機能調査を実施した。<br><br>・喫緊の課題である持続可能な自立した革新拠点を目指すため、自立の程度が明確になるよう、サイトビジットを効果的・効率的に行うことに取り組んだ。更に、サイトビジットを受け、PD、PS、PO 会議などを通じて拠点への指導・助言ができるよう取り組んだ。<br><br>・橋渡し研究加速ネットワークプログラムにおいて、課題選考委員会を設置し、平成 27 年 6 月及び平成 28 年２月に事前評価委員会を開催し、適切な課題を選定した。<br>・平成 29 年度革新的医療技術創出拠点プロジェクト関 | 成果の創出の期待等が認められるため、評定を A とする。<br><br>【拠点や病院の一体的な運営の促進】<br>・PD、PS、PO と共に革新的医療技術創出拠点へのサイトビジット等を通じ、アカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制の構築や各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究や治験を実施・支援する体制の整備に向けた指導助言を行ったことで、各拠点の体制整備の進捗が認められた。また、文部科学省所管の事業と厚生労働省所管の事業のシーズを合同で公募し、同一の課題評価委員会で評価するよう PD、PS、PO、文部科学省及び厚生労働省と調整し、省庁間のリエゾンをより一層強化する方向性を明確にしたことは高く評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・サイトビジットの効果的及び効率的な実施の仕方、各拠点の成果の把握の方法(様式)などについては、文部科学省、厚生労働省及び拠点とともに引き続き検討が必要である。<br>・より緊密な一体化運営を実現するためには、橋渡し拠点と臨床研究中核病院が完全には同一でないことも考慮しながら、拠点間のネットワークを強化し、拠点外シーズをより支援していく必要がある。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 連シーズの公募から、文部科学省が所管する橋渡し研究戦略的推進プログラムと厚生労働省が所管する革新的医療シーズ実用化研究事業を、同一の課題評価委員会で一体的に評価出来るよう、PD、PS、PO、文部科学省及び厚生労働省と調整を行い、平成 29 年 3～6 月、平成 29 年 12～平成 30 年 3 月、平成 30 年 6～8 月に合同公募を計 3 回実施し、合同での中間評価を 2 回実施するなど、一体的な運営を行うことにより、基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制が強化された。<br><br>・本事業における具体的な成果の例は次のとおり。<br>（成果の例）<br>➢ アカデミア発医療技術の実用化<br>・重症心不全の治療用の骨格筋芽細胞シート<br>・人工手関節が薬事承認を取得（DARTS 人工手関節）<br>・ラパマイシン外用剤による結節性硬化症皮膚病変治療<br>・慢性特発性血小板減少性紫斑病（ITP）に対するリツキシマブの有効性と安全性の検討を目的とした第Ⅲ相試験<br>・世界初の「マーカに基づく 4 次元コーンビーム CT 再構成」による適合強度変調陽子線治療の国際連携橋渡し研究<br>・オートタキシン<br>・自家骨髄間葉系幹細胞（脊髄損傷）<br>・人工真皮<br>・AMG0001<br>・メラ金属コネクタ<br><br>➢ 医師主導治験の実施<br>・ペプチドワクチンによるがん治療<br>・口腔粘膜上皮細胞シート移植による角膜治療<br>・HVJ エンベロープベクターによる癌遺伝子治療<br>・先天性難治性皮膚疾患に対する自家培養表皮シート療法 FIH 試験<br>・腸管下痢症に対するコメ型経口ワクチン<br>・糖尿病等の難治性皮膚潰瘍に対する再生治療<br>・半導体レーザーを用いた温熱装置による放射 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 線抵抗性表在癌治療<br>・VCP ATPase 阻害剤を用いた眼難治疾患に対する治療法開発<br>・新規培養法による自己骨髄間質細胞を用いた脳梗塞・脊髄損傷の再生医療法の開発<br>・AMPA 受容体可視化のための PET プローブ<br>・レーザ血栓溶解治療システムの開発<br>・歯科用局所麻酔剤アーティカインを用いた医師主導治験<br>・難病への治療応用を目指した臍帯および臍帯血由来細胞の系統的資源化とその応用<br>・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および臨床研究<br>・重症クローン病に対する同種卵膜間葉系幹細胞による新たな治療法の開発<br>・椎間板再生治療における組織修復材の開発<br>・薬剤抵抗性の切除不能膵癌に対する核酸医薬 STNM01 の超音波内視鏡ガイド下投与の　医師主導治験<br>・難治性角結膜疾患に対する培養自家口腔粘膜上皮シート移植<br>・がん特異的アミノ酸輸送体阻害作用を有する抗がん剤の臨床 POC 取得<br>・C 型肝硬変等に対する CBP/β-カテニン阻害剤を用いた抗線維化治療薬の開発<br>・次世代シークエンサーによる網羅的がん関連遺伝子パネル解析を用いた HER2 遺伝子変異陽性の進行非小細胞肺癌に対する治療開発を目指した研究<br>・認知症に対する経頭蓋超音波治療装置の開発<br>・自閉スペクトラム症患者におけるピリドキサミンの有効性および安全性を評価する医師主導第Ⅱ相試験<br><br>＊橋渡し研究加速ネットワークプログラム（H24-H28）、橋渡し研究戦略的推進プログラム（H29-H33）<br><br>※臨床研究中核病院関連事業<br>世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点の整備事業、臨床試験支援機能構築事業、臨床研究品質確保体制整備事業、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、国際共同臨床研究実施推進事業、 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 医療技術実用化総合促進事業（未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム、国際共同臨床研究実施推進プログラム、臨床研究・治験従事者研修及び啓発プログラム、医療系ベンチャー育成支援プログラム、先進医療等実用化促進プログラム）、早期探索的・国際水準臨床研究事業、革新的医療シーズ実用化研究事業、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業、倫理審査委員会報告事業、臨床研究実施基準等適合性確認費、ARO 機能評価事業 | | | |
| | 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する。 | また、若手研究者等の教育や実施研修、データマネージャーなどの専門人材の教育訓練や講習会等による人材育成に加えて、先進的なプログラムの導入や人材交流等を積極的に推進し、拠点機能の強化・特色化を進める。橋渡し研究支援拠点のネットワークを更に強化し、拠点間の情報共有等を推進するとともに、拠点以外の研究機関等からのシーズの創出を支援するため、オープンアクセス化に向けた取組を推進する。 | ＜評価軸＞<br>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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・上記の評価軸に係る取組状況等 | ■人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化<br>【橋渡し研究加速ネットワークプログラム（＊）、臨床研究中核病院関連事業(※)、臨床研究・治験従事者研修及び啓発事業、生物統計家育成支援事業】<br>・拠点へのフォローアップ調査やサイトビジットにおいて、生物統計家や CPC 技術員の確保状況を把握するとともに、プロジェクトマネジメント、臨床研究コーディネーター（CRC）、データマネージャー（DM）、モニタリング、監査、生物統計家等,質の高い臨床研究遂行のための人員確保状況および今後の充足予定を把握した。また、CPC 業務をこなす細胞培養員等に対しては、学会と協働のもと拠点を対象とした講習会を開催するなどの人材育成を行った。<br>・本予算の取組に加え、平成 27 年度第 1 回調整費を追加配分し、研究支援に関わる人材の充実や教育体制の確立等による拠点機能の強化を図った。さらにデータを迅速にまとめ、その質を確保するデータマネージャー（DM）を養成するための研修を実施するとともに、レギュラトリーサイエンスの専門家の人材確保を図った。<br>・平成 28 年度には、質の高い臨床研究を実施できるようにするため、従来から臨床研究コーディネーター（CRC）の経験を積んだリーダーシップが取れる上級者 CRC、データを迅速にまとめ、その質を確保するデータマネージャー（DM）及び治験・倫理審査委員を養成するための研修に加え、臨床研究実施者である医師向けの研修を実施した。<br>・臨床研究実施者である医師、上級ＣＲＣ、データマネージャー、治験・倫理審査委員の研修事業では、平成 28 年度までプログラム作成、講師の人選等の事務局業務を実施する者を入札で決定していた。平成 29 年度からは、臨床研究中核病院が主催し引き続き研修を | 【人材確保･育成を含めた拠点機能の強化・特色化、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】<br>・拠点機能の強化・特色化のために、専門人材の育成や確保に加え､拠点外とのネットワークの強化を実施し革新的な医療技術創出に向けたノウハウの共有を実施し、また、医薬品・医療機器等の研究開発に資する人材育成について実践的なプログラムを拠点が連携して開始したこと、さらに、拠点の保有情報の確認を行う等の取組が進められていることは評価できる。<br>・生物統計家育成の学位授与コース開設を支援し、学生の受け入れを開始したことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・専門的な人材の育成及び人材の確保については長期的なスパンで実施することが必要であり､またそのような取組の実施により拠点外のネットワークの強化にもつながるため､継続的に本取組を実施する必要がある。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 実施した。<br>・平成 29 年度からは、医療技術実用化総合促進事業の臨床研究・治験従事者研修及び啓発事業において、質の高い臨床研究を実施できるようにするため、臨床研究コーディネーター（CRC）の経験を積んだリーダーシップが取れる上級者 CRC、データを迅速にまとめ、その質を確保するデータマネージャー（DM）及び治験・倫理審査委員、臨床研究実施者である医師・歯科医師向けの研修、倫理審査委員会・治験審査委員会委員養成研修を実施した。<br>・平成 27～30 年度の 4 年間で、上級者 CRC 養成研修 8 回、DM 養成研修 10 回、治験審査委員会・倫理審査委員養成研修 15 回、医師向けの臨床研究・治験従事者研修 24 回を実施し、27 年度約 300 名、28 年度約 500 名、29 年度約 900 名、30 年度約 800 名の参加者があり、臨床研究・治験従事者を育成した。<br><br>・橋渡し研究戦略的推進プログラムの拠点間ネットワークにおいて、①モニタリングに係る取組、②監査に係る取組を実施し、拠点合同で拠点内外のモニター等の臨床研究支援人材に対する研修を実施した。<br>・橋渡し研究戦略的推進プログラムにおいて、医薬品・医療機器等の研究開発に資する人材育成を目指して Translational Science & Medicine Training Program（TSMTP）や Japan Biodesign を継続実施するとともに、2018 年 10 月から若手研究者等を対象にアントレプレナーの育成を目的とした、臨床開発からビジネスモデルまで、海外事業も含め豊富なビジネス経験を有するトップリーダーによるメンタリングと海外プログラムとの連携による人材育成プログラムである Research Studio を新たに開始した。2018 年度のプログラムにおいては、参画拠点の大学に加え、参画していない拠点や全国の拠点外の研究機関の若手研究者からも応募・参加希望があった。<br>・2018 年度から、橋渡し研究戦略的推進プログラムにおける人材育成研修の担当者の会合（10 月 25 開催済）や、医療技術実用化総合促進事業における医療系ベンチャー育成支援プログラム担当者による連絡会（11 月 12 日開催済）を新たに開催し、人材育成等に係る情報共有や検討を行った。また、新たに拠点間ネットワーク実務者連絡会として、11 月 13 日にシーズ発掘及び PM 育成に関するテーマ、2 月 21 日に PM | 【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 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 育成や産学連携に関するテーマについて情報共有及び議論を行った。拠点間での施設・機器・専門性・教育等の効率的な活用における具体的な取組を検討されたことにより、拠点機能の特色化とネットワーク化が推進された。<br>・平成 30 年度革新的医療技術創出拠点プロジェクト成果報告会において、TSMTP、Japan Biodesign、Research Studio の人材育成プログラムの進捗報告と ARO 支援人材の育成・キャリアパスについてのパネルディスカッションを 2019 年 2 月 28 日に開催した。<br>・若手研究者を対象とした橋渡し研究人材育成支援プログラムである第 6 回ヤング・サイエンティスト・シンポジウム（米国研究製薬工業協会主催）をＡＭＥＤが後援し、2018 年 11 月 17 日に開催した。<br><br>・平成 28 年度の調整費による中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業等において、5 機関でのモデル事業等を通じ、中央治験・倫理審査委員会を進めるガイドライン素案作り及び電子申請等の環境整備等の取組を行った。これと連携して、IRUD 事業においては、モデル事業実施機関において先駆的に CIRB を活用した審査を行った。<br>・平成 29 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事業においては、サイトビジットの際に進捗を確認し、一括審査促進に向けた課題や取組み等について議論した。<br><br>・国際共同研究実施推進事業において、課題選考委員会を設置し、平成 29 年８月に事前評価委員会を開催し、国際共同臨床研究実施推進拠点を２拠点（大阪大学医学部付属病院、国立がん研究センター中央病院）選定した。国際共同臨床研究実施推進拠点（大阪大学、国立がん研究センター）が臨床研究中核病院連絡会議及び「国際共同臨床研究を極める（平成 28 年度）」「競争から協奏へ（平成 29 年度）」と題したシンポジウムを開催し、臨床研究中核病院が実施または支援している国際共同臨床研究に関連するシーズの発掘や現状の課題を共有した。<br><br>・これまで不足が指摘されていた生物統計家の育成については、生物統計家育成支援事業として優秀な生物統計家の人材育成を目的とし、座学的教育を実施する | 報等の確認】<br>・他の省庁連携プロジェクト所管事業課等との合同開催によるプロジェクト連携シンポジウムの開催により拠点外シーズも含めた拠点機能の紹介及び活用を図るなどの取組を行ったことは高く評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・平成 28 年度に選定された国際共同臨床研究実施推進拠点については、平成 30 年度でその採択期間が終了となるため、これまでの成果を活用しつつ、今後の臨床研究中核病院に求められる国際共同臨床研究に関連する支援機能について、検討していく必要がある。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 大学院と実学的研修を実施する病院が一体となった育成体制を整備した。平成 28 年度に生物統計家育成支援プロジェクト会議を計 4 回開催し、生物統計家育成支援拠点の公募を実施した。平成 28 年 9 月に東京大学大学院及び京都大学大学院を生物統計家育成支援拠点として選定し、AMED 初の、企業からの寄附金を活用した産官学連携により、両拠点に生物統計講座を設置した。生物統計家人材育成支援事業として平成 29 年 10 月に生物統計家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および京都大学大学院を中心とする生物統計家育成支援拠点の体制構築方針に対して指導及び助言を行った。平成 29 年度、各育成拠点において入学者選抜試験を実施するとともに、平成 30 年度から学位授与コースを開設し、専門教育・育成研修を開始することとなった。合計 21 名が第一期生として在籍中で、研鑽に励んでいる。<br><br>・橋渡し研究加速ネットワークプログラムにおいて、課題選考委員会を設置し、平成 28 年 7 月に事前評価委員会を開催し、適切な課題を選定した。また、橋渡し研究戦略的推進プログラムにおいて、平成 29 年 3 月に事前評価委員会を開催し、新たに「橋渡し研究支援拠点」を選定した。新たな「橋渡し研究支援拠点」には、既存の 9 拠点（北海道大学、東北大学、東京大学、慶応大学、名古屋大学、京都大学、大阪大学、岡山大学、九州大学）に加えて、筑波大学が選定され、平成 29 年度からは合計 10 拠点となることとなった。<br>・なお、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。<br><br>■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<br>・革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携の強化や専門領域の研究者間での連携の推進を目指し、平成 27 年 11 月～平成 28 年 2 月にかけて本連携プロジェクト以外の 8 つの連携プロジェクトについて、機構内のプロジェクト担当課及び拠点等とプロジェクト連携シンポジウムの開催を企画し、8 つの連携プロジェクトにおいてそれぞれ実施し、拠点のネットワーク機能の強化、拠点外との連携の強化を図った。平成 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 28 年度においては、革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携、専門領域の研究者間での連携の推進、さらには特定テーマにおけるネットワーク構築を目指し、平成 28 年９月～平成 29 年１月にかけて本連携プロジェクト以外の 8 つの連携プロジェクトについて、各 PD、PS、PO の意見も踏まえつつ、AMED 内のプロジェクト担当課及び拠点等とプロジェクト連携シンポジウムの開催を企画し、合計４回のシンポジウムを開催した。これにより、特定テーマに対し拠点も含めたネットワーク作り・縦横連携をより深化させた。シンポジウムは好評を博し、PD、PS、PO の参加人数や１回あたりの参加人数等において平成 27 年度を上回った。<br>・拠点が保有するシーズ情報やデータマネジメントシステムについて、R&D パイプライン管理システム等への入力やサイトビジットによる調査などを通じて確認を実施した。<br>・臨床研究中核病院の臨床研究の質を向上させ、臨床研究のさらなる安全性の確保をはかるため、病院情報システム内の医療情報データの標準化を図ると共にそのデータを研究等にも利活用できる体制整備を開始した。<br><br>・これらの取り組みを通じ、拠点外シーズ数は平成 27 年度 146 件、平成 28 年度 206 件、平成 29 年度 317 件、平成 30 年度 406 件と増加した。※橋渡し研究加速ネットワークプログラム、橋渡し研究戦略的推進プログラムの補助事業計画書に記載された件数の集計<br><br>＊橋渡し研究加速ネットワークプログラム（H24-H28）、橋渡し研究戦略的推進プログラム（H29-H33）<br><br>※臨床研究中核病院関連事業<br>世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点の整備事業、臨床試験支援機能構築事業、臨床研究品質確保体制整備事業、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、国際共同臨床研究実施推進事業、医療技術実用化総合促進事業（未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム、国際共同臨床研究実施推進プログラム、臨床研究・治験従事者研修及び啓発プログラム、医療系ベンチャー育成支援プログラム、先進医療等実用化促進プログラム）、早期探索的・ | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 国際水準臨床研究事業、革新的医療シーズ実用化研究事業、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業、倫理審査委員会報告事業、臨床研究実施基準等適合性確認費、ARO 機能評価事業 | | | |
| | また、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る。なお、ＡＲＯ機能の更なる活用のため、各医療機関が有するＡＲＯ機能について客観的な評価も行う。 | 臨床研究中核病院等といった ICH－GCP 準拠の国際水準の臨床研究や医師主導治験を実施又は支援することが可能な環境の整備を推進するとともに、橋渡し研究支援拠点において基礎研究段階から実用化まで一貫した支援を行う人材・体制を整備して、育成したシーズを強力かつ切れ目なく効率的に実用化につなげる体制の構築を推進する。なお、ＡＲＯ機能の更なる活用のため、各医療機関が有するＡＲＯ機能について客観的な評価も行う。さらに、倫理審査の効率化や審査の質の統一を図ることを目的に、臨床研究中核病院等を中心に中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会を推進する体制整備を進める。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br>・また、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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■臨床研究中核病院等の整備と研究開発の推進<br>【橋渡し研究戦略的推進プログラム（＊）、臨床研究中核病院関連事業(※)】<br>・本予算の取組に加え、平成 27 年度第 1 回調整費を追加配分し、研究支援に関わる人材の充実や教育体制の確立等による拠点機能の強化を図った。<br>・サイトビジットとして、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究品質確保体制整備病院及び日本主導型グローバル臨床研究拠点、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。<br><br>■拠点のネットワーク強化及び切れ目ない実用化につなげる体制の構築<br>・ネットワーク強化及び切れ目ない実用化につなげる体制の構築については、前述の通り拠点合同でモニター・監査の支援人材を養成する研修等を実施した。<br>・上記に加え、実務者 WG として、シーズの発掘・実用化を前臨床段階から支援・進捗管理できるプロジェクトマネージャーの育成に関する課題について議論する会議を開催した。また、ARO 協議会の知財専門家連絡会と連携した会議を実施した。<br>・ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット（JHVS）2018 にて、臨床研究中核病院 6 拠点がブースを出展し、ベンチャー支援ニューや実用化シーズ・アカデミアシーズから起業したベンチャー等を紹介した（2018 年 10 月）。加えて、ピッチセッションや JHVS セミナーにおいても臨床研究中核病院の役割について紹介した。11 月には全拠点の本プログラム実務担当者間の連絡会を開催し、各拠点のベンチャー支援に関する取組・特長を情報共有し、在り方や連携の方策について検討を行った。連携の重要性を鑑み、定期的な連絡会開催のため取りまとめ機関を決定した。 | 【臨床研究中核病院等の整備と研究開発の推進、拠点のネットワーク強化及び切れ目ない実用化につなげる体制の構築、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会の推進】<br>・ICH－GCP 準拠の質の高い医師主導治験の実施により医薬品医療機器等法に基づく承認品目が出たことは高く評価できるとともに、中長期目標及び今年度目標に掲げられている医療機関に対し、PD、PS、PO とともに文部科学省、厚生労働省とともにサイトビジット等を行い、ARO 機能の整備状況の確認及び改善・向上の為の適切な指導・助言を実施したことは、今後の成果の創出に資するものであり評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・継続的に本取組を実施する。<br>・今後も必要な整備は継続しつつ、整備された機能を生かしてシーズの実用化をより一層強化する方策を講じていく必要がある。<br>・ARO の支援機能を評価する指標を検討すると共に、各 ARO の特色を見える化し、利用を促進していく必要がある。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ■ARO 機能の客観的な評価<br>・「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した。平成 30 年度はこの内容を活用しつつ、ARO 機能の利用者であるアカデミアの視点で ARO の支援機能を評価する指標の検討を開始した。<br><br>■中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会の推進<br>・倫理審査の効率化を図るため、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業において、厚労省の担当課と調整を図りながら、平成 28 年度の調整費（第 1 回及び第 2 回）を獲得したモデル事業等を通じ中央倫理・治験審査委員会を進めるガイドライン素案作り等の取組を行ったほか、臨床研究中核病院等に設置されている治験審査委員会・倫理委員会に対し、他施設からの審査依頼を受け、一括審査が可能となるような電子申請等のシステムを整備した（平成 28 年 12 月）。<br>・平成 28 年度の調整費による中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業等において、5 機関でのモデル事業等を通じ、中央治験・倫理審査委員会を進めるガイドライン素案作り及び電子申請等の環境整備等の取組を行った。これと連携して、IRUD 事業においては、モデル事業実施機関において先駆的に CIRB を活用した審査を行った。<br>・平成 29 年度には、倫理審査の効率化を図るため、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業において、厚労省の担当課と調整を図りながら、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ガイドライン案を活用しながら、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（平成 30 年 3 月）。また、平成 29 年度第 2 回調整費にて新たに 31 機関を採択し、臨床研究法施行後に一括審査を円滑に進めるために必要な課題抽出及び運営ノウハウの共有についての会議を、疾患等 6 つの分野ごとに実施した。<br>・中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業及び臨床研究・治験推進研究事業での研究成果が、臨床研究法における施設基準や臨床研究審査委員会 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | の位置づけの明確化、利益相反管理に活用された。<br>・平成 30 年 4 月、臨床研究法の施行に伴い、必然的に中央 IRB 化が進むことが想定されるが、中央 IRB での審査実績が十分でない機関が審査することによる委員会の運用や審査の視点にバラツキが生じる可能性がある。そこで、平成 30 年度は、平成 30 年度 4 月 1 日までに、臨床研究法第 23 条 1 項において厚生労働大臣の認定をうけ認定臨床研究審査委員会となった機関が参加する協議会を設置し、特定臨床研究を含めた臨床研究を審査する上での課題等について４つのワーキンググループ（①臨床研究法の統一書式及び利益相反管理様式の見直しについて検討②法施行前より実施中の特定臨床研究に関する調査③技術専門員の評価実績に関する調査④地域ごとの臨床研究審査委員会に関する情報整理と提供方法について検討）検討することで、審査する研究の質の担保を図ると共に研究の促進を図った。本協議会における議論等を踏まえ、厚生労働省において臨床研究法の統一書式の見直しがなされ、平成 31 年 3 月に厚生労働省のホームページで公表された。<br>・介入研究における審査の効率化、質の統一化を図るため、中央倫理審査委員会等の体制整備を図ってきたが、非介入研究においても倫理審査のガイドライン等の策定を目的として公募を行い 1 機関を選定（平成 30 年８月）。非介入研究における一括審査ガイドライン等の作成に向け、国内外の現状及び問題点等について調査し、ガイドラインの内容を検討した。<br><br>＊橋渡し研究加速ネットワークプログラム（H24-H28）、橋渡し研究戦略的推進プログラム（H29-H33）<br><br>※臨床研究中核病院関連事業<br>世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点の整備事業、臨床試験支援機能構築事業、臨床研究品質確保体制整備事業、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、国際共同臨床研究実施推進事業、医療技術実用化総合促進事業（未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム、国際共同臨床研究実施推進プログラム、臨床研究・治験従事者研修及び啓発プログラム、医療系ベンチャー育成支援プログラム、先進医療等実用化促進プログラム）、早期探索的・国際水準臨床研究事業、革新的医療シーズ実用化研究 | | | |

<table>
<tr>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td>事業、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業、倫理審査委員会報告事業、臨床研究実施基準等適合性確認費、ARO 機能評価事業</td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
<tr>
<td></td>
<td>これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・医師主導治験届出数 年間40 件<br>・First in Human（ＦＩＨ）試験（企業治験を含む）年間40件<br>を目指すものとする。</td>
<td>これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・医師主導治験届出数 年間40 件<br>・First in Human（ＦＩＨ）試験（企業治験を含む）年間40件<br>を目指すものとする。</td>
<td>＜評価指標＞<br>【2020 年までの達成目標】<br>・医師主導治験届出数　年間 40 件<br>・First in Human（ＦＩＨ）試験（企業治験を含む。）年間 40 件<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・応募件数及び採択件数<br>・事業に参画している研究者延べ人数<br>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数<br>・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</td>
<td>■医療分野研究開発推進計画　達成すべき成果目標（KPI）<br><table><tr><th></th><th>27 年度</th><th>28 年度</th><th>29 年度</th><th>30 年度</th></tr><tr><td>応募件数</td><td>187 件</td><td>135 件</td><td>382 件</td><td>211 件</td></tr><tr><td>採択件数</td><td>57 件</td><td>31 件</td><td>109 件</td><td>52 件</td></tr><tr><td>事業に参画している研究者延べ人数</td><td>927 人</td><td>2057 人</td><td>2144 件</td><td>3309 人</td></tr><tr><td>PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数</td><td>204 件</td><td>132 件</td><td>173 件</td><td>185 件</td></tr><tr><td>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</td><td>77 件</td><td>53 件</td><td>63 件</td><td>53 件</td></tr><tr><td>医師主導治験届出数<br>（AMED 全体）</td><td>31 件<br>（ 67 件）</td><td>24 件<br>（ 66 件）</td><td>33 件<br>（ 49 件）</td><td>36 件<br>（ 59 件）</td></tr><tr><td>FIH 試験（企業治験含む）<br>（AMED 全体）</td><td>16 件<br>（ 30 件）</td><td>24 件<br>（ 40 件）</td><td>26 件<br>（ 45 件）</td><td>22 件<br>（ 32 件）</td></tr></table><br>・医師主導治験届出<br>（例）<br>・ペプチドワクチンによるがん治療<br>・口腔粘膜上皮細胞シート移植による角膜治療<br>・HVJ エンベロープベクターによる癌遺伝子治療<br>・先天性難治性皮膚疾患に対する自家培養表皮シート療法<br>・VCP ATPase 阻害剤を用いた眼難治疾患に対する治療法開発<br>・新規培養法による自己骨髄間質細胞を用いた脳梗塞の再生医療法の開発<br>・AMPA 受容体可視化のための PET プローブ</td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
</table>

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・FIH 試験（企業治験を含む）<br>（例）<br>・腸管下痢症に対するコメ型経口ワクチン<br>・糖尿病等の難治性皮膚潰瘍に対する再生治療<br>・半導体レーザーを用いた温熱装置による放射線抵抗性表在癌治療<br>・レーザ血栓溶解治療システムの開発<br>・新規培養法による自己骨髄間質細胞を用いた脳梗塞の再生医療法の開発<br>・歯科用局所麻酔剤アーティカインを用いた医師主導治験 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(2)―④ | (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<br>④再生医療 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | 重要度、優先度等は高い | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | 健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-4、経済産業省 0038） |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 応募件数 | | 62 件 | 231 件 | 228 件 | 265 件 | |
| 採択件数 | | 39 件 | 42 件 | 79 件 | 65 件 | |
| シンポジウム等の開催件数 | | 2 件 | 7 件 | 21 件 | 6 件 | |
| サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数 | | 67 回 | 516 件 | 550 件 | 650 件 | |
| PS/PO 会議実施回数 | | 13 回 | 13 回 | 10 回 | 13 回 | |
| 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 | 約 15 件（累積） | 21 件 | 28 件 | 31 件 | 41 件 | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 16,020,209 | 15,766,013 | 14,092,504 | 15,834,232 | |
| 決算額（千円） | 15,960,916 | 15,642,964 | 14,304,176 | 15,629,570 | |
| 経常費用（千円） | 19,136,725 | 18,939,327 | 14,404,214 | 15,919,437 | |
| 経常利益（千円） | 0 | 555 の内数 | 0 | 0 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 19,136,725 | 18,939,327 | 14,404,214 | 15,542,233 | |
| 従事人員数 | 20 人 | 25 人 | 25 人 | 23 人 | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載
注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備並びに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。<br>具体的には、iPS細胞等を用いた再生医療の迅速な実現に向けて、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する。 | 基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備並びに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。<br>具体的には、再生医療の迅速な実現に向けて、iPS細胞を用いた他家細胞移植治療の基礎研究、応用研究、臨床研究及び治験を加速するために、均一なiPS細胞の高効率樹立法の確立等により、安全性の高い再生医療用 iPS 細胞ストックを構築し、その提供を推進する。また、幹細胞操作技術等の実用化に資する技術の開発・共有について、細胞を安定的に大量供給可能とする基盤技術や高度培養技術の開発等に対する支援を行う。<br>再生医療の基礎研究・前臨床試験については、短期、中長期で臨床研究への到達を目指す再生医療の基礎研究・前臨床研究を推進す | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ＜主要な業務実績＞<br>■iPS細胞の樹立方法の開発とiPS細胞ストックの製作<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（iPS 細胞中核拠点、京都大学CiRA）において、2015年8月6日より臨床に使用出来るiPS細胞ストックの配布を開始した。その後、提供細胞株を徐々にふやしていき、2019年3月にはHLA型日本人第４位・末梢血由来のiPS細胞ストックの提供を開始することができた。既に提供を行っている iPS 細胞ストックと合わせると、日本人の約40%をカバーできると考えられ、より広い患者さんを対象とした再生医療の提供が可能となった。臨床研究用 iPS 細胞ストックの提供により、臨床研究、治験に向けた研究が加速することなり、最近の他家 iPS 細胞を使用した臨床研究・治験の実施につながっている。<br>・一方、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。<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（疾患・組織別実用化研究拠点）おいて、京都大学CiRAの高橋淳教授らは、MHC適合のサル iPS 細胞由来のドパミン神経細胞を他のサルの脳に移植するとドパミン神経細胞への免疫反応が抑制され生着率が向上することを確認した。この結果は他家移植において、MHCを適合させることの有用性を示しており、京都大学CiRAにて樹立している臨床用 iPS 細胞ストックの臨床応用に関わる基礎的な知見となるものである。<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（再生医療の実現化ハイウェイ）において、慶應義塾大学医学部　福田恵一教授らは、遺伝子の初期化は受精直後も段階で達成されることに着目し、卵細胞に含まれる成分が遺伝子の初期化に関わっていると仮定し研究を進め、その結果、H1fooという卵細胞特異的なリンカーヒストンと、京都大学の山中教授が発見した４つの転写因子のうち３つを一緒に体細胞に発現させると、より高い多分化能をもつ iPS 細胞が高効率で作製できることを発見した。<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（iPS 細胞中核拠点）において、京都大学CiRAの金子新准教授らは、ゲノム編集技術を用いて、HLA ヘテロ接合体の細胞から他家移植の際にレシピエントのキラーT細胞とNK細胞の両方からの攻撃を回避し免疫拒 | ＜評定と根拠＞<br>評定：A<br><br>再生医療の実現化に向けて、半月板損傷患者を対象とした治験、世界で初めて、ヒトiPS細胞由来の細胞を用いたパーキンソン病患者を対象とした医師主導治験や加齢黄斑変性を対象にした臨床研究が開始されるなど、平成30年度末までに41件が臨床研究段階又は治験段階に移行している。また、iPS細胞を活用した新規治療薬の探索について4 件の治験が開始されたほか、医薬品候補化合物の安全性や薬物動態等の評価が可能な新たなシステムの開発を目指すプロジェクトを開始した。再生医療研究を支える周辺機器・商品の実用化についても進んでいる。基礎から臨床研究・治験までを切れ目なく支援できるプロジェクトを実施するとともに、プロジェクトの運営にあたっては、「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を作成し、採択時の評価や進捗管理に活用し、事業間連携の強化も図られた。さらに、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。以上より「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められるた | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | るとともに、再生医療の安全性を確保するため、造腫瘍性等に関する研究等を支援する。 | | 絶反応を抑制する iPS 細胞を作製する技術を開発した。本研究は、次世代の iPS 細胞ストックの構築に向けた重要な技術となることが期待される。<br><br>■幹細胞操作成技術等の実用化に資する技術<br>【細胞を安定的に大量供給可能とする基盤技術】<br>・「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、細胞を安定的に大量かつ安全安価に製造・加工する基盤技術として、拡大培養、分化誘導、品質管理、加工、保存等各プロセスにおいて、個別要素の自動化や培地・基材等の周辺技術を開発したと共に、各プロセスが連携した細胞製造システムを構築し、従来の 1/10 のコスト、細胞回収量が 1010 個/バッチを達成した。また、各工程を統合し一貫した製造工程を、川崎市殿町のライフイノベーションセンター内に設置したクリーンルームおよび大阪大学吹田キャンパス集中研究所にて実証した。<br>・「再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発」では、日立製作所が、大日本住友製薬と京都大学との共同でパーキンソン病に対する iPS 細胞由来細胞製剤の製造工程で用いる閉鎖型大量自動培養装置を開発し、GCTP 省令 に適合した製品製造が可能な装置（「iACE2」）として国内で初めて製品化する等、大量細胞供給技術の実用化を実現した。<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（技術開発個別課題）において、旭硝子株式会社は、プラスチック製培養器の表面にレーザーで数百μm 径の小孔を形成し、低接着性の特殊コートを施した微細加工細胞培養容器 EZSHERE®を開発した。短時間で効率的に均一な細胞塊の iPS 細胞を大量調整し、同一容器内で目的細胞に分化誘導することに成功した。本プログラム内の疾患・組織別実用化研究拠点や、国内の多くの研究者に広く活用され、再生医療等の実用化に必須の培養器として展開している。<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（再生医療の実現化ハイウェイ）において、京都大学 CiRA、千葉大学再生治療学研究センター長の江藤浩之教授は、マウスの生体内観察により、血液の乱流が巨核球から血小板の生成を促進させることを突き止め、乱流を発生させる縦型培養装置を開発し、乱流エネルギー、せん断応力などの物理変数を適合させることにより、実際の輸血に必要な量の高品質の血小板を作製することを可能とした。今後の血小板生成の研究、輸血医療等に影響をもたらすことが期待される。<br><br>【高度培養技術の開発】<br>・「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 | め、A 評価とした。<br><br>【iPS 細胞の樹立方法の開発と iPS 細胞ストックの製作】<br>・細胞分化に関する基礎研究の成果を活用し、HLA ホモ iPS 細胞ストックは日本人の 40%をカバーするところまで到達し、目標とする 50%カバーを確実に遂行できる状態にあること、サルを用いた動物実験から、HLA ホモ iPS 細胞の他家移植の有用性が示されたことによるヒトへの臨床応用への基礎的知見が得られたこと、次世代の iPS 細胞ストック構築に向けた新たな知見が得られたことなどは、高く評価できる。<br><br>【幹細胞操作成技術等の実用化に資する技術】<br>・アカデミアと企業との連携のもと、大量、安定的、かつ安全に製造するシステムを実用化にまで持ち込めたことは大変評価出来る。<br>・・個別の疾患の臨床研究・治験を目指した課題等においても、実用化に向けた基盤技術等の開発が進んでいることは評価できる。<br><br>【再生医療の基礎研究/造腫瘍性等に関する研究等の非臨床試験】<br>・基礎から臨床・治験段階まで、一貫した支援を実施し、着実に進捗管理を行い、成果を積み上げていることは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | は、細胞を安定的に大量かつ安全安価に製造・加工する基盤技術として、拡大培養、分化誘導、品質管理、加工、保存等各プロセスにおいて、個別要素の自動化や培地・基材等の周辺技術を開発したと共に、各プロセスが連携した細胞製造システムを構築し、従来の 1/10 のコスト、細胞回収量が 1010 個/バッチを達成した。また、各工程を統合し一貫した製造工程を、川崎市殿町のライフイノベーションセンター内に設置したクリーンルームおよび大阪大学吹田キャンパス集中研究所にて実証した。<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（技術開発個別課題）において、大阪大学蛋白質研究所　関口清俊教授らは、細胞ごとに最適な足場蛋白質を探索し、再生医療用 iPS 細胞の培養に適したラミニン 511E8 フラグメントの製造方法を確立した。独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）より生物由来原料基準へ適合との判断を受けた。ラミニンフラグメントの臨床グレードの製品が、本プログラム内の疾患・組織別実用化研究拠点で広く活用され、移植医療用 iPS 細胞の製造など、iPS 細胞を利用した再生医療の研究開発を加速した。<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（疾患・組織別実用化研究拠点）において、慶應義塾大学　岡野栄之教授らは、神経幹細胞移植、高効率神経細胞分化、血管内皮細胞作成など臓器・組織別で高度培養技術の成果が得られた。神経幹細胞移植においては、Notch シグナル阻害薬剤で前処理した造腫瘍性のある iPS 細胞を脊髄損傷モデルマウスに移植し、移植細胞の造腫瘍性をブロックする新たな腫瘍化対策の方法を示した。<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（技術開発個別課題）において、慶應義塾大学　洪実教授らは、ES 細胞、iPS 細胞から短時間・高効率で細胞の DNA を傷つけずに目的細胞に分化させる「細胞分化カクテル」を開発し、販売を開始した。<br><br>■中期、中長期で臨床研究への到達を目指す再生医療の基礎研究の支援<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（技術開発個別課題）における新規公募、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム）を新規事業として立ち上げるなど、目標達成型の基礎研究の支援を開始した。幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラムでは、若手研究者育成の枠を設け、若手研究者の育成を進めた。さらに平成 31 年度公募では国際若手研究者育成枠を設け、国際レビューアの導入を行った。<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」において、横浜市立大学　谷口英樹教授、武部貴則<br>教授らは、iPS 細胞から肝細胞や腸細部の前段階の細胞である | ・再生医療研究課の再生医療実用化研究事業と、医薬品等規制科学課の医薬品等規制調和・評価研究事業が連携して課題管理したことは高く評価できる。<br>・「再生医療ナショナルコンソーシアム」等において、再生医療に関する臨床研究支援の基盤の整備が着実に進んでいることは高く評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 内胚葉前駆細胞を効率良くつくることに成功した。この細胞は凍結保存が可能で、増幅できることから、肝臓や腸のオルガノイドの作成が容易になる。次世代の臨床研究のシーズとなるような成果があがっている。<br><br>■造腫瘍性等に関する研究等の支援<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（再生医療の実現化ハイウェイ）や、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（疾患・組織別実用化研究拠点）において、造腫瘍性試験を支援している。また、規制支援を目的とした再生医療の実現化ハイウェイの課題が各課題・拠点を横断的にバックアップし、First in Human の実施に向けて取り組んでいる。<br>・ 再生医療実用化研究事業において、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、造腫瘍性等に関する以下の研究への支援を行った。<br><br>➢ 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（HESI）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案を作成し、公開の準備を行っている。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、その結果を論文にまとめ、公表準備を進めている。<br>➢ 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。当該研究は、平成 27 年度厚生労働科学特別研究事業「iPS 細胞等を用いた臨床研究を実施する際の移植細胞の安全性評価の在り方に関する研究」（研究代表者：福井次矢）の検討結果を踏まえ、さらなる造腫瘍性に関する科学的知見の蓄積を行い、移植細胞の安全性評価に資する基準案の策定を目指すものである。本研究によって得られた科学的知見をもとに、今後、「特定認定再生医療等委員会におけるヒト多能性幹細胞を用いる再生医療等提供計画の造腫瘍性評価の審査のポイント」が改訂される見込みである。<br><br>■再生医療研究基盤整備のための取り組み | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・平成28年度より「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」を開始した。本事業では、代表機関である日本再生医療学会が中心となり、再生医療の知識・経験を有する大学、医療機関等から構成される「再生医療ナショナルコンソーシアム」を構築し、再生医療臨床研究の技術的支援、人材教育・育成、データベースの構築・運用を行うことにより、再生医療臨床研究の基盤を整備することを目的としたものである。<br>・「再生医療ナショナルコンソーシアム」では、これまでに61件の臨床研究実施・準備支援が行われた。また、再生医療に携わる全人材のための教科書が作成され、平成31年3月21日に刊行された。細胞培養技術者を対象としたe-learningの構築、「認定再生医療等委員会教育研修会」(平成29年度より、年2回(東京、大阪))も実施された。このような技術支援、人材教育・育成を行うことにより、より質の高い臨床研究をより多く実施することが可能となる。<br>・「再生医療ナショナルコンソーシアム」では、再生医療等臨床研究データ登録システム(NRMD/CR)が構築された。当該システムには、PMDAから委託されている再生医療等製品使用データ登録システムが内包され、臨床研究及び再生医療等製品の市販後のデータが一括で管理できる。これまで、眼科関連研究、心筋領域研究、骨領域研究及び脳神経領域研究で、レジストリー登録の準備が進められ、順次研究領域は広がる予定である。レジストリー登録については、平成30年度より、日本医学会連合の協力により、関連学会協議会を設置することとなり、疾患ごとの専門的項目づくりの効率化が図られるようになった。臨床研究及び市販後のデータを一括管理する本登録システムの利用が広がることで、更なる臨床研究の推進及び再生医療等製品の開発につながる。<br>「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」では、平成29年度に、再生医療等提供計画の審査を行う認定再生医療等委員会の質向上を目的とする研究課題を創設した。当該研究課題において、認定再生医療等委員会の審査状況を把握し、審査のチェックポイント案が作成された。また、当該検討の中で、現行の認定再生医療等委員会の制度自体を見直す必要性が提案されたこと等を受け、本研究課題は平成30年度で終了し、平成31年度からは厚生労働省の事業として、引き続き、委員会制度の見直し等が行われることとなった。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | また、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う。さらに、再生医療の実現化を支える産業基盤を構築する。 | 再生医療の臨床研究及び治験については、実用化に向けて橋渡し支援できるよう、安全かつ有効な医療への実現化の可能性が高い研究を重点的に支援する。また、再生医療等製品の安全性評価手法について、原料細胞の品質及び安全性を確保するため評価項目を策定するとともに、iPS 細胞等の作成方法及び評価手法の確立とその最適化を行う。さらに、再生医療の実現化を支える産業基盤を構築するため、再生医療の開発・実用化に必要な装置等の周辺産業を含めた再生医療関連産業の競争力強化に向け、産学連携等による技術開発を推進する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br>・再生医療の実現化を支える産業基盤を構築したか。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■再生医療の臨床研究及び治験の推進<br>・臨床研究及び治験の推進については、「再生医療実用化研究事業」において、ヒト幹細胞を用いた実用化に近い個別の研究課題に対する支援を行った。これまで 41 件の臨床研究又は医師主導治験が実施され、そのうち、8 件が「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」から引き続き、「再生医療実用化研究事業」で支援を行ったものである。「再生医療実用化研究事業」の支援により医師主導治験を行ったもののうち、3 件が薬事承認申請をする予定とされており、薬事承認申請に向けて、5 件が企業治験に移行する等、再生医療等製品の薬事承認に向けて、着実に進捗した。<br>・「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、神戸市立神戸アイセンター病院研究センターの高橋政代センター長らは、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。今後、臨床研究や治験を積み重ね、加齢黄斑変性のみならず、網膜色素上皮の異常について対応可能な新たな治療法を提供することが可能になる。<br>・「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、東京医科歯科大学再生医療研究センターの関矢一郎センター長らは、半月板損傷患者を対象とした臨床研究を行ってきたが、平成 29 年 7 月より、国内で初めて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、新たな治療法を提供することが可能になる。<br>・「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、京都大学 iPS 細胞研究所の高橋淳教授らは、平成 30 年 8 月より、京都大学医学部付属病院にて、医師主導治験を開始した。50 歳から 69 歳の 7 名のパーキンソン病患者を対象に、ヒト iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞を移植し、移植後 2 年間の経過観察を行い、安全性と有効性を評価する予定である。本治験で安全性や有効性が確認できれば、病気が進行すると症状のコントロールが難しかったパーキンソン病患者の症状改善が可能となる。<br>・「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、大阪大学大学院医学系研究科の西田幸二教授らは、世界で初めて、iPS 細胞から角膜上皮細胞シートを作成することに成功した。当該角膜 | 【再生医療の臨床研究及び治験の推進、再生医療等製品の安全性評価手法の開発、並びに再生医療の実現化を支える産業基盤の構築】<br>・支援を行った研究が治験や薬事承認申請段階に進むなど、着実に進捗し、成果を積み上げていることは評価できる。<br>・基礎研究を支援する事業から臨床研究・治験の支援をする事業への円滑な移行を目的として、「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を採択時の評価や進捗管理に活用したことは高く評価できる。当該チェック項目を活用することにより、事業間連携のさらなる強化につながる。<br>・国内でのヒト細胞原料供給について、モデルとなる供給体制を構築していくことは、再生医療の産業化の基盤構築に資することが期待できる。<br>・開発された再生医療等製品の安全性・有効性等にかかる評価手法等が PMDA との一定の合意形成に達するなど着実に進展しており、評価出来る。<br>・シーズ開発支援では、早期段階より戦略的な薬事対応を見据えた製造方法の確立や非臨床試験等を実施することで、再生医療シーズの産業化が加速することが期待できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 上皮細胞シートについて、規制対応を進め、平成 30 年 3 月の厚生科学審議会再生医療等評価部会から、臨床研究実施の承認が得られた。角膜上皮細胞シートが上市されれば、ドナー不足により角膜移植のできない患者に対しての新たな治療法の提案となる。<br>・再生医療の真の実現化のためには、再生医療のみならず、再生医療と並行して行うリハビリテーションを構築し、「失われた機能の再生」を目指すことが重要である。「再生医療実用化研究事業」において、慶應義塾大学医学部の中村雅也教授らは、脊椎損傷に対する再生医療と並行して、リハビリテーション治療の内容、プロトコールのあり方、効果測定方法の標準化を目指す臨床研究を計画し、平成 30 年 2 月の厚生科学審議会再生医療等評価部会から実施の承認を得た。<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」で基礎研究を行った研究課題を臨床研究・治験の段階に円滑に移行することを目的として、臨床移行に必要な準備等をまとめた「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を作成し、平成 30 年 5 月の AMED 理事会議・部長会議で承認された。「再生医療実用化研究事業」における採択時の評価及び進捗管理に活用した。<br>・「製薬協・AMED 共催セミナー『花開け！再生医療のシーズ』」（平成 30 年 7 月）を開催し、実用化に向けて再生医療のシーズをアカデミアから製薬企業にスムーズに受け渡すために必要なことについて、アカデミアと製薬企業等産業界でディスカッションを行った。この結果をもとに、平成 31 年度から新たな産学連携課題を開始する。また、平成 31 年度には、早期の段階でマーケティングやターゲティングの検討を行い、アカデミアのシーズをより企業にとって魅力的なシーズとするため、アカデミアの研究者を対象とした相談会を実施する。<br><br>■細胞の採取から臨床応用までの効果的、効率的な手順等の確立に向けた研究<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（再生医療の実現化ハイウェイ）において、生物由来原料基準などレギュレーションや被験者の選定等に関する支援、およびインフォームド・コンセントなど倫理面での支援を行った。引き続き、基礎研究、非臨床試験から臨床研究に移行する研究等に対して支援していく予定である。<br><br>■再生医療等製品の安全性評価手法の開発<br>・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」（平成 28 年度～平成 30 年度）の研究課題を実施した。本研究では、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し、課題管理に活用している。<br><br>■再生医療の実現化を支える産業基盤の構築<br>・国内でヒト細胞原料を安定的に供給するため、「国内医療機関からのヒト（同種）体性幹細胞原料の安定供給モデル事業」では、ヒト細胞原料の供給にかかる体制整備に向けた研究を平成 30 年度より開始した。また本事業に併走して、ヒト細胞原料供給に関わる法的・倫理的な課題等を議論する有識者からなる検討委員会を設置し、3 回委員会を開催し、細胞取得のために必要なＩＣ等、優先項目について議論した。<br>・「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いる。平成 30 年度は、7 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 19 日、大手町プレイスカンファレンスセンター)において公表した。また、事業終了後、実施者により作成された事業報告書は、機構ホームページ等において広く公開される予定である。これらの取り組みを通して、後続の再生医療等製品の実用化のための基盤整備が促進されることが期待される。<br>主な成果としては、大日本住友製薬が代表者と努めるパーキンソン病に iPS 細胞由来神経細胞製剤の開発において、共同研究者である日立製作所が開発した iPS 細胞大量自動培養装置が、GCTP 省令 に適合した製品製造が可能な装置（「iACE2」）として国内で初めて製品化した。また、大阪大学宮川特任教授ら研究グループは、大日本印刷株式会社と共同で、人工知能（AI）技術を応用した、再生医療等製品に対するマイコプラズマ 否定試験を自動で判定する細胞画像解析ソフトを開発した。<br>・再生医療シーズ開発の産業化を促進するため、「再生医療シーズ開発加速支援」では、ベンチャー含む民間企業が進める再生医療のシーズ開発において、臨床開発に進むために必要な薬事規制に沿った非臨床試験や製造工程の整備等を早期段階から行うための支援を平成 30 年度より開始した。<br><br>■国際標準化機構（ISO）での再生医療に関する検討<br>・「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、細胞製造プロセスの構築に加え、細胞製造システムに関連 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | する ISO/TC276/WG4 （Bioprocessing）及び ISO/TC198/WG9（Aseptic processing）において、日本発提案を日本主導で国際標準化のステージを着実に進めた。また、再生医療等製品製造工程管理に大きく影響する細胞数／品質管理の国際標準化戦略を考慮し、ISO/TC276/WG3（Analytical methods）へも日本発の関連文書提案を進めた。 | | | |
| また、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する。 | また、新薬開発の効率性の向上を図るために、様々な疾患の患者体細胞からの疾患特異的 iPS 細胞の樹立及びバンクへの寄託を行い、バンクの機能充実を図るとともに、多くの研究者、企業等が創薬等研究を実施できる基盤を構築し、疾患の病因や病態解明を行う研究、創薬を視野においた治療法の開発を目指す研究を推進する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■疾患特異的 iPS 細胞の樹立/利用基盤構築とそれらを用いた研究の推進<br>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」のなかで、平成 29 年度から開始した「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」において、研究拠点（14 件）、1 件の iPS 細胞樹立課題（健常人の iPS 細胞樹立・寄託）を採択し、支援・進捗管理を行った。<br>これまでに、<br>・進行性骨化性線維異形成症（FOP）への医師主導治験（平成 29 年度）<br>・筋萎縮性側索硬化症（ALS）への医師主導治験（平成 30 年度）<br>・Pendred 症候群（難聴やめまい、甲状腺腫を引き起こす遺伝性の希少難治性疾患）への医師主導治験（平成 30 年度）<br>が開始された。また、京都大学 iPS 細胞研究所　井上治久教授らは、「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究（旧プログラム）」等の支援を受け、疾患特異的 iPS 細胞を用いたスクリーニングを行った結果、ALS への治験を開始した。<br><br>・多くの研究者・企業に活用される環境を整備するために 1 件のバンク活用促進課題を採択し、疾患特異的 iPS 細胞等の寄託を受けるバンクの運営体制を構築した。その結果、819 患者由来の 402 疾患、3388 株の寄託を受け、119 疾患における 364 株、499 本を提供した（平成 30 年度 2 月現在）。また寄託された疾患特異的 iPS 細胞のリストを平成 30 年 1 月にウェブ上で一般公開した。 | 【疾患特異的 iPS 細胞の樹立/利用基盤構築とそれらを用いた研究の推進】<br>・疾患特異的 iPS 細胞を活用した創薬研究において、我が国で世界初となる治験が開始されたことは、評価できる。 | | |
| また、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う。 | また、iPS 細胞技術を応用して催不整脈作用等の予測が可能な心毒性評価手法の開発を進め、ICH ガイドラインの改訂に向けて国際標準化への対応を促進する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞ | ■iPS 細胞技術を応用した心毒性評価手法の開発と国際標準化<br>RS<br>・医薬品等規制調和・評価研究事業において、iPS 細胞技術を応用したヒト心筋細胞を用いて開発した心毒性評価法については、産官学が協力した研究班で検証試験等を実施し、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞はヒト心電図データを反映すること、精度よく催不整脈リスクを予測できることを明らかにした。また、国際検証試験に参加して、米国 FDA らとともにヒト iPS 細胞由来心筋細胞の評価系に関して再現性や有用性を明らかにした。国内外 | 【iPS 細胞技術を応用した心毒性評価手法の開発と国際標準化】<br>・心毒性評価系の国際検証試験等を実施し、国際共著論文が採択され、その成果をもって国際的な議論を行うなど、着実に成果を積み上げていることは評価でき | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | ・左記の評価軸に係る取組状況等 | の検証試験等の進捗状況を国際会議などで発表、提案し、国際標準化に向けて国際的な議論を行った。さらに、2018 年 11 月に開催された ICH において、S7B 及び E14 ガイドラインに関する作業部会が設置され、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞等を用いた新しいアプローチの利用可能性を検討することがコンセプトペーパーに記載された。国際コンソーシアムや ICH 作業部会等と連携しながら、引き続き、検討を進めている。 | る。 | | |
| | さらに、幹細胞による創薬支援の実現化を支える産業基盤を構築する。 | さらに、創薬プロセスにおける安全性評価に活用可能な、幹細胞を用いた創薬スクリーニングシステムの開発等により、創薬支援の実現化に向けた産業基盤の構築を支援する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■幹細胞による創薬支援の実現化を支える技術基盤の構築<br>・「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 年度から「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、研究拠点（14 拠点）、iPS 細胞樹立課題（健常人の iPS 細胞樹立・寄託）、バンク活用促進課題（iPS 細胞の活用される環境整備）を採択した。<br>　また、多くの研究者・企業に活用される環境を整備するために 1 件のバンク活用促進課題を採択し、疾患特異的 iPS 細胞等の寄託を受けるバンクの運営体制を構築した。その結果、819 患者由来の 402 疾患、3388 株の寄託を受け、119 疾患における 364 株、499 本を提供した（平成 30 年度 2 月現在）。また、寄託された疾患特異的 iPS 細胞のリストを平成 30 年 1 月にウェブ上で一般公開した。<br>・「再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発」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各種臓器細胞をチップ等のデバイス上に搭載することで、医薬品候補化合物の安全性や薬物動態等の評価が可能な新たなシステムの基盤技術を開発している。ユーザー（製薬企業）ニーズを踏まえ、デバイスのプロトタイプを開発すると共に、iPS 細胞由来の各種臓器細胞の高機能化を図る等、要素技術の開発を進めた。 | 【幹細胞による創薬支援の実現化を支える技術基盤の構築】<br>・バンク機関としての機能が定着し、寄託数、提供数とも着実に伸びてきており、創薬支援の実現化を支える技術基盤が構築されてきていることは評価できる。<br>・候補化合物の安全性や動態を<br>評価する技術として、ユーザーとして想定しうる医薬品企業等も巻き込んだ上で研究を進めており、評価出来るものである。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・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）<br>・再生医療等製品の薬事承認数の増加<br>・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大35件<br>・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化<br>・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<br>を目指すものとする。 | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・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）<br>・再生医療等製品の薬事承認数の増加<br>・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大35件<br>・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化<br>・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<br>を目指すものとする。 | ＜評価指標＞<br>【2020 年までの達成目標】<br>・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）<br>・再生医療等製品の薬事承認数の増加<br>・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大　35 件<br>・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化<br>・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<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・応募件数及び採択件数<br>・事業に参画している研究者延べ人数<br>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数<br>・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 | ■医療分野研究開発推進計画　達成すべき成果目標（KPI）<br>・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）：<br>患者の細胞から作成した iPS 細胞を誘導し、目的の細胞を再現することに成功したことにより、病態解明や治療薬候補化合物の探索を行うことが出来るようになった。これにより、これまで治療が困難と思われてきた疾患への治療薬候補の探索が容易になり、いくつかの疾患に対して、治験が開始された。① 京都大学 iPS 細胞研究所　戸口田教授らグループが行った、進行性骨化性線維異形成症（FOP）へのリンパ脈管筋腫症の治療で使用されているシロリムスの治験をはじめ、② 慶應義塾大学医学部耳鼻咽喉科学教室の小川郁教授、藤岡正人専任講師らが生理学教室（岡野栄之教授）との共同研究の上で、Pendred 症候群に対する、シロリムスの治験の実施、③ 慶應義塾大学病院神経内科診療科部長の中原仁教授、診療科副部長の高橋愼一准教授らが生理学教室（岡野栄之教授）との共同研究の上で、ALS へのロピニロール塩酸塩の治験を開始、④京都大学 iPS 細胞研究所　井上治久教授らによる、疾患特異的 iPS 細胞を用いたスクリーニングにより、ALS へのボスチニブの治験を開始した。<br><br>・再生医療等製品の薬事承認数：<br>これまで承認された① ヒト（自己）表皮由来細胞シート（「ジェイス」（株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「重症熱傷」）、② ヒト（自己）軟骨由来組織（「ジャック」（（株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「膝関節の外傷性軟骨欠損症と離断性骨軟骨炎（変形性膝関節症を除く）」に加え、H27 年度に③ 条件・期限付承認としてヒト（自己）骨格筋由来細胞シート（「ハートシート」（テルモ株式会社）「虚血性心疾患」）、④ ヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞（「テムセル HS 注」（JCR ファーマ株式会社　「GVHD」）、H28 年度に ⑤ 適応追加としてヒト（自己）表皮由来細胞シート（「ジェイス」（株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「先天性巨大色素性母斑」）、H30 年度に、⑥ 条件・期限付承認としてヒト(自己)自己骨髄間葉系幹細胞「ステミラック注」（ニプロ株式会社）「脊髄損傷」）が承認された。また、⑦ヒト（自己）表皮由来細胞シート（「ジェイス」（株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「表皮水疱症」の適応が追加された。<br><br>・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大：<br>「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、累計で 42 件（対象疾患数：37 疾患）となった。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | （内訳）<br>① 文部科学省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」等での支援<br>により、臨床研究段階又は治験段階へ移行した課題<br>2013 年度：5 件、2014 年度：2 件、2015 年度：1 件、2016 年度:1 件<br>② 厚生労働省「再生医療実用化研究事業」等での支援等により、臨床研究又は治験へ移行した<br>課題<br>2013 年度：4 件、2014 年度：6 件、2015 年度：3 件、、2016 年度:6 件、2017 年度: 3 件、<br>2018 年度:11 件<br><br>・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化の状況：<br>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」からは① 日立製作所が iPS 細胞自動培養装置を、② 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、③ 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。<br>また、④ リプロセルは、生物由来原料基準をクリアし、再生医療向けとして臨床実験に使用可能なヒト iPS 細胞用培養液「ReproMedTM iPSC Medium」を発売開始した。<br>文科省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム技術開発個別課題」からは、マトリクソームが⑤-1 細胞培養基質のラミニンの高純度精製品 iMatrix-411、⑤-2 希釈操作が不要な Easy iMatrix-511、⑤-3 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。<br>また、⑥ 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」を和光純薬工業が「Fluclair™」として商品化した。<br><br>・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：<br>国内の大規模検証試験により、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞はヒト心電図データを反映すること、精度よく催不整脈リスクを予測できることを明らかにした。また、国際検証試験に参加して、米国 FDA らとともにヒト iPS 細胞由来心筋細胞の評価系に関して再現性や有用性を明らかにした。国内外の検証試験等の進捗状況を国際会議などで発表、提案し、国際標準化に向けて国際的な議論を行った。さらに、2018 年 11 月に開催された ICH において、S7B 及び E14 ガイドラインに関する作業部会が設置され、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞等を用いた新しいアプローチの利用可能性を検討 | | | |

| | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | <table><tr><th></th><th>H27 年度</th><th>H28 年度</th><th>H29 年度</th><th>H30 年度</th><th>合計</th></tr><tr><td>○応募件数</td><td>62</td><td>231</td><td>228</td><td>265</td><td>786</td></tr><tr><td>○採択件数</td><td>39</td><td>42</td><td>79</td><td>65</td><td>225</td></tr><tr><td>○事業に参画している研究者延べ人数</td><td>400</td><td>900</td><td>900</td><td>900</td><td>3,100</td></tr><tr><td>○PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数</td><td>46</td><td>30</td><td>30</td><td>27</td><td>133</td></tr><tr><td>○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</td><td>24</td><td>45</td><td>45</td><td>55</td><td>169</td></tr></table>することがコンセプトペーパーに記載された。国際コンソーシアムや ICH 作業部会等と連携しながら、引き続き、検討を進めている。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(2)―⑤ | (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<br>⑤オーダーメイド・ゲノム医療 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | 重要度、優先度等は高い | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | 健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、復興-0062、厚生労働省 884-5） |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 応募件数 | | 24 件 | 119 件 | 34 件 | | |
| 採択件数 | | 8 件 | 30 件 | 5 件 | | |
| シンポジウム等の開催件数 | | 0 件 | 3 件 | 6 件 | | |
| サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数 | | 37 件 | 43 件 | 120 件 | | |
| PS/PO 会議実施回数 | | 17 件 | 27 件 | 23 件 | | |
| 生活習慣病の劇的な改善、発がん予測診断等の治療反応性や副作用の予測診断の確立、うつ・認知症ゲノム医療に係る臨床 | 少なくとも１つ以上達成 | 0 件 | 0 件 | 0 件 | | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 7,990,616 | 10,574,283 | 12,342,273 | 9,230,792 | |
| 決算額（千円） | 7,147,390 | 11,282,378 | 12,229,057 | 9,299,125 | |
| 経常費用（千円） | 7,148,876 | 11,242,578 | 12,290,430 | 9,379,508 | |
| 経常利益（千円） | 0 | 0 | 41 | 0 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 7,148,876 | 11,242,578 | 12,237,709 | 9,315,605 | |
| 従事人員数 | 7 人 | 18 人 | 13 人 | 9 人 | |

| | | | | | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 研究の開始、神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発（2020 年頃まで） | | | | | | | | | | | | | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

| ３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価 | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | |
| | | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） |
| | | | | | | 評定 | | 評定 |
| | 急速に進むゲノムレベルの解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図るとともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。<br>その際、ゲノム医療の実現には時間を要することから、長期的視点に立って戦略的に推進する。<br>具体的には、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 | 急速に進むゲノムレベルの解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図るとともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。<br>その際、ゲノム医療の実現には時間を要することから、長期的視点に立って戦略的に推進する。<br>具体的には、疾患及び健常者バイオバンクを構築するために、全国の患者及び東日本大震災の被災地の住民の協力を得て、生体試料や臨床情報等を収 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ＜主要な業務実績＞<br>■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）<br><br><u>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</u><br>・同意に基づき宮城県・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しており、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は計画通りに完了（地域住民コホート調査では平成 27 年度までに累計 8 万人、三世代コホート調査では平成 28 年度までに累計 7 万人の目標を達成）している。平成 29 年度には、三世代コホート調査について、里帰りや転院等で情報が得られなかった方を対象に 0.2 万人の出生確認を行い、累計数が 7.3 万人に達した。<br>・平成 29 年 6 月からは参加者に対する追跡・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 万人実施し、当初の目標を達成するとともに（平成 29 年度目標数 宮城県 1.75 万人、岩手県 0.6 万人）、平成 30 年度は宮城県では地域住民と三世代成人・子供をあわせ 2.34 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 0.73 万人実施し、当初の目標を達成した。（平成 30 年度目標数 宮城県 2.3 万人、岩手県 0.6 万人） | ＜評定と根拠＞<br>評定：A<br><br>【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】<br>・健常者バイオバンクの構築については、東北メディカル・メガバンク計画において、すでに構築済みの 15 万人規模の健常者バイオバンクに加え、追跡・詳細二次調査を計画通り実施、日本人の全ゲノムリファレンスパネルを 3.5KJPNv2 にまで拡充、日本人のゲノム研究に欠くことのできない日本人基準ゲノム配列 JG1 の公開など着実に取組を実施した点は高く評価できる。<br>・BBJ、NCBN と連携し、メタボローム解析の世界標準化およびデータ分譲への取組に加え、バイオバンクの試料・情報の利活用の一環としてセキュリティは担保しつつも積極的に各種データ分譲対象の拡大や解析ツール | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 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る。 | 集する。疾患の発症原因や薬剤反応性等の関連遺伝子と遺伝的要因の関連を明らかにするため、収集した生体試料及び臨床情報を活用し、疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定等に関する研究を推進する。日本人の標準ゲノム配列の特定を進めるために、協力者から提供頂いた生体試料を用いて全ゲノムデータ解析を行う。 | | ・試料・情報分譲について、平成 28 年度までに 1 万人規模の全ゲノムリファレンスパネルの対象者について、DNA、健康調査情報、ゲノム配列情報の分譲を開始しているが、平成 29 年度はさらにこれを拡大し、2.3 万人規模の SNP アレイ解析とインピュテーション技術により復元したゲノム配列情報または次世代ゲノムシークエンサー解析によるゲノム配列情報、試料、血液・尿検査情報、アンケートの調査票由来の罹患歴、生活習慣情報などの健康調査情報の分譲を平成 29 年 2 月より開始、岩手県地域住民 8300 人分の生体試料、生理機能検査情報などの分譲受付を平成 30 年 3 月に開始した。平成 30 年度末時点の累計で、分譲 21 件、共同研究 129 件、商用利用 1 件が承認されている。また、今後全国の研究者が、遠隔地から東北メディカル・メガバンク機構のスパコンにアクセスして、個人毎の遺伝子変異情報などの個人同定性の高い情報を、セキュリティを担保しつつ利活用できるようにするために、平成 27 年度第 2 回調整費により、複数の研究機関について VPN 拠点の整備に着手し、平成 30 年度末までに累計 19 拠点の遠隔セキュリティルームからVPN回線を介したアクセスが可能になり、前年比 2.16 倍の利用促進効果があった。。<br><br><u>ゲノム医療研究のための基盤構築と提供</u><br>・日本人標準ゲノム配列を特定することは、日本人特有のゲノム配列も考慮したゲノム解析ができる基盤として極めて重要であり、日本人全ゲノムリファレンスパネルの規模と精度の拡充を目指した。他コホートとの連携のもと、数千塩基以上の構造多型を詳細に解明するため、合計 3 人の日本人について、平成 30 年度にはこれまで全ゲノム解析に広く利用されてきた国際基準ゲノム配列の問題点を根本的に解決した日本人基準ゲノム配列（JRGA）の初版となる JG1 構築に成功し、2 月に公開した。前バージョン JRGv2 に比べ月平均 DL 率が約 660%up するなど反響も大きく、これにより日本人全ゲノムリファレンスパネルの精度向上、がんゲノム解析、さらには日本人特有の疾患感受性や薬剤感受性に寄与するゲノム配列変化の解明などが大きく進展することが期待できる。<br>・これまで、コホート調査参加者の全ゲノム解析により構築し、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・公開した。平成 30 年度には 6 月に X 染色体・ミトコンドリアゲノム上の 200 万個を | 等の公開を実施しており、新たなバイオバンクの在り方として非常に先導的であり評価できる。<br><br>【患者のバイオバンクの構築】<br>・疾患バイオバンクとして、患者の DNA・臨床情報や生体試料の取集を着実に進め、品質の取組みにも取り組むとともに、平成 30 年度からは、ゲノム研究バイオバンク事業として、試料・情報の一層の利活用促進を通じたゲノム研究の推進を図っており、評価できる。<br><br>【ゲノム研究プラットフォームの構築】<br>・研究支援に特化した活動を効果的に展開するため、有識者によるモニタリング・ボード及び分科会を核とする PDCA 実施体制を構築し、運用を開始した点は評価できる。<br>・ゲノム医療研究支援として、バイオバンクの一覧をはじめ、研究基盤となる「バイオバンク」「情報」「ELSI」それぞれの整備に尽力している研究者にも注目する情報ポータルサイトを構築したことも評価できる。。<br>・さらに、データシェアリング推進にあたり、データシェアリングポリシーの適用拡大やデータシェアリングの国際連携を進めるとともに、JST-NBDC 及び DDBJ 等の関係機関と協働し、AGD を構築したことは高く評価できる。<br><br>【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 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 超える一塩基バリアント（SNV）を発見しパネルに収載し、国際標準に準拠したデータ解析手法に更新した 3.5KJPNv2 をリリースし、11 月にはこれを拡張し、研究コミュニティから問い合わせの多かったゲノムの挿入・欠損配列（insertion and deletion ： Indel）の頻度情報に加え、1 塩基毎の平均深度データ、変異情報をタンパク質立体構造上にマッピングするツール、全ゲノム解析済み約 4000 人のゲノム解析レポジトリ情報等を公開し、3.5KJPN に比べ 3.5KJPNv2 の月平均 DL 率が 139%up した。全ゲノムリファレンスパネルにより、未診断疾患イニシアチブ（IRUD）全体で 2700 例以上の未診断疾患の方について半年以内に解析結果を返却可能とすることに貢献した。<br>・従前は日本人 1,000 人規模の血漿オミックス解析データを元に参照パネルを作成していたところ、平成 29 年度までに、コホート調査に参加した日本人 5,093 人分の血漿オミックス解析を完了、平成 30 年度は血漿中代謝物やタンパク質の分布情報などを含むオミックス情報を 1 万人超に拡張し、jMorp で公開した。これにより、代謝物の分布が飛躍的に高精度となり、参照パネルとしての信頼性を大幅に向上させ、前年度比 2.7 倍の jMorp 利用実績を得た。<br>・エピゲノム解析の標準化およびデータ分譲のため、多目的コホート研究（JPHC Study）、日本多施設共同コホート研究（J-MICC STUDY）、久山町研究、山形大学分子疫学コホート研究、鶴岡みらい健康調査、バイオバンク・ジャパン（BBJ）、ナショナルセンターバイオバンクネットワーク（NCBN）と連携し、異なる検体処理方法による影響を補正する手法を開発した。平成 30 年度は、さらに機能不明な遺伝子多型の意味付けのため、末梢血単核球（PBMC）約 400 名の多層オミックス解析を実施し、DNA メチル化、または遺伝子発現に影響を与える多型についての全ゲノム網羅的関連解析（mQTL、eQTM、eQTL）を行い、データベースにて公開した。さらに、これまでに蓄積した知見をもとに小規模なエピゲノム関連解析を実施し、DNA メチル化マーカーの同定に有用な DNA メチル化キャプチャプローブセットの情報を合わせて公開した。<br>・超高齢化社会の到来で問題となっている認知症を含む精神・神経疾患関連遺伝子研究など、喫緊に対処すべき多因子疾患研究を加速させ、産官学が一体となった真のオールジャパンのゲノム医療を活性化させるため、大規模ゲノムデータの解析と分譲を前倒しで実施することとし、ゲノム抽出～分注パイプラインの並列化・情報管理化によりゲノム解析に至るラインを増強、アレイ解析（0.35 万人分）に | の同定等に関する研究の推進】<br>・本研究により開発した手法を用いて、今まで疾患原因となるゲノム変異が同定されたこと、新規抗パーキンソン病薬の発見、2 型糖尿病について日本人特異的な異領域の発見など、順調に進捗している。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | より導入システムを検証（平成29年度第2回調整費）、平成30年度はそれを駆使し6.2万人の解析を実施（平成30年度第1回調整費）、MRI撮像も1万人を超えるなど軽度認知症のための解析基盤確立に向け、取得データのクリーニングを行っている。MRI撮像1万人超のアナウンスを実施機関HPに掲載後2ヶ月でアカデミア以外に企業の問い合わせが2件あるなど、当該分野におけるMRI画像データを含む分譲への期待感が高まっている。<br><br>■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）<br><br><u>バイオバンクの構築に向けた患者のDNA・臨床情報の収集</u><br>・東京大学医科学研究所のバイオバンクジャパンでは、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：68,516件、DNA採取数：67,294件）<br>【バイオバンクの利活用の促進】<br>・平成30年度より、ゲノム研究バイオバンク事業として、公募にて採択した東京大学医科学研究所により、これまでに構築したバイオバンクジャパンの試料・情報をユーザーへ効果的に分譲するためのデータベースや検索システムの開発と運用を開始した。平成 30 年度は従来の実績を大きく上回る配布を行った。（DNA88,867件、血清3,771件、臨床情報・ゲノム情報 27,072 件、検索システム利用 574件）<br>・さらに、バンク試料の活用幅を広げる血清パネルの作成に着手し、2019年度からの配布開始の準備を整えた。<br><u>病理組織検体の品質管理に向けた取組</u><br>・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ール（「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27年度～平成29年度）<br><u>血清・血漿検体の品質評価に向けた取組</u><br>・バイオバンク・ジャパンに収集された血清検体の採血から保存までの管理状態、保存状態を評価するため、東北メディカル・メガバンク計画および NCBN と連携して、プロテオミクスを用いた新規安定性マーカーとそれを利用した評価手法を開発した。評価手法の開発にあたっては、日本製薬工業協会の意見を聴取し手法へ反映した。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ■ゲノム研究プラットフォームの構築<br>・政府のゲノム医療実現推進協議会「中間とりまとめ」（平成 27 年 7 月）を受け、「AMED ゲノム医療研究支援機能」を始動し、その一環として、バイオバンク等の利活用の促進に向け、次の取り組みを行った。<br>・関係各省と連携により、AMED が既存のバイオバンク・地域コホート等の研究基盤と個別疾患研究のマッチングや連携の仲介役を果たし、様々な研究の支援を行うため、外部有識者（PD・PS・PO 等）からなる「ゲノム医療研究支援モニタリング・ボード」を実施した。平成 29 年度からは、その機能を包含する形での PD/PS/PO 会議を開催した。<br><br><u>データシェアリングの推進</u><br>・ゲノム情報を用いた医療の実現に向け、平成 27 年度より準備を行い、データシェアリングポリシーを策定し、平成 28 年 4 月に公開した。「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト」において、研究課題の公募の際に、研究の計画等に加えデータマネジメントプランを提出することを義務づけた。当該プランには、登録するデータベース、登録の時期、対象データの種類、規模及び公開・共有の範囲等について記載され、公募時の評価の対象とし、その遂行状況について研究代表者から報告を受けることとし、平成 28 年度公募事業である「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」、「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」、「ゲノム医療実用化推進研究事業」に適用を開始した。さらに、平成 29 年には、難病克服プロジェクトへの展開を支援した。また、データマネジメントプランについて、平成 30 年度より、機構の、研究データを整理・体系化（データベース化）する必要がある事業に適用拡大を行った。<br>・データシェアリングの推進の一環として、研究成果に紐付くゲノムデータ等の迅速、広範かつ適切な共有・公開を推進していくため、JST バイオサイエンスデータベースセンター（NBDC）、国立遺伝学研究所 DDBJ センターの協力の下、ゲノムデータ等を制限共有データベースとして構築した AGD（AMED Genome group sharing Database）について運用を継続した。<br>・国際的なデータシェアリングによる疾患解明を進めるため、ゲノム情報の国際標準化とデータシェアリングを目的とした国際活動である GA4GH（Global Alliance for Genomics & Health）との協力関係を強化した。具体的には、オーダメイド・ゲノム医療に関わる各種事業をパッケ | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ージ化して「GEM-Japan」プロジェクトとして位置づけ、平成31年2月より、GA4GHの基幹プロジェクトとして、GEM-Japanが参画した。これにより今後、英国、米国等のバイオバンクとのデータシェアリングの加速が期待される。・臨床ゲノム情報統合データベース事業をはじめとして、ＡＭＥＤが支援するすべてのゲノム研究課題でのデータシェアリングに資するため、東北メディカル・メガバンク機構に設置しているスパコンのＡＭＥＤ採択課題での共用利用を継続して行った。<br>・大量のゲノムデータを高速に解析するための電算資源の整備を進め、供用の促進を図っている。<br><br><u>バイオバンク連携</u><br>・ゲノム医療実現に向けた研究の推進のため、バイオバンク横断的な試料・情報の利活用促進環境を整備し、オールジャパンのプラットフォームを構築することを目的として、ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業において、ゲノム研究プラットフォーム利活用システムの公募を行い、5課題を採択した。3大バイオバンク（BBJ、TMM、NCBN）を中心に、それらを補完する特色を持った中核的な大学病院等の診療機関併設バイオバンクのネットワーク化を実現し、試料・情報の横断的な検索及び標準的かつ効率的な利用手続きを可能とすることにより、研究基盤としての利活用環境を整備する事を目指す。<br><br><u>研究者間の情報共有の促進</u><br>・研究基盤と研究者をつなぐため、国内のバイオバンク・コホートの保管試料の種類や量等を一覧表示する機能や、その他情報基盤、ELSI関係の情報発信機能等を備えた情報ポータルサイトを、平成29年4月に開設し、運用している。<br><br><u>ELSIに関する活動</u><br>・ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業をはじめとする各省連携プロジェクト「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト」の推進の一環として、ゲノム医療研究において生じうる倫理的・法的・社会的諸課題（ELSI ：Ethical, Legal and Social Issues）の問題解決を推進するため「先導的ELSI研究プログラム」を設定し、研究開発を推進した。また、ゲノム医療研究やそれにまつわるELSIに関する国民理解の促進を図るとともに次世代のELSI研究者の育成を目指した「研究倫理に関する情報共有と国民理解の推進事業（ゲノム医療実用化に係るELSI分 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 野)」の研究開発を実施した。<br><br>■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<br>・ゲノム医療実現推進プラットフォーム研究事業（先端ゲノム研究開発）では、平成 28 年度に 8 課題、平成 30 年度に 2 課題を採択し、各課題を継続した。平成 28 年度採択課題については、平成 30 年度に中間評価を行い、全課題について、研究の継続が認められており、次の成果も得られている。<br>・本研究により開発した手法を用いて、今まで疾患原因となるゲノム変異が発見できなかった家族性ミオクローヌスてんかん罹患者の疾患関連遺伝子において、新規の構造異常が本疾患の原因として同定された。<br>・双極性障害の家系における発解析を行い、ある遺伝子の機能不全変異を見出し、「セロトニンの異常と活性化双極性障害の関係」を見いだした。<br>・GWAS データとインシリコデータベースを活用したインシリコ drug スクリーニング法を開発し、vitro と動物モデルにおいて神経細胞死抑制効果を示す新規抗パーキンソン病薬を発見した。<br>・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認めた。88 個の領域を同定し、28 領域がこれまでに報告されていない新規領域であり、さらにうち 2 領域は日本人特異的な領域であった。 | | | |
| | また、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るとともに、ゲノム情報を生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する。 | また、難治性・希少性疾患･未診断疾患等の原因遺伝子の探索を図るため、国内の医療･研究機関及び国際機関等並びにその研究コミュニティーと緊密な連携を進める。また、ゲノム情報を生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支援する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞ | ■難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索　＞臨ゲノ<br>・平成 28 年度に開始した、臨床ゲノム統合データベース整備事業により次の成果が得られた。<br>・４つの疾患領域（希少・難治性疾患、がん、感染症、認知症・感覚器）を対象に、クリニカルシークエンス等の実施体制及び臨床情報とゲノム情報等を集積したデータストレージとそれらの情報を集約する体制を整備した。<br>・難聴では、若年発症型両側性感音難聴の遺伝学的検査が保険収載された（平成 30 年 11 月）。<br>・がん領域で開発した「NCC オンコパネル」は、先進医療Ｂを経て体外診断用医薬品･医療機器として製造販売承認を取得した（平成 30 年 12 月）。<br>・がん領域で開発した「Todai オンコパネル」は、先進医療Ｂを実施中（平成 31 年３月時点）。<br>・希少・難治疾患の新たな疾原因遺伝子を同定した。 | 【難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索】<br>・臨床ゲノム統合データベース整備事業により、がん領域で開発した「NCC オンコパネル」は、先進医療Ｂを経て体外診断用医薬品・医療機器として製造販売承認を取得したことは評価できる。<br><br>【臨床ゲノム情報統合データベースの整備】<br>・４つの疾患領域（希少･難治性疾患、がん、感染症、認知症･感覚器）を対象に、クリニカルシーク | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | ・左記の評価軸に係る取組状況等 | ・感染症領域では、B 型肝炎ワクチン応答性に関わる遺伝的要因、慢性 B 型肝炎の感染から発がんに転化する遺伝的要因を解明した。<br>・東北メディカル・メガバンク計画において、未診断疾患イニシアチブ（IRUD）診療体制と連携し、病因解明のための病的変異の絞り込みに必須な健常人コントロールとして、全ゲノムリファレンスパネルの全 1 塩基バリアントをはじめとするバリアント頻度情報の提供を継続して行った。未診断疾患イニシアチブ（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を返却可能とすることに貢献した。<br>・IRUD、難プラと連携して、疾患関連変異のデータ共有を推進する。<br><br>■臨床ゲノム情報統合データベースの整備<br>・「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、クリニカルシークエンスにより見いだされた疾患感受性バリアント情報を疾患横断的に集約した統合データベース MGeND（Medical genomics Japan Variant Database）を構築し、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）において行われたゲノム解析結果を登録、日本人の疾患感受性バリアント情報を公開した。<br>・MGeND に登録されたデータの品質管理の体制整備を進める。<br><br>■革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究の推進<br>・ゲノム医療実用化推進研究事業において、がんの個別化治療のためのクリニカル・シークエンス（FFPE のシークエンス）を行い、解析結果はエキスパート会議にて臨床的意義づけを行い、主治医に報告した。また、米国 CLIA 準拠の遺伝子検査室を医療機関内に初めて開設し、実診療に近い形で 100 例の解析を行い、品質が確保された結果を担当医に報告するまでの時間を短縮した。<br>・がんの個別化予防のためのクリニカル・シークエンスでは、遺伝性腫瘍あるいはそれを疑われる症例に対する既知の原因遺伝子の変異検索法として汎用性のある多遺伝子パネル NCConcopanel FCv1.0 の作製に加え、基本的に公開されているツール群を組み合わせて多遺伝子パネルのデータの品質検査・変異コール・アノテーションを行う GUI である csDAI を開発した。<br>・クリニカル・シークエンスの現場の状況把握に基づく検討 | エンス等の実施体制及び臨床情報とゲノム情報等を集積したデータストレージとそれらの情報を集約する体制を整備したことは評価できる。<br><br>【革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究の推進】<br>・計画通りの成果が得られており、評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | から、疾患領域や施設により偶発的所見等の捉え方や方針等の相違・多様性があり、現時点で日本として１つのポリシーを示すことは時期尚早と結論づけられた。しかし偶発的所見等の返却を判断する際の考え方の共通の枠組として、判断チャートや返却のフロー図（案）を提案した。また、共通の課題として、① 最終判断としての返却について付議を行ったり、あるいは相談を求めたりするべき組織と、② 患者のみならず血縁者の長期的追跡・支援を行えるシステムを整備する必要があることが明らかになった。 | | | |
| | さらに、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する。 | さらに、主治医を通じて患者に成果を還元するためのゲノム医療実現に向けたシステム等の研究基盤の整備や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する。これらを実現するために必要な、ゲノム解析で得た個人の遺伝情報について、返却を行う場合のインフォームド・コンセント及び結果開示方法等、ゲノム医療実現に不可避な具体的課題の解決に向けた研究等を実施する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■ゲノム医療提供体制の構築に向けた研究の推進<br>・ゲノム情報の医療への実利用を進めるため、平成 29 年度よりゲノム創薬基盤推進研究事業により、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。<br><br><u>ゲノム創薬及びその推進に係る課題解決に関する研究（PGx 実施に向けた診断キット等の研究開発）</u><br>・炎症性腸疾患、白血病、リウマチ性疾患、臓器移植後の治療におけるチオプリン製剤の重篤な副作用の予測に有用な NUDT15（Nudix Hydrolase 15）遺伝子多型を検出するキット（製品名：MEBRIGHT NUDT15 キット、以下「本キット」）を開発し、世界で初めて体外診断用医薬品として製造販売承認（平成 30 年 4 月 6 日）を取得し、同年 7 月 2 日に発売した。さらに、平成 31 年 1 月 16 日に保険収載され、2 月から保険適応となった。<br>・HSD17B4 メチル化診断キットを完成させ、HER2 陽性乳癌のみならず、全てのサブタイプで適用可能なマーカーが得られた。<br><br><u>ゲノム創薬及びその推進に係る課題解決に関する研究（診断法・治療法等の研究開発）</u><br>・ファブリー病、嚢胞性線維症、cbl-E 型ホモシスチン尿症、先天性 QT 延長症候群 I 型をはじめとする多数の遺伝病関連変異がスプライシング制御化合物（RECTAS、TG003）により正常遺伝子産物の回復が見込めることを見いだした。先行して解析を行い非臨床 POC が確認できた家族性自律神経失調症（FD）については、臨床治験に向けた導出交渉に着手した。<br><br><u>ゲノム創薬研究の推進に係る課題解決に関する研究（検査品質・精度確保課題、ゲノム情報患者還元課題、人材育成課題）</u> | 【ゲノム医療提供体制の構築に向けた研究の推進】<br>・副作用予測を可能にする遺伝子検査キットの開発を進め、保険収載まで至ったこと、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提言（その１及びその２）を策定したことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・保険収載された NUDT15（Nudix Hydrolase 15）遺伝子検査を副作用の予測以外に、投与量の設定など個別化医療のツールとして最大限に活用する方法を検討する。<br>・MGeND をはじめとしたゲノム情報等を創薬等へ利活用する研究等を支援するため、網羅的生体情報を活用したゲノム診断・ゲノム治療に資する研究の公募を開始する（2019 年度開始） | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・バイオバンク国際標準規格 ISO20387 を平成 30 年 8 月に発行した。また、ゲノム解析技術を対象とした ISO15189 施設認定プログラムの構築に必要なガイダンス文書を作成し、現地実技試験に使用する標準試料の開発・作製を行った。<br>・「ゲノム医療における情報伝達プロセスに関する提言 -その１：がん遺伝子パネル検査を中心に-（改訂版）」及び「ゲノム医療における情報伝達プロセスに関する提言 -その２：次世代シークエンサーを用いた生殖細胞系列網羅的遺伝学的検査における具体的方針（初版）」を公開した。<br>・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（ひと目でわかるがんゲノム看護師、薬剤師、検査技師の仕事）を作成し、HP 上で公開した。豊岡班 7 大学主催による研修会を実施し、がん／非がんの基本的なゲノム知識を兼ね備えた横断的な医療従事者の掘り起こしと底上げを図った。また、データサイエンティストの知識／技能の底上げのため、平成 29 年度、平成 30 年度に続き、31 年度引き続き短期集中研修（2 泊 3 日合宿）を行う予定である。<br><br><u>ゲノム情報を活用した新規創薬ターゲットの探索等の基盤整備に関する研究（創薬探索基盤整備課題）</u><br>・霊長類のデータベース構築に先立ち、既存データを活用したヒト Pre-mRNA／mRNA 及び DNA データベース（テスト版）を構築し公開した（平成 30 年 6 月 27 日）。このテスト版を活用し、昨年発売された本邦初のアンチセンス核酸医薬品スピンラザ（18 塩基配列）のオンターゲット・オフターゲットサイトの検証を行った。また、乳幼児に対する核酸医薬開発が加速してきているため、本事業で計画している成獣カニクイサルに加えて、発生段階にある乳幼児期におけるカニクイサルの pre-mRNA／mRNA データベース、さらに、薬剤応答性の個体差につながる種としての遺伝的な多様性を配慮するために、産地の異なる成獣個体の pre-mRNA／mRNA のデータベース構築も平成 31 年度中に達成する予定である。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・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<br>・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・うつ、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<br>・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<br>を目指すものとする。2020年までに、上記の達成目標のうち少なくとも１つ以上達成することを目指すものとする。 | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・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<br>・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・うつ、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<br>・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<br>を目指すものとする。2020 年までに、上記の達成目標のうち少なくとも１つ以上達成することを目指すものとする。 | ＜評価指標＞<br>【2020 年までの達成目標】<br>・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<br>・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<br>・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<br>・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<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・応募件数及び採択件数<br>・事業に参画している研究者延べ人数<br>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数<br>・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 | ■医療分野研究開発推進計画　達成すべき成果目標（KPI）<br>・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：<br>例えば平成 30 年度までの成果である「複数の薬剤標的遺伝子のタンパク変化を伴う変異」は、薬剤の効果を左右することが想定され、薬剤の選択･最適化にかかるエビデンスとなる。また、「2 型糖尿病の全ゲノム関連解析にて同定された遺伝子について、パスウェイ解析を実施し、インスリン分泌制御機構が日本人に特徴的な病因であることを見いだし」た、ということは、従来問題となっている「治療薬が欧米人には効くが日本人には効かない」原因を示唆するものであり、治療にかかるエビデンスとなり得るものである。<br>また糖尿病の主要な合併症である網膜症と腎症の重篤化にかかる関連解析を実施し、関連性の高いと思われる遺伝子を同定した。これは合併症の抑制に係るエビデンスとなるものである。<br>さらに、平成 30 年度の公募において、糖尿病等にかかる腎臓病の予後層別化と最適化医療の確立を目指して精緻な疾患レジストリーと遺伝･環境要因の包括的解析を実施する課題を採択し、研究開発を開始するとともに、循環器疾患のゲノム医療実現を目指して、本疾患のゲノム解析から社会実装まで目指す課題を採択し､研究開発を開始した。<br><br>・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：<br>「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、がん遺伝子パネルを開発し、クリニカルシークエンスを行うことで治療反応性や副作用の予測診断に必要な基盤的情報を構築している。今年度より NCC オンコパネルや Todai OncoPanel を用いた遺伝子検査を先進医療で開始しており、解析結果に基づいて治療方針を決定するなど、臨床研究を開始した。<br>また､2018 年 12 月 25 日に NCC オンコパネルシステムが体外診断用医薬品・医療機器として承認された。<br>「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い、2018 年 4 月に体外診断用医薬品として製造販売承認を取得、7 月に発売を開始しており、臨床研究を行ったといえる。さらに、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は 2019 年 2 月より | | | |

保険収載になることが 2019 年 1 月に承認された。

なお、平成 27 年度から開始した「オーダーメイド医療の実現プログラム」では、乳がんの原因とされる 11 遺伝子について、バイオバンク・ジャパンにより収集された日本人の乳がん患者群 7,051 人および対照群 11,241 人の DNA を解析し、遺伝性乳がんの「病的バリアントデータベース を構築しており、日本の乳がん患者一人一人にあった治療を行う「ゲノム医療」に貢献すると期待できる。

・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・感覚器系の領域の疾患に対してクリニカルシークエンスを行い、臨床研究を行っている。また、難聴の領域では一部のクリニカルシークエンスが保険収載されている。収集された臨床情報およびクリニカルシークエンスで得られた遺伝子変異情報のうち、非制限公開可能な情報は 2018 年 3 月に公開された MGeND に登録され、公開されている。

・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：

「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では希少・難病疾患に対してクリニカルシークエンスを行い、一部で確定診断を得るなど、臨床研究を行っている。遺伝性筋疾患においては、原因遺伝子をほぼ全てカバーする解析パネル、遺伝子パネルを開発し、遺伝子診断サービスを行った。また、神経難病においては分子遺伝学的背景の解明および全国の症例の診断精度向上に貢献した。収集された臨床情報およびクリニカルシークエンスで得られた遺伝子変異情報のうち、非制限公開可能な情報は 2018 年 3 月に公開された MGeND に登録され、公開されている。

＜モニタリング指標＞

| | H27 | H28 | H29 | H30 |
|---|---|---|---|---|
| 応募件数及び採択件数 | 24 件、8 件 | 119 件、30 件 | 34 件、5 件 | 28 件、7 件 |
| 事業に参画している研究者延べ人数 | 144 | 311 | 148 | 877 |
| PMDA への薬事戦略相談を行 | 0 | 0 | 0 | 2 |

| | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | った研究開発課題数 | | | | | | |
| | | | | 機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数 | 4 | 20 | 15 | 10 | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(2)―⑥ | (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<br>⑥疾患に対応した研究<がん> | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | 重要度、優先度等は高い | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | 健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-6、経済産業省 0036） |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 応募件数 | | 391 件 | 1,246 件 | 644 件 | 723 件 | |
| 採択件数 | | 54 件 | 244 件 | 83 件 | 135 件 | |
| シンポジウム等の開催件数 | | 3 件 | 4 件 | 4 件 | 3 件 | |
| サイトビジット実施/参加回数 | | 279 件 | 290 件 | 291 件 | 265 件 | |
| PS/PO 会議実施回数 | | 8 件 | 15 件 | 19 件 | 16 件 | |
| 革新的ながん治療薬の創出に向けた治験への導出（5年以内） | 10 種以上 | 6 種 | 10 種 | 12 種 | 14 種 | |
| 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治験への導 | 12 種以上 | 9 種 | 20 種 | 21 種 | 26 種 | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 14,916,323 | 14,136,674 | 13,642,840 | 12,815,913 | |
| 決算額（千円） | 14,609,045 | 13,931,411 | 13,446,193 | 12,733,781 | |
| 経常費用（千円） | 14,599,640 | 14,442,670 | 13,649,316 | 12,949,885 | |
| 経常利益（千円） | 0 | 0 | 0 | 0 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 14,599,640 | 14,442,670 | 13,433,496 | 12,736,127 | |
| 従事人員数 | 21 人 | 21 人 | 20 人 | 21 人 | |

| | | | | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 出 | | | | | | | | | | | | |
| | 小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、薬事承認・効能追加 | 1 種類以上 | 0 種 | 0 種 | 0 種 | 0 種 | | | | | | | |
| | 小児がん、難治性がん、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の作成に資する多施設共同臨床試験の実施 | 3 件以上（累積） | 48 件（支援中） | 60 件（支援中） | 1 件 （50 件支援中） | 1 件（50 件支援中） | | | | | | | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

| | 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | | 評定 | | 評定 | |
| | がん対策推進基本計画（平成24 年6月８日閣議決定）に基づき策定された「がん研究10か年戦略」（平成26 年3月関係３大臣確認）を踏まえ、関係省の所管する研究関連事業の連携の下、がんの本態解明等に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する。<br>具体的には、我が国でリードすべき基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に向け | がん対策推進基本計画（平成24 年6月８日閣議決定）に基づき策定された「がん研究10か年戦略」（平成26 年3月関係３大臣確認）を踏まえ、関係省の所管する研究関連事業の連携の下、がんの本態解明等に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する。<br>具体的には、我が国でリードすべき基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に | ＜評価軸＞<br>・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。<br>・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。 | ■ジャパンキャンサーリサーチプロジェクト（JCRP）（全体進捗管理）<br>・ JCRP の下で支援しているがんの本態解明等基礎的な研究開発課題から臨床研究等のより実用化に近い研究開発課題にスムーズにつなげていくため、次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム（P-DIRECT）／次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE）と革新的がん医療実用化研究事業の PD/PS/PO に加え、臨床ゲノム情報統合データベース整備事業および未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業の PO も一部参加する形で PD/PS/PO 会議を毎年度４回開催し、JCRP 内の各事業の活動内容の共有や意見交換、より緊密な連携に向けた取組に関する検討などを行った。<br>・ P-DIRECT／P-CREATE および革新的がん医療実用化研究事業にはそれぞれヘッドクォーター | ＜評定と根拠＞<br>評定：A<br><br>・次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム／次世代がん医療創生研究事業および革新的がん医療実用化研究事業において、基礎から実用化にスムーズにつなげるため、合同の PD/PS/PO 会議、市民向け成果報告会、若手ワークショップなどで一体的な運用を実践するとともに、有望な成果を事業内または事業間で次のステージへ進める仕組みを構築し、省庁の枠を超え AMED のマネジメントによりスムーズな橋渡しを実現した。さらに、企業向けの成果報告会や研究課題紹介リーフレット集によって成果の企業導出促進に取組んだ。こうした取 | | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 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するとともに、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す。 | 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するとともに、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す。この際、実用化に向けた医薬品・医療機器を開発する基礎研究について、有望な成果を厳選できるよう、評価委員会の質的向上を図る。 | ＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ／サポート機関を設置し、PD/PS/PO の指示の下、各事業の研究開発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体制を構築した。P-DIRECT／P-CREATE では、研究支援基盤／技術支援班を設置し、技術面で課題横断的な支援を行った。<br><br>➢次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム（P-DIRECT）（研究課題・進捗管理）<br>・平成 27 年度 AMED に移管され、3 領域、17 分野、152 課題（研究費予算総額：4,915 百万円）にて研究を推進した。<br>・PS/PO 会議を平成 27 年度中に 1 回実施した。PS および PO が出席する研究代表者会議を 2 回実施し、進捗把握と事業の推進に努めた。<br>・本プログラムで支援を受けた研究開発課題の成果をベースに革新的がん医療実用化研究事業に応募し採択された課題が平成 30 年度末までに 31 件あった。（うち 1 件は P-CREATE でも支援）<br>・本プログラムの事後評価結果をベースに、「がん研究に係るプログラムの今後の在り方に関する検討会」においてがんの基礎的研究の今後の在り方が模索され、後継の次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE）に活かされた。<br><br>➢次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE）（研究課題・進捗管理）<br>・P-DIRECT の後継事業として平成 28 年度から開始し、5 領域、195 課題（研究費予算総額：13,952 百万円）にて研究を推進した。<br>・PS/PO 会議を合計 19 回、PS/PO も参加する研究代表者会議を合計 3 回開催し、進捗把握と事業の推進に努めた。<br>・P-CREATE で支援を受けた研究開発課題の成果をベースに革新的がん医療実用化研究事業に応募し採択された課題が 9 件あった（うち 1 件は P-DIRECT でも支援。また、うち 3 件はステージゲート評価による課題導出）。P-CREATE と P-DIRECT で合計すると、39 件の成果を革新的がん医療実用化研究事業の支援につなげることができた。 | 組の結果、次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム／次世代がん医療創生研究事業で得られた有望な研究成果 39 件（うち 3 件がステージゲート評価による課題導出）を革新的がん医療実用化研究事業の支援につなげることができた。また、日本発の革新的ながん治療薬の治験への導出数：14 種（2020 年までの達成目標：10 種）、小児がん、難治性がん、希少がん等に関する未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた治験への導出数：26 種（2020 年までの達成目標：12 種）を実現し、所期の目標を前倒しで達成した。以上から、機構の目的・業務、中長期目標等に照らし、機構の活動による成果、取組等について諸事情を踏まえて総合的に勘案した結果、適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められるため、評定を A とする。<br><br>■ジャパンキャンサーリサーチプロジェクト（JCRP）<br>・PD/PS/PO 体制による運営を通じて、省庁や事業の枠を超えた一元的管理を実現し、適切な研究マネジメントと基礎から実用化へ一貫してスムーズにつなぐ運用を実現し、有望な成果の実用化の促進が図られた。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・平成 27 年度にとりまとめられた「がん研究の今後の在り方に関する検討会」による提言を踏まえ、本事業では、評価委員会に企業在籍の経験をもつ創薬の専門家や機構の創薬支援戦略部の陪席を得て、実用化に向けた医薬品・医療機器を開発する基礎研究を適切に評価できる体制を整え、事前評価を実施した。<br>・平成 30 年度には、当該事業において過去に採択された研究開発課題によって新規公募への応募がなされた場合、事前評価の際に当該課題の事後評価結果を参考資料として活用した。<br>・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・希少がんについて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たなシーズを探索する標的探索研究 13 件を平成 29 年度に追加採択し、うち 1 件は特に進捗が優れていたことから平成 30 年度中に評価委員会で審査した上で、次年度より応用研究タイプに移行させるステージアップを実施した。<br>・第 2 期標的探索研究として平成 30 年度一次公募で 25 課題を採択し、うち 10 課題は特に進捗が優れていたことから平成 30 年度中に評価委員会で審査した上で、次年度より応用研究タイプに移行させるステージアップを実施した。また、平成 30 年度の第 1 回・第 2 回調整費を活用し、若手研究者からの提案を優先的に採択する二次公募を実施した。若手研究者による提案 21 課題を含む計 33 課題を第 2 期標的探索研究として追加採択した。<br>・平成 30 年度には応用研究 65 課題を対象にステージゲート評価を実施し、7 課題を研究支援打ち切り（うち 1 課題は支援を希望しなかったため終了）、3 課題を革新的がん医療実用化研究事業に移行させた上で、55 課題を平成 31 年度より 3 年間応用研究タイプとして継続支援することとした。さらに、標的探索研究タイプの中から PO により推薦された、特に進捗の優れた課題を候補として、応用研究タイプへ移行させるトラックを新たに設定し、平成 30 年度中にステージアップ評価を実施。上述の標的探索研究、計 11 課題を早期終了した上で、応用研究 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | タイプとして採択し、平成 31 年度より 3 年間支援することとした。<br><br>➢ 革新的がん医療実用化研究事業（研究課題・進捗管理）<br>・6 領域に亘って平成 27 年度 192 課題、平成 28 年度 198 課題、平成 29 年度 220 課題、平成 30 年度 225 課題の研究管理を行った。<br>・PS/PO 会議を合計 33 回、PS/PO も参加する研究代表者会議を合計 5 回開催し、進捗把握と事業の推進に努めた。<br>・評価委員会に臨床分野、生物統計等の専門家や製薬企業での創薬経験者などを加え、評価レベルを向上させるとともに、各委員の専門性を考慮した分科会への配置によって、評価の質的向上に努めた。<br>・平成 28 年度から当該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公募への応募がなされた場合、事前評価の際に当該課題の事後評価結果を参考資料として活用した。<br>・平成 29 年度にサポート機関を設立し、PD/PS/PO の指示の下、各事業の研究開発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体制を構築した。<br>・がん関連遺伝子パネル検査の実用化に対応して、平成 29 年度には、AMED 内及び関係省庁との連絡会議を定期的に開催するとともに、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。<br>・平成 30 年 4 月から、がんゲノム医療中核拠点病院において、がん関連遺伝子パネル検査が実施され、がんの治療方針決定において詳細なゲノム情報を活用できるようになったことを受けて、平成 30 年度には、がん関連遺伝子パネル検査等による遺伝子検査結果に基づき投与患者を特定する新規抗悪性腫瘍薬の開発および既存抗悪性腫瘍薬の適応拡大等を目指した医師主導治験の公募を実施して 4 課題を採択し、パネル検査結果に基づく治療選択肢の拡大 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | を通じ個別化医療の実現に取組んだ。 | | | |
| | また、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する。 | また、機構が実施する研究において、がんに関する研究機関との連携体制を整備することにより、当該研究機関が保有する研究能力やデータベース等の研究資源を戦略的に活用し、がん治療の実用化に貢献する。<br>さらに、応用研究段階にある研究課題に対し、臨床研究及び治験に導出するための出口戦略の明確化を重点的に実施する。<br>また、医薬品、医療機器の開発をはじめとするがん医療の実用化に関わる臨床研究及び治験で新たに得られた新知見や問題点を集約して、新たに必要となる基礎研究領域を抽出し、将来を見越したがんの基礎研究の開拓を支援する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム（P-DIRECT）における取組<br>・ P-DIRECT では、研究開発課題においてゲノム解析や DDS など技術面で課題横断的に支援可能な領域でコンサルティングや共同実験などを行う研究支援基盤を整備し、効率的な研究推進をサポートした。<br>・ P-DIRECT の研究事業の一環として NBDC での我が国初の大規模がんゲノム情報データベースの構築と公開を行った。<br>・ ヘッドクォーター主催による研究倫理研修会を 2 回実施した。<br>・ 次期プログラム（次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE））においては、知財の戦略と研究倫理に関して AMED と PS/PO による事業の推進をサポートする課題を設置し、AMED 内の知的財産部との連携によりプログラムの推進を図る体制を構築した。<br><br>■次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE）における取組<br>・ AMED の PSPO 体制を決議機関として、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。<br>・ P-CREATE の研究事業の一環として NBDC との連携を前身事業（P-DIRECT）に引き続いて実施し、データ共有やデータ公開に取り組んだ。<br>・ サポート機関による研究倫理研修会を合計 5 回開催し、研究倫理指針の基本的事項やゲノム関連研究に関係する個人情報保護法の改正に伴う各種研究開発指針改訂の動きに研究者がいち早く対応できるように支援した。<br><br>■革新的がん医療実用化研究事業における取組<br>・ サポート機関において、海外のがん研究や臨床試験の実施状況等のデータ分析を行い、PD/PS/PO | 【次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム（P-DIRECT）／次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE）における取組】<br><br>・ ヘッドクォーター／サポート機関ならびに研究支援基盤／技術支援班を整備し、研究開発課題の進捗に応じて適時適切な技術支援を提供することで、有望シーズの速やかな育成を推進した。<br>・ AMED のマネジメントによって有望な成果を事業内または事業間で次のステージにスムーズに移行させる仕組みを構築し、基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクト運用を可能にした。<br><br>【革新的がん医療実用化研究事業における取組】<br>・サポート機関の設立により、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が構築され、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推進するための環境が整備された。<br><br>【臨床研究・治験で新たに得られた新知見・問題点を踏まえた新たな基礎研究領域の抽出と将来を見越したがんの基礎研究の開拓のための取組】<br><br>・ 企業向け成果報告会の開催や研究開発課題紹介リーフレット集の配布等によって、製薬企業とアカデミア間の相互理解を通じて、研究成果の企 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | や P-CREATE のサポート機関などに共有を行った。<br><br>■臨床研究・治験で新たに得られた新知見・問題点を踏まえた新たな基礎研究領域の抽出と将来を見越したがんの基礎研究の開拓のための取組<br>・ 次世代がん医療創生研究事業の平成 28 年度公募では、革新的がん医療実用化研究事業の中で得られたリバース・トランスレーショナル・リサーチの成果に基づく課題を優先的に採択する旨、公募要領に明記した。<br>・ 革新的がん医療実用化研究事業では、PS/PO 会議を合計 33 回開催し、新たな研究領域や公募領域等について検討を行い次年度の公募要領に反映させた。平成 30 年度二次公募では、支持・緩和療法のプレシジョン・メディシンの実現に資するリバース・トランスレーショナル・リサーチを募集し、該当する新規課題を採択した。<br>・ 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、次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業の合同で企業向け成果発表会を H28 年度と H29 年度の 2 回開催し、企業とアカデミアのニーズの把握や、相互理解の促進を図った。2 度の成果報告会によって AMED 事業への理解が浸透しつつあると考えられたことから、平成 30 年度は研究課題紹介リーフレット集を作成、製薬協や臨薬協からの案内を通じて登録した数十社の企業関係者に配布し、要望に応じた個別面談サポートなど提携を促す環境を提供した。<br>・ がん研究費配分機関の多国間の協力組織である ICRP（International Cancer Research Partnership）が構築した世界最大規模のがん研究費配分データベースを活用し、がん研究分野の世界的動向をいち早く把握・俯瞰し、AMED として公募策定等の戦略立案に役立てるため、平成 31 年 2 月に ICRP へ正式メンバーとして加盟した。<br>・ 難治性がん・希少がんを含むがん早期診断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 4 回開催し、日米のシーズ相互評価に向けた研究協 | 業導出の促進に取組んだ。<br>・ 若手ワークショップや若手研究者の海外派遣等の人的交流や、がん分野の若手研究者の斬新な視点による研究提案等への支援によって、将来を担う若手がん研究者の育成に取組んだ。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 力体制の構築を進めた。<br>・ 革新的がん医療実用化研究事業で若手リサーチレジデント 68 人を採用するとともに、次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業で合わせて 88 名の若手研究者育成枠の採択を行い、若手人材の育成を推進した。両事業の若手研究者を中心に AMED がん若手研究者ワークショップを計 4 回開催し、のべ 135 人の若手研究者が参加、事業やプロジェクトの枠を超えて、若手研究者同士や若手研究者と経験豊かな研究者との交流を促進した。さらに、計 22 人の若手研究者を海外学会や海外研究機関での研修へ派遣し、国際的に活躍できる若手研究者育成を推進した。<br>・ がん研究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、JCRP 参加事業の合同企画として市民向け成果報告会を計4回開催し、リモコンアンケートによる講演者との双方向のやりとり、一般来場者が研究者と直接対話できるポスター発表、臨床試験や患者参画の紹介等々、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。 | | | |
| | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・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<br>・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<br>・小児がん、希少がん等の治療薬に関し | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・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<br>・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<br>・小児がん、希少がん等の治療薬に関し | ＜評価指標＞<br>【2020 年までの達成目標】<br>・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<br>・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<br>・小児がん、希少 | ■医療分野研究開発推進計画　達成すべき成果目標（KPI）<br>・ 日本発の革新的ながん治療薬の治験への導出数：14 種<br>（導出例）<br>➢ 同種移植後再発難治性成人 T 細胞白血病リンパ腫に対する抗原特異的 TCR 遺伝子導入 T リンパ球輸注療法<br>➢ 難治性肉腫に対する ワクチン併用 TCR 遺伝子改変 T 細胞輸注療法<br>➢ 高齢者食道癌に対するペプチドホルモン療法<br>➢ 進行・再発固形がんに対する免疫療法<br>➢ 悪性神経内分泌腫瘍に対する 131I-MIBG 内照射療法<br>➢ 肉腫の革新的医薬:独自開発の増殖制御型アデノウイルス | 【革新的がん医療実用化研究事業における取組】<br>・ 日本発の革新的ながん治療薬の治験への導出数：14 種（2020 年頃までの達成目標：10 種）、小児がん、難治性がん、希少がん等に関する未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた治験への導出数：26 種（2020 年頃までの達成目標：12 種）など、2020 年頃までに達成すべき成果目標の一部を前倒しで達成しており、概ね順調に進捗している。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | て1 種類以上の薬事承認・効能追加<br>・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<br>・小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン（３件以上）作成に資する多施設共同臨床試験の実施<br>を目指すものとする。 | て1 種類以上の薬事承認・効能追加<br>・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<br>・小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン（３件以上）作成に資する多施設共同臨床試験の実施<br>を目指すものとする。 | 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<br>・いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消<br>・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）<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・応募件数及び採択件数<br>・事業に参画している研究者延べ人数<br>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数<br>・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 | ➢ 非小細胞肺がんに対する新規ペプチドワクチン維持療法高齢者食道癌に対するペプチドホルモン療法<br><br>・ 小児がん、難治性がん、希少がん等に関する未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた治験への導出数：26 種<br>（導出例）<br>➢ 再発膠芽腫に対する適応拡大試験<br>➢ 難治性神経芽腫に対する分化誘導療法<br>➢ 食道扁平癌を対象とした化学放射線療法後の免疫療法の安全性・有効性試験<br>➢ 難治急性リンパ性白血病に対する多剤併用療法<br>➢ 胸腺癌、胸腺腫に対する抗 PD-1 抗体ニボルマブ（適応拡大）<br>➢ ALK 融合遺伝子陽性のⅢ期非小細胞肺癌に対する集学的治療法の開発に関する研究<br>➢ オリジナル抗原 HSP105 由来ペプチドワクチン<br>➢ 化学療法に対する抵抗性を克服することを目的とした希少がん（悪性胸膜中皮腫）治療薬<br>➢ 慢性骨髄性白血病に対する根治薬<br><br>・ 小児がん、希少がん等の治療薬に関し、薬事承認・効能追加数：0 種<br>※ 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である。<br><br>・ 小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ（開発ラグ）の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等の推進状況：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 10 課題以上で支援中。<br><br>・ 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数：1 件<br>※ 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 9 件、難治がん 10 件、希少がん 17 件）<br><br>・応募件数及び採択件数：3,004 件及び 516 件<br>・事業に参画している研究者延べ人数：10,876 人<br>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数: 37 件<br>・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：356 件 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(2)―⑦ | (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<br>⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患> | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | 重要度、優先度等は高い | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | 健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-7） |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 応募件数 | | 205 件 | 200 件 | 30 件 | | |
| 採択件数 | | 76 件 | 52 件 | 12 件 | | |
| シンポジウム等の開催件数 | | 3 件 | 1 件 | 2 件 | | |
| サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数 | | 107 件 | 210 件 | 105 件 | | |
| PS/PO　会議実施回数 | | 1 件 | 11 件 | 12 件 | | |
| | | | | | | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 8,287,920 | 8,140,896 | 7,816,250 | 10,345,076 | |
| 決算額（千円） | 8,264,890 | 7,997,910 | 7,808,176 | 10,271,750 | |
| 経常費用（千円） | 8,258,803 | 8,086,831 | 7,839,045 | 10,327,013 | |
| 経常利益（千円） | 0 | 0 | 13 | 0 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 8,258,803 | 7,998,239 | 7,809,353 | 10,273,034 | |
| 従事人員数 | 8 人 | 6 人 | 10 人 | 13 人 | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | （期間実績評価） |
| | | | | | 評定 | 評定 |
| 認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発 | 認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発 | ＜評価軸＞<br>・脳全体の神経回路の構造・機能の | | ＜評定に至った理由＞<br>評定：B<br>・脳全体の神経回路の構造・機能の解明や | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 症に関わる脳神経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を各省連携の下に強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、精神・神経疾患等を克服する。<br>　具体的には、脳全体の神経回路の構造・機能の解明やバイオマーカー開発に向けた研究開発及び疾患の特性を踏まえた臨床研究の基盤整備等を推進するとともに、 | 症に関わる脳神経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を各省連携の下に強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、精神・神経疾患等を克服する。<br>　具体的には、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、霊長類等モデル動物の創出･活用･普及を促すとともに、神経回路の形成過程等の解析及び精神・神経疾患の分子細胞システムレベルでの解析に係る研究開発を推進する。<br>また、拠点や実施機関間のネットワーク化を促し、疾患の特性を踏まえた臨床研究の基盤整備等を推進する。<br>本領域に関わる疾患の発症や進行速度、臨床経過の特徴に鑑み、長期間の経過観察が必要な | 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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■BMI(ﾌﾞﾚｲﾝﾏｼﾝｲﾝﾀｰﾌｪｰｽ) 技術を用いた研究（脳科学研究戦略推進プログラム）<br>・BMI の技術を用いて、身体機能の回復・代替・補完や神経疾患の革新的な予防･診断･治療法につながる研究を行うことを目標として事業を推進した。また、生物学、工学、情報学（BMI 技術）の融合により治療効果を促進する技術開発を目的に研究開発に取り組んだ。<br>・得られた主な成果は以下の通りである。<br>－ 自閉症を脳回路から見分ける先端人工知能技術を開発に成功。 | バイオマーカー開発に向けた研究開発及び疾患の特性を踏まえた臨床研究の基盤整備等を推進するとともに、認知症やうつ病などの精神疾患等の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法の確立に向けた取組を実施した。その結果、脳の構造・機能の神経回路マップの作成にむけてが順調に進行しており、さらに精神疾患の客観的診断法・治療薬の治験・適正な薬物治療法のについて着実に進歩が認められたなど、着実な業務運営がなされた。以上から、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、「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ため、評定を B とする。<br><br>・<br><br>■BMI(ﾌﾞﾚｲﾝﾏｼﾝｲﾝﾀｰﾌｪｰｽ) 技術を用いた研究（脳科学研究戦略推進プログラム）<br>・身体機能の回復・代替・補完や神経疾患の革新的な予防・診断・治療法につながる研究を実施し、成果を挙げてきたことは評価できる。<br><br>■霊長類の神経回路の網羅的解析（革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト）<br>・脳の構造と機能のつながりを明らかにするための、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成果が得られたことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞引き続き、霊長類（コモンマーモセット）脳全体の神経回路の構造と機能に関するマップ作成等を通じて、神経 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 臨床研究を促進するために必要な措置を講じる。 | | ■霊長類の神経回路の網羅的解析（革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト）<br>・神経細胞がどのように神経回路を形成し、どのように情報処理を行うことによって、全体性の高い脳の機能を実現しているか、コモンマーモセットを活用してその全容を明らかに、ヒトの高次脳機能の解明のための基盤を構築することを目的に事業を推進した。<br>・得られた主な成果は以下の通りである。<br>－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。<br><br>■ヒトとその他の霊長類において共通の手法で脳の活動を計測可能な技術開発（革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト）<br>・霊長類の脳構造・機能マップ作成及び革新的な解析技術の開発を行う中核拠点と、その目標の達成を補完・加速する技術開発個別課題が、分科会や進捗報告会等を通じて相互に成果等をフィードバックしながら、研究開発を推進した。<br>・戦略的国際脳科学研究推進プログラム（国際脳）を開始し、精神・神経疾患で異常等が認められる機能に関連するヒトと非ヒト霊長類種間比較に資する MRI 機能解剖画像データの取得、皮質下構造物や皮質・皮質下神経回路の解明に向けた技術開発、侵襲的な計測や非ヒト霊長類を用いた回路操作によ | 細胞レベルでの高次脳機能を解明するとともに、その障害としての精神・神経疾患の理解を目指す。<br><br>■ヒトとその他の霊長類において共通の手法で脳の活動を計測可能な技術開発（革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト）<br>・革新脳事業で中核拠点と技術開発個別課題との連携体制を強化したこと、国際脳事業を開始しヒトとその他の霊長類の種間比較できるような体制を構築したことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞引き続き、ヒトと非ヒト霊長類種間比較に資する成果を目指す。<br><br>■脳科学研究を支える集約的体系的な情報基盤の構築（革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト）<br>・革新脳事業において、前半 5 年を踏まえて、集約的体系的な情報基盤の構築のため後半 5 年にむけた体制を見直したことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞引き続き、革新脳の中核拠点を中心とした体制強化を推進する。<br><br>■精神・神経疾患分野の特性を踏まえた研究開発の基盤の整備（脳科学研究戦略推進プログラム）<br>・JBBN の整備を促進し、また、意思決定研究の技術開発等の基盤整備ができたことは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | る神経活動及び機能的結合等による神経回路の同定に着手した。<br>・得られた主な成果は以下の通りである。<br>－ 脳の構造と機能のつながりを明らかにするために重要な情報を供給するマーモセットの遺伝子発現の図解となる Marmoset Gene Atlas を平成 28 年にホームページで公開した。<br><br>■脳科学研究を支える集約的体系的な情報基盤の構築（革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト）<br>・霊長類の脳構造・機能マップの作成を実施するとともに、これに寄与する革新的な解析技術の開発等を実施するため、平成 26 年より代表機関として独立行政法人理化学研究所にて事業を開始した。その後参画機関として、慶應義塾大学・京都大学が加え、この 3 機関により基盤を構築、その後全国の様々な研究拠点の連携を得てプロジェクトを強力に推進できるよう運用を行っている。<br>・革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト（革新脳）の中間評価、事後評価を H30 年度に行い、後半 5 年のより効率的な実施体制に向けて、中核拠点を見直し、革新脳後半 5 年にむけた公募を実施し、新たに 25 課題を採択した。<br><br>■精神・神経疾患分野の特性を踏まえた研究開発の基盤の整備（脳科学研究戦略推進プログラム）<br>・精神・神経疾患分野では、生検試料を用いた病態研究が非常に難しく、特にヒトの意思決定の過程および結果は、対人関係、すなわち相手の意思決定により自己の意思決定が影響を受けるという特性を踏まえ、研究開発の基盤の整備を進めた。 | ■疾患の臨床情報等をもとにセンター、中核拠点、臨床グループ等の研究に係る成果を蓄積・共有する体制の構築<br>・疾患の臨床情報をまとめて研究に活用する体制を構築しているのは評価できる。<br><br>■神経細胞レベルでの高次脳機能とその障害としての精神・神経疾患の理解と治療法の導出（脳科学研究戦略推進プログラム）<br>・オキシトシンの臨床研究をはじめ、臨床と基礎研究の融合を目指した研究、行動選択、環境適応を支える脳の研究を通じて、成果を挙げてきた。<br><br>■本領域に関わる疾患の発症や進行速度、臨床経過の特徴に鑑み、長期間の経過観察が必要な臨床研究を促進する方策の検討<br>・国際脳事業を開始し疾患の進行を捉えられる研究体制を構築したこと、融合脳事業において、具体的なシーズの実用化を見据えた研究をしてきたことについて、評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・得られた主な成果は以下の通りである<br>－ ヒト（患者）死後脳を用いた病態・病理研究基盤を整備するため、日本ブレインバンク（JBBN）の整備を促進した。<br>－ DREADD システムで一般的に用いられている Clozapine N-Oxide（CNO）より高性能な新規 PET トレーサー兼アゴニスト C22b を開発し、マカクザルを用いた行動課題と組み合わせた独創的かつ先駆的な手法を開発した。<br><br>■疾患の臨床情報等をもとにセンター、中核拠点、臨床グループ等の研究に係る成果を蓄積・共有する体制の構築<br>・ 霊長類の脳構造・機能マップ作成及び革新的な解析技術の開発を行う中核拠点と、その目標の達成を補完・加速する臨床グループ等が、分科会や進捗報告会等を通じて相互に成果等をフィードバックしながら、研究開発を推進した。<br>・認知症等の神経変性疾患、発達障害・統合失調症、うつ病・双極性障害等を対象とした、疾患発症メカニズムの探求、新しい診断技術の開発、病態モデル動物の開発と創薬への応用を通じて、新しい疾患概念と革新的技術による治療・予防法の治験につなげることを目指し、これらの研究基盤となる脳組織等のヒト試料リソースの整備・普及等を推進した。JBBN の整備にあたり、既存の各バンクの検体情報（提供者の病歴・治療歴等の生前情報および脳以外の組織の情報等）を中核拠点にて集約・データベース管理し、研究者への提供の際の精度向上と効率化を進めた。<br>・認知症関連事業について調整費を契機に AMED 内横断的に取りまとめ、連携シンポジウム等で情報共有に務めた。また、特に被験者リクルート、アウトリーチについて３省と連携を深めつつ、情報収集・発信に努めた。<br><br>■神経細胞レベルでの高次脳機能とその障害としての精神・神経疾患の理解と治療法の導出（脳科学研究 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 戦略推進プログラム）<br>・臨床と基礎研究の連携強化による精神・神経疾患の克服に向けた研究開発を推進するため、JBBNリソースを活用した治療標的シーズ探索研究を開始した。また行動選択、環境適応を支える種を超えた脳機能原理の抽出と解明目指し、研究開発を推進した。<br>・得られた主な成果は以下の通りである<br>－ R ケタミンの治療抵抗性うつ病治療薬再開発：H29FY に米国企業に導出を達成、H30FY に第 1 相および 2 相の臨床試験計画準備を推進（資金調達及びプレスリリース）、H31FY に順次開始予定。H31FY 中の 2 相試験完了が目標。<br>－ 新規オキシトシン経鼻製剤の自閉スペクトラム症治療薬としての開発については、H31FY には Phase IIa 相の治験を完了見込みである。H30FY より継続して導出先を検討中。<br><br>■本領域に関わる疾患の発症や進行速度、臨床経過の特徴に鑑み、長期間の経過観察が必要な臨床研究を促進する方策の検討<br>＜戦略的国際脳科学研究推進プログラム（国際脳）における取り組み＞<br>・平成 30 年度新規事業として国際脳を立ち上げ、発達期、成人期、高齢期の各ライフステージに応じて発症する疾患について健常から発症に至る縦断的なMRI脳画像等を取得し総合的解析研究を開始した。またこれら取得した脳画像データは共有化を目指してプラットフォームの構築のための体制整備を開始した。<br><br>＜脳科学研究戦略推進プログラムにおける取り組み＞<br>・（融合脳）パーキンソン病等のレビー小体病の早期診断法として、FABP3 抗体と IMR 法を用いた方法および FABP3 PET プローブを医薬品開発と平行して開発中、H31FY 末にプロトタイプ開発達成 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | を目指す。<br>・（融合脳）H29FY に血漿中 APL1β28 のアルツハイマー病ぼ病態バイオマーカーとしての開発を中止した（進捗の問題ではなく、期待した診断性能を満たさないことを科学的に結論したため）。<br><br>■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の推進<br>・革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクトにおいて、中間・事後評価をふまえて後半 5 年間の実施体制等の見直しを行った。<br>・戦略的国際脳科学研究推進プログラムでは、精神・神経疾患に関連する神経回路を中心に、ヒト脳と非ヒト霊長類脳の構造及び機能の領域化と相動性解析による種間比較などを推進した。 | | | |
| | 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す。 | また、分子病態、環境等の要因を精密に解析することで、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を解明し、発症リスクの客観的な早期診断法、適切な治療法の開発を推進する。<br>また、機構が実施する研究において、精神・神 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■認知症やうつ病などの精神疾患等の発症リスクの客観的な早期診断法・治療法の開発<br>＜認知症研究開発事業における取り組み＞<br>・「認知症施策推進総合戦略（新オレンジプラン）」に基づき、十分な確立や標準化がなされていない領域を重点的に、診断や治療、予防、ケア等について研究を推進した。<br>・得られた主な成果は以下の通りである<br>－ 認知症予防の日本初のシステム、健常者対象オンラインレジストリ大規模データ「IROOP」の研究から、糖尿病の既往や、日常生活活動の低下などの認知症リスク因子が抽出された。<br>－ 特定地域で多発する認知症では、認知機能障害や運動機能障害など多様な臨床省をを呈する。タウ・コンソーシアムで開発された PET 技術を用いて、タウ蓄積部位と臨床症状の関連を調べ、タウの脳 | ■認知症やうつ病などの精神疾患等の発症リスクの客観的な早期診断法・治療法の開発<br>・これらの疾患に関し、早期診断法、治療法の開発研究に向けた研究を支援してきたことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞引き続き、必要に応じて実用化に詳しい有識者の意見を伺いながら課題を推進する。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 経疾患及び長寿に関する研究機関との連携体制を整備することにより、当該研究機関が保有する研究能力やデータベース等の研究資源を戦略的に活用し、精神・神経疾患治療の実用化に貢献するとともに、認知症などのコホート研究と臨床研究の連携を促進させる。身体機能障害の代替・回復やリハビリテーションに資する新しい開発研究を推進し、医療現場での効果的な実用化を支援する。<br>各国における研究開発の動向を踏まえながら、脳科学や認知症に関して国際連携を推進する。 | | 内蓄積部位は患者毎に多様で、蓄積部位に関連した脳機能が障害されることを見いだした。<br><br>＜障害者対策総合研究開発事業における取り組み＞<br>・精神障害の分野において、障害全般に関するリハビリテーション等の適切な支援を提供するための研究開発、障害を招く疾病等についての病因・病態の解明、予防、診断、治療法、リハビリテーション法等の先進的・実践的な研究に取り組むと同時に、障害児・者及びその家族の生活支援、社会参加等を目指した研究を推進した。<br>・得られた主な成果は以下の通りである<br>－ 覚せい剤依存患者にイフェンプロジルあるいはプラセボ投与を行い、二重盲検ランダム化比較試験により探索的検証試験を実施し、治療効果検証試験（医師主導治験）に向けたプロトコール作成に進んだ。<br>－ 無拘束、在宅環境で反復記録が可能な後頸部導出の小型脳波計を開発し、睡眠ポリグラフ検査との併存妥当性検証の結果、当該機器によって精神障害における睡眠評価、睡眠ポリグラフ検査前および治験実施時の睡眠スクリーニング評価にも応用可能となった。<br><br>＜脳科学研究戦略推進プログラムにおける取り組み＞<br>・臨床と基礎研究の連携強化により、認知症、発達障害・統合失調症、うつ病・双極性障害といった精神・神経疾患の克服に取り組んだ。<br>・得られた主な成果は以下の通りである。<br>－ 麻酔薬として使用されているケタミンの光学異性体 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。<br>－DecNef を応用した精神疾患の診断・治療システムの開発と臨床応用拠点の構築：<br>安静状態の脳が自発的に起こす活動状態を磁気共鳴撮像装置（MRI）にて記録し、計 140 個の脳部位間で作られる約 10,000 通りの同期状態（脳機能結合）の中で、真に ASD に特徴的とい | ■認知症やうつ病などの精神疾患等の適切な治療法の開発<br>・これらの疾患の治療法の開発研究に向けた研究を支援してきたことは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | える結合はごく僅か（0.2%）であることを特定した。該当する脳機能結合を用いると、ASD 当事者と非当事者（定型発達者）の間を 85%という高精度で判別できることを発見した。この精度は、本邦・米国の双方の独立データでも再現されたため、発見された脳機能結合は人種をも超えて ASD に特異的であることが示された。また、この ASD 判別技術を、統合失調症・うつ病・注意欠如多動性障害（ADHD）など他の精神疾患のデータに適用し、ASD が、うつ病や ADHD と比べ、統合失調症に類似することを明らかにした。安静状態の脳機能結合という生物学的な指標を用いて、精度・再現性の双方が高い ASD のバイオマーカーを確立し、複数の精神疾患の関係を定量的に示した本研究の成果は、世界に先駆ける画期的なものである。<br><br>＜革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクトにおける取り組み＞<br>・臨床研究グループにおいて、中核拠点と相互に成果等のフィードバックしながら、ヒトの精神・神経疾患等の原因究明・克服に向けた研究開発を推進した。<br>・得られた主な成果は以下の通りである。<br>－ 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。<br><br>■認知症やうつ病などの精神疾患等の適切な治療法の開発<br>＜認知症研究開発事業における取り組み＞<br>・認知症に伴う行動・心理症状（Behavioral and Psychological Symptoms of dementia: BPSD）の予防・治療を包括的に行うための指針を作成し、その有用性を検証する研究を推進した。<br>＜脳科学研究戦略推進プログラムにおける取り組み＞ | ＜今後の課題＞引き続き、必要に応じて実用化に詳しい有識者の意見を伺いながが、課題を推進する。<br><br>■精神・神経疾患及び長寿に関する研究機関の連携体制の整備（再掲、取組の詳細は、疾患の臨床情報等をもとにセンター、中核拠点、臨床グループ等の研究に係る成果を蓄積・共有する体制の構築の項を参照）<br>・研究機関の連携体制を整備してきたことは評価できる。<br><br>■認知症などのコホート研究と臨床研究の連携に向けた取組（認知症研究開発事業）<br>・オレンジレジストリをはじめとしたコホート・レジストリの体制を強化し、また、治験等への即応体制の構築に着手したことは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・臨床と基礎研究の連携強化により、認知症、発達障害・統合失調症、うつ病・双極性障害といった精神・神経疾患の克服に取り組んだ。<br>・得られた主な成果は以下の通りである。<br>－ オキシトシンの投与で、自閉スペクトラム症の方の中立表情の変動の乏しさが改善することについて、検証に成功し、さらにこの改善効果は時間と共に変化することを明らかにした。<br>－ パーキンソン病蓄積タンパク質シヌクレインのマウス脳内(線条体)投与によって、3ヶ月で注入即の対側を含む広汎な病変が起こることを示した。対側の病変が脳梁離断やボツリヌス毒素の投与で阻害されることを確認し、治療薬候補の評価法としての可能性を示した。<br>＜認知症研究開発事業における取り組み＞<br>・臨床と基礎研究の連携強化により精神・神経疾患の克服を目指し、精神・神経疾患の発症メカニズムの探求とともに、病態モデル動物の開発と創薬への応用、新しい診断技術の開発と早期診断、新しい疾患概念と革新的技術による治療・予防法の治験につなげる研究開発を行った。特に認知症については、平成27年1月に発表された「認知症施策推進総合戦略（新オレンジプラン）」に基づき、重点的な研究開発を推進した。<br>・得られた主な成果は以下の通りである。<br>－ 認知症に伴う行動・心理症状（Behavioral and Psychological Symptoms of dementia: BPSD）の予防・治療を包括的に行うための指針を作成し、その有用性を検証する研究を推進した。<br><br>■精神・神経疾患及び長寿に関する研究機関の連携体制の整備（再掲、取組の詳細は、疾患の臨床情報等をもとにセンター、中核拠点、臨床グループ等の研究に係る成果を蓄積・共有する体制の構築の項を参照）<br>＜認知症研究開発事業における取り組み＞<br>・国内のタウ研究者や企業と連携し、非臨床と臨床の双方向のトランスレーションを通じた、タウ蛋白を標的とした認知症の病態解明・治療法研究開発のための産官学一体からなる「タウ・トランスレーショナル・コンソーシアム」が構築された。このコンソーシアムは、タウ病態解明やタウ病変の高感 | ■身体機能障害の代替・回復やリハビリテーションに資する新しい開発研究の推進（BMI）<br>・身体機能の回復・代替・補完や精神・神経疾患の革新的な予防・診断・治療法の開発をBMI技術を用いて実施し、成果を挙げたことは評価できる。<br><br>■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<br>精神疾患の客観的診断法の確立<br>精神疾患に関して、在宅環境で反復記録が可能の小型脳波計を開発したことや、統合失調症に関して病前からの認知機能低下が労働時間に関与することを発見し、病態解明や治療法開発への貢献が期待されることは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 度の検出するポジトロン断層撮影（PET）プローブが開発され、新規薬剤候補化合物の探索などを行った。<br>・認知症に係るバイオマーカーを研究開発する公募において、多施設検証が可能な多施設共同研究チーム体制を構築することを採択条件とし、構築されたチームで共通のプロトコールを整備し、研究開発を推進した。<br>・家族性アルツハイマー病に関する縦断的観察コホート研究を推進した。<br><br>■認知症などのコホート研究と臨床研究の連携に向けた取組（認知症研究開発事業）<br>・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 5,400 名、前臨床期 5,985 名、MCI 1,471 名（平成 31 年 1 月時点）の登録が進んだ。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。<br>・全国 8 地域（青森県弘前市・岩手県矢巾町・石川県中島町・長野県佐久地域・島根県海士町・愛媛県中山町・福岡県久山町・熊本県荒尾市）において、認知症対策と大規模コホート研究実施に関して当該自治体および住民に周知を図り、研究をスムーズに立ち上げるための準備を行った。また現地に常駐できる臨床心理士・保健師、ベースライン調査および追跡を担当する研究者や医師の確保と教育を行った。さらにスクリーニング調査内容の標準化・コード化、また認知症・MCI・うつ病の診断を標準化するための診断手順書・症例登録票を作成した。平成 28 年度からの本格稼働に向けてデータ精度を向上させるためワークショップを行い、研究内容の徹底と調査・診断方法・手順の均一化を図った。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ■身体機能障害の代替・回復やリハビリテーションに資する新しい開発研究の推進（BMI）<br>・BMI 技術を用いて、身体機能の回復・代替・補完や精神・神経疾患の革新的な予防・診断・治療法の開発を実施した。具体的には体内埋込型低侵襲 BMI、革新的 BMI リハビリテーションロボット技術の開発、DecNef 技術の開発と精神疾患治療への応用、経頭蓋磁気刺激（rTMS）の効果の解読と脳機能操作法の確立目指し研究開発を推進した。<br>・得られた主な成果は以下の通りである。<br>－ 自閉症を脳回路から見分ける先端人工知能技術を開発に成功。<br><br>■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<br>＜戦略的国際脳科学研究推進プログラム（国際脳）における取り組み＞<br>・平成 30 年度新規事業として国際脳を立ち上げ、発達期では AYA 世代統合失症や自閉症等の発達障害、成人期ではうつ病や双極性障害等の気分障害、高齢期ではアルツハイマー病（AD）・パーキンソン病（PD）等についてバイオタイプ診断や治療法開発に資するバイオマーカー等の同定を目指して健常から発症に至る縦断的な MRI 脳画像等を取得し総合的解析研究を開始した。平成３０年度は大規模データ解析に向け関連する研究者による撮像プロトコルの検討･策定を行った。また、策定したプロトコルを用いて MRI 画像撮像を開始している。<br>・長類種間比較に資する MRI 機能解剖画像データの取得、皮質下構造物や皮質･皮質下神経回路の解明に向けた技術開発、侵襲的な計測や非ヒト霊長類を用いた回路操作による神経活動及び機能的結合等による神経回路の同定に着手した。<br>・先進的ニューロフィードバック法による治療法が試用され予備的な結果を踏まえ、治験プロトコルの確立を目指し、AI 技術を活用した脳画像データからバイオマーカーの開発に要する MRI 画像の解析パイプライン構築を推進している。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ＜認知症研究開発事業における取り組み＞<br>・「認知症施策推進総合戦略（新オレンジプラン）」に基づき、十分な確立や標準化がなされていない領域を重点的に、診断や治療、予防、ケア等について研究を推進した。<br>・アルツハイマー病患者の脳に特異的に蓄積する病的蛋白質であり、その大脳内での広がりが認知症の発症と直接的に関連していることがわかってい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。アルツハイマー病患者およびダウン症候群患者では正常対象者と比較して血液中 p-tau が高値であり、それによってアルツハイマー病の診断ができることを報告した。<br>・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。 | | | |
| | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・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）<br>・日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始<br>・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 | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・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）<br>・日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始<br>・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 | ＜評価指標＞<br>【2020 年までの達成目標】<br>・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）<br>・日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始<br>・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）<br>・精神疾患の適正な治療法の確立 | ■認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立<br>・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、p-Tau、およびコレステロール代謝産物を発見した。中でも、p-Tau は神経細胞死を直接反映するとされ、脳神経萎縮・脱落を伴う認知機能低下を示す簡便な診断マーカーとして、さらには認知症の根本治療薬開発に有用な薬効評価用のコンパニオンマーカーとして期待される。<br>・H30 年度における達成内容：<br>－ 新たに脳神経由来エクソソームによるバイオマーカー開発に取り組む課題を採択した。<br>－ 発症メカニズムの理解に基づく早期診断技術や発症予測技術の開発を目指して、脳画像解析により健常から疾患に至るアルツハイマーとパーキンソン病の責任回路とバイオマーカー同定を行う取り組みを開始している。 | ■認知症の診断･治療効果に資するバイオマーカーの確立<br>・認知症の血液バイオマーカー研究、さらに画像バイオマーカーの研究も推進したことは評価できる。<br>・今後は、引き続き、脳画像や血液等を用いた認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの探索について、これまでのコホート研究やレジストリ研究で集積した生体試料や情報をさらに活用しつつ、新たな標的分子同定や測定法、診断技術の開発等の検証や実用化に向けた取組を継続する。<br><br>■日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始<br>治療薬の新規ターゲット探索のほか、トライアルレディコホートの構築に着手したことは評価できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 上）<br>・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）<br>・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成<br>を目指すものとする。 | 上）<br>・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）<br>・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成<br>を目指すものとする。 | （臨床ＰＯＣ取得３件以上、診療ガイドライン策定５件以上）<br>・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成 | ■日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始<br>・認知症やその前段階の人の全国的なレジストリ体制を強化し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した。<br>・目標期間内の達成は難しい状況ではあるが、日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始に向けて取り組んでいる。<br>・H30 年度における達成内容：<br>－ アルツハイマー病の超早期病態に関連する遺伝子を同定するなど、治療薬の新規ターゲット探索にも継続して取り組んでいる。<br>－ 国内における治験への即応体制を整えるためトライアルレディコホートの構築に着手した。<br><br>■精神疾患の客観的診断法の確立<br>・精神疾患の客観的診断法の確立に向けて取り組んでいる。<br>① 臨床 POC 取得等： 取得１件、取組中２、検討中１件<br>② 診療ガイドライン策定等： 策定４件、策定見込み１件<br>・H30 年度における達成内容：<br>＜診断法： 臨床 POC 取得に向けた状況＞<br>－ C-11 標識 AMPA 受容体 PET 薬剤を用いた疾患横断的診断法の開発に向けて、てんかん、うつ病、統合失調症の各疾患を対象に、治験実施施設を拡充し、効率化を図っている。 | ・今後のは、トライアルレディコホートを整備し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ほか、認知症の革新的な治療法を指向し、従来の仮説とは異なる発想に基づくシーズ探索研究や、臨床データ等から有望視されている萌芽的な治療方法の実証的研究についても推進する。<br><br>■精神疾患の客観的診断法の確立<br>・精神疾患に関する客観的診断法の確立や診療ガイドライン策定により、病態解明や治療法開発への貢献が期待されることは評価できる。<br>・今後の取り組みとしては、引き続き、うつ病・双極性障害等の精神疾患に対する血液等を用いたバイオマーカー探索や MRI・PET 等の脳画像を用いた診断法の開発を推進する。また、精神疾患の客観的診断法の導出に資する研究を実施する。加えて、精神疾患レジストリの構築・統合を通して、精神疾患に対する新規の診断補助システムの開発を推進する。<br><br>■精神疾患の適正な治療法の確立<br>・ケタミン等の開発研究を進め、病態解明や治療法開発への貢献が期待されることは評価できる。<br>・今後の取り組みとしては、引き続き、うつ病・双極性障害・発達障害・統合失調症等の精神疾患の適正な治療法を確立するため、基礎から臨床にわたる研究開発を推進する。診療ガイドラインの作成を継続して進める。加えて、平成 30 年度より開始した精神疾患レジストリの構築・統合を通して、精神疾患に対する治療の層別化等を目指す。また、薬物依存症、アルコール依存症、ギャンブル等依存症等の治療法の開発を推進する。 | | |
| | | | ＜モニタリング指標＞<br>・応募件数及び採択件数<br>・事業に参画している研究者延べ人数<br>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数<br>・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 | - 統合失調症、うつ病、強迫性障害、嗜癖性障害について、複数の施設または撮像機器で撮像された脳活動データに対して汎化するバイオマーカーを開発し、今後、ニューロフィードバックの治験を実施予定。<br>- 無拘束、在宅環境で反復記録が可能な後頸部導出の小型脳波計を開発し、睡眠ポリグラフ検査との併存妥当性検証の結果、当該機器によって精神障害における睡眠評価、睡眠ポリグラフ検査前および治験実施時の睡眠スクリーニング評価にも応用可能となった。<br>- 統合失調症において、病前からの認知機能低下の推定値が労働時間と関連することを見出し、病前からの認知機能低下の推定値を含む関連要因により、週当たり一定時間以上働ける確率を推定する方法を開発した。<br>＜診断法：　診療ガイドライン策定状況＞<br>ギャンブル障害において診療ガイドラインを策定した。また、アルコール依存症において診療ガイドラインを策定見込みである。<br><br>■精神疾患の適正な治療法の確立<br>・精神疾患の適正な治療法の確立に向けて取り組んでいる。<br>①臨床 POC 取得等：　取得３件、取組中２件<br>②診療ガイドライン策定等：　策定３件、策定見込み１件<br>・H30 年度における達成内容：<br>＜治療法：　臨床 POC 取得に向けた状況＞<br>・うつ病の治療薬候補である R-ケタミンや S-ノルケタミンについて、抗うつ薬としての治験実施に向けて、導出先企業と連携しながら研究開発を進めている。<br>・先天性ホモシステイン尿症治療薬の betaine （トリメチルグリシン）のリポジショニングによる統合失調症治療法を開発中である。<br>・覚せい剤依存患者にイフェンプロジルあるいはプラセボ投与を行い、二重盲検ランダム化比較試験により探索的検証試験を実施し、治療効果検証試験（医師主導治験）に向けたプロトコール作成に進んだ。） | ■脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成<br>・マーモセット自由行動環境下で計測する技術等により、脳の構造・機能のマッピングが進展したことは評価できる。<br>・今後の取り組みとしては、引き続き脳全体の神経回路の構造と活動に関するデータ蓄積・マップ作成とともに、これに寄与する革新的な技術開発を推進する。また、精神・神経疾患に関連する神経回路を中心に、ヒト脳と非ヒト霊長類脳の構造及び機能の領域化と相動性解析による種間比較などを推進する。 | | |

・一般企業の社員がメンタルヘルスの不調を抱える同僚や部下に適切に関わるための知識とスキルを具体的に習得可能な教育研修プログラムを独自開発し、社員に対して本プログラムが有効である可能性がパイロット試験として示された。

＜治療法：　診療ガイドライン策定状況＞

・うつ病において診療ガイドラインを策定した。また、統合失調症において診療ガイドラインを策定見込みである。

■脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成

・革新脳において、マーモセット脳全体の神経回路の構造・機能マップ作成を進めている。

・H30 年度における達成内容：

・小型蛍光顕微鏡を用いて、マーモセット大脳皮質運動野の深部の神経細胞活動を、自由行動環境下で計測することに成功した。

・構造・機能マップ作成に必要となる革新的な解析技術（超広視野顕微鏡、領野間神経活動の同時計測等）を開発した。

＜モニタリング指標＞

| | H27 | H28 | H29 | H30 |
|---|---|---|---|---|
| 応募件数 | 205 | 200 | 30 | 211 |
| 採択件数 | 76 | 52 | 12 | 61 |
| 事業に参画している研究者延べ人数 | 1523 | 2228 | 2788 | 3684 |
| PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数 | 2 | 0 | 0 | 1 |
| 機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数 | 59 | 85 | 99 | 60 |

## ４．その他参考情報

| |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(2)―⑧ | (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<br>⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症> | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | 重要度、優先度等は高い | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | 健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-8） |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 応募件数 | | 88 件 | 102 件 | 320 件 | 91 件 | |
| 採択件数 | | 31 件 | 28 件 | 54 件 | 30 件 | |
| シンポジウム等の開催件数 | | 2 件 | 1 件 | 4 件 | 2 件 | |
| サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数 | | 130 件 | 138 件 | 156 件 | 196 件 | |
| PS/PO 会議実施回数 | | 59 回 | 48 回 | 38 回 | 4 回 | |
| 事業に参画している研究者の延べ人数 | | 906 人 | 807 人 | 800 人 | 648 人 | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 4,781,658 | 5,387,395 | 5,736,802 | 7,625,704 | |
| 決算額（千円） | 4,768,067 | 5,328,953 | 5,439,515 | 5,851,206 | |
| 経常費用（千円） | 4,768,067 | 5,255,126 | 5,435,273 | 5,797,701 | |
| 経常利益（千円） | 0 | 0 | -25 | 0 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 4,768,067 | 5,314,233 | 5,325,188 | 5,784,679 | |
| 従事人員数 | 25 人 | 25 人 | 16 人 | 12 人 | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価（＞感染症課） | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | （期間実績評価） |

| | | | | | | 評定 | | 評定 | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 新型インフルエンザなどの感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症に関する国内外での研究を各省連携して推進するとともに、その成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげることで、感染症対策を強化する。<br>具体的には、インフルエンザ、結核、動物由来感染症、デング熱、薬剤耐性菌、下痢症感染症、HTLV－1（ヒトT細胞白血病ウイルス1型）、ジカウイルス感染症など、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する。 | 新型インフルエンザなどの感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症に関する国内外での研究を各省連携して推進するとともに、その成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげることで、感染症対策を強化する。<br>具体的には、国の定める推進計画等に従って、新興・再興感染症や新型インフルエンザ等の国内への流入・まん延防止に必要なワクチン等の予防法・診断法の開発、病態・感染機序の解明、感染リスク評価、国内外の関係機関との調査研究協力を進めるとともに、機構が実施する研究において、感染 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等の一体的な推進<br>・「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」（以下「新興・再興感染症事業」という。）で支援した研究課題において、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等の一体的な推進に向けた支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ インフルエンザの感染防御に有効で、現在使用されている注射型ワクチンと比べ多様な流行株にも効果を有するとされる新規経鼻インフルエンザワクチンの開発に関する研究開発課題に対して、実用化に向けた成果創出への取組に沿った研究支援を行い、その成果創出の加速を図った。その結果、国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチン実用化に向け第Ⅰ相臨床試験（企業治験）が平成27年10月より開始されるとともに、平成29年度第II相試験が完了し、現在第III相試験を実施中。さらなる成果として、多量体IgA抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した。また、四量体型SIgA抗体を作製する技術を新規開発し、単量体や二量体、四量体のIgA抗体を人工的に作製することに成功した。本技術を用いることで、SIgA抗体は四量体化すると単量体では不活化できないウイルスも不活化できることが明らかとし、その効果について検証を行った。<br>➢ 高病原性鳥インフルエンザ感染症の国際連携研究の推進のため、追加支援を行い新たにエジプトとの連携体制を強化した。<br>➢ 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について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 | ＜評定と根拠＞<br>評定：A<br>➢ 感染症に関する国内外での研究の推進や、得られた成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげる等の取組みを実施した。本取組みを行う上で、効果的かつ機動的な資金配分による研究の加速や前倒し、新興･再興感染症制御プロジェクト内及び機構の他部門との連携を推進した。また感染症アウトブレイクに対する研究支援対応を目的とした国際連携イニシアティブ(Global Research Collaboration for Infectious Disease Preparedness, GloPID-R)の活動において、感染症研究支援について加盟各国機関と情報共有を行った。また、次回年次総会（2019年5月開催）のホスト、データシェアリングに関するサイドイベント主催に向けて準備を進めた。こうした取組を通じて、ジカ熱対策については「ジカ熱に対するワクチン開発を国立研究機関・企業連携により推進」、「LAMP法を用いた迅速診断法開発を推進し、国内製造販売承認を取得」、結核対策については「結核データベースの拡充および一部データ公開、多剤耐性結核解析ツールTGS-TBの高精度化」「結核DNAワクチンの医師主導治験の実施のためのPMDA対面助言および治験届けの提出」「多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質の特許出願」、ノロウイルスワクチン開発については「第1世代ノロウイルスワクチンシーズの企業導出の完了、新たな次世代ノロウイルスワクチンシーズ開発開始」、経鼻インフルエンザワクチンについては「企業治験（第II相）完了と（平成29年度）、企業治験（第III相）の実施。また、世界初の経鼻イン | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 症に関する研究機関との連携体制を整備することにより、当該研究機関が保有する研究能力やデータベース等の研究資源を戦略的に活用し、感染症治療治療法の実用化等を支援する。 | | 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。<br>➢ 韓国での中東呼吸器症候群(MERS)の流行を踏まえ、MERS 関連の研究開発課題について迅速な追加配賦を行い、迅速診断法の改良・ワクチン開発の加速を支援した。その結果、MERS とインフルエンザを同時に検出可能な MERS-Flu LAMP 法の作製に成功した。この機構の支援によって開発された検出法を利用することで、国立感染症研究所における確定検査の一層の改良が可能となった。(これにより 2015 年 11 月までに 5 件の行政検査を実施し、全検体陰性という結果を迅速且つ正確に確認した。さらに、希望した地方衛生研究所へ陽性コントロールの配布を行うことで、一次スクリーニングの精度管理に繋げることが可能になり、国のサーベイランス体制改善の一助となった。) また、MERS の迅速診断法に関しては、サウジアラビアの大学と共同研究を実施し、現地での臨床検体を用いた臨床性能試験を実施した。<br>➢ リアルタイムに地域のウイルス性呼吸器感染症の発生動向を把握可能なネットワークシステムの構築のため、検疫所･地方衛生研究所等と協力し、インフルエンザ、MERS、麻しん・風しん等、ウイルス性呼吸器感染症を引き起こす様々な病原体を同時に鑑別診断可能な LAMP 法を基盤とした全自動 POC 迅速遺伝子検査システムの開発を進めた。<br>➢ 中南米を中心に世界的に流行したジカ熱に対する対策を強化するために、国立感染症研究所・大学等研究機関・企業の連携に加え、ブラジル研究機関との連携を推進し、ジカウイルス感染症に対する国際連携ワークショップを 2 回開催した。また、ブラジル研究機関主催の現地巡回による臨床検体収集のためのキャラバンへ研究者を派遣し、ジカウイルス感染症由来の胎盤や血液等サンプルを得て、共同研究を実施した。調整費を活用しジカウイルスワクチ | フルエンザワクチンの効果を裏付ける多量体 IgA 抗体の存在と効果の発見および四量体型 SIgA 抗体を作製する技術の新規開発」、「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ける第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験（企業治験）の開始」、「高病原性鳥インフルエンザ感染症の国際連携研究の推進のためのエジプトとの連携体制を強化」を行った。その他、「エボラ出血熱ウイルス治療用抗体を開発し、PCT 出願」、「SFTS に対する抗ウイルス薬の医師主導型臨床研究」、「セアカコケグモ抗毒素の非臨床試験開始」、「MERS コロナウイルスの感染を効果的に阻害する薬剤の同定」、「H5N1 ウイルスヒト不顕性感染例の発見」、「抗デングウイルス薬ついて、全血清型にウイルス増殖阻害効果を示す候補化合物の合成展開と新たなヒット化合物の取得」、「原因不明の難病である慢性活動性 EB ウイルス感染症の遺伝子解析による、がんを引き起こす仕組みの解明」、「トキソプラズマ症におけるヒト免疫反応を抑制する新規病原性機構の解明」、「世界初のリバースジェネティクスによるヒトロタウイルスの人工合成の成功」、「パンデミック真菌カンジダ・アウリス迅速遺伝子診断法の開発」、「腸内細菌科の病原細菌サルモネラの胆汁が存在する腸内での細菌の環境適応機構の解明」、「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の発見」、「麻疹ウイルスがヒトに感染する際に必須のウイルス膜融合蛋白質構造の解明」、「麻疹ウイルス膜融合蛋白質と阻害剤が結合した状態を原子レベルの分解能での可視化に成功」など、多くの画期的な成果を得た。また、J-GRID 事業での「PS、PO、AMED 職員によるフィリピン、 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ン開発、ジカウイルス迅速診断法開発等を支援した。その結果、ジカウイルスワクチンについては、選定したワクチンシーズについて、治験薬の製造、非臨床試験を完了し、企業治験にむけた準備を実施した（2019 年 2 月に PMDA 対面助言実施）。また、ジカワクチンターゲットプロダクトプロファイル（TPP）作成を目的とした産官学連携によるワーキンググループを立ち上げ、TPP 検討会を実施するなど、ワクチン開発に向けた取組みが進展した。ジカウイルス迅速診断法については、LAMP 法を用いた迅速診断法開発を推進し、ジカウイルス迅速診断キットの製造販売承認を平成 30 年 6 月に取得した。<br>➢ ノロウイルスワクチンについては、第 1 世代ノロウイルスワクチンシーズに関する企業とライセンス契約締結（企業導出）が完了し、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した。<br>➢ マウスノロウイルスの感染受容体が細胞表面上に存在する CD300lf、CD300ld であることを明らかにした。この結果によりマウスノロウイルスの感染の仕組みが解明されたとともに、ノロウイルスワクチン、ノロウイルス治療薬、ノロウイルス消毒薬開発への応用が期待された。<br>➢ ヒトロタウイルスのリバースジェネティクスによる人工合成に世界で初めて成功した。<br>➢ 治療法の無い重症熱性血小板減少症候群（SFTS）の治療法開発に向けて、調整費を活用して SFTS に対する抗ウイルス薬の実用化を推進するための医師主導型臨床研究を行った。<br>➢ エボラ出血熱ウイルス治療用抗体を開発し、PCT 出願を行った。<br>➢ エボラウイルスワクチンについては、GLP 準拠エボラウイルス候補ワクチンの製造を完了し、非臨床試験を開始した。ヒトでの臨床研究についても実施準備を行った。<br>➢ 流行性耳下腺炎の原因ウイルスであるム | ベトナム、ミャンマー、ガーナ、ザンビアの各拠点のサイトビジットと研究支援強化」、「総計 109 名の若手の感染症研究者の登用支援および雇用」、J-PRIDE 事業での、若手研究者の斬新な視点・発想、異分野連携に基づく感染症研究の推進として、「在京英国大使館の協力を得て J-PRIDE 若手研究者と英国研究者とのワークショップ開催および日英共同研究支援の実施」等、所期の目標を大きく上回った。<br><br>以上から、機構の目的・業務、中長期計画等に照らし、機構の活動による成果、取組み等について、諸事情を踏まえて総合的に勘案した結果、効果的かつ効率的な業務運営の下で、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められるため、評価を A とする。<br><br>【感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等の一体的な推進】<br>・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、第 II 相企業治験完了後、第 III 相企業治験を実施し、世界初の経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける多量体 IgA 抗体の存在と効果を発見した。<br>・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、第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験として企業治験を開始し、研究計画が大幅に進捗した。<br>・ノロウイルスワクチンについては第 1 世代ノロウイルスワクチンシーズの企業導出の完了、新たな次世代ノロウイルスワクチンシーズ開発を開始した。<br>・中南米を中心に感染拡大が発生し | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ンプスウイルスの細胞表面受容体への結合構造を解明し、ワクチンや抗ウイルス薬の開発・改良に関する重要な情報を得た。<br>➢ ダニ媒介性ウイルス性脳炎ウイルスの新たな発症メカニズムに関する研究について、ダニ媒介性脳炎ウイルスの遺伝子 RNA が神経細胞の樹状突起内を新規のメカニズムで移動し、中枢神経症状の発症に影響していることを解明した。<br>➢ HTLV-1 等感染症の診断薬、治療薬及びワクチン開発については、新規 HTLV-1 治療用ヒト免疫グロブリンの開発等に関する研究開発課題について追加配賦を行い、研究の加速を図った。その結果、抗 HTLV-1 ヒト免疫グロブリンのウイルス感染リスクを、当初計画していた定量 PCR 法に加え、電子顕微鏡を用いた超微形態学的なアプローチも新たに導入し、ウイルス感染リスクが確認されないことを明らかにできた。また ATL 患者並びに HAM/TSP 患者末梢血リンパ球から HTLV-1 感染 T 細胞株を複数樹立出来たことに加え、これらを比較検討した結果、IL-10 受容体下流のシグナルに違いがあり、細胞の増殖性に大きく影響することを明らかにできた。<br>➢ ポリオ・麻疹等感染症の根絶・排除を継続する取組に資する研究に追加配賦を行い、研究の加速を図った。その結果、ポリオ直接検出法(ECRA 法）の改良が成功し、従来よりも 5～10 倍程度回収効率を上げることに成功した。また、麻しんリアルタイム PCR 法を確立し、平成 28 年 3 月までに地方衛生研究所を対象に本法の精度管理を実施することができた。<br>➢ 世界的な問題となっている薬剤耐性菌について、平成 28 年 4 月に策定された薬剤耐性(AMR)対策アクションプランに基づいた研究開発を推進するために、コリスチン耐性因子 *mcr-1* を産生するコリスチン耐性株を簡便、迅速に検出する試験法の構築のため、化合物ライブラリーから、MCR-1 を阻害する物質を複数見出し、効果につい | 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。<br>・ SFTS に対する抗ウイルス薬の実用化を推進するための医師主導型臨床研究を行った。<br>・ 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充実させるとともに、プラスミド・ネットワーク解析ツール iPAT に 3 次元イメージ化を追加・改良し、公開バージョンの準備を行い、国際的な感染症対策の強化に貢献した。<br>・ 多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を複数発見した。そのうち最適化合物については構造解析を終了し、特許を出願した。<br>・ 結核 DNA ワクチンについては医師主導治験の実施のための PMDA 対面助言および治験届けを提出した。<br>・ HIV-1 感染最初期におけるウイルスタンパク質と内因性免疫のせめぎあいの分子メカニズムを解明した。<br>・ 麻疹ウイルスがヒトに感染する際に必須のウイルス膜融合蛋白質の構造を世界で初めて解明し、さらに、ウイルス膜融合蛋白質と阻害剤が結合した状態を原子レベルの分解能で可視化することに成功した。<br>・ 高い抗デング活性を示す安定な候補物質を数種類見出した。<br>・ セアカゴケグモ抗毒の安全性を確保するための非臨床試験を行った。<br><br>これらの成果により、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高く評価 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | て検討を行った。また、深海微生物由来物質のスクリーニングからメチシリン耐性黄色ブドウ球菌及びバンコマイシン耐性腸球菌に対して抗菌活性のある新規物質を発見し、構造解析をすすめた。メチシリン耐性黄色ブドウ球菌および多剤耐性緑膿菌に感染した皮膚潰瘍を対象とする光線力学療法について、ヒトを対象とした臨床研究で有効性を見出した。また、医師主導治験に向けた GLP 試験実施のための準備を実施した。超多剤耐性グラム陰性菌に対する新規抗菌化合物を天然物由来ライブラリーから選定し、*in vitro* の系において高い有効性を示す化合物を見出した。病原体ゲノムデータベース（GenEpid-J）では、薬剤耐性の発生・伝播機序等の解明に向けて、薬剤耐性腸内細菌科細菌を中心に、細菌及びプラスミドのゲノムデータを収集し、データベースの拡充を図った。また、プラスミド・ネットワーク解析ツール iPAT に３次元イメージ化を追加・改良し、公開バージョンの準備を行った。さらに、ベトナム、カンボジア、タイ等においてカルバペネム耐性腸内細菌科細菌（CRE）臨床分離株を収集し、全ゲノムまたはプラスミドゲノムの塩基配列を取得し、これらの株の一部については国内の分離株との比較解析を実施した。AMR 等の喫緊の課題について抗菌剤創薬の観点から広く意見交換を行う場を AMED、関係学会（日本感染症学会及び日本化学療法学会）及び関連する製薬企業（製薬協）の専門家等で構成するとともに、AMR 関連課題について実用化に向けた意見交換会を実施した。<br>➢ 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、超多剤耐性グラム陰性菌に対する新規抗菌化合物を企業の有する天然物由来ライブラリーから 7 種類の候補化合物を選定した。また、工業製品化に向けたポリマー型抗菌剤の開発を推進した。また、新たな機序の抗菌薬開発の取組みとして、細菌の多剤排出ポン | できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・引き続き、感染症対策の強化に向けた診断薬、治療薬及びワクチン等開発の推進を行う。具体的には、現在非臨床で開発が進んでいる新規抗結核薬等のシーズについて創薬支援部と連携し、実用化に向けた臨床試験への橋渡しを加速していく。<br><br>【感染症に関する国内外での研究推進】<br>・ 国内の研究機関・企業が連携し開発したジカウイルス迅速診断法について、ブラジル研究機関とも連携し、ブラジルにおける臨床性能試験の完了後、LAMP 法を用いた迅速診断キットの製造販売承認を平成 30 年 6 月に取得した。<br>・ 国際事業部との連携で米国より専門家を招聘して研究者対象のセミナー「蚊媒介感染症と遺伝子編集技術」を開催した。薬剤耐性（AMR）シンポジウム　～AMED における基礎から創薬までの研究開発最前線～を開催した。<br>・ 国際連携イニシアティブ(GloPID-R)の活動を通して、世界の感染症アウトブレイク等への対応に関する情報収集、日本からの情報発信を積極的に行ったことは評価できる。特に、2019 年 GloPID-R 総会をホスト、データシェアリングに関するサイドイベントを企画開催して、主体的な役割を果たしてプレゼンスを高めた。<br>・ AMR 研究の国際連携コンソーシアム（JPIAMR）が進めている、AMR 研究のバーチャルな国際連携のプ | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | プを標的とした阻害剤の探索を行った。特に多剤耐性緑膿菌に対する阻害剤のスクリーニングを行った。<br>➢ 腸内細菌科の病原細菌であるサルモネラが、自身の細胞内レギュレーターRamR タンパク質により胆汁酸を認識し、その結果、胆汁排出の機能を有する排出タンパク質の発現を誘導する胆汁排出機構を解明した。胆汁が存在する腸内での細菌の環境適応機構を明らかにした。<br>➢ 院内感染対策サーベイランス(JANIS)システムについて、WHO サーベイランス（GLASS）に準拠した検体別集計プログラムを開発し、外来検体の集計・公開を開始した。また、インドネシア、ベトナム、モンゴルの厚生省とも連携し、試験的に WHONET から JANIS の形式への変換を行う等により、JANIS システムの改修を行った。<br>➢ 日本を含むアジア地域で問題となっている、治療困難な多剤耐性結核菌を中心とした結核菌について、国内、中国、韓国、ベトナム、モンゴル、台湾、フィリピン等から分離株及びゲノムデータの収集を行い、結核菌ゲノムデータベース（GReAT）を構築し、継続して拡充を図った。これにより、質・規模ともに世界的に類をみない優位性の高いデータベースへと成長した。更に、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について登録株の約 4 分の 1（約 900 株）についてデータ公開を行った。また一昨年度までに開発を行った結核菌ゲノム情報解析ツール Total Genotyping Solution for TB （TGS-TB)について、GReAT の収載データ数の増加に伴い、そのデータを活用し、薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。<br>➢ 結核 DNA ワクチンについて、安全性に係る非臨床試験が完了し、国立病院機構を中心とした医師主導治験実施の準備のため、PMDA との対面助言を実施し、治験届けを提出した。<br>➢ 非結核性抗酸菌症（NTM 症）の研究を推 | ラットフォーム（VRI)に参加を表明した。JPIAMR が開催したワークショップに日本の研究者を派遣した。また、JPIAMR 事務局がまとめている各国の AMR 研究支援課題マッピングとその公開に向けて協力した。<br>・結核菌ゲノムデータベース（GReAT）の拡充を図り、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について登録株のデータ公開を行った。結核菌ゲノム情報解析ツール（TGS-TB）の薬剤耐性予測機能の高精度化を行った。<br><br>これらの成果は高く評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・引き続き国際的に問題となる感染症について、関係各国の研究機関とも連携して対策を進めていく。また感染症に対する国際連携ネットワーク(JPIAMR)や国際連携イニシアティブ(GloPID-R)とも引き続き連携し情報共有を行う。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 進し、国内における NTM 症の罹患率が 7 年前と比較して 2.6 倍と急激な勢いで上昇し、公衆衛生上重要な感染症となっていることを明らかにした。<br>➢ 肺 MAC 症（MAC: 複数のマイコバクテリウム属細菌種から構成される系統群の総称）について、集団規模での菌ゲノム比較解析により、肺 MAC 症原因菌が進化する仕組みを解明した。<br>➢ 実践的理論疫学研究については、疫学観察データを数理モデルへ適合させ、マダガスカルの肺ペスト流行の国際的流行リスクが極めて限定的であることを証明し、リアルタイムで社会へ還元を行った。<br>➢ パンデミック真菌カンジダ・アウリスを 1 時間以内に検出・診断できる遺伝子診断法を開発し、米国疾病管理センター（CDC）協力の下に実証試験を計画した。<br>➢ トキソプラズマ症におけるヒト免疫反応に関する研究について、トキソプラズマ症の免疫反応に関する重要な因子 Gate-16 を同定し、また、トキソプラズマ病原性因子 GRA15 が、ヒトでは宿主細胞に作用して一酸化窒素の産生を誘導し、免疫応答を抑制するという新規の病原性機構を発見した。<br>➢ 研究ツールとして高頻度突然変異率を持つマラリアミューテーターを開発し、原虫ゲノムの多様な変異の蓄積と配偶子分化誘導因子の高頻度な変異挿入を発見した。これにより剤耐性マラリア対策に向けた迅速な研究が可能となった。<br>➢ 日本で生息域が拡大しているセアカコケグモによる咬傷患者治療に必須な抗毒素を国内で製造・供給を可能にするため、国産のセアカゴケグモ抗毒素製造プロジェクトを推進する研究開発課題に対して追加配賦を行い、研究の加速を図った。その結果、平成 28 年 1 月より抗毒素の安全性を確保するための非臨床試験が開始することができた。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・「感染症研究国際展開戦略プログラム」（以下「J-GRID」という。）でも感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等の一体的な推進に向けた支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ 東京大学のエンベロープウイルス感染制御のための基礎研究を加速化するため、当課主導により感染研との連携強化を進めた。その結果、中東呼吸器症候群（MERS）の原因ウイルス(MERS コロナウイルス)創薬導出に向けての感染の最初の過程であるウイルス外膜と細胞膜との融合を簡便かつ定量的に評価できるハイスループット測定系を開発し、MERS コロナウイルスの感染を効果的に阻害する薬剤を同定した。この成果について、東京大学とAMED による共同プレスリリースを行った。<br>➢ 神戸大学インドネシア拠点において、H5N1 ウイルスに極めて濃厚に暴露している生鳥市場従業員の血清を調べ、インフルエンザ発症歴の無い従業員 101 人のうち 84%に抗 H5N1 ウイルス抗体を検出した。多数の H5N1 ウイルスヒト不顕性感染例を示した世界初のデータであり、H5N1 ウイルスのヒトへの感染と病原性を再検証する必要を示した。この成果について、神戸大学と AMED による共同プレスリリースを行った。また、生鳥市場で鳥とヒト、両ウイルスの混合感染が起こり得ることが示唆されたことから追加予算の交付行い、更なるコホート調査の支援強化を行った。<br>➢ 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、PMDA RS 戦略相談を経て治験届を提出し、第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験として治験を開始した。<br>➢ デング熱制御研究について、デングウイルス粒子の構造と抗デングウイルス抗体の結合によるウイルス感染性の変化を調べる新しい研究基盤が開発できた。このシステムの活用で、デングウイルス E タンパ | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ク質二量体と抗体による複合体の平衡構造の解析をすすめ、抗体依存性感染増強（ADE）の分子機構の解析を加速させた。<br>➢ 抗デングウイルス薬について、全ての血清型のデングウイルスへのウイルス増殖阻害効果を示す候補化合物の合成展開を実施した。また、追加で drug repositioning ライブラリーから複数のヒット化合物が得られた。<br>➢ デング熱対策に資する研究において、北里大学天然化合物ライブラリーより確認された抗ウイルス活性を示す候補化合物において、引き続き高い抗デング活性を示す安定な候補物質を数種類見出し、分子構造の解析を実施した。<br>➢ 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。<br>➢ 迅速・正確な感染症診断を可能にする病原微生物同定システムの開発において、ポータブル型の DNA シーケンサー「MinION」（Oxford Nanopore Technology 社製）に応用可能なゲノム解析システムを開発し、16S rRNA 遺伝子を PCR 増幅して配列決定することにより、細菌感染症試料に対する細菌の同定を 2 時間以内で行うことが可能であることを示唆した。<br>➢ 多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた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複数発見した。そのうち最適化合物については構造解析を終了し、特許出願済み。<br>➢ 薬剤耐性結核の迅速診断キットの開発と実用化研究において、核酸クロマトグラフィーの技術を応用してイソニアジド耐性菌検出法の基盤技術を確立した。本法により、イソニアジド耐性菌が迅速に検出できるようになった。また、リファンピシン耐 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 性結核菌検出用テイラーメイド診断キットの開発に着手した。<br><br>・「感染症研究革新イニシアティブ」（以下「J-PRIDE」という。）の公募型研究では、異分野連携と若手の斬新な発想に基づく挑戦的な課題を採択、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等の一体的な推進に向けた支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ 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において、麻疹ウイルスがヒトに感染する際に必須のウイルス膜融合蛋白質の構造を世界で初めて解明し、さらに、ウイルス膜融合蛋白質と阻害剤が結合した状態を原子レベルの分解能で可視化することに成功した。<br>➢ HIV 感染症の新規治療コンセプトの確立を目指したシステムウイルス学研究において、ヒト免疫システムを再構築し、HIV-1 に感受性をもつ小動物モデル「ヒト化マウス」を用い、HIV-1 感染最初期におけるウイルスタンパク質と内因性免疫のせめぎあいの分子メカニズムを解明した。<br>➢ 次世代シーケンサーを使った新規臨床データの遺伝子解析によって、慢性活動性 EB ウイルスが血液がんを引き起こすメカニズムを解明した。<br>➢ 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において、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、マラリアに対するワクチン開発や治療薬の開発に大きく貢献すると期待されている。<br>➢ マラリア治療薬、マラリアの治療方法、マラリア治療用候補物質のスクリーニング方法、マラリア重症化マーカー、マラリアの重症化の危険度を試験する方法および試験試薬に係る特許を出願した。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ■感染症に関する国内外での研究推進<br>・新興・再興感染症事業では、感染症に関する国内外での研究について支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ ジカウイルス感染症に関する研究課題のブラジルとの協力開始にあたり、日本側研究機関とブラジル側研究機関との協力覚書締結（平成２８年１０月）に向けた助言や人的橋渡し等の側面支援を行って研究を推進した。<br>➢ 中南米を中心に世界的に流行したジカ熱に対する対策を強化するために、国立感染症研究所・大学等研究機関・企業の連携に加え、ブラジル研究機関との連携を推進し、ジカウイルス感染症に対する国際連携ワークショップを２回開催した。また、ブラジル研究機関主催の現地巡回による臨床検体収集のためのキャラバンへ研究者を派遣し、ジカウイルス感染症由来の胎盤や血液等サンプルを得て、共同研究を実施した。調整費を活用しジカウイルスワクチン開発、ジカウイルス迅速診断法開発等を支援した。その結果、ジカウイルスワクチンについては、選定したワクチンシーズについて、治験薬の製造、非臨床試験を完了し、企業治験にむけた準備を実施した（2019 年 2 月に PMDA 対面助言実施）。また、ジカワクチンターゲットプロダクトプロファイル（TPP）作成を目的とした産官学連携によるワーキンググループを立ち上げ、TPP 検討会を実施するなど、ワクチン開発に向けた取組みが進展した。ジカウイルス迅速診断法については、LAMP 法を用いた迅速診断法開発を推進し、ジカウイルス迅速診断キットの製造販売承認を平成 30 年 6 月に取得した。（再掲）<br>➢ 平成 28 年 10 月、国際事業部との連携で米国より専門家を招聘して研究者対象のセミナー「蚊媒介感染症と遺伝子編集技術」を国立感染症研究所において開催、感染環制御に関する最先端の研究について研究者間の交流、我が国の若手研究者の育 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 成に努めた。<br>➢ 院内感染対策サーベイランス(JANIS)システムについて、WHO サーベイランス（GLASS）に準拠した検体別集計プログラムを開発し、外来検体の集計・公開を開始した。また、インドネシア、ベトナム、モンゴルの厚生省とも連携し、試験的に WHONET から JANIS の形式への変換を行う等により、JANIS システムの改修を行った。(再掲)<br>➢ 感染症アウトブレイクに対する研究支援協力を目的とした国際連携イニシアティブである GloPID-R（Global Research Collaboration for Infectious Disease Preparedness)の活動として、AMED の研究支援関連情報を GloPID-R Newsletter に提供、世界に発信した。また、次回年次総会（2019 年 5 月開催）をホストするための準備を進めた。<br>➢ 薬剤耐性(AMR)研究の国際連携コンソーシアムである JPIAMR（Joint Programming Initiative on Antimicrobial Resistance）が進めている、AMR 研究のバーチャルな国際連携のプラットフォーム、Virtual Research Institute (VRI)の設立に向けての議論に参加した。平成 30 年 12 月に JPIAMR がオランダで開催したワークショップに日本の研究者を派遣した。また、JPIAMR 事務局がまとめている各国のＡＭＲ研究支援課題マッピング作業に協力した。<br>➢ 平成 29 年 9 月 28 日（木)、感染症研究課が中心となり関連部門との連携で、薬剤耐性（ＡＭＲ）シンポジウム　～AMED における基礎から創薬までの研究開発最前線～を開催、AMR に関する産学官の議論を促した。 | | | |
| | また、国内外の病原体に関する全ゲノムデータベースを構築することで、病 | また、特に重要となっている感染症（インフルエンザ、デング熱、薬剤耐性 | ＜評価軸＞<br>・国内外の病原体に関する全ゲノムデータベースの構築 | ■病原体ゲノムデータベースの構築及び集積された情報を利用した感染症流行時の迅速対応<br>・新興・再興感染症事業と J-GRID では、病原体ゲノムデータベースの構築及び集積さ | 【病原体ゲノムデータベースの構築及び集積された情報を利用した感染症流行時の迅速対応】<br>・薬剤耐性菌について、カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノム情報を、 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 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する。また、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る。 | 菌、下痢感染症等）を対象に、海外と国内の流行株のゲノム変異、病原性、薬剤耐性等の変化をリアルタイムに把握し、国内侵入時の迅速対応を可能にするとともに、進化論的解析による流行予測の可能性を検討する研究を支援する。 | 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。<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | れた情報を利用した感染症流行時の迅速対応について支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ 病原体ゲノムデータベースの構築及び集積された情報を利用した感染症流行時の迅速対応について支援を行った。<br>➢ 4大重点疾患（インフルエンザ、デング熱、薬剤耐性菌、下痢症感染症）それぞれを対象とした支援を行うことで、国立感染症研究所の研究者及び「感染症研究国際展開戦略プログラム」（北海道大学・長崎大学・岡山大学・大阪大学）の研究者が研究開発代表者となって各病原体サンプル収集・解析・ゲノムデータ共用の拡充をさらに進めた。また、4大重点疾患のうち、薬剤耐性菌については、カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノム情報について、大阪大学が国立国際医療センター研究所、国立感染症研究所と連携し、論文の発表時に順次公開を進めた。<br>➢ 病原体ゲノムデータベース（GenEpid-J）では、薬剤耐性の発生・伝播機序等の解明に向けて、薬剤耐性腸内細菌科細菌を中心に、細菌及びプラスミドのゲノムデータを収集し、データベースの拡充を図った。また、プラスミド・ネットワーク解析ツールiPATに３次元イメージ化を追加・改良し、公開バージョンの準備を行った。さらに、ベトナム、カンボジア、タイ等においてカルバペネム耐性腸内細菌科細菌（CRE）臨床分離株を収集し、全ゲノムまたはプラスミドゲノムの塩基配列を取得し、これらの株の一部については国内の分離株との比較解析を実施した。（再掲）<br>➢ 院内感染対策サーベイランス(JANIS)システムについて、WHOサーベイランス（GLASS）に準拠した検体別集計プログラムを開発し、外来検体の集計・公開を開始した。また、インドネシア、ベトナム、モンゴルの厚生省とも連携し、試験的にWHONETからJANISの形式への変換を行う等により、JANISシステムの改修を行っ | 大阪大学が国立国際医療センター研究所、国立感染症研究所と連携し、論文の発表時に順次公開を進めた。<br>・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。WHOサーベイランス（GLASS）に準拠した院内感染対策サーベイランスシステム（JANIS）の検体別集計プログラムを開発するとともに、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。<br>・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）についてGReATの収載データ数の増加に伴い、そのデータを活用し、薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。更に、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌についてデータベース登録株の約4分の1（約900株）についてデータ公開を行った。<br>・デング熱制御研究について、抗体依存性感染増強（ADE）の分子機構の解析を加速させた。<br><br>これらの成果により、病原体ゲノムデータベースの構築及び集積された情報を利用した感染症流行時の迅速対応を推進したことは高く評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・さらなる病原体データベースの拡充や整備を新興・再興感染症事業とJ-GRIDとの連携の元に行い、日本だけではなく、日本と関連の深いアジア地域の病原体情報も包括するデー | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | た。（再掲）<br>➢ 日本を含むアジア地域で問題となっている、治療困難な多剤耐性結核菌を中心とした結核菌について、国内、中国、韓国、ベトナム、モンゴル、台湾、フィリピン等から分離株及びゲノムデータの収集を行い、結核菌ゲノムデータベース（GReAT）の拡充を図った。これにより、質・規模ともに世界的に類をみない優位性の高いデータベースへと成長した。更に、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について登録株の約4分の1（約900株）についてデータ公開を行った。また一昨年度までに開発を行った結核菌ゲノム情報解析ツール Total Genotyping Solution for TB（TGS-TB)について、GReATの収載データ数の増加に伴い、そのデータを活用し、薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。（再掲）<br>➢ デング熱制御研究について、デングウイルス粒子の構造と抗デングウイルス抗体の結合によるウイルス感染性の変化を調べるシステムの活用し、デングウイルスEタンパク質二量体と抗体による複合体の平衡構造の解析を更にすすめ、抗体依存性感染増強（ADE）の分子機構の解析を引き続き加速させた。（再掲） | タベースの構築を引き続き推進する。またデータベースの病原体情報を利用した抗菌薬開発等、蓄積した病原体情報の効果的な活用方法を引き続き検討する。 | | |
| | さらに、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 | また、病原体の感染から増殖にいたる過程を解析して治療薬の標的を定め、薬剤開発のシーズを抽出する。さらに、病原体の血清型と繰り返し感染・病態の重篤化等に関する情報、ゲノム情報を応用した計算科学による病原体 | ＜評価軸＞<br>・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 | ■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）等を踏まえた新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発<br>・新興・再興感染症事業では、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）等を踏まえた新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発について支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ インフルエンザの感染防御に有効で、現在使用されている注射型ワクチンと比べ多 | 【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）等を踏まえた新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発】<br>・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、第II相企業治験完了後、第III相企業治験を実施し、世界初の経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける多量体IgA抗体の存在と効果を発見した。<br>・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、第 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 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する。これにより、国内のみならず、感染症が発生している海外の現地における予防・診断・治療等への貢献が可能となる。 | タンパク質の構造情報等をもとに適切な抗原を設定し、ワクチン開発戦略等を構築する。 | 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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | 様な流行株にも効果を有するとされる新規経鼻インフルエンザワクチンの開発に関する研究開発課題に対して、実用化に向けた成果創出への取組に沿った研究支援を行い、その成果創出の加速を図った。その結果、国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチン実用化に向け第Ⅰ相臨床試験（企業治験）が平成 27 年 10 月より開始されるとともに、平成 29 年度第 II 相試験が完了し、現在第 III 相試験を実施中。さらなる成果として、多量体 IgA 抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した。また、四量体型 SIgA 抗体を作製する技術を新規開発し、単量体や二量体、四量体の IgA 抗体を人工的に作製することに成功した。本技術を用いることで、SIgA 抗体は四量体化すると単量体では不活化できないウイルスも不活化できることが明らかとし、その効果について検証を行った。（再掲）<br>➢ ノロウイルスワクチンについては、第 1 世代ノロウイルスワクチンシーズに関する企業とライセンス契約締結（企業導出）が完了し、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した（再掲）。<br>➢ マウスノロウイルスの感染受容体が細胞表面上に存在する CD300lf、CD300ld であることを明らかにした。この結果によりマウスノロウイルスの感染の仕組みが解明されたとともに、ノロウイルスワクチン、ノロウイルス治療薬、ノロウイルス消毒薬開発への応用が期待された（再掲）。<br>➢ 中南米を中心に世界的に流行したジカ熱に対する対策を強化するために、国立感染症研究所・大学等研究機関・企業の連携に加え、ブラジル研究機関との連携を推進し、調整費を活用しジカウイルスワクチン開発、ジカウイルス迅速診断法開発等を支援した。その結果、ジカウイルスワクチンについては、選定したワクチンシーズについて、治験薬の製造、非臨床試験を完了し、 | Ⅰ/Ⅱ相臨床試験として企業治験を開始し、研究計画が大幅に進捗した。<br>・ノロウイルスワクチンについては、第 1 世代ノロウイルスワクチンシーズの企業導出の完了、新たな次世代ノロウイルスワクチンシーズ開発を開始した。<br>・中南米を中心に世界的に流行したジカ熱に対し、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、ワクチンについては治験薬の製造、非臨床試験を完了し、企業治験にむけた準備を実施、迅速診断法開発についてはブラジル研究機関とも連携し、ブラジルにおける臨床性能試験の完了後、LAMP 法用いた迅速診断キットの製造販売承認を平成 30 年 6 月に取得し、対策を強化した。<br>・デングウイルス増殖阻害剤の開発研究に関して、候補化合物の一つがデングウイルス 2 型の Vero 細胞における増殖を阻害することを明らかとした。<br>・治療法の無い重症熱性血小板減少症候群（SFTS）の治療法開発に向けて、SFTS に対する抗ウイルス薬の実用化を推進するための医師主導型臨床研究を行った。<br>・治療困難な多剤耐性結核に対して、結核 DNA ワクチンの医師主導治験の実施のための PMDA 対面助言および治験届けを提出した。<br>・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。<br><br>これらの成果により、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 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 企業治験にむけた準備を実施した（2019年2月にPMDA対面助言実施）。また、ジカワクチンターゲットプロダクトプロファイル（TPP）作成を目的とした産官学連携によるワーキンググループを立ち上げ、TPP検討会を実施するなど、ワクチン開発に向けた取組みが進展した。ジカウイルス迅速診断法については、LAMP 法を用いた迅速診断法開発を推進し、ジカウイルス迅速診断キットの製造販売承認を平成30年6月に取得した。（再掲）<br>➢ ジカウイルスについて、数理モデルを用いて感染症流行動態を予測し、その感染力がデング熱と同等であることを世界で初めて明らかにした。<br>➢ 抗結核菌物質探索において、北里大・微生物資源ライブラリーを活用したスクリーニングの支援を、創薬支援戦略部と連携して行うことで多剤耐性結核の新規治療薬開発を促進した。同様に、抗デング熱薬剤開発でも天然抽出物を中心としたスクリーニング支援を行い、創薬推進に向けた取組を行った。<br>➢ エボラウイルスワクチンについては、GLP準拠エボラウイルス候補ワクチンの製造を完了し、非臨床試験を開始した。ヒトでの臨床研究についても実施準備を行った。（再掲）<br>➢ 治療法の無い重症熱性血小板減少症候群（SFTS）の治療法開発に向けて、調整費を活用して SFTS に対する抗ウイルス薬の実用化を推進するための医師主導型臨床研究を行った。（再掲）<br>➢ 結核DNAワクチンについて、安全性に係る非臨床試験が完了し、国立病院機構を中心とした医師主導治験実施の準備のため、PMDA との対面助言を実施し、治験届けを提出した。（再掲）<br>➢ 世界的な問題となっている薬剤耐性菌について、平成28年4月に策定された薬剤耐性(AMR)対策アクションプランに基づいた研究開発を推進するために、コリスチン | 日関係閣僚会議決定）等を踏まえた新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を推進したことは高く評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・結核DNAワクチンの治験開始、インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発等の研究が加速されるよう、引き続き知財部や創薬支援戦略部とも連携を図り支援を行う。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 耐性因子 *mcr-1* を産生するコリスチン耐性株を簡便、迅速に検出する試験法の構築のため、化合物ライブラリーから、MCR-1を阻害する物質を複数見出し、効果について検討を行った。また、深海微生物由来物質のスクリーニングからメチシリン耐性黄色ブドウ球菌及びバンコマイシン耐性腸球菌に対して抗菌活性のある新規物質を発見し、構造解析をすすめた。メチシリン耐性黄色ブドウ球菌および多剤耐性緑膿菌に感染した皮膚潰瘍を対象とする光線力学療法について、ヒトを対象とした臨床研究で有効性を見出した。また、医師主導治験に向けた GLP 試験実施のための準備を実施した。超多剤耐性グラム陰性菌に対する新規抗菌化合物を天然物由来ライブラリーから選定し、*in vitro* の系において高い有効性を示す化合物を見出した。病原体ゲノムデータベース（GenEpid-J）では、薬剤耐性の発生・伝播機序等の解明に向けて、薬剤耐性腸内細菌科細菌を中心に、細菌及びプラスミドのゲノムデータを収集し、データベースの拡充を図った。また、ベトナム、カンボジア、タイ等において CRE 臨床分離株を収集し、全ゲノムまたはプラスミドゲノムの塩基配列を取得し、これらの株の一部については国内の分離株との比較解析を実施した。更に、プラスミド・ネットワーク解析ツール iPAT に３次元イメージ化を追加・改良し、公開バージョンの準備を行った。（再掲）<br>➢ AMR 等の喫緊の課題について抗菌剤創薬の観点から広く意見交換を行う場を AMED、関係学会（日本感染症学会及び日本化学療法学会）及び関連する製薬企業（製薬協）の専門家等で構成するとともに、AMR 関連課題について実用化に向けた意見交換会を実施した。<br><br>・J-GRID では、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）等を踏まえた新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発について支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ 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、PMDA RS 戦略相談を経て治験届を提出し、第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験として治験を開始した。（再掲）<br>➢ デング熱対策に資する研究において、北里大学天然化合物ライブラリーより確認された抗ウイルス活性を示す候補化合物において、引き続き高い抗デング活性を示す安定な候補物質を数種類見出し、分子構造の解析を実施した。（再掲）<br>➢ 海外から持ち込まれる蚊媒介性ウイルス感染症の対策に資する研究として、特に、デングウイルスに対する VLP ワクチン開発課題への追加配賦を行い研究の加速を図った。その結果、デングウイルス VLP 高生産系を確立したことに加え、マウスを用いたデングウイルス VLP の免疫原性試験を実施し、VLP 免疫により野生型ウイルスへの抗体応答が見られることを確認できた。<br>➢ デングウイルスの増殖とそれに起因する疾患の病態を詳細に調べ、治療薬の標的を定めるための基盤情報を得る研究「デングウイルス増殖阻害剤開発研究」に対して平成 27 年度第 2 回調整費にての成果創出の加速化を推進した。その成果として、得られた候補化合物の一つが実際にデングウイルス 2 型の Vero 細胞における増殖を阻害することが明らかになり、デングウイルス増殖阻害剤開発の 6 ヶ月の前倒しを達成することが出来た。<br>➢ 北海道大学の多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、AMED 創薬支援戦略部と連携し、北里大学との共同研究体制の構築し研究費の増額を行った。その結果、北里大学の天然化合物ライブラリーより強い抗結核菌活性を示す 5 つの候補物質 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | を確認した。<br>➢ 多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた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複数発見した。そのうち最適化合物については構造解析を終了し、特許出願済み。（再掲）<br>➢ 薬剤耐性結核の迅速診断キットの開発と実用化研究において、核酸クロマトグラフィーの技術を応用してイソニアジド耐性菌検出法の基盤技術を確立した。本法により、イソニアジド耐性菌が迅速に検出できるようになった。また、リファンピシン耐性結核菌検出用テイラーメイド診断キットの開発に着手した。（再掲） | | | |
| | また、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実施する。 | 海外の感染症流行地で患者に直接接する機会を活用し詳細な臨床情報を収集・解析することを通じて、実践的な感染症研究者の育成を図るための研修プログラムを策定し実施する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■海外拠点と国立感染症研究所等における研修プログラム実施<br>・J-GRID では、海外拠点と国立感染症研究所等における研修プログラム実施について支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ 「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 28 年 3 月、平成 29 年 3 月、平成 30 年 3 月開催）を AMED が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）、寄生虫・原虫感染症、HTLV-1、結核・非結核性抗酸菌、人畜共通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。<br>➢ 感染症研究所において、アイルランガ大学（インドネシア）及び東京医科歯科大学ガーナ野口記念医学研究所より研究員を招聘し、10 月～11 月にかけて 3 週間の研修を実施し、J-GRID の成果目標である人材育成を推進した。<br>➢ タイ拠点における研修プログラムでは、デング熱やチクングニア熱の診断法開発研 | 【海外拠点と国立感染症研究所等における研修プログラム実施】<br>・「新興・再興感染症制御プロジェクト　新興再興事業・J-GRID・J-PRIDE 合同シンポジウム」を開催したことで、共通課題毎での拠点間連携の強化を推進することが出来た。<br>・国立感染症研究所において、アイルランガ大学及び東京医科歯科大学ガーナ野口記念医学研究所より研究員を招聘し、研修を実施し、J-GRID の成果目標である人材育成を推進した。<br>・タイ拠点では、若手研究者がデング熱やチクングニア熱の診断法開発研究を通して、基本技術を習得した。また、医学部学生を、日本・タイ感染症共同研究センターあるいはマヒドン・大阪感染症研究センターに配属し、熱帯病研修を行い、人材育成を推進した。<br>・ザンビア拠点及び国内大学において、若手研究者を節足動物媒介性病原体、細菌、及びウイルス性人獣共通感染症の研究に参加させた。また、博士研究員をザンビア拠点へ長 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 究を通して、担当の若手研究者が単クローン抗体の作製技術に関して習熟し、またウイルス培養や感染力価の測定などウイルス研究に関わる基本技術を習得できた。J-GRID の成果目標である人材育成を推進した。<br>➢ タイ拠点における研修プログラムでは、日本の感染症専門医８名が参加し、複数のクリニック、大学病院で病院実習を行った。また、医学部３年次学生の希望者２名を、約１ヶ月間、日本・タイ感染症共同研究センターあるいはマヒドン・大阪感染症研究センターに配属し、デング熱研究あるいは細菌およびウイルス性下痢症研究に参加させ、熱帯病研修を行った。<br>➢ ザンビア拠点及び国内大学において、若手研究者を含む 7 名を節足動物媒介性病原体、細菌、及びウイルス性人獣共通感染症の研究に参加させた。また、博士研究員２名をザンビア拠点へ長期派遣し、ザンビアにおける人獣共通感染症を対象とした基礎・疫学研究に従事させた。<br>➢ フィリピン拠点においては、国内の医学部３年生４名の研修受け入れ約 2 週間の研究を実施した。熱帯地域の感染症臨床や対策を学ぶとともに、地方病院や貧困地域の現状および感染症対策の重要性を認識することができた。<br>➢ フィリピン拠点においては、国内の医学部６年生の研修を約２週間実施し、拠点内の病棟でインターンとして、熱帯地域の感染症臨床や対策を学ぶとともに、地方病院や貧困地域の現状および感染症対策の重要性を認識することができた。<br>➢ インドネシア拠点においては、国内の医学部３年生２名の感染症研修を実施した。<br>➢ ミャンマー拠点においては、国内の学部生３名への研修を実施し、病院の視察、実習、デング熱のサーベイランス等を行った。<br><br>■若手の感染症研究者育成の推進<br>・新興・再興感染症事業と J-GRID では、若 | 期派遣し、ザンビアにおける人獣共通感染症を対象とした基礎・疫学研究に従事させた。<br>・フィリピン拠点において、医学部の研究を実施し、熱帯地域の感染症臨床や対策を学ぶとともに、地方病院や貧困地域の現状および感染症対策の重要性を認識することができた。<br>・インドネシア拠点において、医学部の感染症研修を実施した。<br>・ミャンマー拠点においては、学部生３への研修を実施し、病院の視察、実習、デング熱のサーベイランス等を行った。<br><br>これら海外拠点と国立感染症研究所等における研修プログラムを実施したことは高く評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・引き続き海外拠点と国立感染症研究所等における研修プログラムを実施し、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を図る。<br><br>【若手の感染症研究者育成の推進】<br>・新興・再興感染症事業あるいは J-GRID において、育成した若手研究者（リサーチ・レジデントを含む）が大学及び研究機関等の職員として採用された。<br>・J-PRIDE において、異なる研究分野の若手研究者による合宿や合同研究発表会開催により、異分野の連携を図り若手研究者のさらなる育成を推進した。<br>・新興・再興感染症事業において、平 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 手の感染症研究者育成について支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ 新興・再興感染症事業・J-GRID において若手登用支援枠により採用したリサーチレジデント同士の交流促進のための発表会を開催した。<br>➢ 平成 28 年度は若手研究者 39 名の登用を支援し、国立研究機関等についてはリサーチ・レジデント制度を活用して 26 名を雇用した。平成 29 年度は若手研究者 7 名の登用を支援し、国立研究機関等についてはリサーチ・レジデント制度を活用して 11 名を雇用した。平成 30 年度は若手研究者 7 名の登用を支援し、国立研究機関等についてはリサーチ・レジデント制度を活用して 9 名を雇用した。<br>➢ 若手の感染症研究者育成の推進の結果、キャリアパス支援の枠組みで登用した 30 名の若手研究者（リサーチ・レジデントを含む）が大学及び研究機関等の職員として採用された。<br>➢ 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、平成 31 年度開始課題の公募を平成 30 年度中に実施し、若手研究者が応募しやすいよう若手育成枠を設定した。また、国際レビューア導入に伴い、応募のための提案書の一部を英語化した。その結果、多くの応募を得て、平成 31 年度より採択した研究者 3 名の研究課題を支援予定。平成 30 年度は若手育成枠にて 4 課題を支援。<br><br>・J-PRIDE では、海外研究機関と連携し若手研究者育成に資するプログラムを実施した。取組み内容は以下のとおり。<br>➢ 英国事務所との連携により、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）の研究者との間でワークショップを開催、両国研究者間の研究紹介や情報交換、議論を通し、共同研究の可能性を探っ | 成 31 年度開始課題の公募を平成 30 年度中に実施し、若手研究者が応募しやすいよう若手育成枠を設定した。また、国際レビューア導入に伴い、応募のための提案書の一部を英語化した。<br>・J-PRIDE 課題の若手研究者と英国研究機関の研究者との間でワークショップを 2 回に渡り開催、共同研究の可能性を見出した。具体的な共同研究につながった課題に研究費追加配分を行い支援した。これら若手感染症研究者育成の推進を行ったことは高く評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・引き続き若手研究者の支援を行い、感染症研究分野の底上げを推進する。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | た。具体的な共同研究の検討を進める課題については、さらなる議論を行うための英国再訪問に追加支援を行った。<br>➢ 在京英国大使館及びMRCとの協力により、J-PRIDE 若手研究者と英国研究者が参加する第２回日英ワークショップを東京で開催、新たな日英共同研究の開始や既存の共同研究発展の可能性を探る議論を行った。2019 年１月安倍首相訪英後の日英共同声明に、*「2017年に署名されたMOCに基づく国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED)と英国医学研究会議 (MRC)の間の協力並びに特に2019年に開始された感染症及び再生医療分野に関する協働を歓迎する。」*との文言が盛り込まれた。 | | | |
| | さらに、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する。<br>また、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する。<br>「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本方針」（平成 27 年９月 11 日関係閣僚会議決定）及び「国際的に脅 | 将来的に、我が国で結核についての低まん延化ができるよう、新規結核ワクチン等の研究のうち、有望な革新的技術については早期の実用化を目標に開発を推進する。<br>また、2020年の東京オリンピック・パラリンピックに向け感染症の早期診断並びに発生動向の迅速かつ正確な把握に資する研究を推進する。<br>「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基 | ＜評価軸＞<br>・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。<br>・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。<br>・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 | ■WHOの結核対策を受けた2020年までの低蔓延国入りに向けた研究の推進<br>・新興・再興感染症事業では、結核の低蔓延国入りに向けた研究の推進を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ 日本を含むアジア地域で問題となっている、治療困難な多剤耐性結核菌を中心とした結核菌について、国内、中国、韓国、ベトナム、モンゴル、台湾、フィリピン等から分離株及びゲノムデータの収集を行い、結核菌ゲノムデータベース（GReAT）の拡充を図った。これにより、質・規模ともに世界的に類をみない優位性の高いデータベースへと成長した。更に、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について登録株の約４分の１（約900株）についてデータ公開を行った。また一昨年度までに開発を行った結核菌ゲノム情報解析ツール Total Genotyping Solution for TB (TGS-TB)について、GReATの収載データ数の増加に伴い、そのデータを活用し、薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。（再掲）<br>➢ わが国が結核低蔓延状況に近づいていることを踏まえて、罹患率低下の促進や今後の対策のあり方や検討するための研究開発を推進した。特に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 | 【WHOの結核対策を受けた2020年までの低蔓延国入りに向けた研究の推進】<br>・結核について、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）を開発し、更にGReATの収載データ数の増加に伴い、薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。また、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌についてデータベース登録株の約４分の１（約900株）についてデータ公開を行った。<br>・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、地方自治体や医療機関等との連携の元に高齢者施設・介護職員、住宅医療サービス提供者、喫煙者等を対象とした手引きの作成、接触者健診の質的改善を目的とした接触者健診台帳システム構築や手引き策定、小児結核対策の症例検討会を実施し、普及啓発、人材育成に寄与する成果を得た。さらに、結核対策の質の向上を | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 威となる感染症対策の強化に関する基本計画」（平成 28 年２月９日関係閣僚会議決定）等を踏まえて形成される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国の指示に基づき推進する。 | 本方針」（平成 27 年９月 11 日関係閣僚会議決定）及び「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」（平成 28 年２月９日関係閣僚会議決定）等を踏まえて形成される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国の指示に基づき推進する。 | チン等の研究開発を推進したか。<br><br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | 進に資する研究開発を推進した。地方自治体や医療機関等との連携の元に高齢者施設・介護職員、住宅医療サービス提供者、喫煙者等を対象とした手引きを作成した。都市部及び地方における感染状況の分析に分子疫学的調査研究の有用性を証明した。接触者健診の質的改善を目的に接触者健診台帳システム構築を進めた。また、集団感染が疑われる接触者健診の症例を収集し手引き策定を進めた。潜在性結核感染症の診断のための，新しいツール(QFT-plus)の免疫低下における反応を検討し，重要な知見を得た。小児結核対策の症例検討会を実施し課題を明らかにするとともに普及啓発、人材育成に寄与する成果を得た。様々な状況にある結核患者に対する支援のために地域包括ケアとの連携、服薬アプリの開発、治療成績の分析を行い、対策の改善につながる知見を得た。医療提供体制の検討のために空気感染隔離室の実態に対する全国質問票調査を実施し情報を得た。外国出生結核患者の対応のために、スクリーニングの費用対効果分析、日本語学校への調査、対応困難事例の検討を行い、解決のための知見を得た。また、結核菌の分子疫学評価、検査の精度保証等の病原体に対する研究を進展させ、将来的な結核菌の病原体サーベイランスの全国的体制確立に向けた基盤を整備した。<br>➢ 結核 DNA ワクチンについて、安全性に係る非臨床試験が完了し、国立病院機構を中心とした医師主導治験実施の準備のため、PMDA との対面助言を実施し、治験届けを提出した。（再掲）<br><br>・J-GRID では、結核の低蔓延国入りに向けた研究の推進を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ 多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた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 | 目的に結核患者・潜在性結核感染症の支援・管理のためのツール開発や、外国出生結核患者対策のための情報収集を行った。<br>・結核 DNA ワクチンについて、安全性に係る非臨床試験が完了し、国立病院機構を中心とした医師主導治験実施に向け、治験届けを提出した。<br>・天然化合物ライブラリーを用いた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最適化合物について構造解析を終了し特許出願した。<br>・薬剤耐性結核の迅速診断キットの開発のため基盤技術を確立し、テイラーメイド診断キットの開発に着手した。<br><br>これらの成果により、WHO の結核対策を受けた 2020 年までの低蔓延国入りに向けた研究の推進を行ったことは高く評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・引き続き、WHO の結核対策に沿って結核ワクチン開発、データベース構築を推進し 2020 年までの低蔓延化を推進する。<br><br>【2020 年の東京オリンピック・パラリンピックに向けた感染症サーベイランスの強化】<br>・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。<br>・リアルタイムに地域のウイルス性呼吸器感染症の発生動向を把握可能なネットワークシステム構築のため、検疫所･地方衛生研究所等と協力し、インフルエンザ、MERS、麻 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 薬候補物質を複数発見した。そのうち最適化合物については構造解析を終了し、特許出願済み。（再掲）<br>➢ 薬剤耐性結核の迅速診断キットの開発と実用化研究において、核酸クロマトグラフィーの技術を応用してイソニアジド耐性菌検出法の基盤技術を確立した。本法により、イソニアジド耐性菌が迅速に検出できるようになった。また、リファンピシン耐性結核菌検出用テイラーメイド診断キットの開発に着手した。（再掲）<br><br>■2020 年の東京オリンピック・パラリンピックに向けた感染症サーベイランスの強化<br>・新興・再興感染症事業では、感染症サーベイランスの強化を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ 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。麻しんの排除状況の維持に資する研究の一環として、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。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を推進した。麻しんリアルタイム PCR 法を確立し、地方衛生研究所を対象に本法の精度管理を実施した。<br>➢ ポリオの根絶に資する研究の一環として、ポリオ直接検出法(ECRA 法)を改良し、従来よりも 5～10 倍程度回収率を上げることに成功した。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、動物実験による有効性評価を実施した。また、sIPV(セービン不活化ポリオウイルスワクチン)の有効性の検証、品質管理の国際標準化、またエンテロウイルス D68 型（EV-D68）感染症も含めた急性弛緩性麻痺のサーベイランス体制の構築の準備など、広範な試みも含め、継続して取組みを実施している。 | しん・風しん等、ウイルス性呼吸器感染症を引き起こす様々な病原体を同時に鑑別診断可能な LAMP 法を基盤とした全自動 POC 迅速遺伝子検査システムの開発を進めた。更に、海外の大学･研究機関とも連携を行った。<br>・ポリオならびに EV-D68 感染症を含めた急性弛緩性麻痺のサーベイランス体制の構築準備を引き続き行った。<br>・J-GRID では、海外から本邦へ輸入される可能性のある感染症について、北海道大学ザンビア拠点、東北大学フィリピン拠点、新潟大学ミャンマー拠点、東京大学中国拠点、東京医科歯科大学ガーナ拠点、大阪大学タイ拠点、神戸大学インドネシア拠点、岡山大学インド拠点、長崎大学ベトナム拠点への PS、PO、AMED 職員によるサイトビジットを実施した。<br>・サーベイランス強化のための 4 大疾患（インフルエンザ、AMR、デング熱、下痢症感染症）の基盤的研究やコホート調査の推進のため、機動的かつ有機的な追加交付を実施し、抗結核薬候補物質の同定、多剤耐性結核菌迅速診断法の開発、特定のウイルスの感染後の呼吸器感染症に対するリスク上昇に関する発見、RS ウイルス再感染の原因の特定、近隣国からのインドネシアへのロタウイルス株の伝播様式の解明、ロタウイルス分離株の遺伝子全ゲノム解析による非定型ウイルス株の成立・流行の要因およびワクチンの影響の解明、ジカ熱の流行とジカウイルス感染による小頭症の関連性の確認など、顕著な成果を上げた。<br><br>以上、2020 年の東京オリンピック・パ | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ➢ 韓国での中東呼吸器症候群(MERS)の流行を踏まえ、MERS とインフルエンザを同時に検出可能な MERS-Flu LAMP 法の作製に成功した。この機構の支援によって開発された検出法を利用することで、感染研における確定検査の一層の改良が可能となった。（これにより 2015 年 11 月までに 5 件の行政検査を実施し、全検体陰性という結果を迅速且つ正確に確認した。さらに、希望した地方衛生研究所へ陽性コントロールの配布を行うことで、一次スクリーニングの精度管理に繋げることが可能になり、国のサーベイランス体制改善の一助となった。）また、MERS の迅速診断法に関しては、サウジアラビアの大学と共同研究を実施し、現地での臨床検体を用いた臨床性能試験を実施した。（再掲）<br>➢ リアルタイムに地域のウイルス性呼吸器感染症の発生動向を把握可能なネットワークシステムの構築のため、検疫所･地方衛生研究所等と協力し、インフルエンザ、MERS、麻しん・風しん等、ウイルス性呼吸器感染症を引き起こす様々な病原体を同時に鑑別診断可能な LAMP 法を基盤とした全自動 POC 迅速遺伝子検査システムの開発を進めた。（再掲）<br>➢ 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。<br><br>・J-GRID では、感染症サーベイランスの強化を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。<br>➢ 平成 28 年 9 月に PS、PO、AMED 職員による東北大学フィリピン拠点のサイトビジットを実施した。下痢症の原因ウイルスの抗原性と伝播メカニズム解明のための現地コホート調査の視察、備品の劣化等を確認し、コホート調査継続のための研究費の追加配分を決定し、研究支援強化を図っ | ラリンピックに向けた感染症サーベイランスの強化に対する取り組みの実施やそれに対応する成果をあげたことは高く評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・2020 年東京オリンピック・パラリンピックに向け、海外から本邦へ輸入される可能性のある感染症についてサーベイランス強化を引き続き支援する。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | た。<br>➢ 平成 29 年 1 月に PS、AMED 職員による長崎大学ベトナム拠点 NIHE のサイトビジットを実施した。ヒアリングを実施し、新拠点長と打合せを行い、平成 29 度の研究計画の推進向けて、ベトナム拠点の特徴を生かした、現地だからこそなしうる蚊媒介性感染症原因ウイルスの侵淫状況の調査をより強化できるよう研究体制を整えた。また、NIHE の小児患者よりジカウイルス感染が確認され、長崎大学へ調査研究の協力を要請があるとの報告を受け、追加配分を決定し、ジカウイルス感染の研究強化を図った。<br>➢ 平成 29 年 1 月に PS、AMED 職員による新潟大学ミャンマー拠点のサイトビジットを実施した。インフルエンザと呼吸器ウイルスの解析、及びミャンマーにおける小児重症肺炎の研究において、現地コホート調査の視察、備品の劣化等を確認し、コホート調査継続ための研究費の追加配分を決定し、研究支援強化を図った。<br>➢ 平成 30 年 9 月に PS、PO、AMED 職員による北海道大学ザンビア拠点、東京医科歯科大学ガーナ拠点のサイトビジットを実施した。アフリカにおけるサーベイランスにおいて、現地研究者による研究進捗報告会を行い、備品の劣化等を確認し、研究費の追加配分を決定し研究支援強化を図った。<br>➢ ベトナム拠点において、NIHE 及び WHO と協力し、ベトナム中央高地 Dak Lak 省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性を確認した。今回ベトナムで確認されたジカウイルス感染による小頭症例は、診断データを添えて論文報告された症例としては、東南アジアで初めてとなる。<br>➢ インドネシア拠点において、現地の健康なボランティア（無症候者）の便中から高率にノロウイルスが検出されることを分子疫学的に証明した。この結果は無症候感染者がノロウイルス感染症の発生源となる | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ことを示唆した。<br>➢ 神戸大学インドネシア拠点において、小児急性胃腸炎症例の便中ロタウイルスを解析し、2015 年から 2016 年に Equine-like（ウマ様）G3 ロタウイルスが流行していたことを証明した。研究成果によって、近隣国からインドネシアへのロタウイルス株の伝播様式の解明が期待される。<br>➢ 岡山大学インド拠点での下痢症感染症の予防－診断－創薬における国際協同研究において、インドでのロタウイルス分離株の遺伝子全ゲノム解析により、非定型ウイルス株の成立・流行の要因、ワクチンの影響等について明らかにした。<br>➢ フィリピン拠点において、RS ウイルス（Respiratory Syncytial Virus）に再感染した 4 名の小児から検出されたウイルスから、抗原タンパク（F タンパクと G タンパク）の特定の部位にアミノ酸置換が見出された。F タンパクと G タンパクのアミノ酸置換により抗原性が変化したウイルスが再感染を引き起こした可能性があることを示唆した。<br>➢ フィリピン拠点において、疫学調査によって、アデノウイルス・インフルエンザウイルス・パラインフルエンザウイルス・ライノウイルスに感染した小児は、その後呼吸器感染症に罹患するリスクが高まることがわかった。 | | | |
| | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・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 | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・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 | ＜評価指標＞<br>【2020 年までの達成目標】<br>・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 | ・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：<br>➢ 全ゲノムデータベースを利用し、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法の開発・実用化に向けた基盤整備を行い、J-GRID の最終目標の一つである「国内感染症対策への応用」へ向けて、下痢症感染症およびデングウイルス/媒介蚊データベースを活用する研究課題を 2 次公募にて追加採択したことにより、データベース構 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 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<br>・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<br>を、2030年までの達成目標として、<br>・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）<br>・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発<br>・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成（結核については2050 年までの達成目標）<br>を目指すものとする。 | 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<br>・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<br>を、2030年までの達成目標として、<br>・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）<br>・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発<br>・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成（結核については2050 年までの達成目標）<br>を目指すものとする。 | 及び新たな迅速診断法等の開発・実用化<br>・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<br><br>【2030 年までの達成目標】<br>・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)<br>・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発<br>・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成（結核については 2050 年までの達成目標）<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・応募件数及び採択件数<br>・事業に参画している研究者延べ人数<br>・PMDA への薬事戦略相談 | 築の強化を促進した。<br>➢ 平成 27 年及び平成 28 年度に、国立感染症研究所の研究者及び北海道大学･長崎大学の研究者が研究開発代表者となって各病原体ゲノムデータベース構築基盤の拡充を進めることにより、北海道大学で一部のデータベース（インフルエンザ）について公開することができた。また J-GRID の最終目標の一つである「国内感染症対策への応用」へ向けて、下痢症感染症およびデングウイルス/媒介蚊データベースを活用する研究課題を 2 次公募にて追加採択したことで、データベース構築の強化を促進した。また、耐性菌プラスミドネットワーク解析プログラムについては開発済みで平成 28 年度に公開した。下痢症およびデングウイルスのゲノムデータベースは国立感染症研究所(GenEpid-J)に集約を開始した。<br>➢ 国立感染症研究所の研究者及び北海道大学･長崎大学の研究者が研究開発代表者となって各病原体ゲノムデータベース構築基盤の拡充を進めることにより、北海道大学で一部のデータベース（インフルエンザ）について公開することができた。<br>➢ カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノム情報について、大阪大学が国立国際医療センター研究所、国立感染症研究所と連携することにより DNA Data Bank of Japan (DDBJ)に登録を開始し、現在、論文の発表時に順次公開を進めた。<br>➢ 耐性菌プラスミドネットワーク解析プログラムを開発し公開するに至った。<br>➢ ジカウイルスについては、LAMP 法用いた迅速診断キットの製造販売承認を平成 30 年６月に取得した。（再掲）<br>➢ コリスチン耐性因子 *mcr-1* を産生するコリスチン耐性株を簡便、迅速に検出する試験法の構築のため、化合物ライブラリーから、MCR-1 を阻害する物質を複数見出し、効果について検討を行った。（再掲）<br>➢ A 群連鎖球菌特異的な増殖阻害剤候補分 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | を行った研究開発課題数<br>・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 | 子を数種類見出した。<br>➢ 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。（再掲）<br><br>・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）：<br>➢ ノロウイルスワクチンについては、第 1 世代ノロウイルスワクチンシーズに関する企業とライセンス契約締結（企業導出）が完了し、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した。（再掲）<br>➢ 国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチン実用化に向け第 I 相臨床試験（企業治験）が平成 27 年 10 月より開始されるとともに、平成 29 年度第 II 相試験が完了し、現在第 III 相試験を実施中。さらなる成果として、多量体 IgA 抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した。また、四量体型 SIgA 抗体を作製する技術を新規開発し、単量体や二量体、四量体の IgA 抗体を人工的に作製することに成功した。本技術を用いることで、SIgA 抗体は四量体化すると単量体では不活化できないウイルスも不活化できることが明らかとし、その効果について検証を行った。（再掲）<br>➢ 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、PMDA RS 戦略相談を経て治験届を提出し、第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験として治験を開始した。（再掲）<br>➢ 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。（再掲）<br>➢ ジカウイルスワクチンならびに新規インフルエンザワクチンについては、企業と研究機関等と連携し、ワクチンシーズの選定及び非臨床試験の一部を開始した。（再掲）<br><br>・新たな抗菌薬･抗ウイルス薬等の開発の状 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 況：<br>➢ デング熱対策に資する研究において、北里大学天然化合物ライブラリーより確認された抗ウイルス活性を示す候補化合物において、引き続き高い抗デング活性を示す安定な候補物質を数種類見出し、分子構造の解析を実施した。（再掲）<br>➢ 多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた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複数発見した。そのうち最適化合物については構造解析を終了し、特許出願済み。（再掲）<br>➢ カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノムデータベースを活用し、多剤耐性菌感染症に有効な新規抗菌薬の候補物質を見出し、平成 30 年度より創薬戦略部に課題を橋渡しすることにより、新規抗菌薬の導出に向けて開発を進めた。<br>➢ 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。（再掲）<br>➢ 超多剤耐性グラム陰性菌に対する新規抗菌化合物を天然物由来ライブラリーから選定し、*in vitro* の系において高い有効性を示す化合物を見出した。（再掲）<br>➢ 深海微生物由来物質のスクリーニングからメチシリン耐性黄色ブドウ球菌及びバンコマイシン耐性腸球菌に対して抗菌活性のある新規物質を発見し、構造解析をすすめた。<br>➢ メチシリン耐性黄色ブドウ球菌および多剤耐性緑膿菌に感染した皮膚潰瘍を対象とする光線力学療法について、ヒトを対象とした臨床研究で有効性を見出した。また、医師主導治験に向けた GLP 試験実施のための準備を実施した。（再掲）<br><br>・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：<br>➢ ポリオの根絶に資する研究の一環として、ポリオ直接検出法(ECRA 法)を改良し、従来よりも 5～10 倍程度回収率を上げることに成功した。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、動物実験による有効性評価を実施した。また、sIPV(セービン不活化ポリオウイルスワクチン)の有効性の検証、品質管理の国際標準化、またエンテロウイルス D68 型（EV-D68）感染症も含めた急性弛緩性麻痺のサーベイランス体制の構築の準備など、広範な試みも含め、継続して取組みを実施している。（再掲））<br>➢ 日本を含むアジア地域で問題となっている、治療困難な多剤耐性結核菌を中心とした結核菌について、国内、中国、韓国、ベトナム、モンゴル、台湾、フィリピン等から分離株及びゲノムデータの収集を行い、結核菌ゲノムデータベース（GReAT）の拡充を図った。これにより、質・規模ともに世界的に類をみない優位性の高いデータベースへと成長した。更に、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について登録株の約 4 分の 1（約 900 株）についてデータ公開を行った。また一昨年度までに開発を行った結核菌ゲノム情報解析ツール Total Genotyping Solution for TB (TGS-TB)について、GReAT の収載データ数の増加に伴い、そのデータを活用し、薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。（再掲）<br>➢ わが国が結核低蔓延状況に近づいていることを踏まえて、罹患率低下の促進や今後の対策のあり方や検討するための研究開発を推進した。都市部及び地方における感染状況の分析に分子疫学的調査研究の有用性を証明した。接触者健診の質的改善を目的に接触者健診台帳システム構築を進めた。また、集団感染が疑われる接触者健診の症例を収集し手引き策定を進めた。潜 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 在性結核感染症の診断のための，新しいツール(QFT-plus)の免疫低下における反応を検討し，重要な知見を得た。小児結核対策の症例検討会を実施し課題を明らかにするとともに普及啓発、人材育成に寄与する成果を得た。様々な状況にある結核患者に対する支援のために地域包括ケアとの連携，服薬アプリの開発，治療成績の分析を行い，対策の改善につながる知見を得た。医療提供体制の検討のために空気感染隔離室の実態に対する全国質問票調査を実施し情報を得た。外国出生結核患者の対応のために，スクリーニングの費用対効果分析，日本語学校への調査，対応困難事例の検討を行い，解決のための知見を得た。（再掲）<br>➢ 結核 DNA ワクチンについて、安全性に係る非臨床試験が完了し、国立病院機構を中心とした医師主導治験実施の準備のため、PMDA との対面助言を実施し、治験届けを提出した。（再掲）<br>➢ 麻しんの排除状況の維持に資する研究の一環として、麻しんリアルタイム PCR 法を確立し、地方衛生研究所を対象に本法の精度管理を実施した。引き続き、麻しんの排除状況の維持に向けた取組みを支援することにより、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を推進した。（再掲）<br>➢ リアルタイムに地域のウイルス性呼吸器感染症の発生動向を把握可能なネットワークシステム構築のため、検疫所･地方衛生研究所等と協力し、インフルエンザ、MERS、麻しん・風しん等、ウイルス性呼吸器感染症を引き起こす様々な病原体を同時に鑑別診断可能な LAMP 法を基盤とした全自動 POC 迅速遺伝子検査システムの開発を進めた。MERS の迅速診断法に関しては、サウジアラビアの大学と共同研究を実施し、現地での臨床検体を用いた臨床性能試験を実施した。（再掲） | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標（KPI）<br>・グローバルな病原体・臨床情報の共有体制の確立を基にした、病原体に関する全ゲノムデータベースの構築、生理学的及び臨床的な病態の解明、及びアジア地域における病原体マップの作成：<br>全ゲノムデータベースを構築した（平成28年3月）（一部疾患は平成28年4月末の公開予定）。<br>薬剤耐性ゲノムデータベース（GenEpid-J）を用いてコリスチンに対する耐性遺伝子を日本で初めて確認した（平成28年1月）。<br>デングウイルス病原体マップを作成し、逐次更新した（平成28年3月）。<br><br>・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：<br>平成27年及び平成28年度に、国立感染症研究所の研究者及び北海道大学・長崎大学の研究者が研究開発代表者となって各病原体ゲノムデータベース構築基盤の拡充を進めることにより、北海道大学で一部のデータベース（インフルエンザ）について公開することができた。またJ-GRID の最終目標の一つである「国内感染症対策への応用」へ向けて、下痢症感染症およびデングウイルス/媒介蚊データベースを活用する研究課題を2次公募にて追加採択したことで、データベース構築の強化を促進した。また、耐性菌プラスミドネットワーク解析プログラムについては開発済みで平成 28年度に公開した。下痢症およびデングウイルスのゲノムデータベースは国立感染症研究所(GenEpid-J)に集約を開始した。<br>カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノム情報の一部について、公開ゲノムデータベースである DNA Data Bank of Japan | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | (DDBJ)に登録を開始した。(再掲)<br><br>・ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請の状況：<br>ノロウイルスワクチンについては、ワクチンシーズの企業導出が調整中であり、また新たな次世代ワクチンシーズの開発研究も開始した。(再掲)<br>経鼻インフルエンザワクチンについては、平成 28 年度中に企業導出を達成し、平成 29 年度中に企業治験（第 II 相）が完了した。現在第 III 相試験を実施中。(再掲)<br>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。(再掲)<br><br>・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）：<br>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、PMDA RS 戦略相談を経て治験届を提出し、第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験として治験を開始した。(再掲)<br>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。(再掲)<br>ジカウイルスワクチンならびに新規インフルエンザワクチンについては、企業と研究機関等と連携し、ワクチンシーズの選定及び非臨床試験の一部を開始した。(再掲)<br><br>・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発の状況：<br>デング熱対策に資する研究において、北里大学天然化合物ライブラリーより確認された抗ウイルス活性を示す候補化合物において活性と細胞毒性を基準に評価した結果 2 サンプルを精製候補として選択した。(再掲)<br>深海微生物由来物質のスクリーニング | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | からメチシリン耐性黄色ブドウ球菌及びバンコマイシン耐性腸球菌に対して抗菌活性のある新規物質を発見した。超多剤耐性グラム陰性菌に対する新規抗菌化合物を企業の有する天然物由来ライブラリーから選定した候補化合物の改変を行い、広いスペクトラムの抗菌活性をもつ物質を得た。また、工業製品化に向けたポリマー型抗菌剤の開発を推進した。（再掲）<br>　多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた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。（再掲）<br>　おける多剤耐性菌に有効な新規抗菌薬シーズ探索において、名古屋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。（再掲）<br>　多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた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。（再掲）<br><br>・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：<br>　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。（再掲）<br>　ポリオについては、sIPV(セービン不活化ポリオウイルスワクチン)の有効性の検証、品質管理の国際標準化、またエンテロウイルス D68 型（EV-D68）感染症も含めた急性弛緩性麻痺のサーベイランス体制の構築の準備など、広範な試みも含めて取組みを行っている。（再掲）<br>　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。（再掲）<br><br>・応募件数及び採択件数：601 件及び 143 件（平成 27～30 年度合計）<br><br>・事業に参画している研究者延べ人数：2798 人（平成 27～30 年度合計）<br><br>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数：8 件（平成 27～30 年度合計）<br><br>・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：160 件（平成 27～30 年度合計） | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(2)―⑨ | (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<br>⑨疾患に対応した研究<難病> | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | 重要度、優先度等は高い | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | 健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-9） |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 応募件数 | | 171 件 | 412 件 | 441 件 | 73 件 | |
| 採択件数 | | 25 件 | 97 件 | 147 件 | 15 件 | |
| シンポジウム等の開催件数 | | 3 件 | 1 件 | 3 件 | 1 件 | |
| サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数 | | 32 件 | 138 件 | 160 件 | 84 回 | |
| PS/PO 会議実施回数 | | 3 件 | 6 件 | 7 件 | 6 件 | |
| 新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大（2020 年頃まで） | 11 件（累積） | 3 件 | 3 件 | 4 件　（累積） | 6 件（累計） | |
| 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 | 開始済 | 開始済 | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 10,011,792 | 10,202,693 | 9,697,274 | 8,938,379 | |
| 決算額（千円） | 9,891,837 | 9,791,129 | 9,471,399 | 9,093,736 | |
| 経常費用（千円） | 9,891,728 | 9,866,636 | 9,580,274 | 9,166,341 | |
| 経常利益（千円） | 0 | 0 | 17 | 0 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 9,891,728 | 9,787,867 | 9,458,773 | 9,092,243 | |
| 従事人員数 | 10 人 | 12 人 | 12 人 | 13 人 | |

| | | | | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | （2020 年頃まで） | | | | | | | | | | | | |
| | 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（2020 年頃まで） | 5 件（累積） | － | 6 件 （累積） | 9 件 （累積） | 16 件（累計） | | | | | | | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

| | 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | （期間実績評価） |
| | | | | | | 評定 | 評定 |
| | 希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、患者数が希少ゆえに研究が進まない分野において、各省が連携して全ての研究プロセスで切れ目ない援助を行うことで、難病の病態を解明するとともに、効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を一体的に推進する。<br>具体的には、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 | 希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、患者数が希少ゆえに研究が進まない分野において、各省が連携して全ての研究プロセスで切れ目ない援助を行うことで、難病の病態を解明するとともに、効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を一体的に推進する。<br>具体的には、未だ治療法の確立していない難病等に対し、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因、病態解明を行う研究を推進するため、疾患モデル | ＜評価軸＞<br>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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■疾患の原因･病態解明を行う研究､画期的な診断法･治療法・予防法の研究の推進<br>・研究の推進にあたり PD・PS・PO 等による研究開発マネジメントに取り組んだ。具体的には、サイトビジットや研究課題のヒアリングの開催などによる進捗状況把握に加え、Risk & Impact based approach to management 等にもとづく半年毎の進捗報告（研究および予算執行状況）の分析と課題抽出を実施し、研究費の規模や社会的インパクト、開発上の懸念や問題の予想可否（Risk）により分類し、課題管理の時期や関与度合いを最適化するとともに、指標も定量的又は定性的な手法を使い分けた効果的な研究開発管理を行った。また、研究開発提案書により適切な評価が実施できるよう別紙を追加し、応募課題の研究テーマと評価委員の専門性で最適な評価委員を査読者に充当するためのマッチングシステムを稼動させるとともに、科学技術調査員として非臨床試験に対し助言をいただく PMDA 毒性専門家に加え新たに治験･臨床研究の専門家を追加し、より専門的な評価及び助言が可能となる体制を強化した。さらに、採択している研究課題を疾患、公募枠（開発フェーズ）にて整理し、公表論文等で示されている開発フェーズ毎の次ステップへの成功確率を元に事業として理想的なポートフォリオ案を作成し、今後の公募設計の参考とした。ま | ＜評定と根拠＞<br>評定：S<br>・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）をはじめ 6 件の薬事承認取得を達成し、現在も多くの医師主導治験を支援している。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、35 の大学病院に診療科横断的診断委員会を設置する等、全国の大学病院、地域中核病院を含む全国を網羅する診断ネットワークは 418 施設に拡充し、診断困難な 3,356 家系（9,524 検体）の登録を達成した。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 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 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するとともに、データネットワークや解析コンソーシアムの整備、診断委員会を運営する拠点病院の整備など希少・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する。 | の作成や生体試料の収集、管理、運用するシステムに関する研究を行い研究基盤の創出を図りつつ、遺伝子解析等、病因、病態解明を行う研究及びシーズの探索を行う研究を推進する。また、実用化を視野に入れた画期的な診断法、治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進するため、薬事承認に必要とされる前臨床試験及び臨床試験を実施して薬事承認の取得を目指す研究や診療に関する質の高いエビデンスを提供するための研究を促進し、研究成果の実用化を図る。 | | た、ステップ 2（医師主導治験）については、開発候補物を新規候補物とドラッグリポジショニングによる効能追加に分けた公募設計により、研究開発費の最適化と実現可能性の高い課題の採択を達成した。<br><br>・平成 30 年度、難治性疾患実用化研究事業において、委託研究開発とし<br>て以下の 222 件の研究開発課題の課題管理を実施した。<br><br>【治療法の開発に結びつくような新しい疾患病因や病態解明を行う研究（H30 年度）】<br>➢ 疾患モデルの作成や生体試料の収集、管理、運用するシステムに関す<br>る研究（事業内の定義で「オミックス解析を通じて希少難治性疾患の<br>医療に貢献する基盤研究（オミックス解析拠点）」に相当）及び遺伝子<br>解析等、病因、病態解明を行う研究（事業内の定義で「未診断疾患イニチアチブ（ Initiative on Rare andUndiagnosed Diseases: IRUD）」に関連する課題）…13 課題<br><br>【治療法の開発に結びつくような新しい疾患病因や病態解明を行う研究】<br>➢ 希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究…41 課題<br>【シーズの探索を行う研究】<br>➢ 薬事承認を目指すシーズ探索研究（ステップ 0）…73 課題<br>【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<br>び予防法の開発を目指す研究】<br>➢ 「希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究：治験準備（ステップ 1）」…11 課題<br>➢ 「希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究：治験（ステップ 2）」…26 課題<br><br>診療に関する質の高いエビデンスを提供するための | 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（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 本部で欧州以外にて初めて開催し、新 10 か年目標の策定に関与し、その後も活動に貢献した。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。<br><br>【疾患の原因・病態解明を行う研究、画期的な診断法・治療法・予防法の研究の推進】<br>・課題管理としてはステージゲート評価としての TPP や体制、企業連携について、AMED 全体で導入する前より当事業で着手していたことに加え、評価の高質化のため客観的評価に向けた TPP や企業連携等、公募要領や提案書のフォームを独自開発し AMED 他事業にも紹介している。<br>・希少難治性疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究「難病プラットフォーム」を立ち上げ、難病情報の集約・統合と二次利用が進むよう、統合システムや各種手順書、二次利用に必要な倫理的検討等 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 研究（事業内の定義で「診療に直結するエビデンス創出研究」に相当）…55 課題<br><br>【その他、本プロジェクトのもとで研究基盤の創出や研究成果の実用化を<br>図る研究】<br>➢ 「希少難治性疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究（事業内の定義で「難病プラットフォーム」に相当）…1 課題<br>➢ 医と食をつなげる新規メカニズムの解明と病態制御法の開発…3 課題<br><br>・上記を実施した結果として得られた主要な成果や進捗状況の事例、将来<br>の成果創出への期待等は以下のとおりである。<br><br>【難病の病態解明】<br>「希少難病の高精度診断と病態解明のためのオミックス拠点の構築」:<br>699 例の小児てんかん患者から採取した血液白血球から DNA を採取し、次世代シークエンサーを用いた全エクソーム解析を用いて疾患原因遺伝子の検索を行い、WAVE 調節複合体の構成タンパクの一つである CYFIP2 の 87 番目のアミノ酸変異が、早期発症型のてんかん性脳症を引き起こす原因となることを世界で初めて見出した。本成果は国際医学雑誌 Annals of Neurology に発表している。<br><br>【効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等】<br>医師主導治験を実施中ないし実施準備している課題が 26 課題と多数あり、今後更なる医薬品、医療機器等の薬事承認（実用化）が期待される。<br>その中には「iPS 細胞創薬に基づいた新規筋萎縮性側索硬化症(ALS)治療薬であるロピニロール塩酸塩の実用化第 1/2a 相試験」のように、実際のヒト脊髄における病態を十分に再現し得たモデルは未だ存在しない ALS において、健常者由来及び ALS 患者さん由来の血液細胞から作った iPS 細胞を誘導して脊髄運動ニューロンを作製したうえで治験薬候補物（ロピニロール塩酸塩）を見出し、当該治験薬を用いた医師主導治験を開始した。本件は動物モデルではなく iPS | を実施したこと、そこに既に多くの難病研究班からレジストリのカタログ情報を集め公開していることは評価できる。<br>・オープンサイエンスの推進に向け、難病克服プロジェクトにおける「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」を策定し公開したことは評価できる。<br>・次世代シークエンサーやオミックス解析といった新しい技術の活用により治療ターゲットの探索が加速するともに、モデル生物コーディネーティングセンターにより既存の IRUD 活動と相乗効果が生まれ、原因遺伝子同定が効率化した。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 細胞モデルを駆使した iPS 細胞創薬という革新的な手法で治験を開始した事例も含まれている。<br><br>【その他特筆すべき事例】<br>➢ 「緩徐進行性の神経・筋疾患患者に対する HAL 医療用下肢タイプの薬事承認取得」:<br>希少難治性の神経・筋難病疾患の患者に対して医師主導治験（NCY-3001 試験）を行い製造販売承認に至った。<br><br>➢ 「SJS（スティーブンジョンソン症候群）及び TEN（中毒性表皮壊死症）の眼後遺症［強度視力障害とドライアイ］に対するサンコン Kyoto-CS の薬事承認取得」:<br>SJS 及び TEN による眼後遺症患者に対し医師主導治験を実施し製造販売承認に至った。海外では高度変形角膜に対し強膜上の結膜まで覆うレンズは存在するが、当該疾患に関し有効な治療法が確立されていなかった。本医療器具は世界で初めて保険適応となる治療法を開発した点で特筆すべき事例に値する。<br><br>➢ 「リンパ脈管筋腫症に対するラパマイシンの薬事承認取得」:<br>リンパ脈管筋腫症患者に対しラパマイシンを用いた医師主導治験を実施し製造販売承認に至った。本件は国内外に有効な治療法が確立されていなかった当該疾患に対し、世界で初めて保険適応となる治療法を開発した点で特筆すべき事例に値する。<br><br>➢ 「内転性痙攣性発声障害に対するチタンブリッジの薬事承認取得」:<br>内転性痙攣性発声障害に対し医師主導治験を実施し、製造販売承認に至った。本件は先駆け審査指定制度薬事承認第一号である点でも特筆に値する。<br><br>➢ 「タウリンによる MELAS 脳卒中様発作再発抑制療法の実用化」:<br>医師主導治験を実施し、製造販売承認に至った。本件は国内外に有効な治療法が確立されていなかった当該疾患に対し、日本で初めて保険適応となる治療法を開発した点で特筆すべき事例に値し、研究機関と共同でプレスリリースを実施した。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ➢ 「新規治療標的分子 LRG の炎症性腸疾患における役割の解明と創薬への応用」:<br>ロイシンリッチα2グリコプロテイン（以下、LRG）が炎症性腸疾患の疾患活動性マーカーとなることを発見し、「炎症性腸疾患の疾患活動性評価の血清バイオマーカー」として開発をすすめ、体外診断用医薬品として製造販売承認に至った。これまで有効な血清バイオマーカーがなく疾患活動性の迅速な評価が不可能だったが、本承認により血液検査での炎症性腸疾患の迅速な活動性評価が可能となった点が特筆すべき事例にあたり、研究機関と共同でプレスリリースを実施した。今後は、炎症性腸疾患以外に、バイオ製剤使用時の関節リウマチなど様々な炎症性疾患への応用も期待されている。<br><br>➢ 「HAM に対する日本発の革新的治療となる抗 CCR4 抗体の実用化研究」:<br>HTLV-1 関連脊髄症（HAM）の患者を対象とした抗 CCR4 抗体(モガムリズマブ)の医師主導治験(第 1/2a 相試験）を実施し、抗 CCR4 抗体が HAM の病因となる HTLV-1 感染細胞を劇的に減少させる効果を発揮し、脊髄での炎症レベルを改善させることを世界で初めて示し、国際医学雑誌 The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE にて発表した。現在国際共同治験が実施されている。<br><br>➢ 「HAM・HTLV-1 陽性難治性疾患の診療ガイドラインに資する統合的レジストリの構築によるエビデンスの創出」:<br>腎移植におけるヒト T 細胞白血病ウイルス I 型（以下、HTLV-1）感染症の危険性に関する全国調査を実施し、HTLV-1 の未感染者が HTLV-1 の感染ドナーから腎移植を受けると、高頻度で HTLV-1 に感染するだけでなく、神経難病である HTLV-1 関連脊髄症（HAM）を移植後数年の間に高い頻度で発症する危険性があることを示し、国際医学雑誌 The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE に発表した。本成果により腎臓を始め各臓器の移植ガイドラインにも大きな影響を及ぼすと考えられ、より安全な移植医療の整備に貢献することが期待されている。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・ その他、事業運営の改善及び若手研究者の支援として以下の取組みを行った。<br>➢ 課題の事前評価においては、公募要領にターゲット・プロダクト・プロファイルの記載を追加する等、研究者が研究計画を戦略的に考える機会を設定し事前評価にて開発の必要性や可能性を具体的に評価できる仕組みを導入していたが、更に今年度はステップ 1 課題においては実施済み及び実施予定の非臨床試験の概要とガントチャートを別紙として提出することを必須とし、研究計画の充足性、効率性及び実行可能性を評価できる型式とした。<br><br>➢ パイプラインの分析を実施し、PSPO 会議にてフェーズ毎の最適シーズ数の試算と今後の公募設計への反映を決定のうえ、それに参考に公募枠毎の採択数を決定した。<br><br>➢ 若手研究者の育成に関する取組として、若手研究者が研究開発代表者として研究を推進する公募（若手枠）を実施した。また、過去の若手枠で採択された若手研究者を対象に、教育講演と進捗ヒアリングを実施した。教育講演では捏造と誤解されないための適切な画像処理に加え、病態解明後に必要な知識であるシーズ最適化と非臨床試験の実務について外部演者を用意し、加えて次ステップ（ステップ０）で評価の高い研究者より研究の進め方についての講演を企画した。進捗ヒアリングでは相互評価方式という第三者的な視点にて自身の研究を評価できるトレーニング機会を設け研究者育成を推進した。<br><br>➢ 中枢神経疾患に対する医薬品開発を加速すべく、日本ブレインバンクネットで集積している剖検脳等を用いることを条件とした公募を実施し 3 課題採択した。これにより創薬候補物の探索や、創薬候補物の最適化に向けた各種疾患モデルでの病態再現の補完等により、疾患の病因・病態機序に基づくシーズ探索やバイオマーカー研究の発展が期待できる。<br><br>➢ 「医薬品条件付き早期承認品目該当性相談」を活 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 用して治療薬開発の早期実用化が達成できるよう、有効性の代替エンドポイントになりえるバイオマーカーの開発を目標とする公募を実施し 2 課題採択した。<br><br>遺伝子治療の研究開発促進を目的として、創薬戦略部による新規事業である「遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業」と連携し、本領域に造詣の深い PO を新たに委嘱し評価委員会の体制も整備した上で新規シーズ探索の公募を実施し、3 課題採択した。更に、遺伝子細胞治療に関する連携シンポジウムを開催（11/21）し、情報共有を行った。 | | | |
| | また、疾患特異的 iPS 細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS 細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。 | また、難病患者由来の疾患特異的 iPS 細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等の推進を行う。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・左記の評価軸に係る取組状況等 | ■疾患特異的 iPS 細胞を用いた疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等<br>・ステップ２として「iPS 細胞創薬に基づいた新規筋萎縮性側索硬化症(ALS)治療薬であるロピニロール塩酸塩の実用化第 1/2a 相試験」を採択し、iPS 細胞モデルを駆使して見出した治験薬（ロピニロール塩酸塩）による医師主導治験を開始した。<br>・「自己炎症性症候群 Blau 症候群と中條西村症候群の病態解析と新規治療標的探索」において、iPS/ES 細胞を CRISPR/Cas9 ゲノム編集技術を用いて作製し、中條西村症候群患者さん由来 iPS/ES 細胞から作製した単球系細胞を用いた解析により中條西村症候群の病態再現に成功した。本成果は国際幹細胞学会（ISSCR）が発行する科学誌「Stem Cell Reports」にてオンライン公開された。 | 【疾患特異的iPS細胞を用いた疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等】<br>・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する中で、病態解明から治療候補薬の同定に至る等、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。<br>・iPS 細胞創薬という革新的な手法を通じ、従来手法（動物モデル）をスキップした医師主導治験への移行を達成した。さらに、有効性のサロゲートエンドポイントや事前の効果判定に利用可能なバイオマーカー探索を研究に含める公募を含めることで、開発計画の更なる進展を加速させた。 | | |
| | | さらに、データネットワークや解析コンソーシアムの整備、診断委員会を運営する拠点病院の整備など希少・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 | | ■希少疾患や未診断疾患に関する研究<br>平成 30 年度、難治性疾患実用化研究事業において、未診断疾患イニシアチブ（IRUD）として AMED が平成 27 年度に開始し、AMED がその推進に特に主体的に関わる研究課題として、IRUD コーディネーティングセンターを募集し、従来 AMED が担っていた調整機能の多くを移管する仕組みを整え、研究体制をコーディネートする体制へと進展した。<br>・ 上記を実施した結果として得られた主要な研究上の成果及び AMED が主体的に関わることで | 【希少疾患や未診断疾患に関する研究】<br>・35 の大学病院に診療科横断的診断委員会を設置する等、全国の大学病院、地域中核病院を含む全国を網羅する診断ネットワークは 418 施設に拡充し、診断困難な 3,356 家系（9,524 検体）の登録を達成した。<br>・KPI 目標である 5 件を大幅に超える 16 件の新規疾患原因遺伝子変異の同定・公開し、現在もその成果は増加し | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 進する。 | | 得られた成果として、35 の大学病院に診療科横断的診断委員会を設置する等、全国の大学病院、地域中核病院を含む全国を網羅する診断ネットワークは、37（診断）拠点病院と 375 協力病院の計 418 施設となり、通常の医療体制では診断が困難な患者を累計で 3,356 家系（9,524 検体）（2018 年 7 月末時点）登録した。<br>・症例情報の国際共有を念頭に IRUD に最適化したシステム IRUDExchange では、日本国内での情報共有を行い、国内の検討のみでは確定診断に至らなかった症例について、適宜、表現型・候補遺伝子名（個人情報を含まない要約情報）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等の取組により、研究上の国際協力等を推進した。これにより、2 疾患の確定診断（論文準備中）ができた。<br>・AMED で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等の取組と連携し、中央治験・倫理審査委員会（CIRB）を活用した審査を先駆的に実施し、37 の拠点病院の 31 施設で審査承認を得、1 施設で準備中であり、自施設で倫理審査を実施している 5 施設と合わせて IRUD 体制整備を促進した。<br>・次世代シークエンサーでの解析能力を有する既存の機関（遺伝子拠点研究）と連携の上、国際標準の患者表現型・ゲノム情報データネットワークと 5 つの解析センターによって構成されるコンソーシアムとを有機的に連携させた IRUD 診断体制の構築を推進した。<br>・AMED がその推進に特に主体的に関わった以上の取組みにより、IRUD において 809 例の患者（家系）について半年以内に解析結果を返却可能となった。IRUD 解析センターにおける解析での確定診断率は 36.9%であった（2018 年 7 月末時点）。新規疾患原因遺伝子変異の同定・公開は累計 16 件に達した。<br>・その一方で、IRUD の研究開発代表者及び核となる研究者、並びに機構内関係部署の間で緊密な意思疎通を図るべく、最上位に位置づけられる推進会議、機構内のタスクフォース会議等を開催し、これらの機会等を通じて AMED 自ら積極的な研究支援を行った。未診断疾患イニシアチブの成果を発展 | 続けている。<br>・モデル生物コーディネーティングセンターの設置により、ショウジョウバエやゼブラフィッシュ等の研究者と臨床研究者を連携させ、未解明の遺伝子の機能解析を大幅に加速させた。<br>・Matchmaker Exchange 等の国際的な情報共有システムを通じ研究上の国際協力等を推進するとともに、IRDiRC の加盟機関総会への参加や各種タスクフォースへの参加を通じて情報共有に努めた。<br>・国際的な情報共有システムを利用することで、通常診療では困難であった既存難病の診断が可能になるとともに、日本のデータにより海外での診断が可能となった。<br><br>【難病プラットフォーム】<br>公開シンポジウムやレジストリ運営に必要な SOP や共通様式等の提供等のレジストリ構築支援を実施することで、既に 35 の研究班が難病プラットフォームを利用したレジストリ構築に着手している。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | させる研究（IRUD Beyond）分野では、治療等への橋渡しを目指す Beyond diagnosis、診断成功率の更なる向上を目指す Beyond genotyping さらなるデータシェアリング等による国際連携を推進する Beyond borders への取組を継続した。このうち、Beyond diagnosis では 2 課題の継続に加え、新たに平成 30 年度に 3 課題を採択した。Beyond genotyping では、未解明の遺伝子の機能解析のため、ナショナルバイオリソースプロジェクト（NBRP）と連携したモデル生物コーディネーティングネットワークとして、102 の未知の遺伝子の機能解析が進行中である。国内外の希少疾患データベースとの連携等、国際的なデータシェアリングに資する仕組み作りを推進した。<br>・国際的な情報収集及び日本からの提言・発信、そして国内の希少疾患・難治性疾患の研究開発推進を目的として、国際希少疾患研究コンソーシアム（IRDiRC）に関する各種取組みを実施した。第 7, 8 回加盟機関総会（Consortium Assembly）にも参加し、IRDirRC Goal 2027 達成に向けた取り組みに対して共同すると共に、日本での希少疾患、特に難病に関する研究開発動向を加盟機関代表等参加者間で共有した。また IRDiRC の各種タスクフォースに、日本から有識者の参加をすすめ情報共有に努めた。<br>■難病プラットフォーム<br>レジストリ運営に必要な SOP や共通様式等の提供を開始し、実際に 35 の研究班に対しレジストリの構築支援を開始するとともに、188 名が参加する公開シンポジウムを開催しデータシェアリングを推進した。 | | | |
| | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・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（ＡＬＳ、遠位型ミオパチー等）<br>・欧米等のデータベースと連携した | これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、<br>・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（ＡＬＳ、遠位型ミオパチー等）<br>・欧米等のデータベースと連携した | ＜評価指標＞<br>【2020 年までの達成目標】<br>・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（ＡＬＳ、遠位型ミオパチー等）<br>・欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究 | ■医療分野研究開発推進計画　達成すべき成果目標（KPI）<br>・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大件数：累計 6 件、うち平成 30<br>年度は 2 件（新規薬剤、新規体外診断薬の薬事承認）<br>これらの他、患者を対象とした治験を実施している課題が多数あり、<br>今後更なる医薬品、医療機器等の薬事承認（実用化）が期待される。<br>（内訳（過年度の成果を含む。））<br>①　甲状軟骨固定用器具「チタンブリッジ」（平成 29 年 12 月承認） | 【医療分野研究開発推進計画　達成すべき成果目標（KPI）】<br>・KPI については他事業のレベルを大幅に超える厳しい条件を設定されているにも関わらず、新規原因遺伝子又は新規疾患の発見は 5 件の目標値に対して 16 件と 300%以上の達成、1 件の国際共同臨床研究については目標を達成のうえ現在も順調に被験者登録が進んでいる。更に、薬事承認取得については 11 件に対し 6 件という累計になっている。これは「製薬産業 2018-2019 てきすとぶっく | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 国際共同臨床研究及び治験開始<br>・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<br>を目指すものとする。 | 国際共同臨床研究及び治験開始<br>・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<br>を目指すものとする。 | 及び治験の開始<br>・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<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・応募件数及び採択件数<br>・事業に参画している研究者延べ人数<br>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数<br>・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 | ② 重症多型滲出型紅斑眼傷害に対する輪部支持型ハードコンタクト<br>レンズ「サンコン Kyoto-CS」（平成 28 年 2 月承認）<br>③ 神経・筋難病に対する下肢装着型補助ロボット「HAL 医療用下肢<br>タイプ」（平成 27 年 11 月承認）<br>④ リンパ脈管筋腫症に対する mTOR 阻害剤「ラパリムス錠 1mg」（平<br>成 26 年 7 月承認）<br>⑤ 「ミトコンドリア脳筋症・乳酸アシドーシス・脳卒中様発作（MELAS）症候群」に対するタウリン散 98%「大正」（平成 31 年 2 月承認）<br>⑥ 「炎症性腸疾患の疾患活動性評価の血清バイオマーカー」としての「ナノピア®LRG」（平成 30 年 9 月承認）<br><br>・ その他： 希少疾患による歩行障害改善において「HAL®医療用」が EU で医療機器として CE 適用拡大となった。（平成 29 年 1 月）、そのデータには本事業で支援した日本における医師主導治験成績が利用されている。<br>・ 原発性免疫不全症の新規疾患概念である STAT1 異常症 2 例について、確定診断後の病態解明を通じて行った骨髄移植により救命することができた （Journal of Allergy Clinical Immunology, 2018）。（その他、新規に見出された原発性免疫不全症の新規疾患概念等 39 例についても、確定診断が、新規治療の導入に繋がっている。）<br><br>・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：難<br>治性疾患実用化研究事業において以下の取り組みが進行中である。<br>HTLV-1 関連骨髄症（HAM）に対するステロイド製剤（平成 28 年<br>7 月 27 日治験届提出）：ステロイド製剤の国際共同治験では、平成<br>28 年度の患者登録開始以来、平成 31 年 1 月時点で同意取得 37 例、<br>投与開始 32 例と順調に進捗している。 | （日本製薬工業協会）」における 25 社への調査で 2012 年-2016 年の承認取得数が低分子医薬品の薬事承認取得が 26 件（1 年あたり 1 社で約 1 件）であったという事実からも非常に優れた成果と言える。<br>更に取得したデータにより海外での薬事承認が得られたものが 6 件以外に発生していたり、現時点でも 26 件の医師主導治験が進行しており、今後更なる薬事承認取得が期待できる。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・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件数：<br>累計 16 件、うち平成 30 年度は 7 件（論文発表等での公開）<br>（内訳（過年度の成果を含む。））<br>① 武内-小崎症候群：CDC42 遺伝子<br>② 小崎 Overgrowth 症候群：PDGFRB 遺伝子<br>③ 無巨核球性血小板減少症を伴うとう尺骨癒合症：EVI1 遺伝子<br>④ Schimmelpenning-Feuerstein-Mims 症候群：BRAF 遺伝子<br>⑤ ZTTK 症候群：SON 遺伝子<br>⑥ Bosma arhinia microphthalmia 症候群：SMCDH1 遺伝子<br>⑦ Hydranencephaly-like severe form of cortical dysgenesis:TUBA1A 遺伝子<br>⑧ Intellectual disability with seizures and hypotonia: PIGG 遺伝子<br>⑨ West 症候群: WDR45 遺伝子<br>⑩ Clinical features of SMARCA2 duplication overlap with Coffin-Siris Syndrome： SAMRCA2 遺伝子<br>⑪ Pontocerebellar hypoplasia： TOE1 遺伝子<br>⑫Gabriele-de Vries syndrome 症候群： YY1 遺伝子<br>⑬ 難治性てんかんと多発奇形症候群の異なる②疾患： PPP3CA 遺伝子<br>⑭ ステロイドに反応性を示す一次性ネフローゼ症候群： ITSN2 遺伝子<br>⑮ 新規ガラクトース血症 （Type IV）： GALM 遺伝子<br>⑯口蓋裂を伴う知的障害： NCOR1 遺伝子<br><br>＊その他： 平成 31 年 1 月時点で未公表段階の情報<br>a）短瞼裂＋先天性心疾患＋知的障害： 遺伝子名未公開<br>b）大頭症＋胸郭変形＋知的障害： 遺伝子名未公開<br>c）痙性対麻痺、知的障害、脳形成異常を持つ新規奇形症候群： 遺伝子名未公開<br><br>＊参考：原発性免疫不全症の新規疾患概念<br>5 件発見された。<br>1) DBR1 異常症： DBR1 遺伝子（Cell, 2018） | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 2) IL23R 異常症： IL23R 遺伝子（Science Immunology, 2018）<br>3) IL12RB2 異常症： IL12RB2 遺伝子（Science Immunology, 2018）<br>4) PTEN 異常症： PTEN 遺伝子（Journal of Allergy Clinical Immunology, 2016）<br>5) IKBKB 異常症： IKBKB 遺伝子（Journal of Experimental Medicine, 2018）<br><br>・応募件数及び採択件数：446 件及び 146 件<br>・事業に参画している研究者延べ人数：681 人<br>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数：12 件<br>・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：30 件<br><br>＜平成 29 年度実績に係る外部評価委員会における指摘事項＞<br>■指摘事項<br>・将来の研究開発の発展のために、若手研究者の育成を更に推進すること。<br>【対応状況】<br>・若手研究者を対象（応募条件）とした公募を実施し、若手研究者による独創的な研究を支援した。<br>・若手研究者を集めた教育講演及び相互評価方式の進捗ヒアリングを実施した。<br><br>■指摘事項<br>・国際戦略の推進の面では、海外事務所の活発な活動により更なる国際連携を進めているが、国際レビューアの導入を契機として、より質の高い国際共同研究の取組を進めること。<br>【対応状況】<br>・H31 年度一次公募では、神経筋疾患に特化した若手病態解明研究（後で正式名称を入れる）として、英語で記載された研究計画書を国際レビューアがレビューを実施する公募を実施した。<br>・IRUD Beyond, Beyond borders として採択した課題では、我が国アカデミア発の新規医療技術の国際展開を推進し、国際協調のもとで希少・難治性疾患、未診断疾患領域の研究開発の促進、診療レベルの向上に資することを目的とし Nature 社の支援を受け | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 事業の成果を英語で発信するウェブサイトを公開し、また Orphanet Japan としてフランス INSEREM で設立された希少疾患関連情報収集機関 Orphanet に参画し、国際的な情報発信・共有に努めた。<br><br>■指摘事項<br>・医療イノベーションの創出に向け、データシェアリングや広域連携・分散統合という概念が極めて重要となっている。また、汎用・基盤的な大型機器の共用も、共同研究の推進や融合領域の開拓等を通じてイノベーションに大きく貢献するものである。これまでに、機構のイニシアチブにより IRUD や複数の学会による異なるモダリティの画像データベースの取組、あるいは低温電子顕微鏡ネットワーク等によってその端緒が開かれてはいるが、今後、データの統合・共有化や、汎用・基盤的な大型機器の共用促進を、研究機関全体に広げていく取組を進めること。<br>【対応状況】<br>・IRUD では、国際的な症例情報共有を念頭に IRUD Exchange を用いたデータシェアリングを推進した。2019 年 3 月までに 3556 家系が登録され日本国内での情報共有を行い、国内の検討のみでは確定診断に至らなかった症例について、適宜、表現型・候補遺伝子名（個人情報を含まない要約情報）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等の取組により、研究上の国際協力等を推進した。これにより、2 疾患の確定診断（論文準備中）ができた。<br><br>■指摘事項<br>・疾患に対応した研究については、形成してきた国際的な基盤等を活用して成果を出した感染症分野の事業マネジメントをモデルとして、他の疾患分野の事業マネジメントを強化すること。<br>【対応状況】<br>・IRUD による Matchmaker Exchange を用いたデータシェアリング、IRUD Beyond, Beyond borders による Orphanet Japan の設立以外に、Beyond genotyping として未解明の遺伝子の機能解析のためのモデル生物コーディネーティングネットワークの国際的データシェアリングに資する仕組として、カナ | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ダにおける同様の取り組みとし、同様に追従するオーストラリア、欧州を含めたの連携のしくみ作りを推進した。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－１　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（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．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅰ―(2)―⑩ | (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<br>⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業 | | |
| 関連する政策・施策 | － | 当該事業実施に係る根拠（個別法条文など） | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条 |
| 当該項目の重要度、困難度 | 重要度、優先度等は高い | 関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー | 健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定）<br>政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-10） |

２．主要な経年データ

主な参考指標情報

| | 基準値等 | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 応募件数 | | 911 件 | 1,219 件 | 1,247 件 | | |
| 採択件数 | | 150 件 | 281 件 | 203 件 | | |
| シンポジウム等の開催件数 | | 10 件 | 147 件 | 49 件 | | |
| サイトビジット（班会議、研究者打合せ参加）回数 | | 219 回 | 591 件 | 708 件 | | |
| PS/PO 会議実施回数 | | 62 回 | 89 件 | 53 件 | | |
| | | | | | | |

②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）

| | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 |
|---|---|---|---|---|---|
| 予算額（千円） | 24,855,171 | 32,306,240 | 63,597,837 | 52,592,698 | |
| 決算額（千円） | 24,427,531 | 26,379,702 | 34,882,259 | 39,639,378 | |
| 経常費用（千円） | 24,864,653 | 26,496,041 | 30,639,396 | 33,935,141 | |
| 経常利益（千円） | 15,566 | 492,669 | 583,790 | 2,027,242 | |
| 行政サービス実施コスト（千円） | 23,507,646 | 25,041,547 | 30,054,075 | 28,182,047 | |
| 従事人員数 | 31 人 | 42 人 | 49 人 | 66 人 | |

注１）予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

注２）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | （期間実績評価） |
| | | | | | 評定 | 評定 |
| 統合プロジェクト以外の事業であって、複数の疾患領域における研究の基盤 | 統合プロジェクト以外の事業であって、複数の疾患領域における研究の基盤 | | ■糖尿病などの生活習慣病、脳卒中を含む循環器疾患、呼吸器系疾患、筋骨格系・結合組織疾患、泌尿器系疾患に係る研究<br>・【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】<br>循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、ＡＩなど | ＜評定と根拠＞<br>評定：A<br>ＡＩによる診断等の支援も視野に、世界に類を見ない | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 的な性質を有する研究開発であるなど横断的な取組を「横断型事業」、社会的・臨床的に医療上の必要性・重要性が高い疾患領域に関する取組を「疾患領域対応型事業」とする。各事業に関連した取組は以下のとおり。<br><br>＜横断型事業＞<br>各疾患領域における研究の基盤構築を目指した研究開発として、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する。<br>　臨床現場で見出した課題を基礎研究に戻すリバースＴＲやヒト由来の臨床検体の使用等による産学官連携の循環型研究開発を活性化させる。<br>将来の医薬品、医療機器及び医療技術等 | 的な性質を有する研究開発であるなど横断的な取組を「横断型事業」、社会的・臨床的に医療上の必要性・重要性が高い疾患領域に関する取組を「疾患領域対応型事業」とする。各事業に関連した取組は以下のとおり。<br><br>＜横断型事業＞<br>各疾患領域における研究の基盤構築を目指した研究開発として、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する。<br>　臨床現場で見出した課題を基礎研究に戻すリバースＴＲやヒト由来の臨床検体の使用等による産学官連携の循環型研究開発を活性化させる。<br>将来の医薬品、医療機器及び医療技術等 | ＜評価軸＞<br>・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。<br>・臨床現場で見出した課題を基礎研究に戻すリバースＴＲやヒト由来の臨床検体の使用等による産学官連携の循環型研究開発を活性化させたか。<br>・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 | の新技術を用いてビッグデータを解析することにより、生活習慣病の発症・重症化予測の開発を推進してきた。<br>・【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】循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、糖尿病腎症の発症・重症化に関与する複数のバイオマーカーを同定した。<br>・【画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発の推進】:<br>腎疾患実用化研究事業では、 ステージゲートを利用した課題管理を導入し、C-メガリンが糖尿病性腎症進展のマーカーであることを始め、複数の成果を得た。<br><br>■高齢者の生活の質を大きく低下させる疾患に係る研究<br>＜長寿科学研究開発事業における取り組み＞<br>・高齢者に特徴的な疾病・病態等に着目し、総合的な治療アプローチの確立を目指し、介護予防や要介護度の重症化予防について効果的な手法を検討・普及するとともに、高齢者の日常生活を支えるために必要な研究を推進した。<br>・これまでに得られた主な成果は以下の通りである。<br>➢　多剤処方の弊害について啓発を図るため、一般高齢者向けの啓発パンフレットを作成し、老年医学会と老年薬学会のホームページに掲載した。<br>➢　住民ボランティアや市町村、地域包括支援センター職員などを対象に 地域診断ツールを活用した「見える化」 システムの研修を行い、標準化を目指したプログラム開発や資料収集、プロセス・アウトカム評価の検証等を行った。<br>➢　医療・介護保険のレセプトデータを個人レベルで突き合わせ、匿名かされた状態で研究利用することで、高齢者の医療・介護にまたがる医療経済研究を可能とした。一つの成果として、高齢者における複数の慢性疾患併存は、年間医療費のみならず、年間介護給付費の増大とも関連があることを見いだした。<br>・循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、サルコペニアの発症・重症化メカニズムを解明することで、治療のための新たなシーズ探索を目的とした基礎研究を推進した。また、高齢者のエネルギー消費量を適切に評価するための研究を推進し、高齢者特有の病態解明に寄与した。<br>・循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、循環器疾患における緩和ケアの現状を明らかにするとともに、緩和ケアの質の評価指標を策定することにより緩和ケアの質向上に貢献した。<br><br>■口腔の疾患に係る研究<br>＜長寿科学研究開発事業における取り組み＞<br>・高齢者に特徴的な疾病・病態等に着目し、複合的・総合的な治療 | 複数学会主導の医療画像データのデータベース構築等に関する研究を推進した。６学会に国立情報学研究所が参画し、同研究所が構築・運営する学術情報ネットワーク SINET5 を活用して、より均質性の高いデータを集積する取組を行った。革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST、PRIME、LEAP）では、インパクトの高い成果が多数創出されるとともに、事業運営においても国際連携の成果から事業領域の設定など積極的な改革を行った。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) の合同シンポジウムで提唱されたライフステージに応じた健康課題の克服という構想を展開させ、政府方針とも合致し、成育分野の研究の充実を図ることとなった。疾病に対応した研究では、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、エイズ及び肝炎対策等の成果が多数創出され、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）でも、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、基礎研究から実用化までを推進し患者へ成果を届けるというＡＭＥＤのミッションに | | |

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する。
幅広い研究開発を安定的かつ効果的に促進するために不可欠な生物資源等を戦略的・体系的に整備するとともに、研究開発等の国際展開を推進する。

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する。
幅広い研究開発を安定的かつ効果的に促進するために不可欠な生物資源等を戦略的・体系的に整備する。
主要な海外ファンディング機関との協力協定や海外事務所も活用して研究開発等の国際展開を推進する。

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。
・幅広い研究開発を安定的かつ効果的に促進するために不可欠な生物資源等を戦略的・体系的に整備するとともに、研究開発等の国際展開を推進したか。

＜評価指標＞
・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く、医療・介護等デジタルデータの利活用基盤の構築状況
・臨床ビッグデータの集積・共有し、人工知能技術を活用することによって行う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の取組状況
・リバースTRやヒト由来の臨床検体の使用等の循環型研究開発の産学官連携の循環型研究開発の活性化への取組状況
・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

のアプローチの確立を目指し研究開発を推進した。
・これまでの主な成果は以下の通りである。
8020運動の達成者が増加する一方で、自立した口腔ケアが困難となり口腔疾患罹患率が高まるなど、多様化する高齢者の口腔内環境へ対応するべく、高齢者の口腔疾患についての研究を推進した。口腔ケア「困難事例」とされる、認知症の病態に応じた、口腔管理及び栄養ケアマネジメントに資する知見を収集し、エビデンスに基づく適切な歯科診療を含む口腔管理及び栄養ケアマネジメントに関するガイドラインを研究・開発を行った。

■小児・周産期の疾患に関する研究
・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、各年度において、推進中の研究開発課題について下記の通り委託研究開発契約を締結し、基礎からより実用化を目指した研究まで、幅広く実施した。
・本事業においては、各年度において、公募テーマをそれぞれ設定し、下記の通りに採択を行った。年度を経るにつれ、応募数は、増加している。

| | | |
|---|---|---|
| H27 | 公募テーマ | （調整費による拡充）<br>未診断疾患解明事業（IRUD-P）設立、小児の慢性疾患における晩期性障害<br>（本予算）H28年度一次公募<br>生殖補助医療の標準化、母子感染、重症先天性免疫不全症等に対するex vivo遺伝子・細胞治療等の実施に関する研究（採択後、難病研究課へ移管）、先天性代謝異常等成育疾患に対するin vivo遺伝子治療・細胞治療等の臨床研究（採択後、難病研究課に移管）、卵子の老化、男性不妊、妊娠高血圧症等、産科領域、先天異常モニタリングによる先天異常発生要因の分析とその対応 |
| | 応募数・採択数 | 応募数36件、採択数13課題 |
| H28 | 公募テーマ | （本予算）H29年度一次公募<br>胎児・新生児の免疫成立機序、男性不妊 |
| | 応募数・採択数 | 応募数15件、採択数4課題 |
| H29 | 公募テーマ | （本予算）H30年度一次公募<br>周産期メンタルヘルスの予防的治療介入法、早産予防・治療の臨床研究、染色体異数性を示す疾患の原因・機序の解明、乳幼児期における感覚器や発達等の早期発見、思春 |

貢献、目標を大きく上回った。なお、平成29年度、平成30年度において予算額と決算額の差異が29年度300億円、30年度250億円発生しているが、これは両年度共補正予算により医療研究革新基盤創成事業のための政府出資金が増加したためであり、同事業の業績については評価項目Ⅰ（1）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推進」に記載し、評価を行っている。
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とした。

【糖尿病などの生活習慣病、脳卒中を含む循環器疾患、呼吸器系疾患、筋骨格系・結合組織疾患、泌尿器系疾患に係る研究】
・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、ビックデータを活用した心不全等の生活習慣病の予後・重症化予測法の開発を推進した。また、糖尿病に対する複数の診断マーカー・創薬シーズを同定するなど着実な成果を挙げている。

【高齢者の生活の質を大きく低下させる疾患に係る研究】
・多剤処方の弊害について

| | | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | ＜疾患領域対応型事業＞<br>健康寿命延伸に向けて、ライフステージに応じた健康課題の克服という視点に立って、妊娠期・出産期、新生児期、乳児期、幼児期、学童期及び思春期の疾患、生殖に関わる課題、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、エイズ・肝炎等の多岐にわたる疾患、フレイル等の高齢者の生活の質を大きく低 | ＜疾患領域対応型事業＞<br>健康寿命延伸に向けて、ライフステージに応じた健康課題の克服という視点に立って、妊娠期・出産期、新生児期、乳児期、幼児期、学童期及び思春期の疾患、生殖に関わる課題、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、エイズ・肝炎等の多岐にわたる疾患、フレイル等の高齢者の生活の質を大きく低 | に向けた革新的先端研究開発の取組状況<br>・生物資源等の戦略的･体系的な整備への取組状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・応募件数及び採択件数<br>・事業に参画している研究者延べ人数<br>・左記の評価軸に係る取組状況<br><br>＜評価軸＞<br>・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。<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・ニーズを十分に意識しつつ、予防、治療、生活の質の向上を目指した研究 | | | 期の心身の健康に関する研究、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法<br>（調整費による追加配賦）周産期臨床研究コンソーシアム、先天性サイトメガロウイルス感染症の予防・治療、卵子の老化<br>（調整費による二次公募）<br>乳幼児期に発症する疾患・障害の早期発見、養育環境が子どもの心に与える影響、学童・思春期の心身の健全育成 | | 啓発活動や地域診断ツールを活用した「見える化」システムの研修を行い、介護予防や要介護度の重症化予防について効果的な手法を検討･普及していると認められる。また、高齢者の医療･介護にまたがる医療経済研究を可能とし、高齢者の日常生活を支えるために必要な研究を推進したと認められる。<br><br>【口腔の疾患に係る研究】<br>･認知症の病態に応じた、口腔管理及び栄養ケアマネジメントに資する知見を収集し、エビデンスに基づく適切な歯科診療を含む口腔管理及び栄養ケアマネジメントに関するガイドラインを研究・開発し、高齢者に特徴的な疾病･病態等に着目した複合的･総合的な治療のアプローチの確立に向けて着実な成果を挙げている。<br><br>【小児・周産期の疾患に関する研究、女性に特有の健康課題に関する研究】<br>･研究･開発を推進できたことは評価できる<br><br>【女性に特有の健康課題に関する研究】<br>･研究･開発を推進できたことは評価できる<br><br>【免疫アレルギーに関する | | |
| | | | | | | 応募数・採択数 | 応募数 56 件、採択 9 課題 | | | | |
| | | | | | H30 | 公募テーマ | （本予算）H31 年度一次公募<br>周産期や小児期の臨床研究推進のための支援・連携体制基盤構築（拠点型）、周産期小児期の治験･臨床研究、胎生期～乳幼児期の環境が中長期予後に与える影響、新生児マス・スクリーニング法の疾患拡充に向けた対象候補の選定と評価、新たな解析原理に基づく新生児ます・スクリーニング法の開発、母子感染・母体の炎症性疾患、分娩管理の標準化、先天異常発生状況の推移、生殖補助医療の安全性、ヒト受精胚または配偶子の遺伝子改変を伴う基礎研究と倫理社会的課題、不育症、子どもの将来の生活習慣病 | | | | |
| | | | | | | 応募数・採択数 | 応募数 71 件、採択 13 課題 | | | | |
| | | | | ・医療との連携システムの開発について募集し、研究開発を開始した。また、調整費の骨太の取組の一つとして「子どもの健全な成育と疾患克服に資する研究」を立案し、当該事業のみならず、障害者対策総合研究開発事業、東北メディカルメガバンク計画、ゲノム創薬推進研究事業、臨床ゲノム情報統合データベース整備事業と連携し、周産期・子ども領域に関連する研究事業の有機的な連携や効果的な事業推進を行った。<br>・平成 30 年度春の調整費により立ち上がった周産期・小児期臨床研究推進基盤の体制により、多施設共同臨床研究・試験の促進を図った。具体的には、周産期新生児分野の自然歴を調査するため、周産期データベース整備を通じたリンケージデータベース構築、臨床試験実施体制ならびに on the job training を通じて自ら臨床研究を企画・実施できる人材育成基盤の構築、研究アイデアの募集による多施設共同研究の企画・実施を行った。 | | | | | | |

| | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 下させる状態や疾患等に対し、患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、診断、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進する。さらに、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する。 | 下させる状態や疾患等に対し、患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、診断、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進する。さらに、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する。 | 開発への取組状況<br>・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への取組状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・応募件数及び採択件数<br>・事業に参画している研究者延べ人数<br>・左記の評価軸に係る取組状況 | ■女性に特有の健康課題に関する研究<br>・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、平成 27 年度 AMED における新規事業として立ち上げを行い、各年度において、推進中の研究開発課題について下記の通り委託研究開発契約を締結し、基礎からより実用化を目指した研究まで、幅広く実施した。<br>・本事業においては、各年度において、公募テーマをそれぞれ設定し、下記の通りに採択を行った。年度を経るにつれ、応募数は、増加していた。採択にあたっては、いずれも書面評価、ヒアリングを行い、事前評価を行った。<br><br>H27 公募テーマ：（本予算）平成 27 年度一次公募<br>女性ホルモンに着目した疫学研究および介入研究を用いた予防法の開発、性差に基づく至適薬物療法の検討、女性の健康向上に資するウエアラブル医療機器等の開発、および機器利用による診療の質向上に関する研究、子宮内膜症の病態解明、および予防・治療法の開発、エストロゲン低下にともなう骨粗鬆症の病態解明と予防、治療に関する研究、若年女性のスポーツ障害の解析とその予防と治療、女性の出産後メタボリックシンドローム発症のリスク因子同定と予防研究<br>（本予算）平成 28 年度一次公募<br>若年女性のスポーツ障害予防のための介入研究、出産後メタボリックシンドローム発症のリスク同定と予防研究<br>（調整費による二次公募）<br>日本赤十字社の献血血液を利活用する研究の推進<br><br>H27 応募数・採択数：応募数 42 件、採択数 14 課題<br><br>H28 公募テーマ：（本予算）平成 29 年度一次公募<br>発症頻度に性差のある疾患の機序解明と性差に基づく治療法の開発<br><br>H28 応募数・採択数：応募数 7 件、採択数 1 課題<br><br>H29 公募テーマ：（本予算）平成 30 年度一次公募<br>子宮･卵巣等に関する疾病･健康課題や更年期疾患等への女性ホルモンの影響、若年女性の心身に視点を置いた研究開発、女性の | 研究】<br>・2019 年 1 月に「免疫アレルギー戦略 10 か年戦略」（以下、「戦略」）が発出され、本研究領域におけるわが国の目指すべき目標とその実現のための方略が明らかにされた。<br><br>【慢性の痛みを呈する疾患に関する研究】<br>・痛みは主観的な感覚であるため､標準的な評価法や診断法､治療法が確立されておらず､診療体制も十分に整っていない現状があるが､難治性の慢性疼痛に悩む国民は多く､早急な痛み対策が求められている。本事業では､病態の解明等の基礎的な研究を進め､評価法等の開発につなげる研究を実施し､慢性の痛みに悩む患者のQOL向上に繋がる開発研究を推進した。今後も適切な支援を継続することが期待される。<br><br>【身体機能障害の代替・回復やリハビリテーションに資する新しい開発研究】<br>・ALS 患者等を含む障害者のコミュニケーション支援機器が製品モデルとして完成するなど､障害全般に関するリハビリテーション等の適切な支援を提供することが期待される。また､末梢前庭障害に伴うめまい･平衡障害に対する | | |

| | | | |
|---|---|---|---|
| | | 健康に資することが期待される男女共通の疾患における年齢および生物学的性差を加味した診断・予防法の開発と治療法の開発 | |
| | 応募数・採択数 | 応募数 24 件、採択数 4 課題 | |
| H30 | 公募テーマ | （本予算）H31 年度一次公募<br>月経随伴症状の疾患発症機序の解明及び月経随伴症状に対する薬物療法、女性の更年期以降に顕在化する心身の健康課題の病態解明と予防、プレコンセプションの女性に着目した疾患予防、女性の心身の状況を総合的に考慮した診療に資するツールの開発 | |
| | 応募数・採択数 | 応募数 11 件、採択 4 課題 | |

・H30 年度は、複数の大規模多目的コホート研究において、生殖関連要因および女性ホルモン等とがんや認知症との関連解析結果をまとめた。
・女性のライフコース疫学によって検討すべき健康事象とその規定因子とされる項目について、ベースライン調査および定期的追跡調査で前向きに調査を行った。
・近年技術革新の進んだウエアラブル機器により、女性の更年期特有の症状を把握する測定装置の開発、AI による女性の愁訴について適切な診断アルゴリズムを作成・実装に向けて、研究を実施した。
・成育疾患克服等総合研究事業および女性の健康の包括的支援実用化研究事業については、研究開発実施にあたり、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た。具体的には、全ての研究開発課題の班会議に対し、PSPO 等が最低 1 名参加し、進捗管理、推進にあたった。

■免疫アレルギーに関する研究
・免疫アレルギー疾患等実用化研究事業では、1 件の新規外用剤の薬事申請に至った。国際レビューアーの導入をした。
・免疫アレルギー実用化研究事業においては、アトピー性皮膚炎及び関節リウマチを含む免疫疾患について、臨床情報と組織検体の標準化された収集方法及び組織学、トランスクリプトーム・エピゲノム等オミクス解析を統合した解析パイプラインの構築するとともに、国際標準化を視野に入れた mRNA の発現ダイナミクスに基づく新たな mRNA-seq データベースシステムを構築した。
・免疫アレルギー疾患実用化研究事業では、【リバースＴＲやヒト由来の臨床検体の使用等による循環型研究開発の活性化】：①慢性アレル

新規治療機器が完成し医師主導知見に進んでおり、障害を招く疾病等についての病因・病態の解明、予防、診断、治療法、リハビリテーション法等の先進的・実践的な取り組みが行なわれていると評価できる。

【エイズ及び肝炎対策に資する研究】
・平成 26 年度策定の健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画及び PSPO 体制によりに、適正、効果的かつ効率的な事業運営・管理を実施し、エイズ及び肝炎対策資する研究では、基礎研究から出口に向けた研究までを一貫して支援した。その結果、エイズ対策に資する研究では、ウイルス増殖過程の解析を基に新規抗ウイルスターゲットが同定された。HIV ワクチンの安全性・免疫原性の確認や新規抗 HIV 薬候補化合物の企業導出を図っているように、HIV 感染症の予防、治療に期待ができる顕著な成果をあげた。肝炎対策に資する研究においては、種々のアプローチを用いた基盤研究から、肝線維化機構や肝発がん機構などの解明、治療薬の開発に繋がる成果を得た。HBV ワクチン開発に関しても、より有効なワクチン開発に

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ギー性気道炎症の繊維化メカニズムについて、新規病態を解明し、新たなドラッグリポジショニングのためのシーズを得た。②疾患ゲノム情報と組織特異的マイクロRNA発現情報を統合するインシリコ・スクリーニング手法を開発し、関節リウマチの発症に係わる新規バイオマーカー候補miRNAを同定した。③アトピーマーチの発症に係わる皮膚バリア機能異常の関与について、複数の課題により研究班連携の下、前向き臨床研究及びアトピー性皮膚炎患者由来検体による微生物叢解析、オミクス解析を複合的に推進した。<br>・【画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発の推進】：①ファーストインヒューマンとなる新しい作用機序を持つ止痒外用剤の開発を促進した。②COPD合併喘息に対する、新たな治療戦略に基づく吸入剤の開発を促進した。③食物アレルギーに対する独創的コンセプトに基づく新規経口ワクチン開発を促進した。<br>・【生物資源等の戦略的・体系的な整備と研究開発等の国際展開の推進】：アトピー性皮膚炎、及び、リウマチ性疾患について、臨床情報と組織検体の標準化された収集方法及び、組織学、トランスクリプトーム・エピゲノム等オミクス解析を統合した解析パイプラインを構築するとともに、国際標準化を視野に入れた、mRNAの発現ダイナミクスに基づく新たなmRNA-seqデータベースシステムを構築した。<br>・免疫アレルギー疾患等実用化研究事業（移植医療技術開発研究分野）では、2018 年度は、採択課題（計 10 課題）に関して、PS、PO にもサイトビジット／班会議／市民公開講座に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。<br>・免疫アレルギー疾患等実用化研究事業（移植医療技術開発研究分野）において、臓器移植、造血幹細胞移植後の生命予後に大きくかかわる、移植片対宿主病（ＧＶＨＤ）や免疫抑制療法に関連する研究開発を推進した。<br><br>■慢性の痛みを呈する疾患に関する研究<br>・慢性の痛み解明研究事業では、2018 年度は、採択課題（計 9 課題）に関して、PS、PO にもサイトビジット／班会議／市民公開講座に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。<br>・慢性の痛み解明研究事業については、推進中の9件の研究開発課題について、9件の委託研究開発契約を締結した。<br>・痛みは主観的な感覚であるため、標準的な評価法や診断法、治療法が確立されておらず、診療体制も十分に整っていない現状があるが、難治性の慢性疼痛に悩む国民は多く、早急な痛み対策が求められている。本事業では、病態の解明等の基礎的な研究を進め、評価法等の開発につなげる研究を実施し、慢性の痛みに悩む患者のQOL向上に繋がる開発研究を推進した。<br>・具体的には、慢性疼痛の新たな治療法に繋がる脳関門通過型核酸医 | 繋がる成果をえている。また、強力な抗 HBV 薬候補化合物を見いだし企業導出を図っており、新規作用機序を有する抗 HBV 化合物については企業に導出した。DAA 治療が普及する中、HCV については薬剤の適正使用、持続感染に C 型肝炎悪化のメカニズムや病態の解明が進んだ。<br><br>＜今後の課題＞<br>・エイズ対策に資する研究においては、研究開発費が年々削減されているので、ウイルス自身の研究を推進しつつも、HIV 感染の予防及び根治療法の研究開発や HIV 感染症治療中に発生する病態の解明など世の中からのニーズに合わせた課題設定が重要となる。また、他分野からの研究者の参入促進を含めた HIV 研究者の育成に注力する必要がある。<br>・肝炎対策に資する研究においては、特に B 型肝炎の根治を目指した抗ウイルス薬及び治療法に関する基盤研究から出口に向けた研究まで引き続き一貫して、推進する必要がある。また、ウイルス性でない肝炎（NAFLD/NASH）が増え、その予防・診断・治療に対する社会的ニーズも高まっているので、独立した一つの領域として公募するか十分な検討が | | |

<table>
<tr>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td>薬の開発を進め、成果の創出を加速させるべく、調整費による追加配賦を行い、脳関門を通過し、疼痛に関連する後根神経節の細胞にまでデリバリーされるあらたな核酸医薬の開発を進め、標的遺伝子が適切に抑制していたことを確認するなど、慢性の痛みの治療に向けた取り組みを推進した。また、臨床の現場における精神神経免疫学的側面と慢性の痛みの病態を結びつけ、心理社会的ストレスの影響を解明する開発研究を推進した。<br><br>■身体機能障害の代替・回復やリハビリテーションに資する新しい開発研究<br>・身体・知的等障害、神経・筋疾患、感覚器障害の分野において、障害全般に関するリハビリテーション等の適切な支援を提供するための研究開発、障害を招く疾病等についての病因・病態の解明、予防、診断、治療法、リハビリテーション法等の先進的・実践的な研究に取り組むと同時に、障害児・者及びその家族の生活支援、社会参加等を目指した研究を推進した<br>・これまでの主な成果は以下の通りである。<br>－ 進行した ALS 患者等を含む障害者のコミュニケーション支援機器の実用化臨床研究を終了し、製品モデルとして完成した。<br>－ 末梢前庭障害に伴うめまい・平衡障害に対する新規治療機器が完成し、医療機器開発推進研究事業に移行して、2019 年度から薬機法承認を目指す医師主導治験を開始した。<br>－ 障害者対策総合研究開発事業では、ブレイン-マシン・インターフェイス(BMI)を用いた生活環境制御・コミュニケーション支援機器(B-assist)を開発・実証評価研究を実施し、移動支援のためのシステム及び機器を実現。<br><br>■老化メカニズムの解明・制御プロジェクト<br>・平成２９年度に AMED の新規事業として、老化遅延による健康寿命の延長を目的とし、老化メカニズムの解明・制御を目指す研究からヒトの老化制御への応用に繋がる研究開発を包括的に推進し、日本の老化研究の核となる拠点を形成するため、「老化メカニズムの解明・制御プロジェクト」を立ち上げ、「研究開発拠点」と「研究推進・支援拠点」の２テーマについて、公募した。<br>・公募の結果、「研究開発拠点」を２課題、「研究推進・支援拠点」を１課題が採択され、平成２９年１０月から研究を開始した。<br>【公募】<br><table><tr><td>H29</td><td>公募テーマ</td><td>①研究開発拠点<br>老化に関わる学際的な研究を集結し、老化メカニズムの解明・制御を目指す研究からヒトの老化制御への応用に繋がる研究開発を実施</td></tr></table></td>
<td>必要である。肝硬変に関しては、 線維化を改善させる根本的な 治療はなく、病態改善につながる新たな治療法の開発が必要である。さらに、肝炎研究の展開を図るため、肝蔵学研究者と他分野の研究者の協力体制の推進、若手研究者の育成に繋がる課題設定を行う必要がある。<br><br>【肝炎対策に資する研究】<br>・研究・開発を推進できたことは評価できる<br><br>【ICT・人工知能（AI）基盤構築に関する研究】<br>・異なる６学会をとりまとめ、学会主導の研究を推進し、更に学会共通課題の解決、各学会の DB 間の情報連携及びデータ集積システムの構築に際して、成果の最大化を図る取組を行ったことで、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とについて評価できる。更に、集積されたデータを効率的・有効的に活用できるよう次世代基盤構築に関わる研究や AI 開発のための基盤整備に関する研究開発を行ったことについても評価できる。<br>・PHR 利活用モデルの構築や AI を活用した保健指導システムの研究開発、IoT を活用した大規模長期介入研究を推進、標準的医療</td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
</table>

| | |
|---|---|
| 応　募数・採択数 | 応募数件　１７件、採択数　２件 |
| 公募テーマ | ②研究推進・支援拠点<br>本事業が機動的かつ円滑に運営されるため、拠点間の連携体制の構築や、老化研究の技術支援や研究支援等の共通基盤を提供し研究開発拠点の活動を支援 |
| 応　募数・採択数 | 応募数件　２件、採択数　１件 |

【委託研究開発契約（課題）数】

| | H29 | H30 |
|---|---|---|
| 研究開発拠点 | 2 | 2 |
| 研究推進・支援拠点 | 1 | 1 |

【事業運営に関する会議】

| 会議名 | H29.10～ | H30 |
|---|---|---|
| 研究推進会議 | 1 | 0 |
| PSPO 会議 | 1 | 3 |
| 拠点構想会議 | 0 | 4 |
| キックオフ・リトリート | 2 | 1 |
| サイトビジット | 0 | 3 |
| 他事業との合同リトリート・合同シンポジウム | 0 | 2 |

・平成２９年度は、研究開始に伴い、PSPO 会議を開催し、拠点内外の連携や「研究推進・支援拠点」の技術解析支援の推進についての議論等を行い、事業運営方針を検討・確認するとともに、研究推進会議を開催し、事業の方向性や拠点内外の連携等について協議し、外部有識者を含めて、日本の老化研究の推進戦略について議論を行った。また、キックオフ会議を開催し、「研究開発拠点」との意見交換、情報共有、技術解析支援のニーズを踏まえ、「研究推進・支援拠点」の技術解析支援の規則の設置、申請方法や審査フロー等の支援体制を整え、平成２９年１１月から支援を開始した。その結果、平成２９年度は、７種類の解析支援を３０件実施し、「研究開発拠点」の研究を推進した。

・平成３０年度は、サイトビジット（３回）を実施し、各拠点の研

情報収集システム開発･利活用研究に着手したことは評価できる。

【統合医療に関する研究】

・より質の高いエビデンスを創出するために、臨床研究における組込れ目標累積例数の進捗管理を強化したこと、事前評価に際して生物統計家や統合医療の専門家の関与を強めたこと、PS･PO のサイトビジット等を継続して実施したことは評価できる。

・プロトコール作成課題を経て、平成 30 年度に採択された課題おいては、プロトコール論文が掲載されたことは、評価できる。

・平成 29、30 年度に採択されたプロトコール作成課題が平成 31 年度臨床研究の実施課題に採択されたことは評価出来る。

【ACT-M、A-STEP】

・薬事承認が得られた課題、製造販売承認申請に至った課題がある。また、合計 24 課題で臨床試験や治験に至った。

【リバーストランスレーショナルリサーチ等による循環型研究開発】

・研究･開発を推進できたことは評価できる

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 究進捗状況や解析支援状況を把握し、助言・修正等を行う等、PDCA サイクルを活用した PSPO のマネジメントを実施し、研究開発もしくは研究推進・支援を着実に推進した。さらに研究開発の加速のため、評価の高い課題について、研究費の追加配賦を行った。また、PSPO 会議（３回）や拠点構想会議（４回）を開催し、戦略的な事業運営や支援拠点の体制強化、また事業内外の有機的な連携促進、今後の事業や老化関連研究の方向性等について、議論・討議を行った。前年度に引き続き、リトリートを開催し、各拠点の進捗報告や海外の動向等の情報共有、意見交換等を行い、拠点間連携を深め、事業全体の研究促進を図った。<br>・平成３０年度は、「研究推進・支援拠点」において、平成２９年度に加齢マウスの供給を含め、８種類の解析支援を４８件実施し、研究開発拠点の研究を促進に貢献した。「研究開発拠点」においては、「研究推進・支援拠点」の解析支援や拠点内連携、拠点間連携等による専門分野横断的な共同研究等を開始し、新たな老化メカニズムの解明や制御機構の解明について研究が促進され、その研究成果が着実に出てきた。特筆すべき研究成果として、肝臓傷害時に脳からの自律神経による信号が緊急的な肝臓再生を促進する仕組みの解明（個体・臓器老化研究拠点・東北大学）や血管の防御機構の解明（個体・臓器老化研究拠点・大阪大学）、またオートファジー制御による寿命延長機構の解明（老化機構・制御研究拠点・大阪大学）等、著名な論文を発表し、新たな老化メカニズムの解明・制御機構を見出し、健康寿命延伸に向けた応用展開が期待される成果が得られた。その他、拠点リトリートを開催し、情報交換や若手研究者による討論を行うなど、拠点内連携や研究開発の促進を図った。<br>・平成３０年度　第２回の調整費により、研究推進・支援拠点における寿命解析の死因解析データを高精度化するため、給電式テレメーターシステムを非接触型電波式充電装置に改良し、長期体内埋込型で自動測定可能なシステムの研究開発を実施した。<br>・その他、他事業との連携として、革新的先端研究開発支援事業「全ライフコースを対象とした個体の機能低下機構の解明」領域と合同リトリート（平成 30 年 9 月 5～6 日）を開催し、各事業の研究について情報を共有し、意見交換等を行い、老化関連研究の連携や共同研究の促進を図った。さらに、合同シンポジウム（平成 31 年 3 月 5 日）を開催し、両事業の進捗や成果について、広く企業や一般の方へ周知し、社会への還元を図った。その他、理化学研究所との連携推進のため、科学技術ハブの活用や共同研究の推進、クロスアポイントメントによる人材の交流等について、意見交換を行った。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ■エイズ対策に資する研究<br>感染症実用化事業（エイズ対策実用化研究事業）では以下の成果を達成した。<br>・多剤耐性 HIV 株にも奏功し、中枢移行性がよく HIV 感染者の中枢障害の治療に期待がもてる HIV プロテアーゼ阻害剤 GRL142/KU-241 を合成した。GRL142/KU-241 の薬効・安全性をサルを用いて確認し、企業導出を図っている。さらに、バックアップとして薬物代謝酵素の阻害が軽微であり薬物相互作用を回避できる可能性のある GRL142/KU-241 の誘導体も合成した。<br>・HIV Subtype B の約 70%を中和する単クローン抗体 1C10 をカイコで大量調製し、カニクイザルで安全性を確認した。また、SHIV を感染させたカニクイザルを用いて、1C10 のウイルス増殖抑制効果を確認し、臨床試験に向けて大きく前進した。<br>・センダイウイルスベクターを用いた HIV ワクチンの国際共同臨床試験第 I 相で、ワクチンの安全性・免疫原性を示す最終結果が論文発表された。（J. Nyombayire et al., J. Infect. Dis. 2017, 215, 95.）<br>・HIV Env 三量体改変抗原発現センダイウイルスベクター及び多様な Env 三量体改変抗原搭載非感染ウイルス粒子を作製した。これらを併用してサルに接種した結果、交差性の高い抗体を誘導し、HIV 感染防御ワクチンの開発に繋がる成果を得た。<br>・全国を網羅する調査ネットワークで得られた HIV 薬剤耐性変異データ、HIV 遺伝子配列および臨床情報と HIV 感染症治療薬の血中濃度を統合して解析することにより、海外からの流入も含めた本邦の HIV 感染動向や、疫学上、臨床上の課題が明らかになりつつある。<br>・HIV が体内で効率よく感染を拡げるための「細胞―細胞間感染」の分子メカニズムを解明し、これに関わる宿主蛋白質を発見した。「細胞―細胞間感染」は、細胞どうしが密に存在するリンパ節などの組織でみられ、抗ウイルス薬を投与しても相対的な薬剤濃度が低下し薬の効果を弱める一因となっており、HIV の潜伏化や慢性感染の維持にも関与している。したがって、「細胞―細胞間感染」の分子メカニズムの解明は、HIV の体内での拡がりや潜伏化機構の解明につながるだけでなく、新たな治療法開発への応用に寄与するものと期待された。（K. Miyakawa et al., Nature Commun. 2017, 8, 14259）<br>・CRISPR/Cas9 とアデノ随伴ウイルスベクターを用いて、生後の血友病 B マウス（第 IX 因子欠損）の異常遺伝子の修復に成功した。本成果を CiCLE 事業に橋渡しし、血友病 B に対する遺伝子治療用製品の研究開発に繋げた。（T. Ohmori et al., Sci Rep. 2017, 7, 4159.） | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ■肝炎対策に資する研究<br>感染症実用化事業（肝炎等克服実用化研究事業）では以下の成果を達成した。<br>・試験管内で、薬剤耐性 B 型肝炎ウイルスに著効示し、薬剤耐性 B 型肝炎ウイルス感染キメラマウスにおいても強力な抗ウイルス効果を示す化合物を合成した。本化合物は、現在臨床で用いられているエンテカビルよりも安全性が高く、さらに肝細胞内での安定性が高いことから 1 週間に 1 度の服薬レジメンが可能と考えられた。これらの結果を基に企業導出を図っている。<br>・ラット及びマウスの成熟肝細胞から、肝臓を再構築する肝前駆細胞へのリプログラミングおよび安定培養に成功した。培養に成功したラット由来の肝前駆細胞を、肝障害をもつマウスの肝臓に移植すると高い再生能力を示し、75-90%という極めて高い効率でホスト肝臓を再構築した。このような部分的リプログラミングというアプローチは、再生医療分野における新たな方向性を示した。（T. Katsuda et al., Cell Stem Cell 2016, 20, 270.）<br>・様々な C 型肝炎治療薬を用いた C 型肝炎ウイルスの感染培養実験を実施し、得られた実験データをもとに数理モデルと呼ばれる数学的な方程式で解析し、コンピュータシミュレーションを援用する事で網羅的に薬剤組み合わせの特徴を解析し、現在治療に用いられている複数の薬剤の組み合わせによるウイルス抑制効果の強さを判定する手法を開発した。（Y. Koizumi et al., PNAS 2017, 114, 1922）<br>・抗ウイルス療法により HCV を排除した 943 名の患者（肝発癌例 vs. 非発癌例）の血液検体・臨床情報を全国の共同研究施設より収集し、ゲノムワイド関連解析法を用いて全遺伝子にわったって約 60 万カ所の塩基配列の違いを解析した。その結果、4 番染色体に位置し、*TLL1* 遺伝子内に存在する一塩基多型（SNP: single nucleotide polymorphism）が肝発癌に強く関連することを見出した。（K. Matsuura et al., Gastroenterology 2017, 152, 1383.）<br>・改変したエイズウイルスの逆転写酵素に B 型肝炎治療薬エンテカビルを結合させ、その立体構造を解析し、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まれる仕組みを解明した。（Y. Yasutake et al., Sci Rep. 2018, 8, 1.）<br>・特定の HLA-DR-DQ 分子による HBs 抗原の認識（ワクチン低反応）および BTNL2 分子による T 細胞や B 細胞の活性制御（ワクチン高反応）が HBV ワクチンの効果に重要な役割を果たすことが明らかとなった。（N. Nishida et al., Hepatology, 2018, 68, 848.）<br>・全国 65 の小児施設に登録された、1986 年から 2015 年に出生し研究条件を満たした 348 例を、出生年ごとに 3 群に分け、診断時年齢、最終受診時診断、治療、感染経路、ゲノタイプなどを比較検討し、肝生検が実施されていた 147 例に関しては、肝組織像を詳細に検討した。 その結果、近年の傾向は、より低年齢 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | で診断され、母子感染が 99%以上になり、ゲノタイプは 2 型が最多になっていた。 また、欧米では 1～2%に認められる肝硬変は国内では見られず、大部分の症例は肝組織で線維化がない、または軽度で、肝がんはなかった。(T. Mizuochi et al., J. Gastroentelogy, 2018, 53, 419.)<br>・C 型肝炎ウイルスが持続感染し、病状が悪化するにつれて腸内フローラにレンサ球菌属のストレプトコッカス・サリバリウスなどが異常に増え、腸管で尿素を分解してアンモニアを生産することを明らかにした。このことから、アンモニア生産菌を増殖させないことが肝硬変などで見られる高アンモニア血症の予防や治療につながる可能性を示した。(T. Inoue et al., Clinical Infectious Diseases, 2018, 67, 869.)<br>・B 型肝炎ウイルス(HBV)の中でもアラスカで多く認められる遺伝子型のゲノタイプ F1b に特異的なウイルス変異 (A2051C) が HBV 感染粒子の産生を促し、若年肝がんの発症に関連していることを明らかにした。これらの結果は、B 型肝炎の発癌メカニズムや病態の解明、新薬の開発に道を開く可能性を示した。(S. Hayashi et al., Hepatology, 2018, 69, 19.)<br>・B 型肝炎ウイルスの複製に重要なウイルスタンパク HBx と宿主タンパク DDB1 との結合を阻害する薬剤の効率的なスクリーニング系を構築し、スクリーニングの結果ニタゾキサニドを同定した。ニタゾキサニドは、初代ヒト肝細胞を用いた B 型肝炎ウイルス感染系において、ウイルス RNA、ウイルスタンパク、ウイルス DNA、cccDNA 量を低下させたことから、新規の B 型肝炎治療薬となる可能性が示された。(K. Sekiba et al., Cell Mol Gastroenterol Hepatol. 2019, 7, 297.)<br>・間葉系幹細胞はマクロファージを M1（炎症性）から M2（抗炎症性）へと表現型を変化させるのに関わり、肝線維化改善を促進させていることを見いだした。また、マウス肝臓をイメージング出来る技術を用いて、投与マクロファージが壊死肝細胞を貪食するライブ画像をとらえることに成功した。この成果は、間葉系幹細胞を用いた再生治療開発の発展に資すると考えられる。(Y. Watanabe et al., Stem Cells Transl Med. 2019, 8, 271.)<br>・マウス体内で網羅的にがん遺伝子を探索出来る新技術を用いてスクリーニングを行い、脂肪性肝疾患からの肝がん発症に Hippo（ヒッポ）経路の構成因子 Sav1（サブワン）が重要な役割を果たすことを見いだした。このように、Hippo 経路は、肝がん治療の新規標的となる可能性を示した。(T. Kodama et al., Proc Natl Acad Sci U S A. 2018, 115, E10417.)<br>・B 型肝炎ウイルス(HBV)の複製過程に形成される cccDNA の前駆体 DNA に特徴的な“フラップ構造”に着目し，フラップ構造を切断するタンパク質 FEN1 の作用について、HBV 複製モデル実験や試験管内で cccDNA 形成を再現する新たな研究手法を用いて検討した。その結果，いずれの手法においても FEN1 の機能低下に伴い HBV cccDNA 量の減少が認められた。前駆体 DNA に対する FEN1 の作用機序を解析することにより、cccDNA 形成を抑制する新規の抗 HBV 薬開発につながると考えられる。(K. Kitamura et al., PLoS Pathog. 2018, 14, e1007124.) | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・B 型肝炎ウイルス（HBV）のカプシドは、ゲノム複製にも関与する HBV コアタンパク質（HBc）が会合して二量体となり、さらにこの二量体が自己集合して形成される。スクリーニングにより、HBc の二量体形成とゲノムの複製の双方を阻害するヒット化合物を見いだし、そのうちの 7 化合物を国内大手企業に導出した。導出先にて、構造活性相関研究や構造化学的検討、*in vitro*、*in vivo* での薬効評価等が実施される。<br>「C 型肝炎ウイルスに起因する肝硬変に対する抗線維化治療薬の開発に関する研究」を産学連携医療イノベーション創出推進プログラムに橋渡しし、Phase I を完結させた。その成果を基に企業導出、CiCLE 事業での採択へと繋げた。<br><br>■統合医療に関する研究<br>○平成 27 年度<br>・平成 27 年度は、厚生労働省より移管された課題（計 10 課題）に関して、PS、PO による進捗管理を実施した。<br>・その後、2 次公募による事前評価を行い、3 課題を追加採択し、計 13 課題に関して同様に PS、PO による進捗管理を実施した。<br>○平成 28 年度<br>・平成 28 年度は、採択課題（計 13 課題）に関して、班会議に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。<br>・評価委員より、統合医療の専門家を科学技術調査員として委嘱し、評価時に科学技術調査員の査読コメントを活用出来る評価体制の充実化の希望が出た為、委嘱を実施した。<br>・評価委員からの、統合医療領域の臨床研究について提案内容をより充実するため、プロトコール作成からの人材育成が必要との意見より、生物統計家を科学技術調査員として委嘱し、プロトコール作成課題を平成 29 年度の新規公募課題とすることとした。<br>○平成 29 年度<br>・平成 29 年度は、採択課題（計 15 課題）に関して、PS、PO にもサイトビジット／班会議／市民公開講座に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。<br>・平成 29 年度より新たに始めた機能性食品、鍼灸、アロマに関するプロトコールを作成する課題（3 課題）では、科学技術調査員のサポートを受けながら、毎月の進捗管理および進捗会議（計 3 回）を実施し、倫理審査委員会への申請資料一式の作成を行った。<br>・臨床研究に関する採択課題（9 課題）を対象とし、より進捗管理を強化するため、科学技術調査員に臨床試験のプロトコールについて評価項目やサンプルサイズ等のコメントを頂き、より質の高い臨床研究実施に向けたアドバイスを PSPO と共有した上で、研究者へフィードバックした。<br>・平成 30 年度公募に際しては、更なる科学的根拠収集のため、評価委員および科学技術調査員の見直しを行い、追加での生物統計 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 家（２名）および統合医療の専門家（３名）を科学技術調査員として委嘱し、評価に活用した。<br>○平成 30 年度<br>・平成 30 年度は、採択課題（計 15 課題）に関して、PS、PO にもサイトビジット／班会議／公開講演会に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。<br>・「統合医療」に関するプロトコール作成研究（4 課題）では、科学技術調査員のサポートを受けながら、毎月の進捗管理および進捗会議（計 3 回）を実施し、倫理審査委員会への申請資料一式の作成を行った。<br>・「統合医療」に関するプロトコール作成研究のうち、痛みをテーマとうする課題では、慢性の痛み解明研究事業の PSPO に班会議に参画して頂き、より実臨床に即したプロトコールの作成が出来た。<br>・臨床研究に関する採択課題（8 課題）を対象とし、研究進展についての進捗管理を強化するため、組入れ目標累積例数を毎月報告頂き、より質の高い臨床研究実施に向けたアドバイスを PSPO と共有した上で、研究者へフィードバックを行った。<br>・平成 31 年度公募に際しては、更なる科学的根拠収集のため、科学技術調査員の見直しを行い、統合医療の専門家（３名）とヘルスコミュニケーションの専門家（1 名）を科学技術調査員として委嘱し、評価に活用した。<br><br>■ICT・人工知能（AI）基盤構築に関する研究<br>【臨床研究等 ICT 基盤構築・人工知能実装研究事業】<br>・平成 28 年度より開始した学会主導の画像等データベース研究は 6 学会体制となり、画像共通プラットフォーム研究を進めるべく採択した国立情報学研究所をを加えた７研究体制となった。6 学会に対しては、研究開始時点より密な相互連携を義務づけ、班会議等で情報共有するとともに、国立情報学研究所が主体となり画像関連６学会を取りまとめ、学会間の認識の共通化を図った。また、AMED としても学会共通の課題解決を目的とした会議を複数回開催し知識を共有するとともに、知財や個人情報に関する専門家の講義を通じて研究者の理解向上を図る等、コンサルティングを交えつつ研究管理を行った。さらに、６学会の学術集会及び医療情報学会にて AMED 理事長又は当事業 PS/PO が研究内容を紹介する機会を設けるとともに、会期中に画像データ基盤構築に関わるセッションを開催するなど、個々の学会員へ学会本体の取り組みが周知されている。<br>【パーソナル・ヘルス・レコード（PHR）利活用研究事業】<br>・本事業は平成 28 年度より開始し今年度が事業最終年度である。研究期間を通じてした４つのライフステージ（妊娠・出産・子育 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | て、疾病・介護予防、生活習慣病、医療・介護連携）ごとに PHR 利活用モデルを構築し、今後の社会実装に向けた実証研究を実施した。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 プラットフォームの研究を行った。<br>【AI を活用した保健指導システム研究推進事業】<br>・本事業は平成 29 年度より開始し、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、適切な保健指導施策の提案を行うシステムや適切な保健指導を立案できるシステム構築とその有効性の検証を行い、機能の改善と拡充を図った。<br>【IoT 等活用生活習慣病行動変容研究事業】<br>・日本糖尿病学会主導で IoT を活用した世界的にも大規模（2,000 名程度）かつ長期間の介入研究を推進した。また、平成 29 年度に採択した研究 5 課題については研究最終年度となり、これら研究を通じて、IoT デバイスを用いて取得した個人の健康情報を基に個人の行動変容を促進し、重症化予防、介護予防、健康経営等に係る効果の科学的なエビデンスの構築がなされた。平成 30 年度にも同様の目的で新たに 6 課題を採択し研究を推進した。<br>【標準的医療情報収集システム開発・利活用研究事業】<br>・電子カルテベンダー・医療機関を超えて広く利活用が可能なクリニカルパス機能の開発と、その機能が医療安全の向上や診療行為の効率化へ確実に繋がることを示すことを目標とし、新規事業として 1 課題を採択し研究を推進した。<br><br>■産学連携医療イノベーション創出推進プログラム（ACT-M）<br>ACT-M は平成 27 年度から、ACT-MS は平成 28 年度から、毎年度公募を一回ずつ行い、これまで計 69 課題（ACT-M 33 課題、ACT-MS 36 課題）を採択し、産学連携による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等を実施している。<br>・平成 27 年度に採択された「情動系を調節するオピオイドδ受容体作動薬の開発」（代表機関：日本ケミファ（株））の研究開発課題に関して、その継続研究が AMED「医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）：第 2 回公募」にて「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」として採択され、本格的に企業主導の開発ステージに進んだ。他、CiCLE の第 3 回公募においても、ACT-M 平成 28 年度採択課題の継続研究が採択され、計 2 件の橋渡しが実現した。<br>・平成 28 年度採択課題「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および臨床研究」において、平成 30 年 2 月より医師主導治験を開始した。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。これまで、難治性皮膚潰瘍の治療には、適度な湿潤環境を維持、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、そのためには日々の処置が欠かせず負担が大きかったが、本課題の実用化により、日常の負担軽減が見込まれる。<br>・他に、ACT-M においては 3 課題が臨床試験に進んでおり、本事業により着実に実用化に向け前進している。<br><br>■研究成果最適展開支援プログラム（A-STEP）<br>・JST から移管された本事業の 88 課題について、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。<br>・（株）ジーシーは、A-STEP の研究開発成果について、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（平成 28 年 12 月 14 日）された。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、異種骨は安全面での課題、合成骨は治療効果の面での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。本課題の成果については、日本オープンイノベーション大賞（Japan Open Innovation Prize（JOIP）） 選考委員特別賞を平成 31 年 2 月に受賞し、同年 3 月に授賞式が行われた。<br>・他にも、平成 30 年度に製造販売承認申請が提出された課題がある。<br>・「コメ型経口腸管下痢症ワクチンの前臨床試験」（阪大微生物病研究会）は、アステラス製薬に導出し、海外にて第 I 相試験を実施している。<br>・以上の 3 課題の他に、本プログラムではこれまで計 21 課題において、ASTEP の支援中、もしくは支援後に臨床試験や治験を実施している。<br><br>■8K 等高精細映像データ利活用研究事業<br>・8K 内視鏡システムの医療上の有用性の検証及び高精細映像データの利活用による医療の質の向上等に関する研究について、平成 29 年度に研究開発課題を 1 件採択し、平成 30 年度末までに試作品を用いて 25 件のヒト臨床試験を実施した。<br>・また、8K 等高精細映像データ利活用研究事業／高精細映像デー | | | |

タの収集・解析を通じて内視鏡診療支援を行う医用人工知能システムの研究について、平成 29 年度に研究開発課題を 1 件採択し、支援課題に関する成果として、平成 30 年度末までに腫瘍性病変検出感度 85%を達成した。

・また、8K 等高精細映像データ利活用研究事業／高精細映像データの収集・解析を通じて内視鏡診療支援を行う医用人工知能システムの研究では、人工知能（AI）によりポリープ・癌をリアルタイムで検知し、医師による病変の発見から治療方針提案、さらに再発予測を含む大腸内視鏡検査支援システムを開発。開発した AI をテストしたところ、平成 30 年度は腫瘍性病変の検出感度 85%を達成した。

■リバーストランスレーショナルリサーチ等による循環型研究開発

・平成 30 年度から「再生医療実現拠点ネットワークプログラム（個別技術開発課題」のなかで、リバース・トレーショナル・リサーチに係る公募を実施していいる。（平成 30 年度は 1 課題を採択。）

■革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST、PRIME、LEAP）

・本事業においては、各年度において公募テーマをそれぞれ設定し、下記の通りに採択を行った。採択にあたっては、いずれも書面評価、ヒアリングを行い、事前評価を行った。

【領域・課題】

| AMED-CREST・PRIME | | H27 | H28 | H29 | H30 |
|---|---|---|---|---|---|
| 新規 | 領域数 | 2 | 1 | 1 | 1 |
| | 応募課題数 | 458 | 439 | 584 | 503 |
| | 採択課題数 | 36 | 35 | 49 | 37 |
| | 契約数 | 63 | 74 | 49 | 38 |
| 既存 | 領域数 | 7 | 7 | 7 | 7 |
| | 継続課題数 | 84 | 112 | 121 | 153 |
| | 契約数 | 232 | 243 | 273 | 279 |

| LEAP | | H27 | H28 | H29 | H30 |
|---|---|---|---|---|---|
| 新規 | 採択課題数 | 2 | 1 | 1 | 1 |
| 既存 | 継続課題数 | - | 2 | 3 | 4 |
| | 契約数 | - | 8 | 13 | 14 |

【運営】

【革新的先端研究開発支援事 業 （ AMED-CREST 、PRIME、LEAP）】

・研究・開発を推進できたことは評価できる

【メディカルアーツの創成に関する研究】

・研究・開発を推進できたことは評価できる

| AMED-CREST/PRIME | H27 | H28 | H29 | H30 |
|---|---|---|---|---|
| サイトビジット（領域） | 41 | 53 | 36 | 34 |
| 領域会議・キックオフ | 5 | 6 | 11 | 9 |
| 課題評価 | 6 | 5 | 4 | 5 |
| | 37 | 35 | 27 | 51 |
| 領域評価 | 3 | 5 | 2 | 2 |
| シンポジウム | 4 | 1 | 1 | 1 |

| LEAP | H27 | H28 | H29 | H30 |
|---|---|---|---|---|
| PSPO 会議 | 1 | 2 | 1 | 0 ※1 |
| サイトビジット・PSPO との面談 | 0 | 0 | 2 | 2 |
| 課題主催プロジェクト会議 | 1 | 2 | 3 | 6 |

※１：機構担当者による持ち回りにより議論を実施。

・機構発足に伴い、科学技術振興機構（JST）の戦略的創造研究推進事業 CREST において実施してきた医療分野に資する研究開発として 7 領域 84 課題について移管を受け、JST での実施にかかる膨大な管理データを引き継ぎ、JST 時代からの既存領域の運営を開始した。また、平成 26 年度に JST が実施した規研究開発領域の設定にかかる調査の内容を引継ぎ、平成 27 年度当初に AMED 職員によるインタビュー等の調査を行い、2 つの新規研究開発領域を設定した。
・戦略的創造研究推進事業では CREST、さきがけとそれぞれにおいて領域マネジメントを行っていたものを、本事業ではユニットタイプ（AMED-CREST）、ソロタイプ（PRIME）の両者一体型の領域マネジメントとした形での領域の運営方式を設定した。機構発足から平成 28 年度までは事業運営サイクルを安定化させることに注力したが、そもそもの事業規模が大きいこともあり、かなりのエフォートを要した。そこで、平成 29 年度以降は評価や領域会議等の実施にかかる部分の効率化を図るとともに、研究開発マネジメントを強化した。その結果、Nature や Science 等の掲載などトップクラスの基礎的研究成果を続々と創出している。
・平成 27 年度から平成 30 年度の各年度において、翌年度の新規研究開発領域の設定に向けた調査を行った。特に、平成 30 年度においては、次期中長期計画の中核的テーマの一つとして検討されている「ヒトのライフコースを意識したアプローチ」については、戦略ワークショップ、連携シンポジウムを開催し、新規研究開発

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 領域の設定に向けた検討を実施するとともに、成育疾患克服等総合研究事業および女性の健康の包括的支援実用化研究事業との連携を詳細に検討し、医療応用を可能とするための長期的視点に立った基礎的研究の戦略について検討した。<br>・国際水準での評価の実施を目的とし、国際レビューア（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）の導入準備を平成 29 年度に行った。本件は、AMED 全体への導入に先駆けた試行として、レビューアの探索から依頼までの一連の仕組みを構築し、平成 30 年度の AMED-CREST 新規領域において、提案書の一部を英語化し、海外レビューア 19 名による書面審査を実施した。本件は、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。<br>・インキュベートタイプ（LEAP）においては、画期的シーズの創出・育成をより一層進めるため、企業導出に向けた活動促進と他事業との連携を図るべく、平成 29 年度から平成 30 年度にかけて選考方法の改革を検討した。具体的には、これまでの候補課題の条件を AMED-CREST、PRIME の領域総括（PS）の推薦に加えて自薦も可能とした事前登録制とし、AMED-CREST・PRIME 等の研究者と AMED 他事業の応用以降の研究者とのマッチングフェーズを設定することで、より効果的な成果の導出に向けた研究開発提案を行うための仕組みとした。また、平成 31 年度の選考として、平成 30 年度に前述の提案プロセスを始動した。<br>・平成 30 年度において、AMED-CREST, PRIME の研究開発代表者に対し、ヒト検体サンプルへのニーズやバイオバンク利用についてアンケート調査を行った。その結果、ヒト検体サンプルへのニーズは高いが、バイオバンク利用に関する情報不足や倫理申請の困難さが課題として挙がったため、バイオバンク利用や倫理申請の支援を目的とした PO を指名することを検討した。平成 31 年度から、この支援の開始を予定している。<br>・AMED-CREST, PRIME から得られた優れた基礎研究成果を他の疾患別事業等に展開することを促進するため、ヒト検体サンプルを用いた対象疾患の絞り込みや分析技術の汎用性検証を行うための新たな取り組みとして、平成 29 年度～平成 30 年度にかけて「ステップタイプ（FORCE）」を設計した。平成 30 年度より提案を募集し、平成 31 年度に新規採択を行う予定である。<br><br>■メディカルアーツに関する取り組み<br>・総合的な取り組みとして、組織内で協同し、メディカルアーツの開発及び普及に関する研究へのファンディング等に係るデータを事業横断的に集積した。具体的には、事業横断的に、メディカルアーツに関連する一部の課題について、担当の部局等の特定、関連する事業、課題管理番号等を集積した。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
| --- |
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（業務運営の効率化に関する事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅱ―(1)―① | (1)業務運営の効率化に関する事項<br>①組織・人員体制の整備 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| PD/PS/PO の委嘱件数 | | | 182 件 | 208 件 | 243 件 | 293 件 | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

３．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価軸（評価の視点）、指標等 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| AMED に求められる機能（研究開発のマネジメント（データベースの構築を含む。）、研究不正の防止、臨床研究及び治験データマネジメント、実用化へ向けた支援、研究開発の基盤整備に対する支援、国際戦略の推進、政府出資を活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）を果たすため、適切な組織・人員体制を整備することとする。 | AMED に求められる機能（研究開発マネジメント（データベースの構築を含む。）、研究不正の防止、臨床研究及び治験データマネジメント、実用化へ向けた支援、研究開発の基盤整備に対する支援、国際戦略の推進、政府出資を活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）を果たすための組織を設け、広く産・学・官から優秀な人材を登用する | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・組織・人員体制の整備状況。 | ＜主要な業務実績＞<br>■組織・人員体制の整備<br>・組織は求められる機能を果たすため、適宜組織変更を実施した。<br><br>・定常的な組織として事業部門７部、事業支援部門２部、管理部門に３部１室、理事長、理事の下に 12 部１室として運用した。<br><br>・退職等による人員の不足、新規事業に必要な人員は、随時、公募等により産・学・官の各分野から事業を推進するためにふさわしい人材を採用し配置した。<br><br>■機動性・効率性が確保できる柔軟な組織・人員体制の確保<br>・組織は戦略推進部を軸に他 6 事業部との縦横連携による全体最適化を図る体制を維持し、政策や研究開発動向の変化等に応じて機動的に対応し、各事業間の緊密な連携による効率性を確保するため、各部室の人員は産・学・官それぞれのノウハウ等を持つ出身者や経験者等の人数バランスを考慮して配置している。<br><br>・機構の運営、事業の推進に必要な人材を長期・安定的に確保し、人 | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br><br>機構の運営、事業の安定的な推進に資する職員として「プロパー職員」の採用を実施した。プロパー職員は現在 14 名となった。<br><br>【組織・人員体制の整備】<br>・組織は求められる機能を果たすため、12 部１室として運用した。欠員が生じた際には、公募等により、各分野から経験と知識を有した人材を採用して配置した。<br><br>【機動性・効率性が確保できる柔軟な組織・人員体制の確 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | など、当該業務を推進するために適切な人員を配置する。<br>関連する政策や医療分野の研究開発動向の変化、業務の進捗状況に応じ機動性・効率性が確保できるような柔軟な組織・人員体制を整備する。 | | 員体制の基盤を構築するため「プロパー職員」制度を策定し、平成29年度から運用を開始した。平成30年4月1日付で6名、平成31年4月1日付で8名を採用した。<br><br>・平成25年4月の改正労働契約法の施行により、無期転換ルールが制度化されたことに伴い、平成30年9月にAMEDとしての無期転換制度を策定した。 | 保】<br>・戦略推進部を軸とした他5事業部との縦横連携による全体最適化を図れる体制を維持するため、産・学・官から経験者を人数バランスを考慮し人員配置を行っている。 | | |
| | 特に、AMEDにおけるマネジメントにおいて重要な役割を果たすPD、PS、PO等、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うこととする。また、利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用するものとする。 | また、特に、PD、PS、PO等、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うこととする。また、利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・産学官からの優れた人材の積極的登用状況<br>・利益相反の防止や透明性の確保にも配慮した、外部人材の登用状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・PD/PS/POの委嘱件数 | ■PD、PS、PO等の産学官からの登用<br>・プログラム・ディレクター（PD）、プログラム・スーパーバイザー（PS）、プログラム・オフィサー（PO）は、機構に求められる機能である優れた基礎研究の成果を臨床研究・産業化に繋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、研究分野に関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、利益相反を充分に配慮して、外部より委嘱して登用した。<br><br>■利益相反・透明性に配慮した外部人材の登用<br>・利益相反の防止及び透明性の確保に係る対応として、「研究開発課題評価に関する規則」において利益相反に係る基準を規定するとともに、PD・PS・POをホームページで公表した。また、個別研究課題の選定のための評価を行う事前評価委員会の委員については、採択課題の公表時に合わせてホームページで公表するように努めた。<br><br>＜平成29年度主務大臣による評価を踏まえた課題＞<br>■指摘事項<br>・委託研究開発契約書の紛失事案の発生について、事案発生後講じられた管理体制が再発防止策として有効に機能するか今後も注視する必要がある。<br>【対応状況】<br>・再発防止のために講じた、契約書保管状況のチェックや保管キャビネットの鍵貸出等の管理体制については、有効に機能しており、以降紛失事例は発生していない。 | 【PD、PS、PO等の産学官からの登用等】<br>・PD、PS、POについては、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・官の各分野から源泉に人選し、利益相反に充分に配慮して外部より委嘱し登用している。<br><br>【利益相反・透明性に配慮した外部人材の登用<br>・個別課題選定の事前評価委員についても、利益相反に係る基準に基づき外部より委嘱。登用し、採択課題の公表に合わせてホームページでの公表に努めている。 | | |

| ４．その他参考情報 |
| --- |
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（業務運営の効率化に関する事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅱ―(1)―② | (1)業務運営の効率化に関する事項<br>②ＰＤＣＡサイクルの徹底 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等<br>（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）<br>当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| 中間・事後評価委員会の実施回数 | | | 66 回 | 109 回 | 123 回 | 128 回 | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | 評定 | | 評定 | |
| 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うこととする。評価に当たっては、外部の専門家・有識者を活用するなど適切な体制を構築することとする。また、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 サイクルを徹底する。 | 研究事業については、外部有識者からなる評価委員会による評価を行うとともに、AMED の行う事業について、中長期目標に示された目標の達成に向けて年度ごとの計画を適切に定めるとともに、中長期計画及び年度計画の評価を行い評価結果を公表する。また、評価結果は、次年度以降の業務改善につなげる PDCA サイクルを徹底することにより効率的・効果的な業務を行う。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・AMED で行っている事業についての評価の実施状況<br>・PDCA サイクルの実施状況<br><br>＜モニタリング指標＞ | ＜主要な業務実績＞<br>■研究成果に係る中間・事後評価の実施<br>・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●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。<br>・外部有識者により構成される課題評価委員会を設置し、中間・事後評価を実施。委員の選任にあたっては、必要に応じて生物統計家を選任するなどし、適切な研究デザイン、コントロールの選択、サンプルサイズ設計等の評価を可能とした。また、PO の進捗管理のもと進捗に問題があると判断された課題や書面審査の結果必要と認めた課題をヒアリング審査の対象とするなど、効率的・効果的な評価の実施に努めた。<br>・PO の進捗管理のもと進捗に問題があると判断された課題や書面審査の結果必要と認めた課題をヒアリング審査の対象とするなど、効率的・効果的な評価の実施に努めた。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。 | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br><br>目標・計画に基づき、研究成果に係る中間・事後評価の実施、年度計画に沿った進捗の把握と評価、医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理、研究評価・課題管理の改善に向けた検討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。<br><br>【研究成果に係る中間・事後評価の実施】<br>・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による評価を実施し、その結果を研究者にフィードバックするとと も | | | | |

<table>
<tr>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td>・中間・事後評価委員会の実施回数</td>
<td>■年度計画に沿った進捗状況の把握と評価<br>・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・管理する業務と予算に関する会議として体制を構築し、実施。<br>・機構が実施する事業については、定期的（例年、10 月及び 3 月に実施）に「業務及び予算に関する会議」（理事長、理事、執行役、各部部長により構成）を開催し、全ての部門の部課長クラスからの業務報告、それによるポイントをおさえた業務進捗管理を行うとともに、必要に応じて理事長から業務改善の検討等の指示を行い、これに対して、全ての部門は対応方針を作成し、次回の同会議において指示事項に対する対応状況のフォローアップを実施した。その際、各指示事項に対して、複数の部局の連携も含めた担当部局、対応内容、対応スケジュールを明確化、具体化したアクションプランに整理していくこととし、フォローアップを効率的・効果的に実施したとともに、部局を超えた活動を促進した。<br>・毎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。<br><table><tr><td>中間・事後評価委員会の実施回数</td><td>平成 27 年度</td><td>平成 28 年度</td><td>平成 29 年度</td><td>平成 30 年度</td><td>合計</td></tr><tr><td>（回数）</td><td>66 回</td><td>109 回</td><td>123 回</td><td>128 回</td><td></td></tr></table></td>
<td>に、追加配賦の課題選択や翌年度の研究費の配分、研究課題や事業の改善に活用している。<br>・中間・事後評価の実施に当たっては、書面審査とヒアリング審査を適宜使い分けることによる、効率的な評価の実施が進められている。<br><br>【年度計画に沿った進捗状況の把握】<br>・年度計画に沿った進捗の把握と評価を着実に実施したことは評価できる。</td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
<tr>
<td>事業部門各部/課</td>
<td></td>
<td>一方、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する。</td>
<td>＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・医療研究開発の進捗管理状況</td>
<td>■医療研究開発速度の最大化に資する進捗管理<br>・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。<br>・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。<br>・昨年度に医薬品分野における研究開発マネジメントチェック項目を導入し今年度はその着実な活用を進めるとともに、今年度は医療機器分野及び再生医療分野における研究開発マネジメントチェック項目を導入・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。<br>・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</td>
<td>【医療研究開発速度の最大化に資する進捗管理】<br>・医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理、研究評価・課題管理の改善に向けた検討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。</td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
</table>

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 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。<br>・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。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（業務運営の効率化に関する事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅱ―(1)―③ | (1)業務運営の効率化に関する事項<br>③適切な調達の実施 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等<br>（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）<br>当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| | 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | | 評定 | | 評定 | |
| | 調達案件については、主務大臣や契約監視委員会によるチェックの下、一般競争入札を原則としつつも、随意契約できる事由を会計規程等において明確化し、公正性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施する。公正かつ透明な調達手続による適切で、迅速かつ効果的な調達を実現する観点から、機構が策定した「調達等合理化計画」に基づく取組を着実に実施す | 物品調達等の契約については、主務大臣や契約監視委員会によるチェックの下、一般競争入札の厳格な適用により公平性、透明性を確保するとともに、随意契約によることができる基準を会計規程等において明確化し、公平性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施する。公正かつ透明な調達手続による適切で、迅速かつ効果的な調達を実現する観点から、「調達等合理化計画」に基づく取組を着実に進めると | ＜評価軸＞<br>・公正性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施したか。<br><br>＜評価指標＞<br>・合理的な調達の取組状況 | ＜主要な業務実績＞<br>■合理的な調達に向けた取組<br>・物品等の調達に当たっては一般競争入札を原則とし、随意契約に依らざるを得ない場合は、会計規程等で規定されている随意契約基準に沿った調達に限定すると共に、定期的に契約監視委員会による点検を行い、契約情報及び契約監視委員会の開催実績を HP 上で公開することで、公平性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施した。<br><br>・各年度の調達等合理化計画の自己評価を踏まえ、年度毎に調達等合理化計画を作成、契約監視委員会による点検後、当該計画を HP 上で公開した。<br><br>・調達等合理化計画に基づき、事務・事業の特性を踏まえた適正な随意契約並びに効果的な規模の単価契約・一括調達を実施すると共に専用の Web サイトによる入札関係書類のリリースを推進した。また、一者応札の改善に向け、他法人の取り組みを研究し、平成 30 年度より新たに参加者確認公募制度を導入、運用を開始した。<br>また、契約審査委員会による新規随意契約における随意契約基準との整合性の点検、調達等合理化検討会メンバー等 | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br><br>目標・計画に基づき策定した、「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27年度に比べ、競争性のない随意契約の比率改善につながった。また、ホームページにおいて、公平性・透明性の確保のため、各種情報の公表を行った。以上から、着実に目標を達成していると考えており、評定をＢとする。<br><br>【合理的な調達に向けた取組】<br>・調達にあたっては、調達等合理化計画及び機構の会計規程等に沿って、厳正な取扱いを行っており、入札公告及び契約 | | | |

る。

ともに、さらなる改善を実施する。

による調達個別案件の確認等を通じ、調達に関するガバナンスの徹底を図った。

➢ 競争性のある契約の契約実績： 4,052 件
契約実績総数に占める割合は、
平成 27 年度 82.8%→平成 30 年度 83.0%（0.2 ポイント増、金額ベースで 2.5 ポイント増）
➢ 競争性のない随意契約の契約実績： 832 件
契約実績総数に占める割合は、
平成 27 年度 17.2%→平成 30 年度 17.0%（0.2 ポイント減：金額ベースで 2.5 ポイント減）

・平成 30 年度調達等合理化計画の実施結果の詳細は以下の通りである。

１．調達の現状と要因の分析

平成 30 年度の契約状況

表１ 平成 30 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 27 年度 | | 平成 30 年度 | | 比較増△減 | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | 件数 | 金額 | 件数 | 金額 | 件数 | 金額 |
| 競争入札等 | (1.8%)<br>77 | (1.1%)<br>13 | (1.7%)<br>85 | (1.3%)<br>16 | (▲0.1%)<br>8 | (0.2%)<br>3 |
| 企画競争・公募 | (81.0%)<br>3,380 | (95.5%)<br>1,100 | (81.2%)<br>3,967 | (97.8%)<br>1,183 | (0.2%)<br>587 | (2.3%)<br>83 |
| 競争性のある契約（小計） | (82.8%)<br>3,457 | (96.6%)<br>1,113 | (83.0%)<br>4,052 | (99.1%)<br>1,199 | (0.2%)<br>595 | (2.5%)<br>86 |
| 競争性のない随意契約 | (17.2%)<br>718 | (3.4%)<br>39 | (17.0%)<br>832 | (0.9%)<br>11 | (▲0.2%)<br>114 | (▲2.5%)<br>▲28 |
| 合 計 | (100%)<br>4,175 | (100%)<br>1,152 | (100%)<br>4,884 | (100%)<br>1,210 | (0.0%)<br>709 | (0.0%)<br>58 |

（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 30 年度の対 27 年度伸率である。
（注 3）補正予算に関しては、経年比較のために除外してある。

表２ 平成 30 年度の国立研究開発法人日本医療研究開発機構の一者応札・応募状況
（単位：件、億円）

| | | 平成 27 年度 | 平成 30 年度 | 比較増△減 |
|---|---|---|---|---|
| 2者以上 | 件数 | (99.0%)<br>3,423 | (99.1%)<br>4,016 | (0.1%)<br>593 |
| | 金額 | (99.3%)<br>1,105 | (99.2%)<br>1,189 | (▲0.1%)<br>84 |
| 1者以下 | 件数 | (1.0%)<br>34 | (0.9%)<br>36 | (▲0.1%)<br>2 |
| | 金額 | (0.7%)<br>8 | (0.8%)<br>10 | (0.1%)<br>2 |
| 合 計 | 件数 | (100%)<br>3,457 | (100%)<br>4,052 | (100%)<br>595 |
| | 金額 | (100%)<br>1,113 | (100%)<br>1,199 | (100%)<br>86 |

（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） 合計欄は、競争契約（一般競争、指名競争、企画競争、公募）を行った計数である。
（注 3） 比較増△減の（ ）書きは、平成 30 年度の対 27 年度伸率である。

２．重点的に取り組む分野

| 平成 30 年度調達合理化計画 | 評価指標 | 実施結果 |
|---|---|---|

情報等をホームページで公表することで、公平性・透明性を確保している。

・重点的に取り組む分野においては、他法人の事例研究の結果、平成 30 年度より新たに参加者確認公募制度の導入を図り、競争性のない随意契約や一者応札の更なる削減の礎を築くことができた。

| | | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | | (1) 事務・事業の特性を踏まえた適正な随意契約の実施<br>相手先が限定されるような特殊で専門的な機器や役務調達及び業務の委託においては、事業の<br>特性を踏まえた適正な随意契約を実施する。 | 【当該取り組みの実施結果】 | 会計規程及び契約事務の取扱いに定めた随意契約によることができる事由を機構内に説明会等を通じ周知すると共に、総務省行政管理局「独立行政法人の随意契約に係る事務について」等も参照しながら、事業の特性を踏まえた適正な随意契約を実施した。 | | | |
| | | | | | (2) 効果的な規模の単価契約・一括調達の実施<br>主に、市場在庫流通物件の調達については、スケールメリットと事務の簡素化につながる事案を中心に単価契約・一括調達の実施を検討する。<br>他方、翻訳等の特定の労働集約型の調達対象においては、フェアトレードを前提とした中小企業配慮に留意する。 | 【当該取り組みの実施結果、単価契約の件数】 | 国立研究開発法人日本医療研究開発機構内で共通に使用するものについては、年間使用予定量の集計を行った上で、単価契約等による一括契約を以下の通り実施した。他方、翻訳業務、会議用音響機材設置業務、特定仕様の小口印刷業務等においては、中小企業を対象とした少額調達にも配慮し、調達を実施した。<br>（単価契約の件数）<br>平成 29 年度　平成 30 年度<br>28 件　→　22 件 | | | |
| | | | | | (3) 専用のＷｅｂサイトによる入札関係書類のリリースの推進<br>入札関係書類の専用 Web サイトホームページによる入札公告の公示、仕様書、入札説明書等の頒布並びに関連情報のメルマガ発行を通じて応札者の情報アクセス等の利便性向上を図り、多数の応札希望者に情報が行き渡るよう引 | 【当該取り組みの実施結果、入札公示案件数に対する入札説明資料のダウンロード者数】 | 入札公示専用の HP を開設、仕様書、入札説明書等の頒布を効率的に行うと共に、入札に係る質問に対する回答も当該 HP 上で展開し、適時に多数の応札希望者に対し情報が行き渡るよう対応を行った。<br>また、メルマガで、入札公示等の更新情報配信を行うことにより、応札希望者の利便性の向上に努めた。<br>（ダウンロード者数）<br>各公示案件の閲覧業者数の総数は 875 件であった。 | | | |

| | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| き続き配慮する。 | | ※平成 30 年度より重複閲覧を除外したため、昨年度の評価指標と対比はできない。 | | | | |
| (4) 一者応札の改善<br>一者応札の改善に向け、応札のなかった入札公告等の閲覧者に対し、その理由等を確認するためのアンケート調査を行い、要求担当者にフィードバックすることにより、よりオープンな仕様内容への改善を促すと共に、他の公的機関の取り組み等を研究し、AMED において実装可能な手法について検討を行う。 | 【当該取り組みの実施結果】 | 入札辞退者に辞退書の提出やアンケート調査への任意協力を依頼し、辞退理由を要求担当者と共有すると共に、一者応札及び随意契約の改善に向け、他法人の事例研究を行い、参加者確認公募制度を新たに導入し、調達における公平性・透明性の向上を図った。 | | | | |
| 3．調達に関するガバナンスの徹底 | | | | | | |
| (1)随意契約に関する内部統制の確立<br>新たに随意契約を締結することとなる案件については、契約審査委員会規則に則り、事前に法人内に設置された契約審査委員会（委員長は理事）に報告し、会計規程における「随意契約によることができる事由」との整合性や、より競争性のある調達手続の実施の可否の観点から点検を受けることとする。<br>ただし、特別の事情があり、委員長が認める場合に限り、委員会は、書面又はメールにより開催することと | 【契約審査委員会による点検件数等】 | 契約審査委員会規則に基づき、新たな随意契約の締結の審査のために、契約審査委員会を 5 回開催し 11 件の随意契約審査を実施した。いずれも規程に沿った事由に基づく適正なものとして承認された。 | | | | |

| | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | する。 | | | | | |
| | | | | (2)不祥事の発生の未然防止・再発防止のための取組<br>機構全体へ、適正な調達手続等について、職員研修等を通じ周知を行うと共に、マニュアル、早見表等のメンテナンスを行う。<br>推進体制にある調達等合理化検討会の統括責任者及び副統括責任者が指定するメンバーによる、調達内容の多面的な審査を行うことにより、国立研究開発法人日本医療研究開発機構がその事業の遂行のために資する適正な調達であるか、個別のチェックを行う。<br>必要に応じて要求者に直接説明を求める等の吟味を行うとともに、監事回付の調達伺い案件は、要求時回付を確実に行うものとする。 | 【当該取り組みの実施結果】 | 機構職員を対象とし、全員が参加できるようにスケジュールに配慮しつつ、調達事務に係る研修を 2 回実施した。<br>また、経理事務処理に関する<br>マニュアルや様式の追加整備<br>を行い、調達事務に必要とな<br>る書類を示す既存の早見表等<br>とともに電子掲示板等を利用<br>して、引き続き、組織全体に<br>周知を図るなど、不祥事発生<br>の未然防止への取組も行っ<br>た。<br>さらに、「購入依頼内容相談会」を毎週一回、定期開催する旨周知し、購入依頼内容について、多面的な意見を購入依頼部室が得られる機会を提供することで、適正な調達がなされるよう支援を行った。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（業務運営の効率化に関する事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅱ―(1)―④ | (1)業務運営の効率化に関する事項<br>④外部能力の活用 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等<br>（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）<br>当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| | 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | | 評定 | | 評定 | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | 費用対効果、専門性等の観点から、AMED 自ら実施すべき業務、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、外部委託を活用するものとする。 | 費用対効果、専門性等の観点から、自ら実施すべき業務と外部の専門機関の活用が適当な業務を精査し、外部の専門機関を活用することにより高品質で低コストのサービスが入手できるものについてアウトソーシングを積極的に活用する。 | ＜評価軸＞<br>・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、外部委託を活用したか。<br><br>＜評価指標＞<br>・外部委託の活用状況 | ＜主要な業務実績＞<br>■外部委託の活用<br>・第一期中長期計画期間を通じ、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研究開発支援のための調査研究、研究開発課題採択や評価、事業運営や研究者支援、経理等内部管理業務等各般の業務について、外部委託を推進。その結果、平成 30 年度は 626 件と平成 27 年度比約 36%増を達成した（平成 27 年度：460 件、平成 28 年度：597 件、平成 29 年度は 546 件）。具体的な取組み事例は次のとおり。<br><br>➢ 研究開発支援のための調査研究<br>・平成 27 年度再生医療等の産業化促進に向けた細胞入手のための課題調査以降、各年度の調査及び管理支援業務を外部委託。<br>・医療機器開発支援のあり方を検討するため、昨年 11 月に「医療機器開発の重点化に関する検討委員会」を設置して検討を進めた。その際、専門機関に外部委託を行い注目すべきグローバルトレンド、疾病別課題、医療のステークホルダーの課題等の調査・分析を行った。<br>・認知症対策官民イノベーション実証基盤整備事業の実施に当たり、「超早期予防」、「生活支援・社会受容」のための新製品・サービス等に関連したニーズ及びシーズの実態を把握するとともに、今後適切な製品・サービスを社会実装するための基盤整備に必要な要素について外部委託による調査を行った。また、今後の認知症研究開発のため、国内各地域の認知症コホートに対し、外部委託により詳細な調査項目など研究内容の実態を把握するための調査を行った。<br>・未診断疾患イニシアチブ（IRUD）の一環として、未診断疾患患者の診療状況の実態を把握するため、国立、私立大学附属病院の医師を対象とした調査を、調査会社に外部委託。<br>・米国における医療研究開発動向を調査するため、米国の情勢に精通する現地の専門業者に外部委託。 | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br><br>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。<br><br>【外部委託の活用】<br>・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、外部委託を推進したことは評価できる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・今後は、従来外部委託を行っていない分野や、AI・ICT 等新たな技術を活用した外部委託の可能性について検討を進める。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ➢ 研究課題採択、評価<br>・平成 28 年度に評価委員の委嘱に係る業務の一部を集約・一元化し、その業務を派遣職員が担う体制を構築。<br>・事前・中間・事後評価の各課題評価にオンライン評価システムを利用し、外部委託により研究課題の評価・集計、評価委員会の準備に係る各種資料作成等を実施。<br>・レビューアを導入する取組に際して、平成 29 年度はレビューアの探索、候補者への打診、内諾、平成 30 年度には内諾済みレビューアへの査読依頼から、19 名のレビューアによる書類査読の実施、謝金支払までの支援業務について、外部委託。<br>・評価委員会がスケジュール上、複数重なった際に受付・誘導等業務を外部委託。<br>・国際レビューアの導入にあたり、各事業部における負担軽減のため、国際レビューア候補者の依頼手続きや必要な情報の収集・連絡調整等の業務について、平成 30 年 9 月から外部委託。<br>・医療研究開発革新基盤創成事業では、採択から契約の間に、応募機関の財務状況を確認するため外部調査機関による財務状況の確認を行い、シーズとなる知的財産の特許性判断の参考資料とするための先行技術調査を調査機関に外部委託。また、契約のための条件調整に際して法律的問題について随時弁護士に相談できる体制を構築。<br><br>➢ 事業運営や研究者支援<br>・平成 29 年度からオンラインによる班会議システムを導入し、班会議の日程調整の効率化や報告事項の共有化を図った。<br>・製薬企業出身者、弁理士など専門人材による全国機動的な相談対応を可能とすべく、外部委託により「AMED 知財リエゾン」を全国に配置した。また、知財リエゾンと「AMED ぷらっと®」を一体的に外部委託することにより、研究開始早期からマッチング機会の提供まで、一貫した支援を実施した。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・年間約 70 件におよぶ各種評価会やシンポジウム、領域会議の会議運営を、平成 28 年度から外部委託。<br>・業務効率化の一環として、領域運営においての定型的・補助的業務を外部委託。<br>・再生医療研究交流会、再生医療公開シンポジウムの実施にあたり、情報セキュリティを考慮した申込み・受付システム構築、プログラム・抄録集の編集作業、、YouTube 配信等の業務のほか、会場での保安業務を外部委託。<br>・次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業における各事業の研究開発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外部委託。<br>・成果報告会運営に関して外部委託を行い、情報セキュリティを考慮した研究開発代表との資料送受信や申込み Web 構築、プログラム・抄録集の編集作業等の業務を外部委託。<br>・研究成果の海外展開を行うためのアフリカでのシンポジウムやニュージーランドでのワークショップを外部委託した。また、1 ヶ月で 6 件の国際ワークショップを開催するにあたり、開催準備のノウハウや報告書作成のための専門知識を有する専門業者に、ワークショップ開催支援を外部委託した。<br>・橋渡し研究戦略的推進プログラムの成果活用支援における拠点のシーズのポートフォリオ戦略の策定、企業リエゾンの支援、国際展開の支援を外部委託。<br>・医療研究開発革新基盤創成事業では、採択課題の管理や推進支援に必要となる専門的な情報の収集を目的として調査を外注した。また、課題管理の効率化・省力化ために事務局支援機能のアウトソーシングを行った。<br><br>➢ 内部管理業務<br>・経理伝票処理に関し外部委託。また。新財務会計システムの運用開始に向けて、仕様書作成にも関与したコンサルティング会社に開発支援業務を外部委託。<br>・専門的見地からの見直しが不可欠であること | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 等から、業務合理化及び IT 化のための業務分析業務の一部を外部委託。公募型プロジェクト業務フローの可視化、業務プロセスでの改善項目の洗い出し、IT 化を抽出。<br>・専門性の観点からホームページの大幅な情報拡充に向けてのコンテンツ作成・掲載業務の支援を外部委託すると共にホームページのリニューアルを行うため、コンテンツマネジメントシステム等の導入・開発を外部委託。<br>・内部統制システム構築に、専門的知見を有する機関に外部委託を行い、業務記述書、業務フロー図、リスクアセスメントシートを作成。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（業務運営の効率化に関する事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅱ―(1)―⑤ | (1)業務運営の効率化に関する事項<br>⑤業務の効率化 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 一般管理費削減率（対前年度予算額）(%) | 毎年度平均2%以上 | ― | ― | ― | ― | 3.0 | | 毎年度平均 3.0% |
| 事業費削減率（対前年度予算額）(%) | 毎年度平均1%以上 | ― | ― | ― | ― | 3.1 | | 毎年度平均 3.1% |
| ラスパイレス指数 | ― | ― | 109.8（年齢勘案）<br>93.6（年齢・地域・学歴勘案） | 109.5（年齢勘案）<br>92.8（年齢・地域・学歴勘案） | 106.0（年齢勘案）<br>89.9（年齢・地域・学歴勘案） | 108.3（年齢勘案）<br>91.5（年齢・地域・学歴勘案） | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | （期間実績評価） |
| | | | | | 評定 | 評定 |
| 運営費交付金を充当して行う事業については、新規に追加されるもの、拡充分等は除外した上で、一般管理費（人件費、公租公課等の所要額計上を必要とする経費及び特殊要因により増減する経費を除く。）は毎年度平均で２％以上、事業費は毎年度平均で１％以上の効率化を達成する。 | 運営費交付金を充当して行う事業については、新規に追加されるもの、拡充分等は除外した上で、一般管理費（人件費、公租公課等の所要額計上を必要とする経費及び特殊要因により増減する経費を除く。）は毎年度平均で２％以上、事業費は毎年度平均で１％以上の効率化を達成する。 | ＜評価軸＞<br>・運営費交付金を充当して行う事業については、新規に追加されるもの、拡充分等は除外した上で、一般管理費（人件費、公租公課等の所要額計上を必要とする経費及び特殊要因により増減する経費を除く。）は毎年度平均で２％以上、事業費は毎年度平均で１％以上の効率化を達成したか。 | ＜主要な業務実績＞<br>■業務の効率化<br>・運営費交付金を充当して行う事業について、平成 30 年度の一般管理費（人件費、公租公課等の所要額計上を必要とする経費及び特殊要因により増減する経費を除く）の実績は、平成 29 年度予算額に対し 3.0%減少し、本中長期目標期間の毎年度平均で 2%以上の効率化を達成する見込みである。<br>・同じく平成 30 年度の事業費の実績は、平成 29 年度予算額に対し 3.1%減少し、本中長期目標期間の毎年度平均で 1%以上の効率化を達成する見込みである。<br>※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 年度予算額との比較で、平成 30 年度より算出している | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br>・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ている。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。 | | |

<table>
<tr>
<td></td>
<td></td>
<td></td>
<td>＜評価指標＞<br>・業務の効率化状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・一般管理費削減率<br>・事業費削減率</td>
<td>＜一般管理費削減率及び事業費削減率の推移＞
<table>
<tr><td></td><td>H27年度</td><td>H28年度</td><td>H29年度</td><td>H30年度</td><td>平均</td></tr>
<tr><td>一般管理費削減率</td><td>－</td><td>－</td><td>－</td><td>3.0%</td><td>3.0%</td></tr>
<tr><td>事業費削減率</td><td>－</td><td>－</td><td>－</td><td>3.1%</td><td>3.1%</td></tr>
</table></td>
<td>【業務の効率化】<br>・一般管理費及び事業費の実績は、計画に沿って着実に効率化されている。<br>以上から、中長期目標における所期の目標を達成していると認められるため、評定をBとする。<br><br>【業務の効率化】<br>・一般管理費及び事業費の実績は、計画に沿って着実に効率化されている。</td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
<tr>
<td></td>
<td>また、総人件費については、政府の方針に従い、必要な措置を講じる。</td>
<td>また、総人件費については、政府の方針に従い、必要な措置を講じるものとする。</td>
<td>＜評価軸＞<br>・総人件費については、政府の方針に従い、必要な措置を講じたか。</td>
<td>■総人件費<br>・政府の方針に従い機構管理、定員管理及び人員配置を適切に行うとともに、人事院勧告に基づく給与等の改定を行った。<br><br>・増加する業務に対応し業務の一層の効率化を図るため、業務の委託、派遣職員の利用による業務の軽減化、効率化を図った。</td>
<td>【総人件費】<br>・</td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
<tr>
<td></td>
<td>さらに、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することとする。また、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するものとする。</td>
<td>さらに、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また、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、適正化に取組、その検証結果や取組状況を公表するものとする。こうした取組を通じて、必要な説明責任を果たすものとする。</td>
<td>＜評価軸＞<br>・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。<br>・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。</td>
<td>■給与制度、給与水準及び公表<br>・給与制度は、人事院勧告等による改正を適時で行い適正に運用した。<br><br>・給与規程等はホームページで機構内外へ公表している。<br><br>・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については、毎年度、適時適切に公表している。</td>
<td>【給与制度、給与水準及び公表】<br>・給与規程等はホームページで機構内外へ公表している。<br>・ラスパイレス指数を含めた給与水準の検証結果等の公表をホームページで機構内外へ公表している。</td>
<td></td>
<td></td>
</tr>
</table>

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | ＜評価指標＞<br>・給与水準公表等の取組状況 | | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（業務運営の効率化に関する事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅱ―(2) | (2)業務の電子化に関する事項 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| 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、AMED の制度利用者の利便性の向上に努める | 事務処理手続きの簡素化・迅速化を図るため、各業務のシステム化を検討し、AMED の制度利用者の利便性を図るとともに電子化によるペーパーレスを推進する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・電子化の促進等により事務手続きの簡素化･迅速化及び機構の制度利用者の利便性の状況。 | ＜主要な業務実績＞<br>■事務処理手続きの簡素化・迅速化と機構の制度利用者の利便性向上<br>【平成 27 年度】<br>・事務処理手続きの簡素化･迅速化を図るため、文書管理システム、人事給与システム及び財務会計システムの各業務システムを導入した。<br>・職員からの要望の強かった大容量ファイル転送システムを導入した。<br>・タブレット端末を利用したペーパーレス会議システムを導入した。<br>【平成 28 年度】<br>・文書管理システムにおいて規程に基づく秘密文書の適切な管理を可能とする機能追加及び人事給与システムにおける勤怠情報や旅費申請の入力方法の改善を行った。<br>・例規システムの運用を開始し、例規・法令の検索・参照に加え、例規の制定・改正作業が効率化した。<br>・入札情報等を提供する公告等掲示システムの運用を開始し、応札者への利便性を確保しつつ、契約業務の効率化を実現した。<br>･国民に対するサービス向上を図るため、情報公開シ | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br><br>機構の事務処理手続きの簡素化・迅速化に資する各種の業務システムの導入だけでなく､AMED ホームページの充実と AMEDfind の公開等により、機構の制度利用者の利便性向上を推進した。また、リモートアクセスの環境、貸出用モバイル端末の導入、データの遠隔地保存の開始なぢ、機構内ネットワークの充実を図りつつ情報セキュリティのレベルアップにも取り組んだ。更に、業務・システム最適化計画に基づき、将来のワークスタイルの変革にも対応する次期 AMED 基盤情報システムの調達を行い、平成 31 年 4 月 1 日に契約に至った。以上のように業務の電子化を着実に実施したことから、B と評価する。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ステム（法人文書ファイル管理簿検索システム）を新たに公開した。<br>【平成 29 年度】<br>・契約ごとの予算執行状況を即時に把握できるよう、契約管理システムと財務会計システムの機能を併せ持つ新財務会計システムを開発し、次年度からの運用につなげた。<br>・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、AMED オンライン課題評価システムを開発し、次年度からの運用につなげた。<br>・アカデミアの研究シーズ情報と企業ニーズの情報を蓄積・掲載することで相互のマッチングを図り、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ウェブシステム「AMED ぷらっと」を開発し、次年度からの運用につなげた。<br>・AMED ホームページを刷新した。サイト内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、公募進捗を俯瞰できるページの新設など、制度利用者の利便性を高めた。また、コンテンツの作成・承認・公開のワークフローを導入し、各部門がコンテンツ作成に直接関わることが可能となった。合わせてシステム基盤を刷新し、サーバーの冗長化による可用性向上と改ざん検知機能の強化を行った。<br>・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 内部利用にとどまらない、AMED 外の研究者、市民等がインターネット経由で検索、閲覧ができる一般公開版の AMS（AMEDfind）を構築した。<br>【平成 30 年度】<br>・「新財務会計システム」の運用を開始したことにより、委託研究契約単位及び補助事業単位の契約額、支出額、執行率の把握が容易になり、部課室における予算執行管理が効率化された。<br>・「AMED オンライン課題評価システム」の運用を開始し、1 年間で事前評価において 64 事業、約 3,600 課題、中間・事後評価では 90 事業、約 950 課題の評価業務に利用された。書面評価を含めると、本システムを利用した評価委員の総数は 1,013 名に上る。<br>・「AMED ぷらっと」は、平成 30 年 4 月、計画通り | 【事務処理手続きの簡素化・迅速化等】<br>・機構の事務処理手続きの簡素化・迅速化に必須の基本的な業務システム（文書管理、人事給与、新財務会計、会議室予等の各システム）だけでなく、オンライン課題評価システムなど、AMED に特有の業務の効率化・電子化を図る新規システムを開発し、運用を開始した。また、AMED の制度利用者の利便性を高める上で重要な AMED ホームページを充実させるとともに、AMED が支援する研究開発課題の情報をインターネットから自由に閲覧できる AMEDfind を公開した。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 本格稼働を開始し、早期コンサルテーションからマッチング機会の提供まで、一貫した支援体制を確立した。本システムへの参加機関数、登録シーズ・ニーズ数とも順調に増加（平成 31 年 3 月時点：参加機関数大学等 63 機関、製薬企業等 61 社、登録シーズ 145 件。登録シーズは、月 10 件程度のペースで増加中）し、5 件についてパートナリングに向けた交渉につながった。また、閲覧件数も毎月 300 件前後で推移しており、順調に活用が進んでいる。<br>・「AMEDfind」は平成 30 年 6 月に運用を開始し、平成 31 年 3 月からは公開する情報を研究概要まで拡張した。 | | | |
| | また、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、信頼性を確保する。 | また、幅広い ICT 需要に対応しつつ、職員の業務を円滑かつ迅速に行うことができるよう機構内情報ネットワークの充実を図る。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、信頼性を確保する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・幅広い ICT 需要に対応できる機構内情報ネットワークの充実及び情報システム、重要情報への不正アクセスに対する十分な強度の確保についての取組状況。 | ■機構内情報ネットワークの充実等<br><br>【平成 27 年度】<br>・幅広い ICT 需要に対応しつつ、職員の業務を円滑かつ迅速に行うことができるよう、東日本統括部と西日本統括部を AMED 本部と同じネットワークで接続し、AMED と同じシステム環境を整備した。<br>・出張時等の電子メールの利用を可能とするため、リモートアクセス環境（個人スマホ等でメール確認可能）と貸出用モバイル端末を導入し、運用を開始した。<br>【平成 28 年度】<br>・職員の業務を円滑かつ迅速に行うことができるよう、データセンターと機構オフィス間のスタンバイ通信回線のアクティブ化による通信容量を増強した。<br>・会議室・備品予約システムを導入することで、会議室の無駄な仮予約がなくなり、会議室の有効活用が図られた。<br>【平成 29 年度】<br>・セキュリティインシデント発生リスクの軽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し、定期的に報告するサービスの利用を開始した。 | 【機構内情報ネットワークの充実等】<br>・現行 AMED 基盤情報システムを前提として実施可能な機構内情報ネットワークの充実策、例えば、リモートアクセス環境と貸出用モバイル端末の導入、通信回線の容量増強などを順次進めるとともに、不正侵入対策としてのログ分析強化、想定を超える災害対策としてのデータ遠隔地保存、IC カードによる認証印刷など、情報セキュリティの強化策も着実に実施した。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・現在契約中のデータセンターは、高いレベルの災害耐性を有するが、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別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。<br>・AMED 本部の複合機の機能を拡張し、IC カードによるユーザー認証機能を導入した。これにより、別の職員が出力した印刷物の混入、印刷物の放置が避けられる。<br>【平成 30 年度】<br>・昨年度から外部委託業務を拡充して対応した不正侵入防御装置のアラート及び各種システムのログの常時監視は、平成 30 年度も継続して実施し、年間を通じて不正侵入は検知されなかった。<br>・昨年度導入した AMED 基盤情報システムの主要なデータを遠隔地保存を着実に運用し、バックアップデータセンターとのデータ同期を毎日 2 回実施することで、データを保全している。<br>・昨年度、AMED 本部の複合機を対象に導入した認証印刷機能（IC カードによるユーザー認証機能）により、平成 30 年度は印刷物の混入や紛失といった情報セキュリティ事象は発生しなかった。 | | | |
| | このため、「独立行政法人等の業務・システム最適化実現方策」（平成 17 年 6 月 29 日各府省情報統括化責任者（CIO）連絡会議決定）を踏まえ、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するものとする。 | このため、「独立行政法人等の業務・システム最適化実現方策」（平成 17 年 6 月 29 日各府省情報統括化責任者（CIO）連絡会議決定）を踏まえ、情報化統括責任者（CIO）等を配置し、業務・システム最適化計画を策定するとともに、当該計画に基づき、業務・システムの最適化を実施する。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・業務・システム最適化計画の策定・実施状況 | ■業務・システム最適化計画<br>【平成 27 年度】<br>・「独立行政法人等の業務・システム最適化実現方策」（平成 17 年 6 月 29 日各府省情報統括化責任者（CIO）連絡会議決定）を踏まえ、情報化統括責任者（CIO）等を配置し、業務・システム最適化計画を検討する体制を構築した。<br>【平成 28 年度】<br>・現在運用中の AMED 基盤情報システムにおける課題を洗い出し、最近の技術動向調査結果を踏まえた次期 AMED システム基盤としてのあるべき姿を描くとともに、最適化工程表及びコスト試算を含めた最適化計画を策定した。<br>【平成 29 年度】<br>・次期 AMED 基盤情報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。 | 【業務・システム最適化計画】<br>・業務・システムの最適化を実現する上で、老朽化したシステム基盤の更改は、最も重要な機会であり、次期 AMED 基盤情報システムへの更改を活用して最適化を進める。<br>・平成 28 年度には、次期 AMED システム基盤としてのあるべき姿を描き、最適化計画を策定した。<br>・平成 29 年度には、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 AMED 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。<br>・平成 30 年度には、次期 AMED 基盤情報システムの構築と 5 年間の運用保守業務を一括して調達した。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・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 AMED 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。<br>【平成 30 年度】<br>・前年度に作成した実装方針書と調達仕様書案を基に、調達仕様書の詳細化を進め、システムベンダーへの意見招請を実施した後、総合評価方式による競争入札により、次期 AMED 基盤情報システムの構築と 5 年間の運用保守業務を一括して調達した。平成 31 年 3 月に落札会社が決定し、同年 4 月 1 日に契約に至った。<br>・次期 AMED 基盤情報システムは、ワークスタイルの変革に対応するため、情報セキュリティを確保しながら執務室外でも業務を遂行できる端末の提供、機構外の関係者との業務連携を容易にする機能の提供、及びクラウドサービスの活用による運用の効率化を柱に据えており、令和 2 年 1 月の利用開始に向け、システムの設計、構築、移行等の準備を着実に進める。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（財務内容の改善に関する事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅲ―(1) | (1)予算（人件費の見積りを含む。）、収支計画及び資金計画 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| 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うこととする。 | 運営費交付金の効率的活用の観点から、各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を分析し、減少に向けた努力を行う。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・各年度期末における運営費交付金債務の状況。 | ■各年度期末における運営費交付金債務の状況<br>・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、適切な執行に向けた取組を着実に実施した結果、事業の進捗に伴い運営費交付金債務残高は減少し、中長期目標期間中の執行が見込まれている。<br>・H30 年度については、4 月より新財務会計システムの運用を開始して、支出額、執行率、前月との比較等が一目でわかるような予算執行状況確認資料を毎月作成し、幹部に報告するとともに全部課室に対して周知を行い、予算の計画的な執行を促進した。<br>・H30 年 11～12 月には当年度 2 回目となる予算執行状況ヒアリングを実施し、年度内執行計画の進捗状況及び運営費交付金債務の状況を把握するとともに、予算の過不足の調整を行い、事業の円滑な実施に寄与した。<br>・これらの取組の結果、H30 年度末の運営費交付金債務残高は前年度末と比べて 110 百万円減の 731 百万円（見込）となり、事業の進捗に伴い着実に運営費交付金債務が減少している。 | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br>・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、適切な執行に向けた取組を着実に実施した結果、事業の進捗に伴い運営費交付金債務残高は減少し、中長期目標期間中の執行が見込まれている。加えて、研究の適正かつ円滑な遂行のための取組として、研究費に係る概算払の基準額見直しや支払通知サービスの導入を実施することで、研究機関における経理業務の効率化・負担軽減に貢献し、アンケート調査において高い評価を獲得している。<br><br>以上から、目標の水準を満たしているため、評定を B とする。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ■研究の適正かつ円滑な遂行のための取組<br>（研究費に係る概算払の基準額見直し）<br>・研究開発の円滑化並びに研究機関における事務手続の軽減等を目的として、H30 年度より概算払の一括払基準額の見直しを行った（基準額を直接経費 20 百万円から 30 百万円に増額）。H29 年度実績において、今回の引上範囲に該当する契約等の案件数は 353 件、初回支払いを除いた支払処理回数は886回であり、H30年度には900回前後の支払処理の削減が見込まれたところ、年間で 1,042 件減少した。<br>・効果等に係るアンケートを実施したところ、対象契約がある機関の 93.1%で効果があったと回答があり、効果が生じた項目としては、1）請求事務等の負担軽減、2）研究資金運用管理及び研究開発の進捗管理の容易化、3）再委託先を含めた研究開発の迅速化等で高い回答率が認められた。また、基準額の更なる見直しについては 63.8%の機関が不要と回答しており、現在の基準が適正との評価であった。<br><br>（支払通知サービスの導入）<br>・AMED 研究資金の利便性向上を目的として、AMED が支払いを行った研究機関における内容確認作業の手間を削減するために、AMED が研究機関に対して支払いを行った際、その内訳や目的が明示された書類が研究機関側の経理担当者宛にメールで届くサービスを H30 年 4 月に導入した。<br>・従来は研究機関側において確認作業に相当の手間を要しており、AMED への問合せも多かったが、支払通知サービスの導入により研究機関側での確認作業の負担が軽減された。H30 年度末時点で配信対象となっている機関数は 54 機関、研究課題数は 2,722 件と、AMED 全体の研究課題数（3,955 件）の約 7 割を占めている。<br>・効果等に係るアンケートを実施したところ、得られた回答のうち 86%が「大いに役立っている」または「役立っている」を選択し、そのうち 92%が導入効果として「入金業務担当者の負担が減った」と回答した。 | 【各年度期末における運営費交付金債務の状況】<br>・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、適切な執行に向けた取組を着実に実施した結果、事業の進捗に伴い運営費交付金債務残高は減少し、中長期目標期間中の執行が見込まれている。<br><br>【研究の適正かつ円滑な遂行のための取組】<br>・研究費に係る概算払の基準額見直しや支払通知サービスの導入を実施することで、研究機関における経理業務の効率化・負担軽減に貢献し、アンケート調査において高い評価を獲得している。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ＜平成 27 年度主務大臣による評価を踏まえた課題＞<br>■指摘事項<br>・運営交付金債務については、設立初年度であり事業の立ち上げ等に時間が要したことによるものであり、平成 28 年度に執行する。<br>【対応状況】<br>・平成 28 年度運営費交付金債務は、その大半については使途決定した契約済みのものとなっている。<br><br>＜平成 29 年度主務大臣による評価を踏まえた課題＞<br>■指摘事項<br>・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、平成 30 年度以降の運営費交付金債務の計上を行う。<br>【対応状況】<br>・H30 年度については、4 月より新財務会計システムの運用を開始して、支出額、執行率、前月との比較等が一目でわかるような予算執行状況確認資料を毎月作成し、幹部に報告するとともに全部課室に対して周知を行い、予算の計画的な執行を促進した。<br>・H30 年 11～12 月には当年度 2 回目となる予算執行状況ヒアリングを実施し、年度内執行計画の進捗状況及び運営費交付金債務の状況を把握するとともに、予算の過不足の調整を行い、事業の円滑な実施に寄与した。<br>・これらの取組の結果、H30 年度末の運営費交付金債務残高は前年度末と比べて 110 百万円減の 731 百万円（見込）となり、事業の進捗に伴い着実に運営費交付金債務が減少している。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（財務内容の改善に関する事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅲ―(2) | (2)短期借入金の限度額 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 短期借入金実績額（億円） | 312 | | 0 | 0 | 0 | 0 | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | （期間実績評価） |
| | | | | | 評定 | 評定 |
| 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うこととする。 | 短期借入金の限度額は 312 億円とする。短期借入が想定される事態としては、運営費交付金等の受け入れに遅延が生じた場合、緊急性の高い不測の事態が生じた場合等である。 | ＜評価軸＞<br>・短期借入金の手当は適当か。<br><br>＜評価指標＞<br>・短期借入金の状況<br><br><モニタリング指標＞<br>・短期借入金額実績 | ＜主要な業務実績＞<br>・短期借入の実績なし。<br><br>＜短期借入金額実績の推移＞<br>（H27 年度：0 円／H28 年度：0 円／H29 年度：0 円／H30 年度：0 円） | ＜評定と根拠＞<br>評定：―<br><br>・実績なし。 | | |

| 短期借入金額実績 | H27 年度 | H28 年度 | H29 年度 | H30 年度 |
|---|---|---|---|---|
| | 0 円 | 0 円 | 0 円 | 0 円 |

４．その他参考情報

特になし。

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（財務内容の改善に関する事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅲ―(3) | (3)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 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| AMED が保有する資産については、有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い保有する必要がなくなったものについては廃止等を行う。 | AMED が保有する資産については、有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い保有する必要がなくなったものについては廃止等を行う。 | ＜評価軸＞<br>・AMED が保有する資産については、有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い保有する必要がなくなったものについては廃止等を行ったか。<br><br>＜評価指標＞<br>・AMED が保有する資産の有効活用の状況<br>・不要財産の処分状況 | ＜主要な業務実績＞<br>■機構が保有する資産の有効活用の状況と不要財産の処分状況<br>・土地･建物といった不動産資産は保有していない。<br>・資産の大部分を占める研究機関所在の研究機器等について、文科省、厚労省、医薬基盤研究所からの法定承継資産及び JST、NEDO からの任意承継資産の平成 27 年 4 月 1 日現在の簿価・償却期間を確定させた。<br>・研究機関所在の研究機器等に関しては、取得価額 50 百万円以上の資産は網羅的に現地へ赴き、活用、管理状況を確認し、取得価額 50 百万円未満の資産は抽出して同様の確認を実施した。<br>・研究が終了した研究機関所在の研究機器等に関しては、研究機関において研究を継続する場合、大学等の公的機関には無償譲渡し、企業等には有償若しくは無償で賃貸借を行い、研究機器等を有効に活用した。<br>・研究が終了した研究機関より不用処分申請のあった研究開発用物品について、有効活用のため物品利活用募集をかけたところ、大学より 1 件活用の希望があったため、引渡しを実施するための譲渡 | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br><br>機構の資産の大部分を占める研究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をするとともに、研究が終了した研究機器等の譲渡を適正に行う等、有効活用を推進するための取組を着実に実施している。以上から、目標の水準を満たしているため、評定を B とする。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 契約を平成 30 年度末に締結した。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（財務内容の改善に関する事項項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅲ―(4) | (4)Ⅲ(3)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 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣の評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| AMED が保有する資産については、有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い保有する必要がなくなったものについては廃止等を行う。 | AMED が保有する資産については、有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い保有する必要がなくなったものについては廃止等を行う。 | ＜評価軸＞<br>・AMED が保有する資産については、有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い保有する必要がなくなったものについては廃止等を行ったか。 | ・前項に規定する財産以外の重要な財産を譲渡するなどの実績なし。 | ＜評定と根拠＞<br>評定：―<br><br>・実績なし | | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| ― |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（財務内容の改善に関する事項項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅲ―(5) | (5)剰余金の使途 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| 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うこととする。 | AMED の実施する業務の充実、職員教育、業務の情報化、広報の充実にあてる。 | ＜評価軸＞<br>・AMED の実施する業務の充実、職員教育、業務の情報化、広報の充実にあてたか。<br><br>＜評価指標＞<br>・剰余金の使途の状況 | ＜主要な業務実績＞<br>【剰余金の使途】<br>・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。 | ＜評定と根拠＞<br>評定：―<br><br>・実績なし | | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（その他業務運営に関する重要事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅳ－(1) | (1)内部統制に係る体制の整備 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| 内部統制については、法人の長によるマネジメントを強化するための有効な手段の一つであることから、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、必要な取組を推進する。この際、「独立行政法人の業務の適正を確保するための体制等の整備」(平成 26 年 11 月 28 日付け総務省行政管理局長通知）等に通知した事項を参考にするものとする。 | AMEDの運営基本理念・運営方針、役職員の倫理指針・行動指針を策定する等の必要な取組を推進するため、法人の長である理事長のリーダーシップの下に組織内で目標達成を阻害する要因（リスク）を識別、分析及び評価し、適切な統制活動を行う。この際、「独立行政法人の業務の適正を確保するための体制等の整備」(平成 26 年 11 月 28 日付け総務 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・内部統制の推進状況 | ＜主要な業務実績＞<br>■内部統制の推進<br>・内部統制を推進するため、平成 27 年度に「内部統制体制整備タスクフォース」を立ち上げ、内部統制推進規程及びリスク管理規程を制定するとともに、内部統制推進委員会及びリスク管理委員会を設置した。内部統制推進委員会においては、内部統制のための進め方や方針等を決定するなど、平成 27 年度から 30 年度までに毎年度開催し、計 10 回実施した。リスク管理委員会においては、情報セキュリティ等に係る事象事例や超過勤務状況等労務管理状況の報告など、平成 27 年度から 30 年度までに毎年度開催し、計 9 回実施した。<br><br>・内部統制の役職員の意識向上を図るため、平成 27 年度から内部統制研修を実施し、平成 27 年度から 30 年度までに毎年度開催し、計 14 回実施した。 | ＜評定の根拠＞<br>評定：B<br><br>目標・計画に基づき、各年度における内部統制の進め方や方針等を決定した上で、内部統制を推進するために、平成 29 年度以降は、3 点セット及びチェックリストを更新するとともに、自己点検（モニタリング）を実施した。また、役職員を対象に、毎年度、内部統制に関する研修を実施した。このことから、中長期計画における所期の目標を達成しているため、評定をＢとする。<br><br>【内部統制の推進】<br>・内部統制の推進のため、内部統制推進委員会で方針を決定した上で、モニタリング(自己点検)や研修の実施、3 点セット及びチェックリストの取りまとめ等を行うなど、内部統制の充実 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 省行政管理局長通知)等を参考にするものとする | | ・平成 27 年度においては、災害発生時等における役職員の安否情報を速やかに把握するため、「安否確認システム」を導入し、災害時における体制確認のための環境を整備した。<br><br>・平成 28 年度においては、次の取組み等により、リスクコントロールマトリクス（RCM)、業務記述書、業務フロー図(以下、３点セット)及び管理部門内部統制チェックリスト(以下､チェックリスト)を取りまとめた。<br>(1)すべての部署に対して､機構の目標達成への阻害要因（リスク）の洗い出しのための<br>アンケートを実施し、取りまとめた。<br>(2)資金配分事業、経理業務、研究公正・研究倫理、利益相反、知的財産の各業務について<br>関係部署からヒアリングを実施し、リスクの洗い出しを行った。<br>(3)管理部門及び支援部門に対し一般的に管理業務等に共通するリスク項目について対応<br>状況を確認した。<br><br>・29 年度以降においては､新たに設置された４部署について３点セットまたはチェックリストを作成するとともに、全部署に対し、策定した３点セット等により自己点検(モニタリング)を行った。加えて、３点セット等をＡＭＥＤ掲示板に掲示することで、全職員に共有した。<br><br>・平成 30 年８月に立ち上げた「管理・支援部門 各部総括課長会議」の場を通じ、業務手順におけるリスク発生防止のために､管理･支援部門等に係る｢業務マニュアル｣の充実を図るための取組を行った。 | を図る取り組みを進め、リスク発生の未然防止に努めている。 | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（その他業務運営に関する重要事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅳ―(2) | (2)コンプライアンスの推進 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| コンプライアンス研修の参加者数 | | | 76 名 | 231 名 | 326 名 | 522 名※<br>※ｅラーニング修了者数 | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣の評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| AMEDが医療分野の研究開発等の中核的な役割を果たしていくためには、独立行政法人制度や国の制度等の法令等様々なルールを遵守し適切に行動していく必要がある。このため、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う。 | 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うために、コンプライアンス体制に関する規定を整備するとともに職員に対して定期的に研修を行うことにより職員の意識浸透と機構の適切な運用を図る。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・コンプライアンスの取組状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・コンプライアンス研修の参加者数 | ＜主要な業務実績＞<br>■コンプライアンス体制の構築<br>・平成 27 年度においては、役職員倫理規程を設け、例規データベースに掲載し、職員に周知を図っているほか、課長相当職以上の役職員に四半期毎の贈与報告を求める際に役職員倫理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。<br><br>・職員に対してのコンプライアンス意識啓発のため、職員研修を実施した。<br>平成 27 年度から 30 年度までに毎年度開催し、講義形式では計 9 回（延べ人数 633 名）、ｅラーニング形式では、延べ人数 522 名が受講した。<br><br>・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、平成 28 年 10 月に制定し<br>平成 29 年 1 月より施行し、併せて、年数回、全役職員に周知した。 | ＜評定と根拠＞<br>評定：Ｂ<br><br>目標・計画に基づき、役職員倫理規程や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の周知、また、コンプライアンス意識の醸成を図る職員研修等の取組を着実に実施した。以上から、中長期計画における所期の目標を達成しているため、評定をＢとする。<br><br>【コンプライアンス体制の構築】<br>・コンプライアンス意識の醸成のため職員研修を実施するなど、コンプライアンスの確保に向けた取組が実施されている。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ＜平成 29 年度主務大臣による評価を踏まえた課題への対応＞<br>■指摘事項<br>・委託契約開発契約書が紛失した事案について、再発防止策の有効性を検証する必要がある。<br><br>○平成 30 年 3 月に委託研究開発契約書を紛失する事案が明らかになったが、速やかに当該契約書の外部への持ち出し及び契約情報の漏洩がないことを確認し、契約書の保管方法等の再発防止策を立案・実施するとともに、当事案の発生及び今後の対策についてホームページ上で公表を行った。<br>○再発防止策（契約書及び保管キャビネットの鍵に係る管理・チェック対策）を設定、実施し、平成 30 年 5 月に監査室による内部監査、外部監査法人による監査によって、防止策が適正かつ有効に機能していることを検証している。また、監事においても防止策の検証を行い、有効であることの確認を受けている。<br>○平成 29 年度主務大臣による評価を踏まえた課題の指摘事項として、紛失事案に対する再発防止策の有効性を検証する必要を指摘されたことを踏まえ、平成 30 年度において四半期ごとに開催するリスク管理委員会に再発防止策の取組状況を報告させ、適正に機能していることを確認している。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（その他業務運営に関する重要事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅳ―(3) | (3)情報公開の推進等 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| HP の web アクセス件数 | | | 4,602,649 件 | 6,114,664 件 | 7,200,302 件 | 7,839,298 件 | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| 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する。具体的には、独立行政法人等の保有する情報の公開に関する法律（平成 13 年法律第 140 号）及び個人情報の保護に関する法律（平成 15 年法律第 57 号）に基づき、適切に対応するとともに、職員への周知徹底を行う。 | AMED の業務運営及び事業の透明化確保と国民に対するサービスの向上を図る観点から、情報公開法令に基づき、法人文書の開示を適切に行うとともに、保有する個人情報について個人情報保護法及び個人情報保護規則に基づき適切な管理を行う。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・AMED の情報の公開及び個人情報の適切な保護を図る取組の推進状況 | ＜主要な業務実績＞<br>■情報公開<br>【開示請求】<br>・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、平成 27 年度から 30 年度までに全 13 件の法人文書開示請求がなされ、独立行政法人等の保有する情報の公開に関する法律等に基づき適切に対応した。平成 27 年度から 30 年度までに開示決定に関する審査請求、訴訟はなかった。<br><br>【情報発信】<br>・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。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 | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br><br>目標・計画に基づき、法人文書開示請求に対する適切な対応、公募・採択情報やプレスリリースの発出等による情報の積極的な発信、研修等を通じた個人情報の適切な保護等の取組を着実に実施した。以上により、中長期計画における所期の目標を達成しているため、評定をＢとする。 | | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 月、AMED ホームページのリニューアルを行った。<br><br>■個人情報の保護<br>・平成 27 年度から 30 年度までに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、役職員に個人情報保護規則等の周知徹底を図るための個人情報保護研修を行った。<br>・平成 30 年度には、新たに、海外事務所が所在する国・地域における個人情報保護法令を研修の内容に追加した。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（その他業務運営に関する重要事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅳ―(4) | (4)情報セキュリティ対策の推進 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 情報セキュリティ研修実施回数（研修参加者人数） | 年１回以上 | | 2 回（449 名） | 2 回（479 名） | 2 回（527 名） | 5 回（161 名）※<br>※ これまでの e-ラーニングではなく、集合研修により実施 | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| 政府の情報セキュリティ対策における方針（情報セキュリティ対策推進会議の決定等）を踏まえ、研修を行う等、適切な情報セキュリティ対策を推進する。 | 政府の情報セキュリティ対策における方針（情報セキュリティ対策推進会議の決定等）を踏まえ、職員に対する研修を年１回以上行い情報セキュリティに関する意識向上を図る等、適切な情報セキュリティ対策を推進する。 | ＜評価軸＞<br>・適切な情報セキュリティ対策を推進したか。<br><br>＜評価指標＞<br>・情報セキュリティ対策の取組状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・研修参加者数 | ＜主要な業務実績＞<br>■情報セキュリティ対策の推進【組織的対応】<br>・AMED の設立当初から「政府機関等の情報セキュリティ対策のための統一基準」に準じた情報セキュリティポリシーを定めるとともに、制定後において政府統一基準の改正を踏まえ、平成 29 年度と平成 30 年度に情報セキュリティポリシーを改正した。<br>・情報セキュリティポリシーに基づく各種実施手順類を作成し、平成 29 年 5 月に施行した。<br>・平成 29 年度の情報セキュリティポリシー改正を踏まえ、AMED における CSIRT を平成 30 年 5 月に構築し、運用を開始した。<br>・平成 29 年度下期から、最高情報セキュリティアドバイザーを外部委託により設置し、活用している。<br><br>■情報セキュリティ対策の推進【技術的対応】<br>・平成 28 年度から DDoS 対策を導入した。 | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br><br>・求められる情報セキュリティ対策の組織的対応、技術的対応、教育研修の各分野において、バランス良く着実に必要な対策を実施してきたことから、B と自己評価する。<br><br>【情報セキュリティ対策の推進】<br>・指標とする情報セキュリティ研修を年 2 回以上実施したほか、標的型攻撃メール訓練及び情報セキュリティポリシーの遵守状況に係る自己点検を実施し、着実にセキュリティ対策に取り組んでいる。<br><br>＜今後の課題＞<br>・情報セキュリティポリシーと、それに | | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ・平成 29 年度から AMED ホームページの基盤を見直し、改ざんの自動検知を開始した。（業務の電子化に関する事項から引用）<br>・平成 29 年度から AMED 基盤情報システムの主要データの遠隔地保存を開始した。（業務の電子化に関する事項から引用）<br><br>■情報セキュリティ対策の推進【教育研修等】<br>・平成 27 年度から 30 年度まで、主に初任者を対象とする集合研修を 4 月に実施した。<br>・平成 27 年度から平成 29 年度まで、全役職員と派遣職員を対象に e-ラーニングによる情報セキュリティ研修を実施した。<br>・平成 30 年度には、最高情報セキュリティアドバイザーによる集合研修を実施した。<br>・平成 30 年度には、各種業務システムの情報システムセキュリティ責任者と管理者を対象に、システムを管理する上で重要な遵守事項の確認と、保守業務等の調達仕様書に含めるべき事項の周知を目的とする集合研修を実施した。<br>・平成 27 年度から平成 30 年度まで、全役職員と派遣職員を対象に標的型攻撃メール訓練を実施した。<br>・平成 28 年度から平成 30 年度まで、全役職員と派遣職員を対象に、情報セキュリティポリシーの遵守状況を確認するため自己点検を実施した。<br>・平成 30 年度には、18 個の業務システムの情報システムセキュリティ責任者を対象に、システム管理者としての遵守事項の遵守状況と、保守契約の仕様に必要な要件を含めていたかなどを確認するための自己点検を実施した。 | 基づく各種実施手順に記載された基本的な遵守事項を全ての役職員が遵守するよう、効果的な教育啓蒙活動を継続する。 | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（その他業務運営に関する重要事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅳ―(5) | (5)職員の意欲向上と能力開発等 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| 新規入構者、セクハラ、メンタル等研修参加者数 | 延べ 1,000 人 | 延べ 1,200 人 | 延べ 1,053 人 | 延べ 1,083 人 | 延べ 1,029 人 | 延べ 1,022 人 | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| 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ることとする。 | 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業績評価、役職に応じて設定された行動項目に基づく発揮能力評価により、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る。 | ＜評価軸＞<br>・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。<br><br>＜評価指標＞<br>・個人評価の実施及び職員の勤労意欲の向上への取組状況。 | ■人事評価制度の運用・定着<br>・人事評価については、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レビューする業績評価及び役職に応じて設定された行動項目に基づく発揮能力評価を毎年度計画的に実施した。<br><br>・管理職を対象とした評価者向け研修を実施し制度の普及、定着を図った。<br><br>・業績評価、発揮能力評価は定年制職員、任期制職員を対象とし実施した。組織目標を基に目標管理シートを作成、期中に中間面談を実施し、進捗等の確認を行った。評価結果については契約更新の判断材料、昇給、期末手当への反映を行った。<br><br>・評価結果を処遇等に反映させることにより、職員の勤労意欲の向上を図った。 | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br><br>目標・計画に基づき、人事評価制度の運用・定着、能力開発研修、女性の活躍促進、育児・介護等制度の利用促進等の取組みを着実に実施した。以上から、中長期計画における目標を達成しているため、評定を B とする。<br><br>【人事評価制度の運用・定着】<br>・人事評価については、人事評価制度研修会の開催など、適切に運用・定着が図られている。<br><br>【AMED-PO 制度の策定、認定等の運用】<br>・AMED-PO 制度を策定し、97 名の職員を認定し、業務対するモチベーションの向上、成果の創出を図った。 | | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | ■AMED プログラムオフィサー(AMED-PO)制度の策定、認定等の運用<br>・AMED プログラムオフィサー（AMED-PO）制度を平成 28 年度に策定し、毎年度制度の運用を行った。その結果、平成 30 年度までに 97 名を AMED-PO として認定した。 | | | |
| | | | ＜モニタリング指標＞<br>・新規入構者、セクハラメンタル等研修参加者数 | ■基礎研修<br>・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、業務マネジメントの意識化、グローバル化に対応した計画を策定し、以下の研修を実施した。<br><br>➢ AMED 全体研修<br>➢ ハラスメント研修、メンタルヘルス研修等<br>➢ 英会話研修、英文 E-mail 研修<br>➢ 安全保障輸出管理研修<br>➢ 人事評価制度研修<br><br>■基礎研修<br>・業務の効果的、効率的な実施のため基礎事項の周知・徹底、業務マネジメントの意識化、グローバル化に対応した計画を基に AMED 全体研修（基本研修）等を実施した。<br><br>・AMED 全体研修（基本研修）、ハラスメント研修、メンタルヘルス研修、英会話研修、英文 E-mail 研修、人事評価制度研修、安全保障輸出管理研修などを実施した。 | 【基礎研修】<br>・業務の効果的、効率的な実施を図るため基礎事項の周知・徹底等目的とした研修を実施した。 | | |
| | また、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るものとする。 | また、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習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る。 | ＜評価軸＞<br>・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。 | ■能力開発研修<br>・職員の能力開発について、業務実施上必要な基礎的知識、実践的な知識取得と専門分野の知識習熟を目的として計画を策定し、医療研究開発業務基礎研修を実施した。<br><br>➢ 医療研究開発業務基礎研修<br>➢ 共通基幹業務研修<br>➢ 知的財産に関する研修等 | 【能力開発研修】<br>・業務上で必要な知識の修得を図ることを目的に、各種研修を実施した。 | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | ＜評価指標＞<br>・職員の能力開発への取組状況 | ■能力開発研修<br>・職員の能力開発について、業務実施上必要な基礎的知識、実践的な知識取得と専門分野の知識習熟を目的として計画を策定し、医療研究開発業務基礎研修を実施した。<br><br>・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な研修を実施した。 | | | |
| | また、女性の活躍を促進するための取組を推進する。 | また、女性の活躍を促進するための取組を推進する。 | ＜評価軸＞<br>・女性の活躍を促進するための取組を推進したか。<br><br>＜評価指標＞<br>・女性の活躍を促進するための取組状況 | ■女性の活躍促進、育児・介護等制度の整備<br>・男女共同参画を推進するため、育児、介護にかかる休業や部分休業の制度、育児、介護にかかる早出遅出勤務の制度等の利用促進を図った。<br><br>・次世代育成支援対策推進法に基づく一般事業主行動計画を策定し、ホームページを通じて機構内外へ公表した。 | 【女性の活躍促進、育児・介護等制度の整備】<br>・育児、会議にかかる各種制度の利用促進を着実に実施した。 | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（その他業務運営に関する重要事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅳ―(6) | (6) 施設及び設備に関する計画 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | （期間実績評価） |
| | | | | | 評定 | 評定 |
| AMED が保有する資産については、有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い保有する必要がなくなったものについては廃止等を行う。 | AMED が保有する資産については、有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い保有する必要がなくなったものについては廃止等を行う。 | ＜評価軸＞<br>・AMED が保有する資産については、有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い保有する必要がなくなったものについては廃止等を行ったか。 | ＜主要な業務実績＞<br><br>施設及び設備に関する予定がないため、実績なし。 | ＜評定と根拠＞<br>評定：－ | ＜評定に至った理由＞ | ＜評定に至った理由＞ |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（その他業務運営に関する重要事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅳ―(7) | (7)職員の人事に関する計画 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

| ２．主要な経年データ | | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
| 能力開発に係る研修（参加者数） | | | 延べ 611 人 | 延べ 1,369 人 | 延べ 1,927 人 | 延べ 1,888 人 | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣の評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| 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ることとする。 | ①人材配置<br>職員の業績等の人事評価を定期的に実施し、その結果を処遇、人材配置等に適切かつ具体的に反映する。<br>②人材育成<br>業務上必要な知識及び技術の取得、自己啓発や能力開発のための研修制度を適切に運用する。 | ＜評価軸＞<br>・人材の配置に関する運用は適切か<br><br>＜評価指標＞<br>・人材の配置に関する運用状況<br><br>＜評価軸＞<br>・人材の育成に関する運用は適切か。<br><br>＜評価指標＞<br>・人材の育成に関する運用状況<br><br>＜モニタリング指標＞<br>・能力開発に係る研修（参加者数） | ■人材配置<br>・人事評価については、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レビューする業績評価及び役職に応じて設定された行動項目に基づく発揮能力評価を毎年度計画的に実施した。<br><br>・評価結果については、任期制職員等は毎年度の契約更新の判断材料として用いるとともに、4 月の昇給、期末手当等へ反映した。定年制職員は 7 月の昇給、期末手当等へ反映した。また人員配置を行う上での判断材料としても活用した。<br><br>■人材育成<br>・業務の効果的、効率的な実施のため基礎事項の周知・徹底、業務マネジメントの意識化、グローバル化に対応した計画を基に AMED 全体研修（基本研修）等を実施した。<br><br>・職員の能力開発について、業務実施上必要な基礎的知識、実践的な知識取得と専門分野の知識 | ＜評定と根拠＞<br>評定：B<br><br>計画に基づき、人事評価を適切に実施し、その結果を契約更新等に活用した。また各種研修に取り組み着実に実施した。以上から、中長期計画における目標を達成しているため、評価を B とする。<br><br>【人材配置】<br>・業績評価、発揮能力評価を毎年実施した。<br>・評価結果については、契約更新の判断材料、及び処遇に反映させた。<br><br>【人材育成】<br>・基礎事項の研修を着実に実施した。<br>・職員の能力開発に向けた研修についても着実に実施した。 | | | |

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | | 習熟を目的として計画を策定し、医療研究開発業務基礎研修を実施した。 | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（その他業務運営に関する重要事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅳ―(8) | （8）中長期目標の期間を超える債務負担 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 債務負担額 | | | － | － | 56,573 千円 | 1,800,428 千円 | | 累積 1,857,001 千円 |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| 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うこととする。 | 中長期目標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は行うことがある。 | ＜評価軸＞<br>・債務負担額は適切か。<br><br>＜評価指標＞<br>・中長期目標期間を超える債務負担額の状況 | ＜主要な業務実績＞<br>■中長期目標期間を超える債務負担額の状況<br>・中長期目標期間を超える債務負担については、当該債務負担行為の必要性及び資金計画への影響を勘案し、合理的と判断されるものについて行っている。 | ＜評定と根拠＞<br>評定：－<br>・中長期目標期間を越える債務はあるが、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。 | | | | |

４．その他参考情報

特になし。

様式２－１－４－２　国立研究開発法人日本医療研究開発機構　中長期目標期間評価（見込評価）　項目別評価調書（その他業務運営に関する重要事項）

| １．当事務及び事業に関する基本情報 | | | |
|---|---|---|---|
| Ⅳ―(9) | (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 | | |
| 当該項目の重要度、困難度 | － | 関連する政策評価・行政事業レビュー | － |

２．主要な経年データ

| 評価対象となる指標 | 達成目標 | 基準値等（前中長期目標期間最終年度値等） | 27 年度 | 28 年度 | 29 年度 | 30 年度 | 31 年度 | （参考情報）当該年度までの累積値等、必要な情報 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 前中長期目標期間繰越積立金の取崩額 | | | ― | ― | ― | ― | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |
| | | | | | | | | |

| 中長期目標 | 中長期計画 | 主な評価指標 | 法人の主な実績等・自己評価 | | 主務大臣による評価 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | | 主な業務実績等 | 自己評価 | （見込評価） | | （期間実績評価） | |
| | | | | | 評定 | | 評定 | |
| 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うこととする。 | 前期中長期目標の最終年度における積立金残高のうち、主務大臣の承認を受けた金額については、国立研究開発法人日本医療研究開発機構法に定める業務の財源に充てる。 | ＜評価軸＞<br>・積立金の活用は適切か。<br><br>＜評価指標＞<br>・積立金の活用状況 | ＜主要な業務実績＞<br>■積立金の活用状況<br>・前中長期目標期間繰越積立金はないため、実績なし。 | ＜評定と根拠＞<br>評定：―<br><br>・実績なし。 | | | | |

| ４．その他参考情報 |
|---|
| 特になし。 |